

2026 年 10 月 13 日
先端技術ラボ 大城武史

光遺伝学

ノーベル生理学・医学賞から見るヒト社会への実装の現在地と応用可能性

《本レポートの位置づけ》

- 2026 年 10 月 5 日、Karl Deisseroth 氏、Peter Hegemann 氏、Georg Nagel 氏が、「光作動性イオンチャネルと光遺伝学に関する発見」によりノーベル生理学・医学賞を受賞した。
- 光遺伝学は、2005 年に *Nature Neuroscience* 誌で、光を用いて神経細胞の活動を高精度で調整する技術として報告されて以降、神経科学の発展に大きく貢献してきた。
- 本レポートでは、光遺伝学の作動原理に加えて、ヒト社会への実装に向けた開発状況と今後の展望に焦点をあてる。

《要点》

- ◆ 光遺伝学とは、藻類由来の性質である光応答性(光感受性タンパク質)を哺乳類の神経細胞に付与する技術である。これにより、光を照射するだけで、神経細胞の活動をミリ秒で調整(活性化・抑制)することが可能となった。
- ◆ 光遺伝学を用いることにより、より因果的に、脳機能を解明できるようになった。
- ◆ 難治性疾患に対する新たな治療法として、ヒトへの実装が活発に進められている。
- ◆ 一部の臨床試験では、長期的な観点での一定の効果や安全性も確認されており、今後 1 年以内に新たな治療法として承認される可能性がある。
- ◆ 光遺伝学は、現在主に視覚機能の再建を目的に使用されているが、上記承認をきっかけに他の疾患や他用途への応用が進む可能性がある。

- 本件に関するご照会は、当社ホームページの [問い合わせフォーム](#) より、先端技術ラボ 大城 宛にお願いいたします。
- 日本総研・先端技術ラボについては、以下をご覧ください。

<https://www.jri.co.jp/company/business/system/advtechlab/>

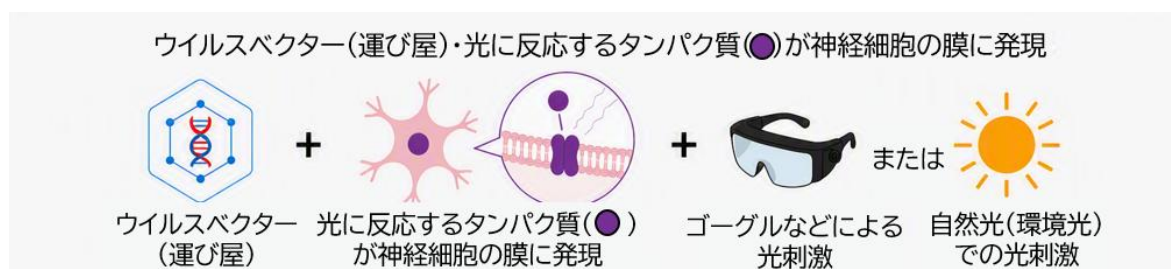
本資料は、情報提供を目的に作成されたものであり、何らかの取引を誘引することを目的としたものではありません。作成日時時点で弊社が一般に信頼出来ると思われる資料に基づいて作成されたものですが、本資料の情報の正確性・完全性を保証するものではありません。また、情報の内容は、経済情勢等の変化により変更されることがあります。本資料の情報に基づき起因してご閲覧者様及び第三者に損害が発生したとしても執筆者、執筆にあたっての取材先及び弊社は一切責任を負わないものとします。尚、出典の明記がない図に関しては、弊社契約の Copilot やプログラミングによって生成または作成した図を使用しています。

1. はじめに

2026 年 10 月 5 日、光遺伝学に関する研究がノーベル生理学・医学賞の受賞対象となった。光遺伝学は、脳活動、心拍等、身体から得られる多様な信号を取得・解析し、身体機能の理解や調整に活用する技術領域「生体信号テクノロジー」¹における「調整(書き込み)技術」の1つである。ノーベル賞受賞をきっかけに、今後、光遺伝学がより広く社会に認知され、調整技術の開発がさらに加速する可能性がある。このような社会状況を踏まえて、本レポートでは、光遺伝学の技術的側面だけでなく、ヒト社会実装に向けた現在の取り組みを紹介し、本技術によってもたらされる社会的インパクトを考察する。

