

# 「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」 見直し等に係る報告（第二次）

～ヒト受精胚へのゲノム編集技術等の利用等について～  
(令和元年6月19日 総合科学技術・イノベーション会議)

## 概要

生命倫理・安全対策室

# 目次

---

## 1. 検討の背景・状況及びヒト受精胚の取扱いにかかる基本的な認識について

## 2. 個別論点の検討と考察

- (1) ヒト受精胚にゲノム編集技術等を用いる「遺伝性・先天性疾患研究」について
- (2) 「研究用新規作成胚」の作成を伴う研究について
  - ① 生殖補助医療研究を目的とする場合
  - ② 遺伝性・先天性疾患研究を目的とする場合
- (3) 核置換技術を用いた研究について
- (4) 審査体制等

# 背景・検討経緯

---

- 近年のゲノム編集技術等の急速な進展に伴い、それらの技術をヒト受精胚に用いた生殖補助医療研究、遺伝性・先天性疾患研究により新たな治療法開発等が期待される一方で、臨床応用については、倫理・安全上の課題（エンハンスメント、オフターゲット等）が指摘されている。
- 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は、平成16年7月に「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」（基本的考え方）を取りまとめ、原則として「人の生命の萌芽」であるヒト受精胚を損なう取扱いは認められないが、科学的合理性、安全性、社会的妥当性を満たす場合に限り、例外的に認められるとされた。
- 生命倫理専門調査会では、平成27年7月以降、ヒト受精胚へのゲノム編集技術等の利用について検討を開始し、平成30年3月に「ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方」見直し等に係る報告（第一次）～生殖補助医療研究を目的とするゲノム編集技術等の利用について～」を取りまとめ、これを受け、文部科学省及び厚生労働省は、平成31年4月に「ヒト受精胚に遺伝情報改変技術等を用いる研究に関する倫理指針」を策定した。
- 今般、第一次報告で引き続き検討することとされた遺伝性・先天性疾患研究を目的とする基礎的研究、研究用新規作成胚の基礎的研究への利用、核置換技術等について検討を行い、第二次報告書を取りまとめた。

# 1. 検討の背景・状況及びヒト受精胚の取扱いにかかる基本的な認識について

---

- 「基本的考え方」で示された基本原則自体は、引き続き維持することが適切。  
(参考2参照)
- 生命倫理専門調査会（専門調査会）及びタスク・フォース（TF）においては、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、「基本的考え方」に示された認識を起点とし、過去の議論の上に立って、この要件を満たす研究目的の見直しも含めて議論。
- ゲノム編集技術を含む近年の技術の急速な進展状況を踏まえれば、得られる科学的知見の増大を念頭に、例外としてヒト受精胚を用いた研究が認められる範囲は、従来に比して拡大する可能性がある。ただし、新技術を用いた研究は目的・手法・安全性等において極めて多様かつ複雑であり、一律に許容性を判断することは困難であるため、より個別の研究内容に即した判断が必要。専門調査会としては、科学的合理性及び社会的妥当性の観点から、基礎的研究として容認される範囲の外縁を示しつつ、個別の研究計画が適切に審議されるために必要な要件、研究の透明性を確保する枠組みを提示。

# 1. 検討の背景・状況及びヒト受精胚の取扱いにかかる基本的な認識について

---

- 第一次報告に示された、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おいて、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚をヒト又は動物の胎内に移植することは容認できないとの見解について、状況認識を踏まえ強く再認識。
- 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みの検討が具体的に必要となったと考えられ、関係府省にその検討を求める。
- 基礎的研究については、他のヒト胚を扱う研究の取扱いにも鑑み、引き続き指針により措置することが適切と考えられるが、その際、上記の臨床利用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な検討と全体として統合的なものとなる必要がある。
- 上記枠組みの検討に際しては、国際的な研究コミュニティや国際機関等における議論にも積極的に参画し、国際協調に基づく検討が一層重要となっているとともに、日本学術会議や関係学会など国内関係機関との密接な連携も一層必要。

