

# iPS細胞・再生医療

## Weekly Intelligence Report

2026-06-13 | 24件 | 4カ国

troy-technical.jp

今週のキーワード

## オフザシェルフ

CAR T、iPSC、遺伝子編集が臨床加速

24

件  
記事数

4

カ国  
対象国

17.1

ヶ月  
CAR T PFS

100

%  
CAR T ORR

### 今週的全24記事 — 5軸評価で読むべき記事を選ぶ

各列の見方 — 技術新規性：ブレイクスルー度合い 実用化距離：製品として使える近さ 市場インパクト：業界全体への影響規模  
データ信頼性：定量データ・査読の有無 日本関連度：日本の企業・サプライチェーンとの直接的関連性

#	記事タイトル	種別	技術 新規性	実用化 距離	市場 インパクト	データ 信頼性	日本 関連度	一行サマリ
#01	Collectis同種CAR T	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Collectisの同種CAR T療法lasme-celがFDA RMAT指定を受け、r/r B-ALLで100% ORRを達成。オフザシェルフCAR T実用化へ前進。
#02	Fate iPSC CAR T	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Fate TherapeuticsがiPSC由来オフザシェルフCAR T療法でSLE患者に臨床改善、固形がん・血液がんでも有望な非臨床データ発表。
#03	Imviva同種CAR T	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Imviva Biotechの同種CAR T療法CTD402が、再発・難治性T-ALL/LBLで成人86% ORR、80% CRを達成。
#04	Caribou同種CAR T	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	CaribouのオフザシェルフCAR T療法vispa-celが、リンパ腫Phase 1で既存自己CAR Tを上回るPFS中央値17.1ヶ月を達成。
#05	多発性骨髄腫CAR T	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	免疫隠蔽技術を組み込んだ同種BCMA CAR T療法CB-011が、多発性骨髄腫Phase 1で高いORRと管理可能な安全性を示す。
#06	Century 1型糖尿病	研究発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Century TherapeuticsのiPSC由来1型糖尿病治療薬CNTY-813が、免疫抑制なしで8ヶ月以上の血糖コントロールと免疫回避能力を非臨床で実証。
#07	Beam遺伝子編集	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Beam Therapeuticsのベース編集治療薬BEAM-302がAATD治療で持続的な保護タンパク質レベルを示し、FDA迅速承認経路の可能性。
#08	Intellia CRISPR	研究発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	Intelliaのin vivo CRISPR治療薬Ionvo-z、遺伝性血管性浮腫Phase 3追加データがEAACIで発表予定。
#09	BioCardia自家細胞	製品発表	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	BioCardiaの自家細胞療法CardiAMP、心不全Phase 3でFDA市販前承認と日本PMDA承認に向け有望な進捗。
#10	パーキンソン幹細胞	業界レポート	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	パーキンソン病幹細胞治療が臨床段階へ移行。BlueRockのESC由来製品はPhase 3、日本のiPSCプログラムは米国臨床試験開始。
#11	FDA規制効率化	解説記事	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	FDAが細胞・遺伝子治療製品の規制申請効率化のため、既存知識活用を許可するドラフトガイダンスを発表。
#12	FDA迅速承認ガイド	解説記事	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	●●●●○	FDAのファストトラック、ブレイクスルーセラピー、RMATの迅速承認経路を解説。細胞・遺伝子治療開発の戦略的選択を支援。

#	記事タイトル	種別	技術新規性	実用化距離	市場インパクト	データ信頼性	日本関連度	一行サマリ
#13	エクソソーム警告	市場危機	●●○○○ ○	●○○○○ ○	●●○○○ ○	●●●●● ●	●●●○○ ○	FDAが美容目的のエクソソーム治療は未承認であり、安全性に懸念があるとして公衆安全勧告を発令。
#14	富士ファイルiPSC	企業戦略	●●○○○ ○	●●●●● ●	●●●●● ○	●●●●● ○	●●●●● ●	FUJIFILM Cellular Dynamicsが米国に新iPSC製造施設を開設し、製造能力を4倍に拡大。細胞治療とiPSC事業のグローバル展開を加速。
#15	Made/Pluristyx提携	企業戦略	●●○○○ ○	●●●●● ●	●●●○○ ○	●●●●● ○	●●●○○ ○	Made ScientificとPluristyxが提携し、iPSC技術を統合した細胞治療CDMOサービスを拡大。開発効率向上を目指す。
#16	Alcami CDMO買収	企業戦略	●○○○○ ○	●●●●● ●	●●●○○ ○	●●●●● ○	●●○○○ ○	AlcamiがTjoapackを買収し、CDMO包装能力を拡大。細胞・遺伝子治療の特殊なサプライチェーン要件に対応。
#17	ENCell CDMO拡大	企業戦略	●●○○○ ○	●●●●● ○	●●●○○ ○	●●●○○ ○	●●●●● ○	韓国ENCellがIngenium TherapeuticsとNK細胞療法Gengleucelの米国臨床製造契約を締結。グローバルCDMO事業を拡大。
#18	Cartesian In Vivo	企業戦略	●●●●● ○	●●○○○ ○	●●●●● ○	●●●●● ○	●●●○○ ○	CartesianとWestGeneが提携し、自己免疫疾患向けin vivo CAR Tプラットフォーム開発を加速。重症筋無力症の臨床試験が2026年後半開始。
#19	AmMax ADC契約	企業戦略	●●○○○ ○	●●●○○ ○	●●○○○ ○	●●●○○ ○	●●○○○ ○	AmMax BioがLonzaとライセンス契約を締結し、ADCプログラムAMB-104向けにLonzaのコンジュゲーション・リンカーペイロード技術を導入。
#20	Novartis AI創薬	企業戦略	●●●●● ●	●●○○○ ○	●●●●● ●	●●●●● ○	●●●○○ ○	NovartisがOrionis BiosciencesとAI駆動型分子接着剤プラットフォームで提携。最大14億ドル規模の契約でun-druggableターゲットに挑む。
#21	Humanエクソソーム	企業戦略	●●●○○ ○	●○○○○ ○	●●○○○ ○	●●●○○ ○	●●○○○ ○	Human Continuumがエクソソームベースの治療寿命プラットフォーム開発のため513万ドルのシード資金を調達。
#22	REPROCELL低免疫iPSC	研究発表	●●●●● ●	●●○○○ ○	●●●●● ○	●●●●● ○	●●●●● ●	REPROCELLがAI設計CRISPRで低免疫原性iPSCを開発。免疫拒絶を大幅低減し、オフザセルフ細胞治療の実現に貢献。
#23	iNK細胞製造	学術論文	●●●●● ○	●●○○○ ○	●●●●● ○	●●●●● ●	●●●○○ ○	CombiCult®プラットフォームがiPSC由来NK細胞のフィーダーフリー・バイオリクターによる大規模製造プロトコルを確立。
#24	非ウイルスCRISPR	学術論文	●●●●● ○	●○○○○ ○	●●○○○ ○	●●●●● ●	●●○○○ ○	非ウイルス性CRISPR/Cas9 HDRプラットフォームが固形腫瘍モデルの安定的な遺伝子操作を実現。ウイルススペクターの課題を克服。

●●●●● High ●●●○○ Med-High ●●○○○ Med ●○○○○ Low | 背景黄色 = 注目記事

## 今週、判断に影響しうる3つの問い

### ① オフザシェルフCAR Tの優位性は、自己CAR Tの設計前提を覆すか？

Caribouのvispa-celがPhase 1で既存自己CAR Tを上回るPFS中央値17.1ヶ月を達成。Collectisも100% ORRを報告し、FDA RMAT指定を取得。製造コスト、迅速性、アクセス性で優れる同種CAR Tが、自己CAR Tの市場を急速に侵食する可能性をどう評価するか？

### ② iPSC由来細胞治療の「免疫回避」技術は、汎用的な治癒をもたらすか？

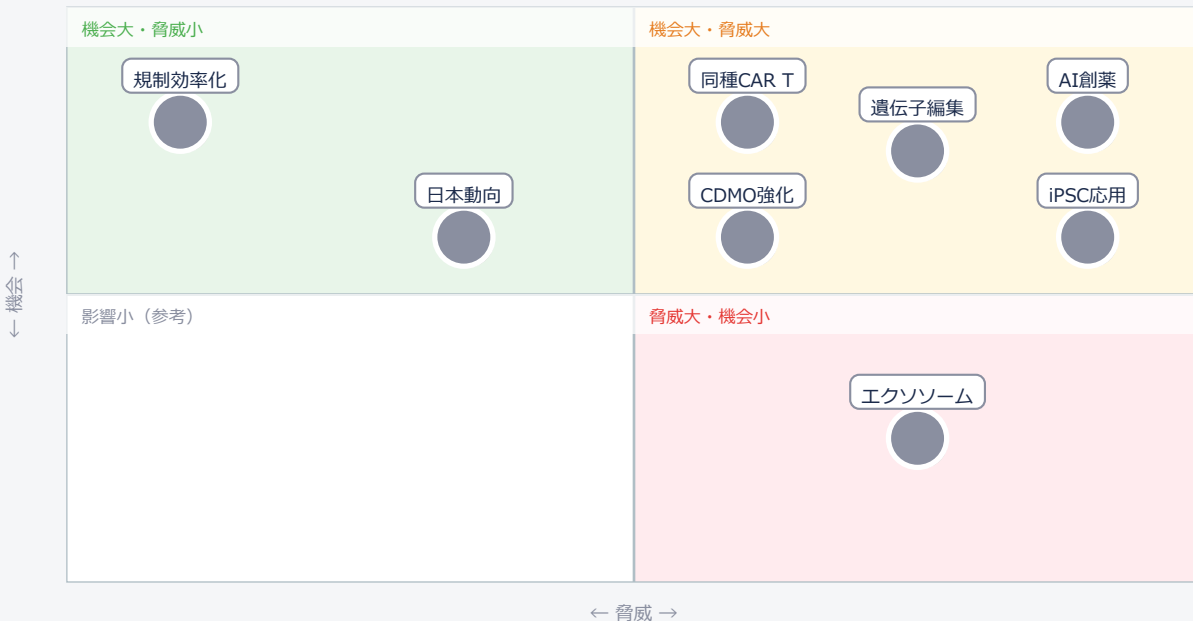
Century TherapeuticsはiPSC由来1型糖尿病治療薬で免疫抑制なしの免疫回避を非臨床で実証。REPROCELLはAI設計CRISPRで低免疫原性iPSCを開発。免疫拒絶の課題を克服するこれらの技術は、パーキンソン病や糖尿病など、幅広い疾患の機能的治癒を現実のものとするか？

### ③ FDAの規制効率化は、日本の細胞・遺伝子治療開発を加速させるか？

FDAが細胞・遺伝子治療製品の規制申請効率化のため、既存知識活用を許可するドラフトガイダンスを発表。日本のPMDAもBioCardiaの心不全治療薬に承認支持を示唆。グローバルな規制緩和の動きに、日本の開発企業は迅速に対応し、国際競争力を高められるか？

## 日本企業にとっての「機会 vs 脅威」

日本企業にとっての「機会 vs 脅威」マトリクス



項目	象限	↑ 機会	↓ 脅威
● 同種CAR T	注意	治療アクセス・コスト改善	自己CAR T市場の激変
● iPSC応用	注意	多様な疾患への機能的治癒	開発競争と製造課題
● 遺伝子編集	注意	低免疫原性細胞の実現	技術習得と安全性評価
● 規制効率化	機会大	開発期間・コスト削減	迅速対応力の格差
● CDMO強化	注意	製造委託による開発加速	グローバル競争激化
● AI創薬	注意	未標的分子へのアプローチ	AI技術格差と既存モデル
● エクソソーム	脅威大	新規治療モダリティの探索	規制未整備・安全性懸念

---

● 日本動向	機会大	日本発技術の国際展開	海外先行と国内競争
--------	-----	------------	-----------

## 深掘り ① — オフザシェルフCAR Tが自己CAR Tを凌駕

#04 | 2026/06/11 | Fierce Biotech | 技術新規性●●●●○ 実用化距離●●●○○ 市場インパクト●●●●●  
データ信頼性●●●●○ 日本関連度●●●●○

Caribou Biosciencesは、再発・難治性B細胞非ホジキンリンパ腫（NHL）患者を対象としたオフザシェルフ同種CAR T療法vispa-celのフェーズ1試験で、PFS中央値17.1ヶ月という画期的なデータを示しました。これは、既存の承認済み自己CAR T製品（Breyanziの14.8ヶ月、Yescartaの14.9ヶ月）を上回る結果であり、同種CAR T療法が自己製品に匹敵するか、それを越える有効性を提供できるというCaribouの戦略を強く裏付けるものです。

vispa-celは、Caribou独自のCRISPRハイブリッドRNA-DNA（chRDNA）ゲノム編集プラットフォームを活用し、T細胞受容体をノックアウトして免疫拒絶を低減し、CARを安定的に組み込みます。この技術により、製造リードタイムの短縮、コスト削減、品質管理の容易化が期待され、より多くの患者に迅速な治療提供が可能になります。

### ▶ 技術者の視点

提示されたPFS中央値17.1ヶ月は、フェーズ1試験としては非常に有望であり、既存の自己CAR T療法と比較して優位性を示す可能性を秘めています。ただし、フェーズ1の患者数は限定的であり、大規模なフェーズ3試験での再現性と長期的な安全性・有効性の確認が不可欠です。特に、同種CAR T療法における免疫拒絶反応の完全な制御は依然として課題であり、chRDNAプラットフォームの長期的な免疫回避効果のデータが待たれます。【機会】日本のCAR T開発企業は、オフザシェルフ製品の優位性を認識し、自社の開発戦略を見直す必要があります。CRISPRゲノム編集技術への投資と、同種細胞療法プラットフォームの構築は急務です。【脅威】自己CAR T療法に注力している企業は、市場競争の激化と製品の陳腐化リスクに直面します。オフザシェルフ製品の迅速な承認と普及は、既存のサプライチェーンや製造モデルに大きな変革を迫るでしょう。

【アクション】R&D部門は、CRISPRゲノム編集技術の導入とオフザシェルフCAR T開発へのシフトを検討。経営企画部門は、既存CAR Tパイプラインの競争力再評価と、新たなパートナーシップ戦略を策定すべきです。

## 深掘り ② — AI設計CRISPRで低免疫原性iPSCを実現

#22 | 2026/06/04 | REPROCELL | 技術新規性●●●●● 実用化距離●●○○○ 市場インパクト●●●●○  
データ信頼性●●●●○ 日本関連度●●●●●

REPROCELLは、自社のStemEdit遺伝子編集プラットフォームとAI設計CRISPR技術を組み合わせることで、低免疫原性iPSCの開発に成功しました。B2MやCIITAなどの主要な免疫認識関連遺伝子を標的とすることで、免疫拒絶反応を大幅に低減したユニバーサルドナー幹細胞の創出を目指します。これは、スケーラブルなiPSC由来オフザシェルフ細胞療法の免疫適合性を飛躍的に改善する画期的な進歩です。

AI設計CRISPRは、ゲノム編集の精度と効率を向上させ、オフターゲット効果を最小限に抑えることを可能にします。この低免疫原性iPSCは、神経細胞、心筋細胞、肝細胞など多様な細胞型への分化が可能であり、これらの分化細胞も低免疫原性を保持するため、癌治療、神経変性疾患、心疾患など幅広い疾患領域への同種オフザシェルフ細胞療法としての応用が期待されます。

▶ 技術者の視点

AIとCRISPRの融合による低免疫原性iPSCの開発は、再生医療分野における長年の課題である免疫拒絶反応の克服に大きく貢献する可能性を秘めています。特に、ユニバーサルドナー細胞株の実現は、細胞治療の製造標準化とコスト削減に直結し、治療アクセスを劇的に改善するでしょう。ただし、in vivoでの長期的な免疫回避効果の持続性や、潜在的な腫瘍形成リスクなど、実用化に向けた安全性評価は慎重に進める必要があります。AIによる設計の妥当性も、さらなる検証が求められます。【機会】日本のiPSC研究機関や細胞治療開発企業は、この技術を積極的に導入し、自社のiPSCプラットフォームを強化すべきです。特に、オフザシェルフ製品の開発において、この技術は競争優位性の源泉となります。【脅威】この技術がグローバルに普及すれば、免疫回避技術を持たないiPSC関連企業は競争力を失う可能性があります。また、AI技術への投資が遅れると、創薬・細胞治療開発の効率化で後れを取るリスクがあります。【アクション】R&D部門は、AI設計CRISPR技術の評価と導入を検討し、低免疫原性iPSCの作製プロトコルの確立に着手すべきです。経営企画部門は、iPSC関連事業の長期戦略にこの技術を組み込むことを検討してください。

## 深掘り ③ — FDA、細胞・遺伝子治療の規制効率化へ

#11 | 2026/06/08 | Pharmuni | 技術新規性●●○○○ 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●●○ データ信頼性●●●●● 日本関連度●●●●○

米国食品医薬品局（FDA）は、希少疾患を対象とした細胞・遺伝子治療製品の開発を加速するため、既存の科学的、製造的（CMC）、非臨床、臨床の知識を関連製品から活用することを許可するドラフトガイダンスを発表しました。このガイダンスは、重複する研究を減らし、規制申請プロセスを合理化することで、有望な治療法が満たされていない医療ニーズを持つ患者に迅速に届くよう支援することを目的としています。

「以前の知識（prior knowledge）」の概念を導入し、開発が初期段階にある治療法が、既に承認された製品や広範な研究で得られたデータを参照できるようになります。これにより、ゲノム編集技術、iPSC由来治療など、高度な細胞・遺伝子治療の開発期間を大幅に短縮し、資源の最適化を図ることが期待されます。

### ▶ 技術者の視点

FDAのこのドラフトガイダンスは、細胞・遺伝子治療開発における規制上の大きな障壁を緩和する画期的な動きです。特に、類似プラットフォーム技術を持つ製品群にとって、開発期間とコストの大幅な削減が見込まれます。ただし、既存知識の適用範囲や、参照データの質・関連性に関するFDAの具体的な評価基準は、今後の最終ガイダンスで明確化される必要があります。また、この効率化が安全性・有効性の基準を損なわないか、厳格な監視が求められます。【機会】日本の細胞・遺伝子治療開発企業は、このガイダンスを最大限に活用し、米国市場への参入を加速するチャンスです。特に、プラットフォーム技術を持つ企業は、複数のパイプラインで効率的な申請が可能になります。【脅威】この規制緩和に対応できない企業は、開発スピードで国際競争に後れを取る可能性があります。また、日本国内の規制環境がグローバルな動きに追従できない場合、国内開発の魅力が低下する恐れがあります。【アクション】経営企画および薬事部門は、ドラフトガイダンスの内容を詳細に分析し、自社パイプラインへの適用可能性を評価すべきです。R&D部門は、既存データの体系化と、将来のプラットフォーム開発におけるデータ活用戦略を策定してください。

