ヒト受精胚等を用いる研究に関する 専門委員会（第６回）	参考資料２
令和６年11月18日	

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。

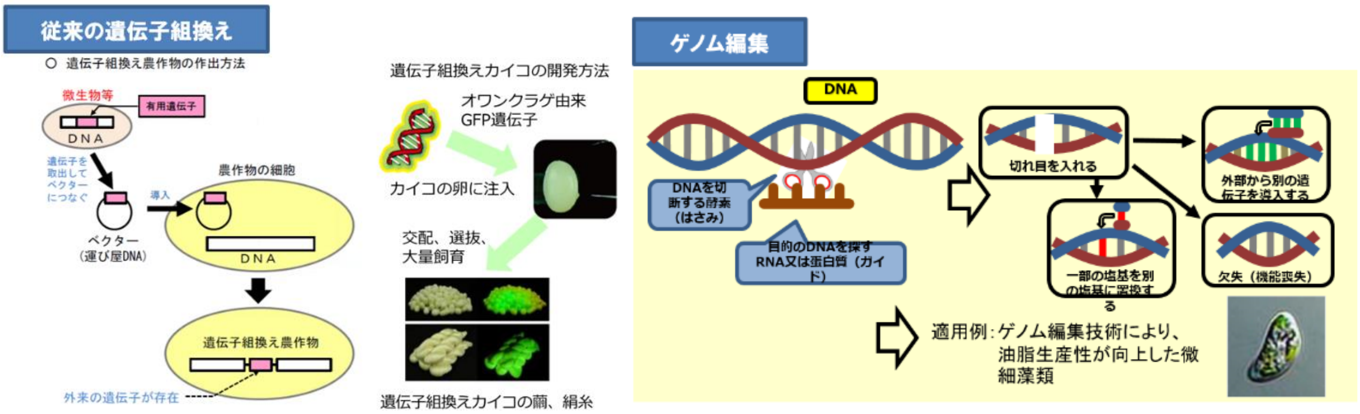
　一方で 1996 年頃から開発が進められている、ゲノム編集技術は、CRISPR/Cas9 を代表とするタンパク質等を特定の塩基配列を標的として結合させ、二本鎖 DNA を切断し、遺伝子の導入や欠失等を起こすことができる遺伝子改変技術の一つである。ゲノム編集技術の中には、特定の塩基配列への結合を行うが、DNA の切断や塩基配列の改変を行わず、遺伝子発現を制御（増強又は抑制）するシステム（エピジェネティクス）に影響を及ぼすような技術も存在する。また、ゲノム編集技術は、細胞の核内に存在する DNA のみならず、遺伝子発現の過程で転写され生じる mRNA やミトコンドリアに存在する DNA に対しても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

0300-2:www.nature.com/commsbio

（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

遺伝情報改変技術等の種類＼技術等の対象		核DNA：DNAの改変	核DNA：遺伝子発現（エピジェネティクス（※1））	mRNA	ミトコンドリアDNA	科学技術的課題	社会的倫理的課題
受精胚等（今回の規制の対象範囲）	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（ウイルスベクター／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結合ﾀﾝﾊﾟｸ質など	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ッ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<u>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</u>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

<table>
<tr><th colspan="2">ゲノム編集の対象となる細胞</th><th>自由診療</th><th>臨床研究</th><th>治験・製造販売</th></tr>
<tr><td colspan="2">生殖細胞
又は受精胚</td><td>法による規制なし</td><td>法による規制なし
（＊１）指針により禁止</td><td>（＊１）指針により禁止</td></tr>
<tr><td rowspan="2">体細胞</td><td>In vivo
遺伝子治療</td><td>法による規制なし</td><td>一定の手続規制の下、
実施可能
（臨床研究法）</td><td rowspan="2">一定の手続規制の下、
実施可能
（医薬品医療機器等法）</td></tr>
<tr><td>Ex vivo
遺伝子治療</td><td colspan="2">一定の手続規制の下、実施可能
（再生医療等安全性確保法）</td></tr>
</table>

