

---

## 個人投資家向け会社説明会

2019年2月9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。

# がん免疫療法とは？

# BrightPath

Biotherapeutics



がん免疫治療薬  
開発に特化した  
創薬ベンチャー



# がん治療におけるイノベーション

局所

再発・転移

がんの進行

1846

1903

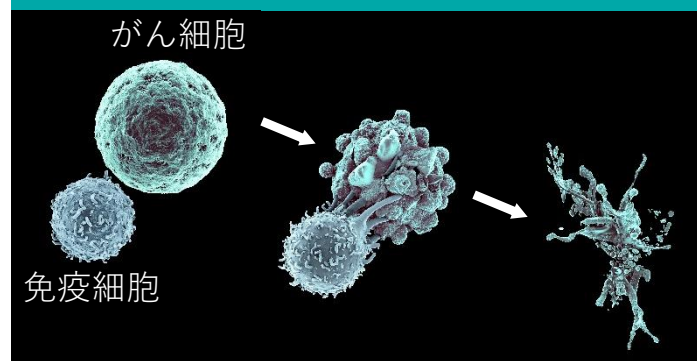
1949

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



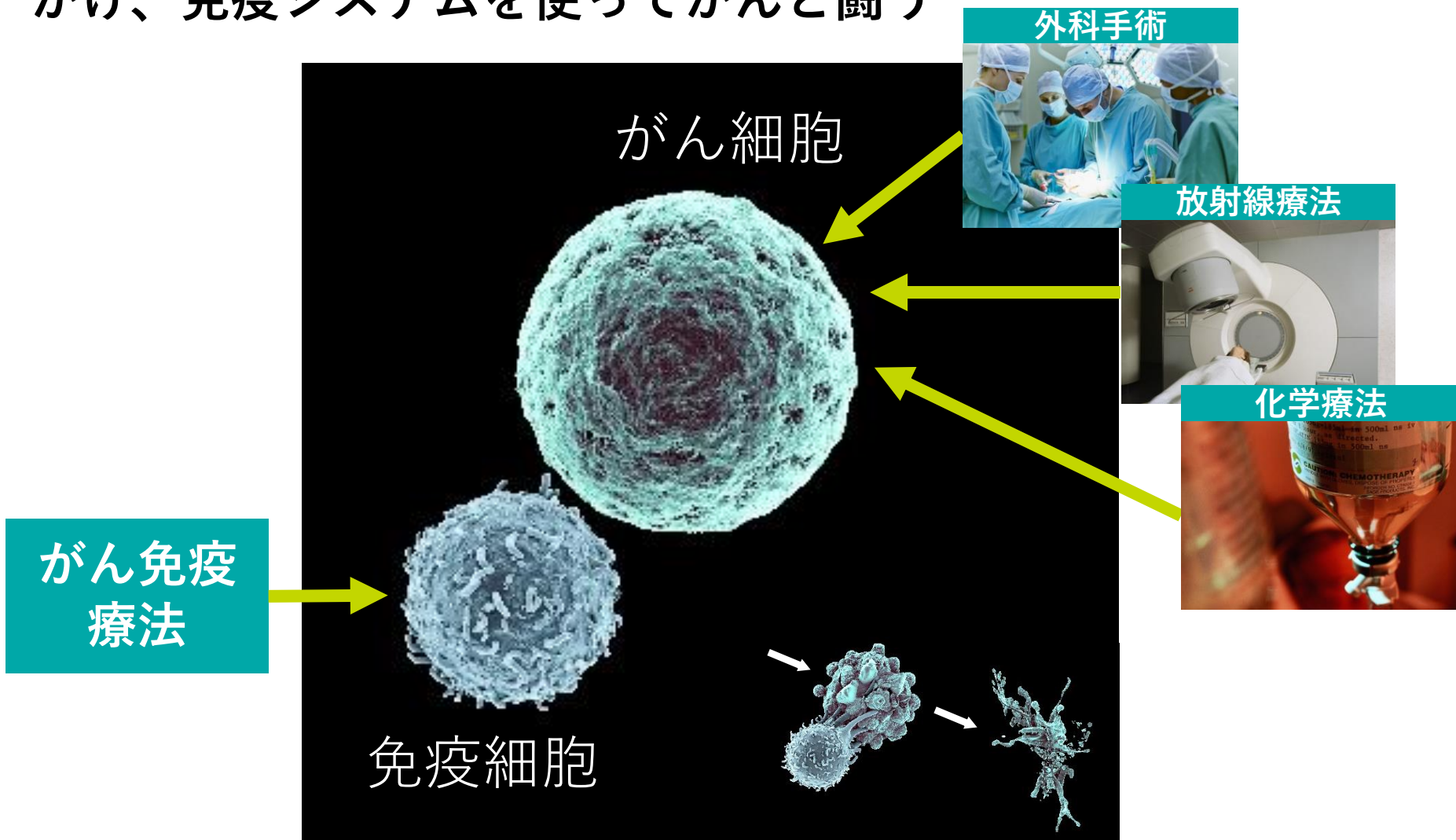
# 免疫とは

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



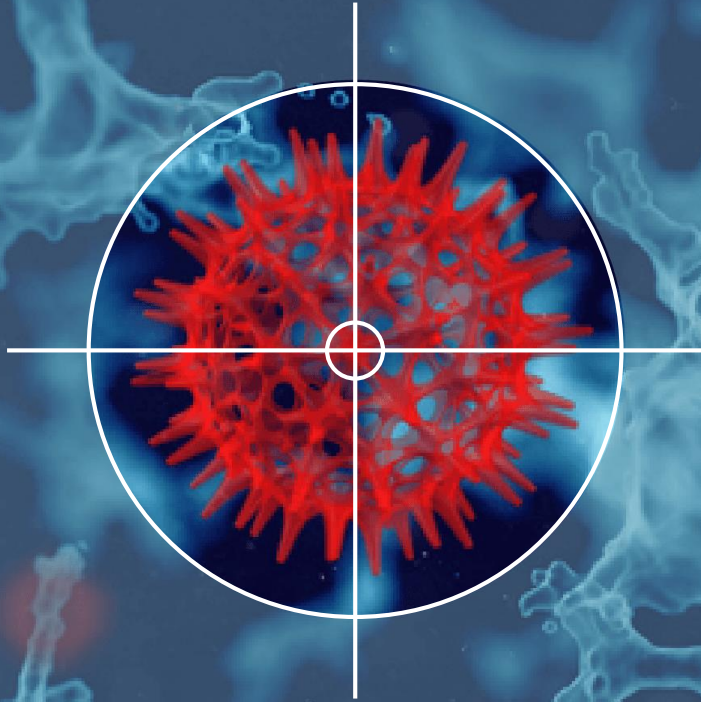
# がん免疫療法

がんに働きかける他の治療法とは異なり、免疫システムに働きかけ、免疫システムを使ってがんと闘う



ヒトが備え持つ「免疫」  
