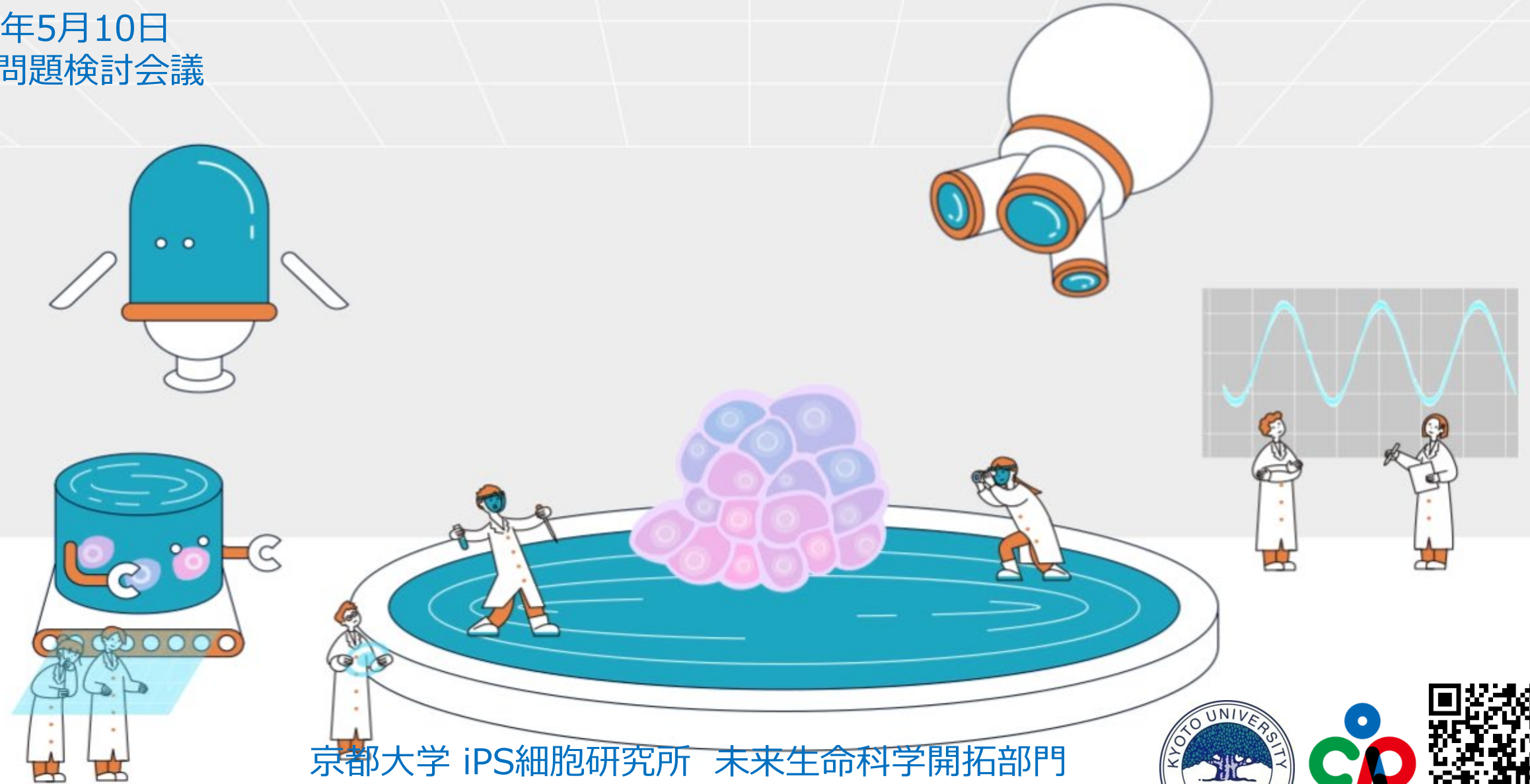


iPS細胞を用いた研究の現状と未来

2026年5月10日
ゲノム問題検討会議



京都大学 iPS細胞研究所 未来生命科学開拓部門
教授 高島 康弘



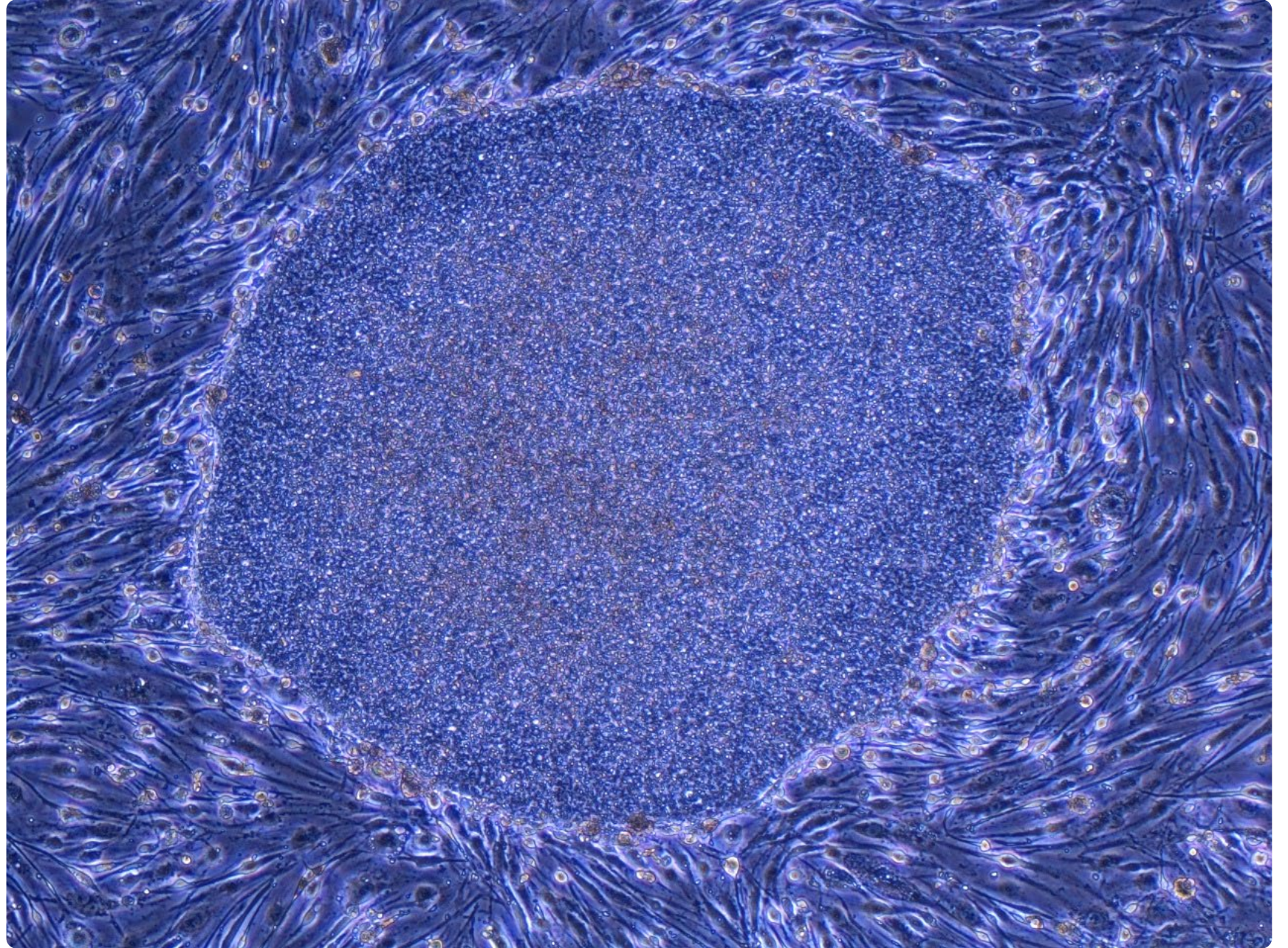
iPS細胞

人工多能性幹細胞, induced Pluripotent Stem Cell

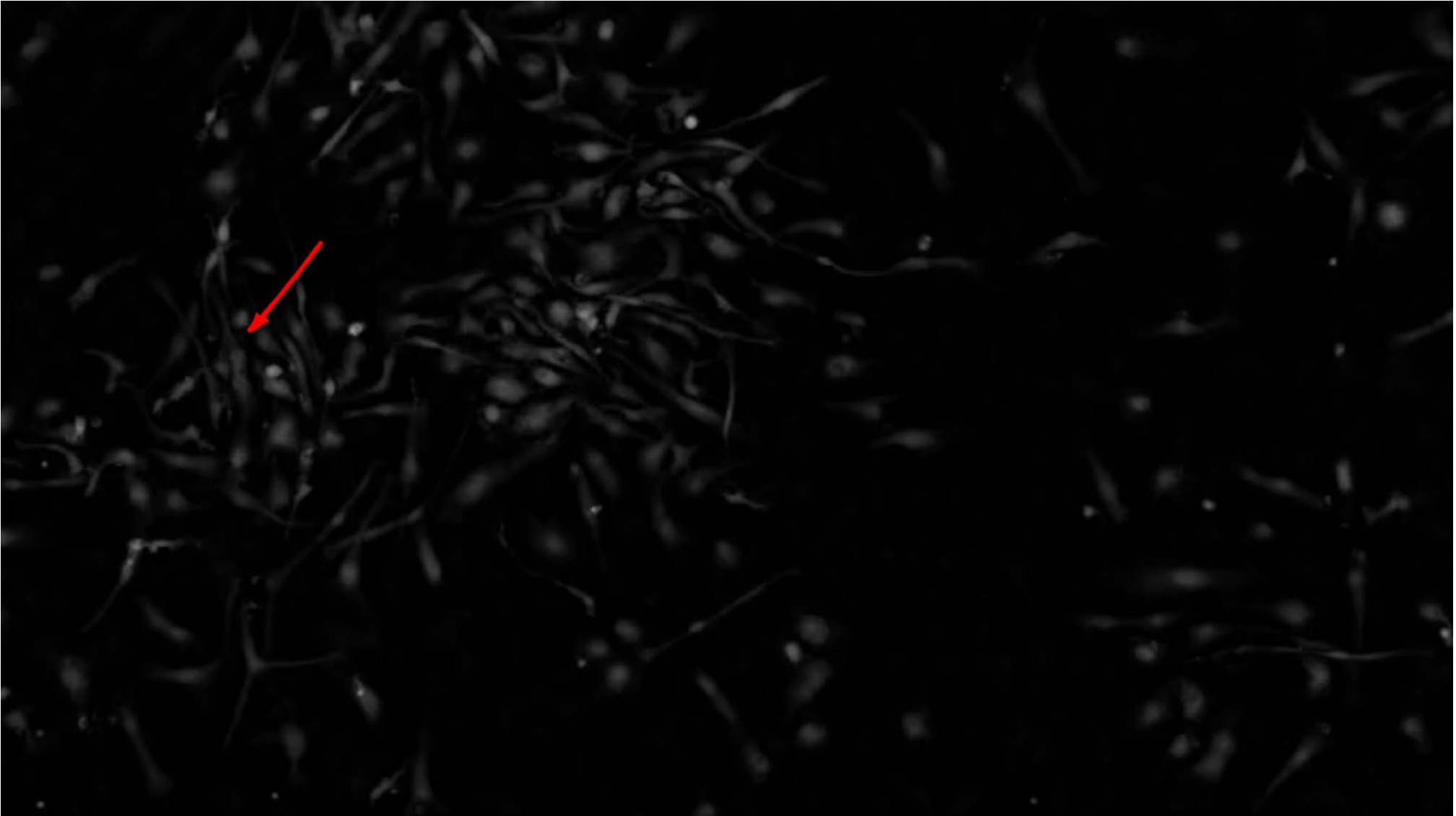
マウスで2006年、ヒトで2007年に論文を発表



iPS細胞

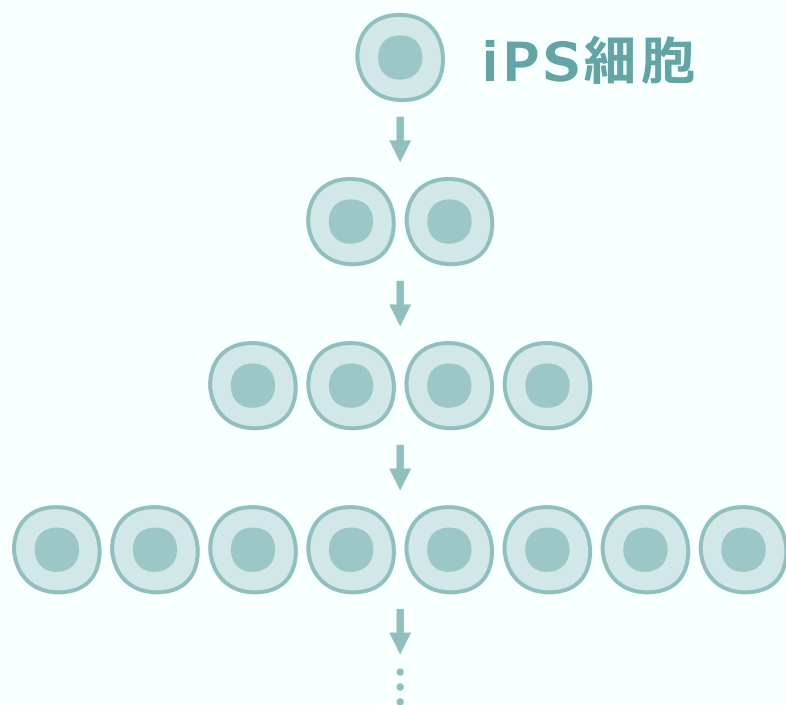


