

個人投資家向け会社説明会

2022年12月3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。

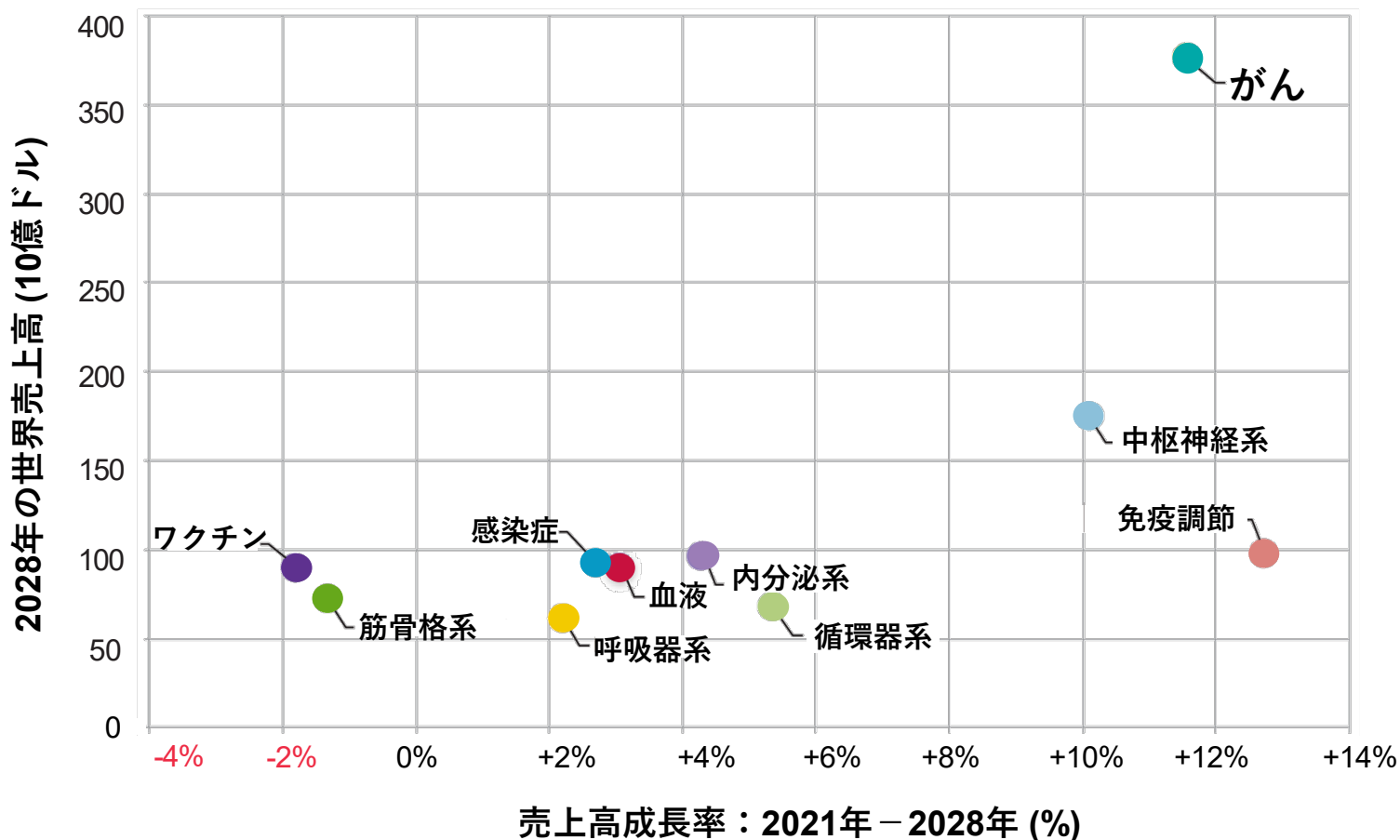
本資料に記載された情報につきまして、予告なく変更される可能性があります。本資料に基づいて被ったいかなる損害についても、当社及び情報提供者は一切責任を負いかねます。

- **がん免疫治療薬の開発に特化した創薬ベンチャー**
- **iPS-NKT(BP2201): 次世代細胞医薬プラットフォーム**
(人工多能性幹細胞) **に基づくライセンス事業展開**

がん治療の世界で何が起きているのか？

■ 医薬品産業の成長を牽引するがん治療薬

2028年の治療領域別予想世界売上高および売上高成長率



Source: Evaluate Pharma® WORLD PREVIEW 2022 (October 2022)

なぜ がん治療薬が伸びているのか？

- 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

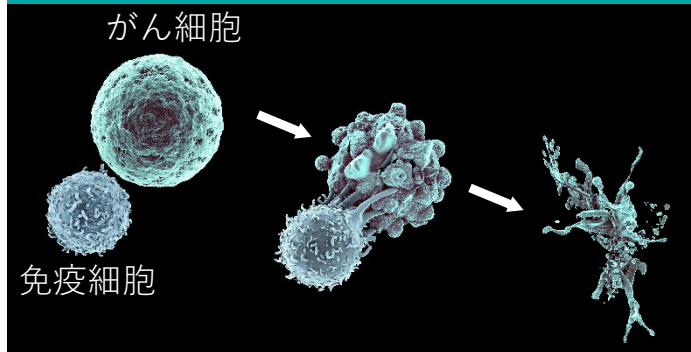
1949

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

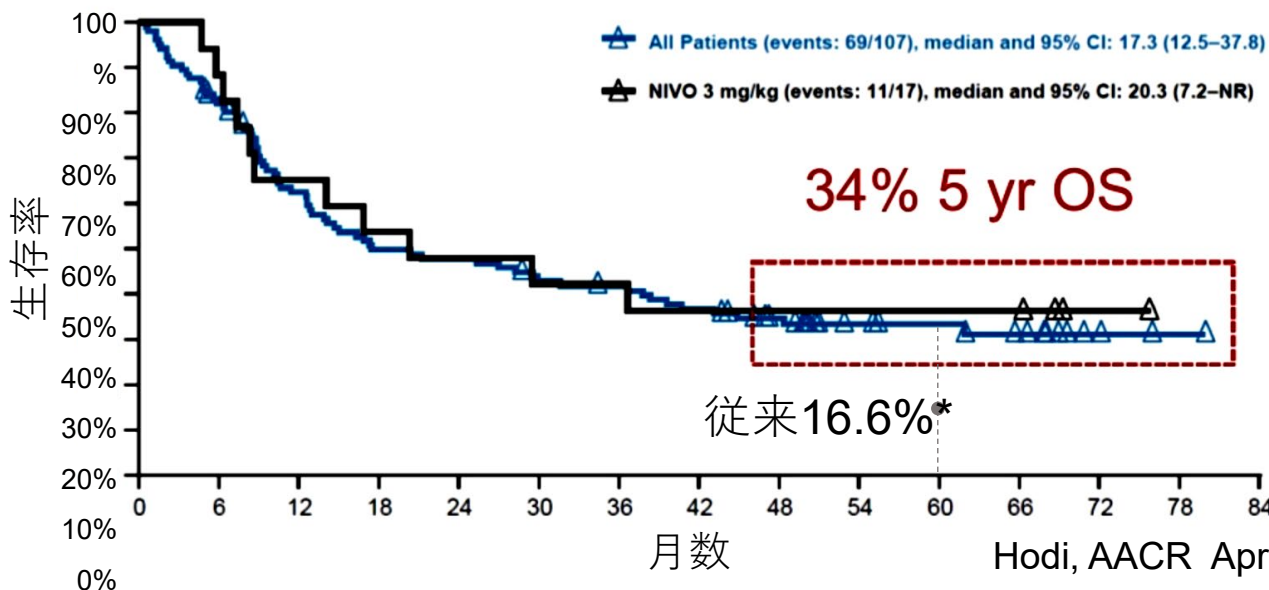


がん細胞を免疫細胞が殺傷する仕組み(がん免疫)を活用したがん治療薬

がん治療革新のインパクト

- 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

ニボルマブ(抗PD-1抗体) 第1相臨床試験 5年全生存期間 (悪性黒色腫)



