
個人投資家向け会社説明会

2020年12月6日

ブライトパス・バイオ株式会社

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につきまして、予告なく変更される可能性があります。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。

BrightPath

Biotherapeutics

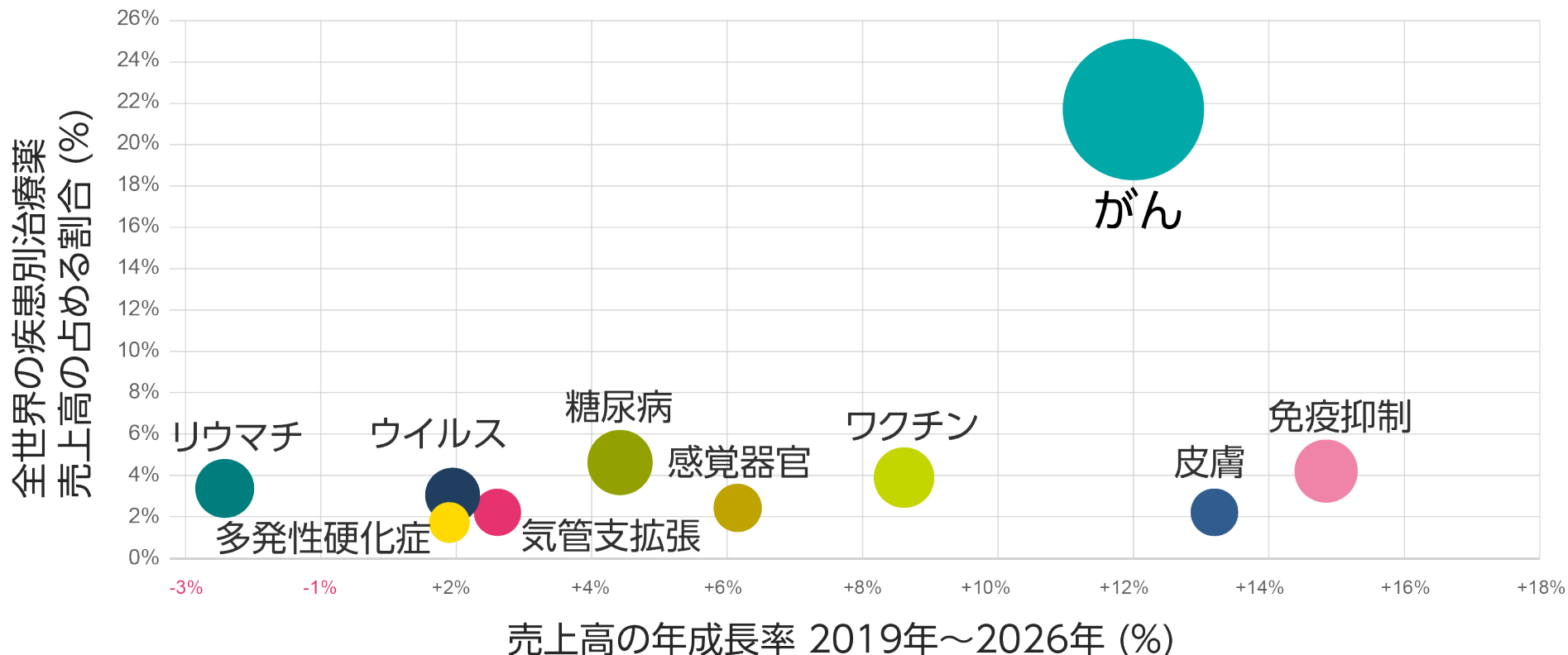


がん免疫治療薬
開発に特化した
創薬ベンチャー



開発領域の市場規模

■ 医薬品市場におけるがん治療薬の圧倒的な存在感



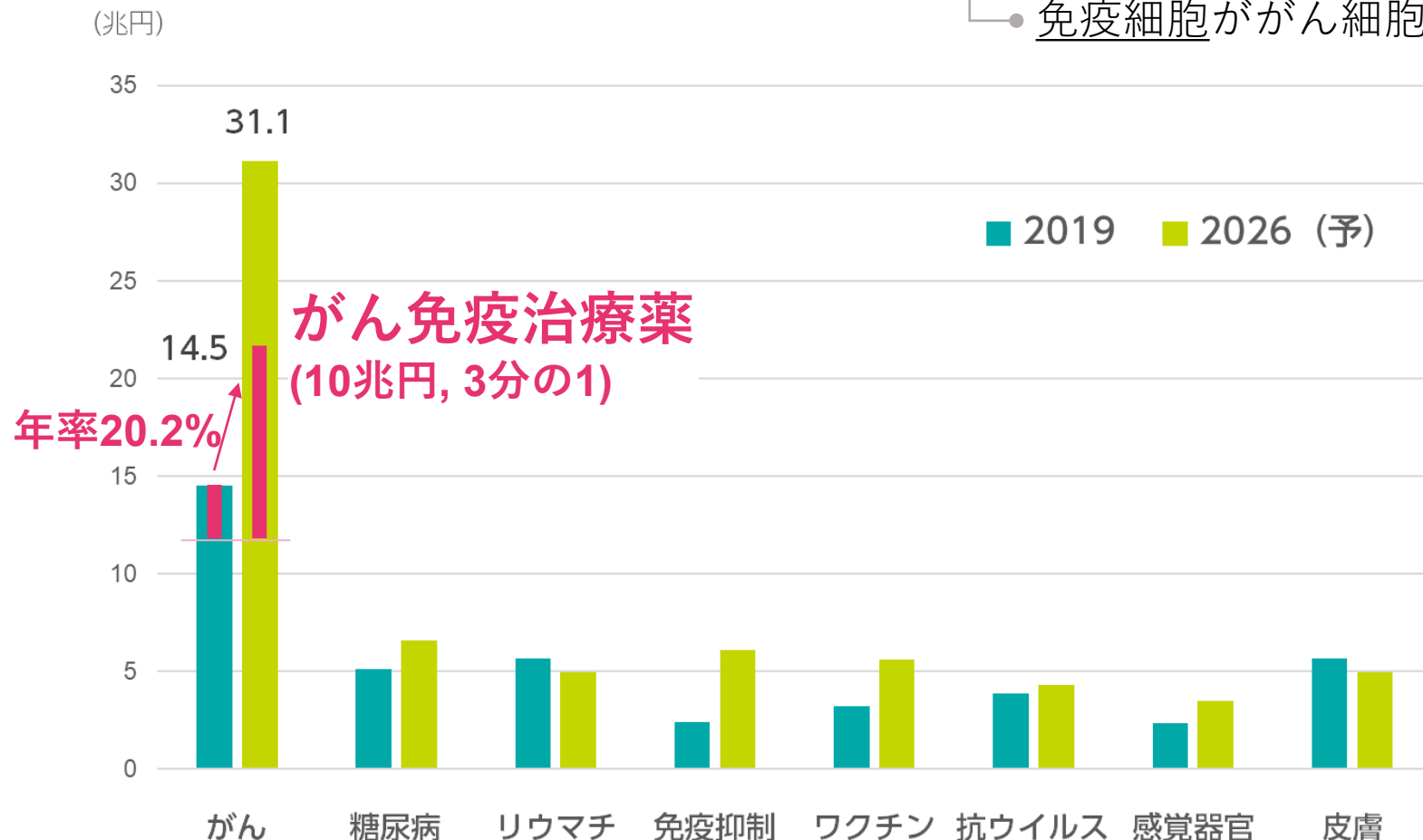
出典： EvaluatePharma, July 2020

開発領域の市場規模 (続)

■ がん治療薬の成長を牽引するがん免疫治療薬

● がん免疫のメカニズムを利用

● 免疫細胞ががん細胞を殺傷



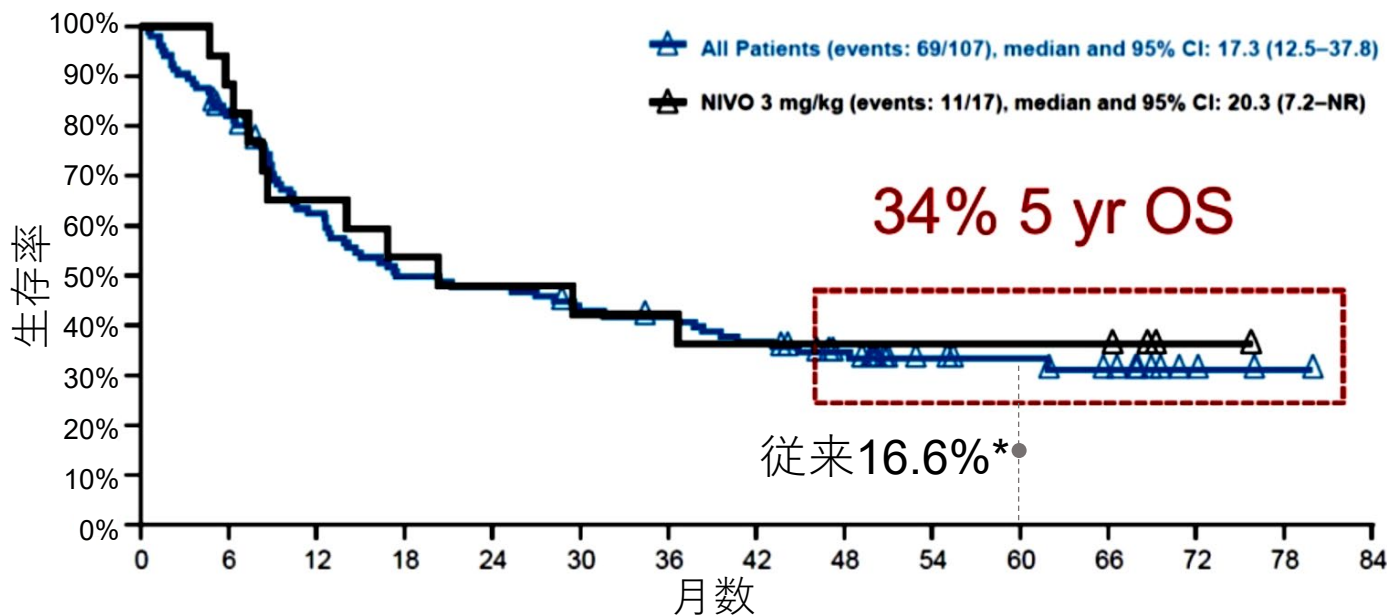
がん免疫治療薬市場拡大の要因

- 免疫チェックポイント抗体治療により、一部の進行がん患者が治癒できる可能性が現実味を帯びてきた

オプジーボ 第I相臨床試験 5年全生存期間

Overall Survival at 5 Years of Follow-up

全生存期間 5年超フォローアップ (悪性黒色腫)



Hodi, AACR April, 2016

*5-year survival rate for metastatic melanoma patients diagnosed between 2005 and 2011, NCI SEER

がん治療におけるイノベーション

局所

再発・転移

がんの進行

1846

1903

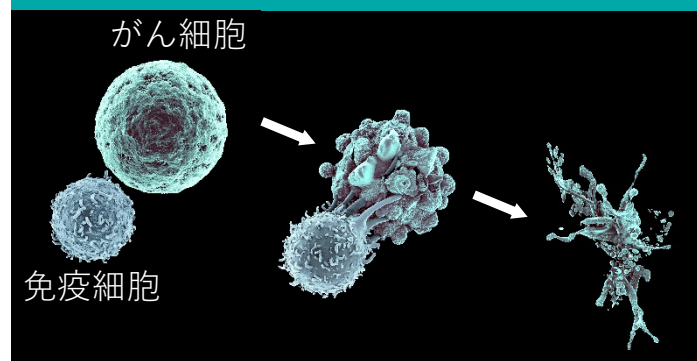
1949

2010

放射線療法



第4の治療法: がん免疫治療




外科手術



化学療法





京都大学の本庶佑特別教授がノーベル生理学・医学賞を受賞。ノーベル財団は、「免疫チェックポイント抗体は、がん治療のまったく新しい原則を確立した」と最大限の賛辞を送った

