

## 2019年3月期第2四半期 決算説明会

---

2018年11月22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。

# 2019年3月期第2四半期 決算概要

# 損益計算書

(単位：百万円)

	2018年3月期 第2四半期累計	2019年3月期 第2四半期累計	増減
売上高	182	142	① ▲ 40
売上原価	177	66	▲ 111
売上総利益	4	75	70
販売費及び一般管理費	690	901	211
(研究開発費)	506	689	② 183
営業利益	▲ 685	▲ 826	▲ 140
経常利益	▲ 685	▲ 822	▲ 137
当期純利益	▲ 688	▲ 1,017	▲ 328

① ITK-1 Ph3試験終了に伴う導出先からの開発協力金減

② パイプラインの増加および開発進捗に伴うR&D費増

# 貸借対照表

(単位：百万円)

	2018年3月期 期末	2019年3月期 第2四半期末	増減
流動資産 (構成比)	6,900 95.4%	6,002 97.4%	① ▲ 897
固定資産	335 4.6%	161 2.6%	▲ 174
流動負債	229 3.2%	161 2.6%	▲ 67
固定負債	56 0.8%	61 1.0%	5
純資産	6,950 96.0%	5,940 96.4%	▲ 1,010
総資産	7,235	6,163	▲ 1,072

① 研究開発費支出による現預金減少

# キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2018年3月期 第2四半期累計	2019年3月期 第2四半期累計
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 641	① ▲ 760
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 32	▲ 140
財務活動によるキャッシュ・フロー	10	▲ 4
現金及び現金同等物 増減額	▲ 662	▲ 905
期末残高	4,287	5,623

① 研究開発費支出

# 2019年3月期 通期連結業績見通し

(単位：百万円)

	2018年3月期 通期実績	2019年3月期 通期予想	増減
売上高	354	150	① ▲ 204
営業利益	▲ 1,561	▲ 2,200	② ▲ 638
経常利益	▲ 1,573	▲ 2,200	▲ 626
当期純利益	▲ 1,578	▲ 2,200	▲ 621

① ITK-1 Ph3試験終了に伴い開発協力金も終了

② パイプライン数の増加および開発進捗に伴い、

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)