がん免疫治療薬の登場によるがん治療の革新はまだ始まったばかり
—これから次世代の新薬による革新2.0が始まるところ

満たされていない医療ニーズは依然として大きく、新規のがん免疫治療薬が
がん治療革新の一翼を担える

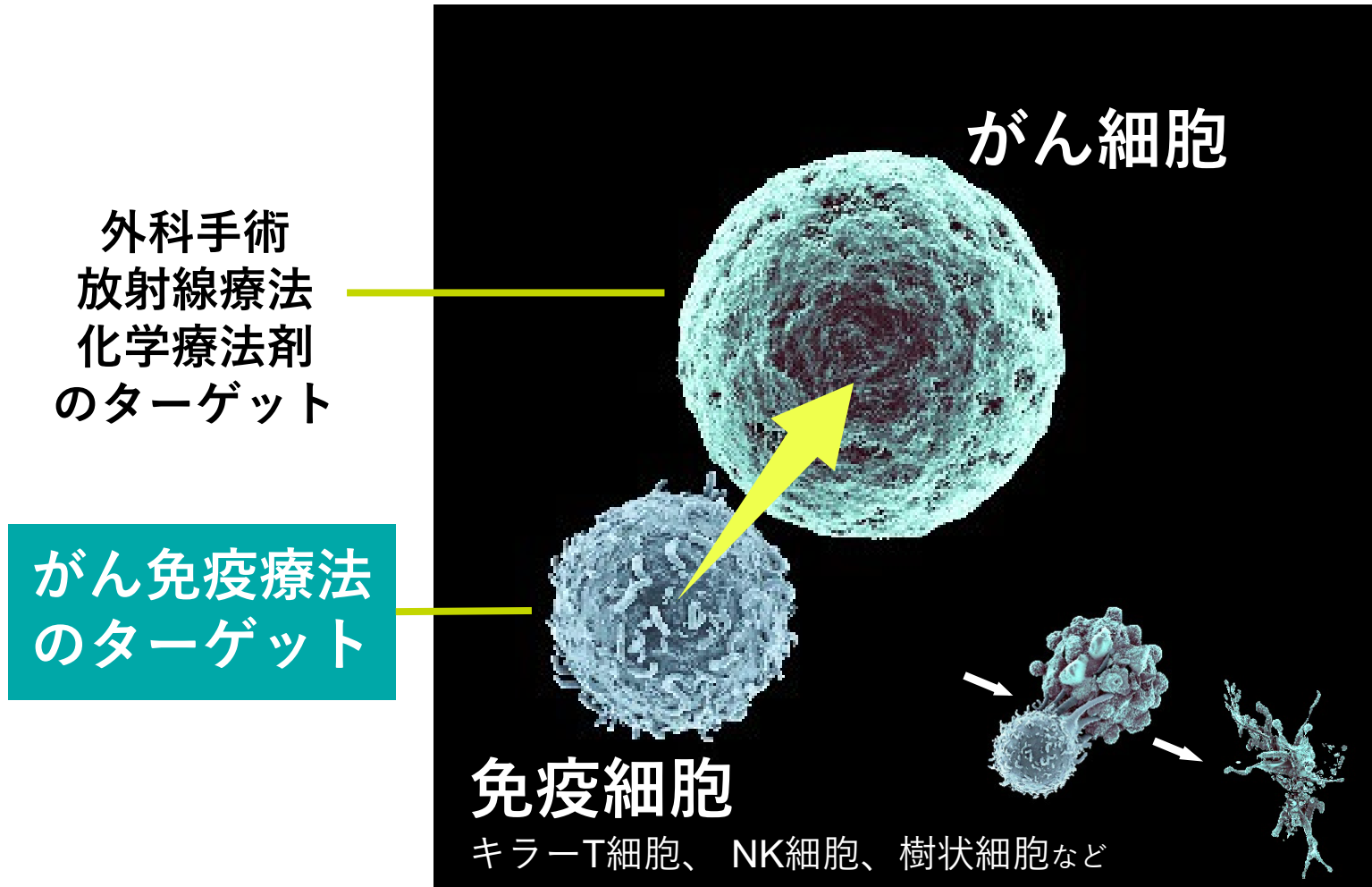
免疫とは

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



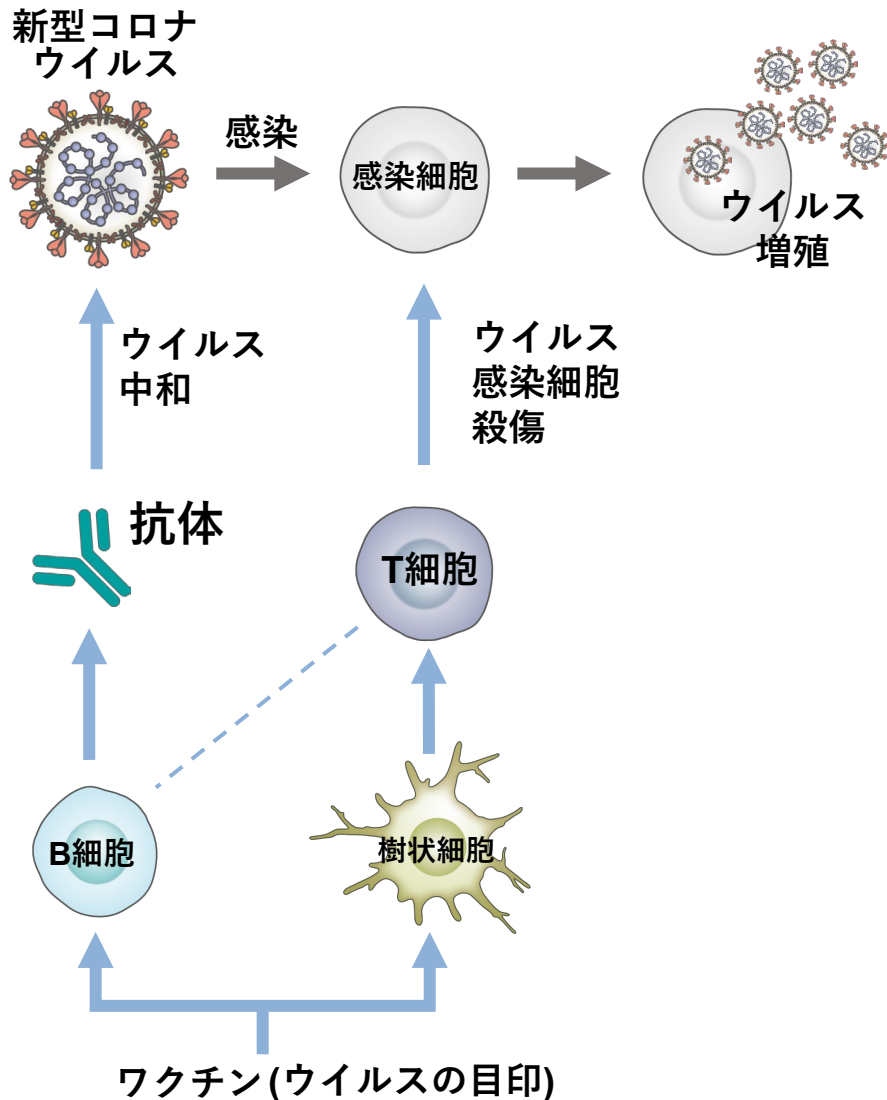
がん免疫治療薬のメカニズム

- 免疫細胞に働きかけ、免疫細胞ががん細胞を排除する治療法

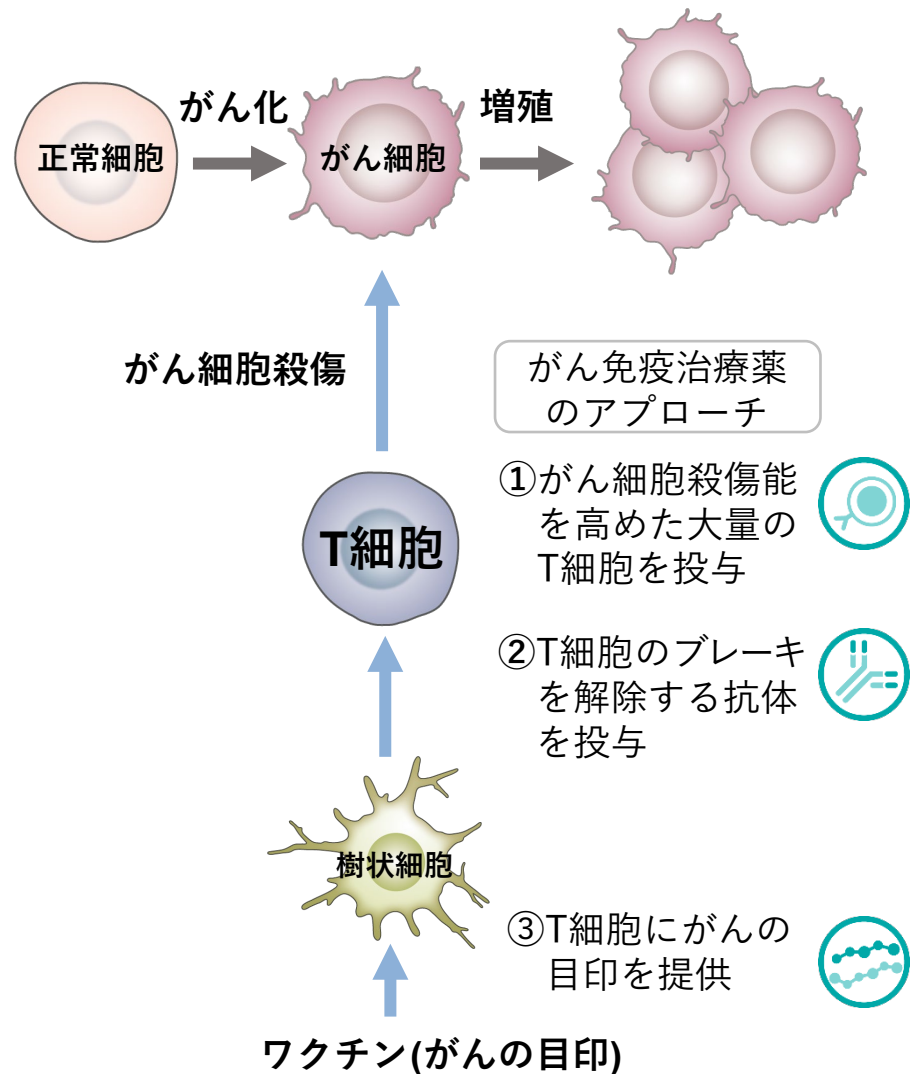


がん免疫治療薬のメカニズム

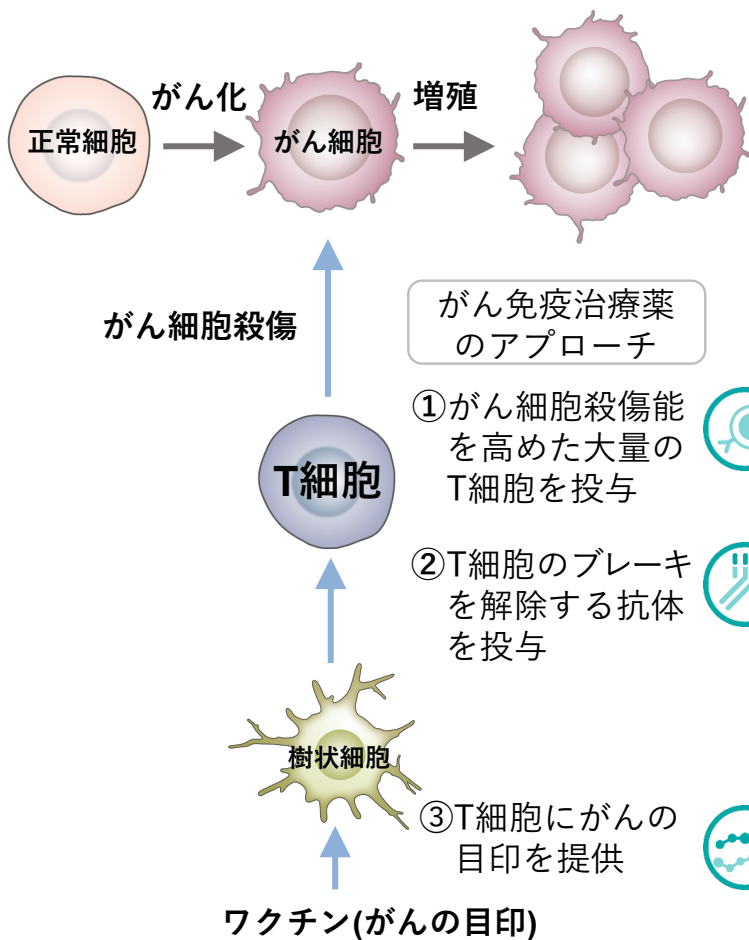
新型コロナウイルスワクチンの場合



がん免疫治療薬の場合



第1世代の承認されたがん免疫治療薬



細胞

CD19 CAR-T

BCMA CAR-T

抗体

抗PD-1抗体

抗CTLA-4抗体

抗PD-L1抗体

抗LAG3抗体

がんワクチン

米国FDA承認薬

KYMRIAH[®] YESCARTA[®] Breyanzi[®] TECARTUS[®]

Abecma[®] CARVYKTI[®]

