

2022年度（令和4年度）採択課題

研究開発
課題名

病原性CUGリピートRNAを標的とする塩基配列特異的RNA結合蛋白質 による筋強直性ジストロフィー 1 型に対する革新的治療薬の開発

研究開発代表機関

エディットフォース株式会社

代表取締役社長 CEO 小野 高



リード認定VC

Newton Biocapital Partners

研究開発代表者

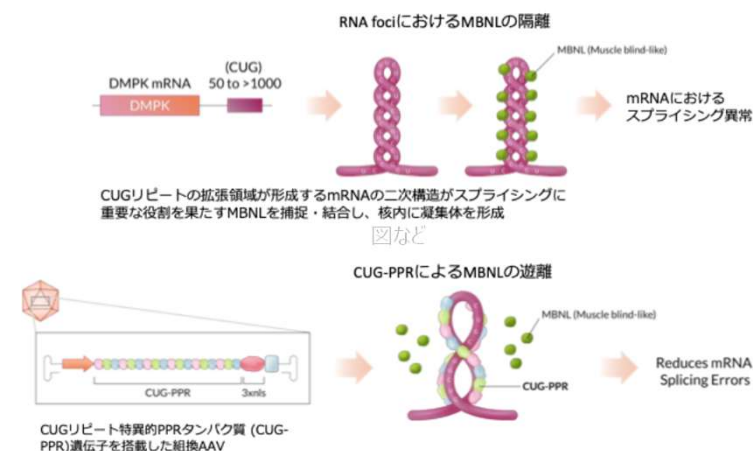
取締役CSO
中西 理

課題概要

私たちは、植物由来のPPR（Pentatricopeptide Repeat）モチーフを活用し、標的RNA配列に特異的に結合する人工タンパク質を設計する独自技術を保有しています。本技術を応用し、治療法が限られている難治性遺伝疾患・筋強直性ジストロフィー 1 型（DM1）の原因となるCUGリピートRNAの病原性を抑制する遺伝子治療薬「EF-210」の開発を進めています。ステージ1では、疾患モデル動物における有効性と長期効果を確認するとともに、臨床試験に向けた安全性評価および製造プロセスの整備を進めてきました。ステージ2では、米国での臨床試験開始に向けたIND申請を行います。その後の臨床試験で、EF-210の安全性と有効性を確認し、その成果をもとに国内外の製薬企業等との連携により、グローバルな実用化につなげていきます。

PPRタンパク質によるDM1治療

- DM1は、異常伸長したCUGリピートRNAによるスプライシング因子の隔離と、それに伴うスプライシング異常によって発症します。
- AAVベクターによりCUGリピート特異的PPRタンパク質を送達することで、スプライシング異常を是正し、筋機能を改善します。

連絡先 <https://www.editforce.co.jp/contact/>HP <https://www.editforce.co.jp/>

2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名

ヒトiPS細胞由来心筋細胞製剤 OZTx-556の重症心不全患者を対象とした グローバル治験によるProof of Concept（PoC）検証

研究開発代表機関

オリヅルセラピューティクス株式会社

代表取締役社長兼最高経営責任者 野中 健史



リード認定VC

京都大学
イノベーションキャピタル株式会社

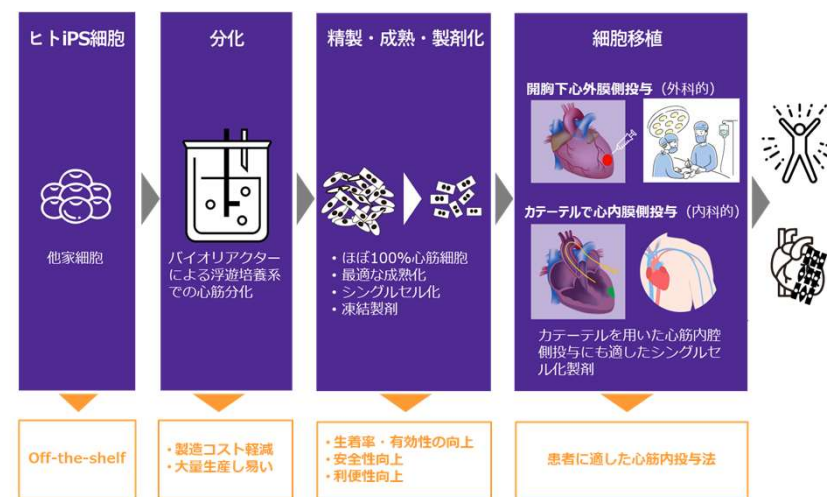
研究開発代表者



次世代細胞治療事業部
事業部長
西本 誠之

課題概要

重症慢性心不全の多くは薬物治療抵抗性であり、これらの患者にとって心臓移植が唯一の治療法とされています。私たちは、ヒトiPS細胞から高生着性・高純度の心筋細胞「OZTx-556」を効率的に作製する新技術を開発しました。この細胞は心筋梗塞モデル動物への移植実験で優れた生着と心機能の回復効果を示しています。しかし実際の治療には数億個もの細胞移植が必要と予想され、そのために低コストかつ大量に高品質な細胞を製造する技術の確立が不可欠です。本補助事業では、商用スケールを見据えた浮遊培養による安価で効率的な大量製造プロセスの開発を進めます。加えて、患者への身体的負担を最小限に抑える新たなカテーテル投与法の開発にも取り組み、従来の開胸下投与と比較し、最適な投与手段を選択します。最終目標は、これらの技術によってグローバルな臨床試験における治療効果の証明（PoC）を達成し、多くの患者へ本治療を届けることです。



連絡先

<https://orizuru-therapeutics.com/contact/>

HP

<https://orizuru-therapeutics.com>



2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名

視覚再生遺伝子治療薬のグローバル第2相臨床試験におけるPOC取得

研究開発代表機関

株式会社レストアビジョン

代表取締役社長CEO 堅田 侑作



リード認定VC

Remiges Ventures, Inc.

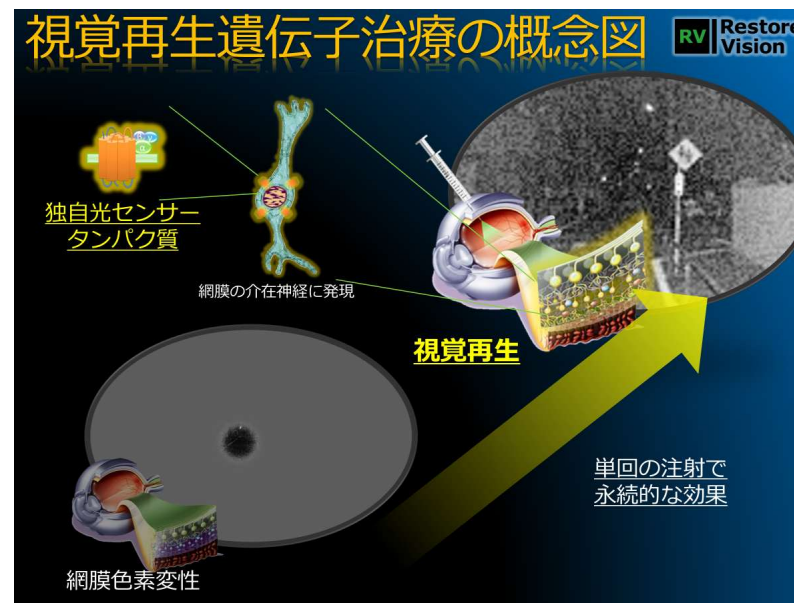
研究開発代表者



代表取締役社長CEO
堅田 侑作

課題概要

日本の失明原因第2位である網膜色素変性症を含む遺伝性網膜疾患には、依然として有効な治療法が存在せず、早期の開発が強く求められています。我々はこの課題に対し、独自の光センサータンパク「キメラロドプシン」を用いた視覚再生遺伝子治療薬「RV-001」を開発します。網膜色素変性症は原因遺伝子が多岐にわたりますが、残存細胞に光感受性を付与し視覚を再生する本治療は遺伝子変異を問わず適応可能です。特にRV-001は高感度な酵素型オプトジェネティクスを採用し、既存技術では困難な実用的な視力再生も期待されます。さらにAAVベクターにより一度の投与で長期的効果が見込まれます。本事業では、日本の地の利を活かし、国内治験および国際治験でのPOC取得を目指します。



連絡先

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

HP

<https://restore-vis.com>



2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名

治療抵抗性転移再発HER2陰性乳癌に対する新規治療法の開発

研究開発代表機関

ペリオセラピア株式会社

代表取締役社長 CEO 田原 栄治



リード認定VC

大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社

研究開発代表者



代表取締役社長 CEO
田原 栄治

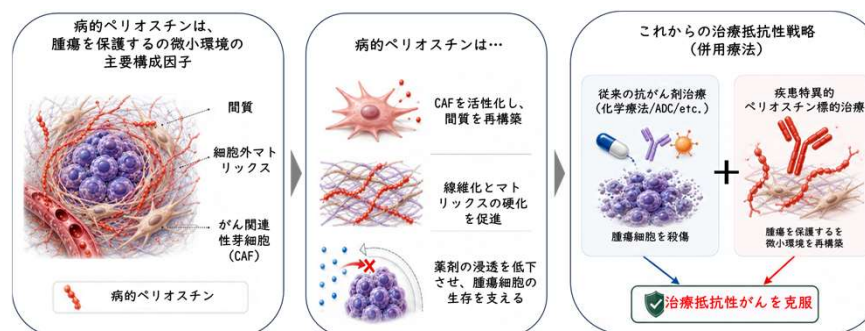
課題概要

ペリオセラピアは、大阪大学発の創薬バイオベンチャー企業として、がん治療の大きな未解決課題である「治療抵抗性」の克服を目指しています。創業者・谷山義明教授らの長年の研究から、腫瘍を守る腫瘍微小環境（TME）の形成に病的ペリオスチンが重要な役割を果たすことを見だし、これを選択的に標的とする抗体医薬PT0101を開発しています。

PT0101は、がんを守る腫瘍間質のバリアを弱め、治療抵抗性を克服し、既存の抗がん剤に対する感受性を回復させることを目指す新規治療です。

リードアセットとして、治療抵抗性転移再発HER2陰性乳癌に着目し、2025年3月より、日本でPhase 1/2a試験を進め、また2027年からの米国での臨床試験の準備を進めています。まず乳がん臨床PoCを確立し、その後、他の固形がんや多様な抗がん剤との併用へ展開します。

臨床PoC後は、グローバル製薬企業とのライセンス・共同開発を通じ、世界の患者さんへ新たな治療選択肢を届けることを目指します。



連絡先 <https://Periotherapia.co.jp/contact/>

HP <https://Periotherapia.co.jp/>



2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名**K_{ATP}チャネル阻害作用を有する
低分子アルツハイマー型認知症治療薬 NTX-083の開発**

研究開発代表機関

Neusignal Therapeutics 株式会社  **Neusignal
Therapeutics**

代表取締役 有本 達

リード認定VC

株式会社ファストトラックイニシアティブ

研究開発代表者

CEO
有本 達

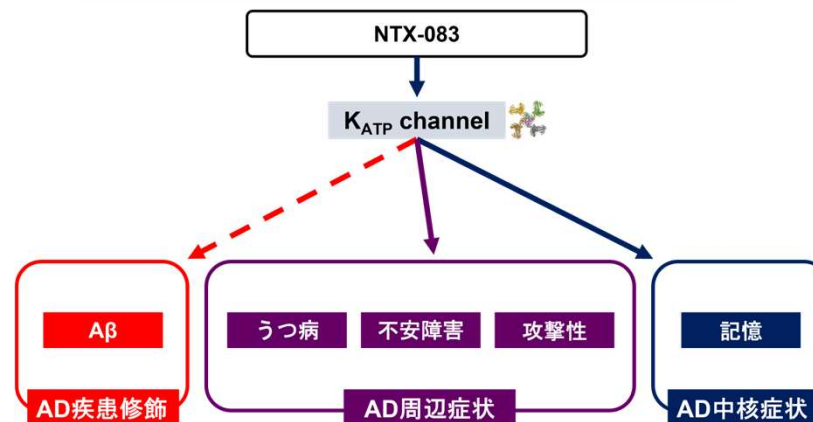
課題概要

世界的な課題の一つであるアルツハイマー型認知症(AD) に対し、当社は新規の作用機序を有する経口投与可能な低分子治療薬の創製を目指しています。

創業科学者である東北大学 准教授 森口茂樹博士らは、ATP感受性カリウムチャネル（K_{ATP} チャネル）が認知・精神機能に対して重要な役割を果たしていることを発見しました。創業科学者の見出したNTX-083はK_{ATP} チャネルを選択的に阻害し、AD の中核症状（認知機能障害）ならびに周辺症状（うつ症状・不安症状・攻撃性）を改善することをAD 病態モデルマウスで確認しています。さらに、症状進行を制御する「疾患修飾作用」も確認され、中核・周辺症状改善作用ならびに疾患修飾作用を有するADの画期的な治療薬として期待されます。NTX-083のグローバルな臨床開発を推進すると共に、詳細なMoA 研究によるNTX-083の細胞内シグナル伝達機序の解明を目指します。

