
2018年3月期 決算説明会

2018年5月23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、当社グループに関連する見通し、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。

We pioneer immunotherapy,
to enable a world where cancer patients can
defeat cancer on their own.

BrightPath

Biotherapeutics





トピックス

はじめに

ITK-1 第Ⅲ相臨床試験につきましては、社員一同長年尽力してまいりましたが、主要評価項目である全生存期間（Overall Survival ;OS）に関して、プラセボ群と比較して統計学的に有意な改善効果が認められませんでした。

患者、株主の皆様のご期待に沿うことができなかったことをお詫び申し上げます。

ITK-1の今後の方針につきましては、臨床試験データの詳細な分析をもとに、導出先の富士フイルム株式会社が検討してまいります。

当社は今後もこれまで同様、既存ならびに新規創製・導入するがん免疫療法パイプラインの開発推進に努めてまいります。

引き続きご支援を賜りますようお願い申し上げます。

2018年3月期 IRトピックス

日付	トピックス
2018年5月17日	<ul style="list-style-type: none">ITK-1の第III相臨床試験の主要評価項目の全生存期間において、プラセボ群に対する改善効果が認められなかった
2018年3月	<ul style="list-style-type: none">理化学研究所と、iPS細胞由来NKT細胞療法に関する共同研究契約を締結
2018年2月	<ul style="list-style-type: none">三重大学に「ネオアンチゲンに基づく完全個別化がん免疫療法」の創出を目指し産学官連携講座を設置し、共同研究を開始
2018年1月	<ul style="list-style-type: none">東京大学および神奈川県立がんセンターと、「完全個別化がんワクチン療法」に用いるネオアンチゲン同定法に関する共同研究を開始第三者割当による行使価額修正条項付第12回新株予約権の行使完了（3,277百万円を調達）
2017年10月	<ul style="list-style-type: none">国立がん研究センターと、「ネオアンチゲンワクチンによる完全個別化がん免疫療法」に関する共同研究契約を締結
2017年7月	<ul style="list-style-type: none">株式会社グリーンペプタイドからブライトパス・バイオ株式会社に社名を変更

新任取締役のご紹介

来月の第15回定時株主総会の承認を経て、新任取締役1名を選任予定

【氏名】

中村 徳弘（なかむら のりひろ）

【学歴・職歴】

1997年4月	協和発酵工業(株)入社東京研究所
1998年4月	大阪大学産業科学研究所博士研究員
2000年7月	大阪大学大学院理学研究科助教
2005年7月	イェール大学医学部細胞生物学部門研究員
2007年7月	Genentech Inc., Cancer Immunology部門入社
2016年5月	当社入社研究開発部副部長
2017年4月	当社創薬研究部長（現任）

【選任理由】

Genentech Inc., REDでの経歴を中心にがん免疫療法に精通し、当社入社後は創薬研究部門を立上げ、取締役就任後は当社のサイエンス全般を牽引する予定

新規パイプラインの創出を加速

2018年3月期 決算概要

連結損益計算書

(単位：百万円)

	2017年3月期	2018年3月期	増減
売上高	529	354	① ▲ 175
売上原価	524	315	▲ 209
売上総利益	4	39	34
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	1,118 (816)	1,600 (1,253)	482 ② 437
営業利益	▲ 1,113	▲ 1,561	▲ 448
経常利益	▲ 1,116	▲ 1,573	▲ 456
当期純利益	▲ 1,113	▲ 1,577	▲ 463

① ITK-1 Ph3試験が完了へ向かう中での治験実施受託業務が昨年比減少
→導出先からの開発協力金減

② ITK-1以外のパイプライン開発進捗（自社創製、導入・アライアンス双方）
→研究員人件費、共同研究費用等の増加

連結貸借対照表

(単位：百万円)

	2017年3月期	2018年3月期	増減
流動資産 (構成比)	5,239 96.9%	6,900 95.4%	① 1,660
固定資産	168 3.1%	335 4.6%	166
流動負債	161 3.0%	229 3.2%	67
固定負債	45 0.8%	56 0.8%	10
純資産	5,201 96.2%	6,950 96.0%	② 1,749
総資産	5,408	7,235	1,827

① 資金調達(3,277百万円)による現預金増－研究開発費の支出(1,253百万円)による減

② 資金調達(3,277百万円)による純資産増－当期純損失の計上(1,577百万円)による減

連結キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2017年3月期	2018年3月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 1,067	▲ 1,591
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 96	① ▲ 111
財務活動によるキャッシュ・フロー	3,559	② 3,281
現金及び現金同等物 増減額	2,395	1,578
期首残高	2,555	4,950
期末残高	4,950	6,528

- ① 川崎創薬研究所における研究機器購入
- ② 新株予約権スキームによる資金調達（新株式発行）

2019年3月期 通期連結業績見通し

(単位：百万円)

	2018年3月期 実績	2019年3月期 予想	増減
売上高	354	② 150	① ▲ 204
営業利益	▲ 1,561	③ ▲ 2,200	▲ 638
経常利益	▲ 1,573	▲ 2,200	▲ 626
当期純利益	▲ 1,577	④ ▲ 2,200	▲ 622

- ① ITK-1 Ph3試験終了に伴い開発協力金も終了
- ② ITK-1 Ph3試験結果を受けても、入金済開発マイルストーン報酬と契約で確定済のものなので変更無し
- ③ ITK-1以外のパイプラインの開発進捗に伴い、
研究開発費 1,253百万円(2018年3月期 実績) → 1,900百万円(2019年3月期 予想)
- ④ ITK-1 Ph3試験結果を受けての影響は精査中

