

## 資料1（日本遺伝子細胞治療学会）

## 人のゲノム編集に関する関連4学会からの提言

日本遺伝子細胞治療学会、一般社団法人日本人類遺伝学会、  
公益社団法人日本産科婦人科学会、一般社団法人日本生殖医学会

ゲノム編集技術\*は、これまで実現できなかった遺伝子の自由な改変を可能にする、簡易でありながら画期的な技術であり、今後新たな学術的知見の増進や医療への応用が強く期待される。

特に、次世代に影響を及ぼさない体細胞に対するゲノム編集技術は、治療法の確立されていない疾患にとって、画期的な治療法の基盤技術として期待できる。しかし現在の技術水準は、依然、未熟であり、その特異性と効率のさらなる向上を目指して、基礎的な研究の推進が不可欠である。

一方、体細胞とは異なり、次世代へ引き継がれる生殖細胞や胚のゲノム編集に関しては、きわめて慎重に取り組まなければならない。生殖細胞のゲノム編集によって人類の多様性が制限されかねないほか、現時点では予期できない影響が、世代を超え、また国境を越えて人類全体に及び、その影響を制御することは極めて困難な事態に陥ることが強く懸念される。そのため今後、ゲノム編集技術を精度の高い技術に向上させるとともに、人の生殖細胞や胚のゲノム編集の臨床応用に関しては、倫理的、法制的、および社会的側面からの慎重な議論を重ねていく必要がある。

以上の現状認識を踏まえて、表記4関連学会としては、以下の四つの提言を表明する。

1. 体細胞のゲノム編集は、基礎研究の更なる推進による基盤技術の向上が必要であるが、それをもとにした臨床応用も今後積極的に推進されるべきである。

2. 人の生殖細胞や胚に対するゲノム編集の臨床応用については、全ての医療関係者やあらゆる分野の技術者、研究者に対し禁止する措置をとるよう国に要望する。

3. ゲノム編集技術の限界の把握や将来的な発展に向け、基礎的研究の実施は妨げるべきではない。ただし、人の生殖細胞や胚を用いたゲノム編集の基礎研究実施に関しては、今後慎重かつ速やかに指針等を検討すべきである。

4. 全てのゲノム編集に関わる関連学会は、本技術がどのような技術であるか、その精度や内包する利益、不利益などの詳細について、国民全体による理解を深めるため、相互に連携しながら、ゲノム編集技術の現状と課題に関する正確な情報提供や啓発活動を社会に対して継続して積極的に行っていくべきである。

ゲノム編集技術\*：ゲノム DNA 上の標的とした塩基配列に対して欠失、挿入、置換を導入することによる遺伝子改変技術。近年、zinc finger nuclease (ZFN)、transcription activator-like effector nuclease (TALEN)、clustered regulatory interspaced short palindromic repeat (CRISPR)/CRISPR-associated protein 9 (Cas9)など、任意の DNA 配列(20~30 塩基対)を認識して切断するゲノム編集技術が急速に進歩し、これらの方法を用いて、標的とする遺伝子の改変効率が格段に上昇した。その結果、さまざまな生物種での遺伝子の改変が可能になり、さらに、人の遺伝子治療への応用も期待されている。一方、現在の技術では、標的配列以外の類似配列の改変(オフターゲット効果)により有害事象が起こる危険性があり、このことは特に治療への応用において懸念されている。

参考：

日本では、人の生殖細胞や胚の遺伝的改変を目的とした遺伝子治療等臨床研究及び人の生殖細胞または胚の遺伝的改変をもたらす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、ことが「遺伝子治療等臨床研究に関する指針」(平成 27 年 8 月 12 日厚生労働省)で規定されている。

資料2 (日本遺伝子細胞治療学会)(下線部は金田による)

## 人のゲノム編集についての日米の遺伝子細胞治療学会からの共同声明の概要

今回、日米の遺伝子細胞治療学会は、人のゲノム編集についての共同声明を発表しました。このゲノム編集技術は、将来、疾病治療や病態解明に極めて有用ではありますが、使い方によっては重大な倫理上の問題を巻き起こす場合もありえます。したがって両学会は、当面は人の胚細胞や将来個体になる生殖細胞などを対象にし、遺伝子が改変された受精卵が成育することにつながるゲノム編集技術の応用を禁止すべきであると考えます。

