

(上場市場) 東京証券取引所 グロース市場
(証券コード) 4594

ブライトパス・バイオのご紹介

2025年12月
ブライトパス・バイオ株式会社

Copyright © BrightPath Biotherapeutics Co., Ltd.

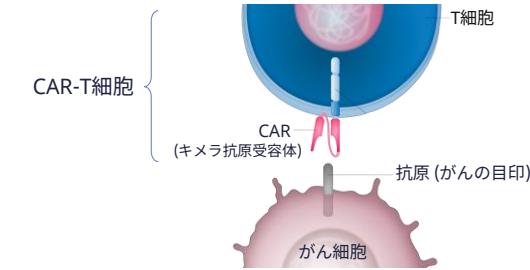
BrightPath
Biotherapeutics

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。

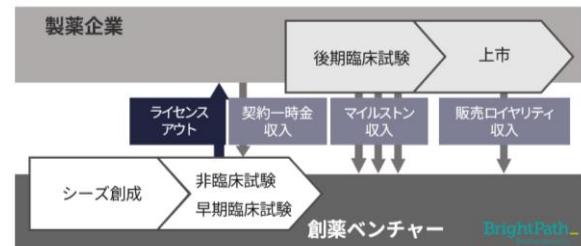
1 がん治療薬の開発に特化

- がん細胞を免疫が排除するメカニズムを利用したがん治療薬



2 知財を介した早期収益化モデル

- 製薬企業への早期開発段階でのライセンス・アウトを開発投資の出口とする事業モデル



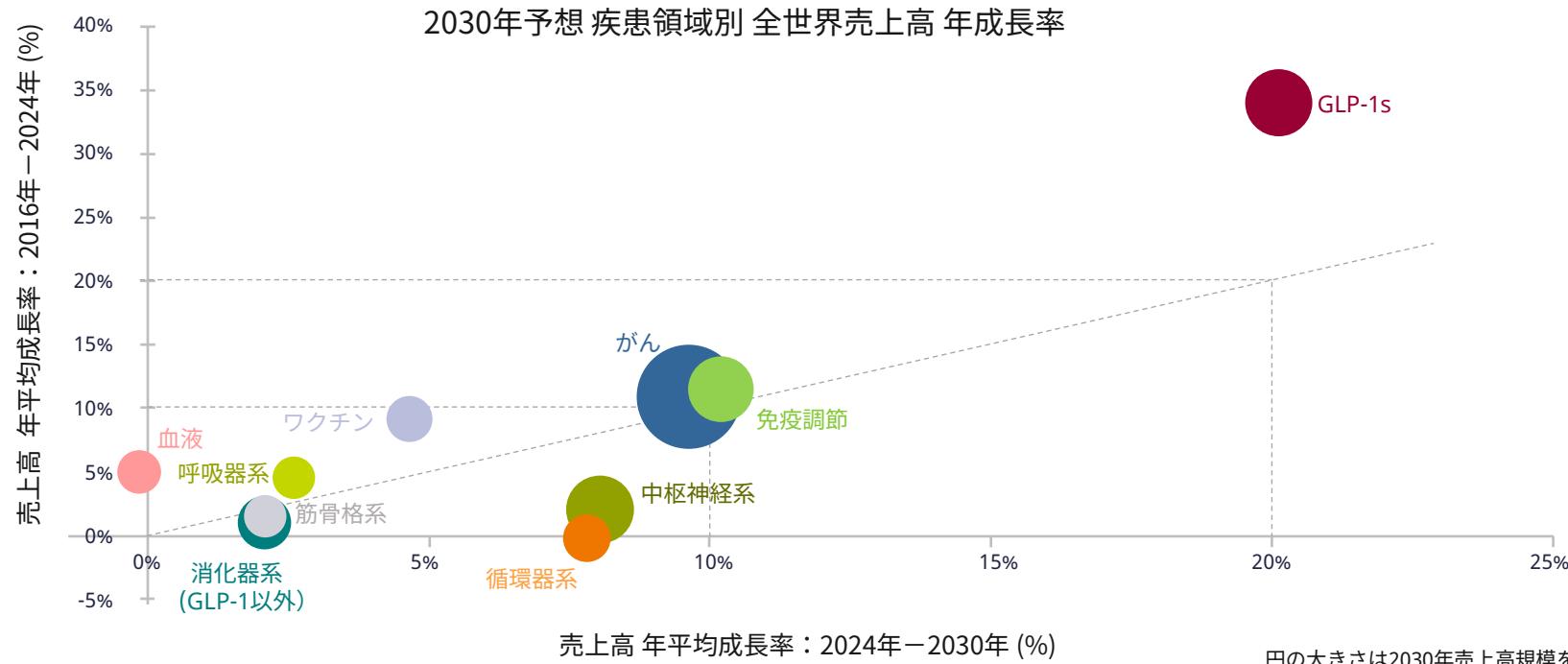
3 早期臨床試験段階にある細胞医薬パイプライン

- 2025年: 固形がん対象 自家CAR-T細胞療法 (BP2301)
- 2026年開始: 血液がん対象 他家CAR-T細胞療法 (BP2202)



