

(上場市場) 東京証券取引所 グロース市場  
(証券コード) 4594

会社ご紹介

# バイオ IR DAY: ブライトパス・バイオ

2024年 7月10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。

# ハイライト

---

1

免疫ががん細胞を排除するメカニズムを利用したがん治療薬の開発に特化

2

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

- 現在は先行開発投資期間

3

抗体医薬パイプラインのライセンス・アウトとCAR-iPSNKTの臨床試験入りにむけての準備に注力

- 現在進めている調達プログラムの資金はCAR-iPSNKT開発に集中投下

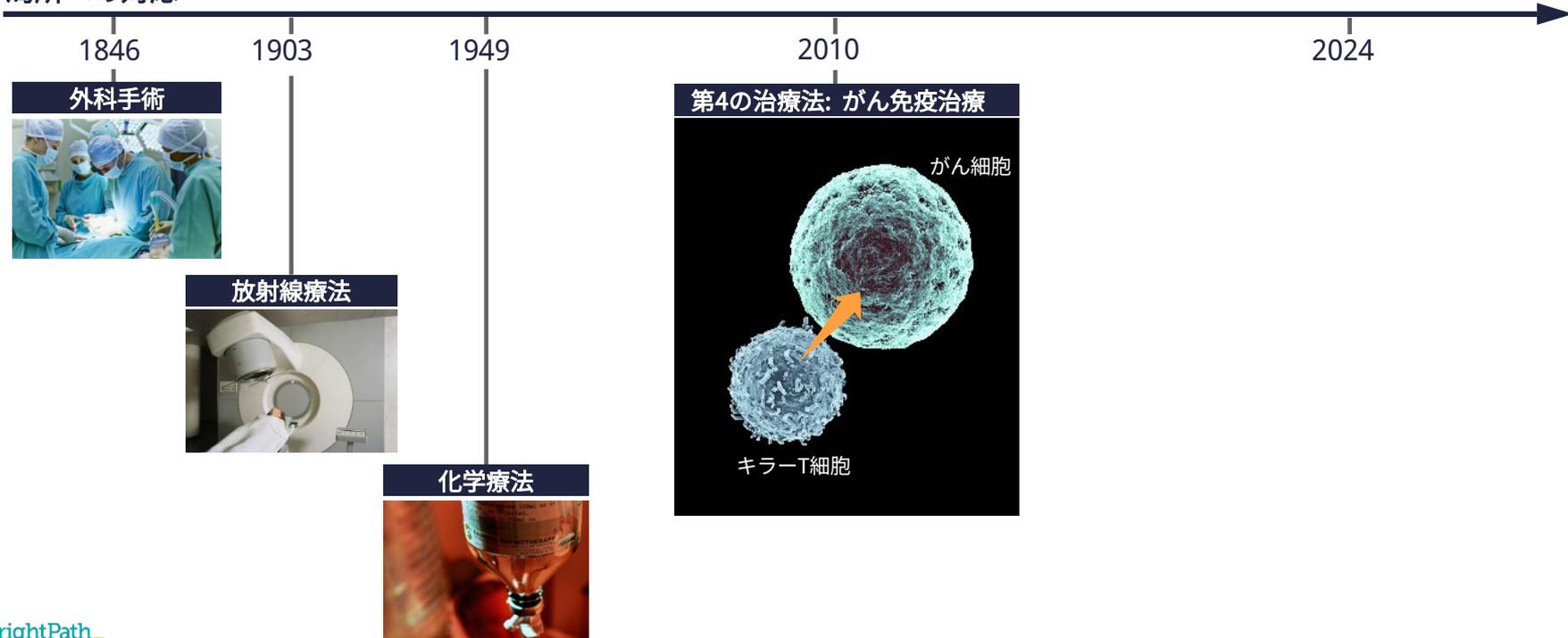
# がん治療法における「がん免疫治療薬」の位置づけ

- 当社は、ここ15年でがん治療のあり方を大きく変えたがん免疫治療薬の開発に特化

## がん治療法の拡がりの歴史

局所への対応

再発・転移への対応



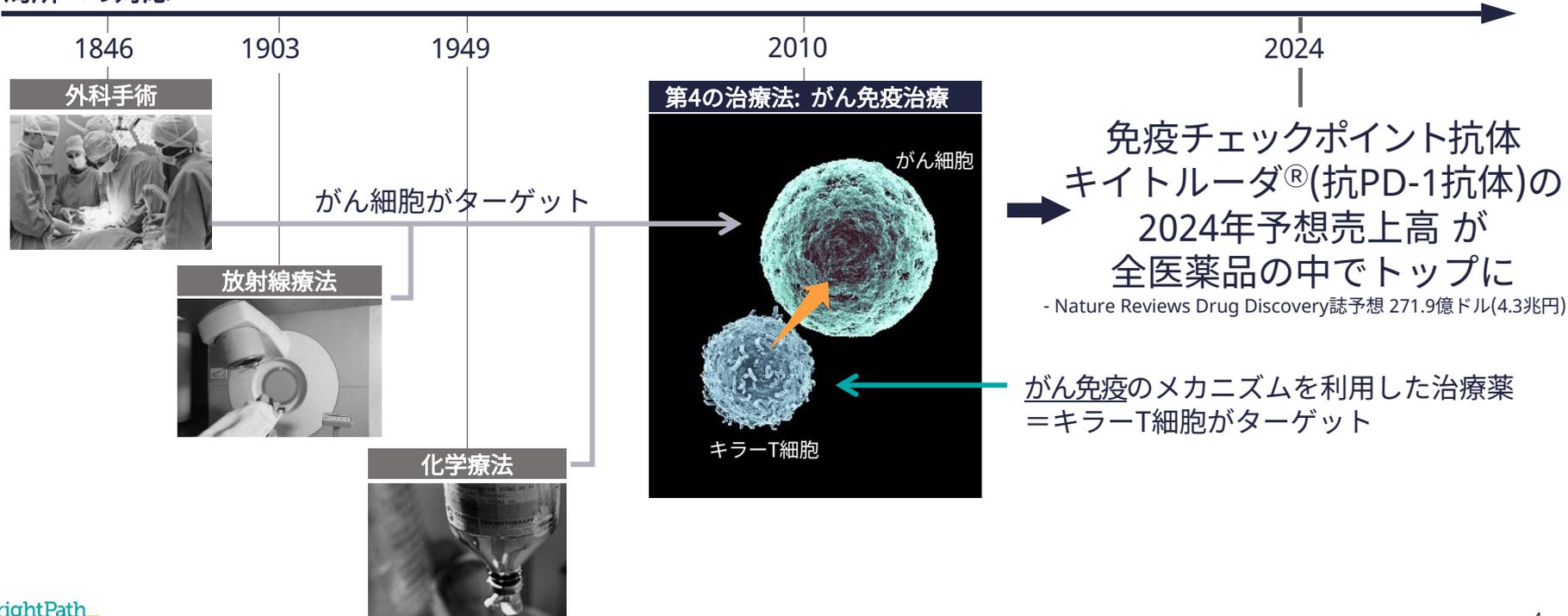
# がん治療法における「がん免疫治療薬」の位置づけ (続)

