

(上場市場) 東京証券取引所 グロース市場
(証券コード) 4594

個人投資家説明会

2024年 12月22日
ブライトパス・バイオ株式会社

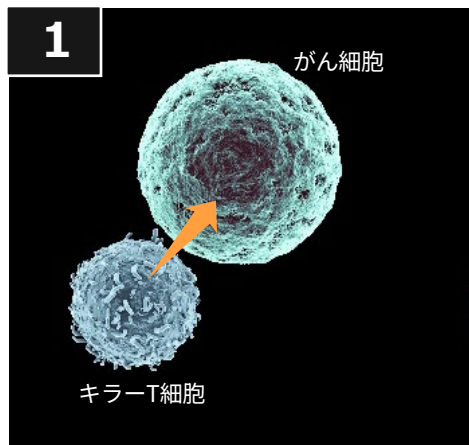
Copyright © BrightPath Biotherapeutics Co., Ltd.

BrightPath
Biotherapeutics

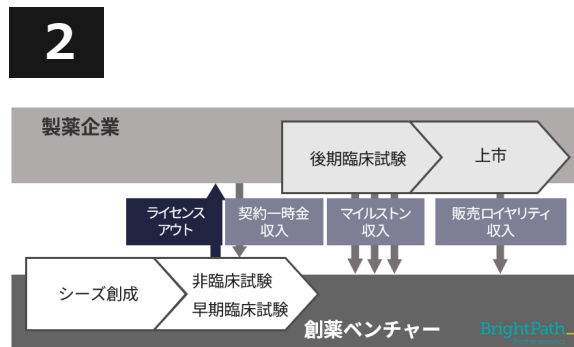
本資料の取扱いについて(免責事項)

- 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。

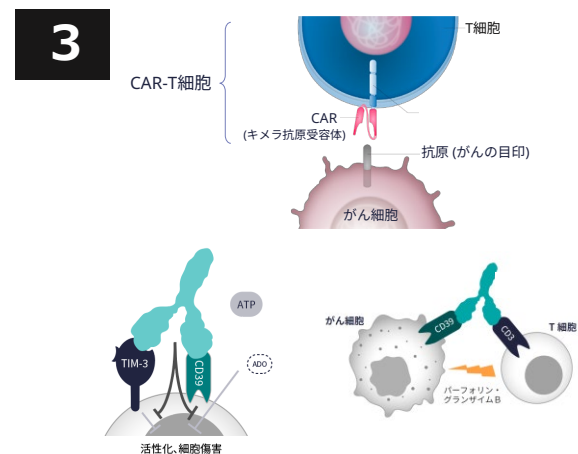
ハイライト



- がん細胞を免疫が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



- 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



- 抗体医薬パイプラインのライセンス・アウトとiPS細胞由来CAR-NKTの臨床試験入りにむけての準備に注力
 - 調達中の資金はBCMA 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

1846

外科手術



1903

放射線療法



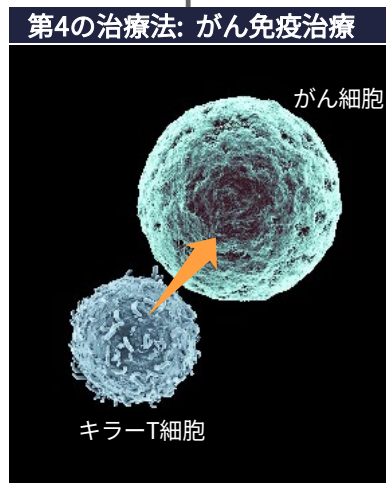
1949

化学療法



2010

第4の治療法: がん免疫治療



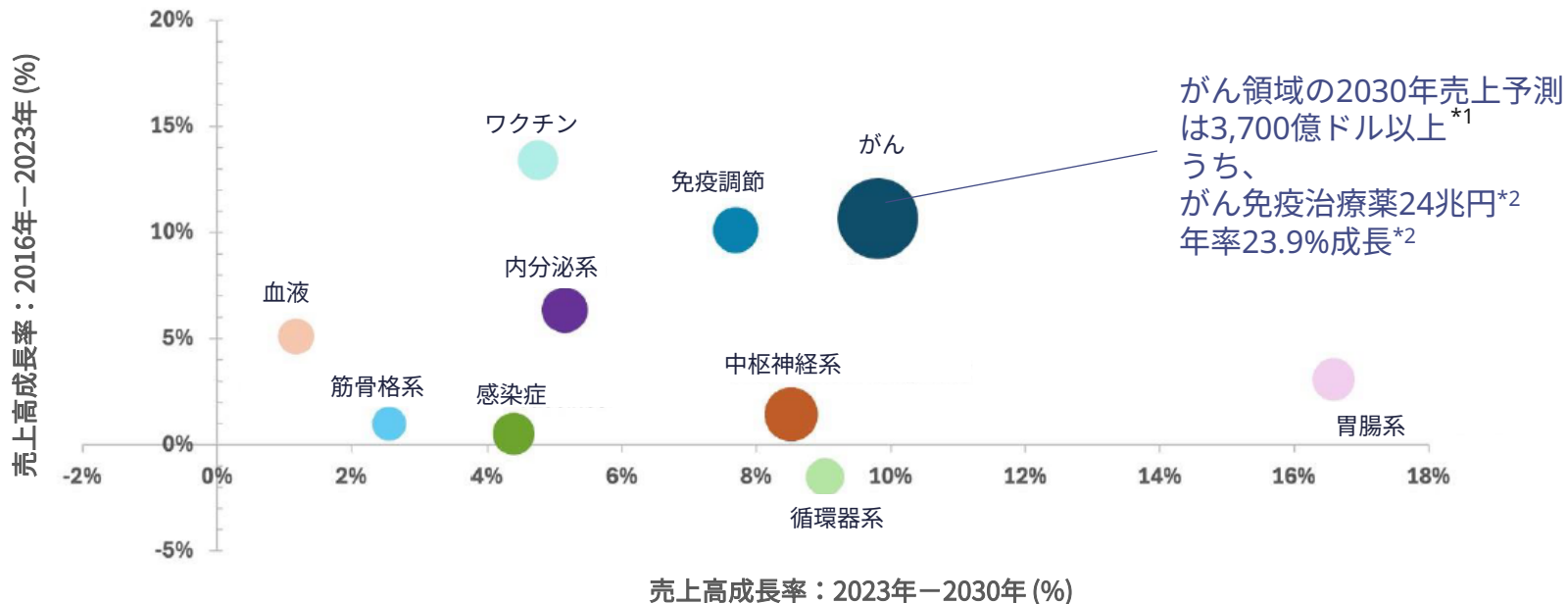
2024

免疫チェックポイント抗体
キイトルーダ®(抗PD-1抗体)の
2024年予想売上高が
全医薬品の中でトップに

- Nature Reviews Drug Discovery誌予想 271.9億ドル(4.3兆円)

