
2023年3月期第2四半期 決算説明会

2022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。

1. 2023年3月期第2四半期 決算概要

2. 開発の進捗状況

[参考] 会社概要

2023年3月期第2四半期 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期 上半期	2023年3月期 上半期	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 (研究開発費)	721 (539)	805 (643)	▲ 83 ① (103)
営業利益	▲ 721	▲ 805	▲ 83
経常利益	▲ 723	▲ 809	▲ 86
当期純利益	▲ 723	▲ 810	▲ 86

① GRN-1201の臨床試験関連の前払金162百万円を、5月の米国第Ⅱ相試験早期中止決定に伴い費用化したため

貸借対照表

(単位：百万円)

	2022年3月期	2023年3月期 上半期	増 減
流動資産 構成比	2,696 97.2%	2,050 96.8%	① ▲645
固定資産	75 2.7%	66 3.1%	▲8
流動負債	184 6.6%	54 2.5%	▲130
固定負債	55 1.9%	55 2.5%	0
純資産	2,531 91.3%	2,006 94.7%	▲524
総資産	2,771	2,117	▲653

① 研究開発費の支出による現金減391百万円に加え、5月のGRN-1201の米国第Ⅱ相試験早期中止決定に伴い費用化したことによる臨床試験関連の前払金162百万円の減少を含む

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期 上半期	2023年3月期 上半期
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 751	① ▲ 588
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 11	0
財務活動によるキャッシュ・フロー	228	② 197
現金及び現金同等物 増減額	▲ 534	▲ 391
期首残高	3,265	2,305
期末残高	2,730	1,913

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（社債償還の差引き後）

2023年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2022年3月期 予想	2022年3月期 実績	2023年3月期 予想	増 減
売上高	2	15	5	▲ 10
営業利益	▲ 1,852	▲ 1,476	▲ 1,635	① ▲ 159
経常利益	▲ 1,852	▲ 1,481	▲ 1,635	▲ 154
当期純利益	▲ 1,854	▲ 1,484	▲ 1,637	▲ 153

研究開発費	1,408	1,137	1,267	② 11.4%増
-------	-------	-------	-------	----------

①② 理研からのiPS-NKT導入オプション行使費用を含む（業績予想に織り込み済み）

開発の進捗状況

開発パイプライン

- 臨床試験段階にあるシーズを含む新規のがん免疫治療薬を開発する創薬ベンチャー
- 細胞医薬、抗体医薬、がんワクチンの3つが主要な開発医薬品形態

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞						
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						
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	ペムブロリズマブ併用			
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

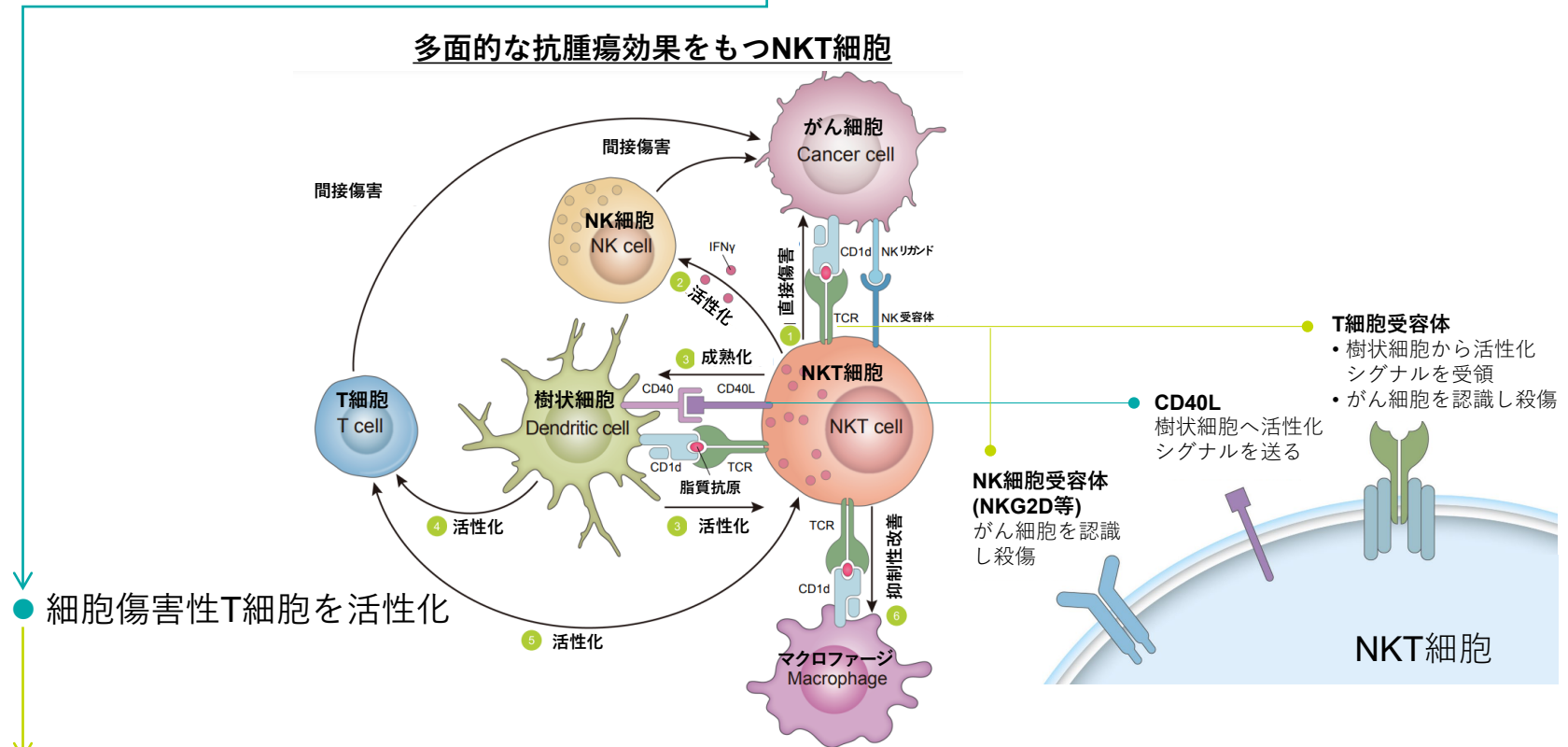
直近のイベント

■ iPS-NKT(BP2201)については11月に理研からの導入オプションを行使

		FY2021	FY2022	FY2023	FY2024
細胞					
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞		導入オプション行使 (2022.11.1) ↓	P1データ ↓	改良製造工程 での試験開始 ↓
BP2301	HER2 CAR-T		↓ P1開始		P1データ ↓
抗体					
BP1200	CD73	非臨床POC (ESMO2021) ↓			
BP1202	CD39		↓ 非臨床POC		
BP1210	TIM3		↓ 非臨床POC		
BP1212	CD39 × TIM3			↓ 非臨床POC	
がんワクチン					
GRN-1201	4種共通抗原		P2早期中止時点 データ ↓		
BP1209	個別化ネオアンチゲン	非臨床POC (ESMO2021) ↓			↓ 臨床試験

