会社ご紹介

2026年10月
ブライトパス・バイオ株式会社

Copyright © BrightPath Biotherapeutics Co., Ltd.

BrightPath
Biotherapeutics

本資料の取扱いについて(免責事項)

- 本書には、当社に関連する見通し、将来に関する計画、経営目標などが記載されています。
  これらの将来の見通しに関する記述は、将来の事象や動向に関する現時点での仮定に基づくものであり、当該仮定が必ずしも正確であるという保証はありません。様々な要因により実際の業績が本書の記載と著しく異なる可能性があります。

- 当社は、将来の事象などの発生にかかわらず、既に行っております今後の見通しに関する発表等につき、開示規則により求められる場合を除き、必ずしも修正するとは限りません。

- 本資料は、投資者に対する情報提供を目的として、経営情報や財務情報等の情報及び将来の事業計画等を記載したものであり、投資勧誘を目的としたものではありません。実際に投資を行う際には、ご自身のご判断で行うようお願いいたします。

- 研究開発中の医薬品に関する情報を記載しておりますが、広告宣伝、医学的アドバイスを目的にしているものではありません。

- 本資料に記載された情報は、予告なく変更される場合があります。本資料に基づいて被ったいかなる損害についても、当社及び情報提供者は一切責任を負いかねます。

創薬事業概要

ブライトパス・バイオ株式会社 (東証グロース 4594)

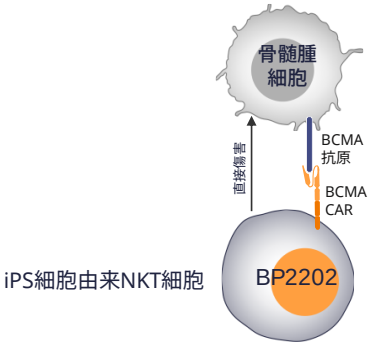
■ ブライトパス・バイオは、標準療法で治療困難な難治性・進行性がんに対し、がん治療を変革する新規治療薬を開発する臨床段階の開発特化型創薬ベンチャーです

開発パイプライン

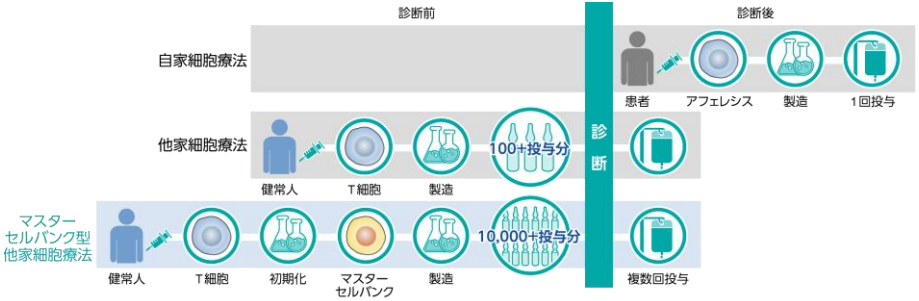
開発品	作用機序/標的	がん種	探索	非臨床	臨床第1相	臨床第2相
細胞医薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2202	iPS細胞由来BCMA CAR-NKT細胞療法	多発性骨髄腫				
BP2301	自家HER2 CAR-T細胞療法	骨軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬						
BP1212	CD39×TIM-3 二重特異性抗体	固形がん				
BP1223	CD39×CD3 T細胞エンゲージャー	急性骨髄性白血病				

BP2202 (iPS細胞由来 BCMA CAR-NKT 細胞療法)

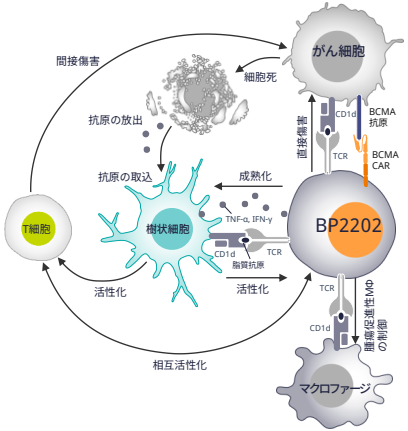
1. 多発性骨髄腫を対象とした iPS細胞から作製した BCMA CAR-NKT 細胞療法
   - 作用機序: BCMAを目印に骨髄腫細胞を排除