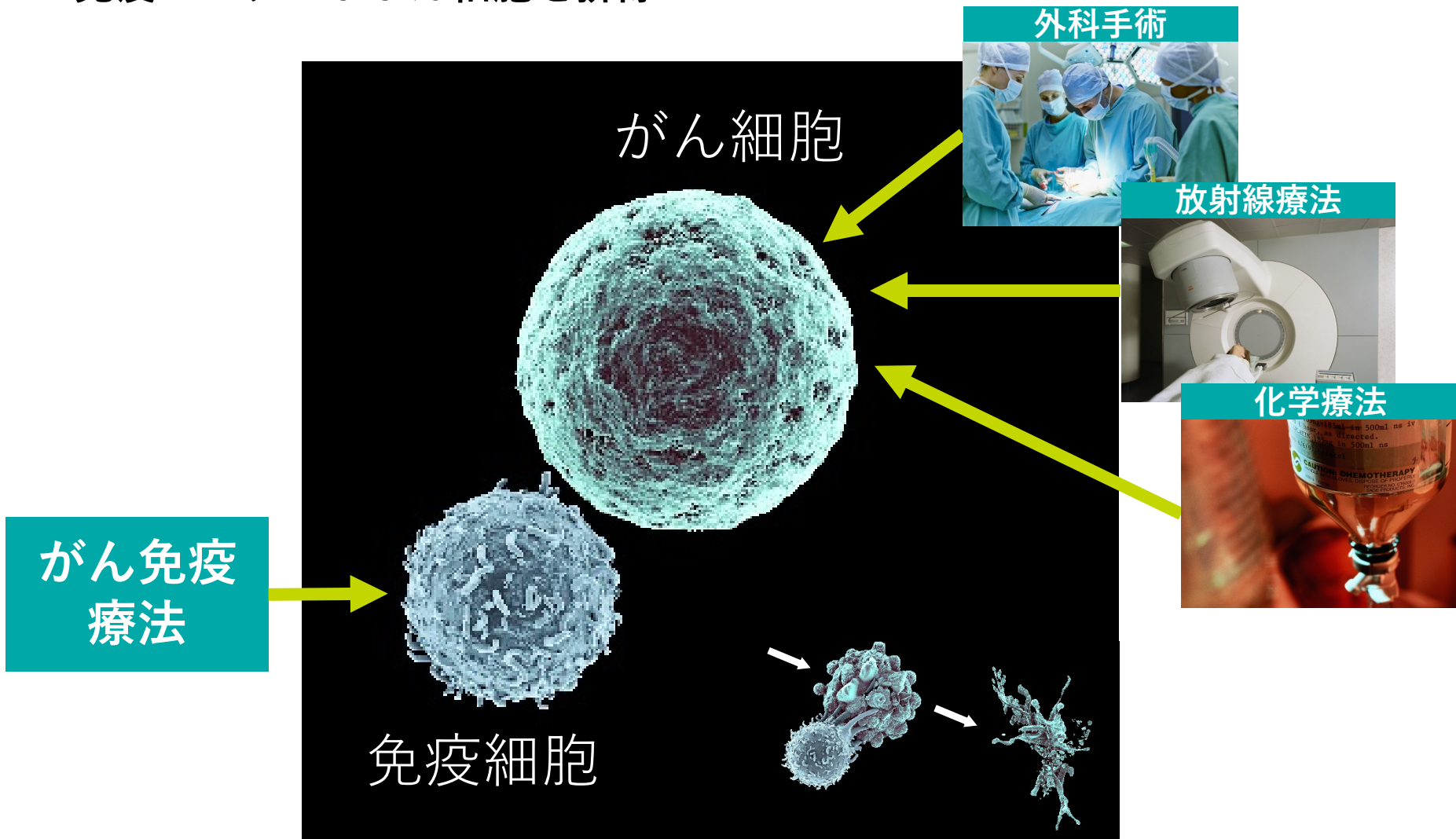
免疫とは

ウイルスや病原菌などの外敵、がんなどの内敵から体を守るための、特定の細胞・組織・臓器から成るシステム



がん免疫療法とは

- がんを直接働きかける他の治療法とは異なり、免疫システムに働きかけ、免疫システムががん細胞を排除

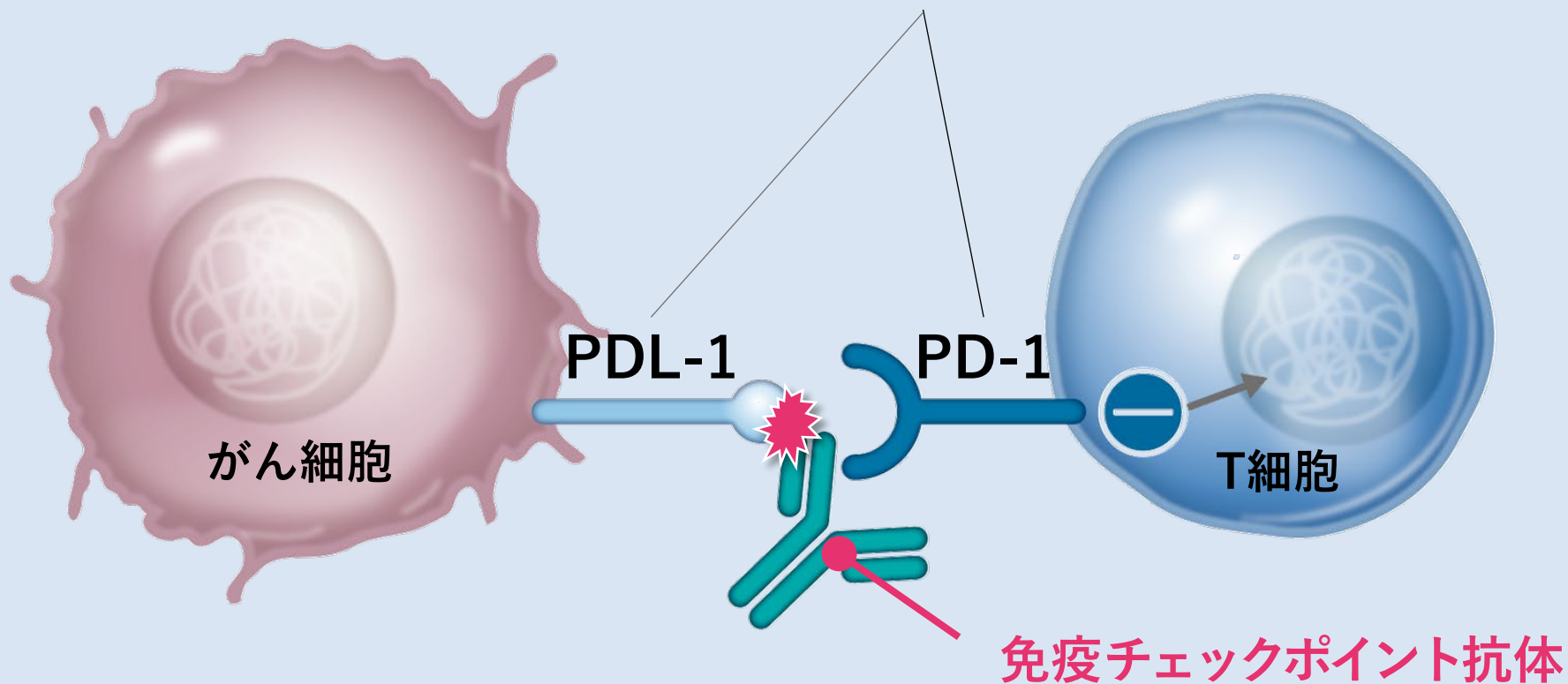


免疫チェックポイント抗体とは

がん免疫が収束へと切り替わる仕組みが働くのを阻止

免疫細胞ががん細胞を殺傷

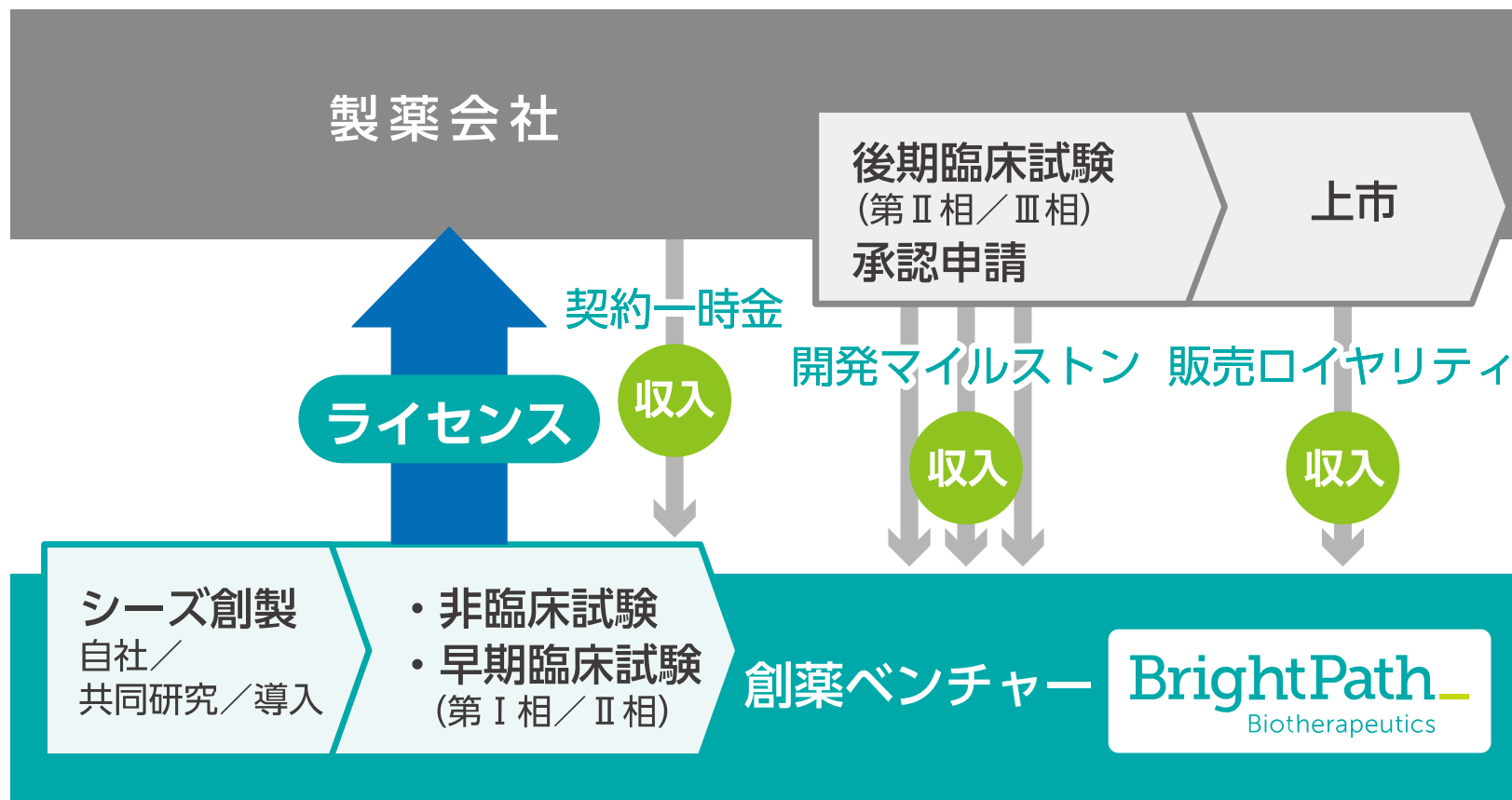
免疫チェックポイント



全奏効率10-40%(単剤), 持続的な治療効果

事業モデル

- 10+年かかる新薬開発の途中で、開発製造販売ライセンスを製薬会社に渡して早期収益化



会社概要

社名 ブライトパス・バイオ株式会社 （東証マザーズ 4594）

所在地 本社事業所 ：東京都千代田区麴町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 5,433百万円（2020年3月末現在）

社員数 51名（2020年3月末現在）

役員

| | | |
|--------------|-------|-----------------|
| 代表取締役社長CEO | 永井 健一 | |
| 取締役 CSO | 中村 徳弘 | |
| 取締役（非常勤） | 山田 亮 | 久留米大学教授 |
| 取締役（社外、独立役員） | 竹内 弘高 | ハーバード大学経営大学院教授 |
| 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



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



開発パイプライン

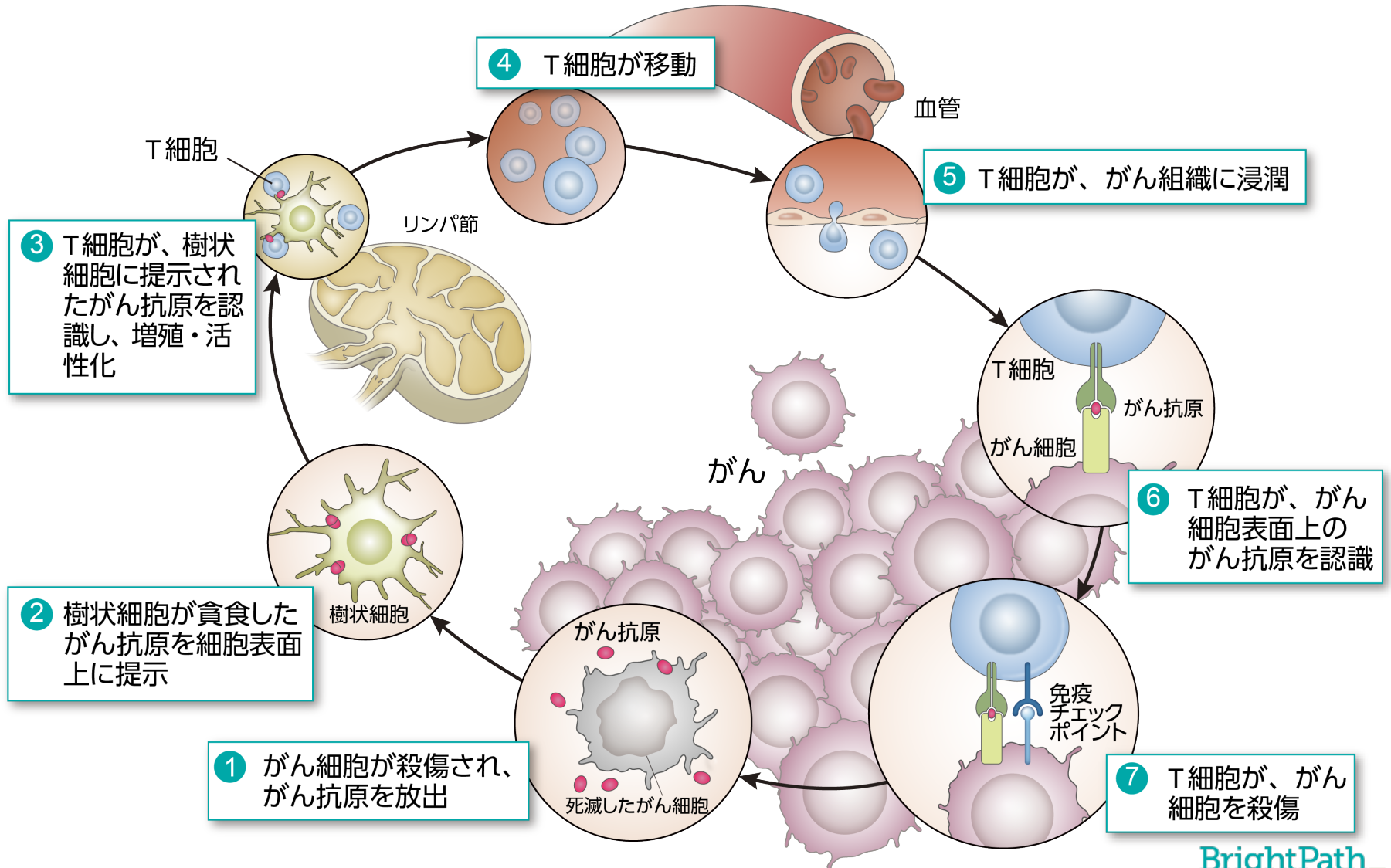
開発パイプライン

- 共通薬
off-the-shelf
- 個別薬
personalized

| 開発品 | メカニズム/標的 | がん種 | 探索 | 非臨床 | 臨床PI | 臨床PII |
|--|---------------|--------------|----|-----|------|------------|
|  がんワクチン | | | | | | |
| ● GRN-1201 | 4種共通抗原 | 肺がん メラノーマ | | | | ペンプロリズマブ併用 |
| ● BP1101 | ネオアンチゲン | | | | | |
| ● BP1209 | 次世代ネオアンチゲン | | | | | |
| ● BP1401 | TLR9アゴニスト | | | | | |
|  細胞 | | | | | | |
| ● iPS-NKT | iPS細胞由来再生NK細胞 | 頭頸部がん | | | | |
| ● BP2301 | HER2 CAR-T | 骨肉腫 | | | | |
|  抗体 | | | | | | |
| ● BP1200 | CD73 | | | | | |
| ● BP1210 | TIM-3 | | | | | |
| ● BP1202 | (非開示) | | | | | |
| ● BP1206 | HLA-DR | | | | | |
| ● BP1211 | PVR | | | | | |

がん細胞を排除する免疫：「がん免疫」

■ がん免疫サイクル：「がん免疫」を成立させる7つのステップ



承認されているがん免疫治療薬

■ 2026年予想市場規模は約10兆円*

● 共通薬
off-the-shelf
● 個別薬
personalized

各種がん免疫治療薬(FDA承認)



活性化促進

- 抗CTLA-4抗体
Yervoy (\$2.0bn)
- 抗PD-1抗体
Keytruda (\$23.3bn),
Opdivo (\$10.5bn)
- 抗PD-L1抗体
Tecentriq (\$5.3bn)
Imfinzi (\$2.2bn)
(2011)



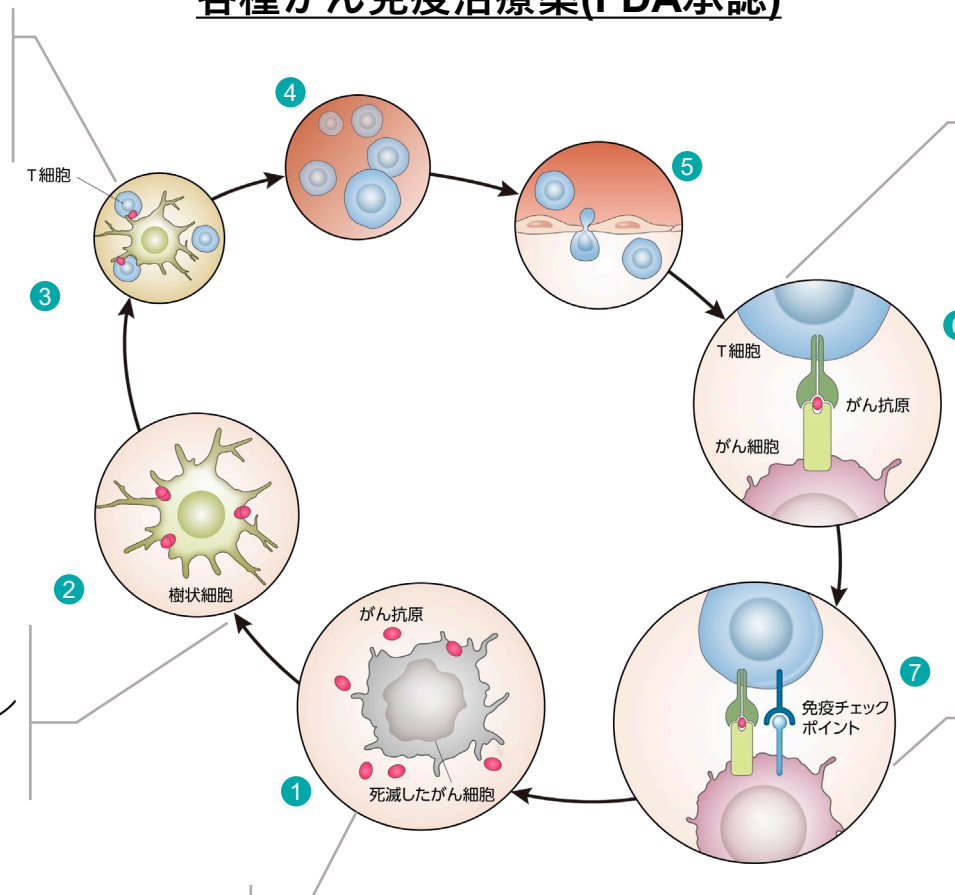
抗原認識誘導

- 樹状細胞ワクチン
Provenge (-)
(2009)



抗原放出促進

- 腫瘍溶解性ウイルス
T-VEC (-) (2015)



がん特異細胞送達

- CAR-T
Kymriah (\$1.0bn),
Yescarta (\$2.0bn)
(2017-)

抑制シグナル除去

- 抗PD-1抗体
Keytruda (\$23.3bn),
Opdivo (\$10.5bn)
- 抗PD-L1抗体
Tecentriq (\$5.3bn)
Imfinzi (\$2.2bn)
(2014-)