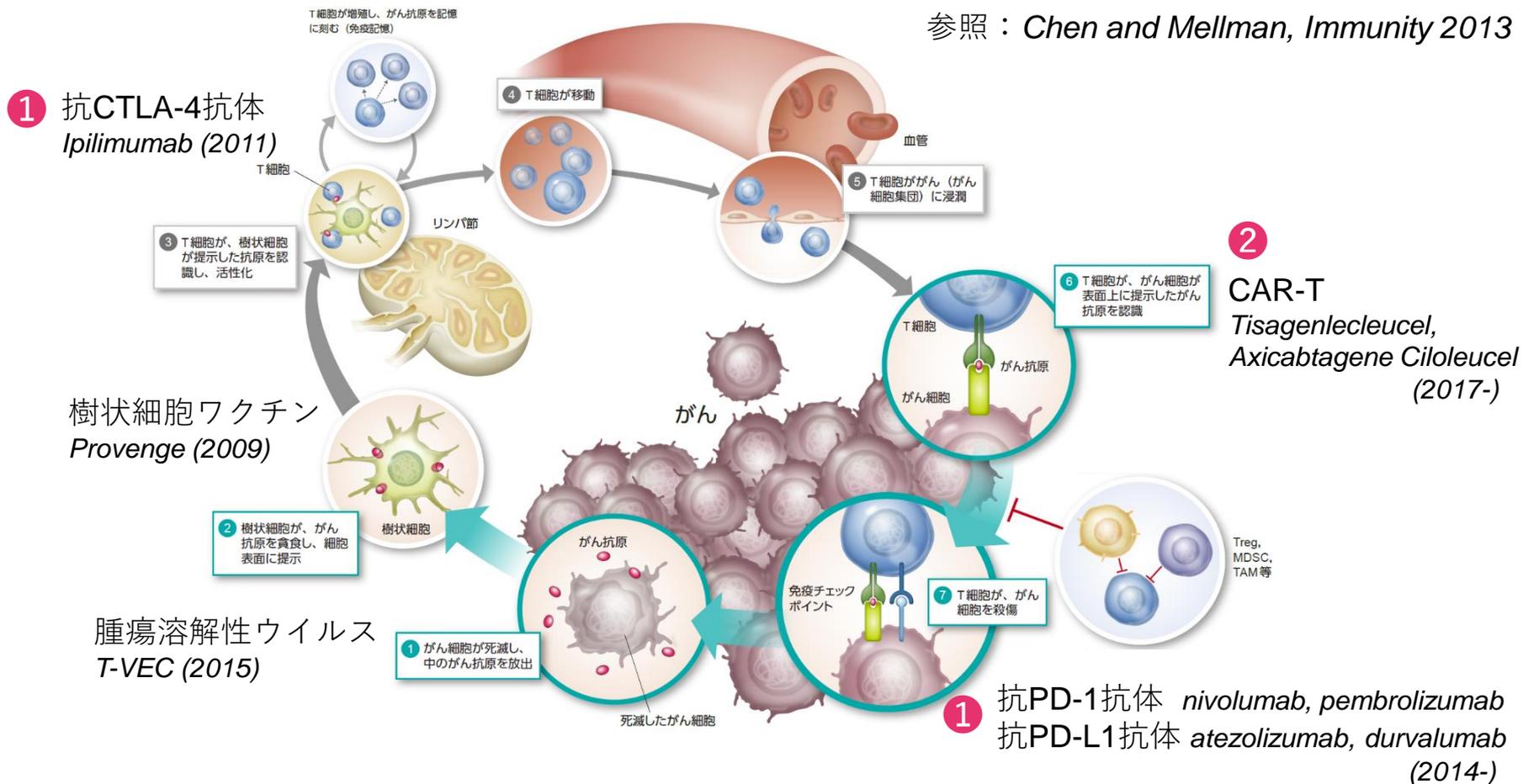
# 開発の進捗状況

# 開発領域：がん免疫治療薬

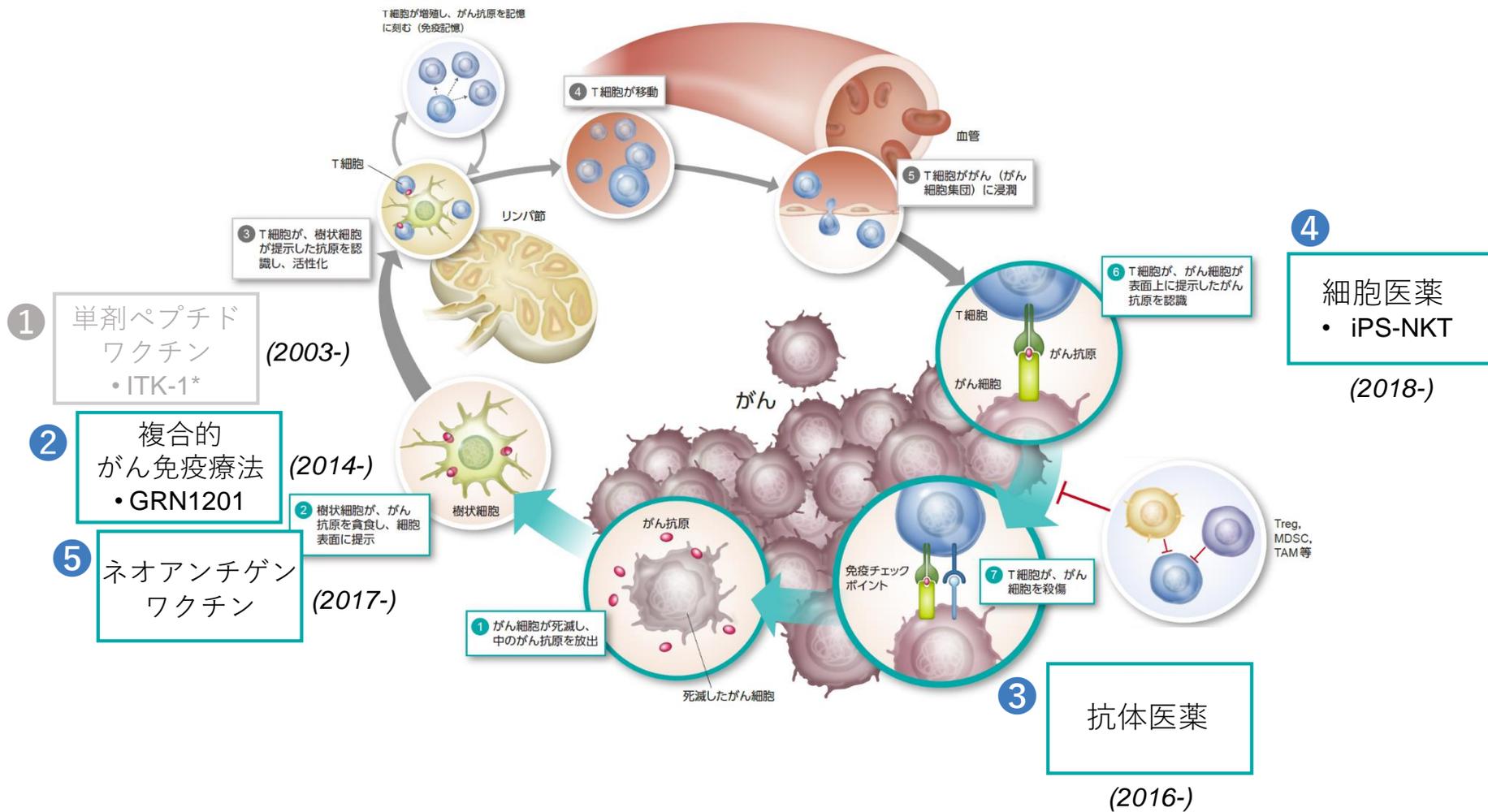
■ 市場規模は約5-10兆円規模(2025年) 出典：Nature Reviews Drug Discovery 16, 83–84 (2017)

