

アムシェプリ®
条件及び期限付承認取得
記者会見

重要な注意事項

本資料には、再生医療等製品に関する情報が含まれておりますが、それらは宣伝・広告や医学的なアドバイスを目的とするものではありません。

本日のKey Message

 日本発のiPS細胞技術の産学官連携による実用化への大きなマイルストーン

 京都大学の医師主導治験での経験と実績を基に承認取得（条件及び期限付承認）

 より多くの患者さんに届けるためには、厳格な手順の下、多施設で製造販売後臨床試験（Phase 4）を実施した上で、7年以内に改めて申請し、承認取得することが必要

 日本発の新たな治療法を1日でも早く、世界へ届けるために、皆様のご理解とサポートを引き続きお願いします

アムシェプリ® 条件及び期限付承認取得 記者会見

パーキンソン病に対する再生・細胞医薬の研究開発 History

- ✓ 世界初、日本発のiPS細胞由来製品としてアムシェプリ®が2026年3月6日に条件及び期限付承認を取得
- ✓ アカデミア研究者の皆さまのご尽力による研究成果と産学官連携によるご支援の賜物

1987年
スウェーデン
中絶胎児由来の中脳組織移植

2006年
山中先生 iPS細胞発見

2012年
山中先生 ノーベル賞受賞

2018.8.1
京都大学医学部附属病院
にて医師主導治験開始

2025.4.17
医師主導治験結果が『Nature』
2025年4月17日号に掲載

2026.3.6
条件及び期限付承認取得

1990年代初め
神経再生研究着手

2012年
再生・細胞医薬事業
本格参入決断

2017.2.28
先駆け審査指定制度 指定

2018年
SMaRT竣工

2025.8.5
製造販売承認申請

2025.12.12
希少疾病用再生医療等製品 指定

iPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞の製造技術について

本製品は、公益財団法人京都大学iPS細胞研究財団が提供しているiPS細胞ストックを原材料として、国立大学法人京都大学等が保有するiPS細胞からの分化誘導及び製造技術を用いて製造しています。また、製造工程の一部において、株式会社カン研究所（現エーザイ株式会社神戸研究所）で発見されエーザイ株式会社が保有する細胞純化技術を活用しています。

アカデミアの研究成果である
iPS細胞技術、再生医療研究を継承

アムシェプリ® 条件及び期限付承認取得 記者会見

販売名と一般的名称の由来



- ▶ 条件及び期限付承認品目
- ▶ 最適使用推進ガイドライン対象品目

販売名

アムシェプリ® / AMCHEPRY®

Ameliorate & Chepriを組み合わせた名称

改善する

ケプリ神：古代エジプトの再生を象徴する神

一般的名称

ラグネプロセル / raguneprocel

条件及び期限付承認と製造販売後臨床試験（Phase 4試験）

● 従来の承認までの道筋



● 再生医療等製品の早期実用化に対応した承認制度



条件及び期限付承認

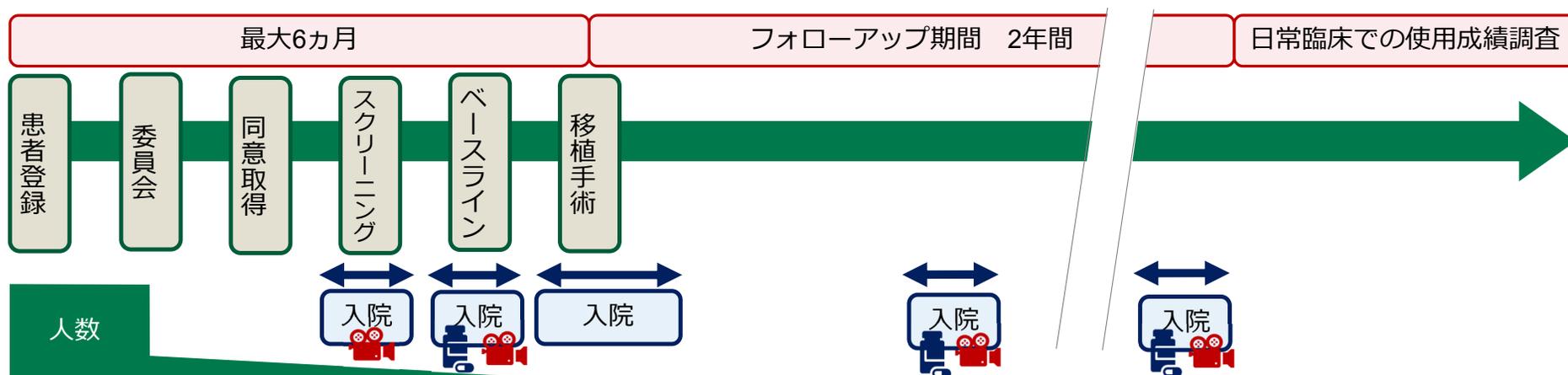
● アムシェプリ®



※ ①及び②の実施が承認条件

製造販売後臨床試験（Phase 4試験）

- 実施施設 : 選定中（7施設の予定）
- 開始時期 : 2026年中（施設については協議中）
- 登録患者数 : 18歳以上65歳以下（30例）、30例の移植完了後に65歳超（5例）