■ 新規他家CAR-T細胞療法のプラットフォーム

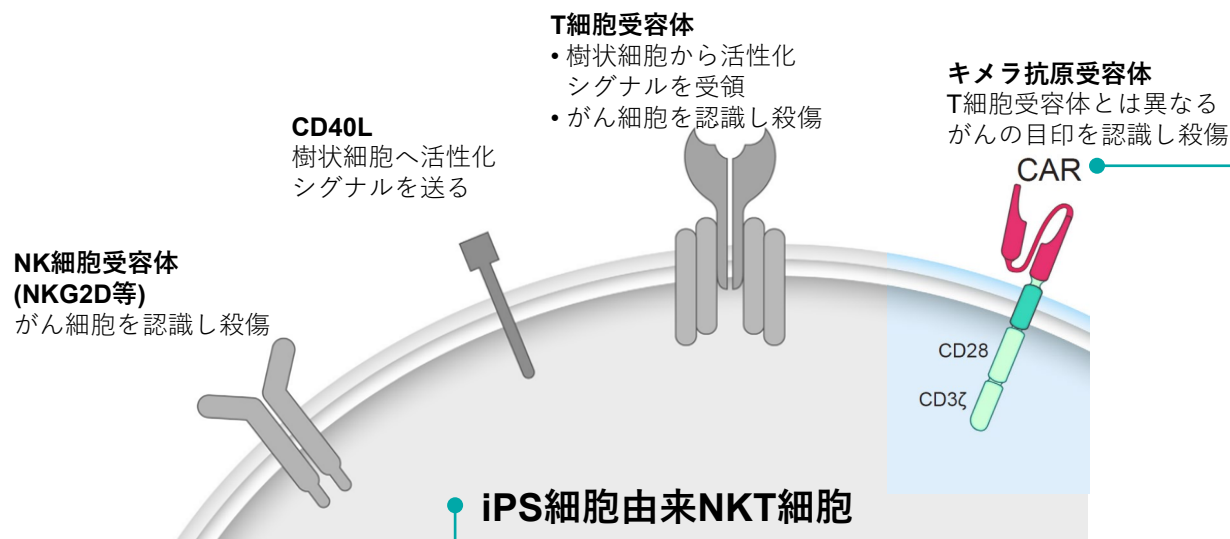
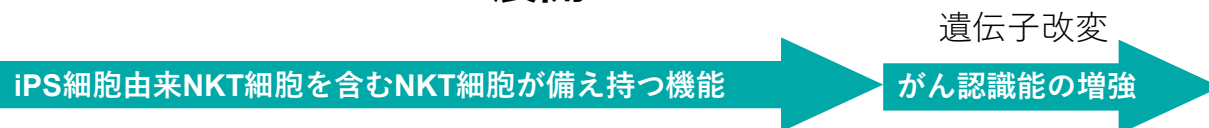
- iPS細胞から作製した**NKT細胞**を用いる



- 他家(CAR-)NKTが、患者の体内で患者自身の細胞傷害性T細胞を活性化させるところに、NKTを用いる最大のメリットがある
- 今ある他家細胞療法の弱点である抗腫瘍効果の持続性の問題を解決する可能性をもつ

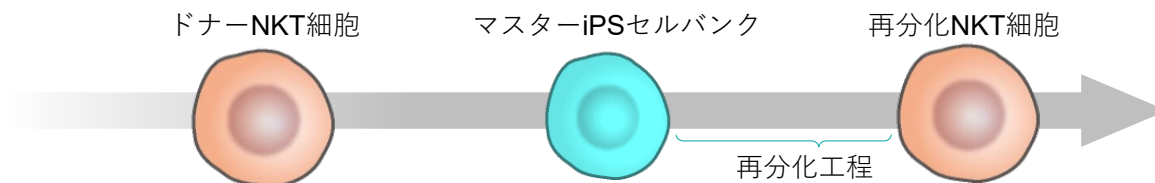
BP2201 (続)

■ CAR-iPSNKTへの展開



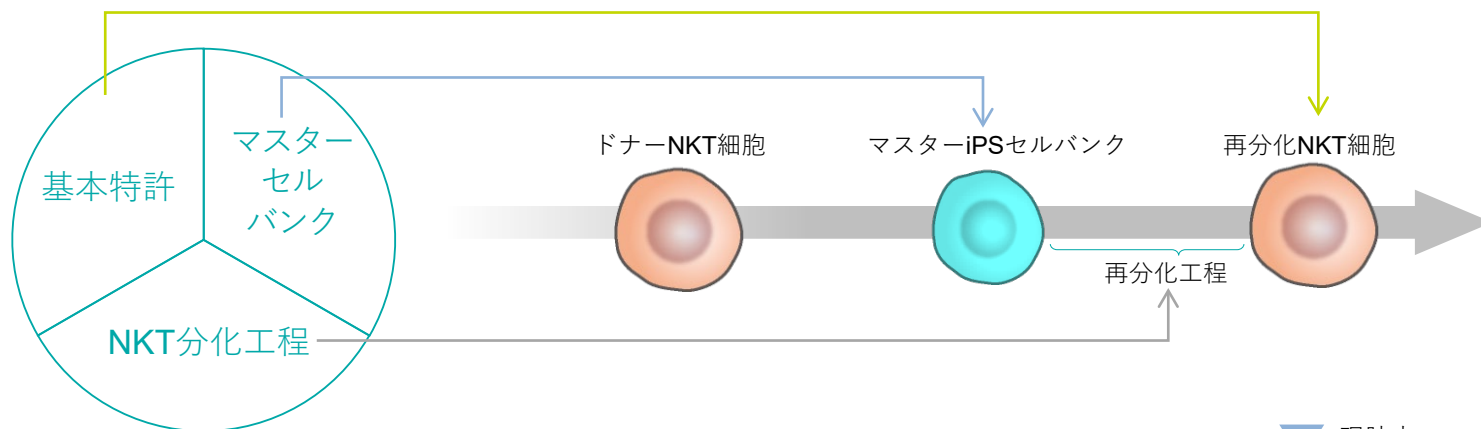
細胞傷害性T細胞を誘導する機能を有するiPS-NKT細胞に、がんの認識能を高めるキメラ抗原受容体(CAR)を付加し、がんの直接傷害能を高める

iPS細胞テクノロジーが、希少なT細胞集団であるNKT細胞を、培養過程での疲弊/機能喪失を起こすことなく大量複製することを可能に

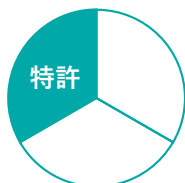


BP2201 (続)

