

AMED NC事業

February 7, 2026



日本と世界の再生医療の現状と今後の展望について

慶應義塾大学再生医療リサーチセンター 岡野 栄之

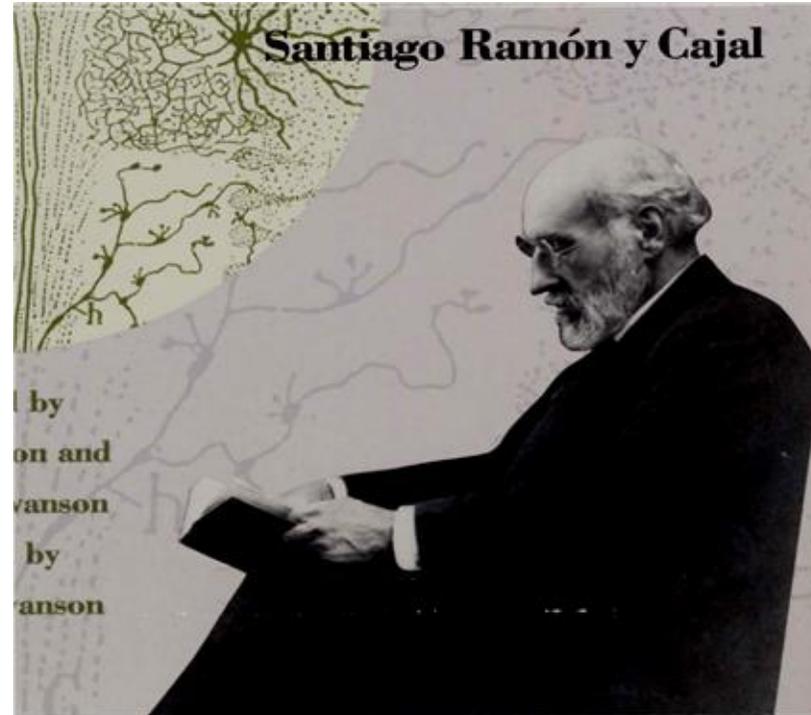
COI Disclosure: I am the founder Scientist of SanBio Co.Ltd. and K Pharma Inc.



大阪市長 中野 光彦

成臨丸
入港百年
記念
碑

神経幹細胞を用いた脊髄損傷の再生医療



幹細胞を用いた
脊髄損傷への挑戦

”一旦損傷した中枢神経系は、二度と再生しない(Ramón y Cajal, 1928)

iPS細胞・幹細胞・ES細胞とは？

		幹細胞種		
		体性幹細胞	ES細胞	iPS細胞
	由来	体内に存在	胚を壊して作製	体細胞から作製
特徴	分化能力	限定的	多能性	多能性
	生命論理問題 (胚利用に関する問題)	問題なし	問題あり	問題なし
	拒絶反応の有無 医療応用上の問題	自己細胞の場合: 無 他家細胞の場合: 有 生体外での増力・維持に課題	有 (体細胞由来ES細胞の 場合: 無) 腫瘍化の可能性あり	自己細胞の場合: 無 他家細胞の場合: 有 腫瘍化の可能性あり

出典：文部科学省「平成25年版科学技術白書」

「アクーゴ®脳内移植用注」（一般名：バンデフィテムセル）の製品特性

- ① Notch-1タンパク質の細胞内ドメイン（NICD）をコードする遺伝子を含むプラスミドをヒト骨髄由来間葉系幹細胞（MSC）に導入した再生医療等製品
- ② 線維芽細胞増殖因子-2（FGF-2）等の増殖因子の分泌が神経細胞の増殖を促進
- ③ 適応は外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善



この記事は会員限定記事です

脳の再生医療、国内初の実用化へ サンバイオが26年春にも製品出荷

医薬品・医療介護 [+ フォローする](#)

2025年10月16日 19:32 (2025年10月16日 21:11更新) [会員限定記事]

保存



バイオ新興のサンバイオは16日、脳損傷患者向け再生医療等製品「アクーゴ」について、同日開催の厚生労働省の専門部会が出荷を認めたと発表した。2024年7月に製造販売の条件・期限付き承認（早期承認）を得たが、出荷が制限されていた。品質データの追加提出で制限が解除され、脳分野では国内初の再生医療が実用化する。

