

2025年7月3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 藤井 厚裕
 (irpr@brightpathbio.com)

多発性骨髄腫の治療薬候補「BP2202」が
米国FDAよりオーファンドラッグ指定を取得

当社は、多発性骨髄腫を対象として開発中のBCMA^{*1} CAR-ipsNKT細胞^{*2} BP2202（以下「本剤」）が、米国東部夏時間2025年7月2日付で、米国食品医薬品局（FDA）より希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）^{*3}に指定されたことをお知らせいたします。

多発性骨髄腫は、骨髄中で異常な形質細胞が増殖し、骨病変、貧血、腎機能障害などを引き起こす血液がんです。治療を受けた多くの患者さんで再発や治療抵抗性が見られ、依然として治療ニーズの高い難治性疾患とされています¹⁾。年間新規罹患数は米国では約32,000人²⁾、全世界では18万人を超え²⁾、米国で初発から再発まで治療中にある患者数は10万人を超える³⁾と推定されており、希少疾患でありながら、多発性骨髄腫治療薬の世界市場は2030年には345億米ドル(5兆円)規模に達する⁴⁾と予測されています。

「本剤の開発は米国での臨床試験実施を予定しております。今回、米国で審査、規制、監視を担うFDAから本剤がオーファンドラッグとして指定を受けたことは、多発性骨髄腫の治療において、あらかじめ製造され、必要なときにすぐに使用できるoff-the-shelf型の他家CAR-T細胞療法に対するアンメット・メディカル・ニーズが依然として高いことを示すものです。患者体内で患者自身の免疫細胞と相互作用しながら全体の抗腫瘍免疫を高めていくことを得意とするナチュラルキラーT（NKT）細胞を、iPS細胞から作製しCAR-TのT細胞として用いる当社の戦略の有用性を、今後の米国での臨床試験において検証していく上で、本オーファンドラッグ指定は重要なマイルストーンとなります。この度、当社が臨床試験開始に向けてこれまで行ってきたFDAとのコミュニケーションの一環で受けた本指定を契機として、年次報告などを通じたFDAとの継続的なコミュニケーションの機会も確保され、今後の開発プロセスをより一層円滑に進められることが期待されます。当社は一日も早くこの治療法を患者さんにお届けできるよう全社一丸となって取り組んでまいります。」と当社代表取締役CEOである永井健一は述べています。

オーファンドラッグ指定により、本剤の米国における開発は、開発費用に対する税制上の優遇措置、承認申請手数料の免除、承認取得後の7年間にわたる独占的販売権が与えられるなど、複数の開発支援・優遇措置

を受ける対象となります。

なお、本件による 2026 年 3 月期業績への影響はありません。

<用語>

※1.BCMA (B Cell Maturation Antigen : B細胞成熟抗原)

多発性骨髄腫細胞に高発現している抗原。

※2.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。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細胞へと一旦初期化し、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ipsNKT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。

※3.希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ)

FDAが定める「希少疾病用医薬品 (オーファンドラッグ)」とは、米国内における罹患患者数が通常20万人未満の希少疾病を対象として開発される医薬品を指す。このような疾患は患者数が限られているため、その開発を促進するために、さまざまな支援措置が適用される。

主な支援措置には、開発費用に対する税制上の優遇措置、承認申請手数料の免除、承認後7年間の独占販売権の付与、などが含まれる。

<参考元>

- 1) Rajkumar, S. V., & Kumar, S. (2020). Multiple myeloma current treatment algorithms. *Blood Cancer J*, 10(9), 94.
- 2) World Health Organization. Globocan 2024 : Multiple Myeloma
- 3) An Epidemiology Model for Estimating the Numbers of US Patients With Multiple Myeloma by Line of Therapy and Treatment Exposure. *Value Health*.2022 Dec;25(12) :1977-1985
- 4) DataM Intelligence. Jan 2025

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>