## 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)

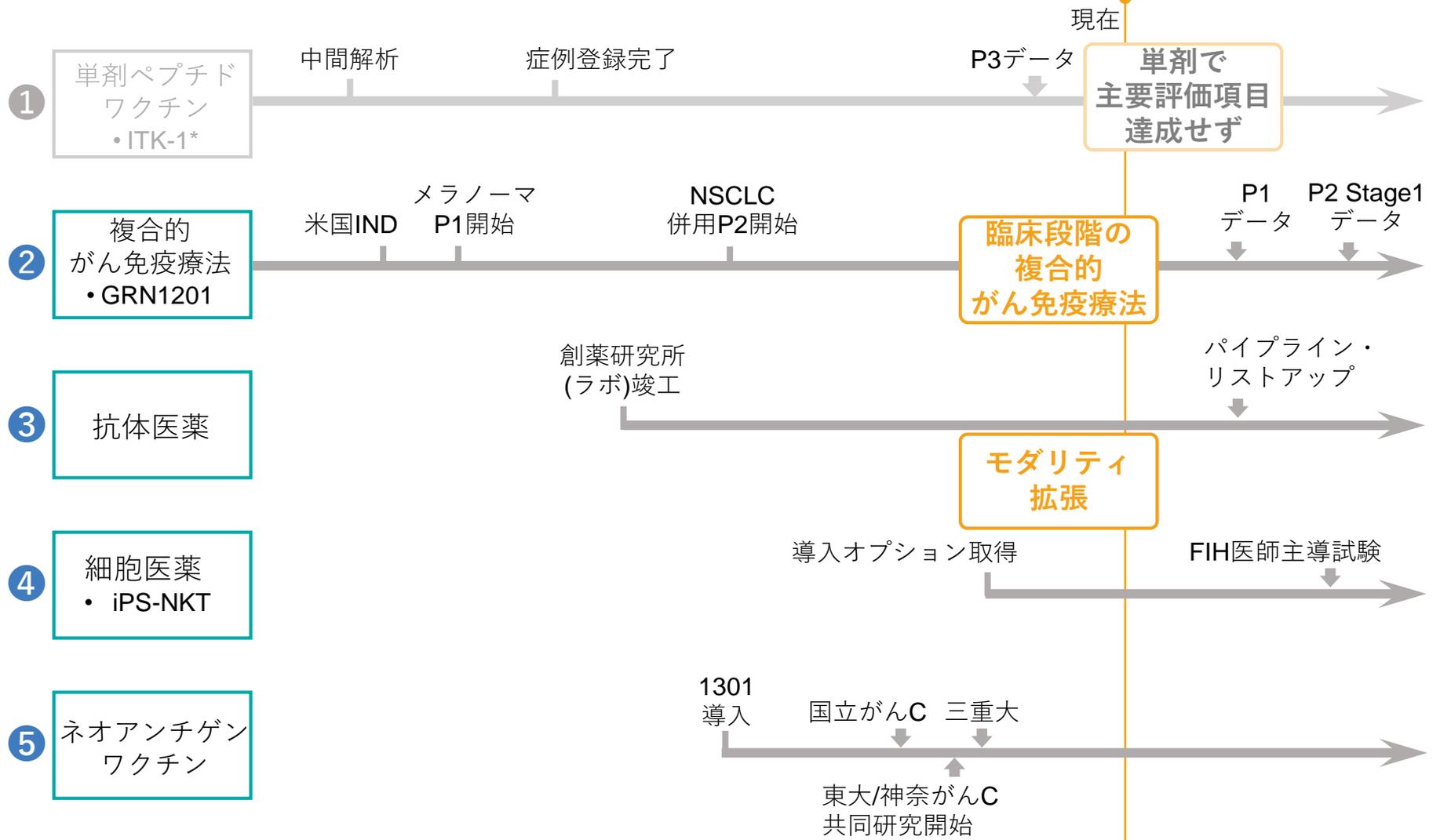
# パイプライン

	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	<b>ITK-1</b> 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						
	<b>GRN-1201</b> 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	<b>iPS由来再生NKT細胞</b> 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	<b>GRN-1301</b> TKI耐性変異ワクチン	非小細胞肺がん	-						
	<b>完全個別化ワクチン</b> 自社創製	各種固形がん	-						
③ 抗体医薬	<b>免疫調整因子抗体</b> 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

# 現状

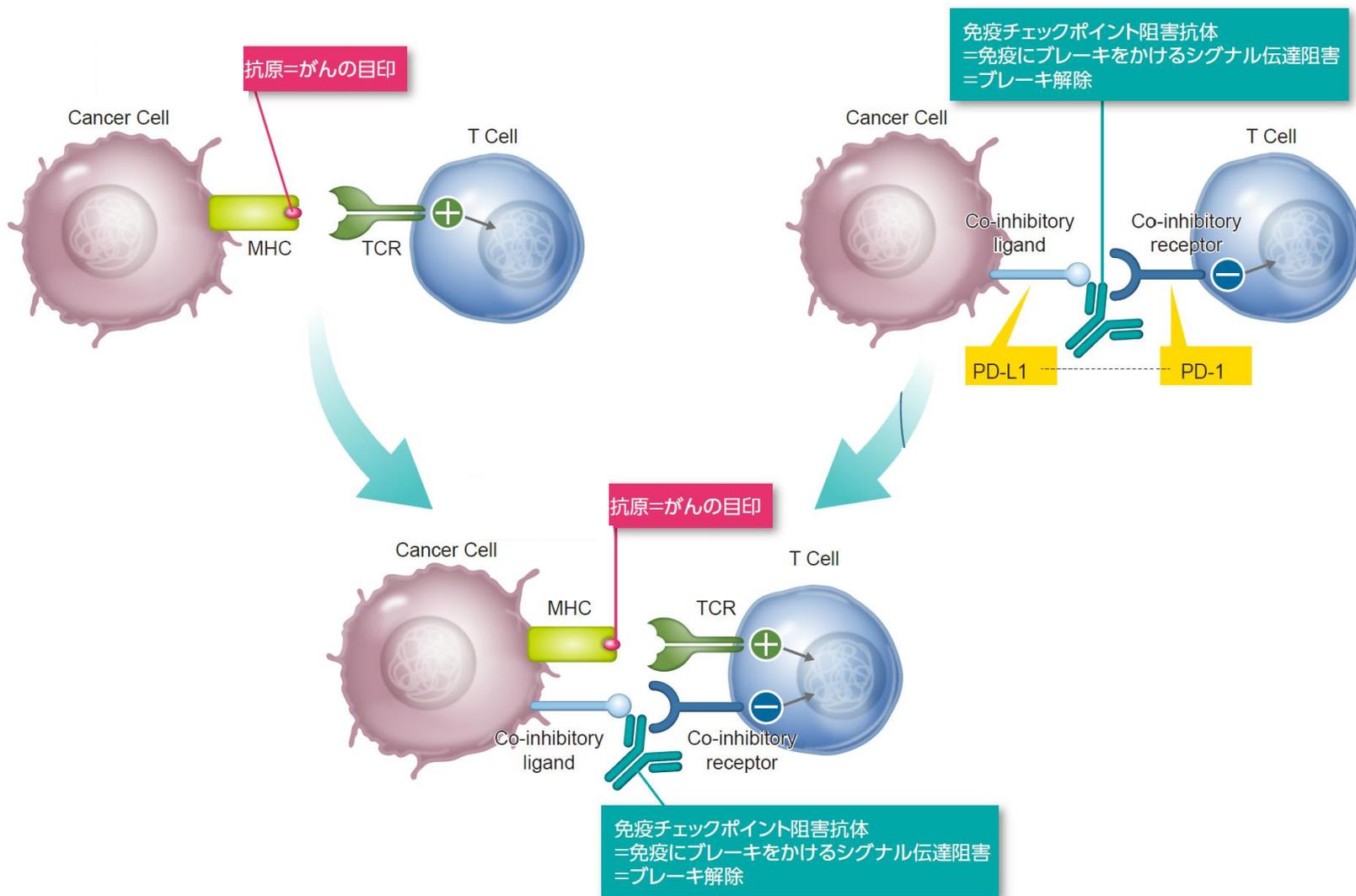
2015 上半期	2015 下半期	2016 上半期	2016 下半期	2017 上半期	2017 下半期	2018 上半期	2018 下半期
-------------	-------------	-------------	-------------	-------------	-------------	-------------	-------------



