

(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

2025年3月期 中間期決算説明会

2024年11月13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。

2025年3月期 中間期 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2024年3月期 中間期	2025年3月期 中間期	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 (内、研究開発費)	550 (363)	542 (399)	△8 ①(+36)
営業利益	△550	△542	+8
経常利益	△551	△537	+13
当期純利益	△553	△538	+15

① BP2202の研究開発費が増加した一方、その他事業運営費用を削減により経費を管理

貸借対照表

(単位：百万円)

	2024年3月期	2025年3月期 中間期	増減
流動資産 (構成比)	1,180 96.0%	1,646 97.1%	① +465
固定資産	49 4.0%	49 2.9%	—
流動負債	191 15.5%	397 23.4%	② +206
固定負債	60 4.9%	64 3.8%	+4
純資産	978 79.6%	1,234 72.8%	+255
総資産	1,230	1,696	+465

① 資金調達による現金増482百万円を含む ② 社債の発行による増加212百万円を含む

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2024年3月期 中間期	2025年3月期 中間期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△466	① △520
投資活動によるキャッシュ・フロー	△1	—
財務活動によるキャッシュ・フロー	—	② 1,002
現金及び現金同等物 増減額	△467	+482
期首残高	1,530	1,057
期末残高	1,063	1,539

- 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）

2025年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2024年3月期 予想	2024年3月期 実績	2025年3月期 予想 ①	前年比
売上高	0	0	0	0
営業利益	△1,588	△1,155	△925	229
経常利益	△1,589	△1,158	△925	233
純利益	△1,592	△1,168	△927	240
研究開発費	1,214	775	616	② △158

① 2024年5月10日公表の業績予想から変わらず

② 主に、前期に支出した遺伝子編集技術導入費用とGRN-1201関連支出の減少による

開発の進捗状況とパイプライン

開発パイプライン

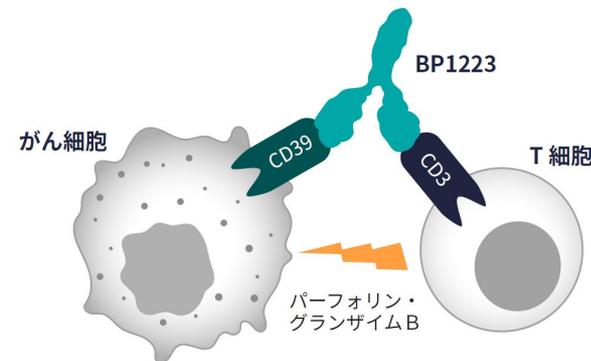
開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞医薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2202	CAR-iPSNKT (標的非開示)	血液がん				
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM-3					
BP1212	CD39×TIM-3					
BP1223	CD39×CD3	急性骨髄性 白血病				
がんワクチン						
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

開発パイプライン変更点

BP1202に続くCD39標的抗体の新規フォーマットとなるT細胞エンゲージャー抗体

	開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
追加	抗体医薬						
	BP1223	CD39 × CD3	急性骨髄性白血病	██████████			

- 急性骨髄性白血病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
- 活性化したT細胞ががん細胞を排除
- 国立がん研究センター東病院と共同研究（薬理効果、作用機序解析）
- 特許出願済み
- 12月7-10日に行われる米国血液学会年次会議 American Society of Hematology Annual Meeting and Exposition 2024 で発表（ポスター）



演題: [発表番号 4146] BP1223, a Novel T Cell Engager Targeting CD39 for Potent Antitumor Activity in Acute Myeloid Leukemia (CD39を標的とする新規T細胞エンゲージャー抗体BP1223は急性骨髄性白血病に強力な抗腫瘍活性を示す)

発表時刻: 米国太平洋標準時 12月9日(月) 午後6時

イベント

- 2024年度前半ハイライト: ①血液がんCAR-iPSNKT(BP2202)の臨床試験入りに向けてのマスターiPS細胞株の作製が進展
- ②より導出の可能性が高いフォーマットであるT細胞エンゲージャー抗体BP1223を追加

		2022年度	2023年度	2024年度	2025年度	2026年度以降
細胞医薬	BP2201	iPS-NKT	製造開発販売権導入 ↓	P1データ ↓		改良製造工程 ↓での試験開始
	BP2202	CAR-iPSNKT	遺伝子編集技術導入 ↓		↓その他技術導入 ↓	P1治験届
	BP2301	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 ↓			
	BP1223	BP1223		非臨床POC ↓		
がんワクチン	BP1209	個別化ネオアンチゲン				↓臨床試験