## その他の注目記事

Collectisのlasme-cel、FDA RMAT指定取得、EHAで有効性データ発表

技術新規性●●●●○ 実用化距離●●●○○ 市場インパクト●●●●○

同種CAR T療法がFDA RMAT指定を受け、B-ALLで100% ORRを達成。オフザシェルフCAR Tの臨床的有効性が高まる。

Century Therapeutics、iPSC由来1型糖尿病治療薬CNTY-813が前臨床で耐久性血糖コントロールと免疫回避能力を実証

技術新規性●●●●● 実用化距離●●○○○ 市場インパクト●●●●○

iPSC由来臍島置換療法が免疫抑制なしで8ヶ月以上の血糖コントロールと免疫回避能力を非臨床で実証。1型糖尿病の機能的治癒に期待。

FUJIFILM Cellular Dynamicsが新iPSC製造施設を開設し、ライフサイエンスリーダーシップを再編して細胞治療とiPSC事業拡大を加速

技術新規性●●○○○ 実用化距離●●●●● 市場インパクト●●●●○

富士フイルムがiPSC製造能力を4倍に拡大し、細胞治療とiPSC事業のグローバル展開を加速。日本のCDMO戦略の強化を示す。

NovartisとOrion Biosciencesが分子接着剤発見で戦略的提携、最大14億ドル規模の契約

技術新規性●●●●● 実用化距離●●○○○ 市場インパクト●●●●●

AI駆動型分子接着剤プラットフォームがun-druggableターゲットに挑む。Novartisの大型投資は創薬パラダイムの変革を示唆。

## 今週のアクション提案

記事評価マトリクスと機会/脅威分析を踏まえたアクション提案です。

### ■ 即時（今週中）

- 【R&D;】 オフザシェルフCAR Tの最新臨床データを詳細に分析し、自社CAR Tパイプラインの競争優位性を再評価する。
- 【薬事・経営企画】 FDAの細胞・遺伝子治療規制効率化ドラフトガイダンスの内容を確認し、自社製品の承認戦略への影響を検討する。
- 【調達】 iPSC製造受託サービス（CDMO）市場の動向を調査し、新たなパートナー候補をリストアップする。

### ■ 短期（1ヶ月）

- 【R&D;】 AI設計CRISPRによる低免疫原性iPSC技術に関する社内ワークショップを開催し、導入可能性と技術ロードマップへの組み込みを議論する。
- 【経営企画】 iPSC由来細胞治療の自己免疫疾患や神経変性疾患への応用拡大トレンドを踏まえ、新規事業領域への参入可能性を検討する。
- 【半導体PKG/EV設計】 in vivo遺伝子編集技術やAI創薬プラットフォームの進展が、将来の材料・デバイス設計に与える影響について情報収集を開始する。

### ■ 中長期（四半期～）

- 【R&D;】 低免疫原性iPSCを用いたユニバーサルドナー細胞株の作製プロジェクトを立ち上げ、オフザシェルフ細胞治療の基盤技術を確立する。
- 【経営企画】 グローバルなCDMO市場の再編と、日本企業の製造能力強化（例：富士フイルム）を考慮し、自社の製造戦略（内製/外注）を再構築する。
- 【調達】 エクソソーム治療の規制動向と科学的エビデンスを継続的にモニタリングし、将来的な材料・技術調達の可能性を評価する。

# iPS細胞・再生医療 採用記事全文集

出力日: 2026-06-13

採用記事数: 24 件

## 収録記事一覧

- #01 Cellectisのlasme-cel、再発・難治性B-ALL向け初のピボタル試験中同種CAR T療法としてFDA RMAT指定取得、EHAで有効性データ発表
- #02 Fate Therapeutics、iPSC由来オフザシェルフCAR T療法FT819/FT839/FT836の臨床・非臨床データで自己免疫疾患と固形がんへの有効性示す
- #03 Imviva Biotechのオフザシェルフ同種CAR T療法CTD402、再発・難治性T-ALL/LBLに対しEHAで高奏効率発表
- #04 Caribou Biosciences、オフザシェルフ同種CAR T療法vispa-celがリンパ腫Phase 1で既存の自己CAR Tを上回るPFSを示す
- #05 多発性骨髄腫対象の同種BCMA CAR T療法CB-011、Phase 1で深い奏効と免疫隠蔽効果を確認
- #06 Century Therapeutics、iPSC由来1型糖尿病治療薬CNTY-813が前臨床で耐久性血糖コントロールと免疫回避能力を実証
- #07 Beam Therapeuticsの遺伝子編集候補BEAM-302、AATD治療で良好な臨床データとFDA迅速承認経路の可能性を示唆
- #08 Intellia TherapeuticsのLonvo-z、遺伝性血管性浮腫治療で期待されるPhase 3データがEAACI 2026で発表へ
- #09 BioCardiaのCardiAMP自家細胞療法、FDA市販前承認と日本PMDA承認に向けた有望な進捗
- #10 パーキンソン病に対する幹細胞治療が臨床段階へ移行：BlueRockのPhase 3と日本のiPSCプログラムがリード
- #11 FDA、既存知識活用で細胞・遺伝子治療製品の規制申請を効率化するドラフトガイダンスを発表
- #12 FDA迅速承認経路ガイド：ファストトラック、ブレイクスルーセラピー、RMATの戦略的選択
- #13 美容におけるエクソソーム治療、FDA未承認で安全性警告：エビデンスに基づいたアプローチの重要性
- #14 FUJIFILM Cellular Dynamicsが新iPSC製造施設を開設し、ライフサイエンスリーダーシップを再編して細胞治療とiPSC事業拡大を加速
- #15 Made ScientificとPluristyxが戦略的提携を締結、iPSC技術を統合し細胞治療製造CDMOサービスを拡大
- #16 Alcami、Tjoapack買収でCDMO包装能力を拡大し、細胞・遺伝子治療サプライチェーンを強化
- #17 ENCell、Ingenium TherapeuticsとのNK細胞療法Gengleucelの米国臨床製造契約を獲得し、グローバルCDMO事業を拡大
- #18 Cartesian TherapeuticsとWestGene Biopharmaが戦略的ライセンス契約を締結、自己免疫疾患向けIn Vivo CAR Tプラットフォーム開発を加速

#19 AmMax BioがLonzaとライセンス契約締結：ADCプログラムAMB-104向けコンジュゲーション・リンカーペイロード技術を導入

#20 NovartisとOrionis Biosciencesが分子接着剤発見で戦略的提携、最大14億ドル規模の契約

#21 Human Continuum、エクソソームベースの治療寿命プラットフォーム開発のため513万ドルのシード資金を調達

#22 REPROCELL、AI設計CRISPRによる低免疫原性iPSCを開発：オフザセルフ細胞治療への革新

#23 CombiCult®スクリーニングプラットフォーム、iPSC由来NK細胞製造のフィーダーフリー・バイオリアクターによるスケーラビリティを確立

#24 非ウイルス性CRISPR/Cas9 HDRプラットフォームが固形腫瘍モデルの安定的な遺伝子操作を実現、ウイルスベクターの課題を克服

# Collectisのlasme-cel、再発・難治性B-ALL向け初のピボタル試験中同種CAR T療法としてFDA RMAT指定取得、EHAで有効性データ発表

公開日 2026年06月11日 Stock Titan (Collectis SEC Filing) アメリカ



## 概要

Collectisは、再発性または難治性B細胞急性リンパ性白血病（r/r B-ALL）を対象としたCD22標的の同種CAR T細胞療法候補lasme-cel（UCART22）が、FDAから再生医療先端治療（RMAT）指定を受けたと発表しました。これは、r/r B-ALL患者向けピボタル試験中の同種CAR T療法としては初めての指定となります。同時に開催された欧州血液学会議（EHA）では、lasme-celのBALLI-01臨床試験における最終フェーズ1データが発表され、対象となるフェーズ2集団で100%の全奏効率を達成し、管理可能な安全性プロファイルが確認されました。また、デュアルCD20/CD22標的CAR T細胞であるeti-cel（UCART20x22）の予備的フェーズ1データも発表され、r/r B細胞非ホジキンリンパ腫患者においても有望な結果を示しています。

## 詳細

### 主要成果

Cellectis社が開発を進めるCD22標的と同種CAR T細胞療法候補「lasme-cel (UCART22)」が、再発性または難治性B細胞急性リンパ性白血病 (r/r B-ALL) の成人および青年患者を対象とした治療薬として、米国食品医薬品局 (FDA) から再生医療先端治療 (RMAT) 指定を受けました。この指定は、r/r B-ALL患者を対象としたピボタル試験中にRMAT指定を取得した初の同種CAR T細胞療法であり、lasme-celの臨床的有効性と安全性に関する初期の有望なエビデンスを強調するものです。欧州血液学会議 (EHA) 2026では、lasme-celのBALLI-01臨床試験の最終フェーズ1データが発表され、対象となるフェーズ2集団において100%の全奏効率 (ORR) が報告されるという画期的な成果が示されました。

### 技術・臨床詳細

lasme-celの臨床データは、その強力な抗腫瘍活性と管理可能な安全性プロファイルを示しています。BALLI-01試験は、r/r B-ALLの成人患者を対象としたもので、CD22を標的とする同種CAR T細胞の潜在能力を評価しました。臨床的に意義のある奏効が早期から観察され、患者の大部分で完全寛解を達成しています。安全性プロファイルに関しては、サイトカイン放出症候群 (CRS) や免疫エフェクター細胞関連神経毒性症候群 (ICANS) などの有害事象は適切に管理されており、自己CAR T療法と比較して同種CAR T療法特有のアロ免疫反応が最小限に抑えられていることが示唆されます。さらに、CellectisはデュアルCD20/CD22標的と同種CAR T細胞療法候補「eti-cel (UCART20x22)」に関するNATHALI-01試験の予備的フェーズ1データもEHAで発表しました。このデュアルターゲティング戦略は、抗原逃避のリスクを低減し、より幅広いB細胞悪性腫瘍に対する治療効果を高める可能性を秘めています。

## 背景・業界文脈

B細胞急性リンパ性白血病は、小児および成人において最も一般的な急性白血病の一つであり、特に再発・難治性の患者群では治療選択肢が限られており、予後が不良であることが大きな課題です。既存の治療法には、化学療法や造血幹細胞移植、そして一部の自己CAR T細胞療法がありますが、これらは製造に時間がかかり、患者の体調に依存するという課題があります。lasme-celのような同種CAR T細胞療法は、「オフザシェルフ（既製品）」として迅速に利用できるため、より多くの患者にタイムリーな治療を提供できる可能性があります。RMAT指定は、重篤な疾患に対する革新的な再生医療製品の開発と審査を加速するためのFDAプログラムであり、lasme-celがこの指定を受けたことは、その臨床的意義がFDAによって高く評価されたことを意味します。

## 今後の展望

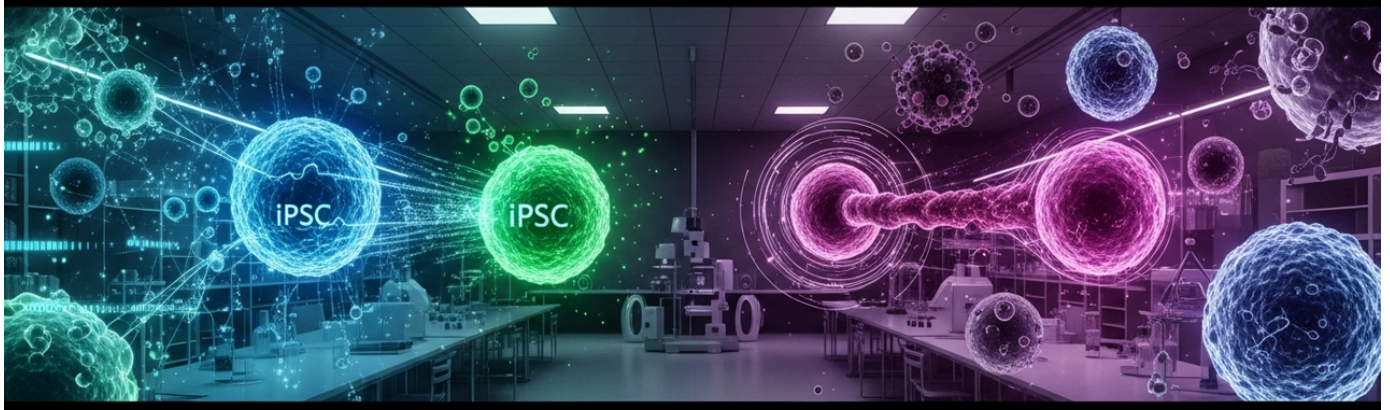
lasme-celのRMAT指定と有望なフェーズ1データの発表は、同種CAR T細胞療法の実用化に向けた重要なマイルストーンです。今後、Cellestisはlasme-celのピボタル試験を迅速に進め、承認申請を目指すこととなります。同種CAR T療法の成功は、製造コストとアクセス性の点で、従来の自己CAR T療法に対する重要な進歩を意味し、より多くの血液がん患者に恩恵をもたらす可能性を秘めています。また、eti-celのようなデュアルターゲティング戦略の開発は、抗原多様性を持つ腫瘍に対するCAR T療法の有効性をさらに向上させる方向性を示しており、将来的な幅広いがん種への応用が期待されます。

---

元記事: <https://www.stocktitan.net/sec-filings/CLLS/6-k-cellestis-s-a-current-report-foreign-issuer-f5ab8f6bf3a5.html>

# Fate Therapeutics、iPSC由来オフザシエルフCAR T療法 FT819/FT839/FT836の臨床・非臨床データで自己免疫疾 患と固形がんへの有効性示す

公開日 2026年06月05日 Fate Therapeutics アメリカ



## 概要

Fate Therapeuticsは、欧州リウマチ学会（EULAR）および企業プレゼンテーションを通じて、iPSC由来オフザシエルフCAR T細胞プログラムの最新データを発表しました。全身性エリテマトーデス（SLE）患者を対象とした抗CD19 CAR T細胞療法FT819のフェーズ1試験では、低強度前処置レジメンとの併用で迅速かつ持続的な臨床改善と良好な安全性プロファイルが確認されました。また、非臨床データではFT839が自己免疫疾患および血液悪性腫瘍の治療において有望な可能性を示し、固形腫瘍向けMICA/B標的CAR T細胞FT836も予備的な抗腫瘍活性と忍容性を示しました。

## 詳細

### 主要成果

Fate Therapeuticsは、iPSC由来オフザシェルフCAR T細胞プログラムの臨床および非臨床データを発表し、自己免疫疾患と固形がんの両分野における有望な治療可能性を示しました。全身性エリテマトーデス（SLE）患者を対象とした抗CD19 CAR T細胞療法FT819のフェーズ1試験では、少ない前処置レジメンで迅速かつ持続的な臨床改善が確認され、良好な安全性プロファイルが維持されました。また、新たな非臨床データでは、自己免疫疾患および血液悪性腫瘍を対象とするCD19とCD38を標的とするデュアルCAR T細胞FT839が、活性化免疫細胞の包括的な除去を達成する可能性を示しました。さらに、固形腫瘍を標的とするMICA/B標的CAR T細胞FT836も、進行性のKRAS野生型大腸癌において予備的な抗腫瘍活性と忍容性を示しています。

### 技術・臨床詳細

FT819は、iPSCプラットフォームを基盤とする初のクローン性CAR T細胞製品であり、単一の遺伝子編集イベントによりT細胞受容体を排除し、CD19を標的とするキメラ抗原受容体（CAR）と、免疫原性を低減するための細胞表面タンパク質発現制御を組み合わせています。SLEフェーズ1試験では、患者に対して低強度化学療法レジメン（フルダラビンおよびシクロホスファミドの単回投与）が適用され、その後のFT819投与により迅速な臨床反応と持続的な改善が示されました。この結果は、自己免疫疾患におけるB細胞枯渇療法としての同種CAR T療法の潜在的な有効性と安全性を裏付けるものです。FT839は、CD19とCD38の両方を標的とすることで、より広範な免疫細胞を排除し、治療抵抗性の高い疾患への対応を目指しています。FT836は、MICA/B（NKG2Dリガンド）を標的とすることで、多くの固形腫瘍細胞が発現するストレス誘導性タンパク質を利用し、既存治療に抵抗性を示すKRAS野生型大腸癌モデルで promising な活性を示しました。

## 背景・業界文脈

自己免疫疾患、特にSLEは、従来の治療法では管理が困難な炎症と臓器損傷を引き起こす慢性疾患であり、新たな治療パラダイムが求められています。CAR T細胞療法は血液がんにおいて革新的な成果を上げてきましたが、固形がんや自己免疫疾患への応用はまだ初期段階にあります。Fate TherapeuticsのiPSCプラットフォームは、均質な「オフザシェルフ」製品を大規模かつコスト効率よく製造できる可能性を秘めており、従来の患者由来自己CAR T細胞療法が抱える製造上の課題を克服します。同社の免疫回避技術は、同種細胞療法における免疫拒絶反応のリスクを低減し、製品の有効性と安全性を高める上で極めて重要です。

## 今後の展望

これらの有望な臨床・非臨床データに基づき、Fate TherapeuticsはFT819のループス腎炎を対象としたフェーズ2試験を計画しており、今後、自己免疫疾患領域におけるパイプラインをさらに拡大していく方針です。FT839は2026年中にIND申請準備活動を完了する予定であり、その後の臨床試験を通じて、多発性骨髄腫や自己免疫疾患における新たな治療選択肢となる可能性が期待されます。FT836のデータは、固形腫瘍に対するCAR T細胞療法の実現可能性を示しており、今後さらなる開発が進められるでしょう。Fate Therapeuticsは、2028年までの資金繰りの見通しを確保しており、複数の革新的なプログラムを推進するための強固な財務基盤を有しています。

---

元記事: <https://ir.fatetherapeutics.com/news-releases/news-release-details/fate-therapeutics-showcases-data-ft819-and-ft839-programs>

# Imviva Biotechのオフザシエルフ同種CAR T療法 CTD402、再発・難治性T-ALL/LBLに対しEHAで高奏効率 発表

公開日 2026年06月11日    GlobeNewswire (Imviva Biotech)    アメリカ



## 概要

Imviva Biotechは、欧州血液学会（EHA）2026年次総会で、次世代オフザシエルフ同種CAR T細胞療法CTD402に関する有望な臨床データを発表しました。この療法は、治療選択肢が限られ予後が不良である再発・難治性T細胞急性リンパ性白血病（R/R T-ALL）およびリンパ芽球性リンパ腫（LBL）の成人および小児患者を対象としています。データは、成人患者で86%の全奏効率（ORR）と80%の完全寛解率（CR）、小児患者でも同様に高い奏効率と完全寛解率を示し、管理可能な安全性プロファイルを伴っていました。

## 詳細

### 主要成果

Imviva Biotechは、欧州血液学会（EHA）2026年次総会において、治療選択肢が極めて限られている再発・難治性T細胞急性リンパ性白血病（R/R T-ALL）およびリンパ芽球性リンパ腫（LBL）の成人および小児患者を対象とした、次世代オフザセルフ同種CAR T細胞療法「CTD402」の有望な臨床データを発表しました。発表されたデータによると、成人患者における全奏効率（ORR）は86%に達し、完全寛解率（CR）も80%という高い水準を示しました。小児患者でも同様に高い奏効率と完全寛解率が達成され、CTD402は管理可能な安全性プロファイルを伴っていることが確認されました。この成果は、T細胞性悪性腫瘍に対する同種CAR T療法の実現可能性と大きな治療効果を裏付けるものです。