サンバイオは製品の出荷時期を26年2月以降と見込む。



製品特性

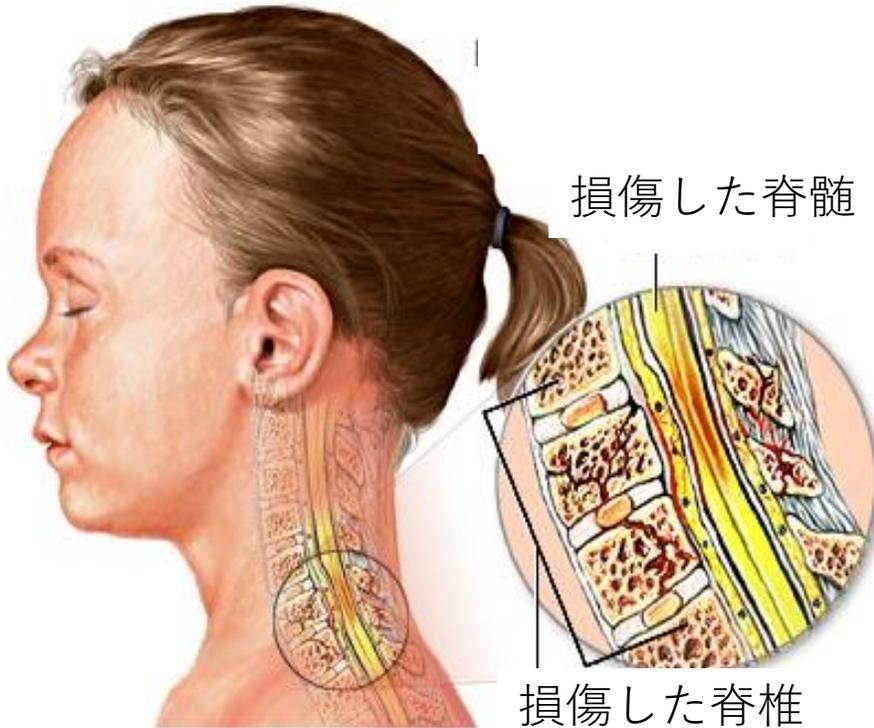
- ① Notch-1タンパク質の細胞内ドメイン（NICD）をコードする遺伝子を含むプラスミドをヒト骨髄由来間葉系幹細胞（MSC）に導入した再生医療等製品
- ② 線維芽細胞増殖因子-2（FGF-2）等の増殖因子の分泌が神経細胞の増殖を促進
- ③ 適応は外傷性脳損傷に伴う慢性期の運動麻痺の改善

条件期限付き承認： 安全性の確認、有効性の推定＋製造安定性

脊髄損傷とは？

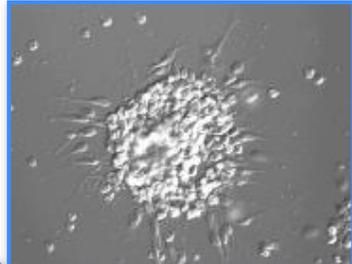


- 呼吸不全、呼吸筋麻痺
- 運動麻痺、歩行障害
- 知覚麻痺
- 膀胱直腸障害
- 筋萎縮、拘縮など



神経幹細胞を用いた脊髄損傷の再生医療-iPSC細胞技術が生まれる前の取り組み-

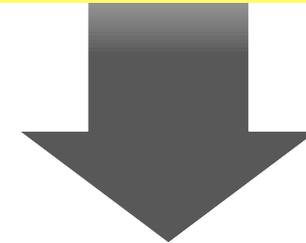
Before the Born of iPSC-technologies



神経幹細胞移植
(損傷後、数週間
以内が最適)

