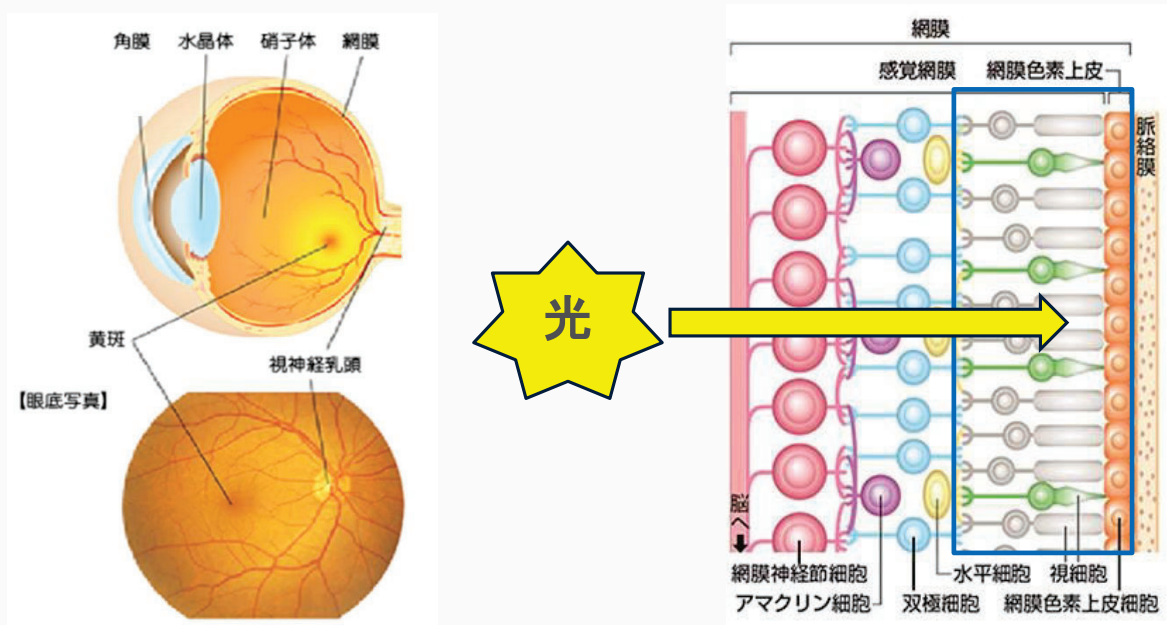




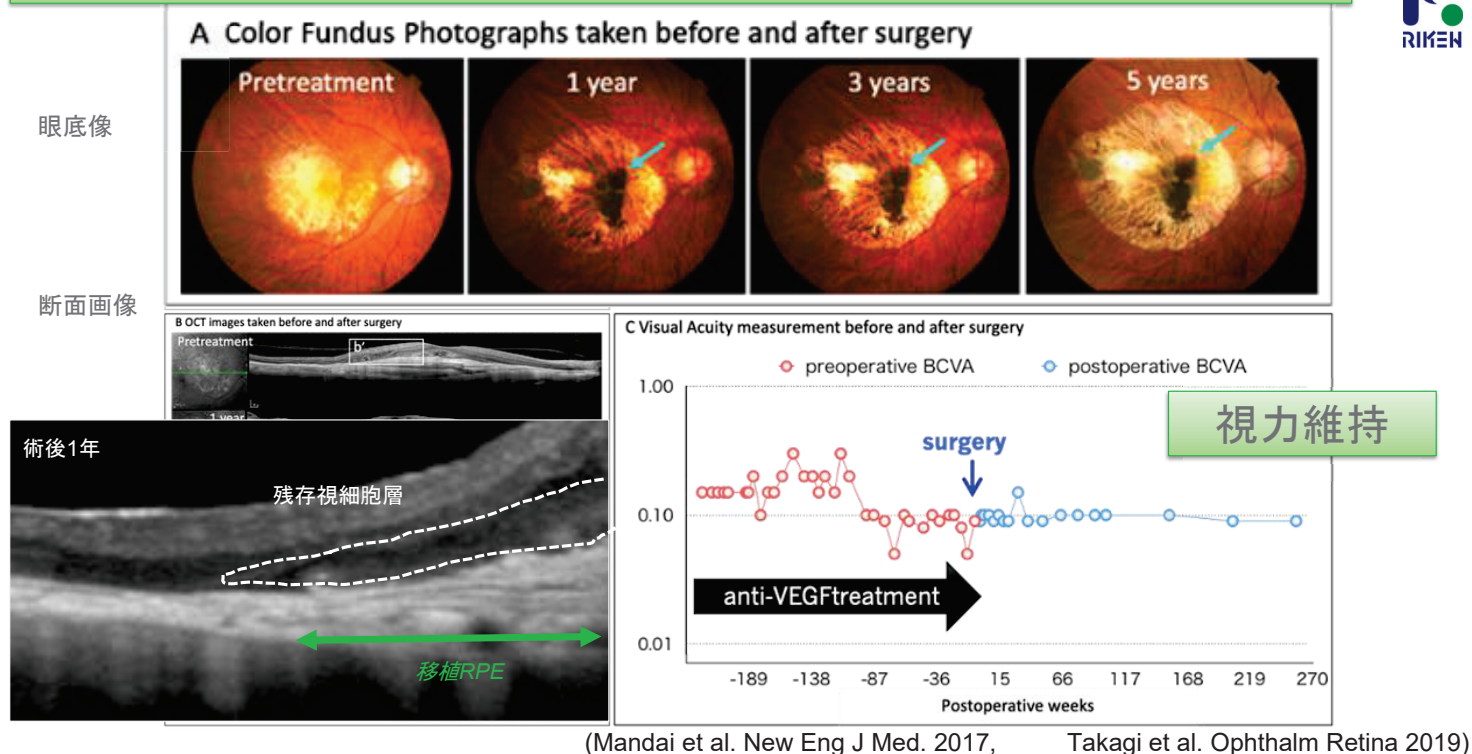
網膜の構造



網膜色素上皮（RPE）移植



RPE - 最初の症例 2014年～ 移植RPEシートは生着し、視細胞を守った



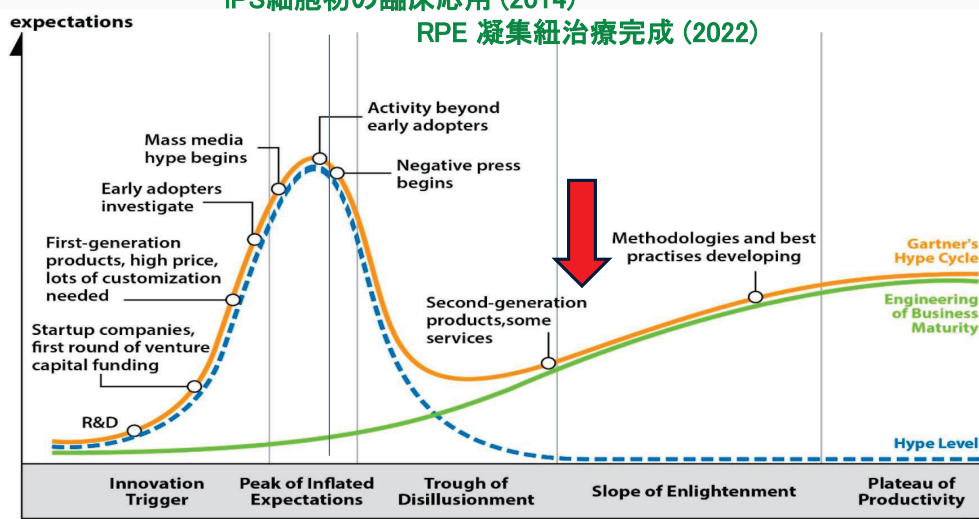
ガートナーのハイプサイクル（期待曲線） 新しい技術に対する期待がたどるカーブ

山中先生

ノーベル賞 (2012)

