

2024年3月4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-NKT免疫細胞療法 (BP2201) の再発・進行頭頸部がん患者を対象とした 第Ⅰ相臨床試験のトップライン・データに関する学会発表

ブライトパス・バイオ株式会社（東京都千代田区、以下「当社」）は、国立研究開発法人理化学研究所（埼玉県和光市、以下「理研」）が医薬品シーズとして創生し、当社が理研からグローバルの独占開発製造販売のライセンスを受けている、iPS細胞から作製したNKT細胞（以下「iPS-NKT細胞」）を活用したがん免疫細胞療法の第Ⅰ相臨床試験（以下「本試験」）のトップライン・データが、千葉大学大学院 医学研究院 免疫細胞医学の本橋新一郎教授により、第13回CD1-MR1国際学会で発表されましたので、お知らせいたします。

本試験は、日本医療研究開発機構（AMED）の支援を受け、国立大学法人千葉大学医学部附属病院（千葉県千葉市）で実施された第Ⅰ相医師主導試験であり、当社も理研とともに共同研究者として参加しております。

本試験は、iPS-NKT細胞を、複数の前治療歴を経た難治性の再発・標準療法抵抗性頭頸部がん患者の治療に用いる細胞医薬品として開発することを目的とした世界で初めてiPS-NKT細胞がヒトに投与される臨床試験（First-in-human試験）になります。本試験の主要な目的は低用量（ 3×10^7 個/ m^2 ）と高用量（ 1×10^8 個/ m^2 ）における忍容性の確認であり、本試験ではiPS由来NKT細胞が、単剤で、事前のリンパ球除去化学療法無しで複数回投与を前提に、腫瘍動脈を通じて投与されました。

この度発表されたトップライン・データでは、主要評価項目である忍容性および安全性に問題ないことが確認され、高用量（ 1×10^8 個/ m^2 ）が最大耐用量（MTD: Maximum Tolerated Dose）と推定されました。要約は以下のとおりです。

- 投与されたのは全10例で、低用量（ 3×10^7 個/ m^2 ）が3例、高用量（ 1×10^8 個/ m^2 ）が7例に投与され、3回投与されたのが6例、2回が3例、1回が1例でした。
- 投与された10例のうち高用量群の1例で、薬疹による用量制限毒性（DLT: Dose Limiting Toxicity）が発現したものの、低用量および高用量ともに忍容性が認められ、最大耐用量（MTD: Maximum Tolerated Dose）は高用量の 1×10^8 個/ m^2 と推定されました。
- 最も多く観察された試験関連有害事象^{*1}（trAE: treatment related adverse event）は、グレード1^{*1}ま

たは2の発熱（低用量群1例、高用量群4例）でした。

- 2回以上投与された症例における腫瘍の大きさの変化^{*2}は、以下の通りとなりました。
 - 低用量群：安定(SD: stable disease) 1例、進行(PD: Progressive Disease) 2例
→病勢コントロール率(DCR: Disease control rate) 33.3%
 - 高用量群：安定(SD) 4例、進行(PD) 1例、評価不能(NE: Not Evaluable) 1例
→評価可能であった症例における病勢コントロール率(DCR) 80%
- 高用量群では腫瘍縮小傾向を示唆する症例も見られ、初期的な安全性と臨床活性を確認することができました。

以上の、CAR（キメラ抗原受容体）の導入無しのiPS-NKT細胞が世界で初めて投与された臨床試験の結果は、当社が目指すiPS-NKT細胞をエフェクター細胞として用いる新規の他家CAR-T細胞療法プラットフォームが、アンメット・メディカルニーズに適合する効果的な治療戦略となる可能性を示唆しています。

当社は国立研究開発法人理化学研究所からiPS-NKT細胞にかかわる日米欧での独占的開発製造販売権を許諾されており、本試験でiPS-NKT細胞の忍容性および安全性が確認されたことで、プラットフォーム型事業展開に向けて研究開発を加速してまいります。

なお、本件に係る2024年3月期業績への影響はございません。

以上

*1：試験製品を投与された患者さんに生じた全ての疾病またはその徴候を「有害事象」といいますが、その重症度は、以下の原則に従って定義（世界共通の評価基準）されており、グレード3以上が懸念されるべき有害事象として見なされることが多いです。

グレード1：軽度

グレード2：中等度

グレード3：重度または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない

グレード4：生命を脅かす、緊急処置を要する

グレード5：死亡

*2：腫瘍縮小効果の判定は、完全奏功（CR: Complete Response）、部分奏功（PR: Partial Response）、安定（SD: Stable Disease）、進行（PD: Progressive Disease）、評価不能（NE: Not Evaluable）に分類されます。

【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>