

2025年 4月30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)

iPS細胞由来CAR-NKT細胞の非臨床試験データをAACR 2025で発表

当社は、研究開発を進めるiPS 細胞由来CAR-iNKT 細胞療法 (iPS-iNKT) の非臨床試験データを、米国癌学会年次総会 (The American Association for Cancer Research Annual Meeting, AACR 2025) において発表しました。

米国癌学会年次総会におけるポスターの公開 (日本時間 4月30日 (水) 午前4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。

リンパ腫などの血液がんでは、患者自身の血中T細胞に血液がん標的抗原を認識するCAR (キメラ抗原受容体) 遺伝子を導入して作製する自家CAR-T細胞療法が、有効性の高い治療法として確立されています。より利便性の高い細胞医薬を目指して、健常人ドナーのT細胞を用いて作製する他家CAR-T細胞療法の開発が試みられてきましたが、未だ開発成功を収めるに至っていません。他家CAR-T細胞は、患者自身の免疫システムが排除しにかかるため、持続性に乏しく、臨床効果も長続きしないことが、その理由と考えられています。

当社は、これを解決するために、他家CAR-T細胞のT細胞に代わり、iPS細胞から作製したiNKT (ナチュラルキラーT) 細胞を用いるアプローチをとっています。通常のT細胞と異なり、もともとヒトの体内に存在するiNKT細胞は自らのみならず周辺の免疫細胞を活性化し、がん細胞を殺傷させる機能をもっています。iPS細胞由来の他家CAR-iNKT (CAR-ipsNKT) 細胞¹は、患者の体内でがん細胞の殺傷を進めるもののいずれかの時点で免疫システムによる排除を受けますが、その間にCAR-NKT細胞により活性化された患者自身の抗腫瘍免疫細胞は、自らの免疫システムの排除を受けないため維持され、これが持続的な臨床効果につながると考えています。

本研究では、この野生のiNKT細胞が有する免疫細胞賦活化能が、iPS細胞への初期化および遺伝子改変を加えられたのちに再分化を経て作製されたCAR-ipsNKT細胞においても維持されることを、プラットフォームiPS細胞²にHER2を標的とするCAR遺伝子を導入して作製したHER2 CAR-ipsNKT細胞を用いて、担がんマウスモデルで確認しました。

iNKT細胞が周辺の免疫細胞を活性化するためには、まず自らが活性化する必要がありますが、従来の研究ではT細胞受容体（TCR）経路で刺激が入ることにより活性化することが示されてきました。この度当社は、世界で初めて、TCR経路でなくCAR経路の刺激で、しかも野生のiNKT細胞でなく、iPS細胞から再分化誘導して作製したiNKT細胞においても、他の免疫細胞を活性化させ抗腫瘍効果が得られることを示しました。

以下のデータを報告しています。

- HER2 CAR-ipsNKT細胞は、HER2をCARで認識することによって入るシグナルを受けて活性化し、樹状細胞（DC）に働きかけDCの成熟化を、そして単球に働きかけ抗腫瘍性を持つM1マクロファージへの極性化を促進した。
- ヒトPBMCを移植した担がんマウスモデルにおいて、HER2 CAR-ipsNKT細胞は、ヒトPBMC中のDC存在下で、腫瘍がもつ抗原に対するヒトPBMC中の抗原特異的CD8⁺T細胞を活性化させ、腫瘍を退縮させた。

現在、CAR-ipsNKTの最初の製品として、プラットフォームiPS細胞にBCMA³を標的抗原とするCARを遺伝子導入し作製するBCMA CAR-ipsNKT（BP2202）の開発を進めており、多発性骨髄腫での臨床試験の準備を進めています。

【発表演題】

発表番号：6105

iPSC-derived HER2 CAR-iNKT cells enhance the activity of immune cells against cancer cells
(iPS細胞由来のHER2標的CAR-iNKT細胞はまわりの抗腫瘍性免疫細胞を活性化する)

【発表時間】

日本時間 4月30日（水）午前4時（米国中部標準時 4月29日（火）午後2時）

<https://www.aacr.org/meeting/aacr-annual-meeting-2025/>

以上

<用語>

1. CAR-ipsNKT細胞（iPS細胞由来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）とT細胞の間においてそれぞれの一部の性質を併せ持つ細胞で、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種多様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、NKT細胞へと再分化させたものがiPS-NKT細胞である。これに、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受容体を人工的に作製し（キメラ抗原受容体）導入したものがiPS細胞由来CAR-NKT細胞（CAR-ipsNKT）である。

2. プラットフォームiPS細胞

がん種ごとに異なる標的分子（がん細胞マーカー）を認識するキメラ抗原受容体（CAR）を遺伝子導入する前の、iPS細胞。ここから、様々ながん抗原に対するCAR-ipsNKTを作製する。

3. BCMA (B Cell Maturation Antigen : B細胞成熟抗原)
多発性骨髄腫に高発現していることが報告されている抗原。

【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>