



令和7年9月30日

報道機関各位

国立大学法人 岩手大学

**視覚回復の遺伝子治療プロジェクトが科学技術振興機構(JST)****2025年度ディープテック・スタートアップ国際展開プログラム(D-Global)採択**

光に対する感度・応答波長・反応速度に優れた特徴を持つチャンネルロドプシン「ComV1」を用いた遺伝子治療により、従来技術では困難であった失明者の視覚再建を実現するスタートアップの設立を目指す。

**概要**

岩手大学農学部分子生命医科学コースの富田浩史教授、菅野江里子教授らは、2020年に光に対する感度・応答波長・反応速度に優れた特徴を持つチャンネルロドプシン「ComV1」を開発し、視覚回復のための遺伝子治療技術の開発を進めてきました。今回、本プロジェクトが国立研究開発法人科学技術振興機構(JST)の大学発新産業創出基金事業ディープテック・スタートアップ国際展開プログラム(D-Global)に採択され(原則3億円/3年、上限5億円/3年)、ヒトへの応用に向けた製剤開発を進めることになりました。

富田浩史教授、菅野江里子教授は、2005年から緑藻類の光受容タンパク質を用いた視覚再建研究に取り組み、2015年には独自に開発した遺伝子を用いた「失明者の視覚回復するための遺伝子治療研究」により、科学技術分野の文部科学大臣表彰を受けております。その後、さらに高機能化した光受容タンパク質の作製に成功し、2024年から国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)難治性疾患実用化事業(1.8億円/3年)において、遺伝子治療の安全性に関する研究を行ってきました。

本プロジェクトは、代表事業化推進機関の東北大学ベンチャーパートナーズ株式会社と連携し起業を図るもので、D-Globalの支援により安全性研究と並行して製剤開発を進めることが可能となり、ヒトへの応用が加速されると期待されます。

**【本件に関するお問い合わせ】**

岩手大学農学部生命学科分子生命医科学コース

教授 富田 浩史

電話：019-621-6427, F A X：019-621-6427

メール：htomita@iwate-u.ac.jp

**岩手大学**  
IWATE UNIVERSITY

## 【背景】

網膜には役割の異なる様々な神経細胞が存在し、ものを見るためには個々の神経細胞が正確に働く必要があります。視覚情報伝達の最初のステップは、網膜の最外層に存在する光受容細胞で光情報を受け取り、次の神経細胞に情報を受け渡すことです。情報を受け取った神経細胞は、さらに、網膜の最内層に存在する視神経を作る細胞に情報を受け渡し、視神経を介して、脳に視覚情報が伝達されます（図1）。このような仕組みであるために、最初に光を受容する細胞が障害されると、失明に至ります。

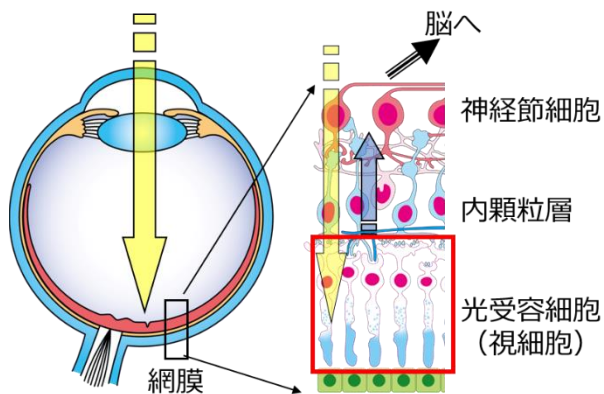


図1 網膜の光受容機構

眼球に入った映像（光）は、網膜の後方に位置する光受容細胞（視細胞）で捉えられます。暗状態で視細胞は神経伝達物質を放出していますが、光を受け取ると神経伝達物質の放出が減少します。この神経伝達物質の増減を内顆粒層に存在する神経細胞が感知し、神経節細胞へと情報を伝達します。神経節細胞は、その情報に基づいて、電気信号を発生し、脳に視覚情報として伝達します。

日本の中途失明原因の第二位に位置する網膜色素変性症では、網膜で最初に光を受容する視細胞が選択的に障害され、病態の進行によっては失明に至ることがあります。網膜色素変性症では、視細胞の変性により失明に至った後も、眼と脳を繋ぐ視神経を構成する神経細胞は残存しており、この細胞に光を受け取る仕組みを持たせることによって視覚を回復できると考えられます（図2）。

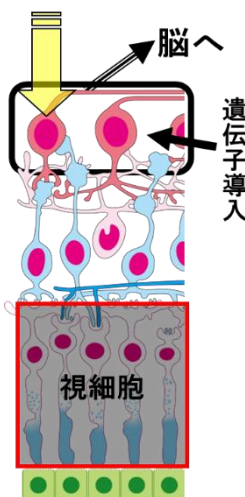


図2 遺伝子治療

視細胞の変性に起因する失明では、その他の網膜の神経細胞は残存し機能していることが知られています。残存する網膜の神経節細胞に光受容タンパク質の遺伝子を導入することによって、神経節細胞が光に反応し脳に視覚情報を伝達できるようになります。

