

事業計画及び成長可能性に関する事項

2023年 6月30日

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。

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 362百万円（2023年3月末現在）

社員数 32名（2023年3月末現在）

役員	代表取締役社長	永井 健一	
	取締役 創薬研究部長	中村 徳弘	
	取締役 CFO	竹下陽一	
	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

2013年8月

ITK-1 第Ⅲ相臨床試験開始

2016年8月

川崎創薬研究所を開所

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

2015年10月

東京証券取引所マザーズへ上場

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

2023年5月

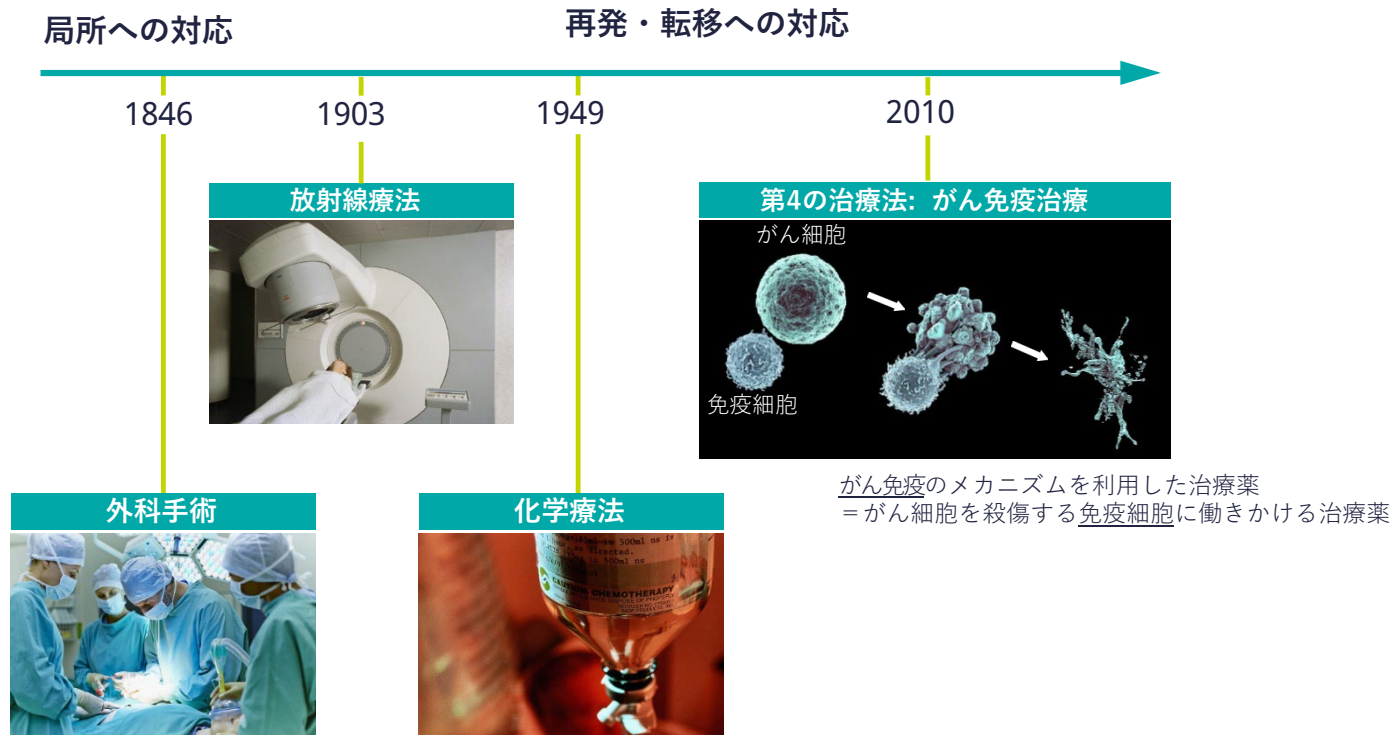
会社創立20周年を迎える

ビジネスモデル

がん免疫治療薬の開発に特化

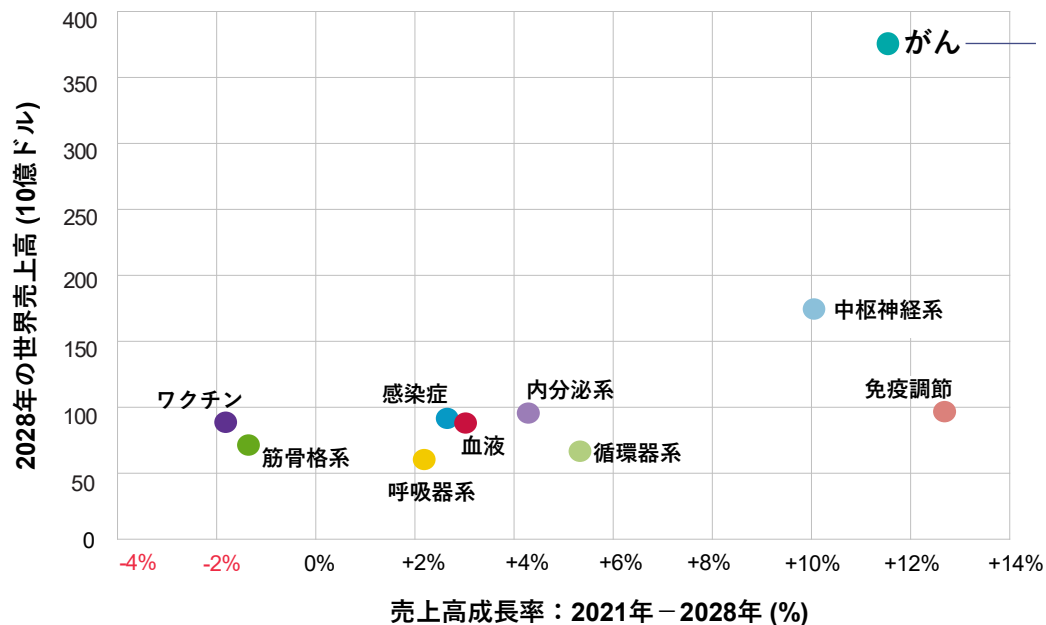
- ここ10年でがん治療のあり方を大きく変えたがん免疫治療薬の開発に特化

がん治療法の拡がりの歴史



■ 医薬品市場の成長を牽引する がん免疫治療薬

2028年の治療領域別予想世界売上高および売上高成長率 *1



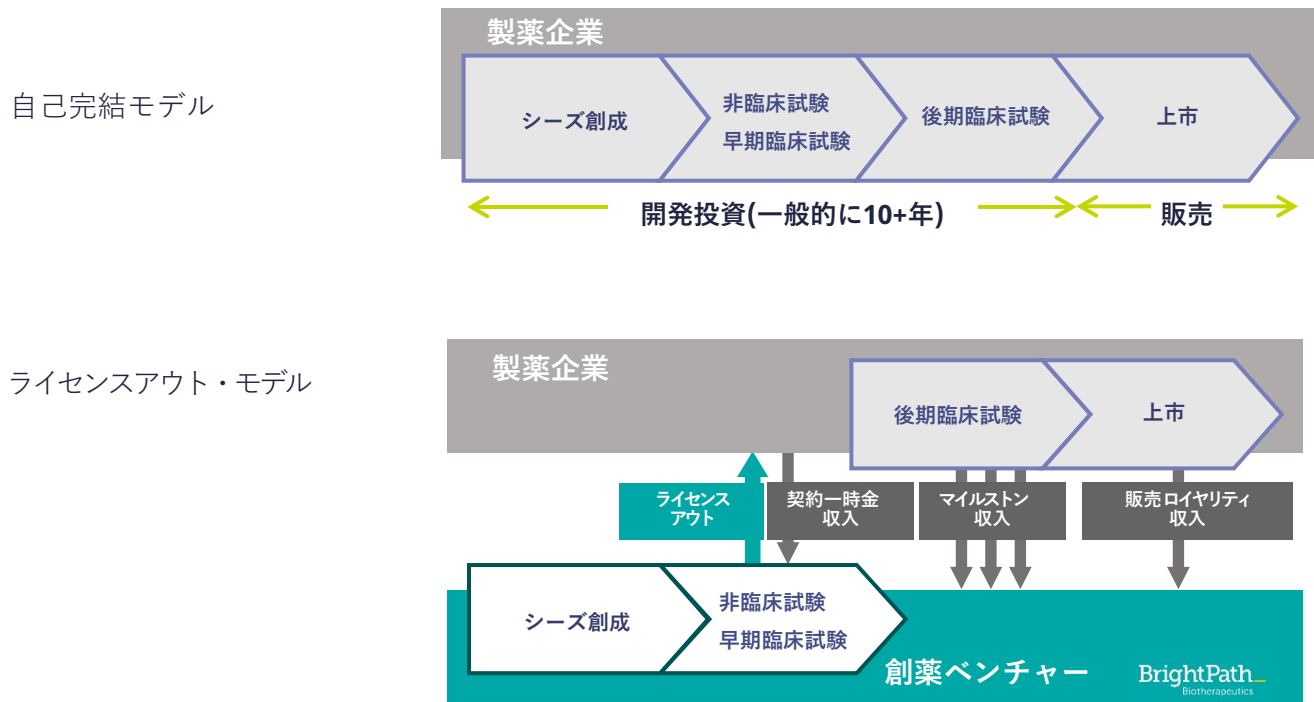
うち、がん免疫治療薬
16.5兆円
年率14.9%成長*2

出典：

1. EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2022 (October 2022)
2. EvaluatePharma, Immuno-Oncology Market Research | 2030 (July 2022)

