

## 2018年3月期第2四半期 決算説明会

---

2017年11月16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

From GreenPeptide to BrightPath on July 1, 2017

# 2018年3月期第2四半期 決算概要

# 損益計算書

(単位：百万円)

	2017年3月期 第2四半期※	2018年3月期 第2四半期※	増減※
売上高	317	182	① ▲ 134
売上原価	312	177	▲ 134
売上総利益	4	4	0
販売費及び一般管理費	472	690	217
(研究開発費)	328	506	② 177
営業利益	▲ 468	▲ 685	▲ 217
経常利益	▲ 472	▲ 685	▲ 212
当期純利益	▲ 476	▲ 687	▲ 210

- ① ITK-1 Ph3試験 観察期間入り→治験実施業務平準化→ライセンス先からの開発協力金減  
 ② ITK-1以外のパイプラインの開発進捗に伴う増加

\*当社は、前連結会計年度の第3四半期より連結計算書類を作成しています。増減比較は、比較有用性の観点から当期（2018年3月期第2四半期）の連結と、前年同期（2017年3月期第2四半期）の単体との比較になっています。

# 貸借対照表

(単位：百万円)

	2017年3月期 期末	2018年3月期 第2四半期末	増減
流動資産 (構成比)	5,239 96.9%	4,577 96.1%	① ▲ 661
固定資産	168 3.1%	184 3.9%	15
流動負債	161 3.0%	170 3.6%	9
固定負債	45 0.8%	53 1.1%	7
純資産	5,201 96.2%	4,538 95.3%	▲ 662
総資産	5,408	4,762	▲ 645

① パイプラインの開発進捗に伴う研究開発費関連費用の増加による現預金減少

# キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2017年3月期 第2四半期※	2018年3月期 第2四半期※
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 544	① ▲ 641
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 76	▲ 32
財務活動によるキャッシュ・フロー	② 1,661	10
現金及び現金同等物 増減額	1,041	▲ 662
期首残高	2,555	4,950
期末残高	3,596	4,287

- ① パイプラインの開発進捗に伴う研究開発費関連費用
- ② 新株予約権を用いた資金調達(株式発行)

\*当社は、前連結会計年度の第3四半期より連結計算書類を作成しています。比較有用性の観点から当期（2018年3月期第2四半期）の連結と、前年同期（2017年3月期第2四半期）の単体との比較になっています。

# 2018年3月期 通期連結業績見通し

(単位：百万円)

	2017年3月期 通期実績	2018年3月期 通期予想	増減
売上高	529	280	▲ 249
営業利益	▲ 1,113	▲ 2,000	▲ 886
経常利益	▲ 1,116	▲ 2,000	▲ 883
当期純利益	▲ 1,113	▲ 2,000	▲ 886

ITK-1  
Ph3 2019.3期中の  
キー・オープンへ

GRN-1201  
米国 免疫チェックポイント  
抗体併用 Ph2遂行

新規パイプライン  
導入パイプライン開発遂行  
+さらなる新規創製

- 研究開発費 816 (2017.3期実績) → 1,600百万円 (2018.3期予想)

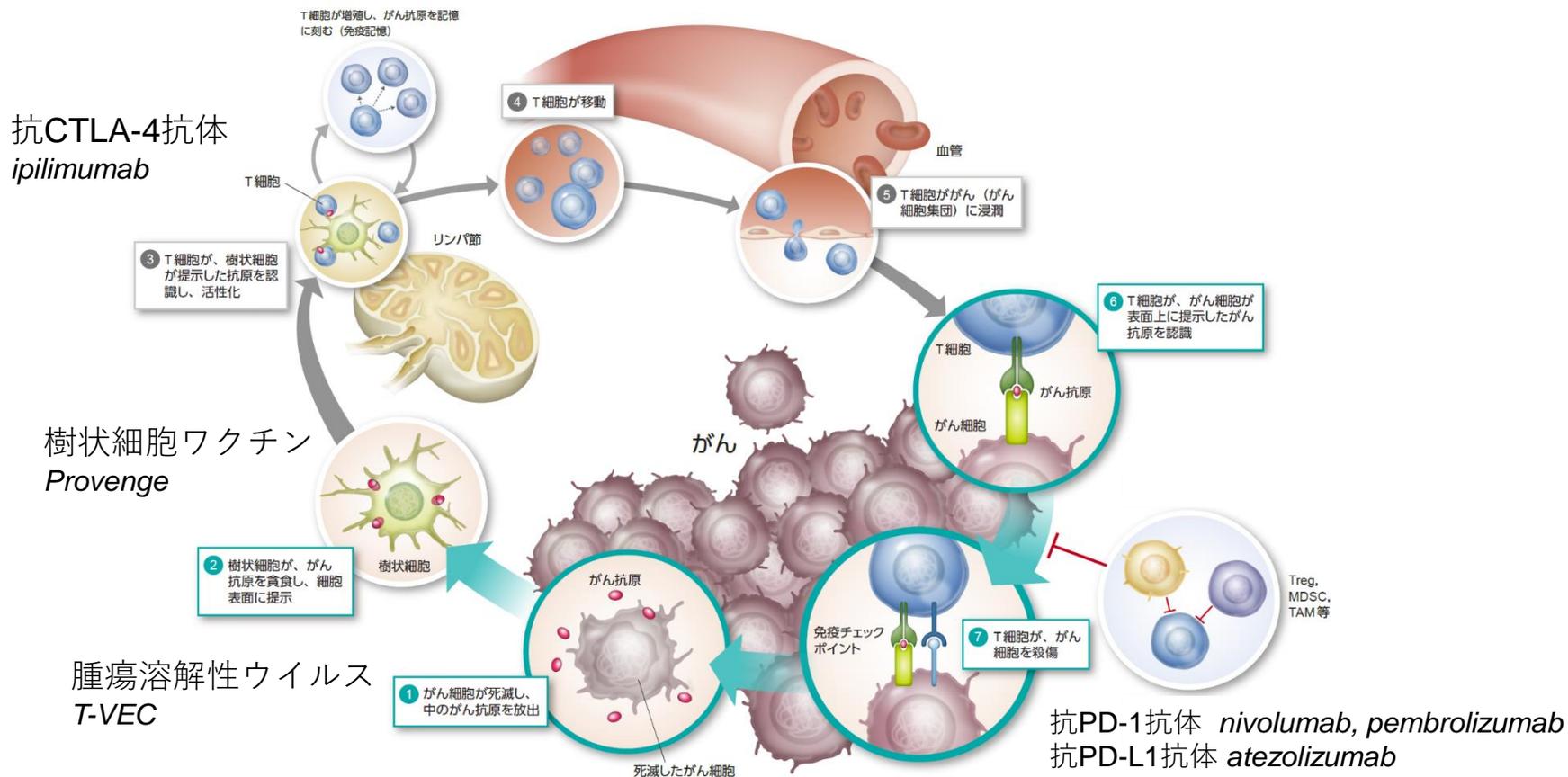
# 事業の進捗状況

# 開発領域

## がん免疫治療薬の市場規模は、2025年に約10兆円規模まで拡大

出典：Nature Reviews Drug Discovery 16, 83–84 (2017)