iPS細胞（ナイーブ型iPS細胞の出現）

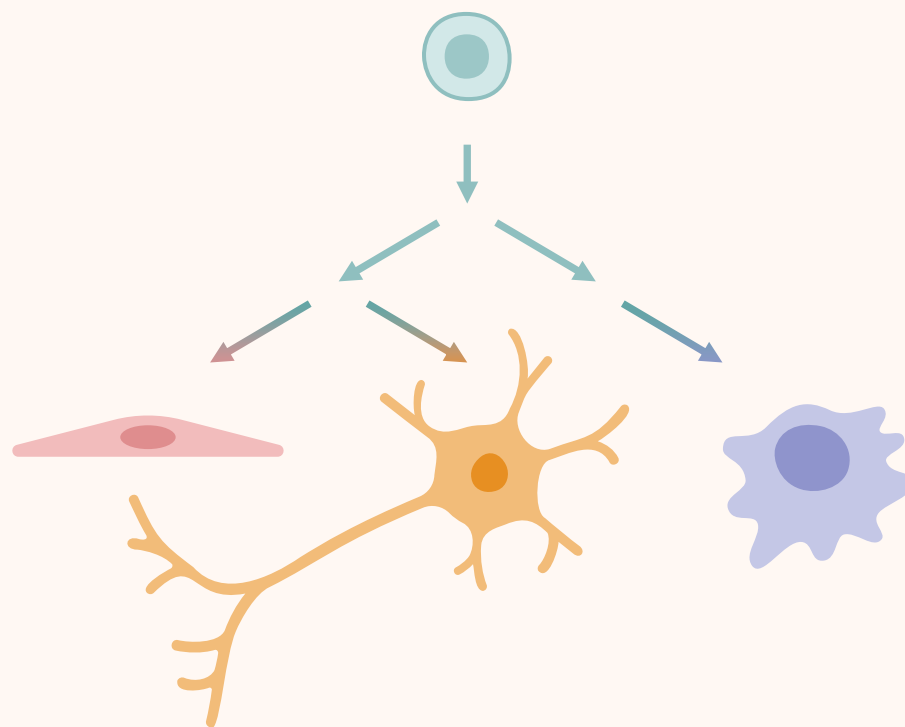


iPS細胞の性質

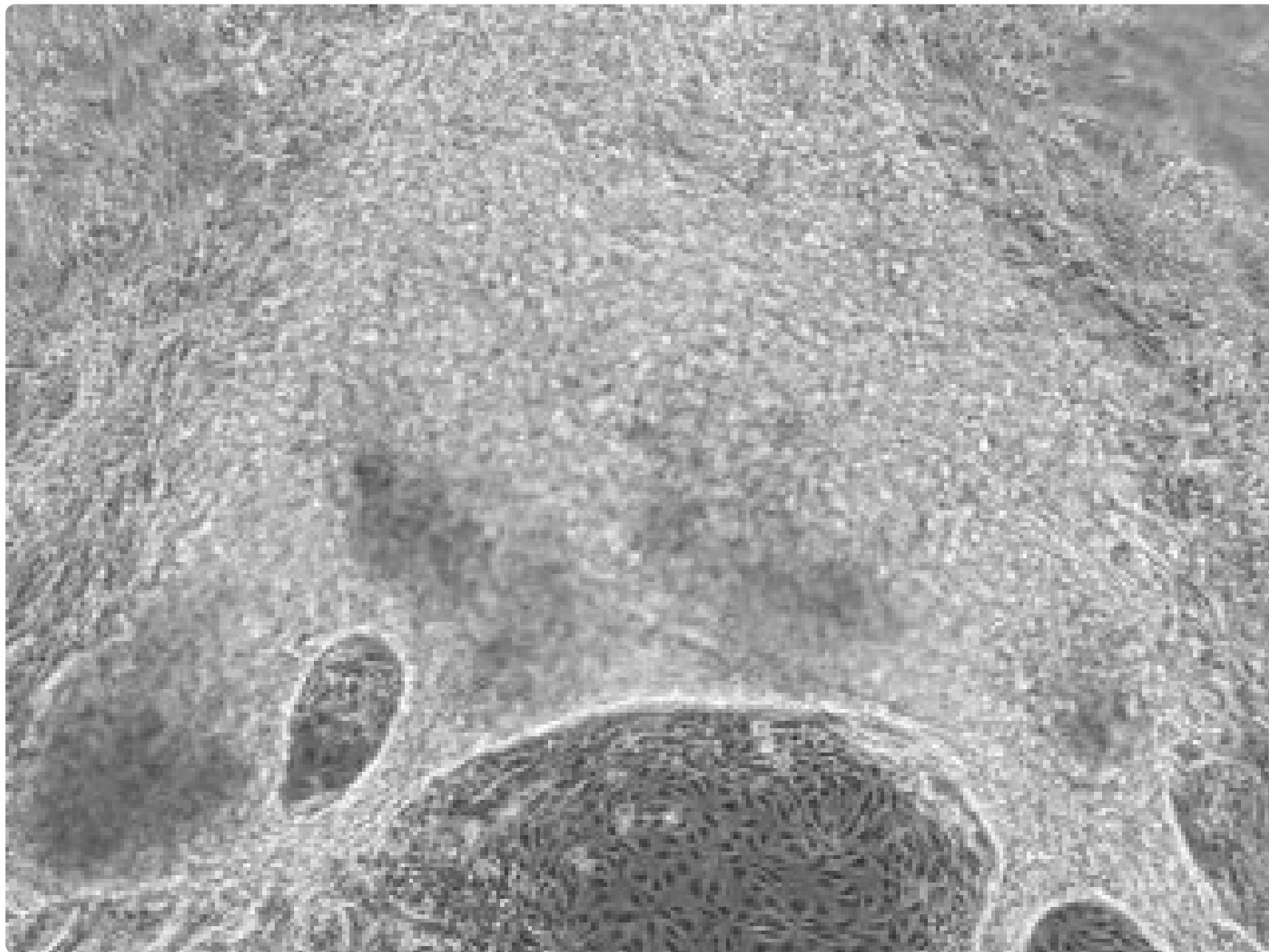
ほぼ無限に増やせる



さまざまな細胞になれる



心臓の細胞



iPS細胞の医療応用



iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

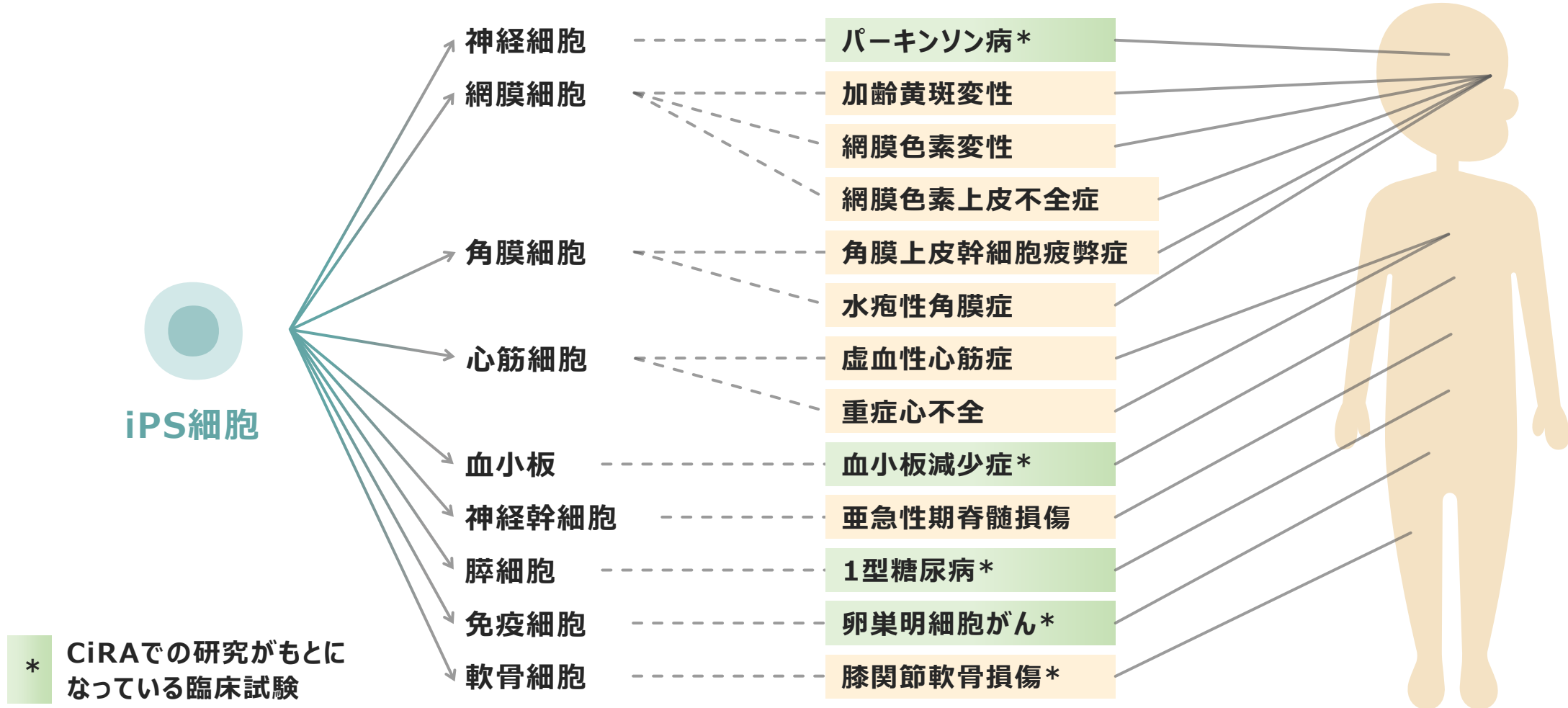
病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

iPS細胞を使った再生医療の臨床試験 (国内)