■ iPS-NKTプラットフォーム



● 構築の過程



- iPS細胞から作製したNKT細胞を他家細胞療法に使用する権利
- iPS-NKT細胞療法を実質的に世界(日米欧で登録済)で唯一展開可能



- 世界で初めて人に投与され臨床上の安全性が確認される過程にあるiPS-NKT細胞を大量複製する親細胞(マスターiPSセルバンク)の独占使用权



- 医薬品産業上の要請を満たす形式で、iPS細胞から機能を維持したNKT細胞を純度高く大量に分化させる製造ノウハウ



■ グローバル開発製造販売権の導入オプション契約締結



■ グローバル3拠点(日米欧)で特許登録



- マスターiPSセルバンクから作製したNKT細胞の臨床上の安全性確認

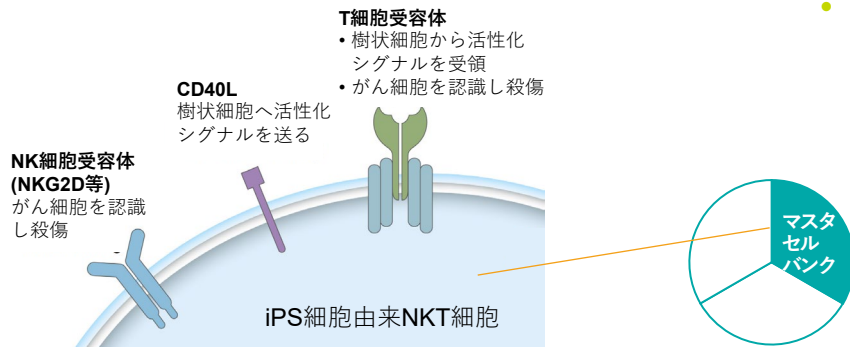


- 高増殖 x 高純度の目標水準達成(ラボレベル)

BP2201 (続)

■ 非改変iPS-NKT(非CAR導入)

- 第 I 相臨床試験(医師主導治験)継続中



- iPS由来NKT細胞が初めて人に投与される本治験(First-in-human試験)で臨床上の安全性における問題は報告されていない



第 I 相臨床試験

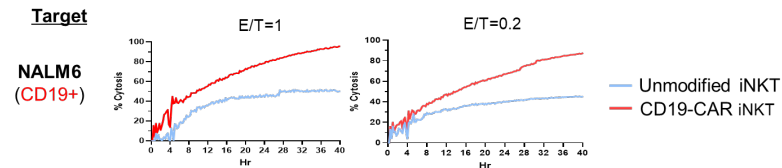
- マスターiPSセルバンクから作製したNKT細胞の臨床上の安全性確認

■ CAR-iPSNKT

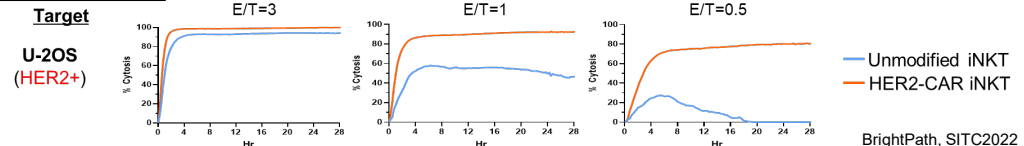
- プロトタイプCD19(血液がん標的)/HER2(固形がん標的) CAR-NKTを研究報告

