

## ZOOM シンポジウム 要約

### テーマ：多能性幹細胞(ES 細胞や iPS 細胞)による再生医療と遺伝子治療 ～基礎研究から実用化への道、現状と展望～

日時 : 2021 年 9 月 11 日 (土) 14 時～16 時 30 分

講師 : 中辻憲夫先生 (京都大学名誉教授 元京大再生医科学研究所所長)

小野寺雅史先生 (国立成育医療研究センター遺伝子細胞治療推進センター・センター長)

#### 1. 多能性幹細胞(ES 細胞や iPS 細胞)による再生医療 ～基礎研究から実用化への道、現状と展望

中辻憲夫

##### 1) ヒト ES 細胞の研究と応用の素晴らしい点

- ・社会で広く実施の不妊治療で必然的に生じる多数余剰胚から、一度だけ少数だけ自由意思で提供受ければ十分
- ・ES 細胞株樹立の為の新たな受精卵破壊は無く、廃棄決定後の余剰胚を活用
- ・少数の良質 ES 細胞株樹立で、無限増殖能と凍結保存により、世界中で数十年以上も利用可能

##### 2) しかし、ES/iPS 細胞をめぐる日本社会での誤解と単純化がある

###### 誤解

- ・「ES 細胞を作るには子供になる初期胚を壊す必要がある」 → 実際は、ES 細胞株の樹立には廃棄が決まつたとの凍結受精卵を使う
- ・「ES 細胞だと免疫拒絶反応があるので細胞治療に使えない」 → 臓器移植治療が世界中で実施されているように、拒絶反応をコントロールして治療する事は可能。特に拒絶反応が弱い中枢神経系や眼の治療は、実際に ES 細胞を使った治験が米国などで十年ほど前から多くの患者に実施され、拒絶反応を制御して良好な結果が得られている
- ・「ヒト ES 細胞の使用に世界の人々、特にキリスト教信者の大半が反対」 → 米国民の世論調査(2013 年)で生命倫理的問題を感じる割合は、妊娠中絶 49%、ヒト ES 細胞 22%、iPS 細胞など胚使わない幹細胞 16%、体外授精 12%
- ・「iPS 細胞と ES 細胞は性質が全く同じ／体細胞の初期化は完璧」 → iPS 細胞株のエピゲノムには、不完全な初期化が原因の変動・異常リスクがある
- ・「iPS 細胞には倫理問題が無い」 → 例えば、特定個人のゲノムを持つ iPS 細胞を治療に用いることによる個人情報・プライバシーの問題、もしも生殖細胞に分化させれば特有の倫理問題が生じる
- ・「iPS 細胞が出来たので ES 細胞の研究はもう不要になった」 → ES 細胞と iPS 細胞は相補的な研究対象なので両方を研究すべき
- ・「HLA 型の iPS 細胞バンクが出来れば免疫拒絶反応は無くなる」 → 多数の遺伝子座がある HLA 型の数種類を適合させただけでは、免疫拒絶反応を無くす事は不可能、拒絶反応をある程度弱める事だけが可能単純化
- ・「iPS 細胞が再生医療のためには最適で最善の細胞だ」 → ES 細胞と iPS 細胞は相補的な研究対象なので両方を研究すべき、他の新たな種類の多能性幹細胞や他種類の幹細胞のほうが個別の治療目的に良い事になる可能性がある
- ・「日本が iPS 細胞の研究で世界をリードしている」 → ヒト多能性幹細胞を用いた (2018 年 8 月) 臨床試験/研究数はヒト ES 細胞が 29 件、ヒト iPS 細胞が 3 件。2020 年論文では、ES 細胞用いた臨床試験は米国 13 件、中国 8 件、英国 6 件で、iPS 細胞を用いた臨床試験は中国 8 件、日本 6 件、米国 3 件

- ・「幹細胞による治療が将来的に最も期待できる理想的な医療」→ 治療効果や普及・コスト面で、遺伝子治療や次世代医薬など、幹細胞以外の治療がもっと大きな恩恵を多数患者にもたらす事になる可能性

### 3) 幹細胞の種類と特徴

多能性幹細胞では以下のものがある

- ・ES細胞（胚性幹細胞） 初期胚由来で分化能が高く、無限の増殖能を持つ
- ・EG細胞 胎児生殖細胞由来で分化能が高く、無限の増殖能を持つ
- ・mGS細胞 新生児精巣内生殖細胞由来で分化能が高く、無限あるいは高い増殖能を持つ
- ・iPS細胞 体細胞を初期化して多能性幹細胞に変化させた細胞株で、分化能が高く、無限の増殖能を持つ

