ライフ
サイエンス

ミトコンドリア凝集抑制技術を基盤とするミトコンドリア移植治療

Mitochondrial transplantation based on mitochondrial aggregation suppression technology

東京理科大学
薬学部 生命創薬科学科　准教授
草森　浩輔 Kosuke Kusamori

研究の概要

ミトコンドリア移植は、機能低下した細胞・組織にミトコンドリアを補充し、機能回復を促す新しい治療戦略として注目されています。しかし、細胞から単離したミトコンドリアは凝集しやすく、投与操作性・体内分布・安全性・治療効果に課題を残してきました。私たちは、この凝集を抑制しながら機能を保持する独自技術「STAND」を開発し、複数の疾患モデルで治療効果を確認しています。

POINT

- **オルガネラコレクターを用いた高品質ミトコンドリアの単離技術を確立した。**
- **単離ミトコンドリアの凝集を抑制する化合物を見いだした。**
- **ミトコンドリアを安定したサブミクロンサイズで維持することに成功した。**
- **ミトコンドリア取り込み後の細胞機能向上およびROS低減効果を確認した。**
- **慢性肝不全およびうつ病モデルで治療効果を確認し、安全性も評価した。**

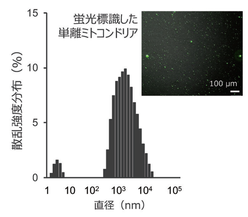
研究の成果

オルガネラコレクターを用いた単離技術と、凝集を抑制する化合物処理を組み合わせることで、単離ミトコンドリアをサブミクロンサイズで安定に維持することに成功しました。未処理の単離ミトコンドリアと比較して、凝集粒子の割合を5%以下まで低減できています。この凝集抑制処理を施したミトコンドリアを細胞に取り込ませたところ、ATP産生量が向上し、活性酸素種(ROS)量は低減することを確認しました。さらに、慢性肝不全モデルマウスおよびうつ病モデルマウスへの投与により、それぞれ肝線維化やスクロース嗜好性（症状指標）の改善が認められ、全身投与後の免疫原性・炎症反応についても異常所見のないことを確認し、有効性と安全性の両面でデータを取得しています。

ミトコンドリア凝集抑制技術を基盤とするミトコンドリア移植治療

ミトコンドリアの機能解析と物性改変、細胞内への導入技術

細胞から単離したミトコンドリアの特性

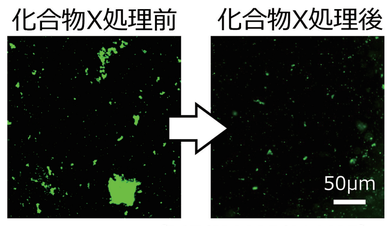


ミトコンドリアの機能評価 (1×10⁷ cells)

