

2026年5月1日

株式会社レストアビジョン

レストアビジョン、GPCR ベースのオプトジェネティクス遺伝子治療である
RV-001 の First-in-Human 治験における中間結果を発表

- 進行した網膜色素変性症を対象とする2つのRV-001投与コホートから、168日までのPhase I/II治験の中間結果が、2026年5月の主要会議であるEyeceleratorおよびRetinal Therapeutics Innovation Summitにおいて発表されます。
- 本中間解析の範囲において、単回の硝子体内注射後、低用量コホートおよび高用量コホートのいずれにおいても（各コホート3例）、現時点まで用量制限毒性（DLTs）または薬剤関連の重篤な有害事象（SAEs）は報告されていません。
- 高用量コホートはベースライン時に光覚なしであり、全例が単回の硝子体内注射後1か月以内に光覚なしから光覚以上を記録しました。
- 複数の評価項目にわたる用量依存的な結果：視力、全視野刺激検査（FST）、ならびに移動および物体認識課題を含む機能的視覚評価において、一貫した傾向が認められました。
- 測定可能なlogMAR視力を報告：高用量患者1名で、Berkeley Rudimentary Vision Test（BRVT）により測定可能なチャートベースの視力が報告されました。
- より広い患者集団における追加の安全性および有効性データの収集が計画されています。

東京、2026年5月1日- 遺伝子治療による視覚再生の早期実用化を目指す株式会社レストアビジョン（本社：東京都港区、代表取締役：堅田侑作、以下「レストアビジョン」）は本日、国内で進行中のRV-001の第I/II相（First-in-Human）治験（以下「本治験」）の中間結果を発表したこと、ならびに2026年5月1日に米国コロラド州デンバーで開催される2つの主要イベント、Eyecelerator @ ARVO 2026 および Retinal Therapeutics Innovation Summit（主催：米国患者会 Foundation Fighting Blindness 及び Casey Eye Institute at Oregon Health & Science University）において発表する予定であることをお知らせします。

<発表の詳細>

Event	Date	Presenter
Eyecelerator @ ARVO 2026	May 1, 2026	Elizabeth K. Messersmith, Ph.D.
Retinal Therapeutics Innovation Summit	May 1, 2026	堅田 侑作, M.D., Ph.D.

<RV-001について>

RV-001は、若年成人における遺伝性失明の主要な原因である進行した網膜色素変性症（RP）患者の視覚を回復するよう設計された遺伝子治療です。RPは、世界中で約200万人の患者に影響を及ぼしています。RV-001は、動物ロド

プシンの高感度性と、微生物ロドプシンの自己再生特性を組み合わせた新規の光感受性タンパク質であるキメラロドプシンを、アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターを介して単回の硝子体内注射により送達します。強い光または外部デバイスを必要とする微生物イオンチャンネルに依存する従来のオプトジェネティックアプローチと比較した理論的特性として、RV-001 は本来の G タンパク質媒介性光伝達を活性化し、ゴーグルや外部デバイスなしで、自然な周囲光条件下における高感度な視機能の改善を可能にする可能性があります。RV-001 は、基礎となる遺伝子変異にかかわらずすべての RP 患者を対象として臨床試験入りした、G タンパク質共役受容体（GPCR）ベースのオプトジェネティクス治療です。

<本治験について>

進行中の Phase 1/2 first-in-human 試験は、進行した網膜色素変性症患者における RV-001 の単回硝子体内注射の安全性および予備の有効性を評価する、非盲検の用量漸増試験です。本試験では、日本の治験施設において、光覚なし（NLP）の患者を低用量コホートおよび高用量コホートに登録しました。主要評価項目は安全性であり、探索的有効性評価には、視力、全視野刺激検査（FST）、ならびに移動課題およびテーブルトップでの物体認識を含む機能的視覚検査が含まれます。本中間結果は、現在も進行中である試験全体の文脈において解釈されます。

<主要な臨床所見>

2つのコホートにわたり6名の患者が登録された用量漸増フェーズにおいて、RV-001 は重大な安全性上の懸念を示唆する新たな所見を伴いませんでした。具体的には、用量制限毒性（DLTs）および薬剤関連の重篤な有害事象（SAEs）は認められませんでした。安全性または忍容性に関する懸念は報告されませんでした。

