

# 事業計画及び成長可能性に関する事項

---

2025年 6月27日  
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。
- 本資料の更新は毎年6月下旬に行う予定です。



# 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

2023年5月  
会社創立20周年

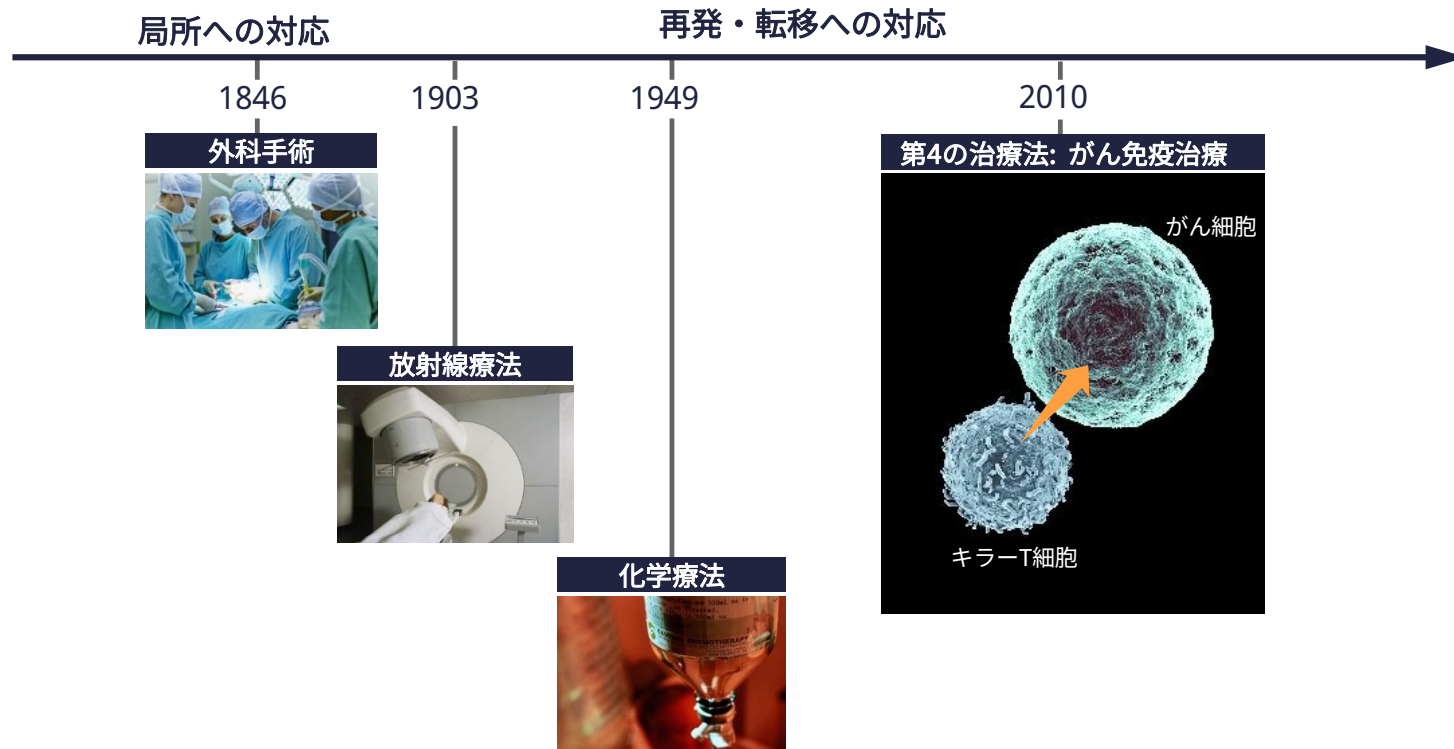
# ビジネスモデル

---

# 開発領域

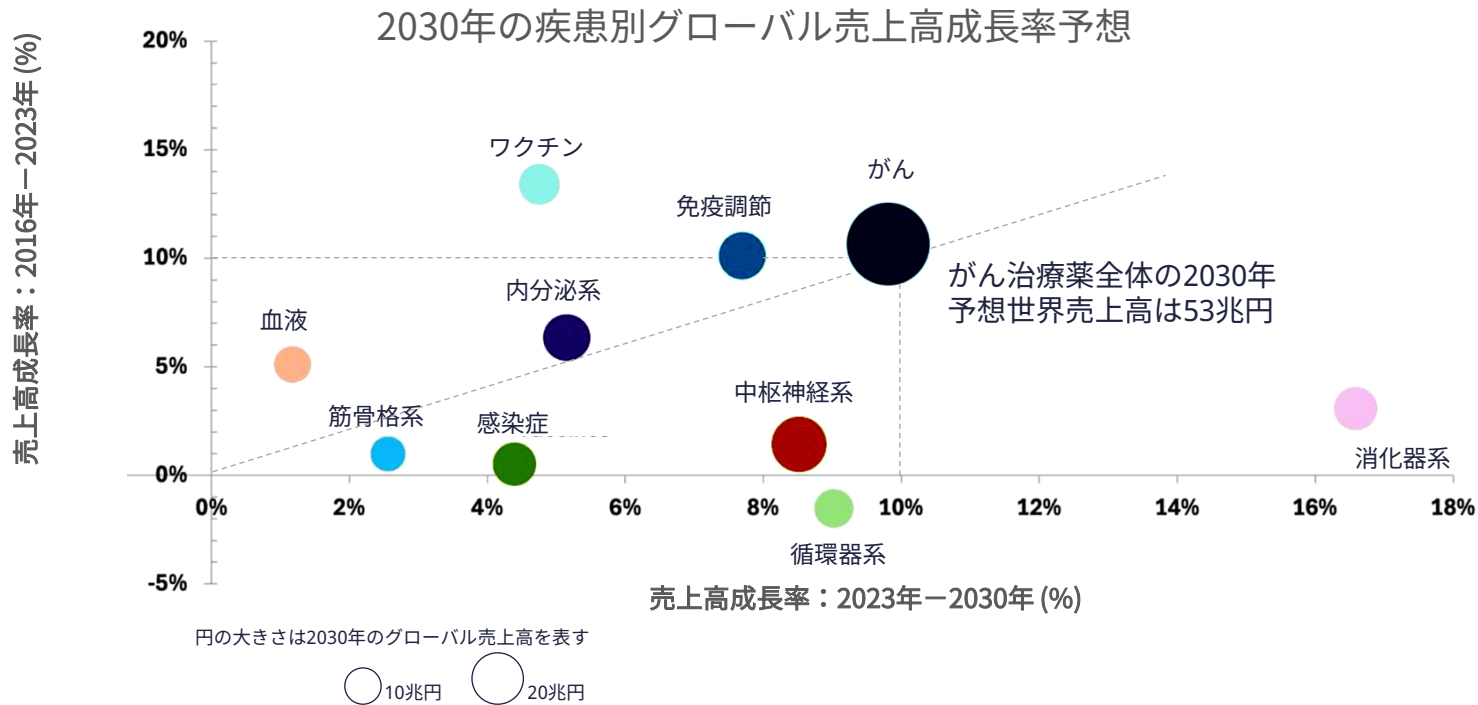
## ■ がん治療薬の開発に特化

### がん治療法の拡がりの歴史



# 開発領域の市場規模と成長率

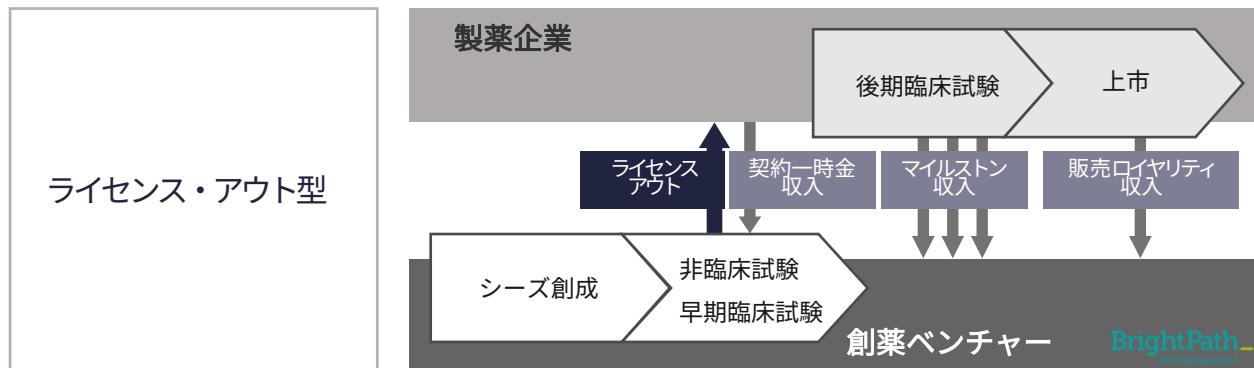
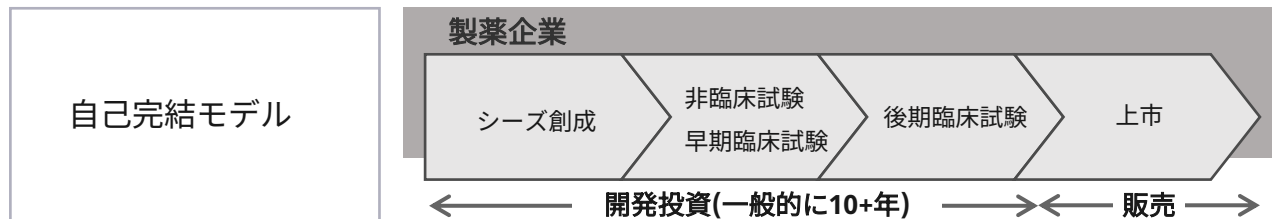
■ がん治療薬は引き続き、高い市場規模と市場成長率が予想されている



EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2024 (July 2024)

