

# Business Report

2017.4.1 ▶ 2018.3.31

## 経営理念

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。

## ロゴマーク

**BrightPath**  
Biotherapeutics

新たな解明・鮮やかな方向性(BrightPath)が起点となり、さまざまなアイディアを引きつけるとともに結びつけ (Connect)、次々とがん免疫治療薬を生み出していく事業活動や企業の意思を、BrightPathの文字の最後に飛び出すエレメントで表現しました。

また、BrightPathは経営理念を表す社名として、がんの克服を願うすべての人にとって「希望の光」となるがん治療薬の創製を目指すために、がん免疫療法を「サイエンスの光」で照らし、自らが前人未踏の領域を突破するための研究開発を推進する光となる意思を表現しました。



## 革新的がん免疫治療薬の 創出に向けて

代表取締役 CEO 永井 健一

近年免疫チェックポイント阻害抗体に代表されるがん免疫療法の、がん治療に革新をもたらす、標準療法を大きく変えつつあります。一方で、今ある免疫チェックポイント阻害抗体単剤で治療効果が出せる領域にも限界が見え始めて来ており、CAR-T(キメラ抗原受容体遺伝子導入T細胞)といった新しいコンセプトのがん免疫治療薬や、他の新しいがん免疫治療薬を組み合わせる複合的がん免疫療法に、更なる治療効果の期待が寄せられる時代になってきました。がん免疫療法ががん治療における“Unmet medical needs”を満たすことができる領域は、依然として大きく開かれています。

がん免疫療法のひとつの形態であるペプチドワクチンITK-1には、免疫チェックポイント阻害抗体が世に出る前から、当社設立以来のリード開発品として、社員一同これまで真摯に開発に取り組んでまいりました。承認に向けての最終段階にあたる第Ⅲ相臨床試験まで来ましたが、5月に発表した通り、主要評価項目である全生存期間(Overall Survival)に関して、プラセボ群と比較して統計学的に有意な改善効果が認められませんでした。患者、株主の皆様のご期待に沿うことができなかったことを大変遺憾に思います。ITK-1の今後の方針につきましては、臨床試験データの詳細な分析をもとに、導出先の富士フイルム株式会社が検討してまいります。

がんペプチドワクチンについては、パイプラインGRN-1201で進める併用療法での効果には依然として期待をもち続けております。革新的ながん免疫治療薬の創出を目指す当社は、ITK-1以外にもパイプラインの自社創製、導入の双方を進めています。当社の新規パイプラインのキーワードは、複合的がん免疫療法、細胞医薬、次世代の免疫チェックポイント阻害抗体、完全個別化がん免疫療法です。

### 複合的がん免疫療法

ITK-1の第Ⅲ相臨床試験は、2014年にニボルマブやペンブロリズマブといった免疫チェックポイント阻害抗体が米国で承認される前に始まったこともあり、単剤で進められました。現在米国で開発を進めるGRN-1201は、免疫チェックポイント阻害抗体が承認されている非小細胞がんを対象として、ペンブロリズマブとの併用で第Ⅱ相臨床試験を実施しています。

がん細胞を攻撃するT細胞は、ペプチドワクチンによってがんの目印を与えられ、活性化・増殖して、がん細胞集団である腫瘍へと向

かいます。ここでT細胞が腫瘍に入り込んだときに、がん細胞がT細胞に対して攻撃を止めるシグナルを“免疫チェックポイント”を介して送り、T細胞の動きを抑制します。免疫チェックポイント“阻害”抗体を併用すれば、免疫チェックポイントをブロックし、抑制シグナルが入らなくなるため、腫瘍に浸潤したT細胞は抑制を受けることなくがん細胞を殺傷できます。このような仕組みで、併用療法(複合的がん免疫療法)では単剤よりも高い治療効果が期待されます。

GRN-1201は、2019年度中に併用臨床試験データを取得し、メガファーマをライセンス第一候補として、ライセンス活動を開始する予定です。

### 細胞医薬、完全個別化がん免疫療法

2017年度は、免疫チェックポイント阻害抗体に次いで大型化が予想されるCAR-Tに代表されるT細胞医薬において、ノバルティス社(スイス)が世界に先駆けて米国FDA承認を得たことや、その他関連するニュースが続きました。

当社も細胞医薬においては、2017年度に理化学研究所からiPS-NKT細胞療法の導入オプション権を取得いたしました。NKT細胞は多面的な抗腫瘍効果が期待される免疫細胞で、血中にわずかしか存在しないためこれまで細胞製剤としての使用は難しいと見なされてきましたが、iPS技術の活用により、治療に必要な量を十分に確保することが可能になりました。本プロジェクトは日本医療研究開発機構(AMED)の助成金も得ており、頭頸部がんを対象とした医師主導治験を2019年度中に開始する予定です。