## ■ がん免疫のメカニズムを利用した治療薬

### がん治療法の拡がりの歴史

局所への対応

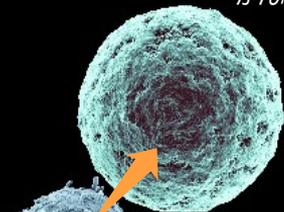
再発・転移への対応



# 開発パイプライン

## 第4の治療法: がん免疫治療

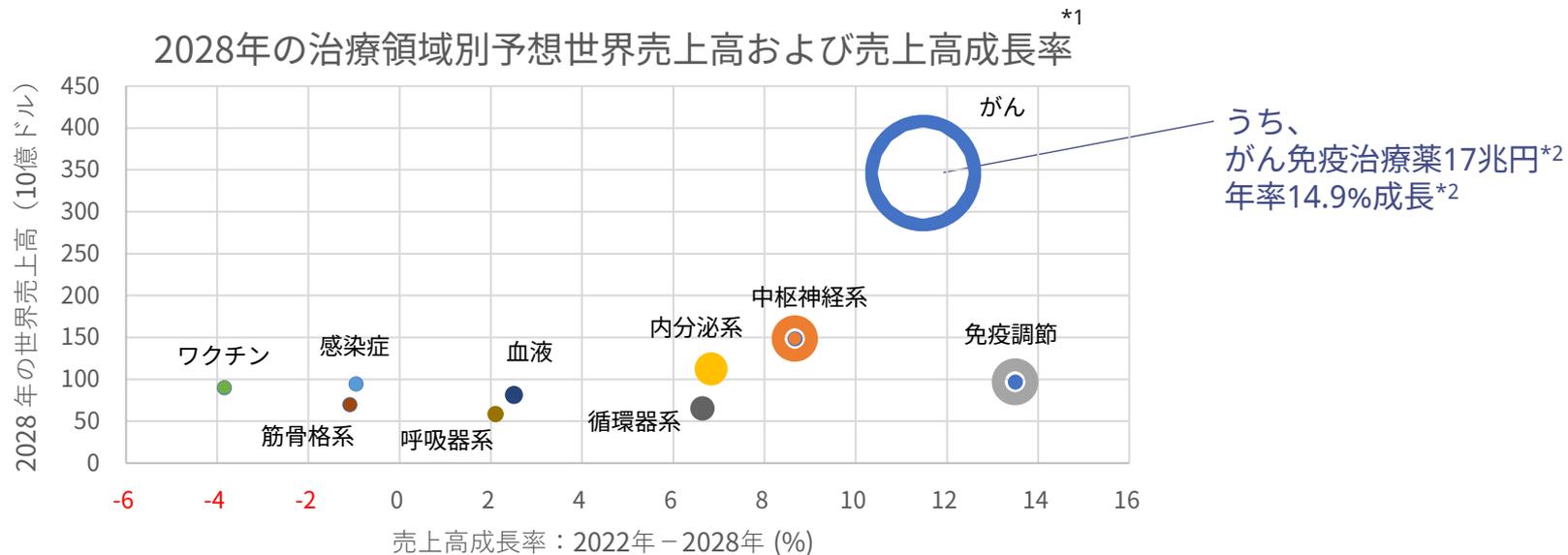
がん細胞



キラーT細胞

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> = がん細胞を殺傷する免疫細胞を直接投与する治療薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん	████████████████████			
BP2202	CAR-iPSNKT (標的 non 開示)	血液がん	████████████████████			
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん	████████████████████			
<b>抗体医薬</b> = がん細胞を殺傷する免疫細胞に働きかける治療薬						
BP1200	CD73		████████████████████			
BP1202	CD39		████████████████████			
BP1210	TIM-3		████████████████████			
BP1212	CD39×TIM-3		████████████████████			
<b>がんワクチン</b>						
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん	████████████████████			

