

iPS細胞・再生医療

Weekly Intelligence Report

2026-07-18 | 29件 | 7カ国

troy-technical.jp

今週のキーワード

免疫回避型細胞

iPSC由来治療が免疫抑制剤不要で臨床へ

29

件
記事数

7

カ国
対象国数

165

件
RMAT指定累計

100+

件
CAR T臨床試験

今週的全29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	ハンチントン病iPSC治療	臨床データ	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	ハンチントン病向けPSC由来神経幹細胞治療が初の臨床データ発表、難治性神経変性疾患に新たな希望。
#02	パーキンソン病iPSC治療	臨床データ	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	パーキンソン病向け自家iPSC由来細胞治療が12ヶ月後の良好な安全性と機能改善を示す中間臨床結果を発表。
#03	Fate FT819強皮症CAR T	臨床データ	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Fate TherapeuticsがiPSC由来オフザシェルフ型CAR T「FT819」の全身性強皮症向け初期臨床データを発表。
#04	Fate FT839デュアルCAR T	IND承認	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Fate TherapeuticsがiPSC由来デュアルCAR T「FT839」のIND承認を取得、自己免疫・血液悪性腫瘍向け臨床試験へ。
#05	REPROCELL免疫回避iPSC	新製品	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ●	REPROCELLがHLAノックアウト免疫回避型iPSC「StemEdit」を発表、オフザシェルフ型細胞療法開発を加速。
#06	FDA RMAT指定165件	規制動向	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	FDAの再生医療先端治療（RMAT）指定が累計165件に到達、RocketとCRISPRが牽引。
#07	iPSC発見20周年京都開催	イベント告知	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ●	iPSC発見20周年記念シンポジウムが2026年10月に京都で開催決定、研究の進歩を振り返る。
#08	FDA RMAT指定急増	市場レポート	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	FDAのRMAT指定が2025年に過去最高を記録、再生医療市場の急成長と承認加速を示す。
#09	CAR T普及期へ	解説記事	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ●	●●●●○ ○	●●●●○ ○	CAR T細胞療法が自己免疫疾患への適応拡大とオフザシェルフ化で普及期へ、製造効率化が鍵。
#10	Century T1D iPSC治療	前臨床データ	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Century Therapeuticsが1型糖尿病向けiPSC由来膵島置換療法「CNTY-813」の前臨床データを発表、免疫回避技術でIND申請へ。
#11	遺伝子・細胞治療進展	市場動向	●●●●○ ○	●●●●○ ●	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Orca BioのTREGZIがFDA承認、CASGEVY小児適応拡大、Satri-cel中国承認と遺伝子・細胞治療に複数の進展。
#12	小型CRISPR酵素発見	学術的ブレイクスルー	●●●●○ ●	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ●	●●●●○ ○	NIHが小型CRISPR酵素「AI3Cas12f」を発見、AAVベクター搭載可能でin vivo遺伝子デリバリーを革新。
#13	宇宙オルガノイド研究	基礎研究	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	宇宙で培養された臓器オルガノイドとプロテオミクスが、微小重力環境を活用しヒト疾患研究を深化。
#14	CRISPR DNAガイド移行	技術進化	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	CRISPR遺伝子編集がRNAガイドからDNAガイドシステムへ移行し、標的化精度と安全性が向上する可能性。

#	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
#15	Sana T1D免疫回避移植	臨床データ	●●●●● ●	●●●●● ○	●●●●● ●	●●●●● ●	●●●●● ○	Sana Biotechnologyが1型糖尿病向け免疫回避型膵島細胞移植「UP421」の免疫抑制剤なし14ヶ月機能データをNEJMで発表。
#16	韓国再生医療規制緩和	規制緩和	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	韓国政府が自家NK細胞等を用いた先端再生医療の規制を緩和、臨床導入を加速し市場成長を促進。
#17	CRISPR臨床試験急増	市場動向	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	CRISPR遺伝子編集療法の臨床試験が100件以上に急増、鎌状赤血球症など遺伝性疾患治療で高精度と効率性を示す。
#18	Tempest in vivo CAR T	製品候補	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Tempest Therapeuticsがin vivo CAR T細胞療法「TPST-4003」を年末までに臨床試験へ、自己免疫疾患を標的。
#19	ISSCRオルガノイド進展	学会発表	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	ISSCR 2026でオルガノイド研究の最新進展発表、iPS C・成人幹細胞由来システムが臓器形成・病態モデル化を深化。
#20	ヒトオルガノイド概説	レビュー記事	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	ヒトオルガノイド技術の新たな開発と応用を概説、疾患メカニズム解明と個別化医療への貢献を強調。
#21	Ocugen眼疾患遺伝子治療	ライセンス契約	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Ocugenが眼疾患遺伝子治療薬「OCU400」のMENA地域ライセンス契約を締結、国際展開を加速。
#22	Lyora眼科遺伝子治療	資金調達	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	Lyoraが眼科遺伝子治療アセット推進のためシード資金調達を完了、18ヶ月以内のIND申請を目指す。
#23	Allotera資金調達	資金調達	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	WugenがAlloteraに社名変更し3500万ドルを調達、オフザセルフ型細胞治療開発を加速。
#24	Kite移動式アフエーシス	サプライチェーン	●●●●○ ○	●●●●● ●	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	KiteとBBGがテキサス州に移動式白血球アフエーシスセンターを開設、CAR T細胞療法患者のアクセスを改善。
#25	糖尿病免疫回避膵島移植	臨床データ	●●●●● ●	●●●●○ ○	●●●●● ●	●●●●○ ○	●●●●● ○	免疫抑制剤不要の膵島細胞移植が1型糖尿病の機能的治癒に近づく、新規幹細胞アプローチが注目。
#26	Allogene腎がんCAR T	臨床データ	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●● ●	●●●●○ ○	AllogeneのCAR T「ALLO-316」が転移性腎細胞がんPhase 1で31%奏効率と初の持続的寛解を達成。
#27	宇宙臓器バイオプリント	基礎研究	●●●●● ●	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●○ ○	Auxilium Biotechnologiesが国際宇宙ステーションで腎臓・肝臓組織のバイオプリントに世界初成功。
#28	uBriGene in vivo CAR T	プラットフォーム	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	●●●●○ ○	uBriGeneがin vivo CAR T療法開発を加速する高効率・低免疫原性uVivoレンチウイルスベクタープラットフォームを発表。
#29	MDACC腎がんCAR T	臨床データ	●●●●● ○	●●●●○ ○	●●●●● ○	●●●●● ●	●●●●○ ○	MDアンダーソンがんセンターが難治性腎臓がん向け新規CAR-T療法で70%の奏効率を達成。

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

今週、判断に影響する3つの問い

① 免疫回避型iPSC技術は、貴社の再生医療戦略を根本から変えるか？

Sana Biotechnologyが1型糖尿病向け免疫回避型膵島細胞移植で免疫抑制剤なしに14ヶ月間の機能維持をNEJMで発表しました（#15）。REPROCELLもHLAノックアウトiPSC株「StemEdit」を発表（#05）。これは同種異系細胞療法の最大の障壁を打ち破る可能性があり、貴社の細胞治療開発ロードマップ、特にオフザシェルフ戦略にどのような影響を与えるか、即座に評価が必要です。

② 固形がん向けCAR T療法の高奏効率データは、既存の治療ポートフォリオにどう影響するか？

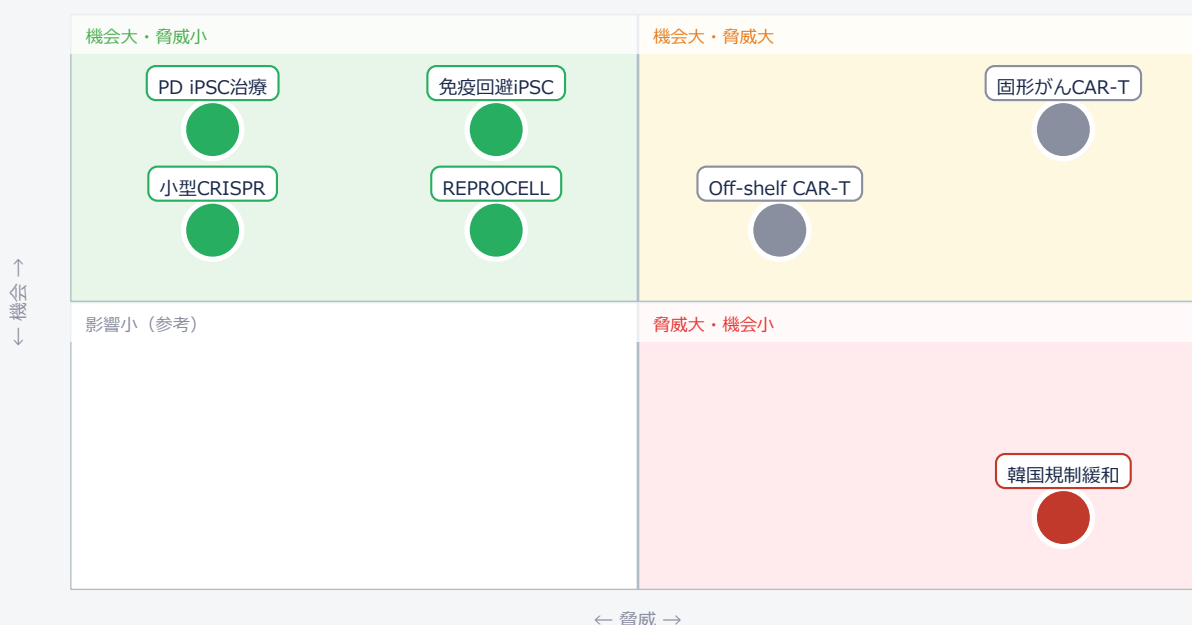
MDアンダーソンがんセンターが難治性腎臓がん向けCAR T療法で70%の奏効率を達成（#29）、Allogeneも腎細胞がんでは31%の奏効率と初の持続的寛解を報告しました（#26）。CAR Tは血液がんから固形がんへと適応を拡大しており、この進展は既存の抗がん剤や免疫療法、あるいは開発中の固形がん治療薬の市場競争環境を大きく変える可能性があります。貴社のオンコロジー部門は、この動向をどのように織り込んでいるのでしょうか？

③ 再生医療の規制緩和とサプライチェーン革新は、市場参入の機会を広げるか？

韓国政府が自家NK細胞療法の規制を緩和し、臨床導入を加速する動きを見せています（#16）。また、CAR T細胞療法では移動式アフェレーシスセンターの開設（#24）やin vivo CAR T技術（#28）など、製造・物流の効率化が進んでいます。これらの動きは、再生医療製品の市場アクセスを向上させ、新規参入や事業拡大の機会を創出する一方で、既存プレイヤーには迅速な対応が求められます。貴社の事業開発・R&D部門は、これらの変化をどのように捉え、戦略に反映させていますか？

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
● 免疫回避iPSC	機会大	免疫抑制不要治療開発	競合技術の台頭
● PD iPSC治療	機会大	難病個別化治療市場	製造コストと品質管理
● REPROCELL	機会大	オフザシェルフ細胞源	—
● 固形がんCAR-T	注意	難治がん治療市場拡大	競合激化と技術追従

● Off-shelf CAR-T	注意	CAR Tアクセス拡大	既存技術の陳腐化
● 小型CRISPR	機会大	in vivo遺伝子治療	—
● 韓国規制緩和	脅威大	—	日本企業の競争力低下

深掘り ① — 免疫抑制剤不要のiPSC膵島移植が現実味

#15 | 2026/07/13 | GlobeNewswire (Sana Biotechnology) | 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●●●●○

Sana Biotechnologyは、1型糖尿病患者向け免疫修飾膵島細胞移植「UP421」が、免疫抑制剤なしで14ヶ月間機能し続けるという画期的な長期耐久性データをNEJMで発表しました。同社のHypoimmune Platform (HIP) 技術は、MHCクラスI/IIノックアウトとCD47強化により、移植細胞が免疫系による攻撃を回避するよう設計されています。

この成果は、従来の膵島移植における生涯にわたる免疫抑制剤の服用という最大の課題を解決し、1型糖尿病の機能的治癒に極めて重要なマイルストーンとなります。安全性プロファイルも良好で、免疫抑制剤不使用による追加リスクは認められませんでした。この技術は、同種異系細胞療法の普及を加速させる可能性を秘めています。

▶ 技術者の視点

NEJMという権威ある医学誌での発表は、データの信頼性が極めて高いことを示唆します。14ヶ月という期間で免疫抑制剤なしに機能維持できたことは、楽観的すぎる評価ではなく、真に画期的な成果と見て良いでしょう。実用化に向けた最大の課題は、長期的な安全性と有効性のさらなる検証、そして大量生産と品質管理の確立です。日本企業にとっては、iPSC発祥国として、この免疫回避技術を自社の細胞治療パイプラインにどう組み込むか、あるいはHIP技術のライセンス導入を検討する【機会】があります。一方で、この技術が先行すれば、日本のiPSC由来細胞治療開発が周回遅れになる【脅威】も存在します。R&D部門は、免疫回避技術の動向を注視し、自社技術との比較優位性を評価すべきです。

深掘り ② — REPROCELL、免疫回避型iPSC株を発表

#05 | 2026/07/16 | REPROCELL (Blog) | 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、高効率ゲノム編集技術と規制準拠細胞株を組み合わせた、HLAノックアウト免疫回避型iPSCライン「StemEdit hypoimmune iPSCs」を発表しました。この技術は、同種異系細胞移植における主要な課題である免疫拒絶反応を軽減することを目的としています。

StemEditは、研究開発だけでなく、スケーラブルなオフザシェルフ型細胞療法の臨床応用を支援する可能性を秘めています。これにより、製造の簡素化と患者アクセスの拡大が期待され、再生医療の普及に大きく貢献するでしょう。

▶ 技術者の視点

日本企業であるREPROCELLが、免疫回避型iPSC株を製品として発表したことは、日本の再生医療産業にとって大きな【機会】です。特に、研究開発段階にある企業にとっては、免疫拒絶リスクのない細胞源を迅速に調達できるため、開発期間の短縮とコスト削減に繋がります。ただし、発表されたのは「細胞株」であり、実際の治療効果や長期安全性は、この細胞株を用いて開発される治療薬の臨床試験で検証される必要があります。楽観的すぎる評価は禁物ですが、オフザシェルフ型細胞療法の実現に向けた重要な一歩であることは間違いありません。日本の材料・素材メーカーやR&D部門は、この細胞株の特性を詳細に評価し、自社の細胞培養培地や関連デバイスとの適合性を確認すべきです。

深掘り ③ — 小型CRISPR酵素「Al3Cas12f」の発見

#12 | 2026/07/15 | National Institutes of Health (NIH) | 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●●●○○

NIH資金提供の研究チームが、体内で標的型デリバリーを可能にする小型CRISPR遺伝子編集システム「Al3Cas12f」を発見しました。この天然酵素は、遺伝子治療の主要な送達方法であるアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターに収まるほど小型であることが特徴です。

このブレークスルーは、CRISPR技術の主要な限界の一つであったin vivoでの効率的な送達に対応するものであり、将来の精密遺伝子治療において広範な応用が期待されます。これにより、これまでAAVの積載制限によりデリバリーが困難だった大規模遺伝子に対する治療や、複数の遺伝子を同時に編集する必要がある疾患へのアプローチが可能になります。

▶ 技術者の視点

CRISPR技術のin vivoデリバリーは長年の課題であり、Casタンパク質のサイズがボトルネックでした。Al3Cas12fの発見は、この課題を根本的に解決する学術的ブレークスルーであり、その技術新規性は非常に高いです。ただし、現時点では基礎研究段階であり、実用化までには安全性（オフターゲット効果、免疫原性）と有効性の詳細な検証が必要です。特に、in vivoでの長期的な効果と副作用のバランスが重要になります。日本企業にとっては、この小型CRISPRシステムを用いた新たな遺伝子治療薬開発の【機会】が生まれますが、同時に、既存の遺伝子治療技術が陳腐化する【脅威】も考慮すべきです。R&D部門は、この新酵素の特性を詳細に分析し、自社の遺伝子治療パイプラインへの導入可能性を検討すべきです。

その他の注目記事

パーキンソン病患者8名対象の自家iPSC由来細胞治療、Phase 1/2a中間結果で12ヶ月後の良好な安全性と機能改善を示す

新規性●●●●○ 実用化●●●○○ 市場●●●●●

パーキンソン病向け自家iPSC治療の良好な臨床データは、個別化再生医療の進展を示す。日本企業は関連技術の動向を注視すべき。

CAR T細胞療法、適応疾患の拡大と製造効率化で普及期へ：自己免疫疾患への応用とオフザセルフ化が鍵

新規性●●●○○ 実用化●●●●○ 市場●●●●●

CAR T細胞療法の自己免疫疾患への拡大とオフザセルフ化は市場のパラダイムシフト。日本企業は製造技術とサプライチェーンの効率化を急ぐべき。

アロジェン社、CAR T細胞療法ALLO-316が転移性腎細胞がんPhase 1で確定奏効率31%と初の持続的寛解を達成

新規性●●●●○ 実用化●●●○○ 市場●●●●●

固形腫瘍向けアロゲインCAR

Tで持続的寛解は画期的。日本の製薬・バイオ企業は固形がんCAR

Tの標的選定と技術開発を加速すべき。

MDアンダーソンがんセンター、難治性腎臓がんに対し Claudin-18.2標的の新規CAR-T細胞療法が70%の奏効率を達成

新規性●●●●○ 実用化●●●○○ 市場●●●●●

難治性腎臓がんに対するCAR

T療法の70%奏効率は非常に有望。日本のオンコロジー分野はClaudin-18.2標的の可能性を評価すべき。

Auxilium Biotechnologies、宇宙で腎臓・肝臓組織のバイオプリントに世界初成功

新規性●●●●● 実用化●○○○○ 市場●●○○○

宇宙での臓器バイオプリントは基礎研究のブレークスルー。長期的な再生医療や宇宙医療の可能性を探る上で注目に値する。

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;】免疫回避型iPSC技術（#15, #05）に関する緊急技術評価会議を開催。自社パイプラインへの影響と導入可能性を議論。
- 【経営企画】固形がんCAR T（#26, #29）の最新臨床データを分析し、既存オンコロジー事業への影響と新規参入戦略の検討を開始。
- 【調達】REPROCELLの「StemEdit hypoimmune iPSCs」（#05）のサンプル入手可能性を確認し、R&D;部門へ情報提供。

