

2025年5月14日

各 位

会 社 名 ブライトパス・バイオ株式会社
代表者名 代表取締役社長 永 井 健 一
 (コード番号：4594 東証グロース)
問合せ先 取締役 C F O 竹 下 陽 一
 (irpr@brightpathbio.com)

BCMA CAR-ipsNKT細胞（BP2202）の製造工程開発の進捗に関するデータを 米国遺伝子治療学会議ASGCT 2025で発表

当社は、多発性骨髄腫を対象とする臨床試験の準備を進めているiPS細胞由来BCMA CAR-iNKT細胞（BP2202）の製造工程開発の進捗に関するデータを、第28回米国遺伝子治療学会議（American Society of Gene + Cell Therapy 28th Annual Meeting, ASGCT 2025）において発表しました。

ASGCT2025におけるポスターの公開（日本時間5月14日（水）午前8時）を受けて、本日、発表資料を当社ホームページに掲載します。

BP2202は、患者自身の血液を用いて診断後に個別に製造される既存の自家CAR-T細胞療法とは異なり、健康人ドナーの血液を原料とし、あらかじめ製造・保管されるため、診断後速やかな投与が可能な他家CAR-T細胞療法です。さらに、BP2202は人工多能性幹細胞（iPS細胞）をマスター・セルバンクとして、そこから高い均一性をもつCAR-T細胞を安定的に製造できる、標準化された拡張可能な製造法を採用しています。本研究では、臨床試験でヒトに投与するのに必要な要件を満たす適格環境下で、iPS細胞への初期化とCRISPR/Casシステムによる遺伝子改変（CAR導入）を行い、BCMA CAR-ipsNKT細胞¹の製造工程上の出発点となる遺伝子改変iPS細胞株を樹立しました。また、同様に臨床試験に対応可能なGMP準拠の製造条件下で、このiPS細胞からNKT細胞への分化誘導と、ヒトへの投与にあたって有効な細胞数への増殖を可能とする製造工程（分化・増殖工程）も構築しました。この製造工程は、治験薬製造を担うCDMOへの技術移管が完了しており、第Ⅰ相臨床試験からその後の次相臨床試験へと進めるにあたって、臨床試験規模に合わせて必要に応じた培養スケールへ比例的に拡張可能な設計となっていることを大きな特長としています。

この度ASGCT 2025で報告した研究においては、臨床試験に適した品質で樹立したiPS細胞株と構築した製造工程で、高純度・高増殖率で目的とするBCMA CAR-ipsNKT細胞が作製されたこと、またそれらの細胞の*in vitro*と*in vivo*（マウスモデル）双方で抗腫瘍効果を示したことから、適切にiPS細胞株の樹立および製造法の構築が為されたことが確認できました。

【発表演題】

発表番号：812

Generation of functional BCMA CAR-iNKT cells from clinical-grade iPSCs via a GMP-compliant manufacturing process with capacity for linear scale-up

(培養スケールに応じて比例的に拡張可能なGMP準拠の製造工程による、臨床グレードのiPS細胞からの有効に機能するBCMA CAR-iNKT細胞の作製)

発表時間：日本時間 5月14日(水) 午前8時 (米国中部標準時 5月13日(火) 午後6時)

<https://annualmeeting.asgct.org>

<用語>

1. BCMA CAR-ipsNKT細胞 (iPS細胞由来BCMA標的キメラ抗原受容体遺伝子導入NKT細胞)

iNKT (invariant Natural Killer T) 細胞は、ナチュラル・キラー(NK)細胞とT細胞のそれぞれの性質を部分的に併せもつ細胞で、前者が自然免疫を担う細胞、後者が獲得免疫を担う細胞(がんの目印を学習してがん細胞を攻撃する細胞)の橋渡しをする。NKT細胞は、直接的・間接的にがん細胞を殺傷する多面的な抗腫瘍効果を持つが、通常ヒトのリンパ球の1%に満たない数しか存在しないため、iPS細胞へといったん初期化し、iPS細胞の段階で増殖させてから、NKT細胞へと再分化・増殖させたもの(ipsNKT細胞と表記)を用いるアプローチを採っている。がん種によって異なるがんの目印(がん抗原)を認識するセンサーの役割をもつキメラ抗原受容体(CAR)を遺伝子編集技術により導入したものがiPS細胞由来CAR-NKT細胞(CAR-ipsNKTと表記)である。

BCMAはB Cell Maturation Antigen (B細胞成熟抗原)で、多発性骨髄腫に高発現していることが報告されている腫瘍抗原。

以上

【問い合わせ先】

ブライトパス・バイオ株式会社 管理部

E-mail: irpr@brightpathbio.com

<https://www.brightpathbio.com>