## ■ 医薬品市場で大きな割合を占め高い成長率を示すがん免疫治療薬

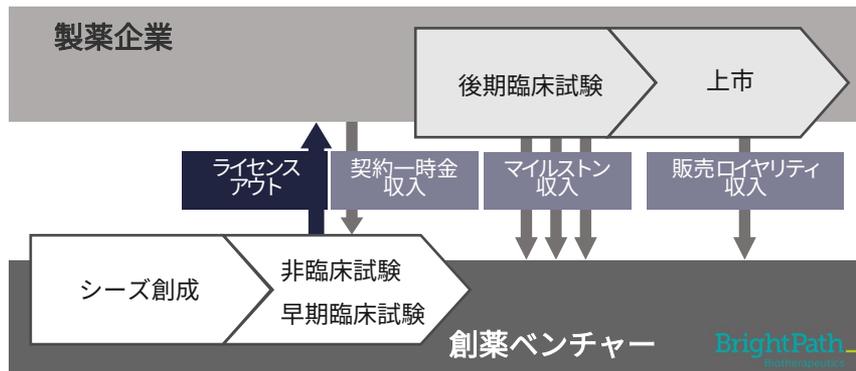
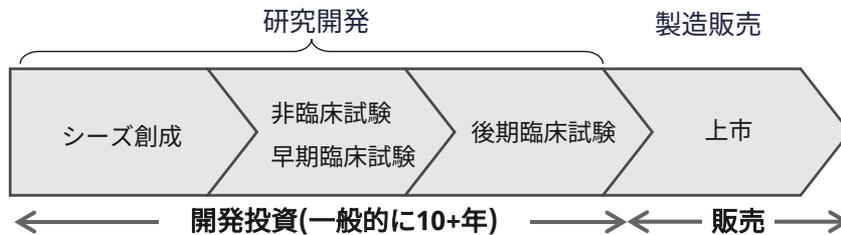
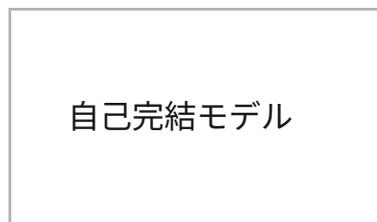


出典：

1. EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2023 (October 2023)
2. Global Immuno-Oncology Market Research (May 2023)

# 事業モデル

- 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
- 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

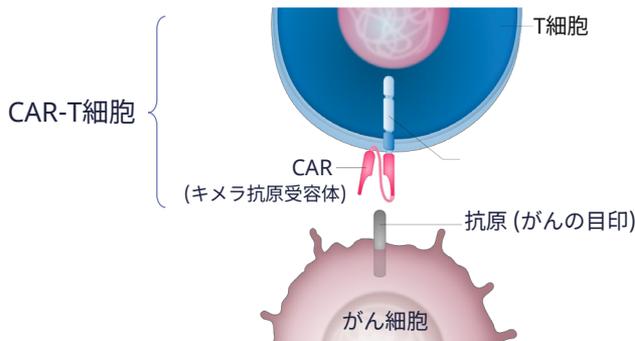
- 中長期的にライセンスアウト型から自己完結型へ段階的に移行

# 中核パイプライン

---

## CAR-T

- 血液がん治療に革新をもたらした細胞医薬
- 多くの承認薬



### 承認薬 (血液がん領域)



### 開発成功もたらした企業取引

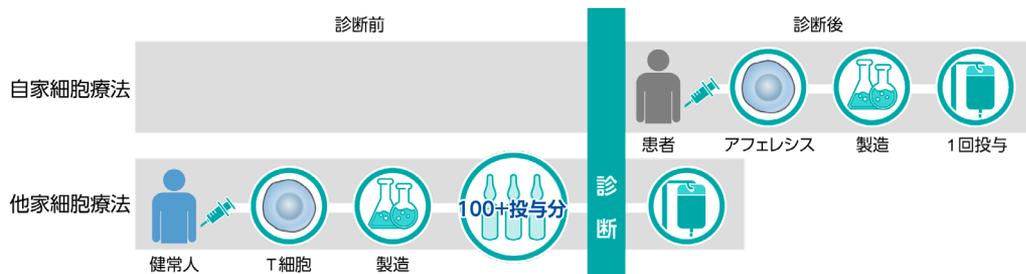
- GILEAD → Kite Pharma 買収 120億ドル(2017)
- Celgene | Bristol Myers Squibb Company → Juno 買収90億ドル(2018)

## 業界全体の取り組み

- 診断が確定してから患者自身の採血したT細胞から製造 (自家)
- 診断確定前に、健常人ドナーのT細胞から予め製造を終えておく (他家)

- 製造成否の不確実性
- 長い待ち時間
- “特注品”の製造コスト

- 製造の確実性
- 待ち時間無し

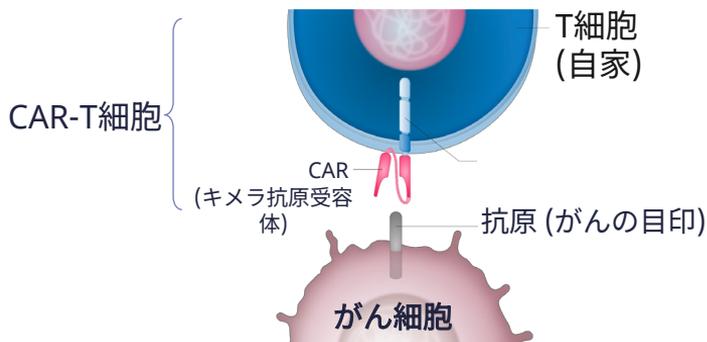


現状、この取り組みはあまりうまく行っていない

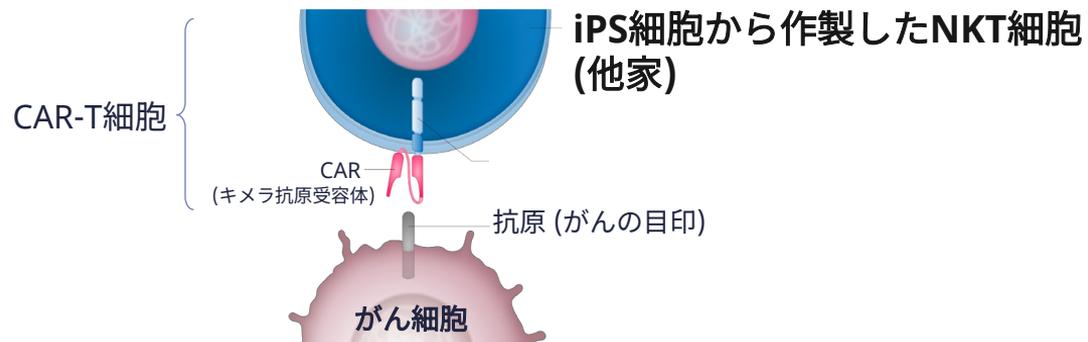
健常人ドナー由来のT細胞が、患者の体内で、患者の免疫システムによる排除を受けて持続せず、臨床効果が長続きしない