成体ラットの脊髄損傷に対するラット胎仔神経幹細胞の移植
Ogawa et al., 2002

霊長類（コモンマーモセット）脊髄損傷モデルへのヒト由来胎児神経幹細胞移植
Iwanami et al., 2005



臨床研究計画
ヒト由来胎児神経幹細胞移植の脊髄損傷患者への移植

2006年に発表された日本の「ヒト幹細胞を用いる臨床研究指針」では、
中絶胎児由来の細胞やヒトES細胞の使用は認められていなかった。

脊髄損傷への神経前駆細胞移植

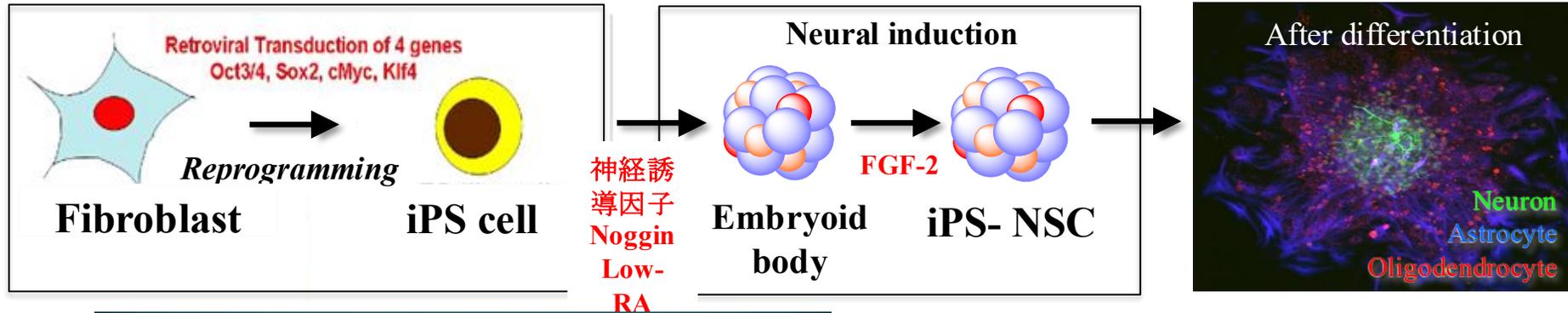
	Start Year	Cell Source	Developer	Target Stage	Phase	Notes
Fetal-derived	2011	Fetal brain-derived NSCs (HuCNS-SC)	StemCells Inc. (USA)	Subacute thoracic SCI	I/II	Safe; limited sensory/motor improvement.
	2014	Fetal brain-derived NSCs (HuCNS-SC)	StemCells Inc. (USA)	Chronic cervical SCI	II	Early trend not sustained; terminated for futility.
	2014	Fetal spinal cord-derived NSCs (NSI-566)	Neuralstem (USA)	Chronic thoracic SCI	I	Safe; 3 of 4 showed improvement.
	2017	Fetal spinal cord-derived NSCs (NSI-566)	Neuralstem (USA)	Chronic cervical SCI	—	IRB-approved cervical expansion; results unpublished as of 2025.
	2015	Fetal brain-derived NS/PCs	Yonsei Univ. (Korea)	Acute~Chronic cervical SCI	I/IIa	Safe; AIS improvement in 5/19; comparative study with rehab-only group.
ESC-derived	2010	Human ESC-derived OPCs (GRNOPC1)	Geron (USA)	Acute SCI	I	First-ever hESC-based SCI trial; stopped due to company reprioritization.
	2015	Human ESC-derived OPCs (AST-OPC1)	Asterias → Lineage (USA)	Subacute cervical SCI	I/IIa	Safe; 96% showed motor gain; no tumors.
	2025	Human ESC-derived OPCs (LCTOPC1)	Lineage (USA)	Subacute/Chronic SCI	I	Includes chronic SCI; novel injection method tested.
	2021	Human ESC-derived NPCs (PSA-NCAM+)	S.Biomedics (Korea)	Subacute cervical SCI	I/II	Intrathecal (not intraparenchymal) injection; safety/efficacy under evaluation.
iPSC-derived	2021	Human iPSC-derived NS/PCs	Keio Univ. (Japan)	Subacute SCI	I	Safety/efficacy under evaluation; first hiPSC-NS/PC trial.

