

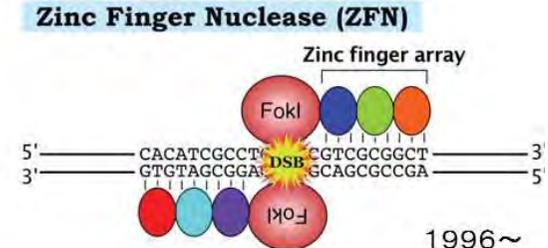
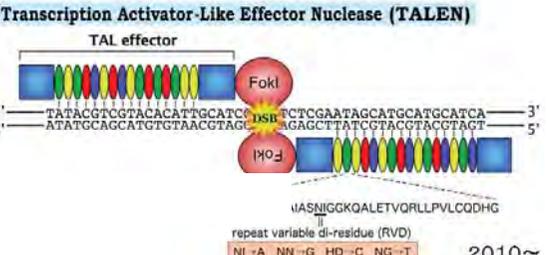
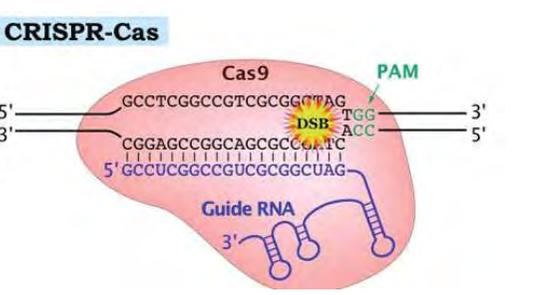
## ゲノム編集技術等について

P1-2 : 厚生労働省「第1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3

P3 : 厚生労働省「第1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4 (抜粋)

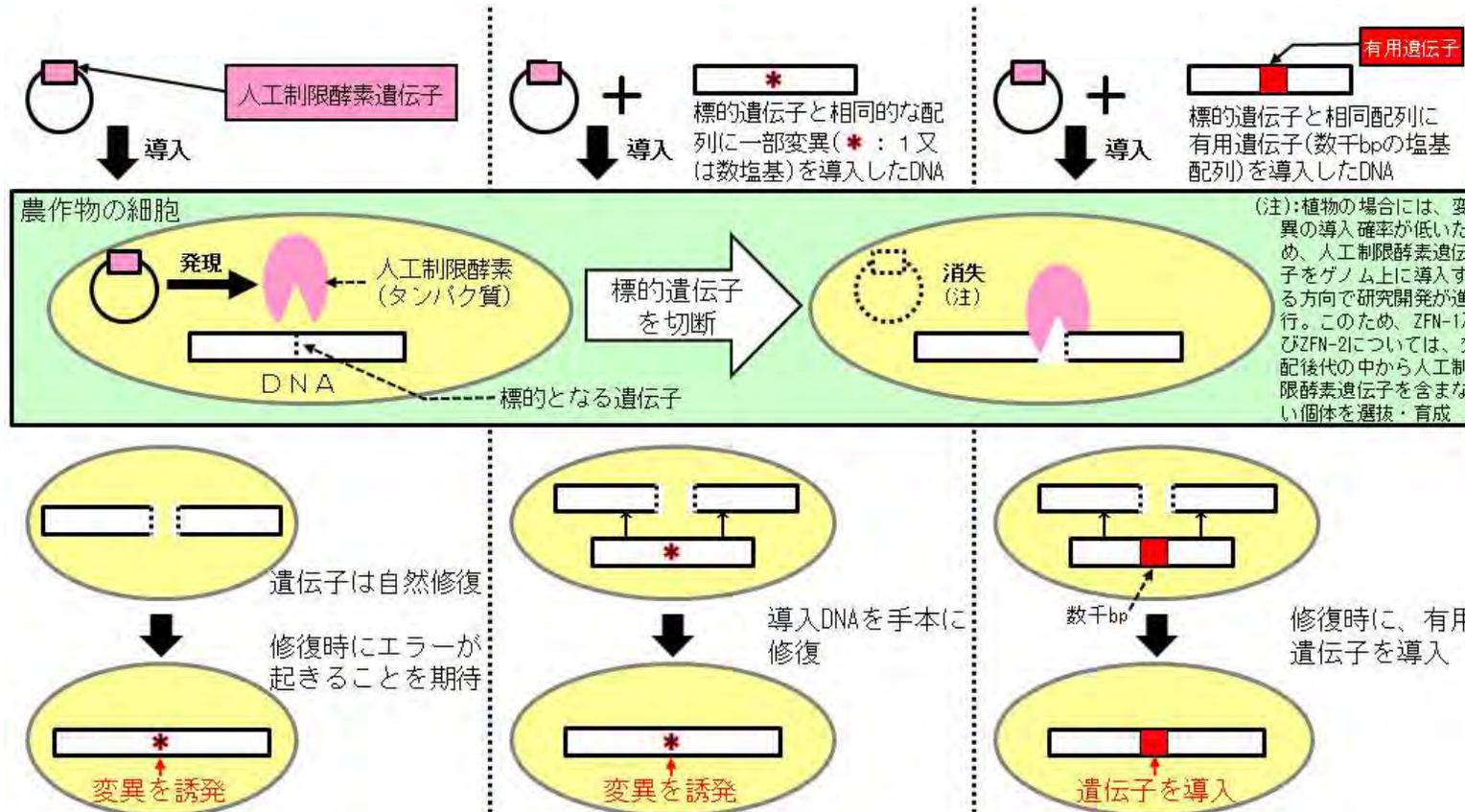
## ゲノム編集技術について

ゲノム編集技術とは、人工の制限酵素（DNA を切断する酵素）を用いた遺伝子改変技術である。これらの技術を利用することにより、ゲノム上の狙った部位に任意に変異（塩基の置換、挿入又は欠失）を誘導することができる。