### 技術・臨床詳細

CTD402は、独自の遺伝子編集技術と細胞培養プロセスを用いて開発された同種CAR T細胞療法であり、従来の自己CAR T療法のような患者由来の細胞収集や個別製造の必要がない「オフザセルフ」製品です。これにより、患者は診断後、迅速に治療を開始することが可能となります。臨床試験では、R/R T-ALL/LBL患者が対象となり、標準治療に抵抗性を示す、あるいは再発した患者においてCTD402が投与されました。高い奏効率に加え、安全性プロファイルも良好であり、サイトカイン放出症候群（CRS）や免疫エフェクター細胞関連神経毒性症候群（ICANS）などの重篤な有害事象は適切に管理可能であることが示されました。成人患者と小児患者の両方で同様の有効性と安全性が確認されたことは、幅広い年齢層の患者に適用できる可能性を示唆しています。

### 背景・業界文脈

T細胞性悪性腫瘍は、B細胞性悪性腫瘍と比較してCAR T細胞療法の開発が困難とされてきました。これは、CAR T細胞自体がT細胞由来であるため、自己由来T細胞を標的とするCARを導入すると「兄弟殺し」現象（CAR T細胞が互いに攻撃し合う）が生じることや、アロCAR T細胞の免疫拒絶反応を克服する技術的課題が存在するためです。CTD402の成功は、これらの課題を克服するための画期的なアプローチを示しており、特にR/R T-ALL/LBLのような予後不良な疾患における新たな治療選択肢として大きな期待を集めます。オフザセルフであるという特性は、製造の簡素化、コスト削減、および治療アクセス向上という点で、業界全体にとって重要な意味を持ちます。

## 今後の展望

CTD402の有望な臨床データは、T細胞性悪性腫瘍に対する同種CAR T療法の開発を加速させる大きな推進力となるでしょう。Imviva Biotechは、今後CTD402の開発をさらに進め、規制当局への承認申請を目指す方針です。この療法の成功は、治療選択肢が限定されているT細胞性悪性腫瘍患者にとって、生命を救う可能性のある新たなパラダイムを提示するものです。また、オフザシェルフ製品としてのCTD402の成功は、同種細胞治療プラットフォーム全体の信頼性を高め、他の疾患領域への応用開発にも拍車をかける可能性があります。

---

元記事: <https://www.globenewswire.com/news-release/2026/06/11/3310460/0/en/imviva-biotech-presents-studies-on-ctd402-allogeneic-car-t-therapy-at-eha2026-congress.html>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Caribou Biosciences、オフザシェルフ同種CAR T療法 vispa-celがリンパ腫Phase 1で既存の自己CAR Tを上回る PFSを示す

公開日 2026年06月11日 Fierce Biotech アメリカ



## 概要

Caribou Biosciencesは、再発・難治性B細胞非ホジキンリンパ腫（NHL）患者を対象としたオフザシェルフ同種CAR T細胞療法vispacabtagene regedleucel（vispa-cel）のフェーズ1試験から、有望な無増悪生存期間（PFS）中央値データを発表しました。このデータは、vispa-celが既存の承認済み自己CAR T製品（BreyanziとYescarta）のPFS中央値を上回る17.1ヶ月を達成したことを示しています。この成果は、同種CAR T細胞療法が自己製品に匹敵するか、それを超える有効性を提供できるというCaribouの戦略を裏付けるものです。

## 詳細

### 主要成果

Caribou Biosciencesは、再発・難治性B細胞非ホジキンリンパ腫（NHL）患者を対象としたオフザシェルフ同種CAR T細胞療法vispacabtagene regedleucel（vispa-cel）のフェーズ1臨床試験において、驚くべき無増悪生存期間（PFS）中央値データを発表しました。vispa-celは、PFS中央値17.1ヶ月を達成し、これは既存の市販されている自己CAR T細胞療法であるBreyanziの14.8ヶ月およびYescartaの14.9ヶ月を上回る数値です。この結果は、同種CAR T細胞療法が自己由来療法に匹敵する、あるいはそれを超える有効性を提供できるというCaribouの確固たる主張を強く裏付けるもので、オフザシェルフCAR T療法の分野における大きな進歩を示しています。

### 技術・臨床詳細

vispa-celは、Caribou独自のCRISPRハイブリッドRNA-DNA（chRDNA）ゲノム編集プラットフォームを活用して開発されました。この技術により、患者に移植するT細胞受容体をノックアウトし、免疫拒絶を低減するとともに、キメラ抗原受容体（CAR）を安定的に組み込むことが可能です。フェーズ1臨床試験では、治療歴の重いr/r B細胞NHL患者が対象となり、標準的なリンパ球除去前処置後にvispa-celが投与されました。PFS中央値が17.1ヶ月という結果は、この治療法の持続的な効果を明確に示しています。安全性プロファイルも管理可能であり、重篤なサイトカイン放出症候群（CRS）や免疫エフェクター細胞関連神経毒性症候群（ICANS）の発生率は低く、従来の自己CAR T療法と比較して遜色ない結果でした。このデータは、vispa-celが安全性と有効性の両面で、既存治療に対する魅力的な代替選択肢となりうることを示しています。

### 背景・業界文脈

再発・難治性B細胞NHLは、治療選択肢が限られており、患者の予後が悪い疾患です。既存の自己CAR T細胞療法は一部の患者に劇的な効果をもたらしますが、製造に数週間かかること、患者のリンパ球採取が必須であること、製造費用が高いことなどの課題があります。vispa-celのようなオフザシェルフ同種CAR T療法は、健康なドナーから採取したT細胞を遺伝子編集することで、これらの課題を克服できる可能性を秘めています。製造リードタイムが不要なため、患者はより迅速に治療を受けることができ、品質管理も容易になります。CaribouのchRDNAプラットフォームは、高効率かつ正確なゲノム編集を可能にし、同種CAR T療法の安定性と有効性を高める上で重要な役割を果たしています。

## 今後の展望

vispa-celのフェーズ1データは、同種CAR T細胞療法の将来にとって画期的な結果であり、Caribou Biosciencesは今後の開発を加速させるでしょう。この有望なPFSデータは、大規模なピボタル試験の設計と実施を支援し、最終的な規制当局への承認申請への道を開きます。もし承認されれば、vispa-celはB細胞NHL患者にとって、即時性とアクセス性に優れた強力な治療選択肢となる可能性があります。この成功はまた、CRISPRベースのゲノム編集技術を用いたオフザシェルフ細胞療法全体の開発に大きな弾みを与え、他の悪性腫瘍や自己免疫疾患への応用研究を促進することが期待されます。

---

元記事: <https://www.fiercebiotech.com/biotech/caribou-boosts-case-shelf-car-t-matches-autologous-drugs-ahead-phase-3>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# 多発性骨髄腫対象の同種BCMA CAR T療法CB-011、Phase 1で深い奏効と免疫隠蔽効果を確認

公開日 2026年06月10日 The ASCO Post アメリカ



## 概要

免疫隠蔽技術を組み込んだ初の同種抗BCMA CAR T細胞療法CB-011が、再発・難治性の治療歴の重い多発性骨髄腫患者を対象としたフェーズ1 CaMMouflage試験で高率な全奏効率（ORR）を達成しました。このオフザシェルフ製品は、迅速な患者登録と、深い奏効、管理可能な安全性プロファイルを示し、既存の治療法の課題を克服する可能性を秘めています。研究では、ネイティブ免疫系の迅速な回復も確認されました。

## 詳細

### 主要成果

免疫隠蔽（immune cloaking）技術を組み込んだ初の同種抗BCMA CAR T細胞療法である「CB-011」が、再発・難治性の治療歴の重い多発性骨髄腫患者を対象としたフェーズ1 CaMMouflage臨床試験において、非常に高い全奏効率（ORR）を達成しました。このオフザシェルフ製品は、製造にかかる待機時間が不要であるため迅速な患者登録を可能にし、深く持続的な奏効をもたらし、管理可能な安全性プロファイルを示しました。研究者は、既存の多発性骨髄腫治療が抱える課題、特に再発後の治療抵抗性やアクセス性の問題を克服する上で、CB-011が大きな可能性を秘めていることを強調しています。また、治療後に患者のネイティブ免疫系が比較的迅速に回復することも確認されました。

### 技術・臨床詳細

CB-011は、同種CAR T細胞療法特有の課題である免疫拒絶反応を克服するために、独自の免疫隠蔽技術を採用しています。具体的には、主要組織適合遺伝子複合体（MHC）クラスIおよびIIの発現をダウンレギュレーションすることで、患者の免疫系からの認識を回避し、治療細胞の生着と持続性を向上させます。フェーズ1 CaMMouflage試験は、複数の前治療歴を持つ重度の再発・難治性多発性骨髄腫患者を対象に実施されました。臨床データは、高用量かつ複数の治療レジメンを受けた患者群において、一貫して深い奏効が認められたことを示しています。安全性プロファイルに関しても、サイトカイン放出症候群（CRS）や免疫エフェクター細胞関連神経毒性症候群（ICANS）などの有害事象は適切に管理されており、自己CAR T療法と比較して遜色ない、あるいはより良好な安全性を示しました。さらに、治療後のリンパ球回復が比較的速やかであったことも、この療法の利点として挙げられます。

## 背景・業界文脈

多発性骨髄腫は、形質細胞のがんであり、再発を繰り返すことで治療抵抗性を示すようになることが特徴です。既存の治療法には、免疫調節薬、プロテアソーム阻害薬、抗体薬などがありますが、これらの治療に抵抗性を示す患者に対しては、新たな治療選択肢が強く求められています。自己CAR T細胞療法は、一部の患者に画期的な効果をもたらしましたが、その製造には複雑なプロセスと数週間の時間を要し、費用も高額であるという課題があります。CB-011のようなオフザシェルフ同種CAR T細胞療法は、事前に製造された製品を迅速に提供できるため、患者の治療アクセスを大幅に改善し、製造コストを削減する可能性を秘めています。免疫隠蔽技術は、同種細胞療法の長期的な生着と有効性を確保するための鍵となる技術であり、その成功は業界の注目を集めています。

## 今後の展望

CB-011のフェーズ1試験で示された高い奏効率と管理可能な安全性プロファイルは、多発性骨髄腫治療における新たな選択肢としての大きな期待を高めます。この有望な結果は、今後の後期臨床開発を加速させ、承認申請への道を開くでしょう。もしCB-011が承認されれば、再発・難治性の多発性骨髄腫患者にとって、よりアクセスしやすく、効果的で安全な治療法となる可能性があります。同種CAR T細胞療法と免疫隠蔽技術の進歩は、血液がん治療のパラダイムを変え、将来的には他の固形腫瘍や自己免疫疾患への応用も視野に入れた開発が期待されます。

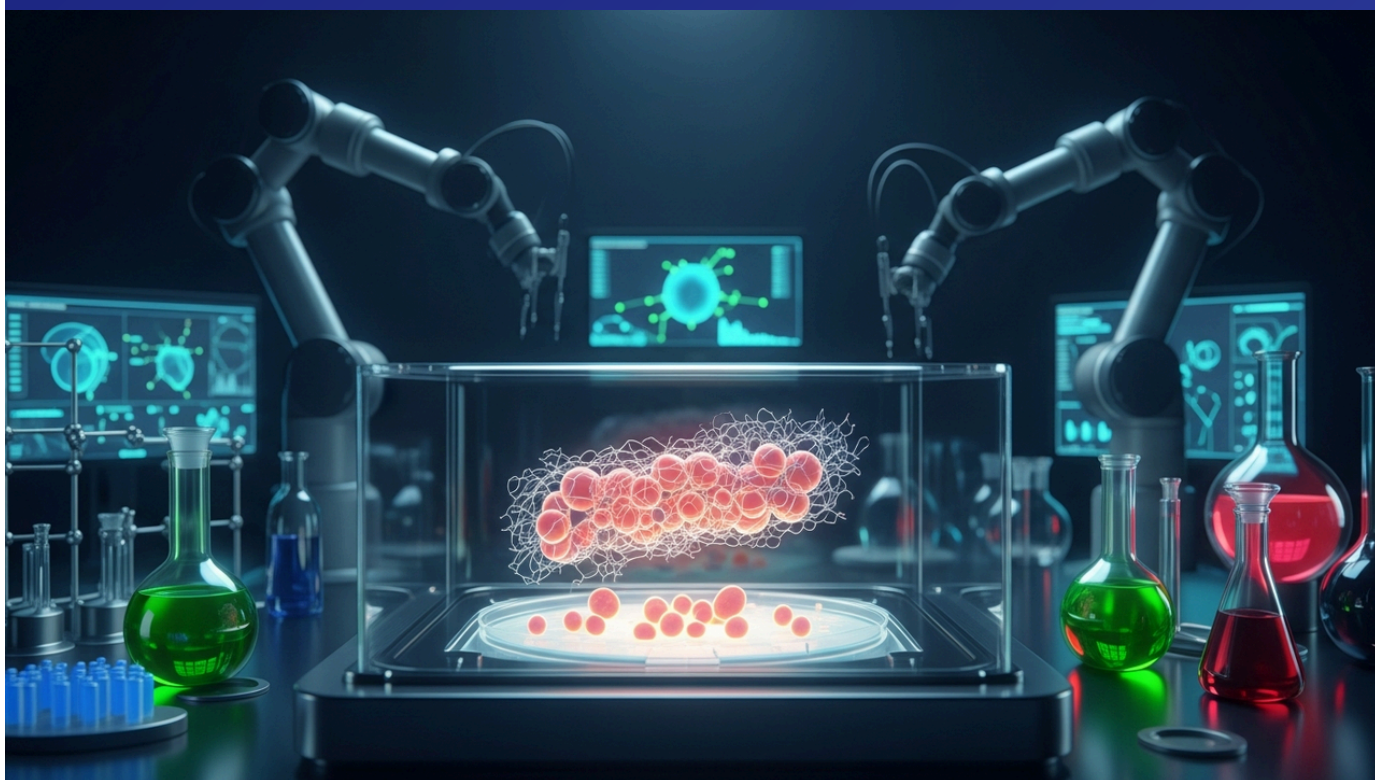
---

元記事: <https://ascopost.com/issues/june-10-2026/off-the-shelf-car-t-cell-therapy-produces-deep-durable-responses-in-heavily-pretreated-multiple-myeloma/>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Century Therapeutics、iPSC由来1型糖尿病治療薬CNTY-813が前臨床で耐久性血糖コントロールと免疫回避能力を実証

公開日 2026年06月09日 BioSpace (Century Therapeutics) アメリカ



## 概要

Century Therapeuticsは、米国糖尿病学会（ADA）2026年次総会で、1型糖尿病向けiPSC由来膵島置換療法CNTY-813の新たな非臨床データを発表しました。データは、非臨床モデルで8ヶ月以上にわたる持続的な血糖コントロール、免疫抑制なしでの同種免疫圧下での免疫回避能力、およびPhase 1臨床試験供給のために確立されたスケールアップな製造プロセスを実証しました。同社は2026年第4四半期にIND申請を計画しており、1型糖尿病の機能的治癒に向けて大きく前進しています。

## 詳細

### 主要成果

Century Therapeuticsは、米国糖尿病学会（ADA）2026年次総会において、1型糖尿病（T1D）向けにAllo-Evasion™ 5.0免疫回避技術で設計されたiPSC由来膵島置換療法「CNTY-813」の画期的な非臨床データを発表しました。発表されたデータは、非臨床モデルにおいて8ヶ月以上にわたる耐久性のある血糖コントロールを実証し、免疫抑制剤を使用せずに同種免疫圧下で強力な免疫回避能力を示しました。さらに、Phase 1臨床試験の供給に向けたスケラブルな製造プロセスも確立されており、CNTY-813が1型糖尿病の機能的治癒を提供する可能性を強く示唆するものです。

### 技術・臨床詳細

CNTY-813は、ヒトiPSCから分化誘導された膵島様細胞であり、Century Therapeutics独自のAllo-Evasion™ 5.0遺伝子編集プラットフォームによって、主要組織適合遺伝子複合体（MHC）クラスIおよびIIの発現を制御し、非自己細胞に対するT細胞およびNK細胞の免疫応答を回避するように設計されています。非臨床モデル（ヒト化マウスおよび大型動物モデル）での研究では、CNTY-813細胞が移植後8ヶ月以上の長期にわたり安定したインスリン分泌と血糖値の正常化を維持することが示されました。特筆すべきは、免疫抑制剤を投与しない条件下でも免疫回避が機能し、同種移植片の拒絶反応が抑制された点です。製造面では、GMP基準に準拠した大規模培養プロセスが確立されており、安定した品質と十分な量の細胞を効率的に生産できることが確認されています。これは、臨床試験および将来の商業化にとって極めて重要な要素です。

### 背景・業界文脈

1型糖尿病は、自己免疫疾患により膵臓のインスリン産生β細胞が破壊されることで発症し、生涯にわたるインスリン補充療法が必要となる慢性疾患です。現在の治療法は血糖値を管理するものの、根治には至らず、重篤な合併症のリスクを伴います。膵島移植は根治的な治療法となりえますが、ドナー不足と生涯にわたる免疫抑制剤の服用が課題です。CNTY-813のようなiPSC由来の膵島置換療法は、無限の細胞供給源を提供し、免疫回避技術により免疫抑制剤の必要性を低減または排除できる可能性を秘めており、これらの課題に対する画期的な解決策として期待されています。特に、既存の治療では機能的治癒が困難であることから、CNTY-813の進展は患者と医療業界にとって大きな希望となります。

## 今後の展望

CNTY-813の非臨床データで示された耐久性のある血糖コントロール、強力な免疫回避、およびスケーラブルな製造プロセスは、1型糖尿病治療における大きなブレイクスルーとなる可能性を秘めています。Century Therapeuticsは、これらの成果に基づき、2026年第4四半期に米国食品医薬品局（FDA）へ治験薬申請（IND）を提出する計画です。IND申請の承認後、CNTY-813のフェーズ1臨床試験が開始され、ヒトでの安全性と有効性が検証されることとなります。このプログラムが成功すれば、1型糖尿病患者の生活の質を劇的に向上させ、インスリン依存から解放される機能的治癒の実現に大きく貢献することが期待されます。

---

元記事: <https://www.biospace.com/press-releases/century-therapeutics-new-cnty-813-preclinical-data-demonstrate-durable-glucose-control-immune-evasion-under-alloimmune-pressure-and-scalable-manufacturing-at-ada-2026/>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Beam Therapeuticsの遺伝子編集候補BEAM-302、AATD治療で良好な臨床データとFDA迅速承認経路の可能性を示唆

