

# ゲノム編集 なになに？

山本 卓

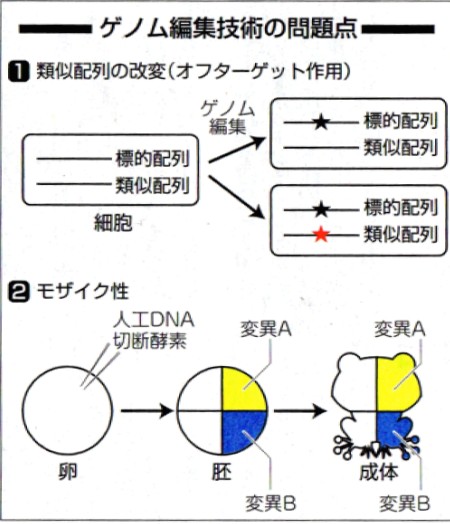


ゲノム編集は、さまざまな分野で利用される技術であることから、この技術の安全性についての評価が必要とされます。特に、ヒトの疾患治療に利用するためには、臨床研究による厳しい安全性評価が求められます。この技術を利用するうえで考えられる問題点や今後の課題について紹介しましょう。

ゲノム編集で利用する人工DNA切断酵素は、ゲノム中の目的の塩基配列（標的配列）だけを切断するように設計されています。しかし、ゲノム中に標的配列と塩基から数塩基が異なる類似配列がある場合、人工DNA切断酵素が、標的配列の切断と同時に類似配列を切断することがあります。この類似配列

を切断する現象は、「オフターゲット作用」と呼ばれ、CRISPR/Cas9はその他の酵素に比べてオフターゲット作用が高いことが知られています。

また、人工DNA切断酵素で導入した場合、さまざまなタイプの改変が生じることが知られています。例えば、卵に切断酵素を注入した場合、発生過程において細胞ごとに異なる変異が導入される可能性があります。この現象はゲノム編集の「モザイク性」として知られています。そのため現在、オフターゲット作用やモザイク性を抑える特異性と活性の高い人工DNA切断酵素の開発が進められています。



## 類似配列 切断する恐れ

### ヒトへの応用に課題

昨年4月、中国・中山大の黄軍就博士の研究グループは、ヒト受精卵においてゲノム編集を行った研究を発表し、世界中の研究者を驚かせました。研究では、ヒトの疾患遺伝子を切断し改変することが可能である一方、オフターゲット作用が見られたことを報告しました。この発表を受けて、ヒト受精卵を利用したゲノム編集研究について考える国際サミット（米国、中国、英国が主催）が昨年12月に米国ワシントンで開催されました。

会議では、ヒトの体細胞や受精卵を用いた基礎研究は積極的に進める必要があるが、改変した受精卵を妊娠に利用すべきではないこと、さらにヒト受精卵を用いた臨床利用（臨床研究と治療）はオフターゲット作用とモザイク性の問題から現時点では無責任であるとの声明が出されました。加えて声明では、ゲノム編集についてより一層の理解を深めるために、継続したフォーラム開催の必要性を求めています。

ゲノム編集は、疾患治療に加えて、ヒトの能力の増強（エンハンスメント）に利用される可能性があります。これらの状況から、日本国内においても、一般市民を交えたゲノム編集の利用に関する議論を早急に開始する必要があると考えられます。

（広島大学院理学研究科教授）  
川 かわり