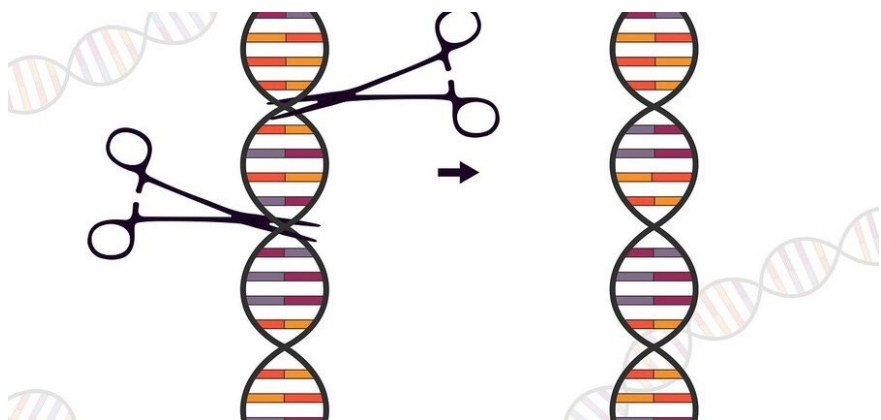


Oferta tecnológica CSIC/MS/001

Nuevas nucleasas Cas9 con características únicas para edición genética CRISPR-Cas



Nuevas nucleasas Cas9 de origen marino para edición genética mediante el sistema CRISPR-Cas cuyas aplicaciones van desde la terapia génica, a la mejora de organismos vegetales y animales.

Propiedad industrial

Solicitud de patente prioritaria

Estado de desarrollo

Prueba de concepto en *C.elegans* y en ciertos organismos vegetales

Colaboración Propuesta

Licencia y/o codesarrollo

Contacto

Miquel Sureda
Vicepresidencia de Innovación y Transferencia
icmtransfer@icm.csic.es
comercializacion@csic.es



Necesidad del mercado

Los sistemas CRISPR-Cas son ampliamente utilizados en ingeniería genética para editar el ADN y modificarlo de forma precisa. Actualmente se utilizan para terapia génica, y en biotecnología y agricultura para mejorar y modificar organismos concretos con características deseadas.

Sin embargo, las actuales Cas9 muestran algunos inconvenientes como la falta de precisión (*off-targets*), riesgo de inmunogenicidad o un gran tamaño, lo que dificulta su introducción en ciertas células.

Por todo ello, existe una necesidad de caracterizar y desarrollar nuevas moléculas Cas9 que puedan mejorar la versatilidad y eficiencia de los sistemas CRISPR-Cas.



Solución propuesta

Se han identificado y caracterizado dos nuevas nucleasas Cas9 (DO1 y DO2), las cuales muestran una baja similitud con cualquier otra Cas9 funcional descrita. Asimismo, presentan secuencias tracrRNA y crRNA únicas. Estas nuevas Cas9 presentan propiedades biofísicas únicas debido a su origen microbiano marino y de hábitat profundo.

Se han realizado pruebas de concepto en el organismo *C. elegans* y se están realizando nuevas pruebas en otros tipos celulares. Además se han testeado en organismos vegetales, mostrando mayor eficiencia que las actuales Cas9.

Ventajas competitivas

- DO1 tiene un tamaño mas pequeño que las actuales Cas9.
- Disponen de una alta especificidad lo que disminuye la posibilidad de *off-targets*.
- Son termosensibles (se desnaturalizan a $t > 30^{\circ}\text{C}$).
- DO2 edita la misma secuencia que SpCas9 (tratar casos de inmunogenicidad).
- DO1 tiene actividad catalítica a baja temperatura (estructura proteica flexible).