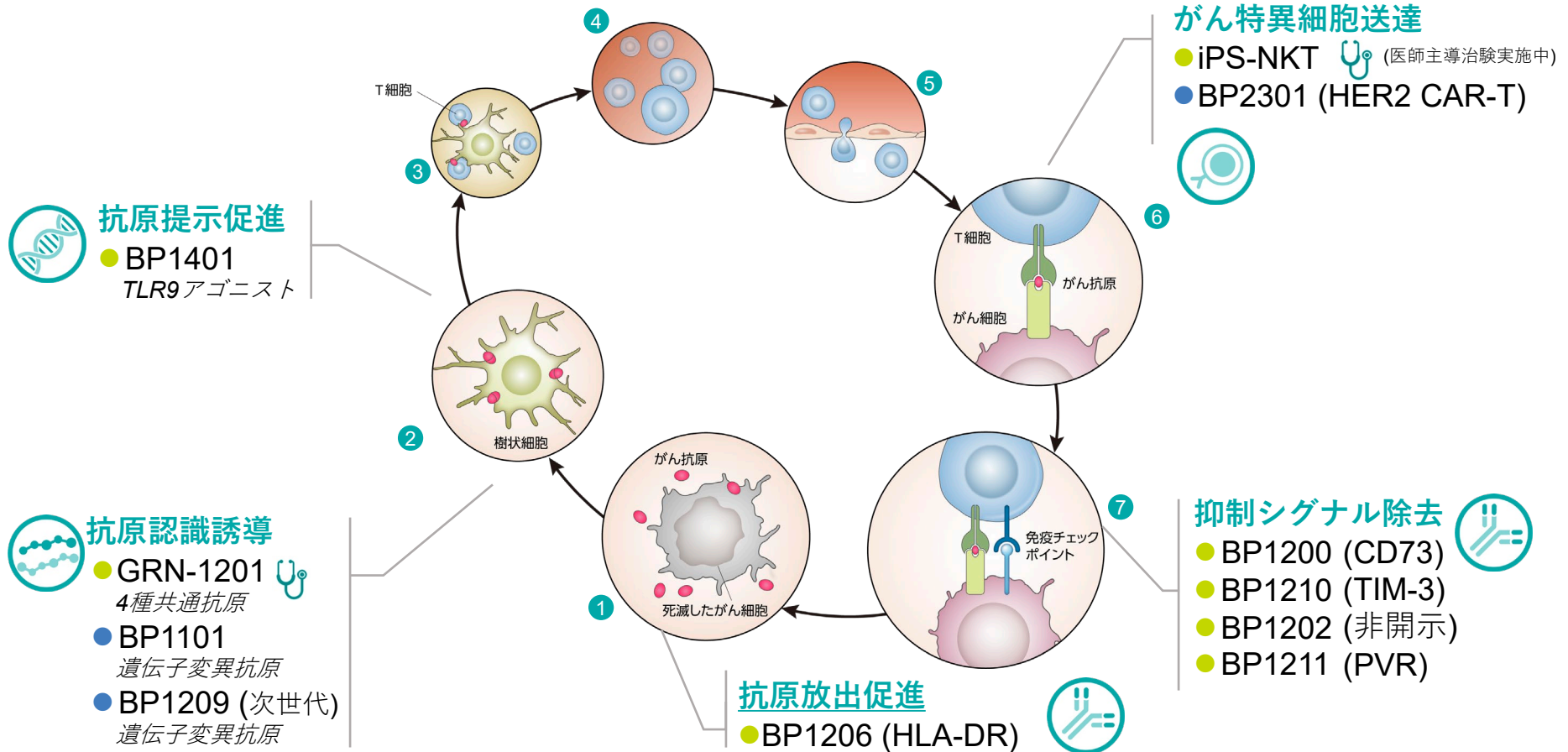
* EvaluatePharma, July 2020 予想, (): 2024年売上高予想、EvaluatePharma January 2020

当社の開発パイプライン

- がん免疫治療薬にフォーカス
- 複数のモダリティ(ワクチン, 抗体, 細胞)

 臨床試験段階

- 共通薬
off-the-shelf
- 個別薬
personalized

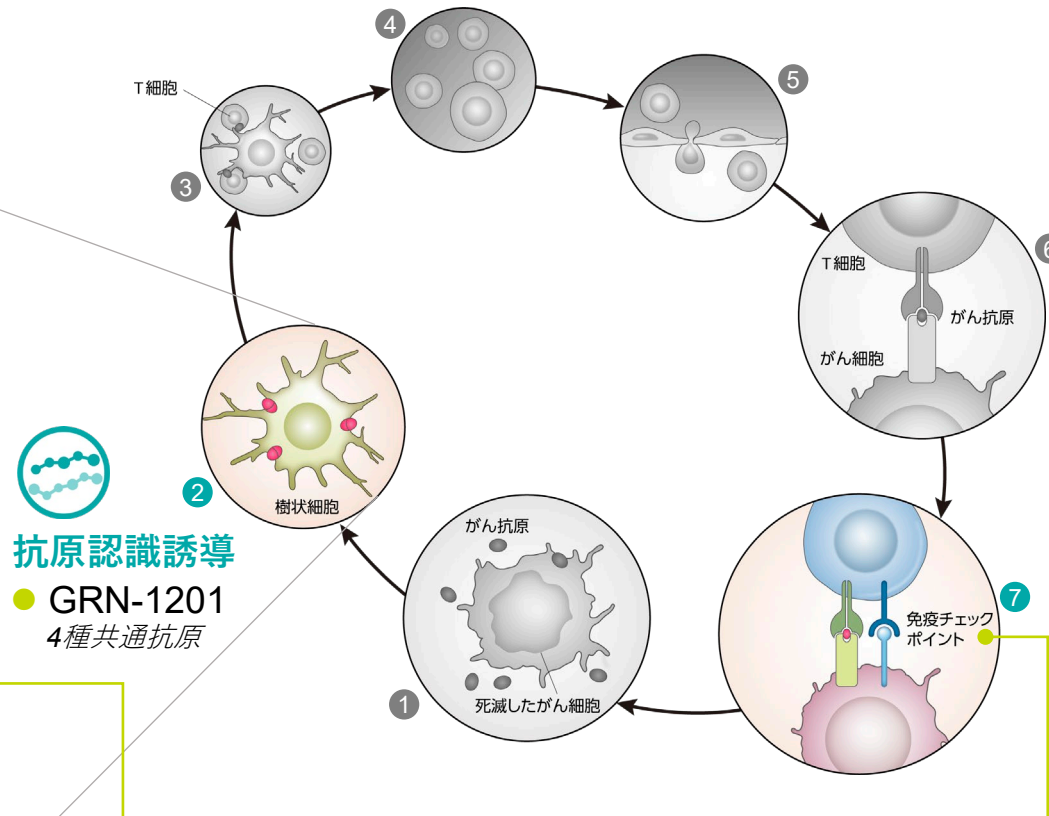


GRN-1201: がんペプチドワクチン

ワクチン

- 4種のがん抗原のワクチン接種によりがん特異的T細胞を免疫誘導し腫瘍を殺傷
- 非小細胞肺癌1次治療でキイトルーダ併用の第2相臨床試験(米国)を実施中

| | |
|----------|--|
| 米国臨床試験番号 | NCT03417882 |
| 被験薬 | GRN-1201: HLA-A2*1拘束性4種ペプチド |
| 対象 | PD-L1陽性非小細胞肺癌 PD-L1陽性 (TPS*2 ≥ 50%) |
| 主要評価項目 | Objective Response Rate |
| 併用薬 | ペンブロリズマブ (キイトルーダ) |
| 症例数 | 64例 サイモン2段階方式 |
| 実施方法 | 非盲検、多施設 |



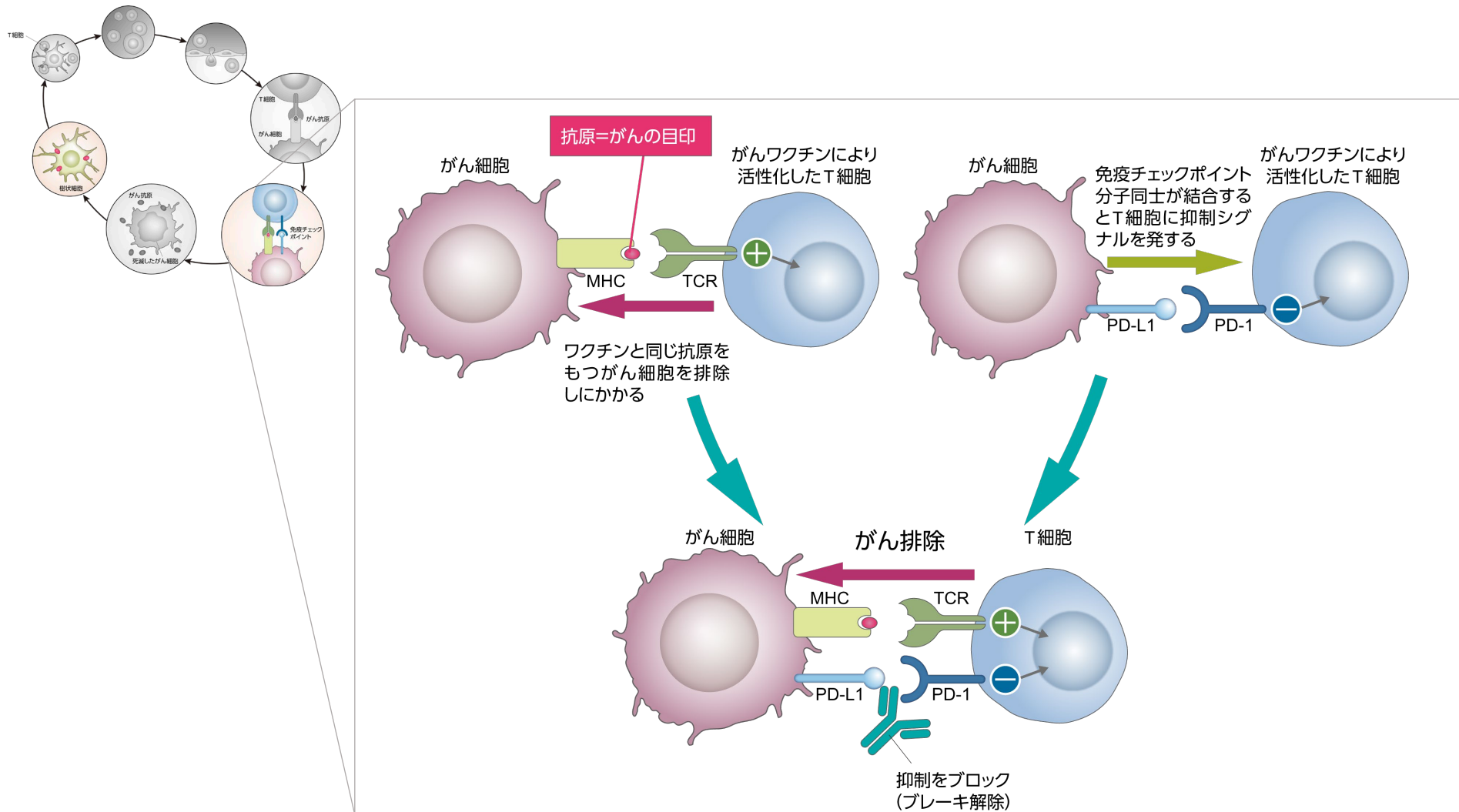
* 1 欧米人の約50%、日本人の約40%

* 2 TPS:Tumor Proportion Score, 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合

GRN-1201: がんペプチドワクチン(続)

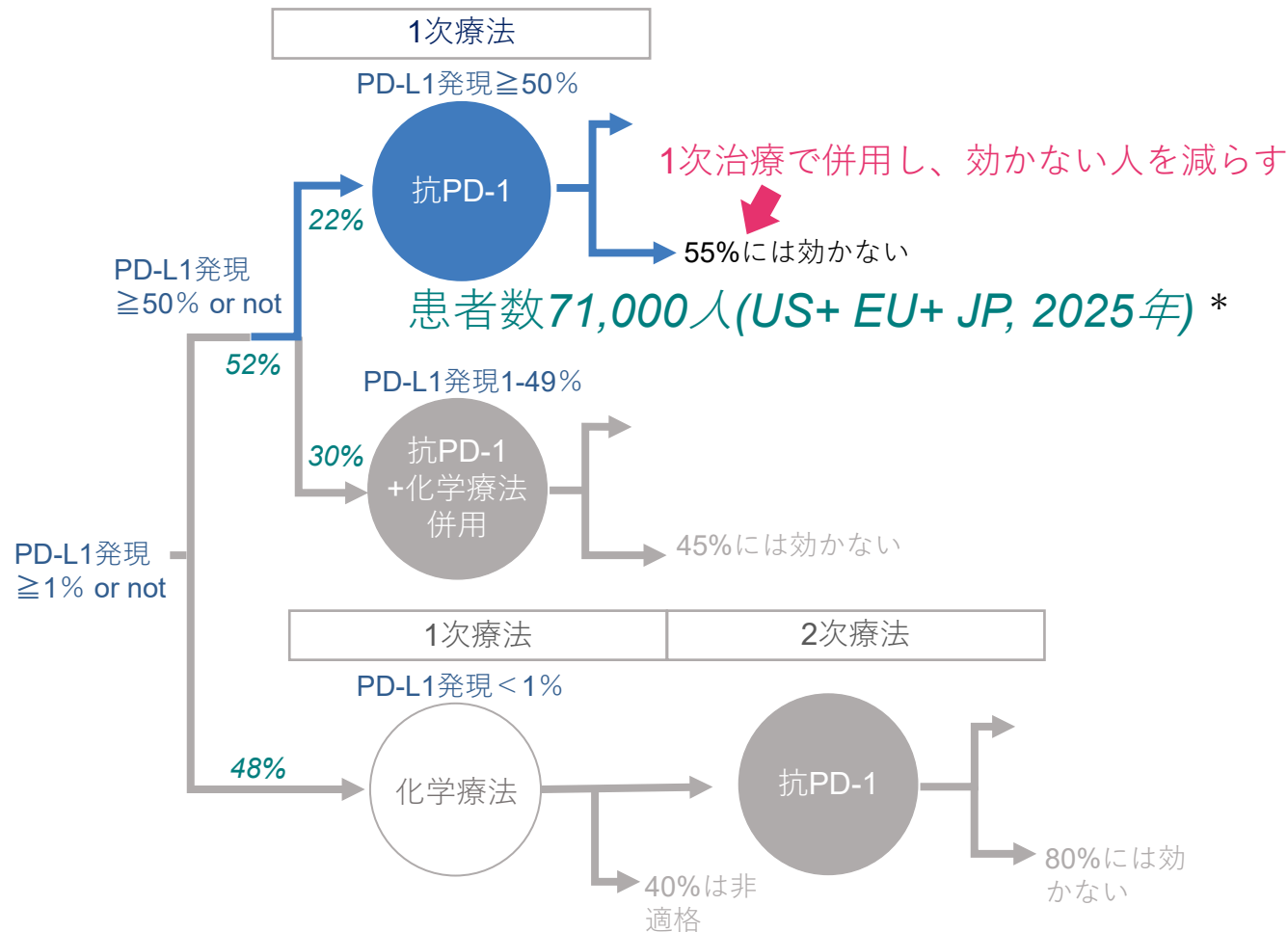
ワクチン

- 免疫チェックポイント阻害剤の併用により、がん特異的T細胞の活性化をさらに亢進し、がんを排除



GRN-1201: がんペプチドワクチン(続)