開発領域の市場規模と成長率

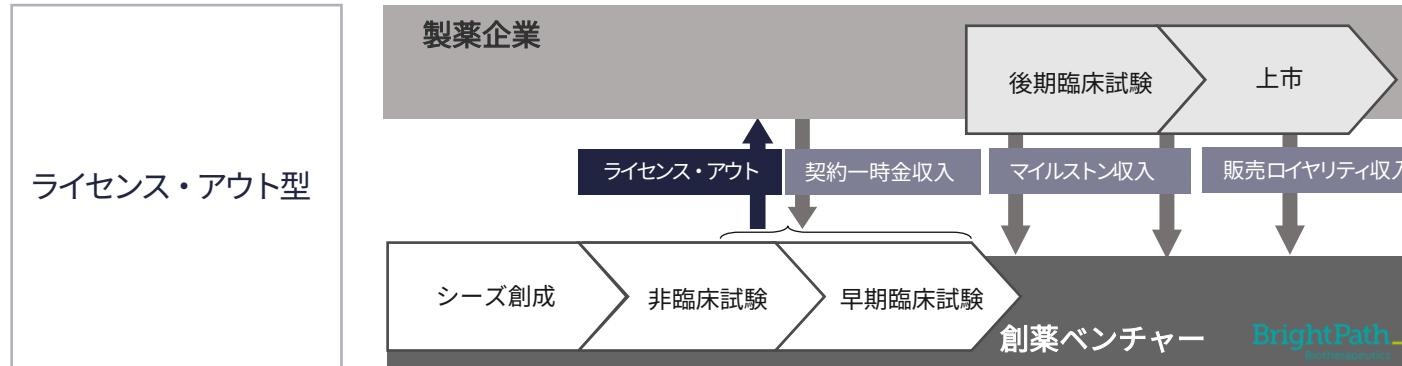
がん治療薬の開発は引き続きハイペースで進められている



事業モデル

製薬企業への早期開発段階でのライセンス・アウトを出口とする事業モデル

- 現在は開発投資先行期間
- 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

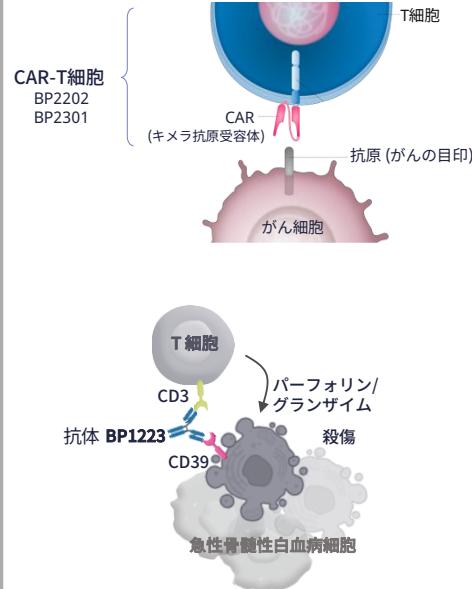


新薬開発の途中で、
すべてを自己完結できる製薬企業に
開発製造販売ライセンスを渡すこと
によって、早期収益化を図る

当社の開発品一覧

シーズ創成 > 非臨床試験 > 早期臨床試験 > 後期臨床試験

開発品	作用機序/標的	がん種	探索	非臨床	第I相	第II相
細胞医薬 =がん細胞を殺傷する免疫細胞を直接投与する治療薬						
BP2201	iPS細胞由来NKT細胞	頭頸部がん				
BP2202	iPS細胞由来BCMA CAR-NKT	多発性骨髓腫				
BP2301	HER2 CAR-T	骨軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬 =がん細胞を殺傷する免疫細胞に働きかける治療薬						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM-3					
BP1212	CD39 × TIM-3					
BP1223	CD39 × CD3	急性骨髓性白血病				
がんワクチン						
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固体がん				



BP2301 (HER2 CAR-T細胞療法)

細胞

新規の自家HER2標的CAR-T細胞療法

- 第Ⅰ相臨床試験を国内で実施中

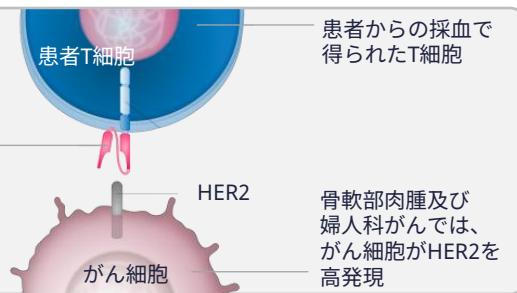


対象：HER2陽性骨軟部肉腫及び婦人科がん
(卵巣がん、子宮頸がん等)



