

## 厚生労働特別研究事業 「ゲノム編集技術を取り入れた遺伝子治療等臨床研究に おける品質、安全性確保等に関する研究」の実施について

### 「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」におけるこれまでの議論

- ゲノム編集技術はex vivo、in vivoともに臨床研究に利用可能となっており、さらなる発展が予想されている。
- 多様なゲノム編集技術のうち、mRNAやタンパク質を用いたものは、従来の「遺伝子治療等」の定義に含まれていない。
- ゲノム編集技術には、オフターゲット効果による目的外のゲノム切断などの懸念が存在するため、ウイルスベクターやプラスミドを用いる従来の遺伝子治療等臨床研究と同様に、本指針により品質や安全性を評価すべきである。
- ゲノム編集技術による遺伝子治療等臨床研究を本指針により評価するためには、研究計画書に記載すべき事項等の改正が必要である。これに関する技術的かつ細目的な内容については、厚生労働特別研究事業による研究班を設置して検討する。

### 本研究の目的

ゲノム編集技術による遺伝子治療等臨床研究を評価するために必要な

- ① 研究計画書に記載すべき事項及びその内容
- ② 研究計画書に係る品質及び安全性に関する評価項目の記載における留意事項
- ③ 研究計画書に添付すべき資料及びその内容

を明らかにし、技術進歩に対応できる指針改正に寄与する。

### 本研究の内容

- ① TALEN、ZFN、CRISPR/CAS9等の多様なゲノム編集技術について、用いるための技術的要件、安全上の懸念、技術毎の特性、ex vivo及びin vivoにおける活用方法などの整理を行う。
- ② 国際調和の観点から、EUや米国の規制状況について調査する。
- ③ ①及び②を踏まえて、上記目的に記載したゲノム編集技術に対応した研究計画書等の記載の在り方について明らかにする。

本研究の成果は、本指針によるin vivo遺伝子治療において評価すべき事項を明確化するだけでなく、「再生医療等の安全性の確保等に関する法律」によるex vivo遺伝子治療の審査においても参考にできる内容とする

見直し専門委員会における本指針の用語の定義や評価すべき事項についての議論を、研究班に適宜フィードバックしながら検討することで、速やかな提案が可能となるよう努める。

厚生労働特別研究事業  
「ゲノム編集技術を取り入れた遺伝子治療等臨床研究における  
品質、安全性確保等に関する研究」  
研究組織

氏名	所属
荒戸照世	北海道大学病院臨床研究開発センター 教授
内田恵理子	国立医薬品食品衛生研究所遺伝子医薬部 室長
小野寺雅史	国立成育医療研究センター研究所成育遺伝研究部 部長
尾山和信	独立行政法人医薬品医療機器総合機構再生医療製品等審査部 主任審査員
高橋 智	筑波大学医学医療系 教授
谷憲三郎	東京大学医科学研究所 特任教授
◎ 山口照英	日本薬科大学薬学部 客員教授
◎ 研究代表者	
	(五十音順、敬称略)