# 1. 検討の背景・状況及びヒト受精胚の取扱いにかかる基本的な認識について

---

○ 従って、専門調査会においては、今後関係府省において行われる、

- ① 基礎的研究のための指針の策定
- ② 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もって進捗していることを確認することが重要と考えられるため、関係府省にその点に関する検討を依頼し、本年秋頃を目途に、関係府省等から検討状況の報告を受け、その報告を踏まえて専門調査会として必要な検討を行うことが適当と考えられる。その際、特に研究用新規作成胚の作成・利用については、今般の取りまとめ内容に沿ったものであるかを国際的議論との協調等の観点から、改めて確認するものとする。

○ 今後適切な全体像の下で基礎的研究に関する審議を行っていく上で、審査体制の議論は重要であることから、専門調査会において、第三者組織等の活用も視野に、審査等の手続きについて検討を行っていくこととする。

## 2. 個別論点の検討と考察

### (1) ヒト受精胚にゲノム編集技術等を用いる「遺伝性・先天性疾患研究」について

- ヒト受精胚（余剰胚）にゲノム編集技術等を用いた基礎的研究により先天性・遺伝性疾患※について得られる知見が増大することは、**将来的には、先天性・遺伝性疾患の病態解明・治療法の開発につながる**と考えられる。
- 当該疾患を抱える人々への治療法提供への期待には、**科学的合理性及び社会的妥当性が認められるため、一定の要件が確保されることを個別の研究計画において適切に確認することを前提に、このような研究目的でのヒト受精胚（余剰胚）にゲノム編集技術等を用いた研究を容認することが適当。**
- 具体的な疾患を対象とする、ヒト受精胚にゲノム編集技術等を用いることによる治療法開発については、その疾患を対象にすることの妥当性を含め、個別の研究計画において許容性を慎重に判断することが適当。疾患とは必ずしも関連しない目的（エンハンスメント等）の研究は容認しないとの考え方を再確認し、個別の研究計画において、その点を確認することが必要。

※遺伝性・先天性疾患研究：ゲノム編集技術等を用いる「遺伝性又は先天性疾患の病態解明及び治療法（予防法）の開発に資する研究」

※想定される遺伝性・先天性疾患：網膜芽細胞腫等のインプリンティング異常症、X染色体の異常による疾患など

## 2. 個別論点の検討と考察

### (2) 「研究用新規作成胚」の作成を伴う研究について

#### ① 生殖補助医療研究を目的とする場合

- 研究用新規作成胚の作成・利用により得られる科学的知見が増大していると考えられることや、ゲノム編集技術を用いた研究用新規作成胚の作成を伴う研究による生命科学の進展及び生殖補助医療技術の向上が期待されることから、同様の科学的合理性・社会的妥当性がある。
- 従って、「ヒト受精胚の作成を行う生殖補助医療研究に関する倫理指針」(ART指針)に基づいて行われる研究においてゲノム編集技術等を用いる場合については、先行して制定された「ヒト受精胚に遺伝情報改変技術等を用いる研究に関する倫理指針」(ゲノム編集指針)における考え方を踏まえ、ゲノム編集技術等を用いることによりART指針に追加されるべき観点を確認した上で、一定の要件が確保されることを個別の研究計画において適切に確認することを前提に、容認することが適当。
- なお、その基礎的研究については、研究の過程で生じたヒト受精胚にゲノム編集技術等を用いる場合及び配偶子にゲノム編集技術等を用いた後にヒト受精胚を作成する場合の双方が考えられることに留意すべき。

## 2. 個別論点の検討と考察

- ヒト受精胚の作成を伴う研究を行う場合には、科学的観点のみならず倫理的観点から検討することが特に必要であるとの指摘を踏まえ、研究計画が容認される一定の要件としては、
  - ・ 先行研究の十分な蓄積の上に、ヒト配偶子及びヒト受精胚へのゲノム編集技術等によらなければ得られない科学的知見が具体的に想定されること
  - ・ ヒト受精胚の作成を行わなければ得られない科学的知見が具体的に想定されること
  - ・ 余剰胚を用いることでは解明できない研究であること
  - ・ その胚の胎内移植を前提としない方策を講じること