2. 他家細胞療法
   - 製造待ち期間がなく、速やかに投与可能
   - 採血時の患者のT細胞の状態に依存しない、均一な品質



3. ナチュラルキラーT細胞エフェクター
   - BCMA CAR-NKT細胞は、骨髄腫細胞の直接傷害に加え、患者体内の内因性T細胞を抗腫瘍応答へと誘導
   - 従来の他家CAR-T療法で認められてきた臨床効果の持続性欠如という課題を解決する可能性

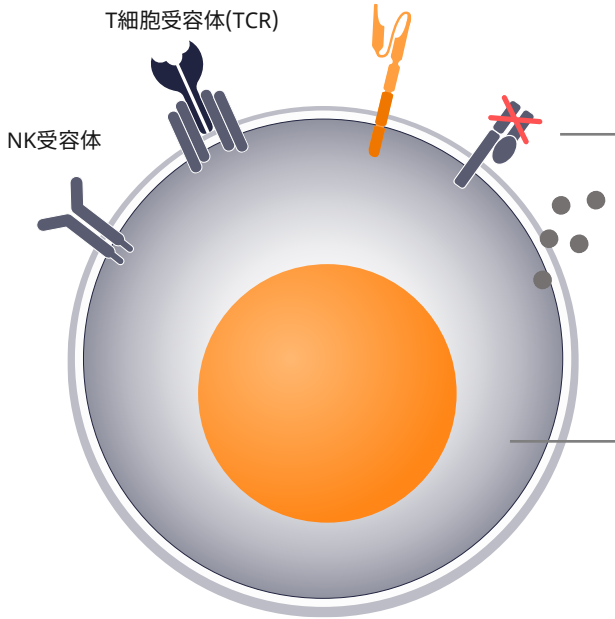


4. マスターiPS細胞バンクから製造
   - 均質性：自家／ドナー由来他家に伴う薬効・安全性のばらつきを回避し、医師が使いやすい予測可能な治療に
   - 大量製造に適したフォーマット：製造単価で非細胞系のoff-the-shelf製品と競争可能に

5. 米国で再発・難治性多発性骨髄腫を対象とする非盲検・用量漸増・多施設共同の第1相臨床試験実施中

BP2202 細胞製品

iPS細胞由来 BCMA CAR-NKT 細胞（BP2202）



遺伝子改変

■ BCMA CAR 遺伝子導入
- 骨髄腫細胞に高発現するBCMA(B細胞成熟抗原)を認識するキメラ抗原受容体(CAR)
- 標的を認識してNKT細胞に活性化シグナルを伝え、細胞傷害分子やサイトカインの放出により骨髄腫細胞を傷害する