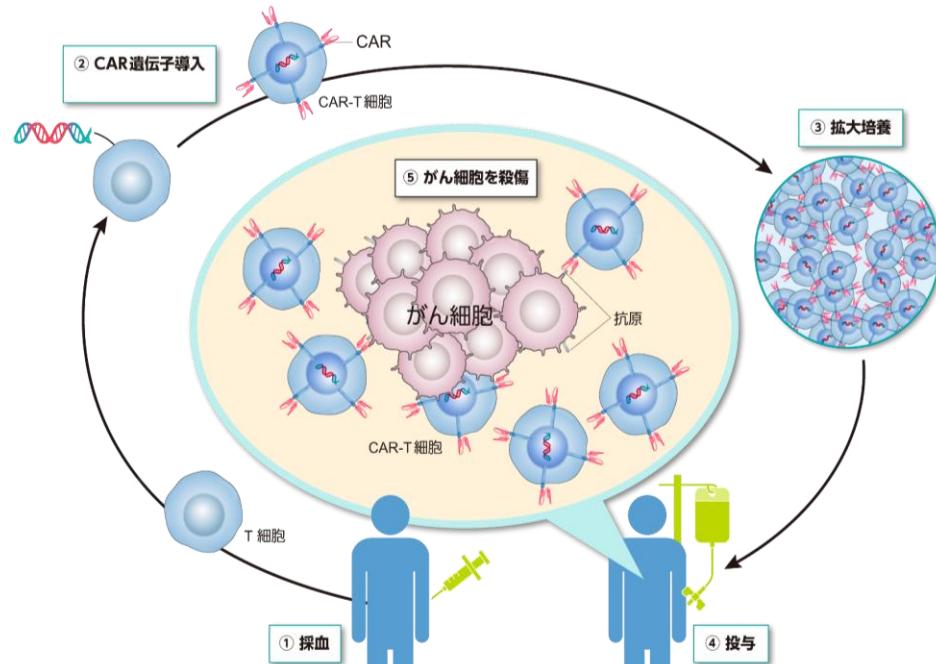
HER2標的CAR-T細胞

HER2標的CAR (キメラ抗原受容体)
がん細胞に高発現するがんの目印:HER2抗
原を認識し結合する



自家CAR-T細胞療法の流れ

- ー患者自身から採血して取り出したT細胞に、
体外で遺伝子改変を加えて患者に戻すー



BP2301(HER2 CAR-T)の潜在患者数

- HER2は、多くのがん種で発現し、がん治療の標的分子として適切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}
現在の臨床試験の対象	骨軟部肉腫	0.85 / na / na	15%*5	10-60%
	子宮体がん	17 / 67 / 51	17%	50-80%
	卵巣がん	13 / 21 / 30	16%	20-30%
適応がん種の拡大余地	乳がん	93 / 284 / 271	28%	15-40%
	胃がん	159 / 27 / 52	6%	10-38%
	大腸がん	141 / 135 / 249	14-16%	3-10%
	膠芽腫	1.8 / 9 / 12	10%	20-30%

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

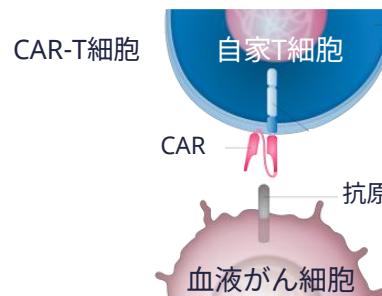
⁵ 国立がん研究センター中央病院の治療成績 進行再発骨軟部肉腫例(2002年から2007年)の予後(集学的治療が実施された症例)