の力を使って、患者自ら  
治癒するのを後押しする

---



がん免疫療法

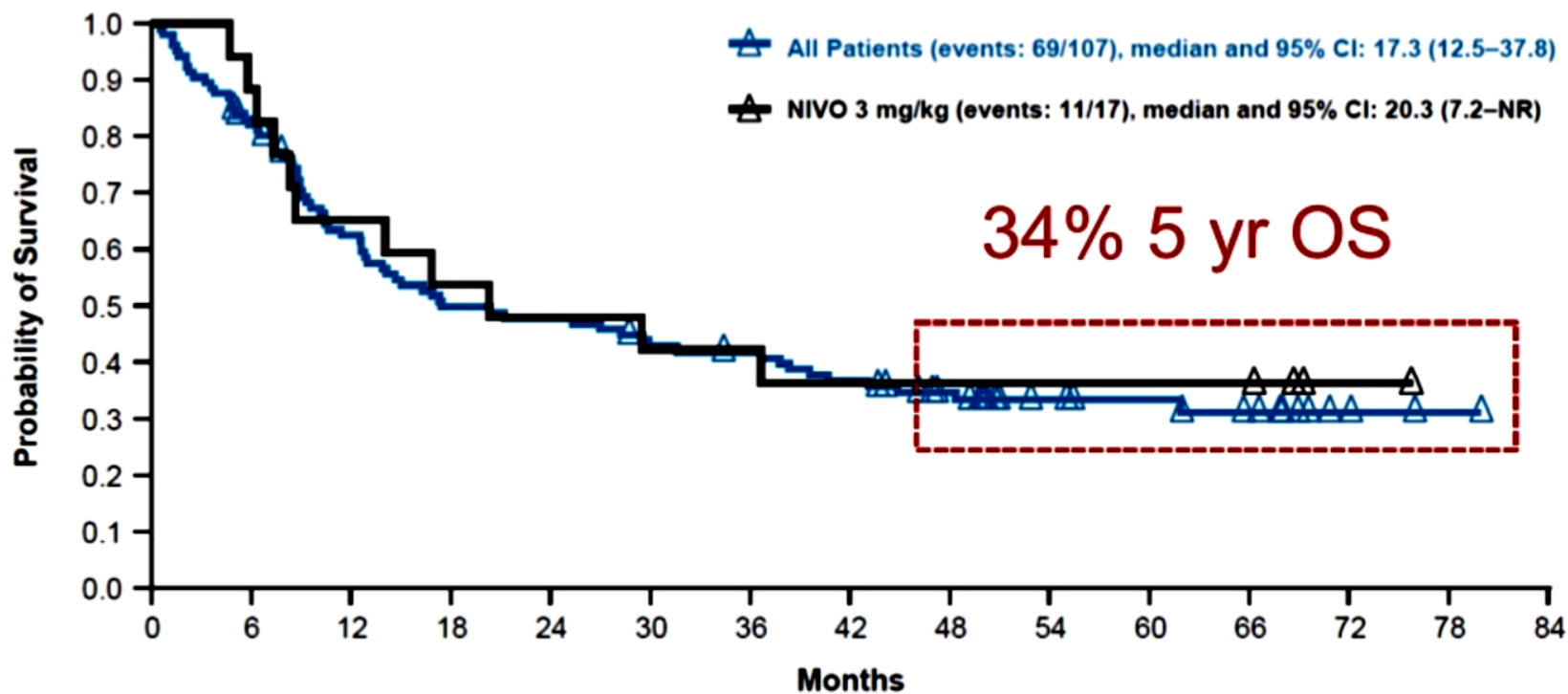


# なぜ、がん免疫療法なのか？

免疫チェックポイント抗体治療が、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ことを示唆した

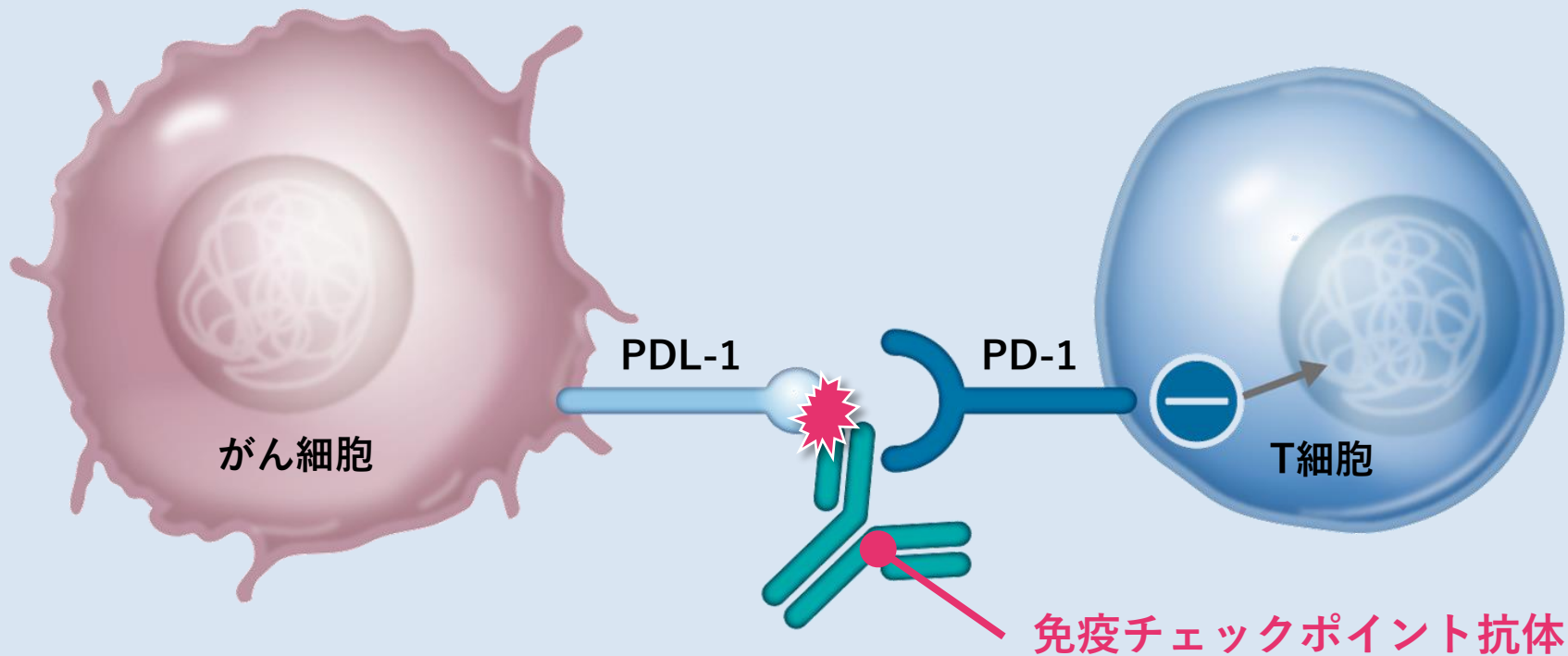
## Phase I Nivolumab 5 Year OS Results

