

第八章 ライフサイエンス研究の最近のトピックス

本章では、先端的な分野を中心に中国のライフサイエンス研究の勢いとエネルギーを示すトピックスを取り上げる。なお、「はじめに」でも述べたように、本章は文部科学省の佐藤真輔氏より資料や情報の提供を受けて作成したことを再度確認しておきたい。

1 中国のゲノム編集技術

ゲノム編集技術は現在の最先端ライフサイエンス技術であり、さらに関連する資材が安価で誰にでも簡単に扱えることから、同技術は世界の研究現場に急速に普及してきた。特に中国においては、同技術の利用や関連の技術開発は関連規制の緩さや同国内での競争の激しさもあって急速に進展し、今や論文数では米国と肩を並べるほどになっている。さらに、国の五か年計画の中で「ゲノム編集」が特記されており、中国は国家をあげて同技術を推進している。ここでは、近年の中国でのゲノム編集の実例をいくつか取り上げる。なお、世界に衝撃を与えたゲノム編集による双子のベビーの誕生は、次項で説明するほか、同技術を用いた実験動物や農作物の改変については関連の項で記載する。

(1) ゲノム編集研究の実例 1～ヒト受精卵改変（中山大学の例）

2015年4月、広東省広州市にある中山大学の研究者らが、プロテイン・アンド・セル誌に、ゲノム編集技術によりヒトの受精卵を改変した旨の論文を発表した。同研究は、βサラセミアという血液疾患の原因となる変異のあるβグロビン遺伝子を除去して、正常な遺伝子を導入したというものだった。彼らは研究材料として、生殖補助医療の過程で生じた受精卵を用いていた。それは普通の受精卵と違い、2つの精子による受精によってできたものであり、染色体数が通常の体細胞の1.5倍になっているため、本来胎児にまでは成長できないものだったが、生命倫理面や安全面から大きな反響を呼んだ。

当時、世界の約40の国々でヒトの生殖系（精子・卵・胚）の遺伝子研究を法律で禁止するか又は実質的にできなくしており、特に欧州では15か国が生殖系の改変を法律で禁止していた。しかし中国ではこのような規制が無いことから、この研究が実施されてしまったのである。また、同研究でのゲノム編集技術の未熟さも批判対象となった。同研究によりできた胚は、目的の場所に遺伝子が置換されていなかったり、予期せぬ変異が起きていたりしたことが分かった。

米国では中山大学の研究発表を受けNIHの組換えDNA諮問委員会で、ヒト生殖系の改変を伴う研究の提案については審査を受け付けない意向を示した。また同年5月米国大統領府は、「ヒト受精卵の遺伝子改変については将来世代への影響が不透明であり、行うべきでない」との見解を発表した。ところが2015年12月、米国科学アカデミー（NAS）の主催のもと、各国の関係者を集めて「ヒトのゲノム編集に関する第1回国際サミット」が開

催された。同会合では、「2つの条件（安全性・有効性の実証、プロセスの妥当性に関する幅広い社会的合意）が満たされるまでは、ヒトの精子・卵子・胚等の生殖細胞を対象とするゲノム編集の臨床応用は無責任である」とされ、そのうえで「妊娠に至らない基礎研究や非臨床研究は一定の条件下で進められるべき」とされた。

これにより、ゲノム編集を生殖細胞に用いた研究は全否定ではなく部分的にお墨付きをもらった格好となり、その後いくつかの国で同様の研究が認可されたり計画されたりするようになった。例えば英国のフランシス・クリック研究所の研究者らは、CRISPR/Cas9を用いて受精卵のゲノムの修飾を行うことについて、2016年2月に審査機関であるヒト受精・胚研究認可局（HFEA）から承認を得た。同研究は、胚の発生後数日間の主要遺伝子の役割解明を目指すものだった。また、スウェーデンのカロリンスカ研究所の研究者らは血液疾患の治療研究のためヒト胚の遺伝子編集を目指した。

米国科学アカデミー及び医学アカデミー（NAM）は、2017年2月に「ヒトのゲノム編集：科学・倫理・ガバナンス」という報告書を発表し、ゲノム編集ベビーに関しては、合理的な代替の選択肢がない深刻な疾患や病状を防ぐという目的に限定する等、一定の条件下でのみ許されるべきであるとした。すでに述べたように、米国NIHはヒト胚を用いた次世代に遺伝するゲノム編集研究に対する資金拠出を認めておらず、研究は事実上禁止になっている。したがってこの報告書は、将来的にかかる審査が認められた場合でも、一定の要件を満たさぬ限り臨床研究は行われるべきではないとしたものである。

（2）ゲノム編集研究の実例 2～ヒト受精卵改変（広州医科大学の例）

2016年4月、2例目のヒト受精卵改変による研究成果として、やはり広東省広州市にある広州医科大学の研究者らの論文が、アソシエート・プロダクション・アンド・ゲノミクス誌に掲載された。同論文は免疫細胞で働くCCR5という遺伝子（エイズウイルスが細胞に入るのを助けるタンパク質をコード）に変異を加えたうえで、ゲノム編集技術であるCRISPR/Cas9技術によりヒト胚に導入し、それによりエイズウイルスの細胞への感染・侵入を防ぐというものだった。87人の患者から提供された213個の受精胚（余分な染色体をもち胚から成長できない）を用い、作出後3日目に廃棄した。この結果、調査した26個のヒト胚のうち4個に変異が導入されたことが分かった。この2例目のヒト受精卵改変についても、もともと用いた胚はたとえ育てても出生につながらないもので、構造的に安全対策が取られていた。また結果的には成功率は低かった。

2017年になって、同じく広州医科大学の研究者は、今度は出生可能な卵を用いて研究した成果を発表した。遺伝病を有する欠陥遺伝子をCRISPR/Cas9を用いて修復するものだった。その結果用いた6つの胚のうち、3つの胚で一定の成功を収めた。具体的には1つの胚では全ての細胞の遺伝子が修復され、2つの胚では部分的に修復されていた。ただこれらの胚も、体外で取り扱われるだけで出生につながることはなく、一定のルールは守られていた。

(3) ゲノム編集研究の実例 3～ゲノム編集用の新たな酵素の開発

2016年5月、河北省石家荘市にある河北科技大学の韓春雨 (Han Chunyu) 副教授らは、CRISPR/Cas9 に代わるアルゴノート (NgAgo) という新たな酵素が哺乳類のゲノム編集に用いることができるとして、ネイチャー・バイオテクノロジー誌に発表した。同誌によると、非常に正確に目的の遺伝子を編集でき、CRISPR/Cas9 のように読み違えるケースはほとんどなく、認識できる範囲も広く用途が広がるとされ、脚光を浴びた。

だが同技術について、他の研究室で十分な再現性が得られず、当該論文が捏造ではないかと物議を醸した。この状況に対応するため、韓博士らは8月にネット上にその詳細なプロトコルを掲載した。しかし、同年11月、プロテイン・アンド・セル誌とセル・リサーチ誌に、韓博士らの論文を否定する旨の論文が掲載された。前者はうまくいかなかった再現実験をリスト化したものであり、後者はゼブラフィッシュでの実験結果を踏まえ NgAgo 技術は遺伝子の発現を抑えることはできるが編集はできないとするものだった。さらに、最初に韓博士らの論文を掲載したネイチャー・バイオテクノロジー誌も不成功に終わった再現実験に関するレポートを掲載し、韓博士らに不明な点を明らかにするよう求めた。

2017年8月、韓博士らはネイチャー・バイオテクノロジー誌に声明を投稿し、自分自身も含め研究コミュニティによる再現実験できない状態が続いたことを理由に、研究成果の撤回を宣言した。河北科技大学では、韓博士らの業績により2億24百萬元を拠出して遺伝子編集センターを設立する予定だったが、同計画は暗礁に乗り上げた。また、産業用酵素製品を扱う世界的な企業であるノボザイム社は、河北科技大学に特許使用料を支払って同技術による酵素製造を行う意向だったが、同様に頓挫している。

これまでゲノム編集技術の主要な発明は米国の機関によってなされてきており、とりわけ最も有用な CRISPR/Cas9 の特許は米国ブロード研究所のグループ (第四章で紹介した張鋒博士が率いている) とカリフォルニア大学バークレー校のグループが激しい主導権争いを演じてきた。本技術は生命科学研究には不可欠な技術となり、個々の研究者がキットを用いて容易に利用できることから、市場が拡大している。NgAgo はその寡占状態に風穴を開け、シェアを大きく変えうる存在になる可能性があったものであり、こうした新技術開発への試みを中国の研究者が行ったことは注目に値する。

中国の研究は一般的に米国等の研究の追従であり、実験系や使用動物・組織・細胞等を変えて研究するものが大部分だった。それゆえこうした試みがなされることは、同国の科学技術の進展を示すものといえる。一方で、各種状況を踏まえると韓博士らは意図的に不正を行おうとしたわけではなかったと考えられるが、競争の激しさから功を焦るあまり慎重に実験を繰り返すことなしに投稿したことも否めない。

(4) ゲノム編集研究の実例 4～遺伝子治療の臨床試験

中国では、ゲノム編集技術を用いた遺伝子治療の臨床試験も始まっている。四川省成都市にある四川大学の研究者らは、転移性の非小細胞肺がんの患者に対し CRISPR/Cas9 を用いて遺伝子治療の臨床試験を行うことについて、2016年7月に大学内審査委員会の認可を得、同年10月から同大学附属華西医院で臨床試験を開始した。これは CRISPR/Cas9 技術による遺伝子治療としては世界でも初の試みになった。