iPS細胞初の臨床応用 (2014)

RPE 凝集紐治療完成 (2022)



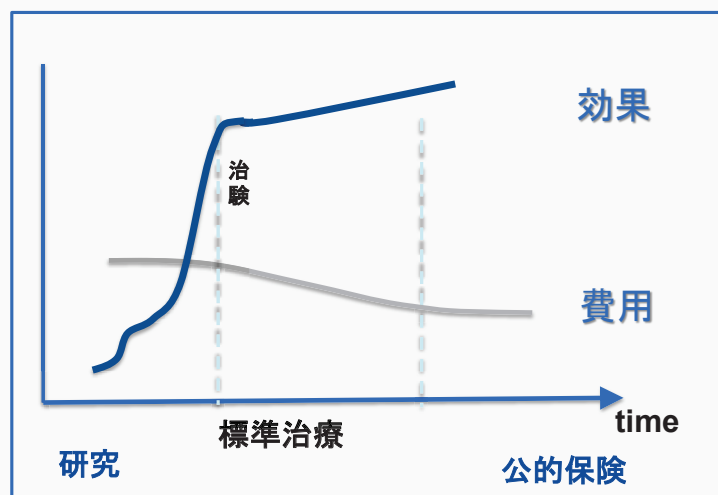
ガートナーの
ハイプサイクル

ビジネス・
テクノロジーの成熟

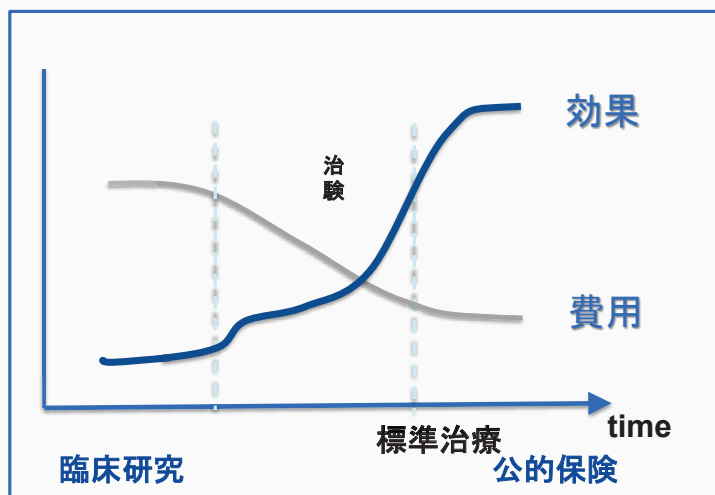
期待値レベル

薬の開発 vs 手術の開発

薬の開発



手術型再生医療開発

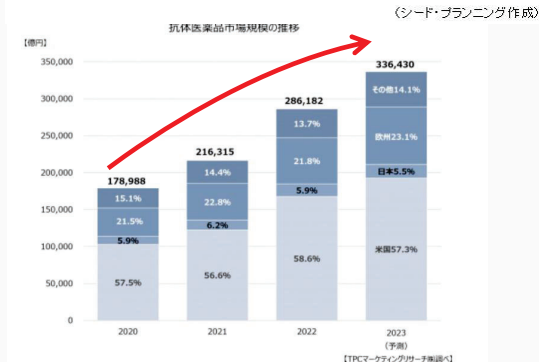


抗体医薬市場（予測と実際）

予測
(日本)