■ 短期（1ヶ月）

- 【R&D;】小型CRISPR酵素「AI3Cas12f」（#12）のin vivoデリバリー技術に関する情報収集を強化し、遺伝子治療プラットフォームへの応用可能性を検討。
- 【事業開発】韓国の再生医療規制緩和（#16）が日本市場やアジア市場に与える影響を分析し、競争戦略の見直しに着手。
- 【半導体PKG/EV設計】CAR T細胞療法におけるサプライチェーン効率化（#09, #24）の動向を参考に、自社製造プロセスの自動化・効率化のヒントを探る。

■ 中長期（四半期～）

- 【R&D;】免疫回避型iPSC技術を用いたオフザセルフ型細胞治療（#15, #05）の共同研究パートナーやライセンス候補を探索。
- 【経営企画】in vivo CAR T細胞療法（#18, #28）の進展が、細胞治療の製造コストとアクセス性をどう変えるか長期的な市場予測を更新。
- 【R&D;】宇宙空間でのバイオプリンティング（#27）やオルガノイド研究（#13）の動向を継続的にモニタリングし、将来的な創薬・再生医療への応用可能性を評価。

iPS細胞・再生医療 採用記事全文集

出力日: 2026-07-18

採用記事数: 29 件

収録記事一覧

- #01 ハンチントン病向け多能性幹細胞由来神経幹細胞治療「REGEN4HD試験」、ISSCR 2026で初の臨床データ発表
- #02 パーキンソン病患者8名対象の自家iPSC由来細胞治療、Phase 1/2a中間結果で12ヶ月後の良好な安全性と機能改善を示す
- #03 Fate Therapeuticsのオフザシエルフ型iPSC由来CAR T細胞療法「FT819」、治療抵抗性全身性強皮症で初期臨床データ発表
- #04 Fate Therapeutics、iPSC由来デュアルCAR T細胞候補「FT839」のFDA IND承認取得、自己免疫・血液悪性腫瘍を対象に2026年後半にPhase 1/2a試験開始へ
- #05 REPROCELL、HLAロックアウトによる免疫回避型iPSC「StemEdit」を発表、オフザシエルフ型細胞療法の開発を加速
- #06 FDA、再生医療先端治療（RMAT）指定が累計165件に到達：Rocket Pharmaceuticalsが5件、CRISPR Therapeuticsが4件取得
- #07 iPSC発見20周年記念シンポジウム、2026年10月にISSCR主催で京都開催決定
- #08 FDAの再生医療先端治療（RMAT）指定、2025年に過去最高の48件を記録し、累計指定の48%を過去2年間で占める
- #09 CAR T細胞療法、適応疾患の拡大と製造効率化で普及期へ：自己免疫疾患への応用とオフザシエルフ化が鍵
- #10 Century Therapeutics、1型糖尿病向けiPSC由来膵島置換療法「CNTY-813」の前臨床データを発表、免疫回避技術「Allo-Evasion™ 5.0」で全身性免疫抑制不要を目指し2026年第4四半期にIND申請
- #11 遺伝子・細胞治療分野に複数の進展：Orca BioのTREGZIがFDA承認、Vertex/CRISPRのCASGEVYは小児適応拡大、CarsgenのSatri-celが中国承認
- #12 NIH資金提供研究、小型CRISPR酵素「Al3Cas12f」を発見：AAVベクター搭載可能でin vivo精密遺伝子デリバリーの道を拓く
- #13 宇宙で培養された臓器オルガノイドとプロテオミクス、レトロ症候群やがんを含むヒト疾患研究の新たな地平を拓く
- #14 CRISPR遺伝子編集、RNAガイドからDNAガイドシステムへの移行で標的化精度が向上する可能性
- #15 Sana Biotechnology、NEJMで1型糖尿病向け免疫回避型膵島細胞移植（UP421）の長期耐久性データを発表：免疫抑制剤なしで14ヶ月間の機能を確認
- #16 韓国政府、自家NK細胞等を用いた先端再生医療の規制緩和：リスク区分引き下げで臨床導入が加速

#17 CRISPR遺伝子編集療法、臨床試験が100件以上に急増：鎌状赤血球症など遺伝性疾患治療で高精度と効率性を示す

#18 Tempest Therapeutics、in vivo CAR T細胞療法「TPST-4003」を年末までに臨床試験へ：重症筋無力症・多発性硬化症など自己免疫疾患を標的

#19 ISSCR 2026でオルガノイド研究の最新進展を発表：iPSC・成人幹細胞由来システムが臓器形成・病態モデル化を深化

#20 ヒトオルガノイド技術の新たな開発と応用を概説：疾患メカニズム解明と個別化医療への貢献

#21 Ocugen、眼疾患遺伝子治療薬「OCU400」のMENA地域ライセンス契約をRoots Pharma等と締結

#22 Lyora、眼科遺伝子治療アセット推進のためシード資金調達を完了し、18ヶ月以内のIND申請を目指す

#23 WugenがAlloteraに社名変更、3500万ドルの資金調達を完了し、オフザシェルフ型細胞治療開発を加速

#24 KiteとBBG Advanced Therapies、テキサス州に移動式白血球アフェレーシスセンターを開設しCAR T細胞療法患者のアクセスを改善

#25 糖尿病の機能的治癒を目指す新規幹細胞アプローチ：免疫抑制剤不要の臍島細胞移植が実現に近づく

#26 アロジェン社、CAR T細胞療法ALLO-316が転移性腎細胞がんPhase 1で確定奏効率31%と初の持続的寛解を達成

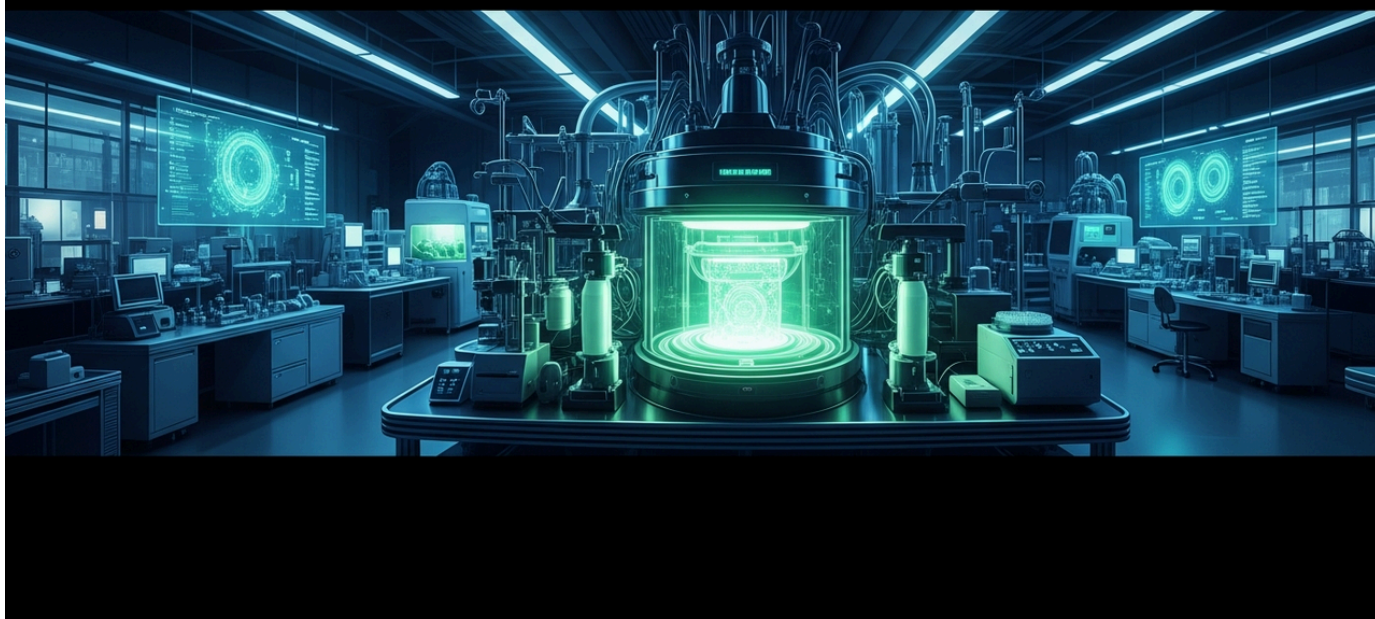
#27 Auxilium Biotechnologies、宇宙で腎臓・肝臓組織のバイオプリントに世界初成功

#28 uBriGene社、次世代in vivo CAR T療法開発を加速するuVivoレンチウイルスベクタープラットフォームを発表

#29 MDアンダーソンがんセンター、難治性腎臓がんに対し Claudin-18.2標的の新規CAR-T細胞療法が70%の奏効率を達成

#01 ハンチントン病向け多能性幹細胞由来神経幹細胞治療 「REGEN4HD試験」、ISSCR 2026で初の臨床データ発表

公開日 2026年07月09日 International Society for Stem Cell Research 国際



概要

ISSCR 2026年次総会で、ハンチントン病に対する多能性幹細胞由来神経幹細胞治療の初の臨床試験（Phase 1b/2a REGEN4HD試験）に関する最新情報が発表された。この研究は、進行性の神経変性疾患であるハンチントン病に対し、再生医療アプローチによる治療法の確立に向けた重要な翻訳的マイルストーンとなる。数年間の厳格な前臨床研究、安全性試験、および規制当局との緊密な連携を経て、この革新的な治療アプローチが臨床段階へと進展した。これにより、既存の治療選択肢が限られる患者に新たな希望をもたらす可能性がある。

詳細

主要成果

2026年7月9日、国際幹細胞学会（ISSCR）の年次総会において、ハンチントン病（HD）を対象とした多能性幹細胞由来神経幹細胞治療の初の臨床試験であるPhase 1b/2a REGEN4HD試験の最新データが発表されました。この発表は、難治性の神経変性疾患に対する再生医療の可能性を示す画期的な進展です。

技術・臨床詳細

REGEN4HD試験は、ヒト多能性幹細胞（PSC）から分化誘導された神経幹細胞をHD患者の脳に移植することを目的としています。今回の発表では、前臨床研究で確認された安全性プロファイルと、初期の患者コホートにおける有望な兆候が示唆されました。この治療法は、HDによって失われた神経細胞を補充し、病気の進行を遅らせるか、あるいは症状を改善する可能性を秘めています。試験は、まず少数の患者を対象とした安全性と忍容性の評価から始まり、その後、有効性の初期兆候を探索するデザインとなっています。

背景・業界文脈

ハンチントン病は、進行性の運動障害、認知機能低下、精神症状を特徴とする遺伝性疾患であり、根本的な治療法は現在存在しません。既存の治療は症状の管理に限定されており、患者とその家族にとって大きな負担となっています。PSC由来細胞を用いた再生医療は、疾患によって損傷した組織や細胞を置き換えることで、根本的な治療を目指すアプローチとして大きな期待を集めています。今回の臨床試験の進展は、長年にわたる基礎研究と応用研究の成果であり、神経変性疾患分野における再生医療の実現可能性を示すものとして、学术界および製薬業界から注目されています。

今後の展望

REGEN4HD試験は現在進行中であり、今後も追加の安全性および有効性データが収集される予定です。この初期データは、より大規模な臨床試験への移行を支持するものであり、ハンチントン病治療のパラダイムを変える可能性を秘めています。また、本研究で得られる知見は、パーキンソン病やアルツハイマー病など、他の神経変性疾患に対するPSCベースの治療法開発にも応用されることが期待されます。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#02 パーキンソン病患者8名対象の自家iPSC由来細胞治療、Phase 1/2a中間結果で12ヶ月後の良好な安全性と機能改善を示す

公開日 2026年07月09日 International Society for Stem Cell Research アメリカ



概要

ISSCR 2026年次総会で、パーキンソン病に対する自家iPSC由来ドーパミン神経前駆細胞を用いた初のPhase 1/2a試験の中間臨床結果が発表され、軽度から中等度の患者8名において移植後12ヶ月で良好な安全性と機能改善が確認された。スクリップス研究所のジーン・ローリング博士が報告したこのデータは、個別化再生医療の製造に不可欠な新規品質管理ツールの開発も強調している。この治療法は、患者自身の細胞を用いるため免疫拒絶リスクが低く、進行性のパーキンソン病に対する画期的な治療選択肢となる可能性を秘めている。特に運動症状の改善が期待され、QOLの向上が見込まれる。

主要成果

2026年7月9日、国際幹細胞学会（ISSCR）2026年次総会において、パーキンソン病を対象とした自家iPSC由来ドーパミン神経前駆細胞を用いた初のPhase 1/2a臨床試験の中間結果が発表されました。スクリップス研究所のジーン・ローリング博士が報告したこのデータは、軽度から中等度のパーキンソン病患者8名において、移植後12ヶ月の時点で良好な安全性と、疾患の機能的側面における改善傾向を示しました。

技術・臨床詳細

本試験で用いられた治療法は、患者自身の誘導多能性幹細胞（iPSC）からドーパミン神経前駆細胞を分化誘導し、これを患者の脳内に移植するという個別化医療アプローチです。自家細胞を用いることで、免疫拒絶反応のリスクを大幅に低減できるという利点があります。ジーン・ローリング博士は、これらの個別化治療法を製造する上で不可欠な、高度な品質管理ツールの開発についても報告しました。このツールは、細胞製品の均一性と安全性を確保するために重要であり、再生医療製品の品質保証における新たな基準を提示するものです。中間結果では、特に安全性プロファイルが良好であることが強調され、重大な有害事象は報告されていません。さらに、患者の運動機能やQOLに関連する評価項目において、肯定的な初期傾向が見られました。

背景・業界文脈

パーキンソン病は、ドーパミン産生神経細胞の変性によって引き起こされる進行性の神経変性疾患であり、現在、根本的な治療法は存在しません。既存の治療法は症状緩和を目的としていますが、疾患の進行を止めることはできません。iPSC技術の進展により、患者自身の細胞から機能的なドーパミン神経細胞を生成し、これを移植することで失われた神経機能を回復させるという再生医療のアプローチが注目されています。このアプローチは、個別化医療の究極の形の一つとして位置づけられ、将来的な治療のパラダイムシフトをもたらす可能性を秘めています。

今後の展望

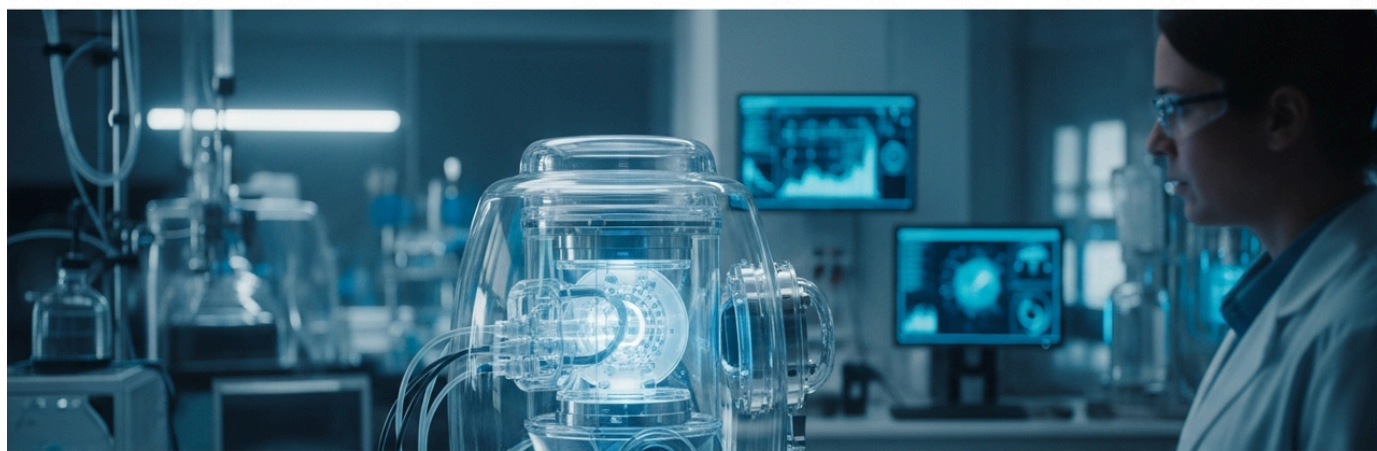
今回の良好な中間結果は、パーキンソン病に対する自家iPSC由来細胞治療の臨床開発をさらに加速させるものです。今後の研究では、より大規模な患者コホートでの長期的な安全性と有効性が評価される予定です。また、開発された品質管理ツールは、他の自家細胞治療製品の製造にも応用される可能性があり、再生医療産業全体の発展に貢献することが期待されます。この技術が成功すれば、パーキンソン病患者は、疾患の進行を抑制し、長期にわたるQOLの改善を享受できる可能性があるでしょう。

元記事: <https://www.isscr.org/isscr-news/data-presented-at-isscr-2026-highlight-progress-toward-personalized-stem-cell-therapy-for-parkinsons-disease>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#03 Fate Therapeuticsのオフザセルフ型iPSC由来CAR T細胞療法「FT819」、治療抵抗性全身性強皮症で初期臨床データ発表

公開日 2026年07月09日 EurekAlert! アメリカ



概要

ISSCR 2026で、Fate Therapeutics社が開発するオフザセルフ型iPSC由来CAR T細胞療法「FT819」の新たな予備的臨床データが、治療抵抗性の全身性強皮症患者を対象として発表された。このデータは、進行中のPhase 1バスケット試験の一部であり、FT819が既存の治療選択肢が限られている全身性強皮症に対する有望なアプローチであることを示唆している。オフザセルフ型であるため、個別製造が必要な従来の自家CAR T細胞療法とは異なり、より広範な患者に迅速に治療を提供できる可能性を秘めている。この革新的なアプローチは、自己免疫疾患分野における細胞療法の適用拡大を示すものだ。

主要成果

ISSCR 2026年次総会において、Fate Therapeutics社は、治療抵抗性の全身性強皮症患者を対象としたオフザシェルフ型iPSC由来CAR T細胞療法「FT819」に関する新たな予備的臨床データを発表しました。これは、既存治療に抵抗性を示す患者に対して、限られた選択肢しかない状況で新たな治療アプローチを提供する画期的なものです。