■ HLA Class I 遺伝子破壊
- 患者のキラーT細胞が他家細胞を非自己と認識する目印（HLAクラスI）を除去し、拒絶を回避

■ IL-15 遺伝子導入
- 自律的な生存シグナルを付与し、持続性を高め疲弊を抑制

エフェクター細胞

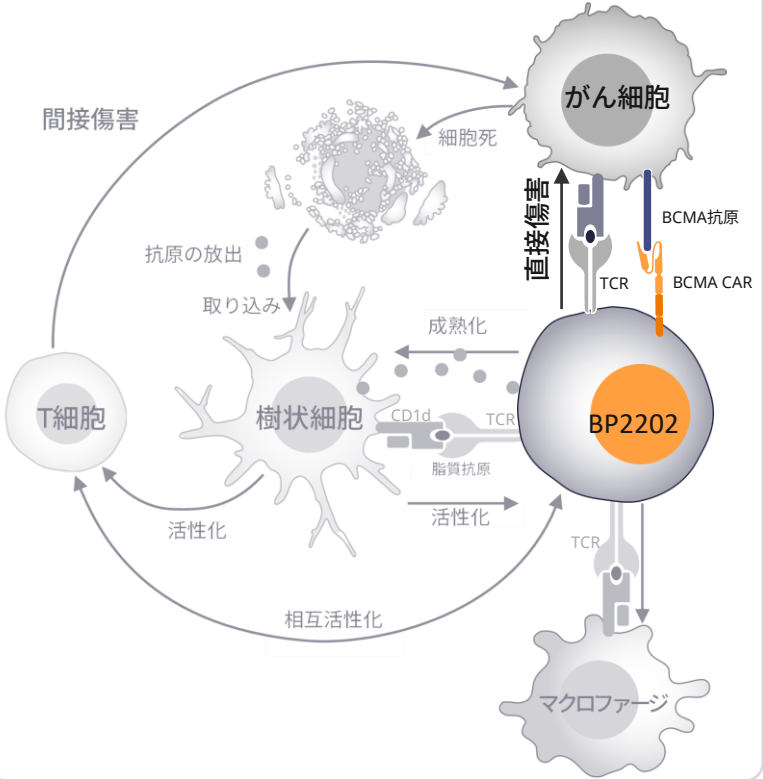
■ iPS細胞から作製したナチュラルキラーT(NKT)細胞
- 骨髄腫細胞の直接傷害に加え、患者体内の内因性T細胞を抗腫瘍応答へと誘導
- マスターiPS細胞バンクから製造するため、一定品質で継続供給でき、臨床スケールへの拡大と商業生産で優位

BP2202 差別化要因

ナチュラルキラーT(NKT)細胞エフェクター

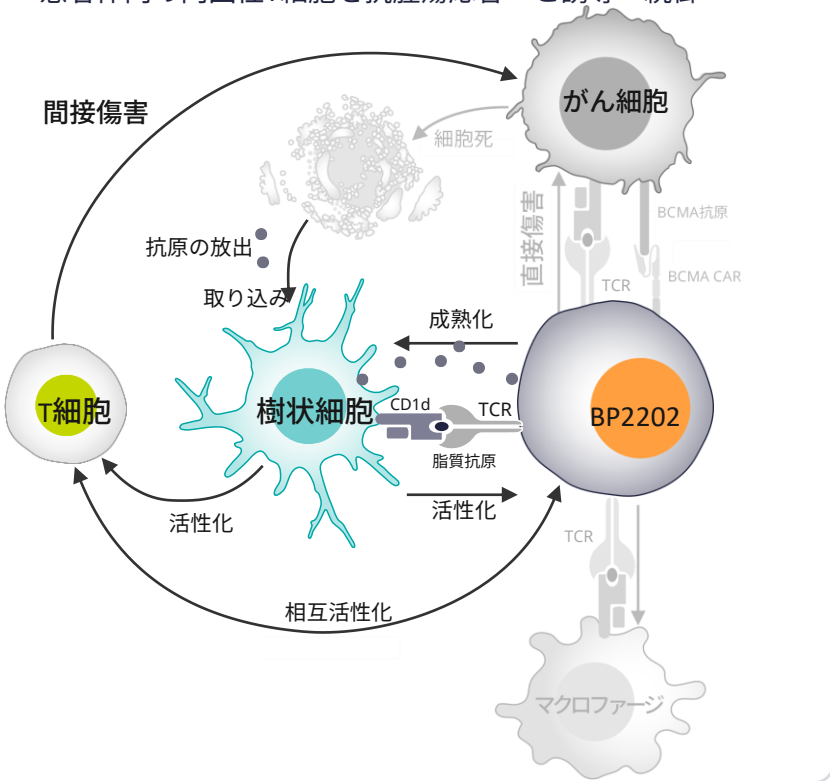
従来の他家CAR-T療法で認められてきた臨床効果の持続性欠如という課題を解決する可能性をもつ