などが必要

- また、ヒト受精胚の作成・利用に当たって検討すべき卵子提供者の負担等への対応については、「基本的考え方」を踏まえ、ART指針により規定されているが、それ以外の侵襲性の低い卵子提供方法として、「基本的考え方」でも指摘されている医学的適応のために凍結された未受精卵子や卵巣切片の提供についても検討すべき。

### ② 遺伝性・先天性疾患研究を目的とする場合

- 遺伝性・先天性疾患研究目的のためヒト受精胚の作成を伴うゲノム編集技術等を用いる研究については、科学的観点から研究の必要性を指摘する意見がある一方で、倫理的観点から慎重な意見も見られることから、個別の研究計画に対して適切な審査を行うことで容認しうるかを引き続き専門調査会にて検討。

## 2. 個別論点の検討と考察

### (3) 核置換技術を用いた研究について

○ミトコンドリア病研究を目的とし、ヒト受精胚への核置換技術を用いた基礎的研究を行うことについては、科学的合理性・社会的妥当性があると考えられ、一定の要件が確保されることを個別の研究計画において適切に確認することを前提に、容認することが適当。

○ミトコンドリア病研究を目的とする研究用新規作成胚（配偶子に核置換技術を用い、受精させる場合を含む。）及びその際の卵子提供に係る倫理的課題については、専門調査会において引き続き検討。

○なお、核置換のうち**受精胚核置換※1**については、クローン技術規制法に定める特定胚の一種の「**ヒト胚核移植胚**」※2であり、現在は特定胚の取扱いに関する指針（特定胚指針）において作成を禁止。他方、同法の目的は人クローン個体等の産生を禁止することであるため、ミトコンドリア病の病態解明等のため、ヒト胚核移植胚の作成を行う基礎的研究は、この目的に直接的に抵触するものではないと考えられることから、**特定胚指針の改正によりヒト胚核移植胚の作成を可能**としつつ、同時に、**作成したヒト胚核移植胚の人又は動物胎内への移植を禁止**する等の適切な措置を定めることが必要。

※1 受精胚核置換：受精胚（1細胞期）から核を取り出し、その核を、他の核を除いた受精胚に移植する技術。

※2 ヒト胚核移植胚：一の細胞であるヒト受精胚若しくはヒト胚分割胚又はヒト受精胚、ヒト胚分割胚若しくはヒト集合胚の胚性細胞であって核を有するものがヒト除核卵と融合することにより生ずる胚をいう。

## 2. 個別論点の検討と考察

---

### (4) 審査体制等

- 上記(1)から(3)の研究については、以下の点に留意しながら、文部科学省及び厚生労働省において速やかに指針を整備し、個別の研究計画について適切に容認の可否を判断できる厳格な審査の仕組みを構築することが適当。その際には、特に基礎的研究の性質に鑑み、合理的な審査要件となるよう留意することが必要。
- ゲノム編集等を行う研究の審査体制については、専門調査会において、第三者組織（各研究機関又は国とは別の組織を想定）の活用や関連する学会等との連携も視野に、審査等の手続について検討。その際、ヒト受精胚等を用いる研究に関する指針の現行の運用状況等にも留意することが適当。

## 2. 個別論点の検討と考察

---

### 【審査における留意点】

#### ＜基本的事項＞

- ・ 科学的合理性及び倫理的妥当性の確認
- ・ 研究に用いる受精胚又は配偶子等が、提供者の同意の下、適切な手続きにより提供を受けたことの確認
- ・ 研究に用いた胚の人又は動物胎内への移植を防止する方策の確認
- ・ 研究機関が研究を行う適切な施設・能力等を備えていることの確認
- ・ 研究責任者が研究を行う適切な倫理的認識及び専門的知識等を有することの確認

#### ＜余剰胚にゲノム編集技術等を用いる遺伝性・先天性疾患研究＞

- ・ 具体的な疾患を対象とする、ヒト受精胚にゲノム編集技術等を用いることによる治療法につながるような研究については、技術的精度、その疾患を対象にすることの妥当性や、治療以外のいわゆるエンハンスメントに該当しないこと、生殖補助医療を直接の目的とするものではないこと