測定項目	測定値
タンパク量	149 μg
ATP量	0.135 nmol
平均粒子径	698.9 nm
ゼータ電位	-13.67 mV

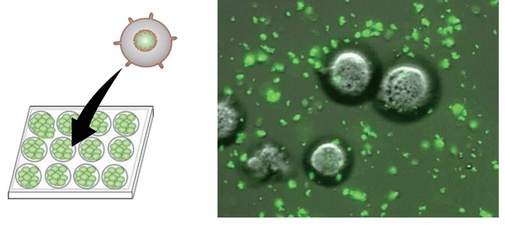
自己細胞から回収可能な間葉系間質細胞を選択

ミトコンドリアの凝集を抑制する技術



（PCT/JP2025/014627）

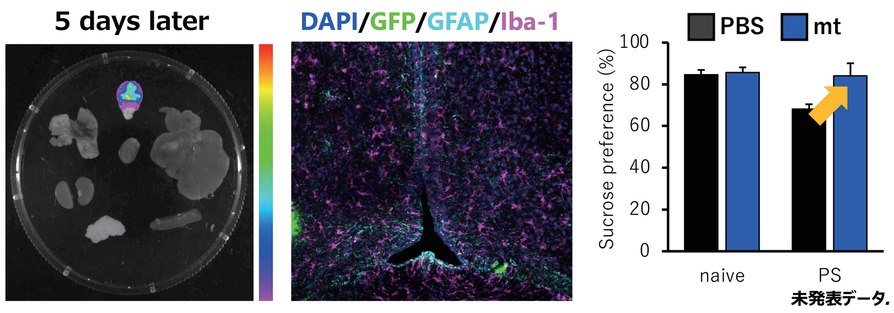
ミトコンドリアを細胞に取り込ませる技術（RevMiT法）



（特許第7879630号、PCT/JP2023/38203）

ミトコンドリアの脳室内投与による中枢神経疾患治療

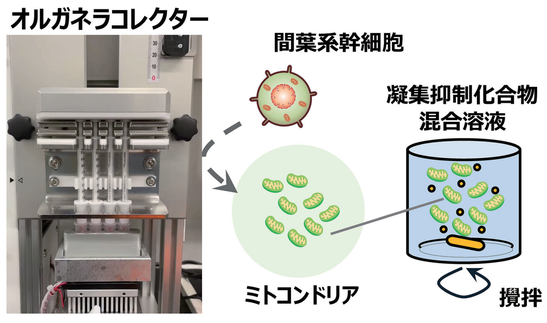
ミトコンドリアの残存（左）と脳内分布（中）とうつ病に対する効果（右）



未発表データ.

臨床応用に向けた取り組み

安定なミトコンドリア単離技術



今後の展開

2026年	ミトコンドリア凝集抑制技術の知財強化、適応疾患の選定
2026–2027年	製造・保存条件の最適化、品質評価法の確立
2027–2028年	GMPを見据えた製造プロセスの確立、非臨床安全性評価
2028–2029年	大動物を含む有効性・安全性評価、治験製剤開発
2030年～	臨床試験開始

従来・競合との比較

- 本技術では単離ミトコンドリアを安定したサブミクロンサイズで維持できる。
- 凝集抑制により、投与時の分散性と操作性を向上させることができる。
- ミトコンドリア機能を保持したまま製剤特性を改善できる点に特徴がある。
- 体内動態の改善により、標的組織への送達性と治療効果の向上が期待できる。
- 有効性だけでなく、安全性まで評価している。

想定される用途

- ミトコンドリア機能低下を伴う各種疾患に対するミトコンドリア移植治療
- 慢性肝不全や神経・精神疾患などに対する新規治療
- 単離ミトコンドリアの安定化・投与を可能にする製剤化基盤技術

実用化に向けた課題、企業など研究パートナーに期待すること

- ミトコンドリア単離・凝集抑制工程のスケールアップと再現性の高い製造プロセスの確立。
- ミトコンドリア製剤としての品質評価項目、保存条件および品質規格の設定。
- 投与量、投与経路、投与頻度など、疾患ごとの最適な治療プロトコルの確立。
- 長期的な安全性、免疫原性および体内動態を含む非臨床評価のさらなる充実。
- 製剤化・製造技術、非臨床・臨床開発、薬事・事業化に強みを持つ企業との共同研究・開発を期待する。

■知的財産権①／WO2025/229864　名称：改変型ミトコンドリア及びその生産方法、並びにミトコンドリアの凝集抑制方法、ミトコンドリア用保存液、及びミトコンドリアの保存方法　国際出願番号：PCT/JP2025/014627　国際出願日：2025年4月14日　出願人：学校法人東京理科大学　発明者：草森浩輔、西川元也、金井舞、板倉祥子
■知的財産権②／WO2024/090383、特許第7879630号　名称：外因性ミトコンドリアが導入された細胞の生産方法　国際出願番号：PCT/JP2023/038203　国際出願日：2023年10月23日　出願人：学校法人東京理科大学　発明者：草森浩輔、西川元也、安藤魁人、樋上賀一、小林正樹、金井舞、横山大成
■活用した公的資金事業等の名称／●日本学術振興会 科学研究費助成事業（基盤研究（B）：2023～2025年度、挑戦的研究（萌芽）：2023～2024年度、2026～2027年度）●GTIE GAPファンド（2024年度）●キヤノン財団「新産業を生む科学技術」（2025～2027年度）

検索キーワード

- **ミトコンドリア移植**
- **ミトコンドリア凝集抑制**
- **オルガネラDDS**
- **再生・疾患治療**

東京理科大学 産学連携機構
〒162-8601 東京都新宿区神楽坂一丁目３番地　TEL：03-5228-7440　E-MAIL：ura@admin.tus.ac.jp

2026.10