開発の目的： 固形がんでも抗腫瘍効果を示すCAR-T細胞療法の開発

血液がん

固形がん

- ・ 血液がん治療に革新をもたらしたモダリティ
- ・ 承認薬＝臨床で検証された作用メカニズム



承認薬（血液がん領域）



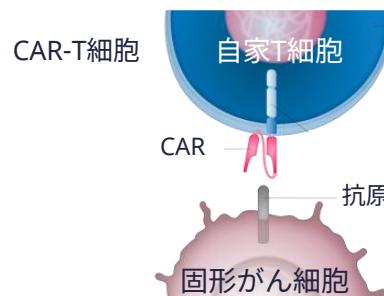
開発企業



上市CAR-T製品



- ・ 免疫抑制環境を形成する固形がんに応用



固形がんのハードル

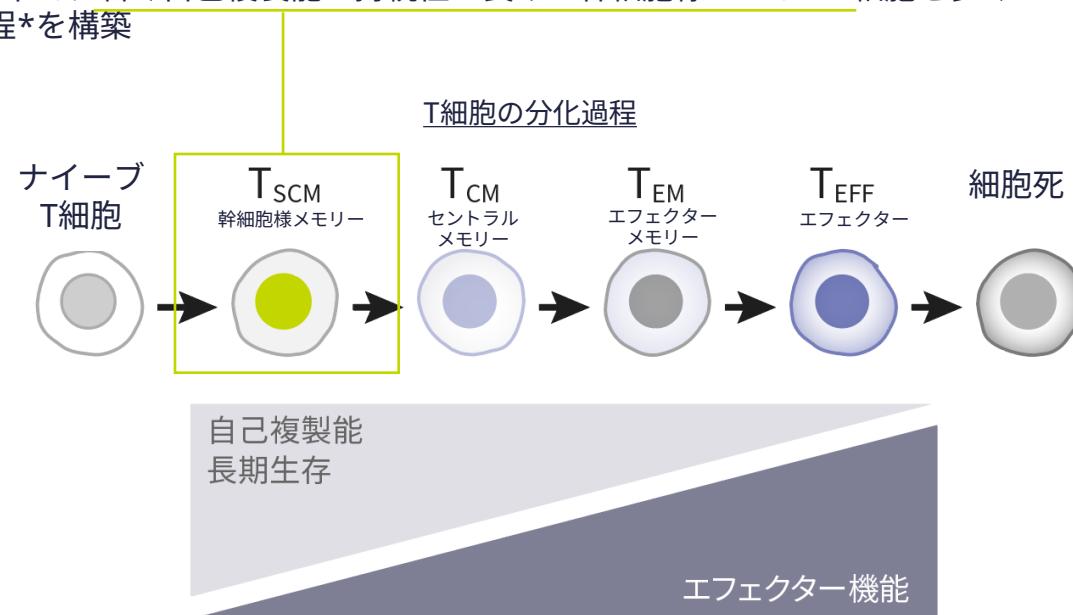
- ・ CAR-T細胞が固形腫瘍組織の免疫抑制にさらされ、すぐに疲弊し無機能化



解決すべき課題

解決策: 幹細胞様メモリーT細胞をCAR-TのT細胞として用いる

- 免疫抑制的な固形がん腫瘍組織において、すぐに疲弊し無機能化することを免れ、がん細胞を殺傷し続けるCAR-T細胞
- 分化をたどるT細胞の中で、若く自己複製能と持続性に長けた幹細胞様メモリーT細胞を多くCAR-T細胞として用いることができるよう^{*}に製造工程*を構築



*製造法特許が、日本と中国で登録査定

■ 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	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 FY2025E
CAR遺伝子導入	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)
治験対象がん種	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	na	中程度 Grade 3-4 CRS (2例)	中程度 Grade 3-4 (2例)	
臨床効果	PR 1例	CR 2例	“Deep” PR 1例 腫瘍径100%減	

*1 JAMA Oncol 2017;3;(8):1094-1101 *2 Nature Cancer volume 5, pages880-894 (2024) *3 ASCO GI2025

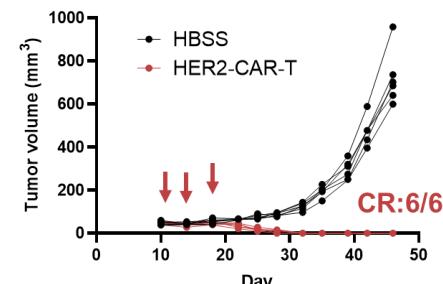
CRS:サイトカイン放出症候群、PR:部分奏効、CR:完全奏効

出所:各企業

*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

■ 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



出所: ブライトパス・バイオ AACR2022

BP2202 (他家iPS細胞由来BCMA CAR-NKT細胞療法)