組織幹細胞（体性幹細胞）には、造血幹細胞、神経幹細胞、間葉系幹細胞などがある

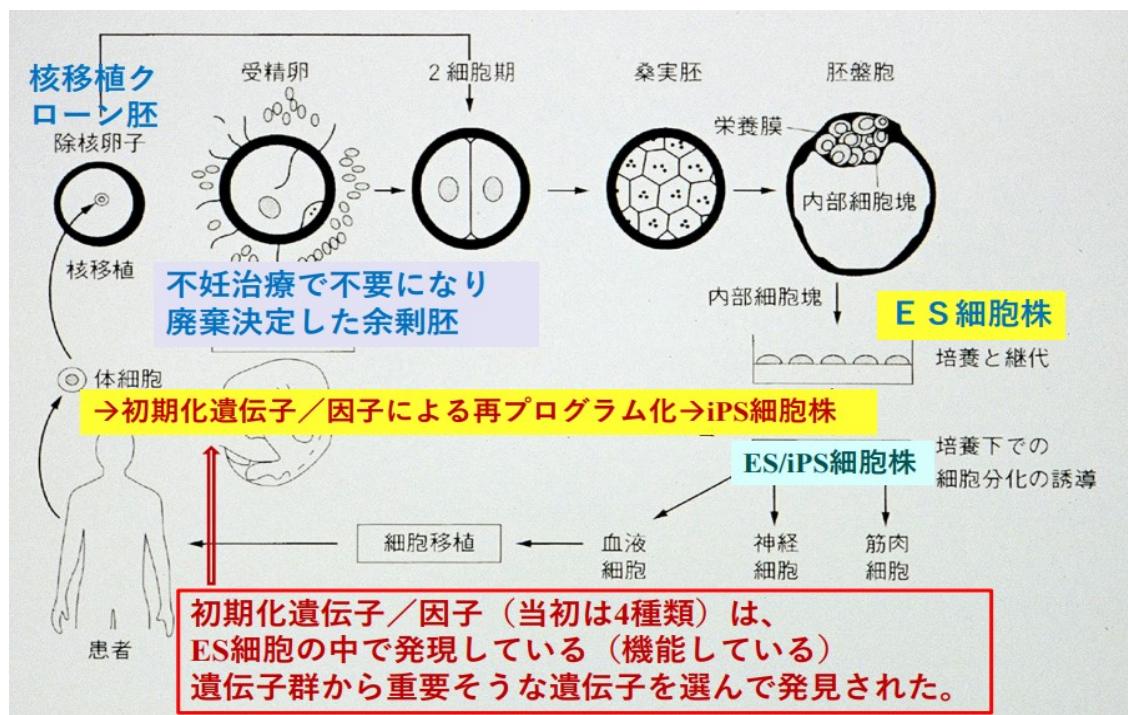
- ・（胎児）組織幹細胞は中絶胎児由来で分化能、増殖能がともに中程度である
- ・（成体）組織幹細胞（成体幹細胞）では成人由来で分化能、増殖能が共に低～中程度

多能性幹細胞に近い特性をもつ成体組織幹細胞？

- ・成人由来で分化能が高く、無限の増殖能を持つと報告された幹細胞はあるが、再現性の確認が困難で信頼される程度は低い

### 4) ES細胞株、iPS細胞株の樹立方法（図参照）

- ・ES細胞株は、不妊治療で不要になり廃棄決定した余剰胚の胎盤胞の内部細胞塊から樹立  
iPS細胞株は、体細胞から初期化遺伝子/因子（当初は4種類）による再プログラム化（初期化）によって樹立