開発パイプライン

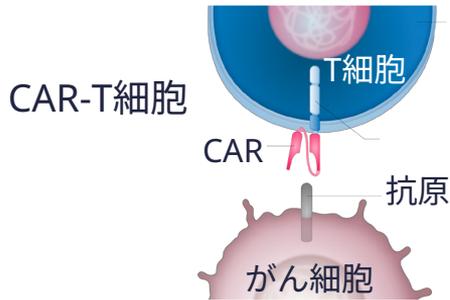
BP2202 (CAR-iPSNKT)

CAR-iPSNKTが解決する他家CAR-Tの課題

自家

細胞源：患者自身の血液

- 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）



自家CAR-Tの課題

- 一定率で起こる製造失敗
- 長い待機時間
- 製造コスト

他家

健常人ドナー由来

- 治療を受けられる確実性
- 待機時間無し



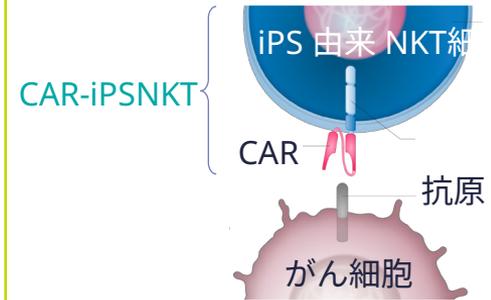
先行開発CAR-Tの課題

- 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

他家iPS細胞

健常人ドナー由来

- 臨床効果の持続性の担い手となる患者自身のT細胞を活性化する他家CAR-T



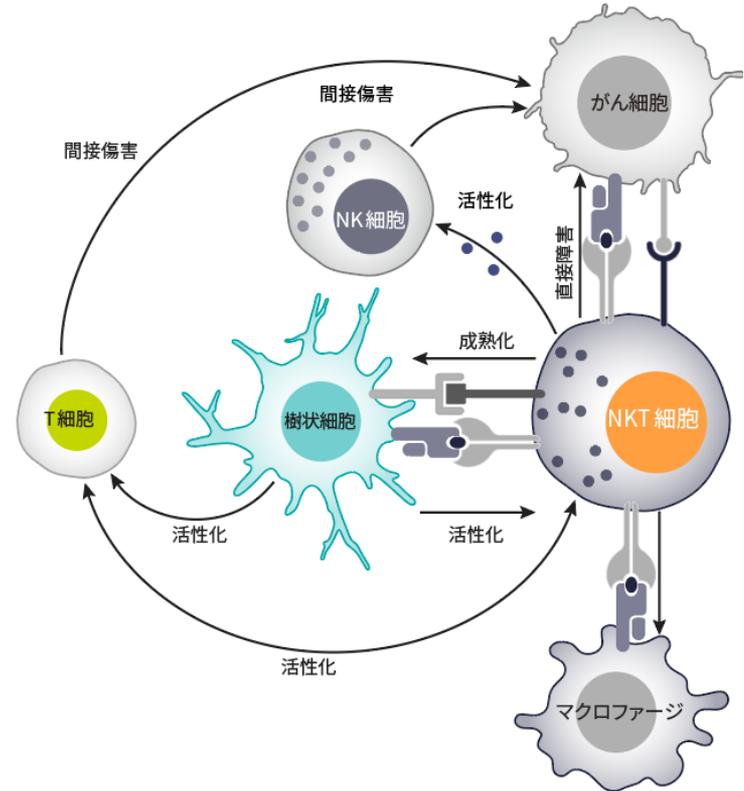
- 投与されたCAR-iPSNKT細胞によって患者体内で活性化された患者自身のキラーT細胞が持続

BP2202 (続)

iPS細胞（マスターセルバンク化）から分化させたNKT細胞を用いる

- 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
- 製造面のハードルをiPS細胞技術によって克服

多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞



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

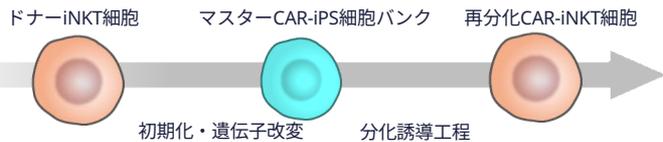
標的分子(Ph1開始年/予定年)