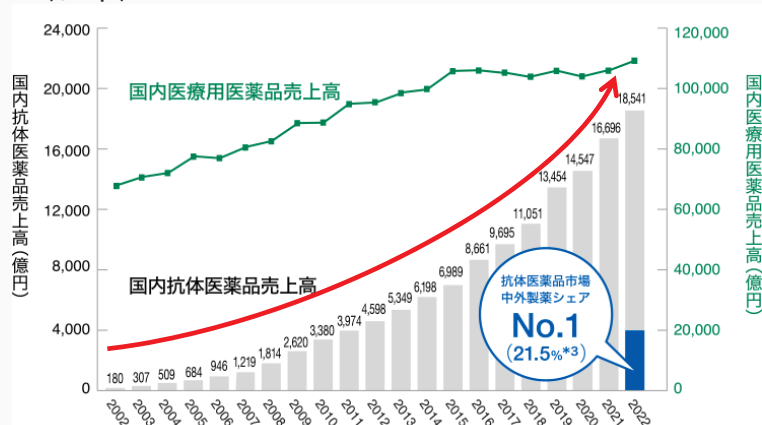


予測
(世界)



2020年の日本 予測は5000億円、実際は1兆5000億円
さらに加速 (2022年は1.7兆円、2023年は1.85兆円)

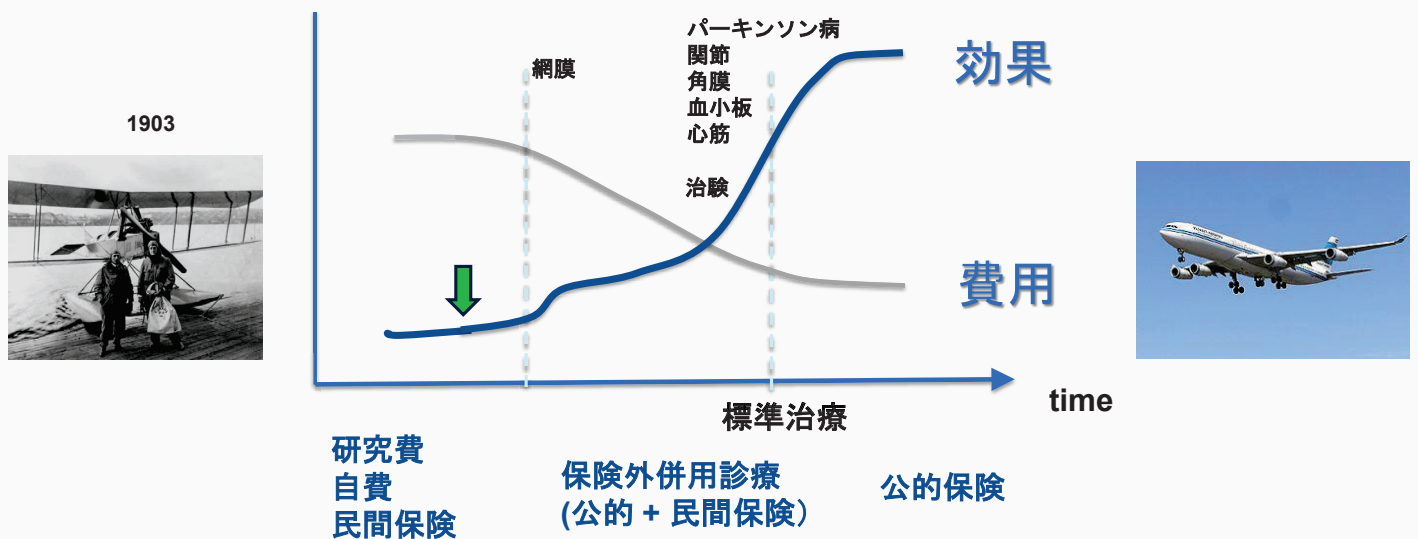
実際
(日本)



中外製薬HPより

Cost vs Benefit (手術を伴う再生医療)

内閣府「新しい資本主義によるグランドデザイン」「骨太の方針」のイメージ



成功している再生医療は臨床研究から先進医療で治療を完成させて治験を行っている。

iPS-RPE移植の変遷

合計 10 症例 (全例他に治療法がなく悪化する症例)

- ・ 手術含め重篤な合併症なし
- ・ 全例で細胞の長期生着達成
- ・ 全例で視機能維持 (視覚の延命、本来目的とする効果)
- ・ 10例中 2 例で移植がなければその疾患ではありえない改善