技術・臨床詳細

FT819は、誘導多能性幹細胞（iPSC）から製造される同種異系（オフザシェルフ型）CAR T細胞製品であり、特定の抗原を標的とするように設計されています。全身性強皮症は、皮膚硬化や内臓器線維化を特徴とする慢性自己免疫疾患で、現行の治療法では病気の進行を十分に制御できないことが多いです。今回の予備的データは、FT819がこの疾患において安全性と忍容性を示し、かつ疾患活動性の改善を示す初期兆候があったことを示唆しています。オフザシェルフ型であるため、個々の患者から細胞を採取・加工する必要がなく、製造プロセスを簡素化し、患者への迅速な供給を可能にするという大きな利点があります。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は、当初は血液がん分野で革新的な成果を上げてきましたが、その適用範囲は固形腫瘍や自己免疫疾患へと拡大しています。特に全身性強皮症のような自己免疫疾患では、病原性免疫細胞を標的とすることで疾患活動性を抑制する可能性が探られています。FT819のようなiPSC由来のオフザシェルフ型細胞治療は、個別製造に時間とコストがかかる自家CAR T細胞療法の課題を克服し、より多くの患者にアクセスを提供するための重要な戦略です。この進展は、細胞治療が多様な疾患領域に広がる新たなトレンドを示しています。

今後の展望

今回の予備的臨床データは、全身性強皮症におけるFT819のさらなる開発を支持するものです。今後、Phase 1バスケット試験の継続と、より詳細な安全性および有効性データの収集が期待されます。もしFT819が全身性強皮症に対して持続的な治療効果を示せば、この疾患の治療パラダイムを根本的に変え、患者のQOLを大きく改善する可能性があります。また、この成功は、他の治療抵抗性自己免疫疾患へのiPSC由来CAR T細胞療法の応用を加速させる触媒となるでしょう。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#04 Fate Therapeutics、iPSC由来デュアルCAR T細胞候補「FT839」のFDA IND承認取得、自己免疫・血液悪性腫瘍を対象に2026年後半にPhase 1/2a試験開始へ

公開日 2026年07月09日 GlobeNewswire アメリカ



概要

Fate Therapeuticsは、iPSC由来デュアルCAR T細胞製品候補「FT839」に対するFDAのIND（治験薬）承認を取得したと発表した。FT839はCD19とCD38を同時に標的とするよう設計されており、これにより多岐にわたる自己免疫疾患および血液悪性腫瘍の包括的な治療を目指す。この承認を受け、Phase 1/2バスケット臨床試験が2026年後半に開始される予定である。デュアルCAR T細胞技術は、単一標的療法に比べて治療効果の向上と再発リスクの低減が期待され、新たな治療パラダイムを確立する可能性を秘めている。

詳細

主要成果

Fate Therapeuticsは、2026年7月9日、iPSC由来デュアルCAR T細胞製品候補「FT839」に対する米国食品医薬品局（FDA）のIND（治験薬）申請が承認されたことを発表しました。この承認により、FT839は自己免疫疾患および血液悪性腫瘍を対象としたPhase 1/2 バスケット臨床試験を2026年後半に開始することが可能となります。

技術・臨床詳細

FT839は、Fate Therapeutics独自の誘導多能性幹細胞（iPSC）プラットフォームから製造された画期的な治療薬候補です。この細胞療法は、CD19とCD38という二つの異なる細胞表面抗原を同時に標的とする「デュアルCAR」設計を採用しています。CD19はB細胞悪性腫瘍や一部の自己免疫疾患で広く発現しており、CD38は多発性骨髄腫などの形質細胞性悪性腫瘍や特定の自己免疫疾患でターゲットとされています。デュアルターゲティング戦略は、抗原逃避メカニズムによる治療抵抗性を克服し、より広範で持続的な治療効果を狙うものです。Phase 1/2バスケット試験では、複数の疾患コホートでFT839の安全性、忍容性、および予備的有效性を評価します。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は、血液がんにおいて劇的な成功を収めてきましたが、固形腫瘍や自己免疫疾患への適用拡大、および抗原逃避による再発といった課題に直面しています。オフザセルフ型（同種異系）iPSC由来CAR T細胞は、個別の患者ごとに細胞を製造する手間や時間を省き、治療コストを削減する可能性を秘めています。また、FT839のようなデュアルCAR設計は、単一抗原療法が直面する限界を乗り越え、より強固な治療応答を引き出すことを目指しています。この進展は、細胞治療技術の革新が新たな疾患領域へ拡大し、治療の有効性とアクセス性を同時に高めるための重要な一歩となります。

今後の展望

FT839のIND承認は、Fate TherapeuticsのiPSC由来細胞治療パイプラインにおける重要なマイルストーンです。2026年後半に予定されている臨床試験の開始は、自己免疫疾患と血液悪性腫瘍の両方に対する治療の可能性を大きく広げることになります。デュアルCAR戦略が臨床で成功すれば、これらの疾患における治療の標準を変革し、患者に持続的な奏功をもたらす新たな治療法を提供するでしょう。今後のデータ発表が期待されます。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#05 REPROCELL、HLAノックアウトによる免疫回避型iPSC「StemEdit」を発表、オフザセルフ型細胞療法の開発を加速

公開日 2026年07月16日 REPROCELL (Blog) 日本



概要

REPROCELLは、高効率ゲノム編集技術と規制準拠細胞株を組み合わせ、HLAノックアウト免疫回避型iPSCライン「StemEdit hypoimmune iPSCs」を発表した。この技術は、同種異系細胞移植における主要な課題である免疫拒絶反応を軽減することを目的としている。StemEdit hypoimmune iPSCsは、研究開発だけでなく、スケーラブルなオフザセルフ型細胞療法の臨床応用を支援する可能性を秘めている。これにより、製造の簡素化と患者アクセスの拡大が期待され、再生医療の普及に大きく貢献するだろう。

詳細

主要成果

2026年7月16日、REPROCELLは、免疫拒絶反応を軽減する新しい誘導多能性幹細胞（iPSC）ラインである「StemEdit hypoimmune iPSCs」の提供開始を発表しました。この細胞株は、高度なゲノム編集技術によって主要組織適合遺伝子複合体（HLA）がノックアウトされており、同種異系細胞療法における免疫拒絶という長年の課題を解決することを目指しています。

技術・臨床詳細

StemEdit hypoimmune iPSCsは、特定のHLA遺伝子座を正確にノックアウトすることで、移植後にレシピエントの免疫系に認識されにくくなるように設計されています。この「免疫回避」特性により、理論上は患者が免疫抑制剤を服用することなく、同種異系のiPSC由来細胞を移植することが可能になります。REPROCELLは、この技術が「高効率ゲノム編集技術」と「規制に準拠した細胞株」の組み合わせによって実現されたと強調しており、研究用途だけでなく、将来的な臨床応用にも適していると説明しています。これにより、ドナーマッチングの必要性を減らし、治療の迅速性、コスト効率、そして最終的なスケーラビリティが大幅に向上します。

背景・業界文脈

iPSC技術は、再生医療において多大な可能性を秘めていますが、他人のiPSC由来細胞を移植する「同種異系」アプローチでは、患者の免疫系が移植細胞を異物として認識し、拒絶反応を起こすという根本的な問題に直面していました。これを回避するためには、生涯にわたる免疫抑制剤の服用が必要となり、感染症やがんなどのリスクを伴います。StemEdit hypoimmune iPSCsのような免疫回避型細胞の開発は、この問題を解決するための極めて重要なステップであり、オフザシェルフ型細胞療法の実現に向けた大きな障壁を取り除くものです。これにより、iPSCベースの細胞治療がより広く普及するための道筋が開かれることになります。

今後の展望

StemEdit hypoimmune iPSCsは、基礎研究から臨床応用まで幅広い分野での活用が期待されます。特に、オフザセルフ型細胞療法の開発を目指す製薬企業や研究機関にとって、免疫拒絶リスクのない細胞源は極めて価値の高いリソースとなるでしょう。この技術が成功すれば、神経変性疾患、心臓病、糖尿病など、様々な疾患に対する細胞治療において、より安全で効果的な同種異系治療法の開発が加速し、最終的には多くの患者のQOL向上に貢献することが期待されます。REPROCELLは、この技術を通じて再生医療の産業化に貢献することを目指しています。

元記事: <#>

#06 FDA、再生医療先端治療（RMAT）指定が累計165件に到達：Rocket Pharmaceuticalsが5件、CRISPR Therapeuticsが4件取得

公開日 2026年07月15日 BioInformant アメリカ



概要

2026年7月15日時点で、米国食品医薬品局（FDA）が公表した再生医療先端治療（RMAT）指定の累積数が165件に達したことが報告された。特に、Rocket Pharmaceuticalsが5件、CRISPR Therapeuticsが4件のRMAT指定を獲得し、この分野を牽引している。RMAT指定は、再生医療製品および遺伝子治療製品の迅速な規制承認を促進するために設計されており、重篤な疾患に対する革新的な治療法開発の進展を強く示唆している。これにより、がんや希少疾患を含む多様な治療分野で新たな希望が生まれている。

主要成果

2026年7月15日の最新データ更新により、米国FDAが公表した再生医療先端治療（RMAT）指定の累積数が、プログラム開始以来165件に到達したことが明らかになりました。この指定制度は、革新的な再生医療製品の市場投入を加速させることを目的としており、今回のデータは再生医療分野の活発な成長を示しています。特に、Rocket Pharmaceuticalsが5件、CRISPR Therapeuticsが4件のRMAT指定を取得しており、この分野における主要なイノベーターとしての地位を確立しています。

技術・臨床詳細

RMAT指定は、重篤な疾患や生命を脅かす疾患を治療することを意図した再生医療製品（細胞治療、遺伝子治療、組織工学製品、細胞・組織由来製品）に対して与えられます。この指定により、FDAからの集中的なガイダンス、早期の相互作用、迅速審査、ブレイクスルー治療薬指定と同様の特典が提供され、承認プロセスが大幅に効率化されます。RMAT指定の対象となる製品は、多くの場合、初期臨床データにおいて、既存の治療法と比較して臨床的に意義のある改善を示すものです。これにより、患者はより迅速に有望な治療法にアクセスできるようになります。

背景・業界文脈

FDAのRMAT指定プログラムは、21世紀キュアーズ法（21st Century Cures Act）に基づき2017年に創設されました。その目的は、再生医療分野の急速な進展に対応し、画期的な治療法が患者に届くまでの時間を短縮することにあります。RMAT指定の増加は、この分野の研究開発が活発化しているだけでなく、企業が開発する製品が初期段階から高い臨床的ポテンシャルを持っていることを示しています。Rocket Pharmaceuticalsは希少疾患の遺伝子治療に、CRISPR Therapeuticsは遺伝子編集治療に注力しており、それぞれの分野でRMAT指定を複数獲得していることは、彼らのパイプラインの深さと技術的優位性を反映しています。

今後の展望

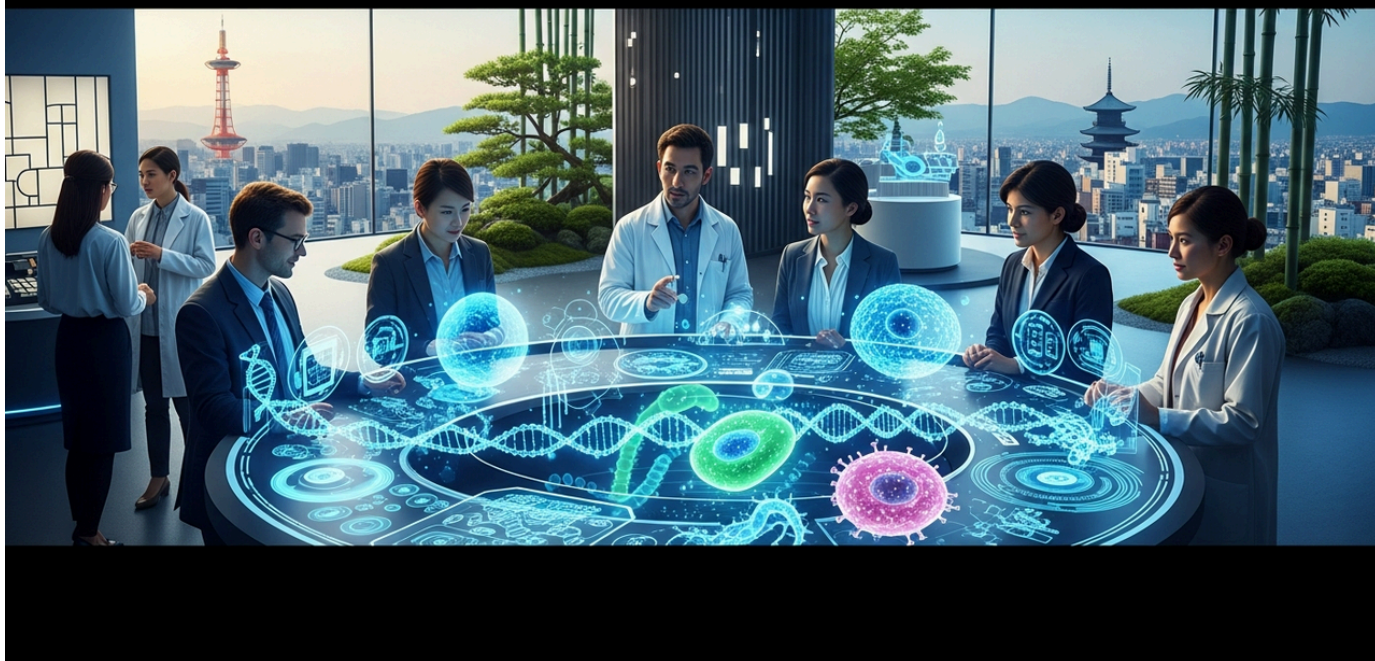
RMAT指定の継続的な増加は、再生医療および遺伝子治療製品の承認プロセスがさらに加速されることを意味します。これにより、未だ満たされていない医療ニーズを持つ患者に対し、より多くの革新的な治療法が提供される可能性が高まります。今後も、がん、遺伝性疾患、神経変性疾患など、多岐にわたる疾患領域でのRMAT指定の動向が注目され、これらの指定を受けた製品が早期に市場に導入されることで、医療現場に大きな変革をもたらすことが期待されます。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#07 iPSC発見20周年記念シンポジウム、2026年10月にISSCR主催で京都開催決定

公開日 2026年07月09日 International Society for Stem Cell Research (ISSCR) 日本



概要

国際幹細胞学会（ISSCR）は、誘導多能性幹細胞（iPSC）の発見20周年を記念するシンポジウムを、2026年10月に日本の京都で開催すると発表した。この記念イベントは、iPSC研究の過去20年間の目覚ましい進歩を振り返り、幹細胞科学と再生医療の今後の方向性を探る重要な機会となる。7月29日まで抽象演題の提出を受け付けており、世界中の幹細胞研究者が最新のイノベーションを集結させる場となることが期待される。京都はiPSCが発見された地であり、開催地としての象徴的な意義も大きい。

主要成果

2026年7月9日、国際幹細胞学会（ISSCR）は、誘導多能性幹細胞（iPSC）の画期的な発見から20周年を記念する特別シンポジウムを、2026年10月にiPSC発祥の地である日本の京都で開催することを発表しました。このイベントは、iPSC研究の歴史的成果と将来の展望を議論する重要なプラットフォームとなります。

技術・臨床詳細

iPSCは、2006年に京都大学の山中伸弥教授（当時）によって初めて作製され、医療と生物学研究に革命をもたらしました。この20年間で、iPSCは疾患モデルの作製、創薬スクリーニング、そして再生医療における細胞ソースとして広く活用されるようになりました。シンポジウムでは、iPSCの基礎生物学、ゲノム編集による機能強化、安全性と臨床応用への課題、そして様々な疾患に対する細胞治療開発の最新動向など、多岐にわたるテーマが取り上げられる予定です。また、抽象演題の提出が7月29日まで受け付けられており、世界中の研究者がそれぞれの最新の研究成果を発表する機会となります。

背景・業界文脈

iPSCの発見は、倫理的懸念のあった胚性幹細胞（ES細胞）に代わる多能性幹細胞源として、再生医療研究の勢いを加速させました。患者自身の体細胞からiPSCを作成できるため、免疫拒絶のリスクを低減できるという画期的な利点があります。この20年間で、iPSCはパーキンソン病、脊髄損傷、心不全、網膜疾患、糖尿病など、多くの難病に対する治療開発の基盤となってきました。この記念シンポジウムは、その科学的・臨床的影響を再認識し、次の20年間の研究方向性を形成する上で極めて重要です。

今後の展望

iPSC 20周年記念シンポジウムは、世界中の著名な科学者、臨床医、業界リーダーが一堂に会し、幹細胞研究の未来を形作る議論を深める場となるでしょう。ここで発表される最先端の研究成果や技術革新は、iPSCベースの治療法がさらに多くの疾患に適用され、より安全かつ効果的なものとなるための新たな方向性を示すことが期待されます。また、京都という象徴的な場所での開催は、iPSC研究の国際的な連携と協力関係を一層強化する機会ともなります。今後のiPSC研究の進展に大きな影響を与えるイベントとなることは間違いありません。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#08 FDAの再生医療先端治療（RMAT）指定、2025年に過去最高の48件を記録し、累計指定の48%を過去2年間で占める

公開日 2026年07月13日 PharmaLive アメリカ

TEMHNEWS



A Record High of 48 designations in 2025

概要

GlobalDataの報告によれば、米国食品医薬品局（FDA）による再生医療先端治療（RMAT）指定数が2025年に過去最高の48件に達し、2024年と2025年の合計でプログラム開始以来の全RMAT指定の48%を占めていることが明らかになった。この急増は、臨床段階の再生医療パイプラインが大幅に拡大していることと、より多くの革新的な治療法が規制審査へと急速に進んでいることを示唆している。RMAT指定は、重篤な疾患に対する治療の迅速な市場導入を目的としており、患者への新たな治療機会を創出する上で極めて重要である。

主要成果

GlobalDataの最新報告によると、米国食品医薬品局（FDA）の再生医療先端治療（RMAT）指定数が2025年に過去最高の48件に到達したことが発表されました。この記録的な数値は、2024年と2025年の2年間だけで、RMATプログラム開始以来の全指定件数の48%を占めることを意味し、再生医療分野の驚異的な成長と規制当局の承認加速の傾向を明確に示しています。