この試験は、同がん患者のうち化学療法や放射線療法の効果がなかった者に対し、患者自身の免疫細胞を取り出して CRISPR/Cas9 技術によりゲノム改変を行い、それを再び患者に投与するものだった。標的とする遺伝子は PD-1 という細胞の免疫反応を抑制するタンパク質をコードするものであり、同タンパク質が機能するとがん細胞が増殖する一因になる。このため CRISPR/Cas9 技術により当該遺伝子をノックアウトすることで、免疫細胞ががん細胞を攻撃するようになることを狙ったものである。

また 2019年9月には、第七章で紹介した北京大学の鄧宏魁博士のグループにより、CRISPR/Cas9 を用いて造血幹細胞を HIV 耐性にして、HIV 感染患者に戻す臨床試験の結果が米国の科学誌に発表された。移植にはゲノム編集できた細胞とできなかった細胞との混合物が用いられたため、結果的に患者の HIV 感染状態が維持され効果は限定的だったが、ゲノム編集技術で懸念されている意図しない遺伝子の改変や遺伝子改変による副作用はなかったとされた。

これら遺伝子治療については、あくまでゲノム編集技術を用いて体細胞の遺伝子を変えるものであり、子孫には新たに獲得した性質は遺伝せず、次節で述べる生殖細胞にゲノム編集を用いる研究とは一線を画すものである。

2 ゲノム編集によるベビーの誕生

2018年末に発信されたゲノム編集による受精卵からの双子のベビー誕生のニュースは、中国だけではなく世界に大きなショックを与えた。本件は現在もまだ続いている事例であり、経緯を含めて少し詳しく述べたい。

(1) ゲノム編集ベビー誕生の公表

2018年11月25日、広東省深圳市にある南方科技大学の賀建奎 (He Jiankui) 副教授がゲノム編集をした受精卵からベビーを誕生させる臨床研究を実施したという記事が、MIT テクノロジー誌に掲載された。そして翌11月26日には賀博士への独占インタビューをもとに、すでに数週間前に双子が誕生しルルとナナと命名した旨のスクープ記事を、AP 通信が報じた。また、賀博士が語る動画もインターネット上で公開された。

同研究は、エイズウイルス（HIV）への感染防止を目的とした遺伝子改変だった。方法は先述の広州医科大学と同様に、CCR5 と呼ばれる遺伝子に変異をもたらすことで正常細胞を HIV 感染から保護しようとするものだった。

同博士は 2016 年 6 月、生殖を目的としてヒト胚の遺伝子を編集するプロジェクトを立ち上げ、2017 年 3 月からエイズ患者の支援団体を介して夫だけが HIV に感染した夫婦を募集した。そうして集められた不妊治療中の 7 組のカップルについて、受精卵 31 個にゲノム編集を施し、7 割で改変に成功、そのうち 1 組から双子が誕生したとのことだった。生まれた双子のうち、1 人は相同染色体上にある CCR5 遺伝子の両方のコピーが取り除かれており HIV に耐性だが、もう 1 人は CCR5 のコピーの一つが除去されておらず、その子には依然として HIV 感染の可能性は残っているとのことであった。

(2) 賀博士の考え

賀博士は、米国テキサス州のライス大学で細胞防御機構としての CRISPR/Cas9 の進化についての論文を発表し、博士号を取得した。その後中国政府の千人計画に選抜され、南方科技大学の副教授に就いた。

AP 通信によると賀博士は「これが世界初となるだけでなく前例となることに強い責任を感じている」と語っており、一方新華社通信によると賀氏は世界初という「個人的な名声」を得ることを望んでいたとしている。

賀博士自身はゲノム編集を容認できる場合とそうでない場合に一定の線引きをし、「胚でのゲノム編集の利用については病気に関連する場合にのみ容認するが、知能を高めたり髪の毛や目の色などの形質を選択したりするための遺伝的調整は禁止すべき」と述べており、エンハンスメント（機能増強）でなく病気の治療なら良いという考え方である。ただし、父親が HIV 陽性でベビーへの感染を回避する他の方法として体外受精があり、それにより子への感染リスクはほぼゼロにできる。このため、両親からの感染防止のためにわざわざゲノム編集まで行う必要はない。

(3) 発表後の反応

AP 通信が賀博士への独占インタビューを実施した直後、香港で「ヒトのゲノム編集に関する第 2 回国際サミット」が開催された。賀博士は 2 日目に登壇、スライドでデータを示しつつ研究成果を発表し、さらに 2 人目の女性がゲノム編集されたベビーを妊娠していることも表明した。ネイチャー誌の記事（2019/2/28）では、2 人目の女性から双子に続き 3 人目のベビーが 2019 年 8 月に生まれる予定と記載されている。

同サミットの最後に、8 か国からの代表からなる同サミット組織委員会は「賀博士の実験は無責任であり国際規範に違反し倫理基準を満たさなかった。また十分な医学的正当性を持たず透明性を欠いた」とする見解を出した。なお同見解では生殖細胞系列のゲノム編集が極めて危険な旨表明したものの、厳重なモラトリアムを要請せず、かかる臨床試験の実

現に向けた厳格な責任ある行動を要求しただけだったため、一部参加者の失望を誘ったとされる。

(4) 中国国内の研究コミュニティの反応

中国国内では、公表直後に 100 人以上の生物医学研究者らが賀博士の主張を強く非難する旨の声明をオンラインで発表し、中国当局に対しこの事件を調査し厳格な規制を導入するよう求めた。さらに「生物医学研究の分野において、国際的な評判と中国の科学の発展にとって大きな打撃」であり、「倫理的限界を遵守しながら研究と革新を追求している中国の大多数の勤勉で良心的な研究者にとって極めて不公平」との見解も表明している。中国科学院も賀博士の研究を非難する声明を発表し、また中国遺伝学会と中国幹細胞研究学会は共同で、この実験は「ヒトの実験と人権法を規制する国際的に認められた倫理原則に違反する」との声明を出し、中国細胞生物学会は同研究を「中国政府の法規制や科学界のコンセンサスに対する重大な違反」と批判した。

(5) 中国政府の対応

事態を深刻に見た国務院の国家衛生健康委員会は、南方科技大学がある広東省の衛生委員会に調査を指示するとともに、賀博士に研究の中止を直接求めた。また中国の研究者は、一定の条件を満たす臨床試験について政府の中国臨床試験登録センターへの申請が必要とされ、申請のあったものについて同センターが科学性・安全性を審査しているが、同センターは賀氏が臨床試験のデータを提出しておらず規則違反であることを明らかにした。

2019 年 1 月、国家衛生健康委員会の指示で調査を行っていた広東省衛生委員会は、新華社通信のインタビューに答える形で予備調査結果を明らかにし、賀博士は「意図的に監督を回避し、資金を調達し、関連する規制により明示的に禁止されている生殖を意図したヒト胚遺伝子編集を実行するために研究チームを自ら組織した」と結論付けた。それを受け、国家衛生健康委員会は「本件は国内の法律・規制及び倫理的ガイドラインに対する重大な違反である」旨の意見を表明した。

(6) 南方科技大学の対応

賀博士の所属する南方科技大学は、「事前に報告を受けておらず衝撃を受けた」として、「研究倫理及び研究規制に対する重大な違反の可能性がある」ことから、独立した調査委員会を設置することを発表した。また、賀博士が同臨床研究について承認を得て登録・実施したと述べた病院は、そのような承認はしていない旨発表した。

賀博士は約半年前の 2018 年 2 月から、副教授の職にある南方科技大を無給休職していたが、ゲノム編集ベビー誕生公表後の 2018 年 11 月以来、移動を制限され大学のキャンパス内の彼のアパートの外には警備員が張り付いている状態になった。そして 2019 年 1 月、

先述の広東省衛生委員会による予備調査結果の公表から数時間経った後、同大学は賀博士との副教授としての契約を取り消し、研究・教育活動を終わらせたと発表した。

(7) 本件は防げなかったのか

本件の賀博士の改変胚の移植に関しては、報道があるまで公的な場で明らかになっていなかった。また南方科技大学は、同研究が行われた場所は同大学の研究室ではないとしているが、家族のプライバシーを保護するために関与する病院は公表していない。

賀博士の研究をあらかじめ知っていたものが何人かいた。特に、賀博士の元アドバイザーで賀博士の実験を説明した未公表の論文の上席著者だと言われている米国ライス大学の生物物理学者マイケル・ディーム博士は、なぜ同博士の暴走を防げなかったのかについて批判を受けている。ディーム博士の弁護団は、同博士が賀博士の論文に時々コメントしていたことは認めているが、ディーム博士自身はヒト胚に関連した研究はしておらず本件には関わっていないと主張している。

また賀博士は、スタンフォード大学の3人の研究者やマサチューセッツ大学医学部のノーベル賞受賞者であるクレイグ・メロー博士に自身の研究を話したとしている。彼らのほとんどは賀博士が研究を慎重に進めることを忠告したと主張しているが、米国イェール大学のコフラー博士は彼らをもっと積極的に行動すべきだったとしている。カナダのマギル大学キンマーマン博士も、「沈黙していることは共犯と同じであり大きな失敗があつて初めて認識される」と述べている。

なお、ウィスコンシン大学で生命倫理を専攻するチャオ博士によると、「もし同研究が米国で行われていたならば、通常の良い識ある科学者なら政府の関連部局に連絡しただろうが、外国で行われているとその国の規制に精通していない可能性があり、特に中国にはさまざまな価値観や不透明な規制があるため積極的な行動は難しかったかもしれない」と述べている。