細胞リスク
解決！

1 例 加齢黄斑変性

世界初
の応用

自家
iPSC-derived
RPE シート,
2013.08-2015.09



HLA 6 loci match
w/o 免疫抑制なし

6 例 加齢黄斑変性

同種 (他家)
iPSC-derived
RPE 懸濁液
2017.03-2018.09



手術リスク
解決！

3 例 加齢黄斑変性 & 網膜色素変性

with 免疫抑制あり
同種 (他家)
iPSC-derived
RPE 凝集紐
2022 - 2023



免疫抑制剤リスク
解決！

最終製品

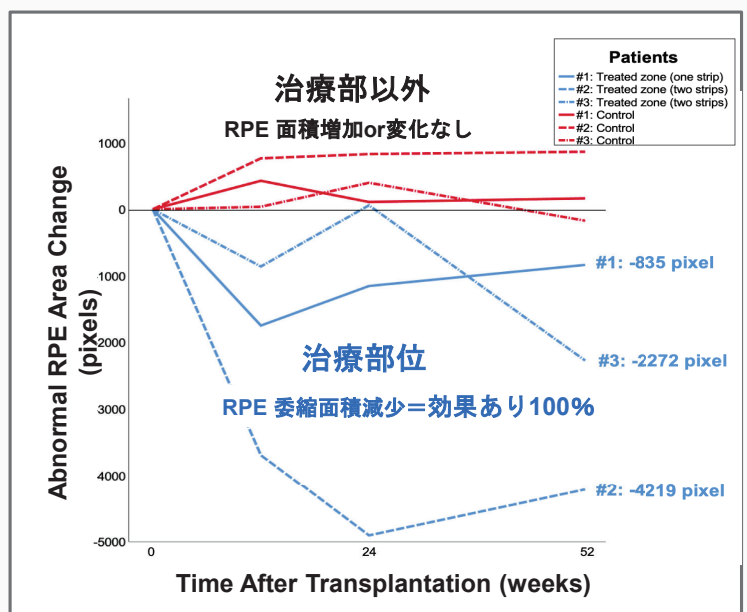
HLA partially KO
RPE strip

過去10年は剤形決定や症例検討に必要なだった

RPE細胞移植の効果と安全性

効果: RPE委縮面積の縮小=その部位の視機能維持(視覚の延命効果) 100%(3例)で達成

眼の有害事象	凝集紐臨床研究 (n=3)	RPE 懸濁液 (n = 5)
黄斑前膜 (手術による除去)	1 (33%) 0	3 (60%) 1 (20%)
黄斑浮腫	1 (33%)	1 (8%)
網膜下液	0	0
網膜出血	0	0
RPE剥離	0	0
脈絡膜新生血管	0	0
網膜分離症	0	0
網膜裂孔	0	0
網膜下増殖膜	0	0
黄斑円孔	0	1



iPS-RPE移植の変遷

合計 10 症例 (全例他に治療法がなく悪化する症例)

- 手術含め重篤な合併症なし
- 全例で細胞の長期生着達成
- 全例で視機能維持 (視覚の延命、本来目的とする効果)
- 10例中 2 例で移植がなければその疾患ではありえない改善

**細胞リスク
解決!**

1 例 加齢黄斑変性

世界初
の応用

自家
iPSC-derived
RPE シート,
2013.08-2015.09



HLA 6 loci match
w/o 免疫抑制なし

6 例 加齢黄斑変性

同種 (他家)
iPSC-derived
RPE 懸濁液
2017.03-2018.09



**手術リスク
解決!**

**免疫抑制剤リスク
解決!**

最終製品

HLA partially KO
RPE strip

3 例 加齢黄斑変性 & 網膜色素変性

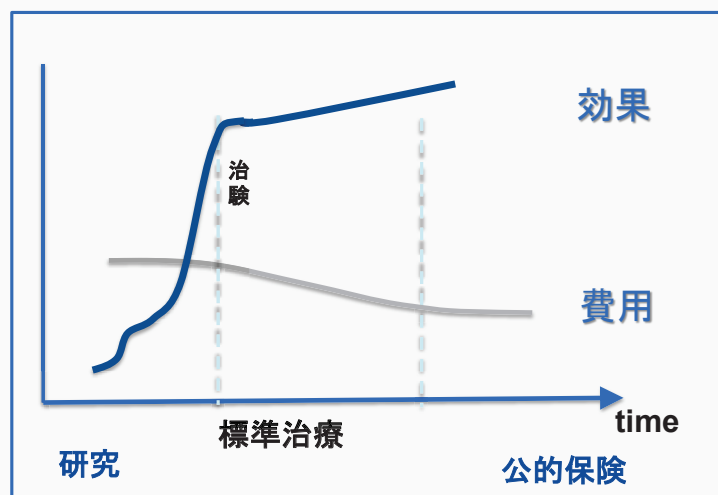
with 免疫抑制あり
同種 (他家)
iPSC-derived
RPE 凝集紐
2022 - 2023