Clinical trial of NS/PC or OPC transplantation in the world

Ogaki et al. Stem Cells Translational Med, 2026



マウスiPS細胞を用いたマウス脊髄損傷の治療



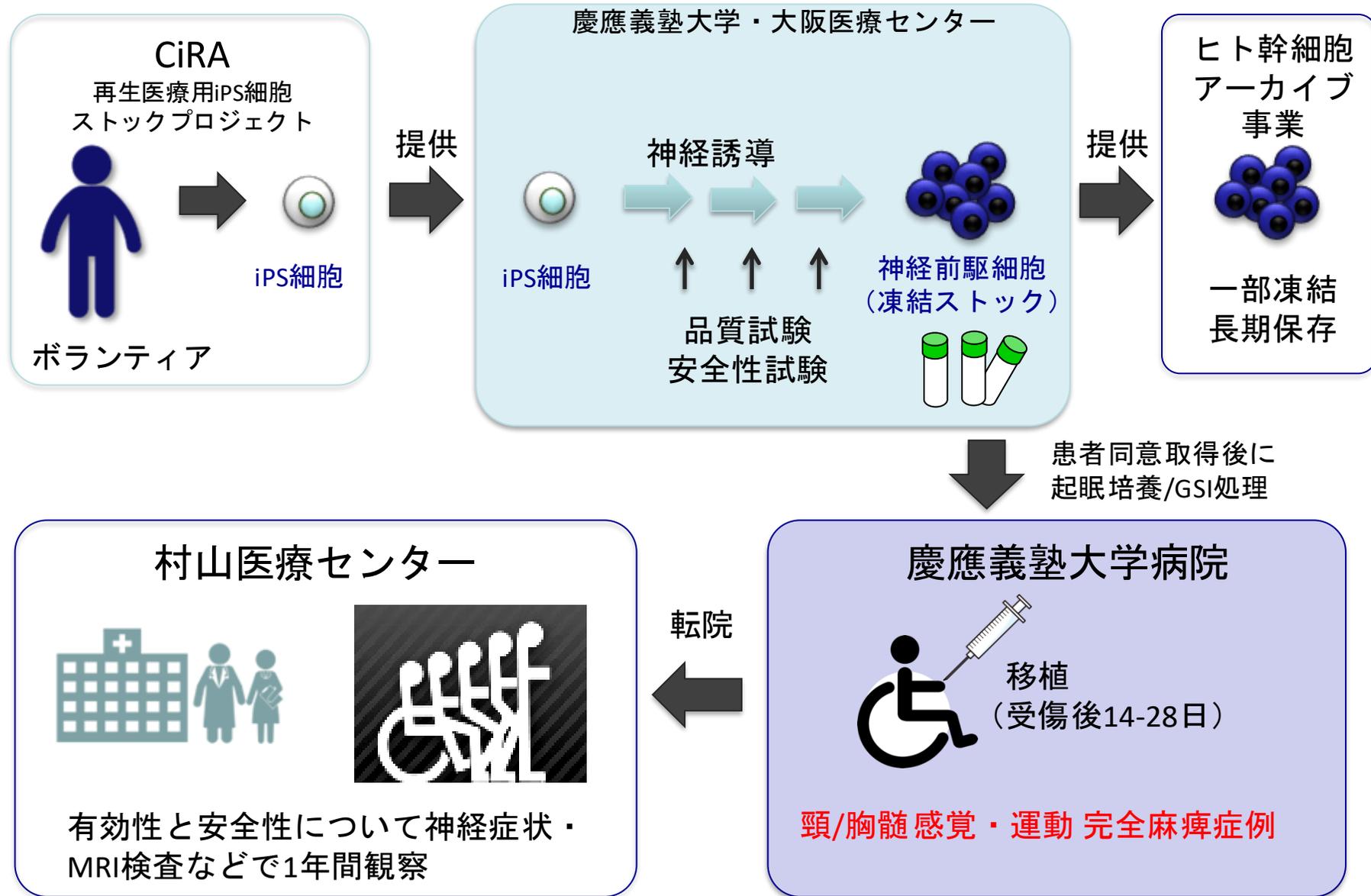
Okada et al. *Stem Cells*, 2008; Naka et al. *Nature Neuroscience*, 2008

