

書評

医療応用をめざすゲノム編集——最新動向から技術・倫理的課題まで ▶ 真下知士・金田安史 編

医療応用をめざすゲノム編集——最新動向から技術・倫理的課題まで／真下知士・金田安史 編／化学同人 2018／B5判 274ページ／5,500円＋税別

研究の現場では、簡便で効果的な技術は、あっという間に普及する。私が大学院生だった頃には、RNA干渉が実験ツールとして実用化され、これまで難渋してきた興味ある遺伝子をノックダウンすることが、誰でも制約なくできるようになった。それでも、神経細胞などなかなかsiRNAの導入効率が低い細胞があり、いっそゲノムの切り貼りが自由自在にできればこんなに苦労しなくて済むのにと、独り言をつぶやきながら実験したものである。そして2013年、CRISPR-Cas9システムを用いたゲノム編集が哺乳類にも応用可能であることが発表され、簡便で効果的なゲノムの切り貼りが現実となった。それから5年が経過し、ゲノム編集は基礎研究の必須ツールとして定着したと言っても過言ではあるまい。現在は更なる応用段階に突入しており、無毒化する、収穫量を増やすといった目的での動植物への適用のみならず、医療応用をめざして世界中の研究室が鎬を削っている。

本書は、タイトルにあるように、医療応用をめざしたゲノム編集研究の最先端の研究内容と現状の課題を網羅した良書である。本邦の第一線で活躍しているゲノム編集研究者のほとんどが執筆者として名を連ねており、現在進行形で研究・開発が進んでいる状況が手に取るように分かる。内容は主に5部構成になっており、最初の「ゲノム編集技術の利用」のパートでは、ゲノム編集とは何かを分かりやすく解説している。更に、他の技術や原理と組み合わせることで、効率的な塩基置換、特定領域のエピゲノム編集やイメージングといった従来困難とされてきたことが可能となった応用例が数多く紹介されている。多くの技術は、現在進行形で改良が加えられており、今後の展開が気になること必定である。また、自分の持っている技術とゲノム編集を組み合わせれば、何か新しいことができるのではないかと妄想も膨らむはずである。次の「疾患モデル動

物」のパートでは、様々な動物へのゲノム編集の適用の現状と課題がよくまとめられている。目的外の領域にゲノム編集が生じるオフターゲット効果といった課題があるものの、短期間・低コストで作製可能で、動物種の制約も少ないゲノム編集が、今後のモデル動物作製の基本技術となることは不可避であり、是非ともご一読いただきたいパートである。続く「疾患治療」のパートは、ゲノム編集を用いた疾患研究の現状を、数多くの疾患を例に紹介している。多くはモデル動物やiPS細胞を用いた病態研究やドラッグスクリーニングなどへの応用例であり、医療応用への黎明期にあることがよく伝わってくる。こうした病態研究が盛んな現状とは裏腹に、ゲノム編集は特許の帰属を巡って係争中であり、日本は全体的にこの分野への産業としての参入に及び腰である。「産学連携」のパートでは、このような世界と日本の現状を俯瞰しており参考になる。また、日本初の技術やそれを基盤としたベンチャーの紹介は、とても頼もしく映る。最後に、「倫理と課題」のパートが設定されており、ゲノム編集の医療応用に向けて解決すべき課題が集約されている。期待値が大きく、すぐにでも医療応用できそうな錯覚に陥るが、実際にはそのハードルは低くない。特に、オフターゲット効果の回避など、完全にゼロにはできない問題もあり、当面は、リンパ球などを取りだし、生体外でゲノム編集を行って再度生体に戻すといった治療法が優先的に開発されていくと思われる。法制度の整備の必要性も最後の章で紹介されている。

医療応用をめざして解決すべき課題はあるものの、研究は加速度的に進展しているため、早晚、医療の現場にゲノム編集を基盤とした治療法などが入ってくることが予想される。本書は、その現状と将来展望を余すことなく俯瞰した構成になっている。各章の導入部分はかなり丁寧に解説されており、初心者でも十分理解できるので、基礎研究者だけでなく、医療や製薬に関わる多くの人にお勧めしたい。

(河原行郎 大阪大学大学院医学系研究科神経遺伝子学)