- CAR(キメラ抗原受容体)を介した骨髄腫細胞の直接傷害



+

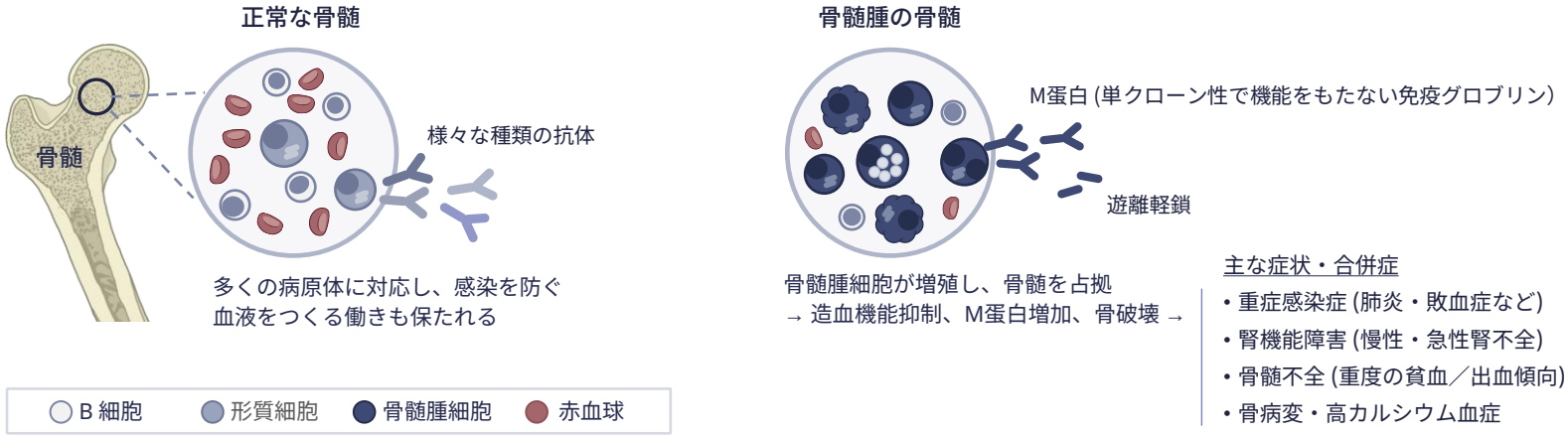
- 患者体内の内因性T細胞を抗腫瘍応答へと誘導・統御



BP2202 対象疾患

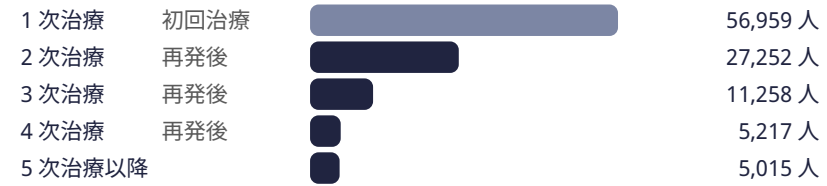
BP2202の対象疾患: 多発性骨髄腫 (Multiple Myeloma)

- 骨髄の形質細胞ががん化した血液がんで、多くの患者が再発を繰り返す



- 血液がんの約 10–15%、診断時年齢中央値 69 歳（米国 SEER）
- 5 年相対生存率 約 64% (米国)
- 患者数推計
  - 世界　新規 約 196,000例／年、死亡 約 119,000例／年（2024）
  - 米国　新規 約　36,000例／年、死亡 約　10,900例／年（2026）
  - 日本　新規 約　8,100例／年、死亡 約　4,400例／年（2025）

- 治療ライン別の治療中患者数推計（米国, 2020 年）



出典：Sonneveld P, et al. *Nat Rev Clin Oncol* 2025；Cowan AJ, et al. *JAMA* 2022；SEER（NCI）；GLOBOCAN 2024（IARC）；国立がん研究センター 2025年がん統計予測；Nikolaou A, et al. *Value Health* 2022