事業領域

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

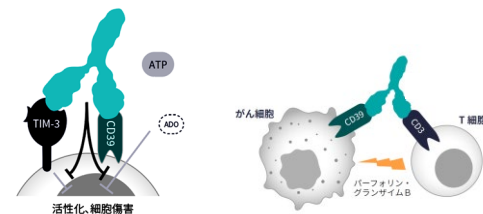
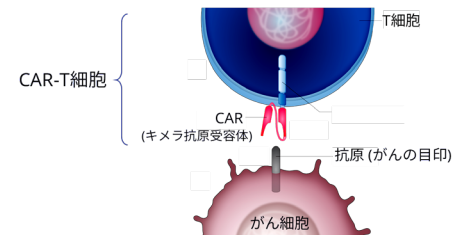


出典：

1. EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2024 (July 2024)
2. Data Bridge Market Research h (May 2024)

開発パイプライン

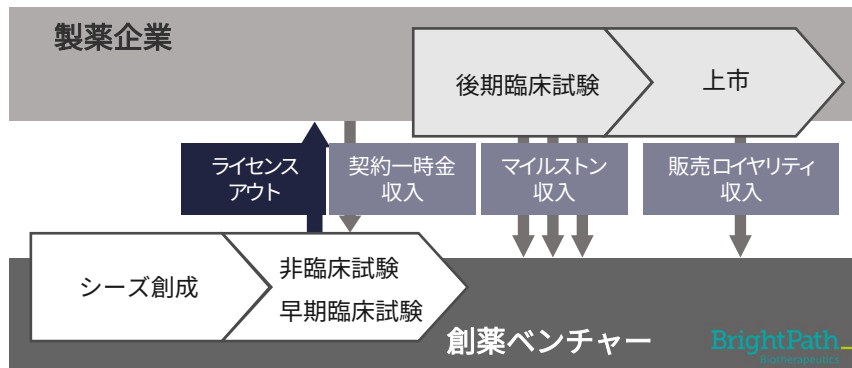
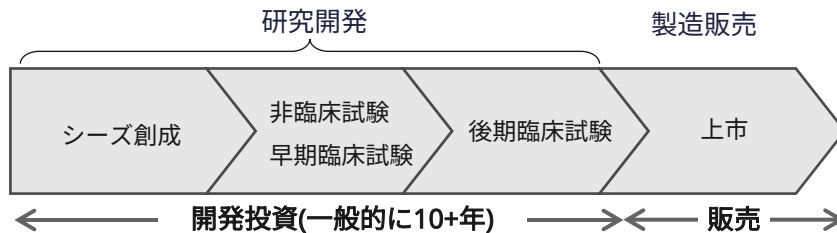
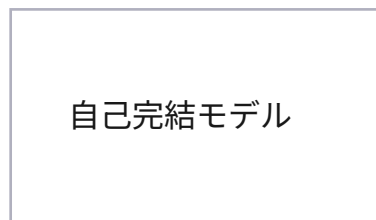
開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞医薬 =がん細胞を殺傷する免疫細胞を直接投与する治療薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん	████████████████████	████████████████████		
BP2202	iPS細胞由来BCMA CAR-NKT	多発性骨髄腫	████████████████████	████████████████████		
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん	████████████████████	████████████████████		
抗体医薬 =がん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		████████████████████	████████████████████		
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	████████████████████	████████████████████		



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

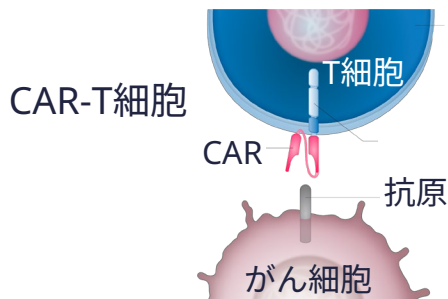
中核パイプライン

iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題：自家CAR-T

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

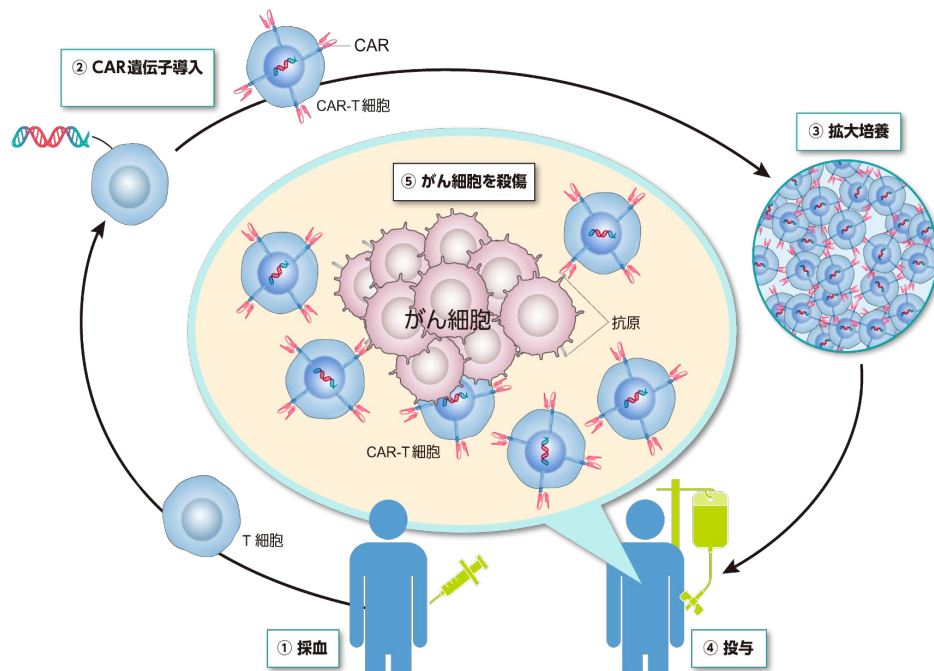


承認薬（血液がん領域）

NOVARTIS	開発企業	上市CAR-T製品
GILEAD	Kite	KYMRIAH
Bristol Myers Squibb	Juno	YESCARTA TECARTUS
Johnson & Johnson	LEGEND BIOTECH	Breyanzi Abecma
		CARVYKI

自家CAR-T細胞療法の流れ

- 一患者自身から採血して取り出したT細胞に、体外で遺伝子改変を加えて患者に戻す



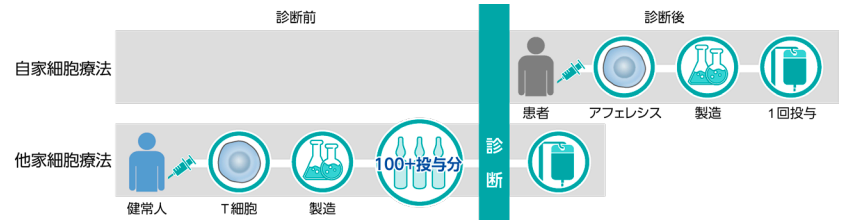
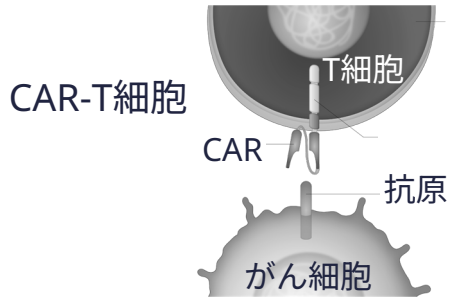
iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題: 自家CAR-Tの課題克服の取り組み