Keytruda, Opdivo, Jemperli, Libtayo

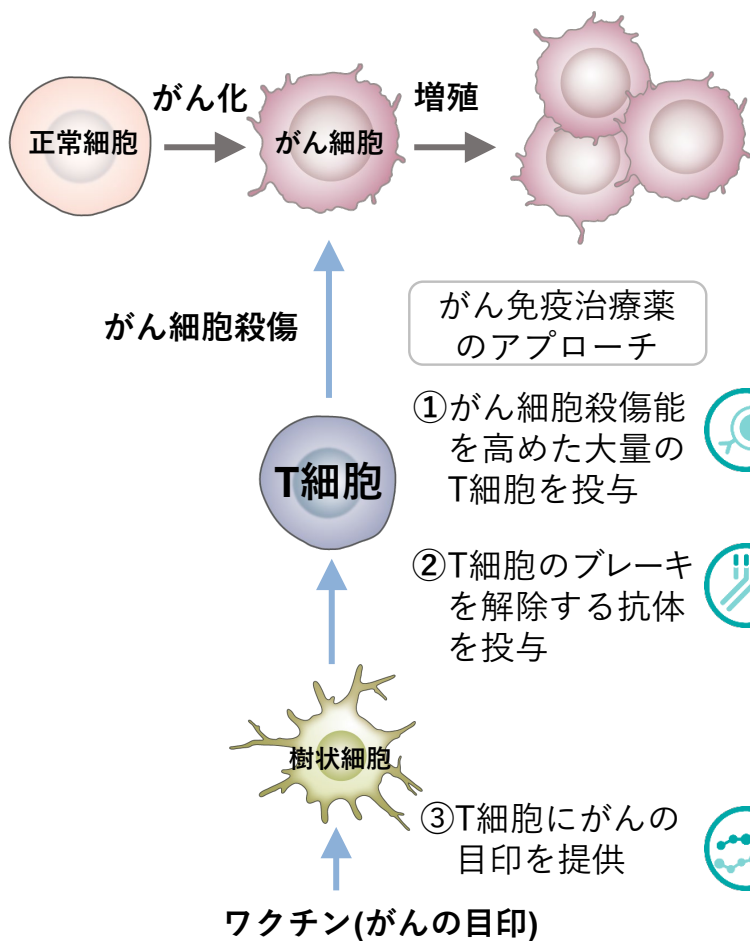
Yervoy

Tecentriq, Imfinzi, Bavencio

Opdualag

ブライトパス・バイオの開発パイプライン

■ 細胞医薬、抗体医薬、がんワクチン

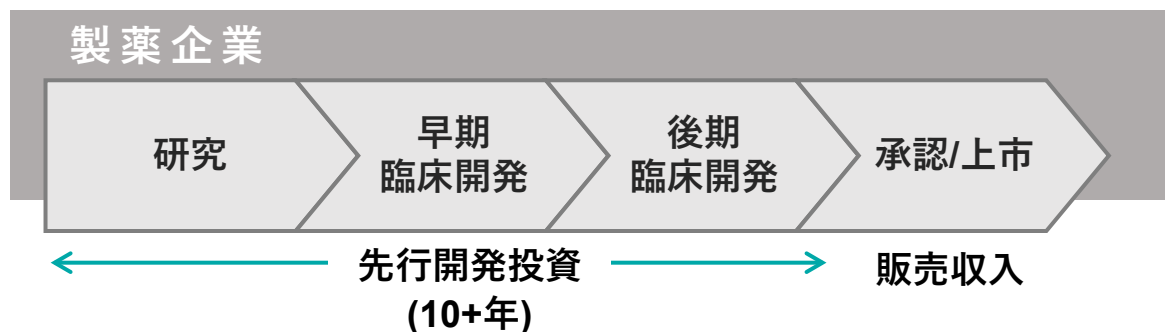


開発品	メカニズム/標的	がん種
細胞		
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん
抗体		
BP1200	CD73	
BP1202	CD39	
BP1210	TIM3	
BP1212	CD39×TIM3	
がんワクチン		
GRN-1201	4種共通抗原	肺がん
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん

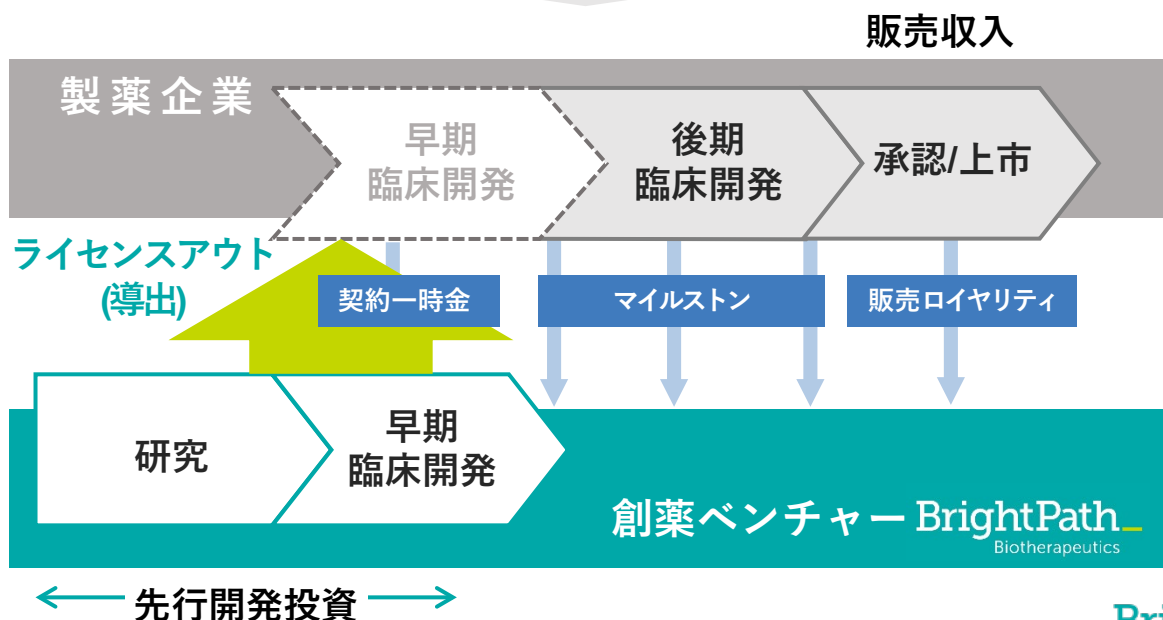
ライセンスアウト型の事業モデル

- 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

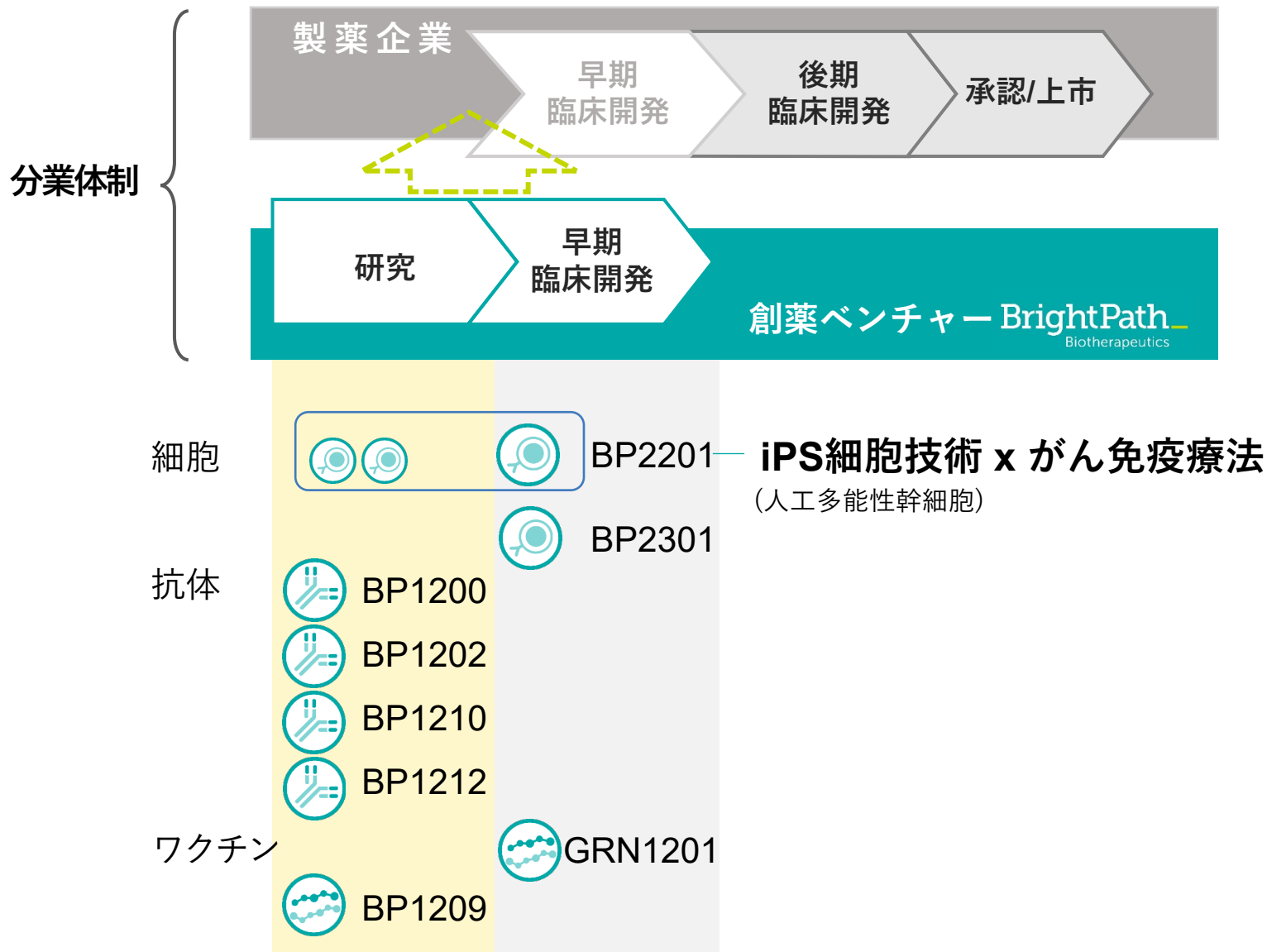
医薬品産業全体で
見たときの
一気通貫モデル



分業モデル



各パイプラインの現在のステージ



開発パイプライン

■ BP2201(iPS-NKT): プラットフォーム型事業展開を図るパイプライン

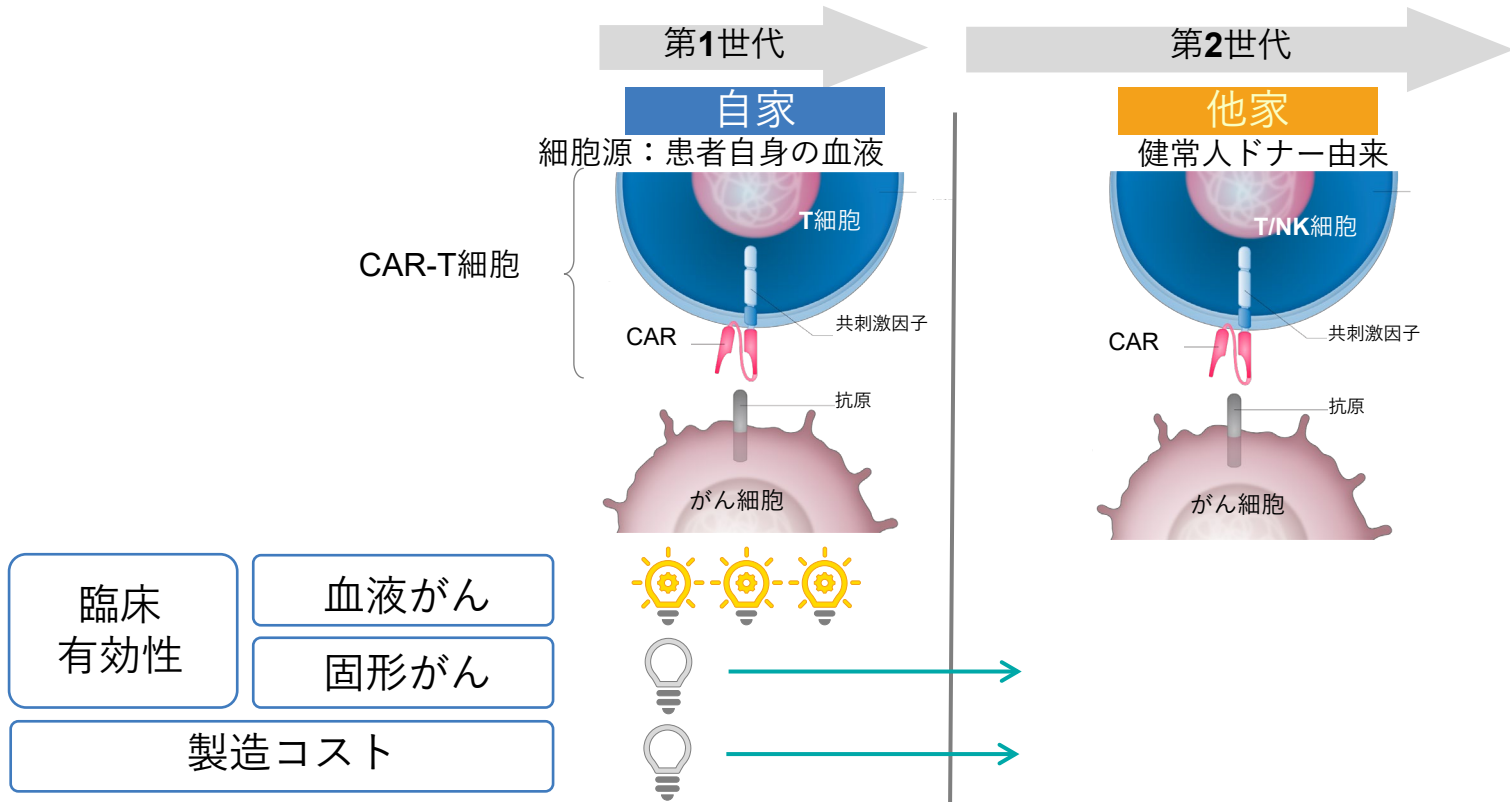
開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2301	HER2 CAR-T	骨・軟部肉腫 婦人科がん				
抗体						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM3					
BP1212	CD39×TIM3					
がんワクチン						
GRN-1201	4種共通抗原	肺がん				
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				