■ 非小細胞肺癌におけるアンメット・メディカルニーズ

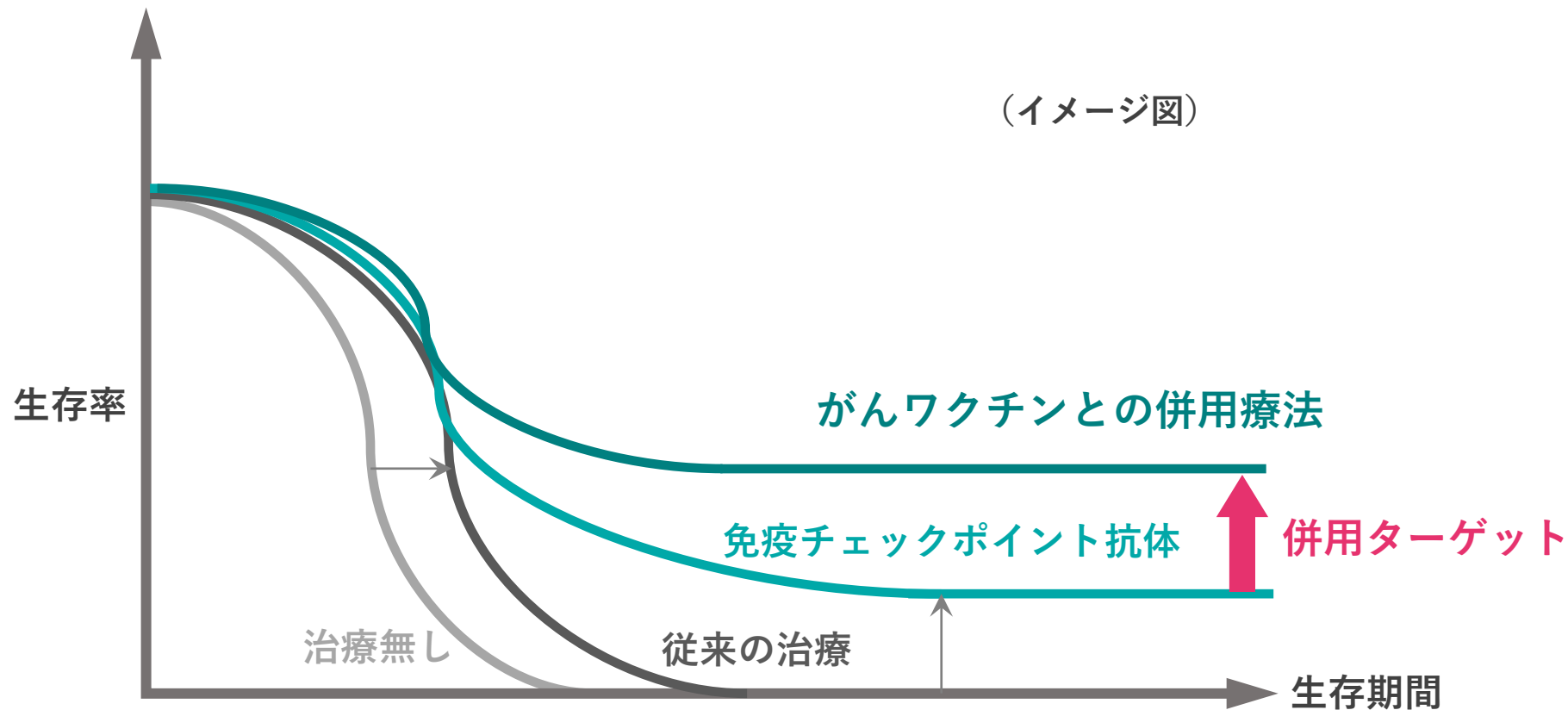


* 出所：Datamonitor Healthcare® | Informa, 2020、Dietel et al. Lung Cancer 134(2019)、ブライトパス・バイオ

GRN-1201: がんペプチドワクチン(続)

ワクチン

- 開発戦略：がんワクチンを併用させることにより、免疫チェックポイント抗体の効果をさらに引き出す

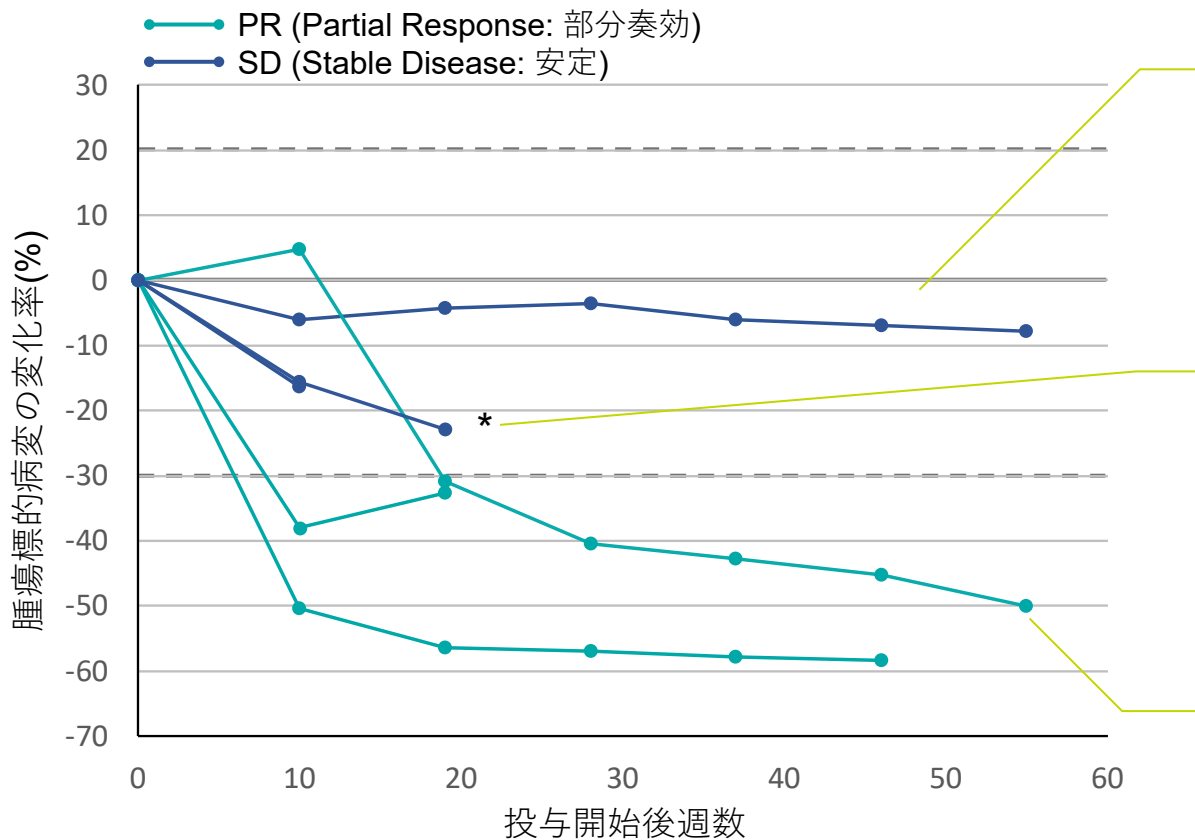


GRN-1201: がんペプチドワクチン(続)

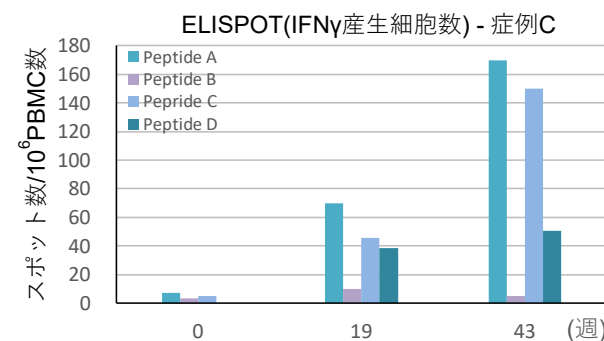
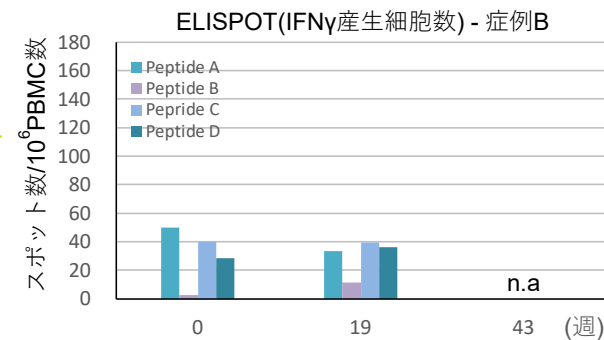
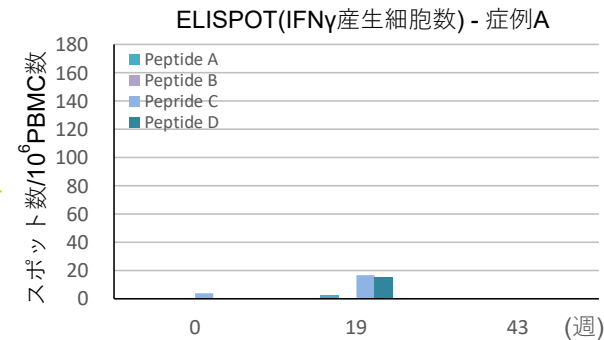
ワクチン

■ 第2相臨床試験ステージ1 途中報告: 臨床評価と免疫レスポンスの相関

投与開始からの腫瘍標的病変変化率(2020年5月時点)



*この後、新病変の出現によりPD(Progression Disease:進行)判定



Direct ELISPOT(24h)による

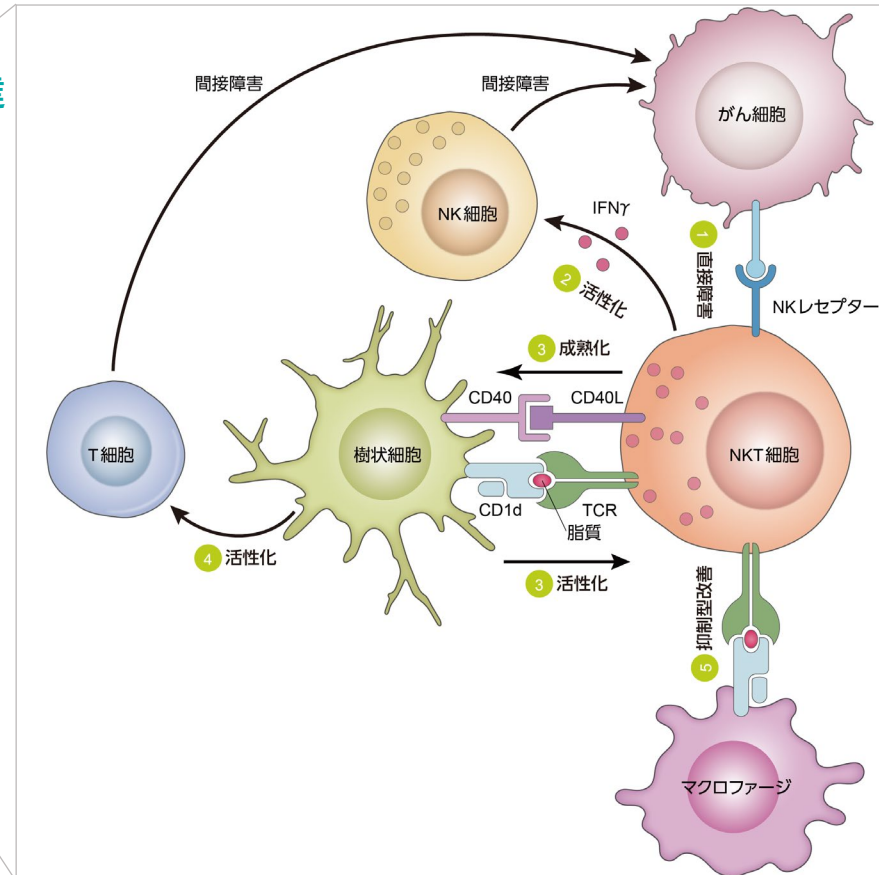
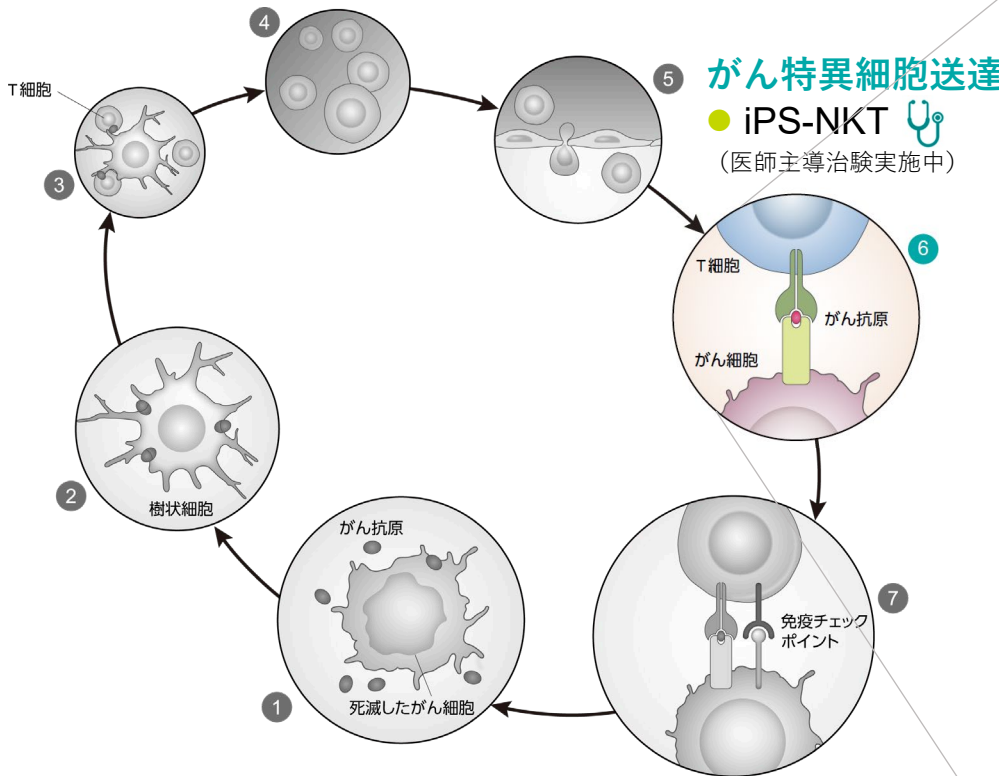
BrightPath
Biotherapeutics

iPS-NKT: 再生NKT細胞療法

■ iPS細胞から分化誘導したNKT細胞による新規他家がん免疫細胞療法

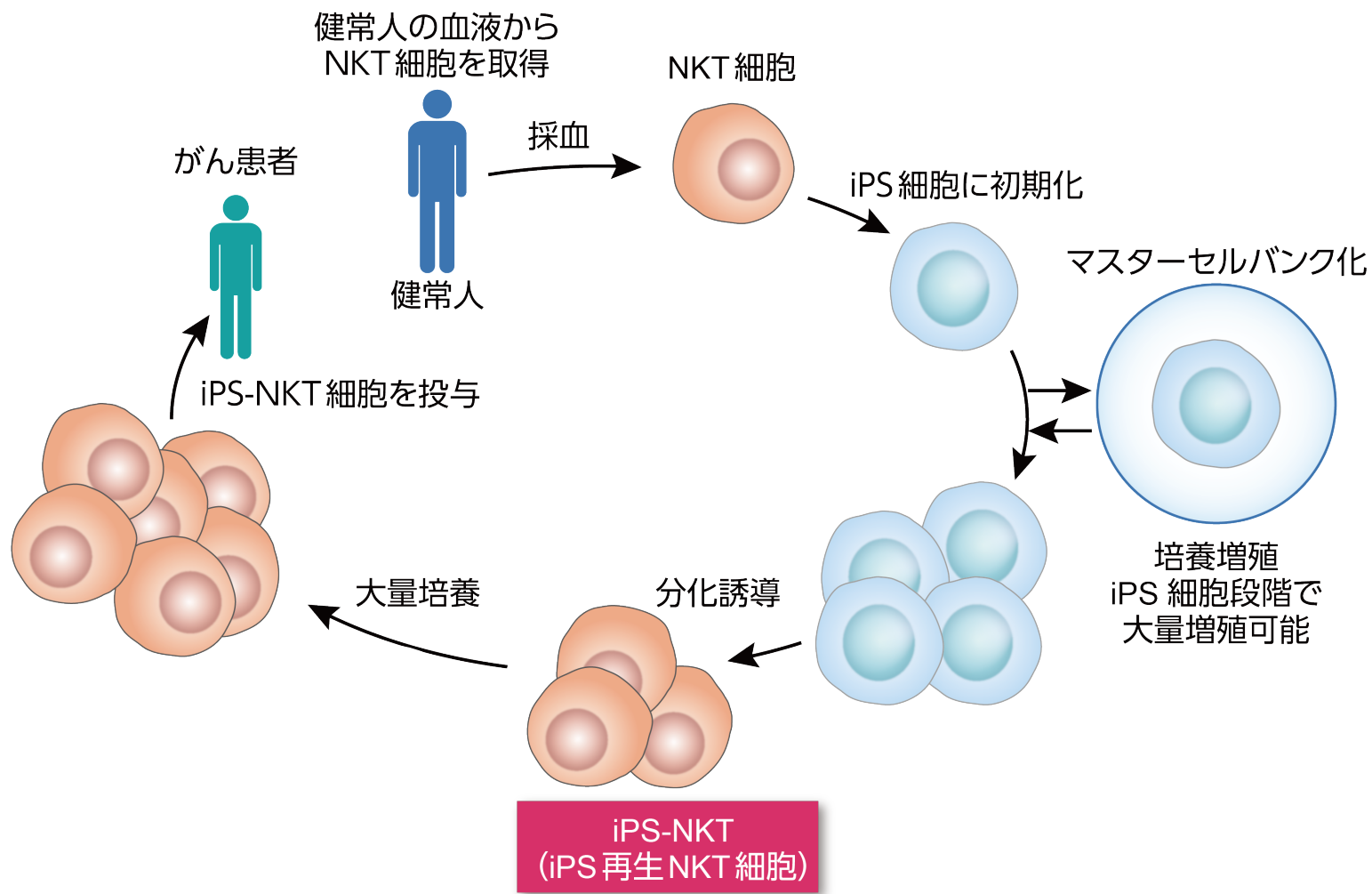
- 多面的な抗腫瘍効果をもつものの血中に僅かにしか存在しないNKT細胞を、iPS細胞から人工的に分化誘導し、臨床効果が期待できる十分量の細胞をがん患者に供与

