

再生医療 対応疾患・治療法リスト（拡充版）

更新日：2026年4月8日 | 対象診療科：12科 | 収載疾患数：64疾患

（旧版：2026年3月28日・10科・38疾患 → 2科新設・26疾患追加）

1. 整形外科・スポーツ医学（9疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
変形性膝関節症	自家培養軟骨移植（ACI） / PRP 療法	ACI、MACI（FDA 承認）、PRP 注射
変形性股関節症	骨髄由来間葉系幹細胞注射	BM-MSD 療法
半月板損傷	PRP / 間葉系幹細胞移植	PRP 療法、MSC 移植、エクソソーム療法
靭帯断裂（ACL 等）	PRP 注射・幹細胞補助修復	PRP 強化縫合術、BEAR®（FDA 承認バイオスキャフォールド）
骨壊死・偽関節	骨髄濃縮液注入	BMAC 療法（骨髄吸引濃縮液）
腱板断裂	PRP・幹細胞注射	PRP 腱板修復補助
椎間板変性症	間葉系幹細胞椎間板内注入	MSC 椎間板再生療法
骨欠損・骨折遷延治療【新規】	3D プリント足場+BMP	BMP-2（INFUSE）、脱灰骨基質、3D プリントスキャフォールド
変形性肩関節症【新規】	PRP・MSC 関節内注射	PRP 療法、BMAC 療法

2. 循環器内科・心臓外科（5疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
心筋梗塞後心不全	心筋細胞シート移植	リハート（iPSC 由来心筋シート、2026年承認）、Heartseed HS-001
拡張型心筋症	骨髄幹細胞冠動脈内注入	TACT 試験プロトコル
末梢動脈疾患（重症虚血肢）	骨髄・末梢血単核球細胞注射	TACT（治療の血管新生）
デュシェンヌ型筋ジストロフィー関連心筋症【新規】	同種細胞治療（心機能保護）	deramiocel（CAP-1002、Phase III 陽性データ 2025年）
虚血性心疾患（慢性）【新規】	MSC・mRNA ベース心筋修復	MSC 心筋内注射（前臨床～臨床試験段階）

3. 皮膚科・形成外科・美容外科（7疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
難治性創傷・褥瘡	PRP / 培養皮膚移植	ジェイス®（J-TEC）、PRP 創傷治療
熱傷（広範囲）	自家培養表皮移植	ジェイス®、培養表皮（CEA）
脱毛症（AGA 等）	PRP 頭皮注射	PRP 発毛療法
癬痕・ケロイド	脂肪由来幹細胞移植	ADSC 療法
皮膚潰瘍	培養真皮・羊膜移植	テルダーミス®、アブリグラフ
栄養障害型表皮水疱症【新規】	遺伝子治療	バイジュベック（2025年日本承認）
尋常性白斑【新規】	自家メラノサイト移植	ジャスミン（日本承認）

4. 神経内科・脳神経外科（8疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
-----	---------	-----------

脊髄損傷	iPS/ES 由来神経前駆細胞移植	ステミラック（条件付き承認）、ケイファーマ（iPSC 由来）
パーキンソン病	ドパミン産生細胞移植（iPS 由来）	アムシェプリ（2026年3月承認）
脳梗塞後遺症	骨髄幹細胞静脈内投与	SB623（SanBio）→アクーゴ（2024年条件付き承認）
筋萎縮性側索硬化症（ALS）	間葉系幹細胞髄腔内投与 / 自家幹細胞療法	NurOwn®（BrainStorm）、自家幹細胞長期生存データ（2025年）
加齢黄斑変性	RPE 細胞移植（iPS 由来）	住友ファーマ iPS-RPE 移植
悪性神経膠腫 【新規】	腫瘍溶解性ウイルス療法	デリタクト（G47Δ、2021年条件付き承認、2028年期限）
ドラベ症候群 【新規】	AAV 遺伝子治療	ETX101（Encoded社、Phase 1/2 POLARIS、発作78%減少）
脊髄性筋萎縮症（SMA） 【新規】	AAV 遺伝子治療	ゾルゲンスマ（IV）、Itrivista（髄腔内、2025年FDA承認）

5. 血液内科・免疫科・腫瘍内科（7疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
血液がん（白血病・リンパ腫）	造血幹細胞移植 / CAR-T 細胞療法	allo-HSCT、キムリア®、イエスカクタ®、ブレヤンジ®
多発性骨髄腫	自家造血幹細胞移植+CAR-T	アベクマ®、カービクティ®
再生不良性貧血	造血幹細胞移植	allo-HSCT
免疫不全疾患（SCID等）	造血幹細胞遺伝子治療	Strimvelis®、Libmeldy®
鎌状赤血球症 / β-サラセミア 【新規】	CRISPR 遺伝子編集	Casgevy（2023年FDA承認、世界初CRISPR治療薬）、Lyfgenia
ステロイド抵抗性急性GVHD 【新規】	同種MSC療法	Ryoncil（2024年12月FDA承認、初のFDA承認MSC製品）、テムセル（日本）
滑膜肉腫 【新規】	TCR-T 細胞療法	Tecelra（2024年8月FDA承認、初のTCR-T療法）

6. 消化器内科・外科（3疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
クローン病（痔瘻合併）	脂肪由来幹細胞移植	Alofisel®（EU撤退2024年）、日本承認継続
肝硬変・肝不全	骨髄幹細胞・肝前駆細胞移植 / iPSC 由来肝オルガノイド	骨髄細胞経脾動脈投与、iPSC 由来肝オルガノイド3Dバイオプリンティング
潰瘍性大腸炎	間葉系幹細胞投与	MSC 注腸療法（臨床試験段階）

