

(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

2023年3月期決算説明会

2023年 5月17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。

2023年3月期 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期	2023年3月期	増減
売上高	15	5	△10
売上原価	3	1	△1
売上総利益	12	3	△8
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	1,488 (1,135)	1,470 (1,168)	△17 (32)
営業利益	△1,476	△1,467	8
経常利益	△1,481	△1,473	8
当期純利益	△1,484	△1,485	△1

貸借対照表

(単位：百万円)

	2022年3月期	2023年3月期	増減
流動資産 (構成比)	2,696 97.2%	1,651 97.0%	① △1,044
固定資産	75 2.7%	50 3.0%	△24
流動負債	184 6.6%	76 4.5%	△108
固定負債	55 1.9%	57 3.4%	2
純資産	2,531 91.3%	1,567 92.1%	△963
総資産	2,771	1,701	△1,069

① 研究開発費の支出による現金減774百万円に加え、2022年5月のGRN-1201の米国第Ⅱ相試験の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269百万円の減少を含む

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期	2023年3月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△1,512	① △1,204
投資活動によるキャッシュ・フロー	△17	△1
財務活動によるキャッシュ・フロー	569	② 432
現金及び現金同等物 増減額	△960	△774
期首残高	3,265	2,305
期末残高	2,305	1,530

- 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（社債償還の差引後）

2024年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2023年3月期		2024年3月期 予想	増減
	予想	実績		
売上高	5	5	0	△5
営業利益	△1,635	△1,467	△1,353	115
経常利益	△1,635	△1,473	△1,353	121
純利益	△1,637	△1,485	△1,357	129
研究開発費	1,267	1,168	① 973	△16.7%

① 2023年3月期に織り込まれていたGRN-1201の米国第Ⅱ相試験の早期中止決定に伴う前払金269百万円の費用化が、2024年3月期には発生しない

開発の進捗状況とパイプライン

開発パイプライン

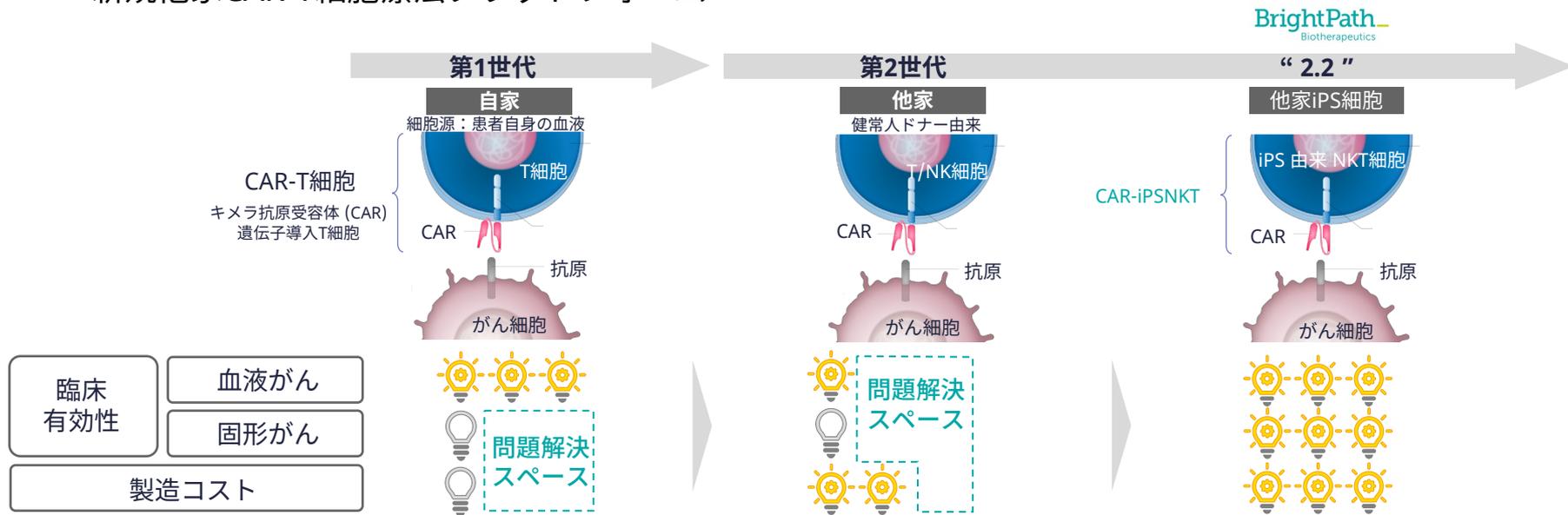
開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞医薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM3					
BP1212	CD39×TIM3					
がんワクチン						
GRN-1201	4種共通抗原 ペンブロリズマブ併用	肺がん				
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