	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)
iPS-NK			CD19 (2023)				
			CD19/CD20 (-) CD5 (-)	非開示(-)	TACI/BCMA(-)		 2021(複数候補品)  2021
			 CD19 (2022)	Bristol Myers Squibb 非開示(2024)	Bristol Myers Squibb 非開示(2024)		 2019 (3候補品) Bristol Myers Squibb 2021(4候補品)
					CD38 (2025)	EGFR (2025) GPC3 (2024)	

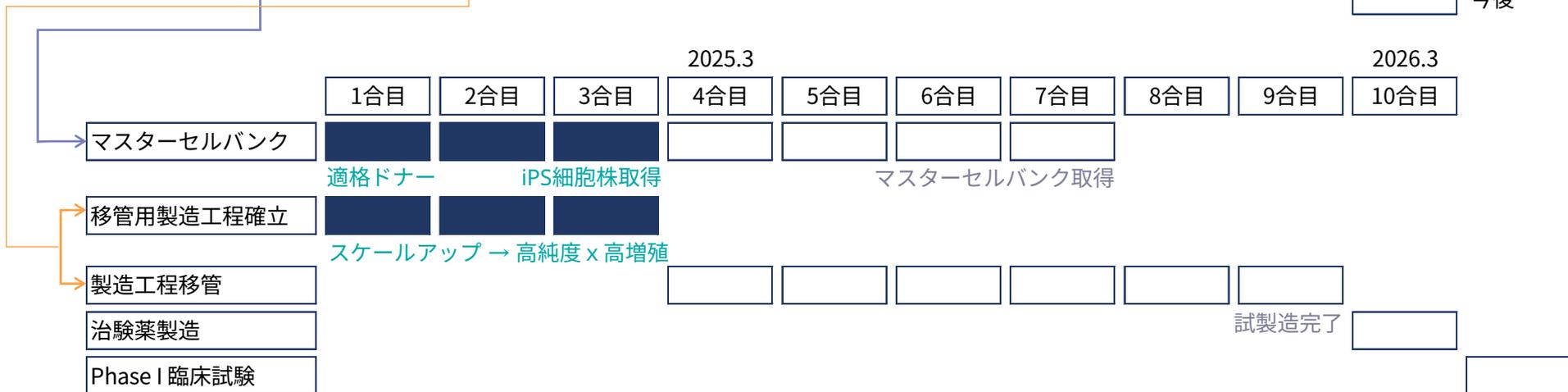
iPS-NKT		2020 (RIKEN)		2026.3 米国臨床試験入り
---------	-----------------------------------------------------------------------------------	-----------------	-----------------------------------------------------------------------------------	-----------------