### がん免疫のサイクルと上市されたがん免疫治療薬



# 現在のパイプライン

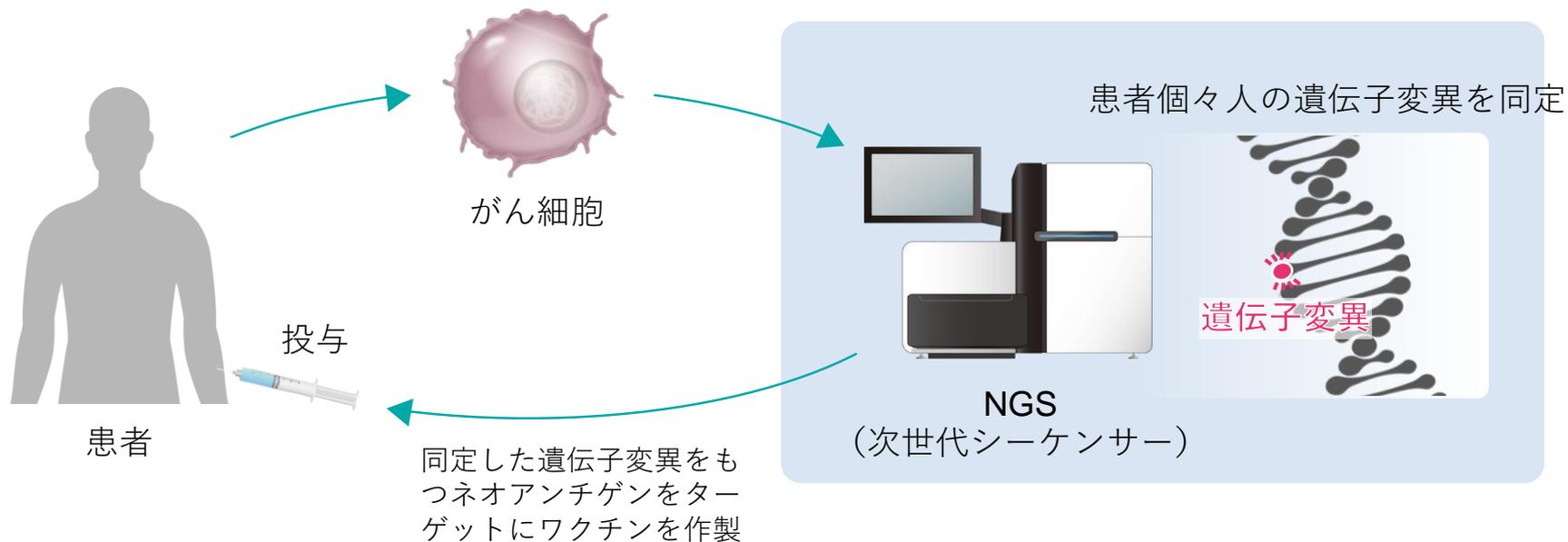
プロジェクト	適応症	地域	基礎研究	非臨床試験	Phase I	Phase II	Phase III	上市
<b>ITK-1</b> 薬剤選択型ペプチドワクチン 富士フイルム(株)へ導出	前立腺がん	日本						
<b>GRN-1201</b> 4種ペプチドワクチン	メラノーマ	米国						
	非小細胞肺がん	米国						
<b>GRN-1301</b> ②ネオアンチゲンワクチン	非小細胞肺がん	-						
<b>iPS-T</b> iPS細胞由来再生③T細胞療法	EBウイルス由来リンパ腫	-						

①免疫チェックポイント抗体併用

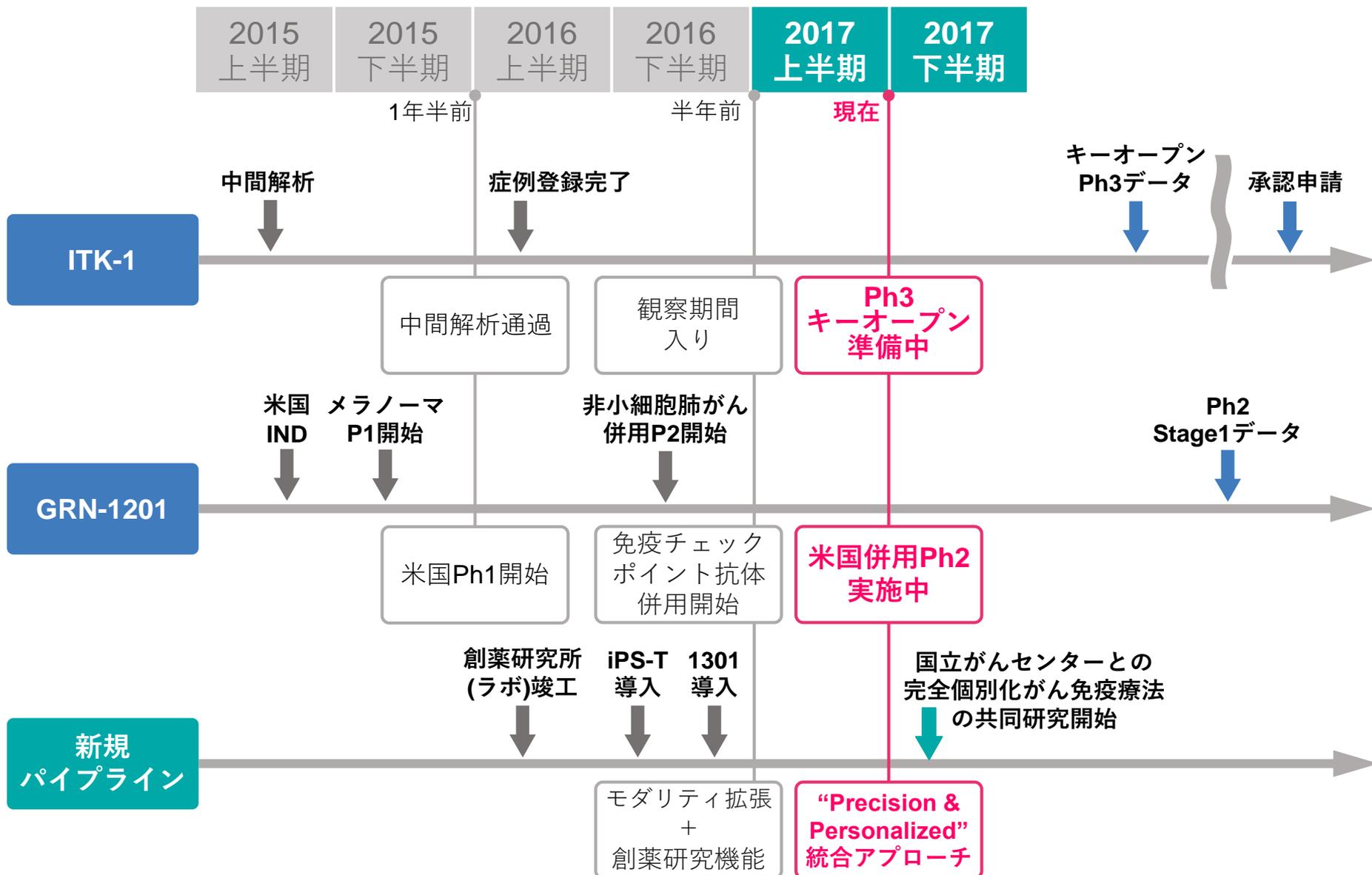
# 次世代ネオアンチゲン・ワクチン

## 2017.10.27 国立がん研究センターとの共同研究開始

- 完全個別化がん免疫療法に関する共同研究契約を締結
  - 患者のがん細胞に生じた遺伝子変異の中から、その患者の免疫反応を強く誘導するネオアンチゲンを迅速に見出す手法を開発
  - 国立がん研究センターの中面哲也免疫療法開発分野長を中心に推進



