

厚生科学審議会科学技術部会
ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床
利用のあり方に関する専門委員会
議論の整理

令和2年1月7日

I.	はじめに	3
II.	各論点	5
1	規制対象とすべきゲノム編集技術等の範囲について	7
2	ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制のあり方について	10
2-1)	規制の実効性の担保について	10
2-2)	ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用が容認される可能性について	13
III.	おわりに	15
	用語集	16
	参考資料	19

I. はじめに

内閣府総合科学技術・イノベーション会議の下に設置された生命倫理専門調査会及び「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」見直し等に係るタスク・フォースにおいて、近年技術革新が著しいゲノム編集技術等のヒト受精胚への適用について、「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」（平成16年7月23日総合科学技術会議決定。以下、「基本的考え方」という。）に示されたヒト受精胚尊重の認識を起点として、基礎的研究に対する推進と適切な制度的枠組のあり方について検討が行われてきた。一方、当該技術の臨床利用に関しては、「ヒト受精胚へのゲノム編集技術を用いる研究について（中間まとめ）」（平成28年4月22日生命倫理専門調査会。以下、「中間まとめ¹」という。）において、科学技術的課題や社会的倫理的課題等があることから現時点では容認できない、即ち、ゲノム編集技術を用いたヒト受精胚を、ヒトの胎内へ移植することは容認できないとされてきた。

そうした中、平成30年11月に中国において、ゲノム編集技術を用いたヒト受精胚から双子が誕生したことが公表され、平成31年1月には、これが事実であることが中国政府により確認された。この現状も踏まえ、「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」見直し等に係る第二次報告」（令和元年6月19日総合科学技術・イノベーション会議決定。）では、臨床利用に対して、法的規制のあり方を含めた適切な制度的枠組の検討が具体的に必要とされた。また、同報告書では、i) 基礎的研究のための指針の策定、ii) 研究として行われる臨床利用及び医療提供として行われる臨床利用の双方に対する法的規制のあり方を含めた制度的枠組みの具体的検討が、国際的な議論の状況等も踏まえ、適切な全体像の下にそれぞれの検討が整合性を持って進捗していることを確認されることが重要であることが示された。

¹ 「中間まとめ」においては、ゲノム編集技術を用いたヒト受精胚の「臨床利用」とは、「ヒトの胎内へ移植すること」とされており、研究として行われる場合及び医療提供として行われる場合の双方を含む。

このため、厚生労働省は、令和元年8月に厚生科学審議会科学技術部会の下にゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会（以下「本委員会」という。）を設置し、有識者や関係団体からヒアリングを行うとともに、計5回にわたって、現時点ではゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等²の臨床利用は容認できないことを前提に検討を行った。

