

---

## 個人投資家向け オンライン会社説明会

2021年12月4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）

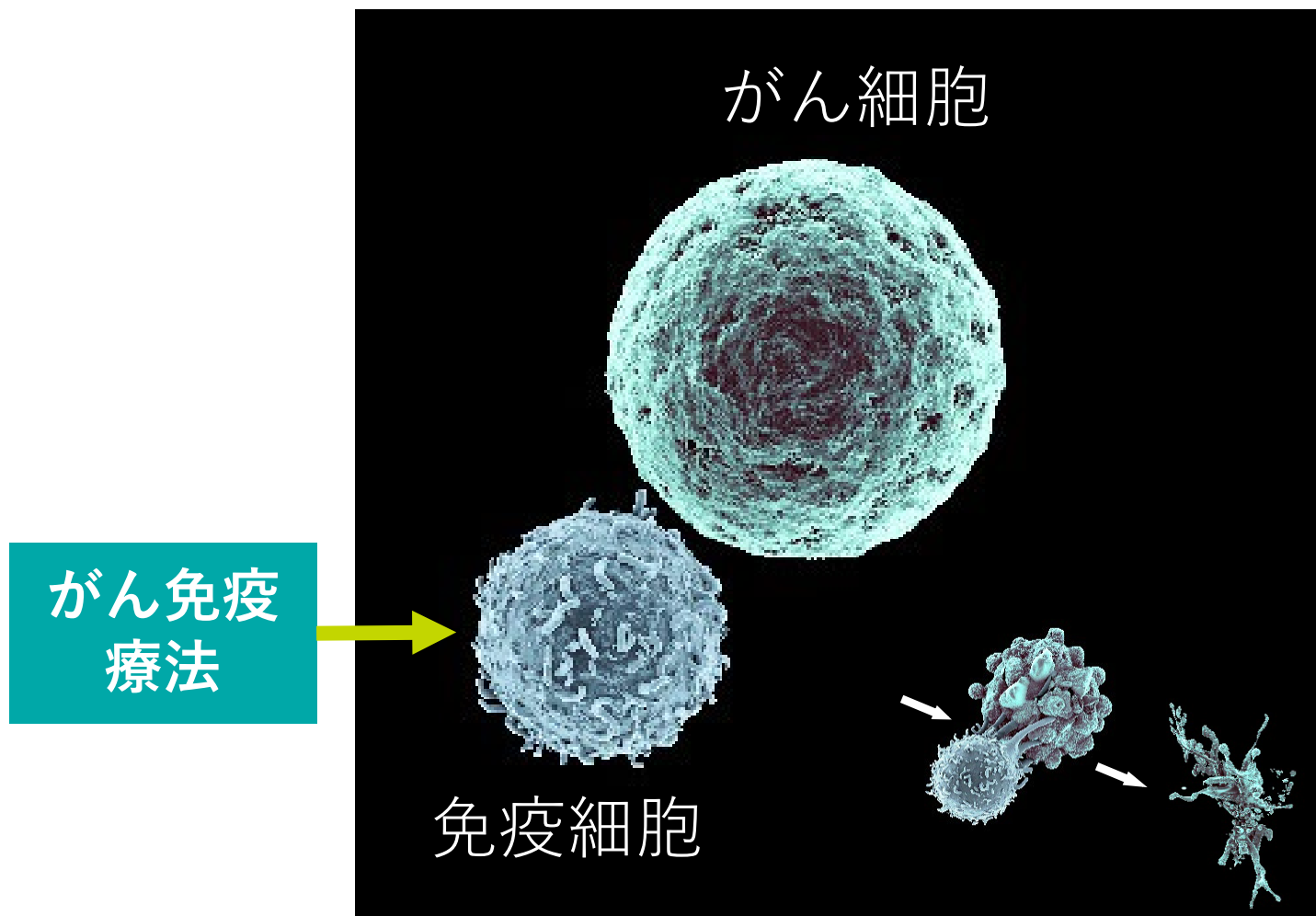
- 本書には、当社に関連する見通し、将来に関する計画、経営目標などが記載されています。これらの将来の見通しに関する記述は、将来の事象や動向に関する現時点での仮定に基づくものであり、当該仮定が必ずしも正確であるという保証はありません。様々な要因により実際の業績が本書の記載と著しく異なる可能性があります。
- 当社は、将来の事象などの発生にかかわらず、既に行っております今後の見通しに関する発表等につき、開示規則により求められる場合を除き、必ずしも修正するとは限りません。
- 本資料は、投資者に対する情報提供を目的として、経営情報や財務情報等の情報及び将来の事業計画等を記載したものであり、投資勧誘を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。

**BrightPath**—  
Biotherapeutics

がん免疫治療薬の開発に  
特化した創薬ベンチャー

# がん免疫療法とは

- 免疫システムに働きかけ、免疫システムががん細胞を排除



## ■ がん免疫治療薬が50年サイクルで起こるがん治療の革新を牽引

局所

再発・転移

がんの進行

1846

1903

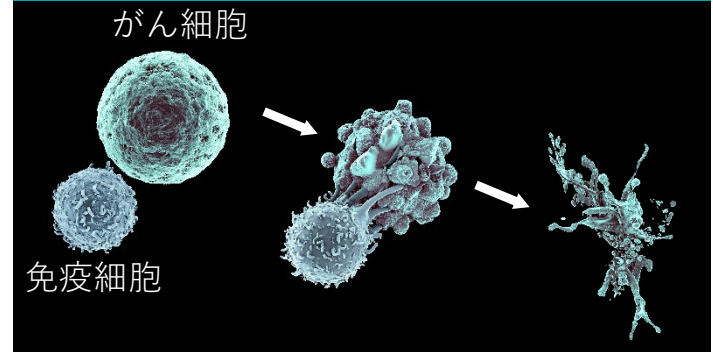
1949

2010

放射線療法



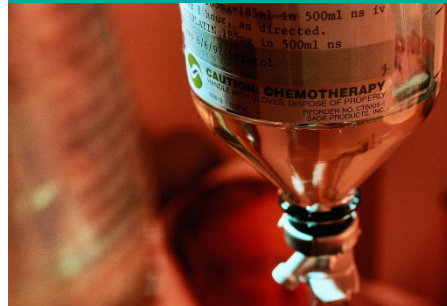
第4の治療法: がん免疫治療



外科手術



化学療法



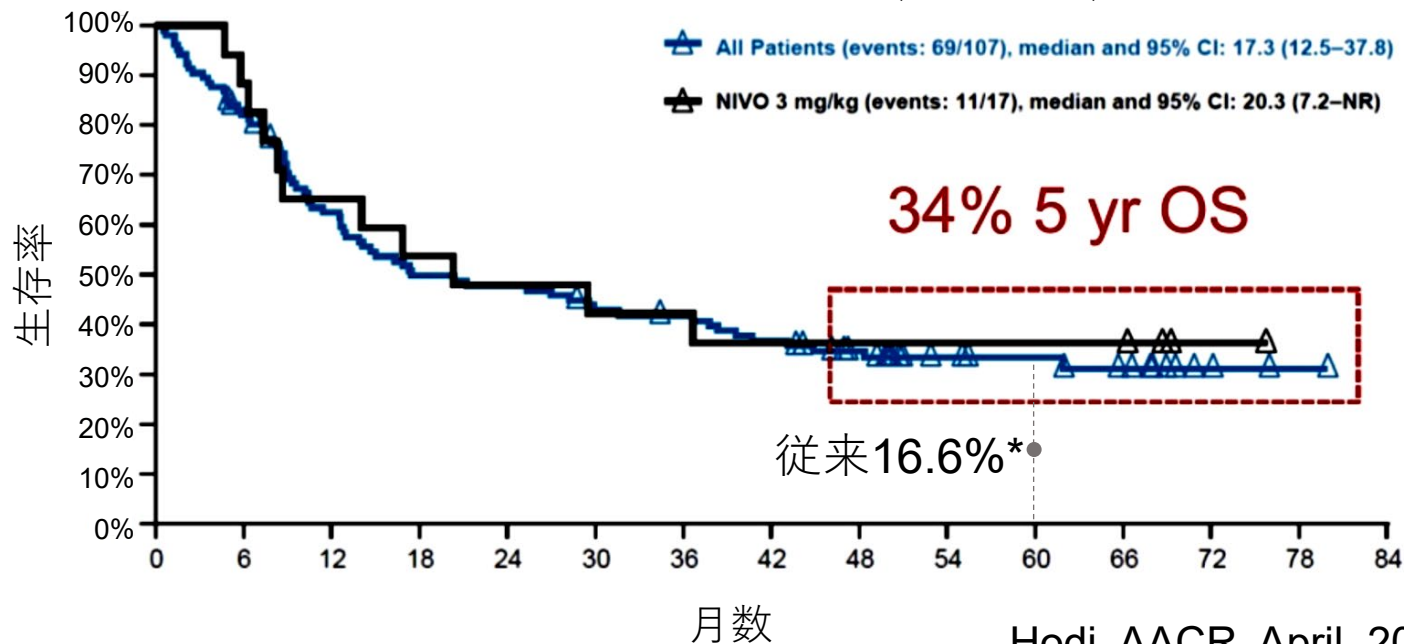
# 環境

## ■ 免疫チェックポイント抗体治療により、一部の進行がん患者が治癒できる可能性が現実味を帯びてきた

### ■ オプジーボ（抗PD-1抗体） 第1相臨床試験 5年全生存期間

## Overall Survival at 5 Years of Follow-up

全生存期間 5年超フォローアップ（悪性黒色腫）

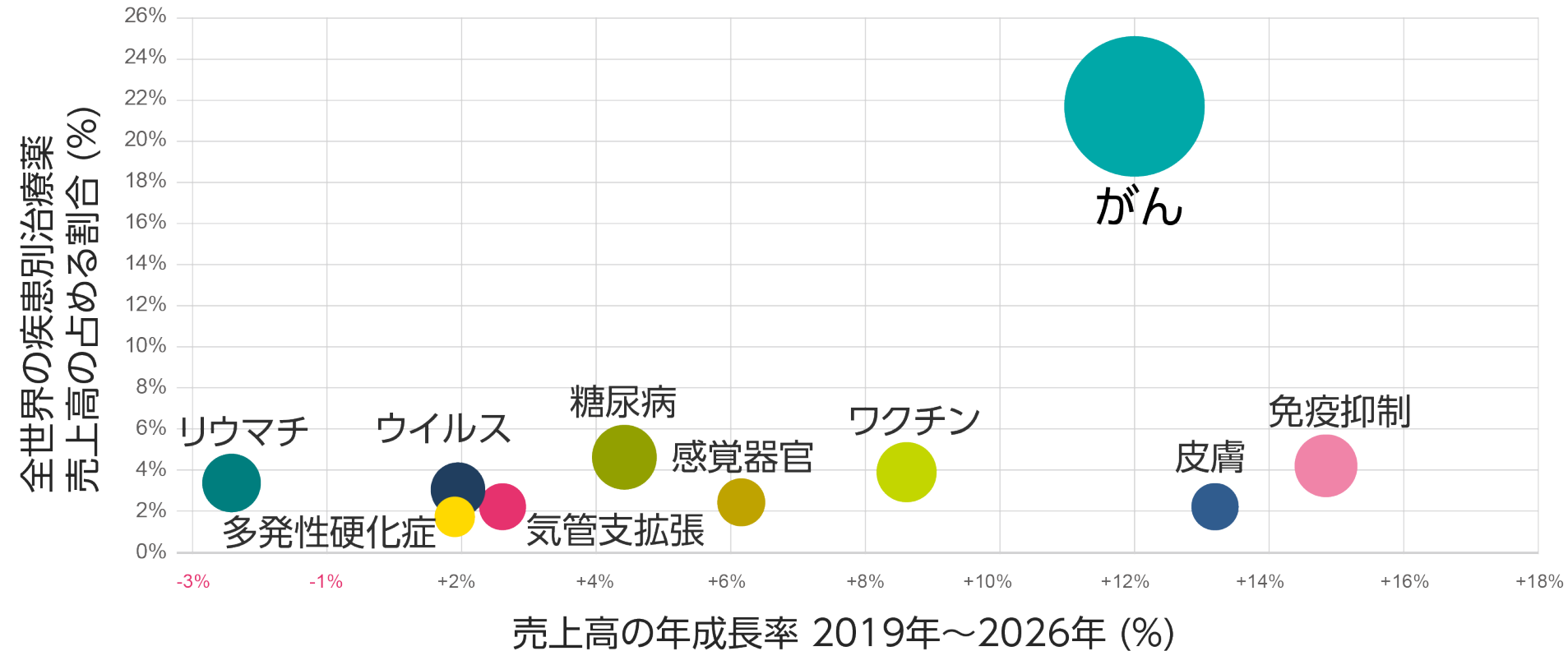


Hodi, AACR April, 2016

\*5-year survival rate for metastatic melanoma patients diagnosed between 2005 and 2011, NCI SEER