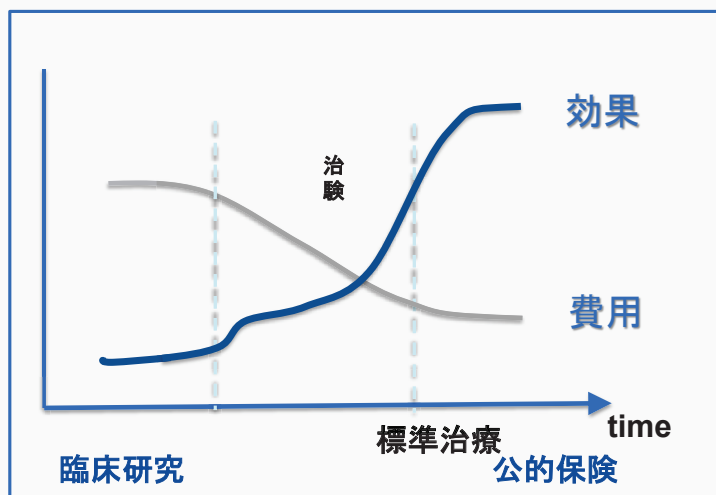
過去10年は剤形決定や症例検討に必要なだった

薬の開発 vs 手術の開発

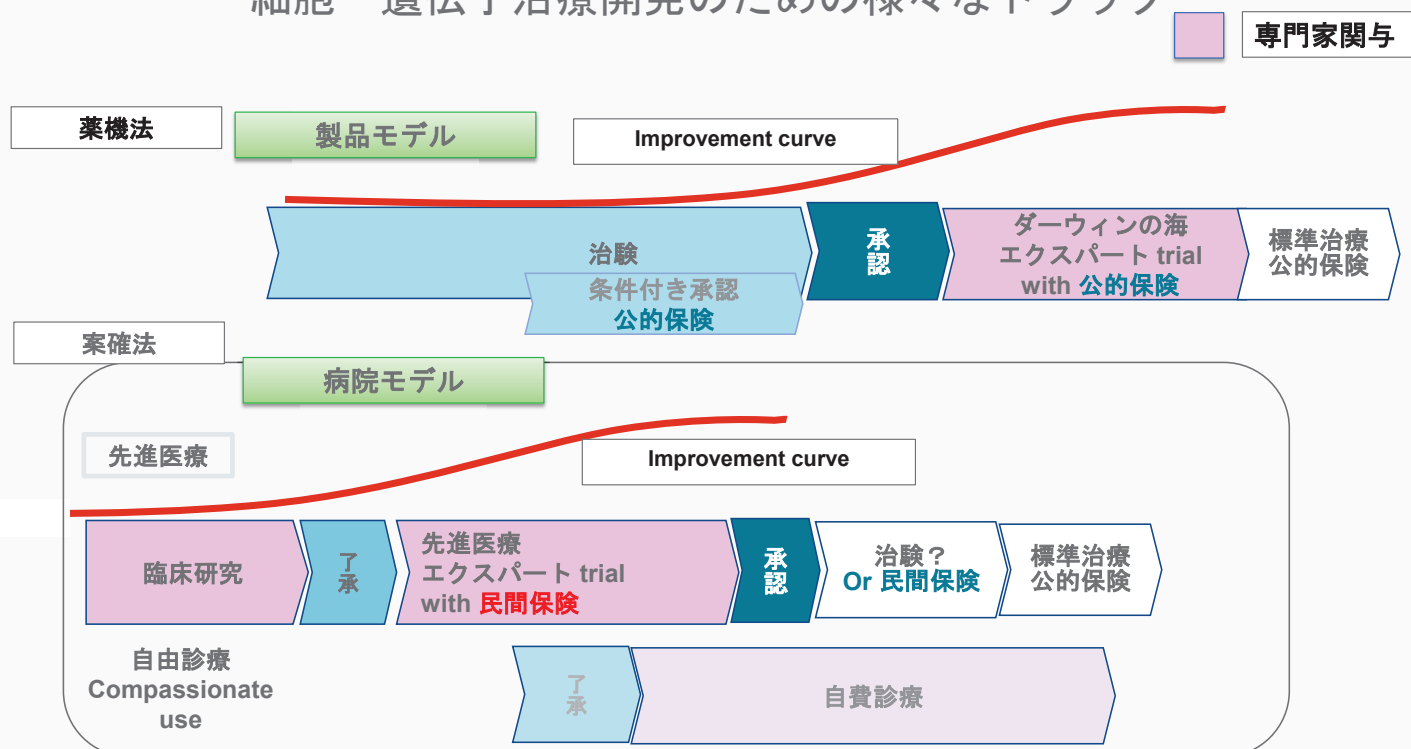
薬の開発



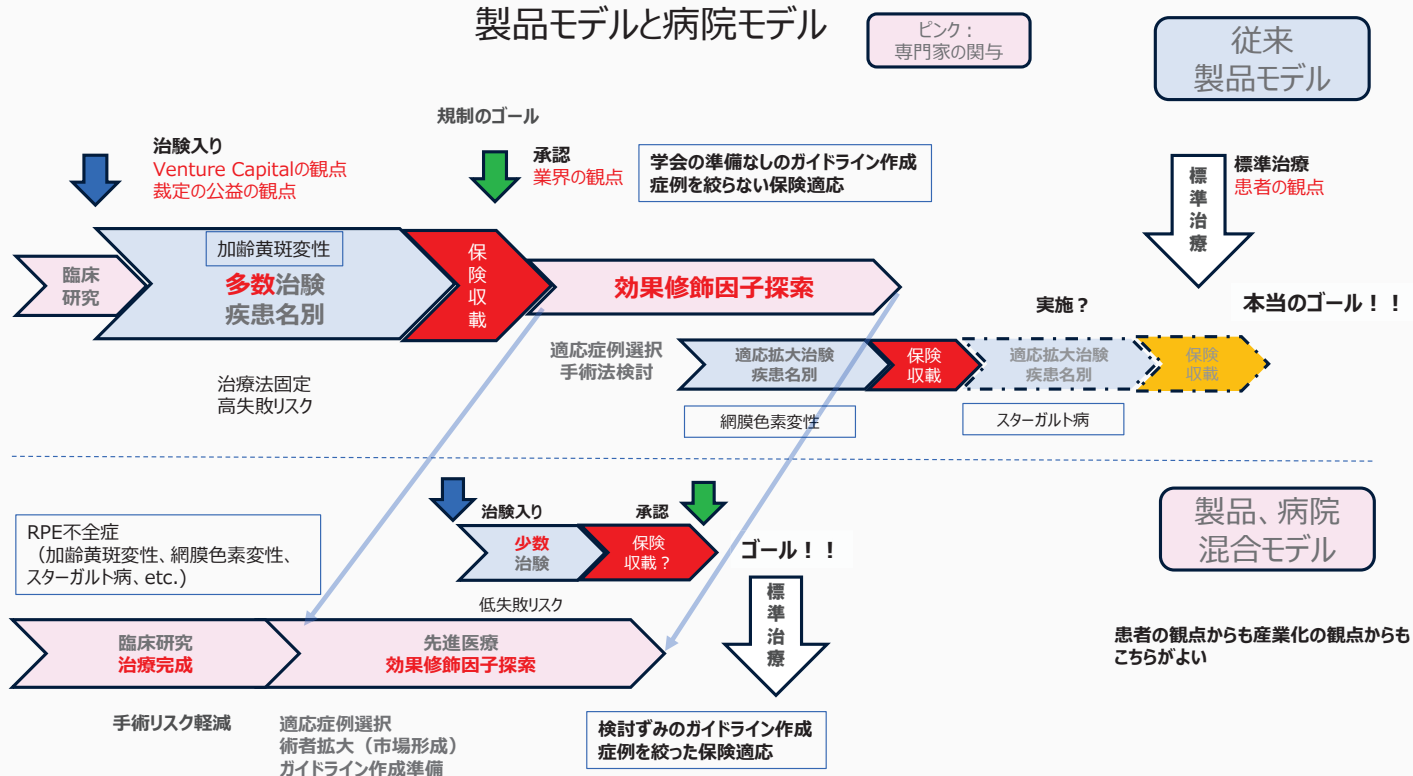
手術型再生医療開発



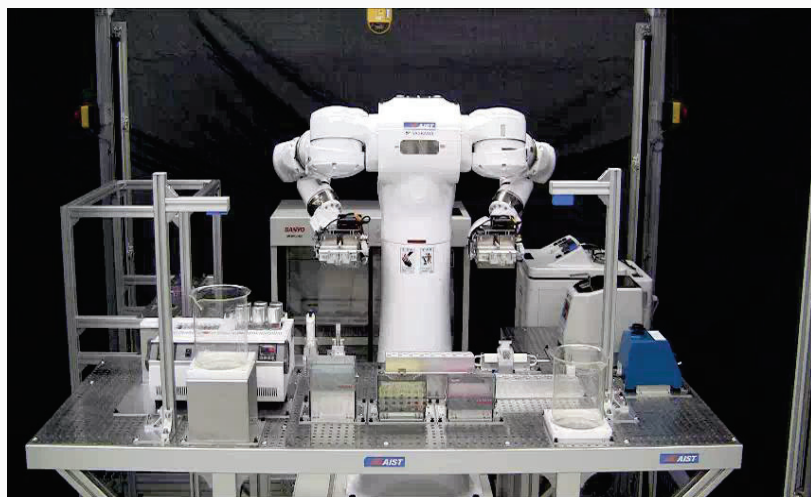
細胞・遺伝子治療開発のための様々なトラック



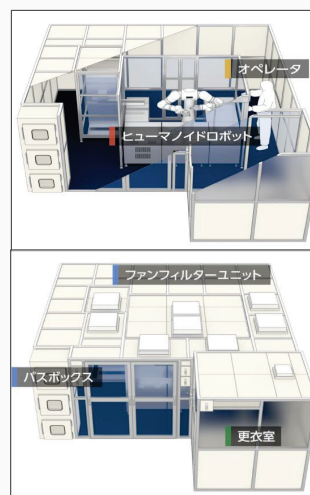
