
iPS 細胞から作った細胞の移植で、目の難病の視機能が改善 ～レーバー先天性黒内障の新たな治療法に期待～

1. 概要

この度、神戸市立神戸アイセンター病院の研究グループは、iPS 細胞を用いた目の難病治療の研究で、大きな成果を上げましたことをご報告いたします。この研究成果をまとめた論文が、国際的な科学学術雑誌『American Journal of Ophthalmology Case Report』（オンライン版：7月9日）に掲載されましたので、以下の通りお知らせいたします。

【URL】 <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2451993625001367>

◆ どのような病気の研究ですか？

「RPE65」という遺伝子の変化が原因で起こる、生まれつき重い視覚障害があらわれる「レーバー先天性黒内障（LCA）」という遺伝性の網膜の病気です。この病気では、物を見るために重要な役割を担う「網膜色素上皮（RPE）細胞に存在する RPE65 酵素」がうまく働きません。

◆ どのような治療法ですか？

健康な iPS 細胞から作った「網膜色素上皮（RPE）細胞」を、患者さんの目の奥にある網膜の下に移植する治療法です。既存の RPE65 遺伝子補充療法（遺伝子治療）は、主に若い患者さんには効果が期待できますが、病気が進行した成人の方には限界がありました。今回の細胞移植は、そのような方々への新たな治療法として期待されています。

◆ どのような結果でしたか？

この治療を受けた40代の男性患者さんは、術後、光をかりうじて感じる状態から、視力0.01まで回復しました。この視力は4年間にわたって維持されています。また、視野の感度を調べる検査でも改善がみられました。

（※治療の過程で、眼圧が上がるなどの症状がありましたが、適切に対処し管理されました。）

◆ この研究の意義は？

iPS 細胞を用いた RPE 細胞移植が、特定のレーバー先天性黒内障の患者さん、特に既存の RPE65 遺伝子補充療法の対象とならない方々にとって、視機能を改善させる新たな治療の選択肢となる可能性を示しました。

2. 主な研究体制及び関連事項

- ・神戸市立神戸アイセンター病院

前田 亜希子（筆頭著者）

酒井 大輝

横田 聡

山本 翠

杉田 直

平見 恭彦

万代 道子

前田 忠郎

高橋 政代

栗本 康夫

○支援機関

日本医療研究開発機構 (AMED) 再生医療等実用化研究事業 (21bk0104118h0001)

○掲載論文情報

American Journal of Ophthalmology Case Report

URL : <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S2451993625001367>

以上