2. 光遺伝学の技術概要

光遺伝学とは、藻類の光に応答する機能(光感受性タンパク質)を哺乳類等の神経細胞に発現させ、光応答性を付与する技術である(図表 1)。これにより神経細胞に光を照射するだけで、神経細胞の活動を高い時空間解像度で調整することが可能となった²。ここで「調整」とは、神経細胞の活動を光によって任意に活性化または抑制し、その活動の強さやタイミングを制御することである。この技術によって、脳の機能性をより因果的に明らかにすることが可能となり、認知機能、とりわけ記憶に関連したメカニズムに関する多くの知見が明らかになってきた³。この技術の開発にあたっては、Hegemann 氏と Nagel 氏によるチャネルロドプシンと呼ばれる光に応答するタンパク質の発見⁴と Deisseroth 氏によるチャネルロドプシンの生体脳(神経細胞)への展開技術²が、今日の光遺伝学発展の礎となった。



図表 1. ヒトを対象とした光遺伝学.日本総合研究所 先端技術ラボ「生体信号テクノロジー未来予想図 2030」(2026)より引用。

光遺伝学以前にも、薬剤や電磁気等を使った脳活動調整技術は存在していたが、その調整効果は空間的に拡散してしまう等、調整精度に問題があった(図表 2)。一方で、光遺伝学では、光感受性を特定の脳領域またはニューロンに限定して付与できるため、空間解像度を高く調整することが可能となる。また、その介入効果の時間解像度も高く、ミリ秒単位で脳活動を調整できる。ただし、注射等による遺伝子導入が必要となる。

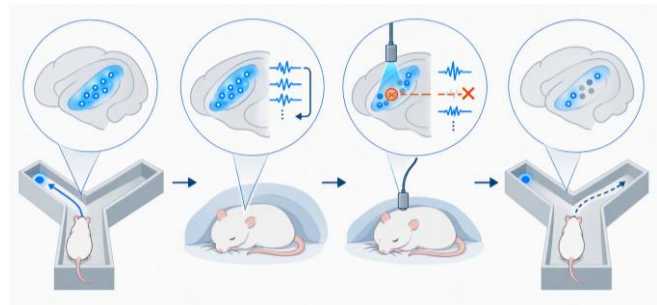
評価項目	従来型 電気刺激 磁気刺激	光遺伝学 光刺激
調整精度 (時空間)	×	◎
効果	△	◎
侵襲性	△	条件付き○ (注射が必要)

図表 2. 生体調整(書き込み)技術の比較.光遺伝学(光刺激)は従来型(電気刺激・磁気刺激等)と比較して、調整精度・効果共に、大きなアドバンテージを有している。

3. 光遺伝学を用いた脳機能性の解明事例

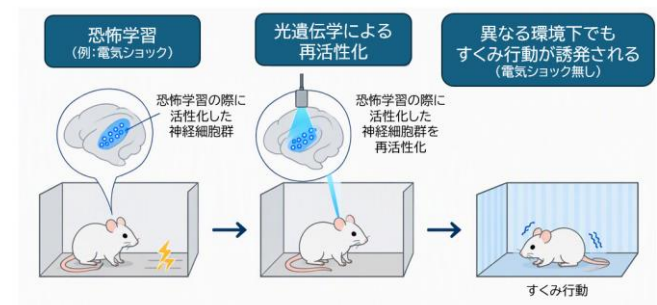
光遺伝学の効用を説明するため、本節では、基礎研究における光遺伝学の使用事例を紹介する。光遺伝学が基礎研究にもたらした大きな貢献の1つは、特定の神経細胞の活動を時空間的に高精度で調整し、その結果、脳機能や行動がどのように変化するかを、より因果的に検証可能とした点である。特に、記憶研究では、記憶の形成や想起に関わる神経細胞集団に対して、光遺伝学で直接的に調整を行うアプローチが多く取り入れられてきた³。

