

ゲノム編集 について

山本 卓



ゲノム編集は、さまざまな分野での利用が期待されている最新のバイオテクノロジーです。ゲノム編集が医学分野の研究でどのように使われているのか、さらに今後ゲノム編集を使ったどのような治療が可能となるのかを紹介しましょう。

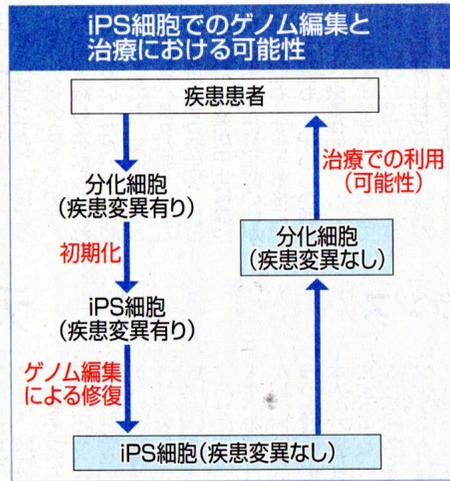


ヒトの遺伝性疾患の多くは、DNA中の遺伝子部分での突然変異が原因で引き起こされます。突然変異によって塩基配列に変化が生じ、正常なタンパク質を作ることができなくなる場合があります。例えば、βグロビン遺伝子中の一つの塩基がA(アデニ

ンからT(チミン)へ変化するこによって、アミノ酸がグルタミン酸からバリンへ変化したβグロビンタンパク質が作られません。この変化によって、ヘモグロビンの酸素を運ぶ動きが低下し、鎌状赤血球症という遺伝性の貧血が引き起こされます。

ヒトの疾患を研究するために

は、疾患の原因変異を持った研究用の培養細胞や動物のモデルを作製することが必要です。患者さんから提供された細胞のほか、最近ではゲノム編集で作製した疾患モデルを使って行う研究も可能となってきました。疾患を引き起こす遺伝子を人工D



医学研究 疾患を再現 治療に利用

NA切断酵素で切断し、疾患細胞に見られる変異を導入するわけです。逆に、患者さんの細胞の変異を修復することにもゲノム編集を利用できるので、人工DNA切断酵素のCRISPR/Cas9を使ってヒトの疾患を再現したり、修復したりする研究が世界中で進行しています。



再生医療で利用が期待されているヒト人工多能性幹細胞(iPS細胞)においても、ゲノム編集が有効であることが示されています。患者さんから採取した細胞からiPS細胞を作製し、ゲノム編集によってこのiPS細胞中で疾患の原因変異を修復することが可能です。さらに、修復された変異を持たないiPS細胞から必要な種類の細胞を作り、これを将来の治療に利用できると考えられています。

加えて、最近注目されているのが、ゲノム編集を利用した遺伝子治療です。人工DNA切断酵素を体内の細胞で働かせることで、疾患の原因となる遺伝子を修復するのです。海外では既に血友病Bの治療を目指したゲノム編集が臨床試験の段階に入っており、今後、さまざまな疾患に対してゲノム編集を利用した臨床研究が進められると予想されています。

(広島大学院理学研究科教授)

月1回掲載します