

ゲノム編集専門部会の検討状況報告

専門部会長 山口 照英

ゲノム編集専門部会 委員名簿

- 内田 恵理子 国立医薬品食品衛生研究所 遺伝子医薬部 第一室長
- 岡田 尚巳 東京大学 医科学研究所 遺伝子・細胞治療センター 分子遺伝医学分野 教授
- 小澤 敬也 自治医科大学 名誉教授／客員教授
- 小野寺 雅史 国立研究開発法人国立成育医療研究センター研究所 成育遺伝研究部長
- 久米 晃啓 自治医科大学 臨床研究支援センター 教授
- 島田 隆 日本医科大学 名誉教授
- 高橋 智 筑波大学 医学医療系 教授・トランスボーダー医学研究センター長
- 谷 憲三郎 東京大学 医科学研究所 特任教授／九州大学名誉教授
- 那須 保友 岡山大学 理事（研究担当）・副学長／医歯薬学総合研究科 教授
- 真下 知士 東京大学 医科学研究所 実験動物研究施設 施設長／
先進動物ゲノム分野・ゲノム編集研究分野 教授
- 水口 裕之 大阪大学大学院 薬学研究科 分子生物学分野 教授
- 三谷 幸之介 埼玉医科大学 ゲノム医学研究センター 遺伝子治療部門 部門長・教授
- ◎山口 照英 日本薬科大学 薬学部 客員教授

◎部会長、○副部会長
(五十音順)

本専門部会の目的

ゲノム編集技術を利用した遺伝子治療用製品等におけるリスク評価の考え方を整理することにより、

- より安全なゲノム編集技術の開発の促進
と
- PMDAにおける審査

に資することを目的とする。

検討経過

| 会議の開催 | 主な議題 |
|---------------------|-----------------------------------|
| 第1回専門部会 (11月8日) | ● 検討方針とスケジュール・最新技術 |
| 第2回専門部会 (12月25日) | ● 安全性・海外の規制状況 |
| WG (1月29日) | ● 報告書イメージ |
| 第3回専門部会 (2月26日) | ● 切らないゲノム編集 |
| WG (3月12日) | ● ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療製品の品質・安全性等の考慮事項 |
| WG (4月15日) | |
| 第4回専門部会 (5月27日) | ● iPS細胞とゲノム編集 |
| WG (6月17日) | ● ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療製品の品質・安全性等の考慮事項 |
| WG (7月18日) | |

ゲノム編集Concept-papers作成での論点

- ゲノム編集を適用する多様なツールの存在
 - ゲノム編集ツール: ウイルスベクター、プラスミド、mRNA、ゲノム編集タンパク質
 - それぞれのツールごとの品質特性解析、安全性評価の必要性
- ゲノム編集による2本鎖切断(DSB)と非相同末端結合(NHEJ)による遺伝子破壊や相同組換え(HDR)によって引き起こされるゲノム修復の解析: 解析手法の多様性、検出感度の限界
- ゲノム編集に伴い安全性評価: 目的外の改変(オフターゲット作用)、オンターゲット部位の大きな欠失や挿入変異、HDRを導入した場合のp53変異のリスク、染色体異常
- インビボゲノム編集を適用に際して生殖細胞改変リスク
- ゲノム編集は遺伝子に持続的な改変を導入することから臨床適用にあたっての長期フォローアップの必要性