技術・臨床詳細

RMAT指定は、重篤な疾患や生命を脅かす疾患の治療を目的とした再生医療製品（細胞治療、遺伝子治療、組織工学製品など）に与えられる特別な迅速承認パスです。この指定により、開発企業はFDAからの集中的なガイダンス、早期の協議、および優先審査の恩恵を受け、市場投入までの期間を大幅に短縮できます。対象となる製品は、通常、既存の治療法と比較して臨床的に意義のある改善を示す初期臨床データに基づいています。2024年と2025年の指定件数の急増は、臨床段階にある革新的な再生医療製品の数が増加していることを強く裏付けています。

背景・業界文脈

RMAT指定制度は、21世紀キュアーズ法に基づき、再生医療製品の迅速な開発と承認を促進するために2017年に導入されました。この制度は、特に未だ満たされていない医療ニーズを持つ疾患領域において、患者に画期的な治療法を早期に提供することを目的としています。過去2年間でRMAT指定がこれほど急増したことは、再生医療技術の成熟と、それに伴う企業の臨床開発戦略の成功を示唆しています。このトレンドは、投資家、製薬企業、そして患者コミュニティにとって、再生医療がもはや実験的な領域ではなく、主流の医療となる段階に入ったことを示唆する重要な指標となります。

今後の展望

RMAT指定数の継続的な増加は、今後も再生医療製品の規制審査が加速し、市場投入が促進されることを強く示唆しています。これにより、がん、希少遺伝性疾患、心血管疾患、神経変性疾患など、広範な疾患領域で新たな治療選択肢が提供されることが期待されます。開発企業は、RMAT指定の恩恵を最大限に活用し、臨床試験の効率化と早期承認を目指すでしょう。この動向は、再生医療市場のさらなる拡大と、技術革新が医療の未来を形作る上で中心的役割を果たすことを予測させます。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#09 CAR T細胞療法、適応疾患の拡大と製造効率化で普及期へ：自己免疫疾患への応用とオフザセルフ化が鍵

公開日 2026年07月13日 AJMC アメリカ



概要

このレビュー記事は、CAR T細胞療法が再発・難治性B細胞悪性腫瘍での成功を経て、自己免疫疾患などの非腫瘍分野への適応拡大と、オフザセルフ型細胞療法による製造効率化を通じて普及期に入りつつあると指摘している。初期の自家CAR T細胞療法から始まり、治療パラダイムを再定義するに至った進歩が詳細に検討され、そのスケーラビリティとアクセス性を高めるための技術的ブレークスルーが強調された。これにより、CAR T細胞療法はより広範な患者集団にとって現実的な治療選択肢となり、医療システム全体への影響が拡大することが期待される。

主要成果

2026年7月13日付のレビュー記事は、CAR T細胞療法がその臨床的進歩、適応症の拡大、および製造効率化により、幅広い疾患に対する治療選択肢として普及期に入りつつあると包括的に考察しています。特に、自己免疫疾患などの非腫瘍分野への適用拡大と、オフザシェルフ型CAR T細胞療法の実用化が、今後の治療アクセスを決定づける鍵となると論じています。

技術・臨床詳細

CAR T細胞療法は、患者自身のT細胞を遺伝子改変してがんと戦う能力を付与する自家療法として始まり、再発・難治性B細胞悪性腫瘍において劇的な治療効果を示してきました。しかし、その高コスト、製造期間、個別化された複雑なサプライチェーンが普及の障壁となっていました。本レビューでは、これらの課題を克服するための重要な進展として、以下の点が強調されています。

- **適応症の拡大:** 血液がんだけでなく、固形腫瘍（例: 卵巣がん、膵臓がん）や、自己免疫疾患（例: 全身性エリテマトーデス、多発性硬化症）への臨床応用が急速に進んでいます。
- **オフザシェルフ型CAR T細胞療法:** iPSC由来やドナーT細胞由来の同種異系CAR T細胞は、事前に製造・凍結保存が可能であり、必要な時に迅速に投与できるため、製造コストと時間を大幅に削減し、広範な患者へのアクセスを可能にします。
- **製造プロセスの効率化:** 自動化された製造システム、ウイルスベクターに代わる非ウイルス性の遺伝子導入技術、および細胞培養の最適化により、生産規模の拡大とコスト削減が図られています。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は「生きた薬」として、これまでの治療概念を根本から変えましたが、初期の成功は限られた血液がんにとどまり、製造の複雑さからアクセスも限定的でした。このレビューは、技術の進化がこれらの初期の限界をどのように克服し、CAR Tがより成熟した治療モダリティへと変貌しているかを示しています。製薬企業は、自家療法から同種異系療法への移行、そしてより効率的な製造インフラの構築に注力しており、これは市場規模の拡大と競争激化を意味します。また、自己免疫疾患への拡大は、CAR T細胞療法の市場ポテンシャルを飛躍的に高めるものです。

今後の展望

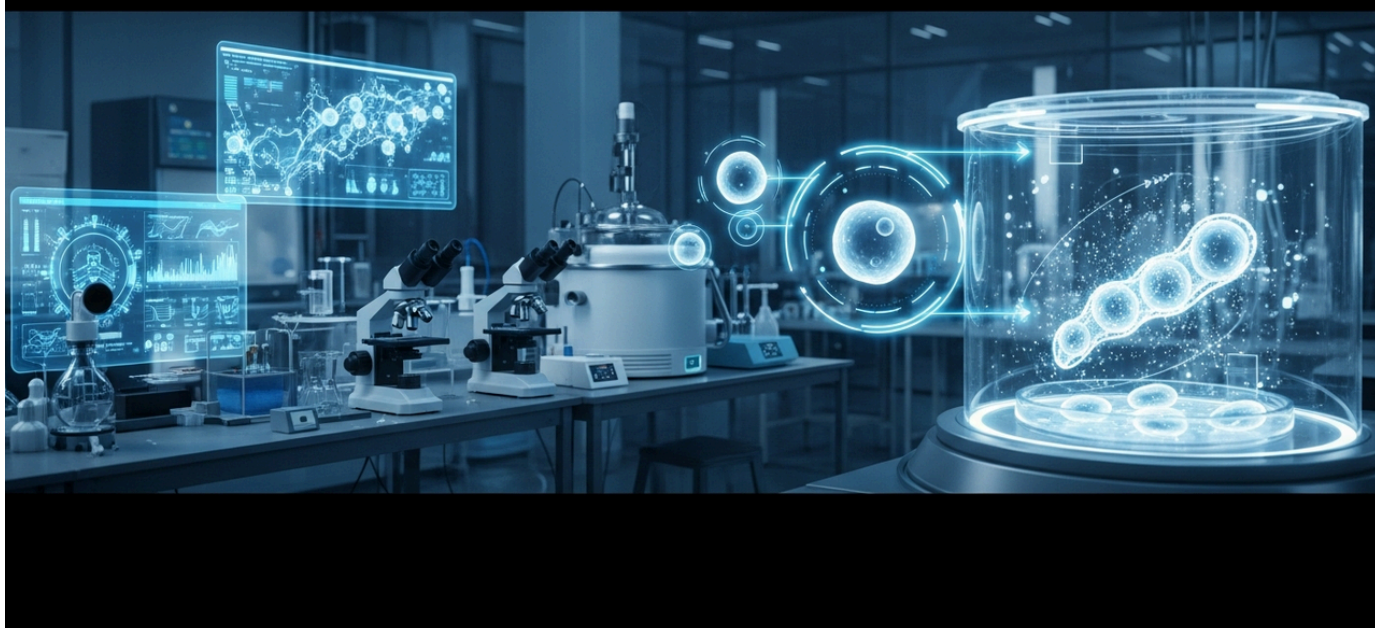
CAR T細胞療法の将来は、技術革新と規制の進展にかかっています。オフザシェルフ型の普及により、治療のタイムラインが短縮され、より多くの医療機関で実施可能となることで、患者の地理的なアクセスも向上するでしょう。また、バイオマーカーによる患者選択の最適化や、毒性管理の改善も重要です。この治療法が確立されれば、がんや自己免疫疾患の治療において新たな標準治療となる可能性を秘めており、今後の研究開発の動向が医療界全体から注目されています。

元記事: <https://www.ajmc.com/view/car-t-cell-therapy-in-2026-evolving-evidence-expanding-indications-path-to-broader-access>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#10 Century Therapeutics、1型糖尿病向けiPSC由来膵島置換療法「CNTY-813」の前臨床データを発表、免疫回避技術「Allo-Evasion™ 5.0」で全身性免疫抑制不要を目指し2026年第4四半期にIND申請

公開日 2026年07月09日 GlobeNewswire (Century Therapeutics) アメリカ



概要

Century Therapeuticsは、1型糖尿病患者を対象としたiPSC由来膵島置換療法「CNTY-813」の前臨床データが、EASD 2026およびBreakthrough T1D会議で口頭発表されると発表した。同製品は、独自の免疫回避技術「Allo-Evasion™ 5.0」を用いて設計されており、慢性的な全身性免疫抑制なしに耐久性のある生着を可能にすることを目指している。この画期的なアプローチにより、1型糖尿病の機能的治癒を実現し、患者のQOLを飛躍的に向上させる可能性を秘めており、同社は2026年第4四半期にCNTY-813のIND申請を目標としている。

主要成果

2026年7月9日、Century Therapeuticsは、1型糖尿病患者を対象とした誘導多能性幹細胞（iPSC）由来膵島置換療法「CNTY-813」の有望な前臨床データが、EASD 2026（欧州糖尿病学会）およびBreakthrough T1D®臨床・研究会議2026で口頭発表されることを発表しました。この成果は、同社の独自の免疫回避技術「Allo-Evasion™ 5.0」を基盤とし、慢性的な全身性免疫抑制剤の不要な、耐久性のある細胞生着を目指すものです。

技術・臨床詳細

CNTY-813は、遺伝子編集されたiPSCから分化誘導された膵島細胞であり、特に1型糖尿病の機能的治癒を目的としています。従来の膵島移植では、免疫拒絶を避けるために強力な免疫抑制剤の生涯にわたる服用が必須でしたが、これにより患者は感染症や他の重篤な合併症のリスクにさらされていました。Century TherapeuticsのAllo-Evasion™ 5.0技術は、これらの免疫抑制剤の必要性を排除することを目指しています。このプラットフォームは、iPSCに複数の遺伝子改変を施し、自然免疫系および適応免疫系の両方からの攻撃を回避するように設計されています。前臨床研究では、CNTY-813が免疫学的にチャレンジされた環境下でも安定して機能し、インスリンを産生し続けることが確認されており、糖尿病モデルにおいて血糖値の長期的な正常化を示唆するデータが得られています。IND申請に向けて、安全性プロファイルと製造プロセスも確立されています。

背景・業界文脈

1型糖尿病は、自己免疫反応により膵臓のインスリン産生細胞が破壊される慢性疾患であり、インスリン注射による血糖管理が不可欠です。しかし、インスリン注射だけでは完全な血糖コントロールは難しく、合併症のリスクが依然として高いです。iPSC由来膵島細胞移植は、失われたインスリン産生細胞を補充することで、疾患の根本的な解決を目指すアプローチとして大きな期待が寄せられています。特に、免疫回避技術の統合は、オフザシェルフ型（同種異系）細胞療法の実現を可能にし、より広範な患者に治療を提供できる道を開くため、医療経済的にも大きな影響が予想されます。

今後の展望

Century Therapeuticsは、2026年第4四半期にCNTY-813のIND申請を目標としており、これによりヒトでの臨床試験が開始される予定です。この前臨床データの発表とIND申請の目標は、1型糖尿病治療の分野における画期的な進展であり、免疫抑制剤なしでの機能的治癒という究極の目標に一步近づくものです。臨床試験での成功は、1型糖尿病患者の生活を根本的に改善し、再生医療分野全体に大きな影響を与えることが期待されます。Allo-Evasion™ 5.0プラットフォームは、CNTY-813だけでなく、他の同種異系細胞療法製品の開発にも応用される可能性があります。

元記事: <#>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#11 遺伝子・細胞治療分野に複数の進展：Orca BioのTREGZIがFDA承認、Vertex/CRISPRのCASGEVYは小児適応拡大、CarsgenのSatri-celが中国承認

公開日 2026年07月09日 YouTube (LucidQuest) アメリカ, 中国



概要

2026年7月9日の遺伝子・細胞治療アップデートによると、Orca Bioの精密工学細胞療法「TREGZI」がFDA承認を受け、血液悪性腫瘍におけるマッチドナー同種移植に新たな選択肢を提供した。Vertex/CRISPR Therapeuticsの「CASGEVY」は2歳以上の小児患者に適用拡大され、鎌状赤血球症および輸血依存性βサラセミアの治療アクセスが向上した。さらに、Carsgen Therapeuticsの「Satri-cel」が中国で承認され、固形腫瘍に対するCAR T細胞療法の重要なマイルストーンを確立した。これらの進展は、遺伝子・細胞治療が多様な疾患領域で新たな治療パラダイムを確立し、患者のQOL向上に貢献する可能性を示している。

主要成果

2026年7月9日に発表された遺伝子・細胞治療の最新情報では、複数の重要な進展が報告されました。Orca Bioの精密工学細胞療法「TREGZI」が米国FDAの承認を取得し、血液悪性腫瘍患者に対するマッチドナー同種移植に新たな治療オプションをもたらしました。また、Vertex PharmaceuticalsとCRISPR Therapeuticsが開発した遺伝子編集療法「CASGEVY」は、2歳以上の小児患者に適用が拡大され、鎌状赤血球症および輸血依存性βサラセミアの治療アクセスが向上しました。さらに、Carsgen TherapeuticsのCAR T細胞療法「Satri-cel」が中国で承認され、固形腫瘍に対するCAR T細胞療法の進展における重要なマイルストーンとなりました。

技術・臨床詳細

- **Orca BioのTREGZI:** TREGZIは、造血幹細胞移植における重篤な合併症である移植片対宿主病（GvHD）のリスクを低減することを目的とした、精密に設計されたT細胞サブセット製品です。FDA承認は、血液悪性腫瘍患者のマッチドナー同種移植後のGvHD発症率と重症度を改善する可能性を示唆しています。この治療法は、ドナーの細胞を最適化することで、移植の安全性と有効性を高めることを目指します。
- **Vertex/CRISPR TherapeuticsのCASGEVY:** CASGEVYは、CRISPR/Cas9遺伝子編集技術を用いた初の承認済み治療法であり、鎌状赤血球症および輸血依存性βサラセミアに対する画期的なアプローチを提供します。今回の2歳以上の小児患者への適用拡大は、小児期の早期に治療を開始することで、これらの遺伝性疾患に苦しむ患者の長期的な予後を改善する可能性を秘めています。これは、遺伝子編集技術の臨床応用における重要な進展を示しています。
- **Carsgen TherapeuticsのSatri-cel:** Satri-celは、中国で承認された固形腫瘍に対する初のCAR T細胞療法の一つです。この承認は、CAR T細胞療法がこれまでの血液がんに加えて、治療が困難な固形腫瘍にも効果を示す可能性を示し、がん免疫療法の新たなフロンティアを開拓するものです。固形腫瘍におけるCAR T細胞療法の課題（腫瘍微小環境、標的抗原の均一性など）を克服するための技術的進歩が評価されたものと考えられます。

背景・業界文脈

これらの承認や適用拡大は、遺伝子・細胞治療分野が急速に成熟し、多様な疾患領域で臨床的な成功を収めている現状を反映しています。GvHDの管理、遺伝性血液疾患の根本的治療、そして固形腫瘍へのCAR Tの応用は、それぞれがこれまで満たされていなかった医療ニーズに対応する重要な進展です。規制当局も、これらの革新的な治療法へのアクセスを加速させるための枠組みを整備しており、今後の更なる発展が期待されます。

今後の展望

これらの製品の承認と適用拡大は、患者にとって新たな治療の選択肢をもたらし、それぞれの疾患の治療成績を大きく向上させる可能性があります。TREGZIは移植医療の安全性を高め、CASGEVYは小児期からの根本的治療を可能にし、Satri-cellは固形腫瘍治療におけるCAR T細胞療法の新たな応用を切り開くでしょう。これらの成功は、遺伝子・細胞治療の研究開発への投資をさらに促進し、今後数年間でさらに多くの画期的な治療法が登場することを示唆しています。

元記事: <#>

#12 NIH資金提供研究、小型CRISPR酵素「Al3Cas12f」を発見：AAVベクター搭載可能でin vivo精密遺伝子デリバリーの道を拓く

公開日 2026年07月15日 National Institutes of Health (NIH) アメリカ



概要

米国国立衛生研究所（NIH）が資金提供する研究チームが、体内で標的型デリバリーを可能にする、強化された小型CRISPR遺伝子編集システムを発見した。この「Al3Cas12f」と呼ばれる天然酵素は、遺伝子治療の主要な送達方法であるアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターに収まるほど小型であることが特徴である。このブレークスルーは、CRISPR技術の主要な限界の一つであったin vivoでの効率的な送達に対応するものであり、将来の精密遺伝子治療において広範な応用が期待される。これにより、より多くの疾患に対する遺伝子治療の実現可能性が大幅に向上するだろう。

主要成果

2026年7月15日、米国国立衛生研究所（NIH）が資金提供する研究チームは、体内で標的型遺伝子デリバリーを可能にする、画期的な小型CRISPR遺伝子編集酵素「Al3Cas12f」を発見したと発表しました。この天然由来の酵素は、遺伝子治療において最も広く利用されているアデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターに効率的に搭載できるサイズであることが、最大の特長です。

技術・臨床詳細

CRISPR-Casシステムは、特定のDNA配列を正確に切断・編集する能力により、遺伝子治療に革命をもたらしましたが、その実用化における大きな課題の一つは、Casタンパク質を細胞内、特に生体内の標的組織に効率的に送達することでした。多くのCas酵素はサイズが大きく、AAVのような汎用性の高いウイルスベクターの積載能力を超えていました。Al3Cas12fは、その小型サイズ（従来型Cas9の約半分）と、効率的なDNA切断活性を両立させることで、この課題を克服しました。AAVベクターに搭載することで、脳、肝臓、筋肉など、様々な組織に遺伝子編集ツールを安全かつ効果的に送達することが可能になります。これにより、これまで難しかったin vivoでの遺伝子治療アプローチが、さらに現実的なものとなります。