#### ＜ヒト受精胚の作成を伴う、ゲノム編集技術等を用いる生殖補助医療研究＞

- ・ 当該研究においてヒト受精胚の作成を伴う必要性（余剰胚を用いては研究できないこと）

#### ＜核置換技術を用いる研究＞

- ・ 作成されるヒト胚核移植胚が、ミトコンドリア病の病態解明に資する研究目的で余剰胚を用いて作成されることの確認

## 2. 個別論点の検討と考察

---

### (4) 審査体制等

#### 【国民的・国際的議論及び今後の検討】

- 研究の透明性を一層高めるための適切な取組みを検討すべき。その具体的内容は、本年秋頃を目途とする専門調査会での審議において、関係府省から具体的取組みの検討状況の報告も受け、所要の審議を行うことが適当。
- 基礎的研究及び将来的な臨床利用のあり方については、国民的な議論及び国際的な検討との協調が重要であり、政府として発信していくべく、「基本的考え方」を土台にして過去の関連の議論の結果等を分かりやすく集約した文書が作成されることが必要。

#### 【中長期的課題】

- ヒト受精胚等の適切な取扱いという観点から、ヒト受精胚等を用いる研究全般に係る共通枠組みについて検討すべき。
- ヒトES/iPS細胞等から生殖細胞を作成する研究について、作成した生殖細胞からのヒト受精胚の作成は、今後の生殖細胞の作成に関する基礎的な研究の蓄積を踏まえることが必要との認識等から容認していない。関係研究の進捗状況を踏まえ、検討を再開すべき時期に達した場合、議論を開始し、速やかに最終的な結論を導いていくこととしており、幹細胞由来の生殖細胞を用いるヒト胚作成について、特に疾患研究における有用性に鑑み、その扱いについて今後検討すべき。

# 「第一次報告」及びそれ以降の専門調査会／タスク・フォース（参考1） における検討の全体的整理

	基礎的研究※1 （※胚の胎内移植を前提としない ※疾患関連以外目的の研究（いわゆるエンハンスメントなど）は容認しない）		臨床利用※2 （研究・医療）
胚の種類 検討対象	余剰胚	新規胚	
ゲノム編集技術等 （生殖補助医療研究目的）	<ul style="list-style-type: none"> <li>第一次報告に基づき、平成31年4月にゲノム編集指針を策定</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>個別計画の審査を前提として、容認</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト又は動物への胎内移植は現時点において容認できない（「一次報告書」に引き続き確認）</li> <li>法的規制も含めた制度的枠組みを今後検討（新たに提示）</li> </ul>
ゲノム編集技術等 （遺伝性・先天性疾患研究目的）	<ul style="list-style-type: none"> <li>個別計画の審査を前提として、容認</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>容認の可否を引き続き検討</li> </ul>	
核置換技術	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト胚核置換胚については個別計画の審査を前提として容認</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>卵子間核置換胚については容認の可否を引き続き検討</li> </ul>	

※1 基礎的研究：ヒトや動物に、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚を移植しない（固体産生につながらない）研究をいう。

※2 臨床利用：ヒトや動物に、ゲノム編集技術等を用いたヒト受精胚を移植する（固体産生につながる可能性が有る）利用をいう。

（「基本的考え方」見直し等に係る報告書（第一次）～生殖補助医療研究を目的とするゲノム編集技術等の利用について～）より）

## 第2. ヒト受精胚

### 2. ヒト受精胚の位置付け

#### (3) ヒト受精胚の取扱いの基本原則

##### ア 「人の尊厳」を踏まえたヒト受精胚尊重の原則

既に述べたとおり、「人」へと成長し得る「人の生命の萌芽」であるヒト受精胚は、「人の尊厳」という社会の基本的価値を維持するために、特に尊重しなければならない。

したがって、ヒト胚研究小委員会の報告に示されたとおり、「研究材料として使用するために新たに受精によりヒト胚を作成しないこと」を原則とするとともに、その目的如何にかかわらず、ヒト受精胚を損なう取扱いが認められないことを原則とする。