ビジネスモデルと収益構造

- 新薬開発の途中で、すべてを自己完結できる製薬企業に、開発製造販売ライセンスを渡すことによって、開発投資先行期間を短縮し早期収益化



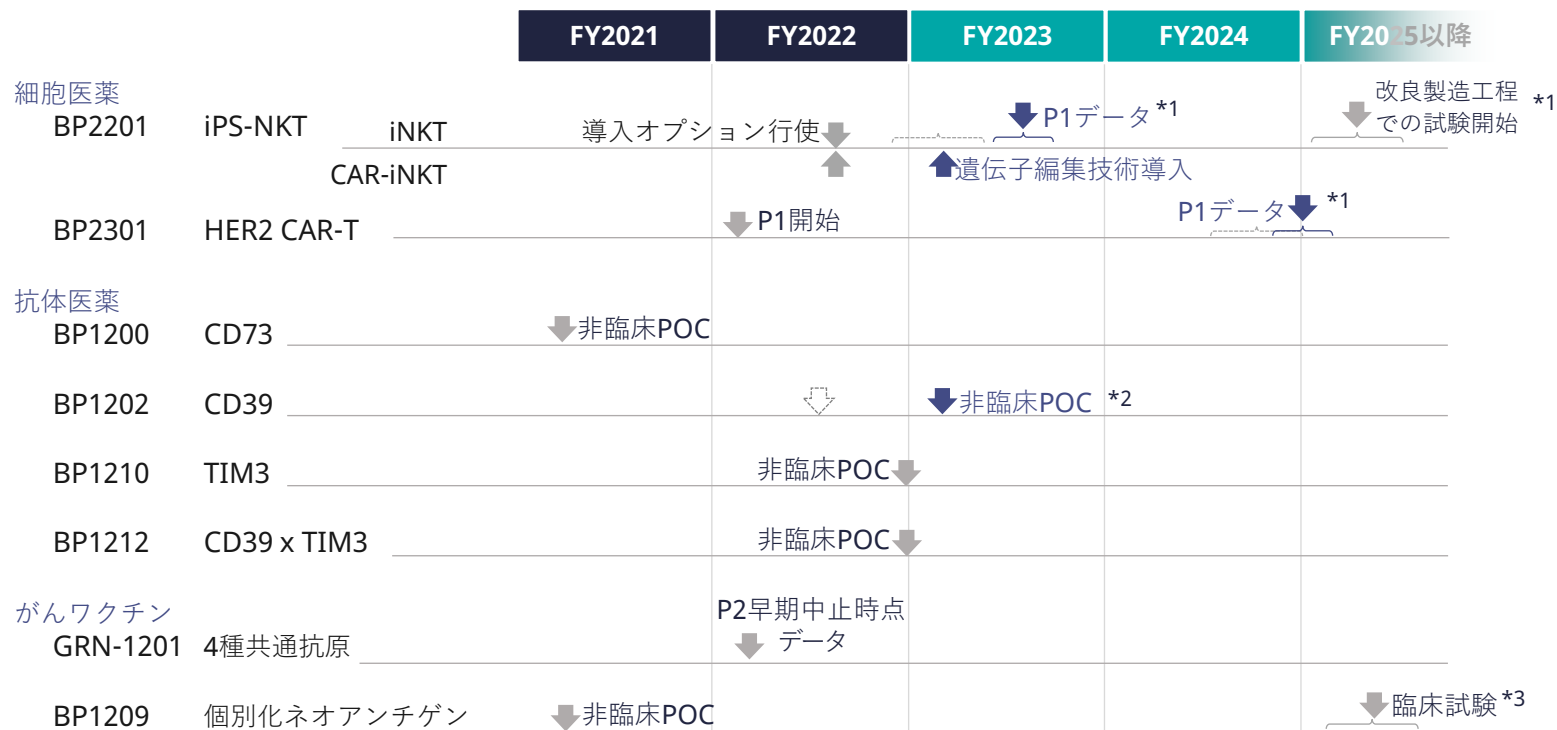
- 中長期的にライセンスアウト型から自己完結型へ段階的に移行

開発の進捗状況とパイプライン

パイプラインと研究開発段階

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞医薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM3					
BP1212	CD39 × TIM3					
がんワクチン						
GRN-1201	4種共通抗原	肺がん			ペムプロリズマブ併用	
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

各パイプラインのイベント



前回(2022.6)からの変更 *1.医師主導治験の進捗を見たうえで目標変更

*2. 研究資材調達の遅れにより目標変更

*3. 開発の優先付けにより目標変更

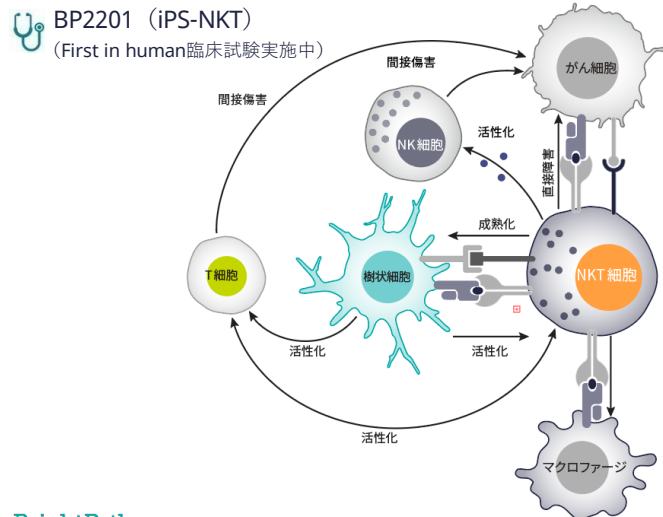
細胞医薬

■ 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

■ 2020年より First in human臨床試験 実施中

- iPS細胞由来NKT細胞の世界初の臨床応用(特許で独占)
- AMEDの支援を受けながら実施中
- ブライトパス・バイオは独占実施権導入オプションを保持するとともに次相臨床試験用の大量製造可能な工程改良を実施中

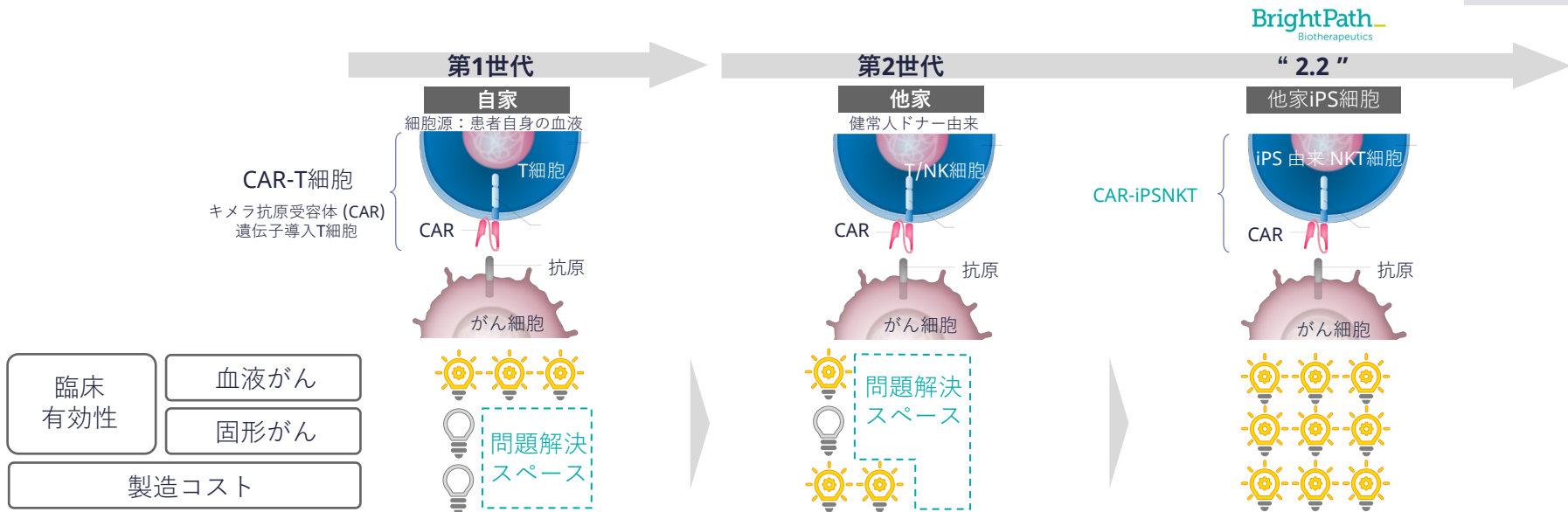
多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞



臨床試験概要

試験タイトル	再発・進行頭頸部癌患者を対象としたiPS-NKT細胞動注療法に関する第Ⅰ相試験 (First in human 臨床試験)
対象	標準治療後又は標準治療の適応とならない再発・進行頭頸部がん
目的	根本治療が困難な標準治療後の再発・進行頭頸部癌患者に対する、iPS-NKT細胞の腫瘍栄養動脈内投与の忍容性の検討並びに安全性及び有効性を探索的に評価する
主要評価項目	各用量における用量制限毒性 (DLT) 発現割合
副次評価項目	有効性の副次評価項目 ・奏効割合 ・病勢コントロール割合 安全性の副次評価項目 ・有害事象の発現状況 ・臨床検査値の推移
探索的評価項目	・末梢血中iPS-NKT細胞濃度推移 ・免疫細胞分画 ・血中サイトカイン濃度
症例数	4~18名
実施方法	単施設、非盲検、非対称、容量漸増試験
試験実施施設	千葉大学医学部附属病院