千葉大学医学部附属病院
(First-in-human試験)出所:各企業
-: 研究段階でIND予定非公表

米国臨床試験に向けた準備状況の現在地

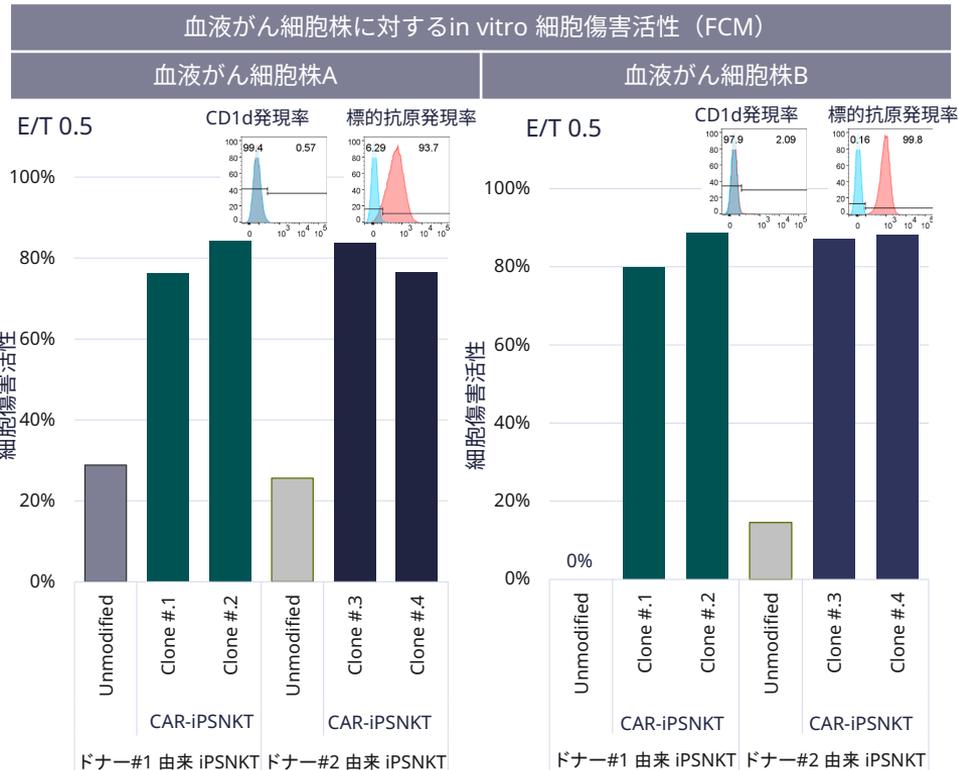
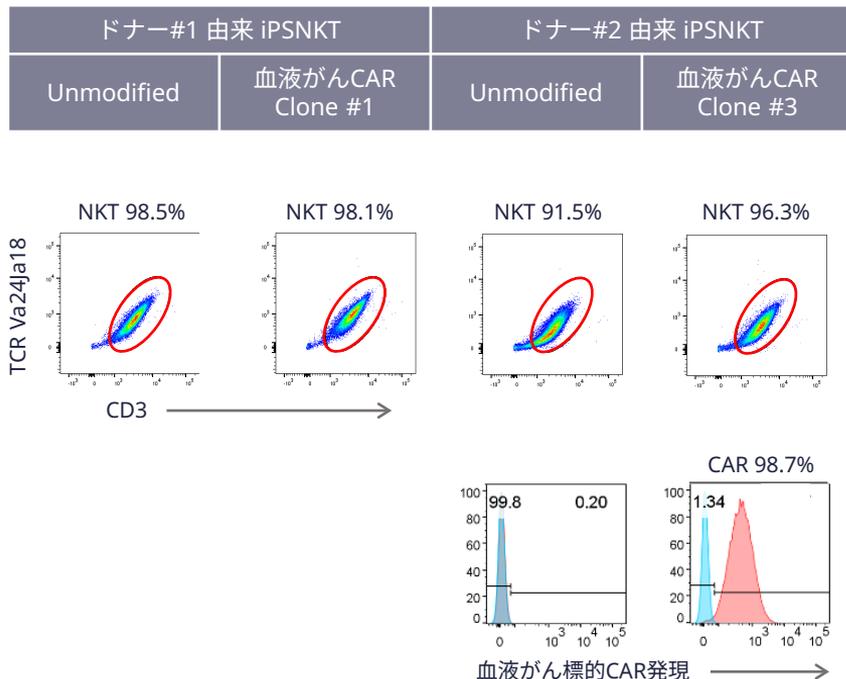


■ 達成
□ 今後



BP2202 (続)