# 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

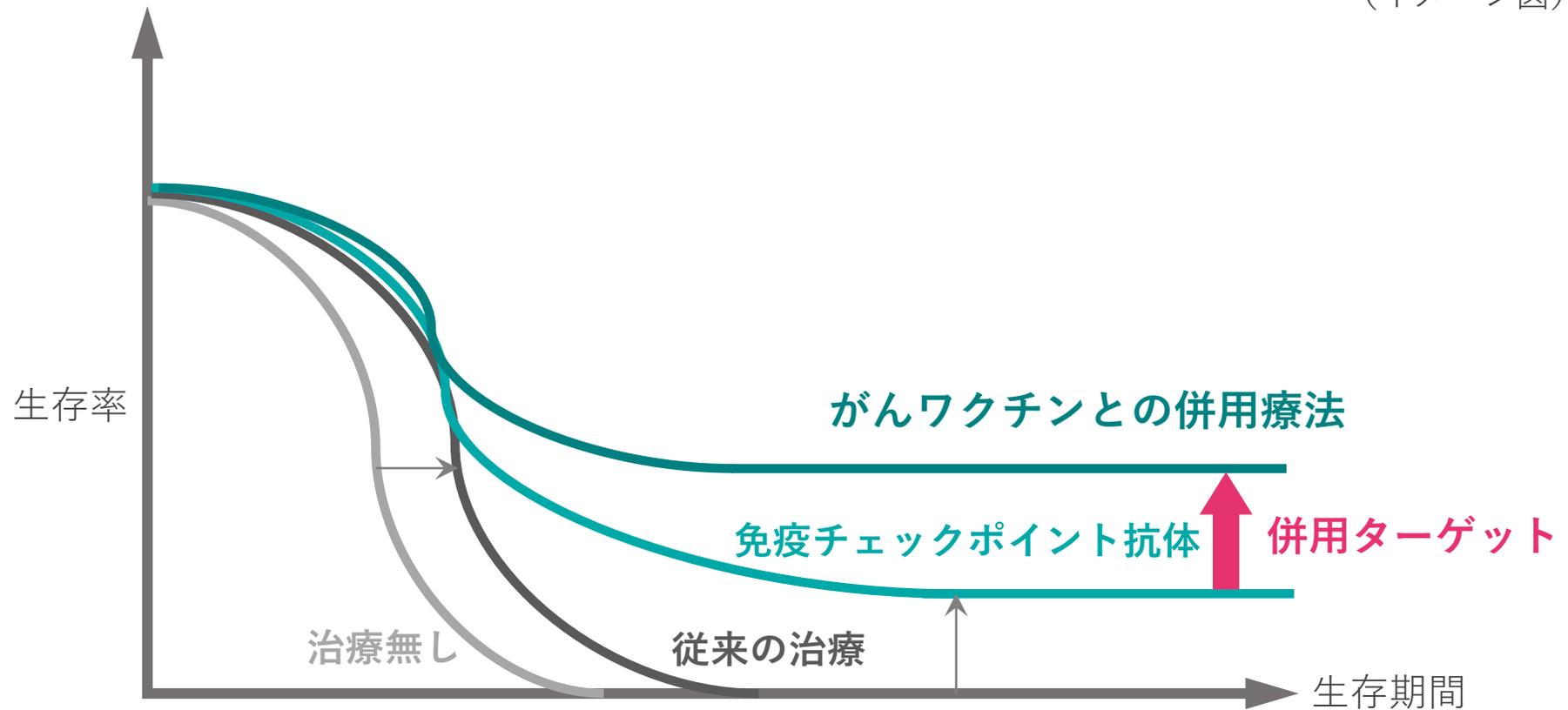
## がんワクチンと免疫チェックポイント抗体の相乗効果



# GRN-1201の開発戦略

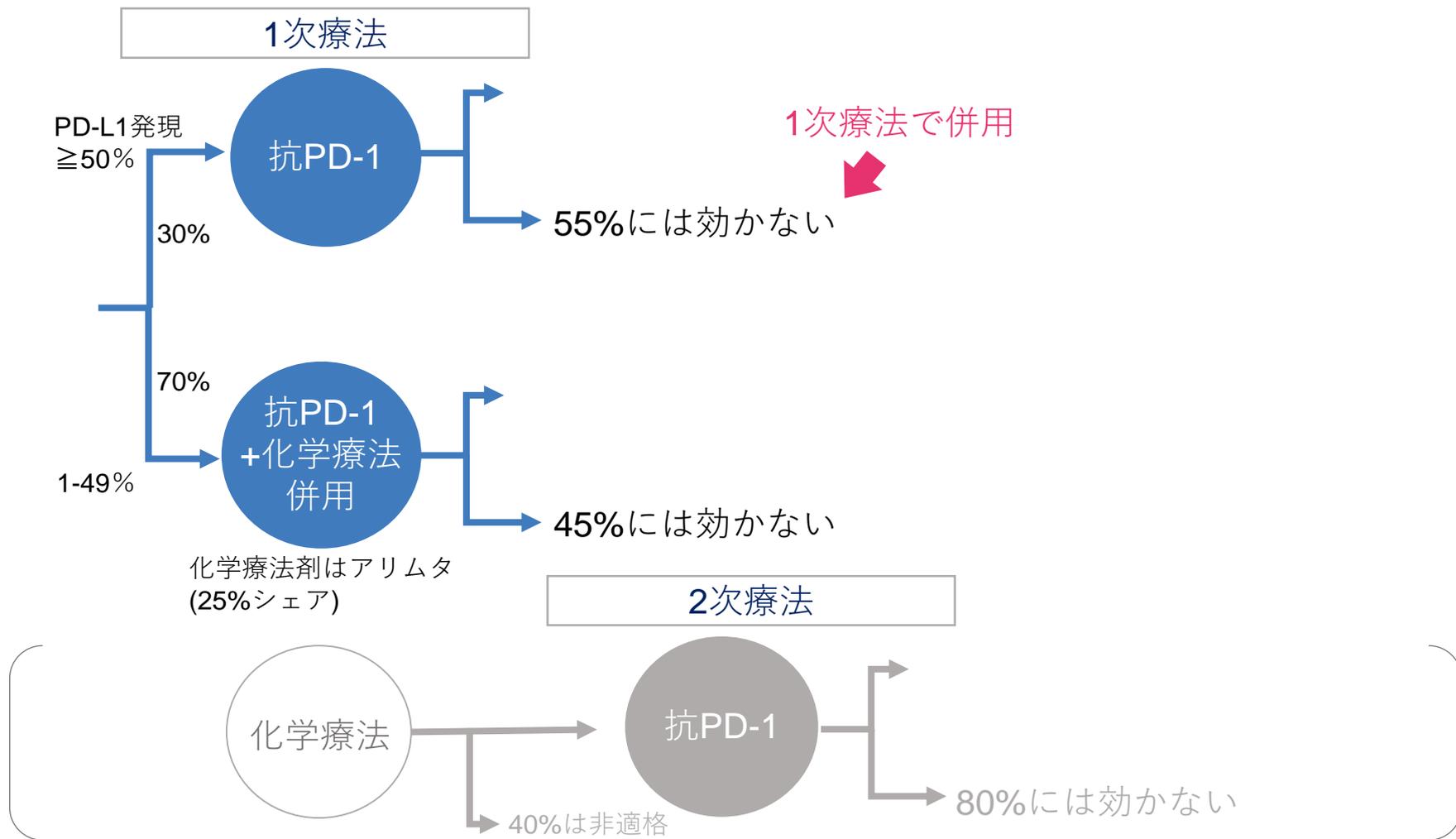
開発戦略：がんワクチンを併用させることにより、免疫チェックポイント抗体の効果をさらに引き出す