ゲノム編集技術は大変新しい技術ですが、人の体細胞(次の世代に伝わらない人の体を作る細胞)に対して適用する際には、これまでの技術に比べて効率や正確さが優れているため、病気の原因を理解したり、治療を行ったりするのに大変有用な技術となると期待されています。それについては、これまでの多くの医学研究とその応用の際に見られる課題以上に特別な倫理的課題があるとは考えられません。

一方、人の受精卵や胚の細胞など、次世代に伝わる細胞に対してゲノム編集技術を応用しようとする、大きな倫理的課題が生じます。一般的に新しい医療技術を臨床応用するためには、前段階の安全性や有効性の検証のための臨床研究が必要です。ところが、ゲノム編集技術によって遺伝子操作を受けた受精卵から人間が育った場合、その影響は、個人にとどまらず世代を超えて伝わります。その安全性や有効性については、遺伝子操作を受けた人の一生だけでなく、子孫についても長期に渡ってどのような影響が生じるのかを分析せねばなりません。ところが、それを科学的に有効な手段で、倫理的にも問題なく、十分検証することが今の科学ではできません。つまり研究として必要とされる基本的な検証作業ができないのです。また現在のゲノム編集の技術は、人の生殖細胞や、そのほかの将来人の受精卵に取り込まれる可能性のある細胞において、病気の予防や健康の強化の目的で用いるのには、精度や効率という点で不十分な未熟なものです。

以上の理由から、日米の遺伝子細胞治療学会は、世代を超えてその影響が伝わるような人の細胞のゲノム編集には強い反対の姿勢を表明致しました。

まずは、人以外の動物での生殖細胞のゲノム編集研究を進めて、それをもとにして、正常な発生能力を欠く人の受精卵を用いる研究の指針作りから始めていくべきではないかと考えています。

最後に、人の生殖細胞のゲノム編集は、個人、家族のみならず社会全体に影響を与える恐れがあります。そのことを十分に理解し、社会全体に破綻が生じないようにしなければなりません。ゲノム編集の技術をどのように活用するのが適切で、人類にとって福音とすることができるのか、そのような議論を幅広く、かつ深く行いながら、社会全体のコンセンサスを作っていくことが極めて重要であることを強く主張致します。

### 資料3（日本遺伝子細胞治療学会）

#### 1. ゲノム編集に対する考え（提言に至るまで各学会で議論された内容）

JSGCTの基本姿勢は、ASGCTとの共同声明（資料2）の趣旨と変わらない。

基礎研究について：基礎研究を容認するとの明言は避け、“今後慎重かつ速やかに指針等を検討すべき”とした。

臨床応用の禁止について：現時点で、という文言を削除。臨床応用は全ての医療関係者やあらゆる分野の技術者、研究者に対し禁止すべき、との提案に賛同。人類のゲノムが変わる、という覚悟が必要。

法的禁止は避けるべき：個々の事例を指針に基づいて判断する。国民の意識を高めた自主規制が理想的。

#### 2. 「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)他に対する考え

指針策定の必要性：遺伝子治療の面からは現段階で必然性を認めていないが、基礎研究を容認する方向については理解している。しかし容認を謳う前に、指針や審査体制を整備することが必要。臨床応用の禁止についても、指針の中に盛り込む。

ヒト以外の動物での研究の必要性：できる限りの代替法を模索すべき。

法的禁止の回避：ゲノム編集自体を法により規制をすることは望ましくないが、審査体制などを法規制することは必要。

“ヒト受精胚”との表記について：生殖細胞及び胚とすべき。

#### 3. 学会員からのヒト受精胚へのゲノム編集技術を用いる研究のニーズの有無

（あるとすればどのような領域・研究なのか。将来的な話も含めて）

優性遺伝病（ハンチントン舞蹈病、筋強直性ジストロフィーなど）については、現在の遺伝子治療法では対処できていない。これらがターゲットになる可能性が考えられる。

#### 4. 今後の対応予定

指針策定への対応：まず国が主導でWGを作って行うか、あるいは学会に依頼する形が望ましい。

社会への啓発：JSGCTとしては昨年より市民講座を開催し今年も東京で行う予定。

学会員の意識の向上：各学会での議論による学会員の意識の向上。他学会との意見交換。

技術革新：ゲノム編集の技術革新とその検証への取り組み。