健康成人臨床第I相単回投与・反復投与試験において、良好な忍容性と薬物動態プロファイルが確認されました。2026年内にAD患者を対象とした臨床第Ib相試験を米国で開始予定です。

低分子の限らない力で中枢神経系疾患を克服する

連絡先 <https://neusignal-tx.com/contact/>HP <https://neusignal-tx.com/>

2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名

ミトコンドリア置換自己 T 細胞製剤によるがん治療薬の研究開発

研究開発代表機関

イメル創薬株式会社

代表取締役 稲葉 太郎



イメル創薬株式会社

リード認定 VC

**Remiges Ventures, Inc.
RDiscovery株式会社**

研究開発代表者



チーフ・プロジェクト・オフィサー
神谷 勇輝

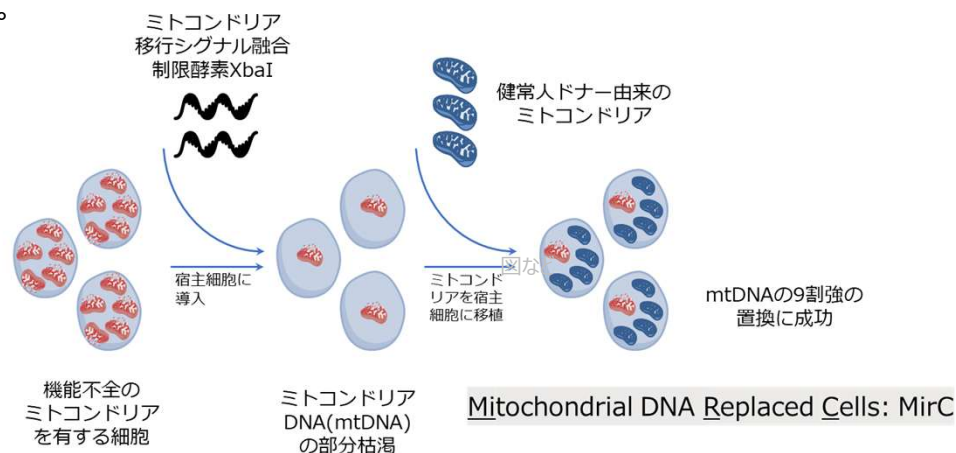
課題概要

がん免疫療法は、免疫チェックポイント阻害剤やCAR-T療法の登場により大きく進展しましたが、効果が得られない患者も少なくありません。

その要因の一つが、T細胞を含む免疫細胞の疲弊や老化です。近年、これらの状態にはミトコンドリア機能の異常が関与していることが明らかになっています。疲弊・老化したT細胞ではミトコンドリア機能が低下し、損傷ミトコンドリアの除去機能も障害されています。そのため、ミトコンドリア機能の回復はT細胞の機能改善に有効と考えられます。

しかし、こうした機能を直接回復し、がん免疫を高める治療法はまだ存在しません。この課題に対し、イメル創薬はT細胞のミトコンドリアを置換することで疲弊や老化を改善できる可能性を見出し、臨床応用を目指しています。

本技術はこれまで十分な効果が得られなかった患者にも免疫療法の有効性を高めることができ、がん治療の選択肢拡大と健康寿命の延伸に大きく貢献すると期待されます。



連絡先 info"AT"imeltx.com

HP <https://imelbiotx.com/>



※連絡先は“AT”の部分に@に変えてください。

2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名GPC3発現固形がんを対象とした低免疫原性同種 iPS 細胞由来
細胞傷害性 T 細胞療法の開発

研究開発代表機関

シノビ・セラピューティクス株式会社

代表取締役 等 泰道

SHINOBI
THERAPEUTICS

リード認定 VC

Impresa Management LLC

研究開発代表者

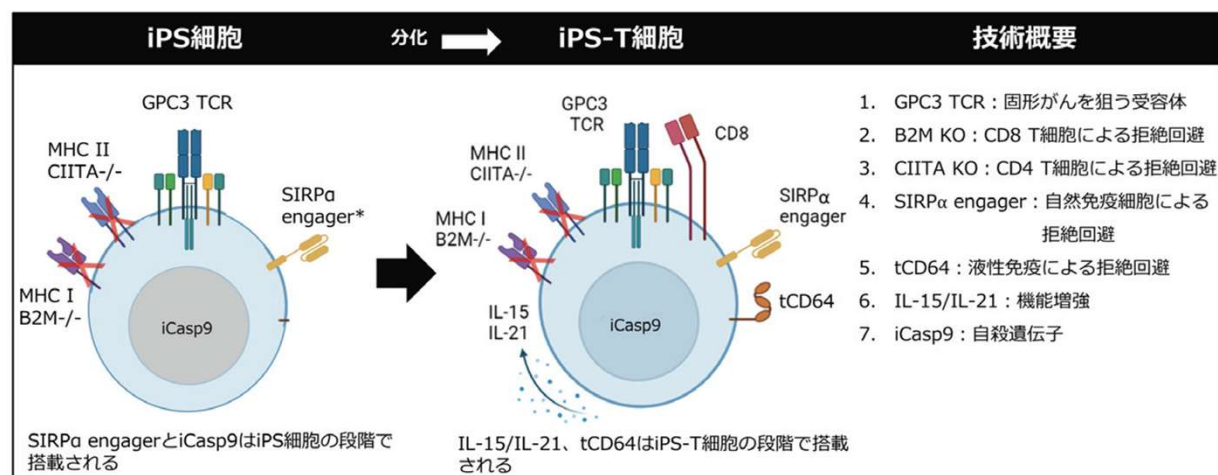
代表取締役
等 泰道

課題概要

次世代がん免疫治療としてCAR-T療法が注目されていますが、製造に患者自身のT細胞を用いるため、安定した質・量の確保が困難であり、かつ非常に高額です。これらの課題を克服すべくシノビ・セラピューティクス株式会社は、拒絶を回避して繰り返し投与が可能な同種iPS細胞由来T細胞療法製品「NJA-001」

を開発しています。NJA-001は、1) グリピカン3（肝細胞がん等で高発現）を標的とし、腫瘍特異的で強力な細胞傷害活性を有する、2) 拒絶回避により繰り返し投与が可能、3) off-the-shelf製品である、という特徴を持ち、既存治療が無効な患者への有力な治療手段として期待されています。京都大学iPS細胞研究財団で製造し、京都大学医学部附属病院次世代医療・iPS細胞治療研究センター、国立がん研究センター東病院、がん研究会有明病院

で第I相臨床試験を、さらに米国サイトを加えた第Ib相臨床試験を計画しています。本事業を通じて、NJA-001のヒトPOC確立による日本の創薬エコシステム強化への貢献を目指します。



連絡先 info"AT"shinobitx.com

HP <https://www.shinobitx.com>

※連絡先は“AT”の部分を変えてください。

2023年度（令和5年度）採択課題

研究開発
課題名

腫瘍内の M2 様マクロファージに選択的なナノ粒子ドラッグデリバリーシステムに搭載したTLR 刺激薬による新規がん免疫療法の開発

研究開発代表機関

ユニテッド・イムニティ株式会社

代表取締役社長 岸田将人



リード認定VC

株式会社東京大学エッジキャピタル
パートナーズ

研究開発代表者

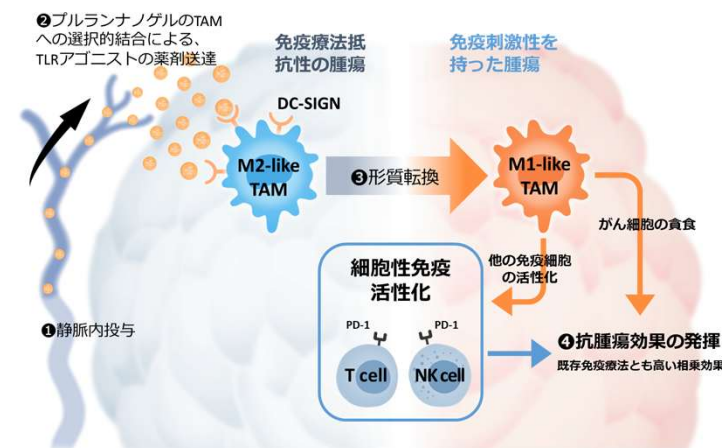


創業科学者 & チーフ
テクノロジーオフィサー (CTO)
原田 直純

課題概要

我々は、コレステリルプルラン（CHP）という素材を活用したナノ粒子が、マウス腫瘍モデルへの腫瘍関連マクロファージ（TAM）にCHPの生理的受容体であるDC-SIGN受容体選択的に集積する薬剤として機能することを発見しました。この発見を活かし、がん免疫療法抵抗性の腫瘍において、TAMの機能を調節することで有効性と忍容性の高さが期待されるTLRアゴニストを包埋したCHP製剤、「UI-102」を発明しました。UI-102は全身投与薬として優れた薬理活性をマウス腫瘍モデル等で示し、他方でTLRアゴニストの全身毒性を緩和しました。

本プログラムはステージ1のステージゲートを通過し、米国におけるFIH Ph1治験を開始しました。ICI治療抵抗性の大多数の固形がん患者に新たな治療選択肢を提供して、価値が高い医薬品を世に送り出すことを目標としています。



連絡先 <https://unitedimmunity.co.jp/contact>

HP <https://unitedimmunity.co.jp/>



2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

低活動膀胱を対象とした低分子医薬品 SFG-02の開発

研究開発代表機関

Juro Sciences 株式会社

代表取締役 CEO 長袋 洋



リード認定VC

みやこキャピタル株式会社

研究開発代表者



取締役
チーフサイエンティフィックオフィサー
田中 晃

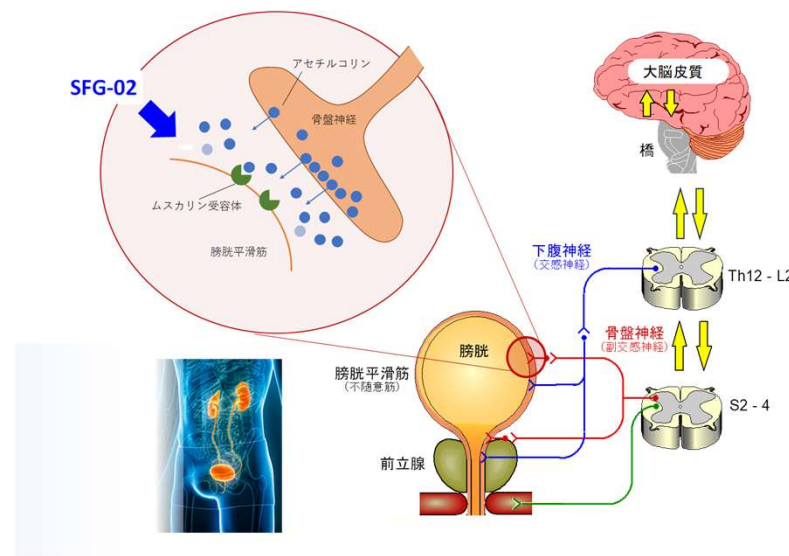
課題概要

対象疾患の低活動膀胱（underactive bladder; UAB）とは、加齢や中枢または末梢の神経障害などにより膀胱の収縮力が低下することにより生じる症状疾患です。症状には、膀胱充満感の低下、排尿量の減少、尿勢低下、排尿時のいきみ等があり、これらにより患者のQOLは著しく低下します。潜在的患者数は多く、一方有効な治療法が存在しないことから巨大なアンメットメディカルニーズを構築しています。

SFG-02は、UAB治療薬として開発中の革新的な新規低分子酵素阻害剤です。複数の前臨床試験において、分子標的に対する高い選択性と、UAB動物モデルにおける最適な有効性が示されました。

これまでに第1相試験でSFG-02の良好な薬物動態および安全性・忍容性を確認しました。現在、UABを対象とした第2a相試験の実施しています。

当社は、SFG-02がUABでQOLが低下している世界中の多くの患者にとって初の真に有効な治療薬となることを期待しています。



連絡先 Info"AT"sfgsci.com

HP <https://www.jurosci.com>



2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名全身性強皮症に伴う難治性皮膚潰瘍に対する血管内皮幹細胞を用いた
新規細胞治療薬の開発

研究開発代表機関

リバスキュラーバイオ株式会社

代表取締役CEO 大森 一生



リード認定VC

大阪大学ベンチャーキャピタル株式会社

研究開発代表者

代表取締役CEO
大森 一生

課題概要

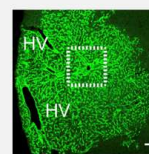
指定難病である全身性強皮症は世界で約250万人、国内で3万人と推計され、毛細血管の障害により指先の難治性皮膚潰瘍を引き起こします。現在有効な治療法はほとんどなく、患者さんは長期に強い疼痛・機能障害に苦しめられます。

我々が世界で初めて発見した「血管内皮幹細胞」は生体内の血管新生を担う血管固有の幹細胞であり、この細胞の潰瘍部への投与により、血管新生を介した局所の血流増加により創傷治癒を促進させることを実験的に立証済です。本事業ではこの血管内皮幹細胞を細胞医薬品として実用化すべく、製法確立および非臨床試験、さらには日本でのFirst in Human試験（Ph1/2試験）、米国Ph1/2試験の完了を目指します。