(イメージ図)



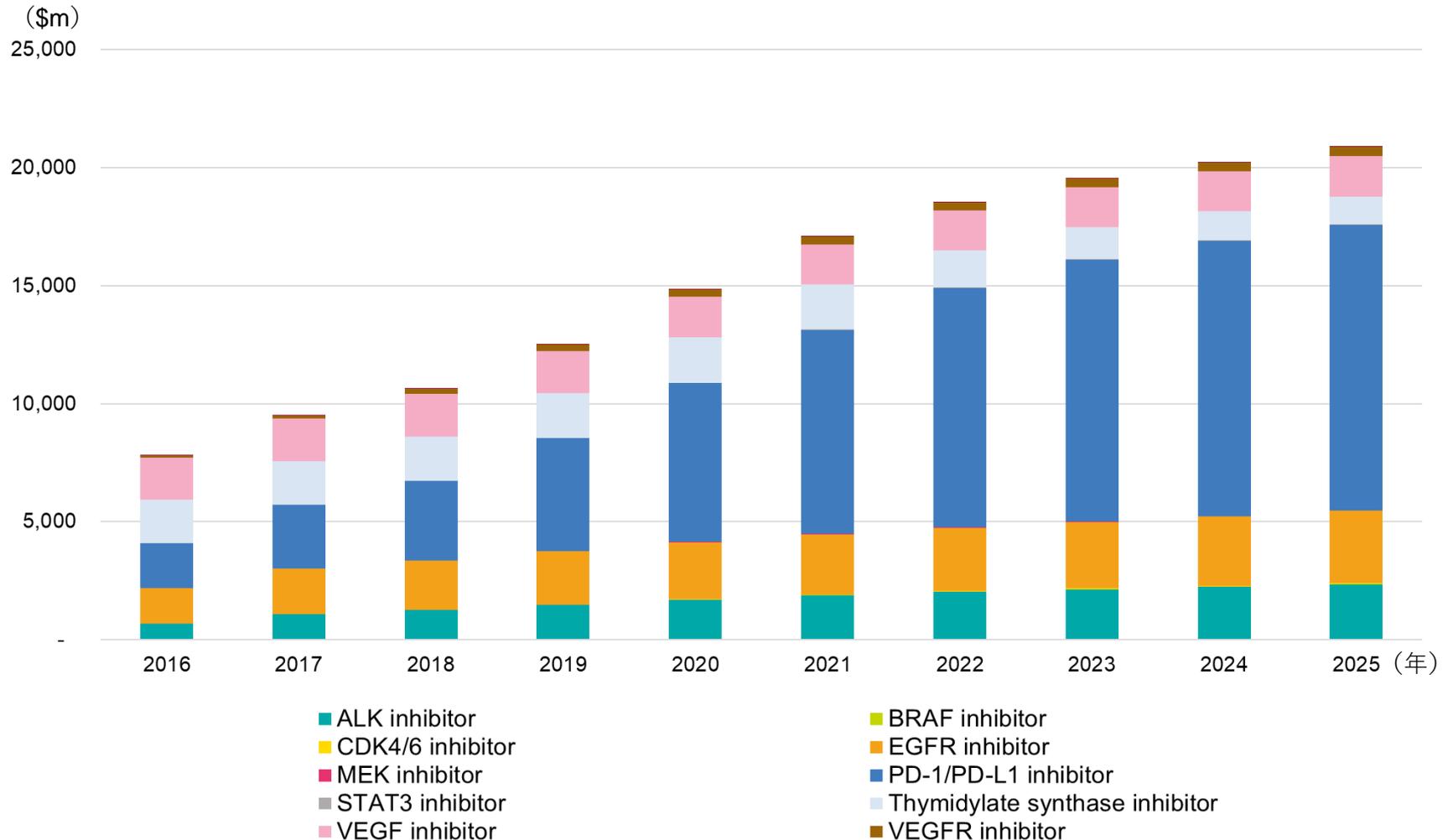
# GRN-1201のターゲット

非小細胞肺がんの1次療法はPD-1抗体治療が主に



# 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I相試験(メラノーマ)の概要

- 投与および観察終了、データ解析中
  - GRN-1201の安全性を確認
  - 細胞傷害性T細胞の反応（免疫レスポンス）を確認

タイトル	A Phase 1, Open-Label, Multi-Center, Multi-Dose Study of Intradermal GRN-1201 in HLA-A*02 Subjects With Resected Stage IIb, IIc or III Melanoma
被験薬	GRN-1201: 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	Stage IIb, IIc, or IIIメラノーマ  Experimental:            Cohort 1    0.1mg Cohort 2    1.0mg Cohort 3    3.0mg
主要評価項目	Safety and tolerability of GRN-1201
併用薬	無し
症例数	18例
実施方法	非盲検、オープンラベル、多施設