BP2202 臨床試験デザイン

再発・難治性多発性骨髄腫を対象とした非盲検・多施設共同 第1相試験

- 試験構成
  - Part A　用量漸増（3+3デザイン）

    用量レベル1から開始し、用量制限毒性(DLT)が認められなければ次の漸増用量へ移行し、推奨第2相用量（RP2D）を決定する

    用量レベル1（開始用量）
    2×10^8 個/回
    （3回投与）

    → **用量レベル2**
    4×10^8 個/回
    （3回投与）

    → **用量レベル3**
    6×10^8 個/回
    （3回投与）

    → **RP2D (想定)**

  - Part B　用量拡大

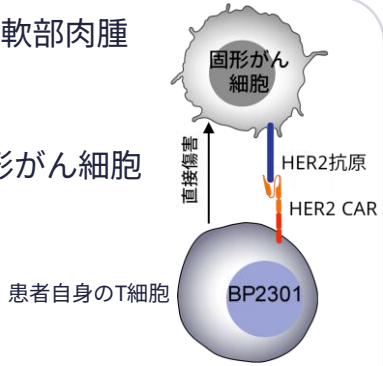
    安全性と抗腫瘍効果をさらに評価する

    Part Bの全被験者にRP2Dを投与
    最大12例（Part AのRP2D投与例を含む）

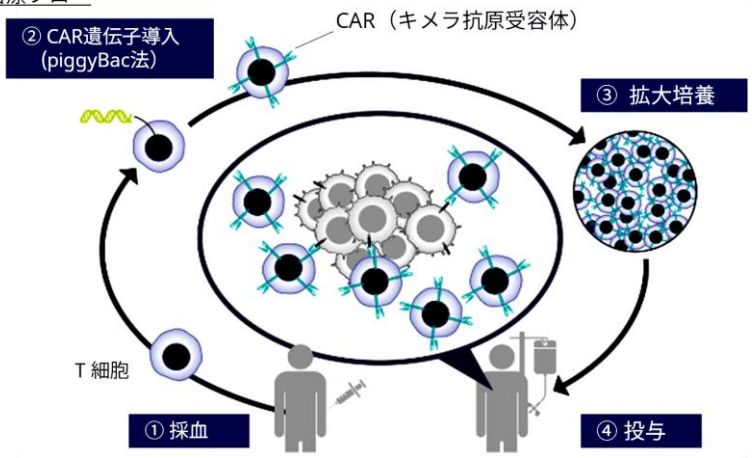
- 治療スケジュール

BP2301 (自家HER2 CAR-T細胞療法)

1. HER2陽性婦人科がんまたは骨軟部肉腫を対象とする
   自家HER2標的CAR-T細胞療法
   - 作用機序: HER2を目印に固形がん細胞を排除



CAR-T治療フロー

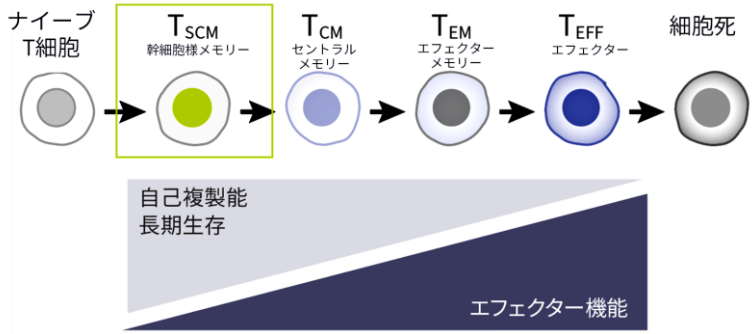


2. 固形がんでの有効性を目指して設計した自家CAR-T細胞

■ 幹細胞様メモリーT細胞 (Tscm)をCAR-Tに活用

- 免疫抑制的な固形がん組織でも早期の疲弊・無機能化を免れ、がん細胞を殺傷し続ける
- 自己複製能と持続性に優れた未分化なTscmを多く含むよう製造工程を構築

T細胞の分化過程



3. 第1相医師主導治験実施中
   - 対象：HER2陽性骨軟部肉腫及び婦人科がん
   - 治験実施施設：信州大学医学部附属病院

BP2301 (続)