BP2201 (iPS-NKT)

BP2201(iPS-NKT)を取り巻く環境

■ CAR-Tは血液がん治療に革新をもたらし、第2世代へ



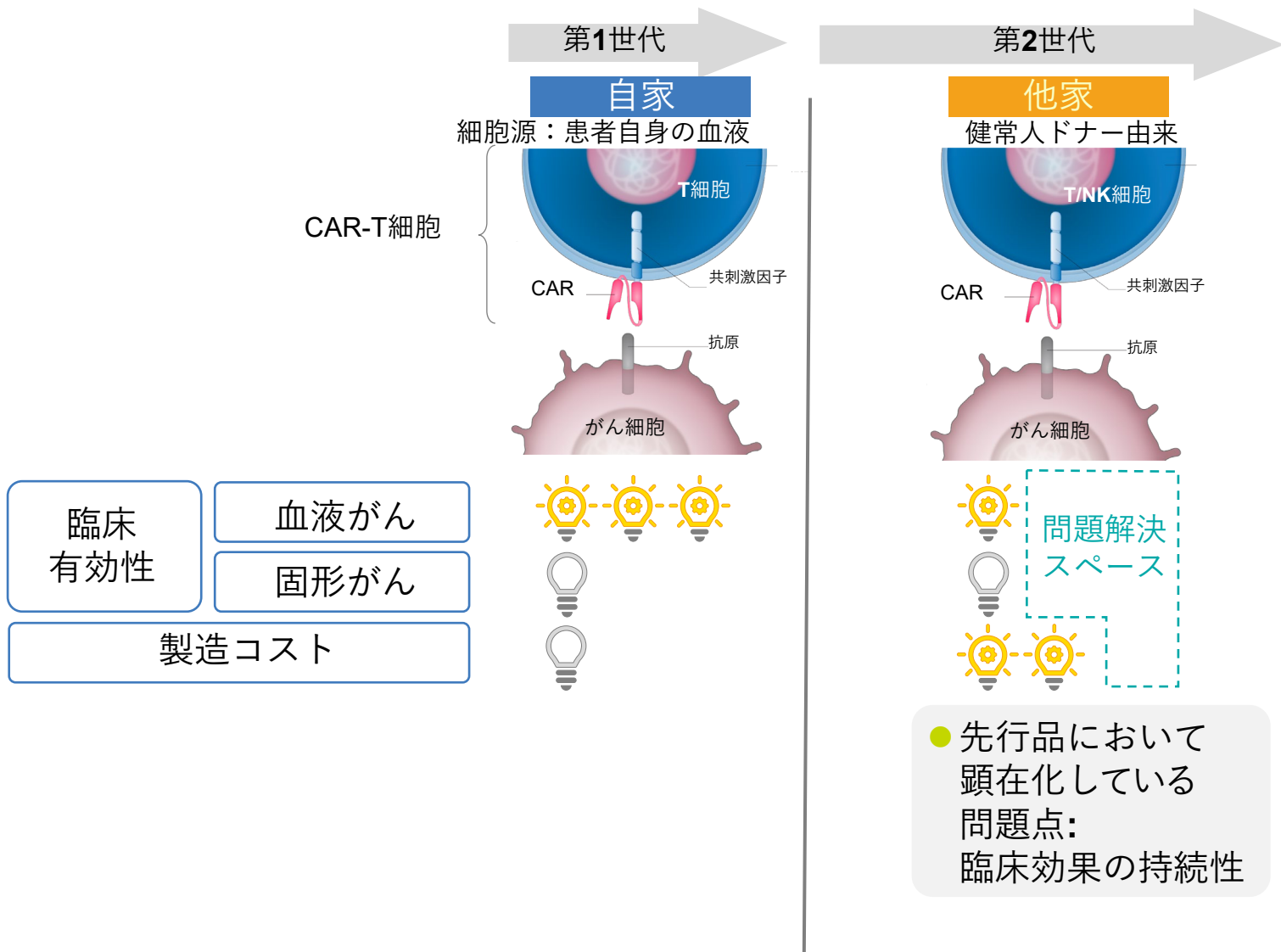
- ・ GILEAD による Kite 買収 120億ドル(2017)
- ・ Celgene による Juno 買収 90億ドル(2018)

上市CAR-T製品



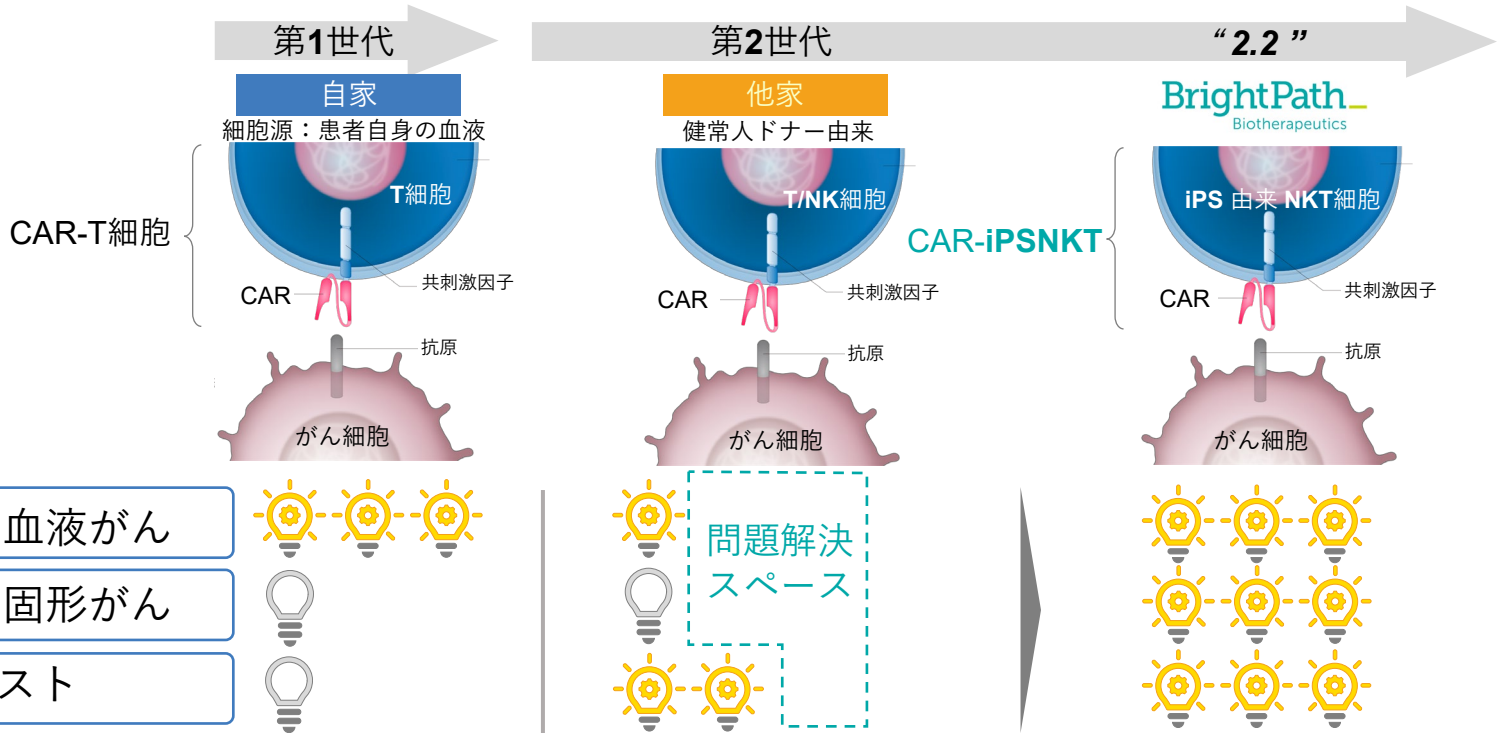
BP2201(iPS-NKT)を取り巻く環境(続)

■ 世界のCAR-T開発は第2世代に移ってから踊り場に



BP2201(iPS-NKT)を取り巻く環境(続)

■ 世界のCAR-T開発は第2世代に移ってから踊り場に



- 先行品において
顕在化している問題点：
臨床効果の持続性

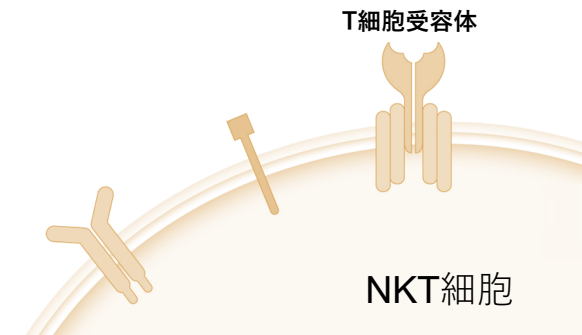
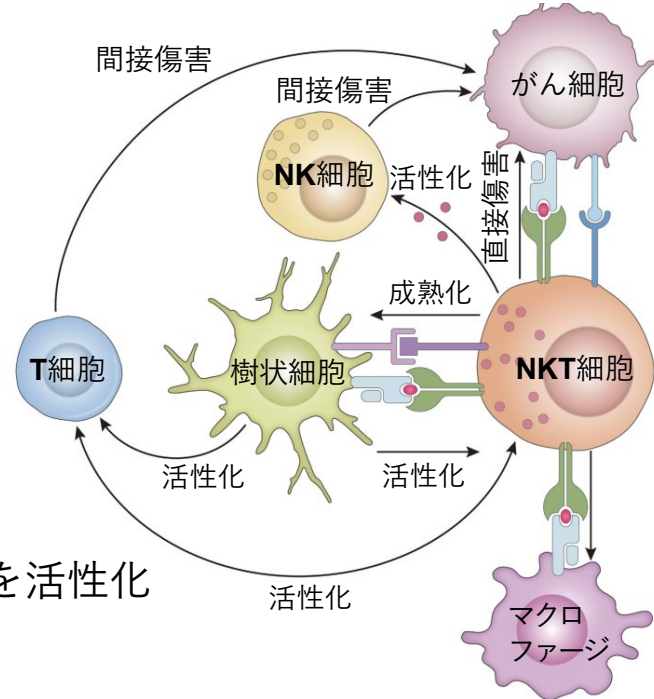
- 他家**CAR-NKT**に
よって患者体内で
活性化された患者
自身のキラー**T**細胞
が持続性をもたらす

