

報告書作成に当たっての論点

- 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
- ゲノム編集に伴う安全性評価: 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適用に際しての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