■ HER2 CAR-Tの先行開発品

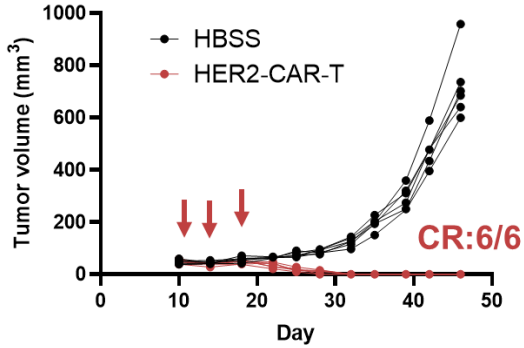
臨床試験	米ベイラー医科大学 2017[*1]	米ベイラー医科大学 (HEROS2試験) 2024[*2]	EXUMA Biotech 2025 (中間解析)[*3]	BP2301 FY2026E
CAR遺伝子導入法	レトロウイルスベクター	レトロウイルスベクター	レンチウイルスベクター	piggyBac (非ウイルス)
対象疾患	膠芽腫	骨軟部肉腫 (再発・治療不応性かつ転移病変有り)	固形がん (胃がん、食道がん大腸がん、乳がん)	骨軟部肉腫 婦人科がん
患者数	17例	13例	12例	
有害事象	記載なし	G≥3 CRS 2例	G≥3 AE 2例	
臨床効果	PR 1例	CR 2例	“Deep” PR 1例 標的病変100%縮小	

*1 JAMA Oncol 2017;3;(8):1094-1101　*2 Nature Cancer 2024;5:880–894　*3 ASCO GI 2025
CRS:サイトカイン放出症候群、PR: 部分奏効、CR:完全奏効
出所：各論文・学会発表

- 信州大学中沢洋三教授らの非ウイルスCAR遺伝子導入法と、当社と共同開発した細胞培養法により実現
- 製造法特許は、日本、米国、中国で登録済

■ 非臨床試験による概念実証

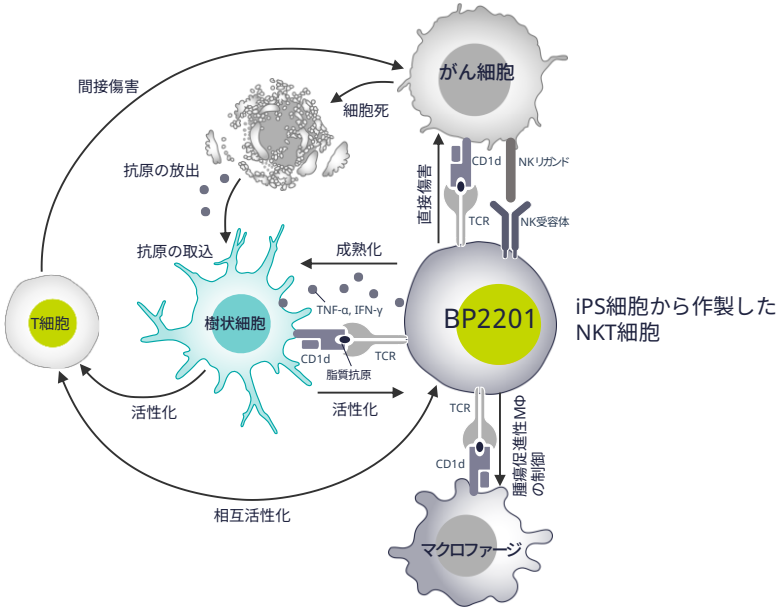
- ヒト卵巣がん細胞株 SK-OV-3 を移植した担がんマウスにおいて、BP2301投与により6匹全例で腫瘍が完全に退縮し、再増殖しなかった



出所：ブライトパス・バイオ　AACR2022

BP2201 (iPS細胞由来 非遺伝子改変 NKT細胞)