(8) その後の国際・研究動向

WHO は 2019 年にジュネーブで、本件を議論するため専門家からなる委員会を開催した。その結果、全世界的規模でヒトゲノム編集に関する全ての研究を至急登録してデータベースを作成することを提唱し、研究資金拠出者や科学論文の出版社も研究者にそれを促すよう推奨した。一方、ヒト生殖細胞系のゲノム編集の臨床利用については無責任であるとした。同委員会は、各国の研究者が利用できるようなゲノム編集技術のヒトへの応用に関する国際基準を1年半以内に作成し、WHO 事務局長に報告するとしている。

その後ネイチャー・メディシン誌 (2019/6/3) に発表された論文で、ゲノム編集ベビーは CCR5 遺伝子改変を行ったことにより寿命が短くなる可能性が指摘された。同研究は英国のバイオ研究プロジェクトに参加している 41 万人の遺伝・健康データの分析によるもので、CCR5 遺伝子が 2 つとも変異を起こし機能を失った人は 1 つだけ変異を起こした人に

比べ 76 歳以下で死亡する確率が 21%増加することであった。だがその後、同研究に利用した英国のデータの取扱いに誤りがあることが分かり、同論文は撤回された。

なお、ネイチャー誌（2019/6/13）は、ロシアのピロゴフ名称国立研究医科大学のレブリコフ博士が、賀博士が用いたのと同じ遺伝子を編集して HIV 耐性のベビーを作成する計画を有していることを報じている。専門家は、レブリコフ博士の主張の信頼性やリスクに対する理解について疑問を投げかけている。とは言えこのことで、先の賀氏のような行為が決して例外的で特殊なものではなく、倫理的に忌避になっている行為でも、いつたん行われると他の研究者もそれに追従する場合があることが示され、WHO の検討の加速の必要性が一層高まったものと思われる。

（9）遺伝子編集ベビーの今後

2019 年 12 月 30 日、広東省深圳市の裁判所が賀氏に対して営利目的による違法医療行為罪で懲役 3 年の実刑、罰金 300 万人民币元の判決を下した。判決文によると、賀氏は医療機関に勤める 2 人と共謀し、全員医師資格がないにもかかわらず安全性や有効性が確認されていない受精卵のゲノム編集を行い、その結果 2 人が妊娠しゲノム編集ベビー 3 人が生まれたとしている。

気になる遺伝子編集ベビーの今後であるが、賀博士のチームはこれらベビーの健康を長期追跡していく計画があるとのことだが、賀博士は誰にそれを実施してもらうか等詳細について言及していない。一方、中国政府は遺伝子編集ベビーが医学的な観察下にあるとしているが、健康状態について言及していない。

賀博士の実験は、基本的に第三者による裏付けがされておらず、また、他の専門家が査読する学術ジャーナルでの論文発表もしていない。本件に関し、ネイチャー誌は 2019 年最初の号で、双子でゲノム編集が本当になされたか否かの確認から始まるとしている。さらに、別のネイチャー（2019/2/28）の記事でも、「実際に遺伝子を修正することに成功したという明白な証拠はまだない」としている。

2019 年 12 月になって、賀博士の研究論文の一部が米国の MIT テクノロジーレビュー誌に掲載された。この研究論文を精査したカリフォルニア大学バークレー校のウルノフ博士は、実施されたゲノム編集が CCR5 に変異を作り出し HIV に耐性を持たせるという本来の目的を達成しておらず、逆に意図したものではない遺伝子変異をもたらした可能性がある旨指摘している。いずれにせよ、ゲノム編集が本当になされたか否かの第三者による確認が重要であろう。

3 世界に誇るシーケンス技術を有する BGI

中国のゲノム科学を語るうえで欠かすことのできない機関として、広東省深圳市を拠点とする BGI（華大基因）がある。BGI は、世界最多の次世代シーケンサーを有し、若い研究者・技術者たちにより迅速かつ着実なシーケンス及び解析を行い、中国国内や世界各国のシーケンスの受託を行い、世界のシーケンスエ場の名をほしいままにしてきた。また他の研究機関との協力を基に、タンパク質やエピゲノム解析等の研究にも幅を広げてきており、現在の中国のライフサイエンス研究を象徴する民間の研究組織である。

(1) BGI の沿革 1～世界レベルのゲノム研究機関へ

BGI は、北京ゲノミクス研究所（Beijing Genomics Institute）の略称であり、1999 年 9 月に北京に設置された。BGI が設立された当時、世界の生命科学は大きな変革のさなかであった。1990 年から、生命科学分野では初めてとよい大型国際協力プロジェクトである「ヒトゲノム計画」が、米国の主導により日本や欧州の国々の参加を得て開始されていた。BGI はシーケンス技術の意義や重要性を敏感に感じ取り、当時終盤にさしかかっていたヒトゲノム計画への途中参加を中国政府に働きかけて資金拠出を約束させ、同計画で中国へ割り当てられた 1%分のゲノム解読を BGI が全て行ったことにより、BGI は中国国内のみならず国際的な信用を得た。

ヒトゲノムの解読争いが行われていた頃、世界の科学者の間で多数のヒトゲノムを元に疾病になりやすさ等の体質に関わる遺伝子をゲノム上で特定しようという「HapMap 計画」が構想され、2002 年 10 月にスタートした。中国は、この HapMap 計画に米国、英国、カナダ、ナイジェリア、日本とともに当初から参画し、BGI の楊煥明（Yang Huanming）理事長が中国側の責任者となり、中国の担当分である全体の 10%のうち相当部分の解析を行った。

BGI は、こうしたアカデミックなゲノム解読だけではなく、社会の危急時に自らの武器を用いて迅速な貢献を行うことにより、その存在を大きくアピールした。2003 年 2 月には、第一章でも触れたように広東省で世界を脅威に陥れた SARS が発生した。これに対し BGI は、発生直後の同年 4 月に当該ウィルスのゲノム解読を行うとともに、そのタンパク質解析を行った。さらにウィルス検査キットの開発を行い、検査キット 30 万本を中国政府に寄贈した。2004 年にスマトラ島沖地震が発生し大津波により 20 万人以上が死亡した際も、BGI はチームをタイに派遣し、DNA 解析を用いることにより身元確認に多大な貢献を行った。

このような学問的な貢献と社会的な貢献が中国国内で評価され、2003 年末には民間の機関から政府直轄機関として中国科学院の研究機関に格上げされた。しかし中国科学院傘下の研究機関は、シニアの科学者が率いるいくつかの小チームが独立して研究を行うという進め方だったのに対し、BGI は多数のプログラマーやバイオインフォマティシャンを用い

て大量のシーケンスを組織的に行うという進め方だったため、業務の実施で意見対立が発生した。その結果中国政府から冷遇され、2006年3月に策定された「国家科学技術第11次五か年計画（2006年～2010年）」では、BGIが要望したプログラムが全く採用されず、結果として中国政府からの拠出はほとんど無くなってしまった。

そのようなBGIの窮地を救ったのが深圳市だった。同市は、BGIに対し4年間で2千万円（約3.2億円）の資金を拠出し、2007年4月には靴工場の跡地を提供してBGIの本部を北京から深圳に移転させた。それ以降、BGIは北京ゲノミクス研究所というかつての正式名で呼ばれることはなくなり、略称であったBGI自体が正式名称になっており、中国語で「華大基因」と呼ぶ。この新たな地において、BGIは再び精力的な活動を始めた。2008年5月には四川省で大地震が発生した。先のスマトラ島沖地震の経験を踏まえ、BGIは犠牲者の身元確認を進めるため現地にスタッフを派遣した。2008年11月には、ヒトゲノム解読をアジアで初めて行った。ある漢民族の中国人について、2倍体ゲノム（すなわち父親由来と母親由来のゲノム）の解読を行ったのである。BGI等による中国人のゲノム解読の結果はネイチャー誌に掲載された。2010年1月には、パンダゲノムの解読がやはりネイチャー誌に発表された。

(2) BGIの沿革2～世界のゲノム解析工場へ

2010年、中国国家開発銀行はBGIに対し百億元の信用供与枠を供与した。BGIはその資金を用いて、販売が開始されたばかりの最新の機能を有する米国イルミナ社のシーケンサー「HiSeq2000」を128台も大量購入し、BGI一社だけで米国全体のシーケンス能力を凌駕する規模となった。これはBGIの存在を全世界に知らせた出来事であり、大量のシーケンサーを用いてシーケンスを行うことにより、世界のシーケンス工場としての地位を確立した。

BGIは、2011年7月から11月にかけて、デンマークのコペンハーゲン、米国のサクラメント及びフィラデルフィアにシーケンスセンターを開設した。日本にも2011年12月、神戸市の神戸医療産業都市内に、海外では4か所目の拠点として日本支部を開設した。現在、国立大学法大を含め全国で60以上の研究機関が、同支部を通じてBGIの顧客になっている。その後BGIは、南ヨーロッパやオーストラリア等にも支部を開設し、BGIは2014年には世界のゲノムデータの少なくとも4分の1を生み出すまでになった。

(3) BGIの沿革3～シーケンサーの開発など新たなビジネスへ

高速シーケンサーの大量導入とアカデミックな研究における貢献、さらには社会的な貢献を果たしてきたBGIであるが、近年いくつかの点で転換点にある。

イルミナ社は2014年に、BGIが2010年に大量導入したシーケンサーHiSeq2000を性能的に遥かにしのぐシーケンサーHiseqXの販売を発表した。このHiseqXの販売を機に中国国内では、ノボジーン社（北京）、ウーシー・ファーマテック社（上海）等の同機器を買