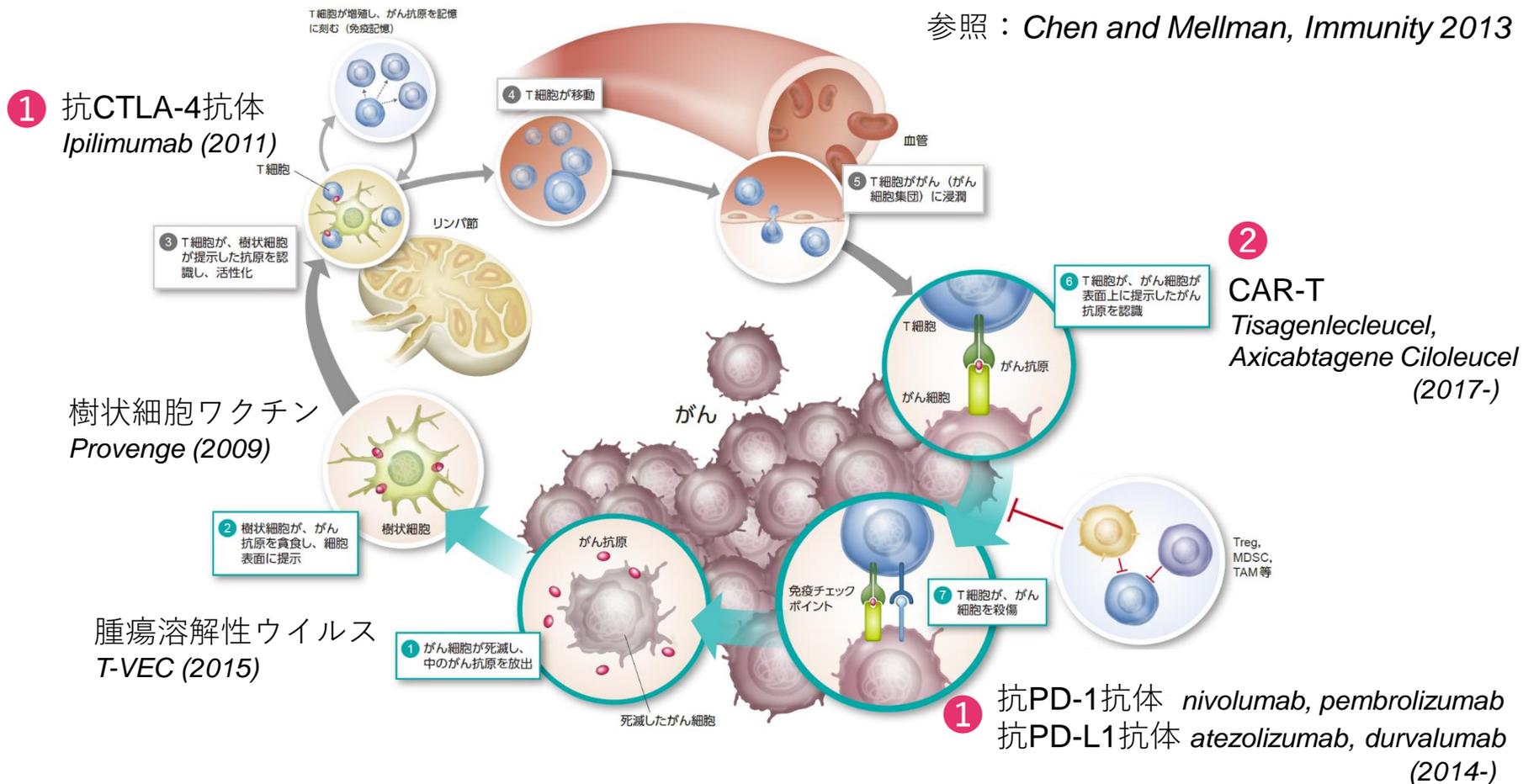
開発の進捗状況

開発領域：がん免疫治療薬

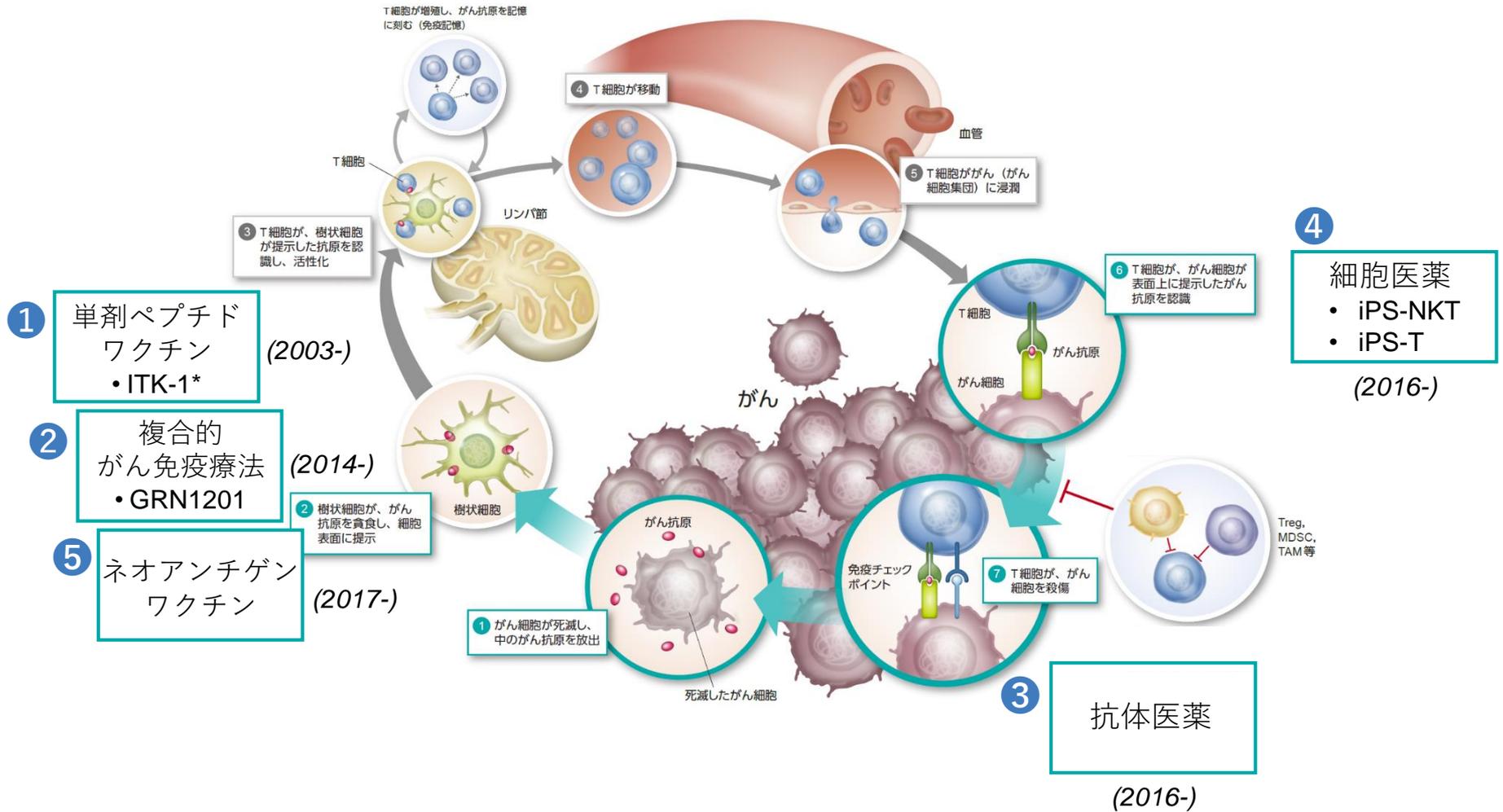
■ 市場規模は約10兆円規模(2025年) 出典：Nature Reviews Drug Discovery 16, 83–84 (2017)

がん免疫サイクルと各種がん免疫治療薬(FDA承認)