Miura et al., *Nature Biotech*, 2009; Tsuji et al., *PNAS*, 2010



iPS細胞を用いた脊髄損傷の再生医療：臨床研究計画の概要

2019年2月厚生労働省にて、第1種再生医療提供計画（臨床研究）として承認



1 症例目への移植の概要



(1) 移植スケジュール

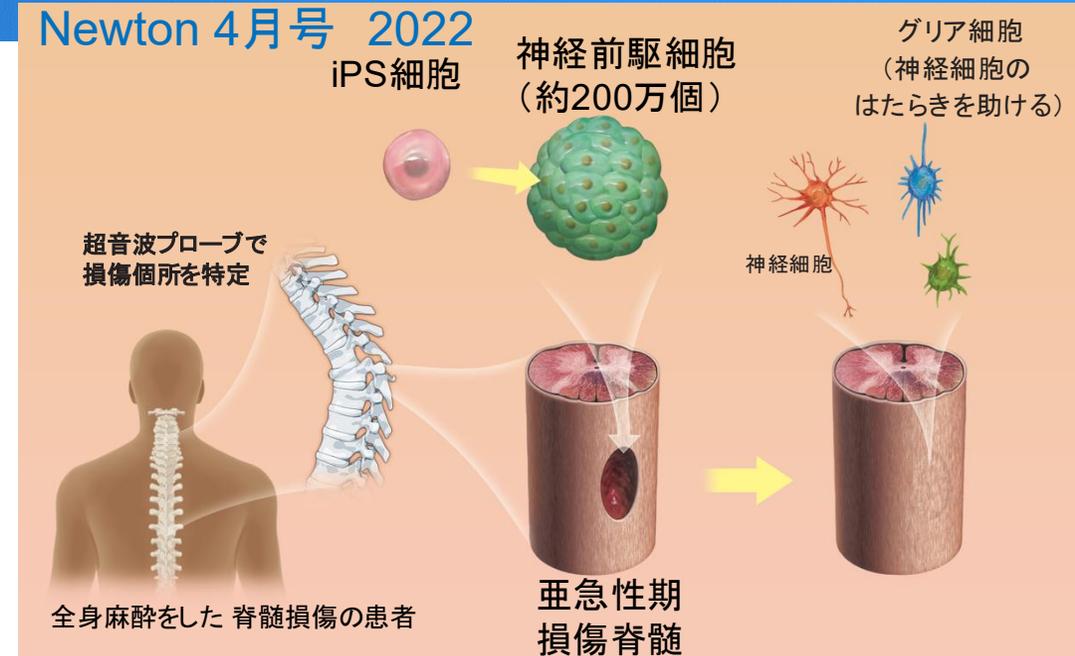
実施場所： 慶應義塾大学病院
実施時期： 2021年12月
対象者： 亜急性期脊髄損傷患者 1名
術者： 整形外科教室 中村雅也医師 他3名

(2) 手術方法

全身麻酔のもと、研究参加者は伏臥位の状態ですべての損傷部を展開。超音波プローブで脊髄損傷中心部の位置を確認したうえで、顕微鏡視下に硬膜・くも膜を切開して脊髄を露出し、細いシリンジにて約200万個(液体量で20 μ l)のヒトiPS-NS/PCを損傷中心部に移植した。60秒以上かけて細胞を注入し、3分間静置した後に針を抜去し、抜いた後に細胞の漏出がないことを確認。傷を閉じて手術終了

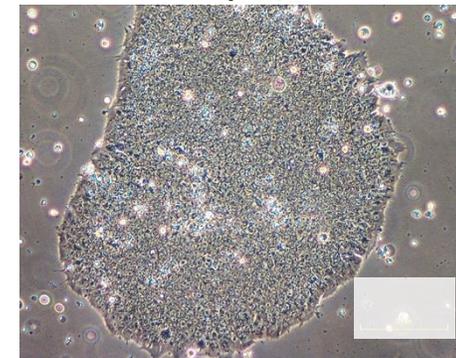
(3) 結果

手術中の電気生理学的検査にて、移植前後に異常なし。
手術翌日よりベッド上リハビリ開始、術後6日目から離床しリハビリ継続。
術後3週目のMRIで明らかな異常所見なく、経過良好である

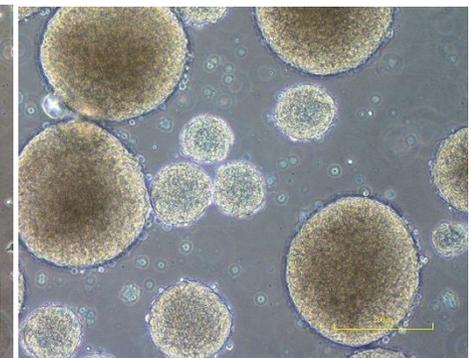


臨床グレード細胞

iPS細胞



iPS細胞由来神経前駆細胞





iPS細胞由来神経前駆細胞を用いた再生医療の展望

From Rare to Common

亜急性期脊髄損傷に対する臨床研究を開始する(慶應義塾大学病院) :

- 慢性期不完全脊髄損傷に対する医師主導治験
- 亜急性期脳梗塞に対する臨床研究
- 慢性期完全脊髄損傷に対する医師主導治験
- 慢性期脳梗塞に対する臨床研究

企業治験への移行

製薬企業と連携して薬機法に基づく承認の取得、社会実装を目指す

さらなる適応拡大

- 慢性圧迫性脊髄障害 (後縦靭帯骨化症など)
- 脊髄疾患 (脊髄空洞症、脊髄変性疾患など)
- 髄鞘関連疾患 (多発性硬化症・白質形成不全症など)
- 一部の神経変性疾患 (ハンチントン病など)
- 血管性認知症