# 環境

## ■ 医薬品市場におけるがん治療薬の圧倒的な存在感

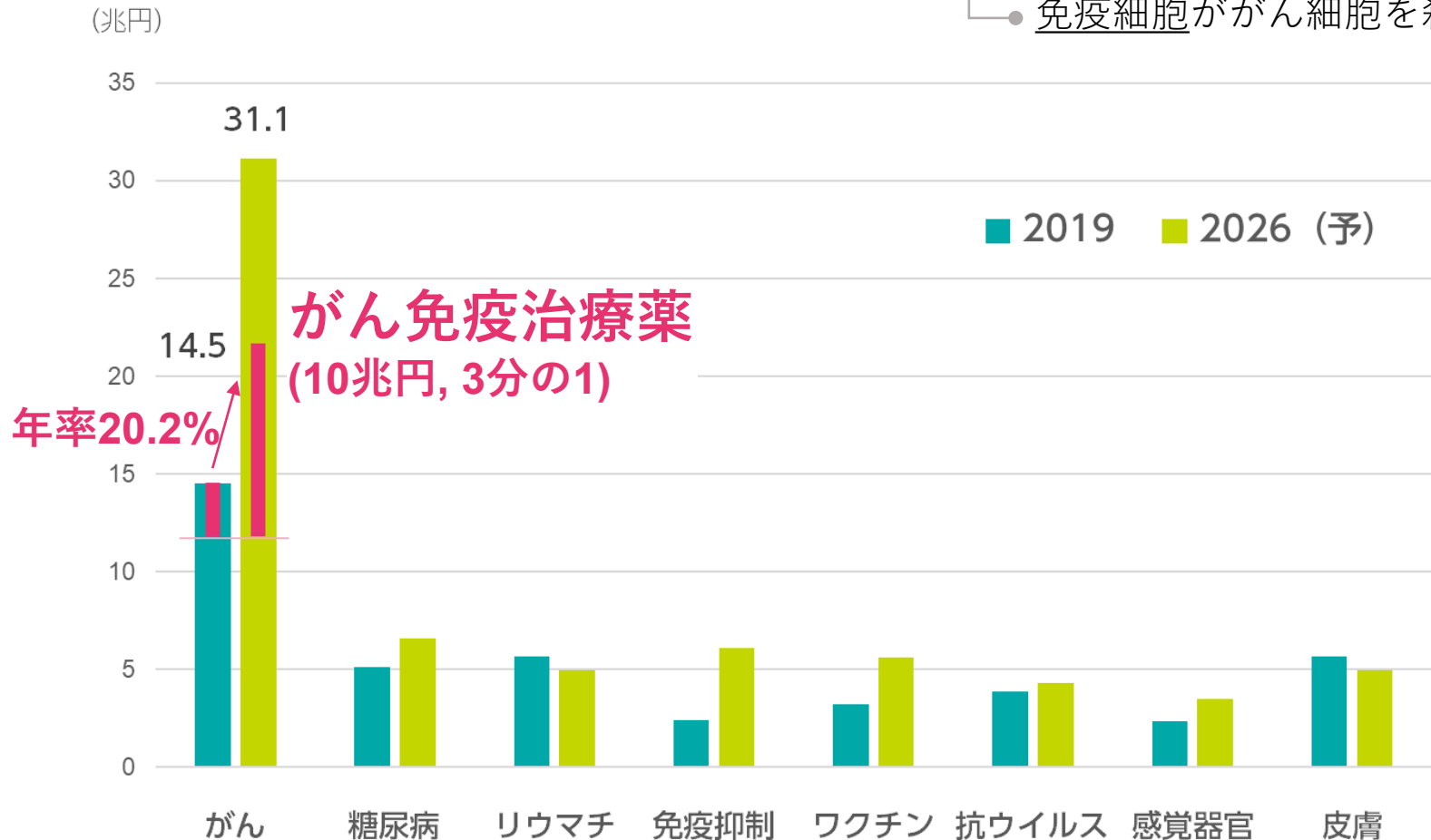


出典： EvaluatePharma, July 2020

## ■ 医薬品市場の成長を牽引するがん免疫治療薬

● がん免疫のメカニズムを利用

● 免疫細胞ががん細胞を殺傷







京都大学の本庶佑特別教授がノーベル生理学・  
医学賞を受賞。

「免疫チェックポイント抗体は、がん治療の  
まったく新しい原則を確立した」

ノーベル財団

---



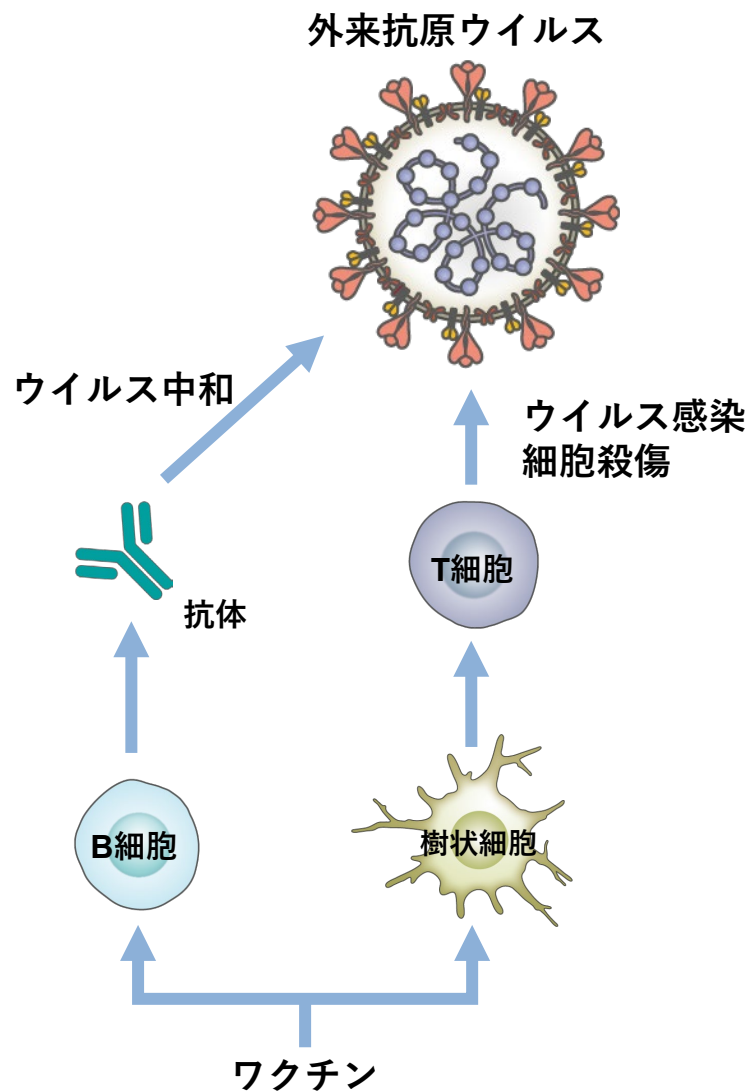
# 免疫とは

ウイルスや病原菌などの外敵、がんなどの内敵から体を守るための、特定の細胞・組織・臓器から成るシステム

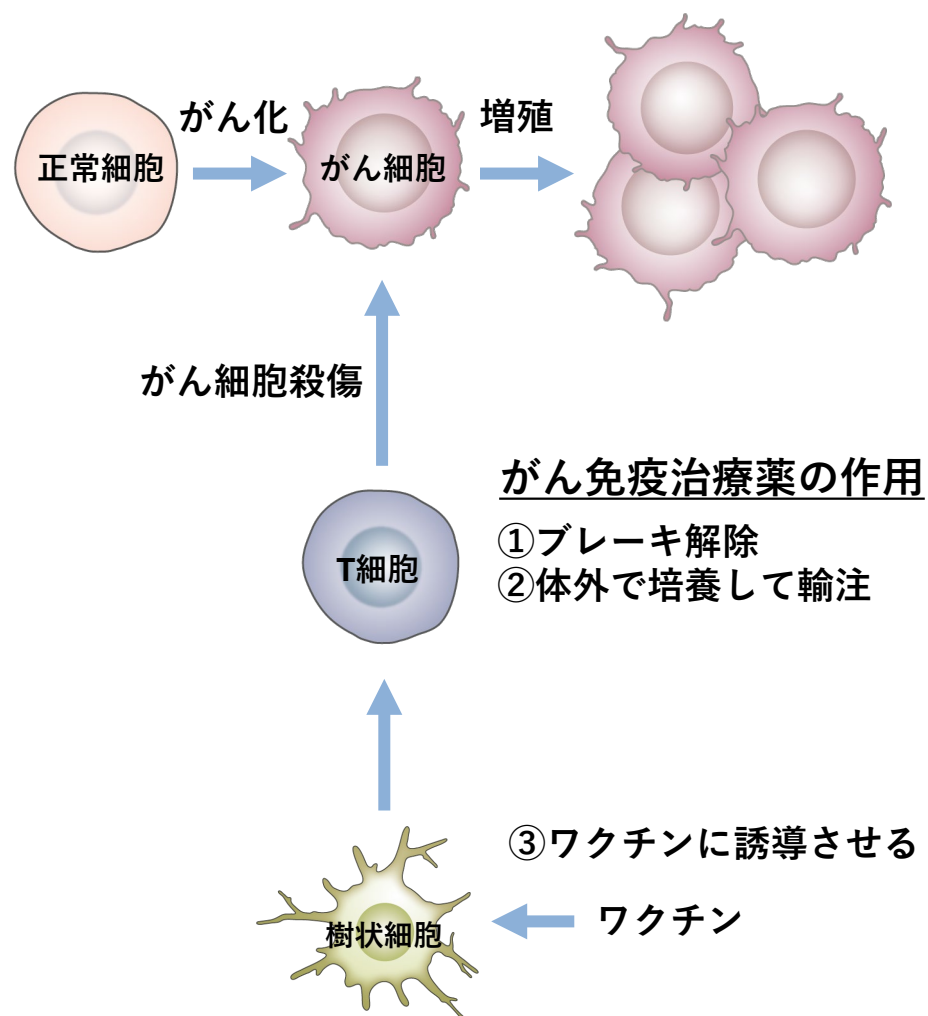


# 免疫とは

## 抗ウイルス免疫の場合



## がん免疫 (抗腫瘍免疫) の場合

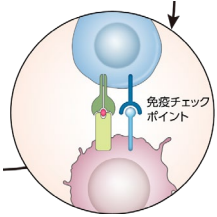


# 環境

## ■ 上市されているがん免疫治療薬



### T細胞のブレーキ解除



#### 抗CTLA-4抗体

Yervoy (\$2.0bn)