い揃えた企業が次々に設立され、BGI に対抗して安価な値段でシーケンスを請け負い始めた。しかし、すでに一世代前のシーケンサーHiSeq2000 を大量に整備していた BGI には新たな機種 HiseqX を購入する余力がなく、型落ちした機器による作業を続けていくしかなかった。

このような新規企業の台頭に対抗すべく BGI が進めたのが、新しいシーケンサーの独自開発である。BGI は、創設以来シーケンス請負業務に特化し独自のシーケンサー開発は行おうとしていなかったが、2013 年に米国のコンプリート・ゲノミクス社を買収し、2015 年後半には BGISEQ-500 というシーケンサーを発表した。この BGISEQ-500 が 2016 年に中国政府から医療器具として承認され、臨床遺伝子検査での使用が許可された。BGI は、こうしたシーケンサー開発を専門に行う部門を MGI 社として独立させている。

また、一般の人々や患者を対象とした遺伝子検査業務への進出も果たした。なかでも新型出生前診断（母体血胎児染色体検査：NIPT）に力を入れ、2015 年には広東省深圳市、湖北省武漢市、天津市の各検査センターで NIPT やがん関連の遺伝子検査をできるようにした。これにより BGI は、2018 年 5 月末までに全世界で 313 万人に出生前診断を実施したとされる。BGI は、遺伝子検査やシーケンスの受託業務を行う部門を BGI ジェノミクス社として独立させた。

BGI の新たな仕事として注目されるものに、広東省深圳市に設置された国家遺伝子バンク（第六章参照）の運営受託がある。この国家遺伝子バンクは 2016 年に完成し、中国におけるデジタル健康管理、臨床検査、疾病予防、高効率農業、種の多様性保護などを支えている。国家遺伝子バンクはゲノム解読拠点としても機能しており、施設内部には BGI が独自開発した BGISEQ-500 などが 100 台以上並んでいる。



BGISEQ-500 が並ぶ国家遺伝子バンクの内部

(4) BGI の進展の背景

BGI が発展してきた背景として、BGI の効率的な運営体制と適時・適切な方針決定が挙げられる。とりわけシーケンサーの重要性を早くから見抜き、シーケンスとバイオインフォマティクスに焦点を絞って活動を行ってきたことが重要である。

BGI の初期の運営で特徴的なことは、ゲノム研究そのものにはそれほど重きを置かずシーケンス作業を定型的な作業をサービスとして請け負うというもので、関係者の中には BGI は工場であって研究所ではなく創造性がないという非難がなされた。しかしイルミナ社に大量発注した時点を考えてと新たな機器開発では米国がはるか先を進んでおり、BGI は開発された機器を見極めて多く購入しそれを用いて多くのゲノム解読を行うことに意義があると考えたのであり、効率を考えると領けるものだった。

現在においても BGI の特徴は、多くの人員を雇用して大量かつ組織的に解読を行うということにある。現有スタッフは、世界全体で約 7,000 人、中国本土に約 5,000 人である。また、BGI のスタッフの年齢は非常に若い。2012 年時点で、平均年齢は 25 歳から 26 歳であった。BGI はグループ内部に、バイオ分野の人材を育てる教育機関「華大基因学院」を設置し、学位を持たない者でも短期間にゲノム解析やバイオインフォマティクスを習熟できるように体制を整えている。例えばバイオインフォマティシヤンの場合、最初の 3 か月でみっちりトレーニングを行い、基本的ノウハウをほぼ完璧にマスターできる。

なお業務のやり方は、現在の中国の特殊な事情を反映したものとなっている。中国本土の深圳本部その他の支部では中国国内からのシーケンス受託を行っているのに対し、深圳市と隣接する香港にある支部では海外からの受託を一手に引き受けている。

香港支部では、まず世界各国からの依頼による試料を郵送により引き取る。ゲノムの状態を検査した後、DNA をばらばらに切断して分注し、シーケンスが可能となるよう酵素増殖を行う。次にシーケンサーが並ぶ部屋に試料を移し、シーケンシングの主要工程をオートメーションで行う。その後インフォマティシヤンにより解析を行い、サーバーに保存する。そして、同支部からそのシーケンス結果を各国の発注者に返送する。

海外からの発注を香港支部に集中させるのは、試料を中国本土の深圳に持ち込むと各種手続きが必要となり作業が遅くなることもあるが、発注者が共産圏である中国本土でシーケンスや解析を行わせることに懸念をもつ場合もあるからである。つまり、香港が一国二制度により西側諸国と同様と考えられる状況を前提に制度設計されているが、2019 年からの香港騒乱により BGI は海外からの顧客への対応を変更させる必要が出てくる可能性もある。

(5) BGI の将来

BGI によるシーケンス受託事業については、現在のところイルミナ社の最新鋭機 HiSeqX を導入した他社と比較して、シーケンスの価格は遜色ない。例えば、2017 年に日本の学会

で配布されていたチラシによると、BGIは自ら開発したBGISEQ-500を用いて、全ゲノムシーケンスを8万9千円で受託するとしており、当時の競合他社よりも安価であった。

今後シーケンス需要は、出生時診断、人間ドックのオプションへの組入れ、ゲノム情報を生かした精密医療など、ヘルスケア市場で大きく広がることが期待される。後述するように中国政府は2017年、精密医療に関して大規模なプロジェクトを発表した。同計画によると、数百万人の国民のゲノムを解析し、費用は政府が負担するという。これほど膨大なデータとなればシーケンサーが大いに役立つのは間違いなく、BGIはこれまでに培った経験と実績を活かすチャンスとなり得る。

シーケンサー開発企業としての将来はどうだろうか。かつてBGIはイルミナ社の最上級の顧客であり、機器や試薬を含め同社の売り上げの4割弱は中国が占めていたが、そのかなりの部分をBGIが買っていた。BGIは自社で行うシーケンスに関し、イルミナ社のシーケンサーもごく一部残してはいるが、すでに大部分は自社グループ(MGI社)の機器に切り替えている。BGIグループのシーケンサーをイルミナ社の製品と比較した場合、精度に関してはほとんど遜色ないとBGIは主張している。またイルミナ社の製品に比べ試薬代が安価であり、シーケンスをすればするほど費用対効果の面で優越する。シーケンサーの買い替えサイクルが5年程度であることを考えると、将来的にはBGIグループの製品がイルミナ社と十分競っていけることも想定され、そのためには徹底的に価格や性能に磨きをかける必要がある。

なお、BGIがイルミナ社に対抗してシーケンサー開発を続ける場合、その市場は中国国内以外でまず米国が標的になる。ただ現在、米中間にはハイテク分野における貿易摩擦が生じている。米国では2018年8月、政府機関が安全保障上問題のある外国製品を使うのを禁じる国防権限法が成立している。同法では今のところシーケンサーは対象とはされていないが、それにより個人情報であるゲノム情報を大量に生みだされることを考えると、中国製シーケンサーの使用は将来の安全保障上のリスク要因として敬遠される可能性がある。BGI社が今後活路を開いていくためには、こうした懸念にも対応していく必要があるだろう。

4 中国の精密医療

ゲノム科学の成果の実用化として、近年注目されているものに精密医療がある。中国は2016年より、国家科学技術イノベーション第13次五か年計画及びその関連計画のもとで、精密医療プロジェクトを実施している。

(1) 精密医療とは

精密医療 (precision medicine) とは、いわゆる個の医療 (personalized medicine) を意味し、各個人の特性に応じた医療を指す。人々をゲノムデータのほか、臨床データ、健康データ、環境データ等を踏まえて類型化し、その特性に合った適切な予防・治療を選択していくものである。個の医療の基となる概念は特段新しいものではなく、例えば一世紀以上前から行われている血液型に応じた輸血治療等、医療従事者はこれまでも患者の特性を見つそれに適した療法を選択してきた。

近年、患者の遺伝子型 (ジェノタイプ) の違いに応じた医療が可能になるにつれ、それはオーダーメイド医療、テーラーメイド医療など、様々な名称で呼ばれてきた。オーダーメイド医療等は、ゲノム情報をもとに患者にあった特別の治療を一から構築していくという意味合いがあったが、精密医療は、特定の疾病への罹患のしやすさ、予後の状況、特定の治療に対する反応は個々で異なるため、それによって人々を区分することで予防や治療のための介入を行う者と行わない者を分類し、無駄な治療の防止やそれによる費用の軽減を図るという意味合いもある。そのために、人々をゲノムだけでなく各種のオミックス、医療データ、健康データ、環境データ等、できるだけ多くの情報・データをもとに類型化したうえで、いくつかの選択肢の中からその個人に最も適した予防法や治療法を選択していくものである。精密医療に参加する人数が増えれば増えるほど、同じ分類に入る者が多くなるため、1人当たりの費用は安くなりメリットは大きくなる。

(2) 先行する国々における精密医療

① アイスランド

多くの国民の遺伝子解析を世界に先駆けて実施したのは、北大西洋に位置する小さな島国のアイスランドである。アイスランドの企業である deCODE 社は、同国人のゲノム収集・分析を 1998 年以降より実施し、国民全体 33.3 万人の 3 分の 1 をカバーする 10 万人以上の遺伝子配列を特定した。このアイスランドの動きは、精密医療の先鞭をつけたものと言われている。

② 米国

精密医療という名称が初めて出現したのは、2015 年 1 月の米国オバマ大統領の一般教書演説であった。同演説の中でオバマ大統領は、精密医療イニシアチブ (Precision Medicine Initiative) に触れ、米国国立衛生研究所 (NIH) を中心として国民の各種データを収集・分析し精密医療を推進しようと提唱した。