本事業の実現は、難治性皮膚潰瘍に苦しむ患者さんを苦痛から解放し、さらには血友病、心疾患、認知症といった未解決の他の血管の障害に起因する疾患の新規治療創出へもつながるものです。

微小血管の課題を新発見の幹細胞で治療

Technology

血管内皮
幹細胞
(ESC)(PCT/JP2018/042255)
Granted: JP, US, CN, AU
Pending: EP, CA

Concept

①破壊された微小血管の再生



②血管がつくる因子の欠損の復活

e.g. 凝固因子（血友病）

連絡先 <https://revascularbio.com/contact/>HP <https://revascularbio.com/>

2025年度（令和7年度）採択課題

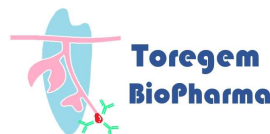
研究開発
課題名

先天性無歯症患者の欠如歯を再生する新規抗体薬品の開発

研究開発代表機関

トレジェムバイオファーマ株式会社

代表取締役 CEO 和田 博喜



リード認定VC

JICベンチャー・グロース・インベスト
メンツ株式会社

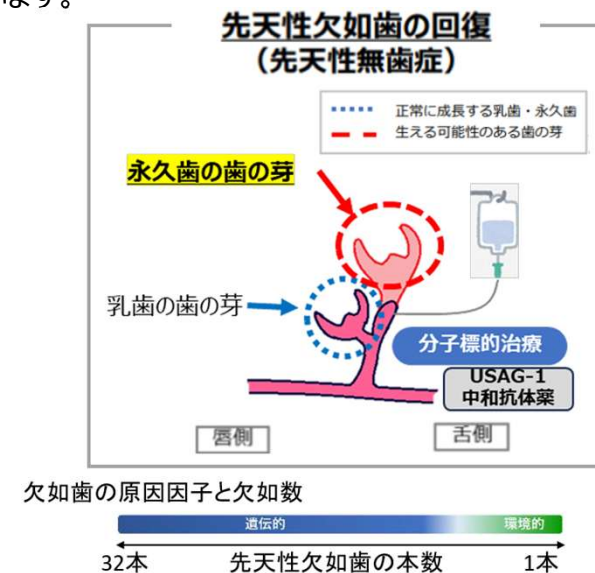
研究開発代表者

取締役 CSO
橋本 宗明

課題概要

先天性無歯症は生まれつき歯が欠如する疾患で、6本以上欠如する重症型は強い遺伝性を示します。原因としてBMPやWNTシグナルの関与が示唆される中、研究グループはこれらを抑制する因子「USAG-1」に着目しました。USAG-1欠損マウスにおける過剰歯形成の発見を契機に、この分子が歯数を増加させる有望な治療標的であることを実証。USAG-1を標的とした中和抗体を作製し、モデルマウスやビーグル犬への投与で欠如歯の回復を確認しました。抗原結合性や生物活性などを総合評価し、最終開発候補として「TRG035」を選定しました。TRG035は動物実験で高い有効性と安全性を確認後、PMDAとの協議を経て、2024年10月よりPhase1（第1相）臨床試験を開始しました。2025年9月に同試験を完了し、安全性、忍容性、および至適投与量の評価を行いました。さらに2026年4月には、2歳～12歳の患児を対象としたPhase2（第2相）試験に関するPMDA対面助言を完了しました。現在、2026年8月にPMDA

に承認された計画に基づき試験開始に向けた準備を進めるとともに、米国でのPhase2試験に向けたIND申請準備も並行して推進しています。



連絡先 Info"AT"toregem.co.jp

HP

<https://toregem.co.jp/>

※連絡先は"AT"の部分に@に変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名ヒト脂肪細胞由来血小板様細胞（ASCL-PLC）の難治皮膚潰瘍治療に
対する他家（同種）再生医療等製品としての開発

研究開発代表機関

株式会社AdipoSeeds

取締役CSO 松原 由美子



リード認定VC

DCIパートナーズ株式会社

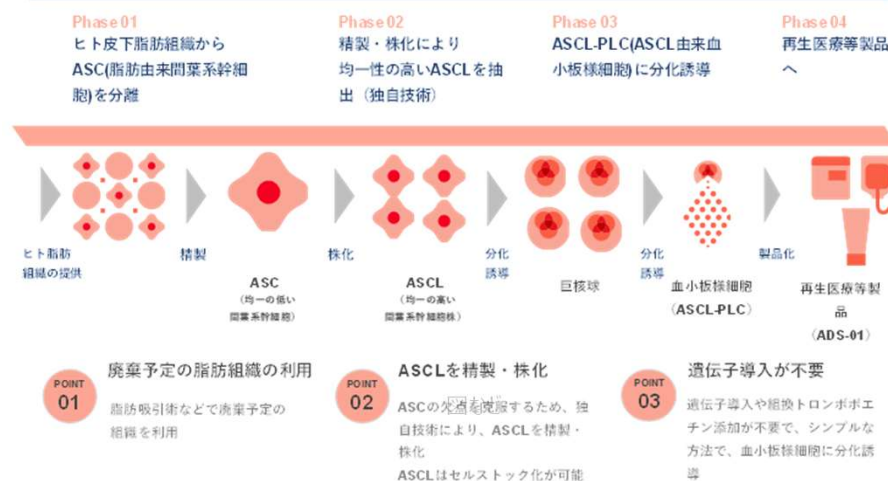
研究開発代表者

取締役CSO
松原 由美子

課題概要

AdipoSeedsが開発したヒト脂肪組織由来の血小板様細胞（ASCL-PLC）が産生されるメカニズムは、間葉系幹細胞が血小板の分化決定因子を内在しており、これら因子の発現は、間葉系幹細胞の維持培養時は僅かであるものの、トランスフェリンを含む血小板分化誘導培地を用いた培養時には、培養日数依存性に発現量が増加することにあります。このメカニズムの解明を通じて、AdipoSeedsは、ヒト脂肪組織を原材料に、遺伝子導入等を必要とせず、ASCL-PLCを他家再生医療等製品として製造する技術を確立しました。本補助事業では、ASCL-PLCを難治性皮膚潰瘍治療向けに開発を行います。難治性皮膚潰瘍は、治療に長期間を要するとともに、再発率も高く、潰瘍治癒が促進される新規治療法が望まれております。AdipoSeedsでは、2028年度までに探索的治験を終了し、POCを確立することを目指します。

他家再生医療等製品としての製造プロセスは確立済。



連絡先

info"AT"adiposeeds.co.jp

HP

<https://www.adiposeeds.co.jp/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

潰瘍性大腸炎治療薬 MGT-006の開発

研究開発代表機関

メタジェンセラピューティクス株式会社

代表取締役社長 CEO 中原 拓



リード認定VC

JICベンチャー・グロース・
インベストメンツ株式会社

研究開発代表者

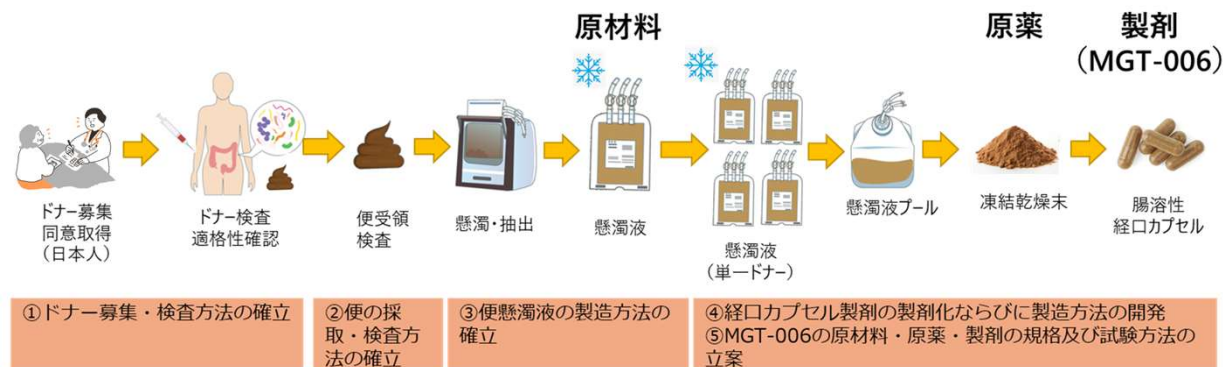


取締役CSO
寺内 淳

課題概要

腸内細菌叢移植（FMT）は健常ドナーの便由来の腸内細菌を患者に移植する治療法で、米国や豪州等では難治性クロストリディオイデス・ディフィシル感染症の治療法として承認されています。順天堂大学では2014年より潰瘍性大腸炎（UC）を対象としたFMTの臨床研究を実施しており、その成果を基に2020年にメタジェンセラピューティクスが設立されました。同社は、本治療法を世界中の患者さんに新たな選択肢として提供するため、

経口FMT製剤「MGT-006」の開発を進めており、製剤処方および製造体制を確立し、PMDAやFDAとの協議も開始しています。2026年5月には、日米のUC患者を対象にMGT-006の第1b相/第2a相臨床試験を開始しました。中等症のUC患者に対し、本剤により寛解導入および長期寛解維持を可能にし、難治化や重症化を防ぐ新たな治療オプションとして、グローバルでの上市と普及を目標としています。



連絡先

contact"AT"metagentx.com

HP

<https://www.metagentx.com>



※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名GD2陽性の難治性固形癌に対するGITRLを組み込んだ自家由来の新規
CAR-T 細胞療法の研究開発

研究開発代表機関

ティーセルヌーヴォー株式会社

代表取締役社長 松永 行介



リード認定VC

DBJキャピタル株式会社

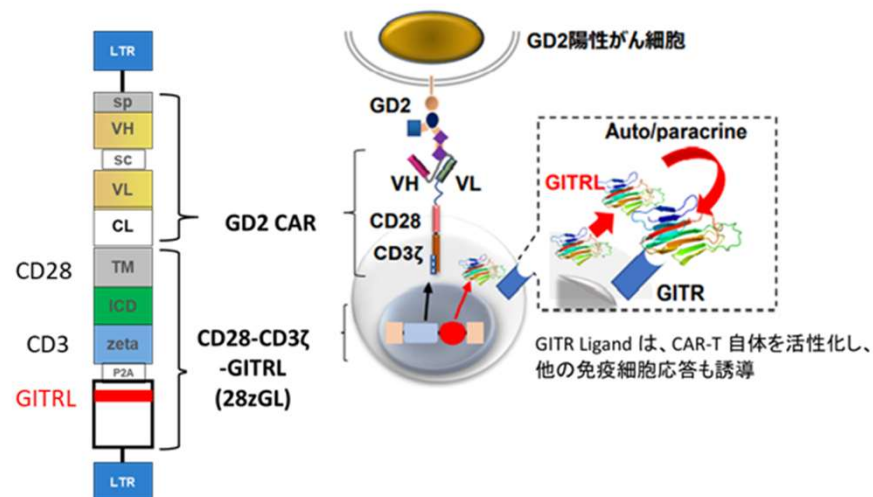
研究開発代表者

取締役会長
竹迫 一任

課題概要

固形癌に対するCAR-T療法は種々の要因により未だ成功していません。本事業では難治性固形癌に対する新規CAR-T療法の実用化を目指します。このCAR-Tは、複数の癌種に発現している糖脂質抗原GD2を標的としており、特長は①GD2特異性が高いマウスモノクローナル抗体のscFvを細胞外ドメイン、②分泌型GITRL（glucocorticoid-induced TNF receptor-related protein ligand）を細胞内ドメインに有する新規なCAR遺伝子です。さらに、GD2 GITRL CAR-Tの製造に完全閉鎖式自動細胞調製装置を使用し、①製造各ステップでのチェックが不要、②大規模な無菌施設の設備投資が不要、となることから製造経費の減少が期待されます。また、小児では成人に比べ採血量に限界があるため、アフェレーシス血を出発材料としたCAR-T製造法を確立し、難治性神経芽腫を対象に治験を実施します。