また、2017年度は完全個別化がん免疫療法について多くの共同研究を開始いたしました。近年、免疫チェックポイント阻害抗体は遺伝子変異(ネオアンチゲン)が多いがん種でより効果を発揮することが分かってきました。それは、ネオアンチゲンがT細胞にとって有力な標的であることを示唆しており、当社もこれを標的とした新しいがんワクチンのデザインに国立がん研究センター、東京大学、神奈川県立がんセンター、三重大学といった国内を代表する研究機関とともに取り組んでいます。

当社は、これまで長く携わってきたがん免疫療法開発の経験を十分に活かし、サイエンスを最新のものへ常にアップデートしながら、革新的な創薬の実現を目指します。



## Pipeline — 開発パイプライン

プロジェクト	適応症	地域	基礎研究	非臨床試験	Phase I	Phase II	Phase III	上市
ITK-1 ・がんペプチドワクチン ・富士フイルム(株)へ導出	前立腺がん	日本	主要評価項目において統計学的な有意差を示せず					
GRN-1201 ・がんペプチドワクチン ・免疫チェックポイント 阻害抗体併用(肺がん)	非小細胞肺がん	米国						
GRN-1301 ・ネオアンチゲン(薬剤耐性獲得腫瘍特異的遺伝子変異)ワクチン	メラノーマ	米国						
GRN-1301 ・ネオアンチゲン(薬剤耐性獲得腫瘍特異的遺伝子変異)ワクチン	非小細胞肺がん	未定						
iPS-NKT ・iPS再生NKT細胞療法 ・導入オプション	頭頸部がん	日本						
iPS-T ・iPS再生T細胞療法(rejT)	EBウイルス由来リンパ腫	日本						

## Movie — 動画紹介

# より進化したがん治療を実現するのは、すぐその未来です。

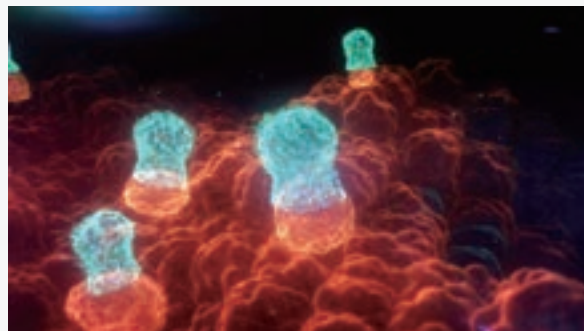
## 次世代がん治療「完全個別化がん免疫療法」をわかりやすく動画で説明

### ネオアンチゲン療法のご紹介

今、患者一人ひとりのためのがん個別化治療が実現されようとしています。がん細胞は遺伝子変異の産物ですが、患者ごとにその種類や数が大きく異なります。この点に着目し、当社が開発に取り組んでいるのが次世代がん治療である「ネオアンチゲン療法(完全個別化がん免疫療法)」です。動画では、その「ネオアンチゲン」とは何か、それを活用した治療法の仕組みについてわかりやすく説明しています。

### 次世代シーケンサーの進化とともに発展するがん治療

次世代シーケンサーの進化とともに、もともと遺伝子に異常のあるがん細胞を迅速かつ正確に同定し、攻撃できるようになりました。遺伝子解析技術の進歩とともにがん治療はさらに発展しています。その様子も動画でわかりやすく説明しています。



当社ホームページより是非ご覧ください。  
スマートフォンの方はコチラ▶



## 独自のアプローチで 斬新な医薬品の創出を



### Q1 ご経歴について教えてください

イェール大学時代は医学部の細胞生物学と免疫学部門に所属し、免疫系の司令塔である樹状細胞が免疫を誘導する仕組みについて研究をしてきました。その後、米国を代表するバイオテクノロジー企業であるジェネンテック社に移り、細胞生物学と腫瘍免疫学の世界的権威であるアイラ・メルマン博士とともに研究を行いました。

### Q2 海外での長い研究のご経験から、どのような影響や学びがありましたか

研究開発にあたっては、最新の外部情報を常に集めることが最も重要で、そこから現在の問題と研究開発チームのポジション、そして今後の展開を推測することが大切であると考えています。日々の研究では、実験結果や事実を忠実に受け取って解釈することの大切さを実感しています。研究では必ず最初に仮説を立て、その仮説を検証する実験を行います。研究者自身によるバイアスがかかりうるため、思い込みを排除して客観的に判断しながら研究開発を進めることが、最良の結果にたどり着くために重要になります。