出所： 千葉大学医学部附属病院



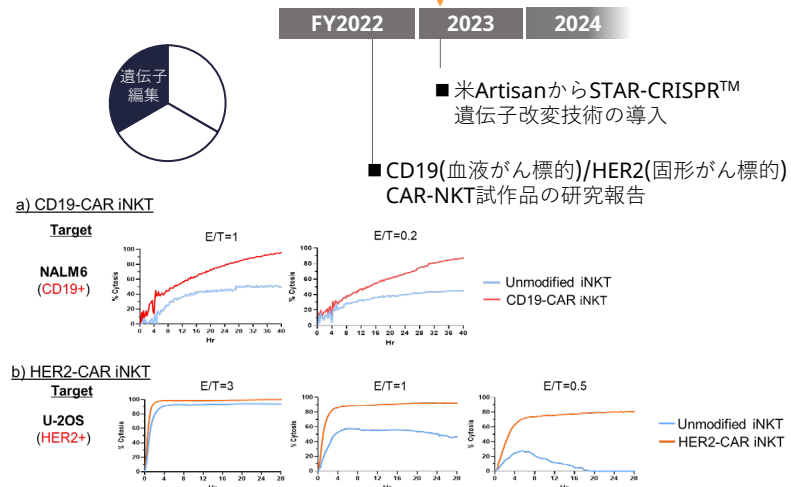
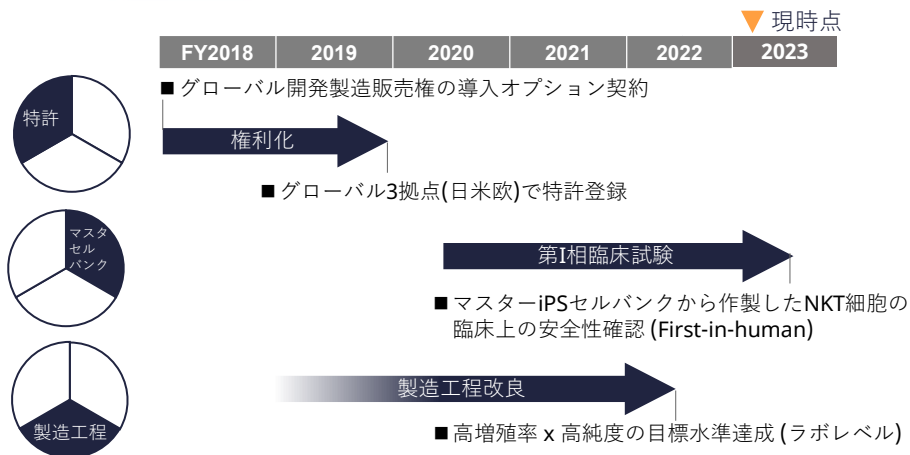
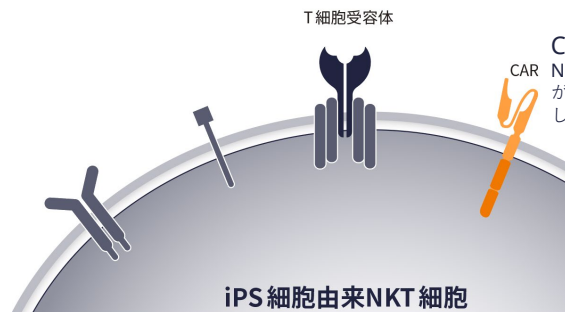
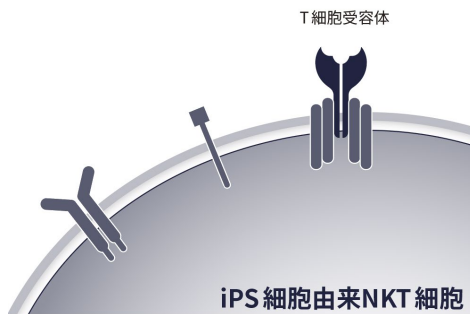
- GILEAD による Kite 買収 120億ドル(2017)
- Celgene による Juno 買収 90億ドル(2018)



- 先行品において 顕在化している課題: 臨床効果の持続性

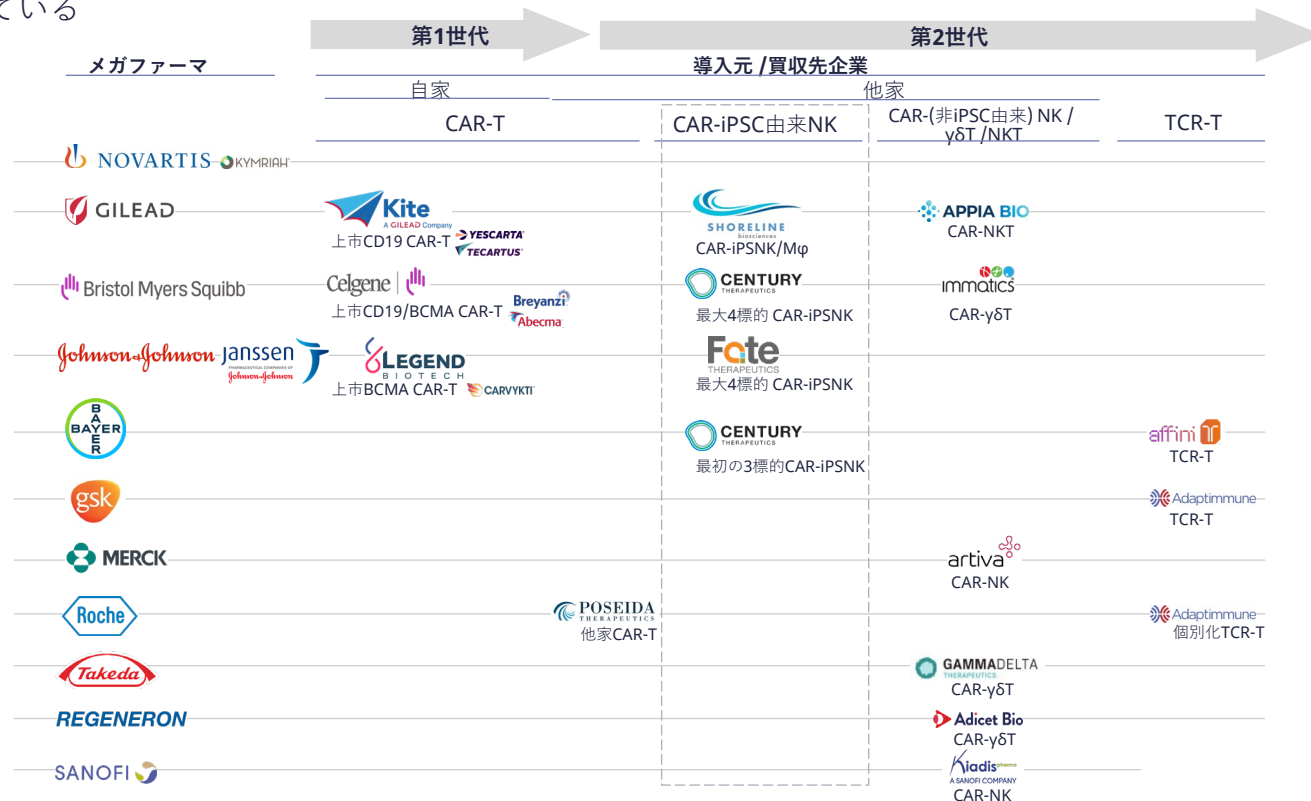
● 他家CAR-NKTによって 患者体内で活性化された患者自身のキラーT細胞が臨床効果の持続性の担い手となる

■ CAR-T展開へ



■ CAR-Tにおけるメガファーマとベンチャーの提携関係の中での位置づけ

- 第1世代で成功したメガファーマは iPS-NKプラットフォームをもつ細胞医薬ベンチャーとの提携によって第2世代に参入している



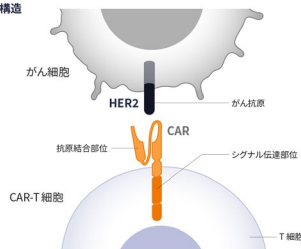
■ 2022.5.6 First in human臨床試験開始

- AMEDの支援を受けながら実施中

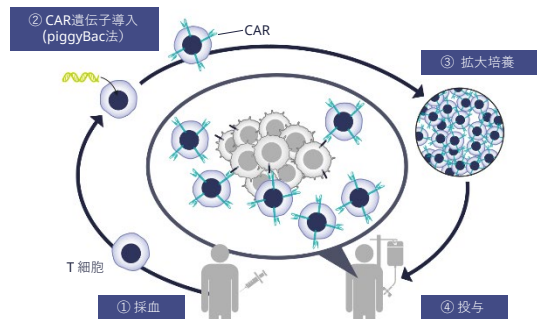
HER2標的 CAR-T

- ・ がん抗原HER2に対するキメラ抗原受容体(CAR)遺伝子を導入したT細胞を用いる新規自家CAR-T細胞療法

・ CAR-T細胞の構造



CAR-T細胞治療フロー



臨床試験概要

試験タイトル	HER2特異的キメラ抗原受容体 (CAR) 遺伝子改変T細胞療法の安全性に関する臨床第Ⅰ相試験 (First in human 臨床試験)
対象	標準治療不応・不耐もしくは再発又は進行HER2陽性骨・軟部肉腫及び婦人科悪性腫瘍
目的	標準治療により不応・不耐もしくは再発又は進行HER2陽性骨・軟部肉腫及び婦人科悪性腫瘍患者に対するBP2301 (HER2.CAR-T遺伝子改変T細胞製剤) 投与の忍容性検討並びに安全性の評価及び有効性の探索的検討
主要評価項目	各用量における用量制限毒性 (DLT) 発現割合
副次評価項目	1. 有害事象の発生状況 (種類、頻度及び重症度等) 割合 2. CAR-T細胞療法の抗腫瘍効果 (RECIST ver.1.1)
症例数	最大12例の患者 (1コホート当たり最大6例の評価)
実施方法	単施設、非盲検、用量漸増試験
治験実施施設	信州大学医学部附属病院

