

令和元年 11 月 13 日 (水)

第4回 厚生科学審議会科学技術部会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 『この技術に対する患者家族の思い』

有機酸・脂肪酸代謝異常症の患者家族会 ひだまりたんぽぽ 柏木明子

本日は、私どものような小さな患者会の声を聞いていただけますことに感謝いたします。

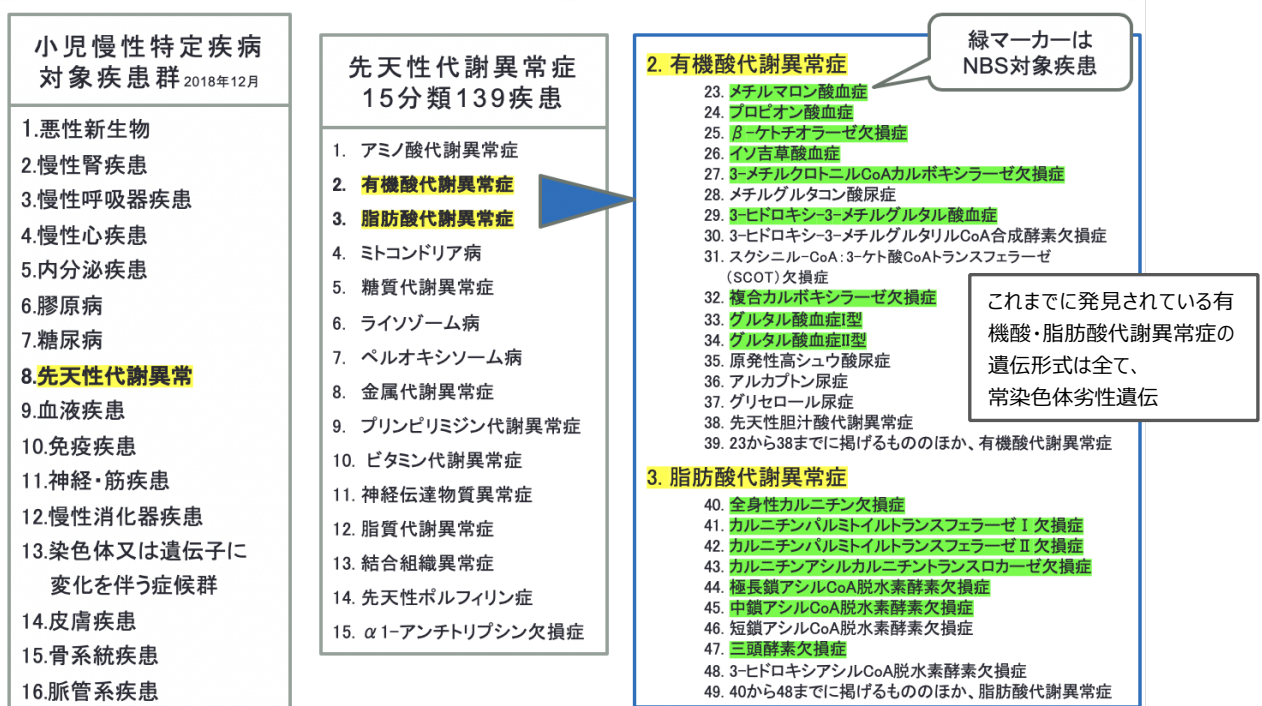
【患者会発足の目的は“医師への周知”でした】

我が家の長男は、産科クリニックで生まれ、日齢2日で突然嘔吐・呼吸困難・けいれんを起こしました。すぐに救急病院へ搬送され、日齢5日でメチルマロン酸血症と診断されました。当時、このように迅速に治療・診断に結びつく病児は稀で、新生児期に発症したメチルマロン酸血症児の1ヶ月生存率は50%と言われていました。

ひだまりたんぽぽは、メチルマロン酸血症とこれによく似ているプロピオン酸血症の家族が集まり、この病気の子どもたちの早期診断を願って、全国の産科・小児科医へ病気の周知を行うことを目的に、2005年に発足しました。

【新生児マススクリーニング(NBS)の対象疾患に】

近年、新生児マススクリーニング*の対象疾患が拡大され、私たちの病気もその対象となりました。そのおかげで現在は多くの子どもたちが健やかに成長できるようになりました。このスクリーニングの拡大に伴い、当会は有機酸・脂肪酸代謝異常症等の患者家族を広く歓迎しております。