多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞



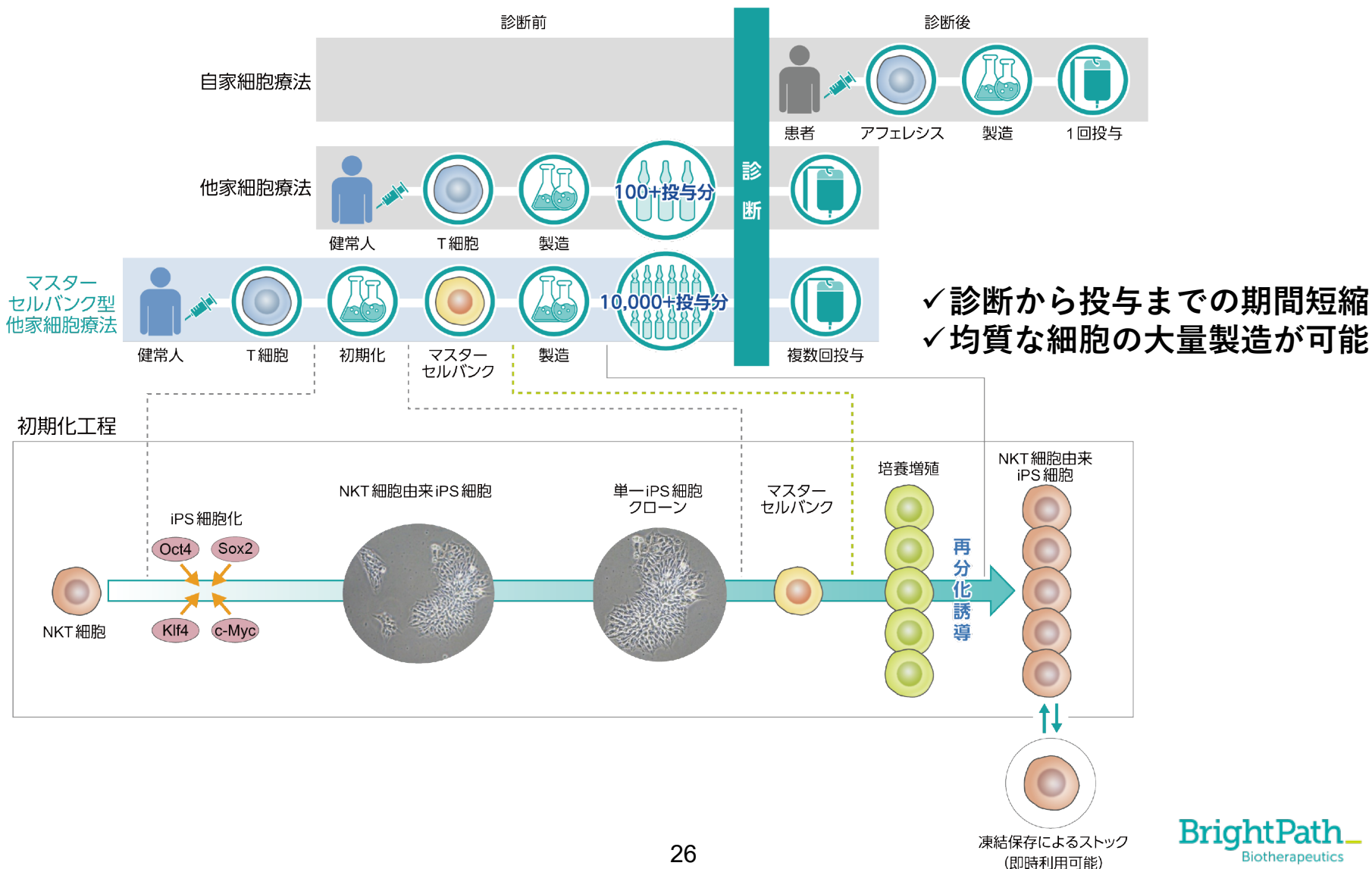
iPS-NKT: 再生NKT細胞療法 (続)

- 体外に取り出したNKT細胞を一旦iPS細胞に初期化し、そこからNKT細胞へと再分化誘導した「再生NKT細胞」を投与



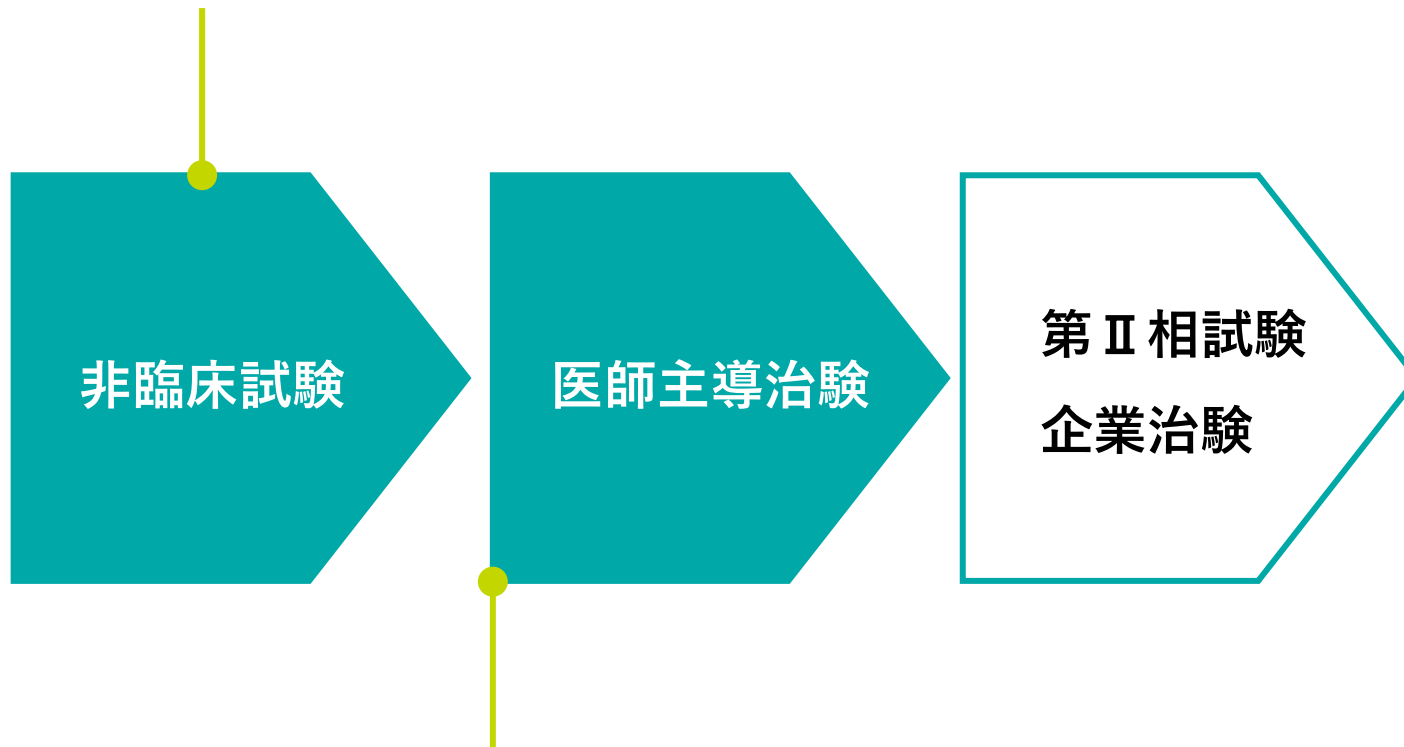
iPS-NKT: 再生NKT細胞療法 (続)

- NKT細胞に分化可能なiPS細胞のマスターセルバンクを樹立
- GMP下でのiPS細胞からのNKT細胞への再分化誘導技術を確立



iPS-NKT: 再生NKT細胞療法 (続)

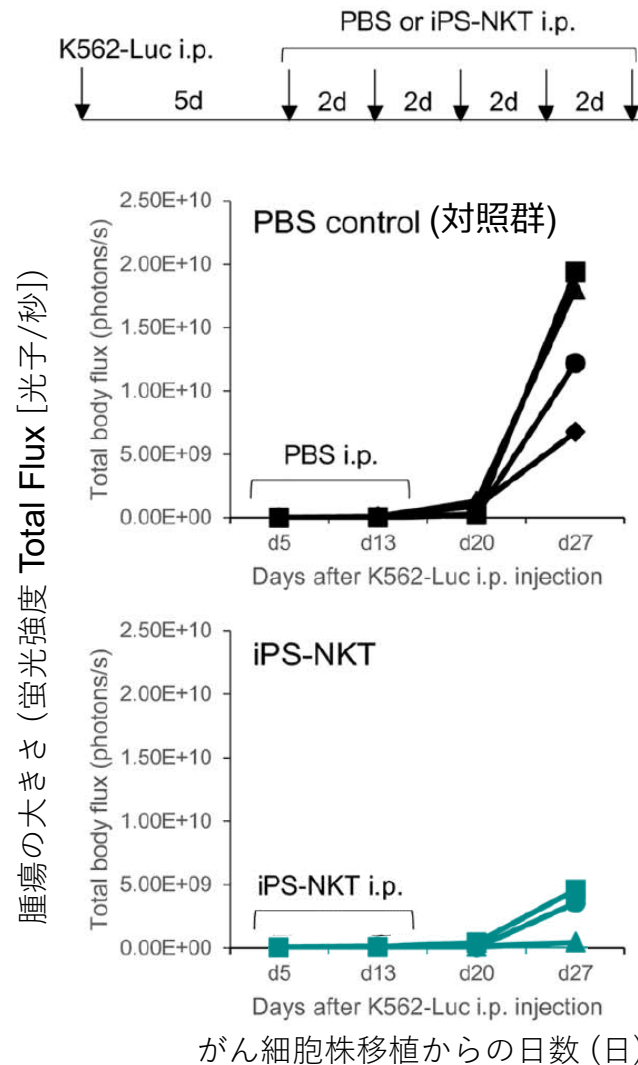
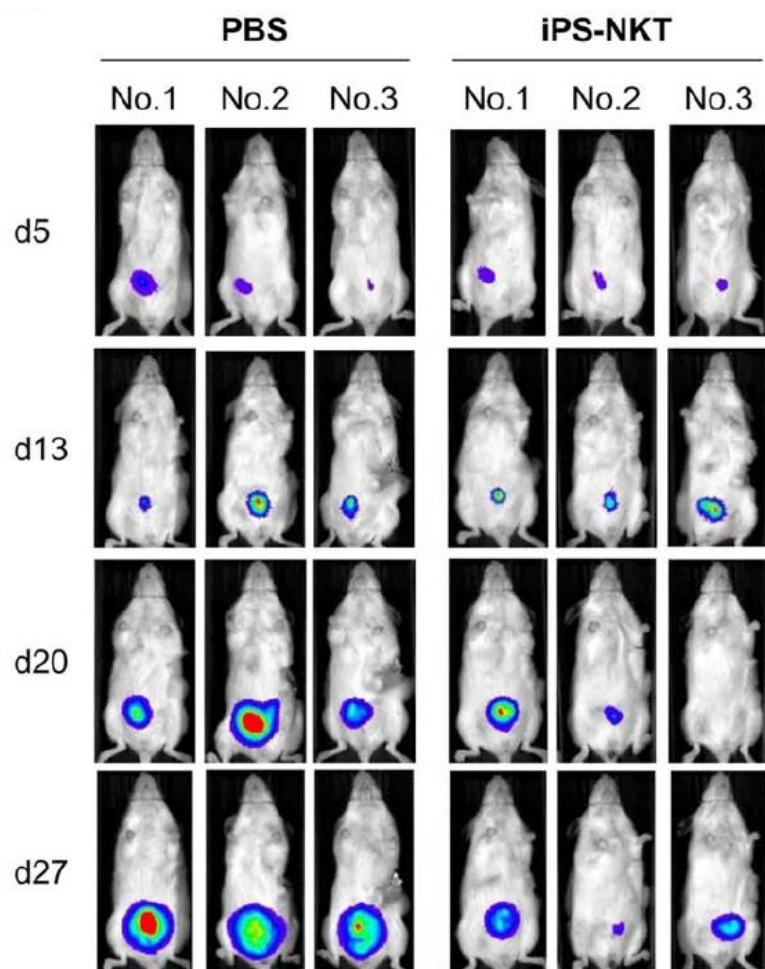
- 理研/AMED推進プロジェクト
- 2017年度に理研から導入オプション取得



- 2020年6月から千葉大学病院において頭頸部がんを対象とする医師主導治験を開始

iPS-NKT: 再生NKT細胞療法 (続)