後縦靭帯骨化症



脊髄空洞症

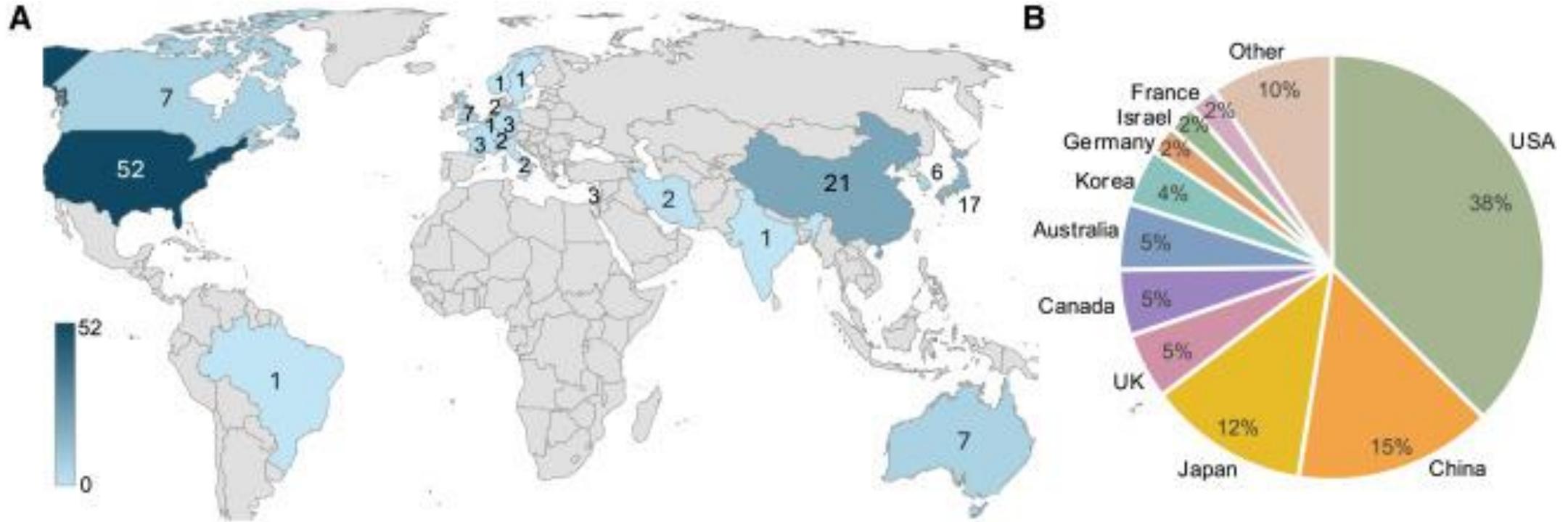
iPS細胞を用いた再生医療の今後の課題

1. 世界各国における多能性幹細胞を用いた臨床試験の現状
2. iPS細胞を用いた再生医療と免疫学的制御
3. 安全性に主眼をおいた臨床用iPS細胞の品質基準
4. iPS細胞再生医療におけるAI技術の活用

世界各国における多能性幹細胞を用いた臨床試験の現状

Kirkeby et al., Cell Stem Cell, 2025

Carpenter & Ludwig, Stem Cell Reports, 2026



1. 2024年12月現在、世界中で実施されている115件の臨床試験において、合計83種類のhPSC由来製品が試験段階にあり、38の異なった適応に使われている(46件の試験が終了)。

2. これまで12,22人の被験者に 4×10^{11} 個の細胞が導入されている。これまで安全性の問題は指摘されていないものの、厳密な意味で有効性が証明されたものはない(推定は可能)。そのほとんどが、early phase (Phase I-IIa)にある。

注目: 多能性幹細胞を用いた 再生医療の世界初の承認は？

3. これまでの臨床試験で用いられてきた細胞株数は、hES細胞は19株、hiPS細胞は5株である。現在、臨床試験に使える細胞株数(hES細胞 40株, hiPS細胞 126株)

Beyond Phase 2 trial using PSCs

THE NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

ORIGINAL ARTICLE

Stem Cell–Derived, Fully Differentiated Islets for Type 1 Diabetes

T.W. Reichman,¹ J.F. Markmann,² J. Odorico,³ P. Witkowski,⁴ J.J. Fung,⁴ M. Wijkstrom,⁵ F. Kandeel,⁶ E.J.P. de Koning,⁷ A.L. Peters,⁸ C. Mathieu,⁹ L.S. Kean,¹⁰ B.G. Bruinsma,¹¹ C. Wang,¹¹ M. Mascia,¹¹ B. Sanna,¹¹ G. Marigowda,¹¹ F. Pagliuca,¹¹ D. Melton,¹¹ C. Ricordi,¹² and M.R. Rickels,² for the VX-880-101 FORWARD Study Group*

Reichman et al., N Engl J Med. 2025 Sep 4;393(9):858-868.