## BrightPath\_の「ゲーム・チェンジ」

### ■ T細胞



### ■ NKT細胞



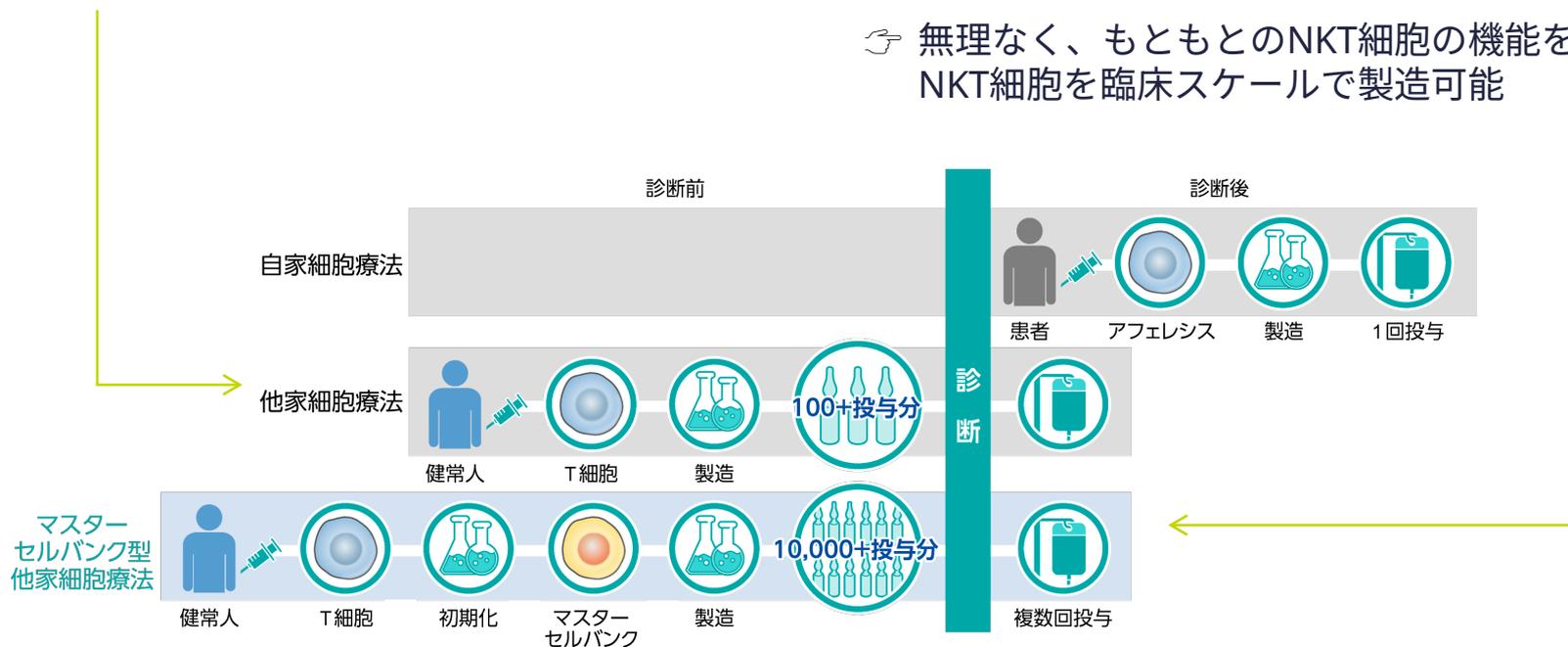
① 患者自身のT細胞を患者体内で活性化させる他家NKT細胞を使用

☞ 患者自身の抗腫瘍性T細胞が臨床効果の持続性をもたらす

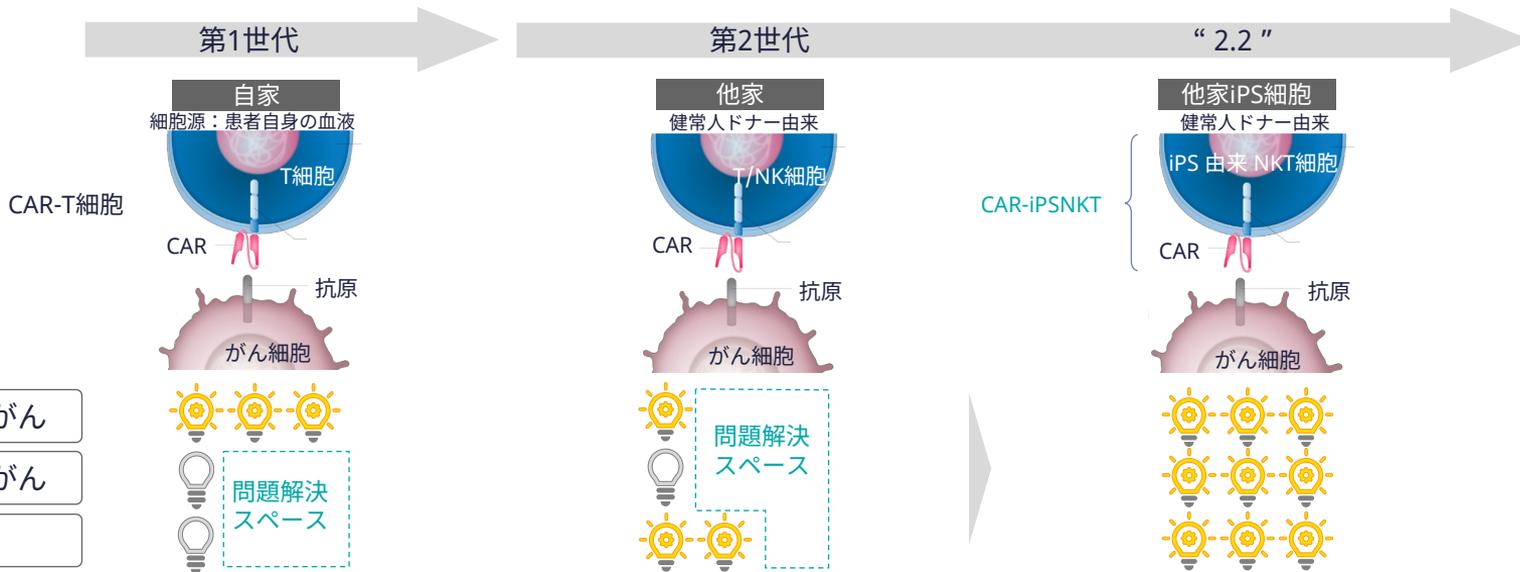
BrightPath\_ NKT細胞を用いるにあたってのハードルの克服

- 健常人ドナーのNKT細胞をiPS細胞化せずそのまま増殖させる(他家)
- iPS細胞から分化させたNKT細胞を用いる (マスターセルバンク型他家)

☞ 無理なく、もともとのNKT細胞の機能を維持したNKT細胞を臨床スケールで製造可能



# 次世代の新規他家CAR-T細胞の開発へ



先行開発品において  
顕在化した課題

- 投与された他家細胞が患者体内で持続しない  
→ 臨床効果の持続性欠如

BrightPath\_の  
「ゲーム・チェンジ」

- 投与されたCAR-iPSNKT細胞によって患者体内で活性化された患者自身のキラーT細胞が持続  
→ 臨床効果の持続性の担い手

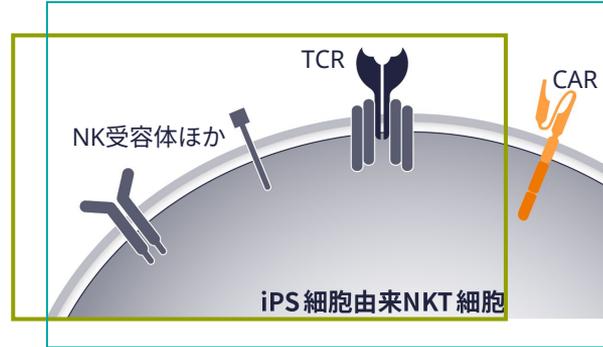
承認薬（血液がん領域）



# BP2202 これまで実行してきたこと

## 現在の開発段階 (2023年度末時点)

BP2201  
(非遺伝子改変 iPS-NKT)



BP2202  
(CAR-iPSNKT)

BP2201  
(非遺伝子改変 iPS-NKT)

- **薬効の確認** 抗腫瘍効果の確認
- **知的財産権の確保** グローバル3拠点(日米欧)で特許登
- **製造の実行可能性** ↑ 増殖率 × 高純度の目標水準達成 (ラボレベル)
- **初期的な安全性と臨床活性の確認** 第 I 相臨床試験の完了(2024.2)

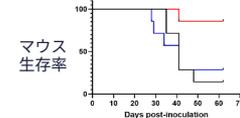
複数の前治療歴を経た難治性の再発・標準療法抵抗性頭頸部がん患者対象

- 低用量群: 1 SD, 2 PD, DCR 33.3%
- 高用量群: 4 SD, 1 PD, 1NE DCR 80%, 腫瘍縮小傾向を示唆する症例あり

BP2202  
(CAR-iPSNKT)