公開日 2026年06月10日 Simply Wall St アメリカ



## 概要

Beam Therapeuticsは、アルファ-1アンチトリプシン欠損症（AATD）を対象とした遺伝子編集候補BEAM-302が、持続的な保護タンパク質レベルを示す良好な臨床試験データを報告しました。この成果により、FDAによる迅速承認経路の可能性が示唆され、同社の株価は5.2%上昇しました。BEAM-302の進展は、Beam Therapeuticsの広範な精密遺伝子医療パイプラインを強化し、個々のプログラムのマイルストーンが同社の全体的な技術プラットフォームと将来の治療ポートフォリオの認識に大きな影響を与えることを示しています。

## 詳細

### 主要成果

Beam Therapeuticsは、アルファ-1アンチトリプシン欠損症（AATD）の治療を目的とした遺伝子編集候補「BEAM-302」の臨床試験において、持続的な保護タンパク質レベルを実証する良好なデータを発表しました。この肯定的な結果は、FDAによる迅速承認経路の可能性を示唆し、市場の期待を大きく上回るものでした。発表後、Beam Therapeuticsの株価は5.2%上昇し、同社の広範な精密遺伝子医療パイプラインに対する投資家の信頼を反映しています。BEAM-302の進展は、同社の革新的なベース編集技術プラットフォームの妥当性をさらに裏付けるものです。

### 技術・臨床詳細

BEAM-302は、Beam Therapeutics独自のベース編集技術を活用した遺伝子編集治療薬であり、AATDの原因となるSERPINA1遺伝子内の特定の変異をRNAレベルではなくDNAレベルで直接修正することを目指しています。AATDは、肝臓で産生される保護タンパク質であるアルファ-1アンチトリプシン（AAT）の欠損により、肺や肝臓に重篤な損傷を引き起こす遺伝性疾患です。BEAM-302の臨床試験データは、治療を受けた患者において、体内で機能的なAATタンパク質のレベルが持続的に上昇したことを示しました。これは、単回治療で疾患の根本原因を修正し、長期的な効果をもたらすベース編集の潜在能力を浮き彫りにします。従来の遺伝子治療とは異なり、DNA二本鎖切断を伴わないベース編集は、オフターゲット効果のリスクを低減し、より高い安全性プロファイルを提供すると期待されています。

### 背景・業界文脈

AATDは、世界中で数百万人が罹患しているものの、診断が見過ごされがちな希少遺伝性疾患です。既存の治療法は主にAATタンパク質の補充療法であり、高額かつ生涯にわたる定期的な投与が必要であり、疾患の進行を完全に阻止するものではありません。BEAM-302のような遺伝子編集治療は、疾患の根本原因を一度の投与で修正することで、患者の生活の質を劇的に向上させ、医療システムにかかる負担を軽減する可能性を秘めています。FDAの迅速承認経路は、満たされていない医療ニーズを持つ重篤な疾患に対する革新的な治療法を加速するために設計されており、BEAM-302がこの経路の対象となる可能性は、その臨床的意義の大きさを物語っています。

## 今後の展望

BEAM-302の良好な臨床データとFDA迅速承認経路の可能性は、Beam Therapeuticsにとって重要なマイルストーンです。同社は、今後BEAM-302の開発を加速させ、早期の承認取得を目指すでしょう。AATD治療における成功は、ベース編集技術の有効性と安全性を確固たるものとし、鎌状赤血球症や他の希少遺伝性疾患など、同社の他のパイプラインプログラムにも大きな期待を寄せます。Beam Therapeuticsの技術は、遺伝子疾患の治療方法を根本的に変革し、患者に真の治癒をもたらす未来を実現する可能性を秘めています。市場は、今後の臨床試験の進捗と規制当局との対話に引き続き注目するでしょう。

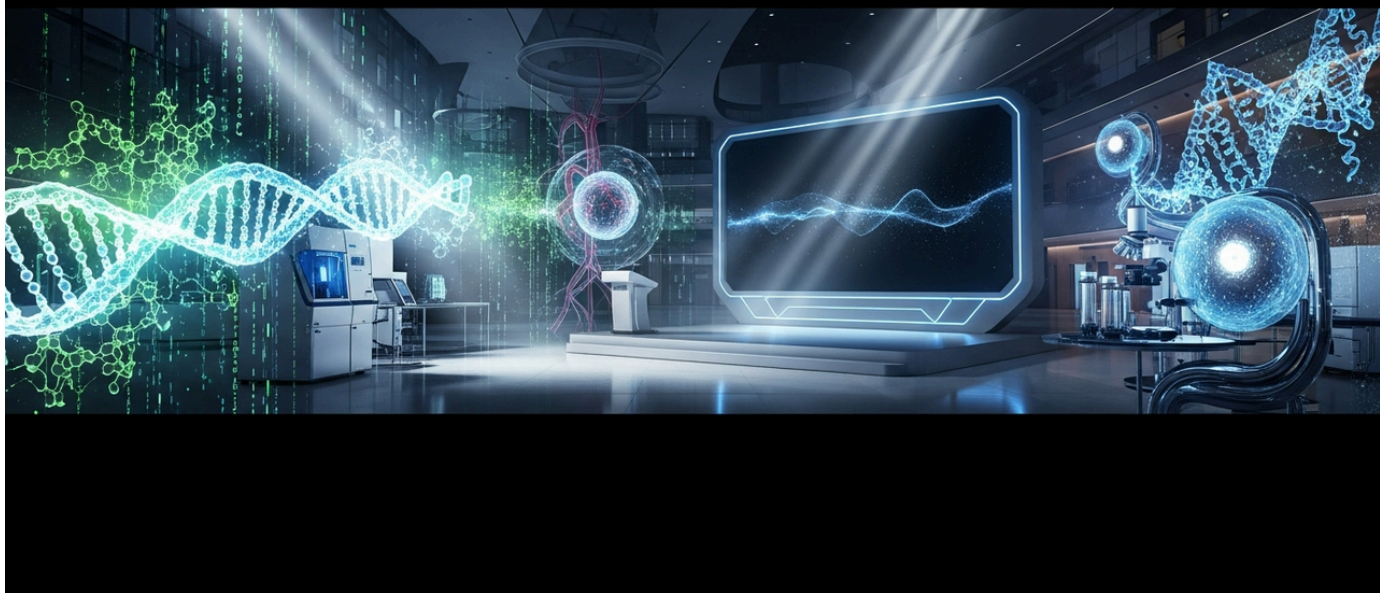
---

元記事: <https://simplywall.st/stocks/us/pharmaceuticals-biotech/nasdaq-beam/beam-therapeutics/news/beam-therapeutics-beam-is-up-52-after-positive-beam-302-data>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Intellia TherapeuticsのLonvo-z、遺伝性血管性浮腫治療で期待されるPhase 3データがEAACI 2026で発表へ

公開日 2026年06月07日 Simply Wall St アメリカ



## 概要

Intellia Therapeuticsは、遺伝性血管性浮腫（HAE）に対するCRISPRベースの治療法 lonvo-z（lonvoguran ziclumeran）のフェーズ3 HAELO試験からの追加データが、欧州アレルギー・臨床免疫学会議（EAACI）2026で発表されることを強調しました。この発表は、1回限りの遺伝子編集アプローチが希少遺伝性疾患の機能的治療オプションとなる可能性を評価する重要な機会となります。Lonvo-zは、HAEの原因となるカリクレインの過剰産生を標的とするCRISPR/Cas9編集を用いて、その産生を抑制する機能を持つRNA治療薬です。

## 詳細

### 主要成果

Intellia Therapeuticsは、遺伝性血管性浮腫（HAE）患者を対象としたCRISPRベースの治療法「lonvo-z（lonvoguran ziclumeran）」のフェーズ3 HAELO臨床試験における追加データが、2026年6月12日から15日に開催される欧州アレルギー・臨床免疫学会議（EAACI）で、レイトブレーキング口頭発表として公表されることを強調しました。この発表は、単回投与の遺伝子編集アプローチが希少遺伝性疾患に対する機能的治療オプションとなる可能性を評価する上で、極めて重要な機会と位置付けられています。市場のセンチメントは、lonvo-zの進捗に強く結びついており、このデータは投資家にとって重要な触媒となるでしょう。

### 技術・臨床詳細

lonvo-zは、体内で直接作用する（in vivo）CRISPR/Cas9遺伝子編集技術を用いた治療薬です。HAEの原因となるカリクレインの過剰産生を担う遺伝子を、肝細胞内で特異的に編集することで、カリクレインのレベルを永続的に低下させることを目指します。これにより、HAEの発作を予防し、患者の生活の質を向上させる機能的治癒が期待されます。EAACIで発表されるフェーズ3 HAELO試験の追加データには、lonvo-zの有効性、安全性、および耐久性に関する詳細な情報が含まれると予想されます。特に注目されるのは、HAE発作頻度の減少、クオリティオブライフの改善、そして単回投与後の長期的な効果の持続性に関するデータです。CRISPR/Cas9技術は、これまでの遺伝子治療が抱えていたオフターゲット効果やベクターによる免疫原性などの課題を克服し、高い精度と効率で遺伝子を編集する可能性を秘めています。

### 背景・業界文脈

遺伝性血管性浮腫（HAE）は、C1エステラーゼ阻害因子の欠損または機能不全によって引き起こされる稀な遺伝性疾患で、体内の様々な部位に繰り返しの浮腫発作を引き起こします。これらの発作は、時に生命を脅かすこともあります。既存のHAE治療法は、主に発作の予防や急性期の管理に焦点を当てていますが、多くの場合、生涯にわたる定期的な治療が必要です。lonvo-zのようなin vivo遺伝子編集技術は、HAEの根本原因を一度の治療で修正し、長期的な解決策を提供する可能性を秘めているため、HAE治療のパラダイムを根本的に変える可能性を持っています。CRISPR技術は、過去数年間で遺伝子治療分野の最もホットな分野の一つであり、臨床での成功は広範な影響を与えるでしょう。

## 今後の展望

EAACI 2026でのlonvo-zのフェーズ3データの発表は、Intellia Therapeuticsにとって重要な転換点となるでしょう。もしデータが肯定的な結果を示せば、HAE治療におけるlonvo-zの地位を確立し、規制当局への承認申請を加速させることとなります。HAEのような希少遺伝性疾患での成功は、in vivo CRISPR遺伝子編集技術が他の多くの遺伝性疾患に応用可能であることを示す強力なエビデンスとなります。Intellia Therapeuticsは、lonvo-zを市場に投入することで、HAE患者に革新的な治療選択肢を提供するだけでなく、CRISPR技術を用いた次世代遺伝子治療薬の商業化をリードする企業としての地位を確立することを目指します。市場と医療コミュニティは、この重要な発表の詳細に大きな期待を寄せています。

---

元記事: <https://simplywall.st/stocks/us/pharmaceuticals-biotech/nasdaq-ntla/intellia-therapeutics/news/lonvo-z-phase-3-allergy-congress-data-might-change-the-case>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# BioCardiaのCardiAMP自家細胞療法、FDA市販前承認と日本PMDA承認に向けた有望な進捗

公開日 2026年06月08日 MerlinTrader (BioCardia分析) アメリカ



## 概要

BioCardia社は、心血管疾患に対する自家骨髄細胞療法「CardiAMP Heart Failure II」の進行中のPhase 3試験が、FDAの市販前承認（PMA）申請を支持する可能性をFDAが確認したと発表しました。同時に、日本のPMDAも2026年第4四半期に予定されている申請に対し、承認を支持する十分な証拠があると示唆しており、国際的な規制当局からの有望な見解が得られています。この治療法は、治療が困難な心不全患者に新たな選択肢をもたらすことが期待されています。

## 詳細

### 主要成果

臨床段階の再生医療企業であるBioCardiaは、心血管疾患に対する自家骨髄細胞療法「CardiAMP Heart Failure II」の進行中のPhase 3試験の結果が、米国食品医薬品局（FDA）の市販前承認（PMA）申請を支持する可能性があることをFDAが確認したと発表しました。このFDAからの肯定的な見解は、CardiAMPの臨床開発における重要なマイルストーンとなります。さらに、日本の医薬品医療機器総合機構（PMDA）も、2026年第4四半期に予定されている同社製品の規制承認申請に対し、承認を支持するのに十分な臨床的エビデンスがあると示唆しており、CardiAMPのグローバルな商業化に向けた道筋が明確になりつつあります。

### 技術・臨床詳細

CardiAMP細胞療法は、患者自身の骨髄から採取した単核細胞（MNC）を濃縮し、心不全によって損傷した心臓組織に直接注入する自家細胞療法です。この治療法は、心筋梗塞後の心機能低下や慢性心不全患者の心臓修復メカニズムを促進することを目指しています。CardiAMP Heart Failure II試験は、中等度から重度の心不全患者を対象とした大規模なフェーズ3試験であり、主要評価項目として運動耐容能の改善や心イベントの減少などが設定されています。FDAからのPMA申請支持の確認は、これまでの臨床データが安全性と有効性の両面で有望な結果を示していることを裏付けるものです。PMDAからの見解も同様に、日本における早期承認への期待を高めます。自家細胞療法であるため、免疫拒絶反応のリスクは最小限に抑えられ、患者固有の生物学的因子を利用した個別化医療アプローチとして注目されています。

### 背景・業界文脈

心不全は、世界中で患者数が増加している主要な公衆衛生問題であり、既存の薬物療法やデバイス治療では、多くの患者の疾患進行を完全に阻止することはできません。特に、駆出率の低下した心不全（HFrEF）患者では、新たな治療選択肢が強く求められています。再生医療は、損傷した臓器や組織を修復・再生する可能性を秘めており、心不全に対する革新的なアプローチとして期待されています。BioCardiaのCardiAMPは、心不全に対する再生医療製品の中でも、後期臨床開発段階にある数少ない候補の一つです。FDAのPMA経路は、医療機器や生物製剤の承認プロセスであり、その厳格な審査基準を通過する可能性が示唆されたことは、CardiAMPの臨床的価値と市場性を大きく高めるものです。

## 今後の展望

FDAおよびPMDAからの肯定的な見解は、BioCardiaにとって今後の開発と商業化戦略を加速させる強力な推進力となるでしょう。同社は、CardiAMP Heart Failure II試験を成功裏に完了させ、FDAへのPMA申請を迅速に進める方針です。また、日本市場は再生医療に対する規制環境が比較的柔軟であり、PMDAの承認プロセスは欧米に先行して行われる可能性もあります。もしCardiAMPが承認されれば、心不全患者に新たな治療選択肢を提供し、生活の質の向上と生命予後の改善に貢献することが期待されます。この成功は、自家細胞療法が心血管疾患領域における再生医療の重要な柱となりうることを示す強力なエビデンスとなるでしょう。

---

元記事: <https://www.merlintrader.com/biocardia-bcda-june2026-deepdive/>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# パーキンソン病に対する幹細胞治療が臨床段階へ移行： BlueRockのPhase 3と日本のiPSCプログラムがリード

公開日 2026年06月11日 NeurologyLive アメリカ



## 概要

パーキンソン病に対する幹細胞治療、特にドーパミン細胞置換試験が著しい進展を見せています。BlueRock Therapeuticsの胚性幹細胞（ESC）由来製品は現在Phase 3臨床試験に進んでおり、日本のiPSC由来ドーパミン細胞プログラムも条件付き規制承認を経て米国での臨床試験に移行しました。これらの進歩は、運動機能障害を伴う患者に新たな治療選択肢を提供し、疾患の機能的治癒を達成する可能性を秘めています。

## 詳細

### 主要成果

パーキンソン病（PD）に対する幹細胞治療の分野が目覚ましい進展を遂げており、特にドーパミン細胞置換試験が主要な臨床段階に移行しています。BlueRock Therapeuticsが開発する胚性幹細胞（ESC）由来のドーパミン前駆細胞製品は、現在、大規模なPhase 3臨床試験に移行し、その有効性と安全性の最終的な検証が進められています。これと並行して、日本で開発されたiPSC由来ドーパミン細胞プログラムも、条件付き規制承認を受けた後、米国での臨床試験を開始しました。これらの動きは、パーキンソン病の進行性神経変性を食い止め、運動機能障害を改善する可能性のある革新的な治療法の実現に向けた大きな一歩となります。

### 技術・臨床詳細

ドーパミン細胞置換療法は、パーキンソン病の主要な病態である中脳ドーパミン作動性ニューロンの喪失に対処することを目的としています。BlueRock Therapeuticsの製品は、胚性幹細胞をドーパミン前駆細胞に分化誘導し、これを脳内に移植することで、失われたドーパミン産生細胞を補充します。日本のiPSC由来プログラムも同様に、患者またはHLA適合ドナー由来のiPSCからドーパミン作動性ニューロンを分化させ、移植に用いるアプローチです。Phase 3試験に進むBlueRockの製品は、これまでのPhase 1/2試験で安全性と予備的な有効性が確認され、特に運動症状の改善やL-DOPA誘発性ジスキネジアの軽減が報告されています。日本のプログラムは、条件付き承認という独自の規制経路を通じて迅速な臨床応用を可能にし、その後米国での試験に拡大することで、より広範な患者集団での有効性検証を目指しています。自家細胞アプローチも研究されており、免疫拒絶反応のリスクをさらに低減する可能性を模索しています。

### 背景・業界文脈

パーキンソン病は、中高年層に多く見られる進行性の神経変性疾患であり、運動症状（振戦、固縮、無動、姿勢反射障害）と非運動症状を特徴とします。既存の治療法は、主に症状緩和を目的としたものであり、L-DOPAなどの薬剤が有効ですが、病気の進行を止めることはできず、長期使用による副作用も問題となります。幹細胞治療は、失われた神経細胞を補充するという根本的なアプローチを提供するため、パーキンソン病の「治癒」をもたらす可能性として大きな期待が寄せられています。特にiPSCは、倫理的課題が少なく、患者特異的な細胞を生成できる可能性から、再生医療における重要なツールと見なされています。

## 今後の展望

BlueRock TherapeuticsのPhase 3試験の進捗と、日本のiPSCプログラムの国際的な臨床試験拡大は、パーキンソン病治療の未来を形作る上で極めて重要です。これらの試験で良好な結果が得られれば、数年以内に幹細胞治療がパーキンソン病患者にとって承認された治療選択肢となる可能性があります。成功は、他の神経変性疾患、例えばアルツハイマー病やハンチントン病などに対する幹細胞治療の開発にも大きな弾みを与えるでしょう。今後は、長期的な安全性、有効性、そして大規模生産へのスケーラビリティが焦点となります。これらの進展は、パーキンソン病患者の生活の質を劇的に向上させ、病気の進行を食い止めるという長年の目標の達成に貢献することが期待されます。

元記事: #

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# FDA、既存知識活用で細胞・遺伝子治療製品の規制申請を効率化するドラフトガイダンスを発表

公開日 2026年06月08日 Pharmuni アメリカ

## US FDA GENE THERAPY



### 概要

米国食品医薬品局（FDA）は、希少疾患を対象とした細胞・遺伝子治療製品の開発を加速するため、既存の科学的、製造的（CMC）、非臨床、臨床の知識を関連製品から活用することを許可するドラフトガイダンスを発表しました。このガイダンスは、重複する研究を減らし、規制申請プロセスを合理化することで、有望な治療法が満たされていない医療ニーズを持つ患者に迅速に届くよう支援することを目的としています。ゲノム編集を用いるヒト遺伝子治療製品の効率的な開発が期待されます。