参照：Chen and Mellman, *Immunity* 2013



当社のパイプライン



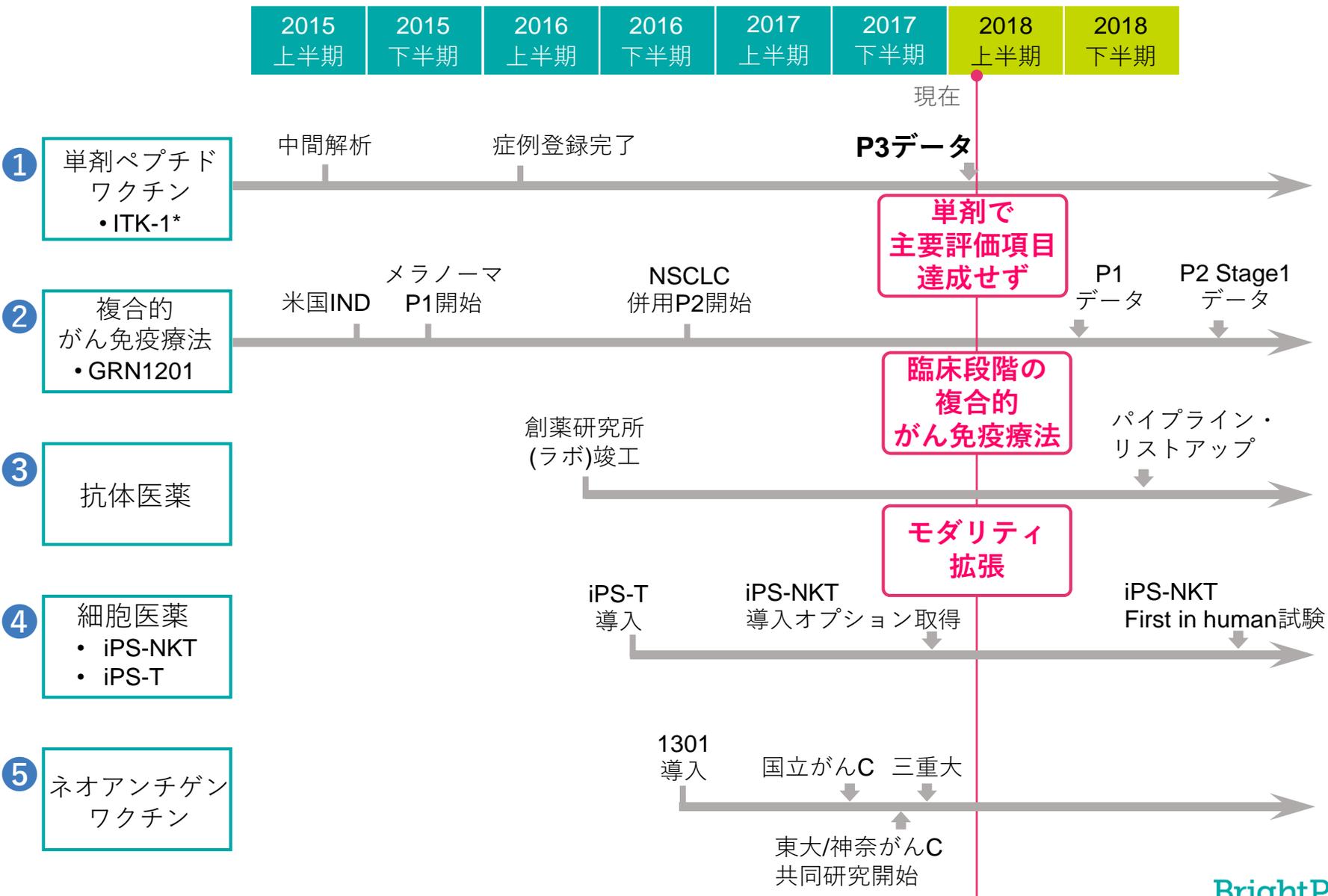
* 第III相臨床試験 主要評価項目(全生存期間)達成せず (2018.5.17)

当社のパイプライン

	プロジェクト	適応症	地域	基礎研究	非臨床試験	Phase I	Phase II	Phase III	上市
① 単剤ペプチドワクチン	ITK-1 12種ペプチドワクチン 富士フイルム(株)へ導出	前立腺がん	日本						
	GRN-1201 4種ペプチドワクチン	メラノーマ	米国						
② 複合的がん免疫療法		非小細胞肺がん	米国						
④ 細胞医薬	iPS由来再生T細胞 導入(東大)	EBウイルス由来リンパ腫	-						
	iPS由来再生NKT細胞 導入オプション(理研)	頭頸部がん	日本						
⑤ ネオアンチゲンワクチン	GRN-1301 TKI耐性変異ワクチン	非小細胞肺がん	-						
	完全個別化ワクチン 自社創製	各種固形がん	-						
③ 抗体医薬	免疫調整因子抗体 複数の自社創製シード	各種固形がん	-						