7. 内分泌内科・糖尿病科（2疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
1型糖尿病	膵島細胞移植 / iPSC 由来 β 細胞移植	エドモントンプロトコル、VX-880（臨床試験）、T-CiRA/折鶴セラピューティクス
糖尿病性末梢神経障害	PRP・幹細胞療法（神経再生）	PRP 神経再生療法

8. 眼科（5疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
加齢黄斑変性（滲出型・萎縮型）	iPS/ES 由来 RPE 細胞移植	住友ファーマ iPS-RPE、RIKEN 臨床研究
角膜疾患・角膜内皮不全	自家培養角膜上皮移植 / 角膜内皮細胞移植	ネピック、オキュラル、サクラシー、ビズノバ
網膜色素変性症	AAV 遺伝子治療 / 幹細胞由来光受容体移植	ルクスターナ（FDA 承認）、MCO-010（Nanoscope、BLA 申請 2026 年）
糖尿病網膜症 【新規】	AAV 遺伝子治療	REGENXBIO RGX-314（Pivotal 試験開始）
X 連鎖網膜分離症 【新規】	AAV 遺伝子治療	Atsena Therapeutics（BLA 提出 2026 年予定）

9. 泌尿器科・産婦人科（3 疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
腹圧性尿失禁	自家筋芽細胞注射	筋芽細胞外括約筋注射（臨床研究）
勃起障害（ED）	PRP・幹細胞陰茎内注射	P-Shot®（PRP）
早期卵巣不全（POI）	PRP 卵巣内注射	Ovarian PRP 療法

10. 呼吸器内科（3 疾患）

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
慢性閉塞性肺疾患（COPD）	間葉系幹細胞静脈内投与	Prochymal（臨床試験）
急性呼吸窮迫症候群（ARDS）	MSC 投与 / エクソソーム療法	MUST 試験、ExoFlo（EV 療法）
気管・気管支再建	脱細胞化気管スキャフォールド+幹細胞	組織工学的気管再建（臨床試験段階）

11. 膠原病・リウマチ科（6 疾患） 【新設】

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
全身性エリテマトーデス（SLE）	CD19 標的 CAR-T 細胞療法	CABA-201（Phase 1/2 RESET-SLE）、FT819（iPSC 由来、RMT 指定）、KYV-101
ループス腎炎	CAR-T / in vivo CAR-T	CD19 CAR-T（LNP in vivo 生成、NEJM 2025）
全身性強皮症	CAR-T 細胞療法 / 造血幹細胞移植	CABA-201、CTX112（同種 CRISPR 編集 CAR-T）、HSCT
炎症性筋症（皮膚筋炎等）	CD19 標的 CAR-T	FT819（Fate 社、用量拡大コホート進行中）
重症筋無力症 【新規】	CAR-T 細胞療法	KYV-101（Kyverna 社、登録試験設計 FDA 協議中）
スティッフパーソン症候群 【新規】	CD19 標的 CAR-T	KYV-101（Phase II、2026 年初頭トップライン予定→BLA 申請検討）

12. 小児科・遺伝性疾患（6 疾患） 【新設】

疾患名	治療アプローチ	主な治療法・製品名
脊髄性筋萎縮症（SMA）	AAV 遺伝子治療	ゾルゲンスマ（IV）、Itrivisma（髄腔内、2025 年承認）

デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）	マイクロジストロフィン遺伝子治療	エレビジス（Sarepta、条件付き承認）、SGT-003、RGX-202
血友病 A	AAV 遺伝子治療	Roctavian（BioMarin、FDA/EMA 承認）
血友病 B	AAV 遺伝子治療	Hemgenix（CSL、FDA/EMA 承認）、BBM-H901（中国 NMPA 2025 年承認）
芳香族 L アミノ酸脱炭酸酵素（AADC）欠損症 【新規】	AAV 遺伝子治療	エラドカジン エクスパルボバク（FDA 承認）
カナバン病 【新規】	AAV 遺伝子治療	Myrtelle 社（Phase 1/2、機能改善データ 2025 年）

補足・凡例

- ・【新規】は本改訂で追加した疾患・治療法を示す
- ・保険適用・薬事承認済み代表例：キムリア®、ジェイス®、ネピック、ハートシート®（2024 年承認失効）、Alofisel®（EU 撤退 2024 年）、アムシェプリ・リハート（2026 年 3 月承認）
- ・2024 年安確法改正により、ゲノム編集技術・mRNA 技術が規制対象に追加（2025 年 5 月 31 日施行）
- ・CAR-T 細胞療法の自己免疫疾患への適応拡大が急速に進展中（2024 年後半時点で CAR-T パイプラインの 51%が非腫瘍適応）
- ・遺伝子治療の商業化課題：Beqvez（血友病 B）は 2024 年 FDA 承認後、市場導入ゼロで 2025 年 2 月販売中止
- ・第一種再生医療等：ES/iPS 由来細胞製品、CAR-T 細胞療法など
- ・第二種再生医療等：PRP 療法、脂肪由来幹細胞（ADSC）、骨髄由来 MSC など
- ・臨床試験段階のものは提供時に厚生労働省への計画届出または承認が必要
- ・本資料は 2026 年 4 月時点の情報に基づく。適応・承認状況は随時確認すること。