富田浩史教授、菅野江里子教授は、2007年に緑藻類クラミドモナスが持つ光受容タンパク質（ChR2）をコードする遺伝子をアデノ随伴ウイルス（AAV）に組み込み、そのウイルス溶液を失明に至ったラットの眼内に注射することによって、視覚を回復できることを報告しました(1, 2)。しかし、このChR2タンパク質は青色にしか応答出来ず、視覚を回復できたとしても、他の色の物体を見ることができませんでした(3, 4)。2014年に、世界で初めて可視光に幅広く応答するタンパク質の開発に成功しましたが(5-7)、光に対する感度や応答速度は、生来の視覚と比べ劣っていました。2020年、光感度と応答速度に優れたタンパク質の開発に成功し（ComV1）、現在まで、その視覚回復効果を動物モデルで明らかにしてきました(8, 9)。

光受容タンパク質を用いた視覚回復では、回復される視機能は治療に用いられる光受容タンパク質の特性に依存します。例えば、光感度の低いタンパク質を用いた場合には、室内などの暗い環境では視覚は得られず、明るい物体しか認識できないと予想されます（図3）。



また、応答速度の遅いタンパク質では、一度受けとった視覚情報が延々と続くことになり、ひとつの映像として認識されない可能性があります（図4）。今回用いる ComV1 はそれらを兼ね備えた光受容タンパク質であり、より良い視機能を提供できる可能性があります。



図3 光感度の低い光受容タンパク質を用いた治療との比較（イメージ図）

1秒間に10枚の動きのある映像を見た場合



図4 応答速度の遅い光受容タンパク質を用いた治療との比較（イメージ図）

#### 【今後の展開】

東北大学病院臨床研究推進センターの協力を得て治験開始に必要な安全性試験（GLP-Tox）を終了させるとともに治療用製剤の開発を行い、D-Global 支援期間内に治験プロトコル（臨床試験実施申請資料）を提出できる段階まで進める計画です。さらに、東北大学ベンチャーパートナーズ株式会社が事業化推進機関となり、本遺伝子治療製品の開発を担うスタートアップの起業を目指します。



岩手大学  
IWATE UNIVERSITY

## 【本事業に関わるこれまでの論文】

1. **Tomita H, Sugano E**, Yawo H, Ishizuka T, Isago H, Narikawa S, Kugler S, Tamai M. Restoration of visual response in aged dystrophic RCS rats using AAV-mediated channelopsin-2 gene transfer. *Investigative ophthalmology & visual science*, 48(8), 3821-6. 2007.
2. **Sugano E**, Isago H, Wang Z, Murayama N, Tamai M, **Tomita H**. Immune responses to adeno-associated virus type 2 encoding channelrhodopsin-2 in a genetically blind rat model for gene therapy. *Gene Therapy*, 18(3), 266-74. 2011.
3. **Tomita H, Sugano E**, Fukazawa Y, Isago H, Sugiyama Y, Hiroi T, Ishizuka T, Mushiake H, Kato M, Hirabayashi M, Shigemoto R, Yawo H, Tamai M. Visual properties of transgenic rats harboring the channelrhodopsin-2 gene regulated by the thy-1.2 promoter. *PLOS ONE*, 4(11), e7679. 2009
4. **Tomita H, Sugano E**, Isago H, Hiroi T, Wang Z, Ohta E, Tamai M. Channelrhodopsin-2 gene transduced into retinal ganglion cells restores functional vision in genetically blind rats. *Experimental Eye Research*, 90(3), 429-36. 2010.
5. **Tomita H, Sugano E**, Murayama N, Ozaki T, Nishiyama F, Tabata K, Takahashi M, Saito T, Tamai M. Restoration of the majority of the visual spectrum by using modified Volvox channelrhodopsin-1. *Molecular Therapy*, 22(8), 1434-1440. 2014.
6. **Sugano E**, Tabata K, Takahashi M, Nishiyama F, Shimizu H, Sato M, Tamai M, **Tomita H**. Local and systemic responses following intravitreal injection of AAV2-encoded modified Volvox channelrhodopsin-1 in a genetically blind rat model. *Gene Therapy*, 23(2), 158-66. 2016.
7. Sato M, **Sugano E**, Tabata K, Sannohe K, Watanabe Y, Ozaki T, Tamai M, **Tomita H**. Visual Responses of Photoreceptor-Degenerated Rats Expressing Two Different Types of Channelrhodopsin Genes. *Scientific Reports*, 7, 41210. 2017.
8. Watanabe Y, **Sugano E**, Tabata K, Hatakeyama A, Sakajiri T, Fukuda T, Ozaki T, Suzuki T, Sayama T, **Tomita H**. Development of an optogenetic gene sensitive to daylight and its implications in vision restoration. *npj Regenerative Medicine*, 6(1), 64. 2021.
9. Hatakeyama A, **Sugano E**, Sayama T, Watanabe Y, Suzuki T, Tabata K, Endo Y, Sakajiri T, Fukuda T, Ozaki T, **Tomita H**. Properties of a Single Amino Acid Residue in the Third Transmembrane Domain Determine the Kinetics of Ambient Light-Sensitive Channelrhodopsin. *Int J Mol Sci*, 24(5). 2023.