# 第II相試験(非小細胞肺がん)の概要

- 実施中

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
被験薬	GRN-1201: 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陽性非小細胞肺がん PD-L1陽性 (TPS* $\geq$ 50%) *TPS : Tumor Proportion Score 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合
主要評価項目	Objective Response Rate
併用薬	キートルーダ <sup>®</sup>
症例数	64例 サイモン2段階方式
実施方法	非盲検、オープンラベル、多施設

iPS-NKT

- iPS細胞由来再生NKT細胞療法

# プロジェクト概要

対象	理化学研究所が開発を進めるNKT細胞由来iPS細胞から再分化誘導したNKT細胞を用いた新規他家がん免疫療法（「iPS-NKT細胞療法」）
当社の関り	<ul style="list-style-type: none"><li>• 独占的開発製造販売ライセンスのオプション権を取得</li><li>• 共同研究開発</li></ul>
プロジェクト背景	<ul style="list-style-type: none"><li>• 理研が中心となって日本医療研究開発機構(AMED)再生医療実現拠点ネットワークプログラム 疾患・組織別実用化研究拠点（拠点B）に採択された「NKT細胞再生によるがん免疫治療技術開発拠点」</li><li>• 理研創薬・医療技術基盤プログラム</li></ul>
今後の計画	頭頸部がんを対象とする医師主導治験が2019年度中をめどに開始される計画

# iPS-NKT細胞療法の特徴

従来は十分量の確保が困難



## NKT細胞

多面的な抗腫瘍効果

- 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



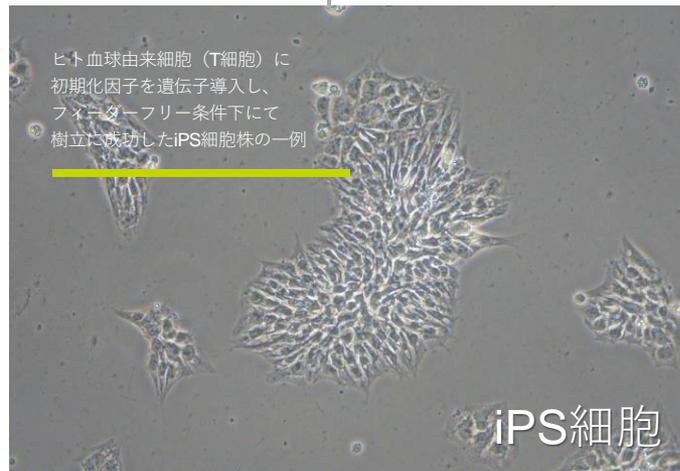
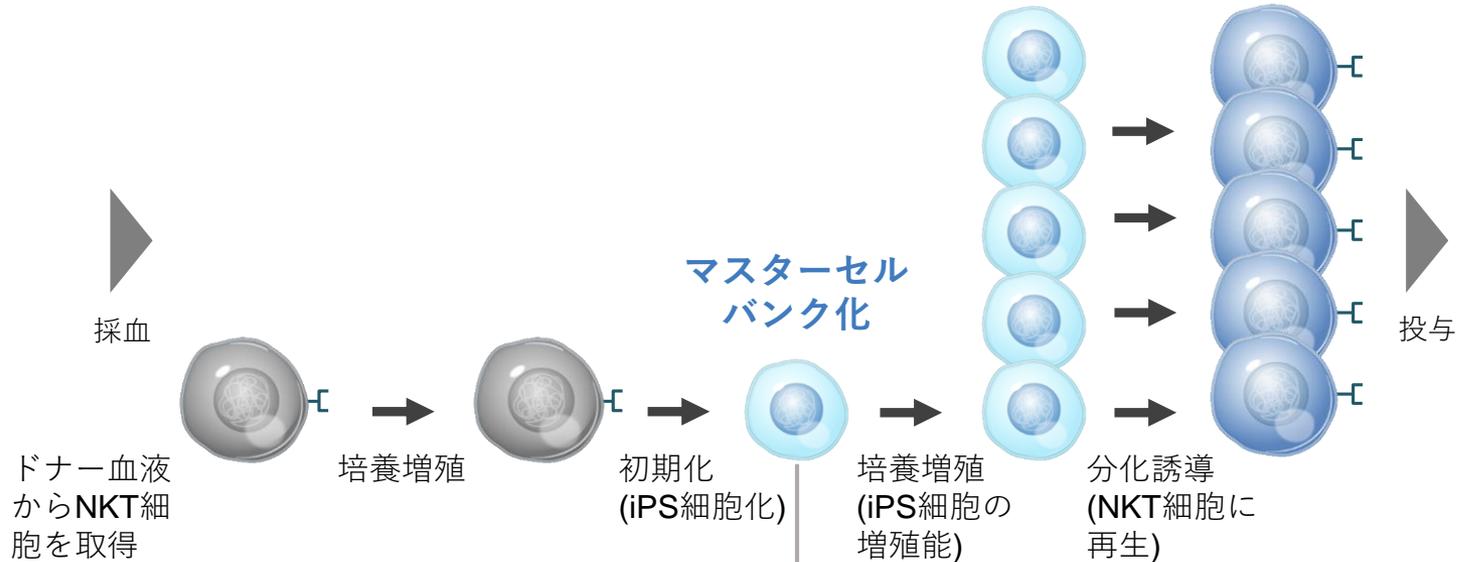
固形がん