海馬は記憶の形成や想起に大きな役割を担っている脳領域の1つである。特に、学習時に生じた海馬の神経活動が睡眠中に再活性化することは、記憶の定着に重要と長年考えられてきた⁵。この仮説に対して、光遺伝学を用いて、より因果的な証拠を呈示したのが Gridchyn らの空間学習研究である(図表 3)。Gridchyn らの研究⁶では、睡眠中に生じる学習内容の再活性化を光遺伝学によって抑制するという調整を行っている。その結果、空間学習が不成立となることが明らかになった。この結果は、学習に関連する海馬の脳活動が睡眠中に再活性化されることが学習の成立(記憶の定着)に重要な役割を果たすことを示している。



図表 3. 空間学習課題への光遺伝学の適用。空間学習中に活性化した神経細胞群を光遺伝学で抑制すると、学習が不成立となる。弊社契約の Microsoft365 Copilot を用いて作成。

同様に、光遺伝学は記憶の想起に関してもあり因果的な知見を提供することに成功している。Liu らは恐怖学習の際に活動した海馬の神経細胞群に光遺伝学を適用した(図表 4)⁷。その結果、恐怖刺激(電気ショック)を付与せずとも、さらには学習時とは異なった環境下でも、その個体はすくみ行動を示した。このすくみ行動の誘発は、光遺伝学による恐怖記憶の想起に由来するものと考えられる。



図表 4. 記憶想起に対する光遺伝学の適用。恐怖学習時に活動した神経細胞群を、恐怖刺激が無しの状況や学習時とは異なった環境下で光遺伝学によって活性化すると、すくみ行動を誘発出来る。弊社契約の Microsoft365 Copilot を用いて作成。

さらに、光遺伝学は記憶に紐づいたポジティブ・ネガティブな感情の書き換えにも成功している。Redondo ら⁸は、報酬経験と結び付いた海馬の神経細胞群を光遺伝学で再活性化しながら、恐怖経験を付与した(図表 5)。その後、もともと報酬に結びついていた反応(近接行動)が恐怖を回避しようとする反応へと切り替わった。このように、光遺伝学は記憶を符号化している神経細胞群を選択的に調整することで、記



図表 5. 記憶に紐づけられた感情の書き換え。報酬を付与された際に活動する神経細胞を光遺伝学で活性化させながら、恐怖刺激を付与する。その後、光遺伝学で当該の神経細胞を活性化すると、忌避(回避)行動をとるようになる。弊社契約の Microsoft365 Copilot を用いて作成。

憶の定着、想起、記憶に紐づく感情の書き換えを因果的に調査することを可能とした。

4. 光遺伝学のヒト社会に向けた実装の取り組みの現在地とさらなる応用可能性

光遺伝学のヒト社会に向けた実装の取り組みとして、現在進められているのが難治性疾患を対象とした臨床応用研究である。例えば、網膜色素変性症(RP)を対象とした視覚再生技術に関する臨床開発は、光遺伝学を用いて、残存する網膜細胞に光応答性を付与する⁹。開発企業や研究機関ごとに、使用する光感受性タンパク質や専用ゴーグルを使用するかどうかなど、開発方式が異なっている(図表 1,5)。

海外では、米国の Nanoscope Therapeutics が最も進んだ段階にある。同社の光遺伝学的遺伝

開発元	対象となる疾患	臨床開発段階・特徴
Nanoscope Therapeutics (米)	主対象: 網膜色素変性症(RP) 他の開発対象: スターガルト病/地図状萎縮(GA、乾燥型 AMD)/レーバー先天黒内障等	RPなどを対象に、視覚機能の回復を目指す治療を開発。 <u>後期臨床試験で視覚機能改善を確認し、米国FDAへ承認申請を進めている。</u> 「MCO」という独自のタンパク質を使って普段の明るさでも見えるようにすることを目指す。専用ゴーグルが不要なのが特徴。
Ray Therapeutics (米)	網膜色素変性症/ 加齢黄斑変性	RP等を対象とする治療。初期臨床試験で安全性と有効性を評価。米国・欧州の双方で、有望な治療法候補として開発支援の対象に指定される。
GenSight Biologics (仏)	網膜色素変性症	赤色光に反応する光感受性タンパク質と専用ゴーグルを組み合わせ、視覚回復を目指す。初期の臨床試験で視覚機能の一部回復を報告(Sahel et al. 2021, <i>Nature Medicine</i>)し、投与患者の追跡を継続。
Restore Vision (慶應大・名工大発)	網膜色素変性症	自然光下での視覚回復を目指す高感度な光感受性タンパク質を開発。初期臨床試験で、高用量群3例全員に光覚の回復を確認。