次世代細胞内シグナルドメイン
CD28のシグナルに加え、恒常的にGITRLigandを分泌する



連絡先

<https://www.tcellnouveau.com/contact>

HP

<https://www.tcellnouveau.com/>

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

自己免疫性疾患等に対する抗原特異的な免疫細胞療法の開発

研究開発代表機関

レグセル株式会社

代表取締役 Michael V. McCullar, Ph.D., MBA



リード認定VC

株式会社東京大学エッジキャピタル
パートナーズ

研究開発代表者

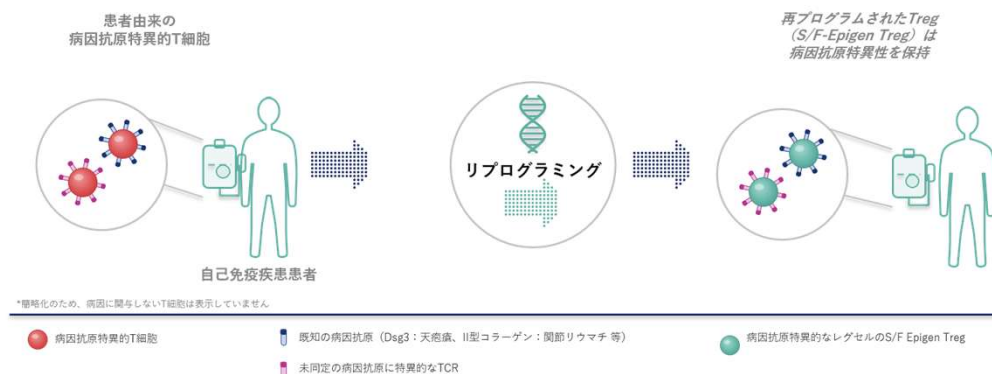


代表取締役
Michael V. McCullar,
Ph.D., MBA

課題概要

レグセル株式会社は、制御性T細胞（Treg）の発見者で2025年ノーベル生理学・医学賞を受賞した坂口志文博士らの研究を基盤に、Treg細胞医薬品を開発しています。独自のエピジェネティックリプログラミング技術により、遺伝子改変を介さず、患者自身のT細胞から病因抗原を認識する安定・高機能なTreg（RC-101）を高純度に大量製造し、免疫寛容の回復による自己免疫疾患の根治を目指します。本事業では、有効な治療法が乏しい自己免疫性肝疾患を対象に、複数の疾患モデルでの動物POC、細胞製造実績、非臨床安全性データをもとに、FDAとのPre-IND相談を経て米国の主要施設で治験を実施します。GMP準拠の米国CDMOでの治験薬製造とグローバル人材の結集により、2031年までに臨床POCを取得し、Treg細胞療法の世界的リーダーを目指します。

（技術概念図）



連絡先

Info_Tel: 06-4798-5531

HP

<https://regcellbio.com>



2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名小児希少血液疾患に対する新規 *ex vivo* 増幅造血幹細胞治療製品の開発

研究開発代表機関

セレイドセラピューティクス株式会社

代表取締役社長兼CEO 荒川 信行



リード認定VC

株式会社東京大学エッジキャピタル
パートナーズ

研究開発代表者

取締役, COO/CFO 兼
臨床開発部長
井上 雄介

課題概要

本事業では、小児期に発症する重度・希少血液疾患に対し、新規造血幹細胞（HSC）治療製品「CLD-001」の米国での臨床POC取得を目指します。対象となる原発性免疫不全症や再生不良性貧血などでは、HSC移植が根治を目指す上で重要な治療選択肢ですが、現行移植では①移植後の生着不全による死亡、②HLA適合ドナー不足、③移植後の重度GvHD（移植片対宿主病）という大きな課題があります。

当社は、HSCのエピジェネティックな遺伝子発現制御に注目し、独自に見出した化合物を用いて、長期骨髓生着能を有するCD34陽性細胞を高純度かつ大量に増幅する技術確立しました。CLD-001は、本技術を活用して、①移植後の生着不全による死亡リスクを減らすとともに、凍結さい帯血を細胞ソースとして用いることで、②③の課題にも対応する細胞治療製品です。米国CDMOへの技術移管が完了したため、今後は、非臨床安全性試験およびIND申請を進め、米国でPhase1/2a 臨床試験を実施していく計画です。

CLD-001 製造・治療

さい帯血バンク (米国)
細胞ソース

- 凍結さい帯血
- HLAベストマッチ

米国CDMO
CLD-001 製造

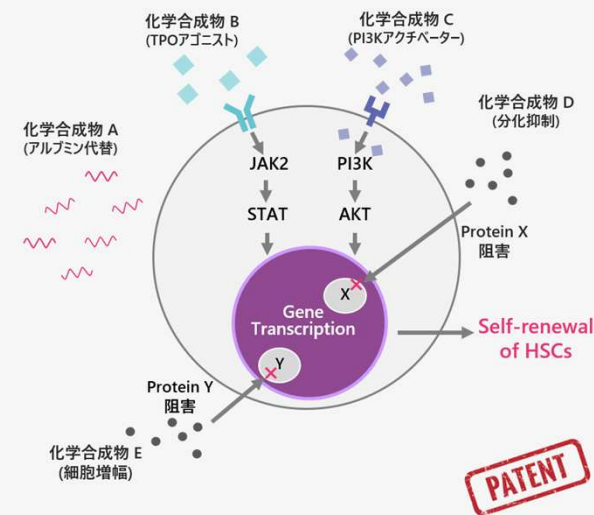
- HSC増幅
- 凍結保存
- QC・監査

病院
HSC治療

- 生存率の向上
- ドナー問題の解消
- 少ないGvHD

当社の造血幹細胞(HSC)増幅メカニズム

HSC遺伝子転写を調節する独自の化学合成物



連絡先 contact"AT"celaidtx.com

HP <https://celaidtx.com/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

重篤な遺伝子疾患に対する、mRNAを使用した Gene Writingによる遺伝子治療パイプラインの開発

研究開発代表機関

タイプライターTX合同会社

プレジデント 吉川 真由

TYPEWRITER
Therapeutics

リード認定VC

ANV Management, LLC

研究開発代表者



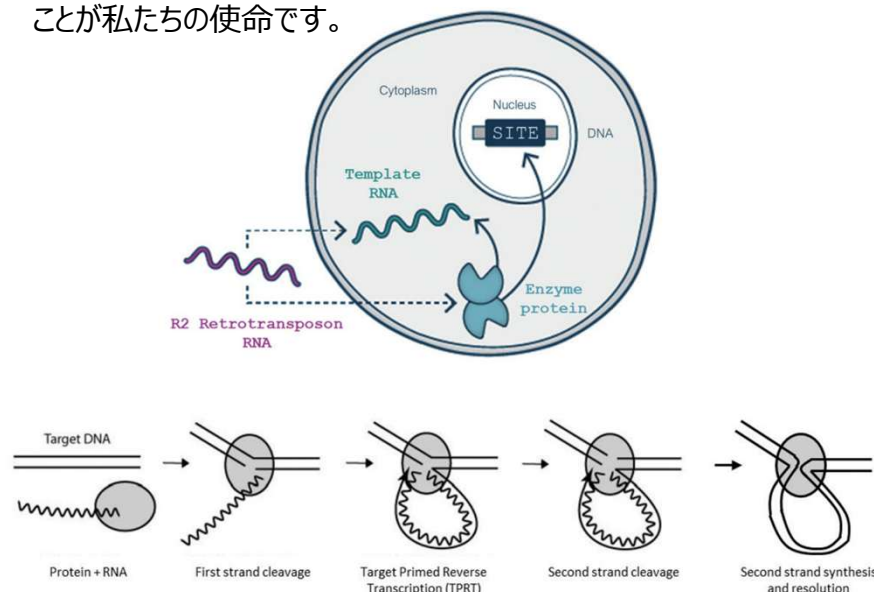
Director R&D Japan
水谷昌人

課題概要

Typewriter Therapeutics（タイプライター・セラピューティクス）は、がん、自己免疫疾患および重篤な遺伝性疾患の患者さんに、より安全で持続性があり、再投与可能な遺伝子医薬品を届けることを目指すバイオベンチャーです。

タイプライターの標的プライム逆転写（Target-Primed Reverse Transcription：TPRT）技術プラットフォームは、東京大学名誉教授の藤原晴彦博士らが発見した、自然界の遺伝子挿入機構であるR2レトロトランスポゾン（R2 Retrotransposon）を基盤としています。タイプライターの治療法は、RNAのみからなる2つの成分で構成されます。1つ目は、細胞内でR2タンパク質を産生するmRNAです。2つ目は、治療用遺伝子と、その両端にR2タンパク質を呼び込む配列を備えたRNAです。細胞内で両者が活性複合体を形成し、TPRTにより治療用遺伝子をゲノム上の特定の標的部位へ挿入します。その後、R2タンパク質とmRNAは分解され、挿入された治療用遺伝子のみが意図した位置に残ります。

日本（千葉県柏市）と米国マサチューセッツ州ケンブリッジに研究拠点を置き、日本発のイノベーションを世界の患者さんへ届けることが私たちの使命です。



連絡先

千葉県柏市柏の葉5丁目4-6 東葛テクノプラザ613号室
04-7107-5807 recruitjp"AT"typewritertx.com

HP

<https://typewritertx.com/>



※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

自己免疫疾患を対象としたCD19 CAR導入低免疫原性同種 iPS 細胞由来 ナチュラルキラー細胞療法の開発

研究開発代表機関

シノビ・セラピューティクス株式会社

代表取締役 等 泰道

SHINOBI
THERAPEUTICS

リード認定 VC

Impresa Management LLC

研究開発代表者



代表取締役
等 泰道

課題概要

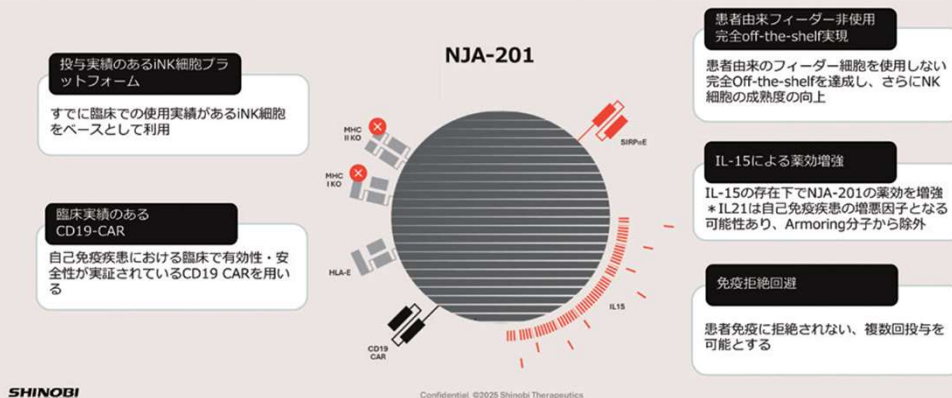
シノビ・セラピューティクス株式会社は、自己免疫疾患を対象としたCD19キメラ抗原受容体（CAR）導入低免疫原性同種iPS細胞

由来ナチュラルキラー（NK）細胞療法「NJA-201」の開発を進めています。本治療薬は、全身性エリテマトーデス、ループス腎炎、重症筋無力症などの自己免疫疾患のうち、既存治療に抵抗性の患者を対象とします。京都大学iPS細胞研究所と国立がん研究センターで進められたGPC3特異的CAR導入同種iPS細胞由来NK細胞療法の医師主導治験で確立されたiPS細胞由来NK細胞の製造プラットフォームを基盤としつつ、新たにIL-15による細胞傷害活性の増強および低免疫原性化技術を導入します。これにより、薬効のさらなる向上と、NJA-201に対する免疫拒絶反応の回避による繰り返し投与が期待されます。本補助事業では非臨床試験から第Ⅰb相臨床試験までを実施し、ヒトでの概念実証（POC）の確立を目的としています。

これにより、日本国内における当該疾患領域でのドラッグラグ解消と、創薬エコシステム強化への貢献を目指します。

技術概要 NJA-201の製品コンセプト

NJA-201は複数の自己免疫疾患を標的とする低免疫原性同種iPS細胞由来CD19 CAR-NK細胞療法



連絡先 info"AT"shinobitx.com

HP <https://www.shinobitx.com>



※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

免疫療法抵抗性固形がんのための腫瘍組織特異的pH応答性IL-12内包高分子ミセルの開発

研究開発代表機関

Red Arrow Therapeutics株式会社

代表取締役 宮崎 拓也



リード認定VC

Beyond Next Ventures株式会社

研究開発代表者



代表取締役
宮崎 拓也

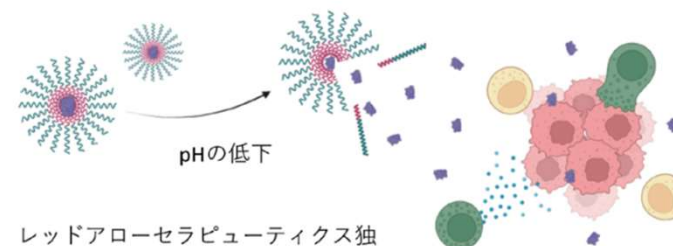
課題概要

IL-12は、体内にもともと存在し、免疫機能をサポートするタンパク質の一種です。数十年前から、IL-12をがん組織に投与して免疫機能を高め、がんを治療しようとするアイデアがありました。しかし、IL-12は全身に強い毒性を引き起こすため、安全に使用できる薬剤としての開発は難航してきました。

Red Arrow Therapeuticsでは、独自の特許技術であるpH応答性ナノポリマーを使い、この課題の解決に挑んでいます。このナノポリマーでIL-12を包み込むことで、全身に投与してもナノポリマーの殻がIL-12の毒性を抑え、がんの周囲に到達したときだけpHの変化を感知して殻を開き、IL-12を局所的に放出します。これにより、IL-12をがん組織に集中的に届け、副作用を抑えた治療が可能になることを目指しています。