# ビジネスモデルと収益構造

- 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で、現在は開発投資先行期間



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、開発投資先行期間を短縮し早期収益化

- 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

# 開発の進捗状況

---

# 開発パイプライン

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
<b>細胞医薬</b>						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2202	BCMA CAR-iPSNKT	多発性骨髄腫				
BP2301	HER2 CAR-T	骨軟部肉腫 婦人科がん				
<b>抗体医薬</b>						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM-3					
BP1212	CD39×TIM-3					
BP1223	CD39×CD3	急性骨髄性白血病				
<b>がんワクチン</b>						
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

# 開発パイプライン変更点

変更	開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
	細胞医薬	BP2202	BCMA CAR-iPSNKT (標的開示)	多発性骨髄腫			

- 多発性骨髄腫に多く発現するBCMA（B細胞成熟抗原）を標的とするiPS細胞由来BCMA CAR-NKT
- 当社の新規他家CAR-Tプラットフォームの最初の製品

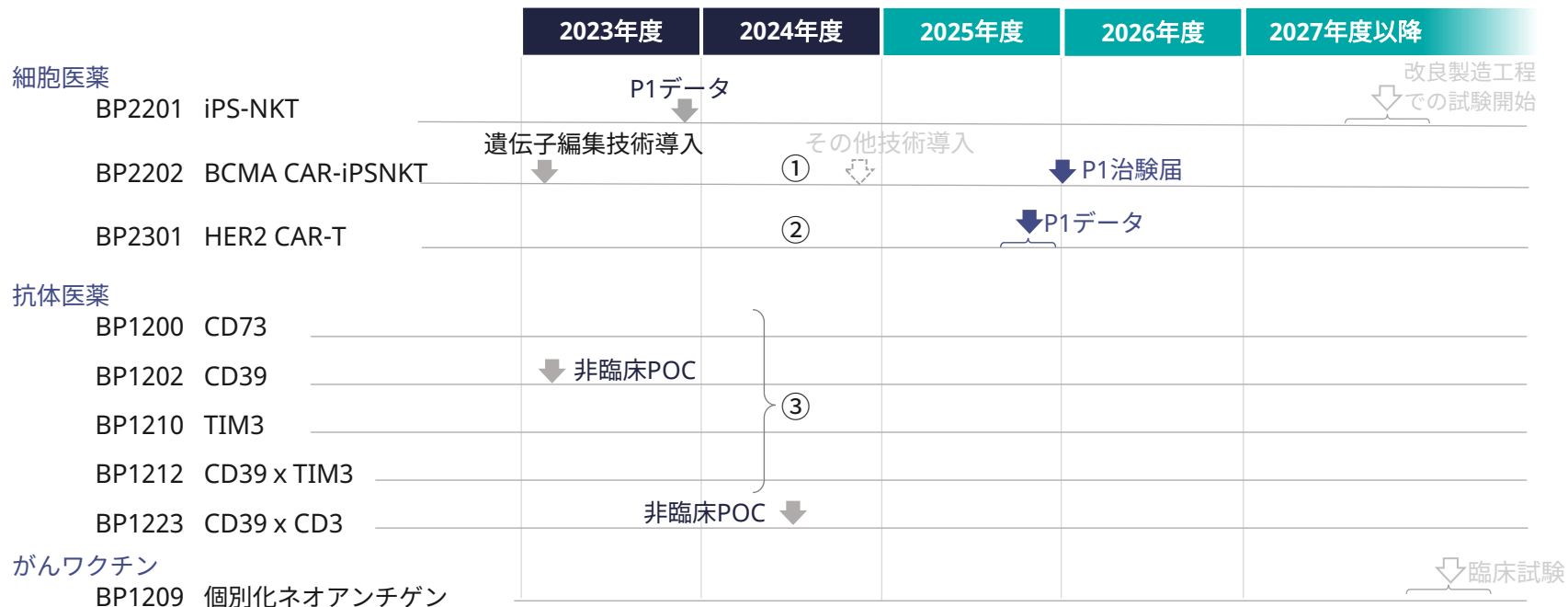
追加	開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
	抗体医薬	BP1223	CD39 x CD3 (T細胞エンゲージャー)	急性骨髄性白血病			

- 急性骨髄性白血病細胞に多く発現するCD39を標的とし、同細胞を殺傷するために、抗腫瘍効果をもつT細胞を近づける役割をもつ抗体
- がん細胞が発現するCD39とT細胞が発現するCD3の双方に結合することによって、T細胞をがん細胞に近づけることができる

# イベント

## 2024年度通年ハイライト:

- ① BCMA CAR-iPSNKT (BP2202) のマスターiPS細胞株の作製とNKT細胞への分化誘導工程(製造工程)のCDMOへの移管が進展
- ② HER2 CAR-T (BP2301) の臨床試験（信州大学付属病院での医師主導治験）が進展
- ③ 抗体医薬パイプライン(BP12xx) の導出活動継続中



# 個別の開発パイプラインの概要

---

## 進捗ハイライト

### ■ 第I相臨床試験(First-in-human試験)で初期的な安全性と臨床活性を確認 (2023年)

- 理化学研究所創成シーズであり、千葉大学医学部附属病院にて、日本医療研究開発機構 (AMED) の支援を受けながら、iPS細胞由来NKT細胞(iPS-NKT)の世界初の臨床応用となる第 I 相臨床試験が、複数の前治療歴を経た難治性の再発・標準療法抵抗性頭頸部がん患者を対象に実施され、主要評価項目である忍容性および安全性に問題がないこと／初期的な安全性と臨床活性を確認することができた

- 全10例中: 低用量 ( $3 \times 10^7$ 個/ $m^2$ ) 3例、高用量 ( $1 \times 10^8$ 個/ $m^2$ ) 7例 / 3回投与 6例、2回 3例、1回 1例
- 高用量群の1例で、薬疹による用量制限毒性 (DLT: Dose Limiting Toxicity) が発現したものの、低用量および高用量ともに忍容性が認められ、最大耐用量 (MTD: Maximum Tolerated Dose) は高用量の $1 \times 10^8$ 個/ $m^2$ と推定された
- 最も多く観察された治験関連有害事象\*1 (trAE: treatment related adverse event) は、グレード1\*1または2の発熱 (低用量群1例、高用量群4例)
- 2回以上投与された症例における腫瘍の大きさの変化
  - 低用量群: 安定(SD: stable disease) 1例、進行(PD: Progressive Disease) 2例  
→ 病勢コントロール率(DCR: Disease control rate) 33.3%
  - 高用量群: 安定(SD) 4例、進行(PD) 1例、評価不能(NE: Not Evaluable) 1例  
→ 評価可能であった症例における病勢コントロール率(DCR) 80%
- 高用量群では腫瘍縮小傾向を示唆する症例も見られ、初期的な安全性と臨床活性を確認することができた

出所: 第13回CD1-MR1国際学会 本橋新一郎教授(千葉大学大学院 医学研究院 免疫細胞医学), 2024.3.4. ブライトパス・バイオ

### ■ 非遺伝子改変iPS-NKT細胞を土台とする、新規の他家CAR-T細胞療法プラットフォームの構築が可能となった

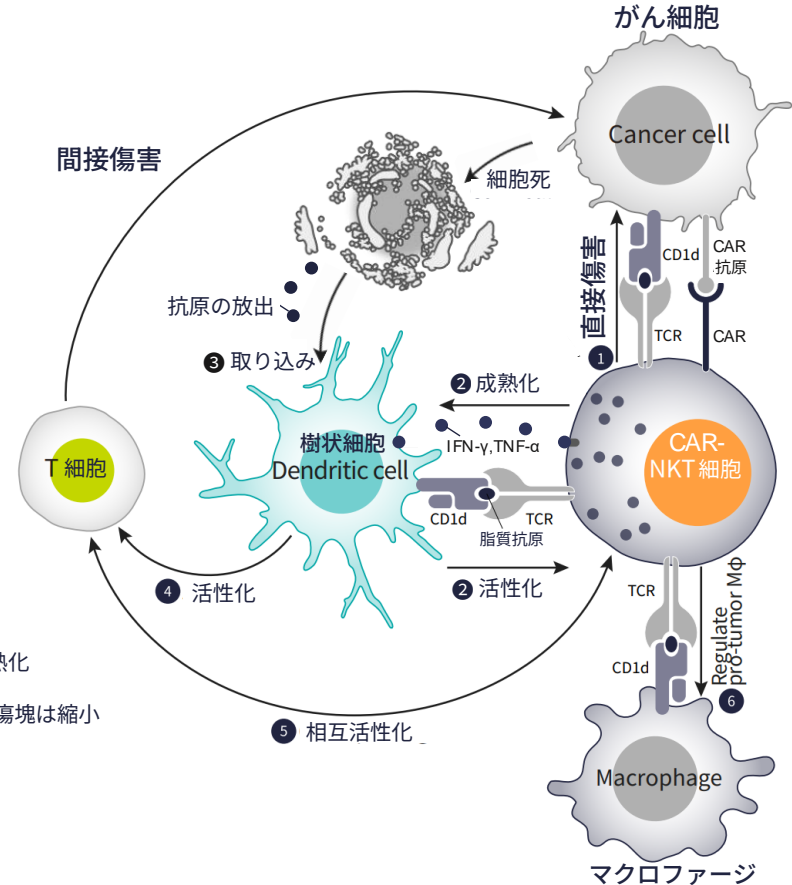
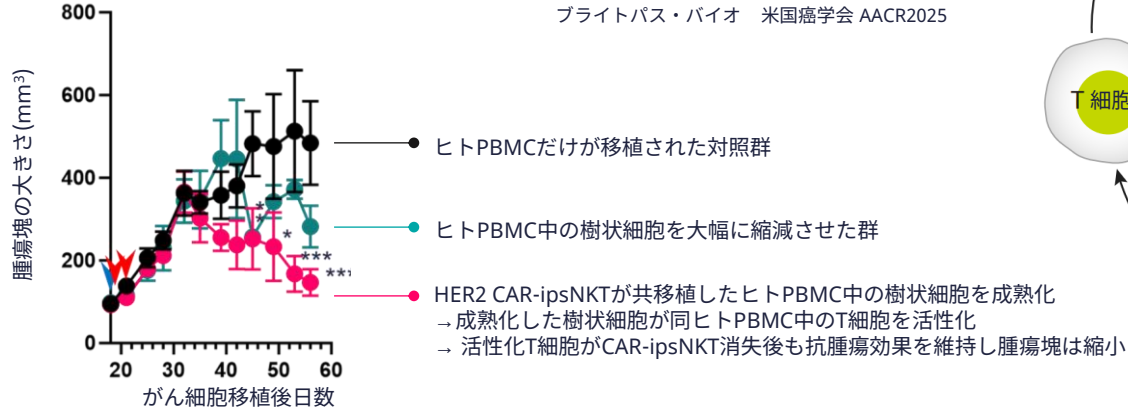
# BP2202 (iPS細胞由来BCMA CAR-NKT)