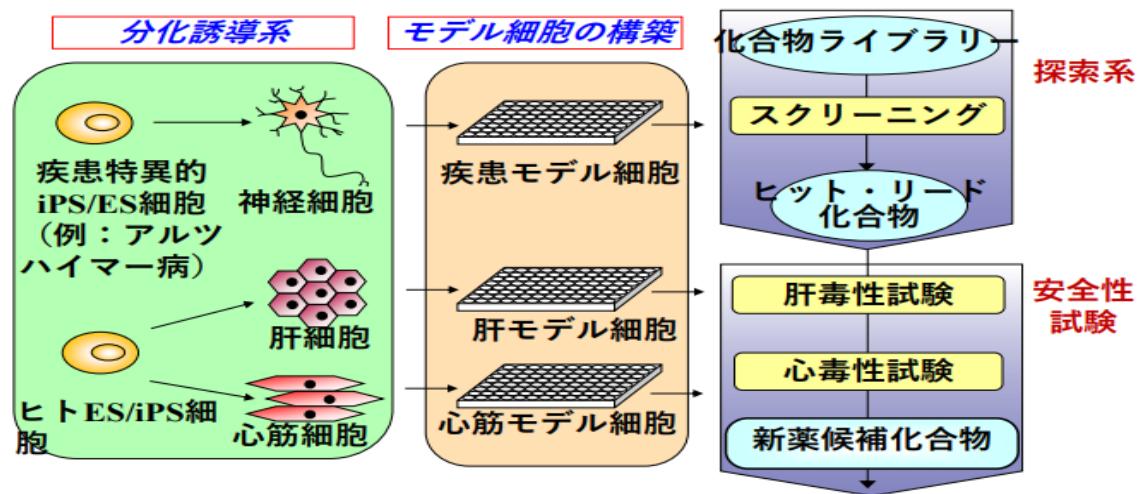


### 5) ヒト多能性幹細胞株の応用と実用化（下図参照）

- ・新薬スクリーニングや安全性試験など、創薬研究開発に必要な各種ヒト組織細胞の均一品質を確保した大量生産と供給
- ・細胞移植治療、組織工学による治療用人工組織などに用いる、各種ヒト組織細胞の高品質大量生産と供給

## 創薬応用を目指したヒトES/iPS細胞由来のモデル細胞作成

- 探索系 (疾患モデル細胞を用いたハイスループットスクリーニング)
- 安全性試験 (心筋モデル細胞などを用いた試験)



6) 多能性幹細胞株から分化させた細胞による治療の実用化には多段階で多面的な数多くの要素技術開発が必要

### ①ES/iPS細胞株の樹立

- ES細胞株: 初期胚細胞からの樹立方法、各々のES細胞株のゲノムなど品質評価と選別
- iPS細胞株: 体細胞からの初期化方法、各々のiPS細胞株のゲノムやエピゲノム等品質評価と選別

\*細胞株樹立以降の、②からの研究開発と特許／ノウハウは、ES細胞とiPS細胞で全て共通・有効、そして性質がばらつく細胞株の間の比較が必須

### ②培養増殖

- 安定品質低コスト合成培地の開発、安定品質低コスト培養基質・器材の開発

### ③幹細胞株の大量培養、品質管理

- 安定高品質の大量培養生産技術の開発
- 細胞株のゲノム・エピゲノム変異の評価と品質管理、リスク管理された生産供給システム開発

### ④分化誘導、細胞選択選別、大量生産

- 高度の安定性と低コストの高率分化誘導方法の開発
- 分化した組織幹細胞、前駆細胞、未成熟細胞、成熟細胞の最適段階の選択、目的細胞種を回収選別するシステムの開発

### ⑤実用段階での利用技術

- 実用最終段階での調製細胞の品質評価と品質管理
- 利用技術: 細胞移植法、創薬アッセイ法、など目的に適した多面的技術システム

\*製造工程の最適化ノウハウを持つ産業界が積極的に参加して活躍するのが重要。信頼性の高い品質管理と細胞製造の安定性・信頼性、細胞製造のスケールアップ、細胞製造工程などのコスト抑制など実用化に向けた重要項目に関しては、大学等での研究と研究者には重視されず経験やノウハウも不足している。

## 7) 多能性幹細胞を使った細胞治療を目指す研究の現状

- ・パーキンソン病 ヒトES/iPS細胞からドーパミン神経へ分化誘導、細胞移植。  
日本・米国・欧州の3グループがiPS細胞又はES細胞を使った治験を開始。
- ・脊髄損傷 ヒトES/iPS細胞から神経幹細胞／前駆細胞、グリア細胞などへ分化誘導して細胞移植。  
米国で治験進展中、数十名以上に移植で良好結果、第2相へ。日本でiPS細胞使い臨床研究開始。
- ・加齢黄斑変性、網膜色素変性など眼科疾患 ヒトES/iPS細胞から網膜色素細胞を分化させて細胞移植。

米国では ES 細胞使って治験を開始し百名規模に移植、良好結果。日本では iPS 細胞使った臨床研究進行中。

- ・心筋梗塞 ヒト ES/iPS 細胞から心筋細胞へ分化誘導して細胞移植。日本で iPS 細胞使う臨床研究開始。
- ・糖尿病 ES 細胞からインスリン分泌細胞への分化誘導。米国が治験を進め良好結果。
- ・肝硬変など ES/iPS 細胞から肝細胞へ分化誘導。日本で ES 細胞使い新生児の肝不全治療の治験開始。

#### 8) 再生医療など先端医療の研究開発に関する私の基本的考え方と判断基準

- ・出来るだけ多くの患者が平等に負担少なく 治療を受ける事を可能にすべき
- ・患者以外の人達の苦痛やリスクや負担を最小にすべき
- ・現実世界で苦悩する生きた人間に プライオリティがある