血液がん標的CAR-iPSNKTのラボ製造試作品は高純度 x 高い細胞傷害活性を示した



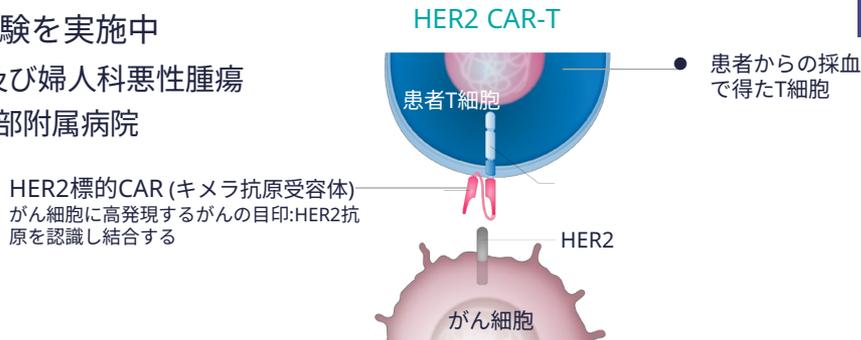
グローバル大手製薬企業のCAR-T細胞製品への取り組み

- 第1世代で成功したグローバル大手は 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



■ 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

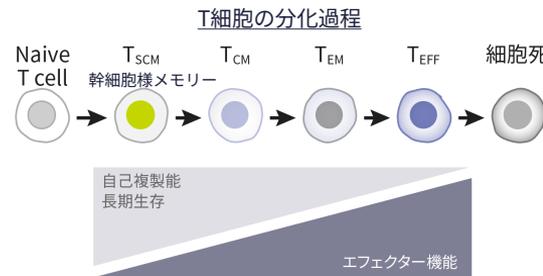
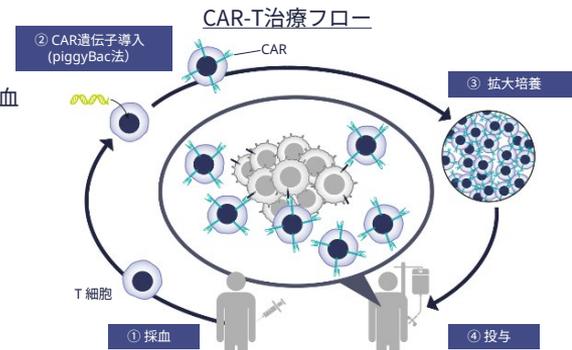
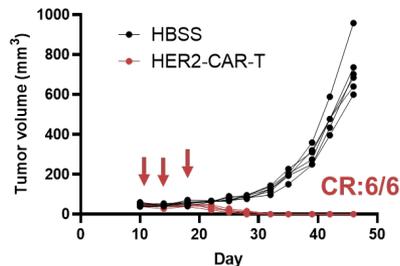


● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

- ・ 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

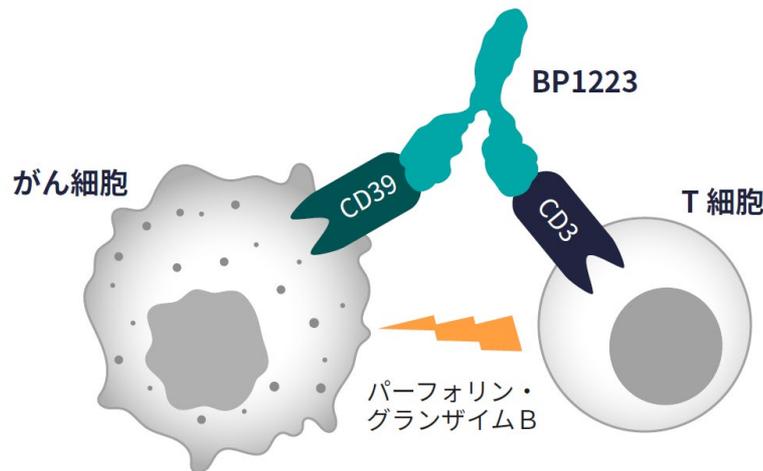
- ・ ヒト卵巣がん細胞株 SK-OV-3 を移植した担がんマウスにおいて、BP2301投与により6匹の全てのマウスで腫瘍が完全に退縮し、再増殖しなかった



出所：ブライトパス・バイオ AACR2022

- がん細胞が発現するCD39とT細胞が発現するCD3の2つに結合し、がん細胞とT細胞を架橋し、活性化したT細胞ががん細胞を排除する、二重特異性T細胞エンゲージャー抗体

- 急性骨髄性白血病（AML, Acute Myeloid Leukemia）、多発性骨髄腫（MM, Multiple Myeloma）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であり、がん細胞とT細胞をつなげることによって活性化したT細胞ががん細胞を排除
- 非臨床POC取得済み
- 特許出願済み
- 12月7-10日に行われる米国血液学会年次会議 American Society of Hematology Annual Meeting and Exposition 2024 で発表（ポスター）