- 本研究は、同種多能性幹細胞から分化誘導された膵島細胞製剤「zimislecel (VX-880)」を、重症低血糖を反復する1型糖尿病患者に単回門脈内投与した第1-2相試験である。
- 14例が12か月以上追跡され、全例でCペプチドが検出され膵島機能の生着が確認された。
- フルドーズ投与12例では、重症低血糖イベントは消失し、HbA1cは全例7%未満、10例(83%)でインスリン離脱が達成された。短期・小規模試験ではあるが、生理的膵島機能回復の可能性が示された。

(Limitations)

- 非対照・非盲検試験
- 観察期間は最大12か月の中間解析
- 免疫抑制療法が必須であり長期安全性は未確立

iPS細胞を用いた再生医療と免疫学的制御

- 自家iPS細胞移植

Mandai et al. **N Engl J Med.** 2017. PMID: 28296613

Schweitzer et al. **N Engl J Med.** 2020. PMID: 32402162

- HLAホモ・スーパードナー由来iPS細胞ストック

Yoshida et al., **Med.** 2023. PMID: 36395757

- Hypoimmunogenic iPS 細胞

Carlsson et al. **N Engl J Med.** 2025. PMID: 40757665

Hypoimmunogenic iPS 細胞の成功例：

Survival of Transplanted Allogeneic Beta Cells with No Immunosuppression

Carlsson et al. N Engl J Med. 2025.