- In vitroでの用量依存的抗腫瘍効果を確認

a) CD19-CAR iNKT



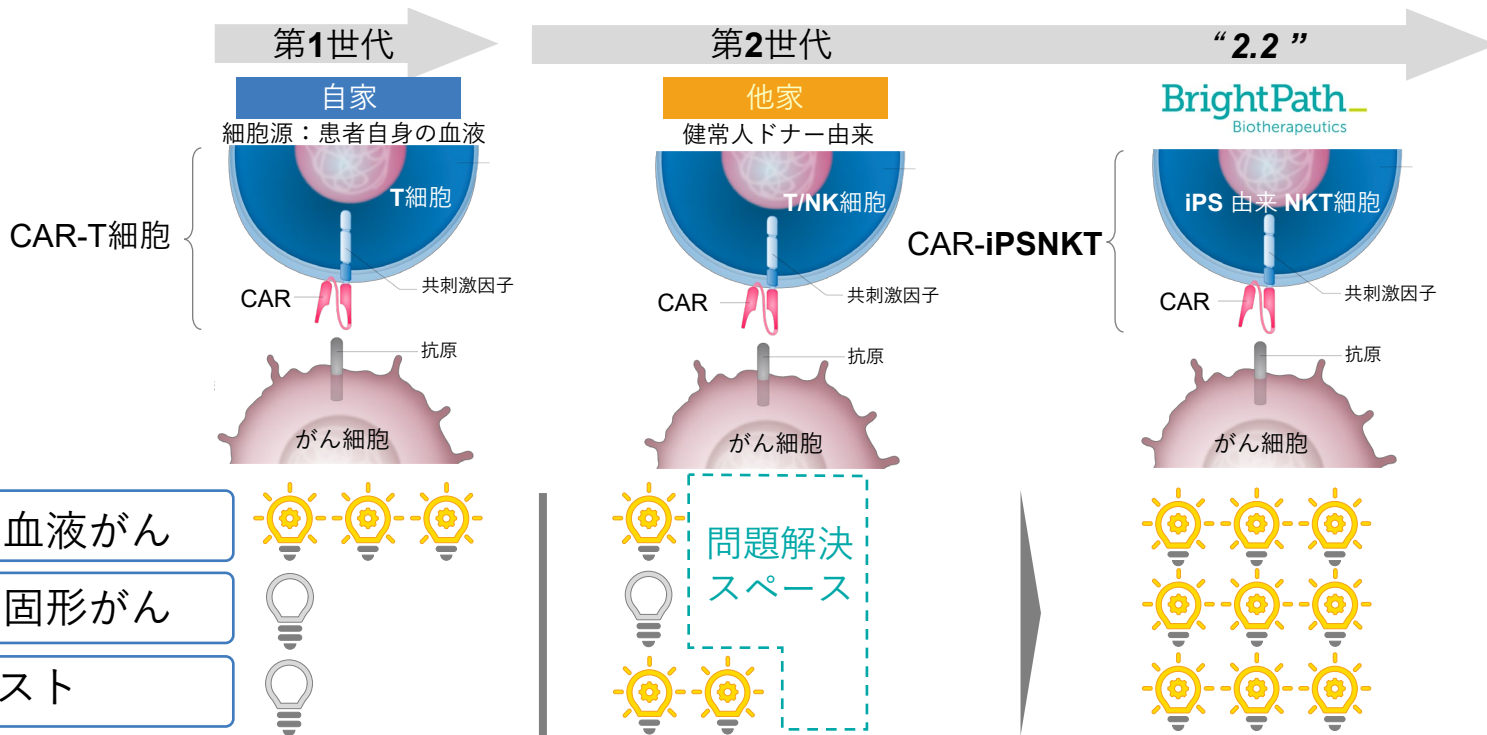
b) HER2-CAR iNKT



BrightPath, SITC2022

BP2201 (続)

■ 世界のCAR-T開発の状況



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

上市CAR-T製品



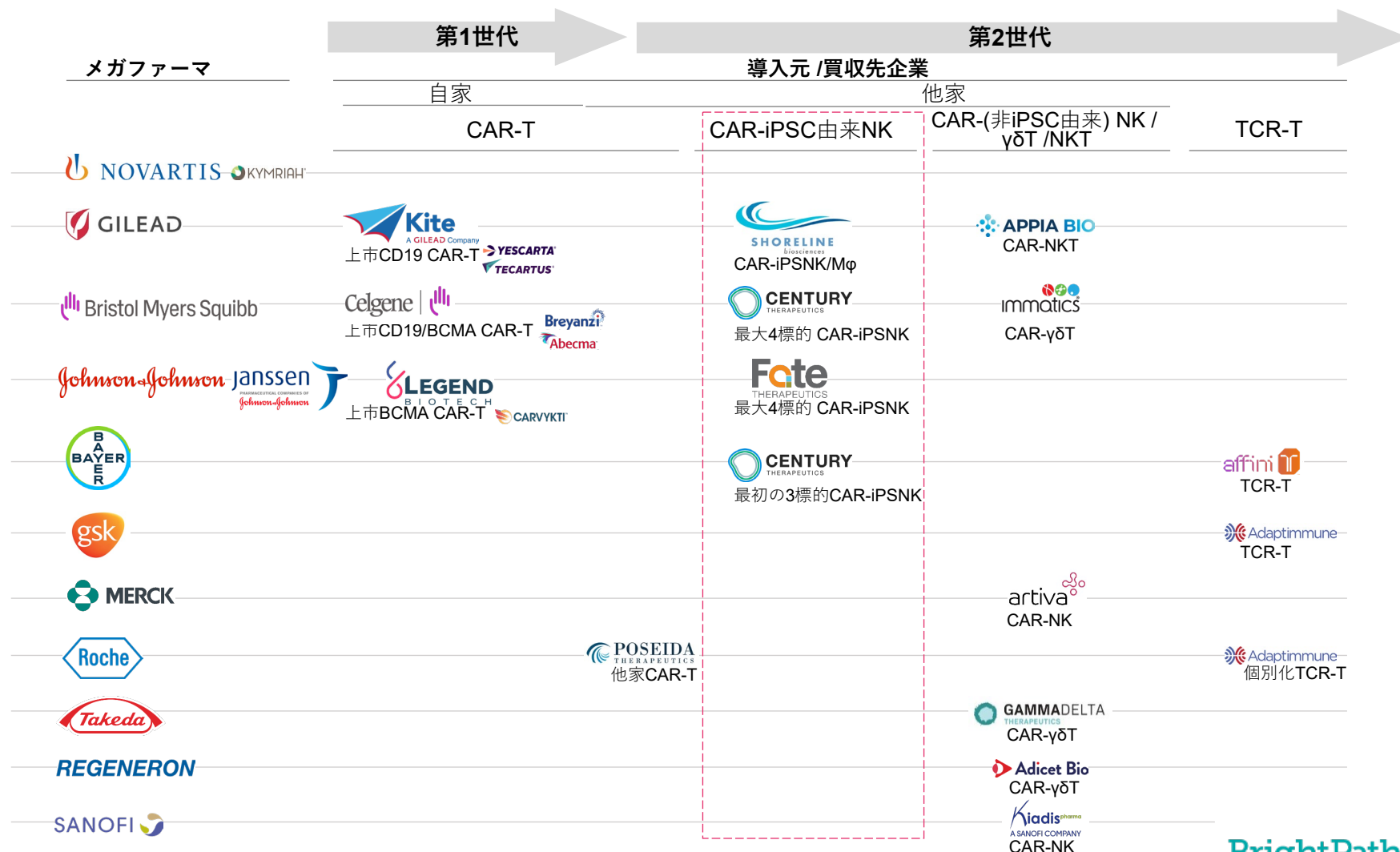
- 先行品において顕在化している問題点: 臨床効果の持続性

- 他家(CAR-)NKTによって患者の体内で活性化された患者自身の細胞傷害性T細胞が持続性をもたらす

BP2201 (続)

■ CAR-iPSNKTのポジショニング

- 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



BP2201 (続)

■ iPS-NKTプラットフォームのフランチャイズ展開



● iPS-NKベース企業の展開との比較

(治験開始の年)		血液がんCAR標的			固形がんCAR標的			メガファーマの関与
企業	非改変	CD19	BCMA	CD38	EGFR	GPC3	MICA	
iPSNK	Fate Tx	2018	2020	2021			2022	■ 2020.4 J&J (Janssen) 4標的までCAR-NK発注 *1)
	Century Tx	n.a.	2022		2023			■ 2019.7 Bayer 設立参画(最初の3標的) ■ 2022.1 BMS 4標的までCAR-NK発注
	Cytovia Tx	2021		2024	2024	2024		*1) 2018.9 小野薬品 (2標的まで発注) →2022.11 HER2 CAR-iPST 導入オプション行使
iPSNKT	BrightPath Biotherapeutics	2020 (理研)						