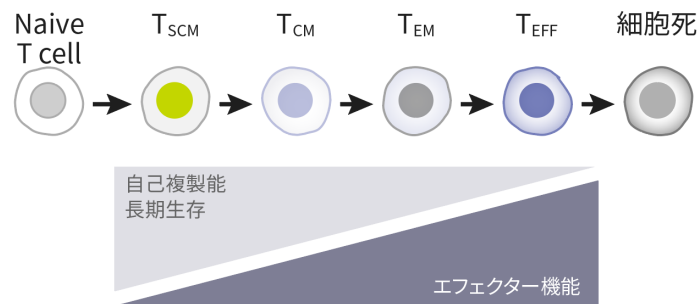
出所： 信州大学医学部附属病院

■ 固形がんのハードル

- 血液がんでは奏効率70-90%に至るも固形がんではあまり効いた例がない
- 理由1: 固形がんの目印としてなかなか適切なものがない
- 理由2: CAR-T細胞が体内でがんに対峙したとき、免疫抑制的な腫瘍組織において増殖せず、すぐに疲弊し機能しなくなる

■ 固形がんのハードルをクリアするメカニズムを織り込んだCAR-T

- HER2を標的とする
- 幹細胞様メモリーのT細胞を用いる
 - ✓ 非ウイルスCAR遺伝子導入法 (piggyBac法)と特殊な細胞培養法(特許共同出願中)により幹細胞様メモリーT細胞の製造が可能に
 - ✓ 最近の研究報告でも、幹細胞様メモリーT細胞が固形がんに対する抗腫瘍免疫細胞治療の成否を決めると報告されている



SCM: ステム・セル・メモリー
 CM: セントラル・メモリー
 EM: エフェクター・メモリー
 EFF: エフェクター

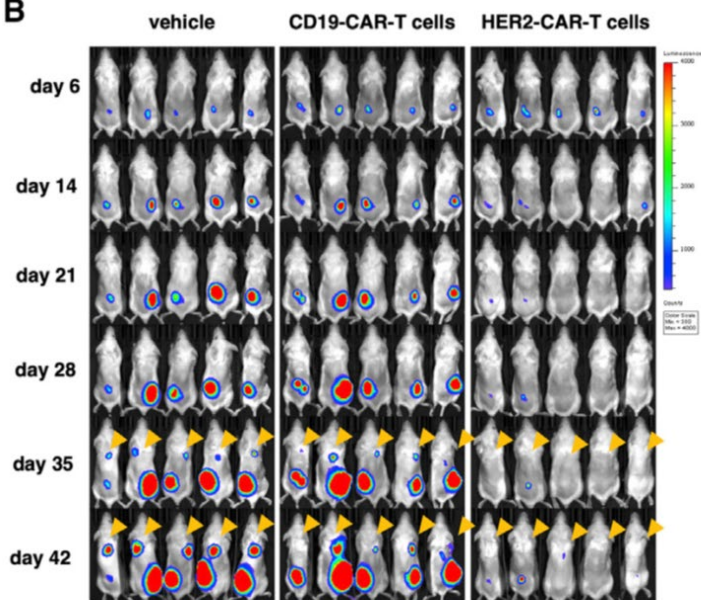
BP2301 (HER2 CAR-T) (cont'd)

■ BP2301は担がんマウスモデルにおいて腫瘍増殖を強く抑制

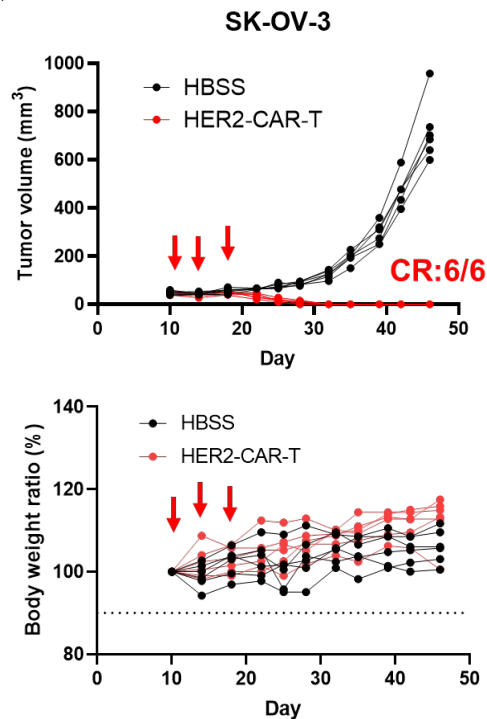
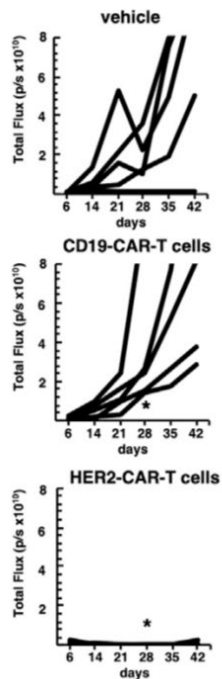
- BP2301は、横紋筋肉腫担がんマウスモデルにおいて腫瘍を退縮させ、再移植した腫瘍も生着させなかった

- 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匹の全てのマウスで腫瘍が完全に退縮し、再増殖しなかった

B



Day 0: 1×10^6 SJCRH30-FFLuc cells
 Day 7: 6×10^6 CAR-T cells
 Day 28: 1×10^6 SJCRH30-FFLuc re-inoculated



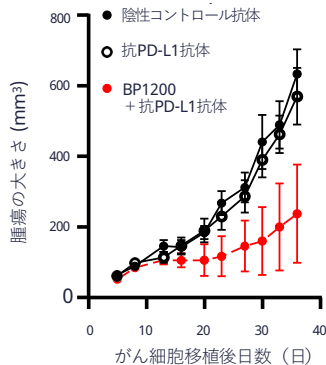
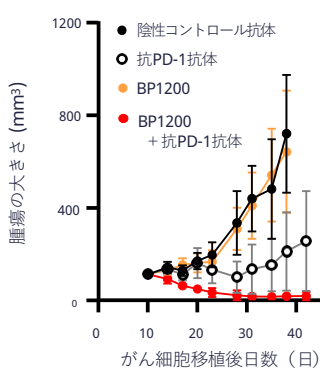
抗体医薬

■ ベスト・イン・クラスとなるヒト化抗CD73モノクローナル抗体

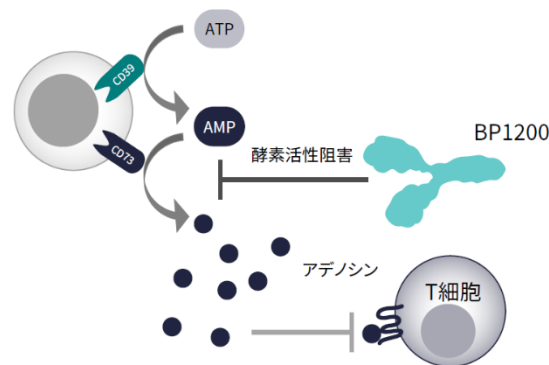
- BP1200は、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わるCD73を阻害
- CD73阻害によってアデノシン産生を抑制し腫瘍環境を改善し抗腫瘍免疫活性を高める

■ 免疫チェックポイント抗体との併用により、腫瘍増殖を強く抑制

BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制



作用メカニズム (酵素活性阻害)

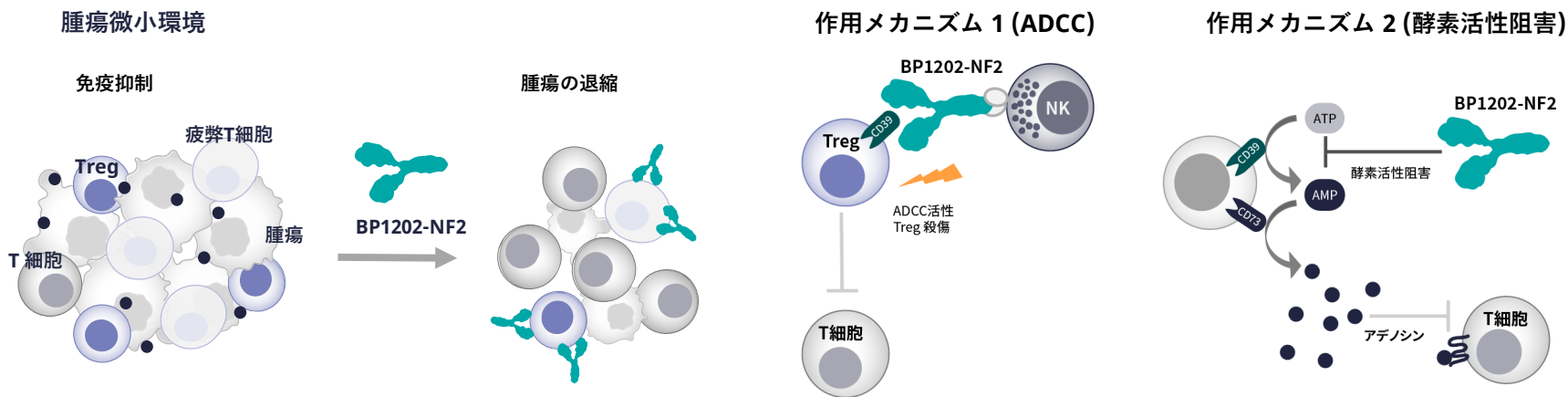


出所： ブライトパス・バイオ ESMO2021

■ ベスト・イン・クラスとなるヒト化抗CD39モノクローナル抗体

- BP1202は、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わるCD39を阻害
- CD39阻害によってアデノシン産生を抑制し腫瘍環境を改善し抗腫瘍免疫活性を高める