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

業界全体の取り組み

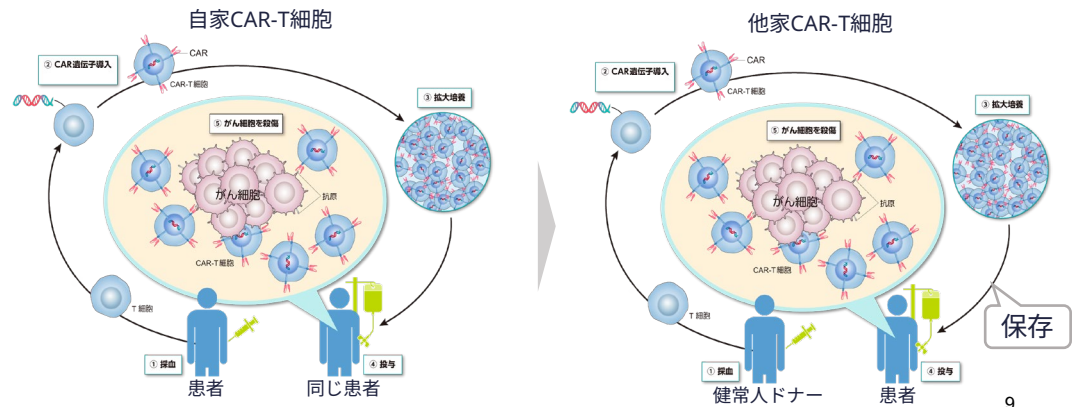
- 診断確定前に、健常人ドナーのT細胞から予め製造を終わておく（他家）
 - 製造の確実性
 - 待ち時間無し



- 承認薬（血液がん領域）
- | | | |
|----------------------|----------------|--------------------|
| NOVARTIS | 開発企業 | 上市CAR-T製品 |
| GILEAD | Kite | KYMRIAH |
| Bristol Myers Squibb | Juno | YESCARTA, TECARTUS |
| Johnson & Johnson | LEGEND BIOTECH | Breyanzi, Abecma |
| | | CARVYKT |