以上

## 2. 遺伝子治療研究の現状と展望 小野寺雅史

### 1) 細胞と遺伝子、アミノ酸、タンパク質の関係

人間の体には約 37 兆個の細胞があり、各々の細胞は 1 個の核を持ち、核の中には 23 対の染色体（常染色体 22 対、性染色体 1 対 計 23 対 46 本）がある。そして、その染色体は約 31 億個のアデニン (A) 、グアニン (G) 、チミン (T) 、シトシン (C) の 4 種類の塩基からなる DNA により構成されている。遺伝子はこの 4 種類の塩基配列で示される遺伝情報であり、ヒトでは 2~3 万個ある。人間の体はタンパク質から成り立つが、このタンパク質を構成するアミノ酸は 3 個の塩基から示される情報により決定される。例えば、AAA はリジン (Lys) というアミノ酸を表し、AGT はセリン (Ser) というアミノ酸を表す。アミノ酸は 20 種類あり、これらアミノ酸が 1 つの塊になり鎖のようにつながって様々なタンパク質を作る。この塩基配列の間違いにより正しいタンパク質が作られないことで遺伝病は発症する。

遺伝子は4つの文字（塩基） T C A G からできている遺伝暗号

3つの文字（塩基）で一つの意味（アミノ酸）を表す  
例えば、AAAはリジン (Lys)を表し、AGTはセリン (Ser)を表す

3 2	T (U)				C				A				G			
	T	C	A	G	T	C	A	G	T	C	A	G	T	C	A	G
T	Phe	Ser	Tyr	Cys	Leu	Pro	His	Arg	Ile	Thr	Asn	Ser	Val	Ala	Asp	Gly
C	Phe	Ser	Tyr	Cys	Leu	Pro	His	Arg	Ile	Thr	Asn	Ser	Val	Ala	Asp	Gly
(A)	Leu	Ser	End	End	Leu	Pro	Gln	Arg	Ile	Thr	Lys	Arg	Val	Ala	Glu	Gly
G	Leu	Ser	End	Trp	Leu	Pro	Gln	Arg	Met	Thr	Lys	Arg	Val	Ala	Glu	Gly

遺伝子 X ATGTCATACAGTCTCAGTCTCATCTCTCAGTCAGTCTGA

(3つづつ分ける) ATG TCA TAC AGT CTC AGT CTC ATC TCT CAG TCA GTC TGA  
(アミノ酸) Met Ser Tyr Ser Leu Ser Ileu Ser Gln Ser Val Stop

タンパク X Met-Ser-Tyr-Ser-Leu-Ser-Leu-Ileu-Ser-Gln-Ser-Val  
1 2 3 4 5 6 7 8 9 10 11 12 "TGA"、"TAG"は  
遺伝子の終端を表す

遺伝子 X' ATG TCA TAG AGT CTC AGT CTC ATC TCT CAG TCA GTC TGA

タンパク X' Met Ser Stop → 遺伝子内の塩基 1 つが (C→G) に変化するとタンパク質が X' に変化する

## 2) 遺伝子治療

### 遺伝子治療の定義

疾病の治療を目的として遺伝子又は遺伝子を導入した細胞を人の体内に投与すること

→ 患者細胞に正常遺伝子を導入 (図 1)

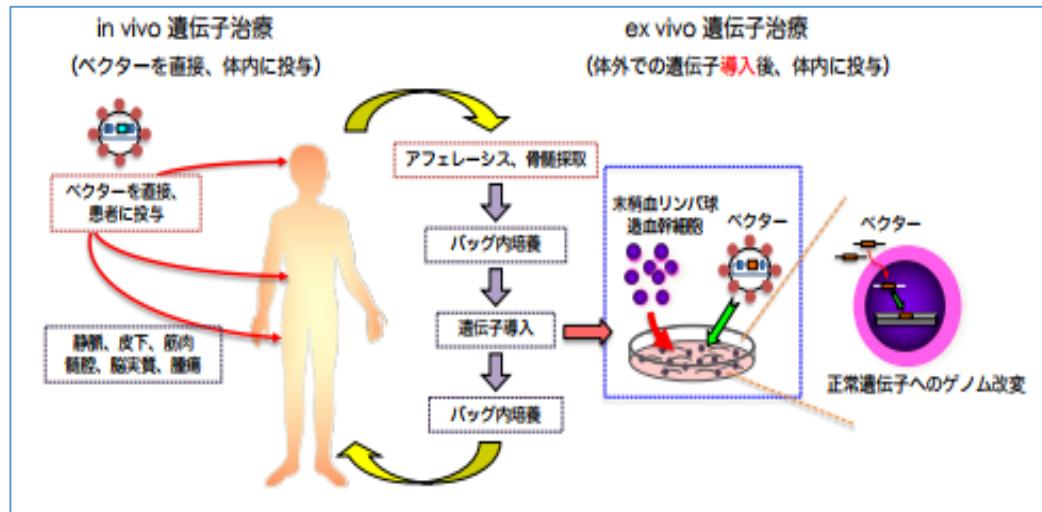


図 1 遺伝子治療  
体内 (左図) と  
体外 (右図)