### Q3 がん免疫療法の開発で難しいところはどこでしょうか

免疫系はたくさんの細胞が関与し制御が複雑なシステムであるために、その仕組みを利用するがん免疫療法では、高い効果が期待できる医薬品の標的プロセスや標的分子を選定するための十分な研究が必要です。PD-1、PD-L1、CTLA-4分子を標的とするがん免疫療法薬が国内でも承認され、その効果が認知されましたが、現在はまだ入り口が開かれた段階です。がん免疫療法は、より多くの方に、より効果的で副作用の少ない治療法として医薬品の開発が進む、今後一層の盛り上がりを見せる領域だと思っています。

### Q4 今後の方針を教えてください

創業ベンチャーらしく、大手製薬会社にはないフレキシブルなアプローチとフットワークで斬新な医薬品の創出にチャレンジし続けていきたいと考えています。その結果として、ブライトパス・バイオ独自のテクノロジーの確立を目指します。近年当社が推進する完全個別化がん免疫療法は、これまでのOne-size-fits-all型の医薬品の概念を超えた新しい取り組みです。当社と協業医療研究機関の研究開発者の経験やネットワークを駆使して次世代医薬品の創製を目指したいと考えています。

### Profile

東京大学大学院を2016年にノーベル生理学・医学賞を受賞した大隅良典博士らの指導の下で修了後、大阪大学大学院理学研究科助教を経てイェール大学医学部細胞生物学部門に留学。がん免疫療法研究の権威であるアイラ・メルマン博士とともに免疫学と細胞生物学の研究を進める。その後、米国バイオベンチャーの雄、ジェネンテック社に入社し、約10年にわたり腫瘍免疫学の研究をつづける。2016年5月に研究開発部副部長として当社に参画。創業研究部長を経て、新任取締役に就任。

## 決算データ

(単位:百万円)

	2016年3月期	2017年3月期	2018年3月期	2019年3月期(予想)
売上高	822	529	354	150
経常損失(△)	△992	△1,116	△1,573	△2,200
親会社株主に帰属する当期純損失(△)	△994	△1,113	△1,577	△2,200
純資産	2,720	5,201	6,950	—
総資産	2,877	5,408	7,235	—
自己資本比率(%)	94.6	95.8	95.3	—

(注)当社は、2017年3月期から連結財務諸表を作成しています。また、2016年3月期は単体の数値を掲載しています。

## 会社概要 (2018年3月31日現在)

会社名(英文名)	ブライトパス・バイオ株式会社 (BrightPath Biotherapeutics Co., Ltd.)
東京支社	東京都千代田区麹町2-2-4 麹町セントラルビル7F
本社	福岡県久留米市百年公園1-1 福岡バイオインキュベーションセンター
設立	2003年5月
資本金	5,419百万円
従業員数	42名
事業内容	がん免疫治療薬の研究、開発

## 役員一覧 (2018年6月20日現在)

代表取締役 CEO	永井 健一
取締役 COO	脇 豊
取締役 CSO	中村 徳弘
取締役 CFO	酒井 輝彦
取締役	山田 亮 久留米大学教授
取締役	竹内 弘高 ハーバード大学経営大学院教授
常勤監査役	今井 義浩
監査役	阿部 武敏
監査役	山口 芳泰

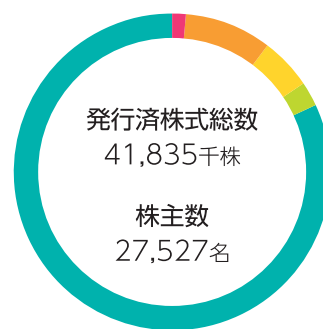
(注) 取締役竹内弘高は、社外取締役です。  
監査役今井義浩、阿部武敏及び山口芳泰は、社外監査役です。

## Webサイトのご案内

<https://www.brightpathbio.com/>



## 株式の状況 (2018年3月31日現在)



金融機関	657千株	1.57%
金融商品取引業者	3,746千株	8.96%
その他の法人	2,115千株	5.06%
外国法人等	1,055千株	2.52%
個人・その他	34,259千株	81.89%

## 株主メモ

証券コード	4594
上場証券取引所	東京証券取引所マザーズ市場
事業年度	4月1日から3月31日まで
定時株主総会	毎事業年度の末日翌日から3ヶ月以内
基準日	3月31日
剰余金の配当の基準日	9月30日、3月31日
1単元の株式数	100株
株主名簿管理人	三菱UFJ信託銀行株式会社
同事務取扱場所	東京都千代田区丸の内1-4-5 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部
連絡先(郵送先) および 電話照会先	東京都府中市日鋼町1-1 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部 0120-232-711 (フリーダイヤル) 郵送先 〒137-8081 新東京郵便局私書箱第29号 三菱UFJ信託銀行株式会社 証券代行部
取次所	三菱UFJ信託銀行株式会社 全国各支店
公告掲載方法	電子公告により行います。 <a href="https://www.brightpathbio.com/">https://www.brightpathbio.com/</a> やむを得ない事由により 電子公告ができない場合は、 日本経済新聞に掲載して行います。