主要評価項目において統計学的な有意差を示せず

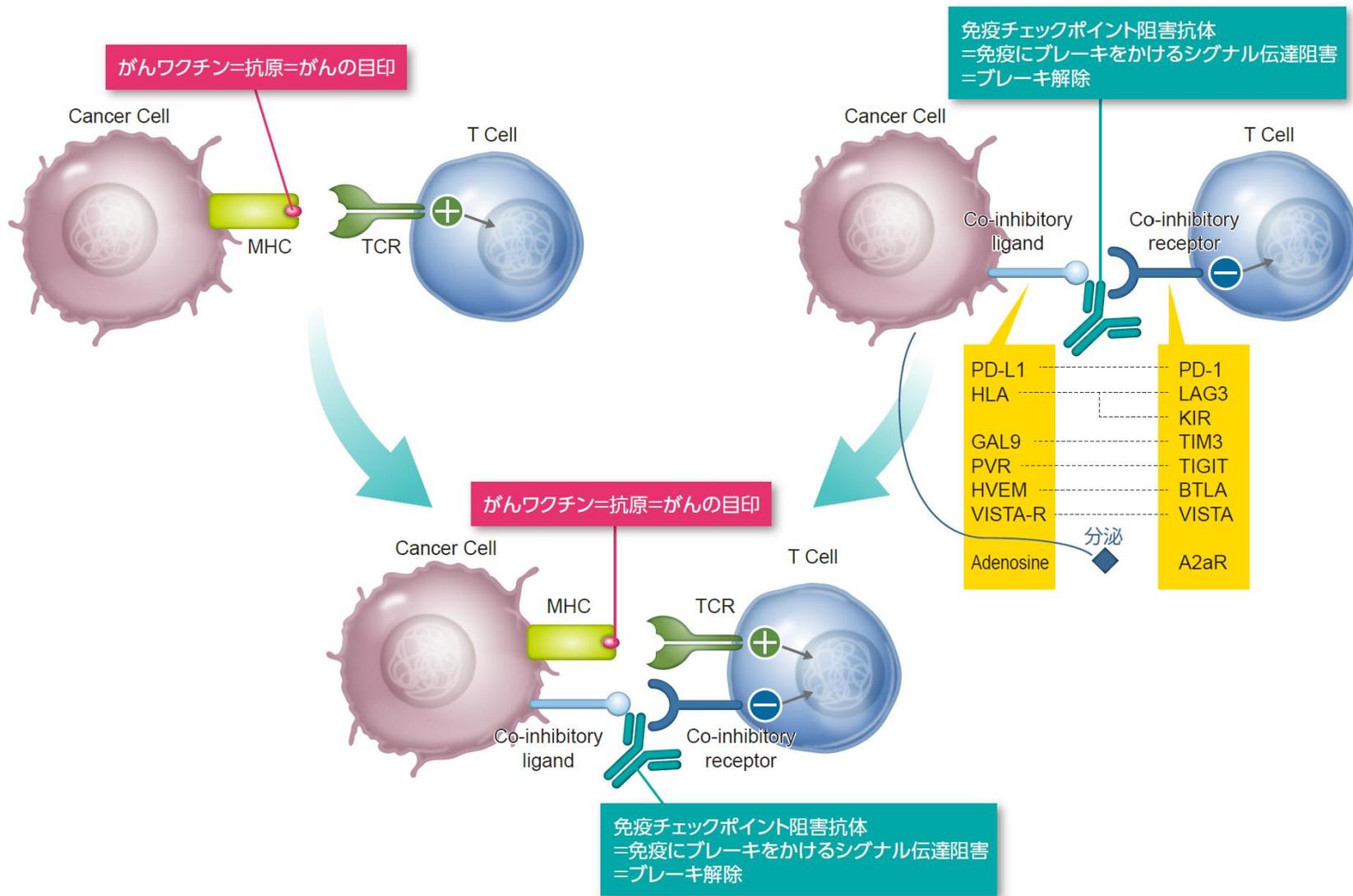
立ち姿の変遷



GRN-1201の目指す 複合的がん免疫療法

GRN-1201併用効果のメカニズム

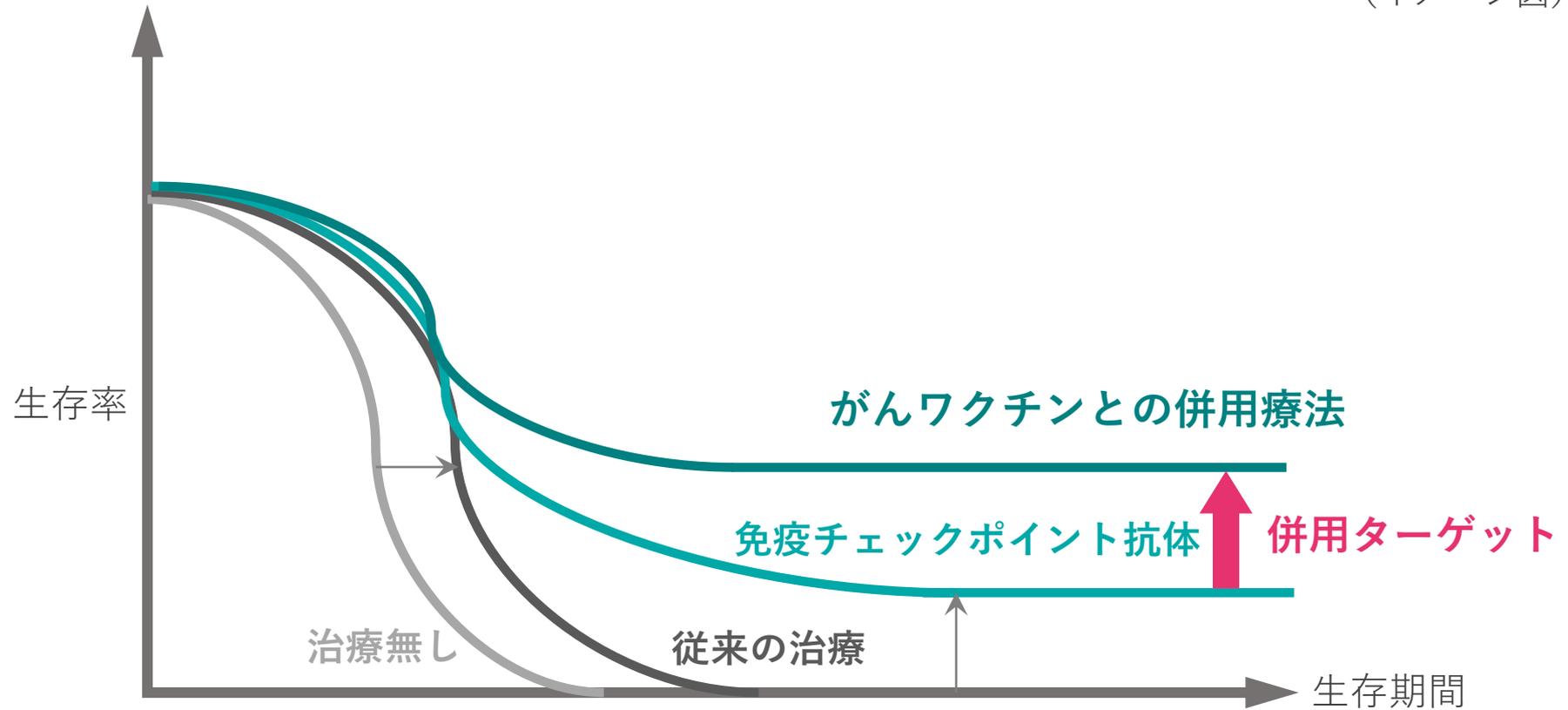
がんワクチンと免疫チェックポイント抗体の相乗効果



GRN-1201の開発戦略

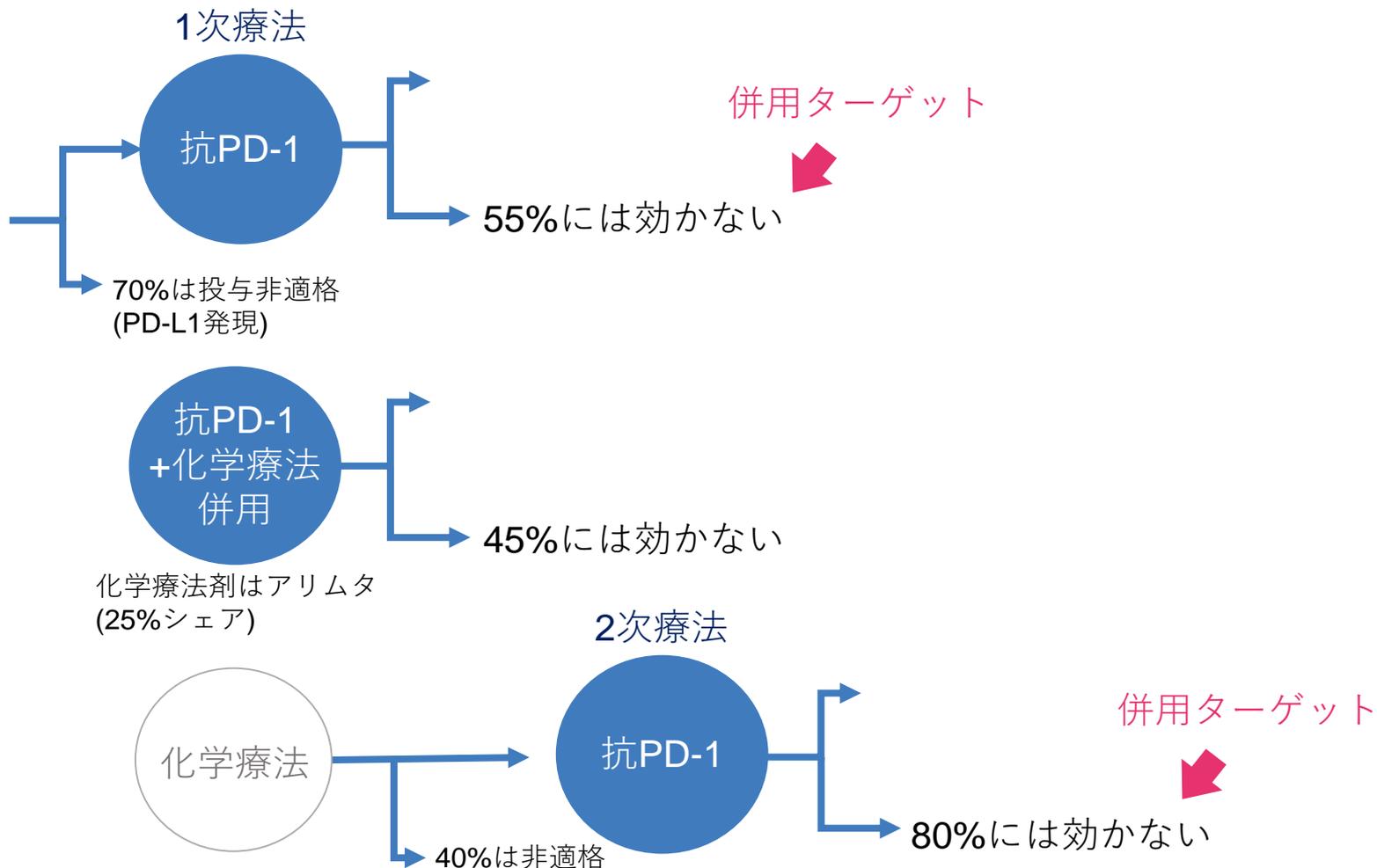
開発戦略：がんワクチンを併用させることにより、免疫チェックポイント抗体の効果をさらに引き出す

(イメージ図)