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＞
健常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。

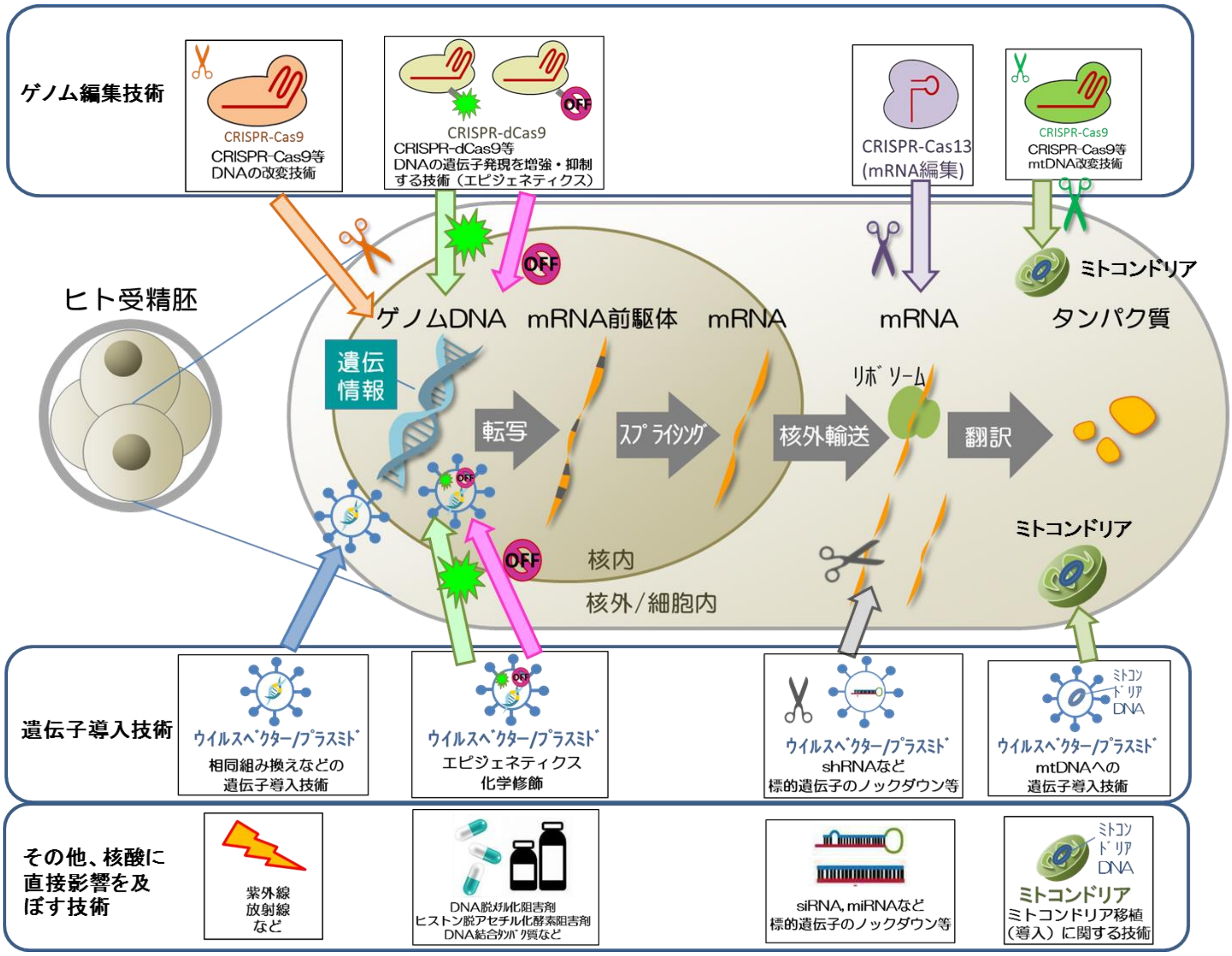
＜モザイク＞
ゲノム編集によって、遺伝子改変された細胞と改変されない細胞が混在することをいう。