主なゲノム編集技術	概要	原理図（出典：JST-CRDS 調査報告書）
(1) ZFNs (Zinc Finger Nucleases)	制限酵素（タンパク質）を用いて遺伝子を切断する手法。特定の塩基配列に結合する機能を持つ部位（ガイド）と遺伝子を切断する機能を持つ部位（ハサミ）から構成される。	<p><b>Zinc Finger Nuclease (ZFN)</b></p>  <p>1996~</p>
(2) TALENs (Transcription Activator Like Effector Nucleases)	制限酵素（タンパク質）を用いて遺伝子を切断する手法。ZFN と同様にガイドとハサミから構成されるが、ZFN に比べガイドをより細かい単位で構築できるので、特定の塩基配列を認識する精度が高い。	<p><b>Transcription Activator-Like Effector Nuclease (TALEN)</b></p>  <p>2010~</p>
(3) CRISPR/Cas9 (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats / CRISPR Associated Protein 9)	ガイド RNA（核酸）と制限酵素（タンパク質）を用いて遺伝子を切断する手法。バクテリアの免疫機構が起源であるにも関わらず、多くの生物種で切断活性を示す。ガイドRNA の設計は比較的簡便にできるため、ゲノム編集が容易とされている。	<p><b>CRISPR-Cas</b></p>  <p>2010~</p>

ゲノム編集技術の主な利用方法について

<p>A. 宿主の標的遺伝子を切断後、自然修復の際に変異（塩基の置換、挿入又は欠失）が発生（Site-Directed Nuclease ; SDN-1）</p>	<p>B. 標的遺伝子の配列を一部変異させた DNA 断片（核酸）を細胞内に導入し、切断した宿主遺伝子を修復させる過程で変異を誘発（SDN-2）</p>	<p>C. 標的遺伝子の配列に有用遺伝子を組み込んだ DNA 断片（核酸）を細胞内に導入し、切断した宿主遺伝子の中に有用遺伝子を組み込む（SDN-3）</p>
---	--	---



出典：ゲノム編集技術等の新たな育種技術（NPBT）を用いた農作物の開発・実用化に向けて（農林水産省農林水産技術会議新たな育種技術研究会）

# 遺伝子治療等とは

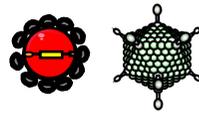
## 定義

疾病の治療や予防を目的として遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること(「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」より)

### 遺伝子治療薬の直接投与 (in vivo 遺伝子治療)

遺伝子治療薬  
(目的遺伝子をベクターに搭載したもの)

ウイルスベクター



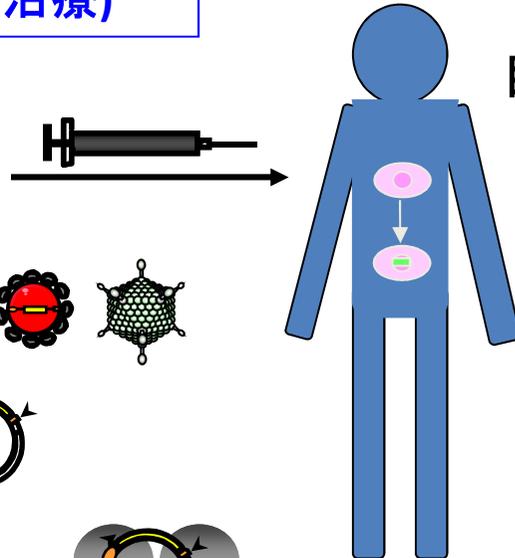
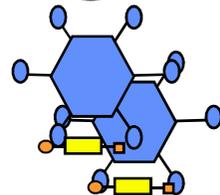
プラスミド  
(Naked DNA)



プラスミド/リポソーム



増殖性組換えウイルス



### 遺伝子導入細胞の投与 (ex vivo 遺伝子治療)

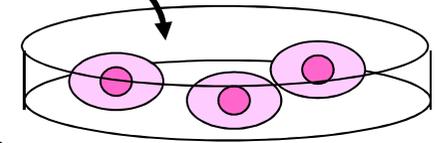
目的細胞の単離  
(自己、同種)



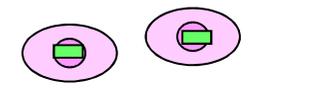
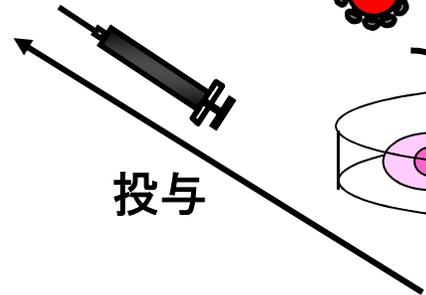
(ウイルスベクター)



体外培養  
(増幅も)  
遺伝子導入



投与



遺伝子導入細胞