- **薬効の確認** 試作品での抗腫瘍効果の研究報告 (SITC2022)
- 動物モデルでの抗腫瘍効果の研究報告 (SITC2023)

● 非臨床コンセプト検証用試作品の担がんマウスモデルにおける *in vivo* 効果

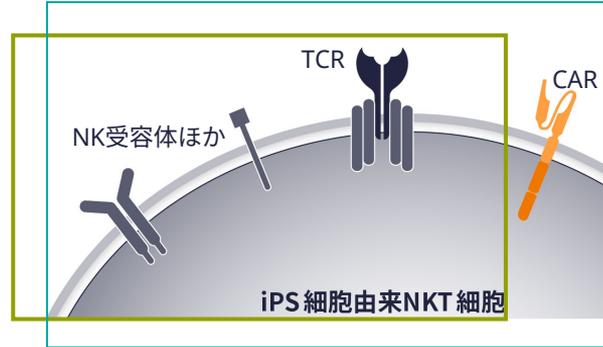


- **遺伝子改変技術導入** CRISPR系遺伝子改変技術の導入 (2023.5)

# BP2202 これから実施すること

今後の開発 (2024年度以降)

BP2201  
(非遺伝子改変 iPS-NKT)



BP2202  
(CAR-iPSNKT)

- CAR-iPSNKTのマスターセルバンク構築
- 製造法のGMP化
- 治験届に向けて非臨床・製造関連データ取得

# BP2202の目指す事業モデル

## 先行開発企業のプラットフォーム型ライセンス展開の現在

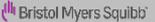
- 第1世代で成功したメガファーマは iPS-NKプラットフォームをもつ細胞医薬ベンチャーとの提携によって第2世代に参入



# BP2202の目指す事業モデル (続)

## iPS細胞由来免疫細胞を用いる開発先行CAR-T/NK開発ベンチャーと大手製薬企業の提携事例

標的分子(Ph1開始年/予定年)

	開発企業	非遺伝子改変	血液がんCAR遺伝子導入			固形がんCAR 遺伝子導入	プラットフォーム型ライセンス先
			リンパ腫 標的	白血病 標的	多発性骨髄腫 標的		
iPS-T		2018				 HER2 (2023)	 小野薬品工業 2018 (2候補品)
			CD19 (2023)				
iPS-NK			 CD19/CD20 (-) CD5 (-)	 非開示(-)	 TACI/BCMA(-)	 2021(複数候補品)  2021	
			 CD19 (2022)	 非開示(2024)	 非開示(2024)	 2019 (3候補品)  2021(4候補品)	
					CD38 (2025)	EGFR (2025) GPC3 (2024)	

iPS-NKT		2020 (RIKEN)					
---------	---	--------------	---	--	--	--	--

千葉大学医学部附属病院  
(First-in-human試験)