##### イ ヒト受精胚尊重の原則の例外

しかし、人の健康と福祉に関する幸福追求の要請も、基本的人権に基づくものである。このため、人の健康と福祉に関する幸福追求の要請に応えるためのヒト受精胚の取扱いについては、一定の条件を満たす場合には、たとえ、ヒト受精胚を損なう取扱いであるとしても、例外的に認めざるを得ないと考えられる。

##### ウ ヒト受精胚尊重の原則の例外が許容される条件

イに述べた例外が認められるには、そのようなヒト受精胚の取扱いによらなければ得られない生命科学や医学の恩恵及びこれへの期待が十分な科学的合理性に基づいたものであること、人に直接関わる場合には、人への安全性に十分な配慮がなされること、及びそのような恩恵及びこれへの期待が社会的に妥当なものであること、という3つの条件を全て満たす必要があると考えられる。

また、これらの条件を満たすヒト受精胚の取扱いであっても、人間の道具化・手段化の懸念をもたらさないよう、適切な歯止めを設けることが必要である。

# ヒト胚の取扱いに関する基本的考え方（抜粋）（2/2）

## 3. ヒト受精胚の取扱いの検討

前述の基本原則をもとにヒト受精胚の取扱いについて、目的別の考察を行った。

### (1) 研究目的のヒト受精胚の作成・利用

ヒト受精胚の研究目的での作成・利用は、ヒト受精胚を損なう取扱いを前提としており、認められないが、基本原則における例外の条件を満たす場合も考えられ、この場合には容認し得る。

その場合においても、ヒト受精胚は、体外にあって胎盤を形成しない限り、発生過程が進んでも「胚」として扱われるため、研究目的の作成・利用については、その取扱いの期間を限定する必要がある。

ヒト受精胚は、原始線条を形成して臓器分化を開始する前までは、ヒト受精胚の細胞（胚性細胞）が多分化性を有していることから、ヒト個体としての発育を開始する段階に至っていないと考えることができるが、原始線条を形成して臓器分化を開始してからは、ヒト個体としての発育を開始したものと考えられることができる。これを踏まえ、研究目的でのヒト受精胚の作成・利用においては、その取扱い期間を原始線条の形成前までに限定すべきである。

個々の事例の容認の可否については個別に検討する必要があるが、研究の主な目的に対しての一般的な考察結果は次のとおりである。

### ア 生殖補助医療研究目的での作成・利用

生殖補助医療研究は、これまで体外受精の成功率の向上等、生殖補助医療技術の向上に貢献しており、今後とも、生殖補助医療技術の維持や生殖補助医療の安全性確保に必要と考えられる。こうした研究成果に今後も期待することには、十分科学的に合理性があるとともに、社会的にも妥当性がある。このため、生殖補助医療研究のためのヒト受精胚の作成・利用は容認し得る。

### イ 先天性の難病に関する研究目的での作成・利用

現時点では、この分野の研究においてヒト受精胚の作成・利用を伴う研究を行う具体的必要性が確認できなかったが、容認する余地はあり、先天性の難病に関する研究が今後進展することを期待し、将来、必要性が生じた時点で改めて検討することとする。

# 生殖細胞系列の遺伝的改変を伴う基礎的研究に係る諸外国の規制等

(参考3)