背景・業界文脈

in vivo遺伝子治療は、体外で細胞を操作する手間を省き、より侵襲性が低く、簡便な治療法として期待されています。しかし、CRISPRシステムのin vivoデリバリーは、ウイルスベクターの容量制限、免疫原性、オフターゲット効果などの技術的障壁に直面してきました。Al3Cas12fの発見は、ウイルスベクターの積載量を最大化し、標的特異性を維持しつつ、より多くの遺伝子治療薬候補をAAVパッケージングに適合させるための重要な道を開きます。これは、遺伝子治療全体、特に遺伝性疾患や慢性疾患に対する治療開発を加速させる上で、極めて重要なブレークスルーとなります。

今後の展望

Al3Cas12f酵素の発見は、CRISPRベースの遺伝子治療の臨床応用を大きく前進させるものです。今後、この小型CRISPRシステムを用いたin vivo遺伝子治療の安全性と有効性を評価するための前臨床研究および臨床試験が加速されるでしょう。特に、これまでAAVの積載制限によりデリバリーが困難だった大規模遺伝子に対する治療や、複数の遺伝子を同時に編集する必要がある疾患に対するアプローチにおいて、Al3Cas12fは新たな可能性を提示します。この技術は、遺伝性疾患、がん、感染症など、幅広い疾患領域における治療法の開発に革命をもたらし、患者にとってより安全で効果的な遺伝子治療の選択肢を提供する未来を切り拓くことが期待されます。

元記事: #

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#13 宇宙で培養された臓器オルガノイドとプロテオミクス、レトロ症候群やがんを含むヒト疾患研究の新たな地平を拓く

公開日 2026年07月17日 Scientific News Outlet アメリカ



The Horizons in human disease research Organoids culture & space and Proteomics

概要

2026年7月17日、宇宙で培養された臓器オルガノイドとプロテオミクス技術の融合が、レトロ症候群やがんといったヒトの複雑な疾患研究を大きく進展させていることが報告された。患者由来のiPSCから生成されるオルガノイドは、動物モデルよりも忠実にヒトの生理的反応や病態を再現できる3D組織モデルとして機能する。宇宙空間の微小重力環境は、地球上では再現困難なユニークな生物学的プロセスを促進し、疾患メカニズムの解明と治療法開発に新たな機会を提供している。この革新的なアプローチは、個別化医療と創薬の未来を加速させる可能性を秘めている。

主要成果

2026年7月17日、宇宙空間で培養された臓器オルガノイドとプロテオミクス技術の組み合わせが、レトロ症候群やがんを含むヒトの複雑な疾患研究において画期的な進展をもたらしていることが報告されました。この最先端研究は、宇宙のユニークな環境が生物学的プロセスの理解に新たな洞察を提供する可能性を示しています。

技術・臨床詳細

オルガノイドは、患者由来の誘導多能性幹細胞（iPSC）から作製される3D組織モデルであり、特定の臓器の複雑な構造と機能をin vitroで再現する能力を持っています。これらのオルガノイドを宇宙空間、特に微小重力環境下で培養することで、地球上では得られない細胞の成長パターンや分化状態が観察されました。微小重力は、細胞の接着、分化、遺伝子発現に影響を与えることが知られており、これによりオルガノイドはより成熟した、あるいは病態をより忠実に模倣した構造を形成する可能性があります。これと並行して、プロテオミクス（タンパク質の大規模解析）技術が用いられ、宇宙環境がオルガノイドのタンパク質発現プロファイルに与える影響を詳細に分析しました。この統合的なアプローチにより、レトロ症候群のようなウイルス関連疾患やがんの複雑なメカニズムについて、動物モデルよりも関連性の高い知見が得られています。

背景・業界文脈

従来の疾患研究では、動物モデルが広く用いられてきましたが、ヒトの疾患との間に種差があることが課題でした。オルガノイド技術は、この課題を克服し、よりヒトに近い疾患モデルを提供するものとして急速に発展しています。さらに、宇宙空間での研究は、微小重力、放射線、閉鎖環境ストレスといった地球上では制御が難しい要因が生物学的システムに与える影響を調査するためのユニークな実験場となります。これらの研究は、宇宙飛行士の健康維持だけでなく、地上での疾患研究や創薬にも応用可能な、普遍的な生物学的原則の発見につながる可能性があります。この分野への投資は、個別化医療や再生医療の未来を加速させるものとして注目されています。

今後の展望

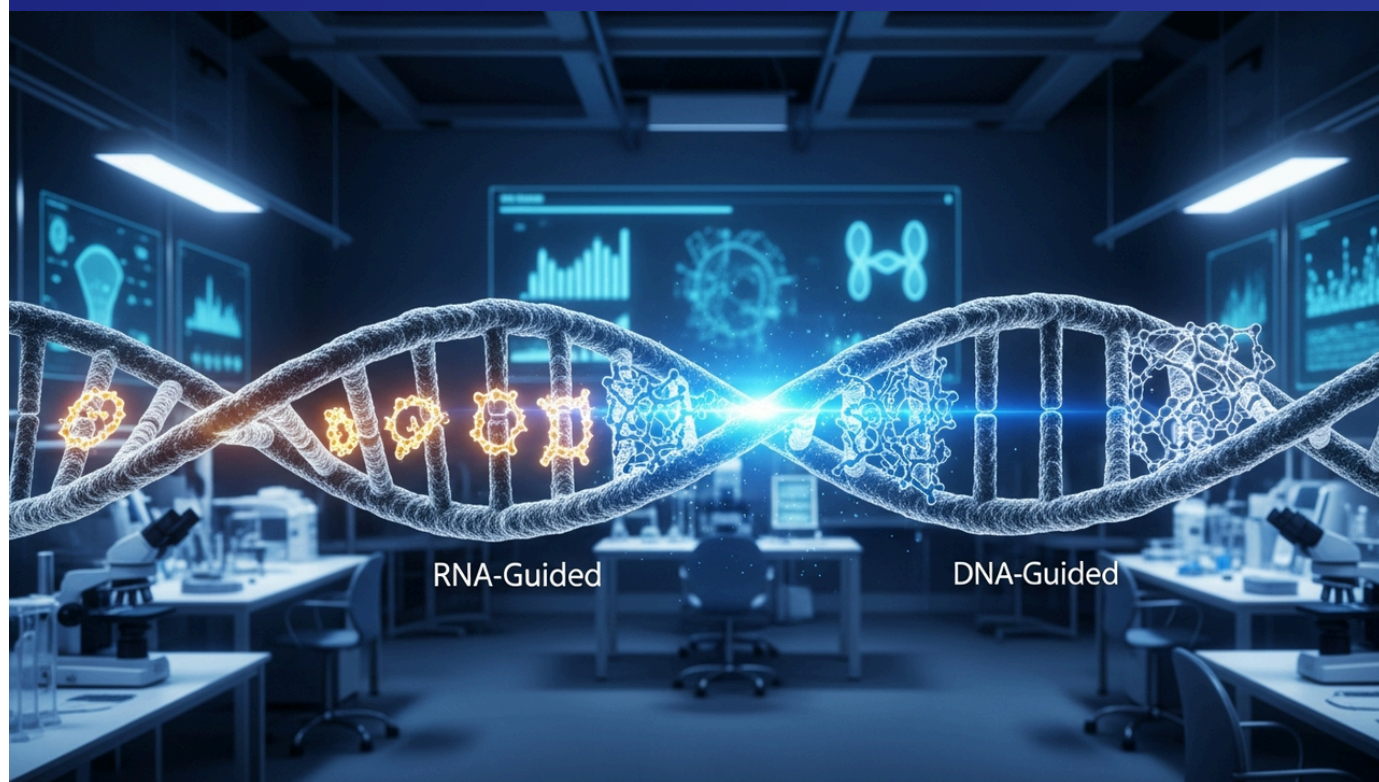
宇宙で培養されたオルガノイドとプロテオミクスを組み合わせた研究は、ヒト疾患の理解と新たな治療法開発に画期的な視点を提供します。今後、このアプローチを用いて、薬物スクリーニングの効率化、個別化医療の進展、そして難治性疾患のより正確な病態モデルの構築が期待されます。宇宙研究の進展は、地球上の医療課題を解決する新たなツールとして、その潜在能力を拡大し続けるでしょう。この分野のさらなる技術革新と国際協力により、疾患との闘いにおける新たな時代が切り開かれることが期待されます。

元記事: <https://www.space.com/technology/space-medicine-breakthrough-kidney-and-liver-tissue-bioprinted-off-earth-for-1st-time-ever>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#14 CRISPR遺伝子編集、RNAガイドからDNAガイドシステムへの移行で標的化精度が向上する可能性

公開日 2026年07月15日 Liv Hospital トルコ



概要

Liv Hospitalからの最新情報によると、CRISPR遺伝子編集技術において、遺伝子標的化の大きな変化としてRNAガイドシステムからDNAガイドシステムへの移行が示唆された。この転換は、遺伝子治療の精度と特異性を大幅に向上させる可能性を秘めている。Casgevyの小児患者向け第III相試験の進展や、小型のAl3Cas12酵素のような標的型デリバリーシステムのブレークスルーが強調されており、CRISPR技術がより安全で効果的な治療法へと進化していることを示す。これにより、オフターゲット効果のリスクが低減され、治療の信頼性が高まることが期待される。

主要成果

2026年7月15日、Liv Hospitalから報告されたCRISPR遺伝子編集に関する最新情報では、遺伝子標的化のシステムがRNAガイドからDNAガイドへと移行しているという重要な変化が強調されました。この技術的な進化は、遺伝子治療の精度と特異性を飛躍的に向上させる可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

従来のCRISPR-Cas9システムは、ガイドRNA（gRNA）が標的DNA配列を認識し、Cas9酵素がDNAを切断するというメカニズムに基づいています。しかし、RNAガイドは細胞内で不安定であったり、オフターゲット効果を引き起こす可能性が指摘されていました。DNAガイドシステムへの移行は、この課題を解決するためのものであり、より安定した標的認識と正確な編集を可能にすると考えられています。具体的なDNAガイドシステムのメカニズムは詳細には説明されていませんが、一般的にDNAはRNAよりも安定しており、より特異的な結合を形成する可能性があります。この精度の向上は、意図しない遺伝子編集による副作用のリスクを低減し、治療の安全性を高める上で極めて重要です。また、このニュースでは、鎌状赤血球症患者を対象としたCasgevyの小児向け第III相試験の進展や、小型Cas酵素であるAl3Cas12fのようなin vivoデリバリーシステムのブレークスルーも、CRISPR技術の進化の例として挙げられています。これらの進展は、CRISPR技術が単なる研究ツールから、より洗練された臨床治療モダリティへと移行していることを示しています。

背景・業界文脈

CRISPR技術は、その開発以来、生命科学研究に革命をもたらし、遺伝性疾患の治療への応用が期待されてきました。しかし、臨床応用においては、オフターゲット編集の懸念やin vivoデリバリーの効率性といった課題が常に議論されてきました。RNAガイドからDNAガイドへの移行は、これらの課題に直接対処するものであり、CRISPR技術の信頼性と実用性を大幅に向上させるものです。これは、遺伝子治療業界全体にとって、より安全で予測可能な治療法を開発するための重要な方向転換を意味します。また、小児患者への適応拡大や、体内での直接デリバリー技術の進展は、患者アクセスの拡大と治療の簡便化につながり、遺伝子治療の普及を加速させるでしょう。

今後の展望

DNAガイドシステムがCRISPR遺伝子編集技術に本格的に導入されれば、標的化の精度が向上し、オフターゲット効果のリスクがさらに低減されることで、より幅広い遺伝性疾患や慢性疾患に対する遺伝子治療の開発が加速するでしょう。これにより、治療効果の安定性が高まり、患者への臨床的便益が最大化されることが期待されます。今後の研究では、DNAガイドシステムの具体的な設計と最適化、そしてその臨床的有用性を検証するデータが注目されます。この進展は、遺伝子編集技術が精密医療の中心的な柱となる未来を強力に後押しするものです。

元記事: <#>

#15 Sana Biotechnology、NEJMで1型糖尿病向け免疫回避型膵島細胞移植（UP421）の長期耐久性データを発表：免疫抑制剤なしで14ヶ月間の機能を確認

公開日 2026年07月13日 GlobeNewswire (Sana Biotechnology) アメリカ

Sana Biotechnology

NEJM



Long-term durability data
Immureatic islet islet cell transplant (UP421)
14 months months functirwithout immuniosupresses

概要

Sana Biotechnologyは、The New England Journal of Medicine（NEJM）に掲載された追跡調査論文において、1型糖尿病患者に対する免疫修飾膵島細胞移植「UP421」が、免疫抑制剤なしで患者体内で14ヶ月間機能し続けるという画期的な長期耐久性データを示したと発表した。同社のHypoimmune Platform（HIP）技術で改変された細胞が免疫系による検出を回避し、機能的治癒に向けた重要な可能性を示唆する。この成果は、従来の膵島移植における生涯にわたる免疫抑制の必要性を排除し、患者のQOLを劇的に向上させる革新的な治療法実現への道を開くものである。

主要成果

2026年7月13日、Sana Biotechnologyは、権威ある医学誌The New England Journal of Medicine（NEJM）に掲載された追跡調査論文において、1型糖尿病患者を対象とした免疫修飾膵島細胞移植「UP421」の画期的な長期データと耐久性を発表しました。このデータは、同社のHypoimmune Platform（HIP）技術で遺伝子改変された細胞が、免疫抑制剤を全く使用せずに患者の体内で14ヶ月間機能し続けたことを明確に示しており、1型糖尿病の機能的治癒に向けた極めて重要なマイルストーンとなります。

技術・臨床詳細

UP421は、Sana BiotechnologyのHypoimmune Platform（HIP）技術を用いて開発された、ヒト誘導多能性幹細胞（iPSC）由来の膵島細胞移植製品です。HIP技術は、主要組織適合遺伝子複合体（MHC）クラスIおよびIIの発現をノックアウトし、CD47などの「Do not eat me」シグナルを強化することで、移植細胞がレシピエントの免疫系（T細胞、B細胞、NK細胞、マクロファージなど）による攻撃から逃れるように設計されています。今回のNEJM論文では、臨床試験においてUP421を移植された1型糖尿病患者のデータが詳細に報告され、移植後14ヶ月にわたり、免疫抑制剤なしでインスリン産生を継続し、血糖コントロールに寄与していることが確認されました。これにより、患者は外部からのインスリン補充の必要性を減らし、糖尿病合併症のリスク低減に繋がる可能性があります。安全性プロファイルも良好であり、免疫抑制剤不使用による追加的なリスク増大は認められませんでした。

背景・業界文脈

1型糖尿病は、自己免疫反応により膵臓のインスリン産生細胞が破壊される重篤な疾患であり、現在の治療はインスリン注射による対症療法が主です。従来の膵島移植は、インスリン依存性からの脱却を可能にするものの、GvHDを避けるための強力な免疫抑制剤が生涯にわたって必要となり、その副作用（感染症、腎機能障害、悪性腫瘍リスク増大など）が大きな課題でした。SanaのHIP技術は、この免疫抑制の必要性を排除するという点で、従来の移植医療の限界を根本的に打ち破るものです。これは、同種異系細胞療法（オフザセルフ型細胞治療）の実現に向けた最大の障壁の一つを取り除くものであり、再生医療の広範な普及を加速させる可能性があります。

今後の展望

NEJMでの長期耐久性データの発表は、UP421の臨床的および商業的潜在力を大幅に高めるものです。この成果は、1型糖尿病患者が免疫抑制剤なしでインスリン産生機能を回復し、実質的な治癒に到達する可能性を示唆しています。Sana Biotechnologyは、このプラットフォーム技術を膵島細胞移植だけでなく、他のiPSC由来細胞製品にも応用することで、様々な疾患に対する免疫回避型細胞治療の開発を加速させるでしょう。今後の大規模臨床試験の進捗と、最終的な市場承認に向けた道筋が、糖尿病治療の未来を大きく変えるものとして注目されます。

元記事: <#>

#16 韓国政府、自家NK細胞等を用いた先端再生医療の規制緩和：リスク区分引き下げで臨床導入が加速

公開日 2026年07月17日 Clipart Korea - Seoul Economic Daily Finance News from South Korea

韓国



概要

韓国政府は2026年7月17日、自家NK細胞などの患者自身の免疫細胞を用いた先端再生医療に対する規制を緩和すると発表した。この措置により、自家免疫細胞培養を用いた先端再生医療の危険度が「中リスク」から「低リスク」に引き下げられ、数年を要していた予備臨床研究手続きが不要となる。これにより、希少・難病患者への治療アクセスが大幅に向上し、韓国のNK細胞療法市場が本格的な成長期に突入する見込みである。この規制緩和は、国内の再生医療産業の競争力強化と国際的地位向上にも寄与するだろう。

主要成果

2026年7月17日、韓国政府は、自家NK細胞など患者自身の免疫細胞を利用する先端再生医療に関する規制を大幅に緩和することを発表しました。この規制緩和は、自家免疫細胞培養を用いた治療の危険度を「中リスク」から「低リスク」へと引き下げるもので、これにより数年を要していた予備臨床研究手続きが不要となります。

技術・臨床詳細

これまでの韓国では、自家免疫細胞を用いた再生医療であっても、リスク分類によっては厳格な予備臨床研究が義務付けられていました。しかし、今回の規制緩和により、特に自家NK細胞などの治療法は「低リスク」と再分類され、より迅速な臨床導入が可能となります。NK（ナチュラルキラー）細胞療法は、患者自身の免疫細胞を体外で増殖・活性化させ、これを体内に戻してがん細胞などを攻撃させる治療法であり、副作用が比較的少ないことが特徴です。予備臨床研究の省略は、治験開始までのリードタイムを大幅に短縮し、安全性と有効性が確立された治療法をより早く患者に届けることを可能にします。この変更は、特に希少疾患や難病に苦しむ患者にとって、新たな治療法へのアクセスを劇的に改善するものです。

背景・業界文脈

韓国政府は、再生医療を次世代の成長産業と位置づけ、その育成に力を入れています。今回の規制緩和は、2019年に制定された「再生医療およびバイオ医薬品安全管理に関する法律（再生医療法）」の運用見直しの一環であり、イノベーションと患者アクセスを両立させることを目指しています。自家細胞を用いた治療は、他家細胞と比較して免疫拒絶のリスクが低いため、安全性に関する懸念が比較的低いとされています。この規制緩和は、韓国のバイオテクノロジー企業、特にNK細胞療法を開発する企業にとって追い風となり、研究開発の促進、臨床試験の加速、そして市場への早期参入を後押しするでしょう。国際的にも、各国が再生医療の規制環境を最適化しようと試みる中で、韓国の動きは注目に値します。