精密医療イニシアチブでは、以下の 5 つの取組みを行うこととしている。

- 参加者の全ゲノム解析を行う。
- 電子カルテの情報に加え、健康に関する様々な生体情報を収集する。

- ウェアラブル機器をはじめとする様々な機器開発を行う。
- 膨大なデータを収集し解釈する情報科学を発展させる。
- 個人情報保護、倫理的問題の解決等、研究参加者から理解を得るための社会的取り組みを行う。



演説するオバマ米国大統領 ©NIH

同イニシアチブでは、百万人以上の米国人ボランティアを参加させ、ゲノムをはじめとする生体情報等を含めたコホート研究を行うことにより、健康や疾病の理解を促進し、データ共有を通じて新たな研究の基盤を構築していく活動（「All for US Research Program」と命名されている）を進めている。

③ 英国

英国ではオバマ演説より前の2012年に、ヒトゲノム戦略グループの報告書として10万人ゲノム（UK100K）が提案され、2013年にゲノミクス・イングランドという非営利組織が発足した。同組織を中心に、国民保険サービス（NHS：National Health Service）のカルテ情報データベースと診療ネットワークを駆使して10万人の全ゲノム解析を行い、そのデータベースに基づく個の医療と医療費の最適配分を目指している。当面は、がん患者（正常組織とがん組織）と希少病患者（発端者とその両親のトリオ解析）に焦点を当てて、

患者のゲノム情報とカルテ情報を収集してきている。さらに、2023年を目途に500万人のゲノム解析を行うべくプロジェクトが進行している。

なおNHSの電子カルテ情報については、NHSの患者であれば自身の診療情報にアクセスすることができる仕組みも整備された。英国は単なる研究としてではなく、ゲノム情報を医療に還元しようと努力している。

④ 欧州 (EU)

EUにおいては、2014年から2020年までの研究・イノベーション推進のための枠組み計画であるHorizon2020のもと、関連のプロジェクトが行われている。ヘルスケア関連では、欧州版の精密医療に相当する「個別化された健康とケア」プロジェクトにより、健康的かつ社会参加を続けられるようなエイジングを促進するため、ブレークスルーとなる研究や抜本的な発明のための支援が行われている。ただここでは、同プロジェクトでは米国や英国のように大規模コホート等を欧州全体で行うことは想定されていない。

また現在、Horizon2020の後継となる計画Horizon Europeの策定に向け、10億ユーロの科学イニシアチブの選定が行われているが、候補の1つに「個別化医療イニシアチブ」がある。同イニシアチブでは、個別化医療のためのプラットフォーム作成が提唱され、ヒトの疾病と治療の過程で個々の細胞と組織がどのように変化するかを測定し、AIと機械学習を利用して、生物学的に意味のあるデータの重要パターンを明らかにすることを目指している。

この他、欧州内での協力活動として2018年に、「百万以上ゲノムイニシアチブ」が発足した。英国等を含め約20か国が参加し、技術面・倫理面等での課題解決を目指すプロジェクトである。加盟国内で個人データの保護等にも十分配慮しつつ、2022年までに少なくとも百万個の配列決定されたゲノムを利用可能にすることを目指しており、精密医療の推進に役立つものと期待される。

(3) 中国の精密医療プロジェクト

① 概要

中国は2016年3月、精密医療を第13次五か年計画の目玉プロジェクトとして立ち上げ、2016年から2020年までの5年間に12億元(約200億円)の資金を投入することとした。同プロジェクトでは、2030年までに600億元(約1兆円)の投資が予想されており、かつてない規模の巨大プロジェクトになる見込みである。

② プロジェクトの項目と目標

同プロジェクト全体の項目は以下の 5 点であり、これらの活動により国民の健康レベルを大きく向上させ、過剰医療や有害な医療を減らし、医療費の急激な増加を抑制することを目標としている。

○大規模コホート研究の実施：中国において発症率の高い疾患、重大なリスクを有する疾患及び相対的に有病率の高い希少疾患を切り口に、百万人以上の大型健康コホート、重大疾患コホート及び専門疾患コホートを構築する。

○精密医療ビッグデータ統合利用と共有プラットフォームの整備：多層的な精密医療知識基盤システムと、安定的で操作可能な共有プラットフォームを作り上げる。また、精密医療の全プロセスに応用できる生物学ビッグデータや、臨床における判断と意思決定に使用できるプラットフォームを形成する。

○臨床用フィジオーム：臨床応用技術と生物学ビッグデータ分析技術を開発することで、革新的な疾病早期アラート・システム、診断、治療と治療効果評価の生物マーカー、製剤の実験・分析の技術体系などにより次世代のフィジオーム（生命・生体の生理機能の総体のこと）を作り上げる。

○予防・診療ソリューションと臨床意志決定システム：重大な疾患の分類、リスク評価、予測・早期警報、早期スクリーニング、個別化医療の治療効果と安全性予測及び監視等のため、予防・診療ソリューションと臨床意志決定システムを形成する。

○精密医療の奨励：中国人の集団における典型的な病気への臨床的対応のデモンストレーション、応用とプロモーション・システムを建設し、治療薬物、検査、測定装置などの保険適用を推進する。

③ 研究の実施段階

精密医療研究の実施に関し、基礎研究と臨床応用・実証研究の進行に応じて段階を設けている。

○基礎研究

- ・第 1 段階：マルチオミックス技術開発とその統合化
- ・第 2 段階：精密医療を実現するためのコホート研究の立ち上げ
- ・第 3 段階：データセンター構築

○臨床応用・実証研究

- ・第 4 段階：疾患治療のための精密な臨床実験計画や精密診断システム構築
- ・第 5 段階：臨床研究を通じ病態を示すバイオマーカーや疾患標的の発見
- ・第 6 段階：これら全てを統合した臨床プラットフォームの構築

④ プロジェクトの実施状況

同プロジェクトには中国科学院上海生命科学研究院、中国科学院北京ゲノム研究所、四川大学、復旦大学など、全体で 20 の大学・研究所・企業から 160 人以上の専門家が参加している。プロジェクトの現状は以下のとおりである。

○**大規模コホート研究**：大規模コホート研究は、プロジェクト全体の中でも重要な位置付けになる。巨大な人口を抱え、また治安等の目的で住民の情報を把握している中国は、他国に比べ比較的容易にコホート研究に取り組むことができると思われる。現在、約 2.5 億元（約 40 億円）の拠出により、以下の「大規模自然コホート・デモンストレーション研究」と「区域自然集団コホート研究」という 2 つの研究が行われている。これらの研究を用いて作り上げた試料とデータをプロジェクト内で共有し、精密医療ビッグデータのプラットフォームで統一的に管理している。

・大規模自然コホート・デモンストレーション研究

大規模コホートを作るための基準と研究フローを確立し、モデル・コホートを構築する。このモデル・コホートを長期的にフォローアップすることによって、生命活動全体のデータベースと知識基盤のフレームワーク・システムを構築する。この研究を通じて、基準の統一と情報共有を行うとともに、サンプルとデータ共有の仕組みを作り上げる。

・住民コホート研究

住民コホート研究は、特定疾患等の特徴から選定した集団ではなく、中国全土をいくつかの区域に分けた住民に対する研究である。主な研究内容は、各区域において少なくとも 10 万人に上るコホートを作り、5 年を超える期間でコホート研究を行うものである。その間の脱落率を 10%以内に抑えるようにする。また、上記のデモンストレーション研究で得られた技術や標準化された仕様を用いて、効率的な追跡システムを作り上げる。

○**中国人独自のゲノム多型地図の開発**：これまでのゲノムデータや表現型の試料としては欧米のデータや試料が多く、中国やアジアの試料が少ないため、データの解釈や医療・臨床開発等で苦勞していた。ハルビン工業大学の研究者らは、ゲノム研究グループ、暴露研究グループ、表現型研究グループ等によりゲノム多型、集団多型、影響等について調べ、中国人独自のゲノム多型地図を構築した。現在中国では、大量のシーケンスデータと健康や疾患等との相関性を解析できる人材や技術者自体が不足しているが、将来的には先端医療として国民の健康増進や疾病予防等への寄与が期待される。

○**データセンター構築**：精密医療プロジェクトは膨大なデータを取り扱うため、データを解析し、蓄積・保管するデータセンターの構築が重要である。四川省成都市にある四川大学華西医院は、肺がん等の10種の疾病に焦点を当て、百万個のヒトゲノムのシーケンスを計画している。

○**バイオマーカーの発見**：精密医療では、患者をバイオマーカーに応じ類型化し、それに応じた治療を行うことになるため、バイオマーカーの発見が重要となる。例えば、がん患者のうち特定の集団は特定の遺伝子変異を持っていたり特定の遺伝子が多く発現したりしているため、治療から利益を得る患者を特定するには、バイオマーカーを開発する必要がある。上海の民間機関である上海ジェノミクスが、200万元（約3,200万円）の助成金を得て、特発性肺線維症（IPF）を含む間質性肺疾患の新たなバイオマーカーの開発に関する研究に参画していると言われている。

(4) 中国系民間企業の動き

英国のハイオインダストリー協会の市場予測によると、2015年の精密医療（個の医療）の世界市場は819億ドルだが、2020年には1457億ドル、そして2025年には2,995億ドルに成長するとされる（年率30%の成長率）。このような巨大な市場に成長する可能性を秘めた精密医療に対し、中国は大きな魅力を感じている。国が先導することで企業もどんどん関連分野に進出し、しかも膨大なDNA情報等の囲い込みも行われれば、中国がヘルスケア産業で世界の覇権を握る可能性もあると考えている。