製品モデルと病院モデル

ロボットによる世界初の臨床細胞製造
(2022)

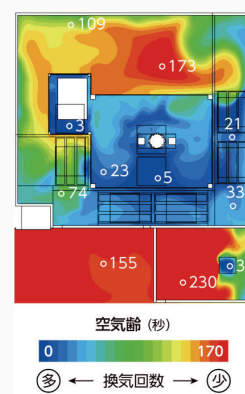
ヒューマノイドロボットMaholo;
©RBI Inc. YASKAWA



ハーフオープンブース

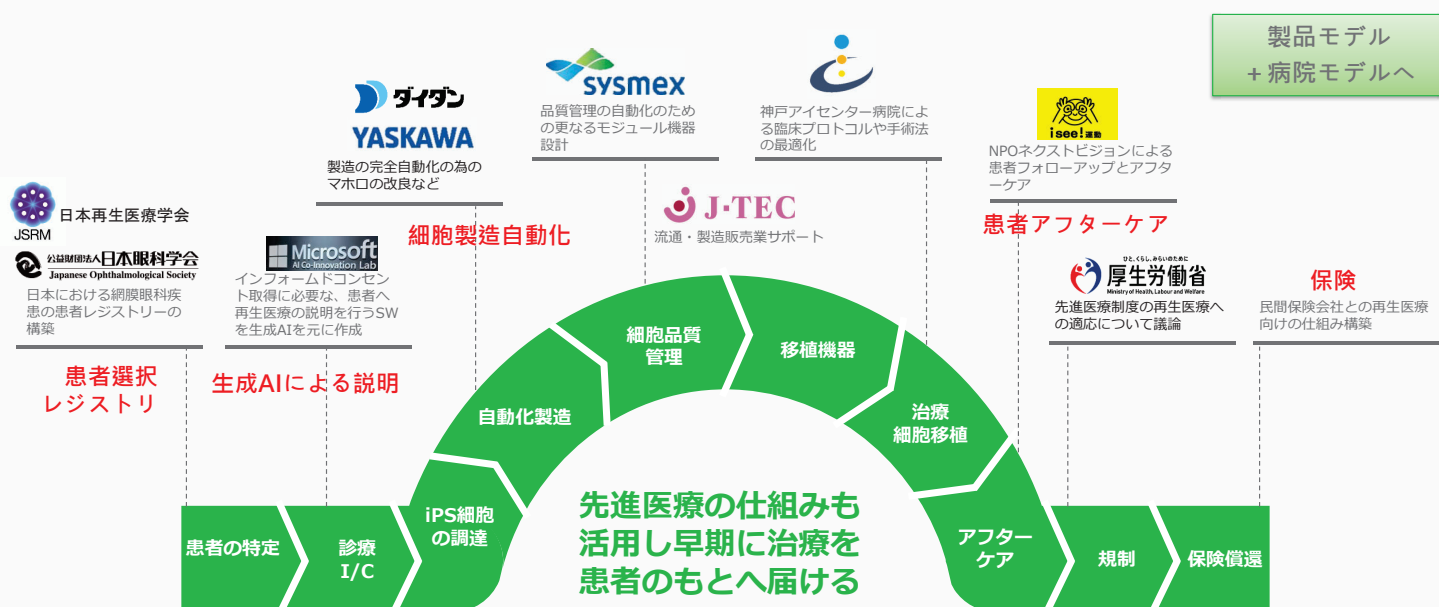


エアコントロール



(寺田ら、スラス・テクノロジー、2024)。

協力会社との連携により製品のみでなく既に治療全体を標準化



視細胞移植

(網膜オルガノイド移植)