### 遺伝子導入方法

遺伝子導入方法としてレンチウイルス (LV) ベクターあるいはアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターによって導入

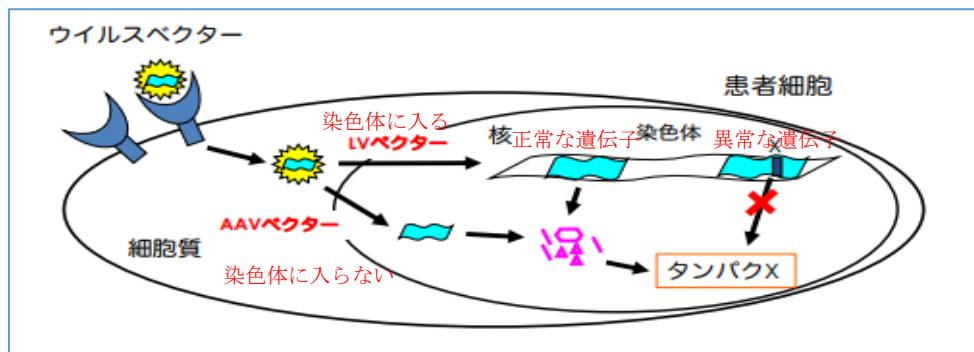


図 2 遺伝子導入  
方法

### 遺伝子治療の種類

遺伝子治療には体細胞遺伝子治療と生殖細胞遺伝子治療があり、前者は生殖細胞以外の細胞を標的とし、実施した遺伝子改変操作が治療を受けた患者のみに限定されることから現行指針で承認されている (図 3 左側)。一方、生殖細胞遺伝子治療は、卵子、精子及び受精卵等の生殖細胞を標的とし、その影響が次世代まで及ぶため現行の指針では禁止されている (例えはデザイナーベビー) (図 3 右側)。

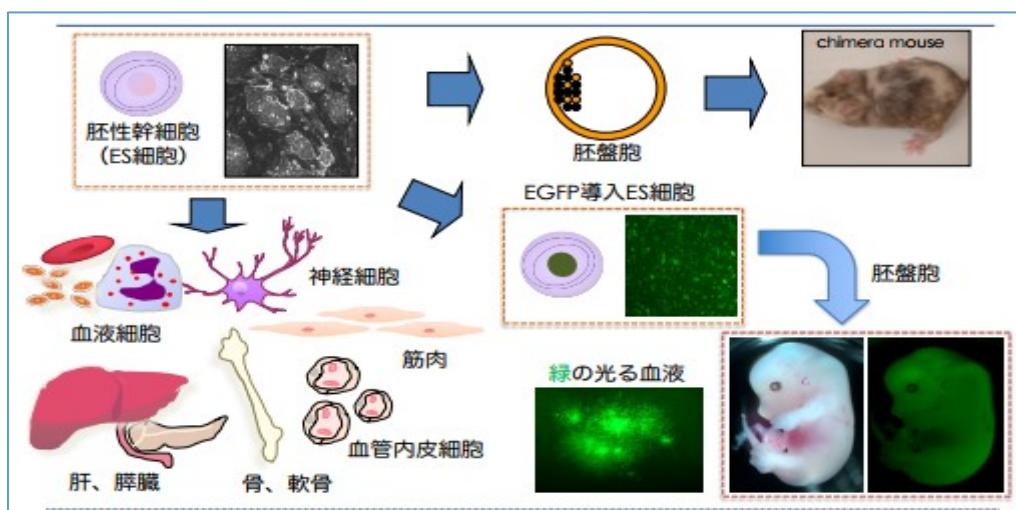


図 3 体細胞遺伝子  
治療 (左側)  
生殖細胞遺伝子治療  
(右側)

### 3) 遺伝子治療の歴史的推移

遺伝子治療の研究は1980年代より始まり、1990年代から本格的に実施された。ただ、この十年間は明確な治療効果が示せず、また、治療に関連する白血病等の発症や死亡例も報告されたことから世界的に中断される傾向にあった。ただ、海外での地道な研究開発により2000年に入り数多くの遺伝子治療で有効性が発揮され、遺伝子治療の恩恵を受ける患者さんが増えてきた。特に子どもの難治性疾患には有効で、この画期的な治療効果から複数の遺伝子治療が医薬品として承認され、今後多くの製薬企業の参入することさらなる発展が期待される分野である。

### 4) 遺伝子治療事例

主な遺伝子治療の事例をいくつか下記に示す。

#### ① 小児難治性疾患に対する酵素補充療法

ポンペ病（ライソゾーム病の一型で細胞の中の老廃物を分解・無毒化するライソゾーム内のグリコーゲン分解酵素が欠損している為、老廃物がたまり、筋力低下、心筋症で1歳未満で心配不全で死亡）