1. 頭頸部がんを対象とする
   iPS細胞から作製したNKT細胞療法



2. 2024年に国内第I相医師主導治験を完了
   - 対象：再発・難治性頭頸部がん
   - 治験実施施設：千葉大学医学部附属病院

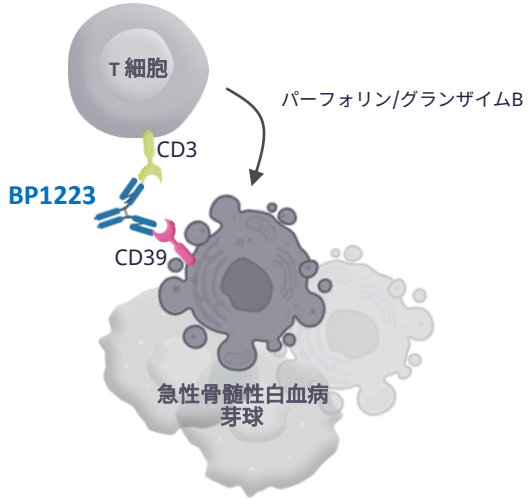
■ iPS細胞から作製したNKT細胞が、世界で初めてヒトに投与され、安全性と初期の臨床活性が確認された
   - 再発・難治性頭頸部がん患者において、高用量群では5例中4例（80%）が病勢安定（SD）
   - 腫瘍縮小傾向を示した症例も含まれた
   - 最も頻度が高かった治療関連有害事象（trAEs）は、グレード1または2の発熱であり、低用量群で1例、高用量群で4例に認められた

■ 腫瘍増殖抑制が認められた2例では、iPS-NKT細胞由来サイトカインとの関連が示唆される細胞傷害性T細胞の増加が認められた

Iinuma et al., Allogeneic iPSC-derived iNKT cells in recurrent head and neck cancer: a phase 1 trial *Nature Communications* volume 16 : 11666 (2025)

BP1223 (CD39標的T細胞エンゲージャー)

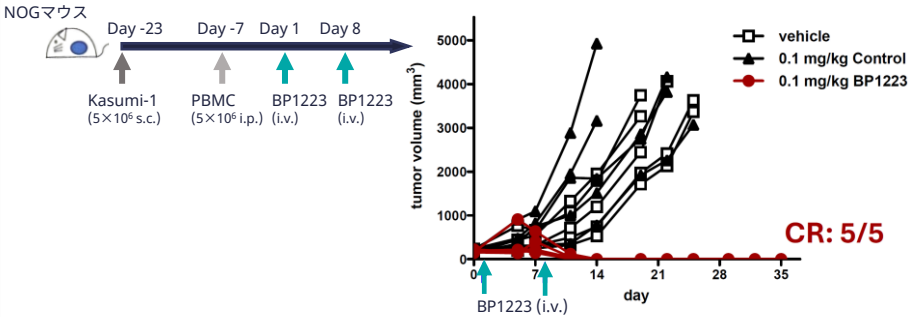
1. 急性骨髄性白血病 (AML) を対象とするCD39標的T細胞エンゲージャー
   - [作用機序] AML芽球上のCD39とT細胞上のCD3に同時に結合して両細胞を架橋し、CD3シグナルで活性化したT細胞が近接するAML芽球を排除



2. CD39標的
   - CD39は、初発・再発unfit AMLの標準療法であるVenetoclaxに抵抗性を示すAML芽球に高発現する点で、従来の開発品の標的（CD123、CD33、CD47、TIM-3等）と大きく異なる

     ⇒ Venetoclax併用において相補的

3. 急性骨髄性白血病マウスモデル試験
   - BP1223は単剤で5匹全例で移植ヒトAML細胞の腫瘍を完全に排除



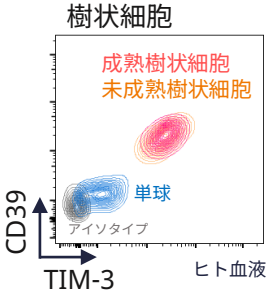
ブライトパス・バイオ　米国血液学会年次会議 ASH2024

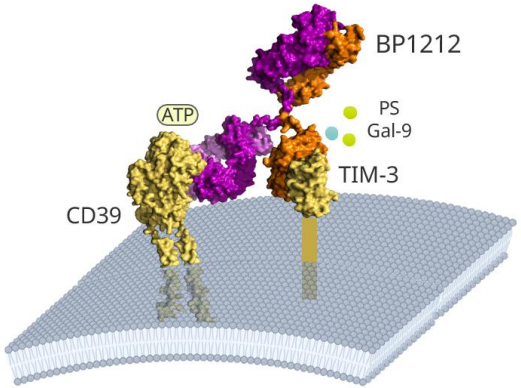
BP1212 (CD39 x TIM-3 二重阻害抗体)