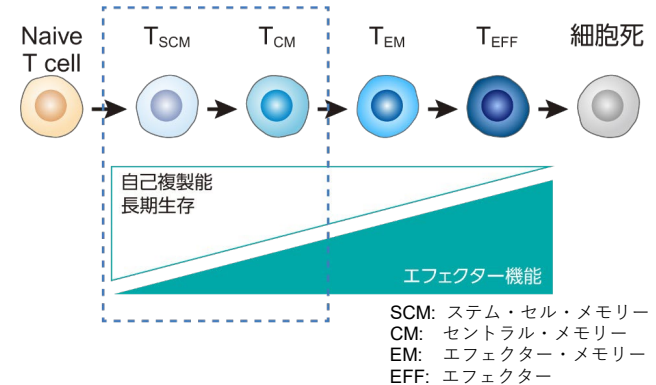
出所：各企業

BP2301 (HER2 CAR-T)

■ 固形がんのハードルを乗り越えるために、*piggyBac*法によるCAR遺伝子導入で幹細胞用様フェノタイプのHER2 CAR-Tを製造することに成功

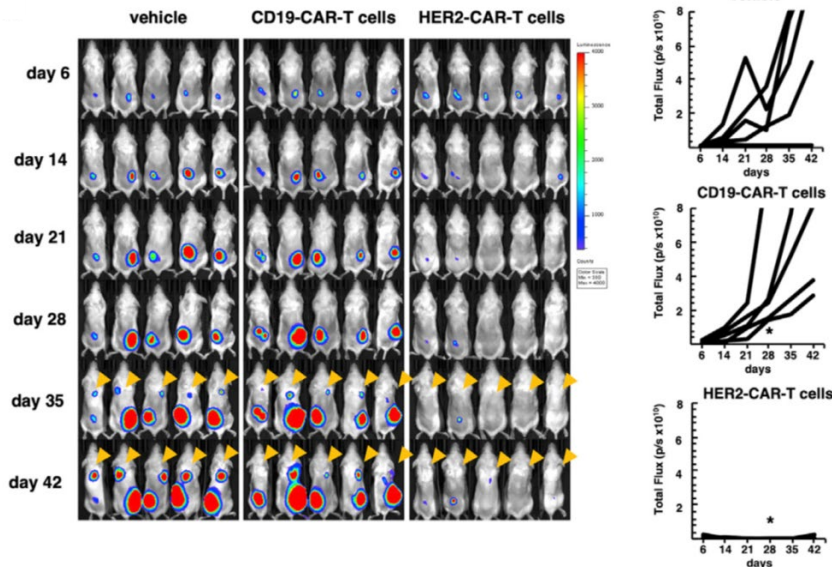
- 血液がんでは目覚ましい開発成功を収めたCAR-T細胞療法も、固形がんでの成功例はまだ無い
 - CAR-T細胞が体内でがんに対峙したとき、免疫抑制的な腫瘍微小環境において増殖せず、すぐに疲弊し機能しなくなることが原因
- 非ウイルス遺伝子導入法(*piggyBac*法)と新規細胞培養法(特許共同出願中)により幹細胞様のT細胞の製造を可能にした

■ T細胞の分化とフェノタイプ(免疫表現型)

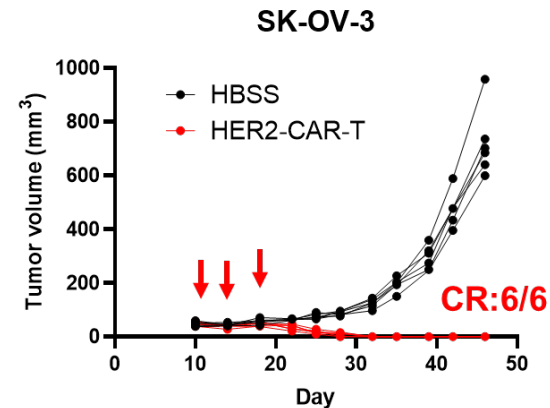


- 幹細胞様HER2 CAR-Tは動物モデルにおいて強力な抗腫瘍効果を示している

■ 骨肉腫マウスモデル(腫瘍再移植生着抑制試験)



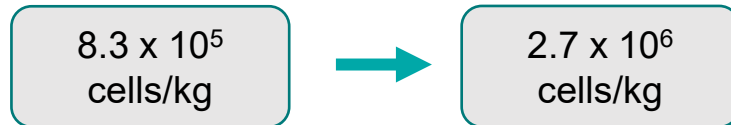
■ 卵巣がんマウスモデル(腫瘍縮小試験)



BP2301 (続)

■ 2022.5.6 First in human臨床試験開始 (医師主導治験)

- 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 (BP2301-001)
- 再発または進行骨軟部肉腫または婦人科がん対象
- 試験デザイン
 - 3 + 3用量漸増試験(最大12症例)

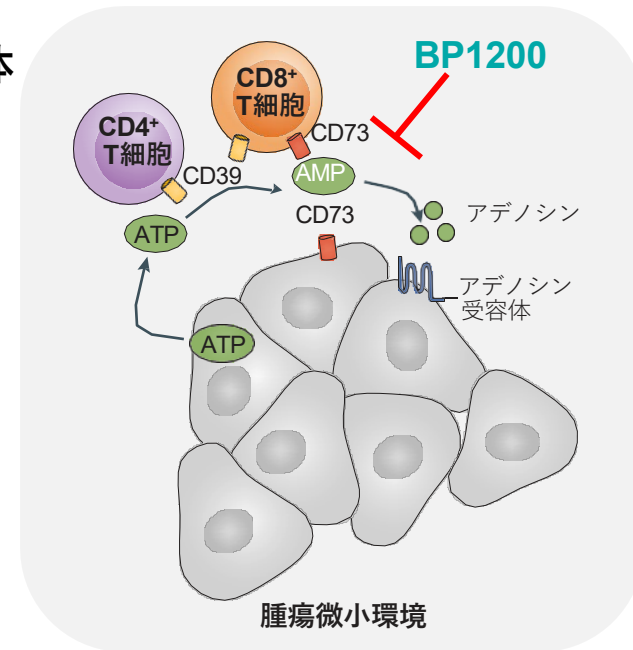


- 主要目的: 忍容性と安全性の評価
- 副次目的: CAR-T細胞の体内での増殖および維持の評価
有効性の探索的検討
- リンパ球除去化学療法: 3 日投薬
FLU 25 mg/m² + Cy 250 mg/m²

