

第71回再生医療等評価部会	資料3 - 3
令和4年1月20日	

2022年1月13日

厚生科学審議会再生医療等評価部会（2022年1月20日）の資料

一般社団法人日本ゲノム編集学会
山本卓 会長
真下知士 副会長
堀田秋津 倫理規制委員長

再生医療等安全性確保法の見直しにあたり、日本ゲノム編集学会からゲノム編集を用いた遺伝子治療等の関連技術に関して、以下の見解を述べたいと思います。

- 1) ゲノム編集やその関連技術は急速に進歩、発展しており、医薬基礎研究、トランスレーショナル研究、動物モデルにおける前臨床研究などにおいて広く利用されている。諸外国では既に in vivo ゲノム編集を用いた臨床試験も開始されていることから、我が国におけるゲノム編集技術を利用した in vivo 遺伝子治療等に関する法体系の早急な整備が必要である。
- 2) 今回、in vivo 遺伝子治療が第1種再生医療等に分類されたことで、細胞医療、ex vivo 遺伝子治療と同一法上で一元化され、わかりやすい制度となった。
- 3) 特に懸念されていた自由診療の in vivo 遺伝子治療に法的枠組みが設定されることは重要である。
- 4) ゲノム編集を含む再生医療等安全性確保法の手続きに係る特定認定再生医療等委員会においては、ゲノム編集の科学的知見を有する者の参画も求めたい。
- 5) 遺伝子治療および関連技術の分類表については、近年ゲノム編集酵素を mRNA の形で細胞に導入して発現させる脂質ナノ粒子を用いた方法が開発されており、今後、ゲノム編集酵素を応用した技術についても mRNA で導入する技術は開発される可能性がある。資料1ページ4および資料2ページ14の「ゲノム編集技術を応用した技術」「mRNA に直接作用する技術」と「mRNA モダリティ」の交点の二つのセルの斜線は削除すべきかと考える。
- 6) 見直しに係るワーキンググループの取りまとめとして、「ゲノム編集技術を応用した技術」は法の対象とすること、さらに「遺伝子治療等」と技術的に近似しリスクも同等

第71回再生医療等評価部会	資料3 - 3
令和4年1月20日	

と考えられる技術を迅速に法の対象範囲に含められるような仕組みを検討する必要があると、結論されている（資料2、P5, 18-26行）。今後のゲノム編集やエピゲノム編集等の関連技術は急速に進歩、発展することから、現時点での枠組みとして迅速に対応できる法体系にすることが重要である。一方で、ウイルスベクターを使用しないエピゲノム編集技術（ヒストン修飾、転写抑制・活性化ドメイン、Po1II結合阻害など）に関しては、どこまでが本法の適応内かは薬機法も含めた今後の議論が必要だろう。

特にゲノム編集技術を応用した技術で遺伝子改変リスクが伴う場合においては、安全性の観点から枠組みを構築することは理解できる。一方、理論上はDNA切断を伴わないと考えられる技術が、将来的にヒトにおいてDNA切断を伴わないことが実証された場合には、範囲外にすべきである。

＊) 参考資料

再生医療等安全性確保法の見直しにワーキンググループによる検討結果（資料1）

再生医療等安全性確保法の見直しに係るワーキンググループとりまとめ（資料2）