1. 固形がんを対象とする樹状細胞標的のCD39×TIM-3二重阻害抗体

[作用機序]

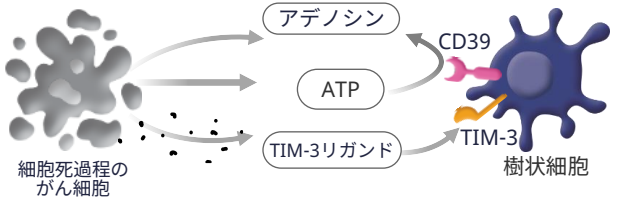
- CD39とTIM-3は、「免疫の司令塔」たる樹状細胞に高発現し、樹状細胞を不活性な状態に留めることで、免疫抑制的な腫瘍微小環境の形成に中心的な役割を果たす
- BP1212は、腫瘍微小環境においてCD39とTIM-3の免疫抑制経路をブロックすることにより、樹状細胞によるT細胞刺激を促し、強固な抗腫瘍免疫を誘導する





2. BP1212は腫瘍局所で機能

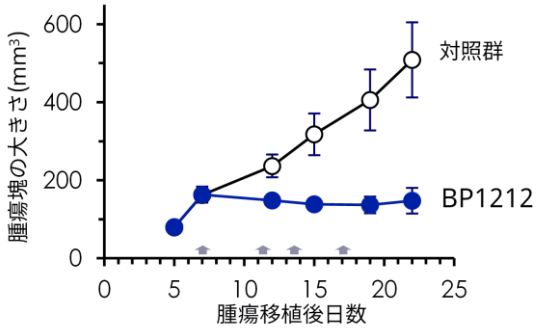
- eATP（CD39の基質）およびPS（TIM-3リガンド）に富む腫瘍内で作用し、免疫抑制環境下で機能不全に陥った樹状細胞を再活性化する



3.固形がんマウスモデル試験

- BP1212は単剤で腫瘍の増殖を著しく抑制

CD39, TIM-3ダブル・ノックインマウスを使ったマウスがん細胞株同系移植モデル



ブライトパス・バイオ IRCI 2025

会社概要

会社概要

社名	ブライトパス・バイオ株式会社 (東証グロース 4594)	
所在地	本社事業所	：東京都千代田区麹町2-2-4
	本店／川崎創薬研究所	：神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22
	細胞技術研究所	：神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22
設立	2003年5月8日	
事業内容	がん免疫治療薬の開発・販売	
資本金	2,574百万円 (2026年3月末現在)	
社員数	23名 (2026年3月現在)	

役員	代表取締役社長	永井 健一	
	取締役 (非常勤)	山田 亮	久留米大学名誉教授
	取締役 (社外、独立役員)	竹内 弘高	国際基督教大学理事長、一橋大学名誉教授
	監査役 (社外)	岸野 努	
	監査役 (社外、独立役員)	阿部 武敏	
	監査役 (社外)	山口 芳泰	TMI総合法律事務所パートナー

拠点および沿革

本社事業所

東京都千代田区麹町2-2-4
麹町セントラルビル7F

本店／川崎創薬研究所
細胞技術研究所

神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22
ライフイノベーションセンター

2003年5月
福岡県久留米市に当社設立

2006年1月
ITK-1去勢抵抗性前立腺がん対象第I相臨床試験開始

2013年8月
ITK-1 第III相臨床試験開始

2015年11月
東京証券取引所マザーズへ上場

GRN-1201 メラノーマ対象米国第I相臨床試験開始

2016年8月
川崎創薬研究所を開所

2018年4月
理研のiPS-NKT開発プロジェクトに参画

2020年6月
iPS-NKT細胞療法(BP2201)の医師主導治験開始

2022年5月
HER2 CAR-T細胞療法(BP2301)の医師主導治験開始

2022年11月
理研に対しiPS-NKTに関わる全世界での
独占的開発製造販売権の導入オプション行使

2026年8月
iPS細胞由来BCMA CAR-NKT細胞療法(BP2202)の米国
第I相臨床試験開始

BrightPath

Biotherapeutics