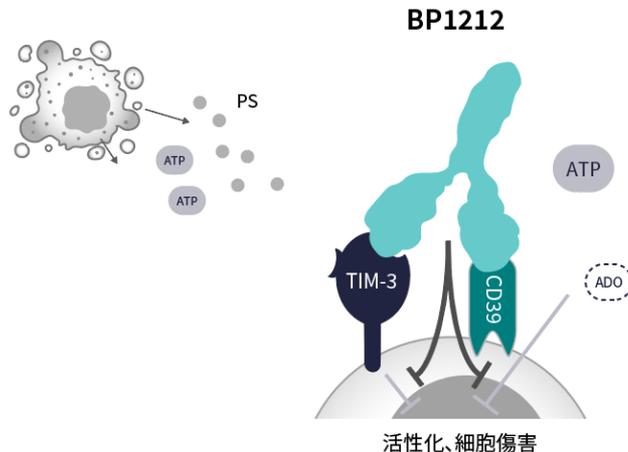
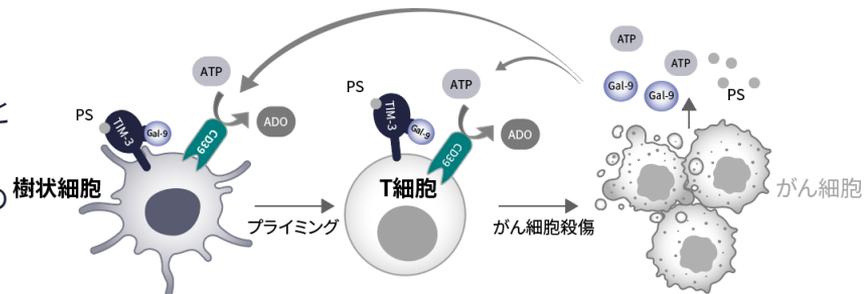
演題: [発表番号 4146] BP1223, a Novel T Cell Engager Targeting CD39 for Potent Antitumor Activity in Acute Myeloid Leukemia (CD39を標的とする新規T細胞エンゲージャー抗体BP1223は急性骨髄性白血病に強力な抗腫瘍活性を示す)

発表時刻: 米国太平洋標準時 12月9日(月) 午後6時

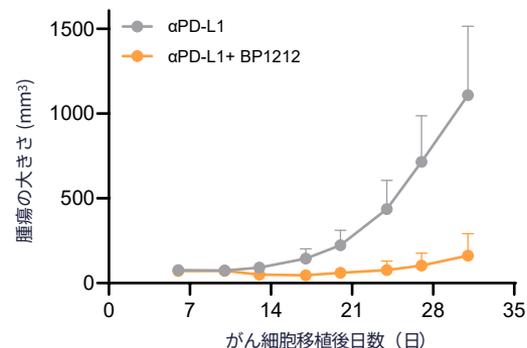
BP1212 (抗CD39 × 抗TIM-3バイスペシフィック抗体)

■ 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TIM-3を同時に標的にする抗体
- 2つの免疫抑制経路を複合的に阻害することにより、一方だけを標的とする抗体では成しえなかった抗腫瘍免疫活性亢進を実現
- 当社は新たに、CD39とTIM-3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
- CD39とTIM-3を共発現する細胞を選択的にターゲティングする抗CD39x 抗TIM-3バイスペシフィック二重特異性抗体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

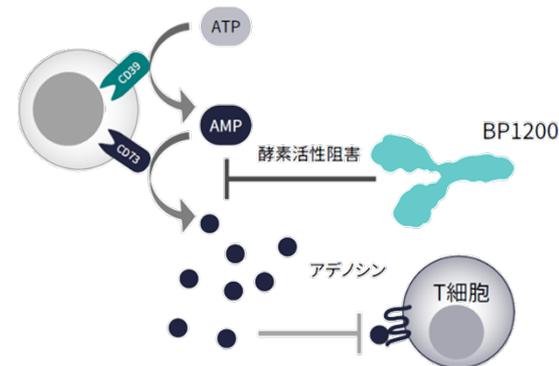


■ ベスト・イン・クラスとなる新規ヒト化抗CD73モノクローナル抗体

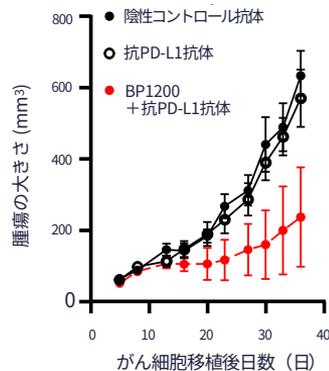
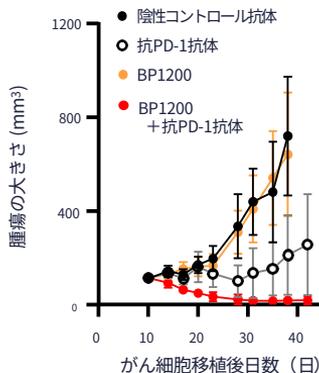
- CD73分子は多くの腫瘍で高発現し、酵素活性によりアデノシンの産生に関わる
- アデノシンは、免疫細胞のがん細胞殺傷能力(抗腫瘍活性)を低下させ、がん治療の予後不良を引き起こす
- BP1200は、CD73に結合しその酵素活性を阻害することによって、腫瘍環境におけるアデノシンの産生を抑制し、抗腫瘍免疫活性を高める