直近のイベント

			FY2021	FY2022	FY2023	FY2024	FY2025以降
細胞医薬	BP2201	iPS-NKT		導入オプション行使 ↓		↓ P1データ	↓ 改良製造工程での試験開始
		iNKT					
		CAR-iNKT		↑	↑ 遺伝子編集技術導入		
	BP2203	HER2 CAR-T		↓ P1開始			↓ P1データ
抗体医薬	BP1200	CD73	↓ 非臨床POC				
	BP1202	CD39		↓	↓ 非臨床POC		
	BP1210	TIM3		非臨床POC ↓			
	BP1212	CD39 x 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				↓ 臨床試験

細胞医薬

■ 新規他家CAR-T細胞療法プラットフォーム



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

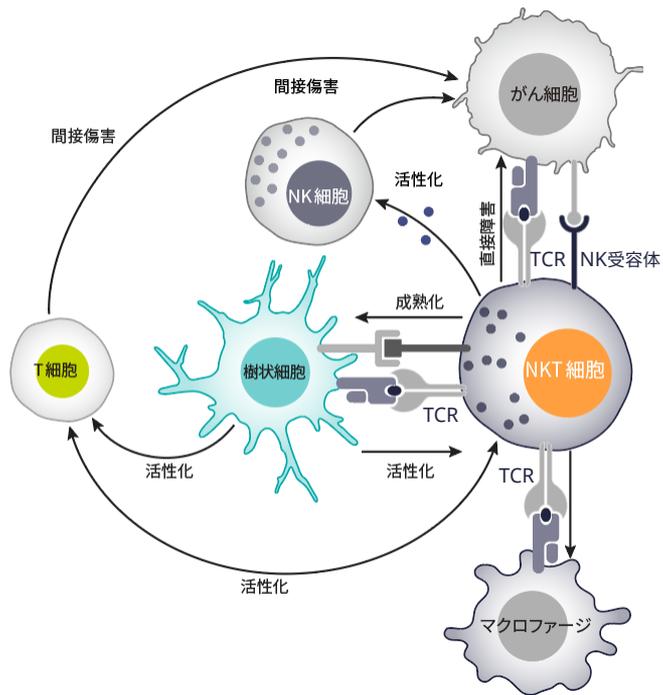


- 先行品において顕在化している課題：臨床床効果の持続性

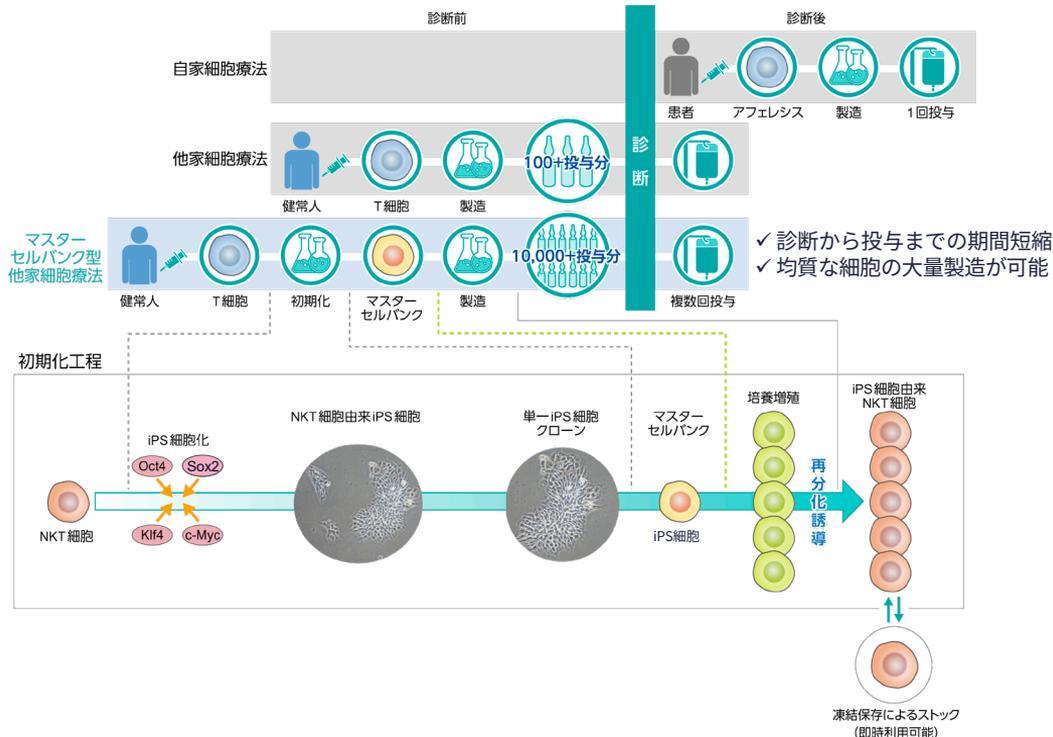
- 他家CAR-NKTによって患者体内で活性化された患者自身のキラーT細胞が臨床効果の持続性の担い手となる