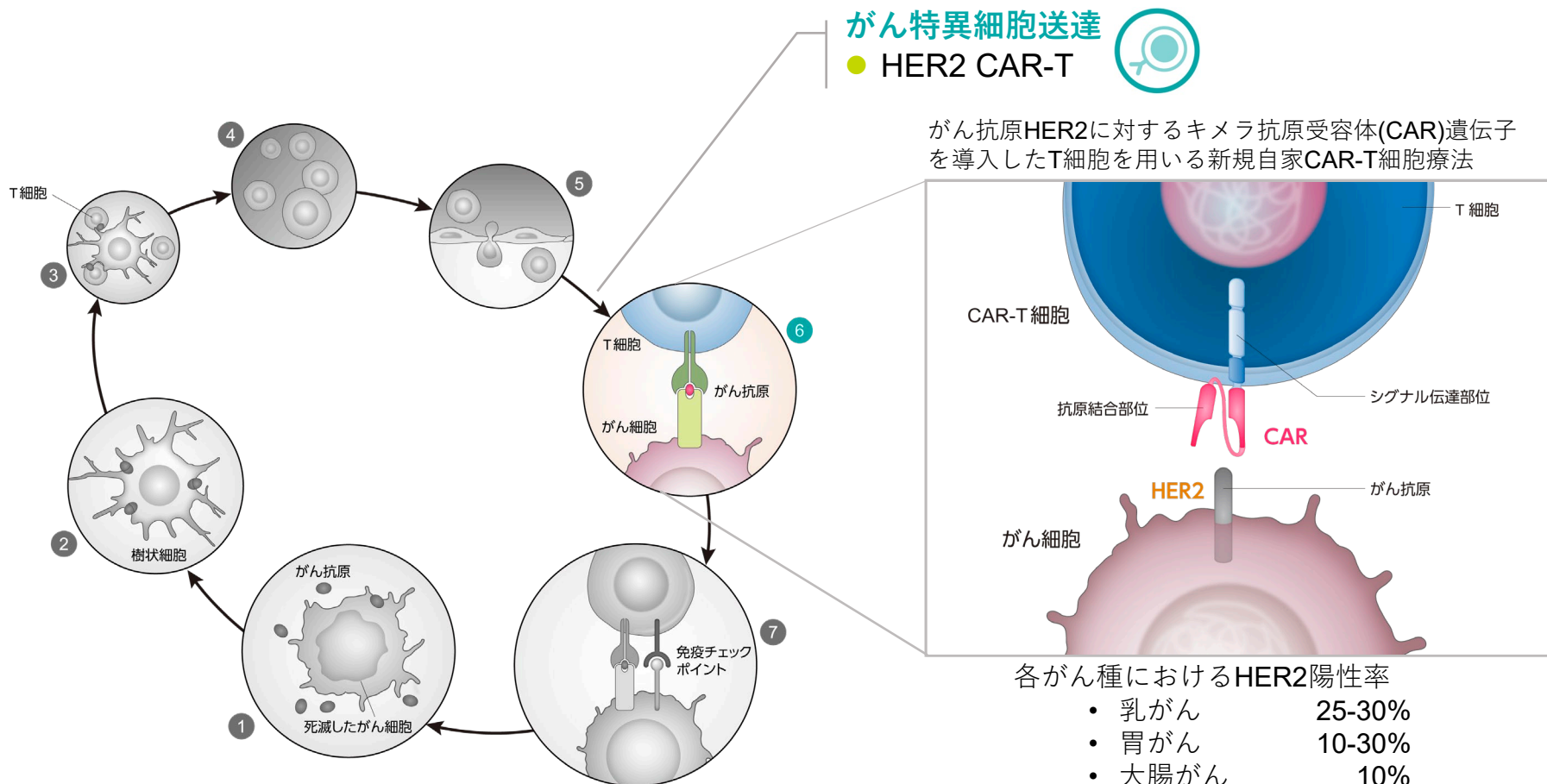
■ 担がんマウスモデルにおける抗腫瘍活性：iPS-NKTはがん細胞の増殖を抑制



出所: Yamada et al., *Stem Cells*. 2016

BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法

■ 血液がんで奏効率70-90%にも至るCAR-Tモダリティの固形がんへの展開を図る



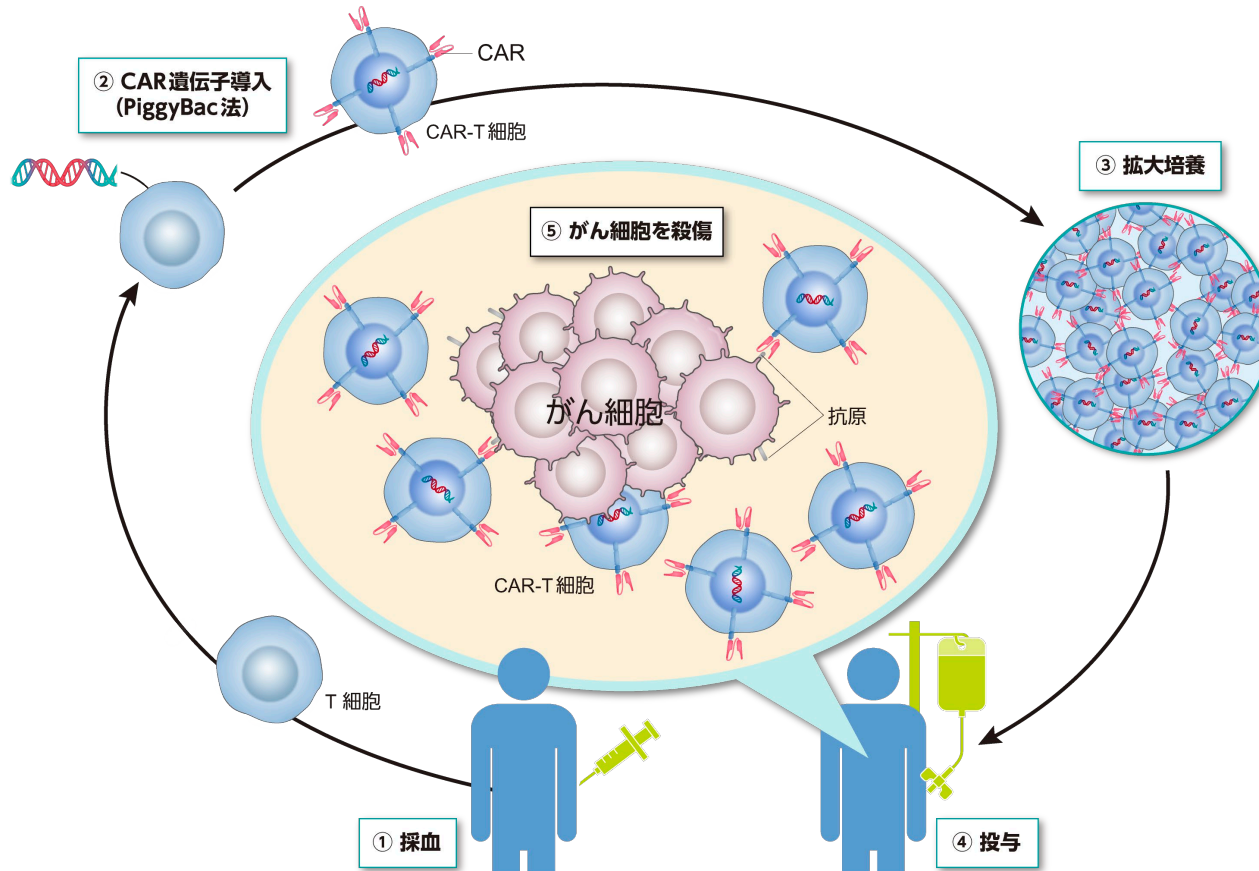
各がん種におけるHER2陽性率

- 乳がん 25-30%
- 胃がん 10-30%
- 大腸がん 10%
- 卵巣がん 25-30%
- 脳腫瘍(膠芽腫) 80%
- 子宮がん 50-80%
- 骨肉腫 60%

BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法(続)

- 非ウイルス法(PiggyBac法¹)でCAR(キメラ抗原受容体)遺伝子を導入
- 既に米国で臨床成功例²をもつHER2 CAR-Tをより良いフォーマットで展開

■ CAR-T細胞治療フロー



- 1 信州大学中沢洋三教授らの非ウイルスCAR遺伝子導入法+当社と共同創製の細胞培養法(特許共同出願中)により実現
- 2 Baylor College of Medicine HEROS2試験で完全寛解1例, 奏効率18% (AACR2019)
固形がんを対象とするCAR-T標的抗原でCRが出ているものは少ない

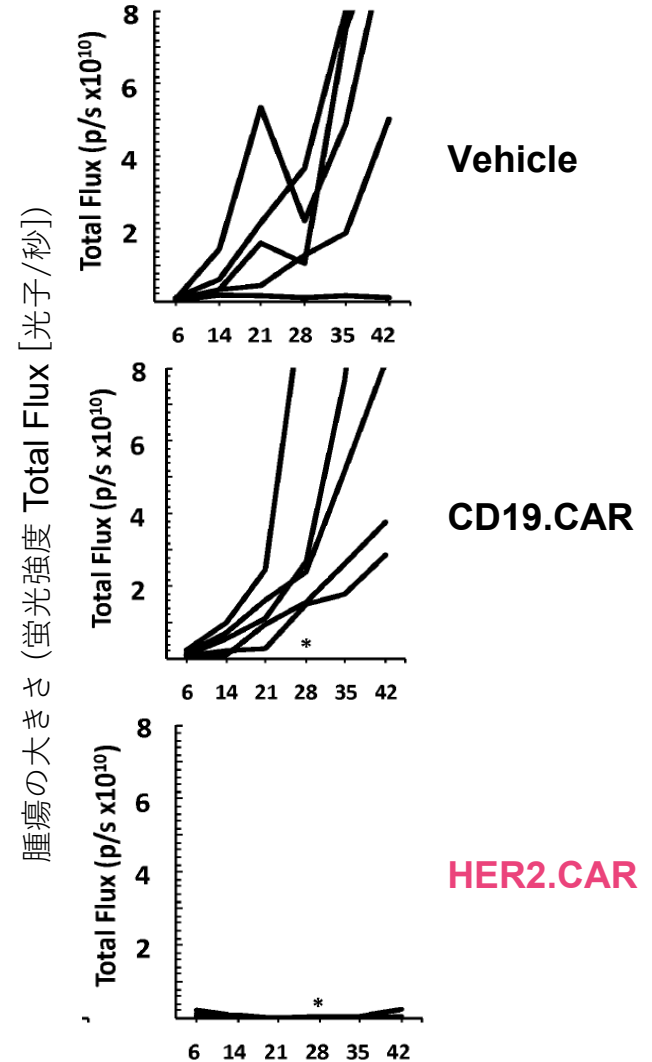
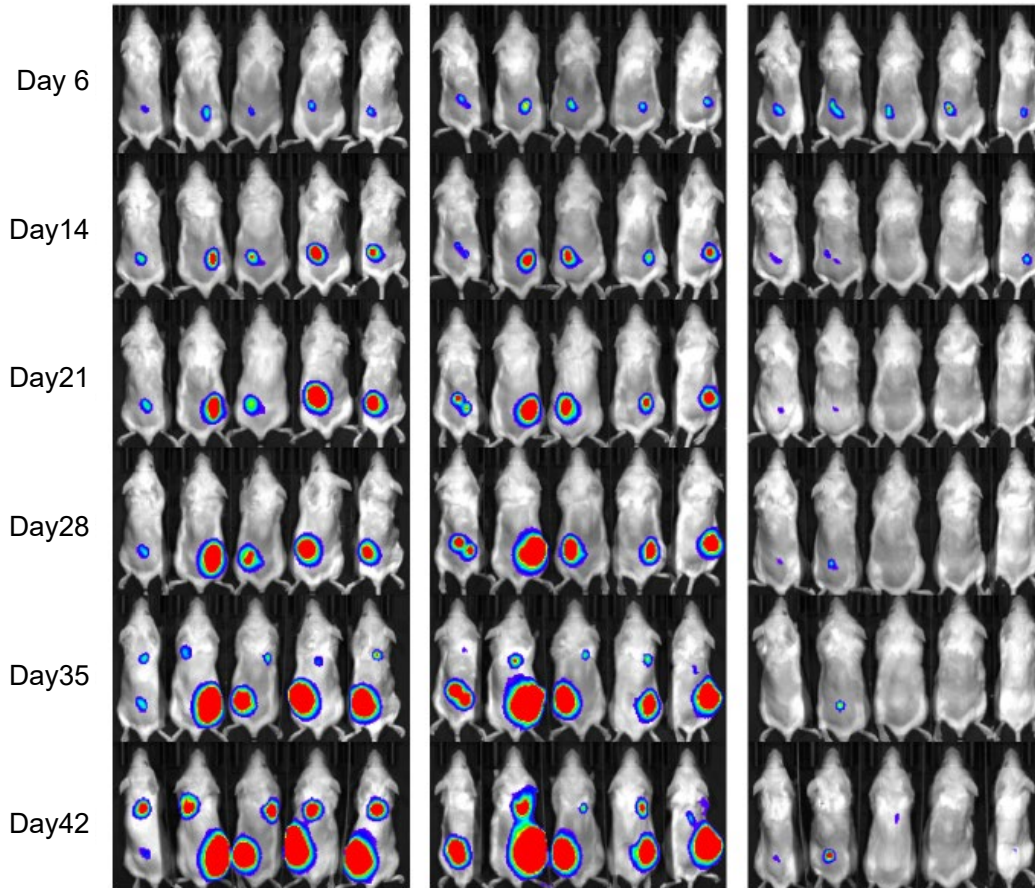
BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法(続)

■ 担がんマウスモデルにおいてHER2陽性がん細胞の増殖を抑制

Vehicle

CD19.CAR

HER2.CAR

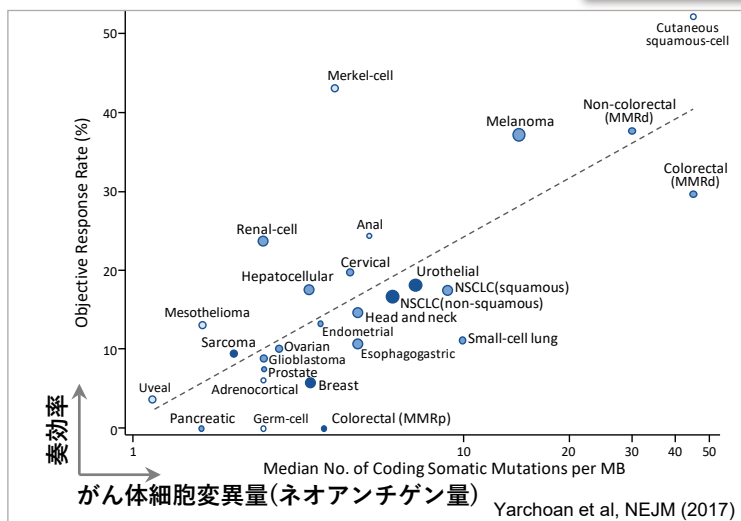
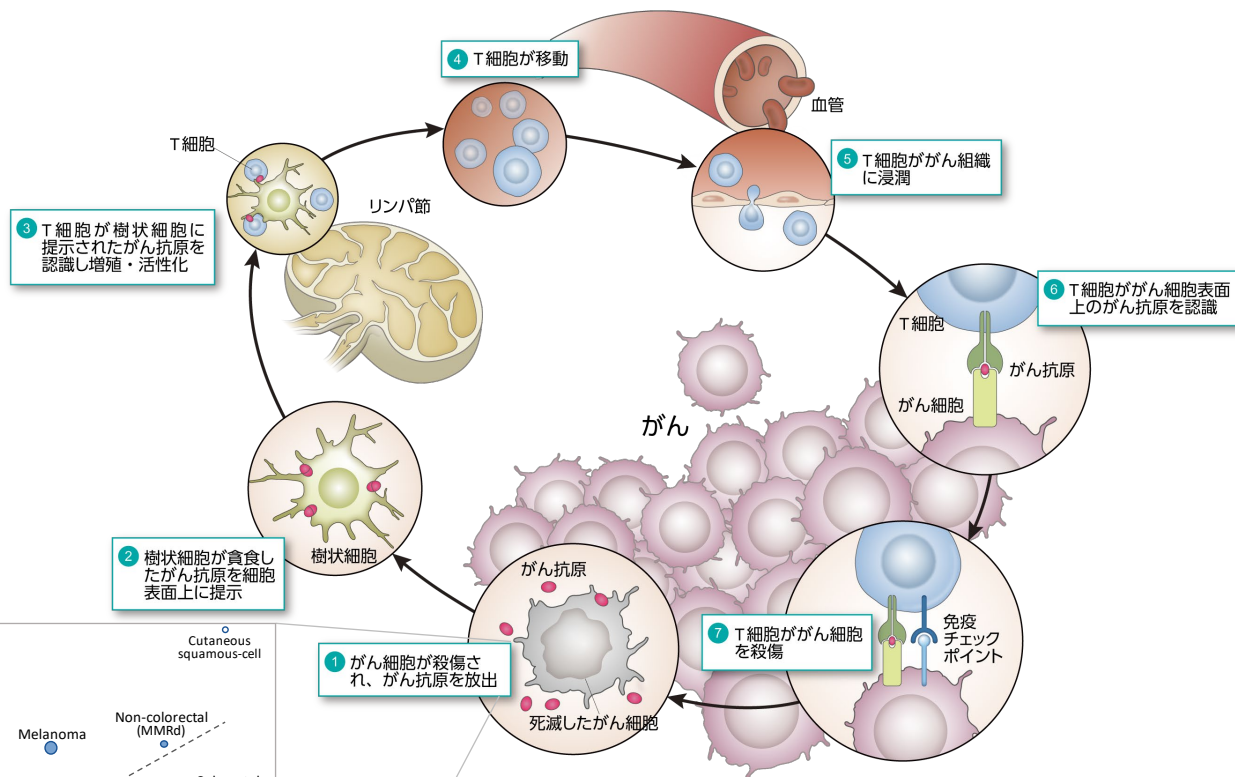


がん細胞株移植からの日数 (日)