＜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。

参考資料

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

表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状況の比較表

各国規制状況

			日本		アメリカ	イギリス	ドイツ	フランス	中国
規制の根拠となる法令等			①遺伝子治療等臨床研究に関する指針（2002）（行政指導）	②日本産科婦人科学会会告（1983）（自主規制）	① 歳出予算法の付帯条項（2016）② Dicky-Wicker改正条項（1996）（連邦政府レベルで実施を規制する法律はない）	ヒトの受精及び胚研究に関する法律（1990）	胚の保護に関する法律（1990）	① 生命倫理法（2004）（ ② 民法典16-4条（2004） ）	ヒト生殖補助技術管理規範（※）（2001）（行政指導）
ヒト胚の考え方			「人の尊厳」という社会の基本的価値の維持のために特に尊重されるべき存在であり、かかる意味で「人の生命の萌芽」として位置付けられるべき（「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）	規定なし	規定なし	規定なし	受精直後の早期の段階から法的な保護の対象となる	胚は今後人間になるものであり、潜在的には人間と見なし得るという考え方の下、受精の瞬間から胚は保護の対象となる	規定なし
規制対象となる技術等	ゲノム編集技術	臨床研究	① 人の生殖細胞又は胚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	① FDAが「遺伝性の遺伝子組み換えを含むヒトの胚の意図的な作成・改変をする」臨床試験の承認審査をすることを、議会が禁止 ② ヒト胚を作り出すことや、ヒト胚が滅失されたり傷つけられたりすることを含む研究に対し、連邦資金を投入することを禁止	・ 法に基づく規制機関として、保健省の管轄下に「ヒト受精・胚機構」（HFEA: Human Fertilisation and Embryology Authority）があり、ヒト胚を用いた研究の実施にはHFEAの認可が必要 ・ 人の生殖細胞の遺伝情報に人為的に変異を加えること、受精のために人為的に遺伝子を変異させた配偶子を使用することに対して刑事罰が課される ・ HFEAは、実質的に、生殖細胞系ゲノム編集を行ったヒト受精胚を胎内に着床させることを禁止	・ 人の生殖系列細胞の遺伝情報を人工的に改変した者及び人工的に改変された遺伝情報を有するヒトの生殖細胞を受精に用いた者は、未遂であっても罰せられる	・ 人の種の完全性への侵入、優生学的な動きによる人間の選別、子孫に何らかの変化をもたらすような遺伝子の特性の転換を禁止	・ 生殖目的での卵原形質、核移植技術の使用及び配偶子、接合し又は胚の遺伝子の生殖目的での操作は禁止 （罰則なしの禁止） ⬇ 現在、ゲノム編集技術等を用いた受精胚等の臨床利用に関する条例（罰則あり）の立法作業中。
		医療提供	なし		なし				
	遺伝子導入技術	臨床研究	① 同上		①② 同上				
		医療提供	なし		なし				
	その他、核酸に直接影響を及ぼす医薬品等	臨床研究	① 同上		①② 同上				
		医療提供	なし		なし				
罰則			なし	なし	① なし ② なし	10年未満の懲役又は罰金	3年未満の懲役又は罰金	① 30年未満の懲役と750万ユーロの罰金 ② なし	なし

○ 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課題

	日本	アメリカ	イギリス	ドイツ	フランス	中国
社会的倫理的課題	☞エンハンスメント利用による不公平性 ☞世代を超えて影響が残る	☞エンハンスメント利用による不公平性 ☞世代を超えて影響が残る	☞エンハンスメント利用による不公平性 ☞世代を超えて影響が残る （遺伝子改変の結果を発見することができないため、影響との因果関係が不明）	☞人の尊厳の保持に影響を及ぼすおそれがある ☞世代を超えて影響が残る	☞人の尊厳の保持に影響を及ぼすおそれがある ☞世代を超えて影響が残る	（現在検討中）
科学技術的課題	☞オフターゲット ☞モザイク	☞オフターゲット ☞モザイク	☞オフターゲット	☞オフターゲット ☞モザイク ☞元に戻せない		