#### 抗PD-1抗体

Keytruda (\$23.3bn)

Opdivo (\$10.5bn)

Jemperli (new)

#### 抗PD-L1抗体

Tecentriq (\$5.3bn)

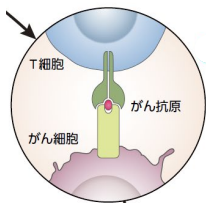
Imfinzi (\$2.2bn)

Bavencio (new)

(2011-)



### T細胞を体外で培養して輸注



#### CAR-T細胞

Kymriah (\$1.0bn),

Yescarta (\$2.0bn)

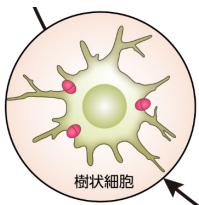
Breyanzi (new)

Abecma (new)

(2017-)



### T細胞を活性化させるワクチン



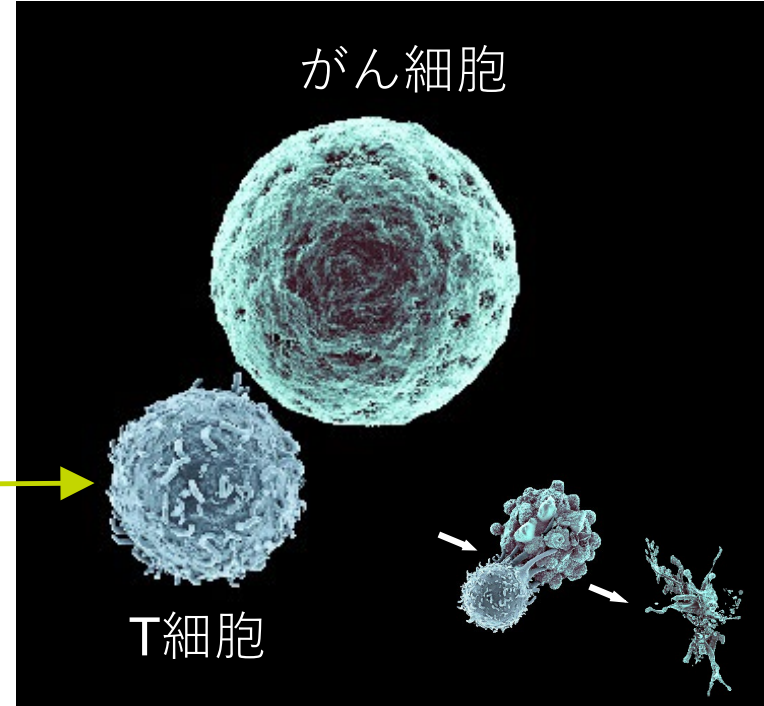
#### 樹状細胞ワクチン

Provenge (-)

(2009)

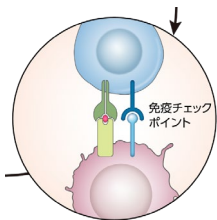
( ) : 2024年売上高予想(10億ドル),  
EvaluatePharma January 2020

がん免疫  
療法



## 上市されているがん免疫治療薬

### T細胞のブレーキ解除



#### 抗CTLA-4抗体

Yervoy (\$2.0bn)

#### 抗PD-1抗体

Keytruda (\$23.3bn)

Opdivo (\$10.5bn)

Jemperli (new)

#### 抗PD-L1抗体

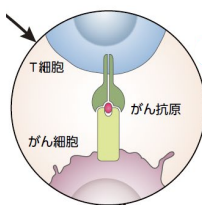
Tecentriq (\$5.3bn)

Imfinzi (\$2.2bn)

Bavencio (new)

(2011-)

### T細胞を体外で培養して輸注



#### CAR-T細胞

Kymriah (\$1.0bn),

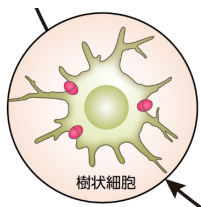
Yescarta (\$2.0bn)

Breyanzi (new)

Abecma (new)

(2017-)

### T細胞を活性化させるワクチン



#### 樹状細胞ワクチン

Provenge (-)

(2009)

( ): 2024年売上高予想(10億ドル),  
EvaluatePharma January 2020

## ブライトパスの開発パイプライン

### 抗体医薬

BP1200	(CD73)
BP1210	(TIM-3)
BP1202	(非開示)
BP1211	(PVR)

### 細胞医薬

iPS-NKT	U (医師主導治験実施中)
BP2301 (HER2 CAR-T)	U (来年度初めに臨床試験開始予定)

### がんワクチン

GRN-1201	U (米国で企業治験実施中)
4種腫瘍関連抗原	
BP1101	
遺伝子変異抗原	
BP1209 (次世代)	
遺伝子変異抗原 + 抗体デリバリー	

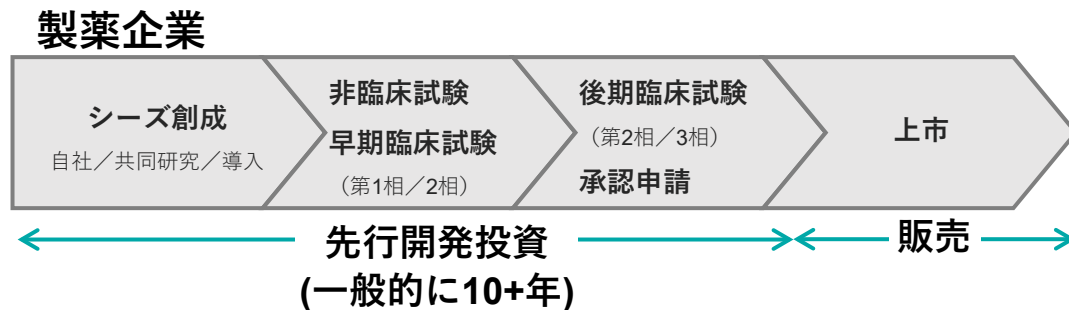


# 事業モデルと収益構造

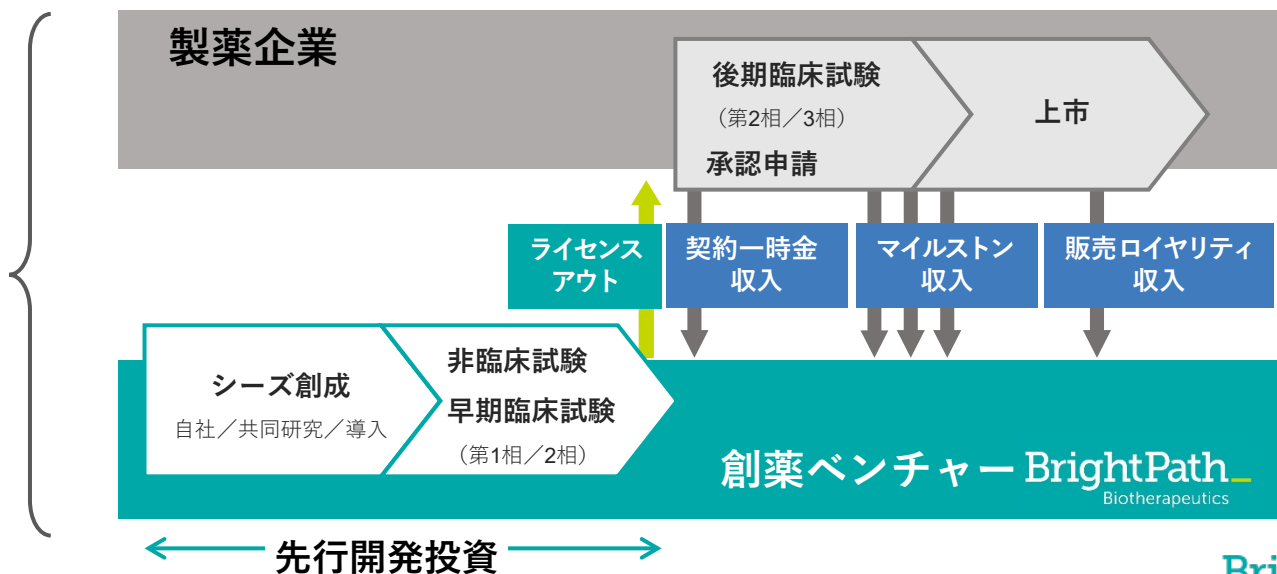
- 新薬開発の途中で、製薬企業に、開発・製造・販売ライセンスを渡すことで、開発投資先行期間を短縮し、早期収益化を図るモデル

医薬品産業における

一気通貫モデル



分業モデル



# 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    (2022年4月からの新市場区分はグロース市場へ移行予定)

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                6,574百万円 (2021年9月末現在)

社員数                42名 (2021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