² 「ヒト受精胚等」とは、ヒト受精胚及び生殖細胞（精子、卵子等）をいう。

II 各論点

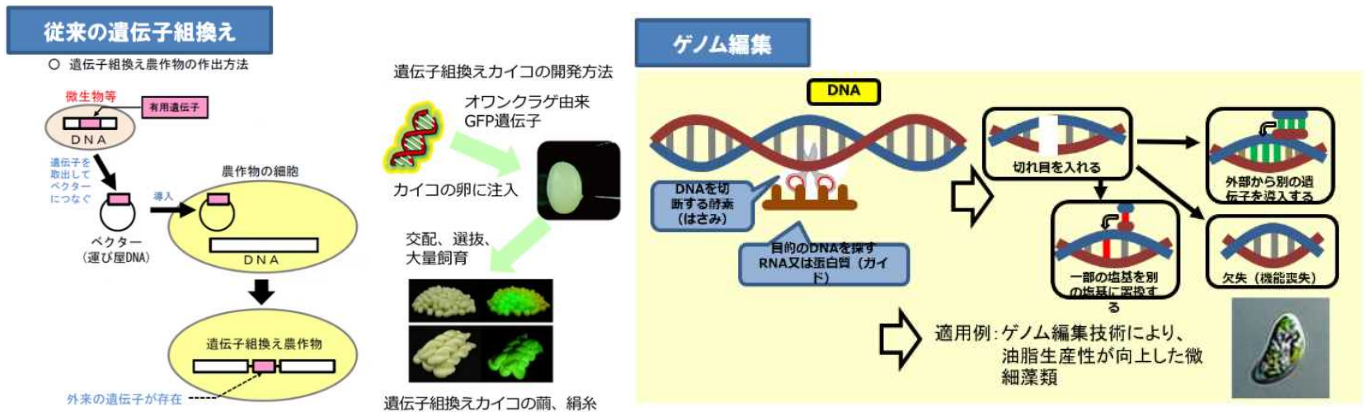
細胞内の核酸をターゲットとして塩基配列の変異や遺伝子発現を制御するような遺伝子改変技術は、体細胞を対象とする遺伝子治療として従来から臨床応用されており、遺伝子導入や遺伝子組換え技術と呼ばれている。目的とする遺伝子はウイルスベクターやプラスミドにより細胞内に導入され、染色体や染色体外で遺伝子発現されるが、特に染色体へ組み込まれる能力をもつベクターでは、塩基配列内への取り込みがランダムであることから、発がん遺伝子近傍へ取り込まれることによる悪性腫瘍発生の可能性等が重大な有害事象として挙げられるなど、望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現も起こり得る。現在までに各国で行われている体細胞を対象とする遺伝子治療臨床試験 2,918 プロトコールのうち、悪性腫瘍の発生が3プロトコールで報告されており³、体細胞を対象とする遺伝子治療に関する遺伝子組換え技術の科学的な課題とされている。

一方で1996年頃から開発が進められている、ゲノム編集技術は、CRISPR/Cas9を代表とするタンパク質等を特定の塩基配列を標的として結合させ、二本鎖DNAを切断し、遺伝子の導入や欠失等を起こすことができる遺伝子改変技術の一つである。ゲノム編集技術の中には、特定の塩基配列への結合を行うが、DNAの切断や塩基配列の改変を行わず、遺伝子発現を制御（増強又は抑制）するシステム（エピジェネティクス）に影響を及ぼすような技術も存在する。また、ゲノム編集技術は、細胞の核内に存在するDNAのみならず、遺伝子発現の過程で転写される mRNA やミトコンドリアに存在するDNAに対しても適用される技術である。

ゲノム編集技術は従来の遺伝子組換え技術と比べ、特定の塩基配列を標的として結合することから、望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現のリスクを下げることができる技術として期待されており、血液凝固因子欠乏症や白血病などの体細胞を対象とした疾患治療のための臨床試験は、諸外国において既に開始されている⁴。

³ The Journal of Gene Medicine; 2018 John Wiley and Sons Ltd（第3回ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 資料3より引用）

⁴ Therapeutic genome editing: delivery and regulatory perspectives, SHIM et al. Acta Pharmacologica Sinica, 38: 738-753(2017)（第2回ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 山本卓参考人資料（資料2）より引用）



出典：第3回ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 資料3

しかしながら、ヒト受精胚を対象とした臨床研究及び医療提供として行われる臨床利用については、「中間まとめ」で示されたように、科学技術的課題や社会的倫理的課題等があることから、現時点では容認できないとされている。これを踏まえて当該技術のヒト受精胚等への臨床利用に関する制度的枠組を検討する上で、規制の対象となる技術の範囲を明確化するために、以下の論点について検討を行った。

- 1 規制対象とすべきゲノム編集技術等の範囲について
- 2 ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制のあり方について
 - 2-1) 規制の実効性の担保について
 - 2-2) ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用が容認される可能性について

1. 規制対象とすべきゲノム編集技術等の範囲について

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の規制のあり方を検討する上で、規制対象とすべきゲノム編集技術等の範囲については、国内外における現時点での基礎的研究により得られた知見が少ないことを踏まえ、以下のような検討を行った。

①科学技術的課題

体細胞に対して遺伝子組換え技術や細胞内の核酸に直接影響を及ぼす医薬品等を用いる場合、前述のとおり、ランダムに核酸の塩基配列を改変させることから、望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現が起こり得るリスクがあることが知られている。

