

第4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10月2日(月)	

第3回専門委員会における主なご意見

第3回専門委員会における主なご意見

➤ 第3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	ゲノム編集技術の利点は、短時間かつ効率のよい設計と導入により痕跡を残さずに遺伝子を修復できることと、自己の細胞を編集するので免疫の問題も起こらないことである。
2	ゲノム編集技術を用いた臨床試験は海外で行われはじめ、開発に巨額が投資されているものの、デリバリーの問題により、目的となっている疾患は主に眼、筋肉、肝臓や癌に限られている。
3	ゲノム編集技術を医療において実用化するためには、基本特許に加え、Cas9を医療応用できるツールに作り替えるための酵素エンジニアリングや疾患の起きている臓器に特異的にデリバリーするとともに作用する時間も制御できる技術（時空間的な制御技術）の開発が必要で、これら周辺技術の競争は始まったばかりである。医療応用のために、ベクターに搭載できるようCas9のサイズを小型化し、切断部位の高認識化と自由度向上を果たしたスーパーCas9の開発が進んでいる。
4	細胞内への導入方法としては、ウイルスベクターを使用する方法とタンパクRNA複合体(RNP)をリポソームのナノカプセルの中に入れて細胞内に導入する方法がある。RNPを使用する場合は、一定時間後分解され作用は継続しないが、アデノ随伴ウイルスベクターを使用する場合は、Cas9が持続して発現する可能性があり、時間的な制御技術の開発が必要である。このアデノ随伴ウイルスベクターを使う方法とリポソームのナノカプセルを使う方法は非常に発達してきている。
5	厚生労働科学研究で検討する技術的、細目的項目については、ゲノム編集技術に対応した遺伝子治療等臨床研究計画書の記載の在り方につき、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とする。本指針の用語や定義や評価すべき事項については、本委員会で検討する。
6	遺伝子治療について、今までは遺伝子導入で定義していたが、遺伝子導入だけでなく、遺伝的改変を定義に入れる方向がよいのではないか。センダイウイルスベクターは、細胞質に存在するため、定義を遺伝的改変のみにしてしまうと齟齬が生じる