今後の展望

今回の規制緩和により、韓国のNK細胞療法市場は本格的な成長期に突入すると予測されます。治療プロセスの簡素化と迅速化は、多くのバイオベンチャーが臨床開発に参入しやすくなることを意味し、競争が促進されることで技術革新が加速するでしょう。また、これにより国内の患者は、これまで利用が難しかった最新の細胞治療をより早く受けられるようになります。長期的には、韓国がアジア地域における再生医療のハブとしての地位を確立し、国際的な競争力を高めることにも寄与すると期待されています。この動きは、他の国々における再生医療規制の見直しにも影響を与える可能性があります。

元記事: #

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#17 CRISPR遺伝子編集療法、臨床試験が100件以上に急増：鎌状赤血球症など遺伝性疾患治療で高精度と効率性を示す

公開日 2026年07月14日 SciHive アメリカ



概要

2026年現在、CRISPR遺伝子編集療法の臨床試験が100件以上に急増しており、様々な疾患の治療におけるその可能性が大きな期待を集めている。NVIDIAの最近の報告によると、この技術は鎌状赤血球症のような遺伝性疾患の治療において、高い精度、効率性、そして安全性を提供する可能性を秘めている。この急速な臨床開発の進展は、CRISPRが研究ツールから実用的な治療モダリティへと進化していることを示し、遺伝性疾患患者に新たな希望をもたらしている。今後、さらに多くの疾患への応用が期待される。

主要成果

2026年7月14日の報告によると、CRISPR遺伝子編集療法の臨床試験が世界中で100件以上に急増しており、遺伝性疾患の治療においてその画期的な可能性が注目されています。NVIDIAの最新データもこの傾向を裏付けており、CRISPR技術が鎌状赤血球症などの遺伝性疾患に対して高い精度、効率性、および安全性を提供し得ることが強調されています。

技術・臨床詳細

CRISPR-Casシステムは、特定のDNA配列を正確に標的とし、切断・編集する能力を持つゲノム編集技術です。これにより、疾患の原因となる遺伝子変異を修正したり、治療遺伝子を導入したりすることが可能になります。現在進行中の100件以上の臨床試験では、様々な遺伝性疾患が対象とされていますが、特に鎌状赤血球症（SCD）はCRISPRの主要なターゲットの一つです。SCDの治療では、患者自身の造血幹細胞を体外でCRISPR編集し、病態に関与する遺伝子を修正してから体内に戻すアプローチが採用されています。これらの試験では、編集効率、細胞の生着、そしてオフターゲット効果の評価が厳格に行われており、これまでのところ、有望な安全性プロファイルと臨床的改善が報告されています。高い精度と効率性は、CRISPRが遺伝性疾患の根本治療を実現するための重要な要素であり、その安全性の向上は、患者への適用範囲を広げる上で不可欠です。

背景・業界文脈

CRISPR技術は2012年に開発されて以来、生命科学の分野に革命をもたらし、その臨床応用への期待は常に高まってきました。初期の研究は主に基礎科学とモデル生物での概念実証に焦点を当てていましたが、技術の成熟と送達システムの改善により、急速にヒトでの臨床試験へと移行しています。遺伝性疾患の患者にとって、CRISPRのような根本治療の可能性は計り知れません。大手製薬企業やバイオテクノロジー企業は、この分野に巨額の投資を行い、競争が激化しています。NVIDIAのようなテクノロジー企業がデータ分析やAIを活用してCRISPR研究を支援していることも、この分野の加速を示唆しています。

今後の展望

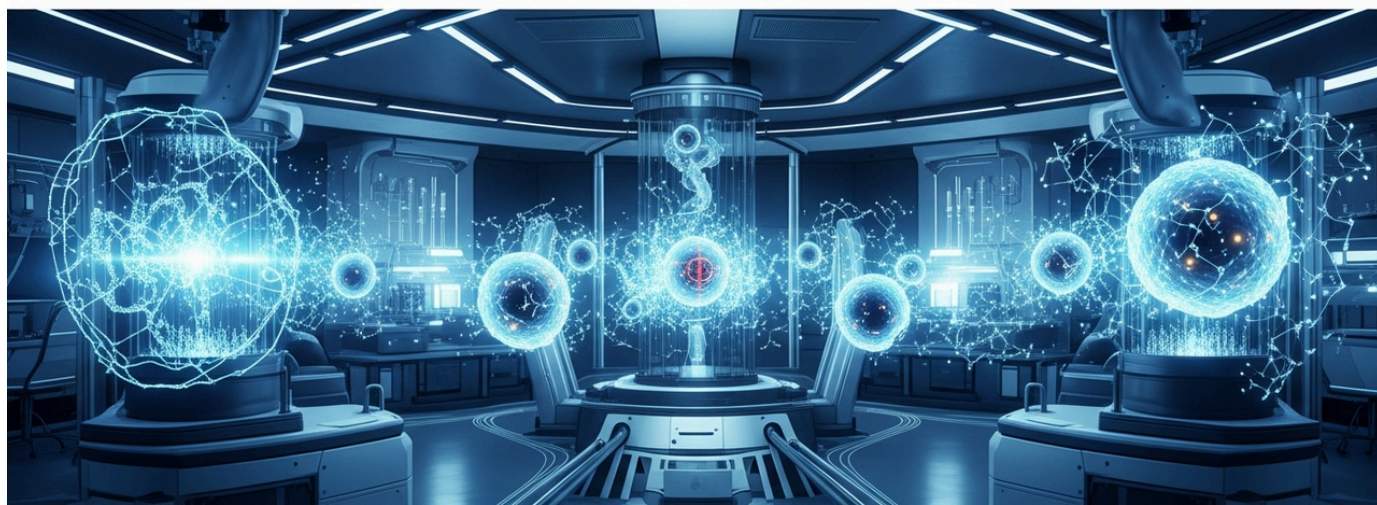
CRISPR遺伝子編集療法の臨床試験数の急増は、この技術が遺伝性疾患の治療において新たな時代を切り開いていることを明確に示しています。今後、これらの進行中の試験からさらに多くの有効性データと長期的な安全性データが発表されることで、CRISPRベースの治療法が正式に承認され、標準治療の一部となる道が開かれるでしょう。SCDだけでなく、嚢胞性線維症、ハンチントン病、がんなど、より幅広い疾患への応用が期待されています。課題は依然として残るものの（例: in vivoデリバリーの最適化、倫理的側面）、CRISPRは精密医療の核となる技術として、その影響力を拡大し続けることは確実です。

元記事: #

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#18 Tempest Therapeutics、in vivo CAR T細胞療法 「TPST-4003」を年末までに臨床試験へ：重症筋無力症・ 多発性硬化症など自己免疫疾患を標的

公開日 2026年07月16日 Biotech News Portal アメリカ



概要

Tempest Therapeuticsは2026年7月16日、主要なin vivo CAR T細胞製品候補「TPST-4003」が年末までに臨床試験に進む予定であると発表した。この治療薬候補は、重症筋無力症や多発性硬化症といった自己免疫疾患を対象とした医師主導型治験で評価されることになっている。この動きは、CAR T細胞療法が腫瘍分野以外にも拡大し、より侵襲性の低いin vivoアプローチへの関心が高まっていることを示している。TPST-4003は、自己免疫疾患患者に革新的な治療選択肢をもたらし、QOLを大幅に改善する可能性を秘めている。

詳細

主要成果

2026年7月16日、Tempest Therapeuticsは、同社の主要なin vivo CAR T細胞製品候補「TPST-4003」が、今年末までに臨床試験に進む予定であることを発表しました。この画期的な治療法は、重症筋無力症や多発性硬化症といった重篤な自己免疫疾患を対象とした医師主導型治験で評価されることになります。

技術・臨床詳細

TPST-4003は、従来のex vivo CAR T細胞療法とは異なり、患者の体内で直接CAR T細胞を生成・活性化させる「in vivo」アプローチを採用しています。これにより、細胞の採取、体外での遺伝子改変、培養、再注入といった複雑で時間とコストがかかるプロセスを省略できるという大きな利点があります。この製品候補は、自己免疫疾患の原因となる特定のB細胞やプラズマ細胞などの自己反応性免疫細胞を標的とするように設計されています。重症筋無力症や多発性硬化症は、それぞれ神経筋接合部や中枢神経系の自己抗体によって引き起こされる自己免疫疾患であり、現在の治療法は症状管理や免疫抑制に限定されています。TPST-4003は、病原性免疫細胞を直接除去することで、疾患の根本的な原因に対処し、長期的な寛解を誘導することを目指しています。臨床試験では、安全性、忍容性、そして疾患活動性および機能的改善の初期兆候が評価されます。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は、当初は血液がん治療で画期的な成果を上げましたが、その成功を受けて、固形腫瘍や自己免疫疾患への応用が急速に拡大しています。特に自己免疫疾患分野では、病原性B細胞やプラズマ細胞の除去が有効であることが示されており、CAR T細胞療法は有望な治療モダリティとして浮上しています。しかし、従来のex vivo CAR Tは、製造の複雑さ、アクセスの問題、治療期間の長さが課題でした。Tempest Therapeuticsのin vivo CAR Tアプローチは、これらの課題を克服し、より簡便で広範な患者にアクセス可能な治療法を提供する可能性を秘めています。これは、自己免疫疾患治療における新たなパラダイムシフトを示すものであり、業界全体の注目を集めています。

今後の展望

TPST-4003の臨床試験への移行は、自己免疫疾患の治療におけるin vivo CAR T細胞療法の実現可能性を検証する上で重要なステップです。もしこのアプローチが安全かつ効果的であることが示されれば、重症筋無力症や多発性硬化症だけでなく、他の様々な自己免疫疾患に対しても適用される可能性があります。この技術が成功すれば、患者は生涯にわたる免疫抑制剤の服用から解放され、大幅なQOLの改善が期待されます。今後の臨床データは、in vivo CAR T細胞療法の未来と、再生医療の新たな方向性を決定づける上で極めて重要な意味を持つでしょう。

元記事: <#>

#19 ISSCR 2026でオルガノイド研究の最新進展を発表： iPSC・成人幹細胞由来システムが臓器形成・病態モデル化 を深化

公開日 2026年07月09日 International Society for Stem Cell Research (ISSCR) 国際



概要

ISSCR 2026年次総会では、オルガノイドに関する最新のイノベーションと技術的進歩が紹介された。特に、iPSCおよび成人幹細胞由来のオルガノイドシステムが、ヒトの臓器形成や病態形成をモデル化するための強力なツールとして強調されている。これらの3D多細胞システムを用いて、ヒトの組織発生学と病理学を理解するための最先端の研究成果が共有され、創薬、疾患メカニズム解明、個別化医療への貢献が期待される。この進展は、幹細胞科学の臨床応用への道をさらに広げるものである。

主要成果

2026年7月9日、国際幹細胞学会（ISSCR）2026年次総会において、オルガノイド技術における最新のイノベーションと技術的進歩が広範に紹介されました。特に、誘導多能性幹細胞（iPSC）および成人幹細胞から作製されたオルガノイドシステムが、ヒトの複雑な臓器形成と多様な病態形成をモデル化するための極めて強力なツールとして、その重要性が強調されました。

技術・臨床詳細

オルガノイドは、生体内の臓器に類似した3次元（3D）の微小器官であり、自己組織化能力を持つ幹細胞からin vitroで培養されます。ISSCR 2026では、以下の点に焦点が当てられました。

- **iPSC由来オルガノイド:** 患者特異的なiPSCから分化誘導されたオルガノイドは、個々の患者の遺伝的背景を反映した疾患モデルとして機能し、個別化医療や創薬スクリーニングにおいて不可欠なツールとなっています。脳オルガノイド、腸オルガノイド、腎臓オルガノイドなど、様々な臓器タイプのiPSC由来オルガノイドの作製と応用が進んでいます。
- **成人幹細胞由来オルガノイド:** 成人組織から単離された幹細胞（例: 腸幹細胞）から作製されるオルガノイドは、より成熟した生理的特性を再現できる可能性があり、特定疾患の病態生理学的研究や薬剤応答評価に適しています。
- **多細胞システムとしての機能:** これらのオルガノイドは、単一細胞層の2D培養では再現できない複雑な細胞間相互作用、組織構造、および機能的応答を示します。これにより、組織発生的な洞察、病気の発症メカニズム、そして薬物作用機序の解明が深まります。

背景・業界文脈

従来の2D細胞培養や動物モデルには、ヒトの生理的・病理的複雑性を完全に再現できないという限界がありました。オルガノイド技術は、このギャップを埋めるものとして、この数年間で急速に発展してきました。特に、iPSC技術との融合により、特定の患者の疾患を再現できる「患者由来オルガノイド」の作製が可能になり、個別化医療の進展に大きく貢献しています。製薬業界では、新薬候補の効率的なスクリーニングや、毒性評価におけるオルガノイドの利用が拡大しており、開発期間の短縮とコスト削減が期待されています。

今後の展望

ISSCR 2026で示されたオルガノイド研究の進展は、今後、疾患研究、創薬、そして再生医療の各分野に大きな影響を与えるでしょう。特に、オルガノイドを用いた遺伝子治療の有効性評価や、細胞治療の新たな供給源としての利用、さらには疾患モデルとしての標準化が今後の焦点となります。血管化や免疫系の統合といった課題は残るものの、3Dバイオプリンティングなどの技術との組み合わせにより、より複雑で機能的なオルガノイドが作製されることで、将来的に移植可能な人工臓器の開発へとつながる可能性も秘めています。オルガノイドは、幹細胞科学が臨床応用に深く統合されるための中心的役割を担い続けるでしょう。

元記事: #

#20 ヒトオルガノイド技術の新たな開発と応用を概説：疾患メカニズム解明と個別化医療への貢献

公開日 2026年07月10日 PubMed (Organoid journal) 国際



概要

2026年7月10日発行のこのレビュー記事は、ヒトオルガノイド技術の新たな開発と応用を概説しており、in vitroでヒトの生物学と疾患を研究するユニークな機会を提供すると指摘している。オルガノイドは、疾患メカニズムの調査、個別化された治療法の開発を可能にする3Dモデルとして機能する。記事では、現在のオルガノイドシステムの限界と課題に触れつつ、その複雑性を高め、臨床応用への翻訳を支援する最新の進歩に焦点を当てている。この技術は、創薬研究と個別化医療の進展において不可欠なツールとして位置づけられる。

主要成果

2026年7月10日に発行されたレビュー記事では、ヒトオルガノイド技術の最新の開発状況と応用について包括的に概説されており、in vitroでヒトの生物学的プロセスや疾患を研究するための他に類を見ない機会を提供していると指摘されています。オルガノイドは、疾患メカニズムのより深い理解と、個別化された治療法の開発を可能にする3次元（3D）モデルとしてその価値が強調されています。

技術・臨床詳細

このレビュー記事では、ヒトオルガノイドの作製技術の進歩が詳細に議論されています。特に、以下の点に焦点が当てられています。

- **幹細胞ソースの多様化:** 誘導多能性幹細胞（iPSC）だけでなく、成人組織由来の様々な幹細胞からのオルガノイド作製技術が向上し、より広範な組織タイプのモデル化が可能になっています。
- **複雑性の向上:** 血管ネットワーク、神経結合、免疫細胞の統合など、より生理的に関連性の高い構造と機能を持つオルガノイドを作製するための技術が開発されています。これは、オルガノイドがより忠実に生体内の環境を模倣する上で不可欠です。
- **疾患モデリングと創薬:** 特定の遺伝子変異を持つ患者由来のオルガノイドは、遺伝性疾患やがんの病態メカニズムを研究するための強力なツールとして活用されています。また、薬剤スクリーニングや毒性評価のプラットフォームとして、動物実験に代わる有効なin vitroモデルとしてその重要性が高まっています。
- **臨床応用への課題と進歩:** オルガノイドの標準化、品質管理、スケーラビリティ、そして長期培養における安定性といった課題に取り組むための最新のアプローチが紹介されています。これらの課題を克服することで、オルガノイドは最終的に細胞治療の供給源や移植可能な組織としての可能性を秘めています。

背景・業界文脈

従来の2D細胞培養や動物モデルでは、ヒトの複雑な生理機能や疾患の多様性を十分に捉えることが困難でした。オルガノイド技術は、これらの限界を克服し、より生体に近い環境でヒトの組織を研究できる画期的なプラットフォームを提供します。この技術の急速な発展は、個別化医療のコンセプトと密接に結びついており、患者特異的な治療法の開発を加速させることが期待されています。製薬業界やバイオテクノロジー企業は、創薬パイプラインの効率化と成功率向上を目指し、オルガノイド技術への投資を強化しています。

今後の展望

このレビュー記事は、ヒトオルガノイドが疾患メカニズムの解明、新規治療ターゲットの同定、そして個別化された治療戦略の開発において、今後も中心的な役割を果たすことを示唆しています。将来的には、より高度な多臓器オルガノイドシステムの開発や、バイオプリンティング技術との統合により、より複雑な生理的相互作用を再現し、最終的には移植可能な人工臓器としての応用が期待されます。オルガノイド技術は、生命科学研究と医療実践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。

元記事: <#>

#21 Ocugen、眼疾患遺伝子治療薬「OCU400」のMENA地域ライセンス契約をRoots Pharma等と締結

公開日 2026年07月15日 Cellgenetherapyreview.com アメリカ, 中東・北アフリカ



概要

Ocugenは2026年7月15日、Roots PharmaおよびそのパートナーであるAl-Dhow Internationalとの間で、眼疾患遺伝子治療薬「OCU400」のMENA（中東・北アフリカ）地域におけるライセンス契約を締結したと発表した。この戦略的提携により、Ocugenは遺伝子治療パイプラインの国際展開を加速させるとともに、中東および北アフリカ地域における眼疾患患者への治療アクセス拡大を目指す。OCU400は複数の希少遺伝性網膜疾患を標的とする汎用性の高い治療薬であり、今回の契約は未だ満たされない医療ニーズへの対応を強化するものである。