## BP2202の開発コンセプト

- 他家CAR-T細胞療法のT細胞として、通常のT細胞とは異なる特性をもつナチュラル・キラーT (NKT) 細胞を用いる
- CAR-NKT細胞にがん細胞を直接傷害させるとともに、かつNKT細胞の患者体内の免疫細胞を活性化させる機能を活用して、2次的ながん細胞傷害を引き出す

### 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

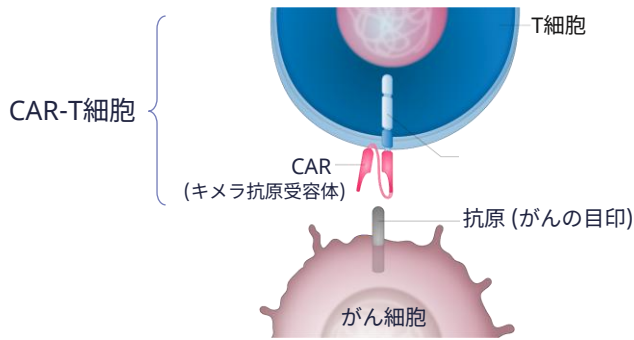
ブライトパス・バイオ 米国癌学会 AACR2025



## CAR-iPSNKTが解決する技術課題

### CAR-T

- 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)



### 開発成功がもたらした企業取引

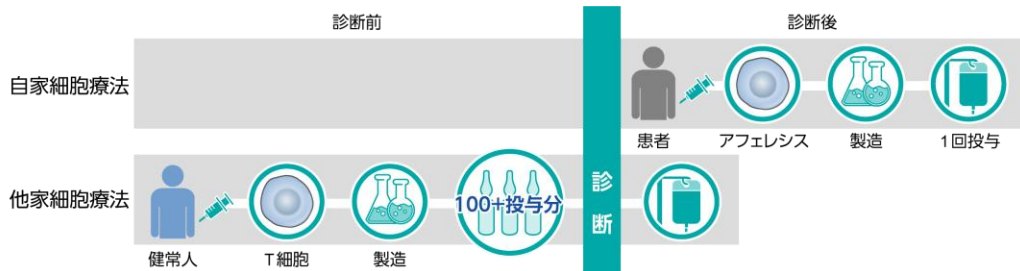
- GILEAD → Kite Pharma 買収 120億ドル(2017)
- Celgene | Bristol Myers Squibb Company → Juno 買収90億ドル(2018)

### 業界全体の取り組み

- 自家 (患者自身の血液) → ■ 他家 (健常人ドナーの血液)

- 一定率で起こる製造失敗
- 長い待機時間
- 製造コスト

- 治療を受けられる確実性
- 待機時間無し



現状、この取り組みはあまりうまく行っていない

患者に投与された他家CAR-T細胞が、患者の免疫システムによって排除され短命に終わるから

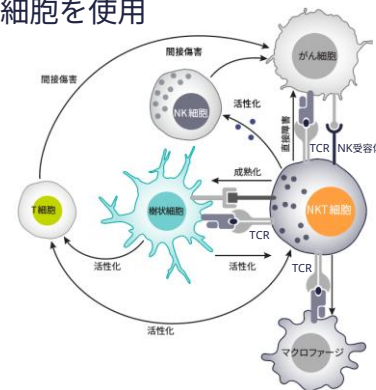
## CAR-iPSNKTが解決する技術課題 (続)

BrightPath\_の「ゲーム・チェンジ」

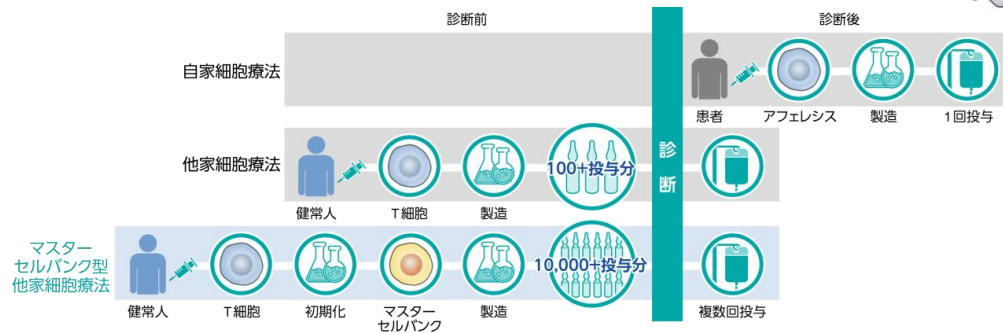
■ T細胞 → ■ iPS細胞（マスターセルバンク化）から分化させたNKT細胞

① 患者体内の免疫細胞を患者体内で活性化させるNKT細胞を使用

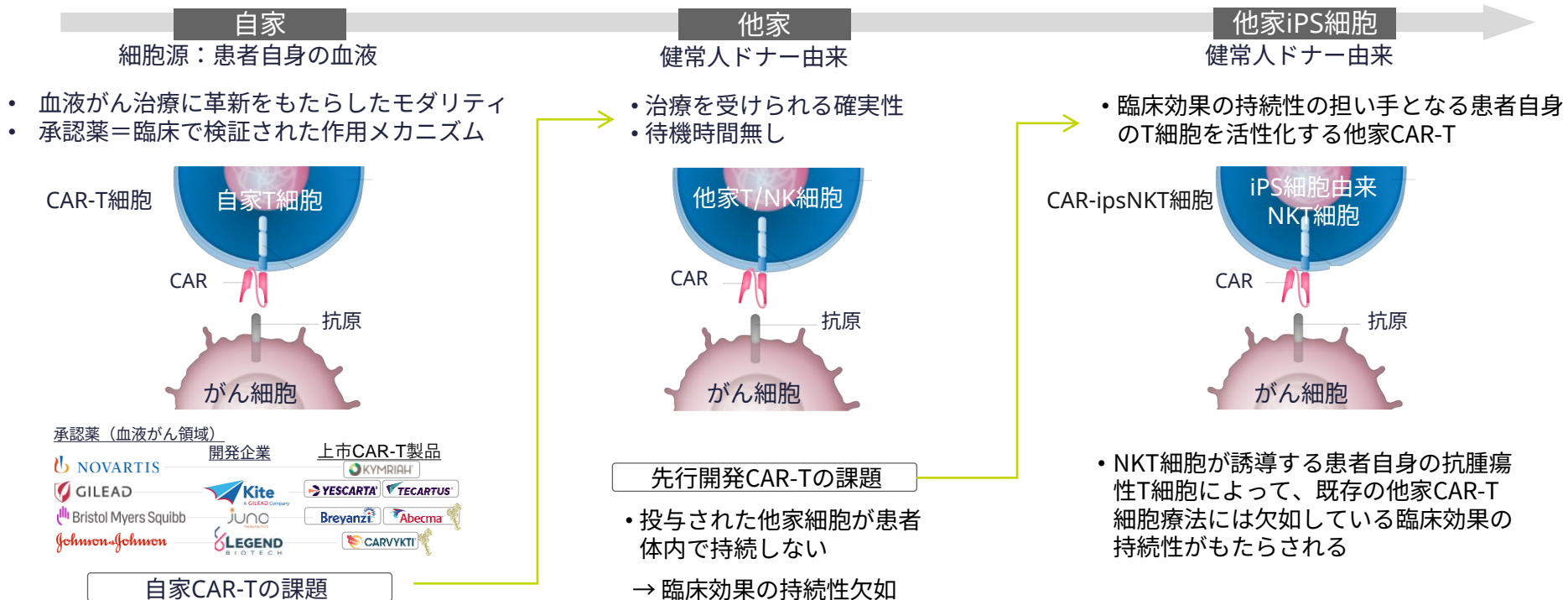
☞ 患者自身のT細胞が臨床効果の持続性をもたらす



② 製造面のハードルをiPS細胞技術によって克服



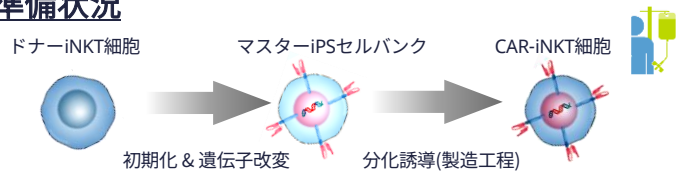
## 事業コンセプト: 他家CAR-Tの課題を解決し、真に自家CAR-Tを置き換え得る他家CAR-Tに