※1　平成31年度厚生労働科学特別研究事業「諸外国におけるゲノム編集技術等を用いたヒト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」研究班の調査内容（2019年10月時点）を基に、厚生科学課が把握できる範囲で作成した。
※2　2019年11月13日時点のものであり、記載内容は一部調査中。今後、各国の検討状況等により変更され得る。

※中国における法体系
① 刑法典
② 条例
③ 管理弁法
④ 規範

規制の効力　大 → 小

出典：第４回ゲノム編集技術糖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４

表３　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検討状況の比較表

	日本	アメリカ	イギリス	ドイツ	フランス	中国
	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	米国科学アカデミー 米国医学アカデミー (2017)	ナフィールド生命倫理評議会 (2018)	ドイツ倫理評議会 (2019)	国民議会・元老院	法律委員会
位置付け	国の審議会に設置された組織	民間団体	民間団体	首相の任命する専門家のみで構成された組織	議会	全国人民代表大会に設置された組織
検討の開始時期	2019年8月	2015年	2015年	2017年	2019年7月	2019年
基本的見解	現時点では容認できない	現時点では容認できない	現時点では容認できない	現時点では容認できない	禁止	禁止
例外となる対象の考え方						
対象事例		・重篤な疾患や病態の予防 ・ゲノム編集の対象が、明らかにその疾患や病態の原因であると証明されているもの、もしくは、強く疑わせる場合 ・健康な状態に戻すことができるとわかっている遺伝子である場合	・ハンチントン病などの、優性遺伝の遺伝的疾患で、片方の親が疾患をもたらす遺伝子のコピーを二つ持っている場合 ・嚢胞性線維症や鎌状赤血球症といった劣性遺伝の遺伝的疾患で、両方の親が疾患をもたらす遺伝子のコピーを二つ持っている場合	・重篤な単一遺伝子疾患 ・多因子疾患の予防	（現在検討中）	（現在検討中）
実施する場合に必要な確認事項						
科学的妥当性						
安全性		前臨床研究や臨床研究のデータが存在し、安全性(リスク)がわかっているもの	生じうる有害事象のリスクについて、事前評価がなされていなければならない	目的とする遺伝子改変が正確に行われる科学的安全性が示される場合	（現在検討中）	（現在検討中）
有効性		前臨床研究や臨床研究のデータが存在し、有効性がわかっているもの		目的とする遺伝子改変の有効性が示される場合		
代替不可能性		代替可能な他の方法がない	特定の遺伝的疾患を排除しつつも遺伝的に繋がりを持った子供を産むために利用可能な唯一の選択肢であるという場合			
実施体制						
患者の健康監視		臨床研究中に、被験者の安全と健康を継続的にかつ厳重に監視できること			（現在検討中）	（現在検討中）
長期的フォローアップ		個人のプライバシーを尊重した上で、長期間の、後世代にわたるフォローアップ計画があること	臨床研究としてのみ導入されるべきであり、個人に対する影響の長期的な監視も実施する必要がある。			
管理体制の存在		重篤な疾患や病態の予防以外の目的にこの技術が使われないようにする為の、監視機構があること	HFEAによる厳しい規制と管理の下でのみ実施されるべき	適切な監視、監督の手続のもと実施されるべきである		
手続・プロセス						
透明性の確保とプライバシー		最大限の透明性が確保されつつ、患者のプライバシーが守られること			（現在検討中）	（現在検討中）
市民の参画		健康面、社会面でのリスクベネフィットについて、市民が参画しつつ、継続的に検討を行うこと	ゲノム編集の実践が市民の態度と意見、および社会規範を考慮したものとなる			
その他						
生まれる子の福祉等	生まれてくる子の人権を考慮すべきではないか(第1回専門委員会)		将来の子の福祉を守り、またその子の福祉に反しない目的のためのみに利用される場合		（現在検討中）	（現在検討中）
社会正義	生まれてくる子への差別がないことが重要ではないか(第1回専門委員会)		社会的正義や連帯という原則と合致して実施される場合 （社会における格差、差別、分断を増大させると予期されるものであってはならない）			