# 立ち姿の変遷



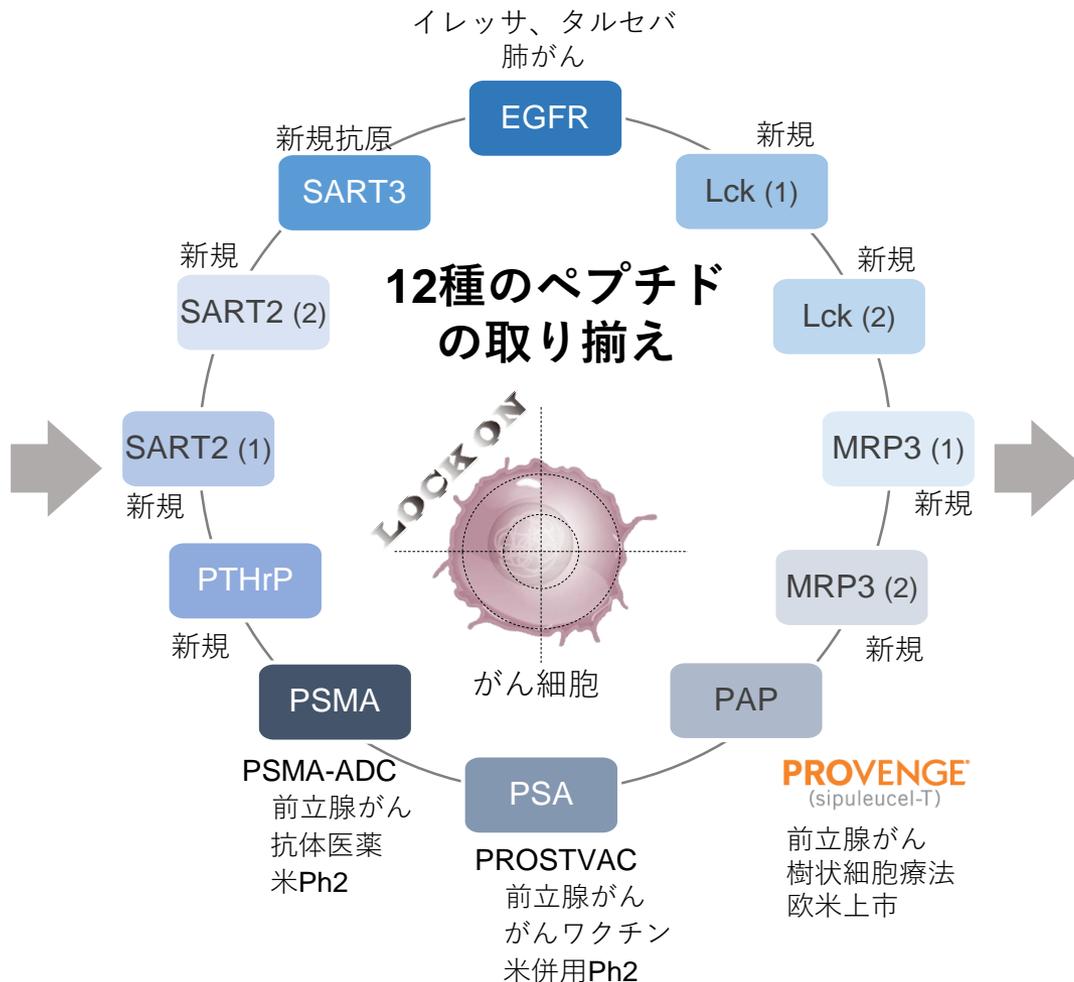
# ITK-1

## テーラーメイド型ペプチドワクチン

既存の  
免疫応答検査



<投与前>



免疫反応しやすい  
4種を選択投与



# ITK-1の特徴

特徴

1

## 個別化医療の実現

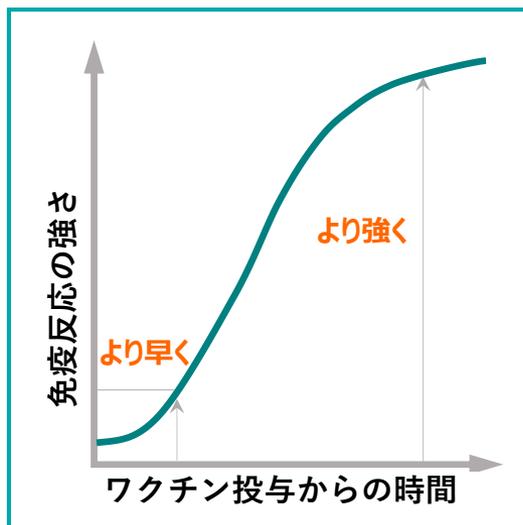
一人ひとりのがん免疫に対応

免疫起動時間短縮

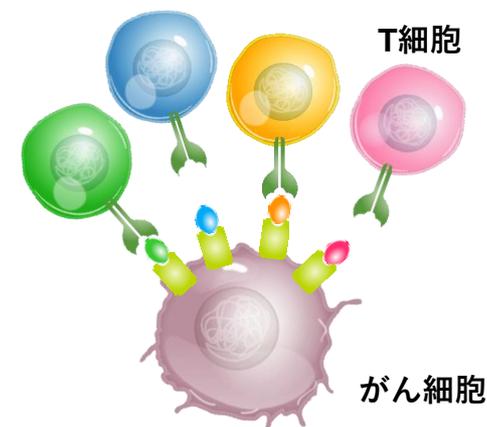
エスケープ回避

持続性/自己増殖

4種選択投与



4種類の細胞傷害性T細胞で攻撃



特徴

2

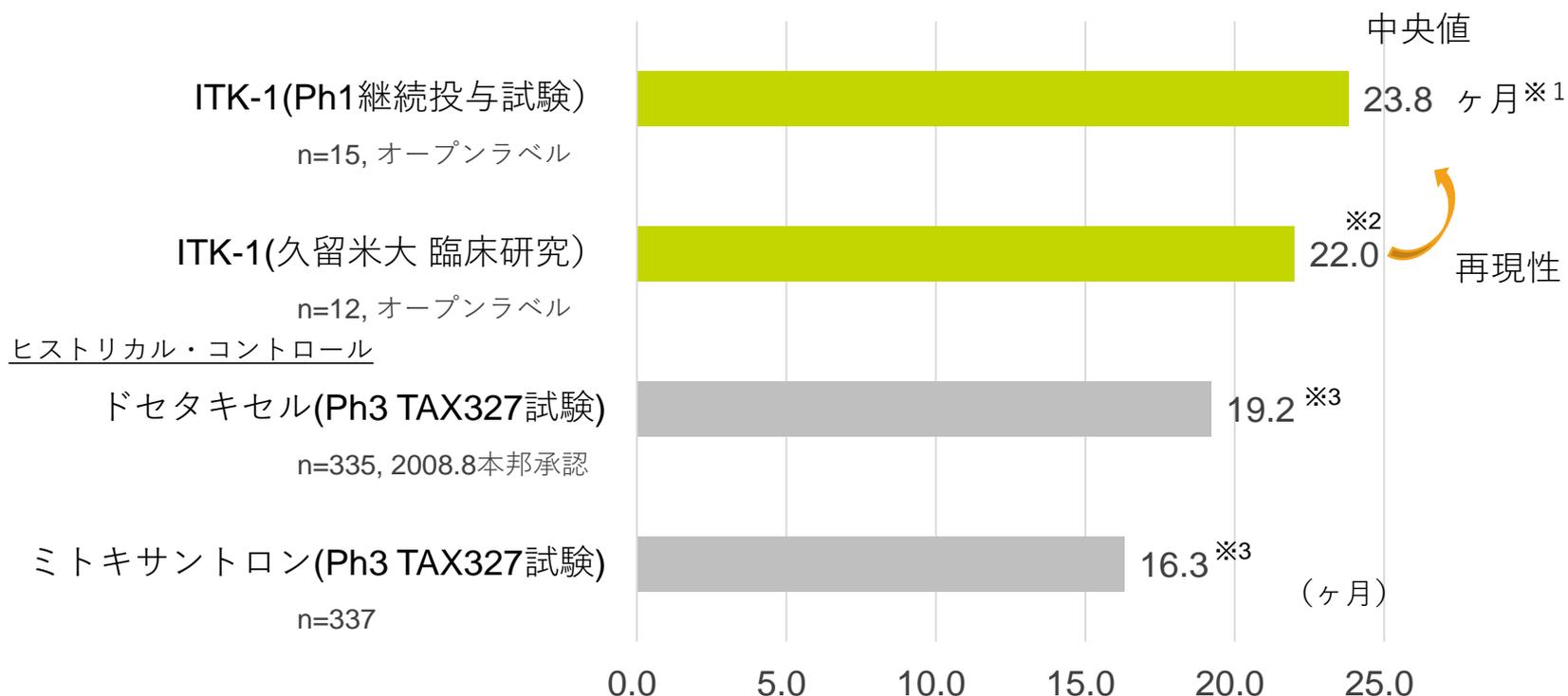
## 経済性の担保

化学合成ペプチドの製造効率



# ITK-1の早期臨床試験成績

## 去勢抵抗性前立腺がん対象臨床試験 全生存期間(Overall Survival)



(出所)