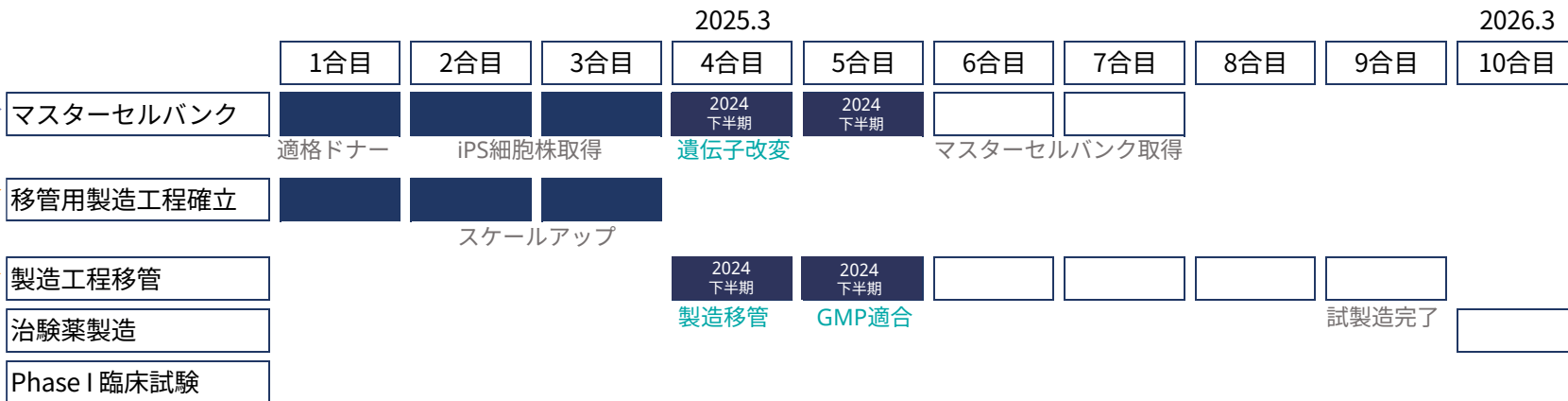
## iPS細胞から作製するBCMA CAR-NKT細胞療法

- 2025年度末を目途に開始する米国臨床試験（対象：多発性骨髄腫）の準備段階

### 準備状況



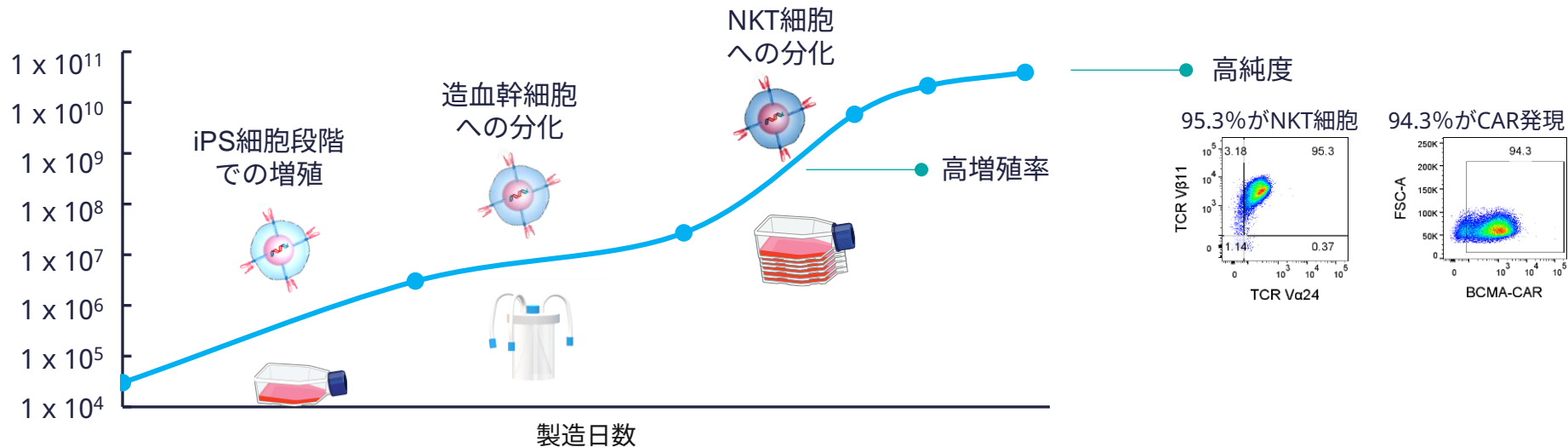
■ 達成  
□ 今後



## 臨床試験に向けての準備状況

- 臨床グレードで、第I相臨床試験の予定症例数 x 1人当たりの投与細胞数を1バッチで確保できる製造工程を構築  
→ CDMOへ製造移管 → CDMOでGMP適合

## 臨床スケールの製造（細胞拡大培養）工程

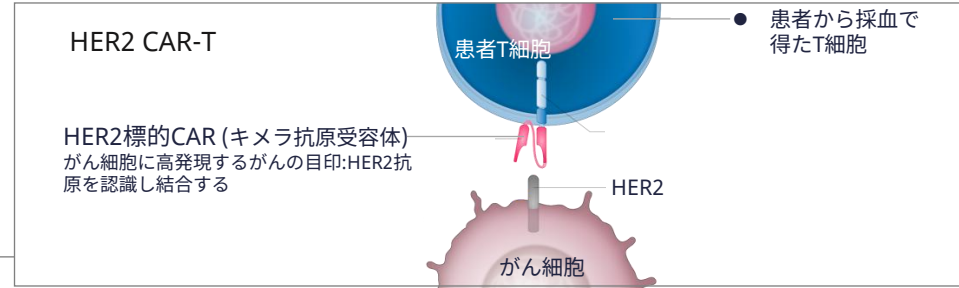
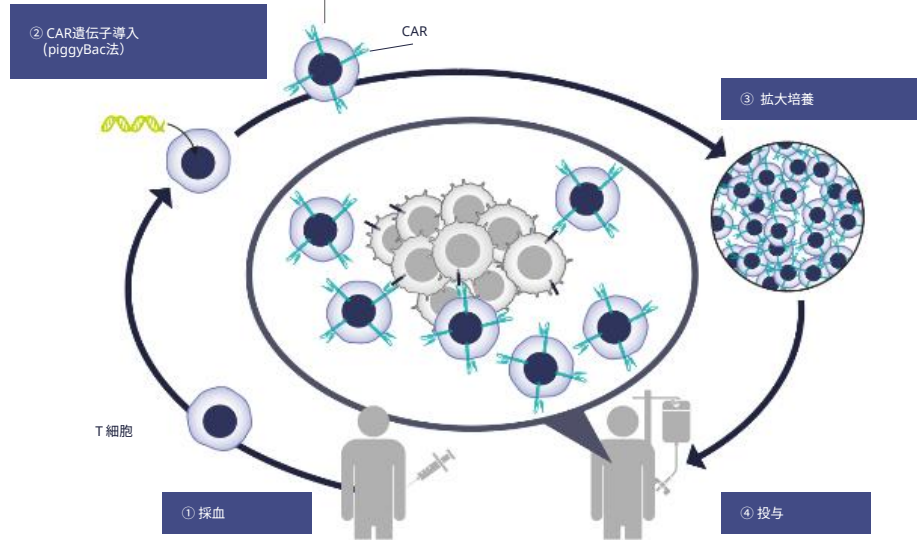


# BP2301(自家HER2 CAR-T細胞療法)

## 新規自家HER2標的CAR-T細胞療法

- 第 I 相臨床試験を2025年度中に完了予定
  - ・対象：HER2陽性骨軟部肉腫及び婦人科悪性腫瘍
  - ・治験実施施設：信州大学医学部附属病院

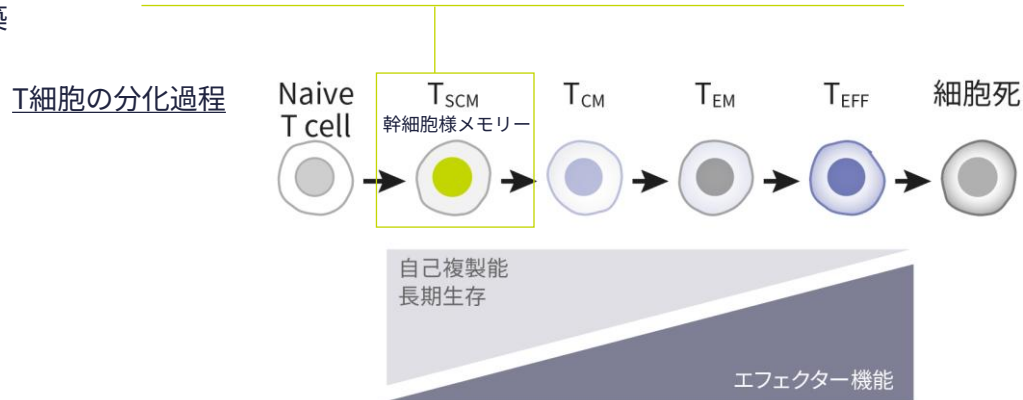
### CAR-T治療フロー



## BP2301の開発コンセプト

### ● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

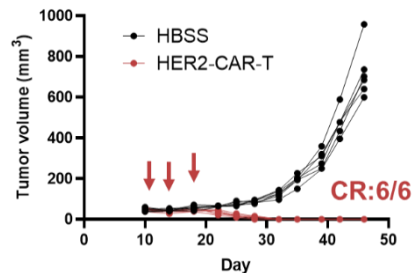
- 免疫抑制的な固形がん腫瘍組織において、すぐに疲弊し無機能化することを免れ、がん細胞を殺傷し続けるCAR-T細胞となる
- 分化をたどるT細胞の中で、若く自己複製能と持続性に長けた幹細胞様メモリーT細胞を多くCAR-T細胞として用いることができるように製造工程を構築