ナチュラルキラーT(NKT)細胞の優位性

■ 新規他家CAR-T細胞療法のプラットフォーム

- iPS細胞から作製したNKT細胞を用いる

がん細胞を直接的・間接的に殺傷するNKT細胞

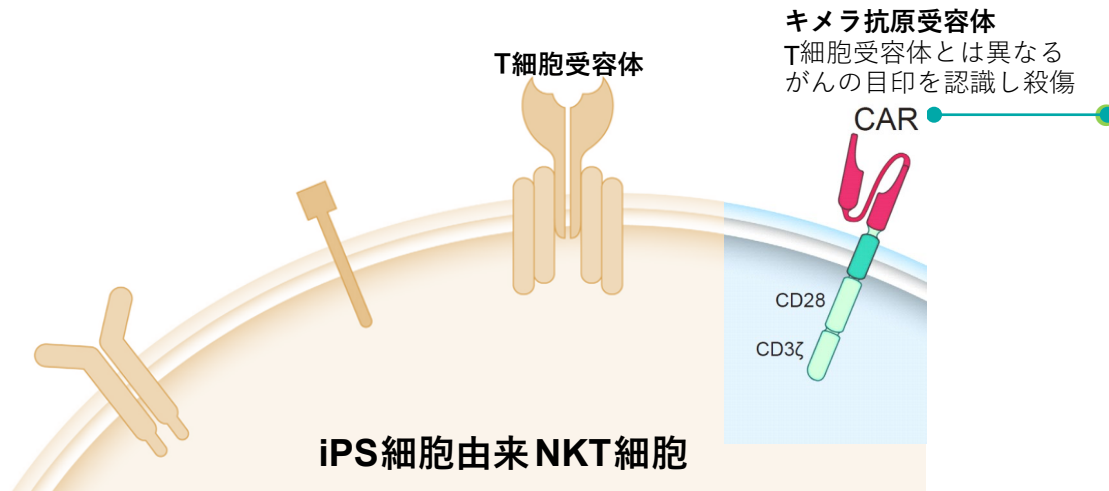


- 細胞傷害性T細胞を活性化

- 他家(CAR-)NKTが、患者の体内で患者自身の細胞傷害性T細胞を活性化させるところに、NKTを用いる最大のメリットがある
- 今ある他家細胞療法の弱点である抗腫瘍効果の持続性の問題を解決する可能性をもつ

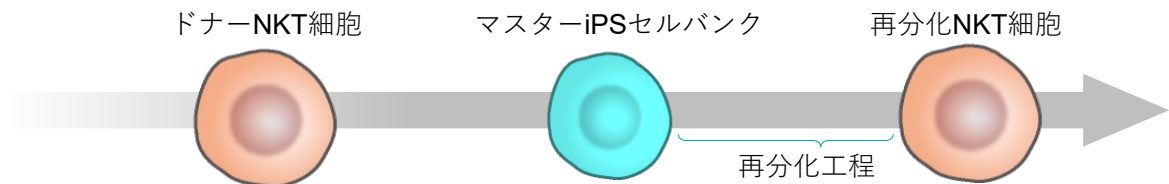
CAR-iPSNKTへの展開

- もともとNKT細胞が備え持つ機能に、がん細胞を認識するセンサー(CAR)を付加し、さらにはがん細胞殺傷性を高める



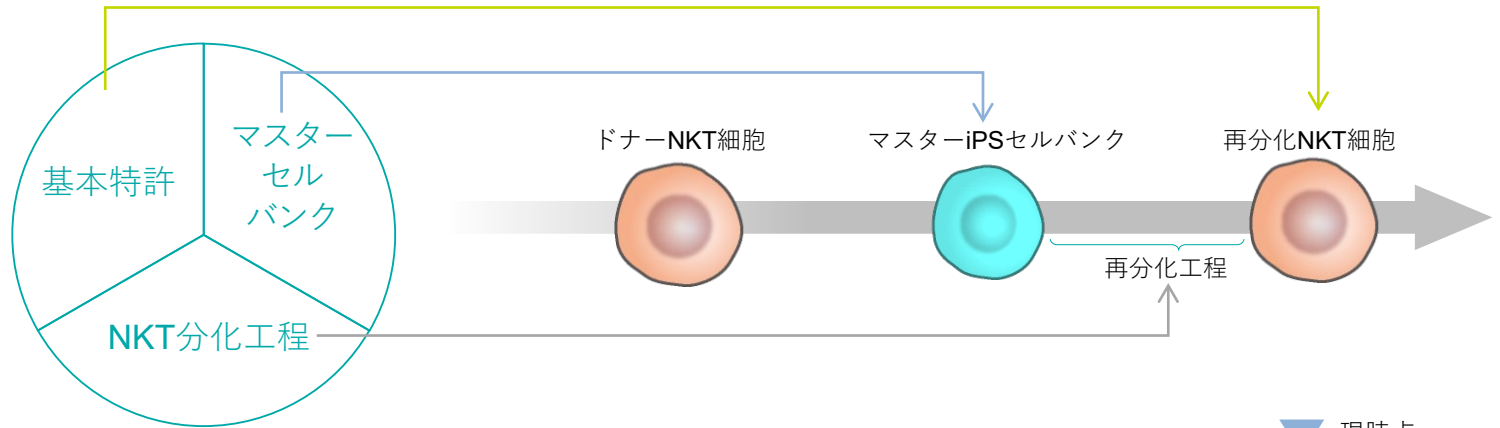
細胞傷害性T細胞を誘導する機能を有するiPS-NKT細胞に、がんの認識能を高めるキメラ抗原受容体(CAR)を付加し、がんの直接傷害能を高める

- iPS細胞テクノロジーが、希少なT細胞集団であるNKT細胞を、培養過程での疲弊/機能喪失を起こすことなく大量複製することを可能に



事業展開の基礎となるプラットフォーム

■ iPS-NKTプラットフォーム



● 構築の過程



- iPS細胞から作製したNKT細胞を他家細胞療法に使用する権利
- iPS-NKT細胞療法を実質的に世界(日米欧で登録済)で唯一展開可能



- 世界で初めて人に投与され臨床上の安全性が確認される過程にあるiPS-NKT細胞を大量複製する親細胞(マスターiPSセルバンク)の独占使用权



- 医薬品産業上の要請を満たす形式で、iPS細胞から機能を維持したNKT細胞を純度高く大量に分化させる製造ノウハウ



■ グローバル開発製造販売権の導入オプション契約締結



- グローバル3拠点(日米欧)で特許登録



- マスターiPSセルバンクから作製したNKT細胞の臨床上の安全性確認



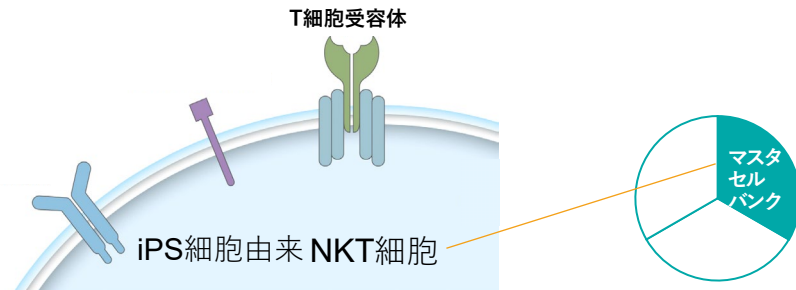
- 高増殖 x 高純度の目標水準達成(ラボレベル)

土台(非改変iPS-NKT)と建築物(CAR-iPSNKT)

■ 非改変iPS-NKT(非CAR導入)

