

第3回遺伝子治療等臨床研究に関する 指針の見直しに関する専門委員会	資料 1
平成29年7月5日(水)	

第2回専門委員会における主なご意見

第2回専門委員会における主なご意見

➤ 第2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	通常、増殖している細胞でしか相同組換えは起こらないため、遺伝子ノックインはできないが、Homology-Independent Targeted Integration(HITI)法では、非相同末端結合を利用した遺伝子ノックインにより、非増殖細胞で効率よく遺伝子編集を行うことが可能である。全身性のアデノ随伴ウイルス感染を伴わない体細胞への局所投与であれば、生殖細胞が編集されることはまずない。この手法により、幹細胞をとりだして遺伝子を入れて体内に戻すex vivoの手法ではなく、直接投与によるin vivoでの疾病の治療が可能となる。しかしながら、低頻度ながらoff target効果は起こりうるので、今後いかにoff target効果を減らせるかが課題である。
2	ゲノム編集用酵素をタンパク質やmRNAで導入する場合や、ガイドRNAにオリゴRNA、塩基の書き換えにオリゴDNAを用いたゲノム編集は、現在のところ「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」の対象外となり、指針に基づく審査が行われない。
3	米国では、ガイダンス上、遺伝子治療を、組み替えDNA物質を用いた「生細胞の遺伝物質の改変に基づく医療行為」としている。2017年1月のFDA Voiceにて、「ゲノム編集の適用に際しては、従来の規制的枠組みが適用される」とし、ゲノム編集技術による遺伝子治療についても、Recombinant DNA Advisory Committee(RAC)による審査とFDAによるIND審査が行われているものの、ガイダンス上は、ゲノム編集に対応していない状況。
4	EUでは、EMA(欧州医薬品庁)のガイドラインで、遺伝子治療用製品は組み換え核酸を含むものから構成されるとされ、遺伝子改変細胞製品は遺伝子導入を考慮しており、ゲノム編集には対応していない。現在、対応を検討中であるが、ヒト体細胞ゲノム編集臨床試験に関しては、既存の遺伝子治療に関する規制や法律を当てはめる方針。
5	米国やEUでも同時に検討されているなら、それらの議論も踏まえて検討すべきではないか。
6	本委員会では検討すべき対象とその大要について議論し、技術的かつ細目的な事項については、ワーキンググループにおいて検討させるべきではないか。