### ● 非臨床コンセプト確認

- 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

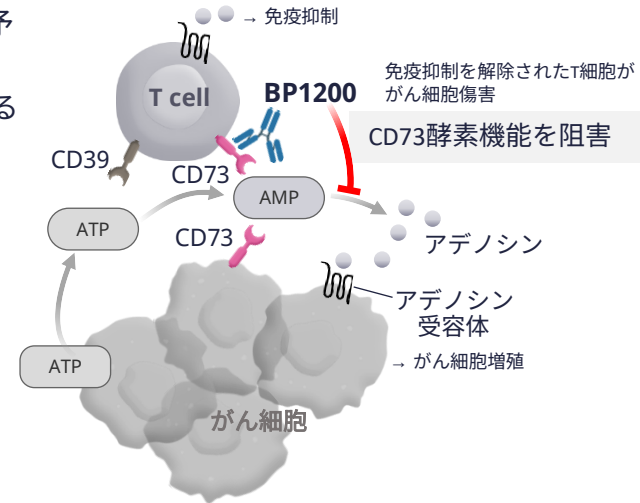


# BP1200 (抗CD73抗体)

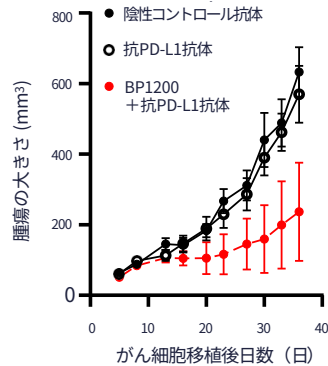
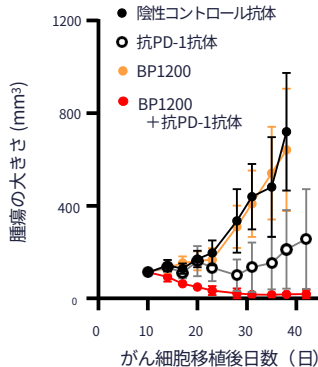
## ■ ベスト・イン・クラスとなる新規ヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- CD73分子は多くの腫瘍で高発現し、酵素活性によりアデノシンの産生に関わる
- アデノシンは、免疫細胞のがん細胞殺傷能力(抗腫瘍活性)を低下させ、がん治療の予後不良を引き起こす
- BP1200は、CD73に結合しその酵素活性を阻害することによって、腫瘍環境におけるアデノシンの産生を抑制し、抗腫瘍免疫活性を高める

## ● BP1200は、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



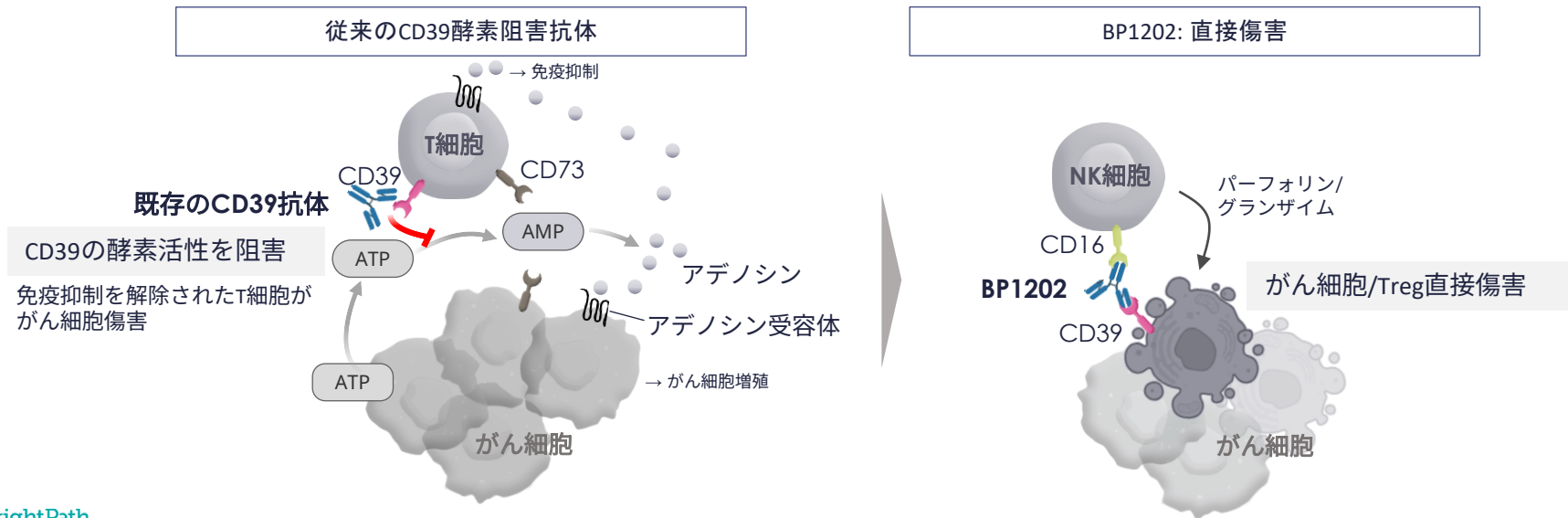
### BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制



出所：ブライトパス・バイオ ESMO2021

## ■ CD39を直接細胞傷害の標的としてとらえ直した抗体

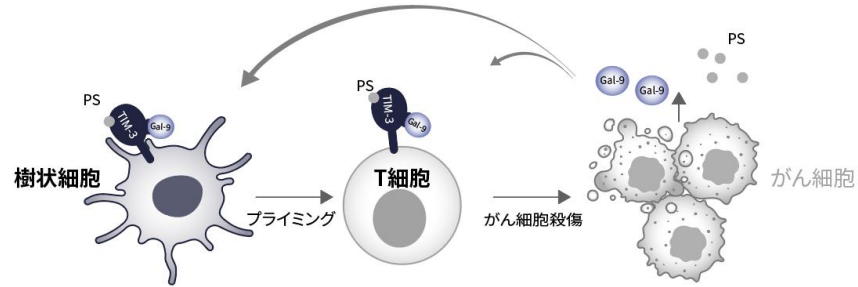
- CD39分子もCD73分子同じく、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わる酵素活性をもつ
- これまでの抗CD39抗体は、CD39酵素活性阻害のみを作用メカニズムとして開発されてきた
- 当社は、このCD39を、特定のがん種でがん細胞そのものが、そして抗腫瘍免疫活性抑制をもたらす制御性T細胞 (Treg, 「ティー・レグ」)が、高発現していることに着目
- 当社は、抗体を改変し、CD39を目印としてがん細胞とTregを殺傷する抗体を創生



# BP1210 (抗TIM-3抗体)

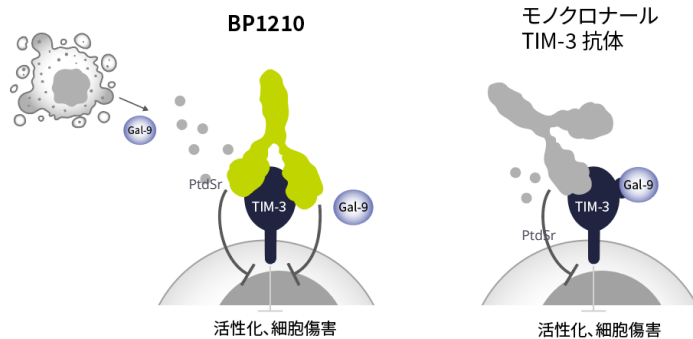
## ■ すべてのリガンド結合を阻止するバイパラティック抗体

- TIM-3は、多くの腫瘍において樹状細胞やT細胞といった免疫細胞が発現し、その免疫細胞の活性化を妨げ、抗腫瘍免疫活性の抑制をもたらす
- よって、TIM-3に結合し、免疫抑制機能を阻害することのできる抗体は、抗腫瘍免疫活性を高められる
- しかし、TIM-3には、TIM-3に結合して抑制シグナルを入れるトリガーとリガンドが複数種存在し、これまでの抗TIM3抗体は、すべてのリガンドのTIM-3への結合を阻害することができなかった
- 当社は、二重特異性抗体化技術を使って抗体を改変し、TIM-3へのすべての種類のリガンドの結合を阻止することのできるバイパラティック抗体BP1210を創生した



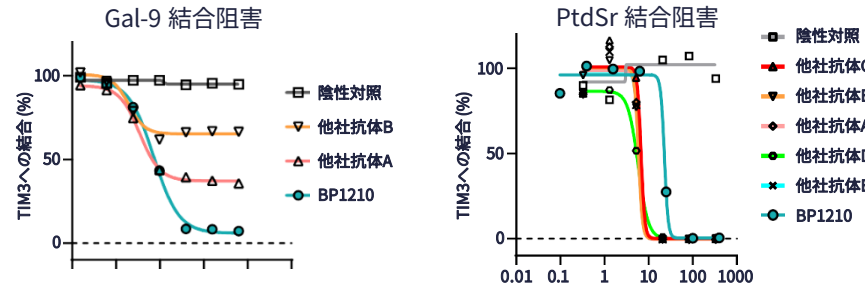
TIM3には樹状細胞のインフラソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

TIM3の発現は末端に分化したエフェクター細胞や疲弊した細胞のマーカーとして機能する (Wolt, et al. 2020)



BP1210は PtdSr, Gal-9 双方のエピトープに結合

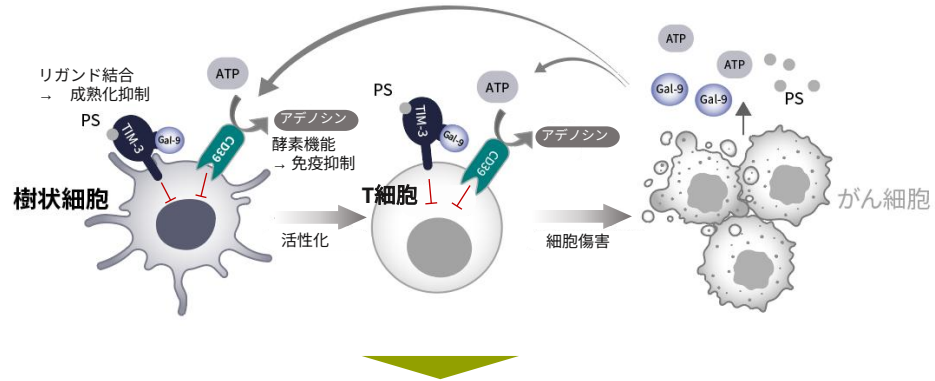
## ■ BP1210は開発先行他社抗体が実現していないリガンドGal-9の結合阻害を、PS結合阻害とともに実現