一方、ヒト受精胚等については、これまで臨床利用が容認されていないことに加え、基礎的研究においても十分な科学的知見が得られていないため、臨床利用の際に課題となる、望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現が生じ得るリスクを評価することは困難であり、発生をコントロールすることも困難である。

ゲノム編集技術は、特定の塩基配列を標的として遺伝子発現を制御する技術であることから、前述の遺伝子組換え技術や医薬品等を用いる場合と比べて望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現の発生リスクが前述の遺伝子組み換え技術等より理論的には低いとされているが、ゲノム編集技術に関しても、前述の技術と同様に臨床利用は容認されておらず、ヒト胚を用いた基礎的研究は国内外でわずかながら行われているものの、十分な科学的知見が得られていない。

これまでに得られている科学的知見によると、ゲノム編集技術がヒト受精胚等に応用される場合、本来標的とする塩基配列以外の類似配列を認識した結果として望ましくない遺伝子発現が生じるオフターゲット変異が発生する可能性がある。更にオンターゲット部位において、標的とした塩基配列に結合したとしても、DNA切断箇所で見込まれない塩基配列の大規模なゲノム再編（欠失、逆位、転座）が高頻度で起こること⁵や、初期胚におけるトランスポゾン活性化により大きなゲノム等の挿入が起こること⁶などで、望ましくない

⁵ Kosicki M, et al. Nature Biotechnology 2018 Sep.36(8): 765-771

⁶ R Ono et al., COMMUNICATIONS BIOLOGY <https://doi.org/10.1038/s42003-019->

遺伝子発現が発生する可能性が報告されている。

また、受精胚の細胞のうち、遺伝子改変された細胞とされない細胞が混在する状態（モザイク）が生じる可能性も存在し、現時点では、これらのリスクを完全に制御することは困難であると考えられる。

②社会的倫理的課題

前述のとおり現在のゲノム編集技術では望ましくない遺伝子改変が起こる可能性があるが、このような低頻度で起こる可能性がある変異については、改変されたかどうかを検出することが困難であり、それが世代を超えて引き継がれた結果が、後世代において、どのように個人や社会へ影響を及ぼすかについては不明である。また、個々のヒト受精胚に対する遺伝的改変操作が、人類集団がもつゲノム及び遺伝子の構成又は機能、その多様性に及ぼす影響についても現時点では不明である。

そのほか、当該技術の用途を疾患の治療に限らず、エンハンスメント目的に利用される可能性についても、許容するのかについての国民的議論がなされていない。

以上より、現時点においては以下の考え方が妥当との結論に至った。

従来からの遺伝子組換え技術や細胞内の核酸に直接影響を及ぼす医薬品等などの遺伝子発現を意図して操作するような遺伝子改変技術や遺伝子修飾技術、並びに、近年開発が進められているゲノム編集技術は、知見が乏しく現時点において判断に足る十分なエビデンスがないことから、上述のような科学技術的、社会的倫理的課題があると考えられる。このため、現時点でこれらの課題を有する技術等の全てを規制の対象とする。また、DNA・mRNA・ミトコンドリア DNA の改変と同様に、直接塩基配列を変化させずに遺伝子発現を制御するようなエピジェネティック修飾による遺伝子改変についても、望ましくない遺伝子発現が生じうるリスクや後世代への影響等のリスクが懸念されるため、規制の範囲に含める。（表 1）