中国政府が精密医療を国家プロジェクトとして押し出したことで、国内の民間企業も同国でのヘルスケア産業の発展性を認識し、関連の研究・技術開発や事業化に積極的に取り組み始めている。例えば、上海の大手バイオテック企業である薬明康德（WuXi App Tec）社は、中国のICT大手の華為（ファーウェイ Huawei）社と契約を結び、膨大な量の精密医療関連のゲノムデータの取扱いを容易にするクラウド環境を構築し、2016年3月にヘルス・クラウド・サービスを開始した。また、薬明康德の子会社で米国マサチューセッツ州に拠点を置くウーシー・ネクストコード（WuXi NextCODE）社は、シーケンスデータを利用する主要なゲノム情報企業になっており、これまでも英国の10万ゲノムプロジェクト、カタールのゲノムプロジェクト、復旦大学小児病院とボストン小児病院での小児疾患プロジェクト等に取り組んでいる。一方ファーウェイは現在、中国の15都市にデータセンターを置くクラウドプラットフォームにより、同国の5万大にサービスを提供している。

この他、前記のBGIの関連会社である碳雲知能（iCarbonX）社は、遺伝情報を手掛かりとして自分の体についてより深く理解するサービスを消費者に提供を開始している。同社では、AIを用いて顧客一人一人にあった健康管理を行うことを目指しており、注目される。この他、血液中のマーカーを用いてがんを検出しようと試みるリキッド・バイオプシー（液体生検）等、新技術市場で優位に立つことを狙っている企業も出てきている。

(5) 遺伝子管理法の制定

精密医療に関連した中国の動きとして興味深いのは、遺伝子管理法の制定である。中国は2019年7月、遺伝資源管理法を施行した。中国政府は、DNAやゲノム情報などの遺伝資源を重要と考えており、従来から政令などにより外国人による中国人の遺伝資源の取り扱いを規制していたが、今回は罰則を有する法律を新たに制定したのである。

従来は、海外の企業や研究機関が単独で中国国内でDNAを収集・保存すること、そして海外に持ち出すことが禁止されていた。今回この法律が制定されたことにより、外国人や外国企業は中国の研究機関や企業との共同研究を行うことで、中国人のDNAを解析することが可能となった。ただし共同研究を実施する場合には、研究のプロトコルや研究結果の公表、知的財産権の分配等について、国務院の科学技術行政部門の事前審査と承認が必要とされている。また共同研究が認可された場合でも、ヒト遺伝子資源のバックアップを中国政府に提供することが要請され、さらに中国人のDNA試料やDNA情報の売買は禁止となっている。

中国政府が自国民のDNAの保護等をこのように厳格に規制するのは、中国人の膨大な遺伝資源をベースとし、今後急速に拡大する医薬産業、先端医療産業などの育成において、海外企業を凌駕し中国企業が制覇することにねらいがある。国民の遺伝資源は国家間の競争力に影響する資源であることを、中国政府は明確に認識している。

5 中国の遺伝子組換え (GM) 作物

(1) GM作物の位置付け

農業でのライフサイエンス利用の中で特徴的なものの一つとして、遺伝子組換え (GM: Gene Modified) 作物、及びそれから作られる GM 食品がある。植物の遺伝子を組換えることで、防虫・防カビ性、暑さ・寒さ・乾燥等への耐性を持つものを開発し、生産性を大きく向上させようとするものである。例えば抗虫性を持つ GM 作物は、一般に枯草菌 (Bt: *Bacillus thuringiensis*) の毒素遺伝子が組み込まれている。昆虫は同毒素に対する耐性を持たないため、それを食べることにより死ぬ。一方ヒトを含めた哺乳類では、消化メカニズムが昆虫と違うため害はないとされる。また、GM 作物は農薬の使用を減らすことができるため、農業従事者の健康を改善するという研究もなされている。

中国では、バイオテクノロジーを主要産業の1つに育成しようとする政策が採られ、1990年代から遺伝子組換えによる GM 作物の作製がなされてきている。いくつかの事例を列挙すると、GM タバコ (ウイルス抵抗性: 1992年)、GM 綿花 (抗虫性: 1998年)、GM トマト (ウイルス抵抗性: 1998年、劣化防止: 1997年、2000年)、GM ピーマン (ウイルス抵抗性: 1998年)、GM ペチュニア (多様な色: 1998年)、GM パパイヤ (ウイルス抵抗性: 2006年)、GM ポプラ (抗虫性: 2003年)、GM コメ (抗虫性: 2010年)、GM トウモロコ

シ（抗虫性：2010年）である。これらの中では、中国農業科学院の研究者らが枯草菌由来の毒素遺伝子を組み込んだ GM 作物である Bt 綿花が重要であり、国内の綿花栽培総面積の4分の3以上にまで増加している。

(2) GM 作物の商用栽培に関する安全性

GM 植物の商用栽培に関し、2001年に国務院により「農業遺伝子組換え生物安全管理条例」が公布され、また2002年には農業部（現在の農業農村部）によりその関連規則として、国内栽培のための「農業遺伝子組換え生物安全評価管理規則」、輸入のための「農業遺伝子組換え生物輸入安全管理規則」、表示のための「農業遺伝子組換え生物管理規則」が制定された。さらに2006年には加工のための「農業遺伝子組換え生物加工管理規則」が制定された。

規制の基本方針は農業農村部、国家衛生健康委員会、科学技術部、生態環境部、商務部、国家発展・改革委員会、国家市場監督管理総局の7部局の代表からなる「遺伝子組換え生物の安全管理部門間合同会議」で協議されるが、個々の計画の審査は農業農村部に設置された「農業遺伝子組換え生物安全委員会」による安全性評価に委ねられる。

安全性評価は、実験室レベルでの研究開発後、環境での試験について①中間試験、②環境放出試験、③生産性試験の3段階で審査され、各段階で農業農村部への申請が必要となる。生産性試験の審査を通ると「農業遺伝子組換え生物安全証書」を取得できる（通常は5年ごとに更新）。その後、商業化段階の審査（生産・加工→商業経営）を申請でき、通常数年で許可が取得できるとされる。

(3) GM 作物の商業栽培状況

2018年に国際アグリバイオ事業団（ISAAA：International Service for the Acquisition of Agri-biotech Applications）が公表したデータを基に、各国の GM 作物の栽培面積を取りまとめたものが図表 31 である。

図表 31 各国の GM 作物栽培状況（2018年）

順位	国名	栽培面積（万 ha）	主な栽培 GM 作物
1	米国	7,500	大豆、トウモロコシ、綿花、アルファルファなど
2	ブラジル	5,130	大豆、トウモロコシ、綿花など
3	アルゼンチン	2,390	大豆、綿花、トウモロコシ
4	カナダ	1,270	大豆、トウモロコシ、キャノーラ、テンサイなど
5	インド	1,160	綿花
6	パラグアイ	380	大豆、トウモロコシ、綿花
7	中国	290	綿花、パパイヤ

(出典) ISAAA 報告書 GM Crops2018 を基に作成

中国は第 7 位となっているものの、米国、ブラジル、アルゼンチン等に大きく差をつけられている。米国やブラジルで大きな栽培面積を占める大豆、トウモロコシ等の GM 作物は、中国国内での商業栽培が許可されていないことが理由と考えられる。現在、研究開発を終了し安全性を評価したのち商業栽培にこぎつけている GM 作物は、綿花とパパイヤに限られている。ただし大豆とトウモロコシについては、GM 作物を輸入し加工して販売することについて安全性が確認され承認されている。

(4) GM 作物に関する不祥事の発生

すでに第一章で述べたように、中国では今世紀に入り経済が発展するにつれ食生活が高度化し、生活の質の向上と安全性をより強く求めるようになってきた。一方、経済的利益追求のために悪徳業者が横行し、人体に健康被害をもたらす有害な食品が多数流通し、食品汚染問題が多発するようになった。中国政府も食品の安全性強化に努めたが、相次ぐ事件の発覚で 2007 年 6 月、担当の大臣が降格となり、代わって研究者出身の大臣が就任する事態が発生している。そういった背景から、国民に GM 作物という未知の技術に対する得体の知れない漠然とした不安感が高まり、不安を避けることを優先する傾向がある。例えば、中国のシンクタンクが行ったアンケート調査では、中国人の 70%以上が明確に GM 作物に反対の立場を示しているという。

中国での GM 作物に対する反対の中心はコメに係るものである。2008 年に米国タフツ大学の唐博士は、遺伝子組換えによりビタミン A (βカロチン) を強化したゴールデンライスという米を湖南省の学校給食で子供たちに食べさせその影響を調べた。ところが 2012 年になって、同研究を行うことについて中国政府から正式に了承を得ておらず、また事前に保護者らに十分に説明していなかったことが分かり、中国国内で大きな騒ぎとなった。結果的にゴールデンライス自体は安全性に問題はないとされたが、2013 年 9 月タフツ大学は、この研究が同大学の審査委員会の審査・承認を得ておらず大学や米国連邦政府の規制に反するとして、その後 2 年間、同博士がヒトを用いた研究を行うことを禁止した。

また 2014 年 7 月、華中農業大学で開発された昆虫耐性の GM コメが、同大学のある湖北省武漢市の手スーパーマーケットで販売されていることが発見された。開発に関与した民間会社が、GM コメの種子を違法に持ち帰り増やした可能性が指摘された。

一方 EU は 2012 年から中国産コメの入境検査を厳格化しているが、2013 年には同国から輸出されたコメから遺伝子組換え成分が 25 回も検出されたという。このことは、中国国内でヤミの GM コメが栽培され、販売されている可能性を物語っている。