■ CD39は疲弊T細胞で高発現

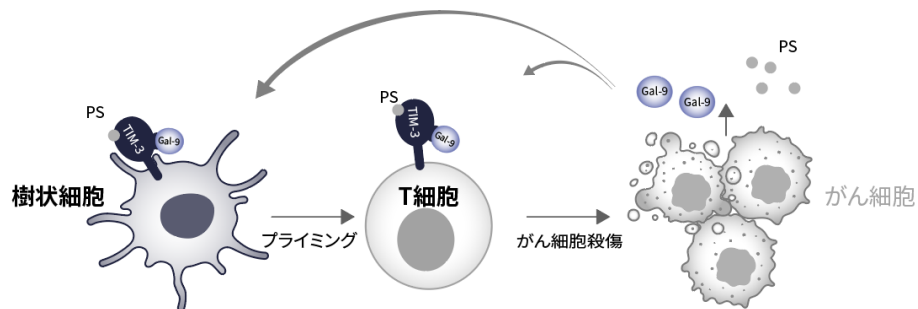


BP1210(抗TIM3抗体)

■ がん免疫を抑制する免疫チェックポイント分子TIM3を制御するバイパラトピック抗体BP1210を、二重特異性抗体技術を駆使して創製

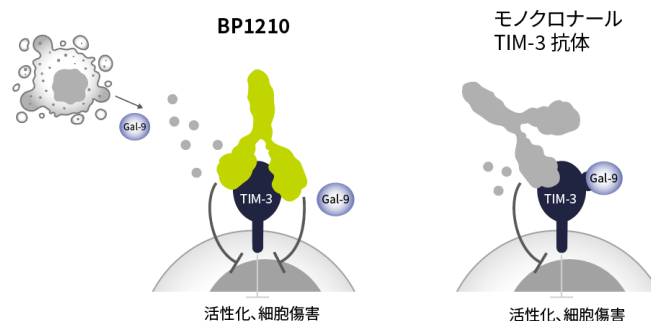
- これまでのTIM3抗体では、複数存在するリガンド*の結合を同時に阻害できず、TIM3を介する免疫抑制の発動を完全に抑えることができなかった

* TIM3には、TIM3のがん免疫抑制機能を発動させる生体内分子が複数存在(ホスファチジルセリン(PS)、CEACAM1、ガレクチン9(Gal-9)、HMGB1)



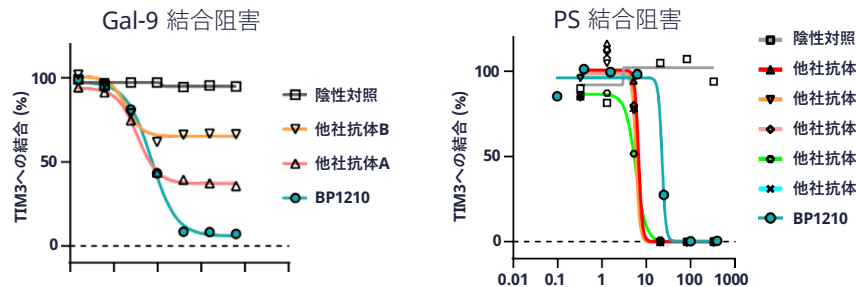
TIM3には樹状細胞のインフラマソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

TIM3の発現は末端に分化したエフェクター細胞や疲弊した細胞のマーカースとして機能する (Wolt, et al. 2020)

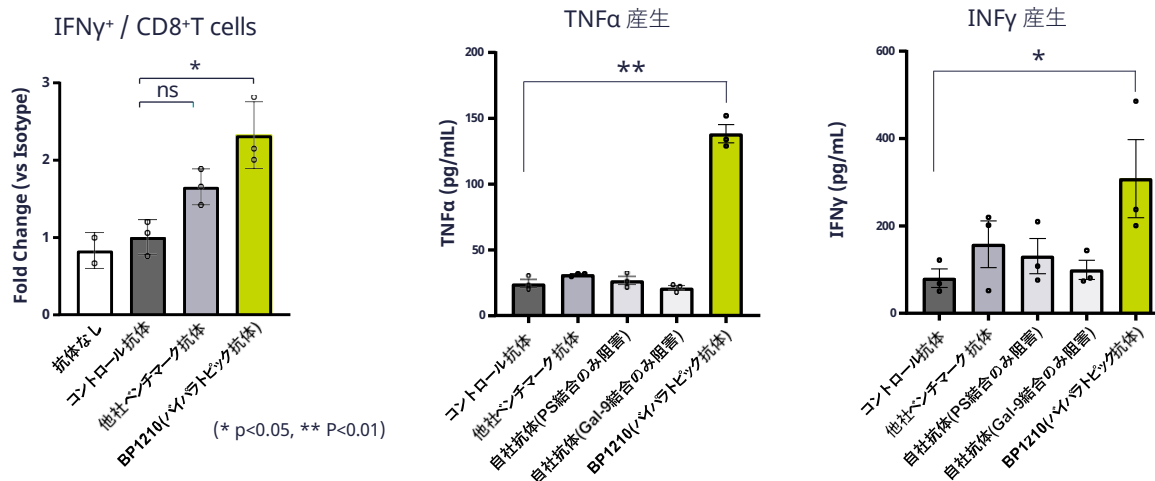


BP1210は、PS、Gal-9、双方のエピトープに結合

■ バイパロトピック抗体は開発先行他社抗体が実現していないGal-9結合阻害を、PS結合阻害とともに実現



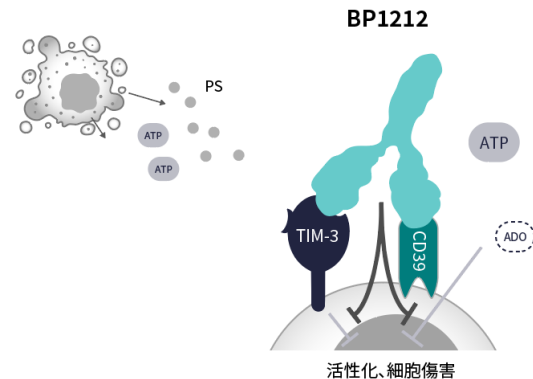
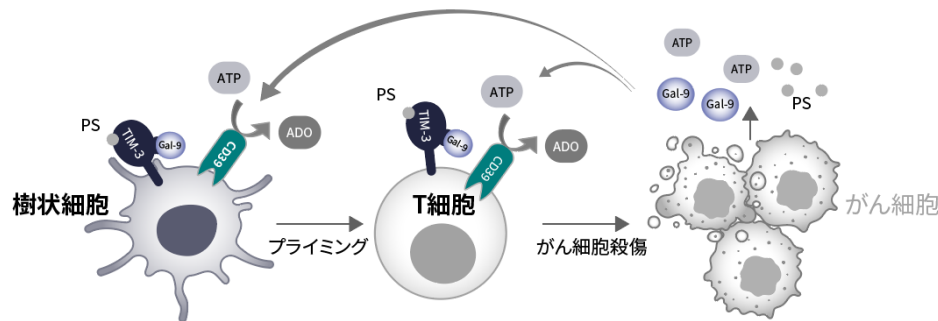
■ BP1210はT細胞の抗腫瘍サイトカイン分泌を促進



BP1212(抗CD39×抗TIM3)

■ 新規の二重特異性抗体BP1212の創製

- CD39、TIM3共発現T細胞と樹状細胞を標的
- アデノシン産生経路とインフラマソームに関わる抑制シグナルの同時阻害による相乗効果



がんペプチドワクチン

■ 2022.5.12 第II相臨床試験を早期中止判断

- 現在の登録症例数は、64例中20例
- 本試験が長期に渡ったことから、オープンラベル試験として臨床成績がタイムリーに得られる中で、当初設計した試験プロトコルでは、本剤の適切な評価が難しいことが徐々に明らかになってきた
- 主要評価項目としては、ORRではなく、OSまたはPFSが適切と考えられた
奏効率 全生存期間 無増悪生存期間