(表1) 規制の対象となるヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等

技術等の対象 遺伝情報 改変技術等 の種類	核DNA				科学技術的課題	社会的倫理的課題	
	DNAの 改変	遺伝子発現 (エピジェネティク ス(※1))	mRNA	ミトコンドリア DNA			
今回の規制の対象範囲							
受精胚等	ゲノム編集技術	CRISPR/Cas9など 特定の塩基配列へ結合し、 切断し変異を誘導する(欠 失変異、挿入変異、相同組 換え、Base editingも含む)	CRISPR/dCas9など 特定の塩基配列へ結合し、 切断をせずに標的の遺伝 子発現を増強・抑制する	mRNAの特定の塩基配 列へ結合し、切断し変 異を誘導する (RNA editing)	CRISPR/Cas9など mtDNAの特定の塩基 配列へ結合し、切断し 変異を誘導する	オフターゲットや モザイク等 (現時点では科学的 的安全性の評価 は不可能(※3))	次世代以降(※2) へ人為的遺伝的改 変を引き継ぐ等
	遺伝子導入技術	ウイルスベクター/プラスミ ドを用いた相同組み換えな ど	ウイルスベクター/プラス ミドを用いたエピジェネティ クス化学修飾など	shRNAなど(ウイルステ クター/プラスミド使用) 標的遺伝子のノックダウ ン等	ウイルスベクター/プ ラスミドを用いた、 mtDNAの変異を誘導		
	その他、核酸に 直接影響を及ぼ す医薬品等	紫外線 放射線	DNA脱メチル化阻害剤 ヒストン脱アセチル化酵素 阻害剤 DNA結合タンパク質など	siRNA、miRNAなど標的 遺伝子のノックダウン等	ミトコンドリア導入、卵 子間核置換など		

出典：第3回ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 資料3

(※1) エピジェネティクス：DNA配列の変化を伴わず、染色体の変化によって遺伝子発現を制御するシステム

(※2) 「次世代以降」は、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚から生まれた子以降の世代

(※3) ゲノム編集技術は遺伝子のターゲティングを行うことから、理論的には最もリスクを下げられる可能性があるものと期待されているが、現時点では、評価する方法も未開発であり、ヒト受精胚を用いた基礎研究からの知見の蓄積もないため、評価不能。

2. ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制のあり方について

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関する規制のあり方を検討する上で、諸外国における規制の状況や、臨床利用に関する検討状況を把握することは重要であり、平成31年度厚生労働科学特別研究事業である「諸外国におけるゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚の取扱いに係わる法制度や最新の動向調査及びあるべき日本の公的規制についての研究（主任研究者：加藤和人、大阪大学大学院医学系研究科所属）」より、中間報告を受け、以下の2点について検討を行った。

2-1) 規制の実効性の担保について

(1) 諸外国の規制状況

上記研究事業の中間報告によると諸外国の現状の規制状況は、以下のとおり法律で罰則をもって規制されている国が多い。（参考資料表2）

- ・英国、独国、仏国においては、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚の臨床利用に関しては個別法により罰則をもって禁止されている。
- ・米国においては、歳出予算法の中で、当該技術を用いたヒト受精胚に関する臨床試験の承認審査を禁止している。
- ・中国においては、罰則規定のない「管理規範（指針と同程度の行政指導）」により当該技術を用いたヒト受精胚の臨床利用について禁止しているが、現在、罰則を付した制度について検討中である。

(2) 我が国の規制状況

我が国のゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床研究に関しては、「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」（平成31年厚生労働省告示第48号。以下「遺伝子指針」という。）第1章第1節第7「生殖細胞等を対象とする遺伝子治療等臨床研究の禁止等」の規定により認められていない。

実臨床においては、公益社団法人日本産科婦人科学会では、「体外受精・胚移植の実施に際しては、遺伝子操作を行わない」という規定が存在するものの、あくまで、会告という学会員に対しての限定的な自主規制にとどまっており、医療提供として行われる臨床利用全体に対しては、現時点では実効性のある規制は存在しない。（参考資料表2）

(3) 規制の実効性の担保について

前述の通り、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用は、現時点では望ましくない遺伝子変異や遺伝子発現が生じ得るリスクをコントロールできないという科学技術的課題、次世代以降へ引き継がれることによる影響等の社会的倫理的課題があることから少なくとも当分の間は規制することを前提に、以下の通り、その実効性を担保することについて検討を行った。

まず、研究として行われる臨床利用の場合、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用については、遺伝子指針で禁止をしており、研究者等が本指針を遵守しなかった場合、公的・社会的制裁を受けること等の観点から、一定程度の規制効果が期待できるものの、確実な実効性は担保されない。