## 詳細

### 主要成果

米国食品医薬品局（FDA）は、希少疾患を対象とした細胞・遺伝子治療製品の開発を加速し、規制プロセスを効率化するための新たなドラフトガイダンスを発表しました。このガイダンスの核心は、開発者が既存の公的に利用可能な情報、特に類似の製品やプラットフォームに関する科学的、製造的（CMC）、非臨床、臨床の知識を活用することを許可する点にあります。これにより、重複する試験や研究の必要性を減らし、有望な治療法が未だ満たされていない医療ニーズを持つ患者に、より迅速に提供されることが期待されます。特に、ゲノム編集を用いるヒト遺伝子治療製品の規制申請を効率化する上で、画期的な枠組みを提供します。

### 技術・臨床詳細

ドラフトガイダンスは、「以前の知識（prior knowledge）」の概念を導入し、開発が初期段階にある治療法が、既に承認された製品や広範な研究で得られたデータを参照できるようになります。例えば、特定のウイルスベクターや細胞株の製造に関する確立されたCMCデータ、あるいは特定の遺伝子編集技術の安全性に関する非臨床データなどが含まれます。これにより、個々の製品ごとにゼロから全ての情報を収集するのではなく、既存のプラットフォーム知識や類似製品の安全性・有効性データを有効活用することが可能になります。このアプローチは、ゲノム編集技術、iPSC（誘導多能性幹細胞）由来治療、その他高度な細胞・遺伝子治療の開発期間を大幅に短縮し、資源の最適化を図ることを目的としています。特に、対象患者数が少ない希少疾患の場合、データ収集の効率化は開発の実現可能性に直結します。

### 背景・業界文脈

細胞・遺伝子治療分野は、近年目覚ましい進歩を遂げていますが、その複雑な製造プロセス、高額な開発費用、そして厳格な規制要件が、治療薬の迅速な市場投入を阻む大きな障壁となっていました。従来の規制アプローチは、各製品を個別に評価することが多く、プラットフォーム技術や共通の基盤技術を持つ製品群にとって、非効率な側面がありました。このFDAの新たなドラフトガイダンスは、このような業界からのフィードバックに応える形で発表され、規制当局が革新的な治療法の開発を支援し、患者アクセスを改善しようとする姿勢の表れです。特に希少疾患の領域では、臨床試験の患者リクルートが困難であるため、非臨床データや既存情報をより柔軟に活用できることは、開発企業にとって大きなメリットとなります。

## 今後の展望

このドラフトガイダンスの最終化と実施は、細胞・遺伝子治療の開発エコシステムに広範な影響を与えるでしょう。開発企業は、規制申請戦略を再構築し、既存のデータやプラットフォームの知識を最大限に活用することで、開発期間の短縮とコスト削減を実現できるようになります。これにより、より多くの有望な細胞・遺伝子治療製品が、より迅速に臨床試験へと移行し、最終的には患者のもとに届けられることが期待されます。FDAは、このガイダンスを通じて、安全性と有効性の厳格な基準を維持しつつ、科学的根拠に基づいた効率的なイノベーションを促進するという、バランスの取れたアプローチを示しています。業界は、この新たな規制枠組みが、将来の治療薬開発にどのような具体的な影響を与えるかを注視していくこととなります。

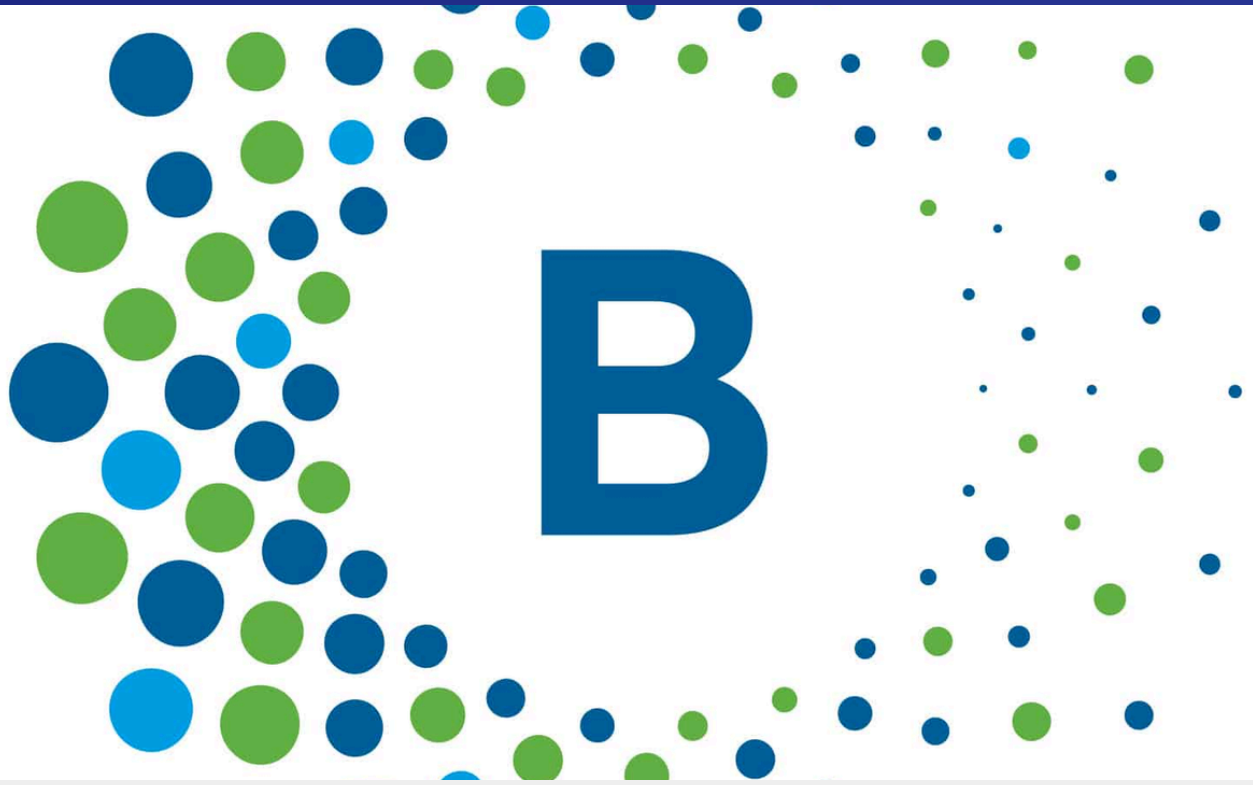
---

元記事: <https://www.pharmuni.com/news/us-fda-proposes-2026-gene-therapy-shortcut-can-prior-knowledge-speed-gene-therapy>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# FDA迅速承認経路ガイド：ファストトラック、ブレイクスルーセラピー、RMATの戦略的選択

公開日 2026年06月09日 Boyd Consultants アメリカ



## 概要

FDAは、革新的な医薬品開発を加速するための複数の迅速承認プログラムを提供しており、その中にはファストトラック、ブレイクスルーセラピー、再生医療先端治療（RMAT）があります。本記事は、これらの経路の具体的な区別、対象疾患、申請要件、および企業が自社の治療法に最適な経路を戦略的に選択する方法について概説しています。特にRMATは、細胞・遺伝子治療を含む再生医療製品に特化しており、満たされていない医療ニーズを持つ重篤な疾患に対して予備的な臨床的証拠を必要とし、ブレイクスルーセラピーと同様の迅速開発の利点を提供します。

## 詳細

### 主要成果

米国食品医薬品局（FDA）は、患者に革新的な治療法を迅速に提供するため、ファストトラック、ブレイクスルーセラピー、再生医療先端治療（RMAT）の3つの主要な迅速承認プログラムを確立しています。これらのプログラムは、それぞれ異なる目的、対象疾患、および申請要件を持っており、開発企業が自社の治療法にとって最も戦略的な経路を選択するための明確なガイドラインを提供することが重要です。特にRMAT指定は、細胞・遺伝子治療を含む再生医療製品に特化しており、満たされていない医療ニーズを持つ重篤な疾患に対する予備的な臨床的証拠に基づいて、ブレイクスルーセラピーと同様の迅速開発と審査の利点を提供します。

### 技術・臨床詳細

各FDA迅速承認経路には distinct な特徴があります。

- **ファストトラック指定（Fast Track Designation）**：重篤な疾患の治療を目的とし、アンメットメディカルニーズに対応する医薬品が対象です。非臨床データや初期臨床データに基づいて早期に指定を受け、開発中にFDAとの頻繁なコミュニケーション、段階的承認（rolling review）などのメリットがあります。
- **ブレイクスルーセラピー指定（Breakthrough Therapy Designation）**：重篤な疾患の治療を目的とし、既存の治療法と比較して臨床的に著しい改善を示す予備的な臨床的証拠（通常はフェーズ1/2データ）を持つ医薬品が対象です。ファストトラックの利点に加えて、より集中的なFDAガイダンスや専門家との対話を提供されます。
- **再生医療先端治療指定（RMAT Designation）**：細胞治療、遺伝子治療、組織工学製品、複合製品を含む再生医療製品に特化しています。重篤な疾患を治療し、既存の治療法と比較して臨床的に著しい改善を示す予備的な臨床的証拠がある場合に指定されます。ブレイクスルーセラピーと同様のメリットを提供し、特定の条件下では市販後確認を伴う加速承認の対象となることもあります。

これらの経路は、開発企業が承認までの時間を短縮し、重要な治療法を患者に迅速に届けるための強力なツールとなります。

## 背景・業界文脈

再生医療および高度な細胞・遺伝子治療は、従来の医薬品では治療困難であった疾患に対して根本的な解決策を提供する可能性を秘めています。しかし、これらの革新的な治療法は、その複雑な性質から開発期間が長く、高額なコストがかかる傾向にあります。FDAがこれらの迅速承認プログラムを設けた背景には、公衆衛生上の緊急性の高いニーズに応え、画期的な治療法が患者に届くまでのボトルネックを解消するという意図があります。特にRMAT指定は、再生医療分野の急速な発展に対応するために創設されたものであり、細胞・遺伝子治療の固有の特性を考慮した審査プロセスを提供します。企業は、これらの経路を早期に理解し、自社の製品開発戦略に組み込むことで、市場投入までの時間を短縮し、競争優位性を確立することができます。

## 今後の展望

FDAの迅速承認プログラムは、今後も再生医療および細胞・遺伝子治療の開発において重要な役割を果たすでしょう。企業は、臨床試験の設計段階からこれらの指定要件を念頭に置き、質の高い予備的臨床データを収集することが求められます。特にRMAT指定は、同種CAR T細胞療法やiPSC由来治療など、現在進行中の多くの先進治療法にとって主要な加速経路となることが予想されます。規制当局との早期かつ継続的な対話は、承認プロセスを円滑に進める上で不可欠です。これらのプログラムを最大限に活用することで、革新的な再生医療製品が、より効率的かつ迅速に、アンメットメディカルニーズを持つ患者に提供される未来が期待されます。

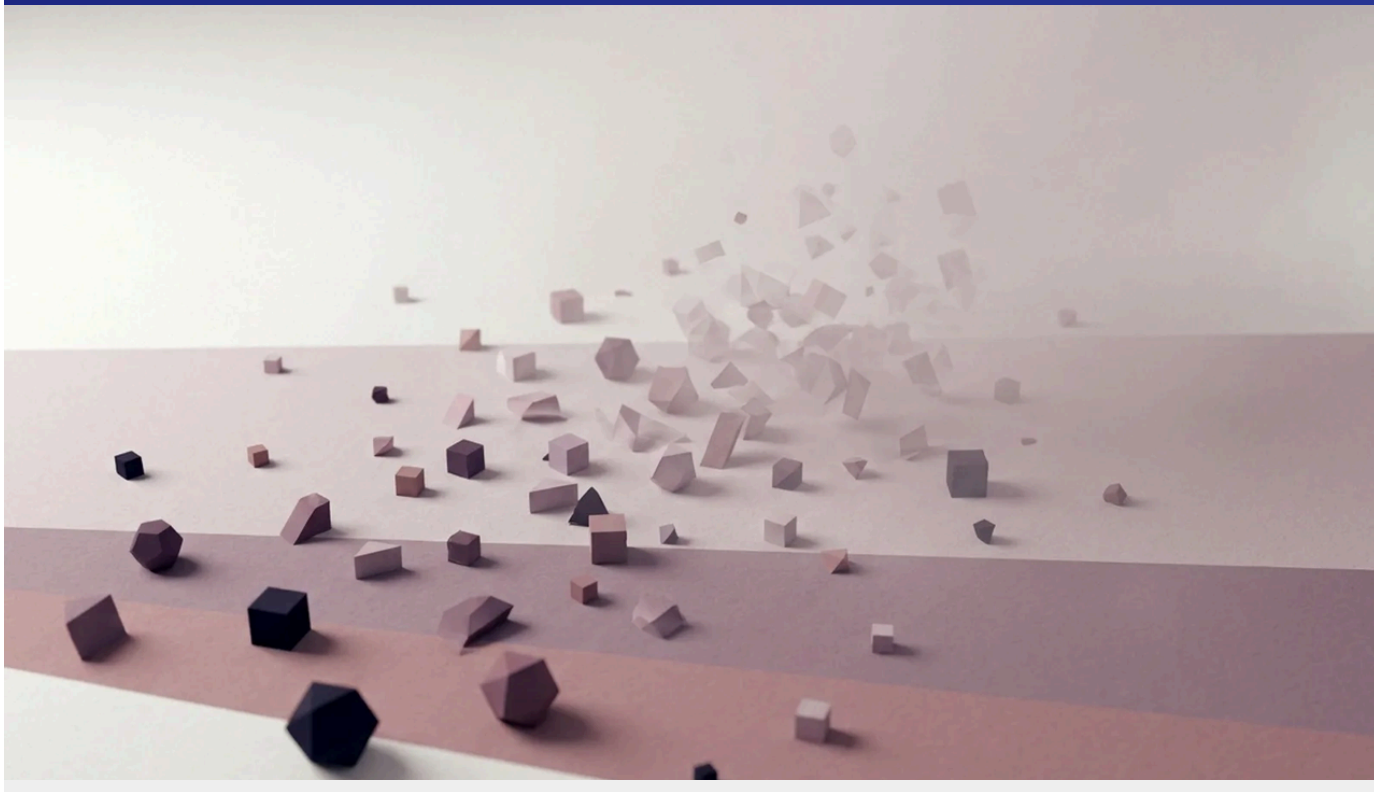
---

元記事: <https://boydconsultants.com/fast-track-breakthrough-therapy-and-rmat-choosing-the-right-fda-expedited-pathway/>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# 美容におけるエクソソーム治療、FDA未承認で安全性警告: エビデンスに基づいたアプローチの重要性

公開日 2026年06月04日 Aesthetic Med Guide アメリカ



## 概要

米国食品医薬品局（FDA）は、美容目的で承認されたエクソソーム製品が存在しないことを改めて強調し、未承認製品の使用に対する公衆安全勧告を発令しました。本記事は、エクソソームの科学的根拠、FDAの規制上の立場、およびエクソソーム治療を提供するクリニックを評価する上での注意点について詳述しています。エクソソームは細胞間コミュニケーションに関与する細胞外小胞であり、実験室研究では組織修復や炎症調節の役割が示唆されていますが、臨床応用にはさらなるエビデンスと規制の明確化が不可欠です。

## 詳細

### 主要成果

2026年6月現在、米国食品医薬品局（FDA）は美容目的で承認されたエクソソーム製品は存在しないと公式に発表しており、未承認エクソソーム製品の使用に対する公衆安全勧告を積極的に発令しています。この警告は、エクソソームが細胞間コミュニケーションに関与する細胞外小胞であり、実験室研究では組織修復や炎症調節の役割が示唆されているものの、その安全性と有効性に関する十分な臨床的エビデンスが欠如している現状を浮き彫りにしています。FDAは、消費者が未承認エクソソーム治療を提供するクリニックを評価する際には、十分な注意と科学的根拠に基づいた情報に基づく意思決定の重要性を強調しています。

### 技術・臨床詳細

エクソソームは、細胞が放出するナノサイズの膜小胞であり、タンパク質、脂質、核酸（mRNA、miRNA）などの生物活性分子を含んでいます。これらは、細胞間で物質を輸送し、受容細胞の機能に影響を与えることで、組織再生、免疫応答の調節、炎症の制御など、多様な生理学的プロセスに関与していると考えられています。美容分野では、特に皮膚再生、抗老化、薄毛治療などへの応用が期待されています。しかし、これらの応用に関する臨床試験はまだ初期段階にあり、安全性、最適な投与量、投与経路、長期的な有効性に関する厳密なデータが不足しています。FDAの警告は、これらのエクソソーム製品が、有効成分の含有量、純度、滅菌状態、および潜在的な免疫反応や有害事象に関して、厳格な品質管理基準を満たしていない可能性を指摘しており、未承認製品の使用が予期せぬ健康リスクをもたらす危険性を強調しています。

### 背景・業界文脈

再生医療分野では、幹細胞やエクソソームなどの細胞ベース治療が大きな注目を集めていますが、その規制は複雑かつ厳格です。特に美容医療の分野では、科学的エビデンスが確立されていないにもかかわらず、誇大広告や誤解を招くマーケティングが行われる傾向があります。FDAは、このような状況に対し、公衆衛生保護の観点から積極的に介入し、消費者と医療従事者に対して明確な指針を提供することを目指しています。エクソソームは、その治療ポテンシャルから研究が活発に進められている一方で、その商業化には、厳密な臨床試験データと、それに伴う規制当局の承認が不可欠です。未承認のエクソソーム製品が「幹細胞治療」として誤って宣伝されるケースもあり、消費者の混乱を招く可能性があります。

## 今後の展望

FDAによる美容目的エクソソーム治療への継続的な警告は、業界全体にエビデンスに基づいた開発と、厳格な規制遵守の重要性を再認識させるものです。今後、エクソソーム治療が美容分野で安全かつ有効な治療選択肢となるためには、まず基礎研究と前臨床研究でそのメカニズムと効果を解明し、その後、ヒトを対象とした適切にデザインされたランダム化比較臨床試験を通じて、安全性と有効性を確立する必要があります。規制当局は、この新しいモダリティに対する承認プロセスを確立する上で、継続的な科学的対話と協力が必要となります。美容医療業界は、消費者を保護し、治療の信頼性を高めるために、透明性と科学的根拠に基づくアプローチを強化することが求められます。

---

元記事: <https://aestheticmedguide.com/blog/exosome-treatment-fda-regulatory-status-what-patients-need-to-know>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# FUJIFILM Cellular Dynamicsが新iPSC製造施設を開設し、ライフサイエンスリーダーシップを再編して細胞治療とiPSC事業拡大を加速