The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

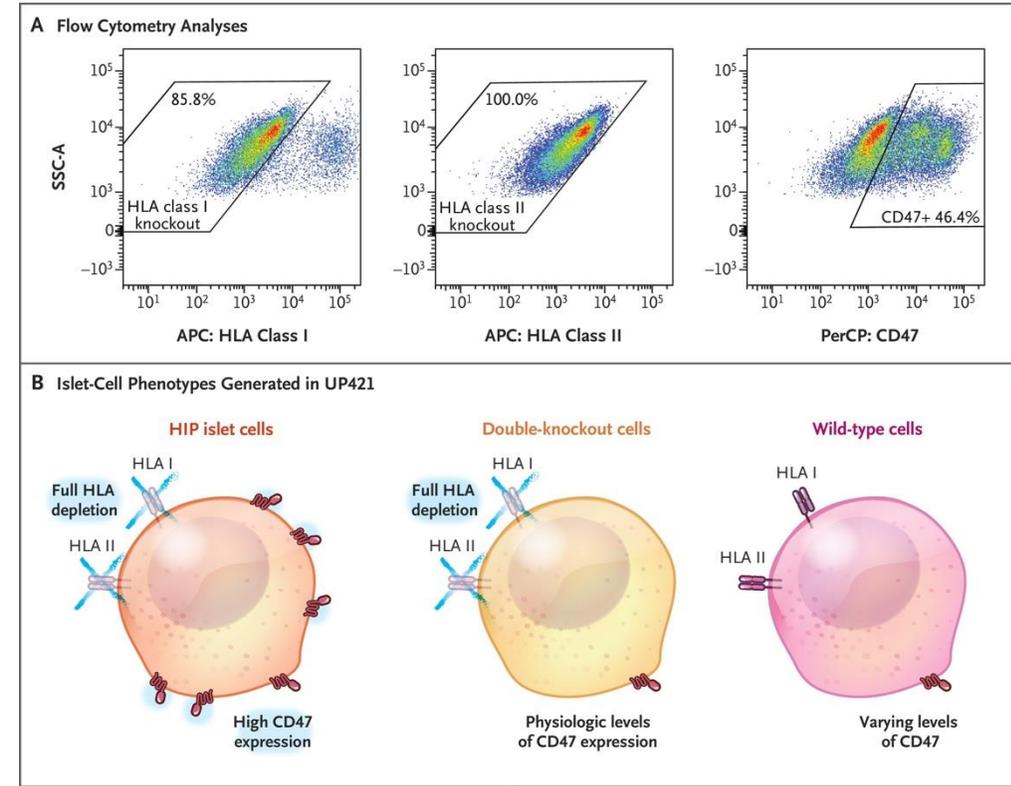
BRIEF REPORT

Survival of Transplanted Allogeneic Beta Cells with No Immunosuppression

Per-Ola Carlsson, M.D., Ph.D.,^{1,2} Xiaomeng Hu, Ph.D.,³ Hanne Scholz, Ph.D.,^{4,6} Sofie Ingvast, B.Sc.,⁵ Torbjörn Lundgren, M.D., Ph.D.,⁷ Tim Scholz, M.D., Ph.D.,³ Olof Eriksson, Ph.D.,³ Per Liss, M.D., Ph.D.,⁸ Di Yu, Ph.D.,⁶ Tobias Deuse, M.D.,¹⁰ Olle Korsgren, M.D., Ph.D.,⁴ and Sonja Schrepfer, M.D., Ph.D.¹

SUMMARY

The need to suppress a patient's immune system after the transplantation of allogeneic cells is associated with wide-ranging side effects. We report the outcomes of transplantation of genetically modified allogeneic donor islet cells into a man with long-standing type 1 diabetes. We used clustered regularly interspaced short palindromic repeats (CRISPR)–CRISPR-associated protein 12b (Cas12b) editing and lentiviral transduction to genetically edit the cells to avoid rejection; the cells were then transplanted into the participant's forearm muscle. He did not receive any immunosuppressive drugs and, at 12 weeks after transplantation, showed no immune response against the gene-edited cells. C-peptide measurements showed stable and glucose-responsive insulin secretion. A total of four adverse events occurred, none of which were serious or related to the study drug. (Funded by the Leona M. and Harry B. Helmsley Charitable Trust; EudraCT number, 2023-507988-19-00; ClinicalTrials.gov number, NCT06239636.)



HLA I, II knock-out + CD47 過剰発現

但し、これでもHypoimmunogenic cellsとして完璧ではない！

>> LOGOMIX社、CiRA細胞に期待

臨床用多能性幹細胞株ラインの評価

- **配布可能数**：臨床応用可能なPSCライン166系統
- **配布元**：例：CiRA財団、Cedars-Sinai医療財団
- **ライセンス情報**
- **臨床試験での使用**
- **インフォームド・コンセント情報**
- **樹立・保存のための品質管理システム**
- **ドナー適格性コンプライアンス**
- **規制当局への届出**

- **特性評価**
 1. 性別
 2. HLA
 3. 樹立方法
 4. 血液型
 5. シークエンシング

iPS細胞技術における AIの活用

Cellino Inc.

AI-Driven Optical Bioprocess:

- An Autonomous Biomanufacturing Technology for Autologous iPSC Production

Epistra

AI技術を用いた細胞培養プロセスの自動最適化、研究開発・実験条件の最適化

Best Practices for the Development of Pluripotent Stem Cell-Derived Cellular Therapies

- 包括的で双方向性のある文書
- 学術界・産業界の研究者および規制当局向けに設計
- 治療法の承認取得に不可欠な、トランスレーショナルパイプラインの重要領域と主要な意思決定ポイントに対応



LEARN MORE

Original Paper

Barry,..Sato, Okano, ...Bharti et al.,

Charting the translational pathway: ISSCR best practices for the development of PSC-derived therapies.

Stem Cell Reports. 2026

PMID: 41576937



INTERNATIONAL
SOCIETY FOR
STEM CELL
RESEARCH

Steering Committee

 Jacqueline Barry (co-chair), CGT Catapult, UK

 Kapil Bharti (co-chair), National Institutes of Health, USA

 Ricardo Baptista, SmartCella, Sweden

 Melissa Carpenter, Carpenter Consulting, USA

 Derek Hei, Kenai Therapeutics, USA

 Ana Hidalgo-Simon, Leiden University Medical Center, Netherlands

 Deborah Hursh, Hursh Cell Therapy Consulting, LLC, USA

 Jung-Hyun Kim, Ajou University, Korea

 Tenneille Ludwig, WiCell Research Institute, USA

 Hideyuki Okano, Keio University School of Medicine, Japan

 John Rasko, Royal Prince Alfred Hospital, Australia

 Yoji Sato, National Institute of Health Sciences, Japan

 Glyn Stacey, International Stem Cell Banking Initiative, UK

 Clive Svendsen, Cedars Sinai Regenerative Medicine Institute, USA





2024年4月国内の新天地へ！ 慶應義塾大学再生医療リサーチセンター開設

Keio University
Regenerative Medicine Research Center



羽田-殿町



Boston