■ 多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞を

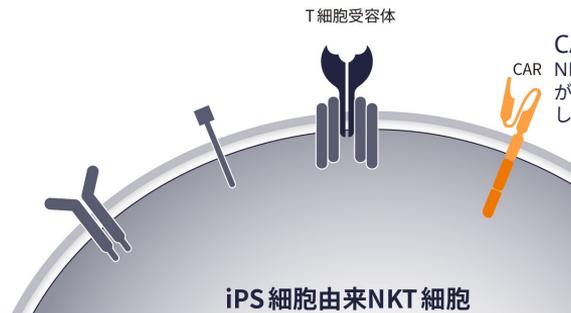
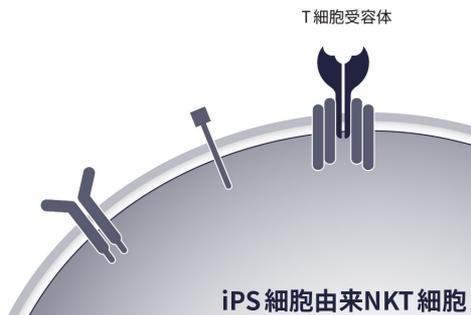
✓ 血中に僅少にしか存在せず、通常の細胞培養法では、臨床投与に必要な数の、機能を維持したNKT細胞を製造できなかった



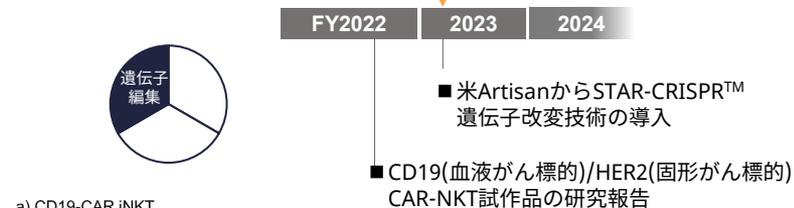
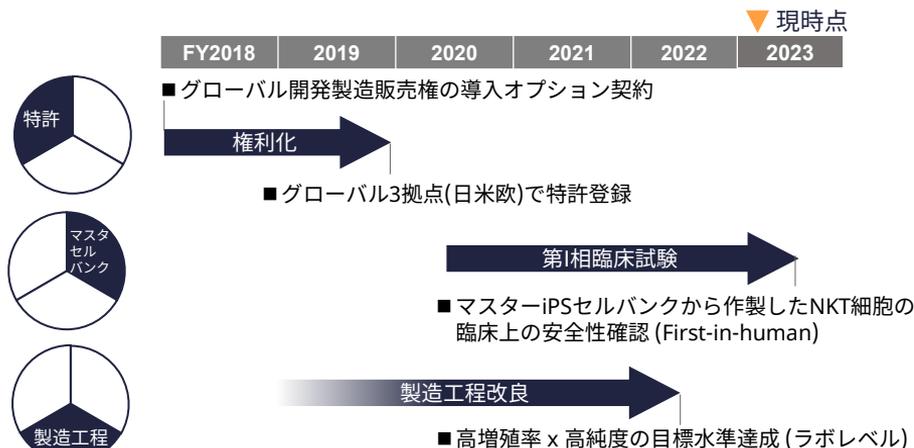
■ マスターiPSセルバンクから製造できるように



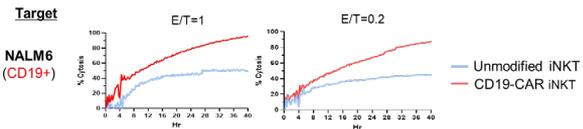
■ CAR-T展開へ



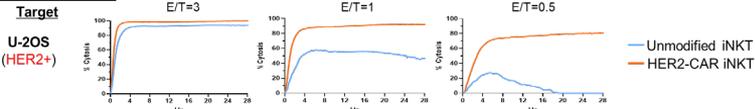
CAR (キメラ抗原受容体)
CAR NKTがT細胞受容体で本来認識するがんの目印とは異なるものを認識し殺傷