公開日 2026年06月08日 FUJIFILM Cellular Dynamics / Indian Pharma Post 日本



## 概要

FUJIFILM Cellular Dynamicsは、米国マディソンに新たな本社およびiPSC開発・製造施設を開設し、iPSCベースの研究製品およびサービス製造能力を4倍に拡大すると発表しました。これと同時に、FUJIFILM Holdings America Corporationはライフサイエンス事業の主要リーダーシップを再編し、細胞治療製造とiPSCベースのイノベーションへの注力を強化する戦略を発表しました。これらの動きは、再生医療、細胞治療製造、次世代創薬プラットフォームにおけるイノベーションとグローバル展開を加速する富士フイルムのコミットメントを明確に示すものです。

## 詳細

### 主要成果

FUJIFILM Cellular Dynamics (FCDI) は、米国ウィスコンシン州マディソンに新たな本社と最先端のiPSC開発・製造施設を開設しました。この新施設により、FCDIのiPSCベースの研究製品およびサービス製造能力は4倍に拡大し、医薬品開発におけるiPSC由来iCell製品ラインの活用をさらに推進します。これと並行して、FUJIFILM Holdings America Corporationは、ライフサイエンス事業における主要リーダーシップの責任範囲を再編し、細胞治療製造とiPSCベースのイノベーションへの注力を強化する戦略を発表しました。これらの戦略的投資と組織改編は、再生医療、細胞治療製造、次世代創薬プラットフォームにおけるイノベーションとグローバル展開を加速する富士フィルムの強いコミットメントを明確に示しています。

### 技術・臨床詳細

マディソンに開設された新施設は、細胞培養製造ラボ、プロセス開発ラボ、遺伝子編集センターオブエクセレンスなど、iPSC開発と製造に必要な包括的な機能を統合しています。これにより、研究段階から臨床開発、最終的な商業製造に至るまで、iPSC由来細胞製品の効率的かつ高品質な生産が実現されます。製造能力の4倍拡大は、研究用iPSC製品の供給を安定化させるだけでなく、iPSC由来細胞治療候補のCDMO（医薬品受託製造開発機関）サービス能力を大幅に向上させます。リーダーシップの再編では、富士フィルム・バイオテクノロジーズ・カリフォルニアのCEOであるTomoyuki Hasegawa氏がFCDIの会長兼CEOを兼任することになり、これにより、ライフサイエンス関連事業全体での連携強化と、細胞治療およびiPSC技術の戦略的推進が図られます。特に遺伝子編集技術への注力は、免疫回避型iPSCや疾患特異的iPSCモデルの開発を加速させ、より高度な細胞治療薬の開発基盤を強化するものです。

## 背景・業界文脈

iPSCは、自己組織化能力や多様な細胞への分化能力を持つことから、再生医療、創薬スクリーニング、疾患モデリングなど、多岐にわたる分野でその応用が期待されています。しかし、iPSC由来製品の商業化には、大規模かつ安定的な細胞製造、厳格な品質管理、そして効率的なプロセス開発が不可欠です。FCDIの新施設と能力拡大は、これらの課題に対応し、iPSC技術の実用化を加速するための重要なインフラ投資です。富士フィルムは、写真フィルム事業で培った精密化学、品質管理、製造技術をライフサイエンス分野に応用することで、細胞治療薬の安定供給とコスト削減に貢献することを目指しています。今回のリーダーシップ再編は、同社のライフサイエンス事業全体をより戦略的に統合し、成長著しい細胞・遺伝子治療市場での競争力を強化する狙いがあります。

## 今後の展望

FCDIの新製造施設の稼働とリーダーシップ再編は、富士フィルムがiPSCベースの技術をライフサイエンス事業の主要な柱として確立しようとする長期戦略の具体的な表れです。今後、同社はiPSC由来の研究製品の提供を強化し、パートナー企業へのCDMOサービスを拡大することで、次世代細胞治療の開発と商業化を支援していくでしょう。遺伝子編集技術との統合は、免疫回避型iPSC細胞株や、より疾患特異的な創薬モデルの開発を促進し、iPSC技術の幅広い応用を可能にします。この戦略的な動きは、再生医療市場の成長を牽引し、最終的にはより多くの患者に革新的な治療法を届けることに貢献することが期待されます。

---

元記事: <https://www.fujifilmcdi.com/news-item/fujifilm-cellular-dynamics-launches-new-ipsc-manufacturing-facility-in-madison>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Made ScientificとPluristyxが戦略的提携を締結、iPSC技術を統合し細胞治療製造CDMOサービスを拡大

公開日 2026年06月05日 BioPharm International アメリカ



## 概要

Made Scientificは、iPSC技術プラットフォームプロバイダーのPluristyxと戦略的提携を結び、iPSC技術をその細胞治療CDMOサービスに統合することを発表しました。この提携により、研究、臨床開発、商業製造向けにGMP対応のiPSCラインと由来細胞型へのアクセスが、世界の細胞・遺伝子治療開発企業に提供されます。両社は、iPSC技術の専門知識と最先端の製造能力を組み合わせることで、細胞治療候補の開発における手戻りを削減し、効率を向上させることを目指します。

## 詳細

### 主要成果

臨床および商業段階の細胞治療CDMO（医薬品受託製造開発機関）である Made Scientificは、iPSC技術プラットフォームプロバイダーのPluristyxと戦略的提携を締結したことを発表しました。この画期的な提携は、Pluristyxの先進的なiPSC技術プラットフォームをMade Scientificの包括的なCDMOサービスに統合することを目的としています。これにより、世界中の細胞・遺伝子治療開発企業は、研究、臨床開発、および商業製造の各段階で、GMP（医薬品製造管理および品質管理基準）に準拠したiPSCラインと、iPSC由来の細胞型（iNK細胞、iMSCなど）に容易にアクセスできるようになります。この統合により、iPSC由来細胞治療候補の開発における手戻りを削減し、全体的な効率を大幅に向上させることが期待されます。

### 技術・臨床詳細

Pluristyxは、高品質で均質なiPSC株の作製、培養、特性評価に関する専門知識を提供し、特にユニバーサルドナー細胞株や遺伝子編集されたiPSC株の開発に強みを持っています。一方、Made Scientificは、多様な細胞治療モダリティに対応する最先端の製造施設と、GMP準拠の製造および品質管理システムを運用しています。この提携により、PluristyxのiPSCマスター細胞バンクから、Made Scientificの製造プロセスへとシームレスに移行できる統合ワークフローが構築されます。開発企業は、iPSCの樹立から、目的の細胞型への分化誘導、最終製品の製造、そして規制当局への申請支援まで、一貫したサービスを受けることができます。これにより、iPSC由来治療製品の初期研究から臨床段階、そして商業化への移行を加速し、サプライチェーン全体のリスクを軽減することが可能になります。

## 背景・業界文脈

iPSCは、自己再生能力と任意の細胞型への分化能力を持つことから、再生医療、創薬、疾患モデリングなど幅広い分野で革命的な可能性を秘めています。しかし、iPSC由来の細胞治療製品を大規模に製造し、厳格なGMP基準を満たすことは、高度な技術と設備を要する複雑なプロセスです。多くのバイオテクノロジー企業、特に中小規模の企業は、iPSCの専門知識や製造インフラを自社で完全に構築することが困難です。このような背景から、Made ScientificとPluristyxのような専門企業間の戦略的パートナーシップは、技術的ギャップを埋め、開発リスクを分散し、細胞治療薬の市場投入を加速させる上で極めて重要です。この提携は、成長著しい細胞・遺伝子治療CDMO市場のトレンドを反映しており、業界全体のエコシステム強化に貢献します。

## 今後の展望

Made ScientificとPluristyxの戦略的提携は、iPSC由来細胞治療製品の開発と製造を大幅に加速させる可能性を秘めています。この統合されたサービスは、世界中の開発企業にとって、高品質かつGMP準拠のiPSC由来細胞製品をより効率的に、かつ費用対効果の高い方法で入手する機会を提供します。これにより、多種多様な疾患に対する革新的な細胞治療候補が、より迅速に臨床試験へと進み、最終的には患者の手に届くことが期待されます。両社は、今後もiPSC技術のさらなる革新と、製造プロセスの最適化を進め、細胞・遺伝子治療分野のリーディングカンパニーとしての地位を確立していくでしょう。この提携は、オフザシェルフの細胞治療製品の実現に向けた重要な一歩となります。

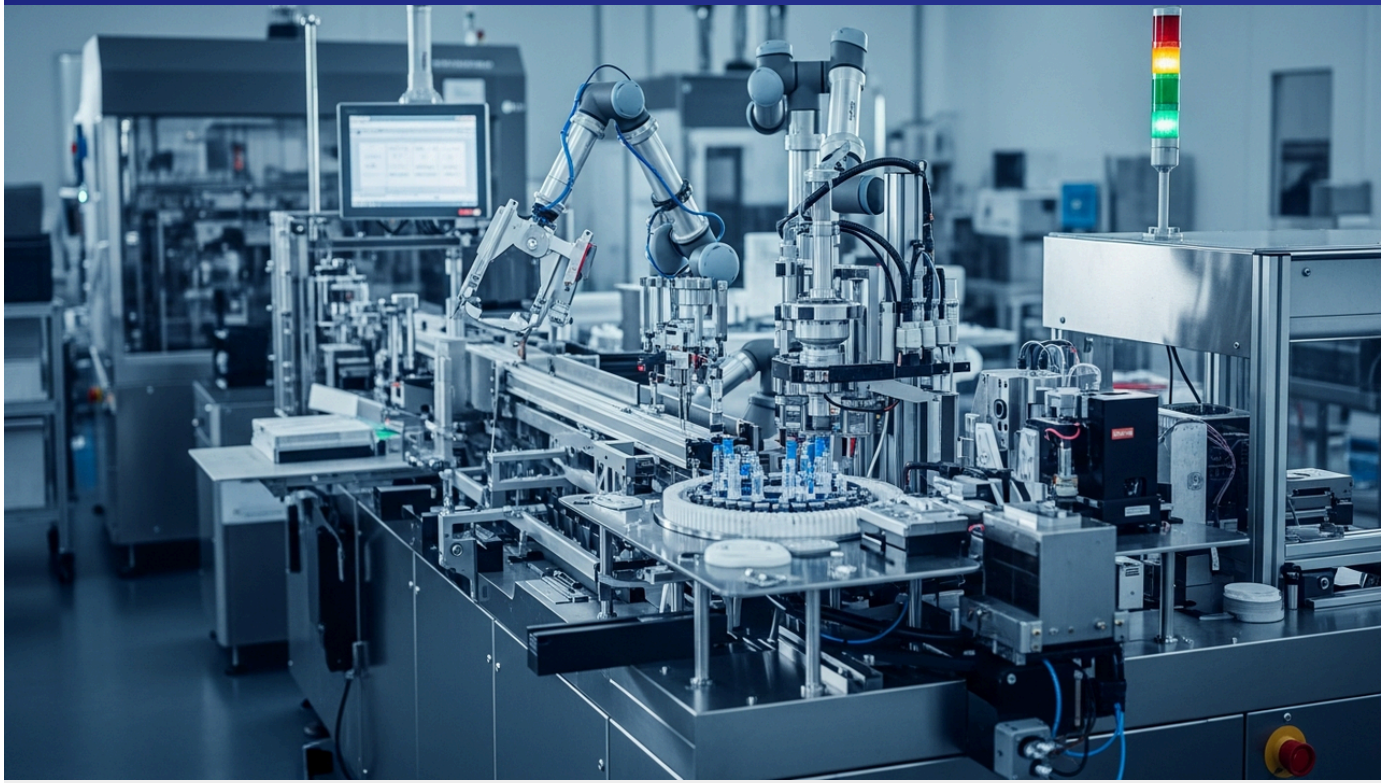
---

元記事: <https://www.biopharminternational.com/view/made-scientific-pluristyx-partner-ipsc-cell-therapy-manufacturing>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# Alcami、Tjoapack買収でCDMO包装能力を拡大し、細胞・遺伝子治療サプライチェーンを強化

公開日 2026年06月09日 North Carolina Biotechnology Center アメリカ



## 概要

CDMOであるAlcami Corporationは、グローバルな契約包装組織であるTjoapackを買収し、包装能力を大幅に拡大しました。この戦略的な買収は、Alcamiのサプライチェーンソリューションを強化し、生物製剤、細胞、遺伝子治療などの高度な治療法への業界の移行を支援することを目的としています。今回の統合により、高度に調整された開発および製造サービスへのアクセスが増加し、特に特殊な温度管理や複雑な流通要件を持つ細胞・遺伝子治療製品のサポート体制が強化されます。

## 詳細

### 主要成果

CDMO（医薬品受託製造開発機関）であるAlcami Corporationは、グローバルな契約包装組織であるTjoapackの買収を発表し、その包装能力を大幅に拡大しました。この戦略的な動きは、Alcamiのサプライチェーンソリューションを強化し、生物製剤、細胞、遺伝子治療などの高度な治療法への業界の移行を支援することを明確に意図しています。Tjoapackの専門知識と既存の能力を統合することにより、Alcamiは、特に特殊な温度管理や複雑な流通要件を伴う細胞・遺伝子治療製品に対して、高度に調整された開発および製造サービスの提供を強化します。

### 技術・臨床詳細

Tjoapackは、高度な二次包装、シリアル化、およびアグリゲーションサービスに特化しており、医薬品サプライチェーンの複雑な要求に対応する実績があります。この買収により、Alcamiは、初期開発段階から臨床試験、商業生産、そして最終的な包装と流通に至るまで、顧客のニーズに応じたエンドツーエンドのサービスをより包括的に提供できるようになります。細胞・遺伝子治療製品は、その繊細な性質から、凍結保存、超低温輸送、厳格なコールドチェーン管理が不可欠です。Tjoapackの買収は、これらの特殊な要件を満たすための専門知識とインフラをAlcamiにもたらし、製品の完全性と品質を確保します。さらに、Alcamiはダーラムに新たな分析および開発施設を開設し、幅広い治療モダリティに対応するための分析能力と開発能力も強化しており、これはCDMOとしての一貫した成長戦略の一環です。背景・業界文脈

バイオ医薬品業界は、伝統的な低分子医薬品から、より複雑な生物製剤、そして革新的な細胞・遺伝子治療へとシフトしています。これらの高度な治療法は、製造プロセスだけでなく、包装、保管、流通においても独自の課題を抱えています。特に細胞・遺伝子治療は、非常に高価であり、患者ごとに個別化されるか、供給量が限られるため、サプライチェーンのあらゆる段階での品質管理と効率性が極めて重要です。CDMOは、これらの複雑な課題に対する専門的なソリューションを提供することで、製薬企業の開発リスクを軽減し、市場投入までの時間を短縮する重要な役割を担っています。Alcamiのような主要CDMOが包装能力を強化することは、先進治療薬の商業化に向けた業界全体のインフラが成熟しつつあることを示しています。

## 今後の展望

AlcamiによるTjoapackの買収は、同社が細胞・遺伝子治療分野でのリーダーシップを確立し、市場における競争力を高める上で重要な一歩となります。統合された包装能力と強化されたサプライチェーンソリューションは、顧客が新たな治療法をより迅速かつ確実に患者に届けられるよう支援するでしょう。これは、細胞・遺伝子治療の商業化におけるボトルネックを解消し、特に製品の安定性と流通の信頼性を向上させる上で大きな影響を与えます。Alcamiは、この買収を通じて、より複雑でニッチな治療分野に特化したサービスを提供することで、CDMO市場におけるその地位をさらに固め、将来の成長機会を捉えていくことが期待されます。

---

元記事: <https://www.ncbiotech.org/news/alcami-expands-cdmo-capabilities-acquisition-packaging-company>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# ENCell、Ingenium TherapeuticsとのNK細胞療法 Gengleucelの米国臨床製造契約を獲得し、グローバル CDMO事業を拡大

公開日 2026年06月04日 Bio 韓国



## 概要

細胞・遺伝子治療に特化した韓国のCDMOであるENCellは、Ingenium Therapeuticsとの間で、NK細胞療法候補「Gengleucel」の米国での臨床試験材料製造に関する追加のCMO（製造受託）契約を締結しました。この契約は、ENCellが既にIngeniumの日本での臨床試験向けに製品を供給していることに続くもので、同社のグローバルCDMO事業の戦略的拡大を示しています。Gengleucelは、癌治療における有望なNK細胞療法として注目されており、ENCellの専門的な製造能力がその開発を支援します。

## 詳細

### 主要成果

細胞・遺伝子治療に特化した韓国のCDMO（医薬品受託製造開発機関）であるENCellは、Ingenium Therapeuticsとの間で、NK細胞療法候補「Gengleucel」の米国での臨床試験材料製造に関する追加のCMO（製造受託）契約を締結しました。この契約は、ENCellが既にIngeniumの日本での臨床試験向けにGengleucelの製品供給を行っている既存のパートナーシップを拡大するものです。今回の合意は、ENCellのグローバルCDMO事業を戦略的に拡大し、先進的な細胞治療薬の国際的な開発を支援する同社の能力を強調しています。

### 技術・臨床詳細

Gengleucelは、Ingenium Therapeuticsが開発を進めているNK細胞療法候補であり、自然免疫系の主要なエフェクター細胞であるナチュラルキラー（NK）細胞の強力な抗腫瘍活性を利用して癌細胞を標的とします。NK細胞療法は、従来のT細胞療法と比較して、ドナーから採取した細胞の免疫拒絶反応のリスクが低いという利点があり、「オフザセルフ」製品としての開発可能性も期待されています。ENCellは、細胞・遺伝子治療製品の製造において、高度な無菌操作、複雑な細胞培養技術、および厳格な品質管理システムを保有しています。今回の契約に基づき、ENCellは米国FDAの規制要件に準拠したGengleucelの臨床試験材料を製造・供給することで、Ingenium Therapeuticsの米国での臨床開発を強力にサポートします。これにより、Gengleucelの安全性と有効性が米国患者集団で評価される道が開かれます。

### 背景・業界文脈

NK細胞療法は、癌治療における次世代免疫細胞療法として大きな注目を集めています。その理由として、主要組織適合遺伝子複合体（MHC）非依存的な腫瘍細胞認識メカニズムを持つこと、移植片対宿主病（GvHD）のリスクが低いこと、そして迅速な製造と投与が可能である「オフザセルフ」製品としての潜在能力が挙げられます。細胞・遺伝子治療分野の急成長に伴い、専門的な製造能力と規制対応能力を持つCDMOの需要が世界的に高まっています。ENCellのようなCDMOは、開発企業が研究開発に集中できるよう、高価で複雑な製造プロセスを代行することで、治療薬の市場投入を加速させる上で不可欠な存在です。今回の米国契約獲得は、アジアを拠点とするCDMOがグローバル市場での競争力を高めているトレンドの一例であり、細胞治療のサプライチェーンが国際的に拡大していることを示唆しています。

## 今後の展望

ENCellがIngenium Therapeuticsとの米国臨床製造契約を獲得したことは、同社のグローバル展開戦略における重要なマイルストーンであり、細胞・遺伝子治療CDMO市場における地位をさらに強固にするものです。Gengleucelの米国での臨床開発が順調に進めば、NK細胞療法が癌治療の主流となる可能性を高め、患者に新たな希望をもたらすでしょう。ENCellは、今後も最先端の製造技術と厳格な品質管理システムを維持・発展させ、国際的な規制要件に対応することで、世界中の細胞・遺伝子治療開発企業からのニーズに応えていくことが期待されます。この提携は、革新的な癌治療薬の迅速な開発と患者への供給において、CDMOが果たすべき重要な役割を強調するものです。