図表 5. 光遺伝学を利用した国内外の臨床開発動向。臨床試験段階まで到達している主な開発事例。海外勢が臨床開発で先行。日本総合研究所 先端技術ラボ「生体信号テクノロジー未来予想図 2030」(2026)より引用。

子治療薬である MCO-010 は、専用ゴーグルを使わず、環境光に反応するように設計された光感受性タンパク質を発現する遺伝子を注射によって、網膜細胞に導入する(図表 1,5)。RP を対象とした第 2b/3 相試験では、視力検査に加え、明るさを変えて図形を見分ける課題や、視覚を使って移動する課題も用いて、治療効果が評価された。同社の発表によると、治療を受けた 18 人のうち 16 人で、図形識別または移動課題の少なくとも一方に、一定の改善が認められた¹⁰。MCO-010 は第 2b/3 相試験

の結果を公表し、2026 年 9 月には米国食品医薬品局(FDA)が同生物薬剤承認申請を受理している(現在承認審査中)。なお、Nanoscope Therapeutics は第 1/2a 層試験の参加者 10 名に対して 5 年間にわたる長期追跡を行っており、一過性の炎症等は生じたものの、重篤な副作用や安全性の懸念は確認されなかったと報告している¹¹。同様の追跡は第 2b/3 相試験でも実施中である。

一方、国内では、慶応義塾大学などの研究を基盤とする Restore Vision が RV-001 の第 1/2a 層試験を開始し、2026 年には初期段階の中間結果を発表¹²した。これらは国内の臨床応用に向けた進展を示しているが、限られた患者数での初期的な結果であり、有効性や長期的な安全性の確認が続いている。このように、国内外の臨床開発の進展を踏まえると、光遺伝学のヒトへの応用と社会実装は、少なくとも視覚再生の領域では、現実的な展望として捉えられる段階に入りつつある。

より重要なポイントとして、光遺伝学の応用可能性は視覚再生にとどまらない点が挙げられる。光遺伝学は特定の神経細胞や脳領域に光感受性を付与し、それへの光照射を起点として、神経細胞の活動を超高精度で調整する技術である。したがって、今後は網膜細胞の他にも応用される可能性がある(第 3 節参照)。この光遺伝学のポテンシャルをヒト社会実装に向けて、さらに拡張させる際に重要となるのは、第 1 に、標的となる細胞や脳領域に光感受性を付与する遺伝子を安全かつ選択的に届け、適切に発現させる技術のさらなる向上である¹³。この点において、同じ脳領域にある神経細胞の中から、特定の種類だけに光に反応するタンパク質を作らせる方法は既にマウスでは実証されている。例えば、神経細胞の活動を抑える機能性をもつ細胞(抑制性神経細胞)だけを選んで、その活動を光で調整することは既に技術的に可能である¹⁴。また、ある特定の脳領域に繋がっている神経細胞をたどって遺伝子を届ける手法も既に開発されており、細胞の種類だけでなく、脳領域同士を結ぶ回路に基づいて調整対象を選べるようになった¹⁵。また遺伝子の導入に関しても、静脈投与で可能な事例も存在するが、標的領域・細胞に安全かつ十分な量の遺伝子を届けるための手法(例:ウイルスベクター)の開発が重要な課題となる¹³。さらに、網膜とは異なり、脳の深部に光を届ける手法の確立や、光感受性の向上も重要な課題¹⁶であり、遺伝子導入法、光照射技術、光感受性向上の研究開発が、今後の展開を左右すると考えられる。この点において、視覚再生は光を届けやすい網膜を対象とした臨床応用の最適な先駆例であるものの、光遺伝学の応用可能性全体を反映する事例ではない点は注意が必要である。