a) CD19-CAR iNKT

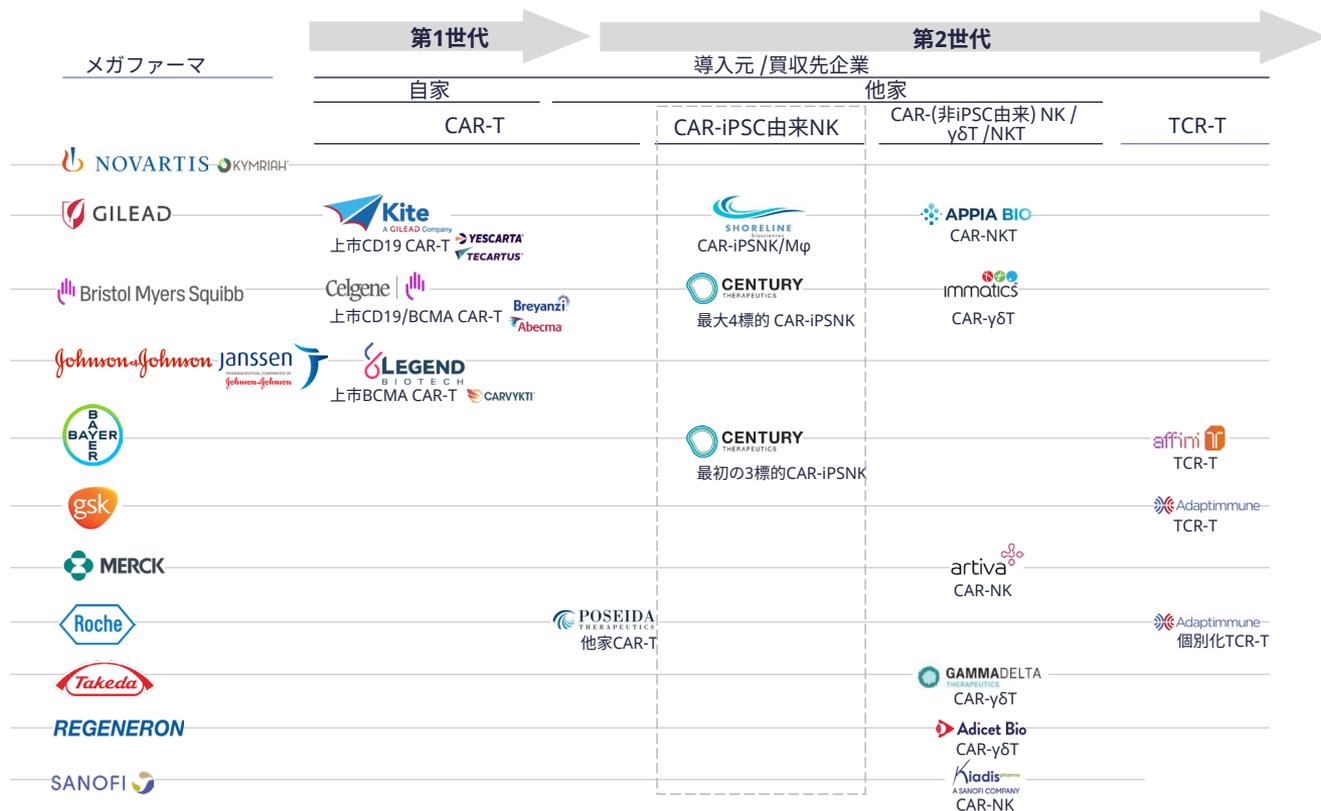


b) HER2-CAR iNKT



■ CAR-T/NK細胞療法におけるメガファーマとベンチャーの提携/ライセンス取引

- 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



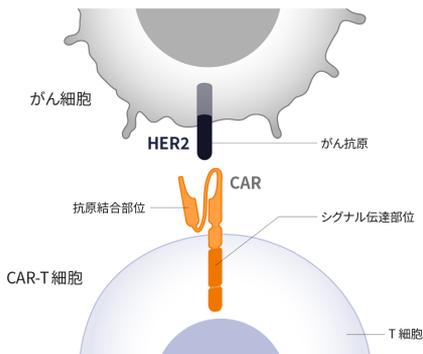
■ iPS細胞由来免疫細胞を用いる開発先行CAR-T/NK開発ベンチャーと大手製薬企業の提携事例

		(Ph1開始年)	血液がんCAR-T			固形がんCAR-T				
		Company	unmodified	CD19	BCMA	CD38	EGFR	GPC3	HER2	提携/ライセンス取引
iPST	Fcete THERAPEUTICS		2021						2023	小野薬品工業
	SHORELINE Biosciences	2018	2023 (第2世代)	2021						
iPSNK	SHORELINE Biosciences		研究	研究						Beigene 2021年6月 4候補品
	CENTURY THERAPEUTICS		2022							Bristol Myers Squibb 2022年1月 4標のまでCAR-NK発注 (アップフロント現金\$100m +株式\$50m、総額\$3.0bn)
	Cytovia Therapeutics	2023			2025	2025	2024			
NKT	BrightPath Biotherapeutics	2020 (RIKEN)								出所:各企業

BP2201 (iPS-NKT)

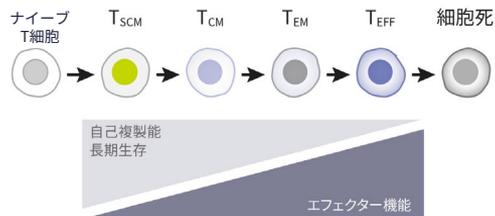
千葉大学医学部附属病院
(First in human臨床試験実施中)

■ HER2標的 自家CAR-T



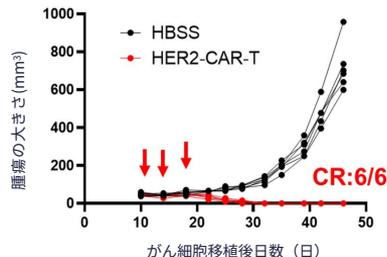
■ 固形がんのハードルをクリアするメカニズムを織り込んだCAR-T

- 免疫抑制的な腫瘍組織においても増殖能と機能を維持した幹細胞メモリー様のT細胞を多く含むCAR-T細胞製造法を実現



SCM: ステム・セル・メモリー
CM: セントラル・メモリー
EM: エフェクター・メモリー
EFF: エフェクター

■ 担がんマウスモデルにおいて腫瘍増殖を強く抑制



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

■ 2022.5.6 First in human臨床試験開始

- HER2特異的キメラ抗原受容体(CAR)遺伝子改変T細胞療法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)