- ・治療 - Alglucosidase alfa : Myozyme 本邦5番目の酵素製剤 (07.4.18承認) 投与

ただし、1生涯投与続ける。コストが高い。早期治療が重要。

#### ② 先天性代謝異常症である異染性白質ジストロフィー (MLD)

- ・Arylsulfatase A欠損症で、細胞内の老廃物が処理できなくなり、神経細胞が破壊される。

治療は造血幹細胞移植や遺伝子治療で、正常に機能する骨髄細胞が脳実質に移動して老廃物を処理する。

#### ③脊髄性筋萎縮症: Spinal Muscular Atrophy (SMA)

- ・脊髄前角細胞の変性による神經原性萎縮症で、進行性の体幹、四肢の筋力低下及び筋萎縮し、ふらつき、最終的には呼吸不全で亡くなる。

- ・第5染色体 (5q13.2) 上の運動神経細胞生存遺伝子 (SMN) 異常

- ・治療としてSMN2mRNA前駆体を標的としたスピノラザを1、2、4、9週、4ヶ月毎に髄液内投与。

最近、正常なSMNを持ったウイルスベクターが神経細胞に感染し、正しいタンパク質を作り1度の治療で済む。日本でも30例近く実施している。

#### ④ 血友病Bに対する遺伝子治療

- ・凝固系第8因子、第9因子の欠損で、治療としては凝固製剤を毎週投与するが、完全な出血予防にはならず、時に頭蓋内、関節内出血する。アデノ随伴ベクターを用いて第8因子や第9因子の遺伝子を入れる治療が行われている。

#### ⑤慢性肉芽腫症

- ・活性酸素低下により細菌・真菌感染を殺菌することが出来ず、乳児期より重篤な感染症を頻回に罹患す、時に腸管等による肉芽腫を形成する。

- ・根治療法は造血幹細胞移植であるが、HLA適合ドナーが不在の場合は造血幹細胞に正常遺伝子を導入する遺伝子治療が行われる。

### 5) 遺伝子治療の今後

#### ・ゲノム編集技術を使った遺伝子治療新薬

これまでのウイルスベクターはがん遺伝子近傍に挿入されやすく、特に造血幹細胞を使用した遺伝子治療においてウイルスベクターががん遺伝子の近くに挿入し、白血病を発症した。これを防ぐ目的でクリスパー・キアス9などのゲノム編集技術を用いた特定の塩基配列を標的に遺伝子改変する研究が進められている。現在、血友病Bやムコ多糖症、鎌型赤血球患者治療として臨床試験が行われている。また、遺伝子を切断しないクリスパー・キアス9（デッドクリスパー・キアス9）が開発され、塩基配列特異的に遺伝子の発現をオン・オフする新しい薬の開発が進められている。例えば、がん遺伝子のみをメチル化し、その発現を抑える抗がん剤が開発され、今後は現在の分子標的薬から塩基標的薬へのパラダイムシフトが起こる可能性がある。

## 6) デザイナーベイビー

受精卵の段階で人工的操作（遺伝子操作等）を行うことで、親が望む外見や体力・知力等を持たせた子どもの総称であり、ゲノム編集技術の開発が進むことで疾患の完全な治癒が期待される。一方、その遺伝子改変の影響は次世代に及び、現時点では反対意見が大半を占める。ただ、それは技術の未熟さ故の反対論が多く、完璧な技術が確立した際には新たな倫理的争点になり得る可能性を秘めている。