元記事: #

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# #18 Cartesian TherapeuticsとWestGene Biopharmaが戦略的ライセンス契約を締結、自己免疫疾患向けIn Vivo CAR Tプラットフォーム開発を加速

公開日 2026年06月09日 BioSpace (Cartesian Therapeutics) アメリカ



#18  
Carte

## 概要

Cartesian Therapeuticsは、WestGene Biopharmaとの戦略的ライセンス契約を発表し、自己免疫疾患における新規in vivoキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法の開発を加速します。この提携は、両社の臨床試験済み技術を統合し、細胞治療のin vivoデリバリーの可能性を高めることを目指しています。特に、重症筋無力症患者を対象とした臨床試験は2026年後半に開始され、2027年前半にはin-humanデータが期待されており、自己免疫疾患治療に新たな道を拓く可能性を秘めています。

## 詳細

### 主要成果

Cartesian Therapeuticsは、WestGene Biopharmaとの間で戦略的ライセンス契約を締結したことを発表しました。この提携は、自己免疫疾患を対象とした新規in vivoキメラ抗原受容体T細胞（CAR-T）療法の開発を加速することを目的としています。両社の臨床試験済み技術を統合することで、細胞治療のin vivoデリバリーの可能性をさらに高めることを目指します。特に、重症筋無力症（Myasthenia Gravis）患者を対象とした臨床試験は2026年後半に開始され、2027年前半にはヒトでの初期データが期待されています。この革新的なアプローチは、自己免疫疾患の治療において、CAR-T細胞療法の適用範囲を拡大する画期的な一歩となります。

### 技術・臨床詳細

Cartesian Therapeuticsは、CAR T細胞を患者の体内で直接生成・誘導するin vivo CAR Tプラットフォームを開発しており、これによりex vivo製造に伴う時間、コスト、物流の課題を克服することを目指しています。WestGene Biopharmaは、特にアジア市場での細胞・遺伝子治療製品の開発と商業化において豊富な経験を持つ企業です。このライセンス契約により、Cartesianのin vivo CAR T技術とWestGeneの専門知識が組み合わせられ、自己免疫疾患に特化したパイプラインの構築が図られます。in vivo CAR T療法は、特定の遺伝子送達システム（例えば、アデノ随伴ウイルスベクターなど）を用いてCAR遺伝子を患者のT細胞に直接導入し、体内でのCAR T細胞の産生を誘導します。これにより、従来の自己CAR T療法のような体外での細胞操作が不要となり、より簡便かつ迅速な治療提供が可能になります。初期の臨床計画では、重症筋無力症のような自己抗体介在性の自己免疫疾患がターゲットとされています。

## 背景・業界文脈

自己免疫疾患は、免疫系が誤って自身の組織を攻撃することで発症する多様な疾患群であり、既存の治療法では症状管理はできても、多くの場合、根本的な治癒には至りません。CAR T細胞療法は、血液がんにおいて目覚ましい成功を収めましたが、その複雑な製造プロセスと高額なコスト、そして固形がんや自己免疫疾患への応用における課題が指摘されていました。in vivo CAR T療法の開発は、これらの課題を克服し、CAR T細胞療法の適用範囲とアクセス性を拡大するための重要な戦略として注目されています。この技術は、製造コストを大幅に削減し、治療プロセスを簡素化することで、より多くの患者にCAR T細胞療法の恩恵をもたらす可能性を秘めています。この提携は、国際的な協業を通じて革新的な治療法を開発し、グローバル市場での競争力を高めるといった業界のトレンドを反映しています。

## 今後の展望

Cartesian TherapeuticsとWestGene Biopharmaの戦略的提携は、自己免疫疾患に対するin vivo CAR T療法の開発を加速する上で重要なマイルストーンです。重症筋無力症を対象とした臨床試験が2026年後半に開始され、2027年前半にはヒトでの初期データが公表される予定であり、業界はこれらの結果に大きな期待を寄せています。もし成功すれば、このプラットフォームは他の自己免疫疾患にも応用され、CAR T細胞療法が広範な患者集団に利用可能となる未来を切り開く可能性があります。この技術は、治療効果の向上と患者アクセスの拡大を両立させ、自己免疫疾患治療のパラダイムを根本的に変革する可能性を秘めています。両社は、この革新的なアプローチを通じて、未だ満たされていない医療ニーズに応えることを目指します。

---

元記事: <https://www.biospace.com/press-releases/cartesian-therapeutics-announces-strategic-licensing-agreement-with-westgene-biopharma-to-accelerate-the-development-of-in-vivo-car-t-platform-in-autoimmune-diseases>

# #19 AmMax BioがLonzaとライセンス契約締結：ADCプログラムAMB-104向けコンジュゲーション・リンカーペイロード技術を導入

公開日 2026年06月10日 The Pharma Letter アメリカ



## 概要

AmMax Bioは、主要なCDMOであるLonzaとの間で非独占的ライセンス契約を締結したことを発表しました。この契約は、同社の抗体薬物複合体（ADC）プログラムAMB-104の開発を支援するため、Lonzaのコンジュゲーションおよびリンカーペイロード技術を利用するものです。今回の提携により、AmMax Bioは最先端のADC技術にアクセスできるようになり、血液がんを対象としたAMB-104のパイプラインを進展させる上で重要なマイルストーンとなります。契約の財務条件は非公開です。

## 詳細

### 主要成果

AmMax Bioは、世界的な医薬品受託製造開発機関（CDMO）であるLonzaとの間で、非独占的ライセンス契約を締結したことを発表しました。この契約は、血液がんを対象としたAmMax Bioの主要な抗体薬物複合体（ADC）プログラムである「AMB-104」の開発を支援するため、Lonzaの確立されたコンジュゲーションおよびリンカーペイロード技術を活用することを可能にします。この提携は、AmMax Bioが最先端のADC技術をそのパイプラインに統合し、AMB-104の臨床開発を加速させる上で重要な戦略的ステップとなります。契約の財務条件は公開されていませんが、AmMax BioのADC開発における専門知識と技術力を強化するものです。

### 技術・臨床詳細

抗体薬物複合体（ADC）は、特定の標的抗原を発現するがん細胞に、強力な細胞傷害性薬物を選択的に送達する革新的な治療モダリティです。ADCは、がん細胞を効率的に殺傷しつつ、全身への毒性を最小限に抑えることを目的としています。AMB-104プログラムは、血液がんの特定のバイオマーカーを標的とする抗体に、強力なペイロードをリンカーを介して結合させることで、治療効果の最大化を目指しています。Lonzaのコンジュゲーションおよびリンカーペイロード技術は、ADCの安定性、均一性、および有効性を決定する上で極めて重要です。この技術は、ペイロードの安定した結合と、がん細胞内での標的特異的な薬物放出を可能にし、ADCの治療指数を向上させる役割を果たします。Lonzaは、長年にわたりADC製造および開発の分野で培ってきた経験とノウハウを持ち、その技術は業界標準とされています。

## 背景・業界文脈

血液がんは、治療が困難な種類が多く、既存の治療法に抵抗性を示す患者に対して、より効果的で安全な治療選択肢が求められています。ADCは、その標的特異性から、血液がんを含む多様ながん種に対する有望なアプローチとして、近年注目度が高まっています。しかし、ADCの開発と製造は非常に複雑であり、抗体の生産、リンカーとペイロードの選択、そしてこれらを効率的かつ安定的に結合させるコンジュゲーション技術が成功の鍵を握ります。Lonzaのような大手CDMOが提供する先進的な技術とサービスは、小規模なバイオテクノロジー企業が自社で大規模なインフラを構築することなく、迅速かつ効率的にADC候補を開発・製造することを可能にします。この種の提携は、革新的な医薬品を市場に投入するまでの時間を短縮し、開発リスクを軽減するために不可欠です。

## 今後の展望

AmMax BioとLonzaのライセンス契約は、AMB-104プログラムの開発を加速し、血液がん治療における新たな選択肢を提供する上で重要な一歩です。Lonzaの技術を導入することで、AmMax BioはAMB-104の製造プロセスを最適化し、より迅速に臨床開発を進めることが可能になります。もしAMB-104が臨床試験で有望な結果を示せば、既存治療に抵抗性を示す血液がん患者にとって、大きな恩恵をもたらすでしょう。この提携は、専門的なCDMO技術が革新的なバイオ医薬品の開発にどのように貢献できるかを示す一例であり、今後も同様の戦略的パートナーシップが業界全体で増加していくことが予想されます。

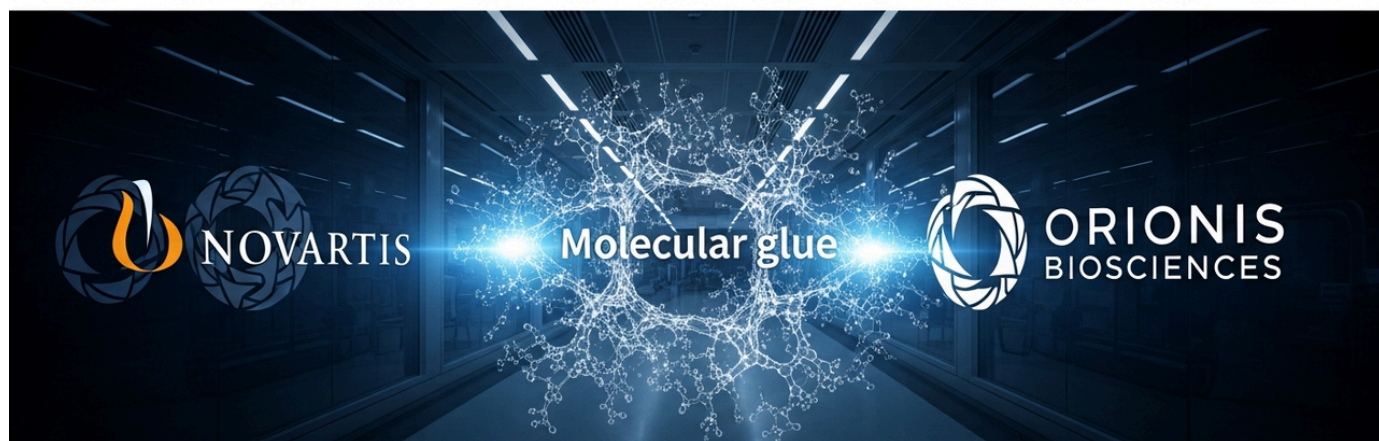
---

元記事: <https://www.thepharmaletter.com/ones-to-watch/ammax-bio>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# #20 NovartisとOrionis Biosciencesが分子接着剤発見で戦略的提携、最大14億ドル規模の契約

公開日 2026年06月10日 BioBucks Biotech BD&L Tracker アメリカ



## 概要

Novartisは、Orionis Biosciencesとの間で戦略的提携を締結し、OrionisのAI駆動型「Allo-Glue™」プラットフォームを複数の困難な治療ターゲットに適用すると発表しました。この契約には4000万ドルの前払い金が含まれ、マイルストーン達成に応じて総額で最大約14億ドルに達する可能性があります。この提携は、合理的な分子接着剤の発見に対する大手製薬企業の高い関心と、治療が困難な「un-druggable」ターゲットへのアクセスを可能にする新たなモダリティへの投資意欲を示しています。

## 詳細

### 主要成果

大手製薬企業のNovartisは、バイオテクノロジー企業Orionis Biosciencesとの間で戦略的提携を締結したことを発表しました。この協業は、Orionisが保有するAI駆動型の「Allo-Glue™」プラットフォームと分子接着剤発見エンジンを活用し、これまで治療が困難とされてきた複数のターゲットに対して革新的な治療法を開発することを目的としています。本契約には4000万ドルの前払い金が含まれており、開発および商業化のマイルストーン達成に応じて、Orionis Biosciencesが受け取る総額は最大で約14億ドルに達する可能性があります。この大型契約は、分子接着剤という新たな創薬モダリティに対する製薬業界の強い関心と、アンメットメディカルニーズが高い領域への投資意欲を浮き彫りにしています。

### 技術・臨床詳細

分子接着剤（Molecular Glues）は、細胞内のタンパク質間相互作用を誘導または強化することで、標的タンパク質の分解や機能活性化などを引き起こす低分子化合物です。これにより、これまで創薬のターゲットとすることが不可能だった、いわゆる「undruggable」なタンパク質に対しても作用する可能性を秘めています。Orionis BiosciencesのAllo-Glue™プラットフォームは、AIと計算科学を駆使して、分子接着剤の候補化合物を効率的に特定し、設計する能力を持っています。この技術は、膨大な化合物ライブラリの中から、特定のタンパク質を結合させたり、複合体を形成させたりする能力を持つ分子を迅速に発見することを可能にします。Novartisは、癌、神経変性疾患、自己免疫疾患など、様々な疾患領域における治療薬開発の経験とパイプラインを有しており、Orionisの革新的なプラットフォーム技術を自社の創薬研究に組み込むことで、これらの分野でのブレークスルーを目指します。このアプローチは、タンパク質分解誘導剤（PROTAC）など、類似のメカニズムを持つ他のモダリティとも関連しており、次世代の標的治療薬開発の方向性を示唆しています。

## 背景・業界文脈

従来の創薬アプローチでは、特定の機能を持つタンパク質の活性部位に結合する阻害剤が中心でしたが、人類のゲノムには、そのような方法で制御できない多くの「undruggable」なタンパク質が存在します。分子接着剤は、タンパク質の立体構造変化を誘導し、通常は相互作用しないタンパク質同士を結合させることで、新たな機能を発現させるという点で、この課題に対する画期的な解決策を提供します。近年、分子接着剤の成功事例がいくつか報告され、創薬研究におけるその重要性が再認識されています。Novartisのような大手製薬企業が、高額な前払い金とマイルストーンでOrionis Biosciencesのような新興技術企業と提携することは、製薬業界が革新的なプラットフォーム技術を獲得し、多様な疾患領域で新たな治療パラダイムを構築しようとする強い意思の表れです。AI駆動型の創薬プラットフォームは、開発期間の短縮と成功確率の向上に貢献すると期待されています。

## 今後の展望

NovartisとOrionis Biosciencesの戦略的提携は、分子接着剤の発見と開発を加速し、これまでの治療法ではアプローチできなかった疾患に対する新たな治療選択肢を生み出す可能性を秘めています。この提携は、AIと生物学、化学の融合が創薬の未来をどのように形作るかを示す重要な事例となるでしょう。今後、両社は提携ターゲットに沿った分子接着剤候補の同定と最適化を進め、前臨床および臨床開発へと移行していくこととなります。もしこのプラットフォームから複数の成功した治療薬が誕生すれば、分子接着剤は次世代の主要な創薬モダリティの一つとして確固たる地位を築くことになり、癌、神経疾患、自己免疫疾患など、多くの患者に新たな希望をもたらすことが期待されます。

元記事: <https://www.biobucks.co/biotech-bdl-tracker-2026>

# #21 Human Continuum、エクソソームベースの治療寿命プラットフォーム開発のため513万ドルのシード資金を調達

公開日 2026年06月11日    GlobeNewswire (Human Continuum Inc.)    アメリカ



**HUMAN**  
**CONTINUUM INC.**

## 概要

Human Continuum Inc.は、長寿、整形外科、美容、皮膚科にわたるエクソソームベースの治療薬および診断薬プラットフォームの開発を推進するため、513万ドルのシード資金調達を完了しました。同社のエクソソームプラットフォームは、血小板由来および植物ベースのエクソソーム治療薬の開発を通じて、さまざまな健康問題に対処することを目指しています。主要プログラムでは、炎症性バイオマーカーへの影響を評価するために、再生シグナル経路が調査されます。

## 詳細

### 主要成果

Human Continuum Inc.は、長寿、整形外科、美容、皮膚科といった幅広い分野におけるエクソソームベースの治療薬および診断薬プラットフォームの開発を加速するため、513万ドルのシード資金調達を成功裏に完了しました。この資金は、同社の革新的なエクソソームプラットフォームをさらに発展させ、血小板由来および植物ベースのエクソソーム治療薬を通じて、多岐にわたる健康問題に対処することに充てられます。主要プログラムでは、炎症性バイオマーカーへの影響を評価するため、再生シグナル経路の綿密な調査が行われます。この資金調達は、エクソソームの治療ポテンシャルに対する投資家の信頼の高まりを示しています。

### 技術・臨床詳細

Human Continuumのエクソソームプラットフォームは、血小板由来エクソソーム（PEX）と植物由来エクソソーム（PDEX）という2つの主要なアプローチに焦点を当てています。血小板由来エクソソームは、血小板が持つ多様な生理活性因子を細胞外小胞として届け、組織修復や抗炎症作用を促進する可能性があります。一方、植物由来エクソソームは、より大規模な生産が期待でき、免疫原性のリスクが低いという利点があります。同社は、特定の疾患や状態における再生シグナル経路をモジュレートするエクソソームの能力を深く理解することを目指しており、その効果を炎症性バイオマーカーの測定を通じて評価します。このアプローチは、エクソソームが内包するタンパク質、脂質、核酸などの生物活性分子を特定し、それらが受容細胞に与える影響を解析することで、より精密な治療法の開発を可能にします。プラットフォームは、治療効果の最大化と安全性の確保を両立させることを目指しています。

## 背景・業界文脈

エクソソームは、細胞間のコミュニケーションを仲介するナノサイズの小胞であり、再生、抗炎症、免疫調節など、様々な生物学的プロセスに重要な役割を果たすことが示されています。これにより、再生医療、癌治療、神経変性疾患、そして美容医療といった幅広い治療領域で、次世代の治療モダリティとして大きな期待を集めています。しかし、エクソソームの製造、精製、特性評価、および安定性に関する課題も存在し、その商業化には高度な技術と厳密な規制対応が求められます。Human Continuumのシード資金調達には、エクソソーム治療がまだ初期段階にあるものの、その革新性と将来性に対する市場の強い関心を示唆しています。特に長寿医療の分野は、未だ満たされていないニーズが高く、エクソソームがそのギャップを埋める可能性に注目が集まっています。