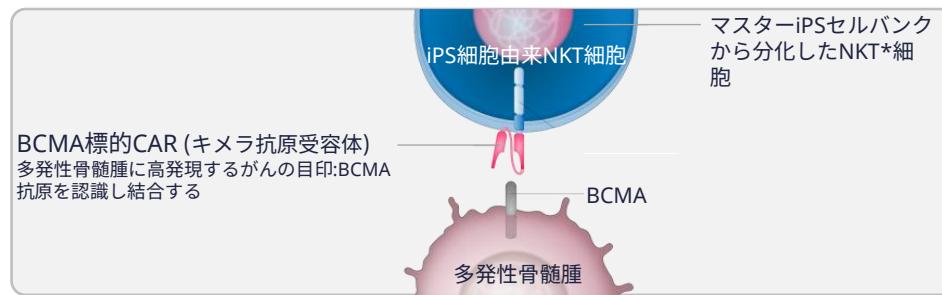
細胞

iPS細胞から作製するBCMA CAR-NKT細胞療法

- 2025年度末を目途に米国臨床試験開始を申請予定

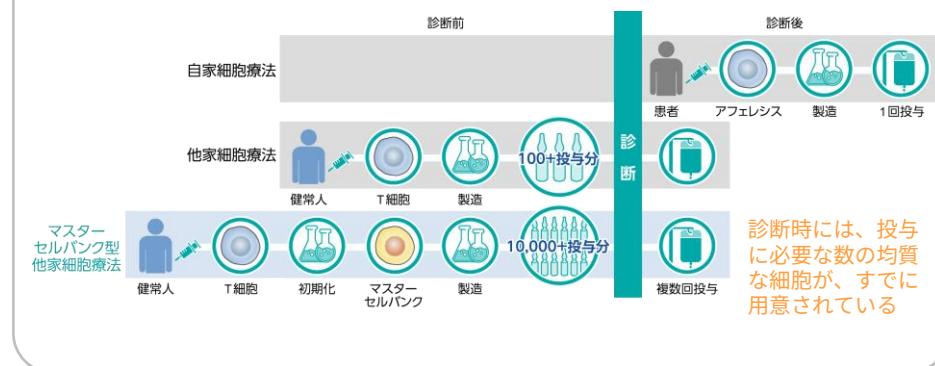


BCMA CAR-NKT細胞



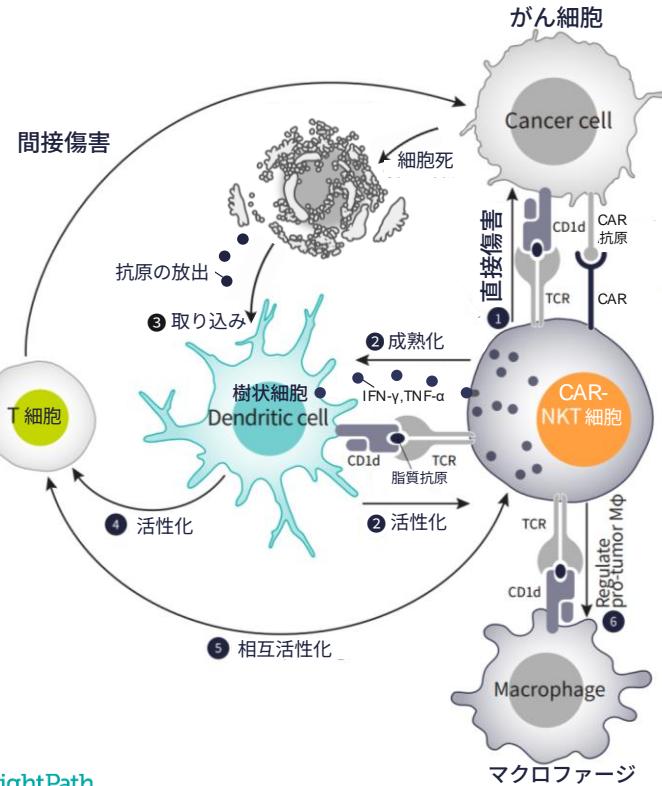
- 2025年度上半期に、米国FDAからオーファンドラッグ指定を受けている

- 多発性骨髄腫には薬事承認された自家CAR-T細胞療法がある
 - BCMAを標的とするCAR-T細胞という医薬品形態が有効に機能することが臨床で検証されている
- しかし、患者自身のT細胞からCAR-Tを製造することには、
 - 品質が、多くの前治療を経た患者の採血時のT細胞の状態に依存
 - 長い待機時間
 - 製造コストという弱点がある
- これを解決するために、
患者自身のT細胞を、iPS細胞から作製するNKT細胞に切り替える



他家T細胞の中でも、特に、患者自身のT細胞との相互作用が得意なNKT細胞を用いる

- 患者自身のT細胞の抗腫瘍活性を引き出す



■ 非臨床試験による概念実証

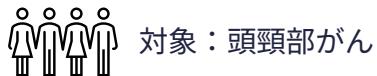
CAR-ipsNKT細胞による抗腫瘍性T細胞活性化を確認した担がんマウスモデル試験