iPS細胞研究所における再生医療の研究の例

パーキンソン病

iPS細胞由来ドパミン
神経前駆細胞の移植

2018年8月
医師主導治験を開始



高橋淳 教授

血小板減少症

患者さんiPS細胞由来
血小板の自己輸血

2019年3月
臨床研究を開始



江藤浩之 教授

卵巣がん

iPS細胞由来ナチュラルキ
ラー細胞の投与

2021年4月
医師主導治験を開始



金子新 教授

1型糖尿病

iPS細胞由来膵島細胞
シートの移植

2025年1月
医師主導治験を開始



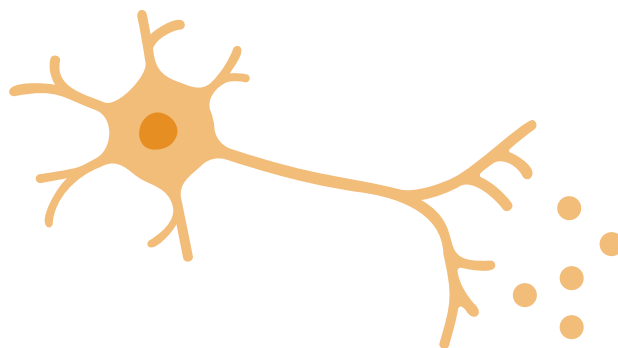
豊田太郎 講師

iPS細胞を用いた再生医療の研究の例

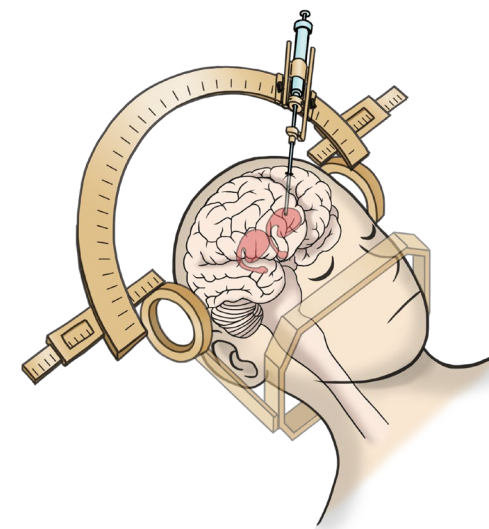
パーキンソン病患者さんへの神経細胞の移植



iPS細胞



ドーパミン神経細胞



パーキンソン病患者さんへの
移植

2018年 医師主導治験を開始

2021年 7名の患者さんへの移植を完了

2023年 移植後の検査や経過観察を終了

2025年 論文発

2025年住友ファーマとRACTHERAが製造販売承認申請

2026年3月

厚生労働省が住友ファーマのiPS細胞
由来パーキンソン病治療製品「アムシェ
プリ」を、条件および期限付きで製造販
売承認

治験

**パーキンソン病に対する
ヒトiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の細胞移植による
安全性及び有効性を検討する医師主導治験（第Ⅰ/Ⅱ相）**

- ・単施設（京都大学医学部附属病院）
- ・非盲験
- ・非対照（術前と術後を比較）
- ・7症例
- ・観察期間は術後24か月

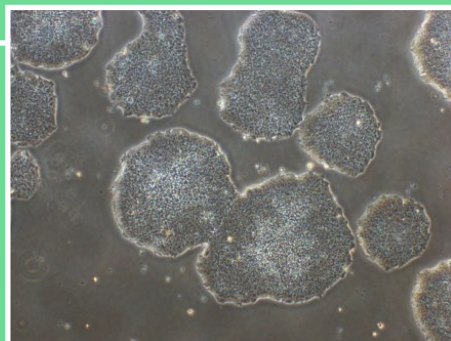


治験の概要

京都大学iPS細胞研究所 (CiRA)

