

## (提言)「我が国の医学・医療領域におけるゲノム編集技術のあり方」について

### 1 作成の背景

ゲノム編集技術は、ヒトゲノム上の標的とする遺伝子の高効率な改変を可能にしました。遺伝子改変精度は従来の遺伝子組換え技術より格段に高く、多様な遺伝子改変も実行可能となり、医学研究において不可欠なツールとなりました。海外では既にエイズやがん治療開発を目的とした臨床試験が進行中ですが、リスク評価の体系は不明確です。また、ゲノム編集技術はヒト受精卵における遺伝子変異の修復を目的とした基礎研究でも使われ、倫理的懸念を呼んでいます。

### 2 現状及び問題点

1990 年に米国で遺伝子組換え技術を用いた初の遺伝子治療の臨床研究が行われました。一定の治療成果が認められたものの、フランスの試験において、想定外の部位に遺伝子が挿入されたために被験者で白血病が生じた死亡事故が起きました。日本でも遺伝子治療の不確定性が問題視され、臨床研究計画の研究機関と国による二段階審査と、二省に書類提出を求める指針が作成されました。

ゲノム編集技術は標的外の部位に「オフターゲット変異」などを起こす技術的課題が残されており、臨床応用では重大なリスクとなりえます。また、標的遺伝子に治療効果をもたらす改変を導入できますが、この改変が人体に副作用を及ぼす可能性などを適切に評価できる体系を構築することが、被験者保護の観点から喫緊の課題です。

海外のヒト受精卵における遺伝子変異の修復を試みた研究報告は、遺伝子疾患の予防医療へ向けた基礎研究と理解されるかもしれませんが、しかし、安易に臨床応用され、オフターゲット変異が見逃された場合、子の全身に重大な悪影響が出る危険性があります。また、生殖医療の規制が十分でない国では、親が子の外見などを希望通りに実現するために乱用される恐れもあります。ヒト生殖細胞・受精卵の遺伝子改変を伴う生殖を禁止する国は多くありますが、日本における議論はまだ十分ではありません。

このような状況をふまえ、本委員会では、我が国の医療・医学領域におけるゲノム編集技術のあり方について検討を進め、以下のとおり提言をまとめました。

### 3 提言の内容

#### (1) 体細胞ゲノム編集治療と被験者の権利保護及び臨床研究の規制整備

遺伝性難病の治療法として期待される体細胞ゲノム編集治療は、生体外ゲノム編集治療と生体内ゲノム編集治療に分けられます。前者は「再生医療等安全性確保法」の、後者は「遺伝子治療研究指針」の規制の対象であり、それぞれの規制に基づき、慎重に開発されるべきです。また、遺伝子導入をせずにゲノム編集を行う臨床研究は、現行の「遺

伝子治療研究指針」の対象ではないため、厚生労働省が体細胞ゲノム編集治療の臨床研究に関する必要な規制を作ることを期待します。

## (2) 体細胞ゲノム編集治療製品開発の支援体制構築

「医薬品医療機器等法」の枠組みの中で進められるゲノム編集治療製品の開発については、厚生労働省と医薬品医療機器総合機構は、オフターゲット変異等のリスクを評価するための基準を作るなど、具体的な相談支援を明らかにしていただきたい。

## (3) ゲノム編集を伴う生殖医療の臨床応用に関する暫定的禁止を含む厳格な規制

ゲノム編集を用いて生殖細胞あるいは受精胚に遺伝子改変を施す生殖医療は、出生する子どもへの予期せぬ副作用などの重大な医学的・倫理的懸念があるうえ、その実施についての社会的議論が不十分です。したがって、ゲノム編集技術の生殖医療への応用は、現在行うことは適切でなく、最低限、国の指針により、当面は禁止するべきと考えます。一方、安全性の課題が改善し、市民の考え方が変わり倫理的課題が解決された場合でも、ゲノム編集を伴う生殖医療の実施の可否については、継続的に慎重に議論を続けることが必要です。また、ゲノム編集を含めたヒト生殖細胞・受精胚を実験的に操作することを国が法規制する必要性についても検討するべきです。

## (4) 社会的理解と透明性を踏まえた、ヒト生殖細胞・受精胚ゲノム編集を伴う基礎研究の規制

この基礎研究で得られる科学的知見は、ヒトの生殖や発生過程の解明を通じて生殖補助医療の向上に資することが期待されますが、倫理的懸念を踏まえると、実施に際しての研究者の慎重な態度が必要です。現時点では、生殖医療応用を目指す基礎研究については控えるべきです。ただし、将来個別の基礎研究が出てきた場合は、国が慎重に審査し、実施が認められる場合であっても、研究者に国の指針を遵守させること、また、文部科学省と厚生労働省が中心となって研究の適切な審査体制を含む指針等を整備することを強く求めます。