視覚関連評価項目にわたり、用量依存的な傾向が示唆されました。高用量コホートでは、登録された3名の患者全員が、治療後1か月以内に光覚なし（NLP）から光覚（LP）以上へと進展し、さらに1名の患者は Berkeley Rudimentary Vision Test（BRVT）により測定可能なチャートベースの視力が報告されました。低用量コホートでは、3名中1名が約3か月時点で光覚へ進展しました。

これらの視力の改善は、全視野刺激検査（FST）および、移動課題やテーブルトップでの物体認識を含む機能的視覚評価の改善によって裏付けられました。複数の独立した指標にわたるシグナルの収束は、視覚における生物学的に意味のある変化の可能性を示唆しています。

レストアビジョンの代表取締役 CEO であり、眼科専門医の堅田侑作は次のように述べています。

「これらの中間データは、RV-001 が、いかなる外部デバイスも用いることなく、単回注射によって完全失明患者において視機能の改善に寄与しうることを示しています。これらの結果を特に心強いものに行っているのは、視力、網膜感度、そして現実世界の機能的課題という複数の独立した評価項目にわたり改善が収束している点であり、それらすべてが、臨床的意義を有する可能性のある視機能の変化を示していることです。ARVO および Innovation Summit において、これらの知見を科学コミュニティと共有できることを楽しみにしています。」

<レストアビジョンについて>

株式会社レストアビジョンは慶應義塾大学医学部と名古屋工業大学の共同研究成果をもとに、オプトジェネティクス技術の臨床応用による、網膜疾患に起因する失明患者の視覚再生の実現を目指して、2016年11月に設立されました。

未だ有効な治療法のない失明疾患に対し、いち早く患者の皆さんに治療を提供していくことを第一のミッションに掲げて開発に取り組み、日本発・大学発の遺伝子治療技術の産業化による日本社会および経済への貢献を目指しています。

<会社概要>

社 名：株式会社レストアビジョン (Restore Vision Inc.)
本社所在地：東京都港区虎ノ門 1-17-1 虎ノ門ヒルズビジネスタワー15階
代 表 者：堅田 侑作（代表取締役社長 CEO）、宮崎 輝（代表取締役 COO）
設 立：2016年11月14日
事 業 内 容：再生医療等製品の研究・開発
ウェブサイト：<https://restore-vis.com/>

<本件に関するお問い合わせ先>

株式会社レストアビジョン 広報担当 宮崎 輝 E-mail: contact@restore-vis.com

【本リリースに関する重要なお知らせ】

本プレスリリースは、当社の活動および研究開発に関する情報提供のみを目的としたものであり、特定の医薬品、再生医療等製品、医療機器またはその他の製品の効能または効果について、広告・宣伝、あるいは推奨を構成または示唆するものではありません。本リリースは、医療上の助言を提供するものではなく、治験への参加に係るいかなる患者の募集または勧誘を目的とするものでもありません。

本リリースに記載されている開発中または研究段階の製品（RV-001を含みます）は、日本の医薬品医療機器等法（薬機法）に基づく承認、またはいずれかの国・地域の規制当局による承認を受けておらず、その安全性および有効性は確立されていません。本リリースに記載された開発計画、所見、結論およびその他の情報は、今後の試験結果、規制当局による審査、または追加データに基づき変更される可能性があります。

本リリースに記載された中間試験結果は、進行中の試験における限られた患者数に基づくものであり、最終結果またはより大規模な患者集団を対象とする将来の臨床試験の結果を予測するものではない可能性があります。

【将来の見通しに関する記述について】

本プレスリリースには、現在の想定、目標および予測に基づく将来の見通しに関する記述が含まれています。本プレスリリースにおける将来の見通しに関する記述には、当社の臨床開発計画、RV-001の潜在的な有用性、予定されている用量漸増、より広い患者集団への拡大計画、グローバル臨床開発、および今後のマイルストーンの想定時期に関する記述が含まれます。

実際の結果は、臨床試験における予期せぬ結果、規制要件の変更または規制当局の判断の変更、競合技術の出現、その他の要因を含む様々なリスク、不確実性およびその他の要因により、本リリースに明示または黙示された内容と大きく異なる可能性があります。当社は、新たな情報、将来の事象その他の理由によるかを問わず、本リリースに含まれる将来の見通しに関する記述を更新または修正する義務を負いません。