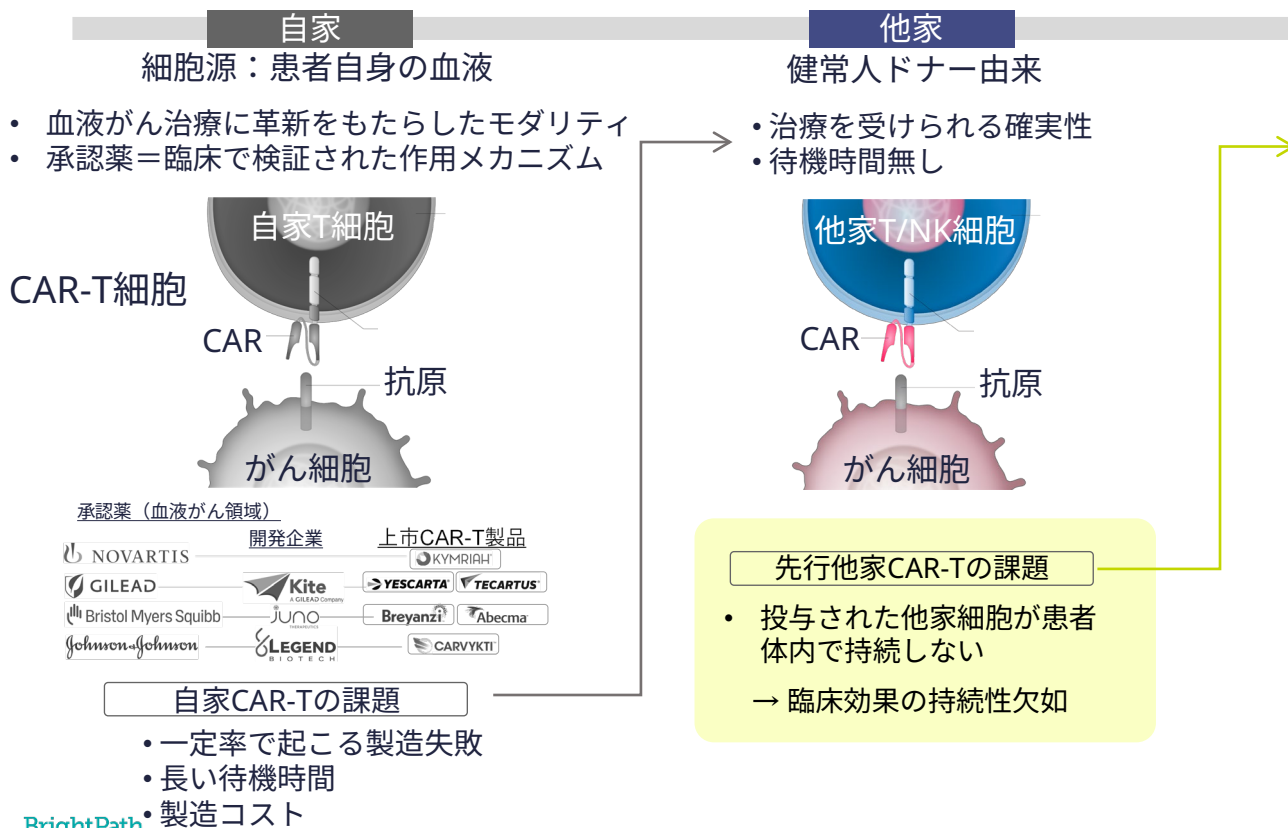
自家CAR-Tの課題

- 一定率で起こる製造失敗
- 長い待機時間
- 製造コスト



iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題：他家CAR-Tの課題

健康人ドナー由来の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



iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題: 他家CAR-Tの課題克服のための当社の取組み

他家

健康人ドナー由来

- 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細胞由来NKT細胞

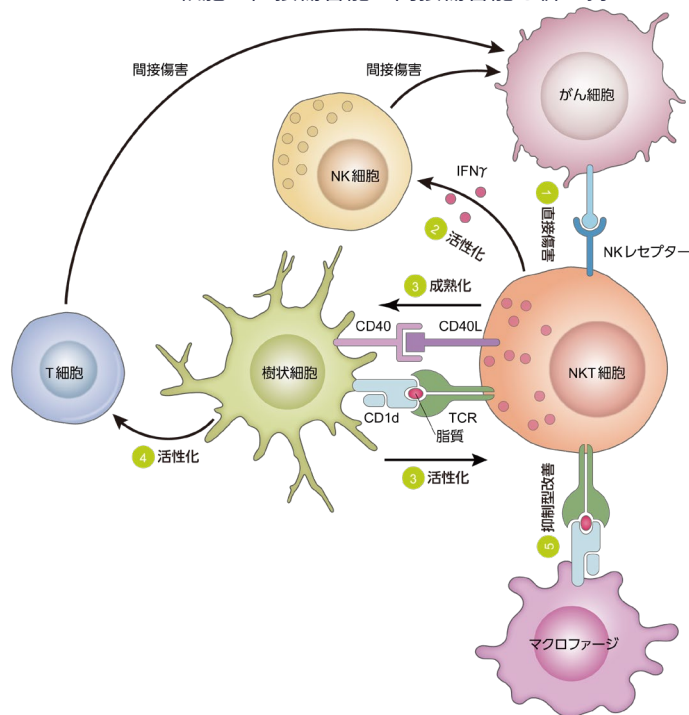
健康人ドナー由来

- NKT細胞を用いるCAR-T

= 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

多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞

- がん細胞の直接傷害能と間接傷害能を併せ持つ

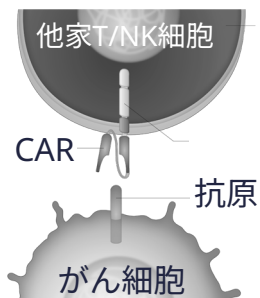


iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題: iPS細胞技術の適用

他家

健康人ドナー由来

- 治療を受けられる確実性
- 待機時間無し



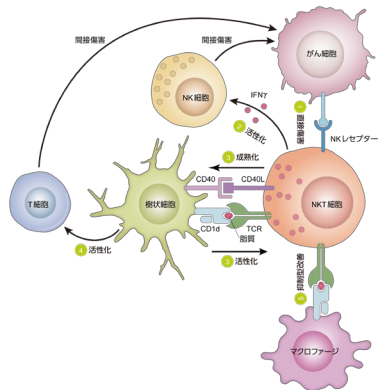
先行開発CAR-Tの課題

- 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

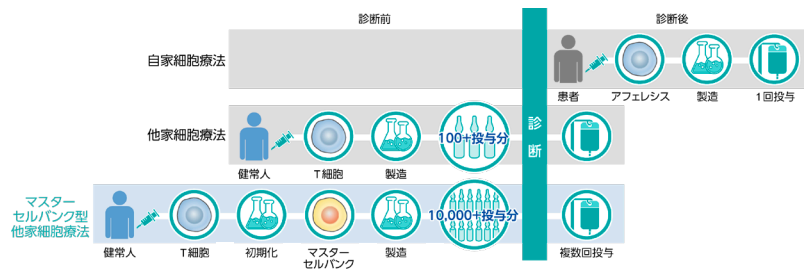
他家iPS細胞由来NKT細胞

健康人ドナー由来

- NKT細胞を用いるCAR-T
- = 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

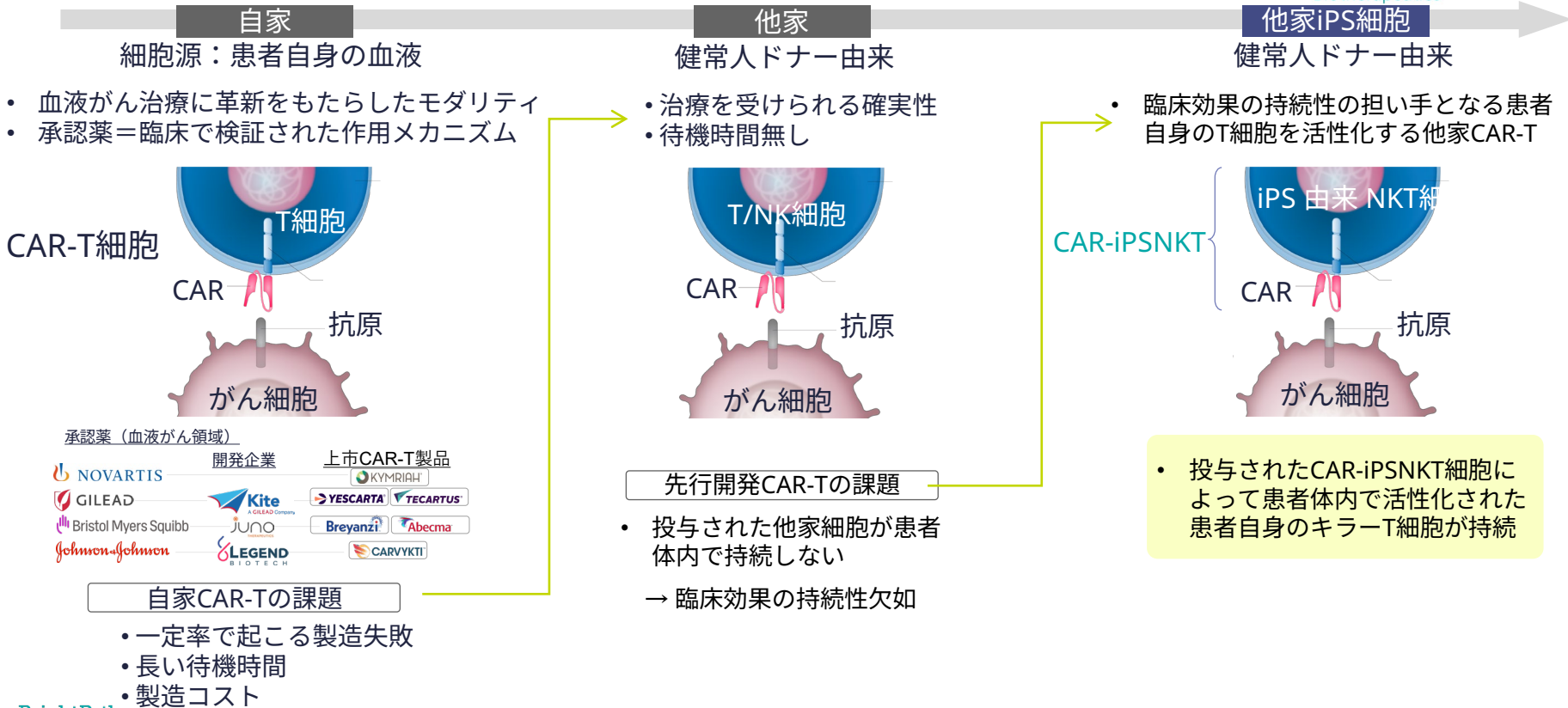


- iPS細胞由来のNKT細胞を用いるCAR-T
- = 僅少なNKT細胞が大量製造可能に

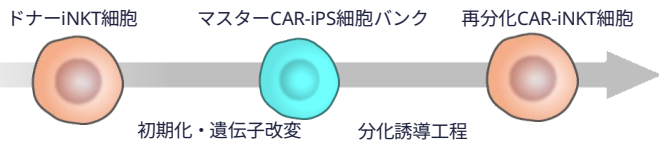


- iPS細胞から分化させたNKT細胞を用いる (マスターセルバンク型他家)
- ✓無理なく、もともとのNKT細胞の機能を維持したNKT細胞を臨床スケールで製造可能

iPS細胞由来CAR-NKTが解決する他家CAR-Tの課題



米国臨床試験に向けた準備状況の現在地



達成
今後

2025.3

2026.3

	1合目	2合目	3合目	4合目	5合目	6合目	7合目	8合目	9合目	10合目
--	-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	------