主な選択基準

- 現在の薬物治療では、運動症状の改善が不十分な患者さん
- 1日の中で、オンとオフの状態がある患者さん

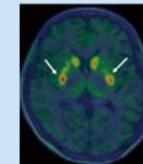
主な除外基準

- DBSを含む手術療法、MRガイド下集束超音波療法やデバイス補助療法を現在受けている、または過去に受けたことのある患者さんをご参加いただけません。

お薬を完全に中止し、ビデオ判定を含む運動機能評価



PET検査
(移植細胞の動きを見る)



移植24ヵ月後
Sawamoto N., et al.: Nature. 2025; 641

※詳細は、後日PMDAから開示される審査報告書等をご参照ください

1例目移植までのスケジュール（予定）

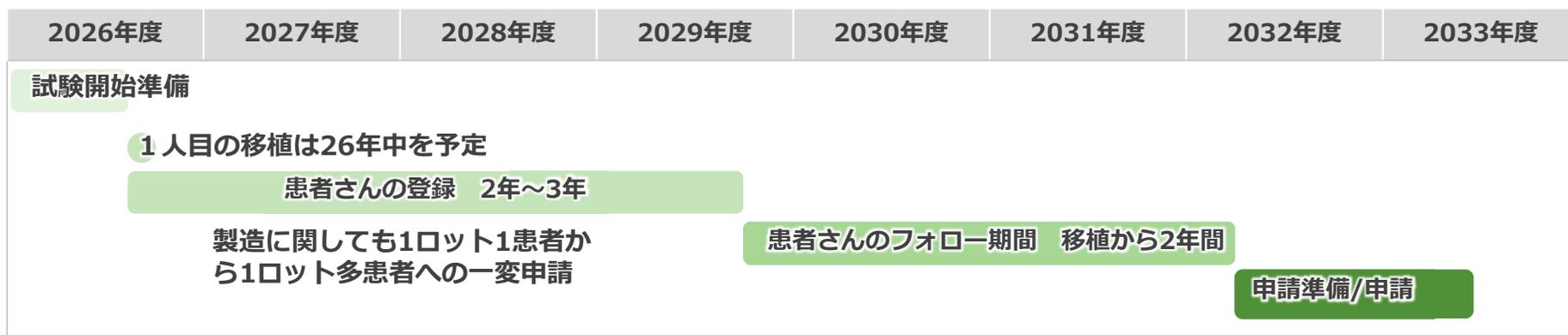
保険収載を経て、施設での治験審査委員会（Institutional Review Board（IRB））への申請・契約締結および採用活動等を推進