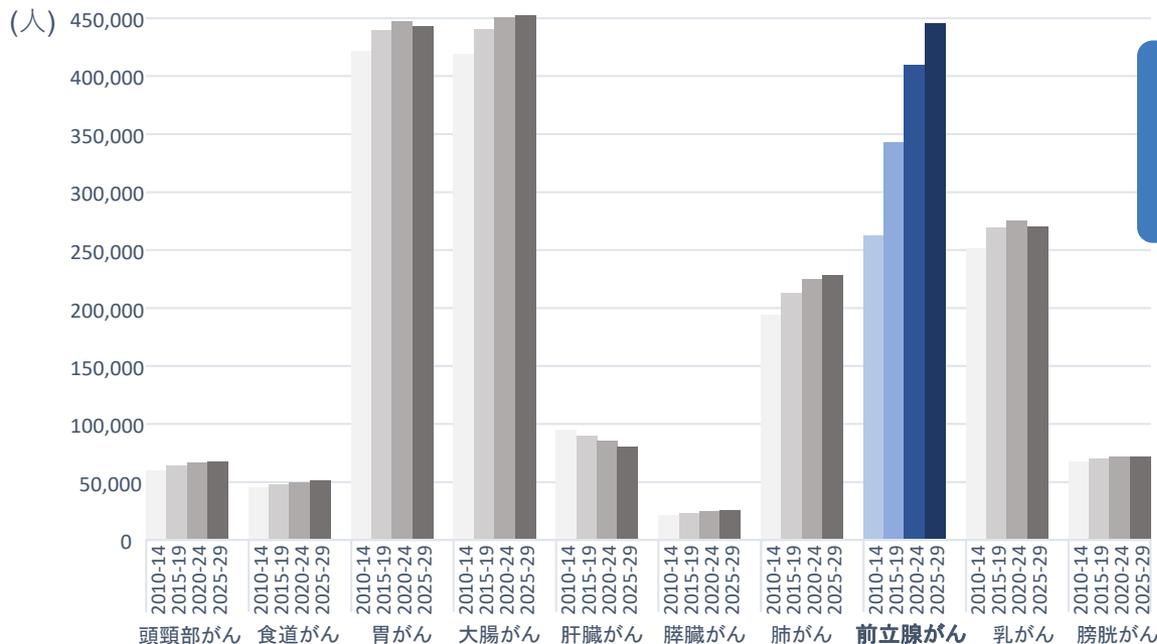
※1 当社データ / ※2 Noguchi M, et al. *The Prostate* 2011; 71: 470-479 / ※3 Berthold DR, et al. *J Clin Oncol* 2008; 26: 242-245

# 前立腺がん治療におけるITK-1

## 投与対象患者

- 前立腺がん全体で2016年罹患患者数92,600人<sup>a</sup>
- 投与対象は、去勢抵抗性前立腺がん x HLA-A24占有率60%
  - ☞ 前立腺がんのうちホルモン療法が効かなくなった状態のがん

部位別5年有病数\*推計値（男女計）<sup>b</sup>



このうち約1割が  
去勢抵抗性前立腺  
がん

\*過去5年以内にがんと診断され、推計対象年に生存している者の数

a 出所：国立がん研究センター 2016年のがん統計予測

b 出所：がん・統計白書2012-データに基づくがん対策のために（篠原出版新社）国立がん研究センターがん対策情報センター

# 前立腺がん治療におけるITK-1(続)

新薬とすみ分け、去勢抵抗性前立腺がん患者を広くカバー

## 前立腺がんの治療アルゴリズム

2017

2020E

去勢抵抗性  
前立腺がん

- ゴフィーゴ(バイエル2016承認)
- エクスタンジ (アステラス 2014)
- ザイティガ(ヤンセン2014)

- カバジタキセル(サノフィ2014)
- ドセタキセル (サノフィ2008)

- エクスタンジ
- ザイティガ
- カソデックス(アストラゼネカ)
- ゴナックス(アステラス)
- ゾラデックス(アストラゼネカ)
- リュープリン(武田)

ドセタキセル  
治療抵抗性

化学  
療法剤

ドセタキセル  
治療不適格

ホルモン療法  
(男性ホルモンの分泌抑制)