再生医療用iPS細胞ストック

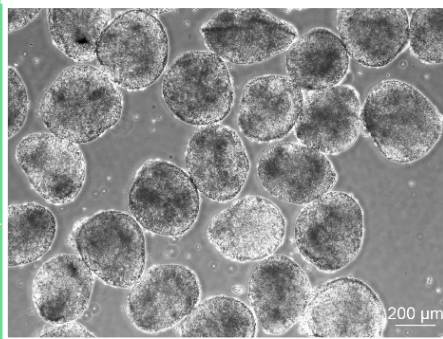
iPS細胞の作製、品質評価



医療用iPS細胞



ドパミン神経前駆細胞



品質評価

京大病院

細胞の提供



健康な人

移植

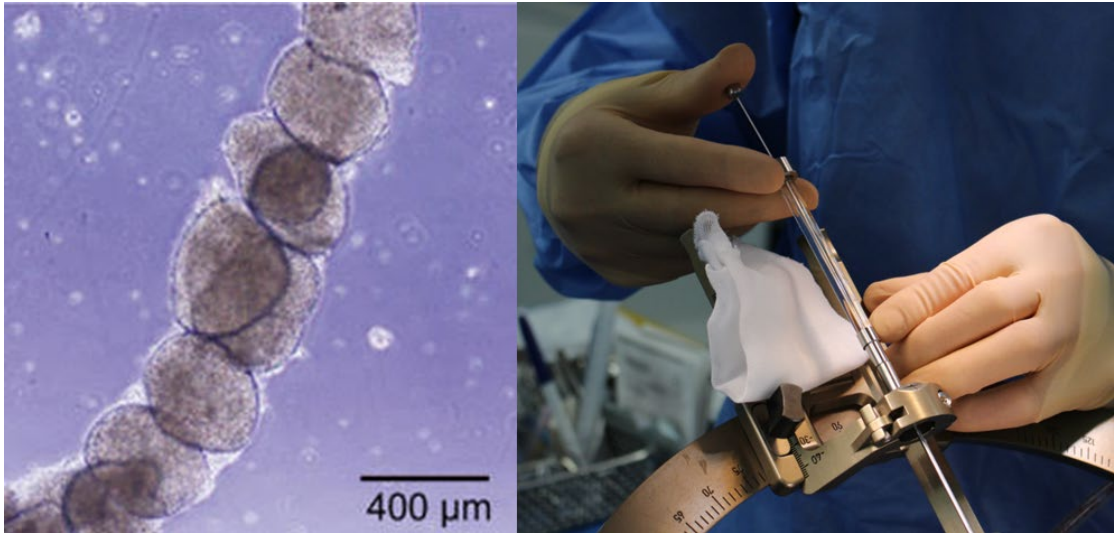


患者さん

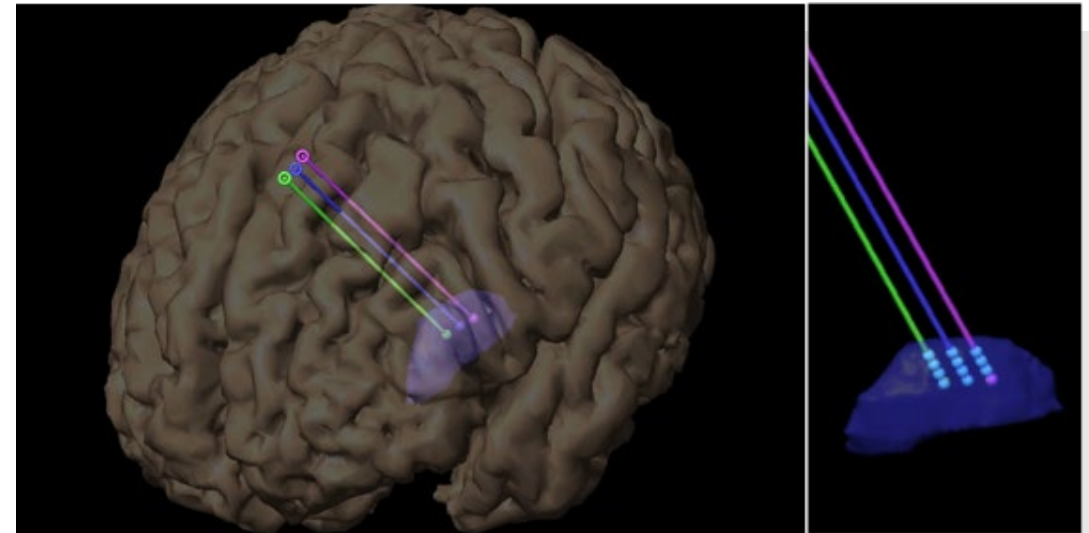
経過観察

安全性と有効性の評価

定位的脳手術による細胞移植



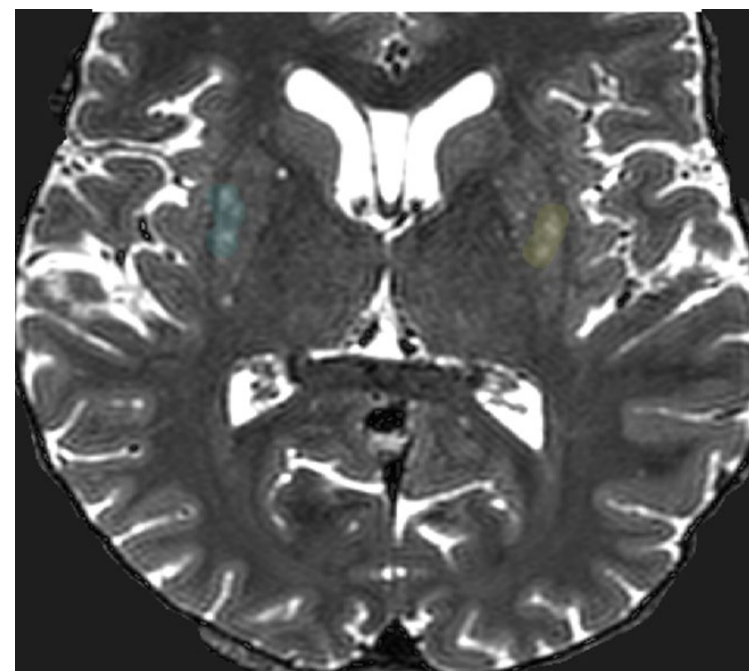
1つの刺入経路ごとに細胞塊を装着して注入



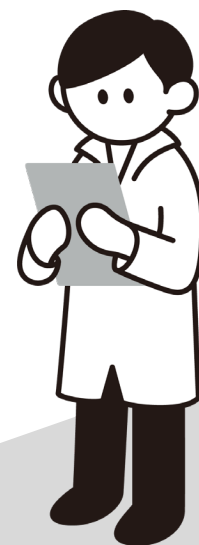
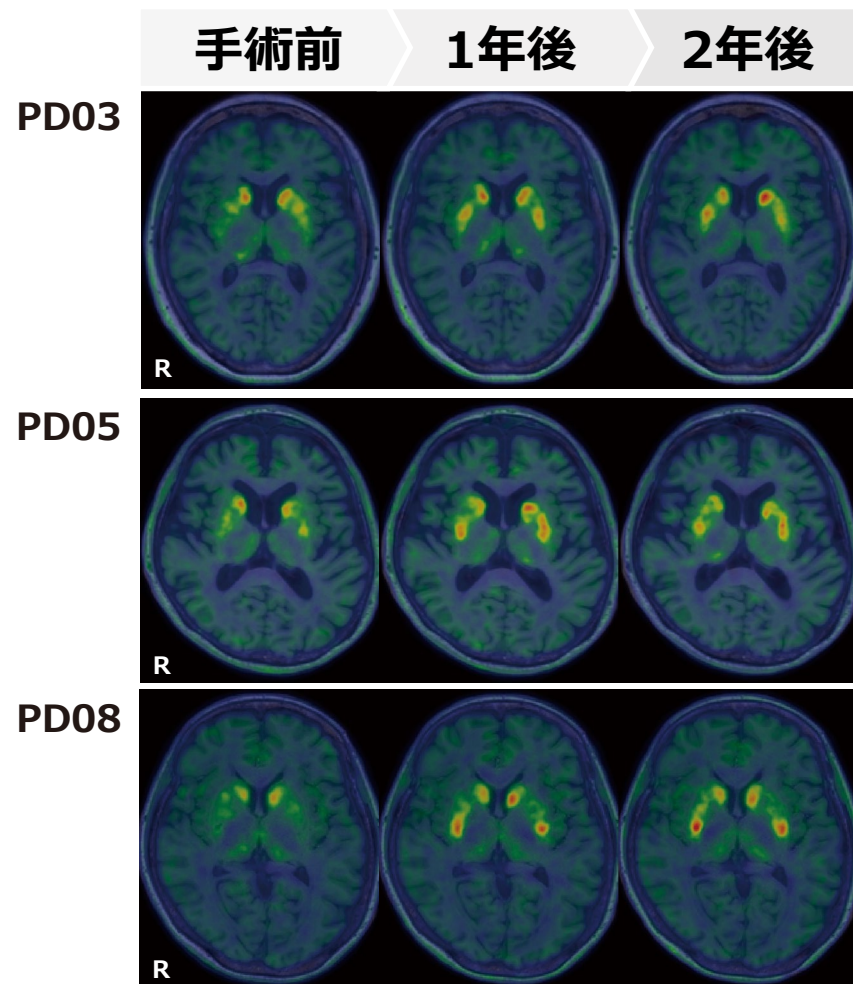
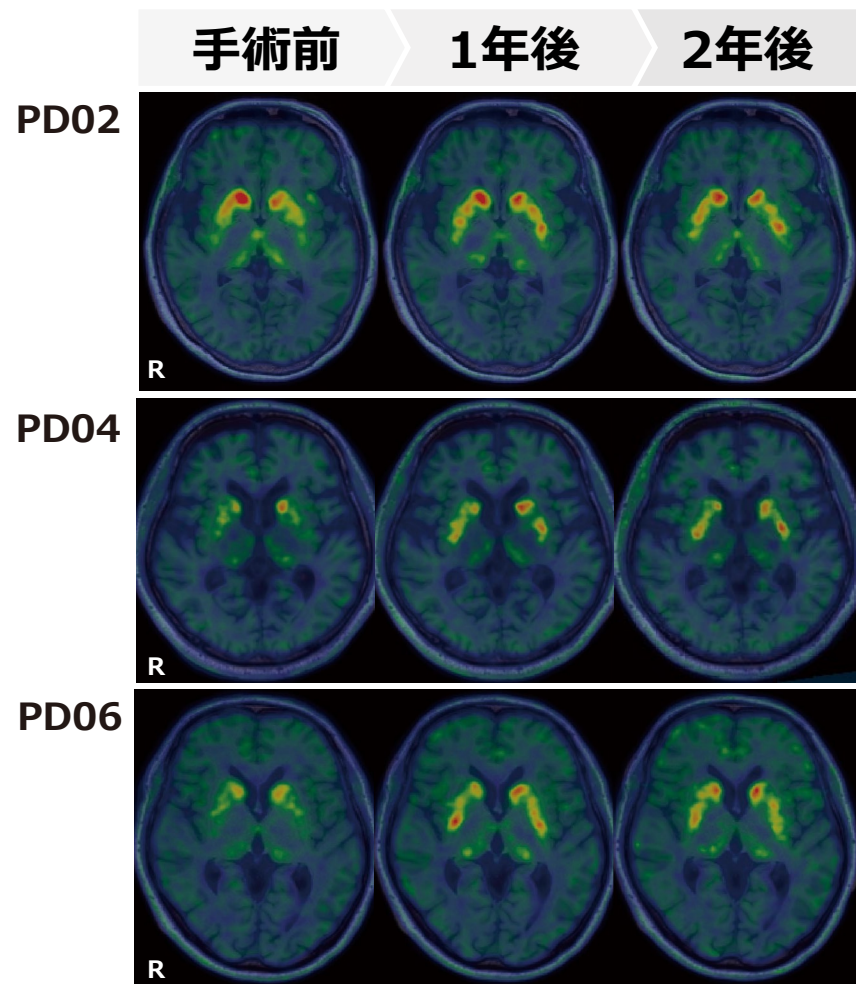
3本の刺入経路を用い、1つの刺入経路あたり
2mm間隔で4～8か所ずつ合計約250/500万
個の細胞を移植（両側で約500/1000万個）

① iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞は安全か？

重い副作用	なし ✓
移植細胞によるしびれや動きの不自由さ	なし ✓
移植細胞の異常な増殖	なし ✓



② iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞は機能するか？



③ iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞は有効か？

ヤール分類		薬を飲んでいない時の症状の変化					
		PD02	PD03	PD04	PD05	PD06	PD08
5	 車いすが必要						
4	 立ち上がる、歩くなどが難しくなる						
3	 小刻みに歩く、すくみ足がみられる						
2	 両手足のふるえや筋肉のこわばりなどがみられる						
1	 身体の片方だけに手足のふるえや筋肉のこわばりがみられる。						

評価項目

iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞は、

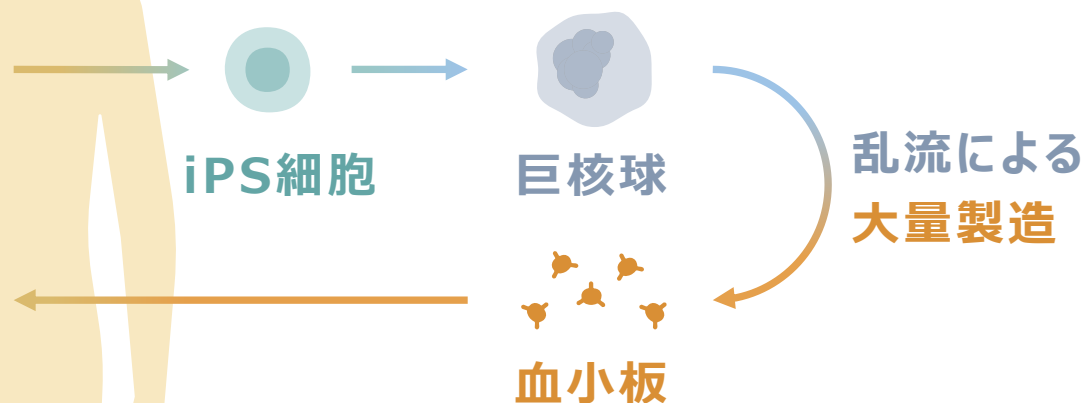
- 1 安全か？ _____ → Yes 
- 2 機能するか？ _____ → Yes 
- 3 有効か？ _____ → Yes 

iPS細胞を用いた再生医療の研究の例

iPS細胞由来血小板の実用化に向けた開発



血小板輸血不応症をもつ
患者さん



2019年 臨床研究を開始（上図）
2022年 研究成果を論文で発表
2023年 iPS細胞ストック由来血小板での治験実施

2024年 iPS細胞を用いた人工血小板製造プロジェクト
NEDOの大型プログラムに採択



2029年3月までに新しい治験を終了させて、有事に備えた
免疫拒絶がない人工血小板製剤の安全性・有効性を示す

iPS細胞を用いた再生医療の研究の例

iPS細胞由来の免疫細胞によるがん治療



がんを検知する受容体 “CAR”



2021年 卵巣がんに対する医師主導治験を開始

2024年～ iPS細胞を活用した新たな個別化がん治療方法を確立・普及するためのプロジェクトを発足



2025年4月までに試作機の完成、将来的には低コスト化・省力化した製品の提供を目指す

iPS細胞を用いた再生医療の研究の例

1 型糖尿病のための細胞医療



iPS細胞由来膵島細胞（iPICs）の開発

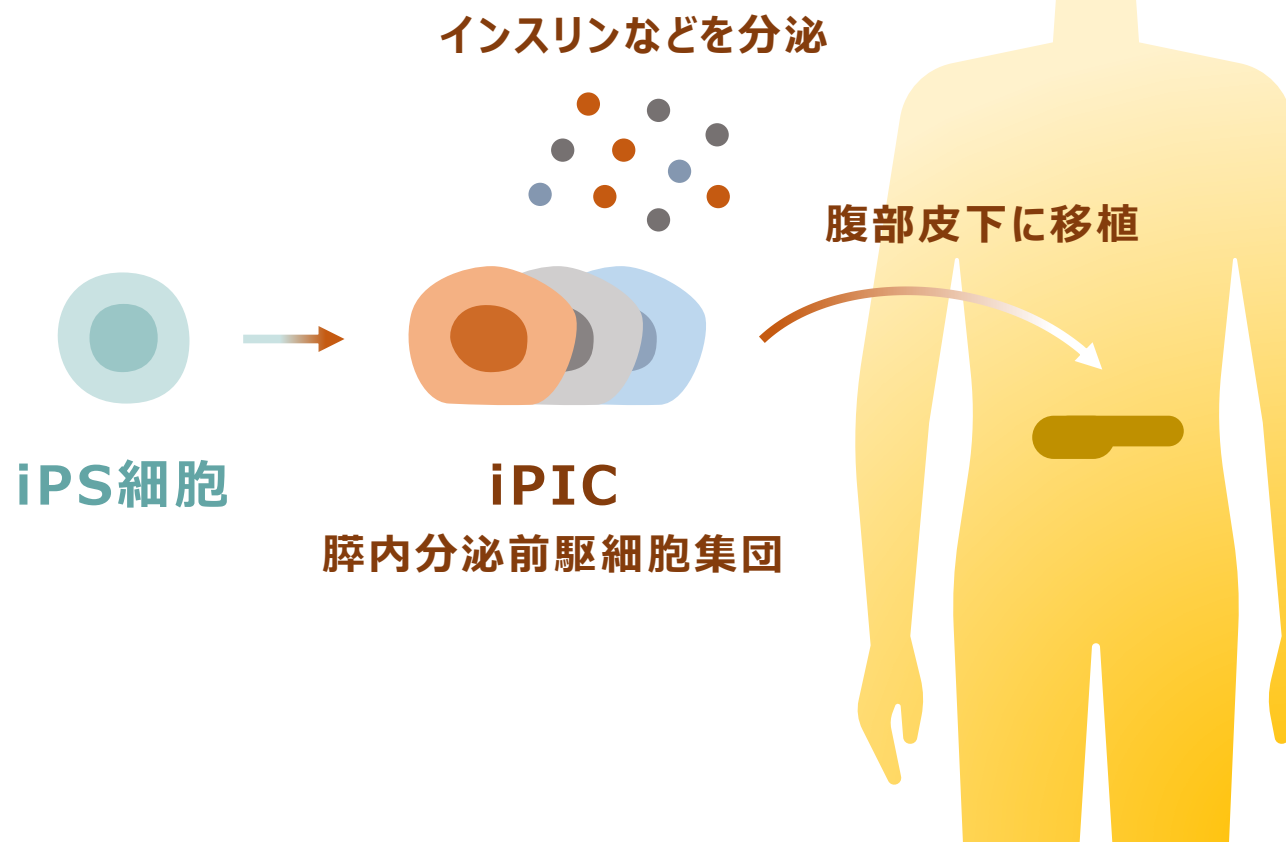
CiRA での研究

武田薬品工業株式会社との共同研究

T-CiRA

オリヅルセラピューティクスへの技術継承、
臨床応用に向けたさらなる開発

2025年1月～ 医師主導治験を開始



iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

iPS細胞研究所における創薬研究の例

進行性骨化性線維
異形成症（FOP）

ラパマイシン

2017年8月

医師主導治験を開始



戸口田淳也 教授、池谷真 准教授

筋萎縮性側索硬化症
（ALS）

ボスチニブ

2019年3月

医師主導治験を開始



井上治久 教授

家族性アルツハイマー病

ブロモクリプチン

2020年6月

医師主導治験を開始



井上治久 教授

多発性嚢胞腎

タミバロテン

2024年

企業治験を開始



長船健二 教授

iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

iPS細胞研究所における研究

再生医療の実現化に
向けた研究

病気の仕組みを調べ
新しい薬を開発する研究

iPS細胞

生命科学の可能性を
広げる研究

iPS細胞にまつわる
倫理の研究

未来生命科学開拓部門 (抜粋)