—: 研究段階でIND予定非公表

出所:各企業

# イベント

---

# 各パイプラインのイベント

- 2023年度ハイライト: iPS-NKT(BP2201)の第I相臨床試験\*で、初期的な安全性と臨床活性を確認 (2024.2\*\*)
- 2024年度以降: ①CAR-iPSNKTを優先: 米国臨床試験入りに向けて非臨床開発・CMC + ②抗体医薬パイプラインの導出に注力



\*千葉大学医学部附属病院における医師主導治験(AMED支援の下で実施)

\*\*CD1-MR1 2024国際学会(豪)にて、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)より報告

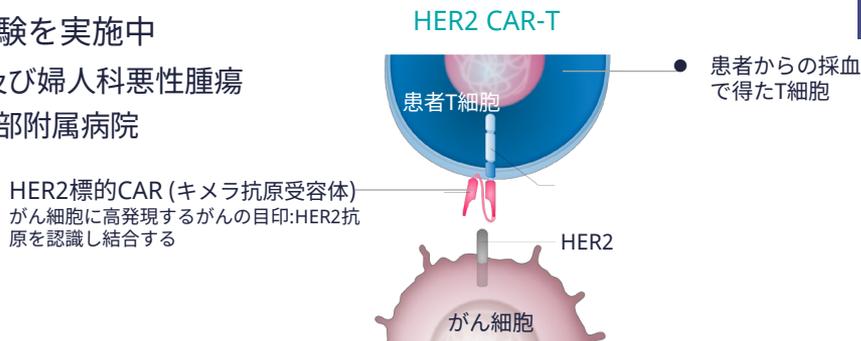
# 参考

---

# BP2301 (HER2 CAR-T)

## ■ 新規の自家HER2標的CAR-T細胞療法

- 2022年5月より第I相臨床試験を実施中
- 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

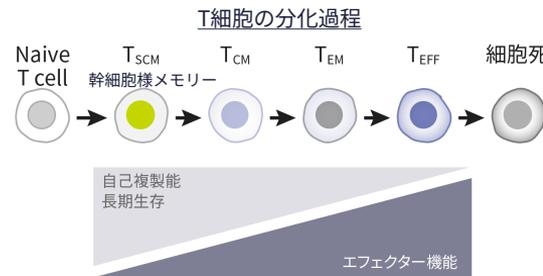
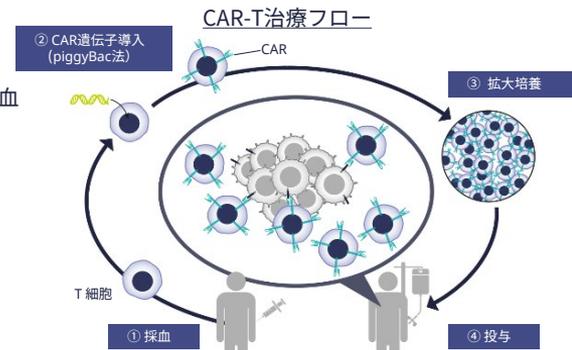
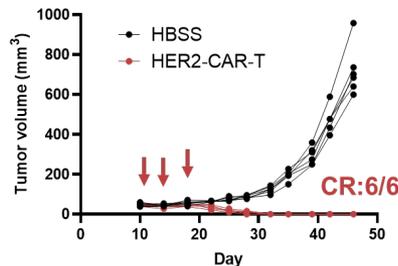


## ● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

- 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
- 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、がんを殺傷し続けるCAR-T細胞となる

## ● 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

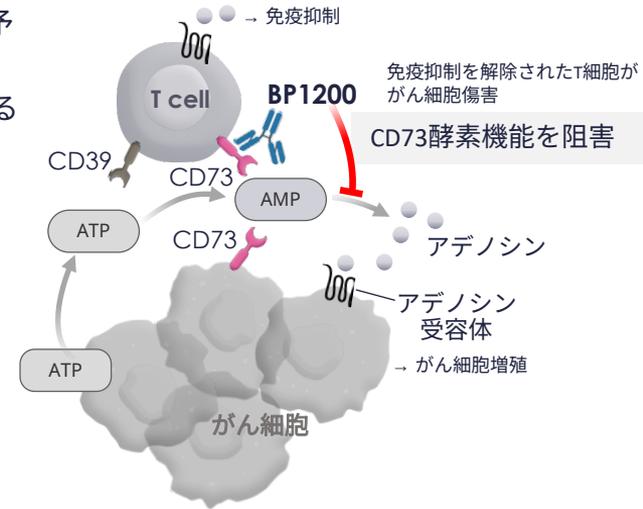


# BP1200 (抗CD73抗体)

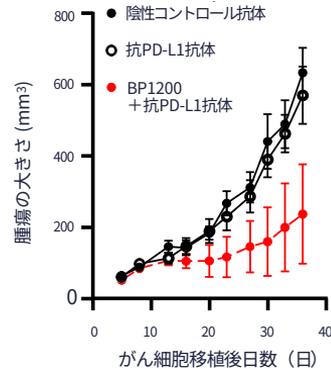
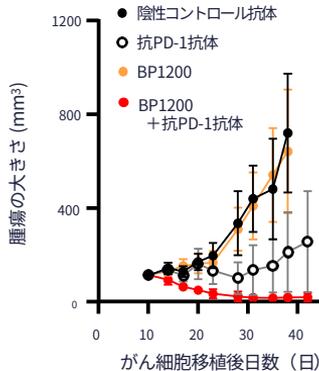
## ■ ベスト・イン・クラスとなる新規ヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- 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