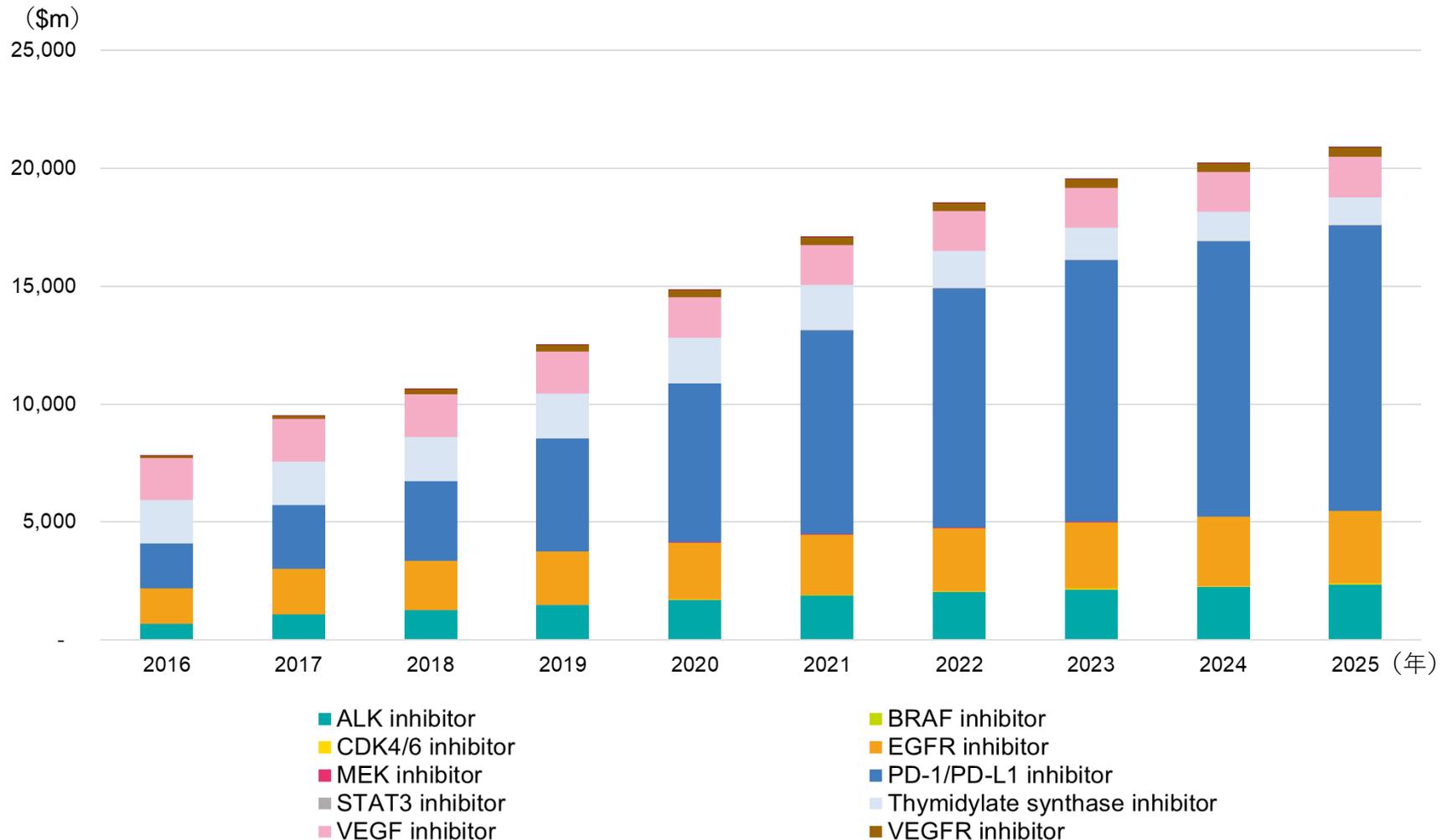
GRN-1201のターゲット

免疫チェックポイント抗体は肺癌治療を大きく変えたが、スペースは広く残っている



非小細胞肺がん(NSCLC)治療薬市場予測

薬剤別(US + EU5+JP)



(出典) Forecast : Non-small cell lung cancer (NSCLC) by Informa PLC

第II相試験の概要

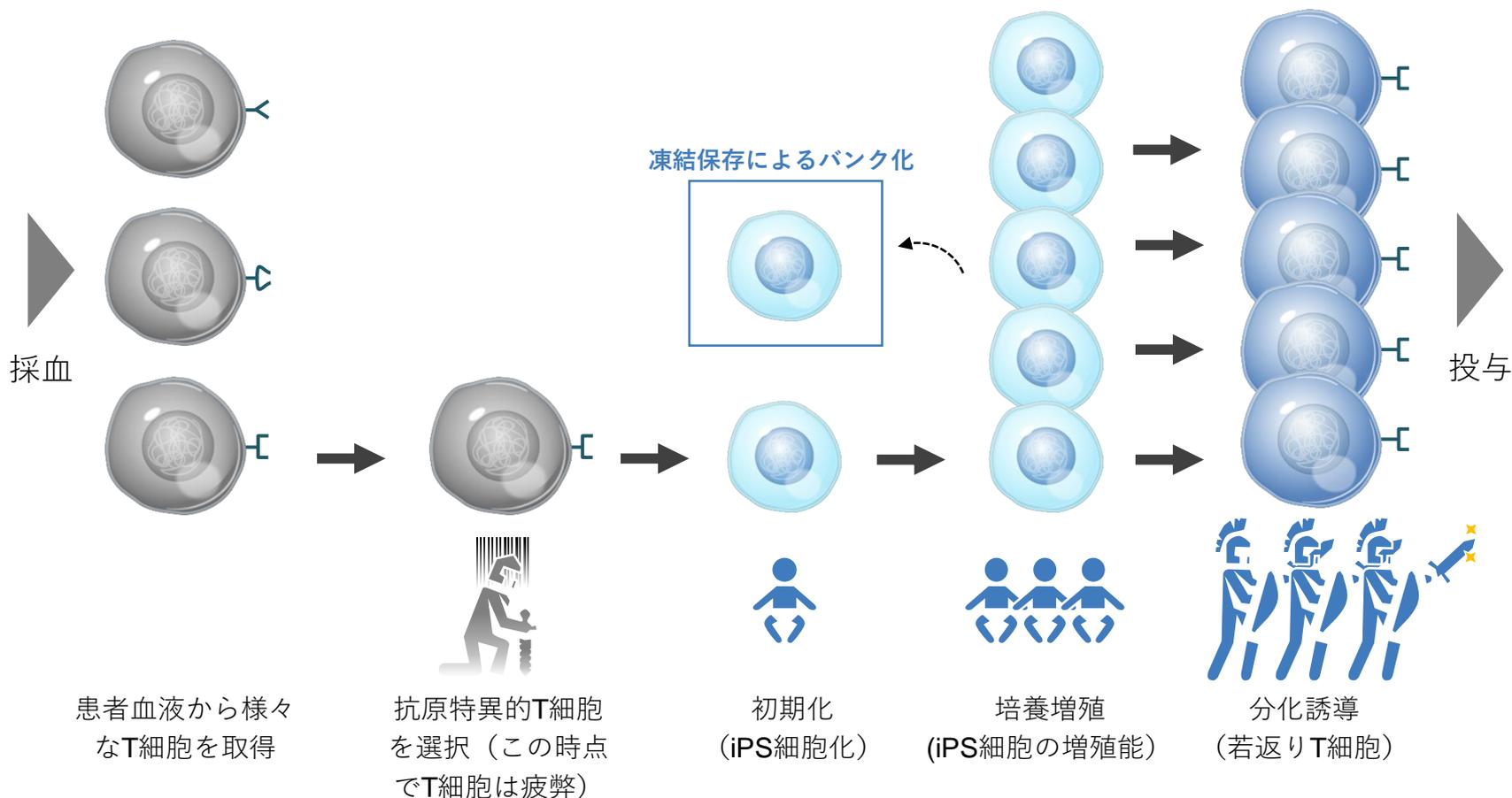
タイトル	GRN-1201 With Pembrolizumab in Subjects With Metastatic PD-L1+ NSCLC
被験薬	GRN1201: HLA-A2*拘束性4種ペプチド *欧米人の約50%、日本人の約40%
対象	PD-L1陽性非小細胞肺癌 2コホート • コホート1: 1 st ライン PD-L1陽性 (TPS* ≥ 50%) • コホート2: 2 nd ライン PD-L1陽性 (TPS* ≥ 1%) *TPS : Tumor Proportion Score 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合
併用薬	キートルーダ
症例数	90例 サイモン2段階方式
実施方法	非ランダム化 オープンラベル 多施設