### 究極のデザイナーベイビーの生ませ方

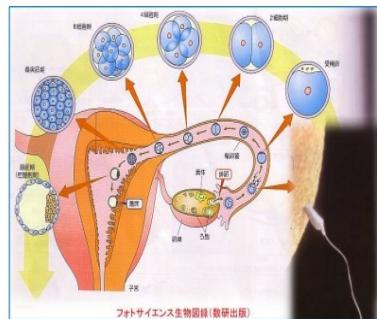
- 受精卵への人工的操作を行うため、体外受精が必要

1) 排卵（卵胞の成熟+hCGによる排卵）した卵子と精子をシャーレ（ペトリ皿）で受精

2) 3~12時間後に受精卵

- 2細胞期
- 4細胞期
- 8細胞期
- 桑実胚期
- 胚盤胞期

3) 選択した受精卵を子宮に戻す（胚移植）



## 質疑

質問1：遺伝子治療は効果があると言われるようになったのはいつごろですか？

小野寺：1990年代から始まった遺伝子治療であるが、最初の10年は治療効果を示すことが出来なかつた。また、アデノウイルスベクターを用いた遺伝子治療において1名の患者が死亡しさらには遺伝子治療に関する白血病が発症した。その結果、「遺伝子治療は危険だ」との流れから遺伝子治療自体の実施が制限された。ただ、実際には遺伝子治療を受けた患者の多くは病気が完全に治癒している。そこでアメリカでは患者、アカデミア、政府が交え議論し、患者側から「遺伝子治療の開発を進めてほしい」という要望があり、安全性を高める研究が進められてきた。例えば、当時はレトロウイルスベクターが使用されてきたが、2000年に入り、より安全なレンチウイルスベクターが開発され、現在のところ白血病は起きていない。また、2000年以降新しい技術が次々開発されて、多くの製薬企業が参加するようになった。特にCAR-T細胞による白血病療法が開発され、患者数が多いことから2010年では完全に企業主体になっている。さらに、現在はゲノム編集が盛んになってきている。コロナワクチンでのmRNAワクチンもそうであるが、アデノウイルスベクターを用いたワクチンも開発されている。遺伝子治療もそうであるが核酸医薬の技術も進んでおり、アメリカ、ヨーロッパではすでに巨大な市場になっている。

質問2：治療法などの新知見は、特許料をとられているのですか？

小野寺：臨床研究を行う上では特許料はかからない（ただし、使用に関しては開発者から許可（MTA）が必要）。ただ、ウイルスベクターやゲノム編集技術の特許はほとんどアメリカにあり、これら技術を用いて商業行為（製品開発）を行うと特許料がかかる。そのため、開発にあたりしっかりとマーケティング戦略を立てないと莫大な特許料が発生する。アカデミアでの一人二人の患者を治療するには特許は不要だが、医薬品（再生医療等製品）として全国の患者を治療する場合には製薬企業が必要となり莫大な使用料が求められる。よって、特許戦略まで含めた実施体制を構築しないとこのバイオ分野はアメリカには勝てない。

質問3：iPS細胞は、本人の細胞を使えるので拒絶反応を避けることができる点が利点であると言われています。その点はどうでしょうか？

**中辻**：理想はそうですが、iPS 細胞株を作っても品質はばらつきます。複数の iPS 細胞株を樹立後に半年程度以上培養して、ゲノムやエピゲノムに異常が起きずに安定しているかなどを詳しく調べて確認した後で、治療に必要な細胞に分化させた後で再度細胞の品質を確認するには、半年以上の長期間と数千万円から 1 億円ほどかかってしまう。細胞生産のコストは、半導体など工業製品とは違って大幅には削減できない。なので今の主流としては、患者本人由来の iPS 細胞を用いて多数患者に広く治療に用いる実用化は無理ではないか。

**質問 4**：患者の遺伝子変異をすべて把握して遺伝子編集を適応しないと悪い効果が出てくる可能性があると思うが、遺伝子編集を行う先の臓器・組織は制御できているのか？生殖細胞に入らないのか？

**小野寺**：in vivo 遺伝子治療では体内に直接ベクターを導入するので生殖細胞への影響は否定できない。そこで例えば肝臓なら肝臓しか発現しないような組織特異的あるいは細胞特異的なプロモータを用い導入遺伝子を発現させる。ゲノム編集技術では目的としない場所でのゲノム改変（オフターゲット効果）が起こる。そのため次世代シーケンサーを用いてその状態をある程度評価する。ただ、完全な安全性評価は難しく、現在の遺伝子治療は患者のリスク・アンド・ベネフィットを考慮して実施しており、治療後の長期的なフォローアップを行い、そこで得られた結果・情報を再び開発研究に活かすフィードバック体制が必要となる。

**質問 5**：iPS 細胞の移植用途での開発においては「拒絶反応を抑制するために人口の何十%に使えるような種類の数の細胞を提供してもらって作った数の iPS 細胞株をストックする」「中山氏は将来的には、免疫抑制剤を不要にするために本人の細胞から iPS 細胞を増やしたい」と言っている。ES 細胞においても「最初に廃棄予定の胚から 1 株得られればよい」という話では済まないではないか。

**中辻**：細胞株は培養下で増殖させると自発的に変異を起こすので、非常に品質管理が重要で、常に良い品質を維持しているかを確認する必要があり、細胞培養のコストも高いので、細胞を使う治療は高いコストになる。従って、多数患者に手が届く、コストを抑制した実用的な治療を実現するためには細胞生産コストをできるだけ安くする必要がある。従って、無限増殖できる多能性幹細胞の利点を活かして、1 株だけで全員に治療することが最適解になる。これをを目指して、米国ワシントン州の大学でユニバーサル・ドナー細胞という具体的概念と技術を最初に作りました（それを後追いするグループもある）。誰に移植しても拒絶反応が起きにくいという細胞株を作る。弱い拒絶反応であれば容易に対応できるので、強い拒絶反応は引き起こさないようにゲノム編集した多能性幹細胞株を作る。それが実現すれば、その 1 株から治療に使うための心筋細胞や神経細胞などを作ってストックしておいて、必要とする患者が現れればみんなに移植する。このやり方が、一番理想的で現実性があると思っています。