また、実臨床として行われるゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の利用については、学会の会告による自主規制があるのみで公的規制はない。我が国では諸外国と比較して生殖補助医療が盛んであると言われており、かつ、技術的に比較的容易と考えられることから、当該技術の臨床利用が、「治療」の名の下で実施される可能性がある。

以上より、現時点においては以下の考え方が妥当との結論に至った。

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用は、現時点では容認されていないため世界的にも実績がなく、また指針上で行うことが可能な基礎的研究においても知見も乏しいことから、技術上の限界や生じ得るリスクについて十分に評価することができないなどの科学技術的課題がある。また、次世代以降へ引き継がれた際の影響等の社会的倫理的課題が不明であり、研究として行われる臨床利用と医療提供として行われる臨床利用双方に対して、確実に実効性を担保することが必要である。これらへの対応として、諸外国においては罰則付きの法的規制が整備されていることも鑑み、当該技術を用いたヒト受精胚等の臨床利用に対しては、我が国においても規制の実効性が現状の制度（表2）以上に担保できるような制度的枠組を設けることが必要であり、本委員会では法律による規制が必要と判断した。

(表2) ゲノム編集技術等を臨床利用する場合の法による日本の規制状況

ゲノム編集の対象となる細胞		自由診療	臨床研究	治験・製造販売
生殖細胞 又は受精胚		法による規制なし	法による規制なし (*1)指針により禁止	
体細胞	In vivo 遺伝子治療	法による規制なし	一定の手続規制の下、 実施可能 (臨床研究法)	一定の手続規制の下、 実施可能 (医薬品医療機器等法)
	Ex vivo 遺伝子治療	一定の手続規制の下、実施可能 (再生医療等安全性確保法)		

出典：第3回ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 資料3

(*1)「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」

第1章第7 生殖細胞等を対象とする遺伝子治療等臨床研究の禁止等

人の生殖細胞又は胚（一の細胞又は細胞群であって、そのまま人又は動物の胎内において発生の過程を経ることにより一の個体に成長する可能性のあるもののうち、胎盤の形成を開始する前のものをいう。以下同じ。）を対象とした遺伝子治療等臨床研究及び人の生殖細胞又は胚に対して遺伝的改変を行うおそれのある遺伝子治療等臨床研究は、行ってはならない。

2-2) ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用が容認される可能性について

ゲノム編集技術は、遺伝子により発生する疾病を修復し、その効果は次世代にわたって引き継がれることから、これまで治療方法がなかった難病に対する根本的な治療技術として期待されている。このため、本委員会では、当該技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用が容認される可能性について議論を行った。

(1) 諸外国における検討状況

各国政府においては、現時点では当該技術を用いたヒト受精胚等の臨床利用については容認できないとしつつも、学術団体等を含め、様々な組織において将来的に、例外的に臨床利用が容認される対象事例や、その際に確認されるべき事項等について検討が行われている。(参考資料表3)

(2) 我が国における検討状況

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に関して現時点では容認できないとして、2-1)において我が国でも規制の実効性を担保する制度的枠組が必要であるとした上で、将来的な臨床利用が容認される可能性とその際に確認すべき事項について以下のとおり検討を行った。

① 科学技術的課題

ゲノム編集技術等に関して、科学技術の進展と共に、新たな知見が蓄積されつつある。その中で、現時点での「安全性」の評価に関する考え方として、科学技術的課題のひとつであるオフターゲットにより生じ得る望ましくない遺伝子発現のリスクが、自然突然変異によって生じ得る同じ遺伝子発現のリスクと比べ、同等若しくはそれ以下となる場合、臨床利用における「安全性」は担保される可能性があるとされている。しかし、現時点ではそれを科学的に証明することは困難であるとされている。

また、オンターゲット部位における望ましくない塩基配列の欠失や転座等が生じ得ることも知られているが、臨床利用に際しては、これらの課題に対応するための高精度な検出方法や、その「安全性」評価指標も現時点では明確に存在しない。