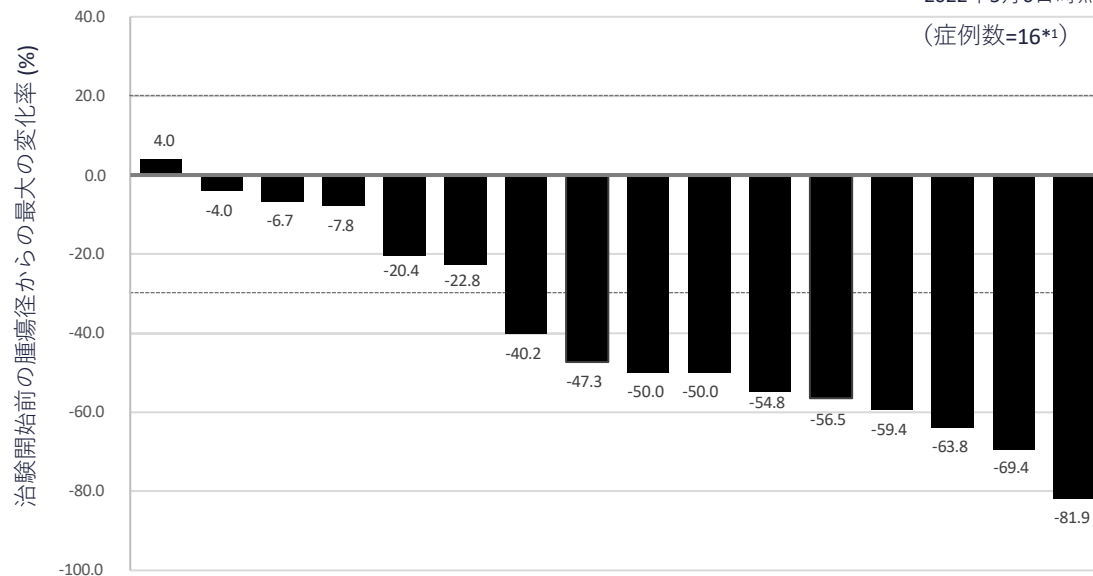
第II相臨床試験概要

試験タイトル	A Pilot, Open-Label, Multi-Center, Multi-Dose Study of GRN-1201 Added to Pembrolizumab in Subjects with Non-Small Cell Lung Cancer with High PD-L1 Expression (PD-L1高発現の非小細胞肺癌患者を対象とするペムブロリズマブに併用するがんワクチン GRN-1201のパイロット・オープンラベル・多施設共同・反復投与試験)	
米国臨床試験番号	NCT03417882	
被験薬	GRN-1201: HLA-A2拘束性4種ペプチド	
対象	非小細胞肺癌一次治療 PD-L1陽性 (TPS \geq 50%)	TPS: がん細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合
主要評価項目	奏効率 (ORR: Objective Response Rate)	
併用薬	ペムブロリズマブ (抗PD-1抗体)	
症例数	64例 サイモン2段階方式	
実施方法	非盲検、多施設	

■ トップライン・データ: 腫瘍径の評価

2022年5月6日時点

(症例数=16*1)



最良効果*2 (Best Response)	PD	SD	SD	SD	SD	SD	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR
総合効果*3 (Overall Response)	PD	NE	SD	SD	SD	PD	PR	NE	PR	PD	PR	NE	PR	PR	PR	PR

*1) 本解析は、治験開始後に1回以上、画像評価が行われた患者さんを対象にして実施

*2) 治験期間中に最も良好と判断された評価（非標的病変、新病変出現の有無を含む）

*3) 治験期間中の総合評価（PRは2回以上連続で確認、NEは治験開始後の画像評価が1回のみであり評価不能）

PR (Partial Response) : 部分奏功
 SD (Stable Disease) : 安定
 PD (Progressive Disease) : 進行NE
 (Not Evaluable) : 評価不能

■ トップライン・データ: 安全性と忍容性

- 臨床上の安全性に問題はなく忍容性が高いことが確認された
 - GRN-1201は、ペムブロリズマブとの併用において、ペムブロリズマブ単剤投与時に比べて、グレード3*以上の副作用を上乗せさせることはなかった
 - GRN-1201による副作用で治験中止に至る症例はいなかった

* 副作用の重症度は、以下の原則に従って定義（世界共通の評価基準）

グレード1：軽症

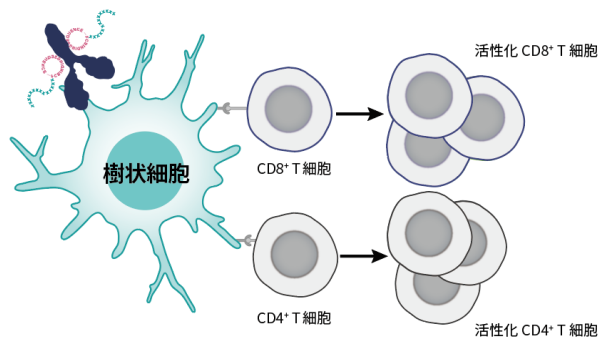
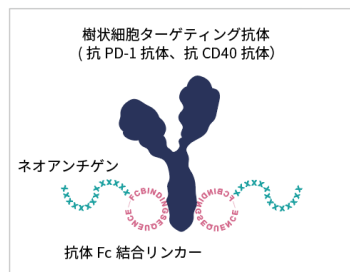
グレード2：中等度

グレード3：重度または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない

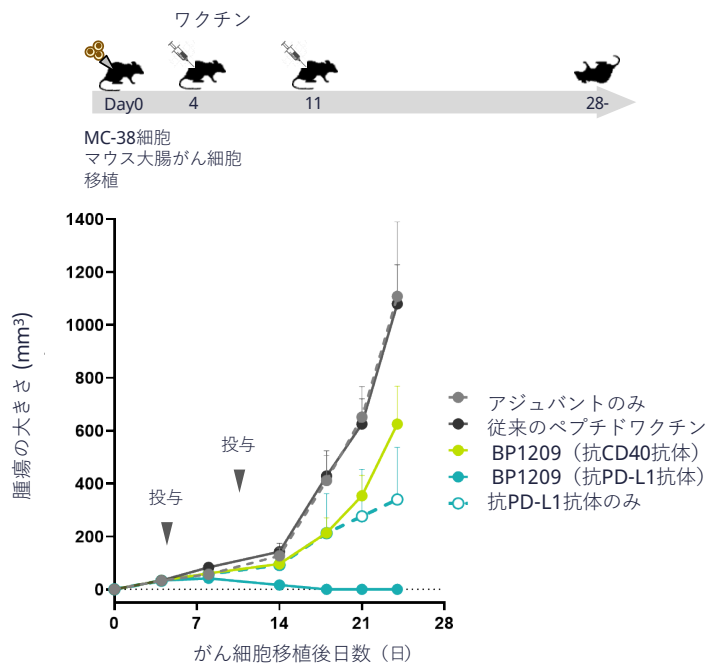
グレード4：生命を脅かす、緊急処置を要する

グレード5：死亡

■ 樹状細胞へのワクチンデリバリー効果と免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体とネオアンチゲンワクチンの複合体プラットフォーム



- 担がんマウスモデル試験で抗腫瘍免疫の亢進が示された



出所: プライトパス・バイオESMO 2021

市場規模

BP2201(iPS-NKT)の国内想定患者数

- 現在の非改変iPS-NKT再生細胞療法は、特定のがん種で発現する抗原を標的にするCAR遺伝子を導入したCAR-Tと異なり、幅広いがん種への適用が可能
- 現在臨床試験を進めている頭頸部がんの患者数（日本国内）

- 年間頭頸部がん罹患数(新規診断数) 27,000人 *1

- 現在の治験対象：切除不能・局所進行/再発頭頸部がん患者

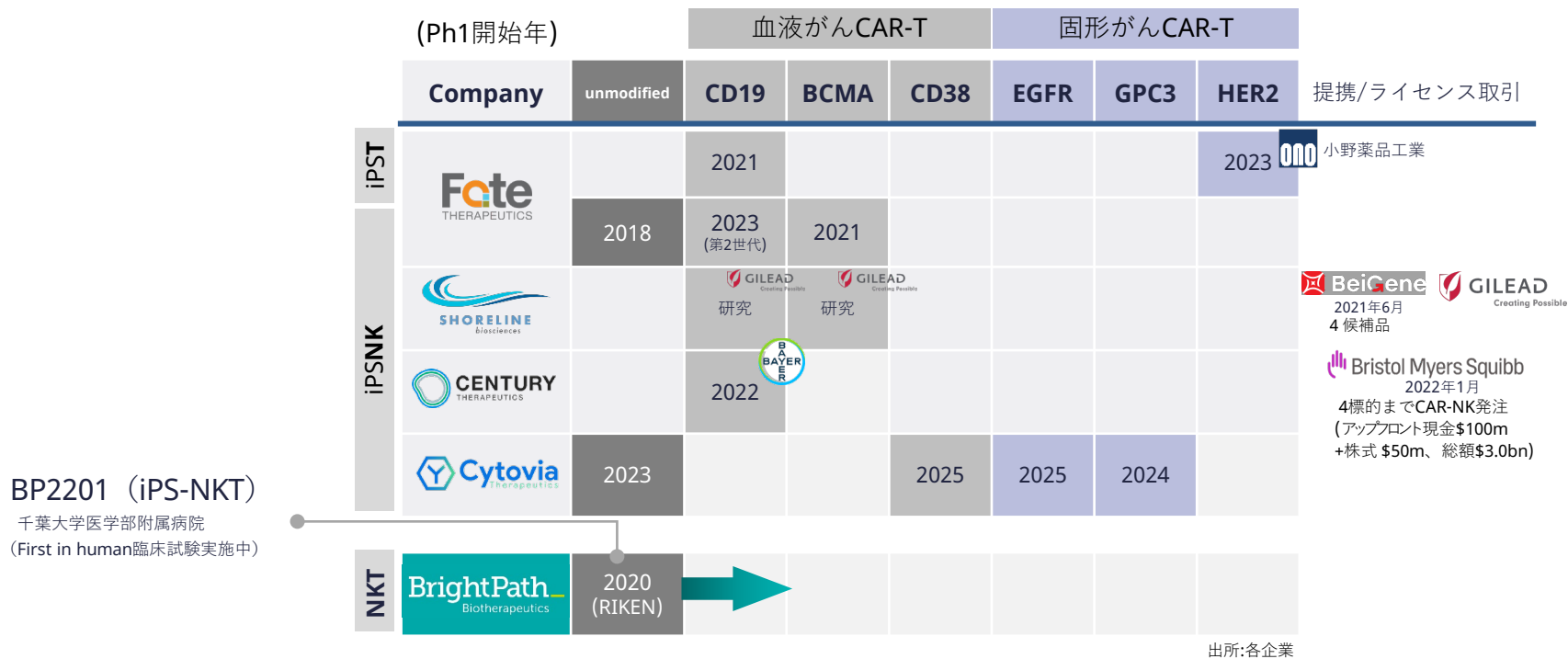
$x \text{ 局所進行(ステージIII/IV) } 35\% *2 \times \text{再発率 } 50\% *3 = 4,600 \text{人}$

出所：

1. 国立がん研究センター 全国がん罹患データ(2016年～2017年)及び将来推計
2. 日本頭頸部がん学会 頭頸部悪性腫瘍全国登録の2017年度初診症例の報告書
3. Adelstein DJ, Li Y, Adams GL, Wagner H Jr, Kish JA, Ensley JF, et al. An intergroup phase III comparison of standard radiation therapy and two schedules of concurrent chemoradiotherapy in patients with unresectable squamous cell head and neck cancer. J Clin Oncol. 2003;21: 92-8.