BP1101: ネオアンチゲン ワクチン

ワクチン

- 一人一人で全く異なるがん特有の遺伝子変異由来の抗原(ネオアンチゲン)に対するがん免疫を誘導する完全個別化ネオアンチゲン・ワクチン



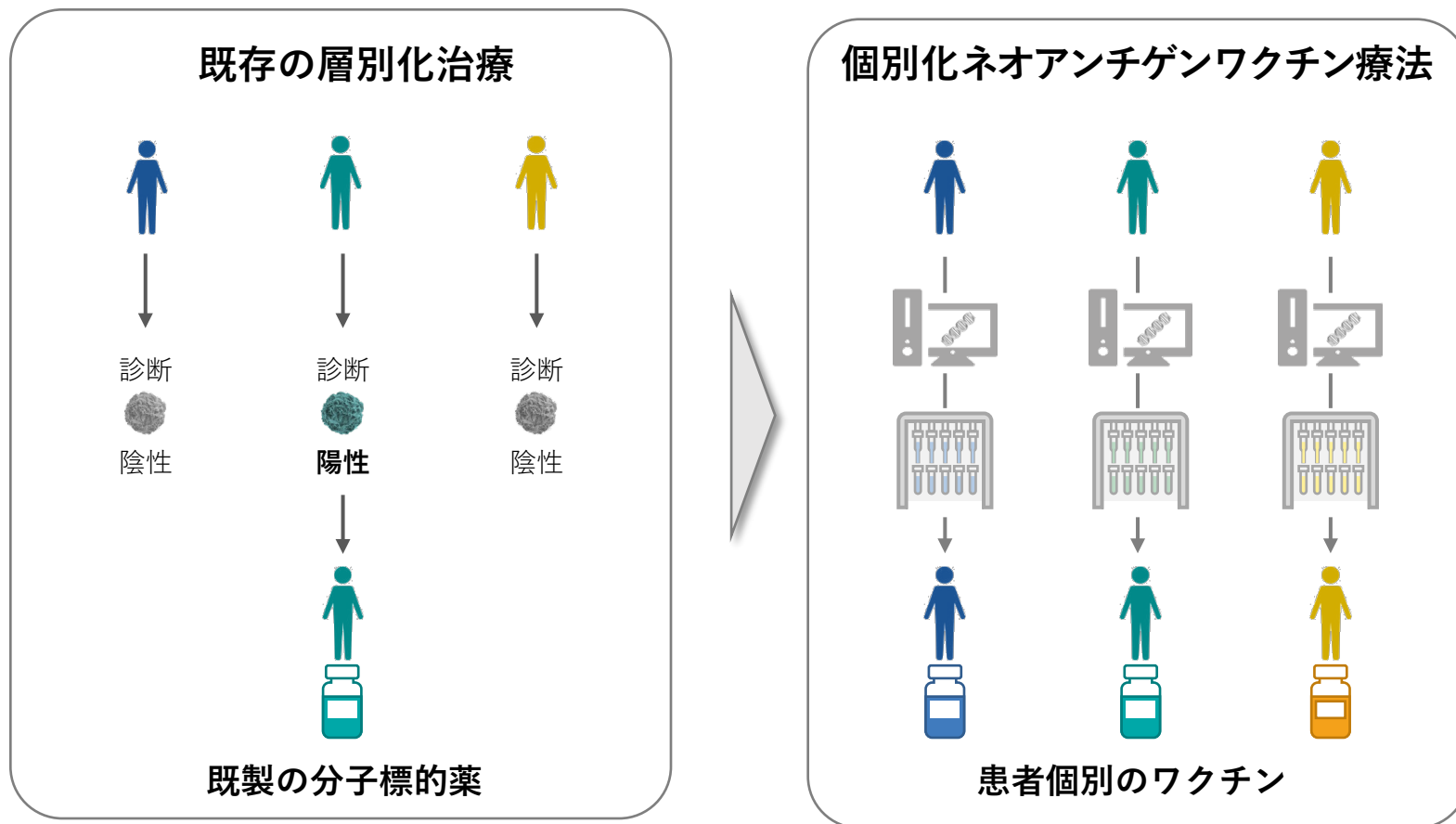
がん遺伝子変異量(ネオアンチゲンの量)と免疫チェックポイント抗体療法の奏効が相関することから、ネオアンチゲンががん免疫の標的であると考えられている

BP1101: ネオアンチゲン ワクチン(続)

ワクチン

- 1人ひとりに独自のワクチンを投与する完全個別化がんワクチン療法

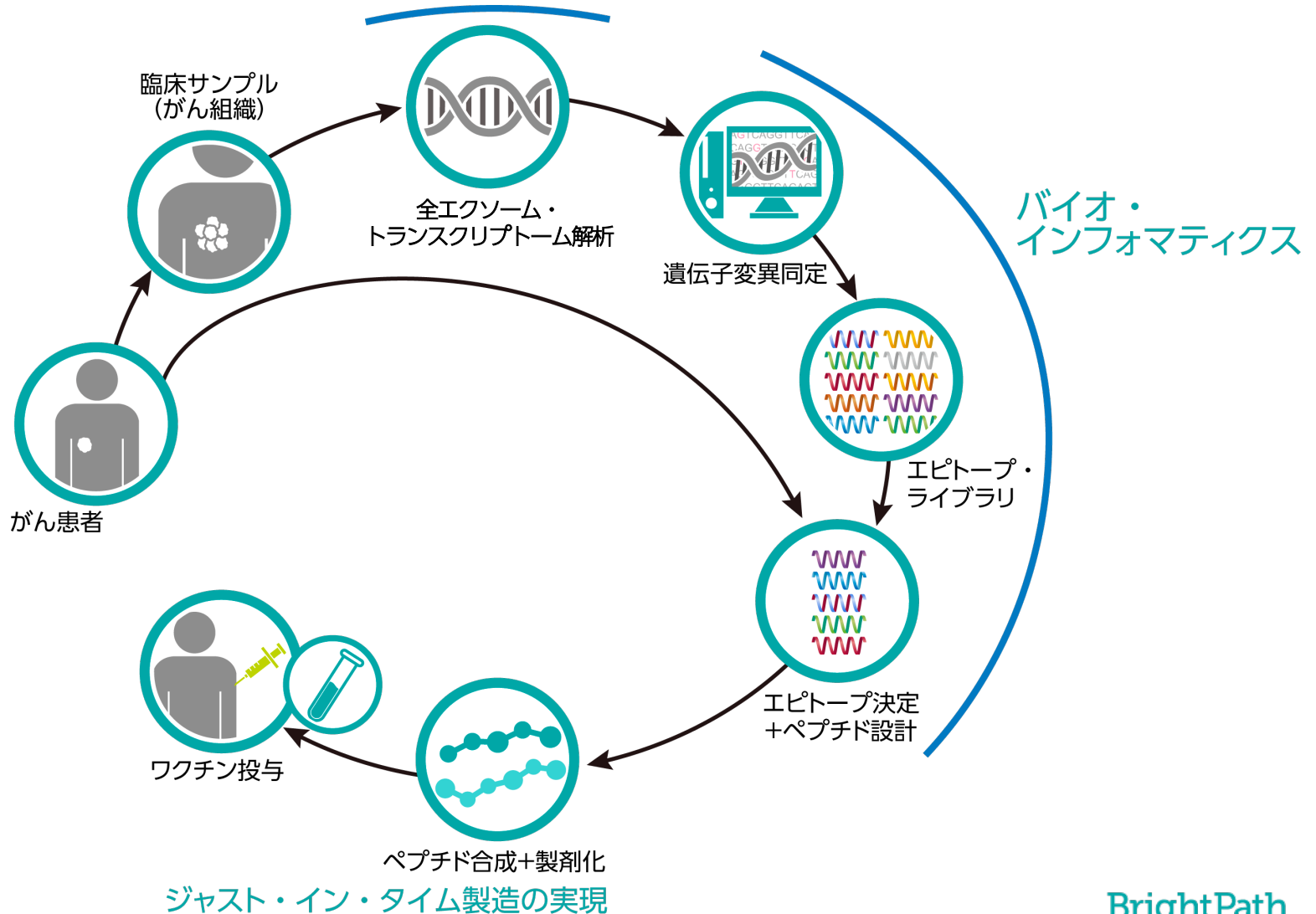
層別化治療から完全個別化治療へ



BP1101: ネオアンチゲン ワクチン(続)

■ 完全個別化ネオアンチゲン・ワクチン療法の流れ

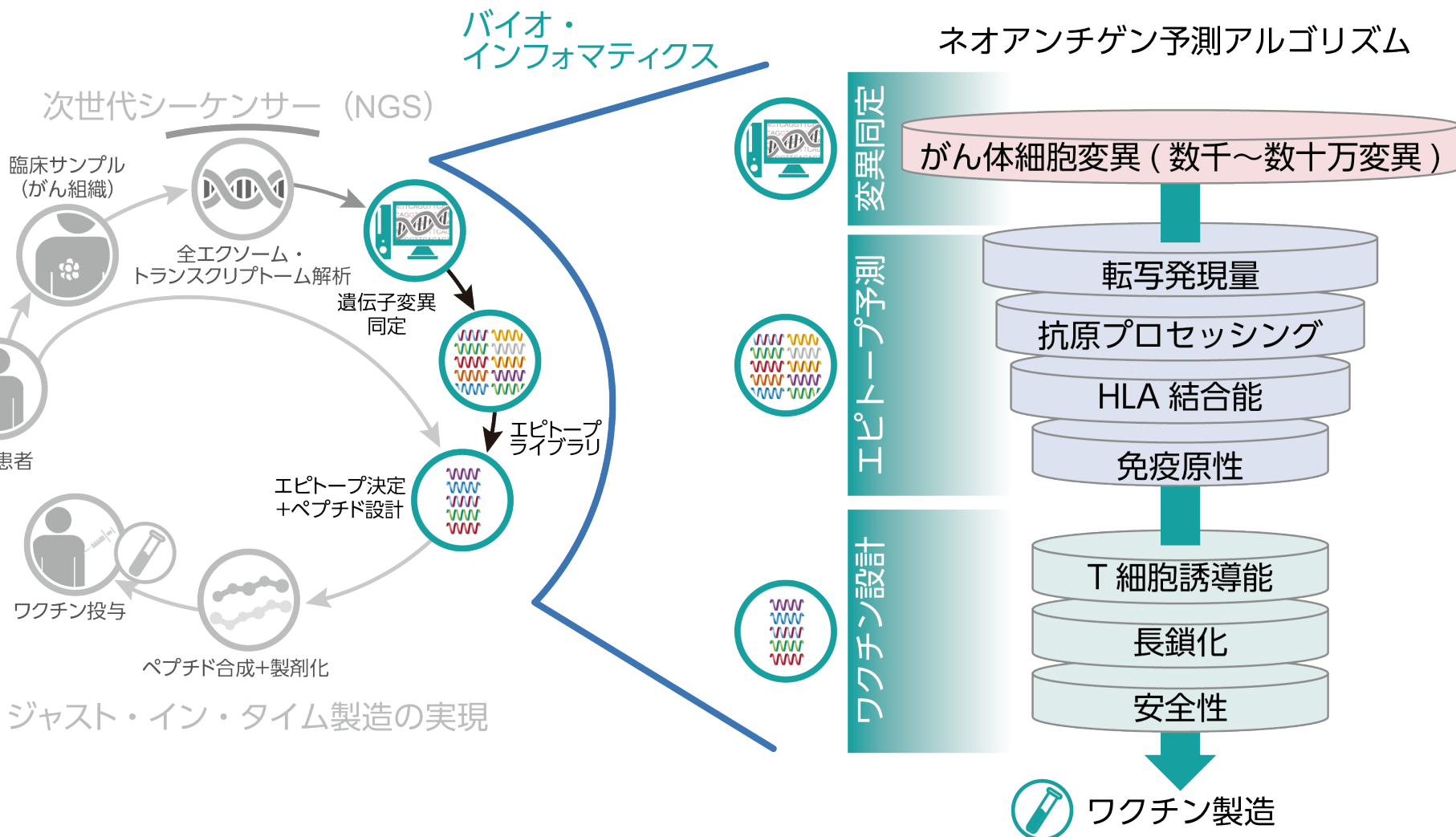
次世代シーケンサー (NGS)



BP1101: ネオアンチゲン ワクチン(続)

ワクチン

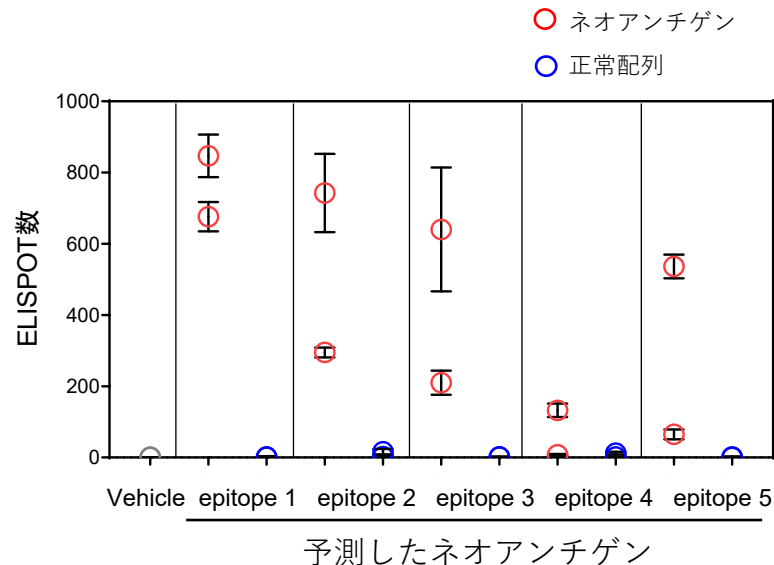
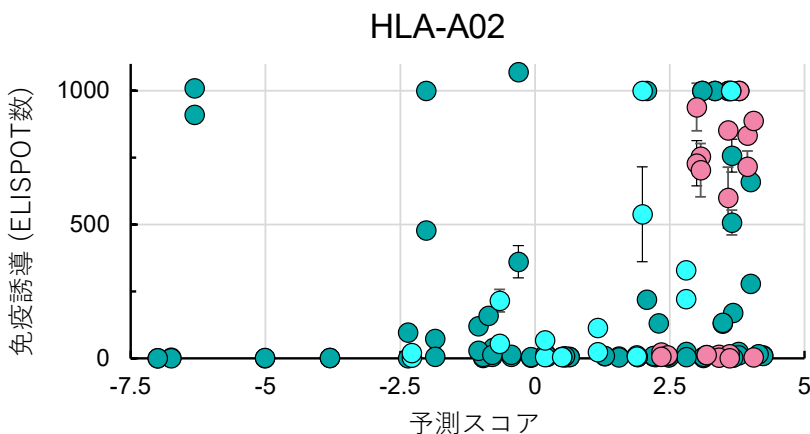
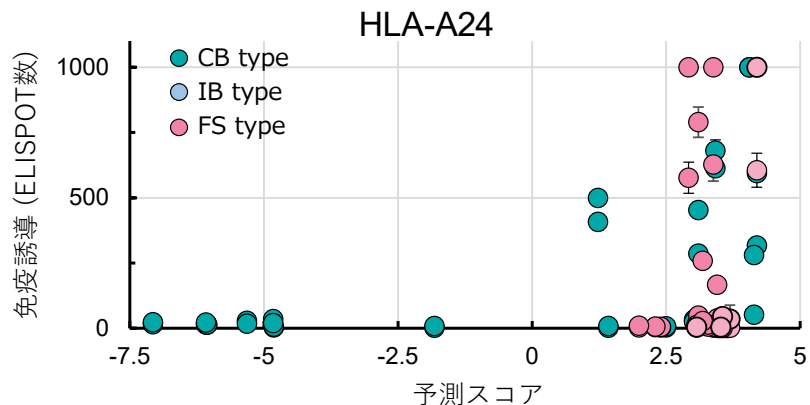
- 次世代シーケンサーで同定された変異から、患者ごとに最適なワクチンを予測



BP1101: ネオアンチゲン ワクチン(続)

■ ネオアンチゲン予測アルゴリズムでT細胞を誘導するワクチンを予測できている

- 予測スコア ≥ 2.5 のワクチンのHLAトランスジェニック マウスへの投与により、HLA-A24拘束性は $>50\%$ 、HLA-A02拘束性は $>65\%$ で免疫誘導が可能
- ワクチン投与で誘導される免疫は腫瘍に特異的（正常組織には反応しない）