ステージ1の目標は、ナノポリマーで包んだIL-12が実際に効果を発揮し、副作用が抑えられるかを確認するための動物実験データを集めることです。

また、現在は少量しか製造できていないこの薬剤を、多くの患者さんに届けられるよう、大量生産の可能性についても初期検討を行います。



レッドアローセラピューティクス独自の技術のナノポリマーがIL-12タンパク質を360° 包含し、殻を構成

pH変化に応答し殻が破れIL-12ががん組織に局所的に送達された結果、T細胞、B細胞、樹状細胞など種々の免疫物質が惹起され、がん組織を攻撃

連絡先 <https://redarrowtx.com/en/contact/>

HP <https://redarrowtx.com/>



2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

神経変性疾患の治療を目的とした新規遺伝子治療薬の開発

研究開発代表機関

reverSASP Therapeutics株式会社

代表取締役CEO/CSO 辻 真之介



リード認定VC

株式会社ファストトラックイニシアティブ

研究開発代表者



代表取締役CEO/CSO
辻 真之介

課題概要

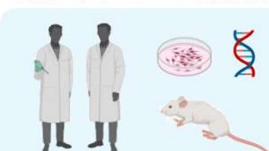
神経変性疾患は、脳の神経細胞が徐々に障害をうけることで、患者の運動機能、認知機能など、様々な脳の機能に大きな影響を与えます。多くの神経変性疾患は加齢にともなって発症リスクが高まることが知られており、老化による細胞などの機能低下が疾患の発症と進行を促進する重要なリスク要因であることが分かっています。とりわけ、脳内に異常なタンパク質が蓄積することが神経細胞の障害や機能不全を引き起こす重要な原因として考えられています。

現在までに、これら神経変性疾患の進行を根本的に止める治療法は確立されていません。そのため、疾患の根本メカニズムを改善し、病気の進行抑制・症状改善を可能にできる新しい治療薬の開発が強く求められています。

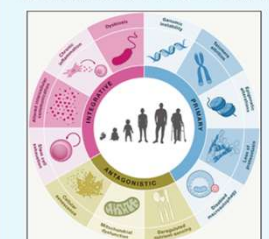
本補助事業では、細胞内のタンパク質品質管理に関する最新の研究から得られた科学的知見を応用し、神経細胞における異常タンパク蓄

積を抑制する新規遺伝子治療薬を開発することで、日本発の難治性神経変性疾患に対する革新的医薬品の創出を目標としています。

老化バイオロジーの研究成果

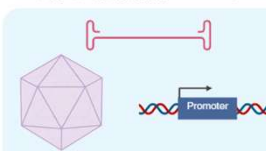


老化細胞、遺伝子改変マウス、シングルセル解析、AI解析などを駆使した老化の分子メカニズム解明

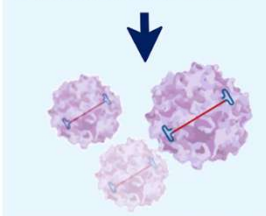


Cell 186, January 19, 2023

遺伝子治療技術への応用



異常タンパク蓄積を抑制する遺伝子、中枢で活性の高い発現制御配列、中枢指向性の高いCapsid



神経変性疾患の根本原因を狙った新規AAV遺伝子治療薬の創成

神経変性疾患の新たな治療へ



神経細胞の傷害



神経細胞における異常タンパク蓄積を抑制する新規の作用機序を有し、複数の神経変性疾患に応用可能

連絡先 03-5534-5701

HP

<https://www.reversasp.com/>



2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

アミノ酸トランスポーターのロッキング阻害による 革新的な新規抗がん剤の開発

研究開発代表機関

Atransen Pharma株式会社

代表取締役CEO 浅野智之
代表取締役COO 河合信宏



リード認定VC

ジャフコグループ

研究開発代表者



代表取締役CEO
浅野智之

課題概要

Atransen Pharmaは、がん細胞で高発現するアミノ酸トランスポーターLAT1を標的とする分子標的治療薬の創製に特化したバイオベンチャーです。独自のスクリーニング基盤と構造ベース創薬を中核技術としています。リード化合物APL1101は、LAT1の三次元構造に基づき合理的に設計された化合物です。非臨床試験では、LAT1を介したアミノ酸輸送を阻害し、新規作用機序「ロッキング阻害」により腫瘍増殖抑制作用を示しており、良好な安全性プロファイルが期待されます。

本事業では、治験開始に向け、APL1101のヒト初回投与量の設定および安全性評価に必要な非臨床試験を完了し、PMDAとの対面助言を完了しました。現在は、治験薬の製造および第I相試験の開始に向けた準備を進めています。

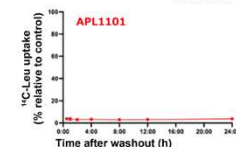
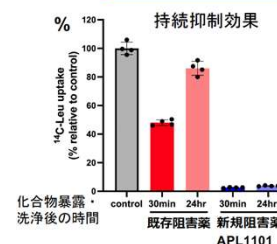
今後は、第I相試験およびバスケット型第IIa相試験に続き、第IIb相の比較試験を実施し、複数のがん種における臨床POCの確立を目指します。

また、国内外の医療機関およびCRO/CDMOと連携し、グローバル展開を見据えた開発を推進してまいります。



APL1101による強力なロッキング阻害

開発化合物APL1101は、LAT1への強い持続抑制効果を示す



「ロッキング阻害」としての新たな阻害様式

阻害薬 + LAT1 ⇌ 阻害薬・LAT1 → locked conformation

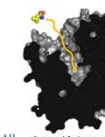
結合親和性(k_{on} , k_{off})で説明できる可逆的過程

結合親和性では説明できない不可逆的過程

$$K_i = \frac{[\text{阻害薬}][\text{LAT1}]}{[\text{阻害薬} \cdot \text{LAT1}]} = \frac{k_{off}}{k_{on}}$$

【ロッキング阻害】

PCT/JP2023/013197, WO2023190878A1



Copyright(C) 2026, Atransen Pharma Ltd. All Outward-facing open

連絡先

admin"AT"atransen.com

HP

https://atransen.com



※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名膀胱癌、膵癌、胃癌、大腸癌を含むルミナル癌に対する治療を目的とした
ファーストインクラス経口型低分子薬の研究開発

研究開発代表機関

CORE Biomedicine Japan GK.

President 貝原 達也



リード認定VC

東京大学協創プラットフォーム開発
株式会社

研究開発代表者

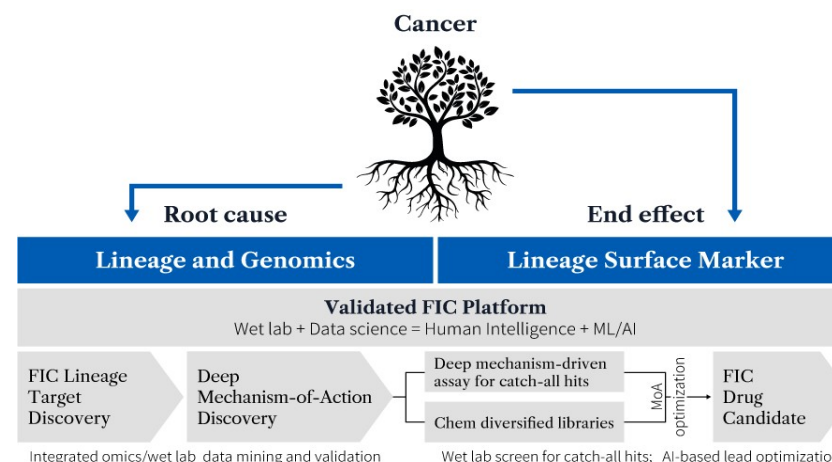
President
貝原 達也

課題概要

ルミナルがん（膀胱がん、膵がん、胃がん、大腸がんなど）は依然として治療選択肢が限られており、世界的に大きなアンメット・メディカル・ニーズを抱えています。近年のゲノム研究により、腫瘍の増殖を駆動し、免疫療法への抵抗性にも関与する系統特異的な転写因子の異常が明らかとなっており、これらは世界で50万人以上の患者に影響を及ぼすと推定されています。

当社はこの課題に対処するため、CORE-1201を開発しています。CORE-1201は、この転写因子を標的とする選択的かつ強力な経口低分子阻害剤です。前臨床試験では、膀胱がんPDXモデルにおいて顕著な腫瘍退縮を示し、承認済み薬剤との併用による相乗的な抗腫瘍効果も確認しています。

現在、IND申請に向けた非臨床・製造開発を進めるとともに、複数のがん種における有効性の評価および臨床試験に向けたバイオマーカー開発を進めています。



連絡先

contact "AT" corebiomedicine.com

HP

<https://corebiomedicine.com/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

再発性膠芽腫の腫瘍細胞及び腫瘍微小環境を標的とする 抗FAPα CAR-T細胞の開発

研究開発代表機関

オプティウム・バイオテクノロジーズ株式会社 
代表取締役 西岡 駿

リード認定VC

Saisei Ventures LLC

研究開発代表者

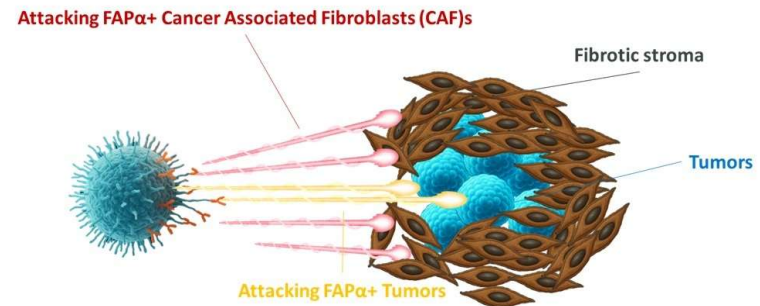


Head of R&D, VP
中丸 健治

課題概要

当社の基盤技術であるEumbody Systemは、一本鎖抗体の改変により高い殺細胞活性、増殖性、効果持続性をもつ最適化CAR-T細胞の設計を可能とします。現在当社はこの技術により創出されたFAPα（Fibroblast activation protein-alpha）を標的とするFL12-CAR-Tの研究開発を進めています。FL12-CAR-TはFAPαを発現する細胞を極めて特異的に傷害、除去することができ、またEumbody System由来のCAR-Tとしての増殖性、効果持続性を併せ持っています。標的のFAPαは、膠芽腫をはじめとする数種の癌の腫瘍細胞で、また癌の免疫抑制や薬剤耐性をもたらす癌関連線維芽細胞において発現していることが報告されており、FL12-CAR-TによるFAPα発現細胞の除去は、膠芽腫をはじめとする多くの癌の治療の大きなブレイクスルーになると考えています。

Targeting FAPα in the Tumor Microenvironment and Tumor
OPTF01 - A Novel Dual-Target Mechanism that Addresses Both the Tumor and Stroma



連絡先 info "AT" optieumbio.com

HP <https://optieumbio.com/>



※連絡先は"AT"の部分に@に変えてください。

2024年度（令和6年度）採択課題

研究開発
課題名

固形がんを高発現するGPCRを標的とした抗体・薬物複合体（ADC）による 新規がん治療薬の開発

研究開発代表機関

リベロセラ株式会社

代表取締役 奥村 洋一



リード認定VC

東京大学協創プラットフォーム
開発株式会社

研究開発代表者



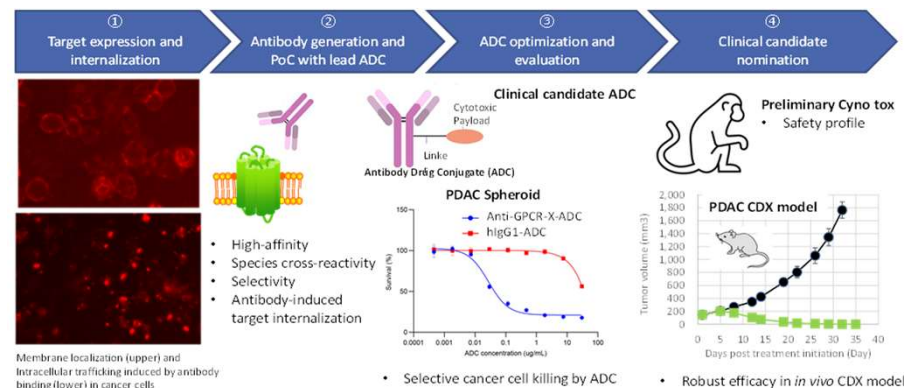
取締役 研究開発本部長
菅家 徹

課題概要

臓器がんを始めとする様々な固形がんが発現亢進しており、がんの増悪化や薬剤耐性に関与するGPCR（Gタンパク質共役受容体）を標的とした、First-in-class 抗体薬物複合体（ADC）の開発を行っています。GPCRファミリーはその複雑な膜タンパク質構造により、抗体創薬を行う上で困難を伴うことの多い標的（Undruggable Target）ですが、当社は独自の基盤技術を駆使することで、標的GPCRに対する治療薬候補抗体を取得し、ADCとしての開発を行っています。

これまでに、リードADCによる薬効POCの取得と、抗体パートならびにADCプラットフォームの最適化を行い、最適化ADCによる動物試験における高い有効性、ならびに製造適性を確認しており、安全性評価をふまえ最終開発候補品を決定します。