BP1200 (抗CD73抗体)

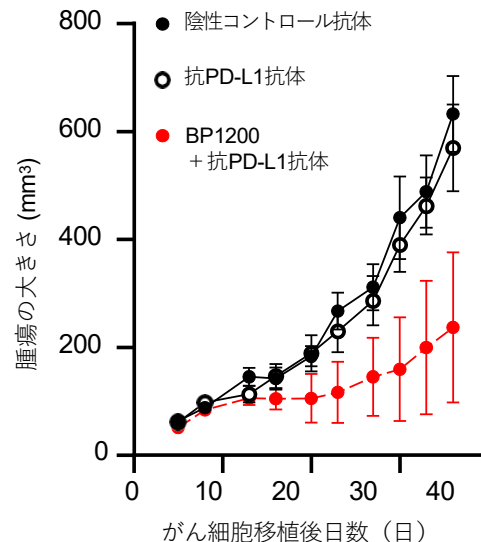
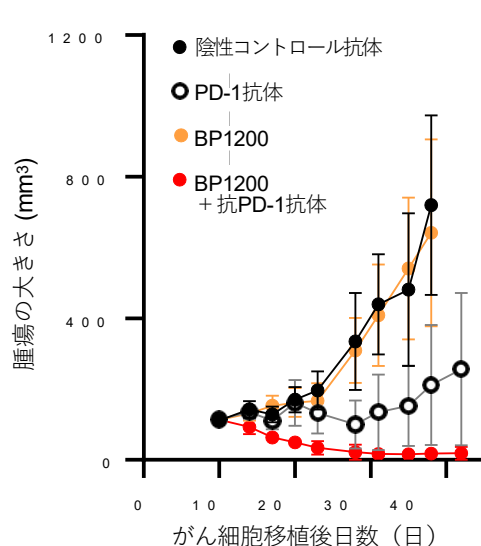
■ ベスト・イン・クラスとなるヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- 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

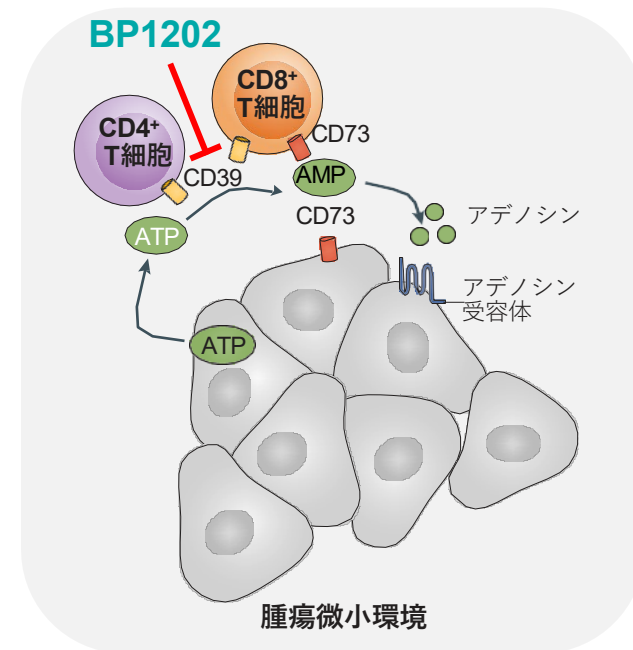
■ BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制



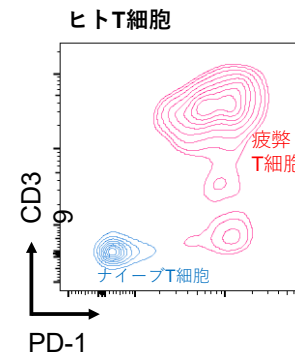
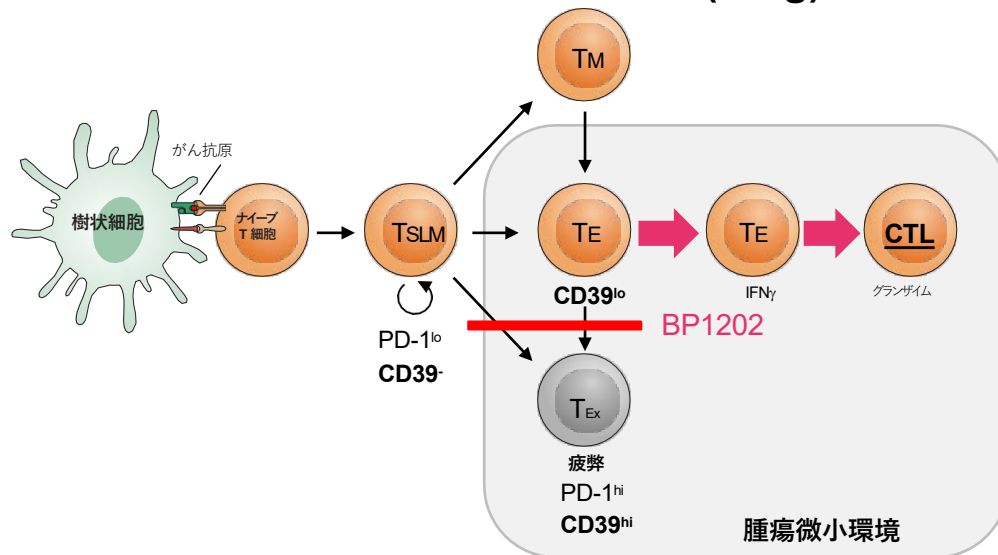
BP1202 (抗CD39抗体)