外科手術・放射線療法

■ : 想定投与対象患者

- カバジタキセル
- ドセタキセル

- ゴフィーゴ
- エクスタンジ
- ザイティガ

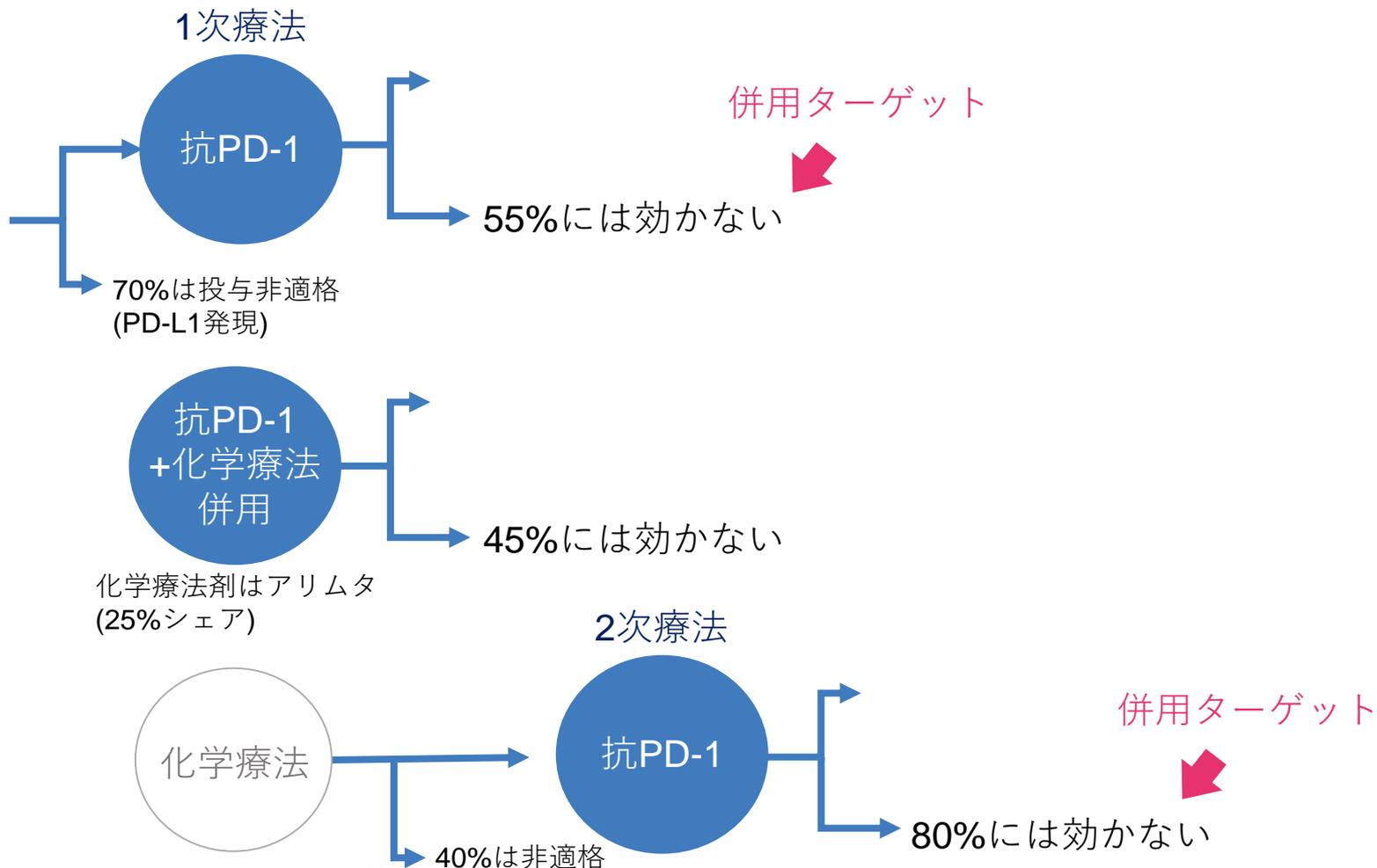
- カソデックス
- ゴナックス
- ゾラデックス
- リュープリン

がんの進行↑

(出所)ブライトパス・バイオ予想

# GRN-1201

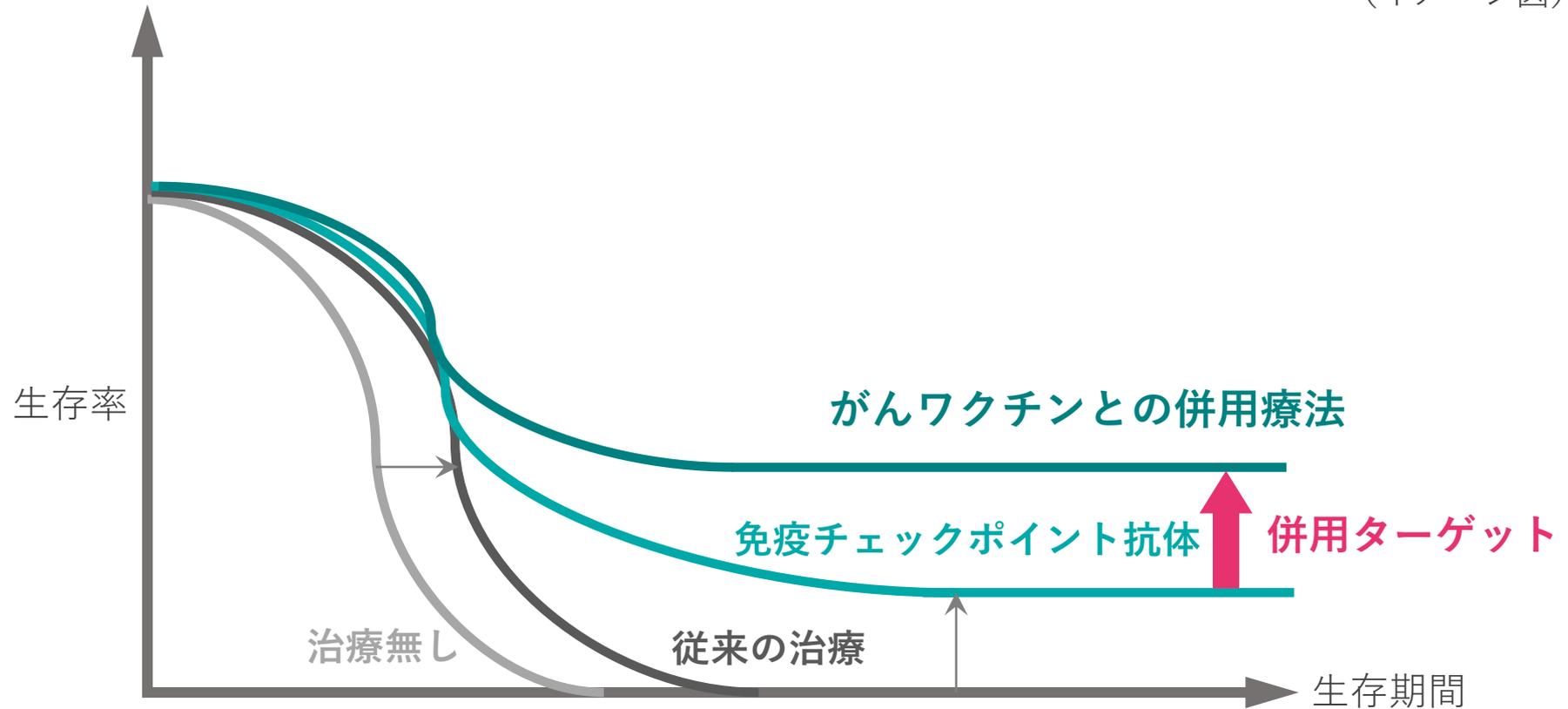
免疫チェックポイント抗体は肺癌治療を大きく変えたが、スペースは広く残っている



# GRN-1201の開発戦略

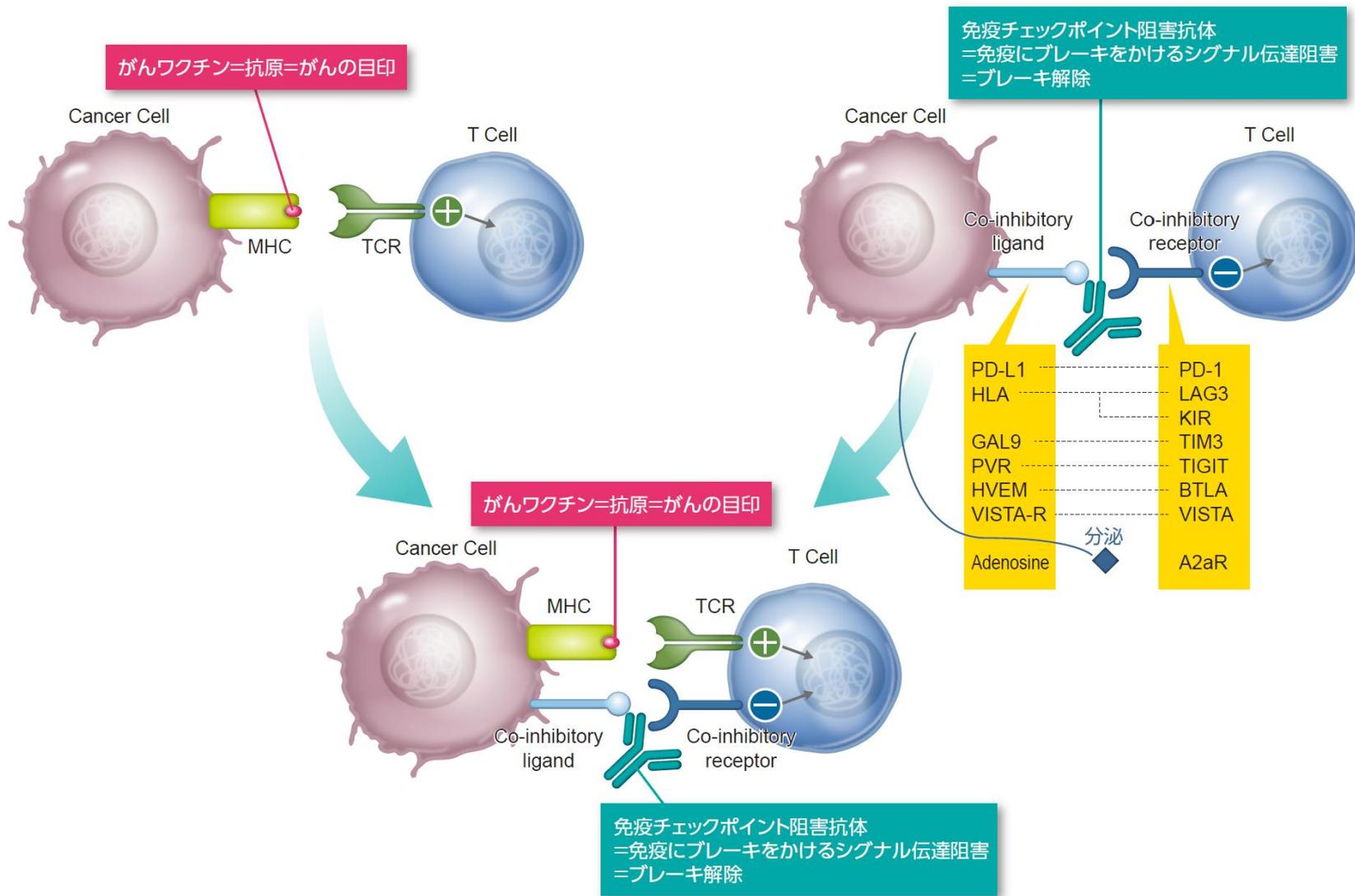
開発戦略：がんワクチンを併用させることにより、免疫チェックポイント抗体の効果をさらに引き出す