# 開発パイプライン

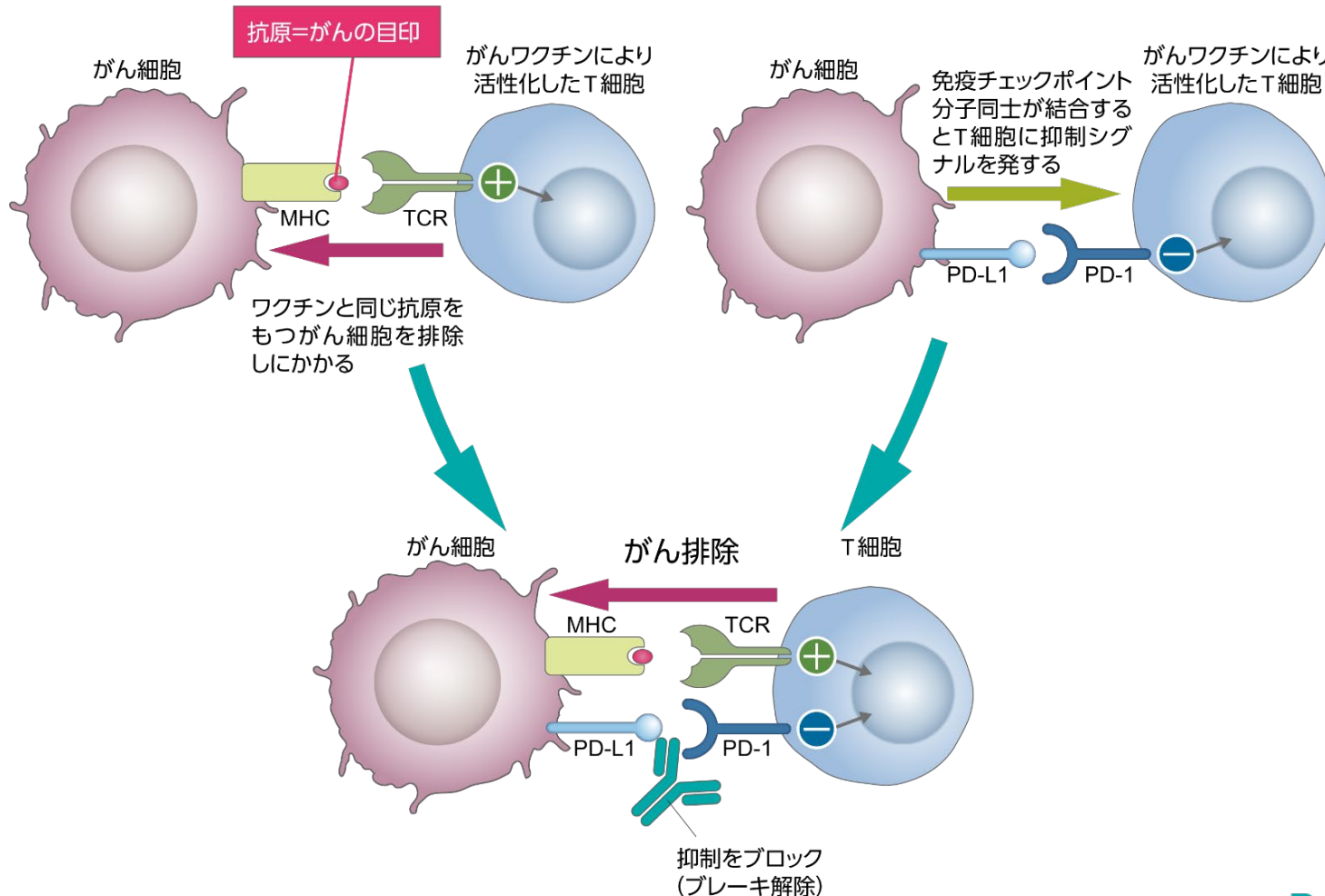
# パイプライン

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	臨床PI	臨床PII
<b>がんワクチン</b>						
GRN-1201	4種共通抗原	肺がん メラノーマ	ペンプロリズマブ併用			
BP1101	ネオアンチゲン					
BP1209	次世代ネオアンチゲン					
BP1401	TLR9アゴニスト					
<b>細胞</b>						
iPS-NKT BP2301	iPS細胞由来再生NKT細胞 HER2 CAR-T	頭頸部がん 固形がん 骨・軟部肉腫				
<b>抗体</b>						
BP1200	CD73					
BP1210	TIM-3					
BP1202	(非開示)					
BP1206	HLA-DR					
BP1211	PVR					

# GRN-1201: がんペプチドワクチン

ワクチン

- 4種のがん抗原のワクチン接種により、がんを殺傷するT細胞を活性化
- 免疫チェックポイント抗体の併用により、T細胞の活性をさらに高める



# GRN-1201: がんペプチドワクチン

ワクチン

- 非小細胞肺癌を対象に、米国で第2相臨床試験を実施中
- がんワクチン併用により、免疫チェックポイント抗体の単剤投与では効かない患者に、効くようにする
- 日米欧での推定患者数：71,000人（2025年）\*
- 2021年度第4四半期に、第2相試験のステージ1結果を公表予定

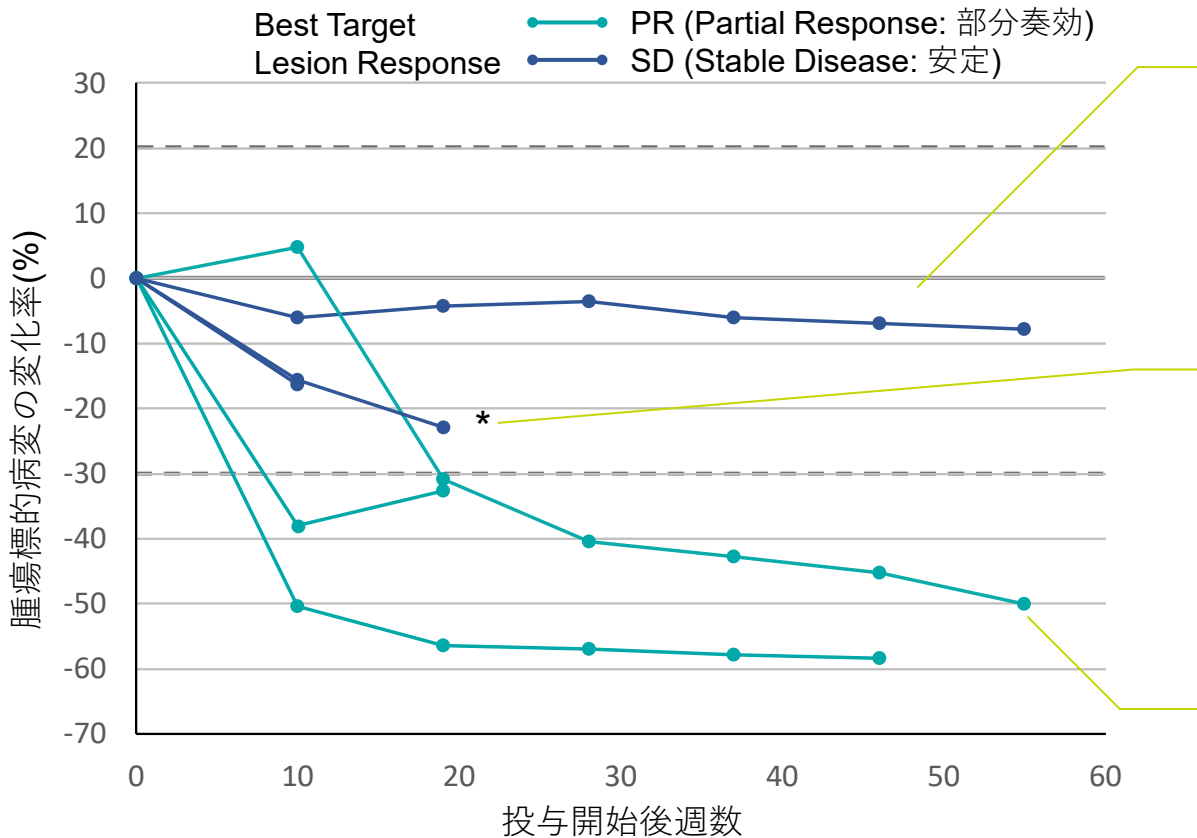
\* 出所：Datamonitor Healthcare® | Informa, 2020、Dietel et al. Lung Cancer 134(2019)、ブライトパス・バイオ

# GRN-1201: がんペプチドワクチン

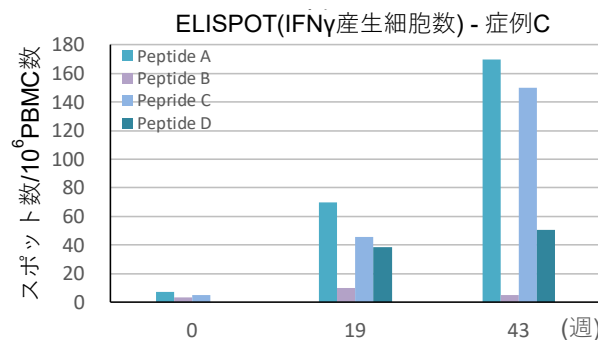
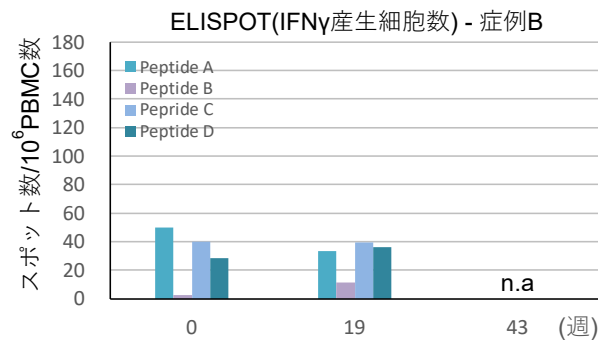
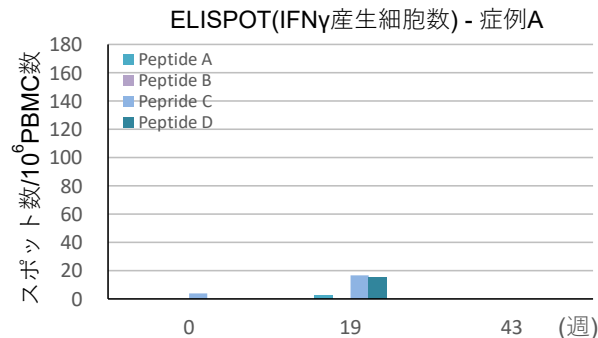
ワクチン

## ■ 第2相臨床試験ステージ1 途中報告: 臨床効果と免疫レスポンスが相関

投与開始からの腫瘍標的病変の変化率(2020年5月時点)



\*この後、新病変の出現によりPD(Progression Disease:進行)判定



Direct ELISPOT(24h)による

BrightPath  
Biotherapeutics

# がんワクチンの競合環境

ワクチン

ブライトパス	主な相違点	競合開発品	段階	がん種	開発企業 (導出先/共同開発)	時価総額
GRN-1201	<ul style="list-style-type: none"> <li>共有野生抗原 vs 共有NeoAg</li> <li>ペプチド vs mRNA</li> </ul>	BNT111	第2相	メラノーマ	BioNTech	6.2兆円
		SLATE	第1相	肺がん他	Gritstone	883億円
BP1101	<ul style="list-style-type: none"> <li>ペプチド vs mRNA</li> </ul>	iNeST	第2相	メラノーマ	BioNTech / Roche	6.2兆円
		mRNA-4157	第2相	メラノーマ	Moderna / Merck	10.7兆円
		GRANITE	第1相	大腸がん他	Gritstone	883億円
BP1209	<ul style="list-style-type: none"> <li>抗体+ペプチド vs DNA</li> </ul>	VB10.NEO	第2相	頭頸部他	Nykode(旧Vaccibody) / Roche	2,537億円