新たに加わった 細胞医薬パイプライン

iPS-T : iPS細胞由来再生T細胞療法

iPS細胞技術のがん免疫療法分野への臨床応用

- T細胞をiPS細胞へ初期化し、再分化することでがん細胞排除機能を回復（若返り）



iPS-NKT : iPS細胞由来再生NKT細胞療法

従来十分量の確保が困難であった、多面的抗腫瘍効果が期待されるNKT細胞を、iPS化技術を活用することで、大量にかつタイムリーに確保し、他家免疫細胞として投与する細胞療法

NKT細胞

多面的な抗腫瘍効果を有する免疫細胞

- 自然免疫の活性
- 獲得免疫の誘導
- 免疫抑制環境の改善



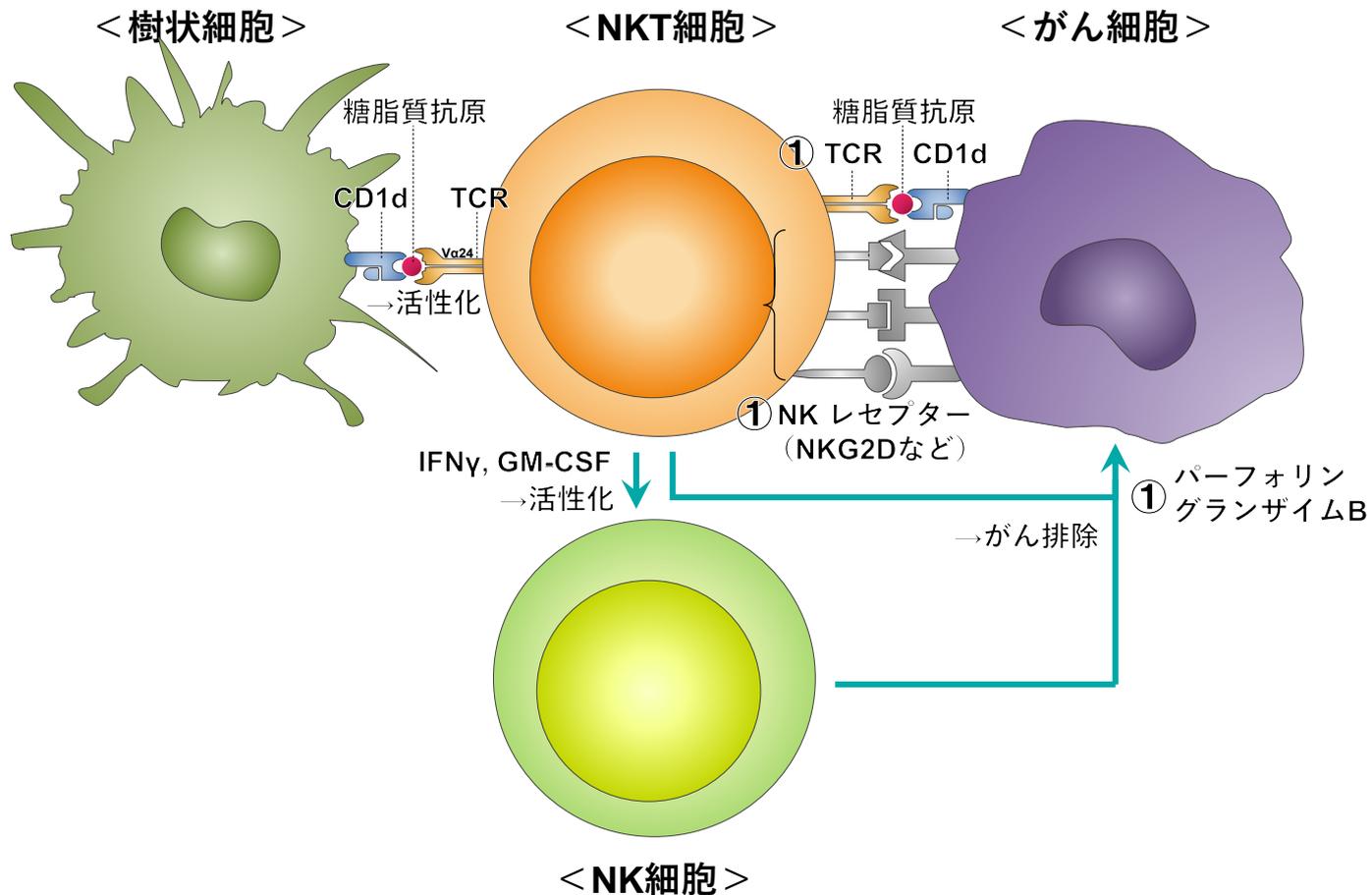
iPS技術

iPS-NKT細胞を分化前にバンク化することで、臨床効果が期待できる十分量の細胞を必要に応じて調整可能

NKT細胞のがん排除作用メカニズム

① 自然免疫反応によるがん排除

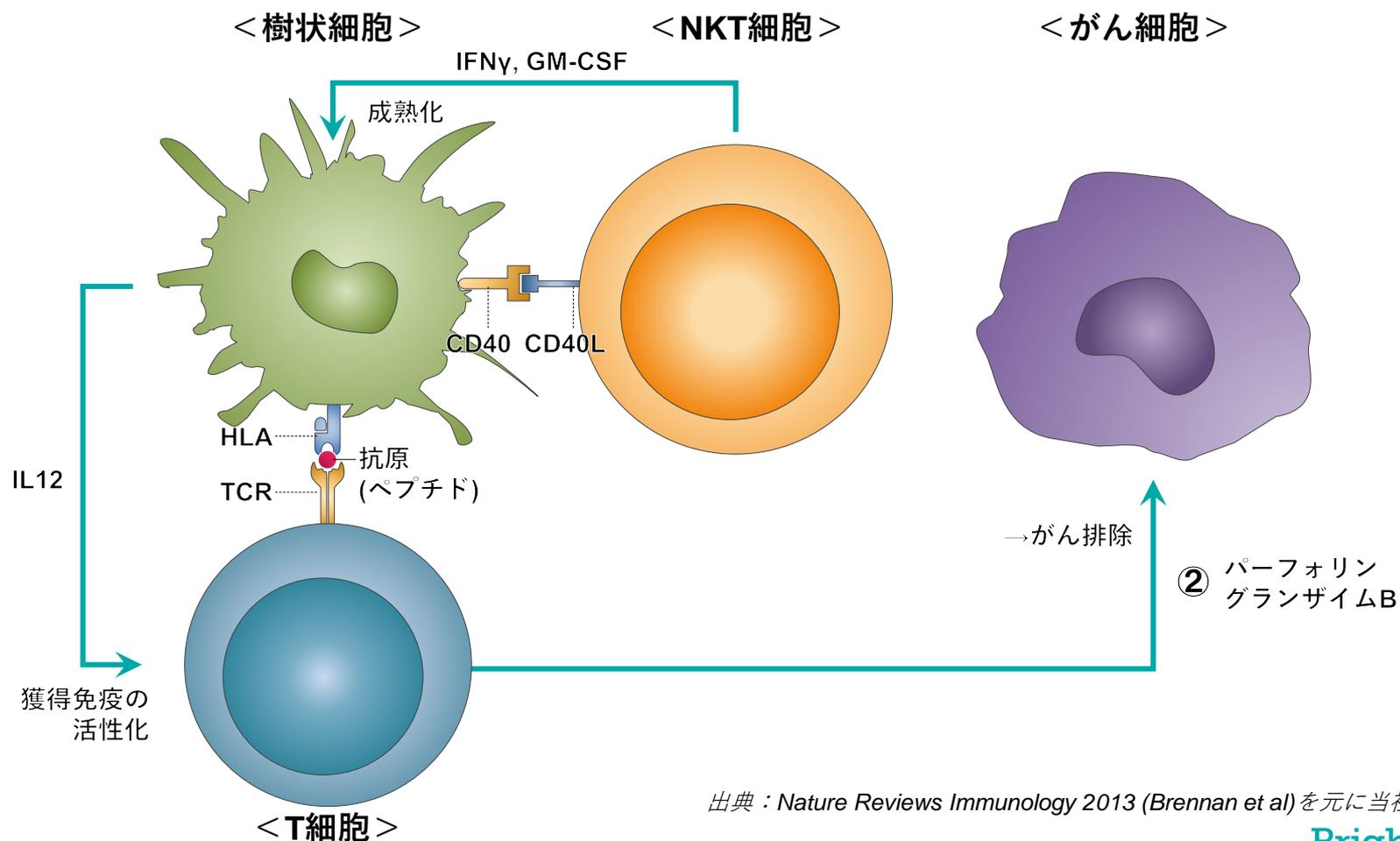
NKT細胞自身がTCRまたはNKレセプターを介して直接傷害
(また、NK細胞を活性化させ間接的にがん細胞を傷害)