マスターセルバンク

1合目	2合目	3合目	4合目	5合目	6合目	7合目	8合目	9合目	10合目
-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	-----	------

適格ドナー iPS細胞株取得 マスターセルバンク取得

移管用製造工程確立

1合目	2合目	3合目
-----	-----	-----

スケールアップ → 高純度 x 高増殖

製造工程移管

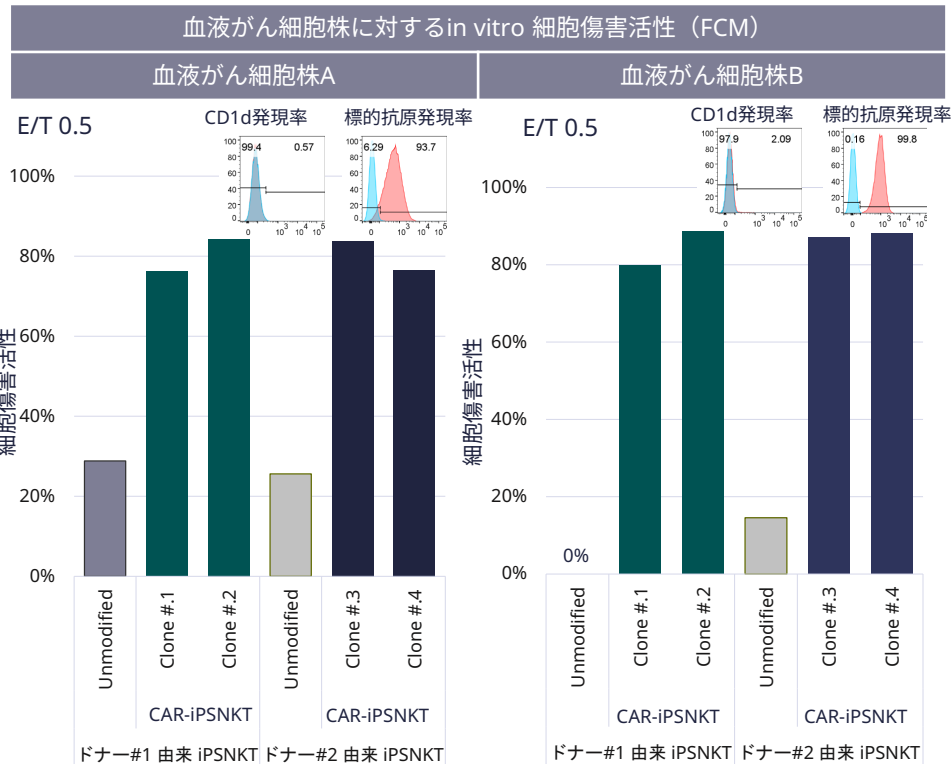
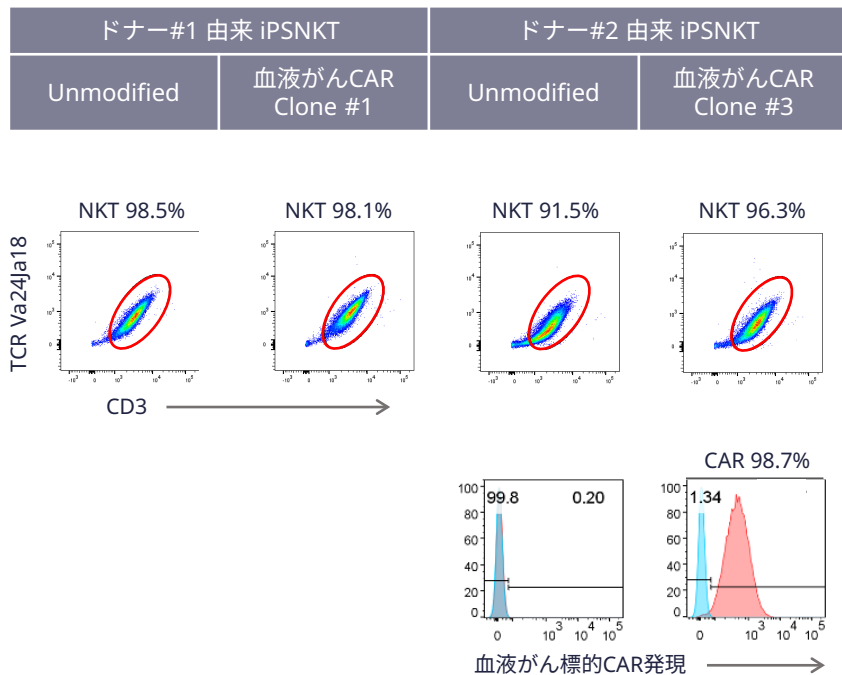
4合目	5合目	6合目	7合目	8合目	9合目
-----	-----	-----	-----	-----	-----

治験薬製造

試製造完了

Phase I 臨床試験

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



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)