今後の科学技術の進展や、基礎的研究による知見の蓄積により、臨床利用に際して個別の課題に関する「安全性」の評価に関する考え方や指標は変わっていくものと考えられる。

同様に、ヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等を用いた基礎的研究や関連領域の基礎的研究が進展することにより、対象となり得る疾患の病態解明が進む可能性が考えられる。現時点では、対象疾患に対する治療法がなく、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のみが唯一の治療であるとする「代替不可能性」を満たすと考えられるとしても、今後それに代わる新たな治療法、診断技術、治療薬等が開発される可能性がある。また、前述の安全性の評価に関する考え方や指標の変化に伴い、現時点での「代替不可能性」の評価や指標についても、今後変わっていく可能性がある。

他の科学技術的課題として、オフターゲットも含めたゲノム編集による目的外の遺伝子改変が、どの程度人類社会の遺伝子の多様性に影響を及ぼすのかについて、科学的に未解明であることが挙げられる。個々のヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等の応用が人類社会全体へ及ぼす影響について、現時点で評価できておらず、今後臨床利用を検討するにあたって、このような課題についても科学的に解明される必要がある。

②社会的倫理的課題

ヒト受精胚等に遺伝子操作を加えることによる子孫や社会への影響については、ゲノム編集技術等を受精胚等へ適用しなければ自らの児に疾患が引き継がれるという問題に直面している当事者のみならず、国民一人ひとりの認識が異なることが想定される。そのため、当該技術を用いたヒト受精胚等の臨床利用を検討するためには、国民に対して十分に周知した上で、国民的理解を得ながら議論を進める必要がある。

また、当該技術を用いたヒト受精胚等を臨床利用した場合、生まれてきた子や家族の人権や差別等の問題をその時代に合わせて考える必要がある。このため、生まれてきた子の生涯にわたる安全性や新たに生じてくる課題を検証する際にはプライバシーを守りつつ、世代を超えて長期的にフォローアップできるよう適切な管理・監視体制について検討する必要があると考えられる。

さらに、遺伝子の総体が過去の人類からの貴重な遺産であることを考えると、脆弱性を理由に次の世代に伝えないという選択をするのではなく、その脆弱性を包摂できる社会を構築すべきという意見がある。また、当該技術を用いた医療の利用の格差、エンハンスメント利用や優生学的な思想への懸念

等が新たな課題として生じる可能性が考えられ、さらに後世代の子や家族に対する社会保障のあり方、医療経済への影響についても、検討していくことが必要である。

以上より、現時点においては以下の考え方が妥当との結論に至った。

規制の実効性が現状の制度以上に担保できるような制度的枠組を設けることを念頭におき、将来的に、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用が容認されるためには、その時代における様々な科学技術的課題に基づいた安全性の評価に関する考え方の構築や、臨床利用に際して必要な社会的倫理的課題に対応する体制の整備等が必要であり、今後、我が国と諸外国での検討状況や科学技術の進捗なども踏まえ、社会的受容性を確認しながら、継続的に検討していくことが必要である。

Ⅲ おわりに

ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用に対しては、規制の実効性の担保を可能にする制度的枠組を設けることが必要であり、本委員会では法律による規制が必要と判断した。

その際には、今後、ヒト受精胚等にゲノム編集技術等を用いた基礎的研究や関連領域の基礎的研究が進展することにより、新たな知見が蓄積され、安全性や代替不可能性を含めた様々な科学技術的課題に対する考え方が変わる可能性もあり、これに伴って社会的倫理的課題への対応も変わっていくことも想定される。

従って、臨床利用に対する法的規制については、基礎的研究の発展を妨げることがないように配慮することが必要であり、さらに、同規制については、適宜見直しを行うことにより、将来の臨床利用容認の可能性を見越した議論が継続されることが重要である。

また、将来的に臨床利用が容認される可能性については、科学技術的課題および社会的倫理的課題の変化を見据え、国民的理解を得ながら引き続き検討していくことが必要である。

用語集

本報告書における用語は以下の通り。

基本用語

<遺伝子>

遺伝形質を規定する因子。自己増殖し、細胞世代、個体世代を通じて親から子に継代的に正確に受けつがれ、形質（生物のもつさまざまな性質）発現に必要な遺伝情報を伝達する。遺伝子の本体はDNAである。