時価総額：2021年11月10日時点  
 為替レート：2021年11月25日時点  
 1米ドル=115.33円

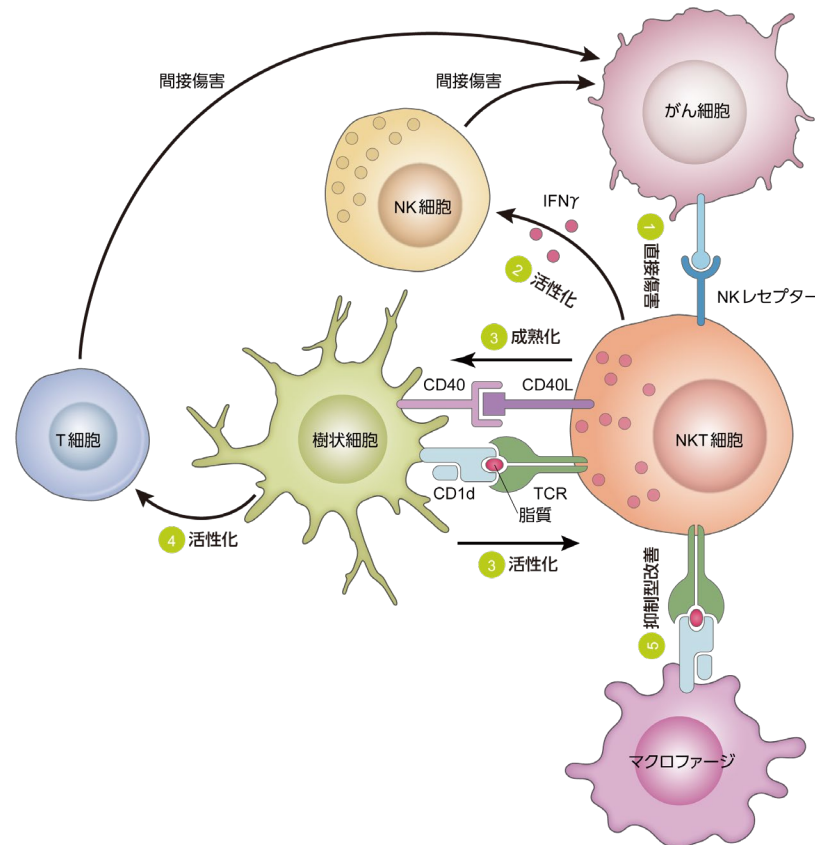
出所：各企業

# iPS-NKT: 再生NKT細胞療法

## ■ iPS細胞から作成したNKT細胞による新規がん免疫細胞療法

- 多面的な効果をもつものの、血中に僅かにしか存在しないNKT細胞を、iPS細胞から人工的に作成、効果が期待できる十分量の細胞をがん患者に供与

### ■ 多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞

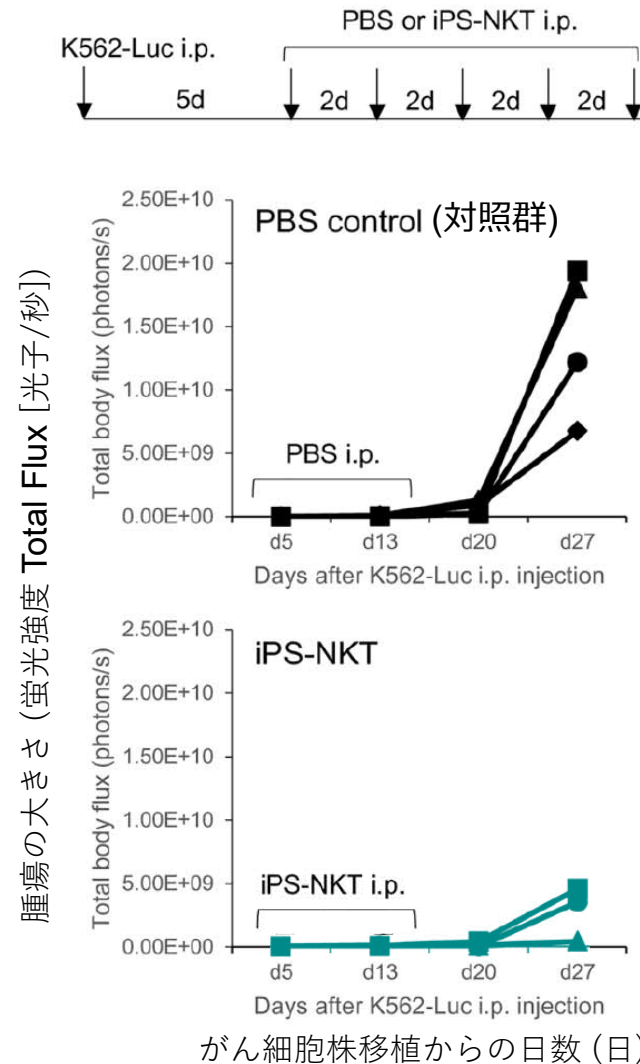
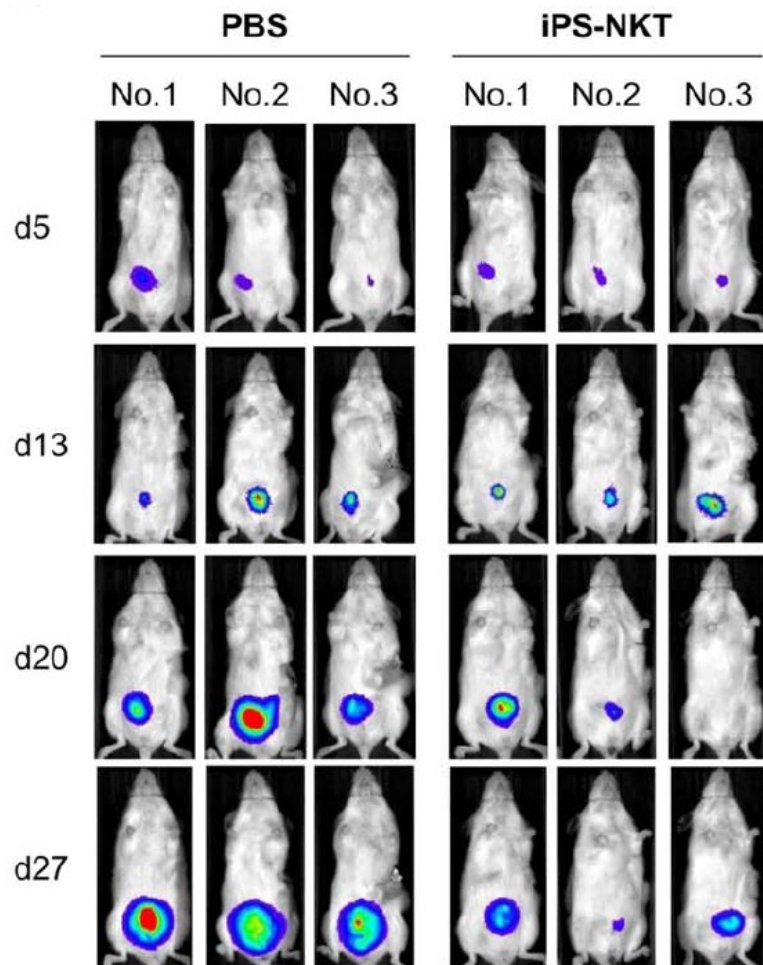


- 頭頸部がんを対象に、千葉大学病院で医師主導治験（第1相臨床試験）を実施中
- NKT細胞へ分化するiPS細胞マスターセルバンクと、iPS細胞からNKT細胞へ再分化させる技術を確立
  - それが世界に先駆けて臨床応用されている
- 幅広いがん種への適用が可能
- 日米欧で成立済の特許で広範に守られている
- 次の企業治験にむけて、細胞の製造方法を確立中



# iPS-NKT: 再生NKT細胞療法

## ■ 担がんマウスモデルにおける抗腫瘍活性：iPS-NKTはがん細胞の増殖を抑制

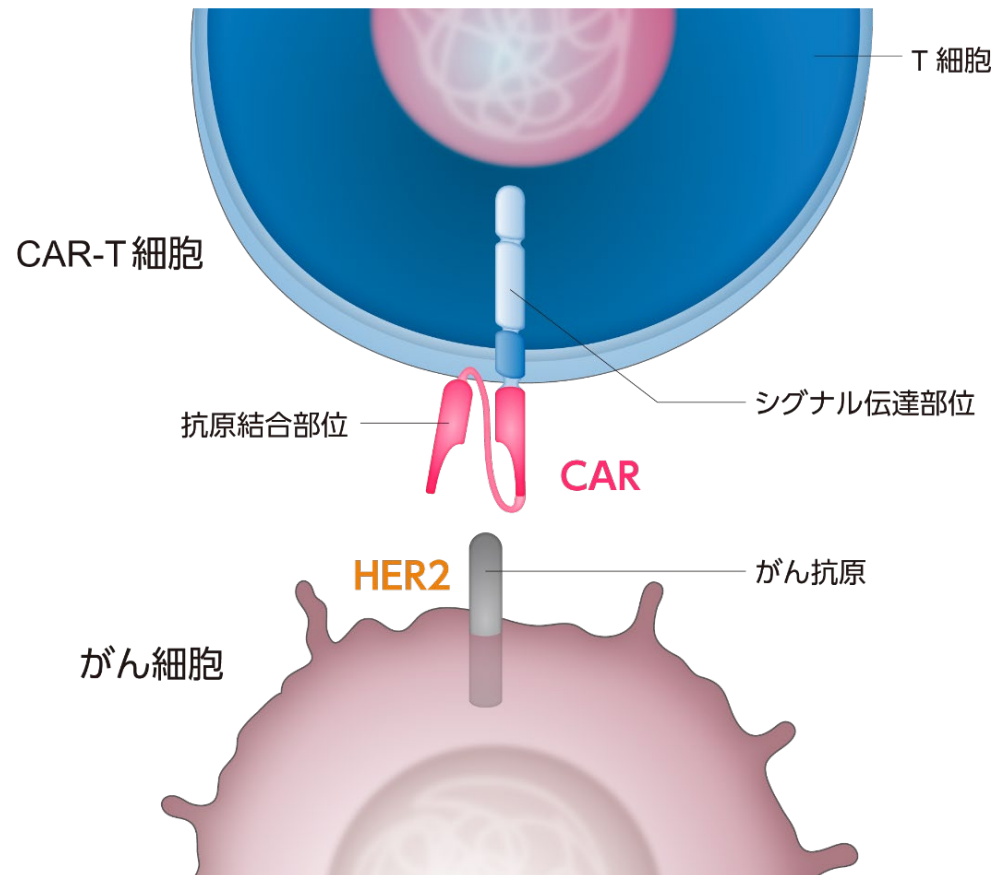


出所: Yamada et al., *Stem Cells*. 2016

# BP2301: HER2 CAR-T 細胞療法

細胞

- がん抗原HER2を認識するセンサーとして、キメラ抗原受容体（CAR）遺伝子を患者血液中のT細胞に遺伝子導入し、患者に投与して、体内のがん細胞を殺傷させる



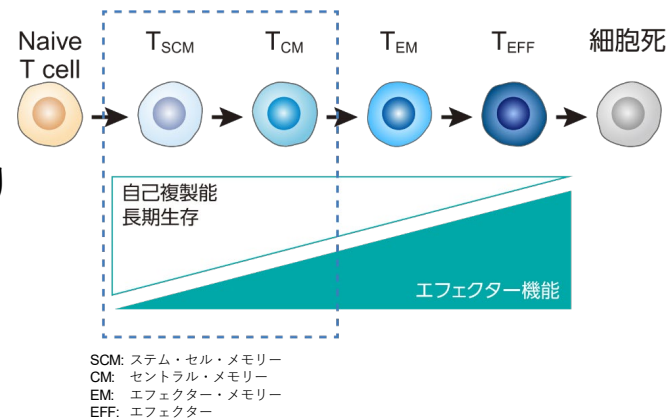
## ■ 固形がんのハードル

- 血液がんでは奏効率70-90%に至るも固形がんではなかなか効かない
- 固形がんの目印としてなかなか適切ものがない
- CAR-T細胞が体内でがんに対峙したときに、免疫抑制的な腫瘍組織において増えずに、すぐに疲弊してしまって機能しなくなる

## ■ 固形がんのハードルをクリアするメカニズムを織り込んだCAR-T

- HER2を標的とする
- 幹細胞様のT細胞を用いる
  - 非ウイルスCAR遺伝子導入法(piggyBac法)と特殊な細胞培養法(特許共同出願中)により幹細胞様のT細胞の製造が可能に

### ■ T細胞の分化とフェノタイプ(免疫表現型)



## ■ 2022年度に第1相臨床試験を開始予定

# BP2301: HER2 CAR-T 細胞療法

細胞

## ■ 直近実施されたHER2 CAR-T臨床試験とBP2301

- 既に米国で良い臨床試験成績を収めているHER2 CAR-Tを、より良いフォーマットで開発

臨床試験	中国人民解放军总医院 2017	米ペイラー医科大学 2017	米ペイラー医科大学 (HEROS2試験) 2019	BP2301 2022年度 開始
CAR遺伝子導入	レンチウイルス ベクター	レトロウイルス ベクター	レトロウイルス ベクター	piggyBac (非ウイルス)
治験対象がん種	胆管細胞がん すい臓がん	膠芽腫	骨・軟部肉腫	骨・軟部肉腫 固形がん
患者数	11	17	10	
有害事象	中程度	中程度	中程度	
臨床効果	部分奏功 1例	部分奏功 1例	完全奏功 2例	
体内でのCAR-T 細胞数	中	少	多	