*日本では生まれてきた赤ちゃん全員が「新生児マススクリーニング」という検査を受けています。これは治療が出来る病気を発病する前に見つけて治療を始め、赤ちゃんの障がいや予防するシステムです。以前は、日本では6つの病気を対象にされていましたが、平成26年度からはタンデムマス法という新しい検査を導入し、赤ちゃんの負担を増やすことなく20種類程度の病気を追加検査することが出来るようになりました。<NPO 法人タンデムマススクリーニング普及協会 HP の説明文より引用>

【私たちの活動の目的は】

有機酸代謝異常症の子どもたちの多くは、頻回のエネルギー補給や食事療法、服薬等を適切に行いながら体調管理に努めることで元気に成長できるようになりましたが、一方で脳や中枢神経、様々な臓器に障害を受ける場合も残念ながらあります。脂肪酸代謝異常症では、エネルギー補給をうっかり忘れてと突然死するリスクや、軽い運動でも激しい筋痛を起こして動けなくなる患者さんもあり、気が抜けません。こうした、発症予防のために行う食事療法や大量の服薬は患者家族にとって大きな負担であり、スクリーニングで発見されたからといって、手放して喜ぶことはできない現状があります。

私たち患者会は、有機酸・脂肪酸代謝異常症を持って生まれてきた子どもたちとその家族が心身ともに健やかに成長できるよう互いに経験を共有し、それぞれの家族が住み慣れた地域で安心して生活するための社会環境の実現を目指して活動している自助グループです。

【私たちが持つ、受精胚を用いた難病治療の研究のイメージ】

臨床利用は、現在禁止の方向で検討が進んでいるとのことですが、将来の可能性についての議論も重要と考えられているとお聞きしました。私どもは患者家族の立場からこの技術に対しては「慎重であって欲しい」と考えております。その具体的な声がこちらです。

質問：受精胚を用いた難病治療に向けた研究についてどう思いますか？

回答（患児の父母より）：

- 100年後、遺伝子検査・療法は一般的な医療行為として認知され、先天的な疾病は根絶されているような気がします。
- 先日、中国ではゲノム編集により双子の赤ちゃんを産んだという報道（フェイクニュース？）があったように、裏では倫理を気にせず、科学者・国家間の競争が行われ、ますますこの種の技術が発達していくと思います。
- 我が家の病児の妹が出生前診断なしに誕生した際に、医療の現場のたくさんの方から「病気じゃなくておめでとう」「遺伝してなくてラッキーな子だね」と声をかけてもらいましたが、実はその言葉に強い違和感がありました。生活するうえで大変なことも多々ありますが、私は息子の体質に誇りと尊敬を持っています。
- より良い治療法が明らかになることは喜ばしい反面、遺伝子疾患が誕生しない未来イコール「個性」ではなく社会から「欠点・ダメなもの」として見なされてしまう恐怖心も湧きます。
- ゴールとして遺伝子疾患の早期発見のための周知、疾患があっても無理なく生活していける治療、充実した社会福祉を期待しています。しかしながら研究が進み、もし息子の病気を根治させる治療法ができたとしたら（安全の確保というのが前提ですが）、本人のため家族のため子孫のために遺伝子治療を受けたいと思うのかもしれない。
- 医療として「どこからが自然の摂理に反する」は難しいですね。100年前から考えたら、今の私たちが抗生物質を飲んで病気を治すことや、放射線などの癌治療だって全く自然ではないですし…

質問：病気が完治できたらいいなと思ったことはありますか？

回答 有機酸代謝異常症の当事者 Kさん（30 歳代）より：

- 普段特に生活に不自由な思いはないので完治できたらという思いは特に湧かないです。薬飲む手間がなくなって、好きな物食べ放題な生活になれば、更に豊かになるとは思いますが。
- 完治の為に辛い治療法や副作用、莫大な治療費が心配なかったら試してみたいですが、という程度です。
- それより、先天性代謝異常症のことがわかるお医者さんが増えてくれたり、保険に自由に入れたり、私は指定難病になって楽になりましたが、指定難病になってない病気の方でも医療費の負担を減らしてほしいし、学校でどんな病気の子でも元気な子でもわけへだなく仲良く学べる様になるとか、病気を持ちながらも働ける場所がもっと増えて、ちゃんと自立できるようになるとか...そんな「暮らしやすい社会」になってほしいです。
- 医療の発展は願っていますが、人が命の組換え操作をしてはいけない様な気がします。そうした操作によって、未知の異常や病気が新たに発生するような気がします。
- 病気で苦しんでる方全員が治ってはほしいけど、命を操作したり選んで産めるようになったら、世の中、人の心の痛みや苦しみのわからない人が増えて恐ろしい事件が起こるかもしれません。
- 今回こうして、国の機関の方達が「ご意見を」と私たちの声を聞いてくれようと真摯な姿勢を感じますから、きっと遺伝子治療の技術が悪いことに利用されないように、国も真剣に考えてくれているのだろうと伝わってきました。