NKT細胞のがん排除作用メカニズム（続）

② 獲得免疫の誘導による間接的がん排除

NKT細胞とのクロストークで成熟した樹状細胞が、がん抗原を提示しT細胞を活性化させることで、NKT細胞は間接的にがん細胞を傷害

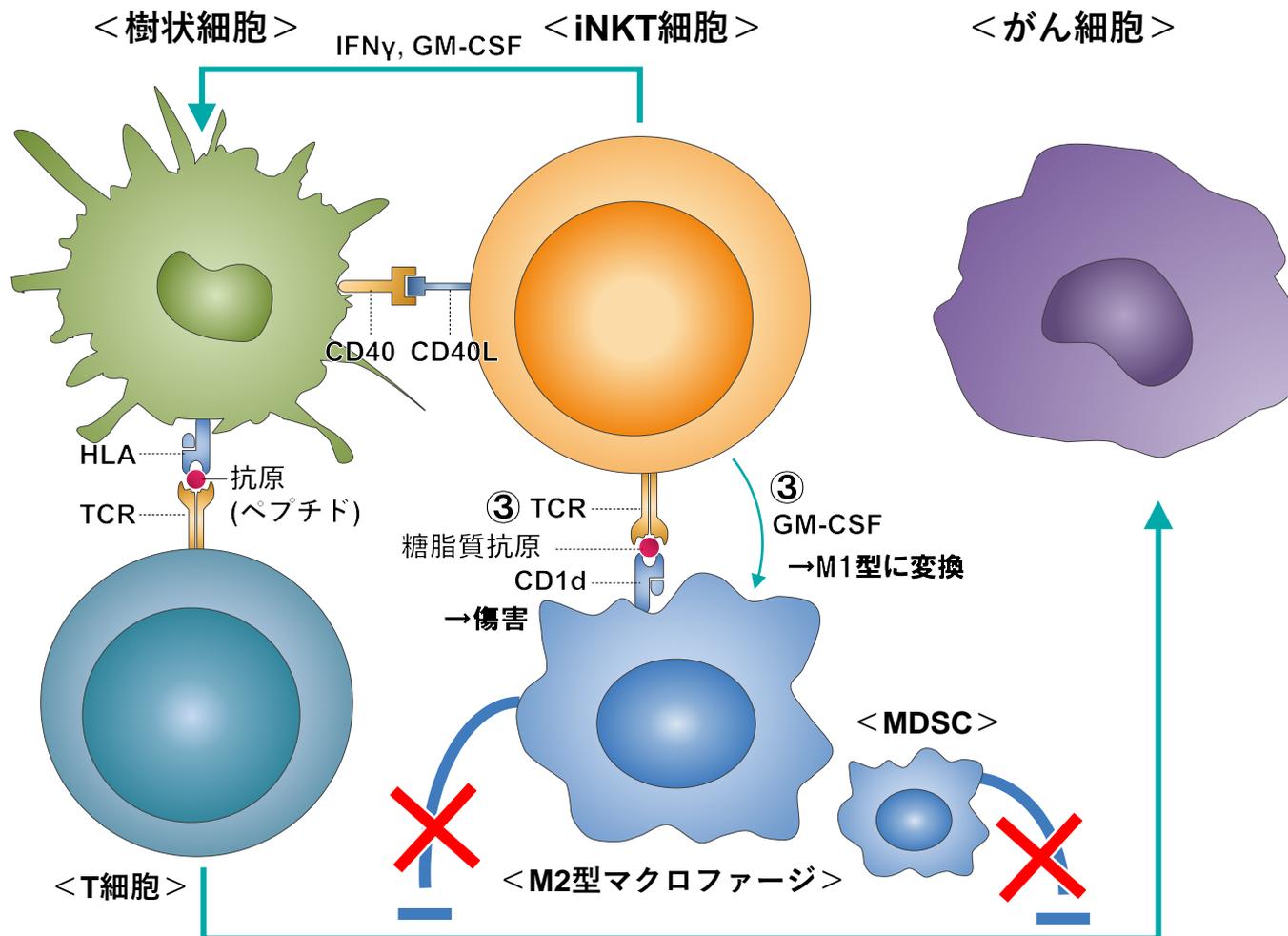


出典：Nature Reviews Immunology 2013 (Brennan et al) を元に当社作成

NKT細胞のがん排除作用メカニズム（続）

③ 免疫抑制の解除

免疫を抑制するM2型マクロファージを排除もしくは免疫促進型(M1型)へ変換させ、骨髄由来免疫抑制細胞(MDSC)による抑制も解除



細胞療法に用いるときのNKT細胞の特徴

- 起動が早い
 - 増殖・分化しなくてもすぐにサイトカインを分泌できる
- 免疫逃避されにくい
 - がん排除に免疫系(自然免疫、獲得免疫双方)を総動員するため
- 異物反応/GvHDが起こりにくい
 - TCRが、単一分子でHLAのように型が無いCD1dしか認識しないため
- がん細胞側の遺伝子変異による免疫逃避を受けにくい
 - 認識するのがペプチドでなく糖脂質であるため