# BP1212 (抗CD39 × 抗TIM-3バイスペシフィック抗体)

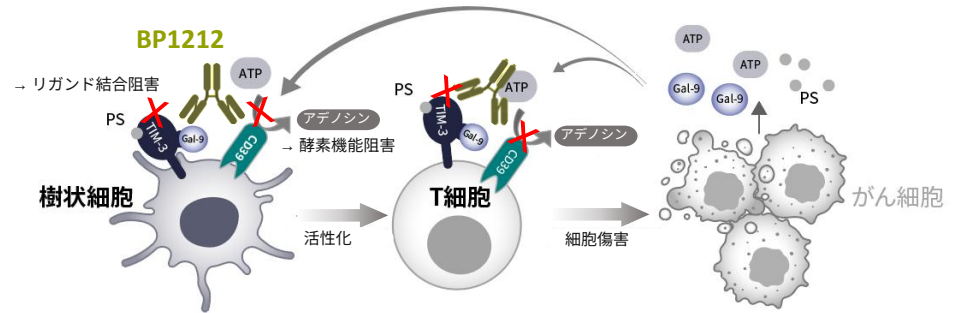
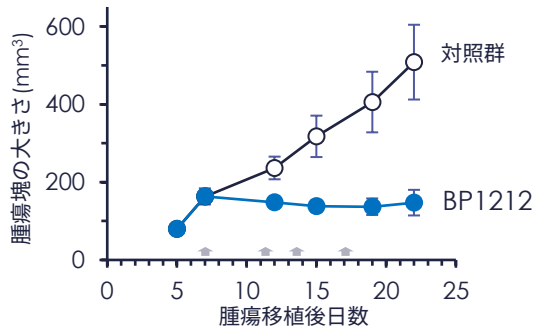
## がん免疫療法におけるファースト・イン・クラスのNLRP3活性化剤

- CD39, TIM3双方を高発現する樹状細胞における、CD39, TIM3双方の経路から来るNLRP3インフラマソーム抑制の解除を通じた樹状細胞活性化
- 樹状細胞による抗原提示を通じたT細胞活性化の促進
- ATPや細胞死を起こしているがん細胞由来分子が多量に放出される腫瘍環境下で作用
- 樹状細胞同様、双方ともに高発現する腫瘍反応性活性化T細胞にも選択的に結合し、疲弊と機能低下を抑制



### 固形がんマウスモデル試験 (CD39, TIM3ダブル・ノックインマウス)

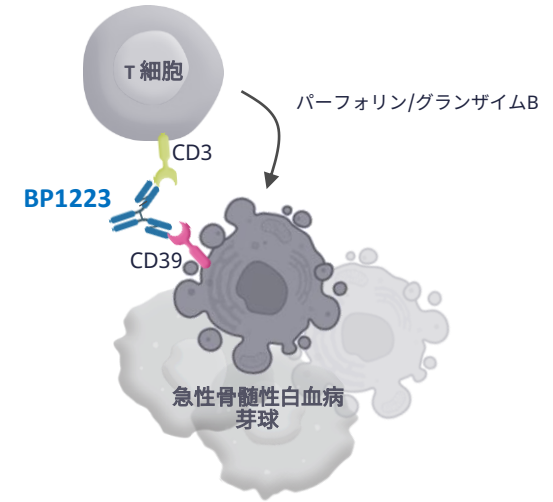
BP1212は単剤で腫瘍の増殖を著しく抑制する



# BP1223 (抗CD39 T細胞エンゲージャー抗体)

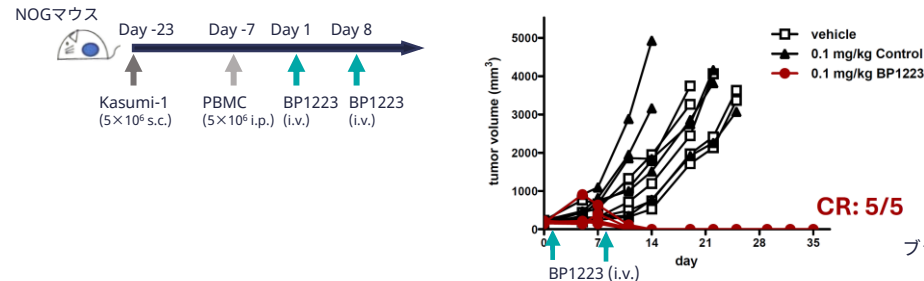
## CD39を標的とする急性骨髄性白血病芽球の直接傷害

- 急性骨髄性白血病 (AML, Acute Myeloid Leukemia) などの血液がん細胞上に多く発現するCD39と、免疫細胞である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 (T細胞エンゲージャー抗体)
  - ・ がん細胞とT細胞を架橋することによって、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
- CD39は初診および再発急性骨髄性白血病の標準療法Venetoclaxに対する耐性/治療抵抗性が増すとともに発現亢進してくる点が、これまでの開発品の治療標的となってきたCD123, CD33, CD47, TIM-3等と大きく異なる



## 急性骨髄性白血病マウスモデル試験

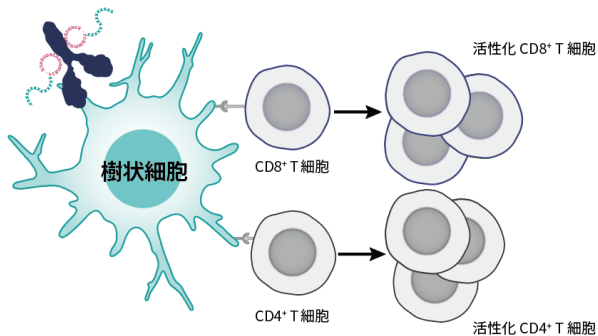
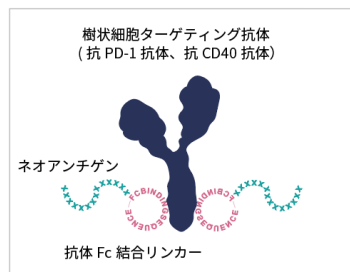
BP1223は単剤で5匹全匹のマウス腫瘍を完全に排除した



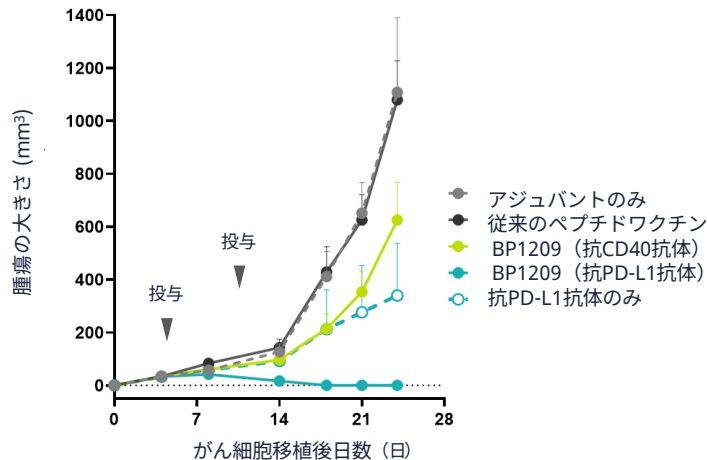
ブライトパス・バイオ 米国血液学会年次会議 ASH2024

## ■ 樹状細胞へのワクチンデリバリー効果と免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体とネオアンチゲンワクチンの複合体プラットフォーム

- 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



MC-38細胞  
マウス大腸がん細胞  
移植



出所: プライトパス・バイオ ESMO 2021

# 市場規模

---

# BP2201(iPS-NKT)の国内想定患者数

■ 現在の非改変iPS-NKT再生細胞療法は、特定のがん種で発現する抗原を標的にするCAR遺伝子を導入したCAR-Tと異なり、幅広いがん種への適用が可能

■ 現在臨床試験を進めている頭頸部がんの患者数（日本国内）

● 年間頭頸部がん罹患数(新規診断数) 27,000人\*1

● 現在の治験対象：切除不能・局所進行/再発頭頸部がん患者

x 局所進行(ステージIII/IV) 35%\*2 x 再発率 50%\*3 = 4,600人

出所：

1. 国立がん研究センター 全国がん罹患データ(2016年～2017年)及び将来推計
2. 日本頭頸部がん学会 頭頸部悪性腫瘍全国登録の2017年度初診症例の報告書
3. Adelstein DJ, Li Y, Adams GL, Wagner H Jr, Kish JA, Ensley JF, et al. An intergroup phase III comparison of standard radiation therapy and two schedules of concurrent chemoradiotherapy in patients with unresectable squamous cell head and neck cancer. J Clin Oncol. 2003;21: 92-8.