- 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する

作用メカニズム (酵素活性阻害)



BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制

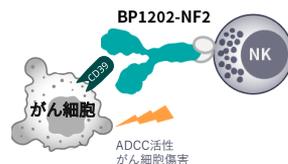


出所：ブライトパス・バイオ ESMO2021

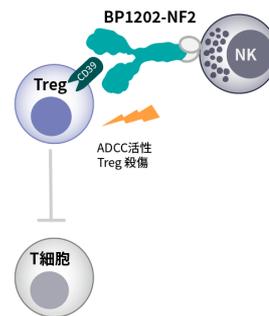
■ CD39を直接細胞傷害の標的としてとらえ直した抗体

- 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
- よって、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した
- 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した

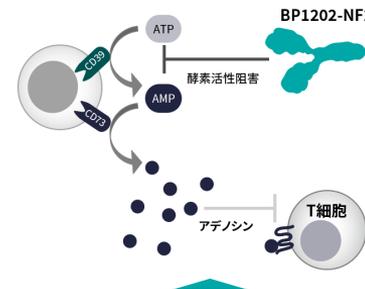
作用メカニズム (1)
がん細胞直接傷害



作用メカニズム (2)
制御性T細胞(Treg)傷害



作用メカニズム (3)
アデノシン産生酵素活性阻害

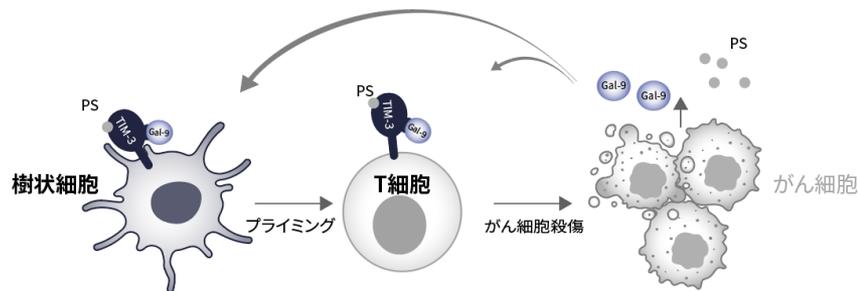


これまでの抗CD39抗体の作用メカニズムは酵素活性阻害のみ

BP1210 (抗TIM-3 x TIM-3抗体)