- 第 I 相臨床試験(医師主導治験)継続中

- iPS由来NKT細胞が初めて人に投与される本治験(First-in-human試験)で臨床上の安全性における問題は報告されていない

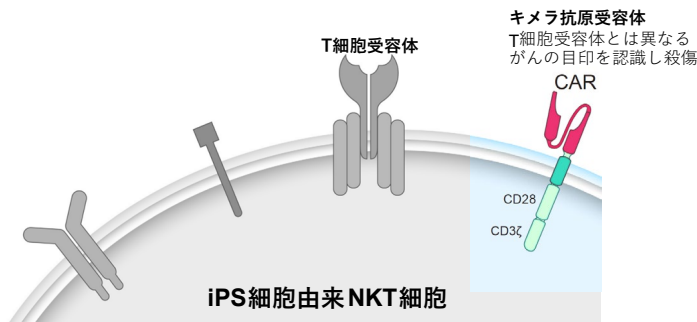


- マスターiPSセルバンクから作製したNKT細胞の臨床上の安全性確認

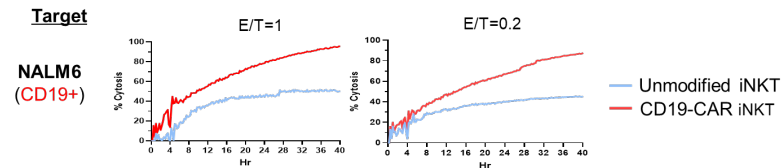
■ CAR-iPSNKT

- プロトタイプCD19(血液がん標的)/HER2(固形がん標的) CAR-NKTを研究報告

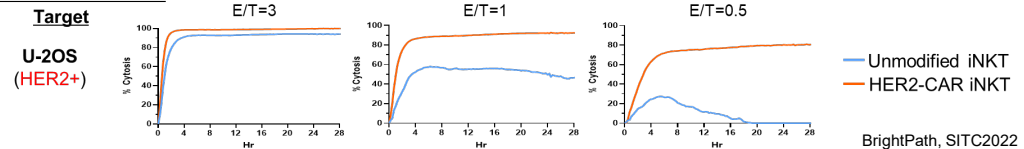
- In vitroでの用量依存的抗腫瘍効果を確認



a) CD19-CAR iNKT



b) HER2-CAR iNKT

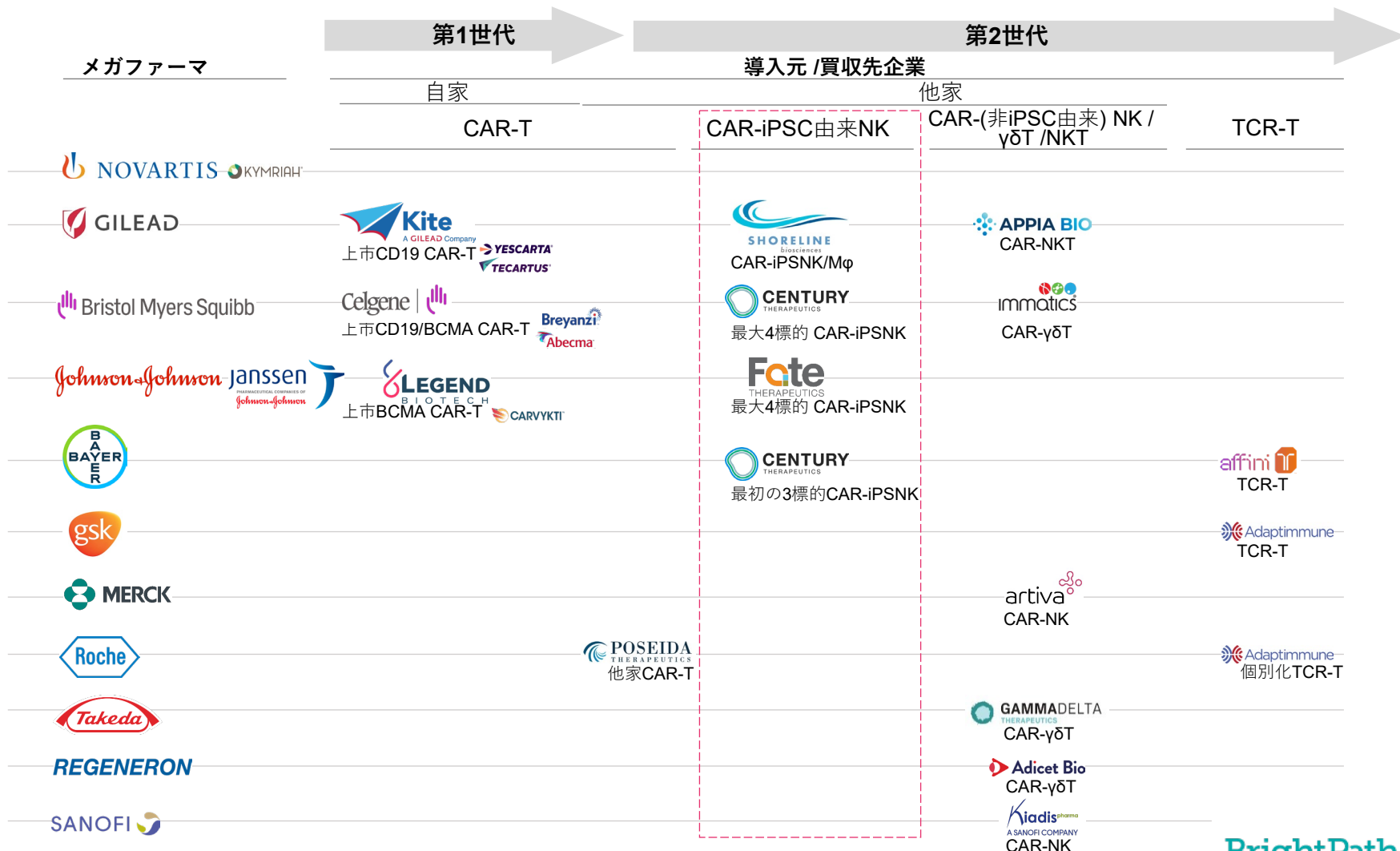


BrightPath, SITC2022

CAR-iPSNKTのポジショニング

■ CAR-Tにおけるメガファーマ・ベンチャー提携関係の中での位置づけ

- 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世代に参入している



目指す事業展開

■ iPS-NKTプラットフォームのフランチャイズ展開



● iPS-NKベース企業の展開との比較

(治験開始の年)		血液がんCAR標的			固形がんCAR標的			メガファーマの関与	
企業	非改変	CD19	BCMA	CD38	EGFR	GPC3	MICA		
iPSNK	Fate Tx	2018	2020	2021				2022	<ul style="list-style-type: none"> ■ 2020.4 J&J (Janssen) 4標的までCAR-NK発注 *1)
	Century Tx	n.a.	2022			2023			<ul style="list-style-type: none"> ■ 2019.7 Bayer 設立参画(最初の3標的) ■ 2022.1 BMS 4標的までCAR-NK発注
	Cytovia Tx	2021			2024	2024	2024		
iPSNKT	BrightPath Biotherapeutics	2020 (理研)							

*1) 2018.9 小野薬品 (2標的まで発注)
→2022.11 HER2 CAR-iPST 導入オプション行使

出所：各企業

業績概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期 上半期	2023年3月期 上半期	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)	721 (539)	805 (643)	▲ 83 ① (103)
営業利益	▲ 721	▲ 805	▲ 83
経常利益	▲ 723	▲ 809	▲ 86
当期純利益	▲ 723	▲ 810	▲ 86

① GRN-1201の臨床試験関連の前払金162百万円を、5月の米国第Ⅱ相試験早期中止決定に伴い費用化したため

貸借対照表

(単位：百万円)

	2022年3月期	2023年3月期 上半期	増減
流動資産 <i>構成比</i>	2,696 97.2%	2,050 96.8%	① ▲645
固定資産	75 2.7%	66 3.1%	▲8
流動負債	184 6.6%	54 2.5%	▲130
固定負債	55 1.9%	55 2.5%	0
純資産	2,531 91.3%	2,006 94.7%	▲524
総資産	2,771	2,117	▲653

① 研究開発費の支出による現金減391百万円に加え、5月のGRN-1201の米国第Ⅱ相試験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162百万円の減少を含む

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2022年3月期 上半期	2023年3月期 上半期
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 751	① ▲ 588
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 11	0
財務活動によるキャッシュ・フロー	228	② 197
現金及び現金同等物 増減額	▲ 534	▲ 391
期首残高	3,265	2,305
期末残高	2,730	1,913

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（社債償還の差引き後）

2023年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2022年3月期 予想	2022年3月期 実績	2023年3月期 予想	増減
売上高	2	15	5	▲ 10
営業利益	▲ 1,852	▲ 1,476	▲ 1,635	① ▲ 159
経常利益	▲ 1,852	▲ 1,481	▲ 1,635	▲ 154
当期純利益	▲ 1,854	▲ 1,484	▲ 1,637	▲ 153

研究開発費	1,408	1,137	1,267	② 11.4%増
-------	-------	-------	-------	----------

①② 理研からのiPS-NKT導入オプション行使費用を含む（業績予想に織り込み済み）

参考：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

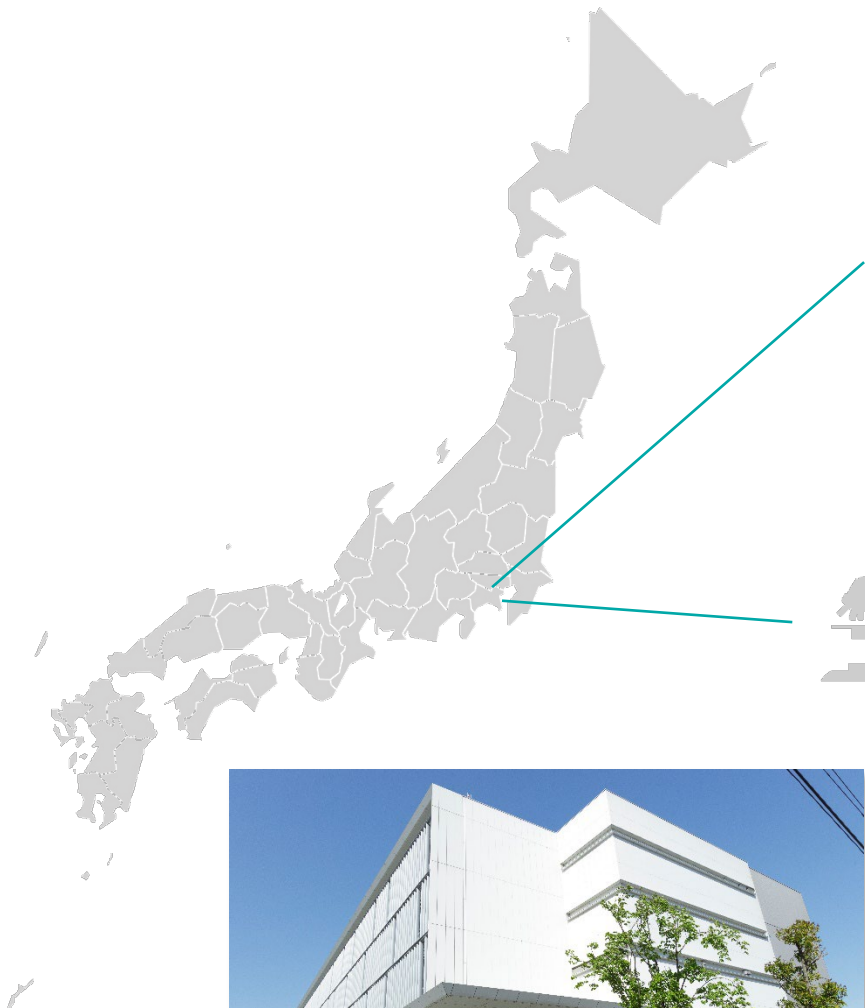
資本金 243百万円 (2022年9月末現在)

社員数 36名 (2022年9月末現在)

役員

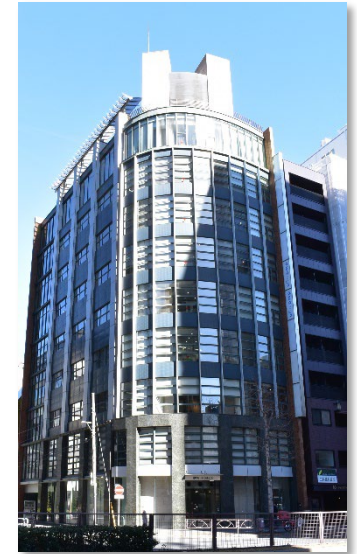
代表取締役社長	永井 健一	
取締役 創薬研究部長	中村 徳弘	
取締役 (非常勤)	山田 亮	久留米大学教授
取締役 (社外、独立役員)	竹内 弘高	ハーバード大学経営大学院教授
監査役 (社外)	岸野 努	
監査役 (社外、独立役員)	阿部 武敏	
監査役 (社外)	山口 芳泰	TMI総合法律事務所パートナー

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



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

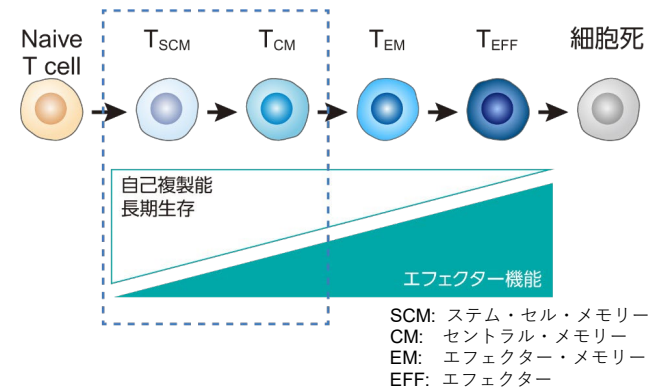
参考：その他パイプライン

BP2301 (HER2 CAR-T)

■ 固形がんのハードルを乗り越えるために、*piggyBac*法によるCAR遺伝子導入で幹細胞用様フェノタイプのHER2 CAR-Tを製造することに成功

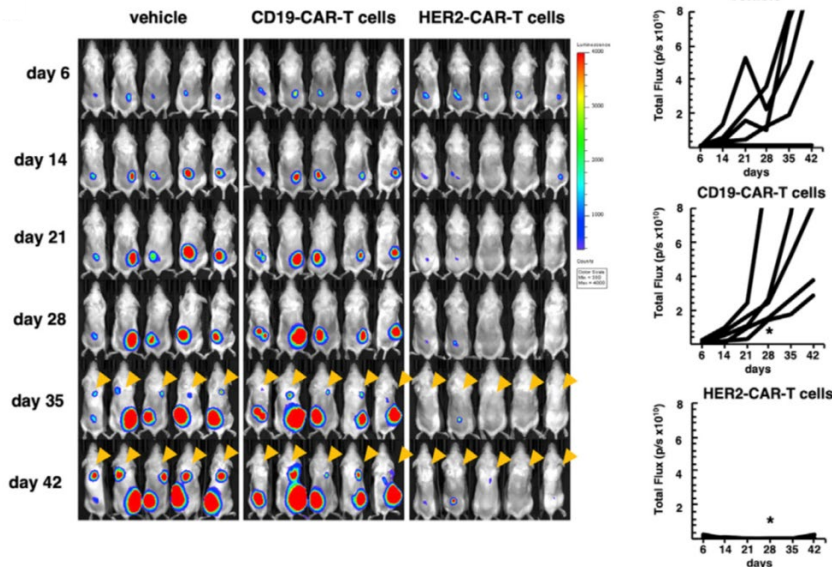
- 血液がんでは目覚ましい開発成功を収めたCAR-T細胞療法も、固形がんでの成功例はまだ無い
 - CAR-T細胞が体内でがんに対峙したとき、免疫抑制的な腫瘍微小環境において増殖せず、すぐに疲弊し機能しなくなることが原因
- 非ウイルス遺伝子導入法(*piggyBac*法)と新規細胞培養法(特許共同出願中)により幹細胞様のT細胞の製造を可能にした