リプログラミング



タンパク質翻訳と初期化機構の解明

iPS細胞のゲノム編集技術



ヒトゲノムの完全制御と解明

iPS細胞から胸腺を作る



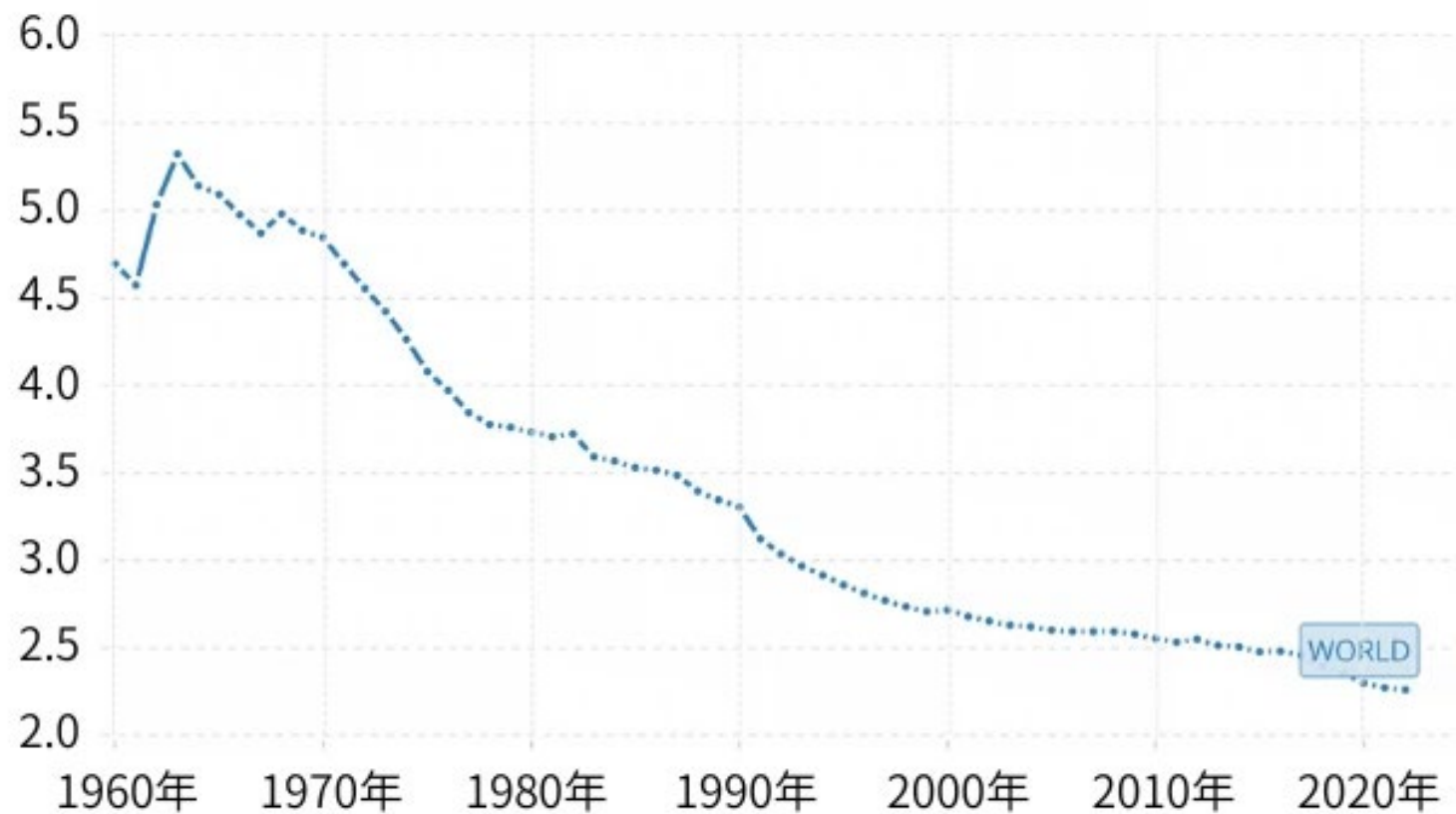
免疫を制御する新たな技術

初期発生を理解する



幹細胞を制御し、健康を促進する

世界の出生率は低下傾向にある



出典：世界銀行グループ、ニッセイアセットマネジメント

ヒト着床期研究

- ブラックボックスとされる着床期ヒト初期発生の解明
 - 受精後約14日(妊娠4週)以前は妊娠しているかも不明
 - 子宮着床後は、ブラックボックス
- 不妊症に対するメカニズム・治療法の確立
 - 着床不全に対する治療法の開発
- ヒトES/iPS細胞からの分化誘導方法の改良
 - 現状、ヒト初期発生を忠実に模倣できているのかは、不明
 - ヒト胚モデルを利用して、臓器・器官の原基を作製

マウスとヒトの発生（着床前）

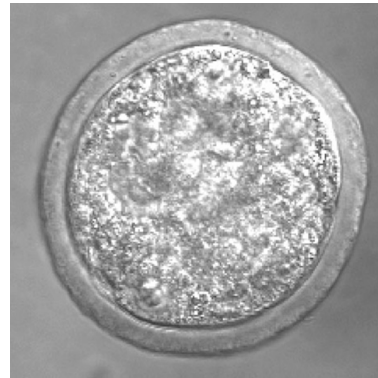
マウス

4細胞



80μm

桑実胚



80μm

blastocyst



100μm

Varghese et al.
STAR Protocols
2023

ヒト



120μm



120μm



150μm

The VIRTUAL
HUMAN EMBRYO

マウスとヒトの発生（着床後）

①



②



マウスとヒトの発生（着床後）

E9.5 マウス胚

①



2.5-3.5mm

ヒト CS13（受精後28-32日）

②



CRL 4.0-6.0mm

33

ヒト胚を用いた初期発生研究の進展

- scRNA-seqによる受精卵-ヒト胚(着床直後)の解析

- マウスとヒトの遺伝子発現の違いが明らかになった
- 完全に一致するわけではなく、ヒトでの解析も重要

Yan et al., Nature Structural & Molecular Biology, 2013

Blakeley et al., Development, 2015

Petropoulos et al., Cell, 2016

Tyser et al., Nature 2021

- 試験管内で胚を発生させる研究

- 胚を子宮に着床させることなく試験管内で発生させる
- しかしながらヒト胚の使用は倫理的にも限定

Bedzhov et al., Nature Protocols, 2014

Deglincerti et al., Nature, 2016

Xiang et al., Nature, 2020

- 試験管内で子宮内膜を再現させ、疑似着床をさせる

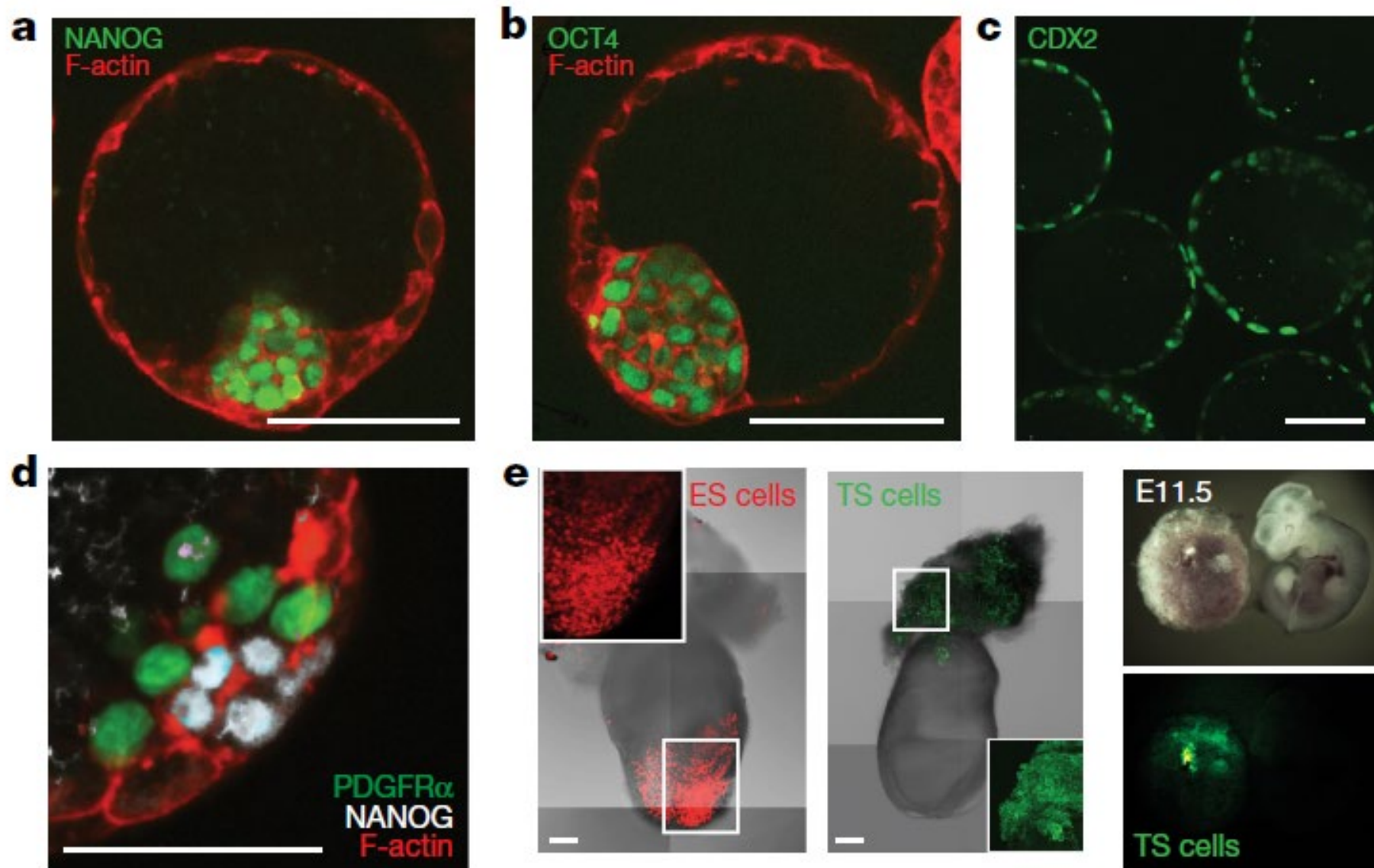
ヒト受精卵を用いた研究の限界と幹細胞胚モデル

- ヒト胚(余剰胚)を利用した研究はリソースや倫理面からの制限がある
 - ヒト胚は14日あるいは原始線条を越えての培養は禁止
- ヒト胚における遺伝子改変を行った機能的な研究の難しさ

ヒト胚を用いることなくヒト初期発生を解析

- 幹細胞を用いたヒト発生モデルの構築 = 幹細胞胚モデル

幹細胞胚モデル ブラストイド (マウス)



Rivron et al.
Nature 2018

ヒト初期発生研究における 分子生命現象の解明に向けた研究

1. 幹細胞を用いたヒト発生モデルの構築
 - 卵割期から着床後に至る幹細胞ヒト胚モデル
 - 三次元複雑臓器の原基誘導
2. 時空間的分子生命現象の解析
3. 規制調査と研究倫理コンサルテーション