他家

# 製造コアプロセス

- マスターセル・バンク化技術
- マスターセル・バンクからNKT細胞へ再生する分化誘導工程

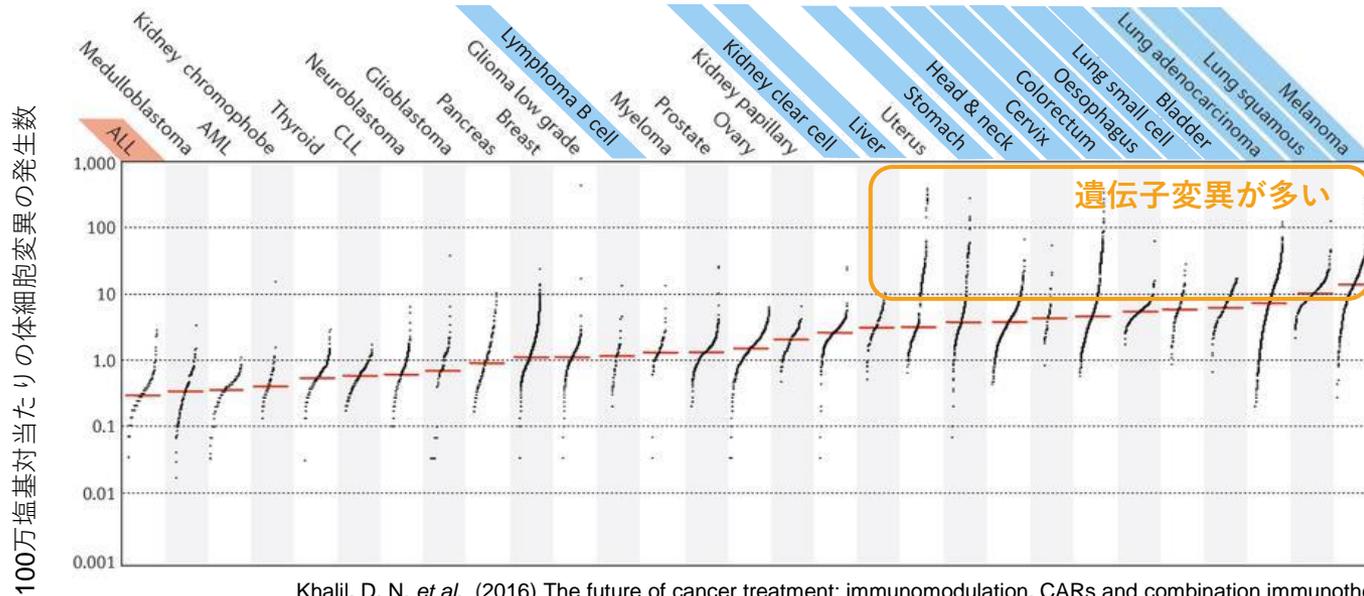


# 完全個別化がんワクチン

# 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



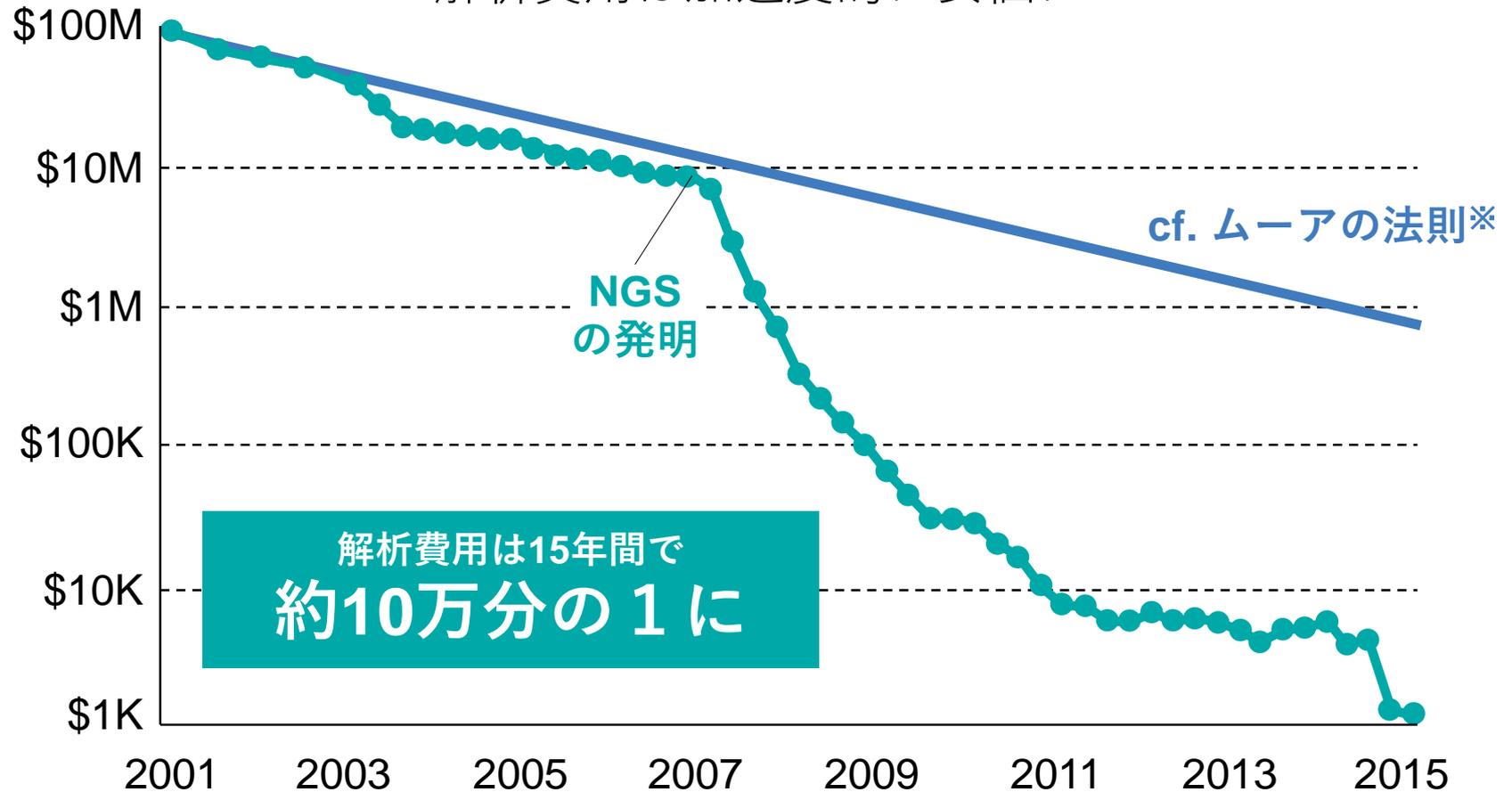
ネオアンチゲンががん免疫において有効ながん抗原となっている可能性を示唆

## 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

# 一人当たりのゲノム解析費用

次世代シーケンサー（NGS）の登場により、  
解析費用は加速度的に安価に

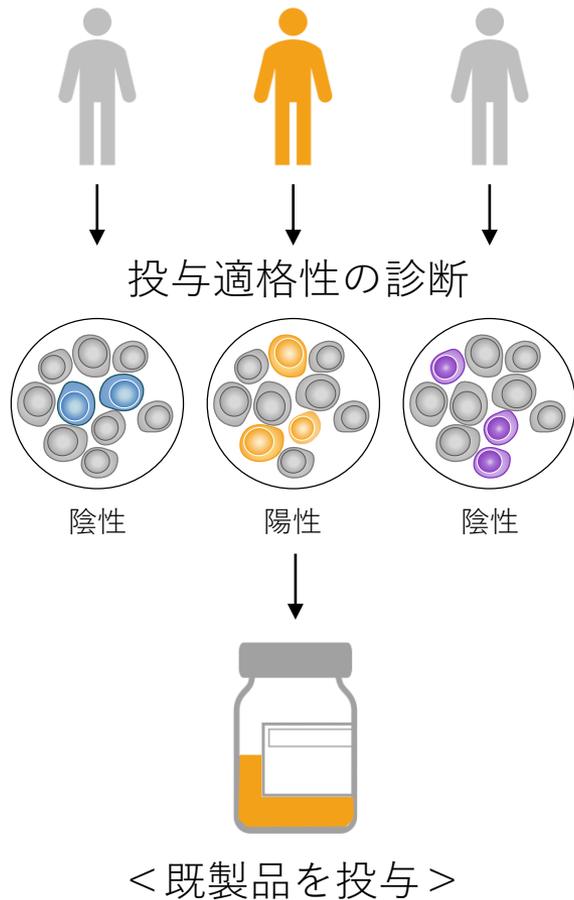


National Human Genome Research Institute.

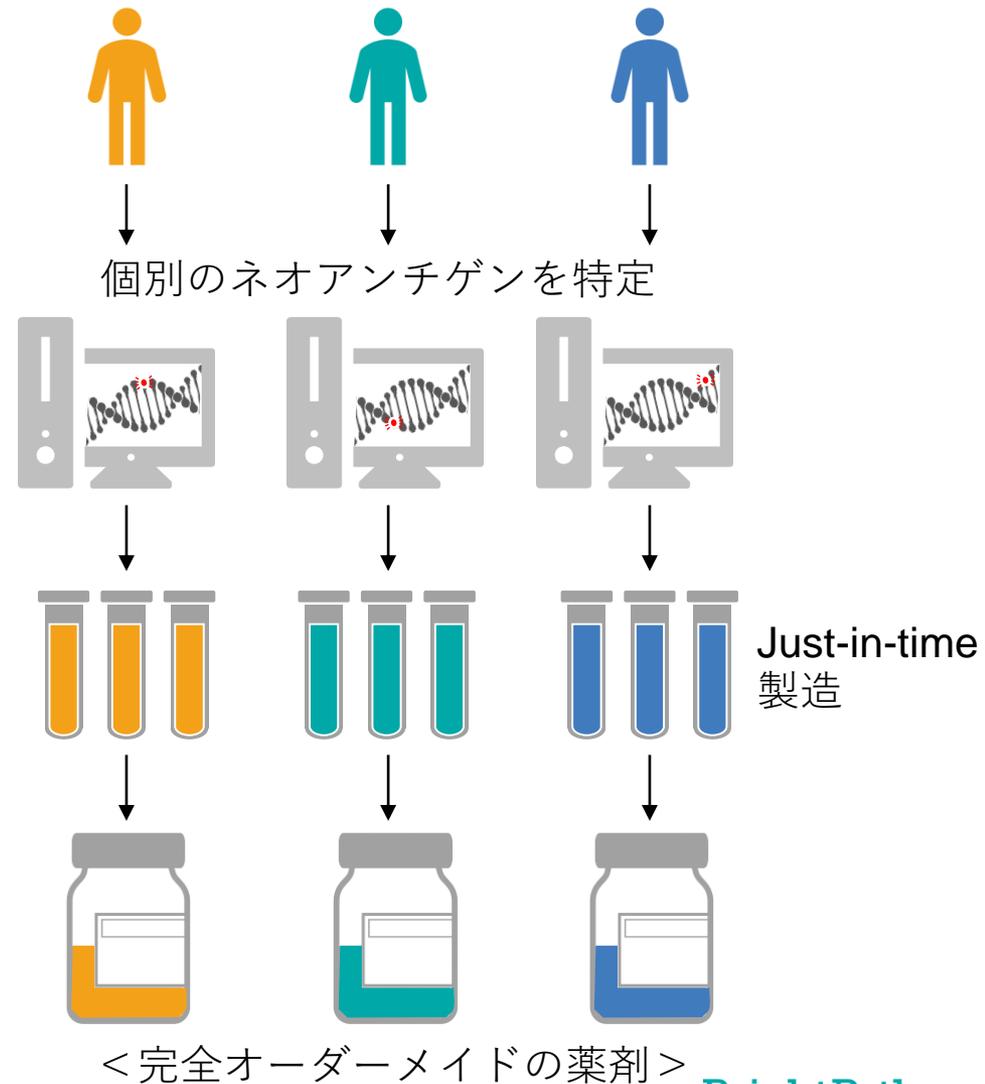
※ ムーアの法則：半導体の集積率は18か月で2倍になるという半導体業界の経験則。NGSのデータ出力量は、毎年2倍以上というムーアの法則を超えるスピードで増加

# 完全個別化 + Just-in-timeがんワクチン

## 分子標的薬



## 完全個別化がん免疫療法



# 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
    - ーがん免疫療法の市場性・サイエンス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

## まとめ（続）

- 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(自社開発、米国、非小細胞肺癌)
  - **細胞医薬**パイプラインを、**iPS-NKT細胞療法**を皮切りに、導入・アライアンスにより構築中
  - **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で創製中
  - **ネオアンチゲン**を標的とする完全個別化ワクチンを、アカデミアとのパートナーシップの下で創製中
    - “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が次の開発ステージに到達するのに必要な**当面の資金**は保有

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

# BrightPath

---

## Biotherapeutics



# 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                5,421百万円（2019年9月末現在）

社員数                52名（2019年9月末現在）

役員	代表取締役社長CEO	永井	健一	
	取締役 COO	脇	豊	
	取締役 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）	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

管理部長 小林 勝広

TEL : 03-5840-7697

FAX : 03-5840-7716

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