■ T細胞の分化とフェノタイプ(免疫表現型)

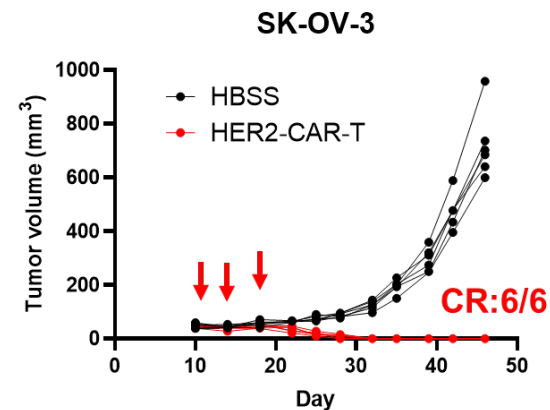


- 幹細胞様HER2 CAR-Tは動物モデルにおいて強力な抗腫瘍効果を示している

■ 骨肉腫マウスモデル(腫瘍再移植生着抑制試験)



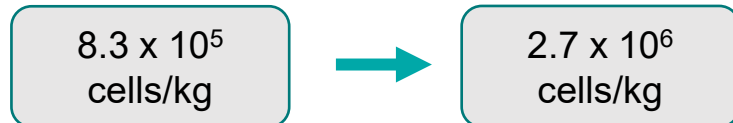
■ 卵巣がんマウスモデル(腫瘍縮小試験)



BP2301 (続)

■ 2022.5.6 First in human臨床試験開始 (医師主導治験)

- HER2特異的キメラ抗原受容体(CAR)遺伝子改変T細胞療法の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)

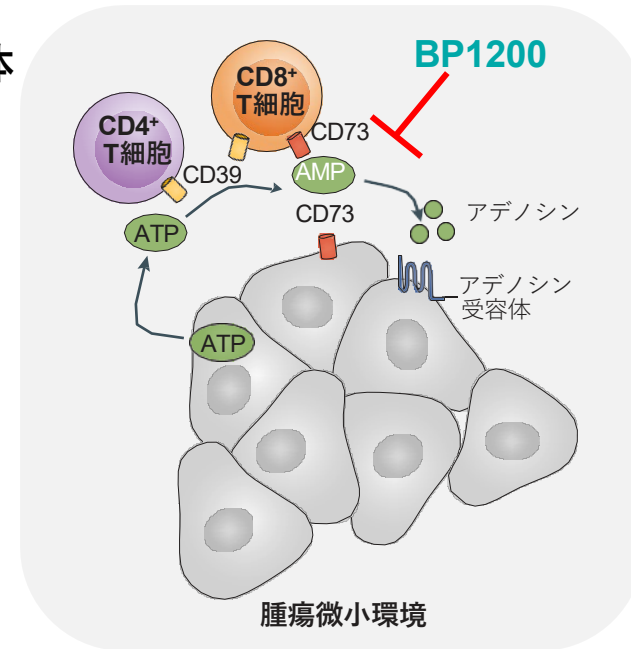


- 主要目的: 忍容性と安全性の評価
- 副次目的: CAR-T細胞の体内での増殖および維持の評価
有効性の探索的検討
- リンパ球除去化学療法: 3 日投薬
FLU 25 mg/m² + Cy 250 mg/m²

BP1200 (抗CD73抗体)

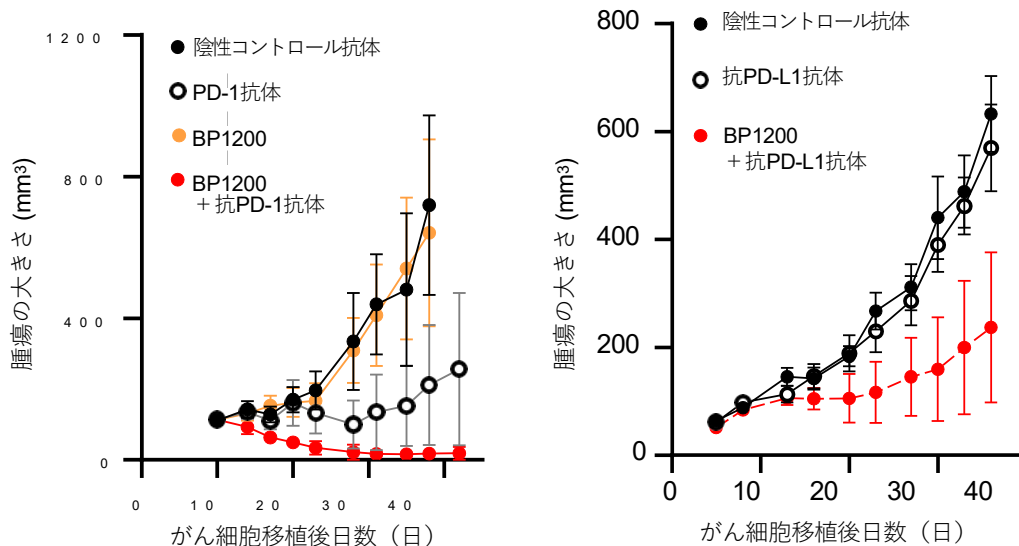
■ ベスト・イン・クラスとなるヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- 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

■ BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制

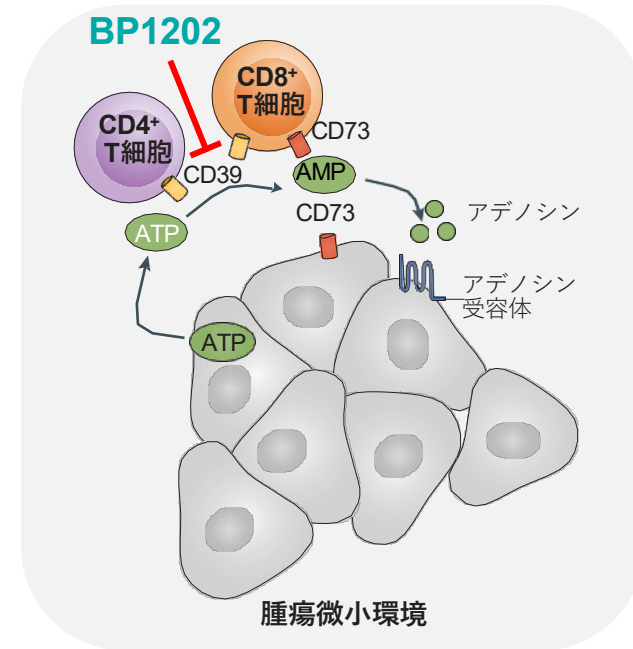


出所： ブライトパス・バイオ ESMO2021

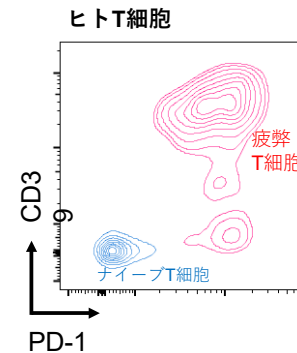
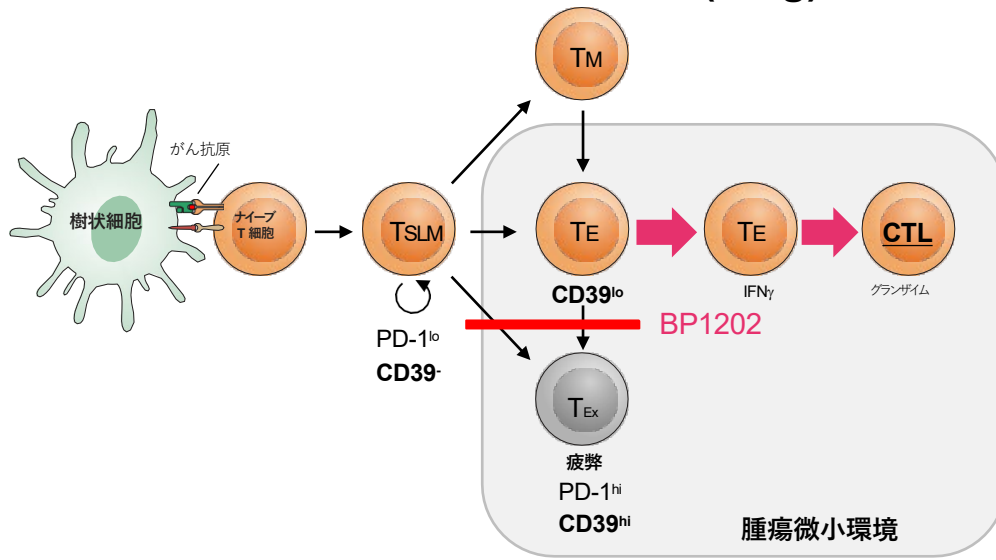
BP1202 (抗CD39抗体)

■ 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



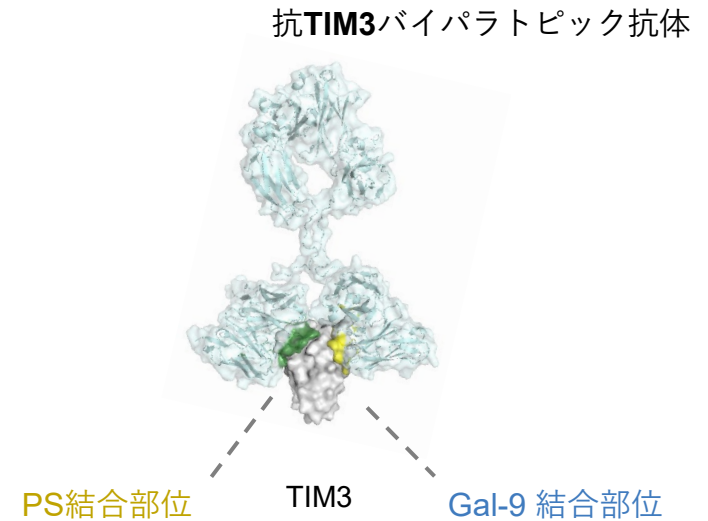
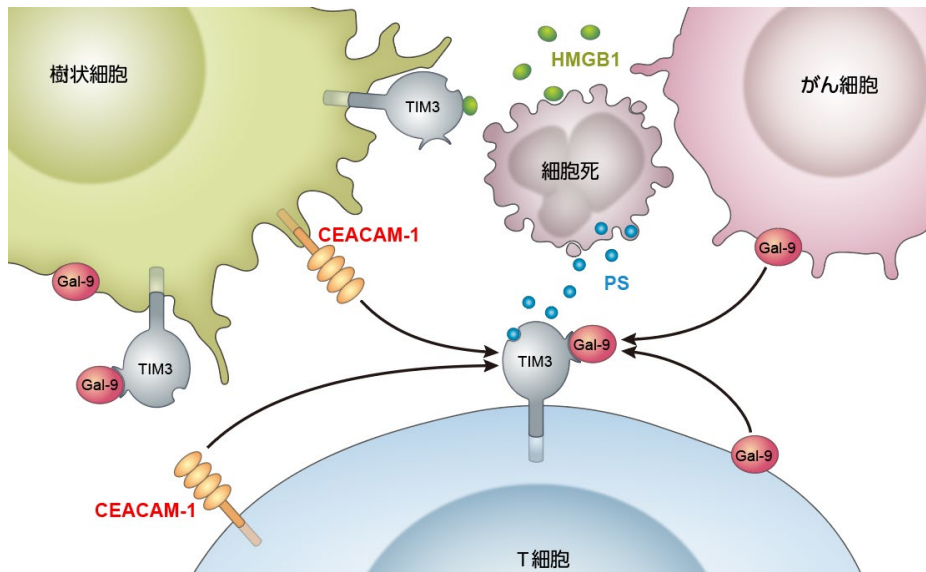
■ CD39は疲弊T細胞と制御性T細胞(Treg)で高発現