※１　平成31年度厚生労働科学特別研究事業「諸外国におけるゲノム編集技術等を用いたヒト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」研究班の調査内容(2019年10月時点)を基に、厚生科学課が把握できる範囲で作成した。
※２　2019年11月13日時点のものであり、記載内容は一部調査中。今後、各国の検討状況等により変更され得る。

出典：第４回ゲノム編集技術糖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４

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
専門委員会の設置について

令和元年７月25日

１．設置の趣旨

近年のゲノム編集技術の急速な発展を受け、内閣府に設置されている「総合科学技術・イノベーション会議（CSTI）」生命倫理専門調査会で、ヒト受精胚等に対する当該技術の応用について議論が行われ、本年６月19日に報告書が公表された。

同報告書では、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等を人又は動物の胎内に移植すること（研究及び医療提供として行われる臨床利用）に対して、「法的規制のあり方も含めた適切な制度的枠組みの検討」を関係省庁に求めることが記載されている。

これを踏まえ、厚生科学審議会科学技術部会に本委員会を設置し、必要な検討を行う。

２．検討事項等

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する「法的規制のあり方も含めた適切な制度的枠組み」について、倫理面・安全面やゲノム編集技術等の進展、国際的な動向等を踏まえ検討を行い、一定の結論を取りまとめる。

３．構成

医学研究者（ゲノム編集技術等）、医療関係者（産婦人科、小児科、遺伝性・先天性疾患、遺伝子治療等）、法学・倫理専門家、医療を受ける立場にある者等から計15名程度で構成する。

４．庶務

本委員会の庶務は、大臣官房厚生科学課において行い、医政局研究開発振興課、子ども家庭局母子保健課、健康局難病対策課がこれに協力する。

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 委員名簿

委員名	所　　属
飯野　正光	一般社団法人　日本医学会連合　副会長／日本大学医学部　特任教授
◎五十嵐　隆	国立成育医療研究センター　理事長
石原　理	埼玉医科大学医学部産科・婦人科学　教授
伊藤たてお	日本難病・疾病団体協議会理事
苛原　稔	徳島大学大学院医歯薬学研究部　教授
甲斐　克則	早稲田大学理事・早稲田大学大学院法務研究科　教授
掛江　直子	国立成育医療研究センター生命倫理研究室　室長・小児慢性特定疾病情報室スーパーバイザー
加藤　和人	大阪大学大学院医学系研究科　教授
神里　彩子	東京大学医科学研究所先端医療研究センター　准教授
後藤　弘子	千葉大学大学院専門法務研究科　教授
武田　洋幸	東京大学大学院理学系研究科　教授（日本学術会議ゲノム編集委員会委員長）
平川　俊夫	公益社団法人　日本医師会　常任理事
三浦　直美	フリーライター／医学ジャーナリスト協会　幹事
山口　育子	認定 NPO 法人　ささえあい医療人権センター　COML 理事長
山口　照英	金沢工業大学教授／日本薬科大学客員教授

◎　委員長

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
議題一覧

○　第１回　令和元年８月２日
《議事》
・　ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の現状について

○　第２回　令和元年８月 21 日
《議事》
・　ゲノム編集等の技術的課題を専門家からヒアリング（山本卓先生、武田洋幸先生）
・　ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の制度的枠組について

○　第３回　令和元年 10 月９日
《議事》
・　海外の規制状況とその動向についてヒアリング（磯部哲先生（平成 31 年度厚生労働科学特別研究事業　研究班））
・　ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の制度的枠組について

○ 第４回　令和元年 11 月 13 日
≪議事≫
・　患者家族会からのヒアリング（中井伴子先生、柏木明子先生）
・　ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の制度的枠組について

○ 第５回　令和元年 12 月４日
≪議事≫
・　ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚等の臨床利用の制度的枠組について