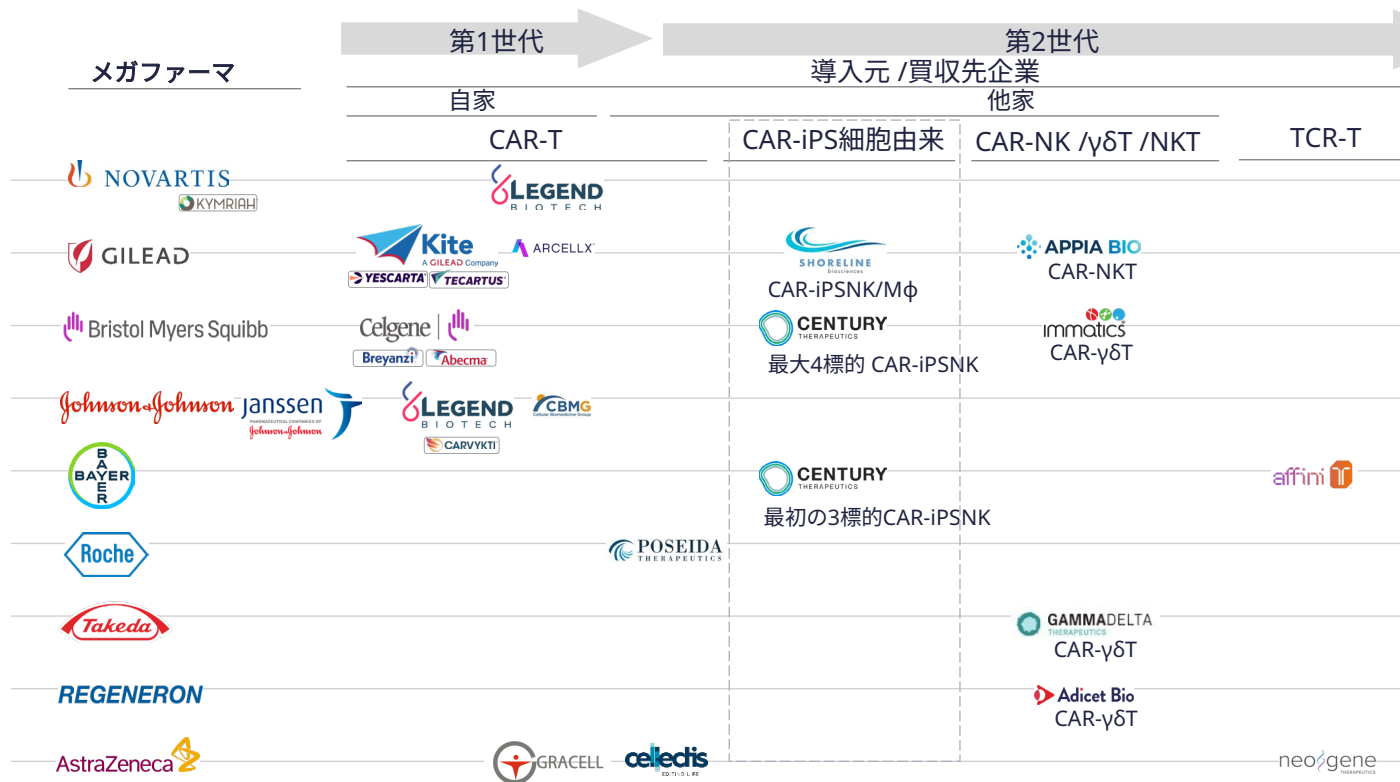
	開発企業	非遺伝子改変	血液がんCAR遺伝子導入			固形がんCAR 遺伝子導入	プラットフォーム型ライセンス先
			リンパ腫 標的	白血病 標的	多発性骨髄腫 標的		
iPS-T	Fate THERAPEUTICS	2018				ONO HER2 (2023)	ONO 小野薬品工業 2018 (2候補品)
			CD19 (2023)				
iPS-NK	SHORELINE biosciences		GILEAD Creating Possible CD19/CD20 (-) CD5 (-)	非開示(-)	GILEAD Creating Possible TACI/BCMA(-)		GILEAD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

iPS-NKT	BrightPath Biotherapeutics	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

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

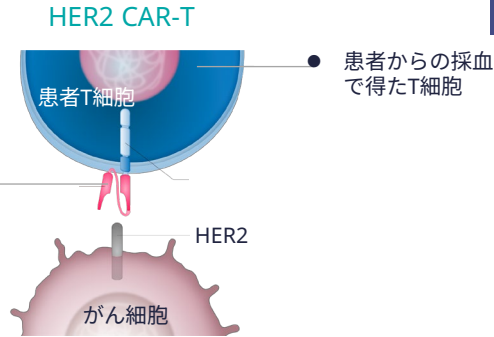


その他の開発パイプライン: BP2301 (HER2 CAR-T)

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

HER2標的CAR (キメラ抗原受容体)
がん細胞に高発現するがんの目印:HER2抗原を認識し結合する

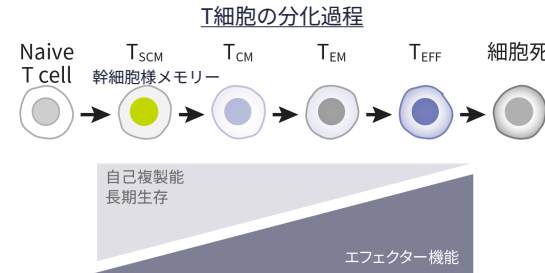
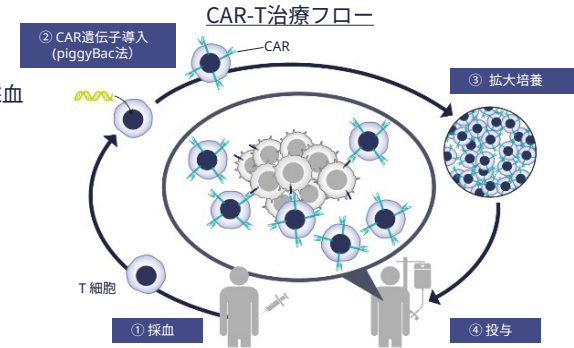
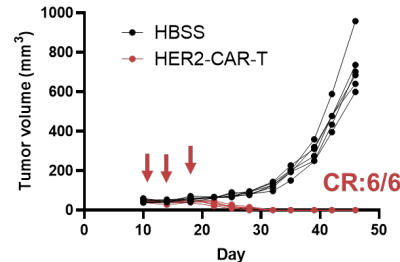


● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

- ・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

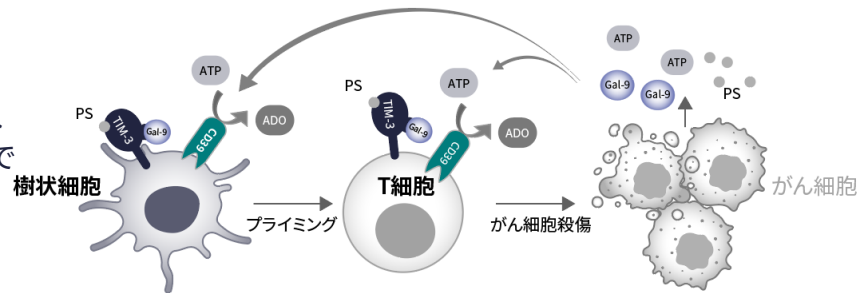
- ・ヒト卵巣がん細胞株 SK-OV-3 を移植した担がんマウスにおいて、BP2301投与により6匹の全てのマウスで腫瘍が完全に退縮し、再増殖しなかった



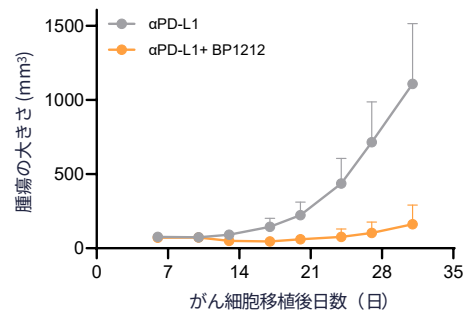
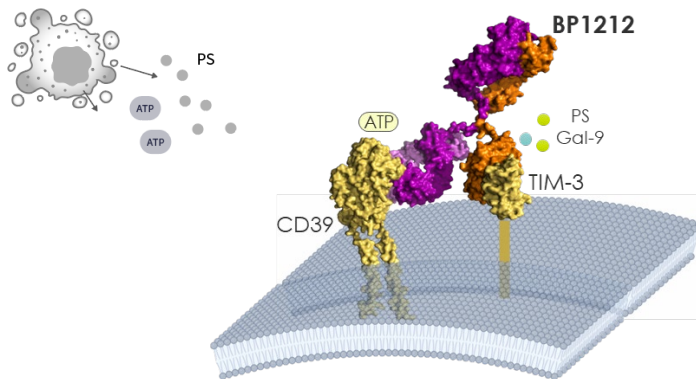
出所：ブライトパス・バイオ AACR2022