POC実証

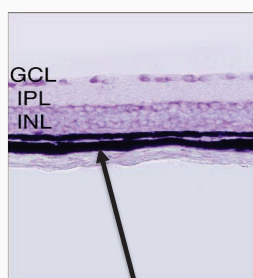
末期網膜変性症に対するES/iPSC由来網膜オルガノイドの移植



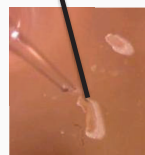
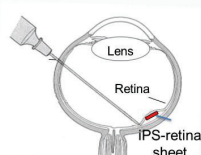
万代道子

網膜横断面
Rd1疾患モデルマウス

進行性網膜変性
＝視細胞の完全喪失

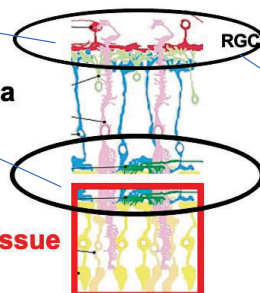


移植



Host retina

Graft tissue



ヒト臨床研究

動物における行動試験

宿主ニューロンの応答
電気生理学的試験

宿主-移植片シナプス形成

移植片の成熟

Assawachananont J et al *Stem Cell Reports*. 2014

白井ら *Proc Natl Acad Sci U S A*. 2016

万代ら *Stem Cell Reports*, 2017

Iraha et al. *Stem Cell Reports*, 2018

Tu and Watanabe et al *EBioMedicine*, 2019

網膜オルガノイド（全層）
60-90日齢

永楽ら *Nature* 2011

中野ら *Cell Stem Cell* 2012

Kuwahara et al. *Nature Communications* 2015

Kuwahara, Yamasaki et al. *Scientific Reports* 2019

渡、山崎ら *Communications Biology* 2023

19

光受容体移植

網膜オルガノイド移植後の生着 2例

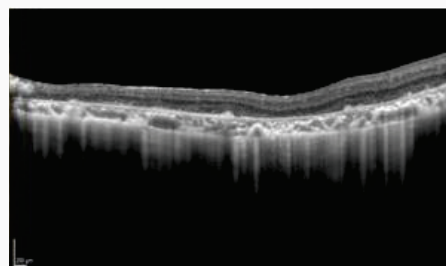
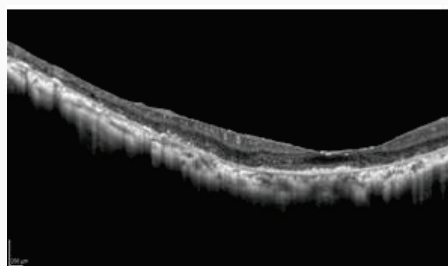
Kobe Eye Center

平見ら *Cell Stem Cell*, 2023

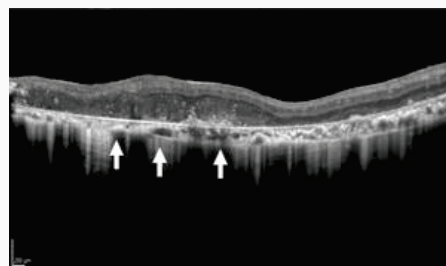
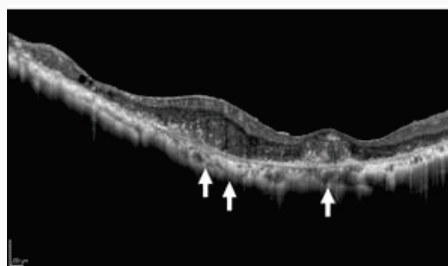
症例1：EYS G843E変異、67歳

症例2：遺伝子不明、42歳

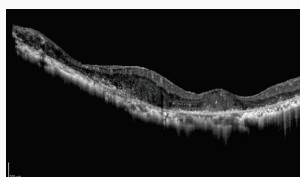
移植前



術後6か月



12ヶ月



次世代に向けたゲノム編集網膜オルガノイド

山崎ら *iScience*, 2021

ホスト-移植片接続性の改善のためのゲノム編集網膜オルガノイド

宿主:SD-Foxn1 Tg(S334ter)3Lav.

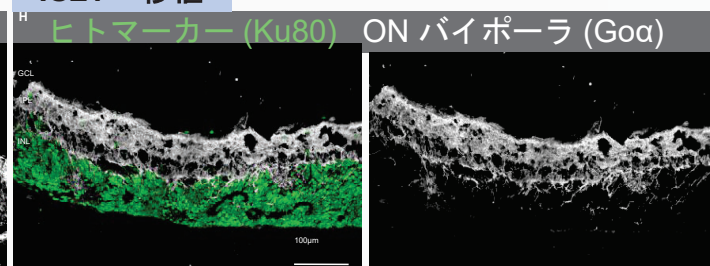
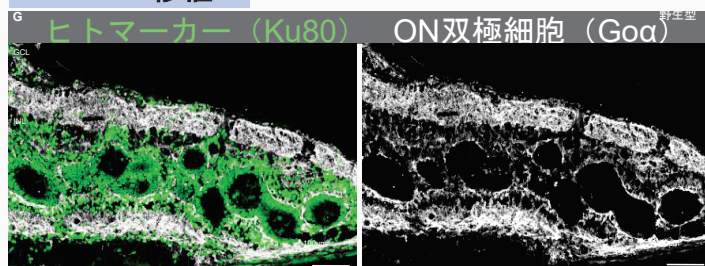
非ゲノム編集網膜移植片