<遺伝子組換え>

生物から抽出したDNA分子の断片や人工的に合成したDNAを、酵素などを用いてプラスミドやウイルスなどの自己増殖性DNA（ベクター）に人為的に結合し、細胞内に導入する操作をいう。

<遺伝子導入>

遺伝子あるいは遺伝子群を人為的に細胞に導入し、その遺伝子（群）を発現させ、もしくはその細胞のゲノムに付加する操作をいう。

<遺伝子発現>

遺伝子からその遺伝子の産物（タンパク質または機能性のRNA）が作られること。遺伝子発現の結果、細胞・個体などにおいて形質の発現がもたらされる。

<遺伝子変異>

ゲノム配列の個体差であり、ある塩基が他の塩基に置き換わっている配列の違い。

<ウイルスベクター>

外来遺伝子を標的細胞に導入する目的で、遺伝子工学的にゲノムを改変したウイルスをいう。

<エピジェネティクス>

DNA配列の変化を伴わず、DNAの可逆的な修飾や染色体の変化によって遺伝子発現を制御するシステムをいう。

<エンハンスメント>

健康人の性質や能力の人為的な増強をいう。

<オフターゲット変異>

ゲノム編集によって、本来の標的 DNA 配列以外の類似配列を認識して切断したり改変することによって生じる DNA 変異のこと。

<オンターゲット変異>

ゲノム編集によって、標的 DNA 配列を切断したことに起因する遺伝子脱落などの DNA 変異のこと。

<核酸>

塩基と糖、リン酸からなる長い鎖状の高分子物質。糖部分がリボースであるリボ核酸 (RNA) と、デオキシリボースであるデオキシリボ核酸 (DNA) に大別される。

<(核酸)塩基>

核酸 (DNA、RNA) を構成する、化学において酸と対になってはたらく物質 (塩基成分) で、主なものにアデニン、グアニン、シトシン、チミン、ウラシルがある。

<ゲノム>

遺伝子 (gene) と染色体 (chromosome) から合成された言葉で、個体が持つ全ての遺伝情報のこと。

<ゲノム編集技術>

CRISPR/Cas9 などの DNA を切断する酵素を利用して、タンパク質等を特定の塩基配列を目標に結合させ、二本鎖 DNA を切断し、遺伝子の導入や欠失等を起こすことができる遺伝子改変技術の一つ。DNA の切断をすることなく、特定のゲノム領域のエピゲノミックな修飾状態を改変することも可能となった。

<染色体>

遺伝情報の発現と伝達を担う生体物質であり、塩基性色素で濃く染まる棒状の構造体。DNA とヒストン (タンパク質) により構成される。(ヒトの2倍体細胞では、22 対の常染色体と 1 対の性染色体、計 46 本の染色体を持つ。)

<ヒト受精胚>

ヒトの精子とヒトの未受精卵との受精により生ずる胚（当該胚が一回以上分割されることにより順次生ずるそれぞれの胚であって、ヒト胚分割胚でないものを含む。）をいう。

<プラスミド>

細胞内で世代を通じて安定的に子孫に伝達されるが、染色体とは別個に存在して自律的に増殖する遺伝因子（DNA 分子）の総称をいう。遺伝子組換え実験でのベクター（小型の自律的増殖能力をもつ DNA 分子）としてもよく使われる。