**質問 6**：大学の研究者と企業とのかかわりは外国に比べて薄いとも思われますがどうですか？

**中辻**：アメリカで再生医療の実用化分野で成功しつつあるプレーヤーの典型例はバイオ企業です。その技術開発研究には大学のトップ研究者も参加している。製造とか品質管理には産業界の技術者が参加している。経営と財政にはビジネスの専門家が参加している。そして特許出願や規制の専門家も参加している。そのようないろいろなプレーヤーが集まっているところが世界を先導している。ところが日本の場合は、アカデミアの研究者と医師が主体で先導している。研究は得意だが実用化の経験は乏しく不得意で難しい。特許戦略や財務的運営は難しい。日本の場合は企業や産業界とアカデミアが対等の関係で参加する構図を作るのが難しくて少ない。

**質問 7**：臓器移植の代わりに、遺伝子治療としての兄弟間の遺伝子移植という分野が発達しそうですが、倫理上どのような問題が起きると予想されるでしょうか？イギリスのカズオ・イシグロの小説に出てくるものを想像されます。

**小野寺**：一卵性双生児を作るものであり、遺伝子が全く同一なので兄弟間で拒絶反応が無い状態で臓器移植が可能となる。考え方によっては臓器移植するために作られるクローン人間で、倫理上大変問題である。

**中辻**：私が講演の中で強調したように、生きている人間にプライオリティと言ったのは、例えば生殖分野の研究で ES 細胞とか iPS 細胞から精子とか卵子を作るのは不妊の原因を調べることによって不妊治療に貢献するのが目的です。ところが、世間的にはそれで子どもを作るという話へと飛躍してしまう。ゲノム編集することで病気の原因とか治療法を探る研究と、実際にゲノム編集した子供を誕生させるというのは全く違う話です。実際に子供が産まれれば、その子の人権と福祉を最大限考えなければならない。その子供が次の世代を作っていくので一世代の事だけ考えて済む話でもない。従って、新しい技術を適用した子どもを作ることは本当に慎重に考えなくてはならない。それは研究室の話とは全く違う。

**質問 8**：ゲノム技術によって、間接的にですが社会的影響として、疾患・障害のある子どもを生むことを否定したり、遺伝性疾患の当事者が自然妊娠することを否定する傾向を強めてしまう問題がありますが、それについてどう考えいらっしゃいますか？

**小野寺**：個人的には生殖系細胞には極力関わりたくない、小児科医としてその子に向き合うべきと思っている。救世主兄弟とかミトコンドリア治療は単に治った治らないの問題ではなくその子の人権に関わる問題で、とくには疾患を否定する優生主義に陥ってしまう危険性があり、そこは医療の問題というより社会のコンセンサスが重要な分野であろう。なお、生殖医療はかなり国民性が関与し、その考え方は各国で異なるため社会的コンセンサスをどこまで深めるかが重要と思っている。国民が納得する治療を行っていかないとその将来はない。

**質問 9**：研究では日本に連携先がないといわれたという話に驚きました。日本は生殖補助医療（体外受精）は世界で最も盛んに行われ商業化が進んでいる状況だととききましたので、そのギャップをどう思われますか？

**中辻**：米国の知人から日本での連携先が見つからないと言われたのは、生殖医療関係ではなくて、ゲノム編集治療に乗り出している日本企業があるのかという話です。幹細胞や遺伝子治療分野の研究を進めてきた大学の研究者と医師と産業界との緊密な対等の連携が必要ですが、これまで日本ではなかなか実現が難しい。日本の大企業が海外のスタートアップ企業を買収したり連携する事例は多いです。例えば、富士フイルムは米国の CDI（世界で最初にヒト ES 細胞株を樹立して iPS 細胞の研究でも世界をリードするウイスコンシン大学発ベンチャー）という会社を買収した。アステラス製薬は米国で早期に設立された ES 細胞を用いた再生医療のバイオニア企業などを買収した。これまで日本企業の代表的な数社は、トップの研究者とトップの産業界技術者と経営者が設立して発展させた海外のスタートアップ企業を買収することで、再生医療分野に参入する決断をしました。それでは日本はどうしているのか、が問われていると思います。

**質問 10**：デザイナーベビーやエンハンスメントなどの倫理的な議論に関心があるのですが、専門家や資本家だけでどんどん進んで、市民が取り残されてしまうのではないかと不安です。一般市民が真剣に議論するのは難しいと感じます。このようなテーマについて、一般市民が話し合うには、具体的にどのようにしたらできるのか？

**小野寺**：学会等でのアウトリーチの参画や指針発布時でのパブリックコメントなどに積極的に参加する。欧米では患者団体がかなり組織だって構成されており、医療者や国に対しても強い発言力を有している。

以上