引き続き、治験薬の製造、臨床試験開始に向けた薬事プロセスを進め、臨床試験では、用量漸増試験を実施し安全性を確認するとともに有効性シグナルを捉え臨床POC取得を目指します。難治性の固形がんに対する有効な治療薬を全世界のがん患者様に届けます。



連絡先 info "AT" liberothera.com

HP <https://www.liberothera.com/>



※連絡先は"AT"の部分に@に変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

緑膿菌肺感染症に対するバクテリオファージカクテルARW001の開発

研究開発代表機関

株式会社Arrowsmith

代表取締役CEO, CScO 安藤 弘樹

Arrowsmith

リード認定VC

ジャフコ グループ株式会社

研究開発代表者

代表取締役CEO, CScO
安藤 弘樹

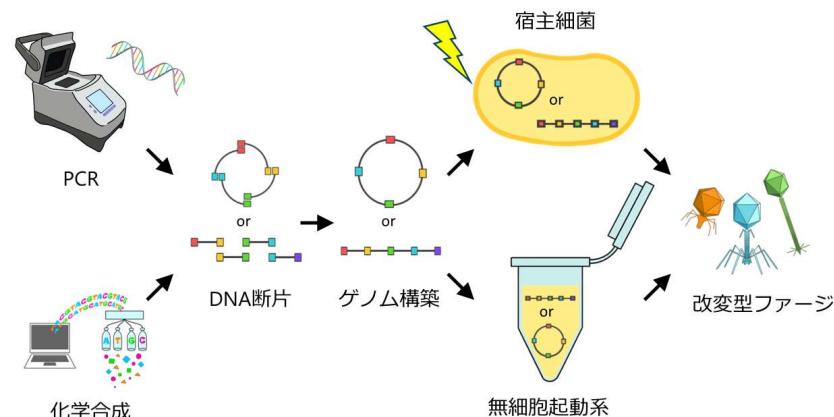
課題概要

株式会社Arrowsmithは、細菌の天敵ウイルスであるバクテリオファージを用いて、薬が効かない細菌感染症や治療に難渋する細菌感染症に対する革新的治療法「ファージセラピー」を開発する創薬スタートアップです。

リードプログラムARW001は緑膿菌感染症に対するファージカクテルです。複数種のファージから構成されており、広い宿主域・高い殺菌性・優れた安定性を兼ね備えています。さらに、ARW001には当社独自の「合成改変法」（右図）とノウハウから創出された改変型ファージが含まれています。この改変型ファージは、緑膿菌を認識する部位の改変によって幅広い臨床分離株への感染および殺菌と、機能性遺伝子搭載によるバイオフィーム（緑膿菌が産生するバリア様物質）の効率的な分解を実現します。

本課題では、ARW001の臨床応用に向けて、非臨床評価、

CMC、規制当局対応を進め、海外での早期臨床試験を通じてその有効性・安全性・臨床的有用性の実証を目指します。



合成改変法（Synthetic Engineering Platform）：改変型ファージゲノムを設計し、これを構築するために必要なDNA断片をPCRもしくは化学合成によって用意する。DNA断片を試験管内で連結し、環状もしくは線状の改変型ファージゲノムを構築する。適切な宿主細菌もしくは無細胞起動系へ入れることで改変型ファージを起動させる。

連絡先 <https://arrowsmith.co.jp/jp/contact>HP <https://arrowsmith.co.jp/jp>

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名CD19/CD20陽性の再発・難治性B細胞悪性リンパ腫に対する二重特異性
他家CAR-T細胞療法の臨床開発

研究開発代表機関

AvenCell Japan株式会社

代表取締役兼最高経営責任者 アンドリュー・シャーマイヤー



リード認定VC

Eight Roads Ventures Japan

研究開発代表者

取締役兼財務・運営部 運営部長
マーカス・オーチョウスキー

課題概要

CD19標的の自家CAR-T細胞療法の進展により、これまで治療が困難であった再発・難治性リンパ腫等においても治療が可能となっておりますが、多くの患者様においては治療抵抗性のため再発し、効果が持続しません。また、現在承認されているCAR-T療法は自家由来であり、開発コストや治療開始までの時間、さらには患者様自身のCD8細胞の疲弊状態に依存するという課題が存在します。

弊社他家開発品AVC203はこれら従来の治療法の課題を解決する、3つの技術から構成されております。

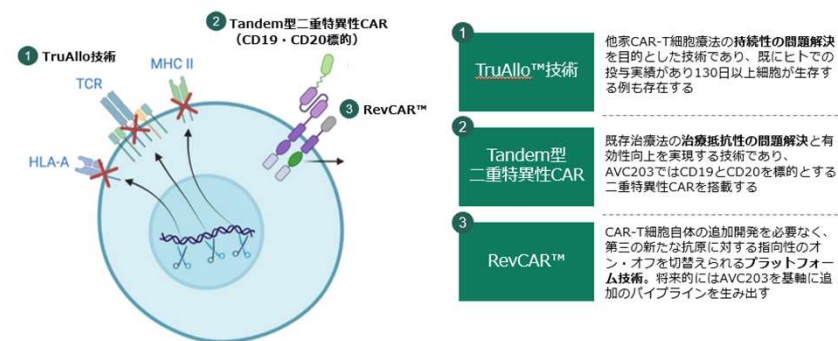
まず1つ目のTruAllo™により、種々の免疫拒絶機構を回避することで他家CAR-T細胞療法の持続性の問題を解決しております。

2つ目の、Tandem型二重特異性CARは、治療抵抗性の問題解決と有効性向上を実現する技術であり、弊社開発品ではCD19と20を標的とする二重特異性CARを搭載しております。

3つ目の、RevCAR™は、Targeting Moduleを使用し、抗原に対するオン・オフの切り替えを可能とするプラットフォーム技術となります。

本補助事業では、AVC203のグローバルな臨床試験を実施し、POC取得を目指します。

AVC203は従来の治療法の課題を解決する3つの技術から主に構成されている

連絡先 <https://avencell.com/contact/>HP <https://avencell.com/>

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名CRISPR-Cas3ゲノム編集技術を用いた
原発性免疫不全症に対する造血幹細胞移植治療法の開発

研究開発代表機関

C4U株式会社

代表取締役 平井 昭光



リード認定VC

DCIパートナーズ株式会社

研究開発代表者

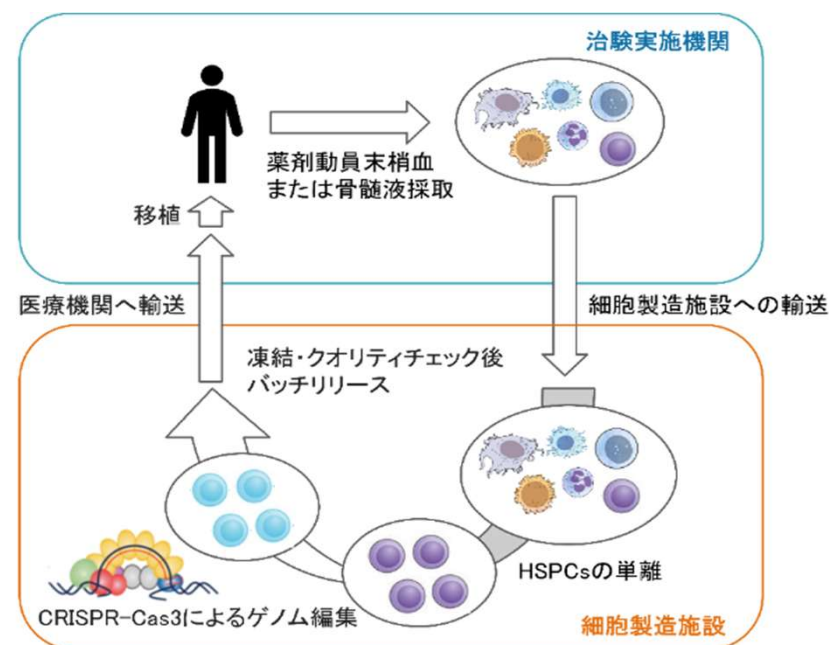
研究開発部長

横山一剛

課題概要

原発性免疫不全症は、遺伝子の変異により生まれつき免疫システムの一部に異常があることで細菌やウイルスへの抵抗力が低下し、重い感染症を繰り返しやすい疾患の総称です。根治治療として同種造血幹細胞移植が行われていますが、移植片対宿主病（GvHD）などの移植後合併症による死亡例も少なからずあることから、その実施可否や実施時期については統一した見解がないのが現状です。

そこで、患者自身の造血幹/前駆細胞（HSPCs）を採取し、国産のゲノム編集技術であるCRISPR-Cas3システムを使って原因となる遺伝子変異を修復したのちに、正常化したHSPCsを患者に戻す治療法の開発を計画しました。これにより、GvHDの発生を懸念することなく、生涯に一度の治療で健常人と同じレベルまで免疫能を正常化する革新的な治療法（ex vivo遺伝子治療用製品）が提供できます。本品の対象となる疾患は希少疾患で患者数が少ないものの、その革新性の高さから高薬価が期待でき、十分な収益を期待できます。



連絡先 info"AT"crispr4u.com

HP <https://www.crispr4u.jp/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2025年度（令和8年度）採択課題

研究開発
課題名

新規メカニズムを用いたフェロトーシス誘導性抗がん剤の開発

研究開発代表機関

株式会社FerroptoCure

代表取締役 氏名 大槻雄士



リード認定VC

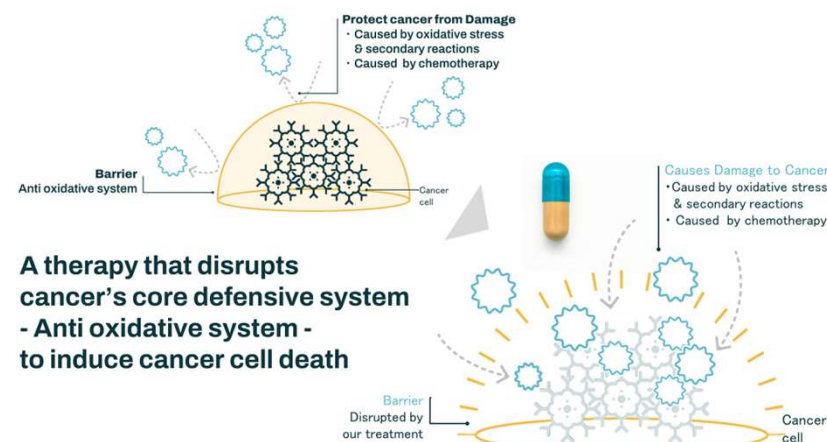
ANRI株式会社

研究開発代表者

代表取締役
大槻雄士

課題概要

がん治療において薬剤耐性は依然として大きな課題であり、化学療法、分子標的薬、免疫チェックポイント阻害薬など既存治療が効果を示さない症例が多数存在します。特に再発・転移がんや難治性がんでは、治療中にがん細胞が細胞死回避機構を獲得し、薬剤耐性を示すことが治療成績向上の大きな障壁となっています。近年、鉄依存性細胞死（フェロトーシス）の回避がこの耐性機構の一因であることが明らかになり、新たな治療標的として注目されています。本課題で開発するFC004は、フェロトーシスを選択的に誘導し、従来治療で効果が不十分ながんに対して新たな治療選択肢を提供する経口低分子化合物です。非臨床試験において有効性と安全性が確認されており、薬理・毒性・製造の各面から開発を加速し、海外での早期臨床試験開始を目指します。



連絡先 yotsuki "AT" ferroptocure.com

HP

<https://ferroptocure.com/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

新規悪液質治療薬 TSP-101 の開発

研究開発代表機関

テンセグリティファーマ株式会社

代表取締役社長（CEO） 中原 崇人

Tensegrity
Pharma

リード認定VC

Newton Biocapital Partners

研究開発代表者

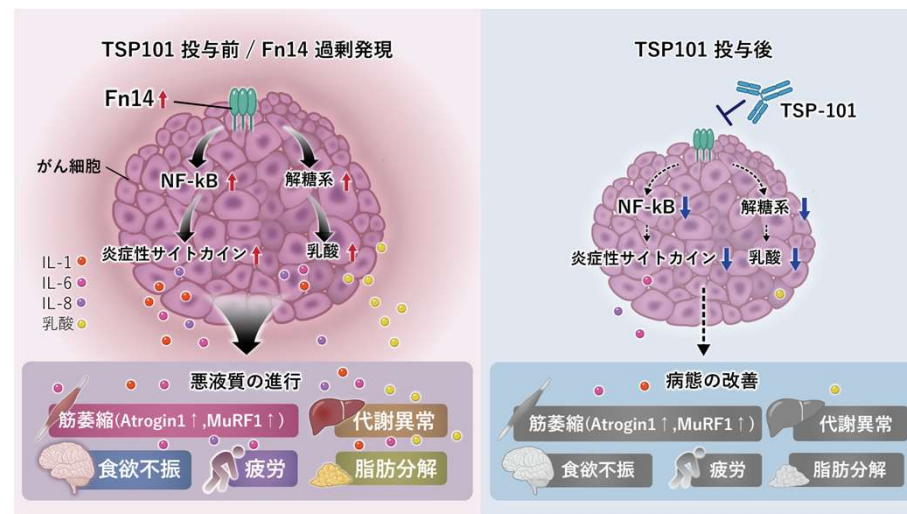
代表取締役社長（CEO）
中原 崇人

課題概要

悪液質は、進行がん患者の約8割が発症し、死因の約3割に関与する全身性の代謝異常症候群です。全身性の炎症により骨格筋や脂肪が著しく消耗し、治療継続を困難にする深刻な未充足医療ニーズ（アンメット・メディカル・ニーズ）として、患者様とご家族の生活を脅かしています。