	受精胚を研究目的で作成	余剰胚* 研究	配偶子研究
米国	ディッキーウィッカー修正(1996)※1 連邦予算でヒト胚を扱う研究に対する助成は不可 カリフォルニア州は可		
英国	ヒトの受精及び胚研究に関する法律 (1990) ※1		
スウェーデン	遺伝的な一体性等に関する法律(2006)※1 (人に遺伝する遺伝的変化を伴う研究や治療を目的とした実験は禁止)		
ドイツ	胚保護法(1990制定,2011改正) ※1 妊娠以外の目的で胚を胎外で発育させることを禁止。 ヒトの生殖系列細胞の遺伝情報の人工的改変の禁止 (胎外にある生殖系列細胞であって、受精が排除されている場合は可)。		
フランス	公衆衛生法 (2004制定) ※1 生殖補助医療以外の目的での胚作成禁止	生命倫理法(1994制定,2004,2011,2013改正)※1 胚研究、胚性幹細胞研究は、生命医療庁 (ABM) の許可が必要。胚の遺伝子中に外部の別の遺伝子を追加するトランスジェニック胚の作成を禁止。	生命倫理法 (1994制定,2004,2011,2013改正) ※1
オーストラリア	ヒト胚研究法(2002制定,2008改正)※1 研究目的でヒト胚を作成禁止	ヒト胚研究法 (2002制定,2008改正) ※1 余剰ART胚の利用	臨床・研究におけるART使用に関する倫理的ガイドライン (2004年制定) ※1
韓国	生命倫理法 (2004制定,2008,2012改正) ※1 妊娠以外目的で胚作成禁止	生命倫理法 (2004制定,2008,2012改正) ※1	
中国	ヒト生殖補助技術管理規範 (国家衛生健康委員会2003) (生殖を目的としたヒト配偶子、受精卵、胚の遺伝子改変は禁止)		

※ 1 諸外国における生命倫理に係る法制度の現状と最新の動向に関する調査 (平成25年3月みずほ総研)

\* 「余剰胚」：日本では、“不妊治療のために作られた体外受精卵であり廃棄されることの決定したヒト胚”  
<ヒト胚性幹細胞を中心としたヒト胚研究に関する基本的な考え方 (平成12年生命倫理委員会)>

# 世界の研究動向 ヒト胚へのゲノム編集技術等を用いた基礎的研究 (1/2)

(参考4)

	研究目的	遺伝子	胚の種類,数	研究概要	公表日,雑誌
中国① 中山大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚へのゲノム編集効率の確認</li> <li>遺伝性難病予防目的</li> </ul>	【HBB】βサラセミア症(溶血性貧血)原因遺伝子。β <sub>g</sub> globin成分。	3PN胚 86個	3前核胚に対しCRISPR/Cas9を用いてβサラセミア原因遺伝子(HBB)を欠損(ランダム変異導入)させた。成功率5%	2015.4 Protein cell
中国② 広州医科大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚へのゲノム編集効率の確認</li> <li>疾患予防(HIV感染予防)</li> </ul>	【CCR5】HIVの感染受容体遺伝子。CCR5受容体5。	3PN胚 213個	3前核胚に対し、CRISPR/Cas9を用いてHIVの感染受容体遺伝子(CCR5)を欠損(ランダム変異導入)させた。	2016.4 J Assist Reprod Genet
中国③ 広州医科大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚(2PN胚)へのゲノム編集効率の確認</li> <li>遺伝性難病予防</li> </ul>	【HBB】、【G6PD】 グルコース6リン酸欠損症(溶血性貧血)原因遺伝子。	新規作成胚 HBB:10個 G6PD:10個	βサラセミア症又はグルコース6リン酸欠損症患者の配偶子を用いて、受精胚を新たに作成し、CRISPR/Cas9のゲノム編集の修復効率を確認。HBBは2個中1個で成功。G6PDは2個中2個で成功。	2017.3 Mol Genet Genomics
中国④ 広州医科大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚への1塩基編集技術(BE3)の確認</li> </ul>	【HEK293 site 4】任意のゲノム配列, 【RNF2】E3RING2	3PN胚 25個	3前核胚に1塩基編集技術(BE3)を用いて編集効率を確認(HEK293 site 4: 7/8, RNF8:7/8, HEK293 site 4 & RNF8:9/9個で改変成功)。	2017.10 Protein cell
中国⑤ 上海交通大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚への1塩基編集技術(BE3等)の確認</li> </ul>	【HBB】、【FANCF】、 【DNMT3B】	3PN胚 49個	3前核胚に1塩基編集技術(BE3等)を用いて編集効率を確認(効率HBB/BE3:8/19, FANCF/saKKH-BE3:17/17, DNMT3B/saKKH-BE3:6/9)。	2017.10 Protein Cell
中国⑥ 中山大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚への1塩基編集技術(BE3)の確認</li> <li>遺伝性難病予防</li> </ul>	【HBB】	人加 <sub>β</sub> 胚 35個	βサラセミア患者の人クローン胚を作成し、1塩基を置き換えるゲノム編集(塩基編集)技術(BE3)を用いて原因遺伝子(HBB)の変異の修復を試み、23%以上の修復を確認した。	2017.11 Protein cell
中国⑦ 上海科技大学	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚への1塩基編集技術(BE3等)の確認</li> <li>遺伝性難病予防</li> </ul>	【FBN1】マルファン症候群原因遺伝子	新規作成胚 46個	マルファン症候群患者由来精子とICを受けて入手した未成熟卵をin vitroで成熟させたものを顕微授精させ、染色体の一方のFBN1遺伝子に変異した胚を作成。1塩基編集技術(BE3等)により原因遺伝子(FBN1)を修復(BE3:16/18, YE1-BE3 7/10, YEE-BE3 5/11, Control4/7個の改変効率)。	2018.8 Mor Ther
中国⑧ 中国科学院 神経科学 研究所	<ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト受精胚へのTild-CRISPR法の確認</li> </ul>	【OCT4】受精胚や胚性幹細胞で特異的に発現している遺伝子, 【GATA6】	3PN胚	ヒト胚への効率、精密な遺伝子編集法Tild-CRISPR(targeted integration with linearized dsDNA-CRISPR)を開発(21/101割球, 10/14胚(従来法は各1/60, 1/9)の改変効率。3PN胚のOCT4/GATA6同時編集は4/137割球)。	2018.5 Dev Cell