# BP2301: HER2 CAR-T 細胞療法

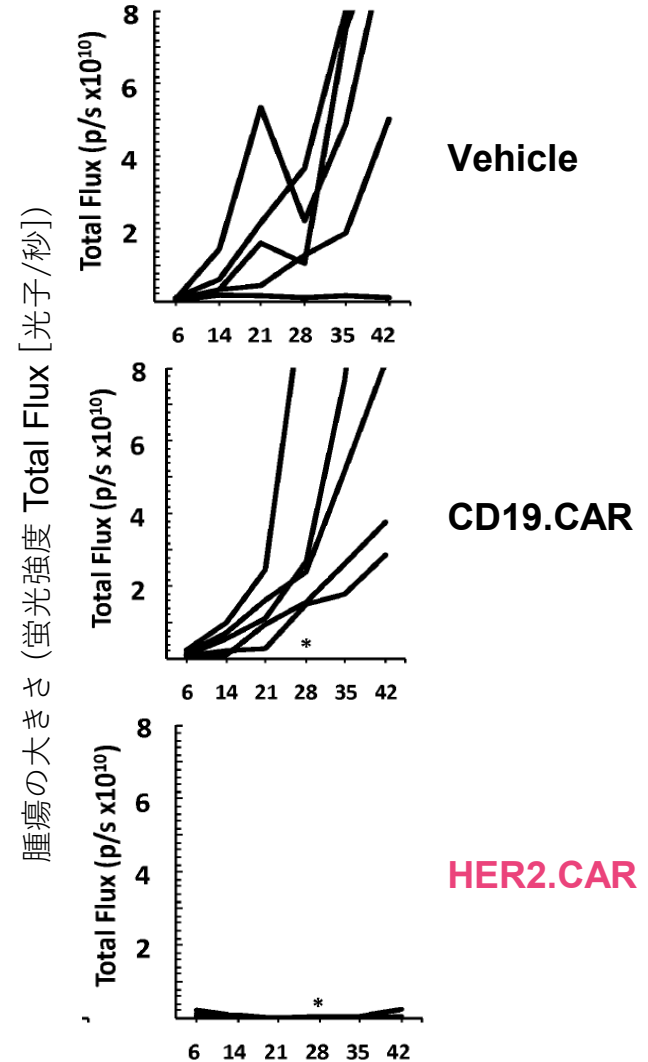
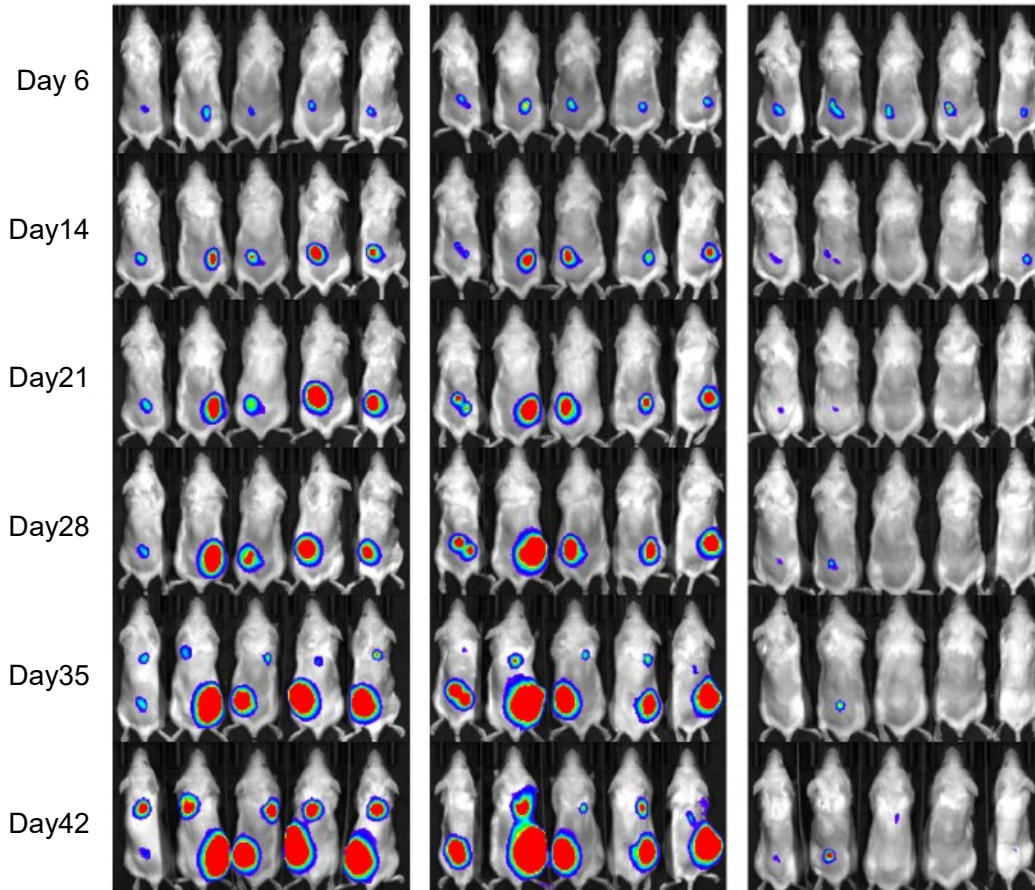
細胞

■ 担がんマウスモデルにおいてHER2陽性がん細胞の増殖を抑制

Vehicle

CD19.CAR

HER2.CAR



がん細胞株移植からの日数 (日)

出所： 信州大学, プライトパス・バイオ

# BP2301: HER2 CAR-T 細胞療法

細胞

## ■ 競合環境

- 幹細胞(様)T細胞を駆使し固形がんにも有効なCAR-T細胞を創製
- 同じ非ウイルス遺伝子導入法を用い幹細胞様CAR-Tを作製するCAR-Tプレイヤーがベンチマーク

競合品	開発段階	がん種	開発企業	時価総額
P-BCMA-101	第2相	多発性骨髄腫	POSEIDA	504億円
P-PSMA-101	第1相	前立腺がん		

時価総額：2021年11月10日時点  
為替レート：2021年11月25日時点  
1米ドル=115.33円

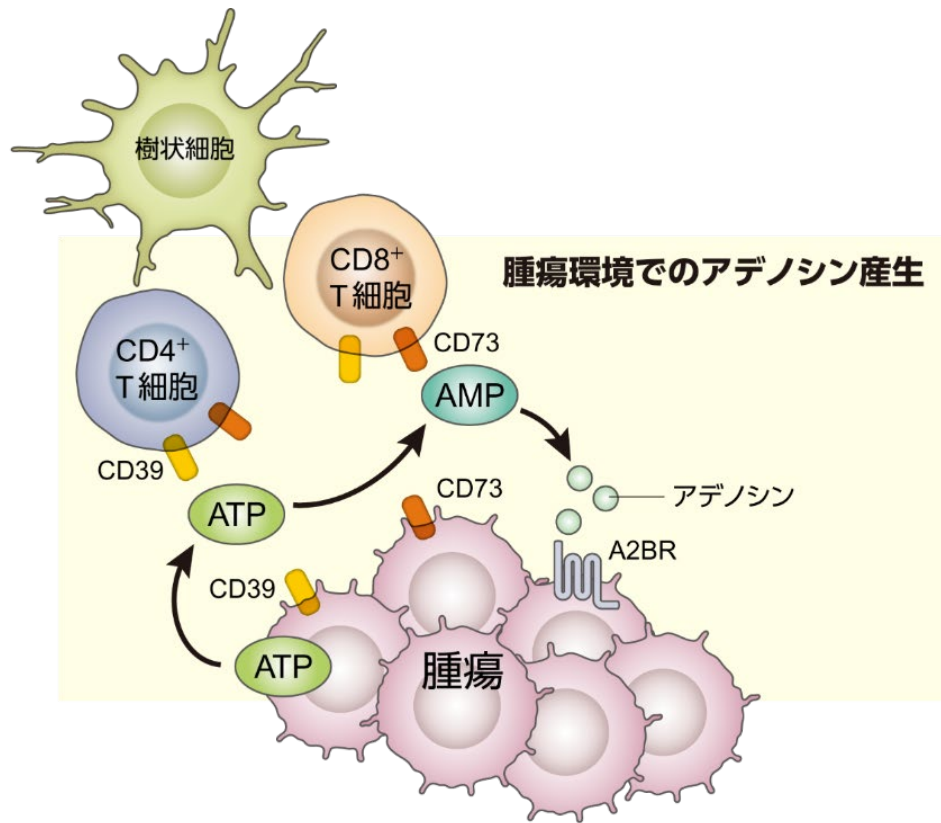
出所：各企業



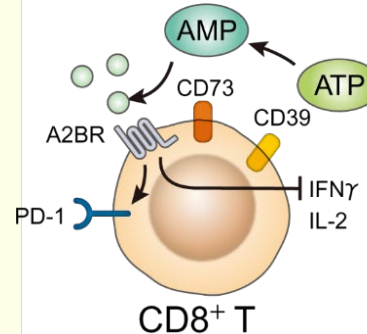
# BP1200: CD73抗体

## ■ CD73を標的とする新規腫瘍環境改善・免疫活性化抗体

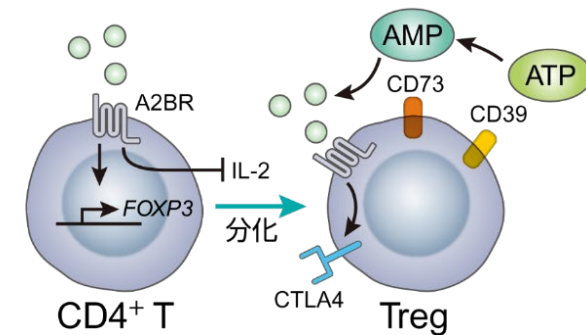
- 腫瘍内のアデノシンは、T細胞の疲弊と抑制を引き起こし、免疫活性を低下させる
- CD73は多くの腫瘍で高発現してアデノシンの産生に関与し、予後不良を引き起こす



### ■ 腫瘍細胞傷害性の抑制



### ■ 抑制性T細胞への分化促進

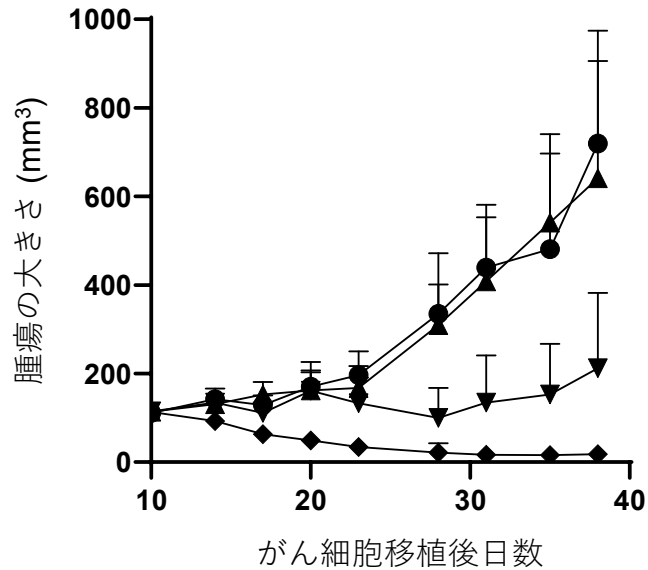


# BP1200: CD73抗体

## ■ 先行開発品を上回る効果

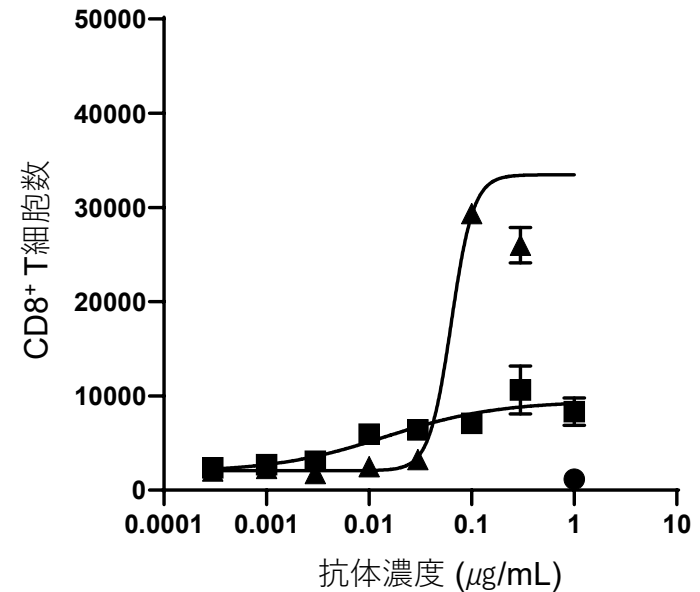
- 免疫チェックポイント抗体との併用により、腫瘍の増殖を強く抑制
- T細胞の増殖と活性化を促進