(5) 中国企業によるシンジェンタ社の買収

政府としては、イノベーション強化政策や外国企業に中国の農産物市場を支配されたくないという思いがあり、将来の農業バイオの中心的な技術になりうる GM 作物への対応も徐々に変化しつつある。中国では従来から、農業バイオ研究は研究開発の重要な柱の一つであり、すでに 2013 年の段階で中国の農業研究に対する公的資金は 100 億ドルと米国の公的資金の 2 倍以上に達しており、1,100 以上の農業研究機関を支援している。

2017 年には、国有企業で石油化学を含む総合化学メーカーである中国化工集団 (Chem China) が、スイスに本拠地を置く多国籍企業シンジェンタ (Syngenta) 社を 430 億ドルで買収した。同社は農薬や種子を主力商品とするアグリビジネスを展開している企業であり、農薬業界では世界最大手、種苗業界でもモンサント、デュポンに次ぐ世界第 3 位となっている。同社は GM 作物のタネの開発も手掛け、これまで乾燥耐性の作物やバイペテラという GM トウモロコシの開発を行ってきた。

買収前、同社の世界におけるタネの取引きのうち、GM 作物関連は約 40%に相当する数十億ドル規模になっていた。この買収はこれまで中国が手掛けた買収のうちの最大規模のものとなったが、これにより中国は農業バイオ技術で先進的な地位を確保したと考えられる。

(6) ゲノム編集作物の進展

最近では多くの中国人研究者が、CRISPR/Cas9 技術を用いて種子の迅速かつ正確な改変を行おうと取り組んでいる。そのようなグループは中国内に約 20 あり、現在中国は CRISPR/Cas9 関連の農業技術論文を世界一多く発表しており、2 番目の米国の 2 倍に達している。

中国政府も 2016 年の五か年計画の中で植物のゲノム編集を支援することを明記しており、先のシンジェンタ社の買収にもそれが表れている。中国では昆虫被害などによりトウモロコシ生産効率が米国の 60%にすぎず、家畜用穀物として米国から大量に GM トウモロコシを輸入しているが、同社は CRISPR/Cas9 改変の昆虫耐性トウモロコシ等の実績があり、同国内でそれが実用化されれば大きな食糧改革につながると期待される。

ただ、そのためにはゲノム編集作物に対する規制の明確化が必要である。各国の状況を見ると、欧州では裁判所が遺伝子組換え作物と同様な規制をする必要がある旨の裁定を下しているが、米国農務省は他種からの遺伝子導入ではなく自然又は従来 of 育種によるものと同様の変異を生じるゲノム編集作物について規制対象外としている。また日本は遺伝子機能を喪失させるゲノム編集作物についてのみ規制対象外としている。中国はゲノム編集技術の規制についてまだ明確にしておらず、検討の促進が求められている。

6 中国での脳研究と霊長類実験

脳のメカニズムは複雑で、意識、自由意思、睡眠、精神疾患、認知症等まだまだ分からない部分が多く、人体に残された最後の秘境と言われる。近年中国の研究者も脳研究に積極的に取り組んでいる。また脳研究などのための霊長類研究も盛んである。

(1) 世界の脳研究

世界の脳研究プロジェクトの現状を見てみよう。まず米国であるが、2013年からオバマ前大統領の提唱により先進・革新的神経技術による脳研究（**BRAIN : Brain Research through Advancing Innovative Neurotechnologies**）イニシアチブが開始された。これは脳の活動を司る多数のニューロンの活動を記録することにより、脳活動地図（**BAM : Brain Activity Map**）と呼ばれる脳内の地図作りを行うもので、ショウジョウバエのような小さな脳から始めて、次第にマウスの網膜システム、マウスの皮質、さらに霊長類、最終的にはヒトの **BAM** 作製を目指すものである。同イニシアチブでは関連するさまざまな技術開発も行われており、2025年までに総額45億ドルを投じる計画が示されている。

欧州では2013年に、ヒト脳プロジェクト（**Human Brain Project**）が開始された。約90の機関が参画し、遺伝子、タンパク質、シグナル回路、シナプス間のコネクトーム等のさまざまな研究データ・知見を踏まえ、それを一つのスパコンに結集させ、可能なかぎり正確な脳のシミュレーションを行おうとしている。その成果を用いて、神経変性疾患その他の神経系の障害の解明や新薬の開発を目指している。当初計画では開始から10年間で12億ユーロの拠出が予定されている。

日本でも2014年度から、理化学研究所を中心に「革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明（革新脳）」プロジェクトが行われている。これは小型の霊長類であるマーモセットを用いて、そのマクロレベルでの構造と活動地図作りを行うとともに、そのための技術開発も行うもので、10年間で総額約400億円の規模で行われている。このほか日本では、「臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服（融合脳）」、「柔軟な環境適応を可能とする意思決定・行動選択の神経システム（意思決定）」等の研究が、政府主導型のプロジェクトとして行われている。

これら脳研究のビッグプロジェクトについては、それぞれが独自に研究を行うより、情報・データや人材を相互に交流したり施設の共同利用を図ったりすることで、より効率より大きな成果が得られる。このため2016年5月開催のG7伊勢志摩サミット首脳宣言付属文書等において、脳科学研究における日米欧の国際連携の重要性が認識されている。

(2) 中国の脳研究

中国には、以前はほとんどトップレベルの研究者はおらず、脳科学研究のレベルはそれほど高いものではなかった。しかし近年、海外で教育を受けポストク等で活躍した研究者

を本国に呼び戻したり、欧米の優れた研究者を招き入れたりすることにより、システム神経科学や脳機能イメージング等の研究分野でインパクトの大きい研究成果が急増している。

政府はこのような状況を受け、国家科学技術イノベーション第 13 次五か年計画（2016 年～2020 年）で、15 ある重大科学技術プロジェクトの一つとして「脳科学と脳模倣知能研究（Brain Science and Brain-Inspired Intelligence Technology）」を取り上げ、2017 年よりプロジェクトを開始した。認知機能の神経基盤に関する基礎研究、脳障害の診断と介入の方法に関する応用研究、脳にヒントを得たコンピューティングの方法とデバイス開発という 3 本立ての研究開発体制になっている。

(3) 欧米の霊長類実験

こうした脳研究に欠かすことのできないのが、サルなどの霊長類を用いた研究である。ライフサイエンス研究で用いられる実験動物は、扱いやすさなどの観点からマウスやラット、さらにはイヌやブタなどが一般的である。一方、サルなどの霊長類を実験動物とすることは飼育などの点で困難を伴うが、マウスやイヌなどに比べてはるかにヒトに似ており、各種条件設定のもとで霊長類の行動や反応を調べることで、ヒトだとどうなるかを類推できる。特に脳研究において、ヒトの共感、意識、言語等の高度な脳の機能や精神疾患等の原因・メカニズムを解明するには、脳の発達した霊長類を用いた研究が欠かせない。

これら霊長類のうち最も人間に近いものは類人猿と呼ばれ、オランウータン、ゴリラ、チンパンジー、ボノボ、テナガザルの 5 種類がある。これらはあまりにヒトに近すぎるため、世界のほぼ全ての国で侵襲研究（投薬、医療機器の埋込み、手術等を伴う研究）は行われていない。米国では最近までチンパンジーについて、主要国で唯一、侵襲研究が行われていた。しかし 2015 年には、同国内務省魚類野生生物局（FWS）の新ルールにより研究に用いられているものも含めチンパンジーが絶滅危惧種に分類され、侵襲実験を行う場合には FWS への許可申請が必要となった。さらに同年 12 月、NIH（米国国立衛生研究所）は今後そのような侵襲研究には資金拠出をしない旨発表しており、かかる研究が行われる見込みは実質的になくなった。

一方、類人猿以外の一般的なサルについては侵襲研究が否定されていないが、欧州では強い反対運動がある。このため研究実施には合理的な理由が求められ、培養細胞等で代替することができるならばそれを行い、やむを得ず実施するにしてもできるだけ利用数を少なくしたり苦痛を減らしたりする努力が必要となる。欧州では 2008 年から 2011 年の間に研究に利用されたサルのは数は 28%も減少し、また多くの研究者がサルを用いた研究自体を取り止めている。

このように、欧米では霊長類を用いた研究に対する風当たりは強くなっている。

(4) 中国の霊長類実験

これに対して中国では数十万匹もの研究用の霊長類が飼育されており、特に多いのは研究で最も一般的に用いられているマカクザルである。マカクザルは、オナガザル科に属するサルで、中国、インド、日本、東南アジアなどに広く生息している。日本にいるマカクザルはニホンザルとも呼ばれる。

中国の中央政府や地方政府は近年、マカクザルを中心とした霊長類の飼育施設や研究施設を設置してきている。これらの施設では多数の研究用サルを供与するほか、ハイテクを駆使して質の高い動物ケアや最先端の設備を提供している。代表的な例は雲南省であり、同省は雲南霊長類生物医学研究所を設置し大量のサルを研究用に飼育していたが、第六章で述べたように 2016 年に国家プロジェクトとして同省昆明市にある中国科学院昆明動物研究所に霊長類の研究施設が設置された。これ以外にも、広東省深圳市、広東省広州市、浙江省杭州市、江蘇省蘇州市などに、マカクザルを中心とした霊長類の飼育施設や研究施設を設置してきている。