BP2201のポジショニング

■ iPS細胞由来免疫細胞を用いる開発先行CAR-T/NK開発ベンチャーと大手製薬企業の提携事例



BP2201 (iPS-NKT)

千葉大学医学部附属病院
(First in human臨床試験実施中)

BP2301(HER2 CAR-T)の国内想定患者数

■ HER2は、多くのがん種で発現し、がん治療標的として適格であることが臨床で確認されている

HER2発現がん種におけるアンメット メディカル ニーズ

がん種	罹患数 (千人) 日*1 / 米*2 / 欧*3	5年生存率 (遠隔転移有)	HER2陽性率*4
2022.5に開始された 医師主導治験の対象	骨・軟部肉腫 (希少がん)	0.85 / na / na	15%*5
	子宮体がん	17 / 67 / 51	17%
	卵巣がん	13 / 21 / 30	16%
適応がん種の 拡大余地	乳がん	93 / 284 / 271	28%
	胃がん	159 / 27 / 52	6%
	大腸がん	141 / 135 / 249	14-16%
	膠芽腫	1.8 / 9 / 12	10%

¹ 小児慢性特定疾病情報センター, Datamonitor Healthcare® | Informa, 2021

² American Cancer Society, Cancer Facts & Figures 2021;

³ WHO, Global Cancer Observatory, CANCER TODAY 2020;

⁴ Haffner et al. J Clin Oncol. 2021, Iqbal et al. Mol Biol Int. 2014, Wang H, et al. Cancer Invest 2014, Zhang et al. Int J Clin Exp Pathol 2016, Mason et al. Clin Cancer Res 2016, Ganti et al. modern pathology 2006, Liu et al. Cancer Res 2004, Grushko et al. Gynecologic Oncol 2008, Berchuck et al. Cancer Res 1990, Bartlett et al. Brit J Cancer 1996, Cronin et al. Cancer Invest. 2010, Gravalos et al. Annals Oncol 2008, Tu et al. Exp Ther Med 2018, Ang YL, et al. Crit Rev Oncol Hematol 2016, Ryan E, et al. Front Oncol 2020

⁵ 国立がん研究センター中央病院の治療成績 進行再発骨軟部肉腫例(2002年から2007年)の予後(集学的治療が実施された症例)

BP2301(HER2 CAR-T)の競合環境

■ HER2 CAR-Tの先行例

- BP2301は、既に米国で良い臨床成績を収めているHER2 CAR-Tをより良いフォーマットで展開するコンセプト

臨床試験	中国人民解放军总医院 2017	米ベイラー医科大学 2017	米ベイラー医科大学 (HEROS2試験) 2019	BP2301 FY2022 1Q開始
CAR遺伝子導入	レンチウイルスベクター	レトロウイルスベクター	レトロウイルスベクター	piggyBac* (非ウイルス)
CARコンストラクト	オリジナル aHer2 4-1BB	FRP5 CD28	FRP5 CD28	FRP5 CD28
治験対象がん種	胆管細胞がん すい臓がん	膠芽腫	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性 かつ転移病変有り)	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性) 婦人科がん
患者数	11	17	10 (骨肉腫5例)	
有害事象	中程度	中程度	中程度 -DLT/輸血/感染症無し -CRSはgrade 2まで	
臨床効果	1 PR	1 PR	2 CR	
体内でのCAR-T細胞数	中	少	多 -全例で7日目までに細胞数増加 -6週後以降も検出	

* 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

BP2301(HER2 CAR-T)の競合環境(続)

■ 同じ製品コンセプトの先行例

- 製品コンセプト：疲弊抵抗性をもつ幹細胞様メモリーT細胞を駆使し固形がんにも有効なCAR-T細胞を創製
- 同じ非ウイルス遺伝子導入法を用い幹細胞様メモリーCAR-Tを作製するCAR-Tプレイヤー：POSEIDA

ブライトパス	主な相違点	開発品	段階	がん種	開発企業
BP2301	・HER2標的 vs 血液がん・固形がん標的双方	P-BCMA-101	Ph1	多発性骨髄腫	POSEIDA
		P-PSMA-101	Ph1	前立腺がん	

出所：企業

BP1200(抗CD73抗体)の競合環境

■ 抗CD73抗体の先行開発品

- アデノシン産生に関わるCD73を標的とする抗体の開発状況

開発企業	標的	現在の開発段階	備考
AstraZeneca	CD73	Ph3	抗PDL-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Gilead/Arcus	CD73（低分子）	Ph2	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
I-Mab	CD73	Ph2	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Agenus	CD73 x TGFβ	Ph2	抗PD-1抗体、化学療法剤との併用（膵臓がん）
Akeso	CD73	Ph2	抗PD-1/VEGF抗体との併用、（非小細胞肺癌）
Novartis/Surface	CD73	Ph1	抗PD-1抗体、化学療法剤との併用（固形がん）
Corvus	CD73	Ph1	抗PDL-1抗体との併用（固形がん）

出所：各企業

BP1202(抗CD39抗体)の競合環境

■ 抗CD39抗体の先行開発品

- BP1202の差別化ポイント：アデノシン産生に関わるCD39酵素の阻害機能に加えて、CD39高発現Treg(抑制性T細胞)を殺傷する機能を付加したエンジニアリング抗体であること

開発企業	標的	現在の開発段階	備考
AstraZeneca /Innate Pharma	CD39	P2	抗PDL-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Abbvie/Tizona	CD39	P1	抗PD-1抗体との併用（固形がん）
Arcus	CD39	P1	抗PDL-1抗体との併用（固形がん）
Elpiscience	CD39	P1	（固形がん）
Elpiscience	CD39 x TGF-β	P1	（固形がん）
Junshi / Suzhou Kebo Ruijun	CD39	P1	（固形がん）

出所：各企業

BP1210(抗TIM3抗体)の競合環境

■ 抗TIM-3抗体の先行開発品

- BP1210の差別化ポイント: TIM3の抑制シグナルを引き起こすリガンドの結合阻害を全種類で可能にするバイパラトピック抗体であること

開発企業	標的	現在の開発段階	備考
Novartis	TIM3	Ph3	(血液がん)
GSK	TIM3	Ph3	抗PD-1抗体との併用 (非小細胞肺癌)
Incyte/Agenus	TIM3	Ph2	抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用 (黒色腫および頭頸部扁平上皮癌、子宮がん)
AstraZeneca	TIM3 x PD-1	Ph1/2	バイスペシフィック抗体 (血液がん、固形がん)
BeiGene	TIM3	Ph1/2	抗PD-1抗体との併用 (固形がん)
Servier	TIM3	Ph1/2	単剤および抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用 (固形がん)
Eli Lilly	TIM3	Ph1	抗PD-L1抗体との併用 (固形がん)
Hengrui	TIM3	Ph1	(血液がん)
Leads Biolabs	TIM3	Ph1	(固形がん)

出所: 各企業

がんワクチンの競合環境

■ がんワクチンの先行開発品

ブライトパス	主な相違点	競合開発品	段階	がん種	併用薬	開発企業 (導出先/共同開発)
GRN-1201	• 共有野生抗原 vs. 共有NeoAg	BNT111	Ph2	メラノーマ	PD-1抗体	BioNTech
	• ペプチド vs. mRNA	SLATE	Ph2	肺がん他	PD-1抗体 CTLA-4抗体	Gritstone
BP1209	• 抗体+ペプチド vs. DNA	VB10.NEO	Ph2	頭頸部他	PD-1抗体	Nykode (Roche)
	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	mRNA-4157	Ph2	高リスク メラノーマ	PD-1抗体	Moderna(Merck)
	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	BNT 122	Ph2	結腸直腸 がん他	PD-1抗体	BioNTech(Roche)

*Nykodeは旧社名Vaccibody

出所：各企業

競争力の源泉

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP2301	iPSNKT	CAR-iPSNKT
1	幹細胞様メモリーT細胞によって固形がんのハードルを克服するCAR-T	幹細胞様メモリーT細胞を集中的に増殖させる製造技術	✓		
2	CAR-iPSNKTプラットフォーム展開	CAR-T技術 X iPS由来 NKT細胞 プラットフォーム		✓	✓