■ 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



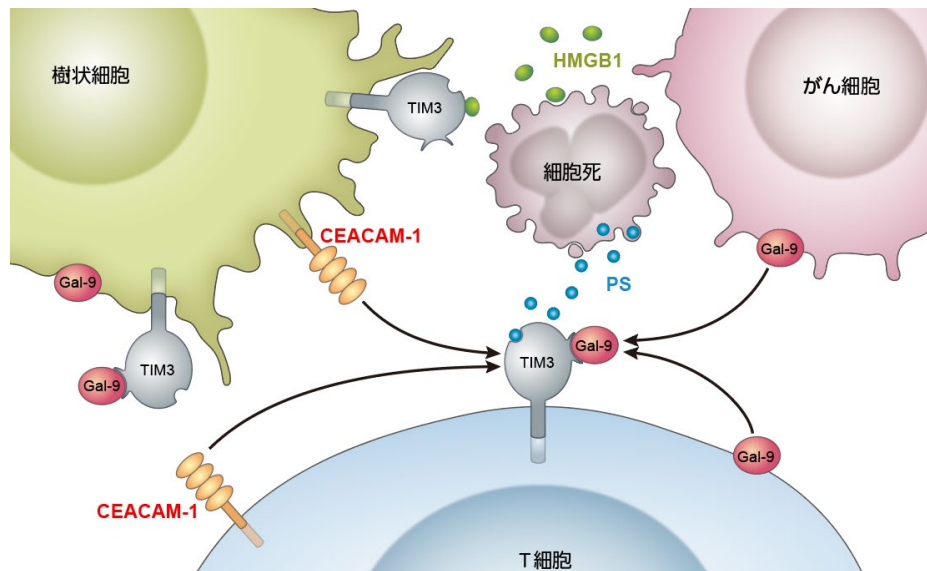
■ CD39は疲弊T細胞と制御性T細胞(Treg)で高発現



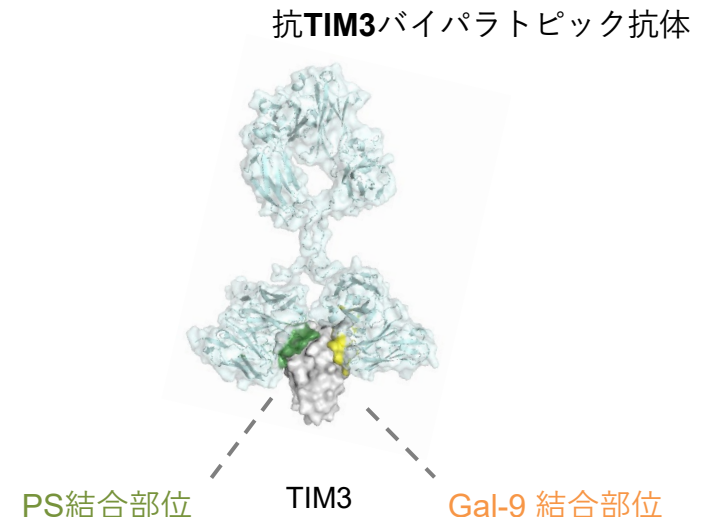
BP1210 (抗TIM3抗体)

■ がん免疫を抑制する免疫チェックポイント分子TIM3を制御するバイパルトピック抗体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
- バイパルトピック抗体BP1210はTIM3のすべてのリガンド結合サイトを阻害



* 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)



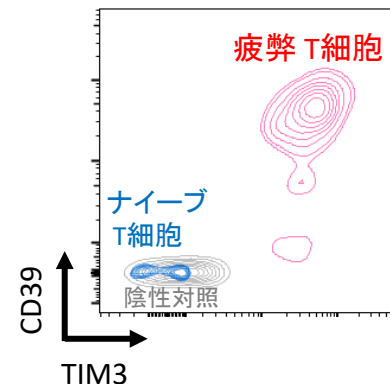
BP1212 (抗CD39 x 抗TIM3)