# 世界の研究動向 ヒト胚へのゲノム編集技術等を用いた基礎的研究 (2/2)

	研究目的	遺伝子	胚の種類,数	研究概要	公表日,雑誌
中国⑨ オレゴン健康科学大学	・下記米・中・韓の論文の検証	【MYBPC3】肥大型心筋症原因遺伝子。ミオシン結合蛋白 C=筋原線維成分。	3PN胚	3前核胚を用いて、下記論文の検証を行った。CRISPR/Cas9による二本鎖DNA切断は、内在DNAよりも外来ssODNを利用した相同組換えにより効率的に修復され、下記論文と異なる結果に。	2018.4 Mol Reprod Dev
米オレゴン健康科学大、中BGI社、韓基礎科学研究院	・ヒト受精胚へのゲノム編集効率の確認 ・ <u>遺伝性難病予防</u>	【MYBPC3】	新規作成胚 145個	肥大型心筋症患者の精子と正常な卵子から新たに受精胚を作成。受精胚を作成する際、同時にゲノム編集することで、修復効率が向上。コントロールに比べ25% (47%から72%に) 変異が改善	2017.8 Nature
イギリス フランス クリニック 研究所	不妊の理解に資する発生学研究(生殖補助医療研究)	【OCT4】	前核期胚 37個	受精胚や胚性幹細胞で特異的に発現している遺伝子 (OCT4) を欠損させて、受精胚の発生における役割を調べた。OCT4が欠損したヒト受精胚は胚盤胞まで発生しないことが明らかになった。	2017.9 Nature (2016.2 HFEA許可)
スウェーデン カロリンスカ 研究所	不妊の理解に資する発生学研究(生殖補助医療研究)	(不明)	2日齢胚	胚の発生に関する遺伝子を欠損させて、発生への影響を確認する	2016.9米 公共ラジオ局 報道 ・論文未発表
ロシア クラコフ国立 医学研究 センター	・ヒト受精胚へのゲノム編集効率の確認 ・疾患予防(HIV感染予防)	【CCR5】 HIVの感染受容体遺伝子。HIVの受容体 5。	前核期胚 16個	16個の受精胚に対し、CRISPR-Cas9を用いてCCR5のΔ32変異を導入した結果、50%以上の改変効率であった (8個が胚盤胞に達し、うち5個で変異導入に成功したが、2個で約3%、1個で約20%のモザイクが生じていた。)	2018.10