

2022年11月1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            管 理 部        IR        担 当  
                             (irpr@brightpathbio.com)

## 理化学研究所に対する、iPS-NKT にかかわる独占的開発製造販売権の 導入オプション行使に関するお知らせ

当社は、共同研究先である国立研究開発法人理化学研究所（本部：埼玉県和光市、理事長：五神真、以下「理研」）から、iPS細胞由来再生NKT細胞療法（iPS-NKT）にかかわる全世界における独占的開発製造販売権を導入するオプション権の行使を決定しましたので、ここにお知らせいたします。

iPS-NKTは、iPS細胞から分化誘導したナチュラル・キラーT（NKT）細胞<sup>\*1</sup>をがん治療に用いる新規の他家細胞医薬であり、現在、同細胞を用いる細胞療法の世界初の臨床試験となる頭頸部がん対象第I相医師主導治験（以下、「本治験」）が、国立大学法人千葉大学において実施されています。

当社は、2018年3月に理研からiPS-NKTの独占的製造開発販売権を導入するオプションを取得し、2020年6月に本治験が始まってからはこれを支援するとともに、主に次相試験以降に適用する製造工程の開発を進めてきました。

本治験は開始当初の計画比で被験者登録に若干の遅れこそ出ているものの順調に進んでおり、iPS由来NKT細胞が初めて人に投与される本治験の主要評価項目である臨床上の安全性における問題も報告されていません。

そして何よりも、この間にリンパ腫を始めとする血液がんにおけるキメラ抗原受容体遺伝子導入T細胞療法（CAR-T）<sup>\*2</sup>が目覚ましい臨床効果を証明し上市されるとともに、それらの自家細胞療法<sup>\*3</sup>に伴う製造の不安定性、投与までにかかる時間及び高コストの問題を解決するための他家細胞療法の開発が、進展を遂げました。中でも、遺伝子改変細胞のこれまでにない均質な大量製造が可能となるマスターiPS細胞バンク由来の免疫細胞療法は、次世代の中核を担う可能性のある細胞プラットフォームとして大いに注目を集めるに至っています。グローバル・メガファーマも、iPS細胞由来ナチュラル・キラー（NK）細胞<sup>\*4</sup>プラットフォームをもつ細胞療法開発ベンチャーとの提携<sup>\*5</sup>によって、iPS-NK細胞にがん細胞特異抗原に対するキメラ抗原受容体（CAR）を遺伝子導入したCAR-iPS-NK細胞の開発に参入しています。

当社の今回のオプション行使は、この展開をiPS-NKT細胞において進めるためのプラットフォームの構築を図るものです。このプラットフォームは、1)基本特許と、2)マスターiPSセルバンク、3)iPS細胞から正確にNKT細胞に分化させる製造工程の3つで構成されます。1)はiPS-NKT細

胞療法を世界（日米欧で登録済み）で唯一展開できる企業に当社なることを、2)は世界で初めて人に投与され臨床上の安全性が確認される過程にあるiPS-NKT細胞を大量複製する親細胞（マスターiPSセルバンク）を唯一有する企業に当社なることを、そして3)は医薬品産業上の要請を満たす形式でiPS細胞から機能を維持したNKT細胞に純度高く大量に分化させる製造法を有する唯一の企業に当社なることを、担保するものです。

1)と2)がこの度の導入オプションの行使によって当社が取得するものであり、3)は当社が2018年の当プロジェクトへの参画時点から改良を押し進め、行使後には社会実装形式へ適合させる段階へと進めていくものです。

当社は、このプラットフォームを基に、CAR-NKTへフランチャイズ展開する準備も進めてきており、3)の改良製造工程で製造したNKT細胞にCARを導入したプロトタイプCAR-NKT細胞の最初の非臨床研究データを2022年11月8日～12日に米国ボストンで開催予定の第37回米国がん免疫療法学会年次会議（Society for Immunotherapy of Cancer：SITC 2022）で発表します。

当社はこの度、iPS-NKTのフランチャイズ展開を目指す準備における一つの達成したマイルストーンとして導入オプションを行使します。今後、当社の中核パイプラインとして、開発を加速化してまいります。

なお、本件は研究開発費の10%未満であり、2022年5月12日公表の2023年3月期業績予想に織り込み済みで、本件による2023年3月期業績予想の変更はありません。

以上

#### 用語解説

##### \*1（NKT細胞）

ナチュラル・キラー（NK）とT細胞の中間にあってそれぞれの一部の性質を併せもつ細胞で、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。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。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、従来の製造工程だと、機能を維持したNKT細胞を投与に必要な細胞数まで増殖させるのは容易ではなく、そこで、iPS細胞へと一旦初期化し、iPS細胞の段階で増殖させる製造方法が有効な製造手段となる。

##### \*2（キメラ抗原受容体遺伝子導入T細胞療法（CAR-T））

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T細胞。

##### \*3（自家細胞療法）

患者から採血して取り出したT細胞に、キメラ抗原受容体（CAR）を導入するような改変を加え、増殖させてから患者に戻す細胞療法。元は自分の血液であるため、拒絶が抑えられ、長期間体内で維持される。一方で、都度製造になるため、時間がかかり、患者の血液の状態次第で製造可否が出て、患者ごとの“特注品”となるため製造に要するコストも高い。

##### \*4（iPS細胞由来ナチュラル・キラー（NK）細胞）

iPS細胞から分化させるナチュラル・キラー（NK）細胞。NK細胞は、直接腫瘍を殺傷するととも

に、がん細胞表面の抗原を認識して結合した抗体にさらに結合し、ADCC活性（抗体依存的細胞傷害活性）によってがん細胞を殺傷するエフェクターとなる機能をもつ。

\*5（iPS細胞由NK細胞プラットフォームをもつ細胞療法開発ベンチャーとの提携）

米Fate Therapeutics社、米Century Therapeutics社、米Shoreline Biosciences社がiPS-NKのプラットフォームを持ち、それぞれとJohnson & Johnson, Bristol Myers Squibb, Gileadが、新規CAR-iPSNK細胞製造において提携している。米Fate社は、2018年からCAR非導入のiPS-NK細胞の第Ⅰ相臨床試験を実施し、2020年にJohnson & Johnsonと提携した。

【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](mailto:irpr@brightpathbio.com)

<https://www.brightpathbio.com>