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抗体または抗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
- 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 x 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



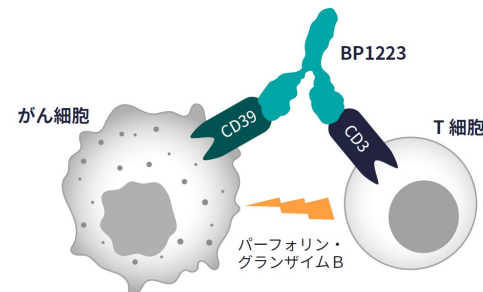
その他の開発パイプライン: BP1223 (抗CD39 T細胞エンゲージャー抗体)

抗体

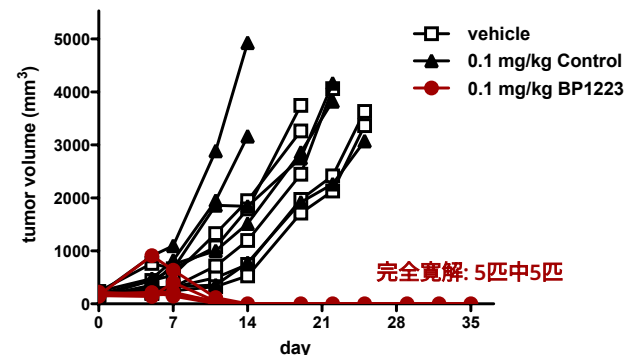
CD39標的抗体の新規フォーマットとなるT細胞エンゲージャー抗体

- 急性骨髄性白血病(Acute Myeloid Leukemia, AML)や多発性骨髄腫などの血液がん細胞が発現するCD39と、T細胞が発現するCD3の双方に結合する二重特異性抗体
- 活性化したT細胞が、がん細胞を排除
- 急性骨髄性白血病 (AML) を対象とするデータ取得状況 (2024年米国血液学会年次会議, ASH2024での報告より)
- 近年、新規に急性骨髄性白血病 (AML) と診断された患者の標準療法としての地位を確立した化学療法剤ベネトクラクスおよびアザシチジンの併用療法は、従来の治療法に比べ奏効率を上げたものの、予後の生存期間についてはまだ改善の余地を残している
- 標準治療に耐性を獲得したAML芽球*が再発を促すことによるものと考えられる
- BP1223 は臨床検体を用いた試験において、AML芽球に対して強力な抗腫瘍活性を示し、さらに標準化学療法ベネトクラクスおよびアザシチジンと併用することによりほぼ完全なAML芽球の消失を認めた
- 一方で、BP1223の正常骨髄細胞や血管内皮細胞に対する影響は軽微であった
- これらのデータは、BP1223 が CD39 陽性および化学療法抵抗性の症例を含む AML に対する新しい治療アプローチであることを示唆している

*造血幹細胞から幼若な段階で赤血球や白血球、血小板などの分化する能力を失った異常な細胞



- 急性骨髄性白血病細胞株を担がんさせたマウスモデルにおいて、BP1223は全匹において腫瘍塊を完全排除



2025年3月期 第2四半期（中間期） 決算概要

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

	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 (研究開発費)	550 (363)	542 (399)	① △8 (+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し、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（社債償還額の差引後）

会社概要

会社概要

社名	ブライトパス・バイオ株式会社 (東証グロース 4594)		
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	1,047百万円 (2024年9月末現在)		
社員数	25名 (2024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 CFO	竹下 陽一	
	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	
	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

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周年を迎える

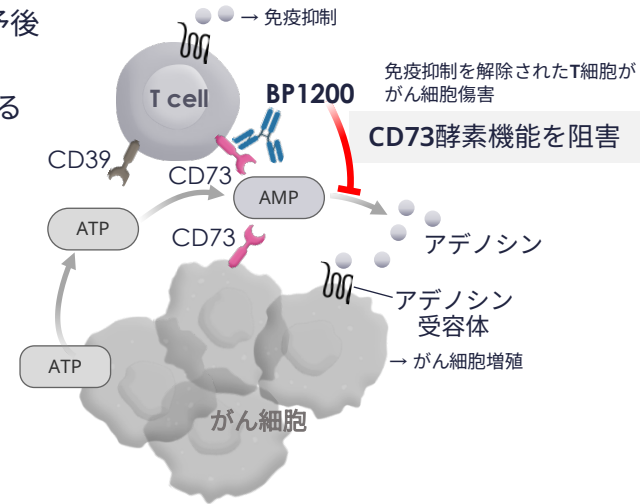
參考資料

BP1200 (抗CD73抗体)

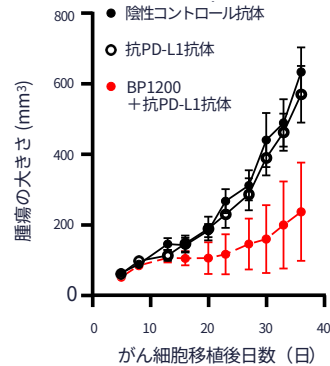
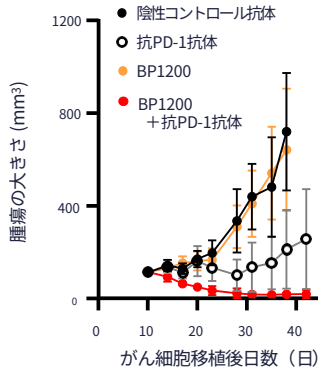
■ ベスト・イン・クラスとなる新規ヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- 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



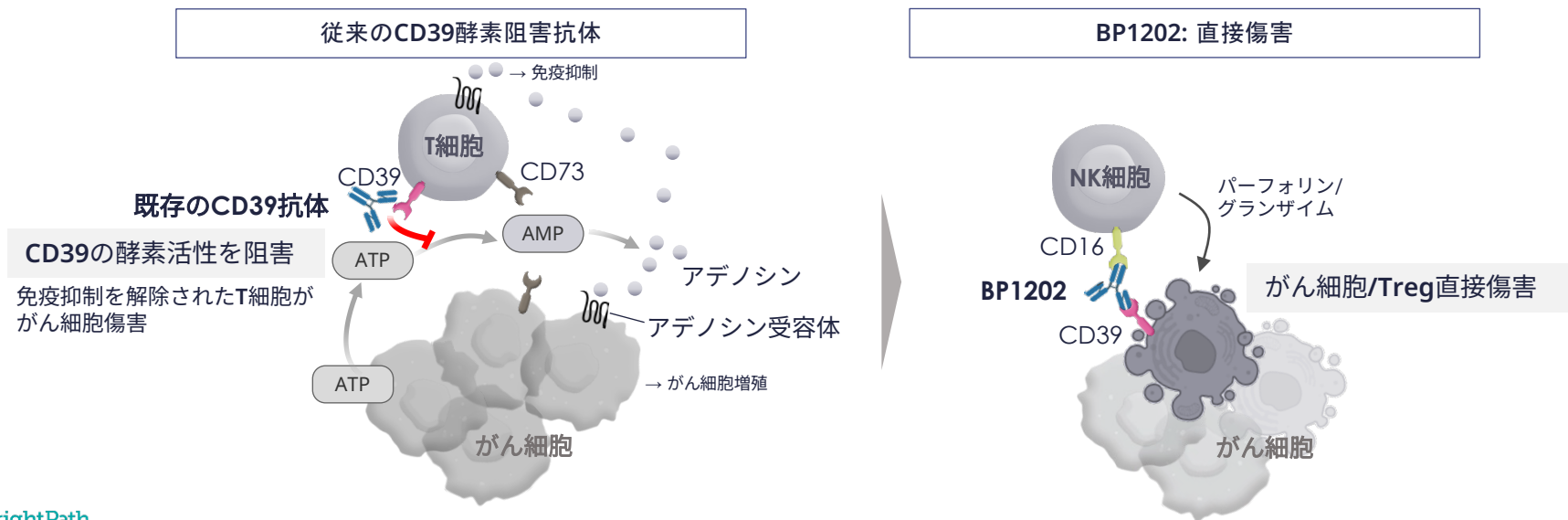
BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制