8.3×10^5
cells/kg



2.7×10^6
cells/kg

- 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

抗体医薬

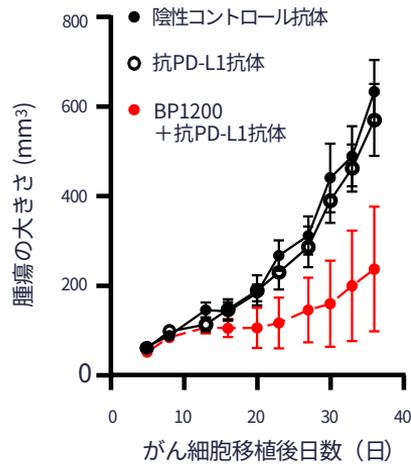
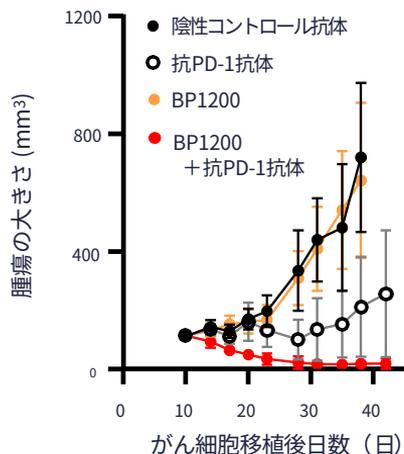
BP1200 (抗CD73抗体)

■ 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

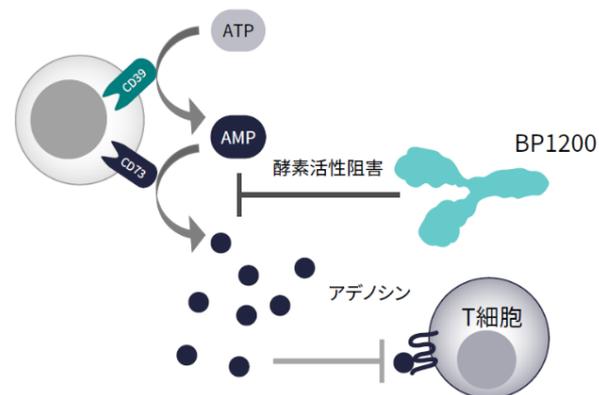
■ 免疫チェックポイント抗体との併用により、腫瘍増殖を強く抑制

担がんマウスにおける腫瘍抑制



出所：ブライトパス・ハイオ ESMO2021

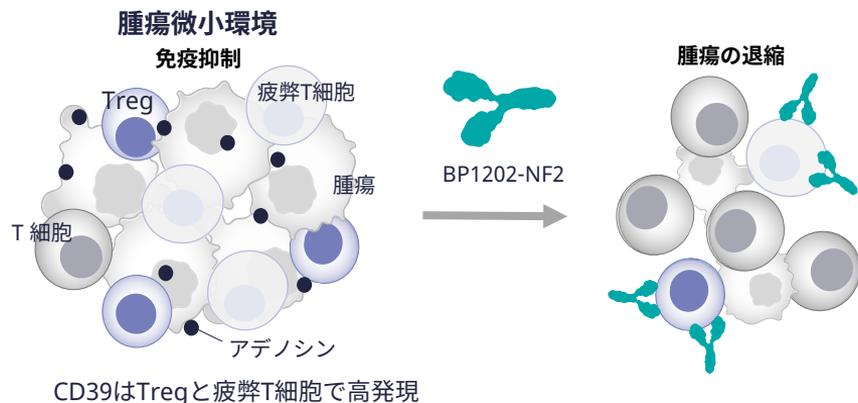
作用メカニズム (酵素活性阻害)



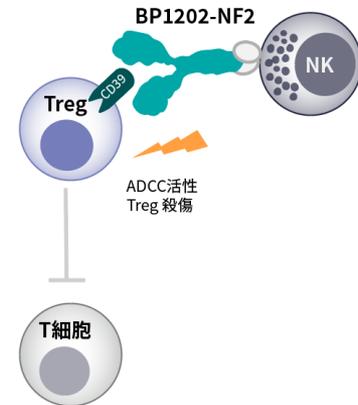
BP1202 (抗CD39抗体)

■ 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

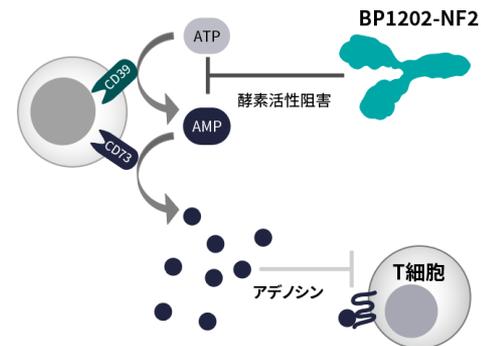
- BP1202は、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わるCD39を阻害
- CD39阻害によってアデノシン産生を抑制し腫瘍環境を改善し抗腫瘍免疫活性を高める
- BP1202-NF2は抗体エンジニアリングによりADCC活性を高めており、CD39を高発現し、免疫抑制性のTregを殺傷する