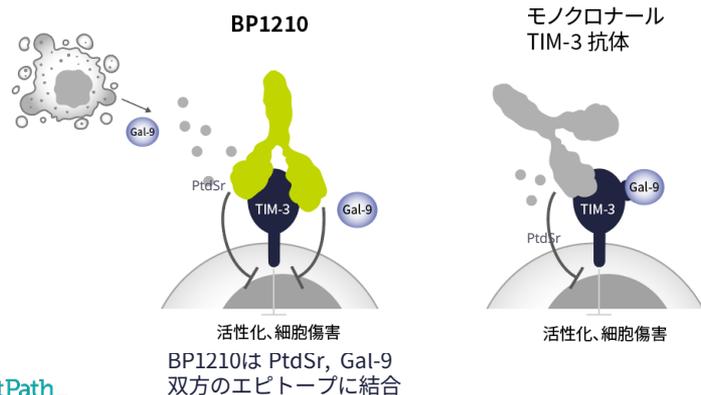
■ すべてのリガンド結合を阻止するバイパラティック抗体

- 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

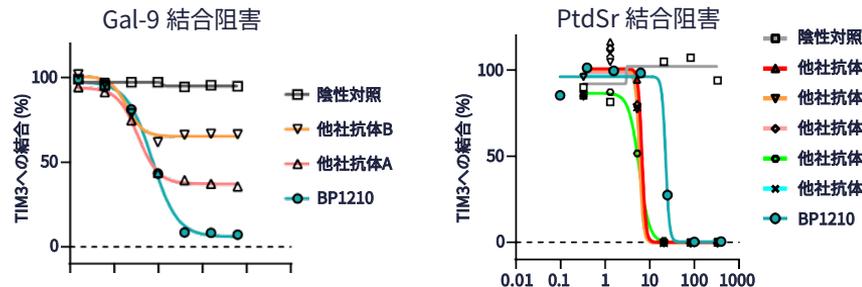


TIM3には樹状細胞のインフラソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

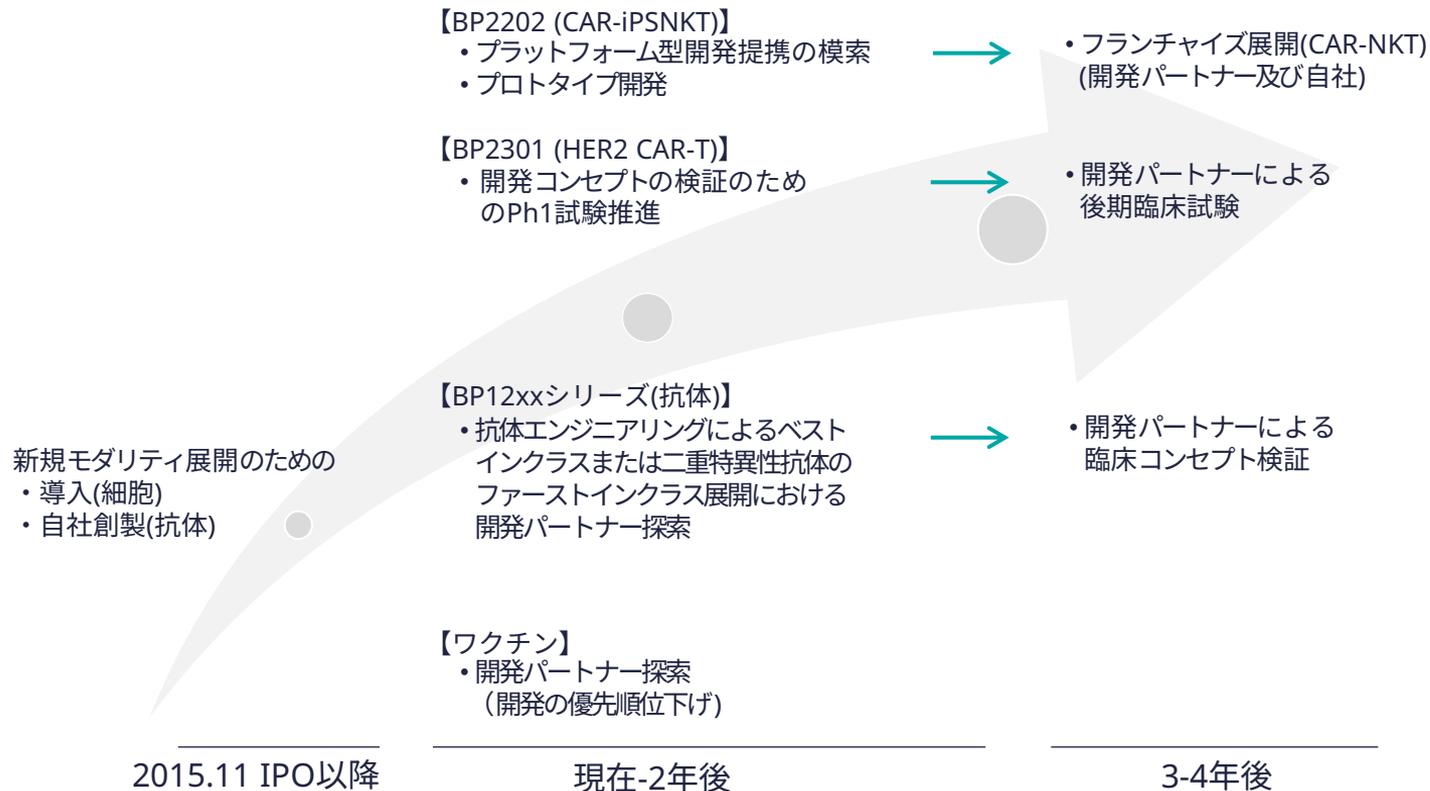
TIM3の発現は末端に分化したエフェクター細胞や疲弊した細胞のマーカーとして機能する (Wolt, et al. 2020)



■ 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



成長イメージと今後の施策



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