三次元ガストロイドを用いて試験管内で ヒト着床期の発生原理を解明する

再生医療実現拠点ネットワークプログラム
「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」

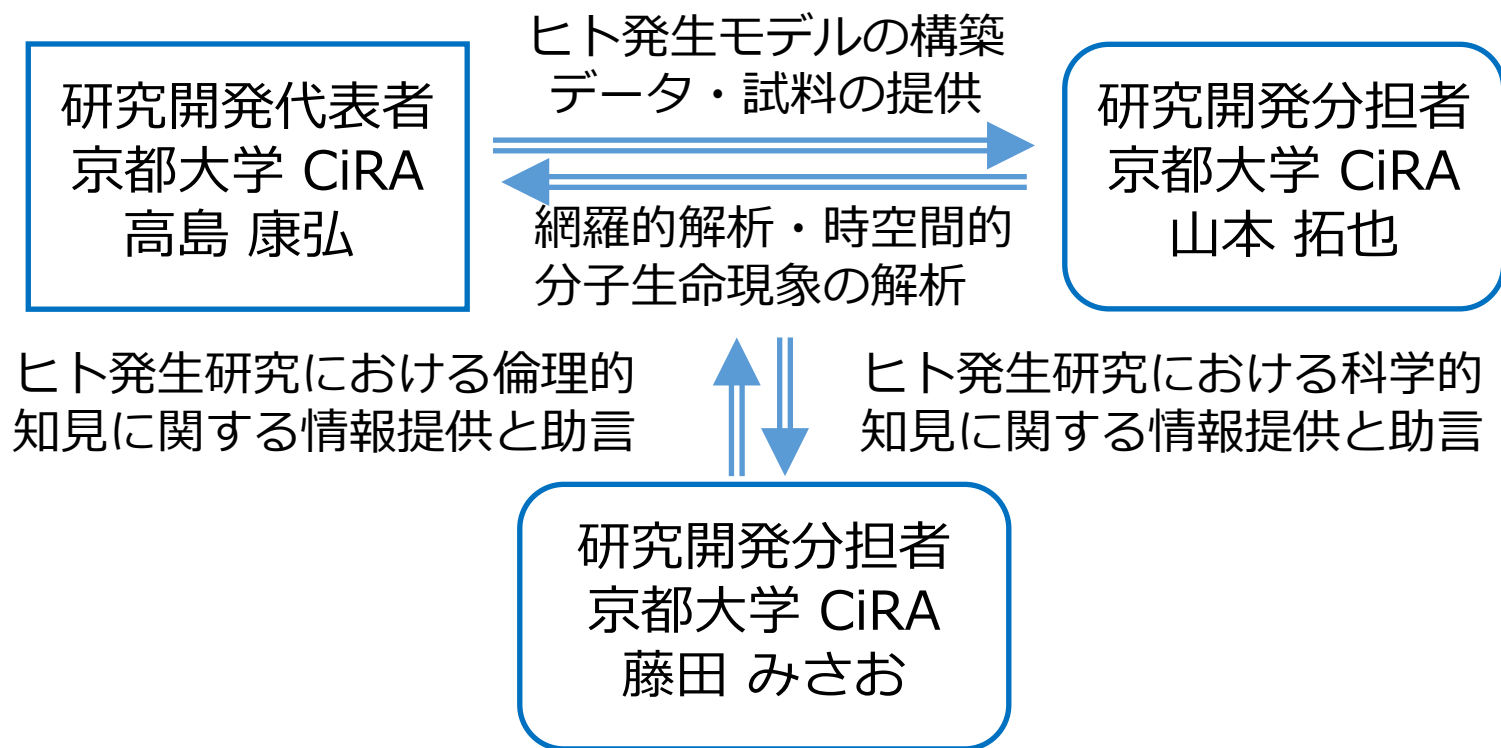
京都大学 iPS細胞研究所

高島 康弘

2019-21年

早期ライフ「幹細胞を利用したヒト初期発生学の創出」

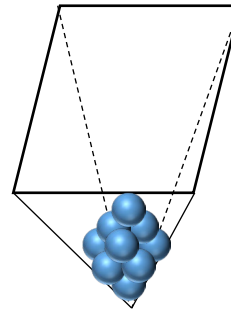
2021年10月1日-2027年3月31日 AMED-CREST



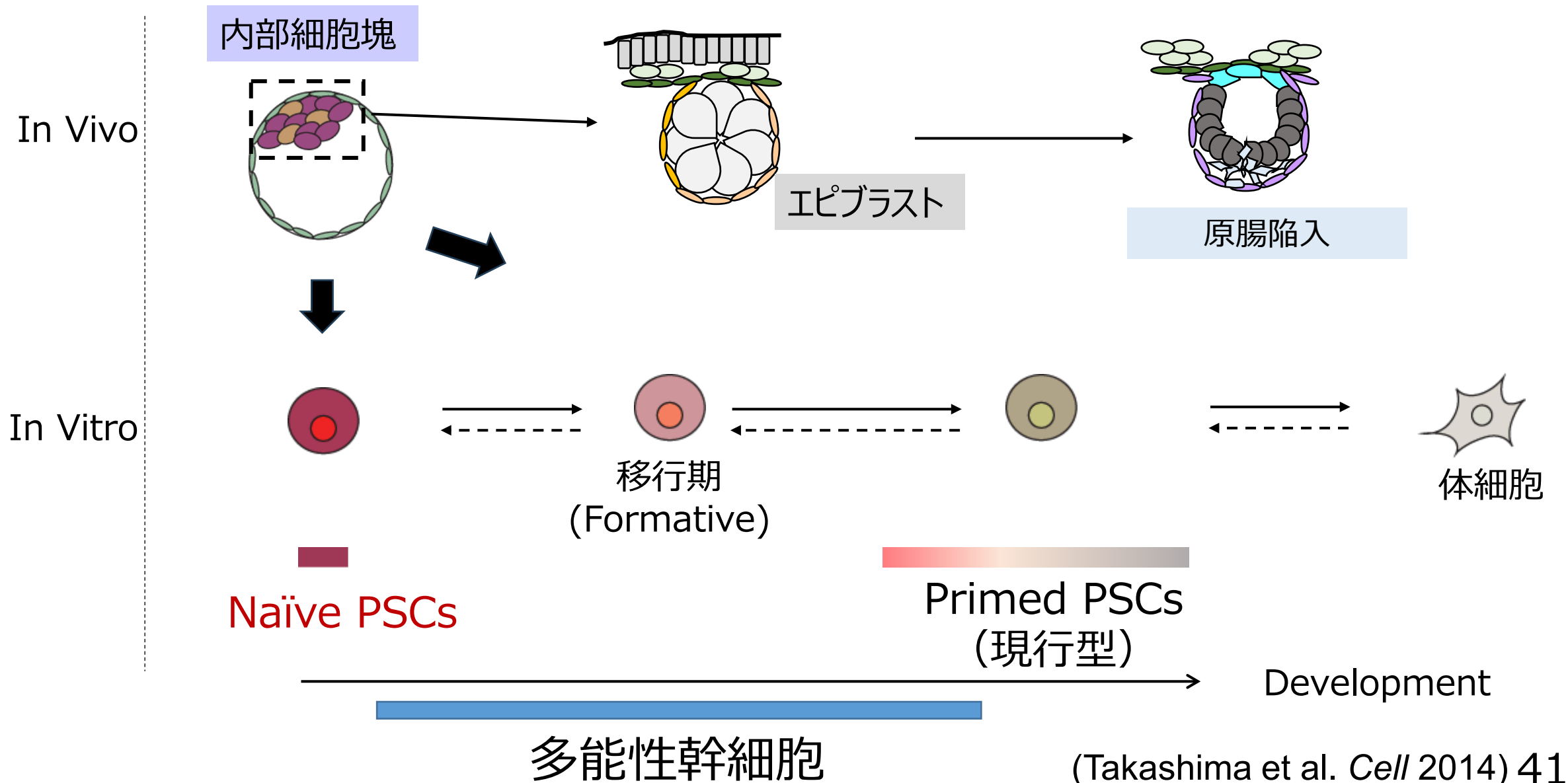
ヒト初期発生を模倣した革新的な試験管内における胚モデルを確立する。モデルを用いて、ヒト初期発生の生命現象を理解し、基盤となる分子メカニズムを解明することを目指す。網羅的遺伝子発現・エピゲノムを解析し、早期ライフの細胞アトラスを作成し、着床不全や流産、発生異常といった疾患を理解するための基盤を作る。新たな生命科学分野であるため、生命倫理に関する規制調査も行う。

幹細胞胚モデルを作製する際のポイント

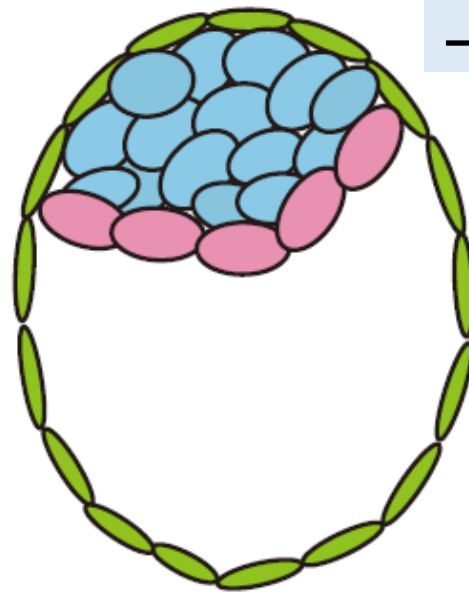
- 幹細胞の能力
- 凝集塊を作る細胞数
- 凝集させる細胞デバイス



Naïve型およびPrimed型多能性幹細胞 (PSC)



ヒト胚盤胞



エピブラスト

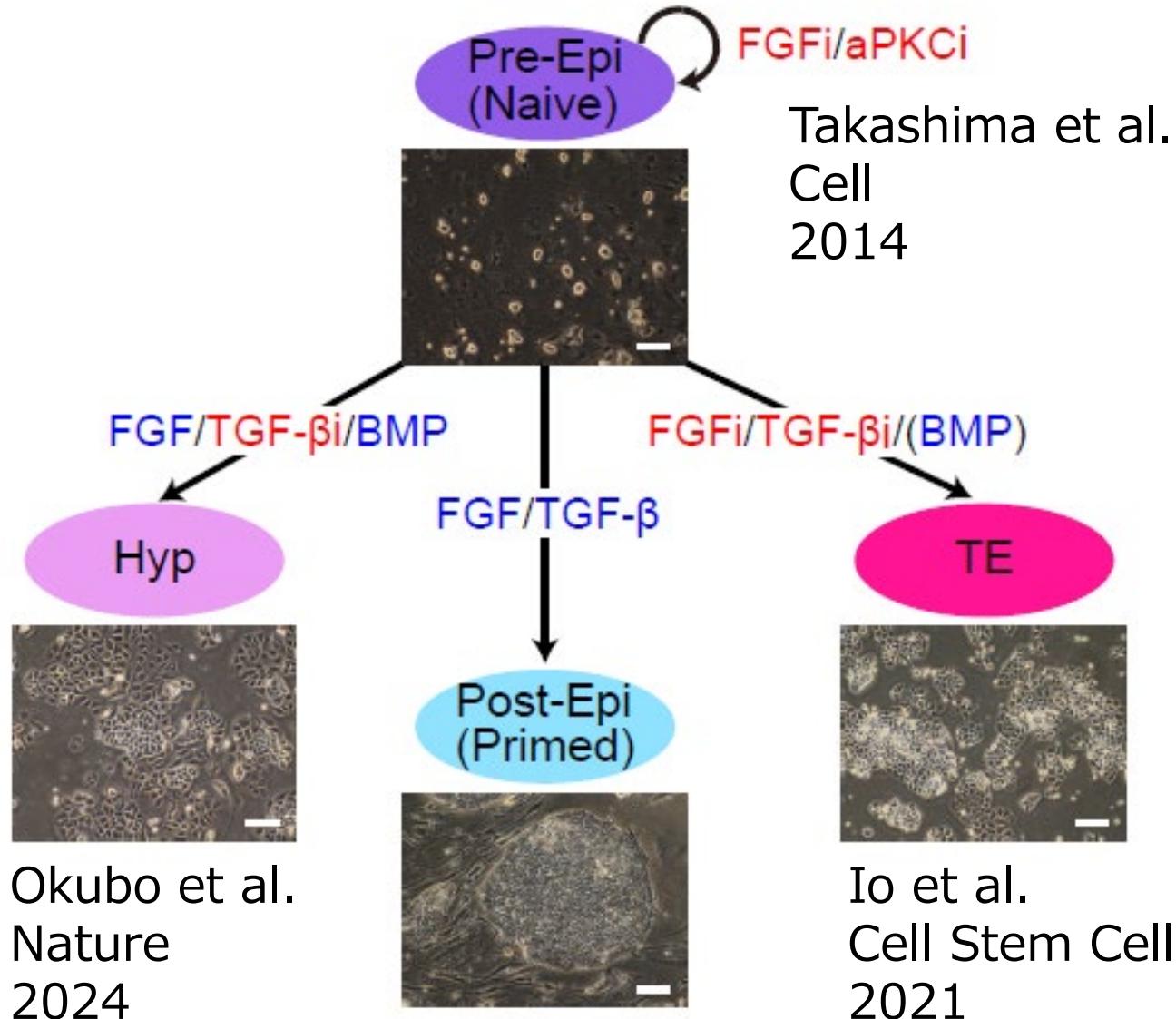
ハイポブラスト

栄養外胚葉

着床前におけるシグナル伝達経路



Takumi Okubo

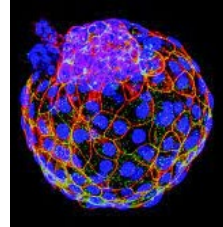


Shingo Io

ヒト胚盤胞モデル (ブラストイド)