## 今後の展望

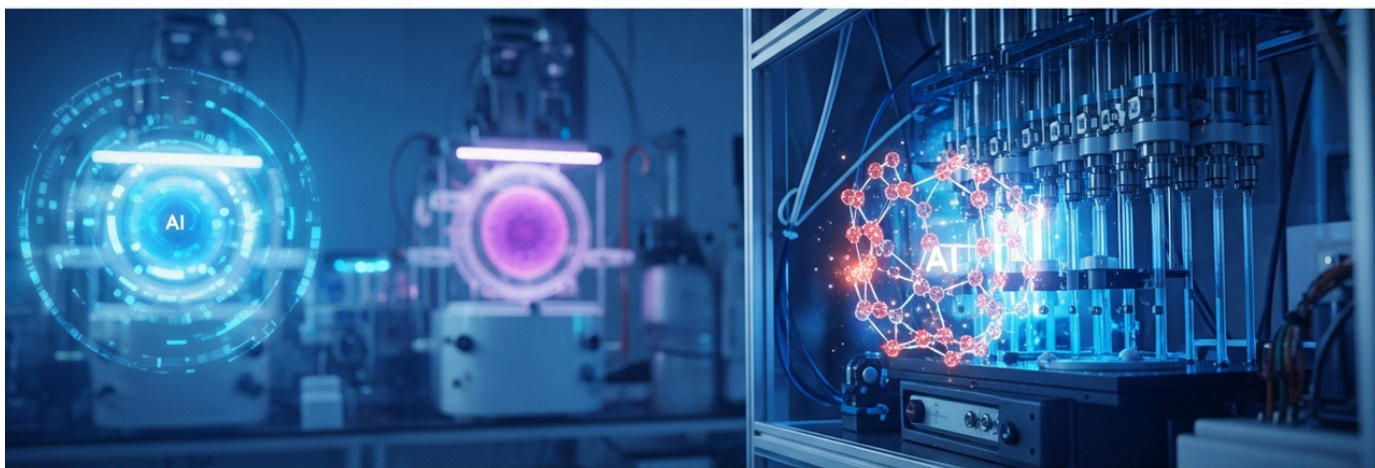
Human Continuumが確保したシード資金は、同社のエクソソームベースの治療薬および診断薬プラットフォームの発展にとって極めて重要です。今後、同社は主要なプログラムを進め、炎症性バイオマーカーおよび再生シグナル経路に関する詳細なデータを収集することで、エクソソーム治療の作用機序と臨床的有効性をさらに解明していくでしょう。長寿、整形外科、美容、皮膚科といった多様な応用分野での開発は、エクソソームの幅広い治療可能性を探るものです。しかし、エクソソーム製品が市場に到達するためには、厳格な臨床試験と規制当局の承認が不可欠です。Human Continuumは、科学的根拠に基づいた開発を継続し、エクソソーム治療の新たな時代を牽引する企業となることを目指します。

---

元記事: <https://www.globenewswire.com/news-release/2026/06/11/3310683/0/en/human-continuum-closes-over-5-million-in-seed-round-funding-to-support-the-development-of-its-integrated-exosome-based-therapeutic-longevity-platform.html>

# #22 REPROCELL、AI設計CRISPRによる低免疫原性iPSCを開発：オフザセルフ細胞治療への革新

公開日 2026年06月04日 REPROCELL 日本



## 概要

REPROCELLは、自社のStemEdit遺伝子編集プラットフォームを活用し、AI設計CRISPRを用いて低免疫原性iPSCを開発する方法を発表しました。このアプローチは、B2MやCIITAなどの主要な免疫認識関連遺伝子を標的とすることで、免疫拒絶反応を大幅に低減したユニバーサルドナー幹細胞の創出を目指します。これにより、スケーラブルなiPSC由来のオフザセルフ細胞療法の免疫適合性を改善し、より広範な患者への適用を可能にする画期的な進歩となります。

## 詳細

### 主要成果

REPROCELLは、同社のStemEdit遺伝子編集プラットフォームとAI設計CRISPR技術を組み合わせることで、低免疫原性iPSC（誘導多能性幹細胞）を効率的に開発する方法を明らかにしました。この革新的なアプローチは、細胞療法における免疫拒絶反応という主要な課題に対処することを目的としています。主要な免疫認識関連遺伝子、具体的には主要組織適合遺伝子複合体（MHC）クラスIをコードするB2MやMHCクラスIIを誘導するCIITAなどを標的として遺伝子編集を行うことにより、ユニバーサルドナーとして機能し、免疫拒絶を大幅に低減したiPSC株を創出することが可能です。これは、スケーラブルなiPSC由来オフザシェルフ細胞療法の免疫適合性を飛躍的に改善する画期的な進歩です。

### 技術・臨床詳細

REPROCELLのStemEditプラットフォームは、高効率かつ正確な遺伝子編集を可能にするCRISPR/Cas9システムを基盤としています。AI設計CRISPR技術は、ゲノム上の特定の標的部位に対するオフターゲット効果を最小限に抑えつつ、目的の遺伝子編集を最大限に効率化するようにデザインされたガイドRNA配列を最適化します。このプラットフォームを用いて、iPSC株のゲノムにおいてB2MおよびCIITA遺伝子をノックアウトまたはダウンレギュレーションすることで、細胞表面でのMHCクラスIおよびII分子の発現を抑制します。これにより、レシピエントの免疫系（特にT細胞やNK細胞）が移植されたiPSC由来細胞を「非自己」として認識しにくくなり、免疫拒絶反応のリスクが著しく低減されます。低免疫原性iPSCは、多様な細胞型（神経細胞、心筋細胞、肝細胞など）への分化が可能であり、これらの分化細胞も低免疫原性を保持するため、癌治療、神経変性疾患、心疾患など幅広い疾患領域への同種オフザシェルフ細胞療法としての応用が期待されます。

## 背景・業界文脈

iPSCは、自己再生能力と多様な細胞型への分化能力を持つことから、再生医療の未来を担う技術として大きな期待が寄せられています。しかし、iPSC由来の細胞を他者に移植する際、患者の免疫系による拒絶反応が大きな障壁となります。これを克服するためには、生涯にわたる免疫抑制剤の服用が必要となる場合が多く、副作用のリスクや感染症への脆弱性を高めるという問題があります。低免疫原性iPSCの開発は、これらの課題を解決し、免疫抑制剤なしでの同種細胞移植を可能にするための重要な戦略です。AIとCRISPRの融合は、ゲノム編集の精度と効率を劇的に向上させ、細胞治療の開発を加速する新たなパラダイムを提示しています。ユニバーサルドナー細胞株の実現は、製造の標準化、コスト削減、そして最終的にはより多くの患者への治療アクセス向上に貢献します。

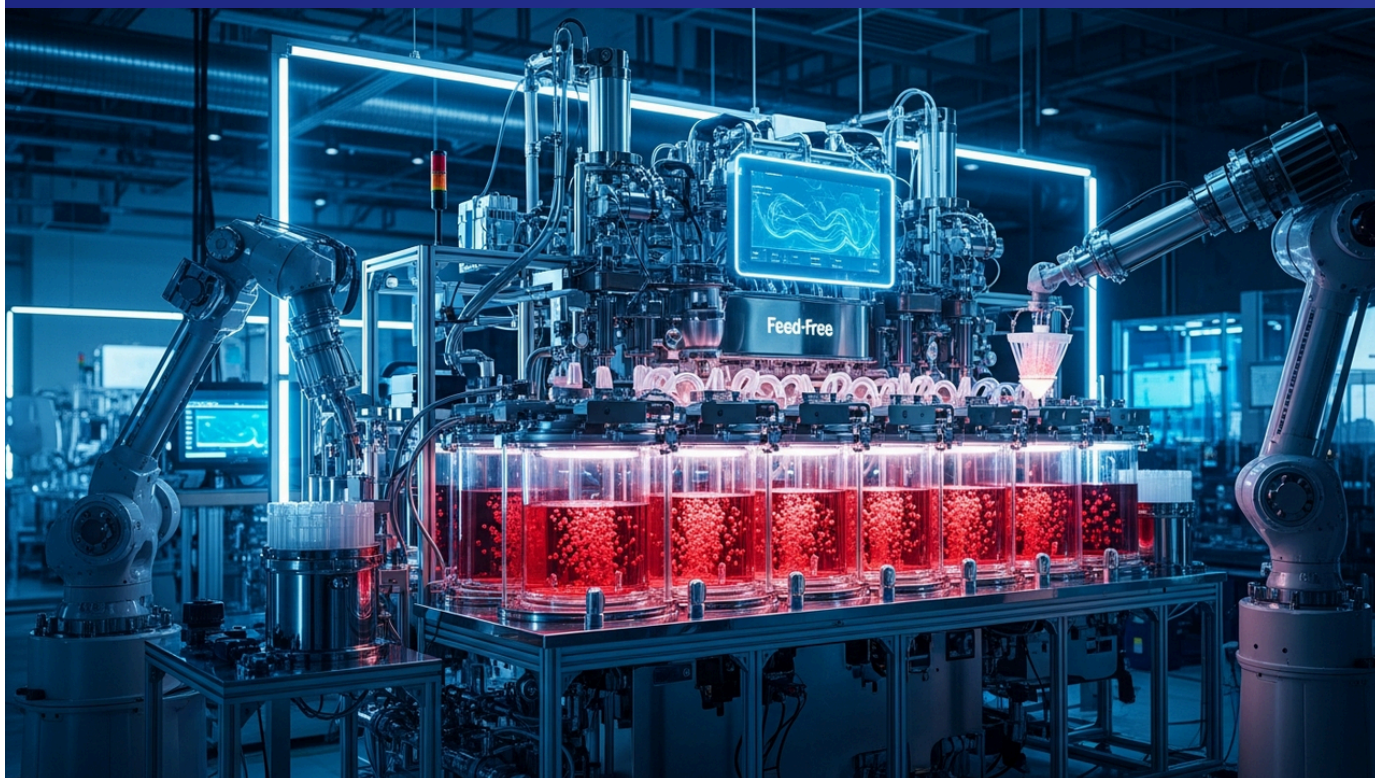
## 今後の展望

REPROCELLのAI設計CRISPRを用いた低免疫原性iPSCの開発は、オフザシェルフ細胞療法の実現に向けた大きなマイルストーンです。今後、同社はこれらの低免疫原性iPSCから分化誘導された治療用細胞の安全性と有効性を前臨床および臨床試験で検証していくことになるでしょう。この技術が成功すれば、免疫拒絶反応のリスクを心配することなく、様々な疾患に対してiPSC由来の細胞を移植できる道が開かれます。これは、再生医療分野における大きなブレークスルーであり、パーキンソン病、糖尿病、網膜疾患、癌など、多くの患者に新たな治療希望をもたらす可能性があります。REPROCELLは、この技術を基盤として、次世代の細胞治療薬の開発と商業化を推進し、業界をリードする企業となることを目指します。

元記事: #

# #23 CombiCult®スクリーニングプラットフォーム、iPSC由来NK細胞製造のフィーダーフリー・バイオリアクターによるスケーラビリティを確立

公開日 2026年06月04日 Frontiers (Preprint) ドイツ



## 概要

本プレプリントは、高スループットのコンビナトリアルスクリーニングプラットフォームCombiCult®を用いて、成熟した機能的なiPSC由来ナチュラルキラー（iNK）細胞を生成するためのフィーダーフリープロトコルを開発した研究を報告しています。これらのプロトコルは、攪拌槽バイオリアクターシステムへの移行に成功し、iNK細胞の生産性を大幅に向上させました。生成されたiNK細胞は、腫瘍細胞に対して高い細胞傷害活性を示し、スケーラブルな同種免疫療法開発を支援する製造ブレイクスルーとして注目されます。

## 詳細

### 主要成果

新たな研究プレプリントが、高スループットのコンビナトリアルスクリーニングプラットフォームであるCombiCult®の活用により、成熟した機能的なiPSC由来ナチュラルキラー（iNK）細胞を生成するためのフィーダーフリープロトコルが開発されたことを報告しました。この革新的なプロトコルは、攪拌槽バイオリアクターシステムへの移行に成功し、iNK細胞の生産性を大幅に向上させることを実証しました。生成されたiNK細胞は、in vitroで腫瘍細胞に対して強力な細胞傷害活性を示し、スケーラブルな同種免疫療法製品の開発に向けた重要な製造ブレイクスルーとして位置付けられます。これは、iNK細胞治療の商業化を加速するための重要な一歩となります。

### 技術・臨床詳細

CombiCult®スクリーニングプラットフォームは、様々な培養因子や条件の組み合わせを効率的に評価し、細胞の分化、増殖、機能性を最適化するための高スループットな手法を提供します。この研究では、CombiCult®を用いて、iPSCからNK細胞への分化を促進し、同時にフィーダー細胞（増殖を支援する別の細胞層）なしで培養できるプロトコルが特定されました。フィーダーフリー培養は、製造コストと複雑さを削減し、GMP（医薬品製造管理および品質管理基準）準拠の製造を簡素化する上で極めて重要です。さらに、開発されたプロトコルは、従来の静的培養よりもはるかに大規模な攪拌槽バイオリアクターシステムに適合させることができました。バイオリアクター培養は、容量あたりのはるかに高い細胞密度と制御された環境を提供し、iNK細胞の生産性を劇的に向上させます。生成されたiNK細胞は、CD16、NKG2D、NKp46などのNK細胞マーカーを高く発現し、複数の癌細胞株（例えば、K562、Daudi）に対する強力なエフェクター機能をin vitroで示しました。これらのiNK細胞は、効率的な増殖と高い細胞傷害活性を両立し、同種オフザシェルフ製品としての潜在能力を裏付けています。

## 背景・業界文脈

ナチュラルキラー（NK）細胞は、癌細胞やウイルス感染細胞を直接排除する自然免疫系の重要な要素であり、その強力な抗腫瘍活性から、癌免疫療法において大きな期待を集めています。iPSC由来のNK細胞（iNK細胞）は、無限の供給源から均質な細胞を大量に生産できる可能性があり、自家NK細胞療法が抱えるスケーラビリティの課題を克服します。しかし、iNK細胞の効率的な分化と大規模生産は、商業化に向けた主要なボトルネックでした。フィーダーフリー培養とバイオリアクターを用いた大規模生産技術の開発は、このボトルネックを解消し、iNK細胞治療薬のコストを削減し、より多くの患者に届けるための鍵となります。この進歩は、細胞・遺伝子治療CDMO（医薬品受託製造開発機関）の能力向上と相まって、次世代の免疫細胞療法の開発を加速させるでしょう。

## 今後の展望

CombiCult®プラットフォームを用いたiPSC由来NK細胞のフィーダーフリー・バイオリアクター製造プロトコルの確立は、癌免疫療法分野における重要なブレイクスルーです。この技術により、臨床グレードのiNK細胞を、コスト効率良く大規模に生産することが可能となり、iNK細胞療法の商業化が現実味を帯びてきます。今後、このプロトコルを用いて製造されたiNK細胞の安全性と有効性が、前臨床および臨床試験で検証されることとなります。もし臨床で成功すれば、iNK細胞療法は、固形腫瘍や血液がんに対して、既存のCAR T細胞療法を補完する、または代替する強力な治療選択肢となる可能性があります。この製造技術の進歩は、同種オフザシェルフ免疫細胞療法全体の開発を加速し、よりアクセスしやすい癌治療の未来を切り開くでしょう。

---

元記事: <https://www.frontiersin.org/journals/microbiology/articles/10.3389/fmicb.2026.1865548/full>

収集日: 2026年06月12日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

# #24 非ウイルス性CRISPR/Cas9 HDRプラットフォームが固形腫瘍モデルの安定的な遺伝子操作を実現、ウイルスベクターの課題を克服

公開日 2026年06月04日 bioRxiv (Preprint) アメリカ



## 概要

本プレプリントは、固形腫瘍モデルを安定的に操作するための、非ウイルス性CRISPR/Cas9相同組換え（HDR）プラットフォームに関する研究を報告しています。このアプローチは、ウイルスベクターが抱えるバイオセーフティ上の懸念やパッケージングの制限なしに、正確なゲノム改変と安定したトランスジーン発現を可能にします。これにより、癌研究における高度なin vitroおよびin vivoモデリングに不可欠なツールが提供され、より安全で効率的な遺伝子操作技術の確立に貢献します。

## 詳細

### 主要成果

新たなプレプリント論文が、固形腫瘍モデルの安定的な遺伝子操作を可能にする非ウイルス性CRISPR/Cas9相同組換え（HDR）プラットフォームの開発について報告しました。この革新的なアプローチは、従来の遺伝子導入で広く使用されてきたウイルスベクターが抱えるバイオセーフティ上の懸念や、遺伝子パッケージングの容量制限といった主要な課題を克服します。本プラットフォームは、正確なゲノム改変と、細胞内での標的遺伝子の安定したトランスジーン発現を同時に実現することができ、癌研究における高度なin vitro（試験管内）およびin vivo（生体内）モデリングのための不可欠なツールとして期待されます。

### 技術・臨床詳細

開発された非ウイルス性CRISPR/Cas9 HDRプラットフォームは、通常、Cas9タンパク質とガイドRNA（gRNA）をリボ核タンパク質（RNP）複合体として細胞に導入し、HDRテンプレートDNA（目的遺伝子や編集配列を含む）を非ウイルス性のデリバリー方法（例えば、電気穿孔法や脂質ナノ粒子など）で同時に導入します。これにより、細胞のDNA修復経路の一つである相同組換えを利用して、特定のゲノム部位に正確なDNA配列の挿入、置換、あるいはノックインを行うことが可能となります。ウイルスベクターは、その効率的な遺伝子導入能力から広く利用されてきましたが、宿主ゲノムへのランダムな挿入、望ましくない免疫応答の誘発、製造コストの高さ、そしてペイロード容量の制限といった欠点があります。非ウイルス性プラットフォームは、これらの課題を回避し、より安全で制御された方法でゲノム編集を行うことを可能にします。特に固形腫瘍モデルでは、特定の遺伝子変異の導入やレポーター遺伝子の組み込み、あるいは治療標的となる遺伝子の機能解析を行う上で、安定かつ高効率な遺伝子操作が求められます。

## 背景・業界文脈

癌は、複雑な遺伝子変異と多様な細胞間相互作用によって特徴づけられる疾患であり、そのメカニズム解明には、in vitro細胞モデルやin vivo動物モデルを用いた精密な研究が不可欠です。CRISPR/Cas9のようなゲノム編集技術は、癌関連遺伝子の機能を研究し、新たな治療標的を特定するための強力なツールを提供します。しかし、研究目的であっても、ウイルスベクターの使用には、実験者の安全性確保や、長期的な細胞への影響を考慮する必要があります。非ウイルス性遺伝子デリバリーシステムの開発は、このような安全性の懸念を軽減し、より汎用性の高い研究ツールを提供することで、癌研究の効率と再現性を向上させることに貢献します。また、将来的な遺伝子治療への応用を視野に入れた場合、非ウイルス性アプローチは、免疫原性の低減や大規模生産の容易さといった点で大きなメリットをもたらす可能性があります。

## 今後の展望

この非ウイルス性CRISPR/Cas9 HDRプラットフォームの報告は、癌研究における遺伝子操作技術の新たな方向性を示すものです。今後、この技術は、より複雑な遺伝子改変を伴う固形腫瘍モデルの構築や、癌の病態生理学的メカニズムのより詳細な解明に貢献することが期待されます。また、非ウイルス性デリバリーシステムの最適化と効率化が進むことで、将来的にin vivo遺伝子治療への応用も視野に入ってきます。これは、ウイルスベクターに依存しない、より安全で効率的な癌遺伝子治療の開発に向けた重要なステップとなるでしょう。研究者や製薬企業は、このプラットフォームを活用して、個別化された癌治療戦略の特定や、新たな抗癌剤の開発を加速させることが期待されます。

元記事: #