<モザイク>

ゲノム編集によって、遺伝子改変された細胞と改変されない細胞が混在することをいう。

<DNA>

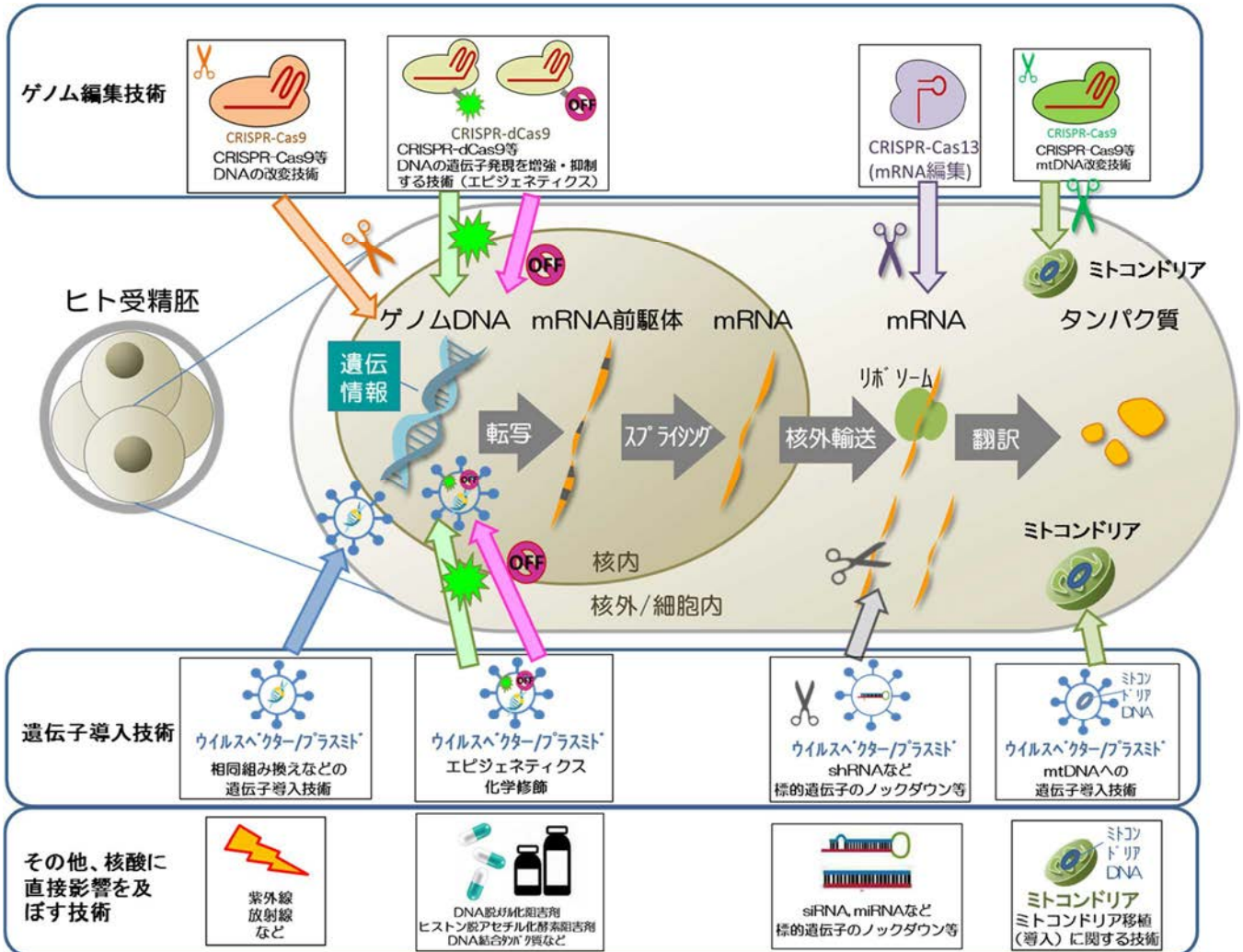
糖成分がデオキシリボースである核酸。遺伝子の本体であり、多くの生物において遺伝情報の継承と発現を担う高分子物質である。核酸塩基として、アデニン、グアニン、シトシン、チミンを有する。

<RNA>

糖成分がリボースである核酸。基本的に核酸塩基として、アデニン、グアニン、シトシン、ウラシルを有する。生体内でタンパク質合成を行う際に必要なリボソーム（生物の細胞内に存在する構造であり、mRNA（伝令 RNA）の遺伝情報を読み取ってタンパク質へと変換する機構が行われる場）の活性中心部位を構成しており、生体内での挙動や構造により、mRNA や tRNA（運搬 RNA）など、様々な分類がある。

參考資料

図1 規制の対象となるヒト受精胚等に対するゲノム編集技術等



出典：第3回 ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用のあり方に関する専門委員会 資料3