主要成果

2026年7月15日、Ocugen社は、Roots Pharmaおよびその戦略的パートナーであるAl-Dhow Internationalとの間で、眼疾患遺伝子治療薬「OCU400」の中東および北アフリカ（MENA）地域における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、Ocugen社の遺伝子治療パイプラインの世界的な拡大における重要なマイルストーンとなります。

技術・臨床詳細

OCU400は、RHO、CEP290、RPE65、NR2E3など、複数の遺伝子変異によって引き起こされる様々な希少遺伝性網膜疾患を対象とした、広範囲作用型（modifier gene therapy）の遺伝子治療薬です。従来の遺伝子治療薬が特定の単一遺伝子変異のみを標的とするのに対し、OCU400は、核内受容体NR2E3を介して網膜の複数のシグナル伝達経路を調節することで、多様な網膜変性疾患の治療を目指します。このアプローチにより、個別遺伝子診断が困難な患者や、複数の遺伝子変異を持つ患者にも対応できる可能性があります。ライセンス契約に基づき、Roots PharmaおよびAl-Dhow Internationalは、MENA地域におけるOCU400の開発、商業化、および流通を担当し、Ocugenはマイルストーン支払いとロイヤリティを受け取る予定です。

背景・業界文脈

希少遺伝性網膜疾患は、進行性の視力低下を引き起こし、最終的には失明に至る可能性のある重篤な疾患ですが、現在利用可能な治療選択肢は非常に限られています。遺伝子治療は、これらの疾患の根本的な原因に対処する最も有望なアプローチの一つとして注目されています。Ocugenは、この分野におけるリーディングカンパニーの一つとして、国際的なパートナーシップを通じて、より広範な患者集団に革新的な治療法を提供しようとしています。MENA地域は、特定の遺伝性疾患の有病率が高いことで知られており、今回の提携は、その地域の未だ満たされていない医療ニーズに応える上で戦略的に重要です。このような国際的な協力は、遺伝子治療薬の開発コストを分散させ、市場アクセスを加速させる上で不可欠です。

今後の展望

OCU400のMENA地域でのライセンス契約締結は、Ocugen社の遺伝子治療薬がグローバル市場でその存在感を拡大する重要な一歩となります。Roots PharmaとAl-Dhow Internationalの地域における専門知識とインフラを活用することで、OCU400は中東および北アフリカ地域の眼疾患患者に、これまで利用できなかった治療オプションを提供する機会を得るでしょう。この成功は、Ocugenの他のパイプライン製品の国際展開にも弾みをつける可能性があり、希少疾患に対する遺伝子治療薬の世界的な普及を加速させるものとして期待されます。今後の地域での臨床開発と商業化の進捗が注目されます。

元記事: <#>

#22 Lyora、眼科遺伝子治療アセット推進のためシード資金調達を完了し、18ヶ月以内のIND申請を目指す

公開日 2026年07月14日 Cellgenetherapyreview.com アメリカ



Lyora completing seed funding to an ophthalmic gene therapy assets and aiming for an IND application within 18 months

概要

Lyoraは2026年7月14日、眼科遺伝子治療アセットを推進するためのシード資金調達を完了し、事業を開始したと発表した。同社は、今後18ヶ月以内に最初のIND（治験薬）申請を提出する計画である。この資金調達は、眼疾患領域における新規遺伝子治療薬の開発加速を目的としており、未だ満たされていない医療ニーズに対応する可能性を秘めている。Lyoraの登場は、眼科遺伝子治療市場における新たな競争とイノベーションを促進し、患者に革新的な治療選択肢を提供するだろう。

主要成果

2026年7月14日、新規バイオテクノロジー企業Lyoraは、眼科遺伝子治療アセットの開発と推進を目的としたシード資金調達ラウンドを成功裏に完了し、これにより正式に事業を開始したことを発表しました。同社は今後18ヶ月以内に、主要な製品候補の最初のIND（治験薬）申請を米国食品医薬品局（FDA）に提出する計画です。

技術・臨床詳細

Lyoraは、重篤な眼疾患、特に遺伝性の網膜疾患や視神経疾患に対する革新的な遺伝子治療アプローチに焦点を当てています。彼らのパイプラインは、特定の遺伝子変異をターゲットとするだけでなく、広範囲にわたる眼疾患に対応可能なプラットフォーム技術の開発も視野に入れています。シード資金は、前臨床研究の加速、製造プロセスの最適化、そして規制当局との連携強化に充当される予定です。IND申請の目標は、動物モデルでの安全性と有効性の確立、およびヒトへの投与準備の完了を意味します。眼科領域の遺伝子治療は、眼球が比較的閉鎖された器官であり、局所投与がしやすいため、全身性の副作用を抑えつつ高い治療効果を期待できるという特性があります。

背景・業界文脈

眼疾患は世界中で視覚障害の主要な原因となっており、多くの遺伝性眼疾患には効果的な治療法がありません。近年、遺伝子治療技術の進展により、網膜ジストロフィーなど一部の疾患では画期的な治療薬が承認されていますが、未だ多くのアンメットメディカルニーズが存在します。Lyoraのようなスタートアップ企業がこの分野に参入し、大型のシード資金を調達できることは、投資家が眼科遺伝子治療市場に大きな成長潜在力を見出していることを示しています。この競争環境は、技術革新をさらに加速させ、患者にとってより多様で効果的な治療選択肢が生まれることを期待させます。

今後の展望

Lyoraのシード資金調達と18ヶ月以内のIND申請計画は、同社が眼科遺伝子治療分野において迅速な進展を目指していることを明確に示しています。臨床試験への移行が成功すれば、難治性眼疾患に苦しむ患者に新たな希望をもたらす可能性があります。また、早期の資金調達は、Lyoraが将来的にさらなる資金を確保し、パイプラインを拡大するための強固な基盤を築くことにもつながります。今後の前臨床データおよびIND申請の進捗は、眼科遺伝子治療の進化と市場のダイナミクスを理解する上で重要な指標となるでしょう。

元記事: <#>

#23 WugenがAlloteraに社名変更、3500万ドルの資金調達を完了し、オフザセルフ型細胞治療開発を加速

公開日 2026年07月10日 Cellgenetherapyreview.com アメリカ



概要

2026年7月10日、Wugenは社名をAlloteraに変更し、3500万ドルの資金調達ラウンドを完了したと発表した。このリブランディングと資金調達は、同社の細胞治療プログラム、特にがんおよび自己免疫疾患を対象としたオフザセルフ型細胞治療の開発を加速させるための重要な戦略的ステップとなる。新たな資金は、パイプラインの進展と研究開発の強化に充てられる予定である。Alloteraの設立は、同種異系細胞治療分野における革新を牽引し、より広範な患者へのアクセス向上に貢献することを目指す。

主要成果

2026年7月10日、細胞治療の開発を進めるWugenは、社名をAlloteraに変更するとともに、3500万ドルの資金調達ラウンドを成功裏に完了したことを発表しました。このリブランディングと大規模な資金注入は、同社ががんおよび自己免疫疾患を対象としたオフザシェルフ型（同種異系）細胞治療の開発を加速させるための重要な戦略的転換点となります。

技術・臨床詳細

Alloteraは、誘導多能性幹細胞（iPSC）などの細胞プラットフォームを活用し、免疫拒絶反応を最小限に抑えるよう設計された、ユニバーサルドナー由来の細胞治療製品の開発に注力しています。オフザシェルフ型細胞治療は、個別の患者から細胞を採取・加工する手間と時間を省き、製造コストを削減し、必要な時に迅速に治療を提供できるという大きな利点があります。新たに調達された3500万ドルは、以下の目的で活用されます。

- **パイプラインの進展:** 現在進行中の前臨床および初期臨床試験段階にある複数の細胞治療候補薬の開発を加速します。
- **研究開発の強化:** 新しい免疫回避技術やCAR（キメラ抗原受容体）設計など、次世代の細胞治療技術の研究を強化します。
- **製造能力の拡大:** 大規模生産に向けた製造プロセスの最適化とスケールアップに投資します。

同社は、特に固形腫瘍における有効性と、自己免疫疾患における病原性細胞の標的化に焦点を当てています。

背景・業界文脈

細胞治療分野は、がんや自己免疫疾患の治療に革命をもたらす可能性を秘めています。従来の自家CAR T細胞療法は、製造の複雑さ、コストの高さ、および患者ごとの製造期間の長さといった課題に直面していました。オフザシェルフ型細胞治療は、これらの課題を克服し、より多くの患者にアクセス可能な治療法を提供するものとして、業界の主流トレンドとなっています。Alloteraへのリブランディングは、同社が同種異系細胞治療に深くコミットし、この革新的なアプローチを通じて市場でのリーダーシップを確立しようとする意図を明確に示しています。3500万ドルの資金調達は、競争が激化するこの分野で、同社が研究開発と商業化を加速させるための重要な資源となります。

今後の展望

Alloteraの新しい社名と資金調達は、同社がオフザシェルフ型細胞治療の開発において新たな段階に入ることを意味します。この資金により、有望なパイプライン製品の臨床試験への移行が加速され、特に治療が困難な固形腫瘍や自己免疫疾患に対する新たな治療選択肢が生まれることが期待されます。今後、同社の技術プラットフォームからどのような革新的な製品が登場するかに注目が集まります。Alloteraは、これらの進展を通じて、患者のQOLを向上させ、細胞治療がより広く普及する未来を築くことに貢献していくでしょう。

元記事: #

#24 KiteとBBG Advanced Therapies、テキサス州に移動式白血球アフェレーシスセンターを開設しCAR T細胞療法患者のアクセスを改善

公開日 2026年07月09日 Cellgenetherapyreview.com アメリカ



概要

KiteとBBG Advanced Therapiesは2026年7月9日、テキサス州で移動式白血球アフェレーシスセンターを立ち上げると発表した。この革新的なイニシアチブは、CAR T細胞療法患者に対するアフェレーシスプロセスへのアクセスを向上させることを目的としている。テキサスでの展開は、他の市場での追加的な導入に向けた概念実証モデルとして機能する予定であり、CAR T細胞療法製造のサプライチェーン効率化と患者体験の改善に大きく貢献する。これにより、地理的障壁が緩和され、より多くの患者が治療を受ける機会を得られるようになる。

詳細

主要成果

2026年7月9日、CAR T細胞療法の世界的リーダーであるKite社は、BBG Advanced Therapiesとの提携により、テキサス州で移動式白血球アフェレーシスセンターを立ち上げると発表しました。この画期的な取り組みは、CAR T細胞療法を受ける患者にとってのアフェレーシスプロセスへのアクセスを大幅に改善することを目的としています。

技術・臨床詳細

CAR T細胞療法は、患者自身のT細胞を採取（アフェレーシス）、遺伝子改変、培養、そして再注入する複雑なプロセスを伴います。このプロセスの第一段階である白血球アフェレーシスは、専門的な設備と訓練された医療スタッフが必要であり、患者は特定の医療センターに足を運ぶ必要がありました。移動式アフェレーシスセンターは、最先端のアフェレーシス装置を搭載した専用車両で、患者の自宅や地域の医療施設に直接赴き、必要な白血球を採取します。これにより、患者の移動負担が軽減され、地理的なアクセスが格段に向上します。テキサス州でのこの導入は、将来的に他の地域や国々での同様のサービス展開に向けた概念実証（Proof-of-Concept）モデルとして位置づけられています。このシステムの導入は、CAR T細胞療法全体のサプライチェーンを簡素化し、製造リードタイムを短縮する可能性も秘めています。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は、一部の血液がんに対して劇的な治療効果を示すものの、その高コストと複雑な物流・製造プロセスが普及の大きな障壁となっています。特にアフェレーシス施設が限定的であることは、患者が治療を受けられる場所と時間に制約を課し、公平なアクセスを阻害してきました。移動式センターの導入は、このサプライチェーンのボトルネックを解消し、CAR T細胞療法をより多くの患者に届けるための革新的なソリューションです。KiteとBBG Advanced Therapiesの提携は、大手製薬企業が物流と患者体験の改善に積極的に投資していることを示しており、細胞治療業界全体の標準を変革する動きとして注目されています。

今後の展望

テキサス州での移動式白血球アフェレーシスセンターの成功は、CAR T細胞療法における患者アクセスとサプライチェーン効率の改善に大きな影響を与えるでしょう。このモデルが実証されれば、今後、全国のおよび国際的な展開が期待され、より多くの患者が地理的、経済的な制約なく、この革新的な治療法を受けられるようになる可能性があります。また、これは他の高度な細胞治療や遺伝子治療のデリバリーモデルにも応用され、再生医療分野全体のインフラの変革を加速させる可能性を秘めています。Kiteは、この取り組みを通じて、患者中心の治療アプローチをさらに強化していくでしょう。

元記事: <#>

#25 糖尿病の機能的治癒を目指す新規幹細胞アプローチ：免疫抑制剤不要の膵島細胞移植が実現に近づく

公開日 2026年07月11日 News-Medical 国際

GROUMLIDERING STEM CELL APPORACH FUNCTIONAL FURE DIABETES PRATTISS CLABETES

July 11, 2026 a sitemstem cell fmc cell apporoch aiming for
for ejram for Diabetes isliet Cell Islte ploerten getting aned
wat immunosppresisios freee cell Tramssintation geting cloorer
truegeity an July 11, 2026

概要

2026年7月11日、新しい幹細胞アプローチが糖尿病の機能的治癒を目指しており、特に免疫抑制剤なしでの膵島細胞移植の可能性に焦点が当てられていると報じられた。この研究は、免疫回避型細胞が1型糖尿病患者の体内で免疫系による検出を回避し、インスリンを生成し続けることを示しており、機能的治癒に向けた重要な進展となる可能性がある。従来の膵島移植における生涯にわたる免疫抑制剤の必要性という主要な障壁が取り除かれることで、糖尿病治療のパラダイムを根本的に変える可能性を秘めている。これにより、患者のQOL向上と合併症リスクの低減が期待される。

主要成果

2026年7月11日、新しい幹細胞アプローチが糖尿病、特に1型糖尿病の機能的治癒を目指しており、免疫抑制剤なしで膵島細胞移植を実現する可能性が現実味を帯びてきたと報じられました。この進展は、糖尿病治療の長年の課題を克服し、患者のQOLを劇的に向上させる潜在能力を秘めています。

技術・臨床詳細

この新規アプローチは、遺伝子編集技術を用いて「免疫回避型」に改変された膵島細胞を利用します。これらの細胞は、移植後もレシピエントの免疫系（T細胞、B細胞、NK細胞など）に異物として認識されにくく、攻撃・拒絶されるリスクが大幅に低減されます。研究では、これらの免疫回避型細胞が1型糖尿病患者の体内で、免疫抑制剤を全く使用せずに長期間（例えば14ヶ月間など）にわたって生存し、安定してインスリンを産生し続けることが示されています。これにより、患者は血糖値を自然にコントロールできるようになり、外部からのインスリン注射の必要性から解放される可能性があります。この技術は、誘導多能性幹細胞（iPSC）から高品質の膵島細胞を大量に作製する能力と、免疫回避のための精密な遺伝子改変技術の組み合わせによって実現されています。

背景・業界文脈

1型糖尿病は、膵臓のインスリン産生細胞が自己免疫によって破壊される疾患であり、患者は生涯にわたるインスリン補充療法を必要とします。既存の膵島移植術は、血糖コントロールを改善する有効な手段ですが、移植細胞の免疫拒絶を防ぐために、副作用の多い免疫抑制剤を永続的に服用しなければならないという大きな欠点がありました。この「免疫抑制剤の必要性」は、膵島移植が広く普及するための主要な障壁となっていました。新しい免疫回避型幹細胞アプローチは、この根本的な問題を解決することで、より安全でアクセスしやすい機能的治癒の可能性を提示し、糖尿病治療の歴史における画期的な転換点となり得ます。

今後の展望

免疫抑制剤不要の膵島細胞移植は、1型糖尿病治療に革命をもたらす潜在能力を秘めており、今後の大規模臨床試験の成功が期待されます。この技術が臨床で確立されれば、患者は糖尿病による合併症のリスクから解放され、インスリン注射から完全に自由になることで、生活の質が劇的に向上するでしょう。また、この免疫回避技術は、膵島細胞だけでなく、他の種類の細胞（神経細胞、心筋細胞など）を用いた再生医療にも応用される可能性があり、再生医療分野全体の発展に広範な影響を与えることが期待されます。この研究の進展は、糖尿病という世界的な健康課題に対する最終的な解決策の一つとなる可能性を秘めています。

元記事: #

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#26 アロジェン社、CAR T細胞療法ALLO-316が転移性腎細胞がんPhase 1で確定奏効率31%と初の持続的寛解を達成

公開日 2026年07月15日 BioSpace アメリカ



概要

Allogene Therapeuticsは、CD70を標的とするアロゲインCAR T細胞療法ALLO-316の第1相臨床試験の全データをJournal of Clinical Oncologyに発表しました。高CD70発現の転移性腎細胞がん患者において、ALLO-316は31%の確定奏効率と初の持続的寛解を達成しました。Dagger技術により、標準的なリンパ球除去療法のみで強力なCAR T細胞の増殖、持続性、腫瘍浸潤が示され、固形腫瘍治療におけるアロゲインCAR T細胞療法の大きな可能性を示しています。

詳細

主要成果

Allogene Therapeutics は、Journal of Clinical Oncology にアロゲインCAR T細胞療法 ALLO-316の第1相臨床試験の全データを発表しました。この試験は、高CD70発現の転移性腎細胞がん患者において、31%という確定奏効率を達成し、さらにアロゲインCAR T細胞療法としては固形腫瘍で初の持続的寛解を示すという画期的な成果を報告しました。

技術・臨床詳細

- ALLO-316は、CD70を標的とする同種由来のキメラ抗原受容体（CAR）T細胞療法であり、独自のDagger®技術を組み込んでいます。
- 第1相臨床試験は、前治療歴のある進行性または転移性腎細胞がん（ccRCC）患者を対象に実施されました。
- 試験結果では、高CD70発現患者群において31.3%の客観的奏効率（Objective Response Rate, ORR）が確認され、患者の約半数が病勢コントロールを達成しました。
- Dagger技術は、標準的なリンパ球除去療法のみで、体内で強力なCAR T細胞の増殖、長期間にわたる持続性、および腫瘍内への効率的な浸潤を実現しました。これは、固形腫瘍に対するCAR T細胞療法の有効性を制限する主要な課題の一つであったCAR T細胞の増殖と持続性に対処するものです。

