

令和2年2月7日

## 科学委員会報告書「ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書」の掲載について

本報告書は、科学委員会の下に設置されたゲノム編集専門部会において、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項について、2018年11月から2019年10月にわたり検討を行ってきた結果を、2019年12月の科学委員会の確認を経て、報告書としてまとめたものです。

ゲノム編集技術は、特定の遺伝子を特異的に切断、改変、編集できる画期的な技術として開発が精力的に進められ、新たな遺伝子治療法として、その実用化が期待されています。海外では感染症やがん、単一遺伝子疾患等を対象にゲノム編集を用いた遺伝子治療臨床試験が実施されており、数年以内にこれら遺伝子治療用製品等の製造販売承認申請が行われる可能性があります。そして、これを受け、国内においても治験が始まる可能性が高く、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質及び安全性に関する考え方を整理しておく必要があるとして、科学委員会において検討が行われました。具体的には、レギュラトリーサイエンスの観点から、ゲノム編集に適用する多様なツールに応じた品質特性、オフターゲット作用等の検出感度、安全性評価、長期フォローアップの必要性等を論点として検討しています。

本報告書は、PMDAにおけるゲノム編集技術を用いた再生医療等製品等の審査・相談業務等に役立てるとともに、ゲノム編集技術を用いた再生医療等製品等の開発をされる方々にも参考としていただきたいと思えます。

【ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療用製品等の品質・安全性等の考慮事項に関する報告書】

<https://www.pmda.go.jp/files/000233744.pdf>

【これまでの科学委員会における議論の取りまとめ報告書】

<https://www.pmda.go.jp/rs-std-jp/outline/0003.html>