BP1210 (抗TIM3抗体)

■ 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BP1210を、二重特異性抗体技術を駆使して創製

- 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
- バイパラトピック抗体BP1210はTIM3のすべてのリガンド結合サイトを阻害



* 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 (ホスファチジルセリン(PS)、CEACAM1、ガレクチン9(Gal-9)、HMGB1)

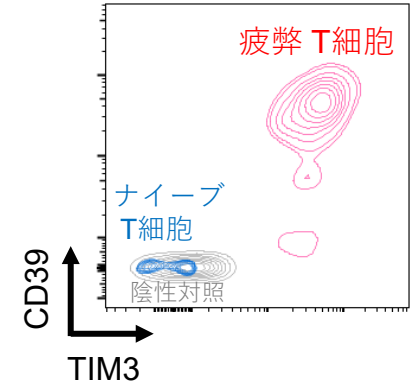
BP1212 (抗CD39 x 抗TIM3)

■ ファースト・イン・クラスとなる二重特異性抗体BP1212

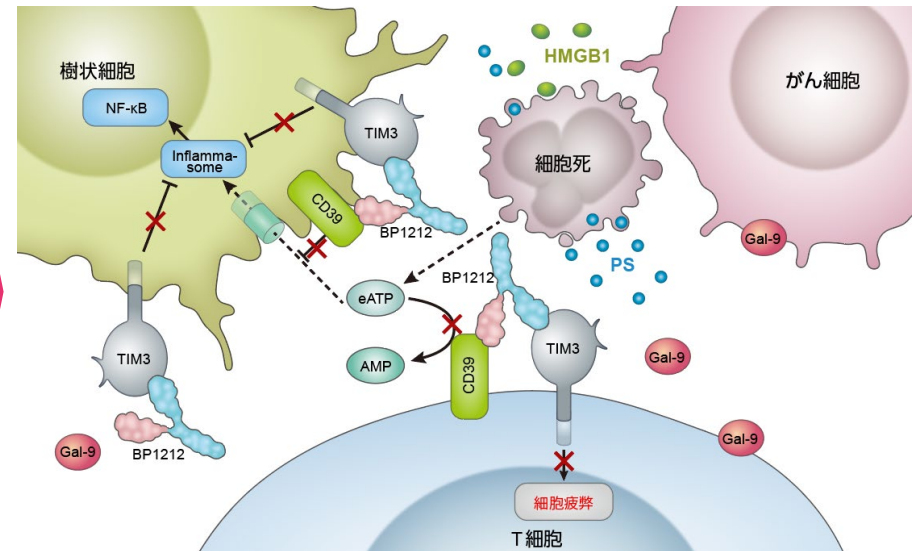
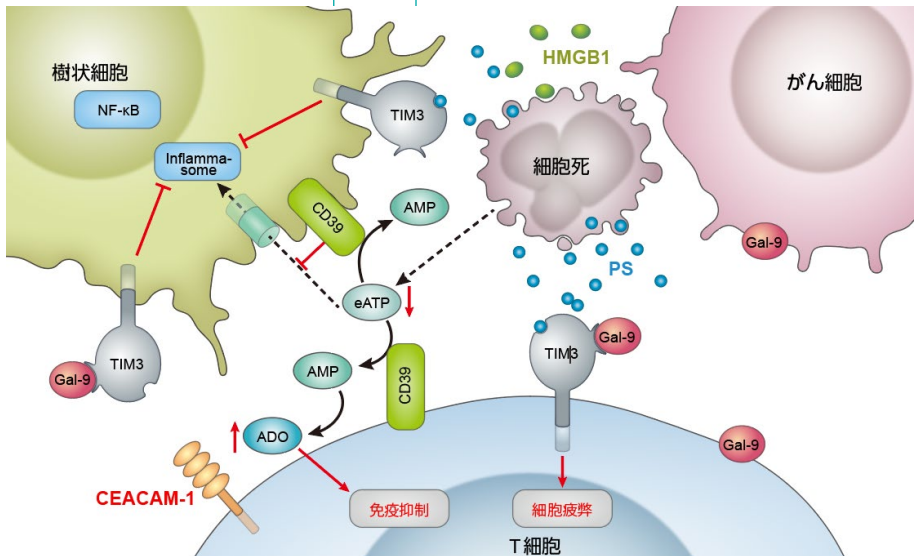
- CD39, TIM3共発現T細胞と樹状細胞を標的とする

CD39: 腫瘍免疫を活性化する細胞外アデノシン三リン酸(eATP)を分解してアデノシンを産生し、腫瘍微小環境を免疫抑制状態に

TIM3: 活性化T細胞と樹状細胞に発現し腫瘍局所でのT細胞の疲弊と抑制を増進



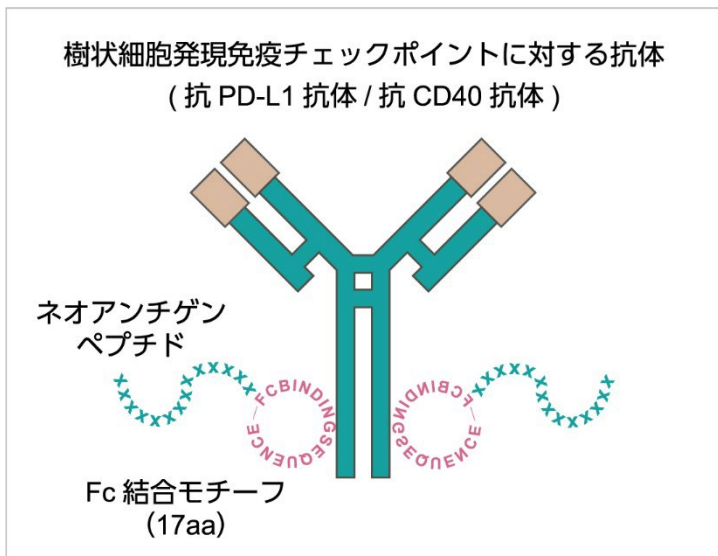
- BP1212はこれらの免疫抑制機構をブロックし、強い抗腫瘍効果を誘導



CD39とTIM3は、腫瘍細胞殺傷を担う活性化T細胞と抗原提示細胞に同時に発現して抗腫瘍免疫を抑制する分子群

BP1209 (個別化ネオアンチゲンワクチン)

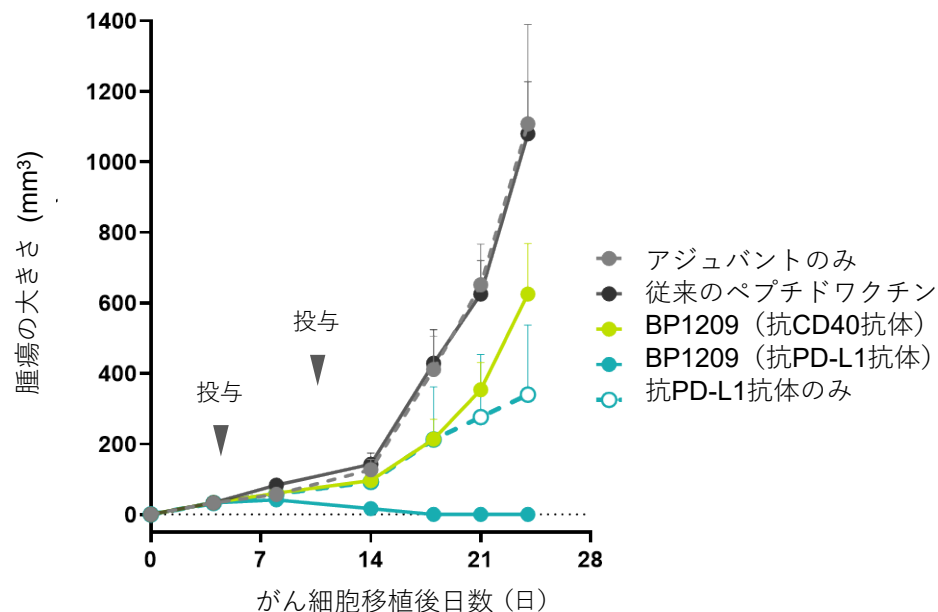
- 樹状細胞に結合し免疫誘導を高める免疫チェックポイント抗体にネオアンチゲンワクチンを結合させ、抗体によるワクチンのリンパ節への送達を高めた新規個別化ネオアンチゲンワクチン・プラットフォーム



- 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ワクチン



MC-38細胞
マウス大腸がん細胞
移植



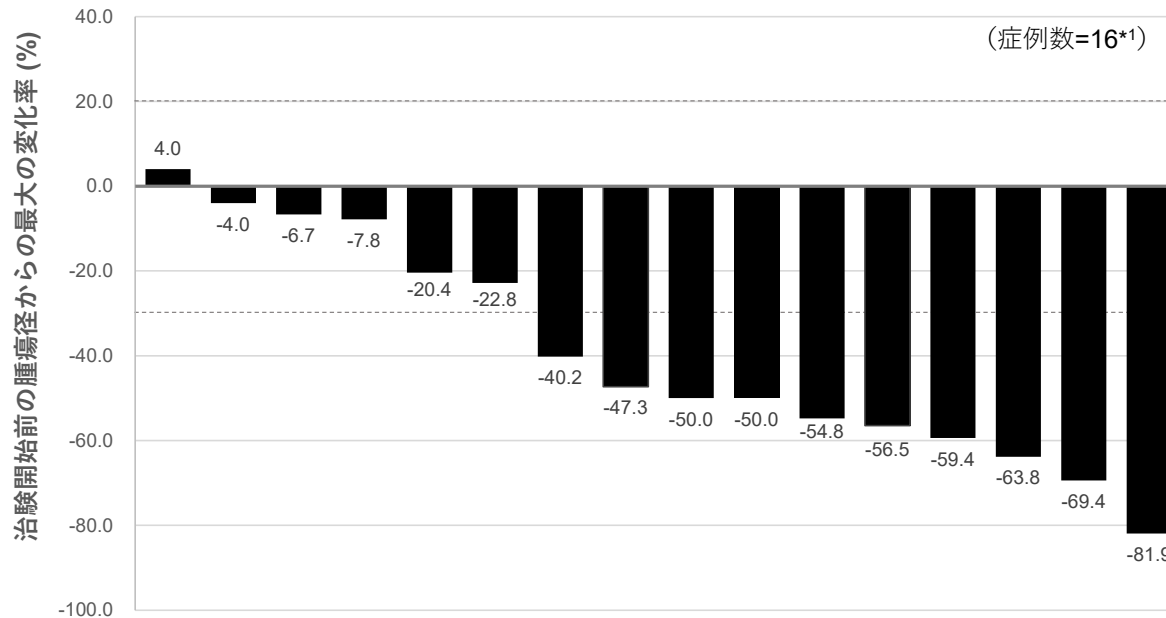
GRN-1201(4種がん関連抗原ペプチドワクチン)

■ 2022.5.12 米国第II相臨床試験の早期中止を決定

- 臨床試験実施プロトコルを見直し、試験の仕切り直しを検討中

早期中止決定時点での速報臨床データ（腫瘍径の評価）

2022年5月6日時点



最良効果*2 (Best Response)	PD	SD	SD	SD	SD	SD	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	PR	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

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