背景・業界文脈

従来 of 自家CAR T細胞療法は、患者自身の細胞を採取し体外で加工する必要があるため、製造に時間がかかり、コストも高く、重篤な疾患で迅速な治療を必要とする患者には適さない場合があります。アロゲイン（同種由来）CAR T細胞療法は、健康なドナーのT細胞を利用することで、これらの課題を克服し、より迅速かつ広範なアクセスを可能にすることを目指しています。固形腫瘍におけるCAR T細胞療法の効果は、血液がんほど顕著ではありませんでしたが、ALLO-316の結果は、そのギャップを埋める可能性を示しています。

今後の展望

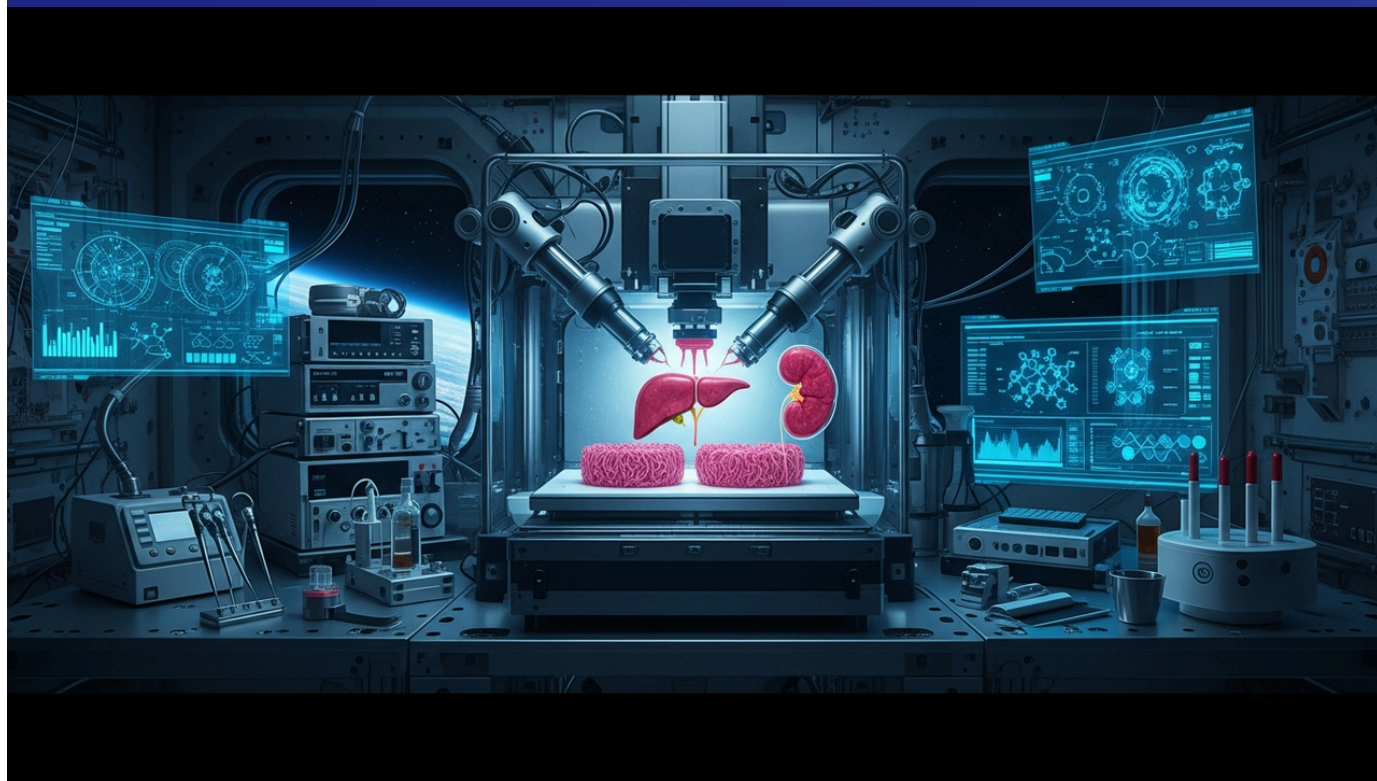
この第1相の結果は、腎細胞がんおよび他の固形腫瘍におけるアロゲインCAR T細胞療法の臨床開発における重要なマイルストーンとなります。特に持続的寛解の達成は、難治性の腎細胞がん患者にとって新たな治療選択肢となる可能性を秘めています。今後、さらなる大規模な臨床試験を通じて、ALLO-316の安全性と有効性が詳細に評価され、より広範な患者集団への適用が期待されます。この技術は、固形腫瘍に対する細胞治療の進化を加速させるでしょう。

元記事: <https://www.biospace.com/press-releases/allogene-therapeutics-announces-journal-of-clinical-oncology-publication-of-phase-1-results-of-allo-316-highlighting-first-durable-remissions-following-allogeneic-car-t-for-treatment-of-metastatic-solid-tumors>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#27 Auxilium Biotechnologies、宇宙で腎臓・肝臓組織のバイオプリントに世界初成功

公開日 2026年07月09日 Business Wire アメリカ



概要

Auxilium Biotechnologiesは、国際宇宙ステーション（ISS）上でAMP-1軌道バイオプリンターを使用し、史上初めて腎臓と肝臓の組織をバイオプリントすることに成功しました。このミッションでは、軟骨組織を含む計3種類の組織と28個の神経修復インプラントが製造され、単一の宇宙飛行で複数の異なる組織タイプと移植可能な医療機器の両方を製造した世界初の事例となりました。このブレイクスルーは、宇宙環境での臓器製造の可能性を大きく広げます。

詳細

主要成果

Auxilium Biotechnologiesは、国際宇宙ステーション（ISS）において、AMP-1軌道バイオプリンターを用いて腎臓と肝臓の組織をバイオプリントすることに成功しました。これは、軌道上でこれらの組織タイプが製造された史上初の画期的な出来事であり、宇宙空間での高度なバイオマニュファクチャリング能力を実証しました。

技術・臨床詳細

- Auxilium Biotechnologiesは、カリフォルニア州に拠点を置く企業であり、ノースカロライナ州のウェイクフォレスト再生医療研究所が提供した細胞および組織設計を活用しました。
- ミッションでは、腎臓と肝臓の組織に加え、軟骨組織、および28個の神経修復インプラントが同時に製造されました。
- この成果は、単一の宇宙飛行で3つの異なる組織タイプを製造した初の事例であるだけでなく、同じ製造プラットフォーム（AMP-1バイオプリンター）で生体組織と移植可能な医療機器の両方を製造した初のミッションとなります。
- 微小重力環境は、地球上でのバイオプリントにおける重力による制約（組織の崩壊など）を回避し、より複雑で精巧な3D組織構造の形成を可能にすると考えられています。

背景・業界文脈

宇宙でのバイオプリンティングは、地球上での臓器移植ドナー不足という深刻な問題への対処法として、また長期宇宙ミッションにおける医療支援の観点から、再生医療分野で大きな注目を集めています。地球上の研究室では、重力の影響により複雑な生体組織の3D構造を安定的に維持することが困難でしたが、ISSの微小重力環境は、細胞がより自然な状態で集合し、複雑な構造を形成するのに理想的な条件を提供します。今回の成功は、宇宙空間を次世代の医療製造拠点として活用する可能性を裏付けるものです。

今後の展望

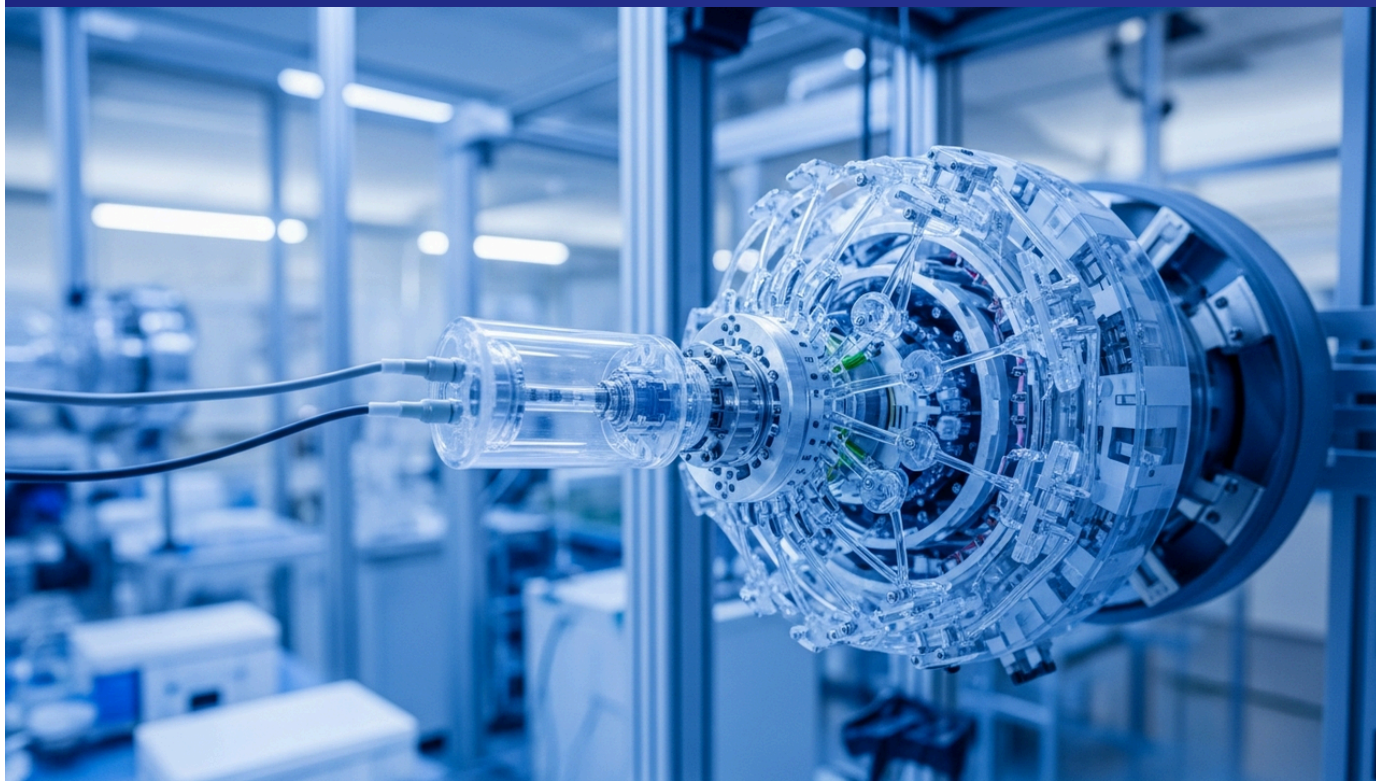
この歴史的な成果は、将来的に宇宙での人体の組織や臓器の製造を可能にする道を開きます。これは、地球上の患者への臓器提供、あるいは火星ミッションのような長期宇宙旅行中の宇宙飛行士の医療ニーズに対応する上で極めて重要です。また、地球上での医薬品開発のためのより高精度な疾患モデル組織の生産にも貢献すると期待されています。Auxilium Biotechnologiesのこのブレイクスルーは、再生医療と宇宙探査の融合を加速させ、バイオマニュファクチャリングの新たなフロンティアを切り開くでしょう。

元記事: <https://www.businesswire.com/news/home/20260709079391/en/Auxilium-Biotechnologies-Achieves-Historic-Space-Bioprinting-Milestone-Successfully-Bioprinting-Kidney-and-Liver-Tissues-in-Orbit-for-the-First-Time>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)

#28 uBriGene社、次世代in vivo CAR T療法開発を加速するuVivoレンチウイルスベクタープラットフォームを発表

公開日 2026年07月16日 Morningstar (Provided by ACCESS Newswire) 不明



概要

uBriGene社は、次世代のin vivo CAR T細胞療法開発を加速させるため、高効率・低免疫原性のuVivoレンチウイルスベクタープラットフォームを発表しました。このプラットフォームは、CAR T細胞の製造プロセスを簡素化し、患者の体内で直接CAR遺伝子導入を可能にすることで、治療のアクセス向上とコスト削減に貢献します。これにより、従来の体外製造型CAR T療法の限界を克服し、より広範な患者に適用可能な革新的治療法の開発を支援します。

詳細

主要成果

uBriGeneは、次世代のin vivo CAR T細胞療法の開発を大幅に加速させることを目的とした、革新的なuVivoレンチウイルスベクタープラットフォームを発表しました。この新プラットフォームは、高効率な遺伝子導入能力と低免疫原性を特徴とし、CAR T細胞療法のアプローチを根本的に変革する可能性を秘めています。

技術・臨床詳細

- uVivoレンチウイルスベクタープラットフォームは、患者自身の体内で直接T細胞にCAR遺伝子を導入することを可能にするように設計されています。これは、従来のCAR T細胞療法が体外で細胞を採取、改変、増殖させてから患者に再注入する複雑なプロセスを必要としていたのと対照的です。
- このin vivoアプローチにより、CAR T細胞製造にかかる時間、コスト、および物流上の複雑さが劇的に削減されます。これは、急速に進行するがん患者にとって、より迅速な治療開始を意味し、治療へのアクセスを飛躍的に向上させます。
- uVivoプラットフォームは、高タイターと優れた安定性を持つレンチウイルスベクターを提供し、in vivoでの遺伝子導入効率を最大化しながら、免疫応答のリスクを最小限に抑えるように設計されています。
- この技術は、特に固形がんなど、従来のCAR T細胞療法が有効性やアクセス性で課題を抱えていた分野において、新たな治療戦略を可能にする基盤となります。

背景・業界文脈

CAR T細胞療法は、血液がんにおいて目覚ましい治療効果を示してきましたが、その複雑な製造プロセスと高コスト、限られた製造能力が、広範な適用を妨げる主要な障壁となっていました。in vivo遺伝子導入アプローチは、これらの障壁を打破するための業界全体の重要なトレンドであり、細胞・遺伝子治療の「工業化」を推進するものです。uBriGeneのuVivoプラットフォームは、このトレンドの最前線に位置し、治療法をより身近なものにすることで、より多くの患者に救命治療を提供する可能性を秘めています。

今後の展望

uBriGeneのuVivoレンチウイルスベクタープラットフォームは、次世代のin vivo CAR T療法の開発を加速させる強力なツールとなるでしょう。このプラットフォームの採用により、研究者や製薬企業は、より効率的かつ経済的にCAR T細胞治療薬を開発できるようになり、臨床試験のスピードアップと、最終的な市場投入の迅速化が期待されます。将来的には、がん以外の疾患、例えば自己免疫疾患や感染症など、in vivo遺伝子治療が応用可能な他の治療領域への拡大も視野に入ってくる可能性があります。この技術は、細胞・遺伝子治療の未来を形作る重要な要素となるでしょう。

元記事: <#>

#29 MDアンダーソンがんセンター、難治性腎臓がんに対し Claudin-18.2標的の新規CAR-T細胞療法が70%の奏効率を達成

公開日 2026年07月13日 MD Anderson Newsroom アメリカ



概要

テキサス大学MDアンダーソンがんセンターの研究チームは、治療困難な転移性腎細胞がん（mRCC）患者に対する新規CAR-T細胞療法で、70%の客観的奏効率（ORR）を達成したと発表しました。この新しい療法は、Claudin-18.2というがん関連抗原を標的としており、30人の患者を対象とした初期臨床試験において、3人の完全奏効（CR）と18人の部分奏効（PR）を含みました。中央無増悪生存期間（PFS）は10.5ヶ月であり、既存治療で効果が見られない患者にとって有望な選択肢となる可能性を示唆しています。これは、腎臓がん治療におけるCAR-T細胞療法の新たな道を開く画期的な進歩です。

詳細

主要成果

テキサス大学MDアンダーソンがんセンターの研究者たちは、難治性の転移性腎細胞がん（mRCC）患者を対象とした初期段階の臨床試験において、Claudin-18.2を標的とする新規CAR-T細胞療法が70%という高い客観的奏効率（ORR）を達成したと報告しました。この成果は、これまで免疫療法が限定的な効果しか示さなかった腎臓がん治療に新たな希望をもたらすものです。

技術・臨床詳細

この新規CAR-T細胞療法は、腎細胞がんを含む多くのがん種で発現が認められる細胞接着分子であるClaudin-18.2を特異的に認識するよう設計されています。臨床試験には、既存の治療法に抵抗性を示すmRCC患者30人が参加しました。結果として、3人（10%）が完全奏効（CR）を達成し、18人（60%）が部分奏効（PR）を示し、合計で70%のORRとなりました。中央無増悪生存期間（PFS）は10.5ヶ月であり、これは重度の進行がん患者において非常に有望な結果です。安全性プロファイルは管理可能であり、従来のCAR-T療法でみられるサイトカイン放出症候群や神経毒性は、軽度から中程度のものが主でした。

背景・業界文脈

腎細胞がんは、進行すると治療が非常に困難になるがんであり、特に転移性の場合の予後は不良です。従来の標的療法や免疫チェックポイント阻害剤は一部の患者に有効であるものの、奏効が得られない患者や再発する患者が多く存在します。CAR-T細胞療法は、血液がんでは劇的な成果を上げていますが、固形腫瘍においては腫瘍微小環境への浸潤の難しさや、特異的な標的抗原の特定といった課題に直面していました。Claudin-18.2を標的としたこのCAR-T療法は、固形腫瘍CAR-T開発における重要なブレイクスルーであり、その高い奏効率は、今後の腎臓がん治療の新たな標準となる可能性を秘めています。

今後の展望

この有望な初期結果を受け、MDアンダーソンがんセンターは、このClaudin-18.2標的CAR-T細胞療法の大規模な多施設共同試験への移行を計画しています。この治療法が承認されれば、難治性の腎細胞がん患者にとって、治療選択肢が大きく広がり、生存期間の延長と生活の質の向上が期待されます。また、この成功は、他の固形腫瘍におけるCAR-T細胞療法の開発にも弾みをつけるものであり、Claudin-18.2が他の種類のがんの治療標的としても検討される可能性があります。製薬業界やバイオテクノロジー企業は、この革新的なアプローチのさらなる研究と商業化に注目しています。

元記事: <https://www.mdanderson.org/newsroom/research-newsroom/novel-car-t-cell-therapy-offers-promising-option-for-hard-to-treat-kidney-cancer.h00-159856923.html>

収集日: 2026年07月17日 | 自動記事収集・翻訳システム (Gemini API使用)