5. まとめ—今後の展望と課題

光遺伝学は、特定の神経細胞の活動を光によって超高精度で調整し、記憶の定着や想起、感情に基づいた記憶内容の書き換えなど、脳機能の仕組みをより因果的に調べることを可能にしてきた。現在(2026 年 10 月)までに、RPを対象とした視覚再生の臨床開発が進み、承認申請に進んだ候補も現れていることから、少なくとも視覚再生の領域では、ヒト社会への実装が現実的な展望として捉えられる段階に入りつつある。今後さらに、光遺伝学の応用を広げるためには、光感受性を特定の神経細胞や脳領域に届ける技術と、脳の深部まで光を投射する技術、光感受性を向上させる技術という3つの技術開発が鍵となる。基礎研究では、細胞の種類や神経回路を選んで脳活動を調整する方法や、静脈注射によって血液脳関門を越えて脳に遺伝子を届ける手法の開発が進んでいる一方で、ヒトへの安全性や有効性、標的選択性には依然として課題が存在する。視覚再生の臨床開発を足がかりに、こうした課題の解決が進めば、光遺伝学は将来、網膜以外の神経疾患や脳機能(例:認知機能)、さらには他臓器の調整(例:心臓)¹⁷へと展開しうるポテンシャルを有した技術である。

参考文献

- ¹ 大城武史、「[生体信号テクノロジー未来予想図 2030](#)」日本総合研究所 先端技術ラボ (2026)
- ² Boyden, Zhang, Bamberg et al. “[Millisecond-timescale, genetically targeted optical control of neural activity](#).” Nat Neurosci 8, 1263–1268 (2005).
- ³ Josselyn, S. A., Köhler, S. & Frankland, P. W. “[Finding the engram](#).” Nature Reviews Neuroscience, 16, 521–534 (2015).
- ⁴ Nagel et al. “[Channelrhodopsin-1: A Light-Gated Proton Channel in Green Algae](#).” Science 296, 2395–2398 (2002).
- ⁵ Brodt, S., Inostroza, M., Niethard, N. & Born, J. “[Sleep—A brain-state serving systems memory consolidation](#).” Neuron, 111, 1050–1075 (2023).
- ⁶ Gridchyn, I., Schönenberger, P., O’Neill, J. & Csicsvari, J. “[Assembly-Specific Disruption of Hippocampal Replay Leads to Selective Memory Deficit](#).” Neuron, 106(2), 291–300.e6 (2020).
- ⁷ Liu, X., Ramirez, S., Pang, P. T., Puryear, C. B., Govindarajan, A., Deisseroth, K. & Tonegawa, S. “[Optogenetic stimulation of a hippocampal engram activates fear memory recall](#).” Nature, 484, 381–385 (2012).
- ⁸ Redondo, R. L., Kim, J., Arons, A. L., Ramirez, S., Liu, X. & Tonegawa, S. “[Bidirectional switch of the valence associated with a hippocampal contextual memory engram](#).” Nature, 513, 426–430 (2014).
- ⁹ Sahel, J.-A., et al. “[Partial recovery of visual function in a blind patient after optogenetic therapy](#).” Nature Medicine, 27, 1223–1229 (2021).
- ¹⁰ Nanoscope Therapeutics, プレスリリース「[網膜色素変性症に対する MCO-010 のランダム化対照試験で良好なトップライン結果を発表](#)」(2024).
- ¹¹ Nanoscope Therapeutics, プレスリリース「[網膜色素変性症に対する MCO-010 光遺伝学療法の第 1/2a 相追跡調査における 5 年間の安全性結果を発表](#)」(2025).
- ¹² Restore Vision, プレスリリース「[RV-001 の First-in-Human 治験における中間結果を発表](#)」(2026).
- ¹³ Bansal, A., Shikha, S. & Zhang, Y. “[Towards translational optogenetics](#).” Nature Biomedical Engineering, 7, 349–369 (2023).
- ¹⁴ Sohal, V. S., Zhang, F., Yizhar, O. & Deisseroth, K. “[Parvalbumin neurons and gamma rhythms enhance cortical circuit performance](#).” Nature, 459, 698–702 (2009).
- ¹⁵ Tervo, D. G. R., et al. “[A Designer AAV Variant Permits Efficient Retrograde Access to Projection Neurons](#).” Neuron, 92(2), 372–382 (2016).
- ¹⁶ Chen, R., et al. “[Deep brain optogenetics without intracranial surgery](#).” Nature Biotechnology, 39, 161–164 (2021).
- ¹⁷ Entcheva, E. & Kay, M. W. “[Cardiac optogenetics: a decade of enlightenment](#).” Nature Reviews Cardiology, 18, 349–367 (2021).