■ ファースト・イン・クラスとなる二重特異性抗体BP1212

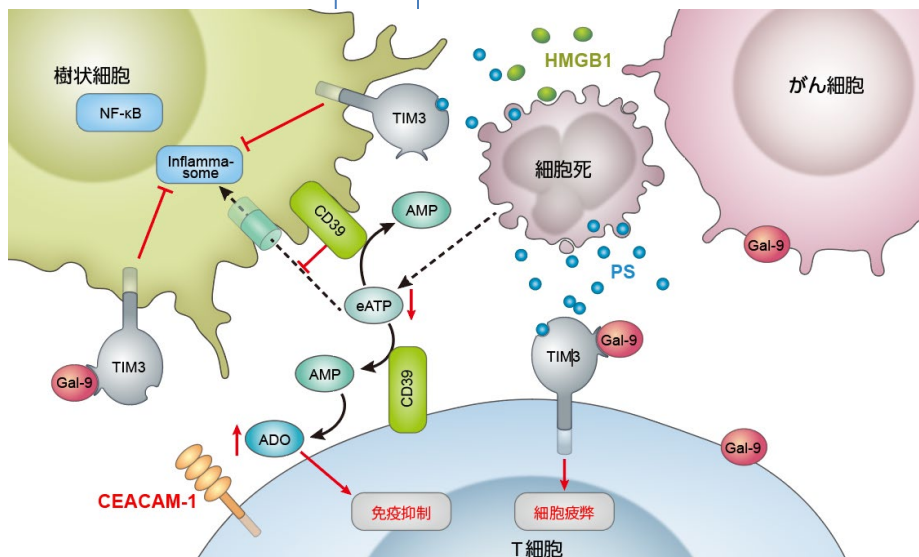
- CD39, TIM3共発現T細胞と樹状細胞を標的とする

CD39: 腫瘍免疫を活性化する細胞外アデノシン三リン酸(eATP)を分解してアデノシンを産生し、腫瘍微小環境を免疫抑制状態に

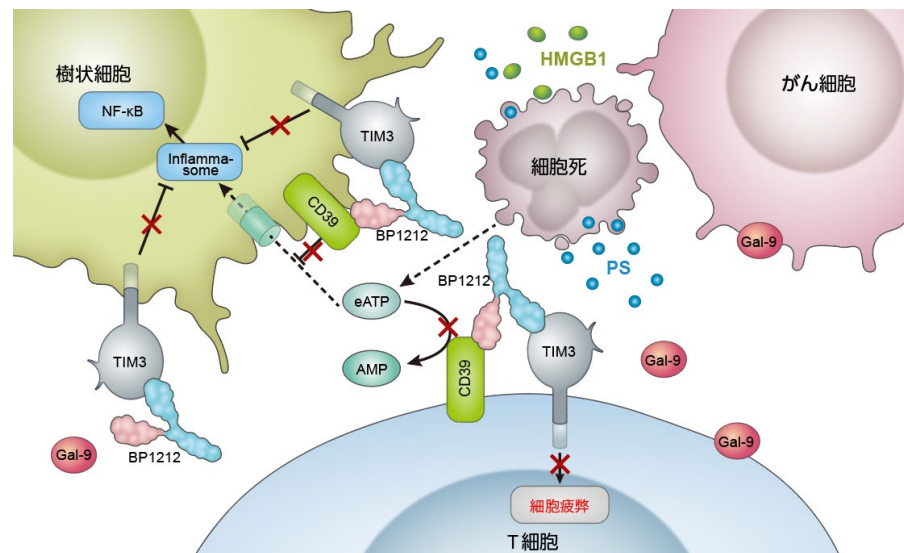
TIM3: 活性化T細胞と樹状細胞に発現し腫瘍局所でのT細胞の疲弊と抑制を増進



- BP1212はこれらの免疫抑制機構をブロックし、強い抗腫瘍効果を誘導

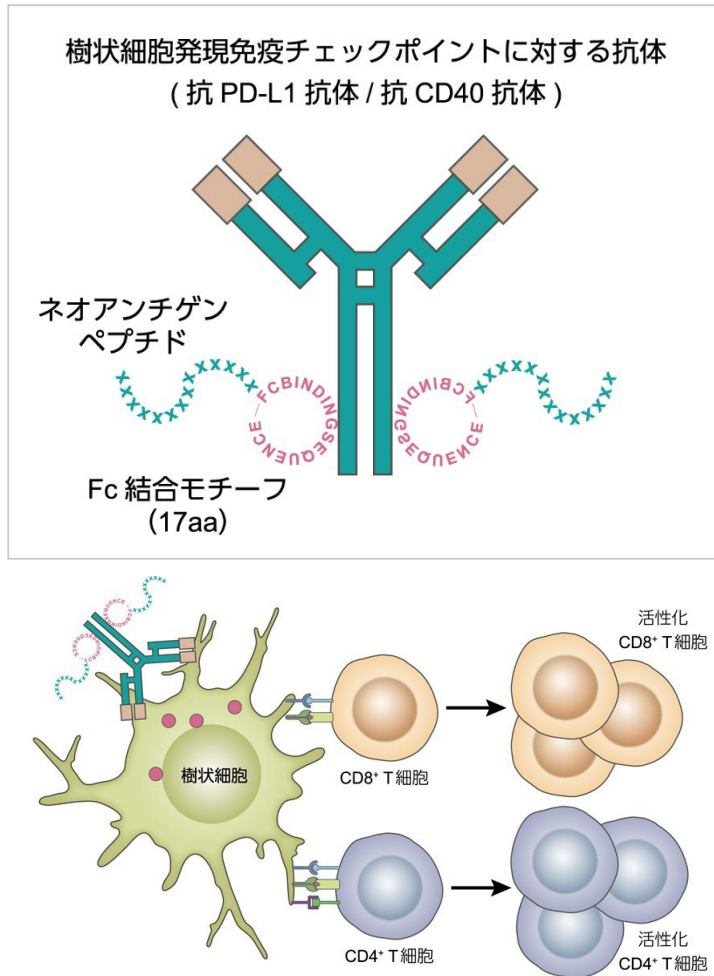


CD39とTIM3は、腫瘍細胞殺傷を担う活性化T細胞と抗原提示細胞に同時に発現して抗腫瘍免疫を抑制する分子群

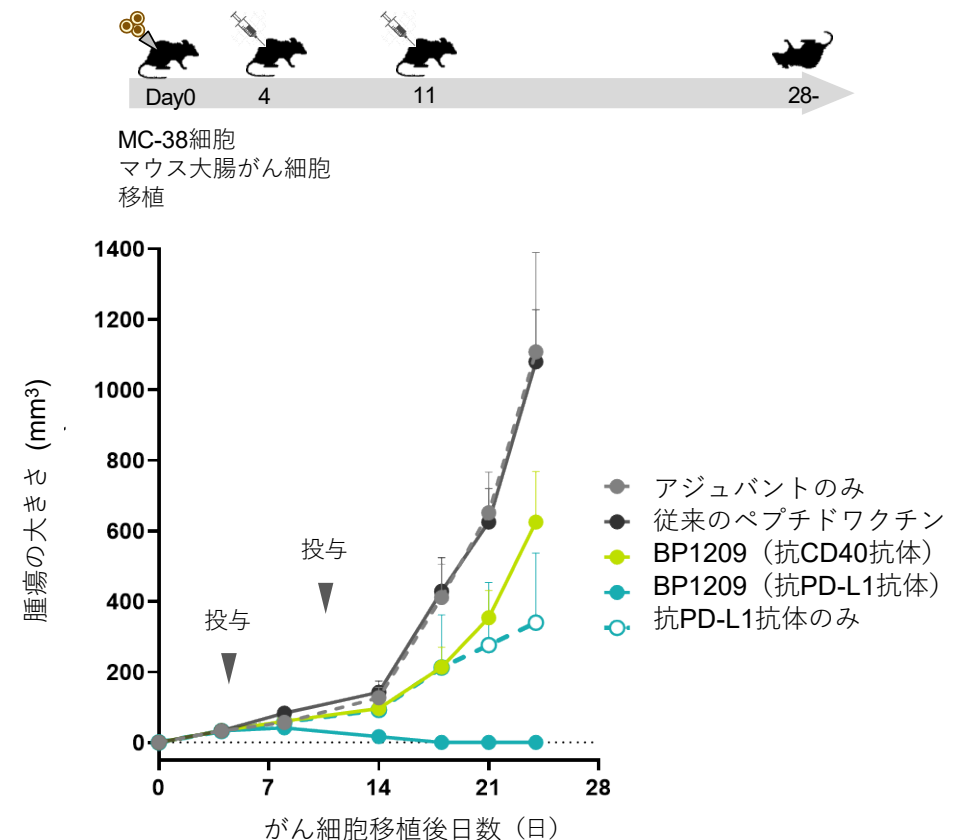


BP1209 (個別化ネオアンチゲンワクチン)

- 樹状細胞に結合し免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体にネオアンチゲンワクチンを結合させ、抗体によるワクチンのリンパ節への送達を高めた新規個別化ネオアンチゲンワクチン・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ワクチン



[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 : 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 243百万円 (2022年9月末現在)

社員数 36名 (2022年9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 (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



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



BrightPath

Biotherapeutics

私たちは、がん免疫治療分野の最先端を切り拓くことにより、
一人ひとりが自らの力でがんを克服する世界を実現します