

2025年2月13日

報道関係者各位

慶應義塾大学医学部
慶應義塾大学病院

世界初の視覚再生治療製剤を目指した治験で1例目の患者への投与を完了

世界初の視覚再生治療製剤の実現へ

慶應義塾大学医学部眼科学教室と名古屋工業大学の共同研究に基づき株式会社レストアビジョンによって開発された視覚再生治療製剤「RV-001（注1）」の企業治験において、1例目の患者への投与が2025年2月6日、慶應義塾大学病院にて実施されました。

本治験は、遺伝性網膜疾患である重症網膜色素変性症の患者を対象に、「RV-001」の安全性および探索的有効性を評価することを目的としております。本治験の治療法は、手術を必要としない低侵襲な眼内注射により製剤を投与し、約半年間の経過観察を通じて慎重に評価が進められます。

本治験は、両大学の共同研究成果を慶應義塾大学発のスタートアップ企業である株式会社レストアビジョンが主導し、基礎研究から臨床応用への橋渡しを実現したものです。「RV-001」は視覚再生治療製剤として世界初の実用化を目指す試みであり、失明疾患に対する新たな治療法を提供する重要な一歩と位置付けられます。

1. 本研究開発の背景

網膜色素変性症（注2）などの遺伝性網膜疾患は、失明の主要原因であり、有効な治療法が確立されていないため、世界で約200万人以上の患者が苦しんでいます。そのため、近年さまざまな技術を応用した治療法の開発が活発に進められています。その一つが光遺伝学（オプトジェネティクス）（注3）という技術です。光遺伝学は光感受性タンパク質を用いて神経細胞を制御する技術で、遺伝性網膜疾患患者の残存する網膜神経細胞に光感受性を持たせることで視覚機能の再生を目指します。従来の光感受性タンパク質を活性化させるには非常に強い光が必要で、実用化には課題がありました。この課題を克服するため、名古屋工業大学の神取秀樹教授らによる「キメラロドプシン（注4）」の技術を活用し、栗原俊英准教授らが高感度な視覚再生遺伝子治療法として動物モデルを用いた有効性を示してきました。これらの基礎研究成果をもとに、その特許技術の独占的実施権を有する株式会社レストアビジョンが治療製剤の開発を推進した結果、2024年12月26日 慶應義塾大学病院治験審査委員会で承認、2025年1月7日 慶應義塾大学病院臨床研究ガバナンス委員会です承され、このたび治験に至り、1例目の患者への投与が完了しました。

2. 研究開発の概要

本治験は、重症網膜色素変性症の患者を対象に、治験製剤「RV-001」の安全性および探索的有効性を評価する第 I/II 相試験です（jRCT 登録番号：2033240611）。本治験では、組み入れ基準を満たし、同意が得られた成人患者 6～15 名を対象に、簡便かつ低侵襲な眼内注射による治験製剤の投与を実施し、約半年間にわたる経過観察を行います。投与には手術の必要はありません。

視覚再生治療製剤は、未だ世界で薬事承認例がなく、本治験はその道を切り開く挑戦として期待されています。

3. 特記事項

本研究は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）難治性疾患実用化研究事業「視覚再生遺伝子治療薬の非臨床 POC 取得および治験準備」、橋渡し研究戦略的推進プログラム「視覚再生遺伝子治療薬の研究開発」、橋渡し研究戦略的推進プログラム「オプトジェネティクスを利用した視覚再生」、JSPS 科研費 JP23K15939, JP21K16907, JP19K24053、慶應義塾大学福澤基金、株式会社レストアビジョン共同研究費又は委受託研究費「視覚再生遺伝子治療の研究開発」、「超低視力視覚者の視覚評価手法および臨床エンドポイントの探索」、「RV-001 の視覚再生データ取得」、日本失明予防協会一般研究助成、参天製薬創業者記念眼科医学研究基金、武田科学振興財団ビジョナリーリサーチ助成・継続助成（ホップ）、坂口光洋記念慶應義塾医学振興基金、慶應義塾大学医学部研究奨励費、慶應義塾大学博士課程学生研究支援プログラム（研究科推薦枠）、（全塾選抜枠）の支援によって行われました。

4. 本治験についてご理解いただきたいこと

本治験は、日本初の光遺伝学技術を応用した治療法であり、さらに「キメラロドプシン」を利用した治療としては世界初となります。そのため、本治験では重症網膜色素変性症という非常に限られた患者さんを対象とすることと、医療チームによる管理を徹底することによって、患者さんの安全を最優先に製剤の安全性を評価します。併せて製剤の有効性も探索的に評価します。本治験が計画通りに完了すれば、失明に対する新たな治療選択肢を提供する重要な一歩となり得ます。

【用語解説】

（注 1）RV-001：独自の光センサータンパク質である「キメラロドプシン」の遺伝子を網膜細胞に届けることで視覚再生を目指す遺伝子治療薬。視細胞が消失した網膜疾患を主な対象とし、簡便かつ低侵襲な眼内注射によって投与される。RV-001 は残存する介在神経細胞に光応答性を付与し、視覚機能の視覚再生を図ることを目的とした治療法である。

（注 2）網膜色素変性症：視力の低下と視野狭窄を特徴とする、進行性の失明難病。治療法が未確立であり、若年の失明原因トップを占める。

（注 3）光遺伝学（オプトジェネティクス）：光感受性タンパク質をコードする遺伝子を用いた、生体細胞に光反応性を付与する技術。

（注 4）キメラロドプシン：異なるタイプのロドプシンを組み合わせ、ヒトの視覚再生治療に最適化した光感受性タンパク質で、高感度な光応答性を有する。

※ご取材の際には、事前に下記までご一報くださいますようお願い申し上げます。

※本リリースは文部科学記者会、科学記者会、厚生労働記者会、厚生日比谷クラブ、本町記者会、各社科学部等に送信しております。

【本発表資料のお問い合わせ先】

慶應義塾大学医学部 眼科学教室

准教授 栗原 俊英（くりはら としひで）

TEL : 070-4921-5196 FAX : 03-5363-3274 E-mail : kurihara.z8@keio.jp

<http://lab.ophtal.med.keio.ac.jp/program/kuriharas-lab>

【視覚再生治療製剤「RV-001」に関すること】

株式会社レストアビジョン 広報担当

代表取締役 COO 宮崎 輝

E-mail : contact@restore-vis.com

<https://restore-vis.com/>

【本リリースの配信元】

慶應義塾大学信濃町キャンパス総務課：飯塚・岸

〒160-8582 東京都新宿区信濃町 35

TEL : 03-5363-3611 FAX : 03-5363-3612 E-mail : med-koho@adst.keio.ac.jp

<https://www.med.keio.ac.jp>