(イメージ図)



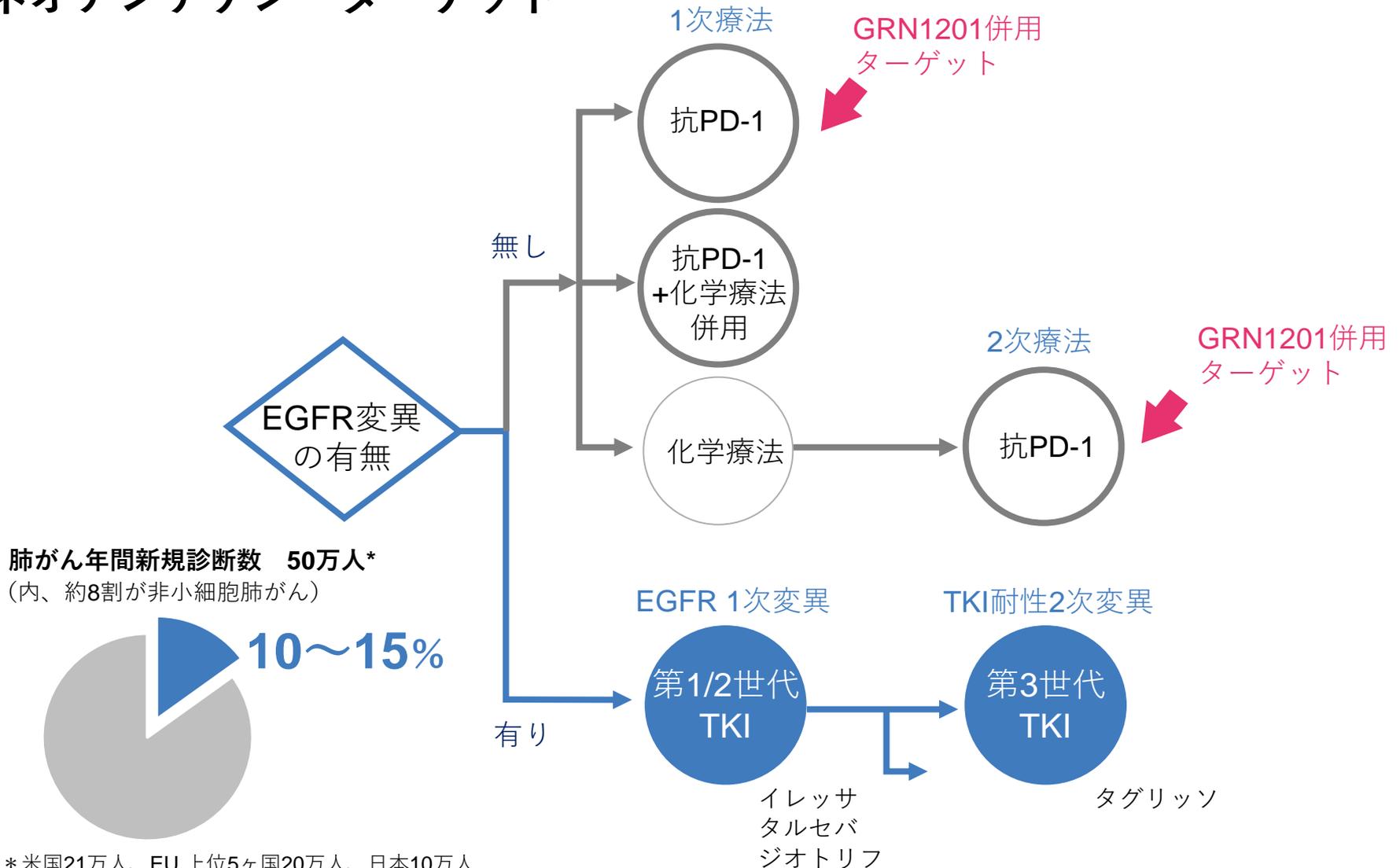
# GRN-1201併用効果のメカニズム

## がんワクチンと免疫チェックポイント抗体の相乗効果



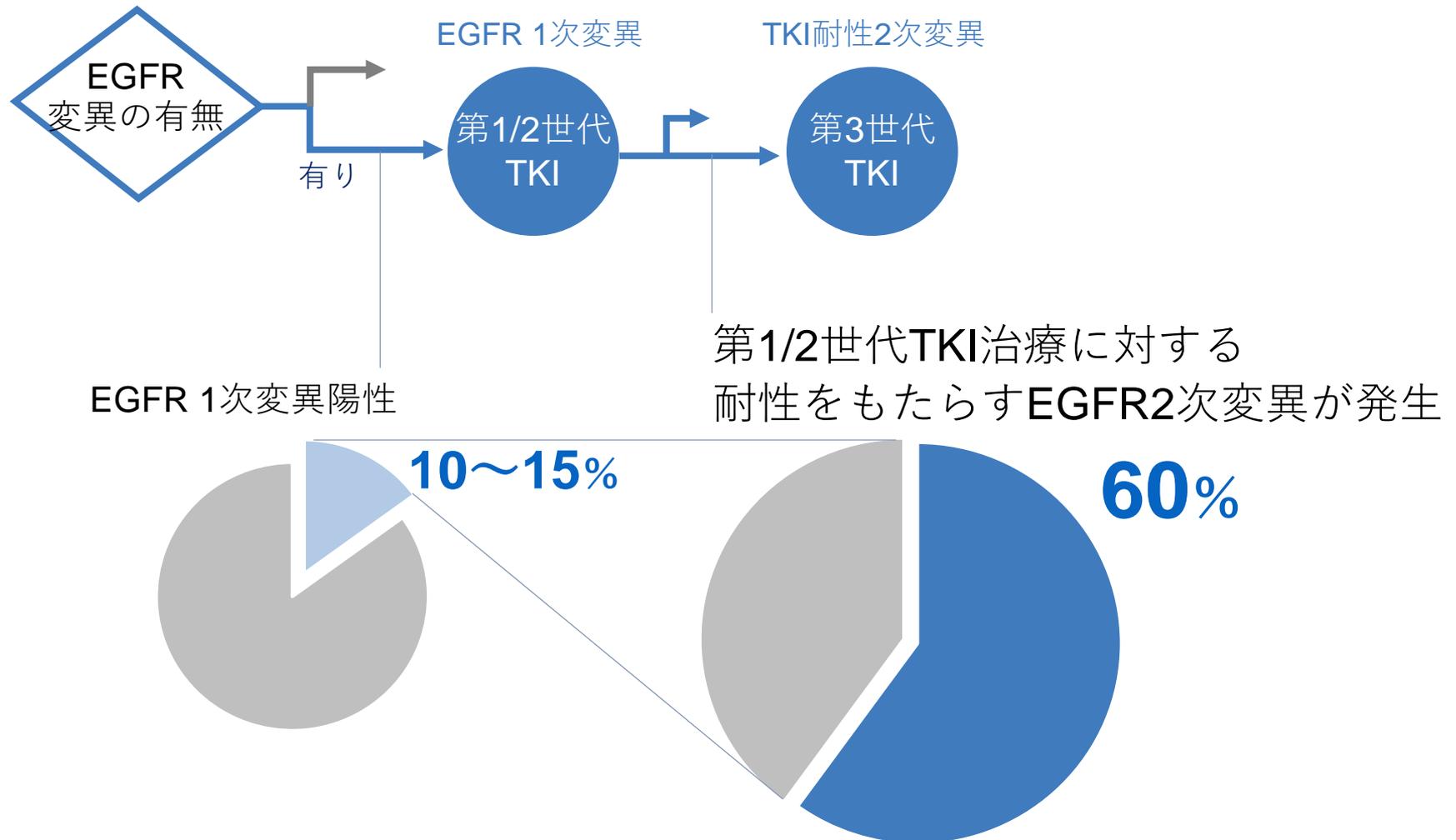
# GRN-1301

## ネオアンチゲン・ターゲット



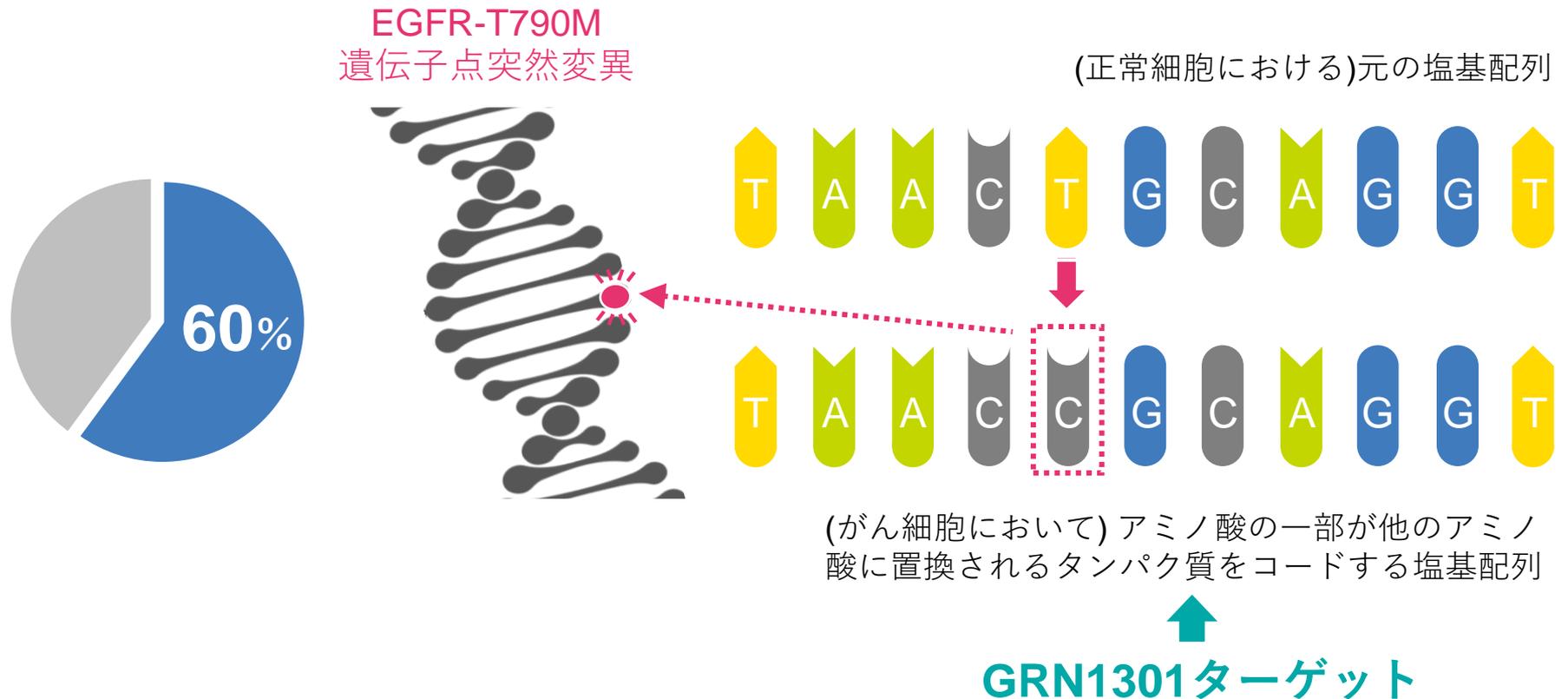
# GRN-1301のターゲット

EGFR-TKI治療に対する耐性をもたらす遺伝子変異が6割で発生



# GRN-1301: ネオアンチゲン ターゲット

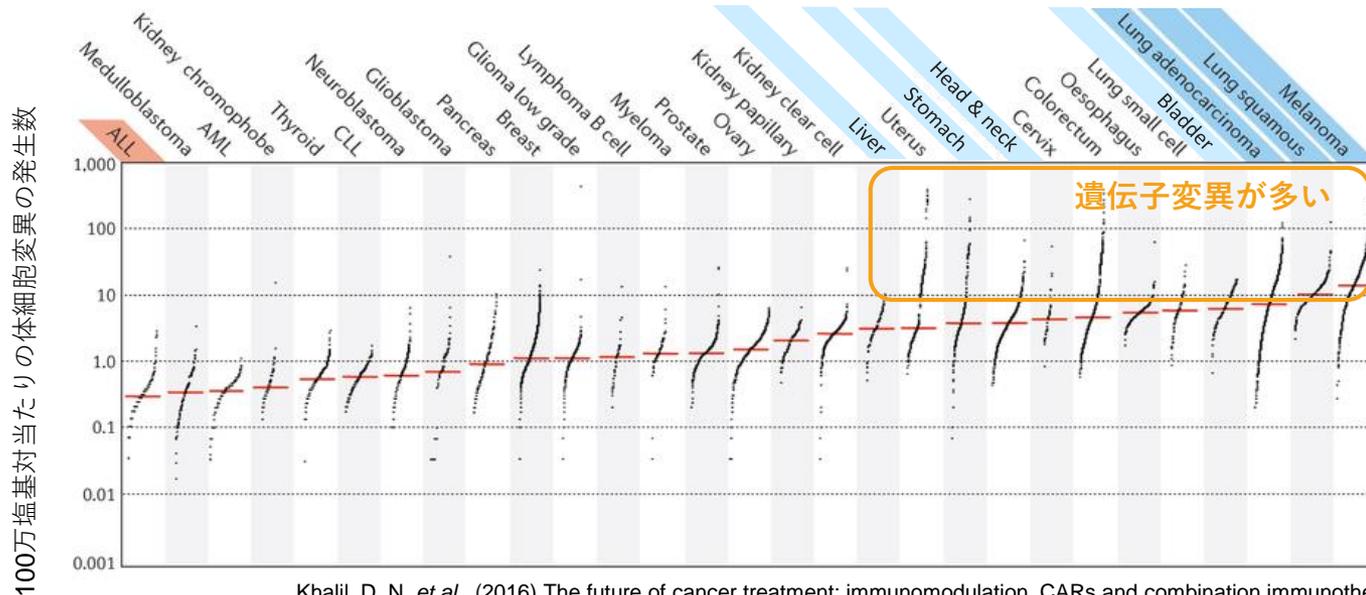
EGFR-TKIを受けたがん細胞でしか発生しないEGFR-T790M点突然変異  
(ネオアンチゲン) をターゲットとするペプチドワクチン



# 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



Khalil, D. N. et al. (2016) The future of cancer treatment: immunomodulation, CARs and combination immunotherapy  
*Nat. Rev. Clin. Oncol.* doi:10.1038/nrclinonc.2016.25