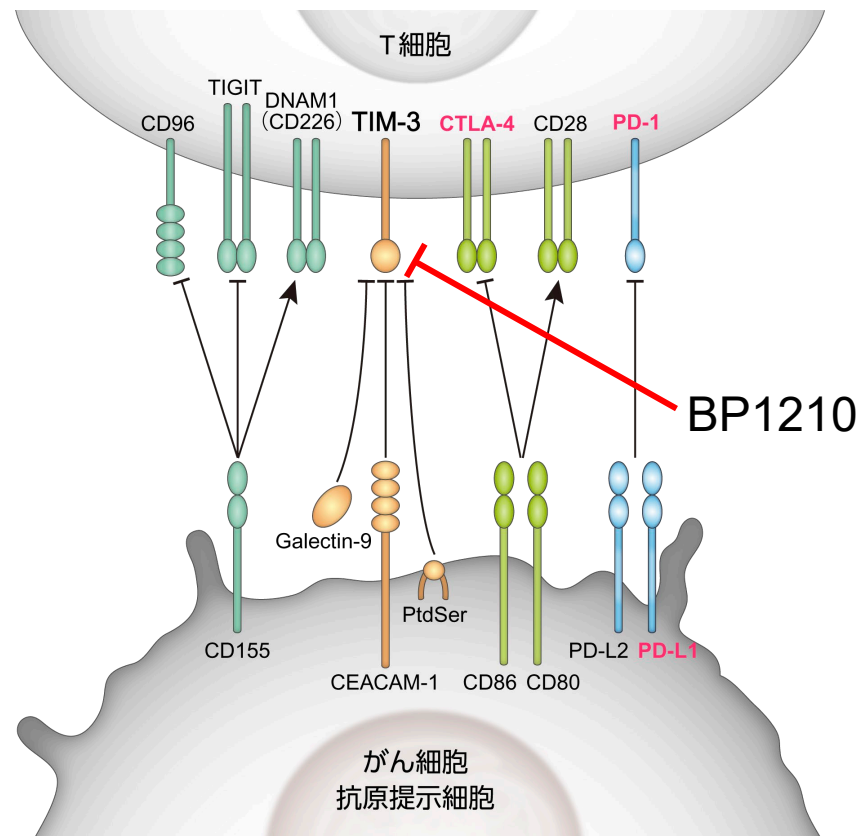
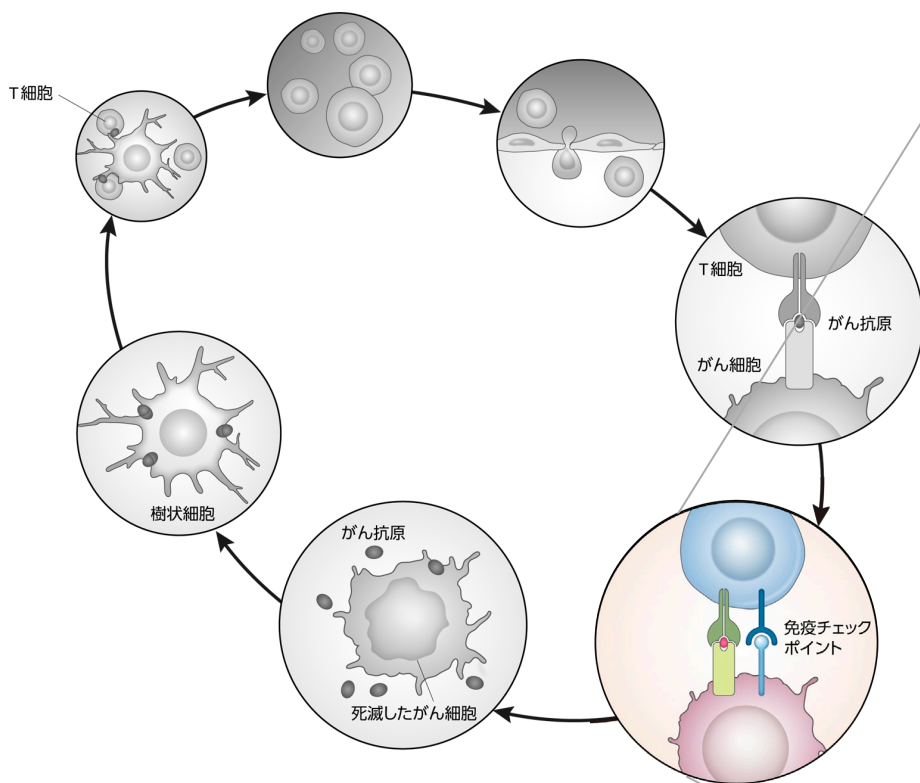
出所： 国立がんセンター東病院, 帝京大学, プライトパス・バイオ

BP1210: TIM-3抗体

抗体

- キイトルーダ, オプジーボ, テセントリクに続く新規免疫チェックポイントTIM-3阻害抗体
- 細胞傷害性T細胞の疲弊を抑制し、抗腫瘍免疫活性を亢進

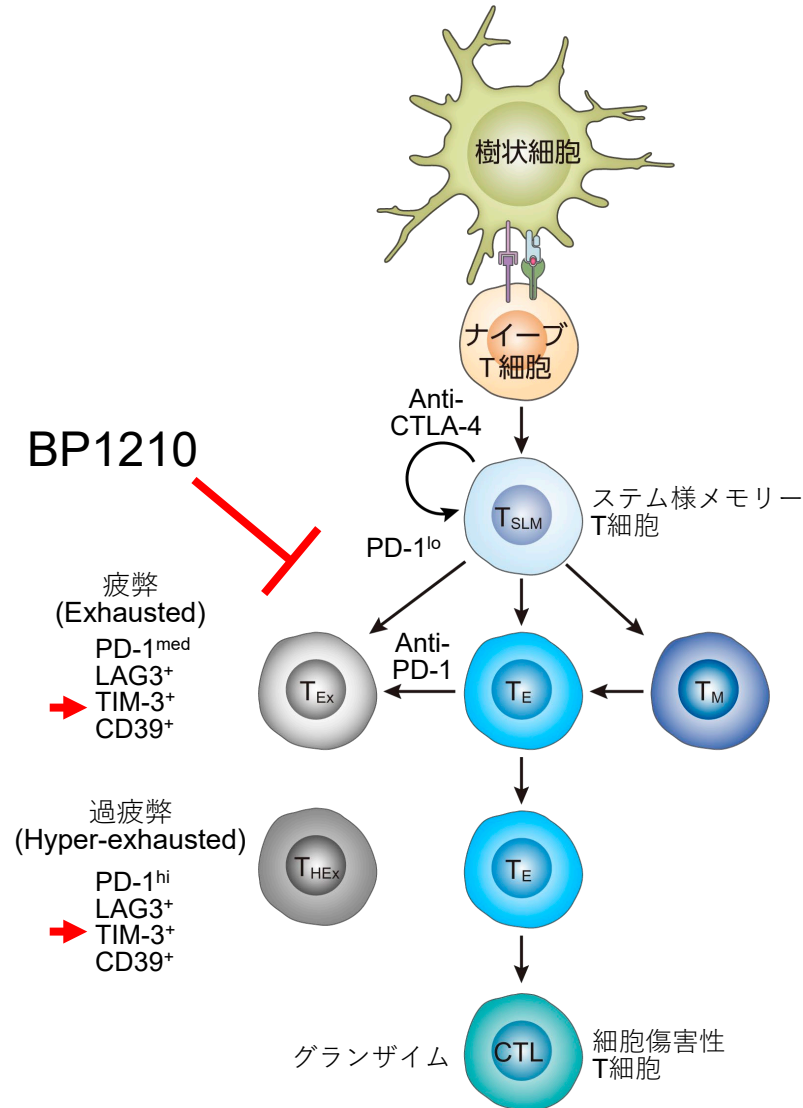
当社がターゲットにする免疫チェックポイント分子群



科学的有効性が示された承認抗体医薬品の標的分子
当社の標的分子

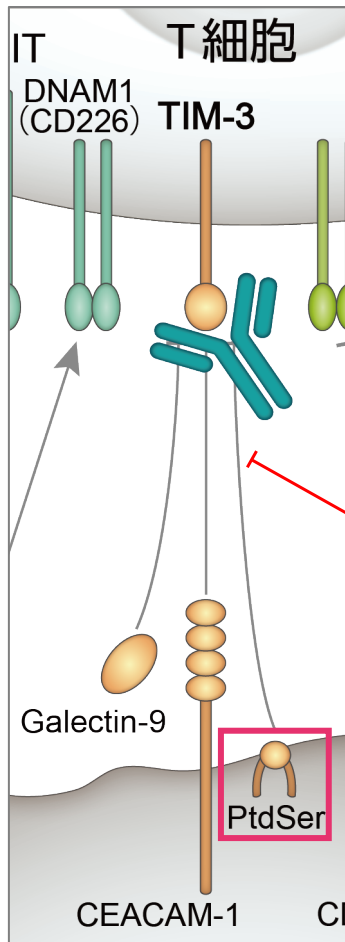
BP1210: TIM-3抗体 (続)

■ T細胞の疲弊に伴うBP1210標的の遺伝子発現

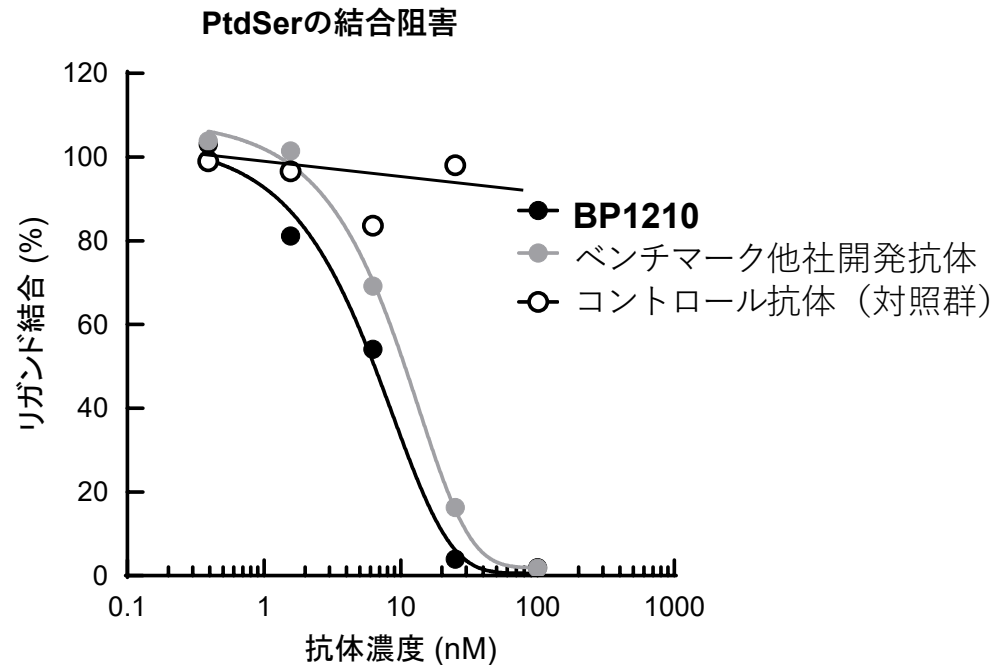


BP1210: TIM-3抗体 (続)

- がん細胞が放出する腫瘍免疫抑制リガンドPtdSerとの結合を強く阻害
- 阻害効果は他社臨床開発品の効果を上回る

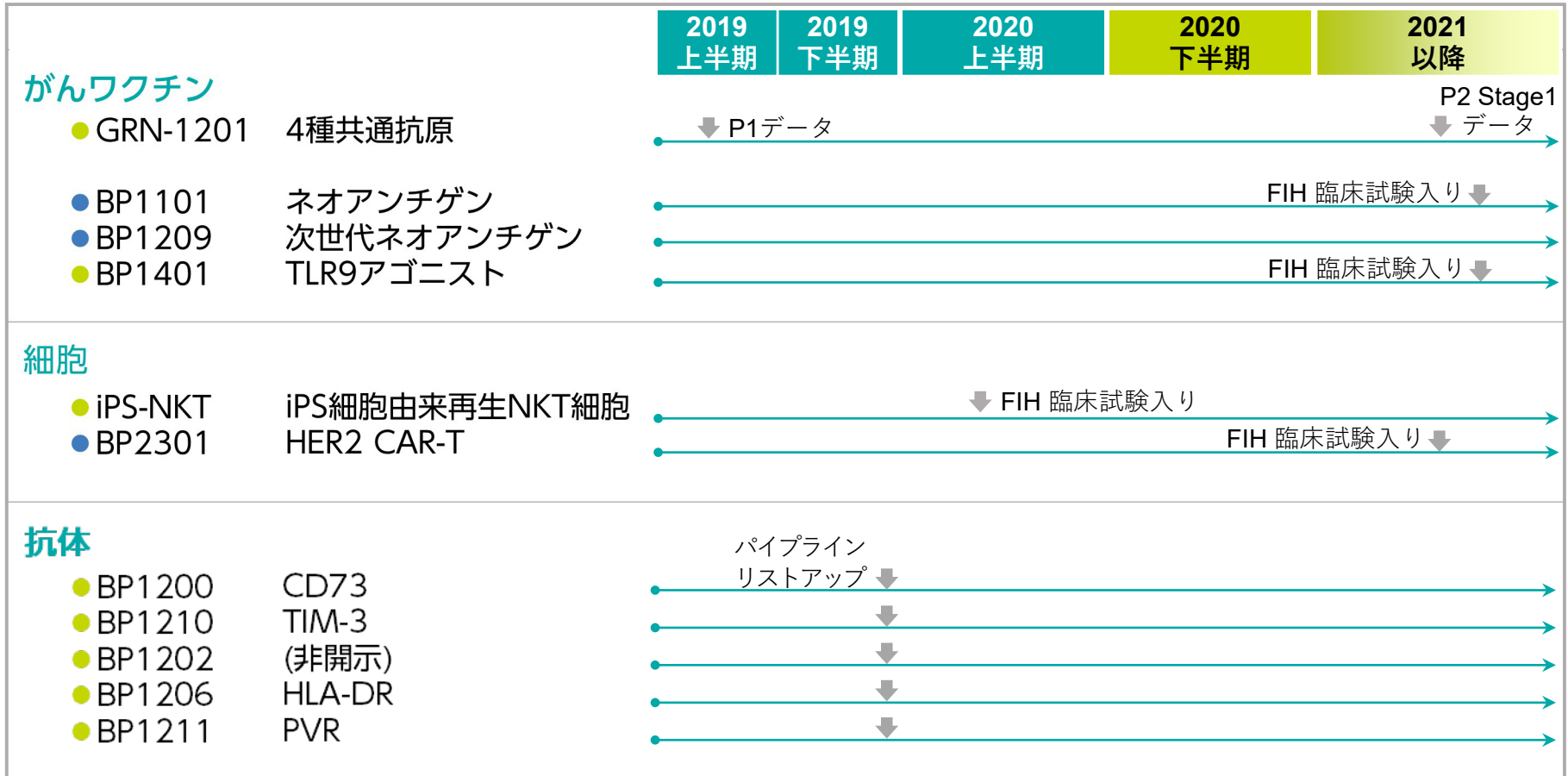


TIM-3に結合することにより、PtdSerがTIM-3に結合するのを阻害



次のステップ

Covid-19



2021年3月期第2四半期 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

| | 2020年3月期 上半期 | 2021年3月期 上半期 | 増減 |
|-----------------------|-----------------|-----------------|--------------|
| 売上高 | 1 | 1 | ▲0 |
| 売上原価 | 0 | 0 | ▲0 |
| 売上総利益 | 1 | 0 | ▲0 |
| 販売費及び一般管理費 (研究開発費) | 845 (656) | 773 ① (601) | ▲72 (▲54) |
| 営業利益 | ▲843 | ▲772 | 71 |
| 経常利益 | ▲841 | ▲777 | 64 |
| 当期純利益 | ▲837 | ▲774 | 64 |

研究開発への投資が続く

① 研究開発費は前年並みで推移

貸借対照表

(単位：百万円)

| | 2020年3月期 | 2021年3月期 上半期 | 増減 |
|--------------------|----------------|-----------------|-------|
| 流動資産 <i>構成比</i> | 3,328 95.8% | 4,185 97.0% | ① 856 |
| 固定資産 | 146 4.2% | 130 3.0% | ▲ 16 |
| 流動負債 | 172 5.0% | 128 3.0% | ▲ 44 |
| 固定負債 | 66 1.9% | 61 1.4% | ▲ 5 |
| 純資産 | 3,235 93.1% | 4,125 95.6% | 890 |
| 総資産 | 3,474 | 4,315 | 840 |

① 研究開発による支出の一方で資金調達による現預金の増加

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

| | 2020年3月期 上半期 | 2021年3月期 上半期 |
|------------------|-----------------|-----------------|
| 営業活動によるキャッシュ・フロー | ▲862 | ① ▲ 888 |
| 投資活動によるキャッシュ・フロー | ▲19 | ▲ 13 |
| 財務活動によるキャッシュ・フロー | 3 | ② 1,677 |
| 現金及び現金同等物 増減額 | ▲879 | 775 |
| 期首残高 | 4,901 | 3,018 |
| 期末残高 | 4,022 | 3,793 |

① 研究開発による支出

② 新株予約権スキームによる資金調達（新株式発行）

2021年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

| | 2020年3月期 通期実績 | 2021年3月期 通期予想 | 増減 |
|-------|------------------|------------------|-------|
| 売上高 | 11 | 3 | ▲ 8 |
| 営業利益 | ▲ 1,827 | ▲ 1,894 | ▲ 66 |
| 経常利益 | ▲ 1,823 | ▲ 1,894 | ▲ 70 |
| 当期純利益 | ▲ 1,857 | ▲ 1,907 | ▲ 49 |
| 研究開発費 | 1,485 | 1,536 | 3.4%増 |

BrightPath

Biotherapeutics

私たちは、がん免疫治療分野の最先端を切り拓くことにより、
一人ひとりが自らの力でがんを克服する世界を実現します

質疑応答

BrightPath 
Biotherapeutics