作用メカニズム 1 (ADCC活性)



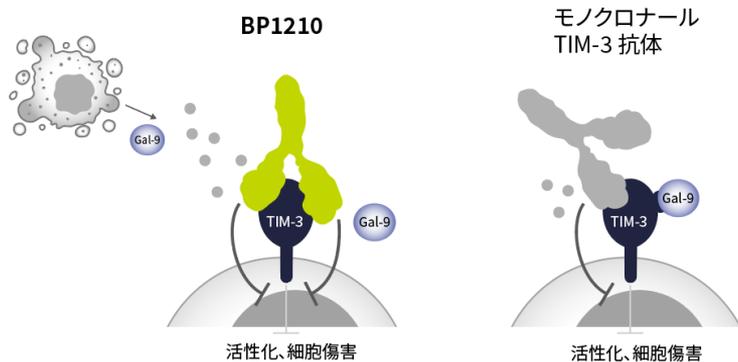
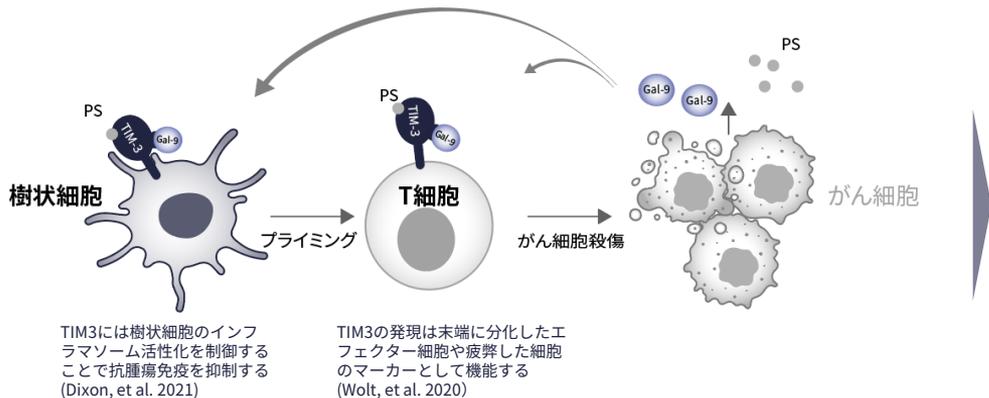
作用メカニズム 2 (酵素活性阻害)



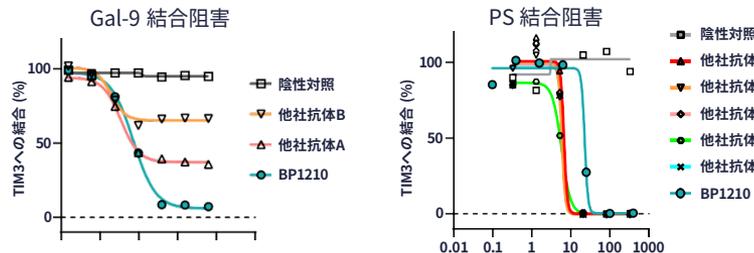
■ がん免疫を抑制する免疫チェックポイント分子TIM3を制御するバイパラトピック抗体

- 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

* 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(PtdSr、CEACAM1、Gal-9、HMGB1)



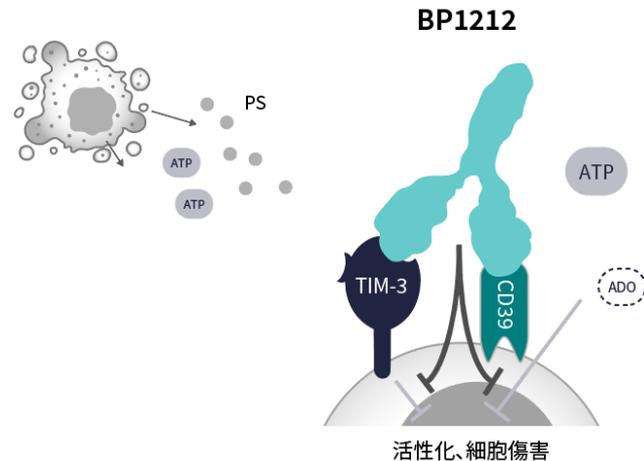
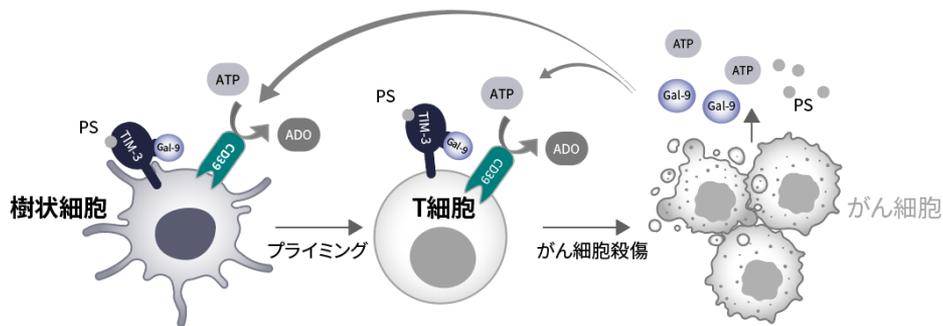
- BP1210は開発先行他社抗体が実現していないGal-9結合阻害を、PS結合阻害とともに実現