当社が開発する「TSP-101」は、炎症シグナル「Fn14」を阻害する世界初のアンタゴニスト抗体です。対症療法とは異なり、病態そのものに介入する「病態修飾型治療」を実現します。体重・筋肉量の維持や食欲改善を通じ、患者様が「治療と自分らしく向き合い続ける」ための時間を守ります。

本剤は、治療継続率向上や入院期間短縮といった医療経済的な貢献に加え、Fn14を標的とする特性から、将来的には多様な炎症性疾患への応用も視野に入れています。現在、AMEDの支援の下、臨床POC（治療概念の実証）の取得に向け開発を加速させています。私たちは、悪液質の進行を根底から断ち切る次世代のがん治療を完遂させるための基盤を支えてまいります。

連絡先 <https://jp.tensegritypharma.com/contact.html>HP <https://jp.tensegritypharma.com/index.html>

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名ヒトiPS細胞由来ネフロン前駆細胞を用いた慢性腎臓病に対する
細胞療法の開発

研究開発代表機関

リジェネフロ株式会社

代表取締役社長 森中 紹文



リード認定VC

DCIパートナーズ株式会社

研究開発代表者

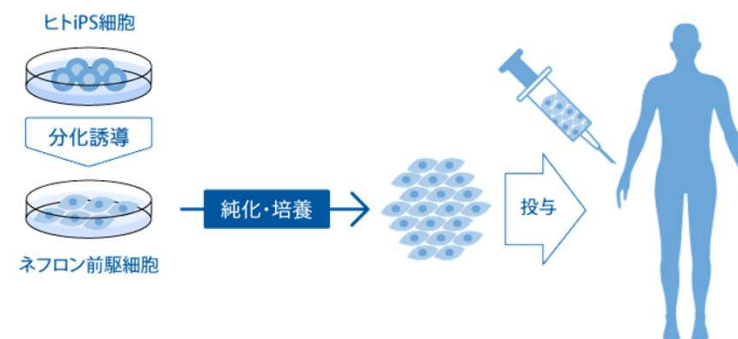
代表取締役社長
森中 紹文

課題概要

慢性腎臓病（CKD）は、進行すると不可逆的な腎機能障害をもたらす、透析療法や腎移植が必要となる深刻な疾患である。患者数は国内で約2,000万人、世界で約8億5,000万人と推計され、今後も増加が予測される。国内の透析医療費は年間1.5兆円を超え、医学的・医療経済的に大きな課題となっている。腎移植はCKDに対する有効な治療法である一方、ドナー不足や免疫抑制薬の副作用、移植腎の慢性的な機能低下など、克服すべき課題が多い。

こうした背景から、iPS細胞由来の細胞製品を活用した再生医療の実現が期待されている。本課題では、ヒトiPS細胞由来ネフロン前駆細胞（iNPC）を用い、まずは腎移植後CKDを最初の適応として、その進行抑制を目指す細胞療法を開発する。非臨床安全性試験を完了した上で臨床試験へ進め、最終的には本適応症での再生医療等製品としての薬事承認と社会実装を目指す。

これにより、移植腎機能の長期維持と透析再導入の回避を通じ、患者の生活の質（QOL）の改善と医療経済的負担の軽減に貢献することが期待される。



連絡先 info "AT" regenephro.co.jp

HP <https://www.regenephro.co.jp/>

※連絡先は"AT"の部分を変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名潰瘍性大腸炎の病原性自己抗体産生B細胞を傷害除去する二重特異性
バイオ医薬品の開発

研究開発代表機関

Link Therapeutics株式会社

代表取締役CEO 河村 透



リード認定VC

京都大学イノベーションキャピタル
株式会社

研究開発代表者

代表取締役CEO
河村 透

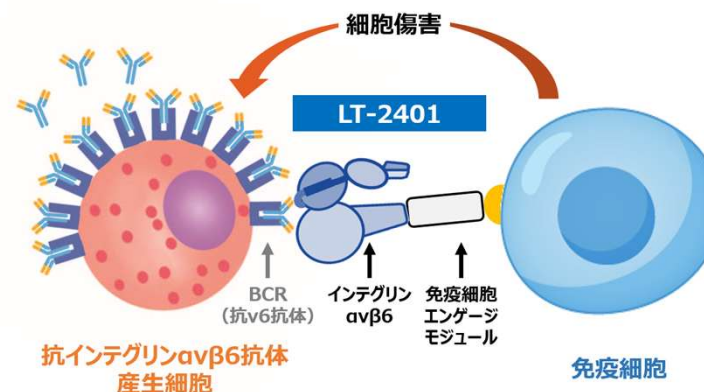
課題概要

潰瘍性大腸炎は原因不明の難病で、世界的に患者数が増加しています。しかしながら、既存療法は免疫抑制薬やバイオ医薬品といった対症療法にとどまり、根本的な治療法の開発が求められています。

京都大学の塩川雅広助教らは、患者の9割以上に発現する抗インテグリン $\alpha\text{v}\beta 6$ 自己抗体（抗v6抗体）が病勢と深く関わることを世界で初めて示しました。この発見をもとに、申請者らは抗v6抗体を産生するB細胞のみを特異的に傷害する二重特異性医薬品LT-2401を開発しています。

すでにin vitroでの細胞傷害活性を確認しており、また、薬物動態改善のため免疫細胞エンゲージメントモジュールの最適化を進め、良好な予備試験結果を得ています。2026年8月時点では、in vivo試験で開発候補品のスクリーニングを実施しています。今後は最終開発候補品の決定、非臨床試験、探索的臨床試験を通じてPOC取得を目指します。

LT-2401は副作用のリスクを抑えながら、病態を根本的に改善する治療薬となることが期待されます。さらに、本技術は幅広い自己免疫疾患への応用が可能であり、日本発の新たな創薬につながるものと考えられます。



連絡先 admin_link "AT" link-therapeutics.com

HP <https://www.link-therapeutics.com/>

※連絡先は"AT"の部分を@に変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

βグロビン異常症に対する新規治療薬としての低分子薬の開発と事業化

研究開発代表機関



EpiFrontier Therapeutics合同会社

CEO ブルース エー ゴールドスミス

リード認定VC

株式会社東京大学エッジキャピタル
パートナーズ

研究開発代表者

CEO
ブルース エー ゴールドスミス

課題概要

EpiFrontier Therapeutics合同会社は、βグロビン異常症に対する革新的治療薬の開発を推進する創薬ベンチャーである。βグロビン異常症は、鎌状赤血球症やβサラセミアを含む重篤な遺伝性疾患で、血管閉塞、慢性溶血、臓器障害、輸血依存など深刻な合併症を引き起こし、世界的に大きな疾病負荷をもたらしている。既存の標準治療であるヒドロキシウレアは一定のHbF誘導効果を示すものの、反応率は約50%に留まり、骨髓抑制などの毒性や長期的な効果減弱が課題で、新規治療薬へのニーズは極めて高い。

主力候補であるEPF-001（RK-701）は、理化学研究所DMPと東京薬科大学の共同研究から同定された新規G9a阻害薬で、胎児型ヘモグロビン（HbF）を誘導する独自のエピジェネティック機序を有する。非臨床の動物モデルでは、既存薬と比較して高いHbF誘導作用と汎細胞性の高いHbF誘導作用が得られており、安全性についても検証を進めている。

AMED支援のもとGLP毒性試験を実施し、現在は米国規制当局との協議を進めつつ、臨床試験開始に向けた準備を進めている。経口投与可能な低分子薬として、遺伝子治療に代わる新たな疾患修飾的な治療選択肢を提供することを目指す。

βグロビン異常症 — 鎌状赤血球症、βサラセミア —
— 遺伝子異常によって生じる赤血球症異常症 —

アンメットメディカルニーズ



- ・ 治療選択肢が不十分
- ・ 疾患の負荷大



症状改善・QOL向上

EPF-001
の投与

エピジェネティクス
G9a阻害により
γグロビン遺伝子を誘導

胎児型ヘモグロビン
(HbF) 増加正常赤血球
増加

連絡先 information “AT” epifrontiertx.com

HP <https://www.epifrontiertx.com>

※連絡先は“AT”の部分に@に変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

浸潤・転移を伴う難治性がんに対する革新的な免疫遺伝子搭載・腫瘍溶解性ウイルス、Surv.m-CRA- 2-IC の開発

研究開発代表機関

サーブ・バイオフーマ株式会社

代表取締役社長 山田 昌樹



リード認定VC

DCIパートナーズ株式会社

研究開発代表者

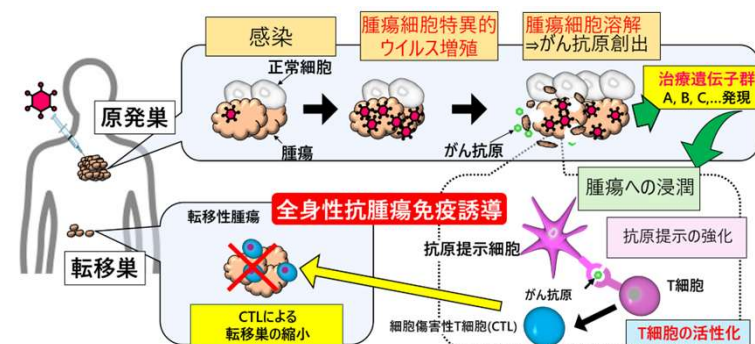
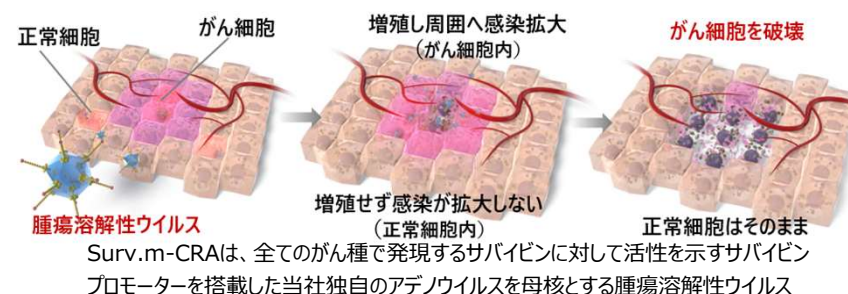
代表取締役社長
山田 昌樹

課題概要

当社は、鹿児島大学の小賤健一郎教授（当社創業者）が独自に開発した腫瘍溶解性ウイルスSurv.m-CRA（サバイビン反応性・多因子増殖制御型アデノウイルス）シリーズの社会実装化を目指した創業スタートアップです。

Surv.m-CRAは、がん細胞で特異的に活性化する独自の「サバイビンプロモーター」を搭載した腫瘍溶解性ウイルスで、高い治療効果と安全性を有しています。この技術を用いて開発したファーストパイプラインのSurv.m-CRA-1は、現在、原発性悪性骨腫瘍に対する国内第Ⅲ相試験を実施中です。

さらに、浸潤・転移を伴う難治性がんに対して、より強力な抗腫瘍効果を実現することを目的として、セカンドパイプラインのSurv.m-CRA-2-ICを創出しました。本剤は、腫瘍細胞に対する直接的な腫瘍溶解作用に加え、搭載した複数の治療遺伝子の作用により、全身性の抗腫瘍免疫を誘導することを目指して開発された次世代型の治療用ウイルスです。本課題では、Surv.m-CRA-2-ICについて、非臨床試験および第Ⅰ相・第Ⅱ相臨床試験を段階的に実施し、安全性・有効性を評価するとともに、Proof of Concept（POC）の確立を目指します。



腫瘍細胞に対する直接的な腫瘍溶解作用に加え、搭載した複数の治療遺伝子の作用により、全身性の抗腫瘍免疫を誘導し、転移巣に対しても抗腫瘍効果を発揮

連絡先 info"AT"survbiopharma.co.jp

HP <https://www.survbiopharma.co.jp>

※連絡先は“AT”の部分を変えてください。

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

慢性肝不全急性増悪に対するヒト iPS 細胞由来肝芽細胞を駆使した新規治療法の開発

研究開発代表機関

株式会社センノ・セラピューティクス

代表取締役CEO 森 智恵子



リード認定VC

Saisei Ventures LLC

研究開発代表者

代表取締役CEO
森 智恵子

課題概要

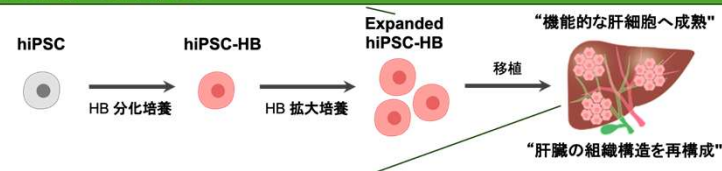
慢性肝不全急性増悪（Acute-on-chronic liver failure: ACLF）は、肝機能が短期間に急激に低下する致死的な疾患です。唯一の治療法は肝移植ですが、移植に至る患者は待機者の約3%（日本）、25～30%（米国）に留まり、待機中の死亡例も多数存在しています。ドナーの絶対的不足が世界的な課題となっており、肝移植に代わる治療法の確立が急務です。