ブライトパス・バイオ 米国癌学会 AACR2025

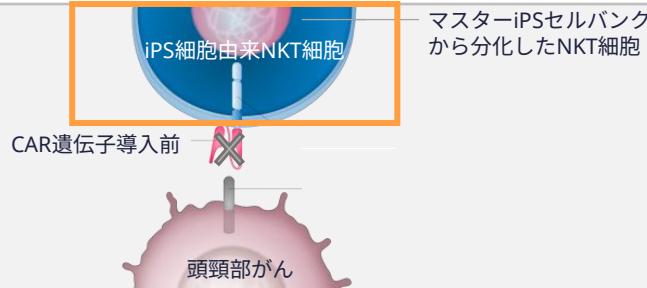


iPS細胞から作製したNKT細胞療法

- 2024年に国内第I相医師主導治験を完了



非遺伝子改変iPS-NKT細胞



- 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、臨床上の安全性と初期的臨床活性が確認された

- 末期頭頸部がん患者において、全症例に占める病勢安定(SD)の割合は、高用量群で80%だった（5例中4例が病勢安定）
- 中には、腫瘍の縮小傾向が観られた症例を含む
- 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

CAR遺伝子導入前のiPS細胞から作製したNKT細胞は、BP2202 (CAR-NKT) の臨床試験以前にすでに臨床応用が為されている

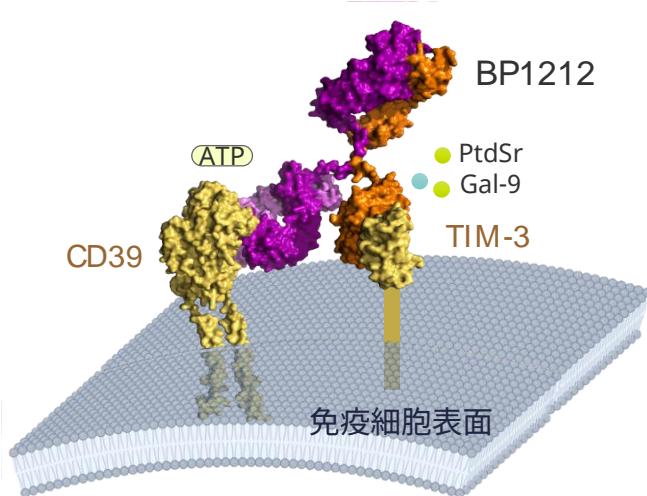
BP1212

抗CD39 × 抗TIM-3 二重特異性抗体



対象： 固形がん

- 免疫細胞上で免疫抑制的に働く2つの分子CD39とTIM-3に同時に結合し、免疫抑制を解除する抗体
- 樹状細胞のインフラマソーム抑制を解除し活性化



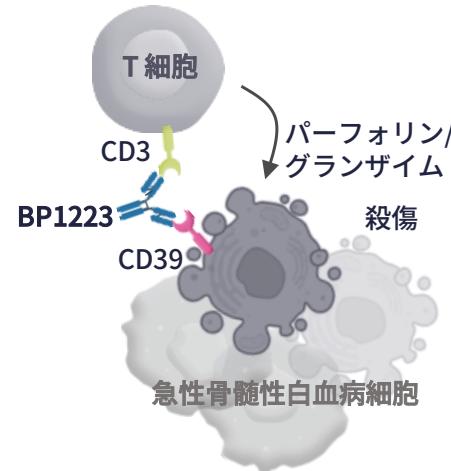
BP1223

抗CD39 T細胞エンゲージャー



対象： 急性骨髓性白血病 (AML)

- 急性骨髓性白血病細胞多く発現するCD39と、T細胞上に発現するCD3の双方に結合する二重特異性抗体
- がん細胞とT細胞を接近させ、CD3経路の刺激を受けて活性化したT細胞が、CD39を目印にがん細胞を排除



2026年3月期 第2四半期 (中間期) 決算概要

2026年3月期 第2四半期(中間期) 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2025年3月期 中間期	2026年3月期 中間期	増減
売上高	0	0	0
売上原価	0	0	0
売上総利益	0	0	0
販売費及び一般管理費 (内、研究開発費)	542 (399)	464 (312)	① △78 (88)
営業利益	△542	△464	+78
経常利益	△537	△460	+77
当期純利益	△538	△462	+76

① BP2202開発費の前払金処理を含み下半期には費用に振替えられる予定であるため、前年とほぼ同水準

貸借対照表

(単位：百万円)