胚全体の発生を再現

Blastoid

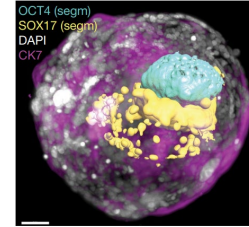


Yu *et al.* (Nature) 2021
Liu *et al.* (Nature) 2021
Yanagida *et al.* (CSC) 2021
Kagawa *et al.* (Nature) 2022

期間

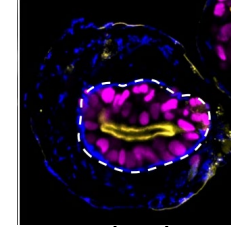
着床前のみ

SEMs



Oldak *et al.*
(Nature) 2023

Human embryoids

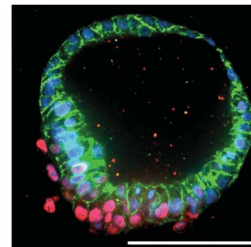


Weatherbee *et al.*
(Nature) 2023

着床後のみ

PASE

Postimplantation amniotic sac embryoid



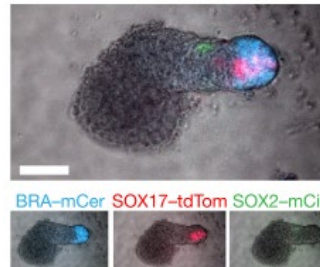
BRACHYURY/E-CADHERIN/DAPI

Zheng *et al.*
(Nature) 2019

期間

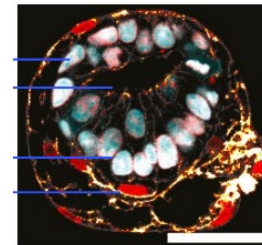
着床後のみ

Gastruloid



Moris *et al.*
(Nature) 2020

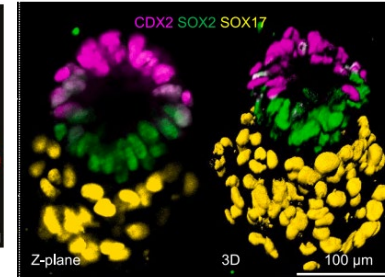
hEEs



Pedroza *et al.*
(Nature) 2023

着床後のみ

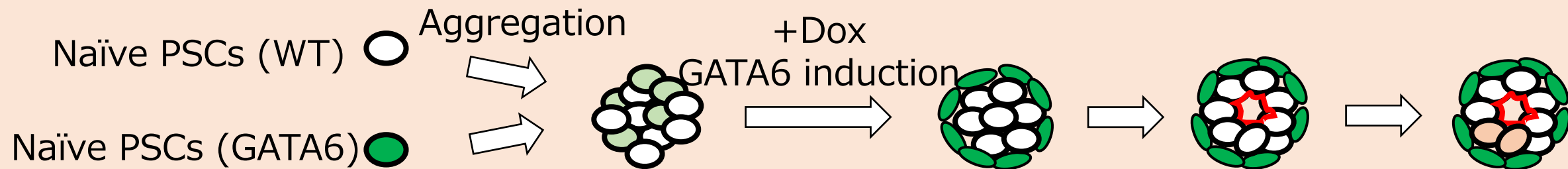
Peri-gastruloids



Liu *et al.*
(Cell) 2023

胚発生を部分的に再現

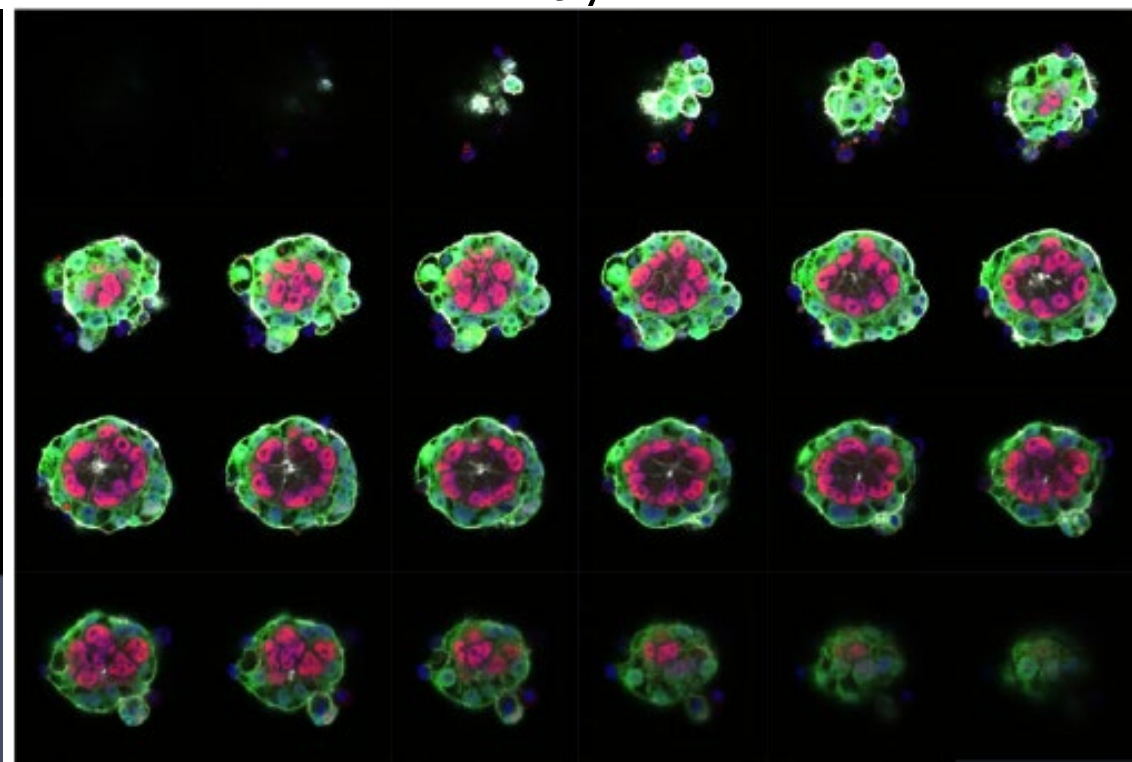
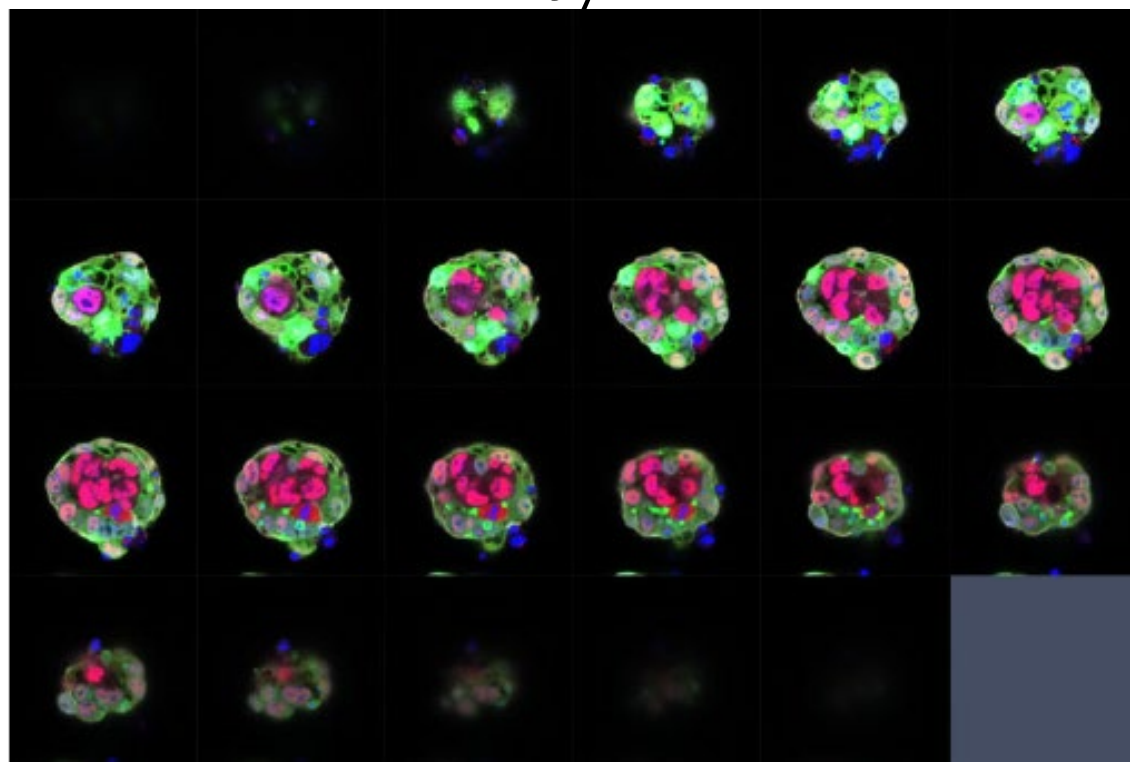
二層性胚盤モデル: バイラミノイド