### ■ 担がんマウスモデルの腫瘍抑制



- ▲ BP1200
- ◆ BP1200 + 抗PD-1抗体
- ▼ 抗PD-1抗体
- 陰性コントロール抗体

### ■ T細胞の増殖促進と活性化



- ▲ BP1200
- 他社ベンチマーク抗体
- 陰性コントロール抗体

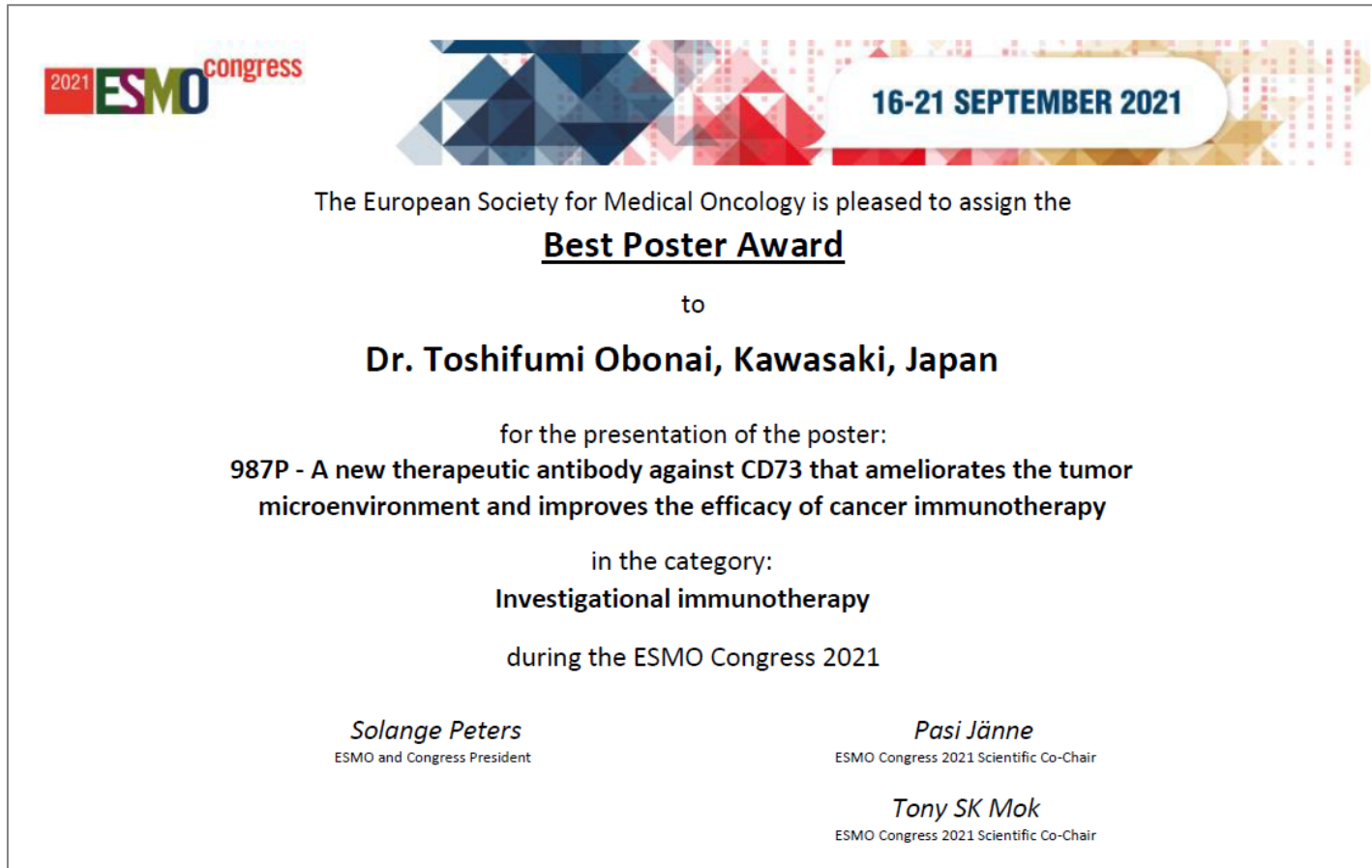
出所： ブライトパス・バイオ ESMO2021



# BP1200: CD73抗体

抗体

- ESMO 2021（欧州臨床腫瘍学会）でベストポスター賞を受賞



発表ポスター：[https://www.brightpathbio.com/publications/20210916\\_esmo2021\\_bp1200.pdf](https://www.brightpathbio.com/publications/20210916_esmo2021_bp1200.pdf)

## ■ 競合環境

### ■ 過去のライセンス取引がベンチマーク

メガファーマによる、アデノシンの産生阻害関連抗体のライセンス取引

導入企業	標的	導出企業	取引日	取引時の段階	取引条件 (販売ロイヤリティ除く)
Gilead	CD73抗体	Arcus	2020.5	第1相試験	10開発品の一括取引 契約一時金202億円+出資231億円 総額1,845億円
Abbvie	CD39抗体	Tizona	2019.1	治験申請直前 (治験申請 2019.4)	導入オプション料+共同開発費で アップフロント121億円
Gilead	CD73抗体 x TGFβRII	Agenus	2018.12	治験申請直前 (治験申請 2019.5)	3開発品の一括取引 契約一時金138億円+出資35億円 総額1,961億円
Astra Zeneca	CD39抗体	Innate Pharma	2018.10	非臨床 (治験申請 2020.3)	導入オプション料+共同開発費で アップフロント58億円
Novartis	CD73抗体	Surface Oncology	2016.1	非臨床 (治験申請 2018.6)	現在以降のマイルストーン総額 605億円

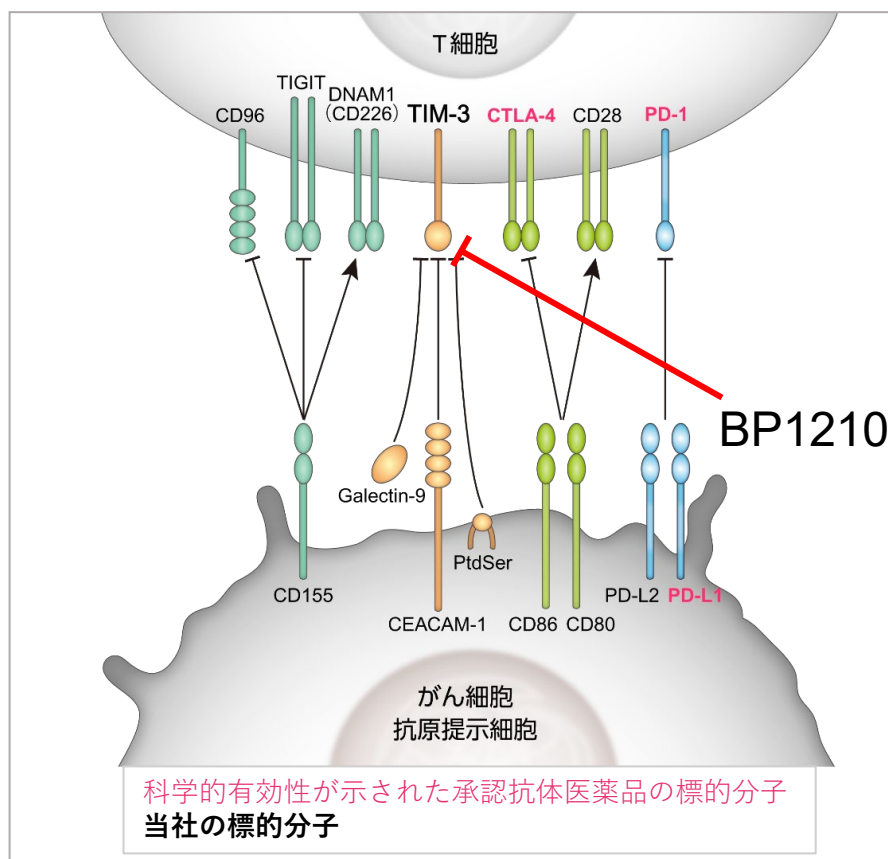
為替レート：2021年11月25日時点 1米ドル=115.33円

出所：各企業

# BP1210: TIM-3抗体

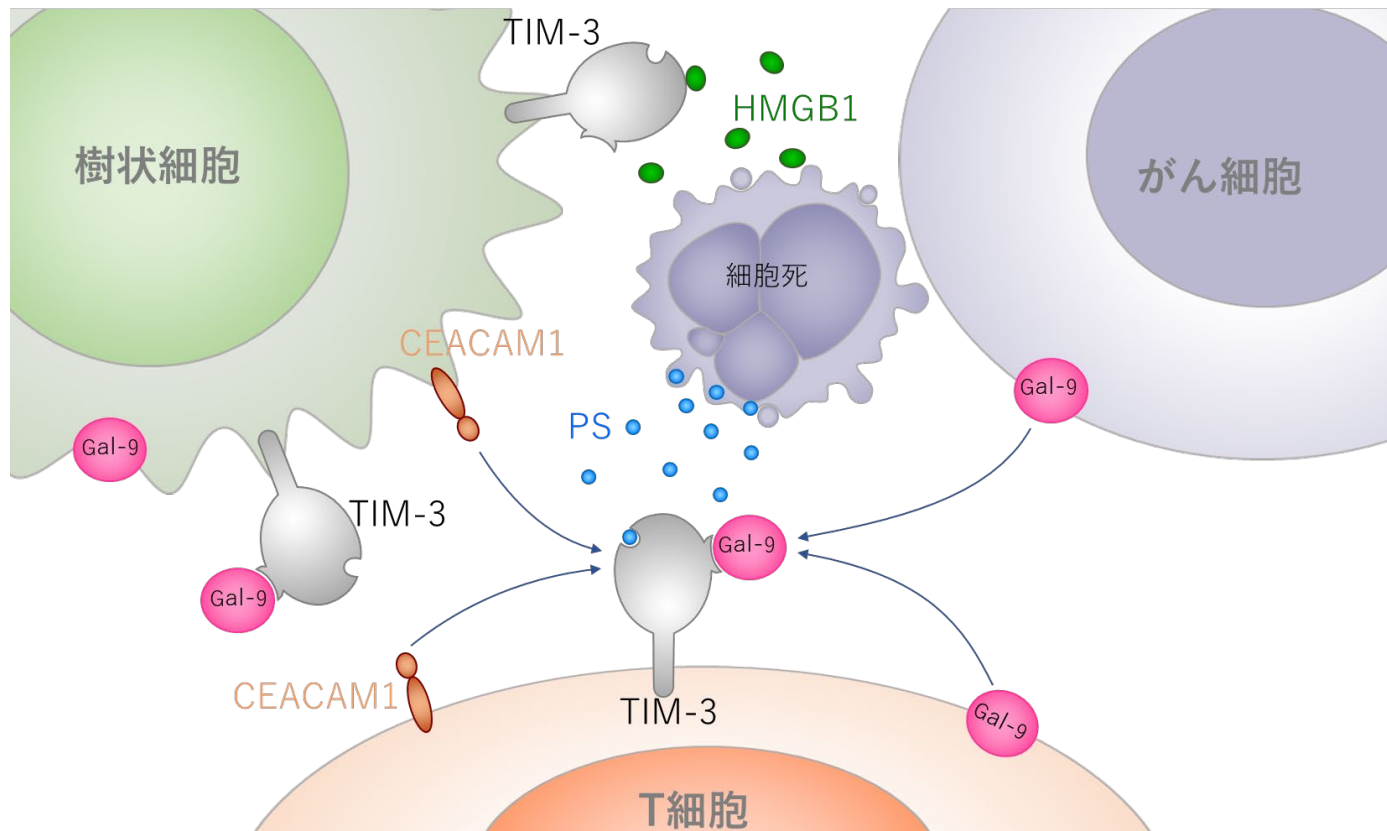
抗体

- PD-1抗体、PD-L1抗体、CTLA-4抗体に続く新規免疫チェックポイントTIM-3を阻害する抗体
- T細胞の疲弊を抑制し、免疫活性を上げる
  - 当社のターゲット免疫チェックポイント分子群