BP1212 (抗CD39 x 抗TIM3)

■ 新規の二重特異性抗体BP1212の創製

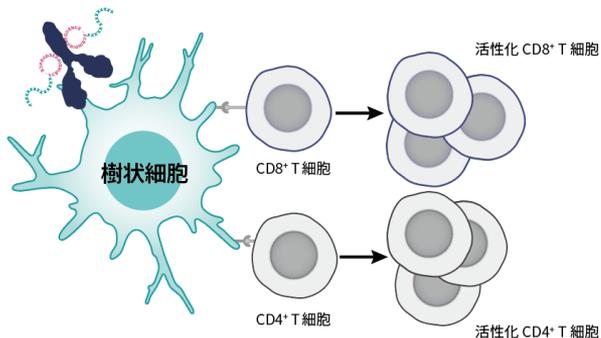
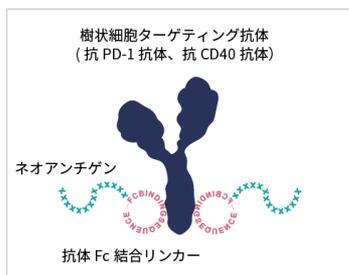
- CD39、TIM3共発現T細胞と樹状細胞を標的
- アデノシン産生経路とインフラマソームに関わる抑制シグナルの同時阻害による相乗効果



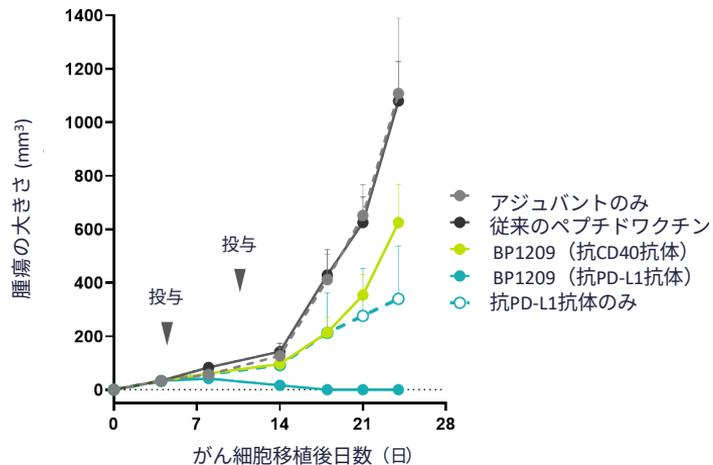
がんワクチン

■ 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



■ 2022.5.12 第II相臨床試験を早期中止判断

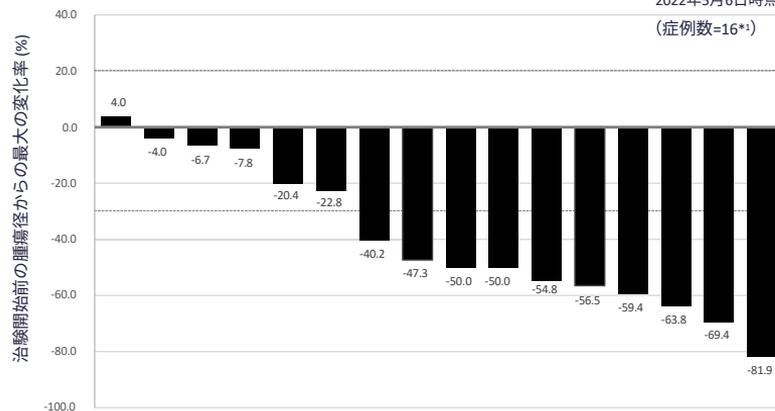
- 現在の登録症例数は、64例中20例
- 本試験が長期に渡ったことから、オープンラベル試験として臨床成績がタイムリーに得られる中で、当初設計した試験プロトコルでは、本剤の適切な評価が難しいことが徐々に明らかになってきた
- 主要評価項目としては、奏効率(ORR)ではなく、全生存期間(OS)または無増悪生存期間(PFS)が適切と考えられた

第II相臨床試験概要

試験タイトル	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 (PD-L1高発現の非小細胞肺癌患者を対象とするペムブロリズマブに併用するがんワクチン GRN-1201のパイロット・オープンラベル・多施設共同・反復投与試験)
米国臨床試験番号	NCT03417882
被験薬	GRN-1201: HLA-A2拘束性4種ペプチド
対象	非小細胞肺癌一次治療 PD-L1陽性 (TPS≥ 50%) <small>TPS: がん細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合</small>
主要評価項目	奏効率 (ORR: Objective Response Rate)
併用薬	ペムブロリズマブ (抗PD-1抗体)
症例数	64例 サイモン2段階方式
実施方法	非盲検、多施設