# BP2202(BCMA iPS-NKT)の想定患者数と市場規模

## ■ 世界の多発性骨髄腫の患者数

- 年間罹患数(新規診断数) \*1 :

187,952人 (世界)
32,258人 (米国)
28,593人 (欧州上位5ヶ国)
30,300人 (中国)
6,988人 (日本)

- 米国の患者数 \*2 :

5年有病者数	126,869人
治療中	105,701人
一次治療	56,959人
二次治療	27,252人
三次治療	11,258人
四次治療	5,217人
五次治療	5,015人

## ■ 世界の多発性骨髄腫の市場規模





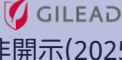




- 2024年に223億米ドル→2032年には345.8億米ドル  
年平均成長率 5.6% (2024年-2032年) \*3

出所 :

1. World Health Organization. Globocan 2024: Multiple Myeloma.
2. An Epidemiology Model for Estimating the Numbers of US Patients With Multiple Myeloma by Line of Therapy and Treatment Exposure. Value Health.2022 Dec;25(12) :1977-1985
3. DataM Intelligence. Jan 2025

## BP2202の開発競争状況

## iPS細胞由来免疫細胞を用いる先行CAR-T/CAR-NK開発品と大手製薬企業の提携事例

標的分子(Ph1開始年/予定年)	CAR遺伝子導入					プラットフォーム型ライセンス先
	開発企業	非遺伝子改変	血液がん	固形がん	自己免疫疾患	
iPS-T		2018		 HER2 (2023)	CD19 (2024)	 小野薬品工業2018 (2候補品)
			CD19 (2023)		CD19 (2025)	
iPS-NK					 GILEAD 非開示(2025)	 GILEAD 2021 (複数候補品)
					CD19 (2024)	
iPS-γδT			非開示 (一)			
iPS-NKT		2020 (理研)	BCMA (2026E)			

千葉大学医学部附属病院  
(第I相臨床試験完了報告2024)

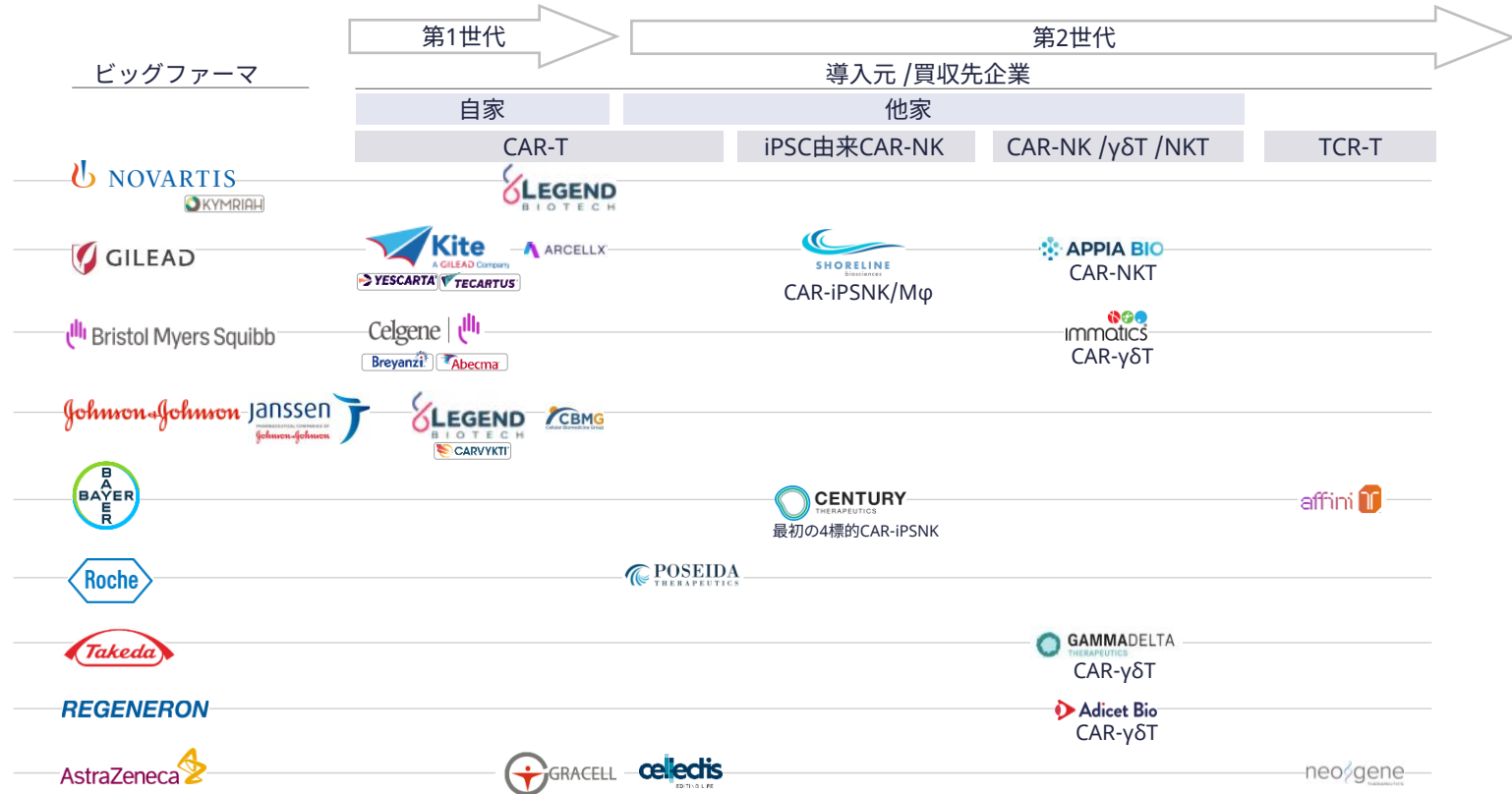
出所:各企業

一: 研究段階でIND予定非公表

## BP2202の開発競争状況(続)

## グローバル大手製薬企業のCAR-T細胞製品への取り組み

- 大手製薬企業は細胞医薬ベンチャーとの提携によって第2世代に参入



# BP2301(HER2 CAR-T)の想定患者数

■ 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格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%

<sup>1</sup> 小児慢性特定疾病情報センター, Datamonitor Healthcare® | Informa, 2021

<sup>2</sup> American Cancer Society, Cancer Facts & Figures 2021;

<sup>3</sup> WHO, Global Cancer Observatory, CANCER TODAY 2020;

<sup>4</sup> 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

<sup>5</sup> 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)

# BP2301(HER2 CAR-T)の競合環境

## ■ 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	米ペイラー医科大学 2017 <sup>*1</sup>	米ペイラー医科大学 (HEROS2試験) 2024 <sup>*2</sup>	EXUMA Biotech 2024 (中間解析) <sup>*3</sup>	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	PR 1例	

\*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

\*1 JAMA Oncol 2017;3;(8):1094-1101 \*2 Nature Cancer volume 5, pages880-894 (2024) \*3 Exuma ASH2024  
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

# BP1200(抗CD73抗体)の開発競争環境

## ■ 抗CD73抗体の先行開発品

- アデノシン産生に関わるCD73を標的とする抗体の開発状況

開発企業	開発品	標的	開発段階	備考
AstraZeneca	Oleclumab	CD73	Ph3	抗PD-L1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Arcus	AB680 (低分子)	CD73	Ph3 Ph2	化学療法剤との併用（膵がん） 抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
I-Mab	Uliledlimab	CD73	Ph1	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Akeso	AK119 AK131 AK137	CD73 CD73 x PD-1 CD73 x LAG-3	Ph2 Ph1 Ph1	抗PD-1/VEGF抗体との併用（非小細胞肺癌、大腸がん） 単剤（固形がん） 単剤（悪性腫瘍）
Corvus	CPI006	CD73	Ph1	抗PD-1抗体、化学療法剤との併用（頭頸部扁平上皮がん）
Innate	IPH53	CD73	Ph1	抗HER2抗体、化学療法剤との併用（固形がん）

出所：各企業

# BP1202、BP1212、BP1223の開発競争環境

## ■ 抗CD39抗体の先行開発品

- BP1202の差別化ポイント：アデノシン産生に関わるCD39酵素の阻害機能に加えて、CD39高発現Treg(抑制性T細胞)を殺傷する機能を付加
- BP1212の差別化ポイント：TIM-3との二重特異性により樹状細胞ターゲティングに優位性
- BP1223の差別化ポイント：がん細胞に結合しT細胞を近づけることによってがん細胞を直接殺傷

開発企業	開発品	標的	開発段階	備考
AstraZeneca /Innate Pharma	IPH5201	CD39	Ph2	抗PD-L1抗体、化学療法剤との併用（非小細胞肺癌）
Abbvie /Trishula	TTX-030	CD39	Ph2	抗PD-1抗体、化学療法剤との併用（膵がん）
Arcus	AB598	CD39	Ph1	抗PD-L1抗体との併用（固形がん）
Elpiscience	ES014	CD39 x TGF- $\beta$	Ph1	単剤（固形がん）

出所：各企業

## BP1210、BP1212の競合環境

### ■ 抗TIM-3抗体の先行開発品

- BP1210の差別化ポイント: TIM3の抑制シグナルを引き起こすリガンドの結合阻害を全種類で可能にするバイパラトピック抗体
- BP1212の差別化ポイント: TIM-3との二重特異性により樹状細胞ターゲティングに優位性

開発企業	開発品	標的	開発段階	備考
GSK	Cobolimab	TIM3	Ph3	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
BeOne (旧BeiGene)	Surzebiclimab	TIM3	Ph2	抗PD-1抗体との併用（頭頸部扁平上皮がん）
Servier	Sym023	TIM3	Ph1/2	単剤または抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用（非小細胞肺癌）
Biocity	BC3402	TIM3	Ph1/2	単剤または抗PD-1抗体との併用（肝細胞癌）
Kyowa Kirin	KK2845 (ADC)	TIM3	Ph1	単剤（急性骨髄性白血病）

出所：各企業

# がんワクチンの競合環境

## ■ がんワクチンの先行開発品

ブライトパス	主な相違点	開発品	開発段階	がん種	併用薬	開発企業 (導出先/共同開発)
BP1209	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	mRNA-4157	Ph3	メラノーマ他	PD-1抗体	Moderna (Merck)
	• 抗体+ペプチド vs. DNA	VB10.NEO	Ph2	頭頸部他	PD-1抗体	Nykode
	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	BNT 122	Ph2	結腸直腸 がん他	PD-1抗体	BioNTech (Roche)

出所：各企業

# 競争力の源泉

---

# 細胞医薬の経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	HER2 CAR-T (BP2301)	iPS-NKT (BP2201)	BCMA CAR- iPSNKT (BP2202)
1	幹細胞様メモリーT細胞によって 固形がんのハードルを克服する CAR-T	幹細胞様メモリーT細胞を集中的に 増殖させる製造技術	✓		
2	CAR-iPSNKTプラットフォーム展開	CAR-T技術 X iPS由来 NKT細胞 プラットフォーム		✓	✓

# 抗体医薬の経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP1200	BP1202	BP1210	BP1212	BP1223
1	腫瘍環境改善による 新たな抗腫瘍免疫作用メカニズム	アデノシン産生の阻害効率	✓	✓			
2	改変抗体	Fc機能強化		✓			
3	二重特異性抗体	<ul style="list-style-type: none"> <li>免疫チェックポイント分子の徹底阻害</li> <li>二重の免疫チェックポイント分子経路阻害</li> <li>T細胞エンゲージャー</li> </ul>			✓	✓	✓

