

第3回 ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会	資料3
令和元年10月9日	

# ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の枠組 に関する論点整理(案)

# ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する課題

## 1. 科学技術的課題

- 意図しない巨大な塩基の欠失や挿入、染色体の逆位や再編成等により、ゲノムの他の場所にも影響を及ぼすリスクがある。
- オフターゲットを正確にコントロールすることは、現時点では困難である。
- モザイク性により、細胞ごとに異なる改変が行われる可能性がある。
- ゲノム編集が、目的通りに実施できたかどうかを正確に検出する技術が未確定である。
- オフターゲットによる有害事象発生頻度が自然突然変異による有害事象発生頻度と同等もしくはそれ以下であることが科学的に証明できない。
- ゲノム編集技術等を用いた受精胚等の臨床利用の安全性に関するエビデンスは十分ではない。

## 2. 社会的倫理的課題

- 世代を超えて遺伝的改変の影響が残る。
- 遺伝子発現の制御が長期間影響するのか、次世代への影響があるのかが不明である。

# 第1回専門委員会でのご意見を踏まえた論点の考え方

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用は、安全性が担保されていないという科学的課題、後世代への影響のおそれがあることなどの社会的課題、その他の倫理的課題があることから現時点では容認できない。

この考えを前提に、臨床利用のあり方について法的規制も含めた制度的枠組を検討する上で、以下2つの論点について検討してはどうか。

1. 規制対象とすべきゲノム編集技術等の範囲
2. ゲノム編集技術等の臨床利用が許容される条件

# 規制の対象となるヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等(案)

技術等の対象 遺伝情報 改変技術等 の種類	核DNA		mRNA	ミトコンドリア DNA	科学技術的課題	社会的倫理的課題	
	DNAの 改変	遺伝子発現 (エピジェネティクス※1))					
<b>今回の規制の対象範囲</b>							
受精胚等	ゲノム編集技術	CRISPR/Cas9など 特定の塩基配列へ結合し、 切断し変異を誘導する(欠 失変異、挿入変異、相同組 換え、Base editingも含む)	CRISPR/dCas9など 特定の塩基配列へ結合し、 切断をせずに標的の遺伝 子発現を増強・抑制する	mRNAの特定の塩基配 列へ結合し、切断し変 異を誘導する (RNA editing)	CRISPR/Cas9など mtDNAの特定の塩基 配列へ結合し、切断し 変異を誘導する	オフターゲットや モザイク等 (現時点では科学 的安全性の評価 は不可能※3))	次世代以降(※2) へ人為的遺伝的改 変を引き継ぐ等
	遺伝子導入技術	ウイルスベクター/プラスミ ドを用いた相同組み換えな ど	ウイルスベクター/プラス ミドを用いたエピジェネティ クス化学修飾など	shRNAなど(ウイルスベ クター/プラスミド使用) 標的遺伝子のノックダウ ン等	ウイルスベクター/プ ラスミドを用いた、 mtDNAの変異を誘導		
	その他、核酸に 直接影響を及ぼ す医薬品等	紫外線 放射線	DNA脱メチル化阻害剤 ヒストン脱アセチル化酵素 阻害剤 DNA結合タンパク質など	siRNA、miRNAなど標的 遺伝子のノックダウン等	ミトコンドリア導入など		

(参考)

体細胞	ゲノム編集技術	技術は同上	技術は同上	技術は同上	技術は同上	臨床試験数: 55件(※4) (悪性腫瘍発生 報告なし)	対象疾患関連リス クと比較した際の ベネフィット
	遺伝子導入技術	技術は同上	技術は同上	技術は同上	技術は同上	臨床試験数: 2,918件(※5) (悪性腫瘍発生 3例)	

(※1) エピジェネティクス: DNA配列の変化を伴わず、染色体の変化によって遺伝子発現を制御するシステム

(※2) 「次世代以降」は、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚から生まれた子以降の世代

(※3) ゲノム編集技術は遺伝子のターゲティングを行うことから、理論的には最もリスクを下げられる可能性があるものと期待されているが、現時点では、評価する方法も未開発であり、ヒト受精胚を用いた基礎研究からの知見の蓄積もないため、評価不能。

(※4) NIH Clinical Trialにて検索(2019年10月現在) (※5) The Journal of Gene Medicine; 2018 John Wiley and Sons Ltd参照

規制の対象となるヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等(案)