SEN-001は東京大学の谷口英樹教授らによって見出された、高い増殖能と組織再構築能を有し、凍結保存が可能な「ヒト iPS細胞由来肝芽細胞（iPSC-HB）」を含む細胞製剤です。iPSC-HBは肝芽細胞の特性を保持しており、in vivoにおいて移植後に肝臓に生着、組織を再構築、肝機能を再生することで、亜急性肝不全および慢性肝障害のモデル動物の生存率、肝障害の改善および線維化の改善効果が示されています。一方で、これまでの検討において造腫瘍性は認められていません。

本事業では、このiPSC-HBの基盤技術を基に、SEN-001のプロセス開発・スケールアップ検討、非臨床POCデータの取得を進め、さらにINDに必要なデータを取得し、臨床試験を実施、臨床POCデータを取得することを目指します。

In vitro

- ✓ シンプルかつ頑健性の高いヒトiPS細胞からの肝芽細胞分化誘導および拡大培養のプロトコルを構築済み
- ✓ hiPSC-HBは高い増殖能を持ちながら、継代を繰り返しても安定な性質を保つことが可能であり、肝細胞と胆管細胞への分化能を持つ



In vivo

- ✓ hiPSC-HBの移植により亜急性肝不全モデルにおいて生存率を改善した
- ✓ 移植されたhiPSC-HBは肝臓に生着、肝組織を再構成し、機能を再生させることが確認されている
- ✓ 移植されたiPSC-HBは肝臓へ選択的に集積、生着し、造腫瘍性も認められていない

連絡先

-

HP

<https://sennotx.com>

2026年度（令和8年度）採択課題

研究開発
課題名

標準治療抵抗性自己免疫疾患に対する疾患特異的制御性T細胞療法の開発

研究開発代表機関

レグセル株式会社

代表取締役 Michael V. McCullar, Ph.D., MBA



リード認定VC

株式会社ファストラックイニシアティブ

研究開発代表者



代表取締役
Michael V. McCullar,
Ph.D., MBA

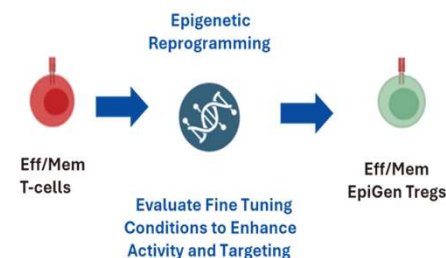
課題概要

自己免疫疾患では、標準治療でも効果不十分な患者が多く残されています。レグセル株式会社は、制御性T細胞（Treg）の発見者で2025年ノーベル生理学・医学賞を受賞した坂口志文博士らが開発した独自のエピジェネティックリプログラミング技術により、患者自身の病因T細胞を遺伝子改変なしに安定・高機能なTregへ変換し、抗原特異的な免疫寛容の回復による根治を目指しています。本事業では、先行する自己免疫性肝疾患プログラムの製造基盤を発展させ、病因T細胞を多く含むエフェクターメモリーT細胞を選択的に分離・再プログラムし、組織移行性と疾患特異的抑制能を高めた次世代Treg製剤RC-201を開発します。複数の標準治療抵抗性自己免疫疾患から非臨床データに基づき最適な適応を選定し、米国でのGMP製造・INDを経て2031年までに臨床POC取得を目指します。

（技術概念図）

RC-201

naïve T-cell subsets (e.g., CCR7⁺ populations) are depleted, resulting in a TEM-enriched starting population



RegPD-201 are novel epigenetically reprogrammed Tregs derived from TEM enhanced to target a differentiated profile of autoimmune features compared to RC-101

連絡先

Info_Tel: 06-4798-5531

HP

<https://regcellbio.com>



2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

末梢神経障害および神経障害性疼痛に対する新規低分子医薬品の開発

研究開発代表機関

サノダイネセラピューティクス株式会社

代表取締役社長CEO 櫻井 亮太



リード認定VC

JICベンチャー・グロース・
インベストメンツ株式会社

研究開発代表者

取締役 CSO
平林 英樹

課題概要

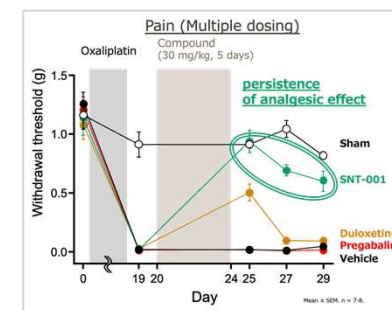
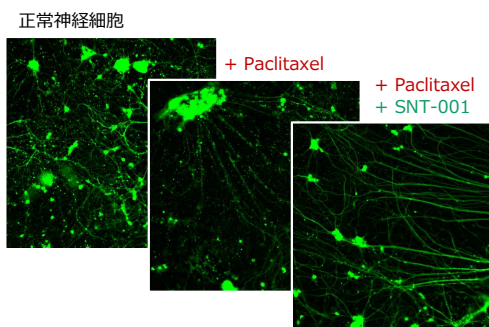
サノダイネセラピューティクスは、疼痛領域における新規治療薬の創出を目指す日本発バイオ創薬ベンチャーです。対象とする神経障害性疼痛（帯状疱疹後神経痛、糖尿病性末梢神経障害、化学療法誘発性末梢神経障害）では、オピオイドの依存リスクやガバペンチノイドの中枢神経系副作用による高い離脱率など既存薬の限界により、50%以上の疼痛軽減を達成できる患者は6～7人に1人にとどまり、疾患修飾薬も存在しません。

末梢神経障害・疼痛in-vivo薬効モデルにおける一貫した有効性

Diseases	Animal Model	Endpoint			
		Pain (Allodynia)	Motor deficit	Decreased NCV	Histopathology
CIPN	Oxaliplatin	Effective (curative/preventive) ✓	Effective (preventive) ✓	Effective (preventive) ✓	ND
	Paclitaxel	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	ND
	Bortezomib	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	ND
DPN	STZ	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND
GBS	EAN	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	Effective (curative/preventive) ✓
CMT	PMP22 ^{Tr-J}	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓
NP	Nerve ligation	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	ND
FM	Acidic saline	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	ND
PHN (mouse model)	Human herpesvirus (ATCC VR-733)	Effective (curative) ✓	Effective (curative) ✓	ND	TBD

リード候補SNT-001は、末梢神経特異的タンパク質を標的とする新規作用機序を持つ経口低分子化合物で、疼痛シグナルの正常化と損傷神経の修復を同時に狙います。複数の末梢神経障害モデルで用量依存的な鎮痛効果と組織学的な神経回復を一貫して確認済みです。第I相試験でも重篤・中枢神経系副作用なく、良好なバイオアベイラビリティを実証、現在欧州第II相試験の開始準備を進めています。

iPSC由来感覚Nの神経突起伸長 & in-vivoモデルによる疼痛抑制効果の持続



連絡先

Google Formへのリンク

HP

<https://sanodyne.com>

2025年度（令和7年度）採択課題

研究開発
課題名

難治性固形がんに対するin vivo CAR-マクロファージ療法の開発

研究開発代表機関

ユナイテッド・イムニティ株式会社

代表取締役社長 岸田将人



リード認定VC

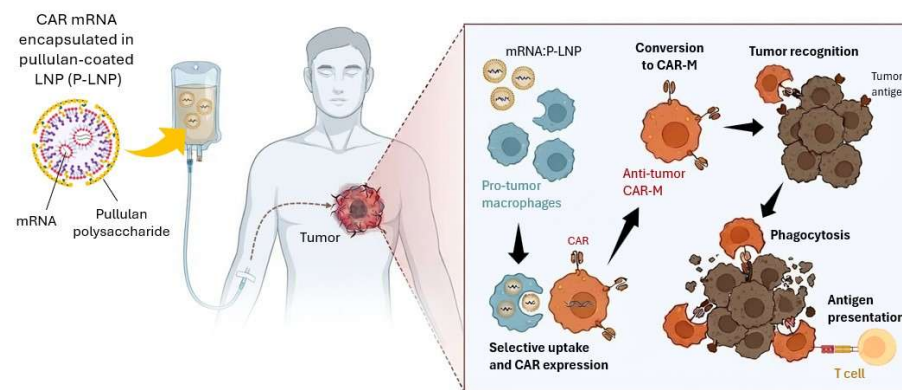
Saisei Ventures LLC

研究開発代表者

取締役チーフサイエンティ
フィックオフィサー (CSO)
曽我 孝利

課題概要

マクロファージは他の免疫細胞にはない多様な免疫機能を有し、こうした特長に注目した「キメラ抗原受容体（CAR）-マクロファージ（CAR-M）療法」が発明され、固形がんに対する臨床有効性に期待が集まっている。本課題では、独自のマクロファージ選択的mRNA送達技術「多糖プルラン被覆脂質ナノ粒子（P-LNP）」を活用し、マクロファージの多様な抗腫瘍免疫機能を最大限に引き出すように最適化したCAR遺伝子を腫瘍組織内のマクロファージに直接発現させる「in vivo CAR-M製品」を開発する。本薬はmRNA医薬であり遺伝子治療薬に当たる。Ex vivo細胞療法とは異なり一般の医薬品のように長期反復投与が可能で、優れた病勢制御が期待できる。コスト低減、臨床上的取り扱い易さといった利点も得られる。本薬ではex vivo CAR-T等では必須のリンパ球枯渇処置は不要で、高い安全性も見込まれる。本薬の主な適応は、用いるCARが標的とする腫瘍抗原の発現特性から、難治性の固形がんとする。すでに本薬に適したCARとP-LNPそれぞれのプロトタイプが完成しており、本課題ではこれらの最適化と非臨床POCの樹立、製法の初期開発を進め、最終開発候補品を決定する。その後のGMP製造体制の整備とGLP非臨床試験を経て、2028年にfirst-in-human Ph1/2治験を開始する予定である。

連絡先 <https://unitedimmunity.co.jp/contact>HP <https://unitedimmunity.co.jp/>

2026年度（令和8年度）採択課題

研究開発
課題名

ALS病因であるミスフォールディング蛋白質TDP-43の構造・機能回復を実現する遺伝子治療薬（SOL-257）の開発・事業化

研究開発代表機関

SOLA Biosciences Japan

CEO 古屋 圭三



リード認定VC

Curie Bio Operations, LLC

研究開発代表者

CEO
古屋 圭三

課題概要

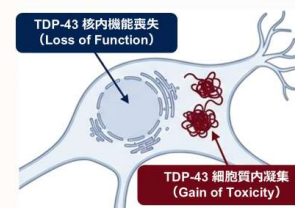
筋萎縮性側索硬化症（ALS）は、運動神経が徐々に失われる進行性の神経難病です。既存の治療は進行をわずかに遅らせるにとどまり、病態の根幹に働きかける治療法は確立されていません。ALS患者さんの約97%では、細胞核内でRNAの代謝を担うタンパク質TDP-43が正しい立体構造を失い（ミスフォールディング）、核内での本来の働きを失うと同時に、細胞質で凝集して神経細胞に毒性を及ぼします。TDP-43は有力な創薬標的ですが、正常なTDP-43まで失わせると重い副作用を招くため、創薬は難しいとされてきました。

SOL-257は、病的な構造をとったTDP-43だけを見分けて結合し、細胞が本来もつタンパク質の品質管理機構（分子シャペロン）を働かせることで、その構造と機能の回復を促す遺伝子治療薬です。正常なTDP-43を温存したまま病因に直接介入する点に独自性があり、単回投与による持続的な効果を目指します。

本事業では、非臨床試験での有効性・安全性の検証から、臨床試験での概念実証（POC）取得までを一貫して推進し、日本発のシーズを日本主導で開発し、治療選択肢の限られるALS患者さんに新たな選択肢を届けます。

ALSの中核病態：TDP-43異常

- ALSの約95%以上で、TDP-43の核内機能喪失と細胞質内凝集が同時に発生。
- 異常TDP-43を標的開発品は、凝集除去（細胞質）に偏重し、核内機能回復が不可。
- TDP-43の核内機能補完するASO等の開発も進むが凝集体病理への直接的対応が不可。
- 本質的には、凝集体除去と核内機能回復を「同時に実現」する解決策が必要。



SOL-257は凝集抑制と機能回復を同時に改善



このサイクルを繰り返す結果、運動神経細胞の構造・機能が回復



連絡先 info "AT" sola-bio.com

HP <https://sola-bio.com/>