抗体医薬の経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP1200	BP1202	BP1210	BP1212
1	腫瘍環境改善による新たな抗腫瘍免疫作用メカニズム	アデノシン産生の阻害効率	✓	✓		
2	改変抗体	Fcエンハンスメント		✓		
3	二重特異性抗体	<ul style="list-style-type: none"> 免疫チェックポイント分子の徹底阻害 二重の免疫チェックポイント分子経路阻害 			✓	✓

がんワクチンの経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	GRN-1201	BP1209
1	免疫チェックポイント抗体を併用する複合的療法	併用療法の臨床経験	✓	
2	ネオアンチゲン対応	がんの目印としてT細胞が認識するネオアンチゲンを的確に予測するバイオインフォマティクス		✓
3	リンパ節へのワクチン送達	免疫細胞を標的とする ドラッグデリバリー・システム		✓

事業計画

2023年3月期 期初計画と実績の対比

	期初計画	実績	差異
売上高	5	5	0
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	1,639 (1,267)	1,470 (1,168)	① △168 (△99)
営業利益	△1,635	△1,467	167
経常利益	△1,635	△1,473	161
当期純利益	△1,637	△1,485	151

① 主な内訳は、次の通り

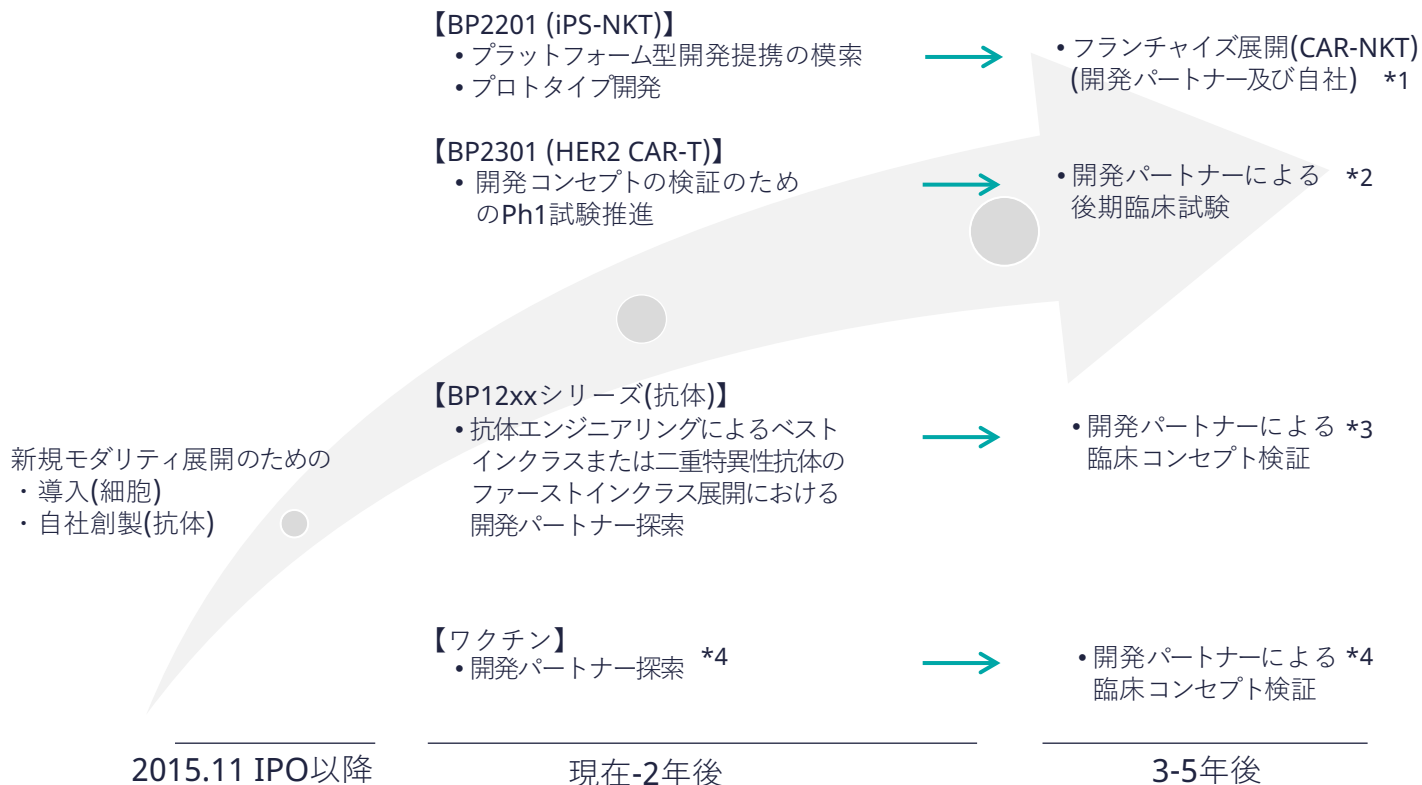
- ・ 研究開発費については、予定されていた研究開発活動の一部が翌期に繰り越されたもの
- ・ 従業員の減少に伴う人件費、一般管理費の減少

2024年3月期 業績見通し

	2023年3月期		2024年3月期 予想	増減
	予想	実績		
売上高	5	5	0	△5
営業利益	△1,635	△1,467	△1,353	115
経常利益	△1,635	△1,473	△1,353	121
純利益	△1,637	△1,485	△1,357	129
研究開発費	1,267	1,168	① 973	△16.7%

① 2023年3月期に織り込まれていたGRN-1201の米国第Ⅱ相試験の早期中止決定に伴う前払金269百万円の費用化が、2024年3月期には発生しない

成長イメージと今後の施策



前回(2022.6)からの変更: *1. 自社製造設備をもつ選択肢は除外していない *2. ライセンスアウト対象に含めた *3. 将来的には後期段階まで自社開発を進めるパイプラインをもつ *4. GMP化前のコンセプト検証用のプラットフォーム構築は終わっており、開発の優先順位見直しにより共同開発パートナー探索を優先

資金調達状況





■ 第15回新株予約権の行使による調達資金をパイプラインの研究開発費に充当

概要

- 予約権総数: 105,000個 株式数: 普通株式10,500,000株
- 当初行使価額: 107円 (行使価額修正条項付き)
- 支出予定期間: 2022年7月～2023年7月
- 資金使途: がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費、その他事業運営資金
- 割当先: マッコーリー・バンク・リミテッド
- 調達額: 774百万円

資金支出予定

(単位：百万円)

資金使途		資金調達	支出予定時期						
			FY2022	FY2023				FY2024	
		第15回 未充当	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q
①がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費									
細胞医薬	第15回 (調達済)	77							
抗体医薬	第15回 (調達済)	46							
がんワクチン	第15回 (調達済)	14							
小計		137							
②その他事業運営資金		第15回 (調達済)	46						
計		183							

*第15回: 第15回新株予約権の発行による資金調達(2022年11月までに行使完了)

■ 次回資金調達の検討段階に入る

リスク情報

リスク情報

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
新薬開発の不確実性	<ul style="list-style-type: none"> 医薬品開発の成功確率が低いこと 技術革新がもたらす技術の陳腐化 	研究開発が長期化することにより、投資額が回収できず開発が中止となり、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視し、当社の技術を駆使して開発に取り組んでいます。
資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発の期間は長期にわたり、また日本国内のみならず海外においても研究開発活動を行っていることなどから今後も多額の資金が必要 事業計画の修正を必要とする状況になった場合、資金不足が生じる可能性 研究開発推進等のための資金調達の方法として新株発行や新株予約権付社債などを発行する可能性 新株等発行した場合、1株当たりの株式価値が希薄化する可能性 	必要なタイミングで研究開発資金を確保できなかった場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	製薬企業等とのライセンス契約から発生する契約一時金収入、マイルストーン収入、ロイヤリティ収入を研究開発中のパイプライン及び新規パイプラインに再投資することを事業及び資金サイクルとしていくことを目指しています。
競合	<ul style="list-style-type: none"> 競合他社が開発する医薬品が先行した場合、競争力が低下する可能性 	開発の遅延又は中止となる可能性、ライセンスアウトしていた場合はライセンス契約解約の可能性又は上市後に想定した販売ロイヤリティが得られない可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視して開発に取り組んでいます。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

リスク情報(続)

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
特許	<ul style="list-style-type: none"> 出願中の特許が成立しなかった場合又は登録された特許権が無効化された場合 優れた技術が出現して、当社の特許が陳腐化する可能性 	当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。また、出願費用・維持費用等のコストを回収できない可能性があります。	中	中長期	新たな技術の研究開発に取り組み、新規特許の獲得に取り組んでいます。また、定期的に他社の特許及び技術情報を調査しています。なお、当社のパイプラインにおいて、その実施に支障又は支障をきたす可能性のある事項は、調査した限りにおいて存在していません。
新型コロナウイルス感染症をはじめとする災害等の影響	<ul style="list-style-type: none"> 新型コロナウイルス感染拡大に伴い、当社の事業所及び研究施設並びに国内外の臨床試験・非臨床試験・製造委託先及び共同研究開発先社員等の罹患や移動制限・自粛等に伴う要員不足や原材料の納入遅延、並びに製造機能や物流・卸機能の停滞が生じる可能性 臨床試験施設において新規登録の一時中断や来院制限の措置が取られるなどした結果、臨床試験の遅延等が発生する可能性 	臨床試験施設においても感染拡大に進行中または新規に立ち上げようとしている臨床試験の遅延等の発生可能性があります。その場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	リスク情報共有会議を頻回開催し、当社の国内・海外の製造委託先、共同研究開発のパートナー及び臨床試験施設の状況確認やビジネスにおける影響等について、情報の把握と対応の検討、経営レベルでの議論と意思決定を行っています。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

BrightPath_

Biotherapeutics