

第1回専門委員会における主なご意見

第1回専門委員会における主なご意見

▶ 第1回専門委員会における主なご意見は以下のとおり。

主なご意見	
1	人工制限酵素（ZFN, TALEN, CRISPR/Cas9）を細胞に導入することで、任意のゲノムDNAを特異的に変異させることができる。特にCRISPR/Cas9システムは、非常に効率良く、しかも多重な改変ができる。
2	重要な技術的問題点として、全ての細胞で目的の変異が導入されない「モザイク」や目的としないゲノムDNA部位に変異が入る「オフターゲット」がある。モザイクが許容できるかどうかについては、治療の目的に照らして考える必要がある。また、非相同末端再結合によるゲノム修復は制御が困難で予測不能な変異が生じ、相同組換え修復では任意の変異を誘導できるが効率が悪い。このため、相同組換え修復による臨床研究はまだ実施されていない。
3	タンパク質単独、もしくはタンパク質とRNAのみでゲノムDNAを変異させることができるので、現行指針では対応できない。
4	切断活性が無い人工制限酵素に転写活性化因子や転写抑制因子を結合させることにより、ゲノムDNAの塩基配列を変異させずに目的の遺伝子発現を制御することもできる。これを指針の適用範囲とするか検討が必要ではないか。
5	体細胞のゲノム編集による治療は、理論的には、遺伝子を変えることによって治せる病気は全て対象になる。海外では既に血友病B、がんの免疫療法、HIV感染などについて臨床研究が行われており、今後、日本でも行われるだろう。
6	生殖細胞や受精胚におけるゲノム編集の臨床研究は、技術的および倫理的な問題点が解決しておらず、現時点では考えにくい。あらかじめ想定しておく必要はある。
7	治療に該当しない遺伝子機能の増強(エンハンスメント)の指針における扱いについて、議論が必要ではないか。
8	iPS細胞にゲノム編集をおこなう臨床研究について、議論が必要ではないか。