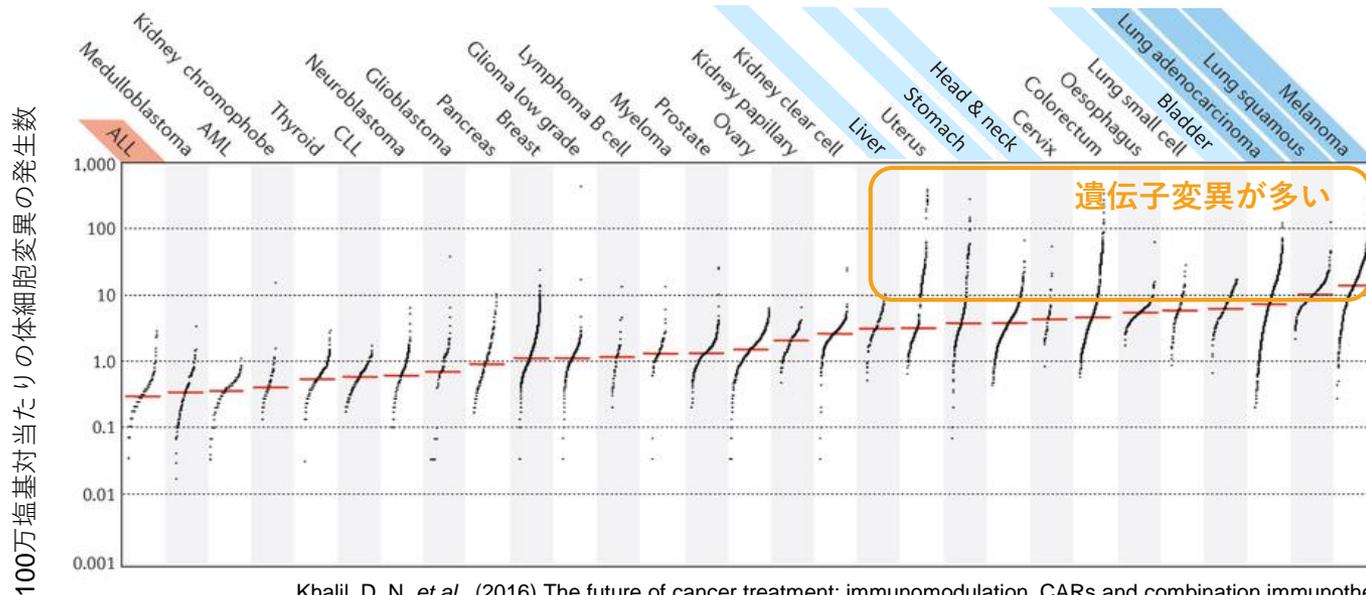
出所： Unconventional T Cell Targets for Cancer Immunotherapy
Godfrey et al. Immunity 48, March 20, 2018

完全個別化がんワクチン

拡がるネオアンチゲンの可能性

1. 免疫チェックポイント阻害剤の効果予測

これまで遺伝子変異が多いがん種で良い臨床成績が得られている



ネオアンチゲンががん免疫において有効ながん抗原となっている可能性を示唆

2. 新しいがんワクチンのデザイン

3. T細胞療法(TCR-T)の標的

完全個別化がんワクチン療法

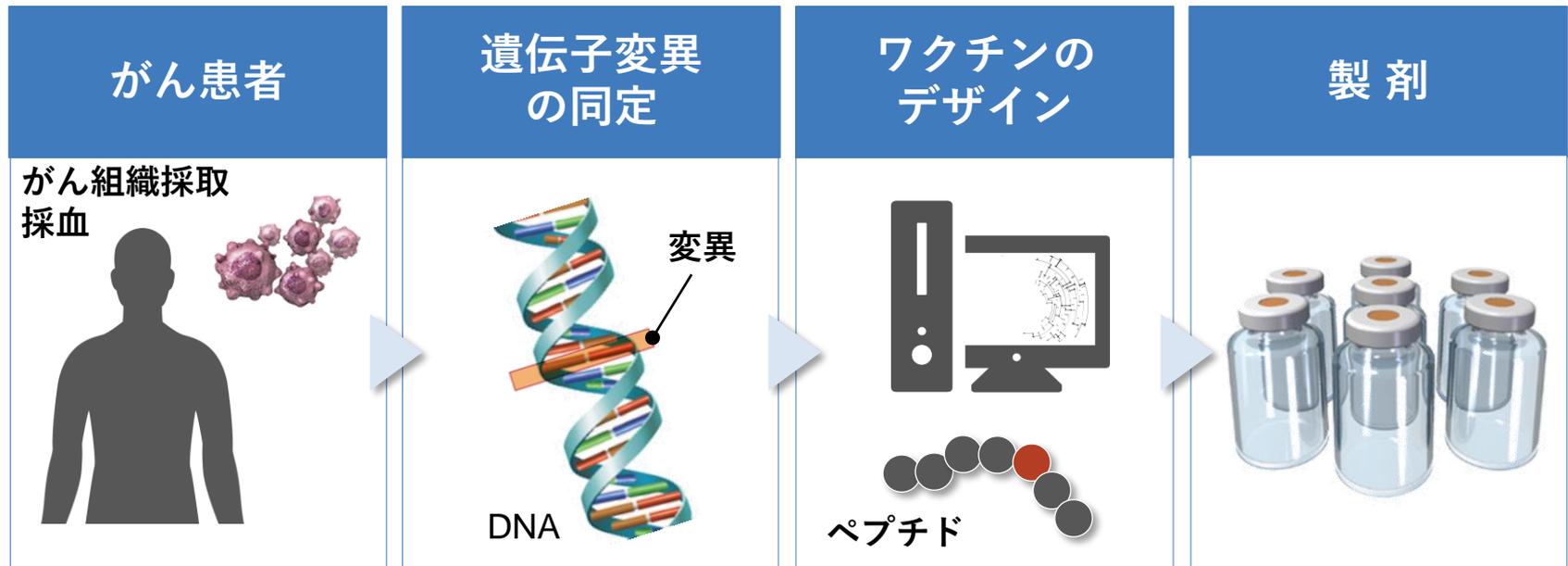
「汎用型」から「個別化」へ

“One-fits-all”

“Personalized”

患者一人ひとりにユニークながん細胞の遺伝子変異（ネオアンチゲン）を解析してがん免疫療法のターゲットとすることで、これまでになかった強い免疫反応を誘導し、がんを攻撃

完全個別化がん免疫療法の流れ



完全個別化がんワクチン療法

- 国内をリードする研究機関との共同研究契約を組成
- ネオアンチゲン同定手法と最適な医薬品モダリティの開発

2017年10月



2018年1月



2018年2月



ネオアンチゲン同定手法
(NGS)

ネオアンチゲン同定手法
(NGS/MS)

ネオアンチゲン同定手法
+
医薬品モダリティ

BrightPath
Biotherapeutics



まとめ

まとめ

1. これまでのリード開発品のITK-1(ペプチドワクチン単剤)については、第III相試験結果をもって大きな見直しが入る
2. これからの当社は;
 - **開発領域**はがん免疫療法から変えない
 - ーがん免疫療法の市場・サイエンス双方のフロンティアは不変
 - **モダリティ**は設立以来のペプチドワクチンから、細胞医薬・抗体医薬を加え、拡張済み
 - まずは、ペプチドワクチンと免疫チェックポイント阻害剤の併用による**複合的がん免疫療法**を目指すGRN-1201が、第II相試験段階にある(自社開発、米国、非小細胞肺癌)
 - **細胞医薬**パイプラインを導入・アライアンスにより構築中
 - ー 昨年は理研からiPS-NKT細胞療法の導入オプション権取得

まとめ (続)

- PD-1/L1, CTLA-4の次々世代の免疫調整因子を標的とする**抗体医薬**パイプラインを自社創製中で今期中にパイプライン・リストアップ化
 - 免疫チェックポイント阻害抗体、**CAR-T**(細胞医薬)に続く、がん免疫療法の“**The Next Big Thing**”として、**ネオアンチゲン**を標的とする完全個別化ワクチンの開発を進める
 - “半個別化”の**ITK-1**から、“完全個別化”へ
3. これらのパイプライン開発を進めるための**当面の資金**は手当て済み



補足資料

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 東京支社 ：東京都千代田区麴町2-2-4
 本社 ：福岡県久留米市百年公園1-1
 川崎創薬研究所 ：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 5,419百万円（2018年3月31日現在）

社員数 42名（2018年3月31日現在）

役員	代表取締役社長CEO	永井 健一	
	取締役 COO	脇 豊	
	取締役 CFO	酒井 輝彦	
	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）	今井 義浩
	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

お問い合わせ先

IRに関する問い合わせ先

担当役員 取締役 管理部長 酒井 輝彦

TEL : 03-5840-7697

FAX : 03-5840-7716

Web : <https://www.brightpathbio.com/index.html>