# BP1210: TIM-3抗体

- TIM-3の免疫を抑制する物質が複数存在  
ホスファチジルセリン(PS)、CEACAM1、ガレクチン9(Gal-9)、HMGB1
- 既存のTIM-3抗体では、これらの物質との結合を同時に阻害できず、免疫抑制を完全に抑えることができなかった

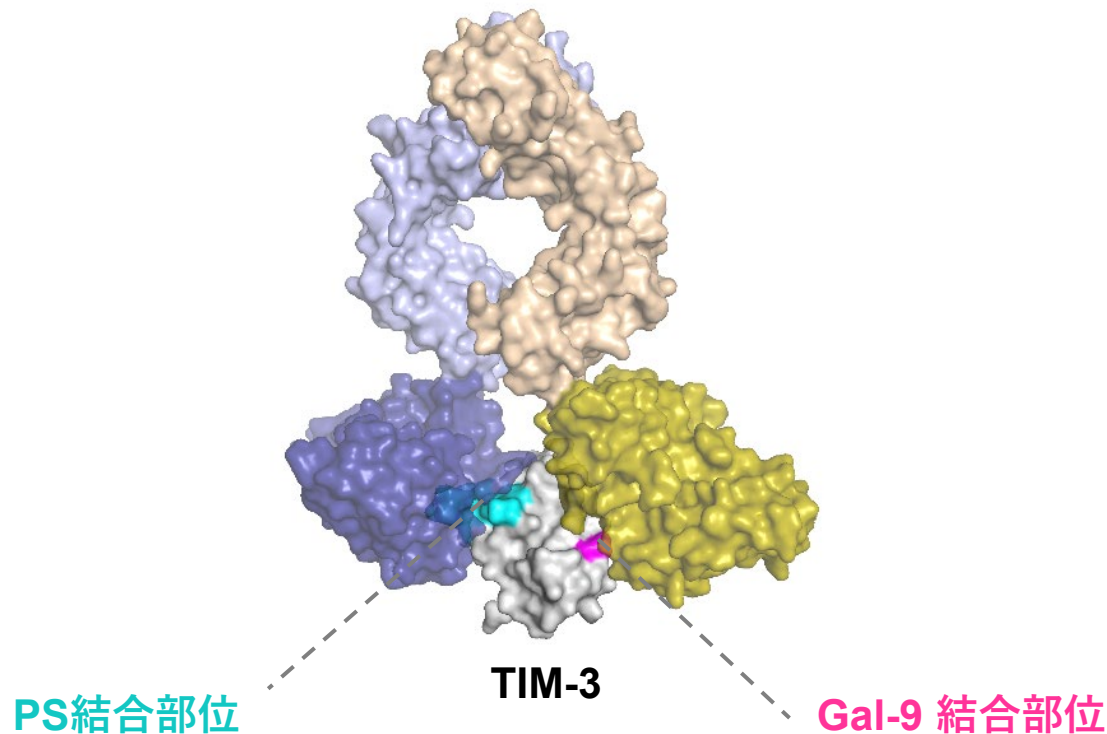


# BP1210: TIM-3抗体

抗体

- 遺伝子工学を駆使し、先行品には無いバイパラトピック抗体を確立
- PSとGal-9結合部位を同時にブロックすることによってTIM-3分子を覆い、先行開発品を上回る免疫抑制回避機能を実現
  - 従来のTIM-3抗体に勝る非臨床データを米国免疫療法学会(SITC 2021)で発表

## ■ TIM-3バイパラトピック抗体



出所： ブライトパス・バイオ

## ■ 競合環境

- TIM-3は分子機能の解明がここに来て再び活発化しており、これからライセンス取引が発生する局面にあると想定される

開発企業	現在の開発段階	備考
Novartis	第3相	ハイリスク骨髄異形成症候群
GSK	第2相	Tesaro買収(2018.12, 買収価額5,882億円)により取得 PD-1抗体併用 (肝臓がん)
BMS	第1/2相	Five Prime Therapeuticsとの共同開発(2017)で創製
AstraZeneca	第1/2相	抗PD-1 x 抗TIM-3のバイスペシフィック抗体
BeiGene	第1/2相	抗PD-1抗体との併用
Roche	第1相	抗PD-1 x 抗TIM-3のバイスペシフィック抗体
Incyte	第1相	抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用
Symphogen	第1相	単剤および抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用
Eli Lilly	第1相	抗PD-L1抗体との併用

為替レート：2021年11月25日時 1米ドル=115.33円 出所：各企業

# 今後のイベント

- 複数パイプラインの相乗的な効果により開発を加速し、早期に臨床試験が可能なパイプラインを拡充する方針

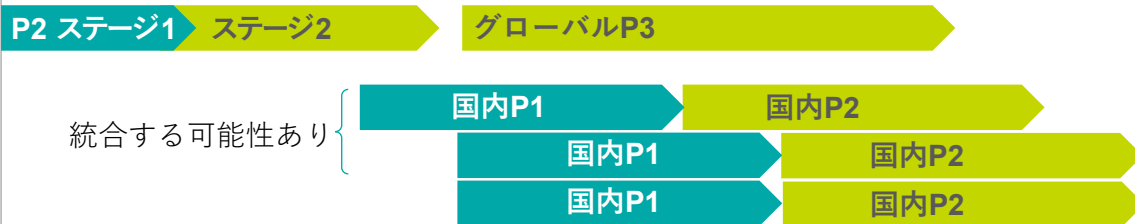
		FY2020	FY2021	FY2022
<b>がんワクチン</b>				
GRN-1201	4種共通抗原			↓ P2 ステージ1 データ FY2021 4Q
BP1101	ネオアンチゲン		ESMO 2021 1005P "A new platform of personalized neoantigen cancer vaccines directed by checkpoint inhibitor antibodies to improve cancer immunity."	◆
BP1209	次世代ネオアンチゲン			
BP1401	TLR9アゴニスト			
<b>細胞</b>				
iPS-NKT BP2301	iPS細胞由来再生NKT細胞 HER2 CAR-T		↓ P1開始	↓ P1開始 FY2022 1Q
<b>抗体</b>				
BP1200	CD73		ESMO 2021 987P "A novel therapeutic antibody against CD73 that ameliorates the tumor microenvironment and improves the efficacy of cancer immunotherapy"	◆
BP1210	TIM-3			◆
BP1202	(非開示)			
BP1206	HLA-DR			
BP1211	PVR			SITC 2021 235 "Novel biparatopic TIM-3 antibody effectively blocks multiple inherent ligands and activates anti-tumor immunity"

# 成長戦略

完了後にライセンスアウト活動

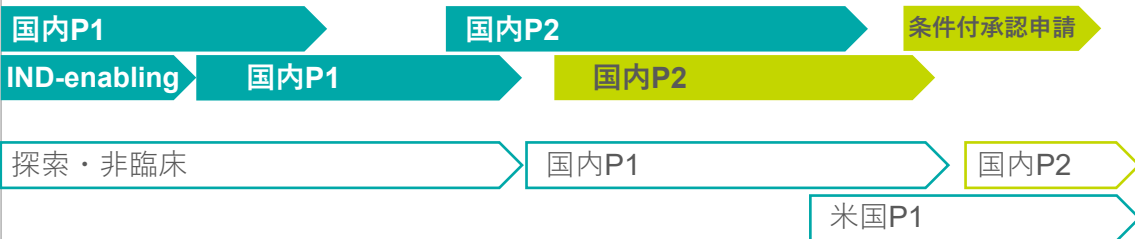
## がんワクチン

GRN-1201 4種共通抗原  
 BP1101 ネオアンチゲン  
 BP1209 次世代ネオアンチゲン  
 BP1401 TLR9アゴニスト



## 細胞

iPS-NKT iPS細胞由来再生NKT細胞  
 BP2301 HER2 CAR-T



## 抗体

BP1200 CD73  
 BP1210 TIM-3  
 BP1202 (非開示)  
 BP1206 HLA-DR  
 BP1211 PVR



(注) 開発品が定まった段階でパイプラインへアップ予定

- \* 当社想定によるもので記載通りに進行することを保証するものではありません
- \* 導出後のすべての開発は、導出先企業の開発戦略により決まります



# 業績概要

# 2022年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2021年3月期 予想	2021年3月期 実績	2022年3月期 予想	増減
売上高	3	2	2	▲ 0
営業利益	▲ 1,894	▲ 1,732	▲ 1,852	▲ 119
経常利益	▲ 1,894	▲ 1,738	▲ 1,852	▲ 113
当期純利益	▲ 1,907	▲ 1,719	▲ 1,854	▲ 134

研究開発費	1,536	1,408	1,515	7.6%増
-------	-------	-------	-------	-------

研究開発に先行投資してパイプラインを進捗させる

# 損益計算書

(単位：百万円)

	2021年3月期 上半期	2022年3月期 上半期	増減
売上高	1	0	▲ 1
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)	773 (601)	721 (539)	▲ 51 ① (▲ 61)
営業利益	▲ 772	▲ 721	50
経常利益	▲ 777	▲ 723	53
当期純利益	▲ 774	▲ 723	50

① 研究開発費の減少は、主に固定資産に係る減価償却費の減少による

# 貸借対照表

(単位：百万円)

	2021年3月期	2022年3月期 上半期	増減
流動資産 <i>構成比</i>	3,650 97.4%	3,113 97.2%	① ▲ 537
固定資産	98 2.6%	89 2.8%	▲ 9
流動負債	156 4.2%	110 3.5%	▲ 45
固定負債	55 1.5%	54 1.7%	▲ 1
純資産	3,537 94.3%	3,037 94.8%	▲ 499
総資産	3,749	3,202	▲ 546

① 資金調達による現預金の増加の一方で研究開発による支出

# キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2021年3月期 上半期	2022年3月期 上半期
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 888	① ▲ 751
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 13	▲ 11
財務活動によるキャッシュ・フロー	1,677	② 228
現金及び現金同等物 増減額	775	▲ 534
期首残高	3,018	3,265
期末残高	3,793	2,730

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（新株式発行）

# 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