Day 2

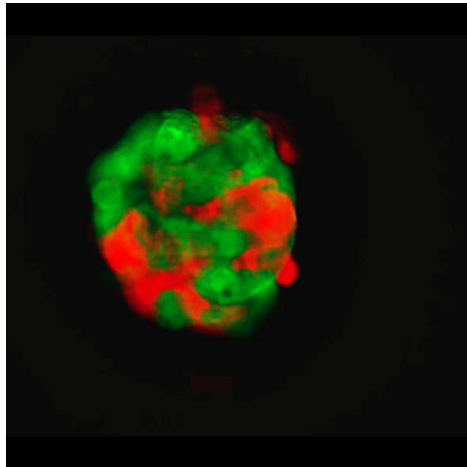
Day 4

GFP
(GATA6)
OCT3/4
PAR6

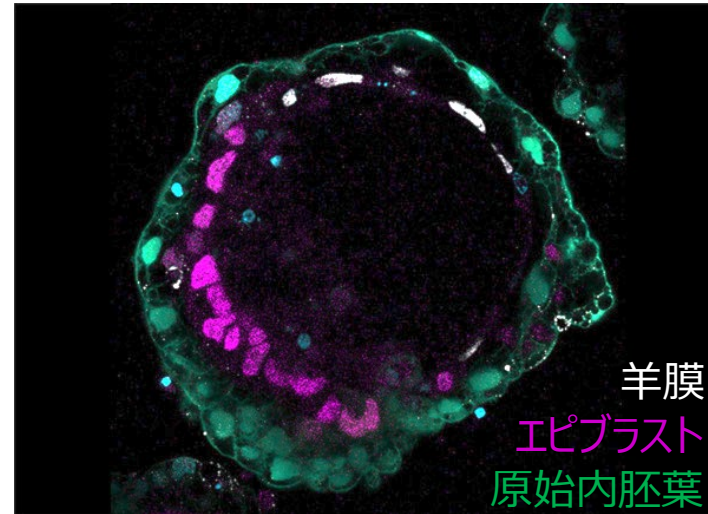


幹細胞胚モデル：幹細胞のみから構築される胚様構造体

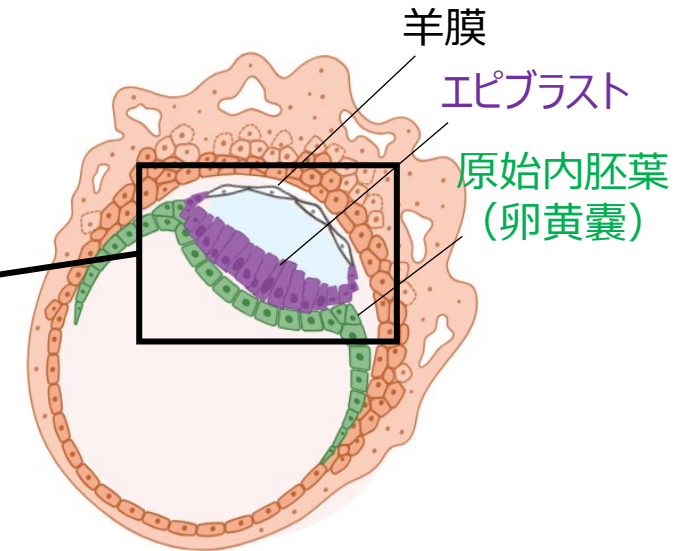
ヒト幹細胞の凝集塊



幹細胞が
自己組織化し発生



ナীব幹細胞を用いて
in vitroヒト胚モデル構築に成功



ヒト着床期胚を模倣

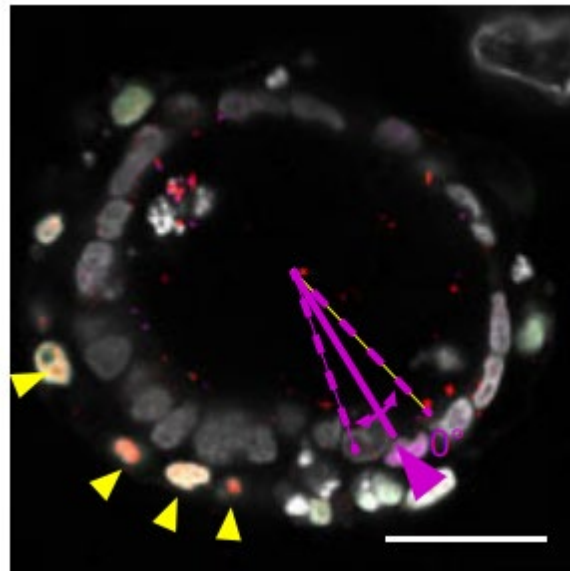
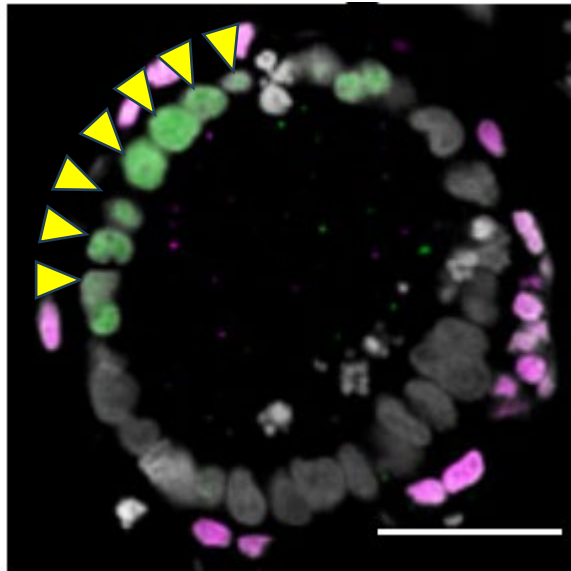
幹細胞から構築される幹細胞胚モデルを用いることで、
倫理的問題を回避しつつ初期発生メカニズムの解析が可能に

バイラミノイドは胚発生を再現

培養6日目

羊膜様細胞

前後軸



前方 ← → 後方

▲ 羊膜様細胞

▲ 前方臓側内胚葉様細胞

▲ 原腸陥入期細胞

TFAP2A: 羊膜マーカー

GATA6: 原始内胚葉マーカー

T: 原始線条マーカー

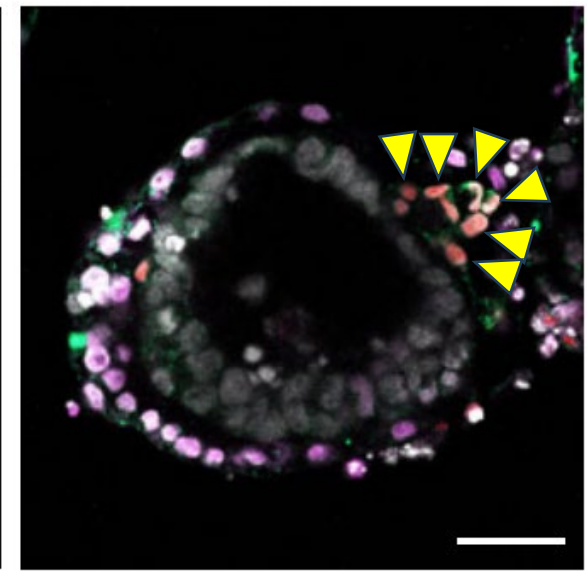
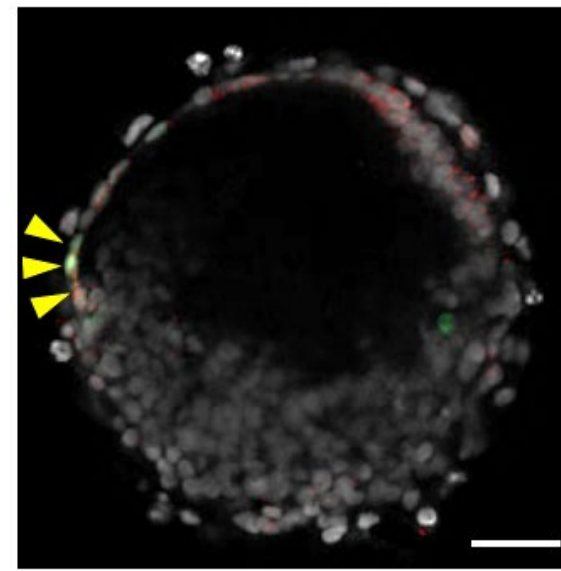
OTX2: 前方臓側内胚葉マーカー

GATA4: 原始内胚葉マーカー

培養9日目

始原生殖細胞様細胞

血管内皮前駆細胞



▲ 始原生殖細胞様細胞

▲ 血管内皮前駆細胞様細胞

BLIMP1: 始原生殖細胞マーカー

TFAP2C: 始原生殖細胞マーカー

GATA6: 原始内胚葉マーカー

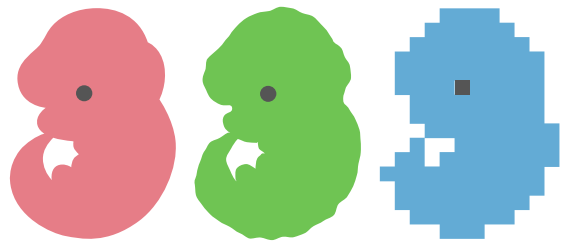
ERG: 血管内皮前駆細胞マーカー

CD34: 血管内皮前駆細胞マーカー

バイラミノイドは着床前から原腸陥入初期まで発生を再現することができる

Okubo et al. *Nature* 2024

学術変革事業（A）2025-29年



次世代生命工学

Next-generation Developmental Bioengineering

生命創発のための十分条件の検証

大規模摂動・予測

非侵襲イメージング・予測

A01. In vitro胚モデル
生命創発の構成的理解

A03. In silico
デジタル胚の開発

A02. In vivo胚
発生保証機構の解明

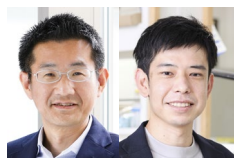
In vitro大規模データ

In vivo大規模データ

In vivoの生命創発における必要要素の同定

in vitro、in vivo、in silico研究者が既存の生命工学を革新する

高島を代表として、16の研究グループが集結



幹細胞と初期発生
高島(京大CiRA)・小林(生理研)

Cell 2014
Nature 2024



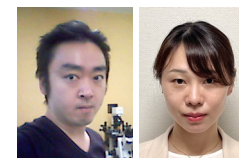
ヒトblastoid
柳田(東京大)

Cell Stem Cell 2021
Cell 2022



ヒト器官形成
岡江(熊本大)・梶(東京科学)

Cell Stem Cell 2018
Nat Commun 2024



マウスblastoid
大日向(千葉大)・大瀧(千葉大)

Science 2022



光/流体融合
太田(東京大)

Science 2018
Adv Opt Mat 2024



1細胞オミクス
神元(大阪大)

Nature 2023
Stem Cell Rep 2023

生命創発
プロセス

受精～着床

器官形成

個体形成

経世代

卵・精子形成機構
尾畑(東京農)・伊川(大阪大)

PNAS 2016
Science 2020



受精胚の転写制御
石内(山梨大)

Nat SMB 2021
Genes Dev 2023



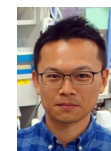
新規ゲノム刷込み機構
井上(理研)

Nature 2017
Nat Genet 2021



体細胞クローンマウス
的場(理研)

Cell 2014
Cell Stem Cell 2018



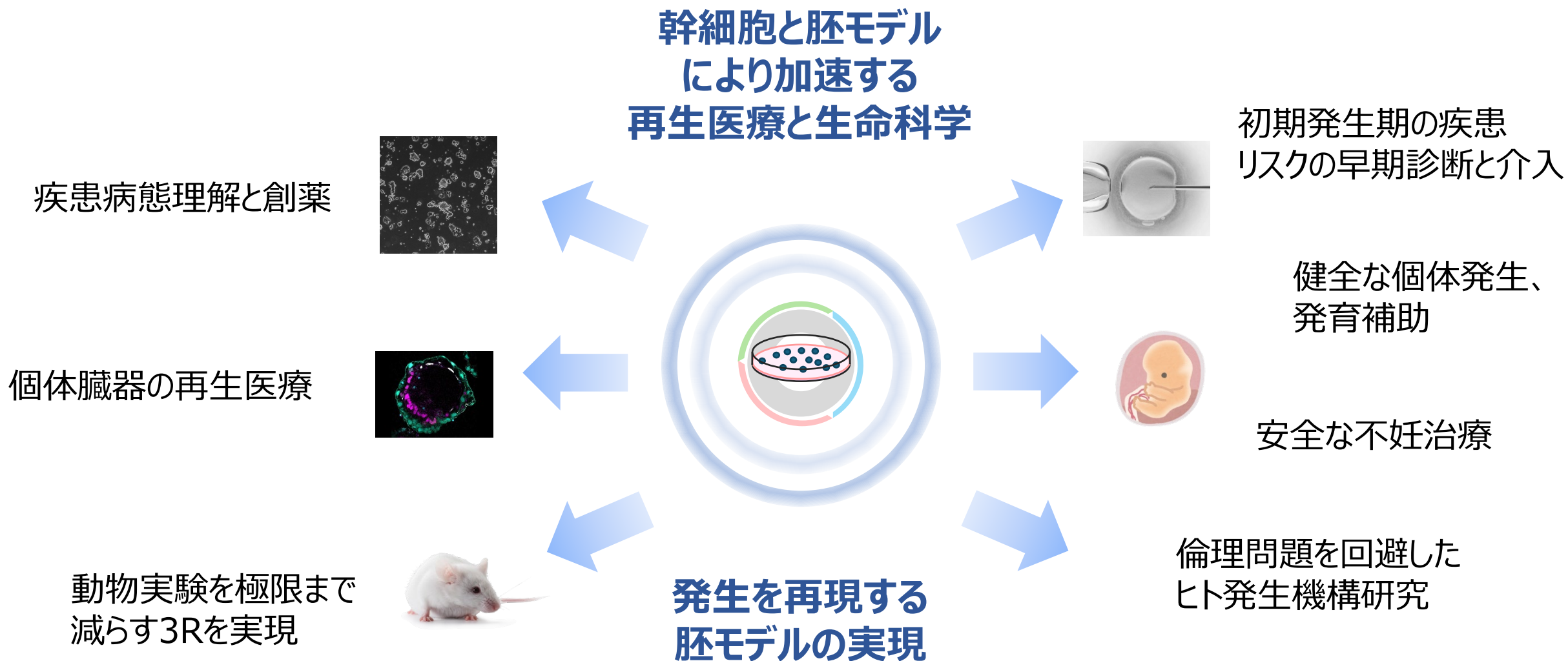
継世代異常
篠原(京都大)・田村(理研)

Genes Dev 2021
JCI 2023



HP

幹細胞と胚モデルによる10年後の波及効果



謝辞

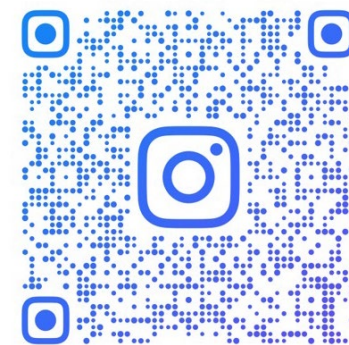
高島研究室メンバー (2026年春)



Homepage



Instagram



@YASU_TAKASHIMA