ゲノム編集された移植片と
宿主細胞細胞との接触ゲノム編集
ISL1^{-/-}
オルガノイド

宿主網膜

移植双極細胞(BC)

移植された光受容体

ISL1^{+/+} 移植*ISL1*^{-/-} 移植宿主
移植

21

次世代に向けたゲノム編集網膜オルガノイド

尾崎ら *bioRxiv*掲載

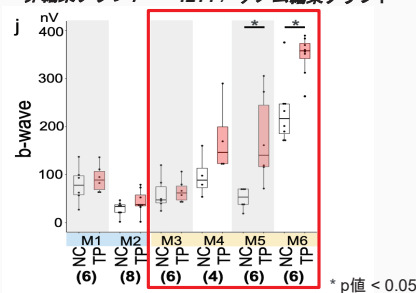
ゲノム編集網膜オルガノイドがサルでの黄斑変性症における光応答を回復

マウスにおいて

ゲノム編集 (*ISL1*^{-/-}) 移植片により
シナプス数が倍増網膜感度がほぼ正常に近くまで向上
時間分解能5Hz未満 = 動きの感知

視機能向上の可能性が高まる

ホスト2次ニューロン応答

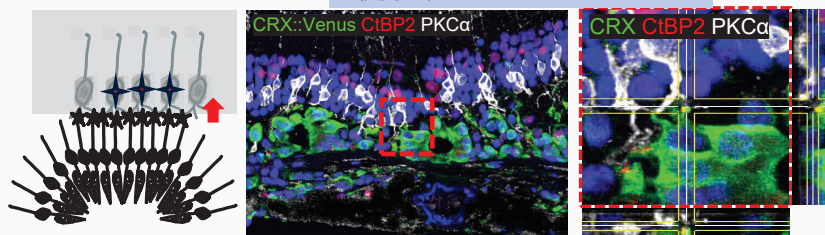
非編集グラフト *ISL1*^{-/-} ゲノム編集グラフト

正確なウィルコクソン順位和検定

サルにおいて

移植後1年

シナプス形成



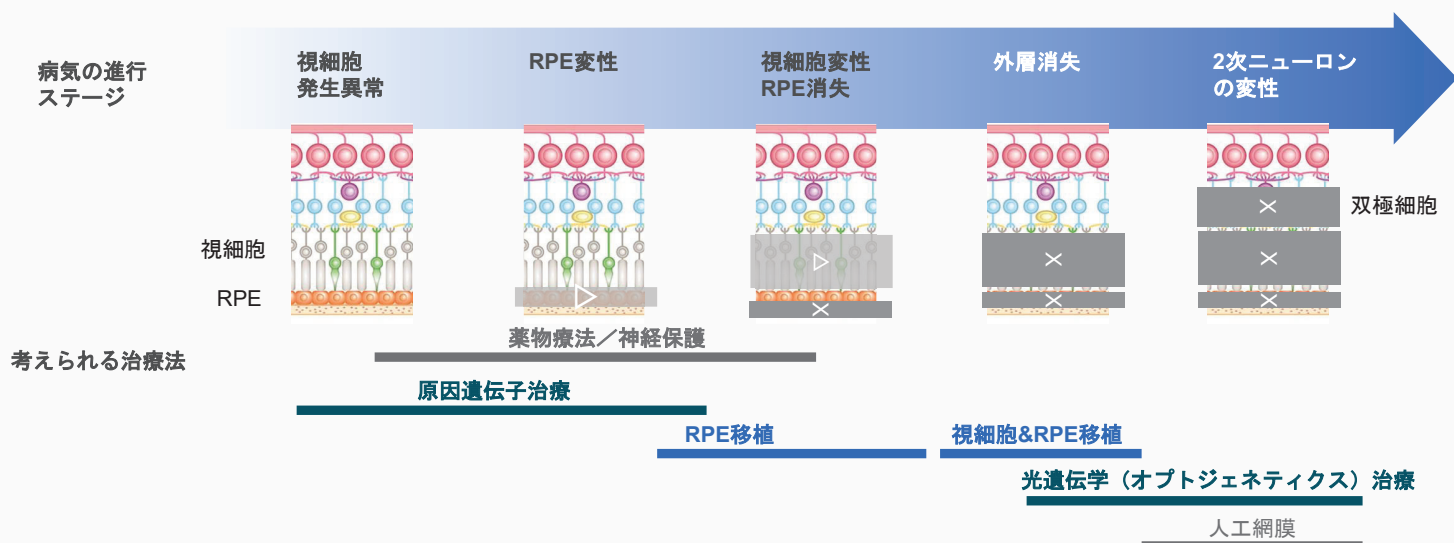
22

Our Solution

失われた細胞をiPS細胞から作成し、移植する再生治療



疾患事に製品を定義するのではなく、患者の病態を理解した治療選択が要
RPE不全症（加齢黄斑変性、網膜色素変性、などなど） ガイドライン作成中



従来の医薬品開発では一疾患に一医薬品が定石
 細胞治療が効用を最も効用を発揮するような病態の患者向けに提供する必要がある

The 25th Congress of the Japanese Society for Regenerative Medicine

第25回日本再生医療学会総会

会長 | 高橋 政代
VC Cell Therapy

会期 | 2026.03.19 (木) – 20 (金)

会場 | 神戸国際会議場・神戸国際展示場



JSRM

<https://site.convention.co.jp/jsrm2026>

希望の光を失わせない
Hope, Brighter Than Ever

International Society
ISCT
Cell & Gene Therapy®



JSRM

Special Feature:
The 1st ISCT-JSRM Joint
Symposium on Clinical iPS Cells
2026.03.21 (Sat)

International Society
ISCT
Cell & Gene Therapy®



JSRM