中国では霊長類の飼育や研究において、コスト、規制、生命倫理等のハードルが低い。まずコストであるが、例えば、2008 年に米国エモリー大学の研究者らが世界初のハンチントン病の病態モデルザルを作出した時、購入に 1 匹あたり 6,000 ドル、飼育に 1 日 1 匹あたり 20 ドルかかったが、中国では購入に 1,000 ドル、飼育に 5 ドルというデータがあり、約 5 分の 1 程度である。また遺伝子編集による双子のベビー誕生に見られるように規制や倫理的な圧力が他の国と比較して緩いという特徴があり、サルなどの霊長類の遺伝子に最先端の遺伝子組換えやゲノム編集の技術を用いて疾病の原因となる遺伝子を導入することができる。このためゲノム改変をしたサルに関する報告の大部分は中国で行われたものであり、自閉症などの精神疾患の特徴を模擬したサルのモデル実験動物も作出されている。

注目すべきは、最近急速に利用が進展しているゲノム編集技術を霊長類の改変に用いる試みも同国で進展していることである。雲南省昆明市にある雲南中科霊長類生物医学重点实验室（省級）の研究者らは 2014 年に世界で初めて CRISPR/Cas9 技術をサルに用いたことでこの分野を牽引してきたが、さらに 2018 年には中国科学院上海神経科学研究所との共同研究により遺伝子導入（ノックイン）を世界で初めて行ったとしてセル・リサーチ誌に発表した。

ただ、このような同国での研究の進展は、思わぬ倫理的問題を生ずることもある。2019 年 3 月、中国科学院昆明動物研究所と米国ノースカロライナ大学らの共同研究チームは、中国の科学誌ナショナル・サイエンス・レビューに、ヒトの脳の発達において重要な役割を担うマイクロセファリン（MCPH1）という遺伝子を組み込んだアカゲザル（マカクザルの一種で中国南部やインドに生息）11 匹を誕生させ（うち 8 匹が第 1 世代、3 匹が第 2 世代）、誕生したサルは野生のサルに比べ短期記憶が良く反応時間も短くなるという結果が得られたとの論文を発表した。同チームは、今回の研究におけるサルへのヒトの遺伝子の移植は、「何がヒトを特異にしているのか」という基本的な問いを解き明かすうえで重要な手

がかりをもたらす可能性があるとしている。そして同チームは、アカゲザルはマウスなどのげっ歯類よりは遺伝的にヒトに近いが倫理上の問題が生じるほどの近さではなく、また、実験内容については大学の倫理委員会から審査を受け動物の権利に関する国際基準にも従った旨主張している。

しかし、この実験に対して米国の研究者から厳しい批判が浴びせられた。米コロラド大学デンバー校のジェームズ・シカラ教授らは、かつて2011年に「チンパンジー等の類人猿はヒトと非常に近いいためヒトの脳で機能する遺伝子を類大猿に移植するべきではない」との研究論文を発表しており、本件の中国での実験についても「脳の進化にまつわるヒトの遺伝子を研究する目的でヒトの遺伝子をサルに移植することは非常に危険だ」と強く非難している。また本実験の信頼性についても議論があり、米国の科学雑誌MCIレビューでは、MCPH1 遺伝子を移植されたサルが5匹しか実験過程において生存しておらず一般のサルと比較して明確な結論は得にくい旨述べている。

中国では脳のメカニズム解明のため、このほかニューロン間の結合を強める働きをする遺伝子 SPGAP2 や言語能力に関与する遺伝子 FOXP2 等をサルに導入する試みも行われている。

各国が安全規制、倫理などの観点で手をこまねいている間に、このような実験が中国で堂々と可能であることにより、海外の研究者が中国と研究協力を行ったり中国にラボを設置したりする場が増えてきた。例えば広東省深圳市には米国 MIT と共同で霊長類研究センターが建設されている。これらのラボで海外からの研究者と中国の研究者が共同で研究を行っている。大規模なマカクザルを用いたヒト疾患モデルの開発は、共感、意識、言語等の高次認知機能、脳障害の病原性メカニズム及び介入アプローチに対して重要な研究手段を提供するもので、研究者にとって魅力的である。中国の関係者も自らの優位性を自覚し、スイスにある CERN の加速器を範として、自分たちの施設を世界の霊長類研究施設のハブにしようと考えている。各施設では海外でも通用するよう科学研究における動物の人道的な取り扱いを推進する非営利団体 AAALAC インターナショナルが認証する国際標準を取得しようとしており、いくつかの施設はすでに取得しているようである。

現在まだ優位にある欧米の脳研究も、中国に急速に追撃を受ける恐れがあることに留意する必要がある。欧米の優秀な研究者が続々と中国に移動し、霊長類を用いた研究が中国で行われるようになるからである。

7 中国の幹細胞医療研究

幹細胞医療とは、ケガや病気などによって失われた機能を幹細胞により元どおりにすることを目指す医療である。幹細胞は、もともと身体に存在する「体性幹細胞」、胚（受精卵）から培養して作る「ES細胞」、人工的に作製される「iPS細胞」の3種類がある。

(1) 幹細胞研究の政策動向

「国家科学技術イノベーション第 13 次五か年計画」の中で、中国は「幹細胞とトランスレーショナル研究」と呼ばれるイニシアチブを開始した。その前の第 12 次五か年計画において、幹細胞研究に約 30 億人民元を投資しているが、今回のイニシアチブではその額は大幅に増加するものと考えられている。

また 2016 年には「健康中国 2030」を策定し幅広い健康サービス産業の育成強化を図ることとしたが、その一環で国際競争力のある健康医療観光地を創り出すという目標を設定した。中国の最南部にある海南島が対象となって、同島が医療特別区として指定され未承認薬の早期使用が可能になっている。2018 年には、中国初の幹細胞治療の専門病院である中国幹細胞集団海南ボアオ附属幹細胞医院が同島に開業した。ボアオは海南島にある中国有数の複合リゾート地の地名で、毎年ボアオ・アジア・フォーラムが開催されることでも有名である。同医院はトップレベルの層流無菌病室を 100 室設置し、年間 1 千件を超える造血幹細胞移植を実施する計画である。今後同島に、幹細胞研究の成果を臨床で実用化する国家レベルのプラットフォームの建設も予定されている。

(2) 幹細胞研究の動向

中国に幹細胞研究を行う研究室が多数存在するが、研究の中心はやはり北京であり、そのうちでも北京大学と中国科学院動物研究所が重要である。北京以外では中国科学院上海生命科学研究院、中国科学院広州生物医薬・健康研究院が幹細胞研究の拠点とされる。

このような体制の下、中国の幹細胞関係の論文の数は飛躍的に伸びている。10 年ほど前は中国全体の論文数で、米国はおろか日本、ドイツ、英国などの後塵を拝していたが、現在は欧州諸国や日本を追い抜き米国に近づいている。特に中国は体性幹細胞研究の論文が多く、順位の上昇に大きく寄与したと思われる。

幹細胞を用いたヒトへの治療であるが、中国ではまだ ES 細胞や iPS 細胞の臨床試験について行われているとの報告はない。また現在世界では米国、EU、日本等から 10 種類以上の幹細胞製剤が発売されているが、中国ではまだ 1 つも販売に至っていない。国内で有力なのは、「中源協和 (VCANBIO CELL & GENE ENGINEERING)」と「漢氏聯合 (Health & Biotech)」の 2 社である。国家薬品监督管理局・薬品審査評価センターは、幹細胞製剤の関係で受理している製品 19 種類のうち、両社から各 3 種類ずつ製品の申請を受理している旨公表している。ただ申請年を見ると、2 社の製品それぞれ 1 種類は 2018 年であるが、残りの 17 種類は全て 2014 年であり、幹細胞製剤の臨床研究に大きな進展がないことが分かる。

なお幹細胞バンクは中国全体で 6 つあり、うち 5 つを科学技術部が支援している。特に中国科学院動物研究所には中国初の臨床級幹細胞バンクが構築され、中国の幹細胞分野の

研究の規範化・標準化が推進された。2017年には中国初の幹細胞汎用基準が発表され、さらに2019年には中国初の胚性幹細胞（ES細胞）の製品基準が発表された。

（3）違法な幹細胞治療の横行

第七章で述べたように北京大学の^宏魁博士らは、HIV感染を伴った急性リンパ性白血病の患者に対しゲノム編集したヒトの造血幹細胞の移植治療を世界で初めて行っている。その一方で無認可での幹細胞治療は昔から行われてきた。

2012年4月のネイチャー誌で、胎児のへその尾から採取した幹細胞を用いて高額で未承認の治療を行うクリニックが中国各地に広がっているとの報告がなされた。一部のクリニックは幹細胞の注射でアルツハイマー病や自閉症の症状が改善したと宣伝していたが、同誌は「治療効果が期待できないだけでなく、深刻な副作用のおそれもある」とする専門家の見方を紹介して注意を呼びかけた。治療を受けたとする患者の体験談によると、アルツハイマー病治療では1回当たり60万円から100万円の注射を4回から8回実施するとのことであった。自閉症の治療の場合には、種類が異なる幹細胞を用いて500万円近い出費を求めるケースもあった。アルツハイマー病の専門家は注射された幹細胞が体内で数日生きるかどうか不明だとし、また自閉症の専門家は幹細胞で自閉症が改善するとの根拠はなくがんや自己免疫疾患を引き起こす可能性があるとしている。

幹細胞療法では、細胞の変異が制御不能になり最終的に腫瘍化を引き起こしたり、急性や慢性の合併症を引き起こしたりして、最終的には死亡につながる可能性もある。このため多くの国では、幹細胞療法は厳格な臨床試験を経て規制当局が承認する前に安全かつ効果的であることを証明する必要がある。中国も国際動向にも配慮する姿勢を見せ、2007年に国際幹細胞学会（ISSCR）に加盟したうえで、国家衛生健康委員会や国家薬品监督管理局などが規制体制の確立を目指し努力している。