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

← GRN1301 +

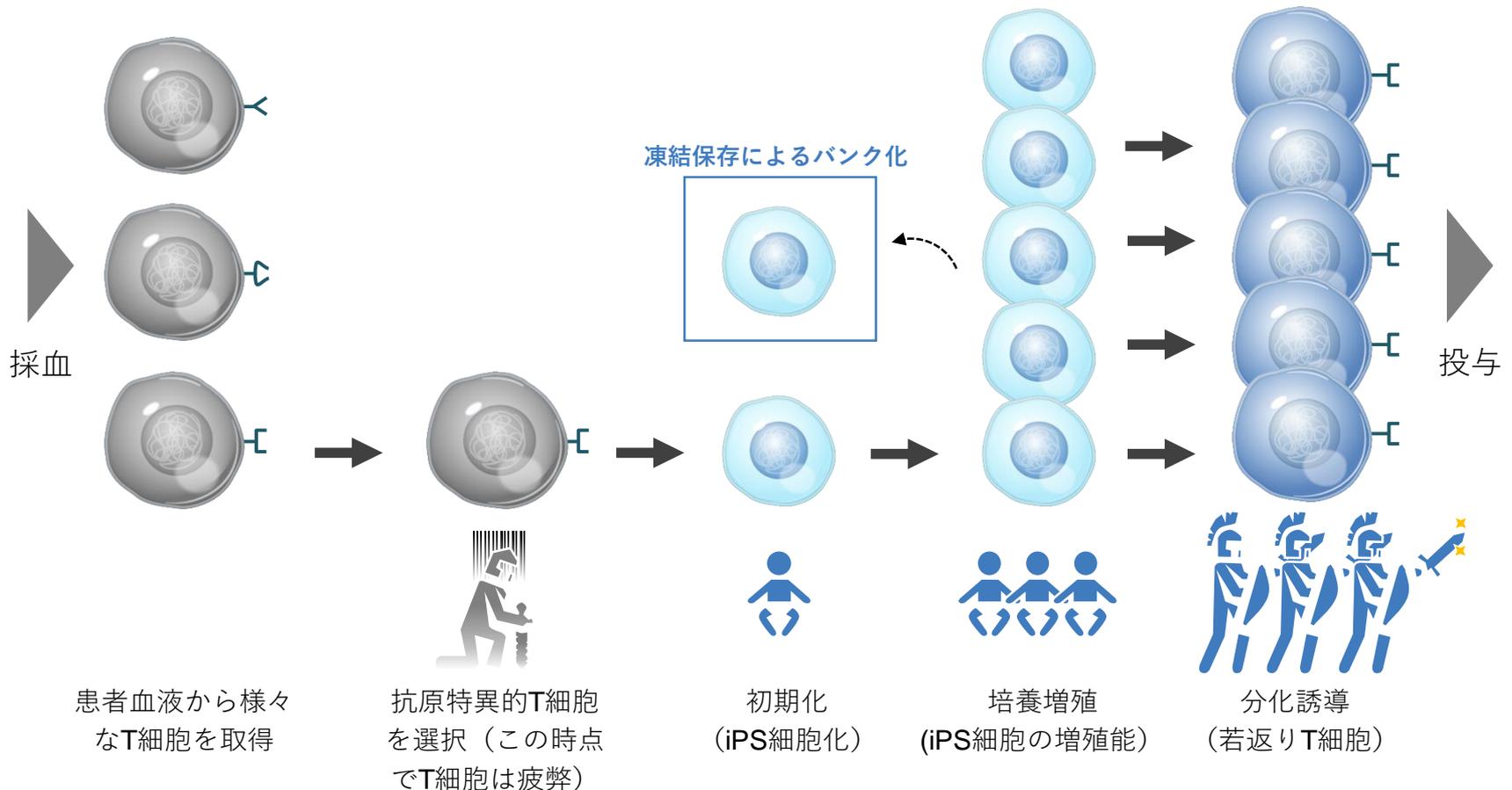
2017.10.27  
国立がんセンターとの  
完全個別化がん免疫療法  
の共同研究開始

## 3. T細胞療法の標的(TCR-T, iPS-Tなど)

# iPS-T : iPS再生T細胞療法

iPS技術のがん免疫療法分野への世界初の臨床応用を目指す

- 2016年12月 アドバンスト・イミュノセラピー社を子会社化
- 同社はT細胞をiPS細胞へ初期化し、再分化することで若返らせることに成功



# iPS-T 新しいT細胞療法プラットフォーム

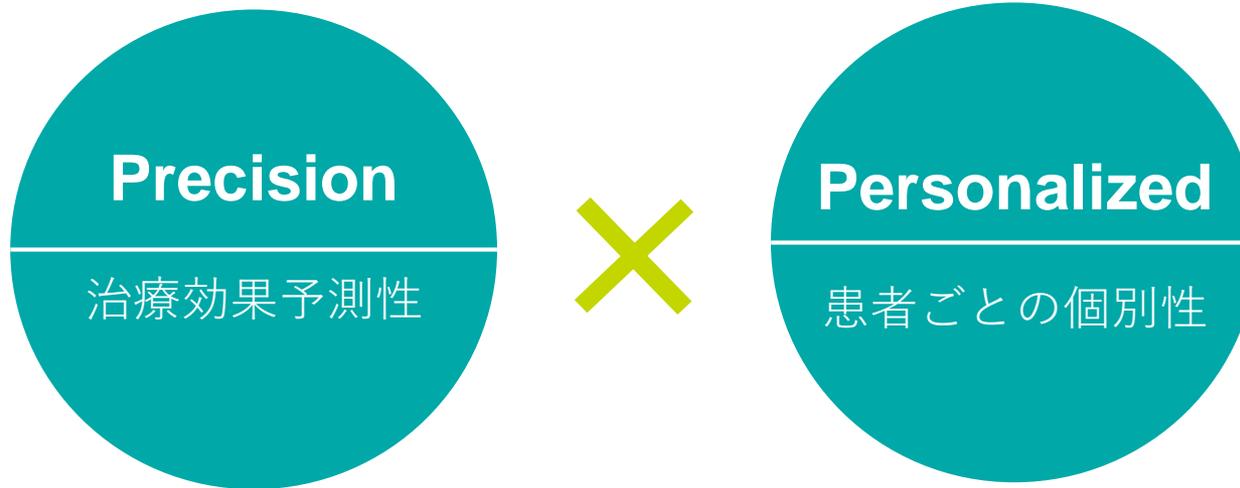
若返りによる免疫能増強と、バンク化／他家化による大幅なコスト削減を実現できる可能性

## 現行T細胞療法との比較

療法		進出可能領域		
		CAR-T (自家)	TCR-T (自家)	iPS-T
細胞数の確保	制限あり	制限あり	無限増殖可	無限増殖可
T細胞疲弊の影響	あり	あり	なし	なし
増殖能（複製能）	低	低	高	高
副作用対応メカニズム	なし	なし	なし	あり
バンク化	困難	困難	容易	容易
製造コスト	高	高	低	低

# がん免疫療法のリーディングカンパニーへ

## これからのがん免疫療法のテーマ



開発テーマ

- ITK-1 テーラーメイド投与方法
- GRN-1201 免疫チェックポイント抗体併用
- GRN-1301 ネオアンチゲン・ターゲットの最初の取り組み
- iPS-T 細胞医薬モダリティの組み込み

探索テーマ

- ネオアンチゲン・ターゲットの完全個別化への対応
- 免疫チェックポイント抗体に組み合わせる免疫チェックポイント抗体
- 免疫細胞死誘導

2017.10.27  
国立がんセンターとの  
完全個別化がん免疫療法  
の共同研究開始



# 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                3,779百万円（2017年9月30日現在）

社員数                37名（2017年9月30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>