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

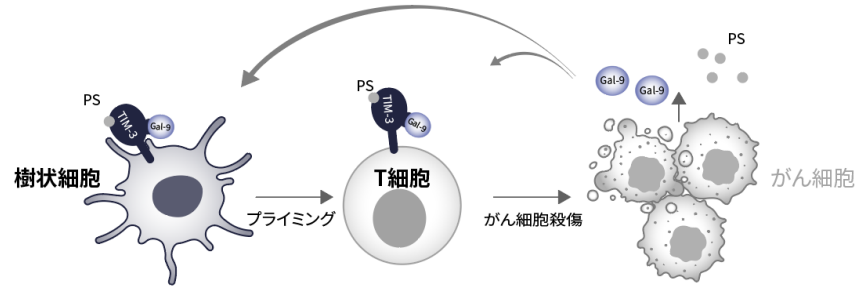
- CD39分子もCD73分子同じく、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わる酵素活性をもつ
- これまでの抗CD39抗体は、CD39酵素活性阻害のみを作用メカニズムとして開発されてきた
- 当社は、このCD39を、特定のがん種でがん細胞そのものが、そして抗腫瘍免疫活性抑制をもたらす制御性T細胞(Treg, 「ティー・レグ」)が、高発現していることに着目
- 当社は、抗体を改変し、CD39を目印としてがん細胞とTregを殺傷する抗体を創生



BP1210 (抗TIM-3抗体)

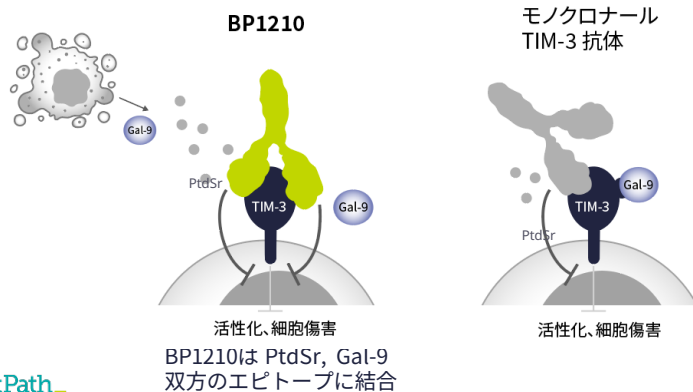
■ すべてのリガンド結合を阻止するバイパラティック抗体

- 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

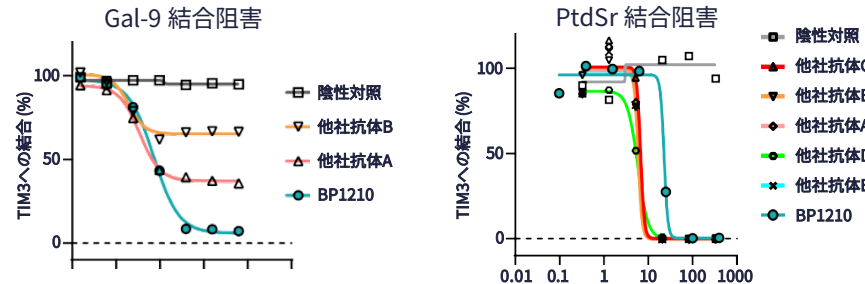


TIM3には樹状細胞のインフラソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

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ルとして機能する (Wolt, et al. 2020)

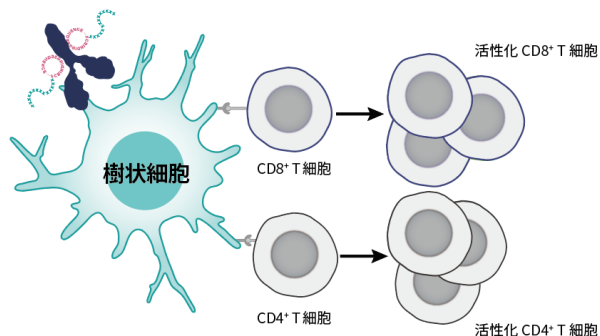
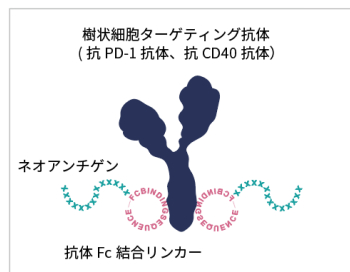


■ BP1210は開発先行他社抗体が実現していないリガンドGal-9の結合阻害を、PS結合阻害とともに実現

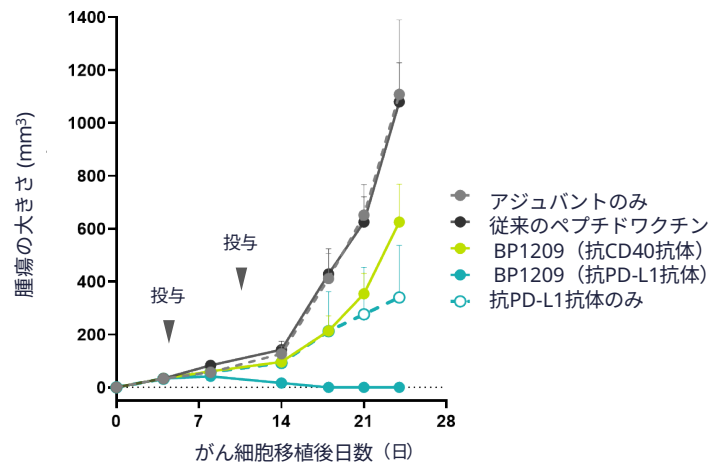


■ 樹状細胞へのワクチンデリバリー効果と免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体とネオアンチゲンワクチンの複合体プラットフォーム

- 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

BrightPath_

Biotherapeutics