【将来、この技術を受ける当事者の思いは？】

このテーマを頂きましてから、眠れない日々を過ごしてきました。なぜ私はこの技術に対して一切の明るい希望や未来を想像できないのか、このモヤモヤした感情の全てを言語化することは大変難しいのですが、この場でお伝えすることに最大限の努力をさせていただきたいと思います。

まず、私が最も不安を感じる理由の一つは、この治療法が、当事者本人の希望ではなく、両親あるいはその親族の意思によって選択されるものであるということです。当事者本人にとって、この選択が幸せであるのかどうか、技術的・医学的なフォローアップはもちろんですが、当事者が成長する過程での心のケアについても丁寧に議論されることを期待いたします。

子どもの治療は、基本的には保護者が決定をするものですが、この技術は「病気を治す」というよりも「アイデンティティの一部を書き換える」行為と捉えられます。つまり「病気の治療」ではなく「病気を無かったことにする」わけであり、これは“治療”なのであろうかとここで一つ疑問が浮かびます。

果たして技術を受けた当事者は、成長の過程で自分の存在意義について何を感じるのか？親子の絆、きょうだいとの関係、将来のパートナーとの関係などで、苦しむ場面があるかもしれないと想像します。そうした可能性と、それに対するサポート体制について、深く考える必要があると思いました。

操作を受けた当事者は、自身が生物学的に誕生した時期に、自分のアイデンティティの一部を親族の意図によって書き換えられていることを、いつか知ります。それは、親が、自分に苦しい病気を背負わせないようにと選択してくれたのだと素直に感じるのかもしれませんが。しかし逆に「自分をありのままに受け入れてもらうことができなかった」こととして深い傷となり、どんな時も両親

が自分を愛してくれる存在であるとの確信を持てなくなってしまうたり、心の拠り所を失ってしまう可能性もあるかもしれません。また、人生の最期を迎えた時、出生前に人為的操作の加わった自分に、天国の門は開いてくれるのだろうか？という不安、死への向き合い方も私たちに想像できない苦しみを背負う可能性があるのかもしれません。

- ・操作を受けた事実を知ったことによって、自己肯定感を失うことのないように
- ・社会生活、パートナーと間で自己のルーツを原因として苦しむことのないように
- ・死への向き合い方に特殊な苦しみを持たないように…等のサポートする仕組みも合わせて議論が必要ではないかと感じています。

【母の思い～現在の出生前診断の状況から】

現在、私たちの病気は羊水検査で次子の出生前診断を受けることが許されています。これも大変苦しい選択です。まず検査を受けるか受けないか。受けたとして、陽性の場合には生むのか、生まないのか。中でもこの検査の一番の苦しみは、すでに胎動を感じているような時期にようやく結果がわかるという点です。過去に、ある母親が本当は出生前診断を受けたくなかったが祖父母からの圧力によって受けざるを得なくなった、という声も寄せられています。病児を育てるには祖父母や近隣の方々の協力が大変重要となりますので、周囲の声を聞かずに親の思いだけで決定することは困難であろうと想像します。よってもしもゲノム編集技術によって病気のない子を産む選択ができるようになったとしたら、親の意思で「自然に産む」ことを選択することが、益々難しい時代になるだろうと危惧します。

【技術利用の規制について】

難病治療を目的とした研究成果が、例えば健常な人やアスリートなどに不正に応用される等の対策においては、公平性を保つため厳しい規制を設けることが望まれると思います。また、情報・細胞・試料等の漏洩・盗難等防止対策も万全を期すよう求められると考えます。

【臨床利用が将来的に許容される条件について】

同じ病名であっても考え方は様々と考えます。私の狭い視野と知識のレベルで、許容される条件を申し上げることは、現時点では差し控えたいと思います。

【遺伝子研究へ今、期待すること】

以前、鎌状赤血球貧血症の患者・保因者はマラリアに罹らないと本で読みました。また、2014年にはザ・ウォール・ストリート・ジャーナルのニュースで先天代謝異常症ニーマンピック病C型の患者・保因者がエボラ出血熱に罹らないメカニズムが判明したという記事を目にしました。これらのニュースは「我々の持つ遺伝子の変異は、決して配列のミスではなく、人類の存続において何らかの重要な意味を持っている」と強く感じさせてくれるものでした。遺伝子の研究が進んでゆく中でそれが本当に証明されれば、私たちはもっと強く生きられると思います。

本日の発表は以上となります。最後までありがとうございました。