2025年度		2026年度							
3月	4月	5月	6月	7月	8月	9月	10月	11月	12月



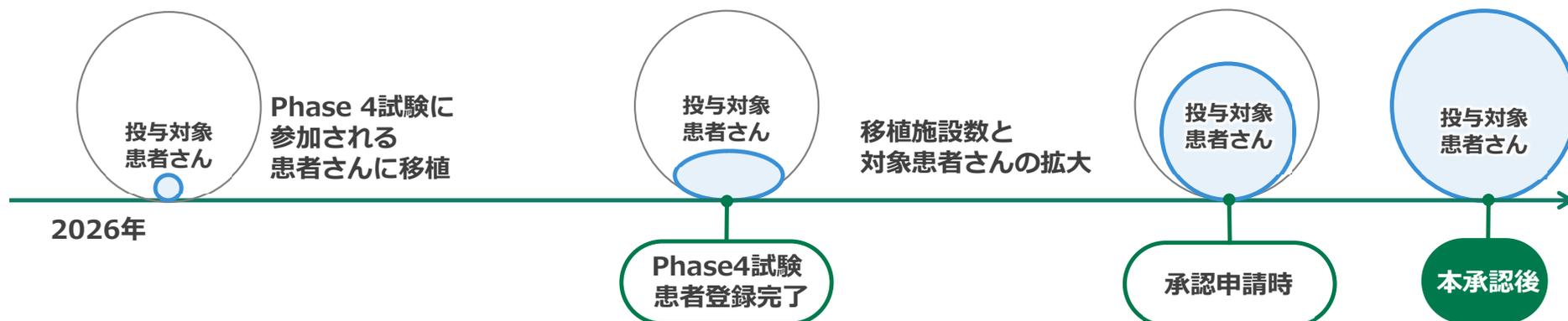
条件及び期限付き承認から本承認への施設・患者の範囲の拡大

- ✓ 2026年から2029年頃までは、Phase 4試験に参加される患者さんのみに移植
- ✓ Phase 4試験患者への移植完了後、施設や患者の範囲を拡大



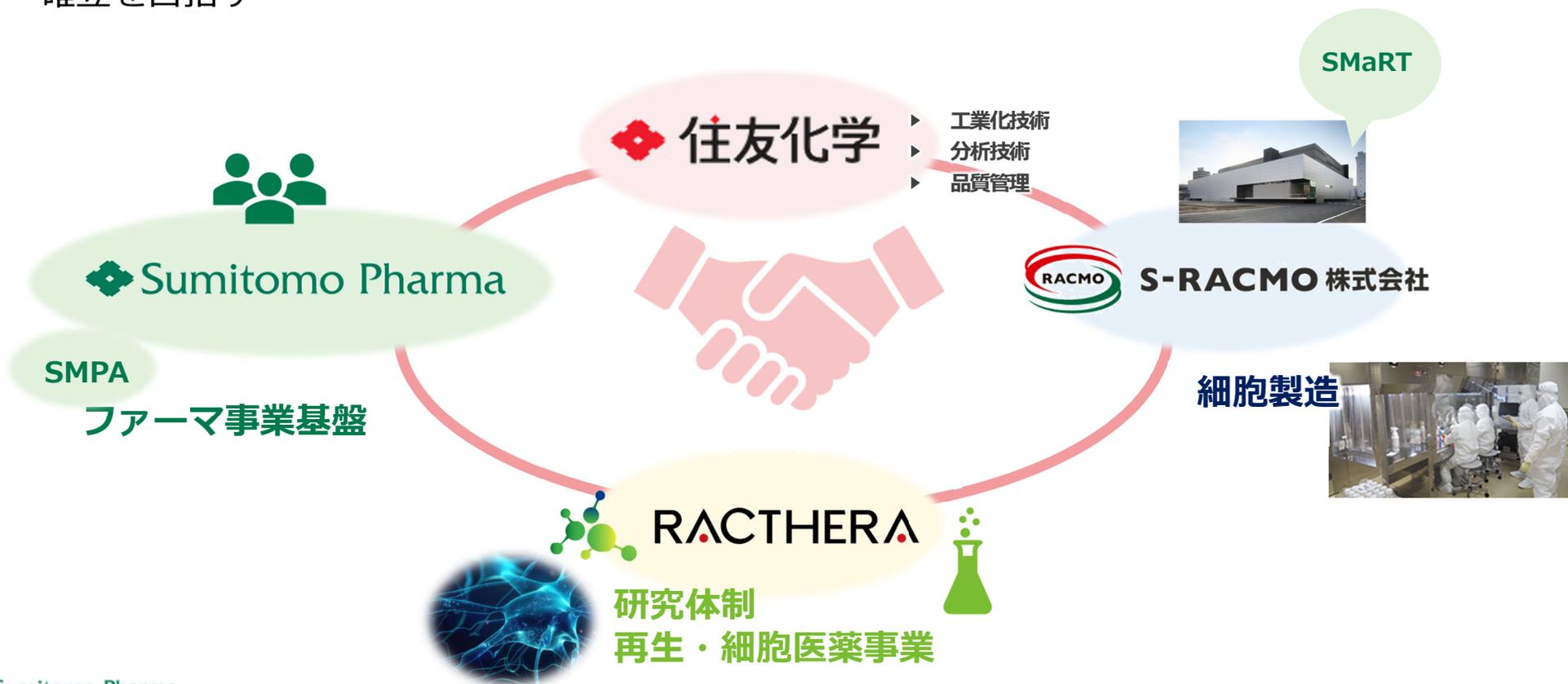
Phase 4試験

施設・患者の範囲の拡大



住友化学グループの実用化に向けた取組・体制

- ✓ 日本での本承認取得、米国での開発・上市の実現に向けた取組を強化
- ✓ まずは限定した施設でのPhase 4試験から開始するが、本承認後も安定供給できる体制確立を目指す



日本から世界へ

日本発の新たな治療法を1日でも早く、世界へ届けるために
皆様のご理解とサポート、ご協力を引き続きお願いいたします