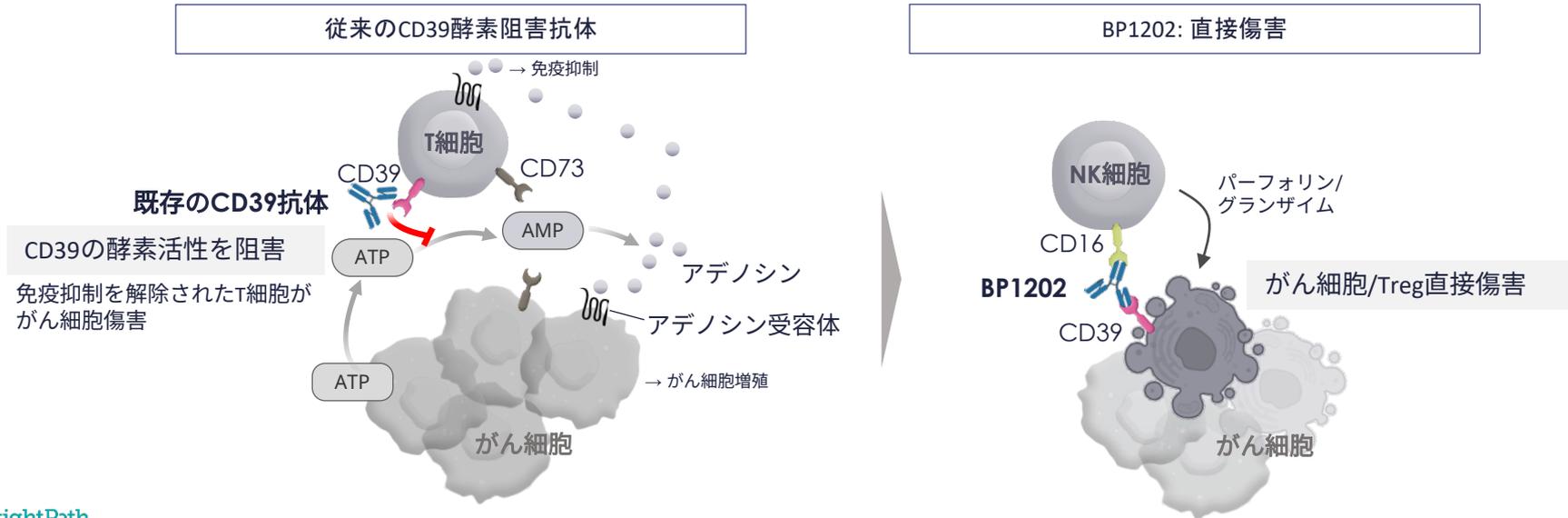


出所：ブライトパス・バイオ ESMO2021

# BP1202 (抗CD39抗体)

## ■ CD39を直接細胞傷害の標的としてとらえ直した抗体

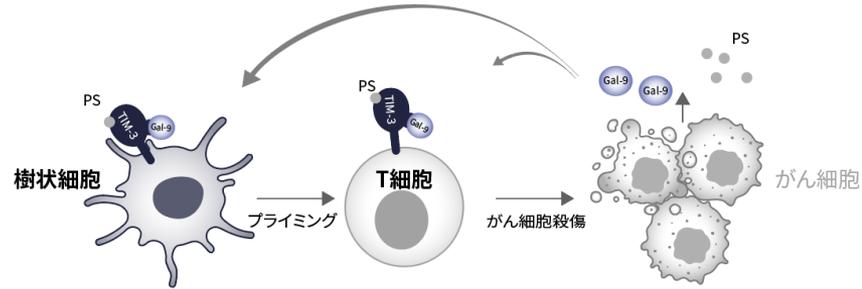
- CD39分子もCD73分子同じく、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わる酵素活性をもつ
- これまでの抗CD39抗体は、CD39酵素活性阻害のみを作用メカニズムとして開発されてきた
- 当社は、このCD39を、特定のがん種でがん細胞そのものが、そして抗腫瘍免疫活性抑制をもたらす制御性T細胞(Treg, 「ティー・レグ」)が、高発現していることに着目
- 当社は、抗体を改変し、CD39を目印としてがん細胞とTregを殺傷する抗体を創生



# BP1210 (抗TIM-3抗体)

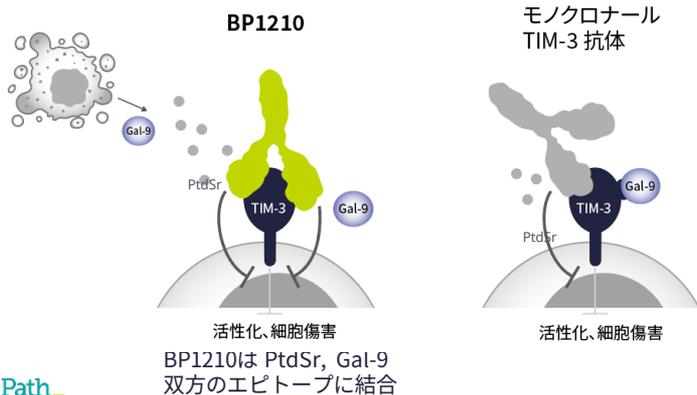
## ■ すべてのリガンド結合を阻止するバイパラティック抗体

- 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

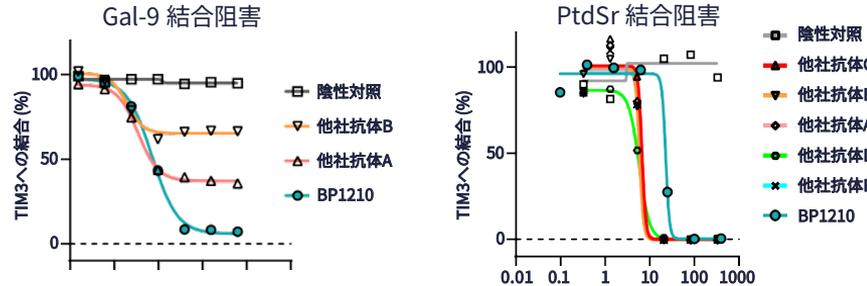


TIM3には樹状細胞のインフラソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

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)