トップライン・データ: 腫瘍径の評価

2022年5月6日時点
(症例数=16*)



最良効果*2 (Best Response)	PD	SD	SD	SD	SD	SD	PR									
総合効果*3 (Overall Response)	PD	NE	SD	SD	SD	PD	PR	NE	PR	PD	PR	NE	PR	PR	PR	PR

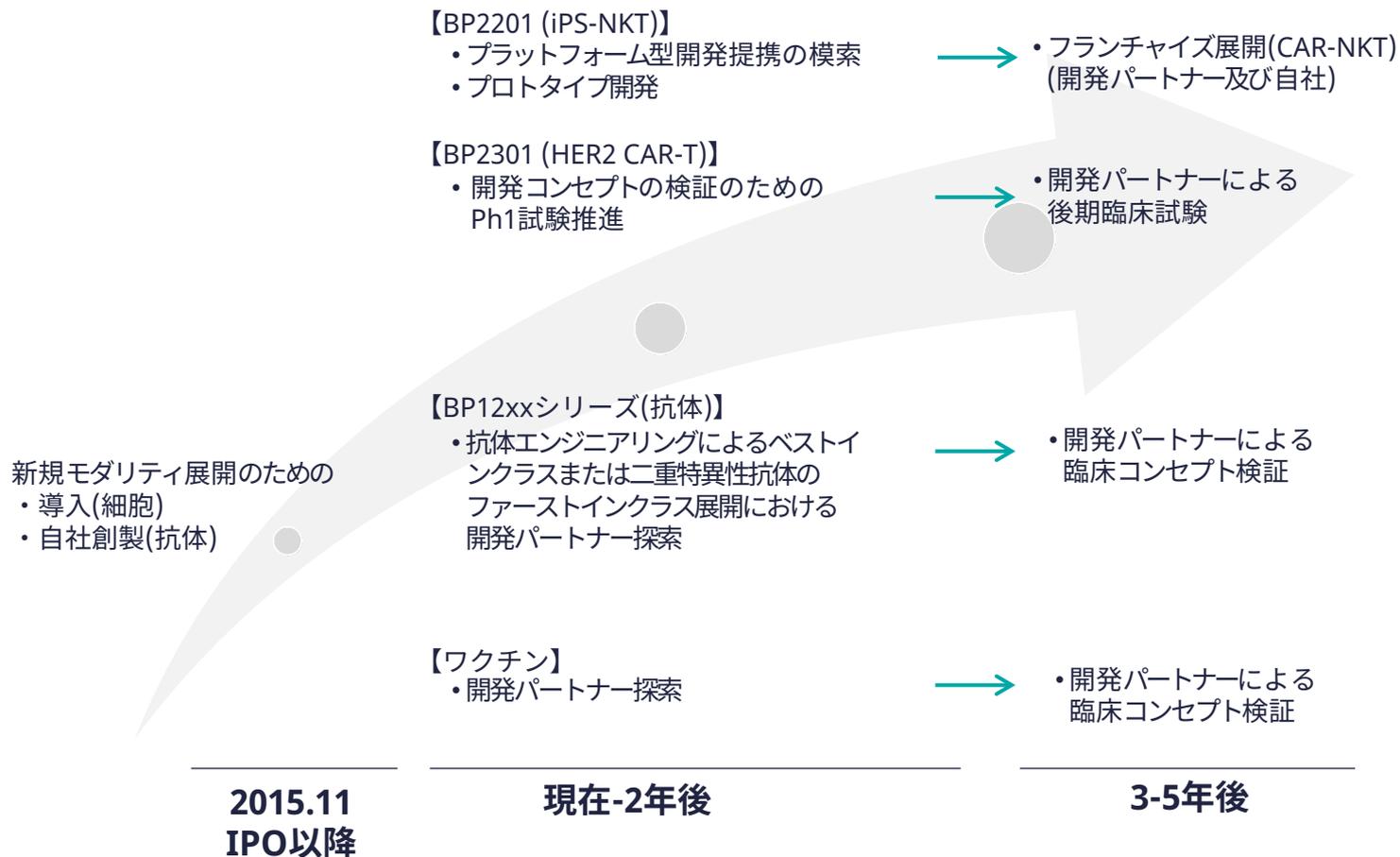
*1 本解析は、治験開始後に1回以上、画像評価が行われた患者さんを対象にして実施

*2 治験期間中に最も良好と判断された評価 (非標的病変、新病変出現の有無を含む)

*3 治験期間中の総合評価 (PRは2回以上連続で確認、NEは治験開始後の画像評価が1回のみであり評価不能)

PR (Partial Response): 部分奏功SD (Stable Disease): 安定
PD (Progressive Disease): 進行NE (Not Evaluable): 評価不能

成長イメージと今後の施策



会社概要

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
ライフィノベーションセンター



BrightPath_

Biotherapeutics