	2025年3月期 期末	2026年3月期 中間期	増減
流動資産 (構成比)	1,071 95.6%	1,647 97.0%	② +576
固定資産	49 4.4%	50 3.0%	+1
流動負債	131 11.7%	104 6.2%	△27
固定負債	63 5.7%	66 3.9%	+3
純資産	924 82.5%	1,526 89.9%	+601
総資産	1,120	1,697	+577

② 資金調達による現金442百万円および前払金179百万円の増加を含む

2026年3月期 第2四半期(中間期) 決算概要(続)

キャッシュ・フロー計算書

(単位:百万円)

	2025年3月期 中間期	2026年3月期 中間期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△520	① △591
投資活動によるキャッシュ・フロー	－	△1
財務活動によるキャッシュ・フロー	1,002	② 1,035
現金及び現金同等物 増減額	+482	+442
期首残高	1,057	810
期末残高	1,539	1,252

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

2026年3月期 業績見通し (単位:百万円)

	2025年3月期 実績	2026年3月期 予想	前年比
売上高	1	0	0
営業利益	△1,160	△1,182	△22
経常利益	△1,147	△1,164	△17
純利益	△1,151	△1,166	△15
研究開発費	888	865	△22

直近立ち上げた資金調達プログラム

本新株予約権の発行による資金調達

第20回新株予約権	
割当先	フィリップ証券株式会社
潜在発行株数	27,500,000株
希薄化率	24.69%
調達予定金額	1,603百万円（当初行使価額59円を前提）
当初行使価額	59円（発行決議日前営業日終値の100%）
行使価額の修正	<u>1取引日毎に、直前取引日の終値×100%に修正</u>
下限行使価額	30円（発行決議日前営業日終値の50%）
発行決議日	2025年11月21日
発行・割当日	2025年12月8日
行使期間	2025年12月9日～2027年12月8日（当日を含む）
付帯条項	行使停止条項：当社は行使期間中、事前通知により、残存する新株予約権の行使を停止することが可能 取得条項：当社は事前通知により、残存する新株予約権の一部または全部を発行価額と同額で取得可能 買戻条項：行使期間最終日に新株予約権が残存している場合、当社は発行価額と同額で残存分を買取る

第20回新株予約権による調達資金の使途

パイプライン進捗のための投資

これまでの調達資金投入

BP2202
他家BCMA CAR-NKT

米国第I相臨床試験準備

- ・ マスターiPSセルバンク取得
- ・ GMP適合製造工程開発

第20回新株予約権発行による調達資金使途

米国第I相臨床試験 実施関連費用の前倒し調達
(投資予定金額：1,053百万円)

BP2301
自家HER2 CAR-T

- ・ 第I相医師主導治験の完了

—

BP12xx
がん免疫抗体医薬

- ・ 導出に向けた目標製品プロファイル
強化のための非臨床データ取得

—

新規パイプライン

—

- ・ 細胞又は抗体医薬品あるいはそれに近いモダリティ
- ・ 必ずしもがん領域にとらわれないパイプラインの開発
(投資予定金額：171百万円)

参考: 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 本店／川崎創薬研究所 細胞技術研究所	：東京都千代田区麹町2-2-4 ：神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22 ：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	1,732百万円 (2025年9月末現在)		
社員数	26名 (2025年9月末現在)		
役員	代表取締役社長 取締役 創薬研究部長 取締役 (非常勤) 取締役 (社外、独立役員) 監査役 (社外) 監査役 (社外、独立役員) 監査役 (社外)	永井 健一 中村 徳弘 山田 亮 竹内 弘高 岸野 努 阿部 武敏 山口 芳泰	久留米大学名誉教授 一橋大学名誉教授 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
GRN-1201 メラノーマ対象米国第I相臨床試験開始

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)の第I相医師主導治験開始

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

2024年7月
千葉大学医学部/理科学研究所よりiPS-NKT細胞療法の
第I相医師主導治験完了のプレスリリース

BrightPath
Biotherapeutics