# がんワクチンの経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP1209
1	ネオアンチゲン対応	がんの目印としてT細胞が認識するネオアンチゲンを的確に予測するバイオ・インフォマティクス	✓
2	リンパ節へのワクチン送達	免疫細胞を標的とするドラッグデリバリー・システム	✓

# 事業計画

---

## 2025年3月期 期初計画と実績の対比

(単位：百万円)

	期初計画	実績	差異
売上高	0	1	1
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	925 (616)	1,162 (888)	※ 235 (272)
営業利益	△925	△1,160	△235
経常利益	△925	△1,147	△222
当期純利益	△927	△1,151	△224

※ パイプライン2202の研究開発費増加による

# 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	増減
売上高	1	0	△1
営業利益	△1,160	△1,182	△21
経常利益	△1,147	△1,164	△16
純利益	△1,151	△1,166	△15

研究開発費	888	865	△22
-------	-----	-----	-----

# 実施中の資金調達【第17回～第19回新株予約権（第三者割当）】

## ■ 2024年7月に第17回～第19回の新株予約権を発行し、権利行使が進捗

### 概要

- 予約権総数: 360,000個 株式数: 普通株式36,000,000株
- 当初行使価額: 第17回 62円(行使価額修正条項付き) すべて行使された場合の調達額(当初行使価額前提): 2,232百万円  
第18回 62円(行使価額修正条項付き)  
第19回 64円(行使価額修正条項付き)
- 支出予定期間: 2024年7月～2026年3月
- 資金使途: がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費、その他事業運営資金
- 割当先: EVO FUND (エボ ファンド)

	第17回新株予約権	第18回新株予約権	第19回新株予約権
当初調達計画額	2,232百万円		
2025年5月末時点調達額A	785百万円	111百万円	0
未行使株式数(2025年5月末時点)	-	8,950,000	9,000,000

(単位: 百万円)

### 資金支出予定

資金使途	第17-19回 調達計画	支出予定時期							
		FY2024				FY2025			
		1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
①がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費									
細胞医薬	1,368								
抗体医薬	341								
小計	1,709								
②その他事業運営資金	523								
計	2,232								

2026年3月期 計画

調達資金の投入

## 細胞医薬：BP2202（他家CMA CAR-NKT細胞療法）

- ✓ プロトタイプ開発品の開発⇒マスターセルバンク取得
- ✓ GMP適合製造工程移管： 試製造完了
- ✓ 米国での臨床試験実施に向けた申請

## 細胞医薬：BP2301（自家HER2 CAR-T細胞療法）

- ✓ 第 I 相医師主導治験の完了

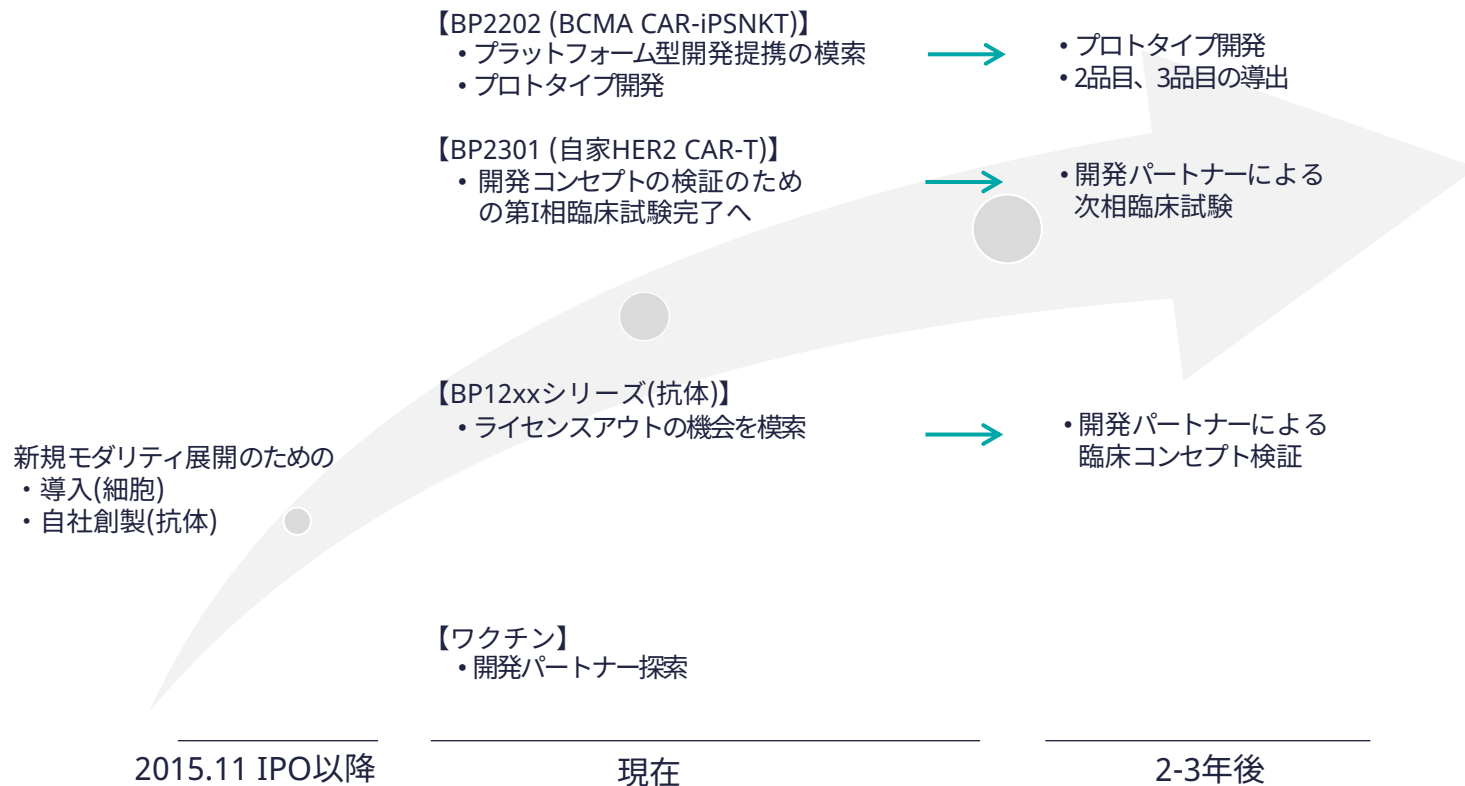
## 抗体医薬：BP1200/1202/1210/1212/1223

- ✓ 導出に向けた、抗体のプロファイリングのための非臨床データ取得

## その他事業運営資金

- ✓ 事業開発並びに研究開発推進支援および経営管理関連費用 他

# 中期的な成長イメージと今後の施策



# リスク情報

---

# リスク情報

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
新薬開発の不確実性	<ul style="list-style-type: none"> <li>医薬品開発の成功確率が低いこと</li> <li>技術革新がもたらす技術の陳腐化</li> </ul>	研究開発が長期化することにより、投資額が回収できず開発が中止となり、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視し、当社の技術を駆使して開発に取り組んでいます。
資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> <li>研究開発の期間は長期にわたり、また日本国内のみならず海外においても研究開発活動を行っていることなどから今後も多額の資金が必要</li> <li>事業計画の修正を必要とする状況になった場合、資金不足が生じる可能性</li> <li>研究開発推進等のための資金調達の方法として新株発行や新株予約権付社債などを発行する可能性</li> <li>新株等発行した場合、1株当たりの株式価値が希薄化する可能性</li> </ul>	必要なタイミングで研究開発資金を確保できなかった場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	製薬企業等とのライセンス契約から発生する契約一時金収入、マイルストーン収入、ロイヤリティ収入を研究開発中のパイプライン及び新規パイプラインに再投資することを事業及び資金サイクルとしていくことを目指しています。
競合	<ul style="list-style-type: none"> <li>競合他社が開発する医薬品が先行した場合、競争力が低下する可能性</li> </ul>	開発の遅延又は中止となる可能性、ライセンスアウトしていた場合はライセンス契約解約の可能性又は上市後に想定した販売ロイヤリティが得られない可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視して開発に取り組んでいます。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

# リスク情報(続)

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
特許	<ul style="list-style-type: none"> <li>出願中の特許が成立しなかった場合又は登録された特許権が無効化された場合</li> <li>優れた技術が出現して、当社の特許が陳腐化する可能性</li> </ul>	当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。また、出願費用・維持費用等のコストを回収できない可能性があります。	中	中長期	新たな技術の研究開発に取り組み、新規特許の獲得に取り組んでいます。また、定期的に他社の特許及び技術情報を調査しています。なお、当社のパイプラインにおいて、その実施に支障又は支障をきたす可能性のある事項は、調査した限りにおいて存在していません。
新型コロナウイルス感染症をはじめとする災害等の影響	<ul style="list-style-type: none"> <li>新型コロナウイルス感染拡大に伴い、当社の事業所及び研究施設並びに国内外の臨床試験・非臨床試験・製造委託先及び共同研究開発先社員等の罹患や移動制限・自粛等に伴う要員不足や原材料の納入遅延、並びに製造機能や物流・卸機能の停滞が生じる可能性</li> <li>臨床試験施設において新規登録の一時中断や来院制限の措置が取られるなどした結果、臨床試験の遅延等が発生する可能性</li> </ul>	臨床試験施設においても感染拡現在進行中または新規に立ち上げようとしている臨床試験の遅延等の発生の可能性があります。その場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	リスク情報共有会議を頻回開催し、当社の国内・海外の製造委託先、共同研究開発のパートナー及び臨床試験施設の状況確認やビジネスにおける影響等について、情報の把握と対応の検討、経営レベルでの議論と意思決定を行っています。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

BrightPath\_

Biotherapeutics