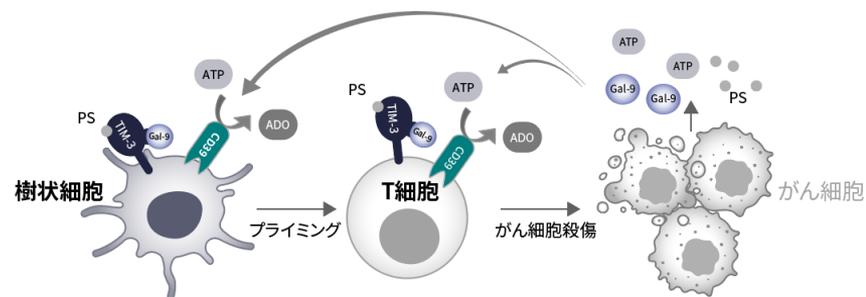


## ■ BP1210は開発先行他社抗体が実現していないリガンドGal-9の結合阻害を、PS結合阻害とともに実現

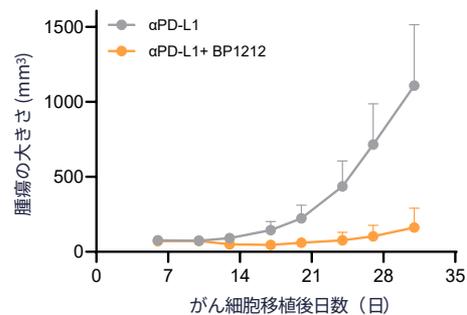
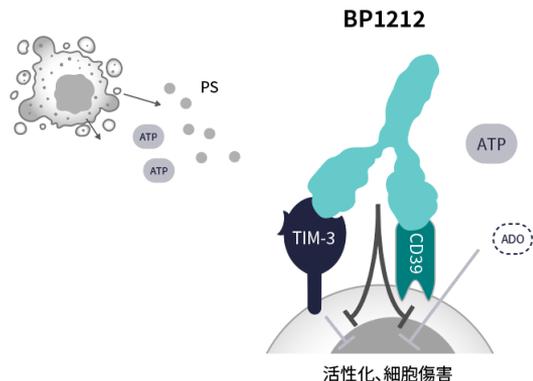


## ■ CD39とTIM-3への作用メカニズムを捉え直したファースト・イン・クラス二重特異性抗体

- 2つの抗腫瘍免疫活性抑制分子CD39とTIM3を標的とする作用メカニズムを再定義
- 2つの免疫抑制経路を複合的に阻害することにより、従来のTIM-3のみを標的とする抗TIM-3抗体またはCD39のみを標的とする抗CD39抗体では成しえなかった抗腫瘍免疫活性亢進を実現
- 従来の抗TIM-3抗体、抗CD39抗体はCD39とTIM3双方を発現する疲弊T細胞を標的としてきたが、当社は新たに、これらを共発現する樹状細胞における同細胞の機能抑制に着目した
- CD39とTIM3を共発現する細胞を選択的にターゲティングする抗CD39×抗TIM-3バイスペシフィック抗体BP1212による抑制解除は強力な抗腫瘍免疫の活性化をもたらす

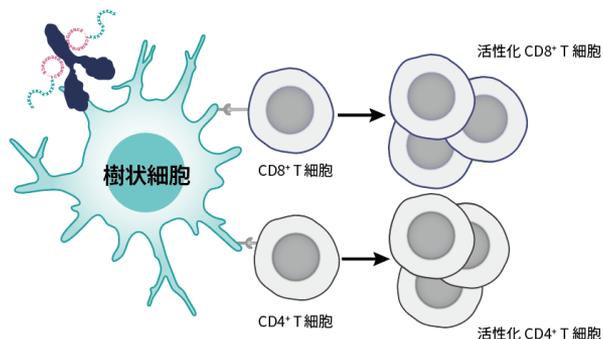
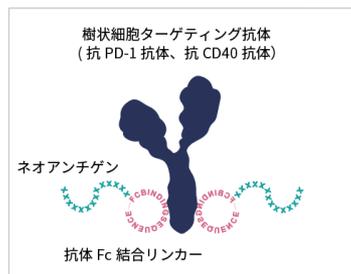


- BP1212は担がんマウスモデルにおいて、免疫チェックポイント抗体併用により強力に腫瘍増殖を抑制した

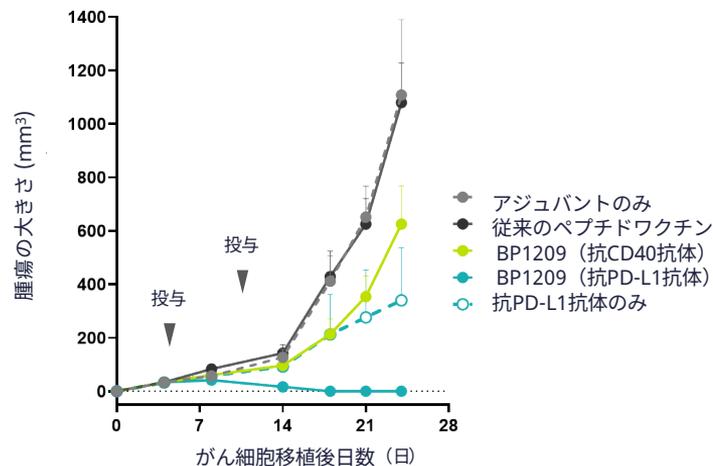


## ■ 樹状細胞へのワクチンデリバリー効果と免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体とネオアンチゲンワクチンの複合体プラットフォーム

- 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

# 会社概要

---



# 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

BrightPath\_

Biotherapeutics