### Overall Survival at 5 Years of Follow-up




# 免疫チェックポイント抗体とは？

がん細胞がT細胞の攻撃を回避しようとする目論みを阻止



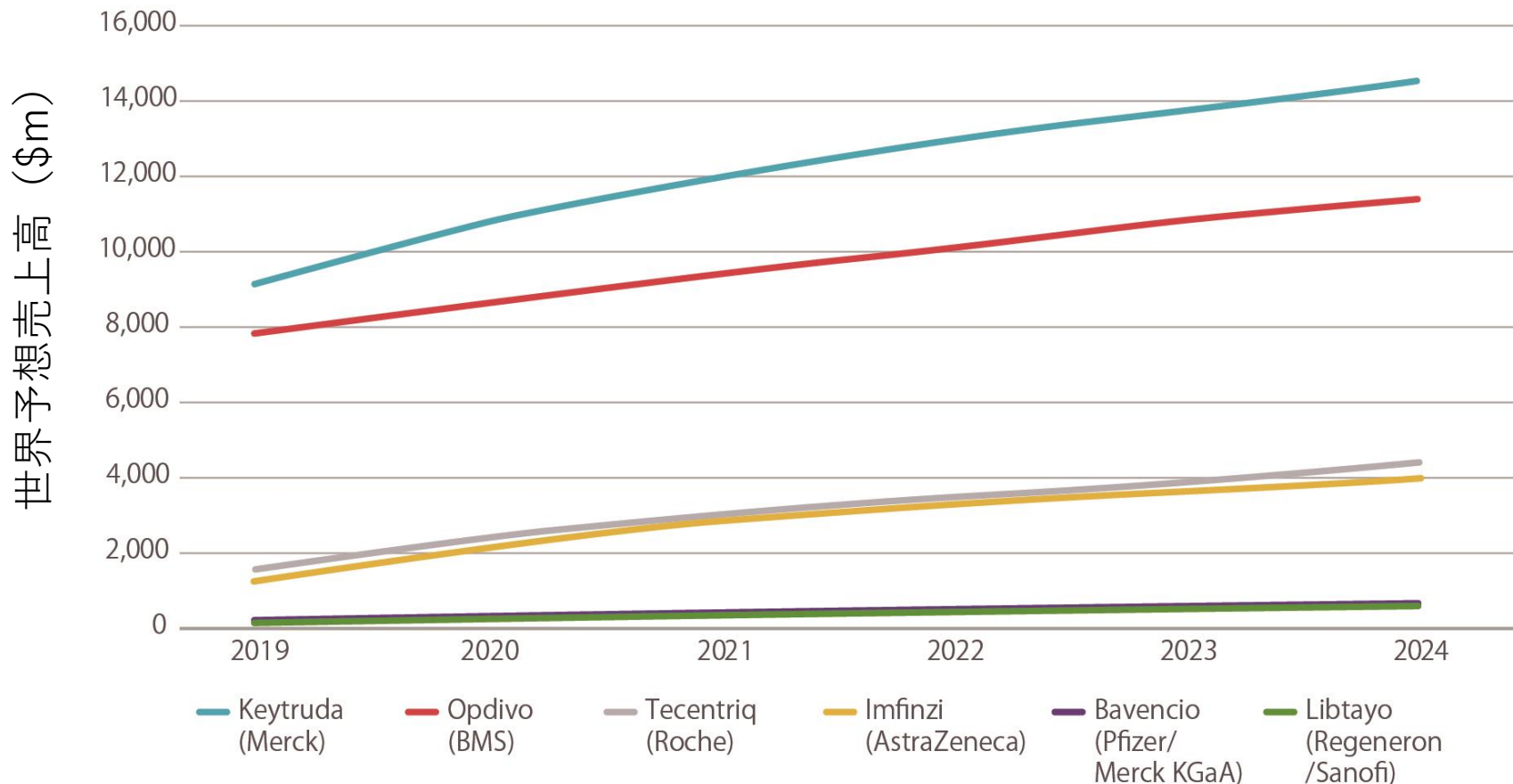
全奏効率10-40%／持続的な治療効果



京都大学の本庶佑特別教授がノーベル生理学・医学賞を受賞。ノーベル財団は、「免疫チェックポイント抗体は、がん治療のまったく新しい原則を確立した」と最大限の賛辞を送った

# 免疫チェックポイント抗体の成長可能性

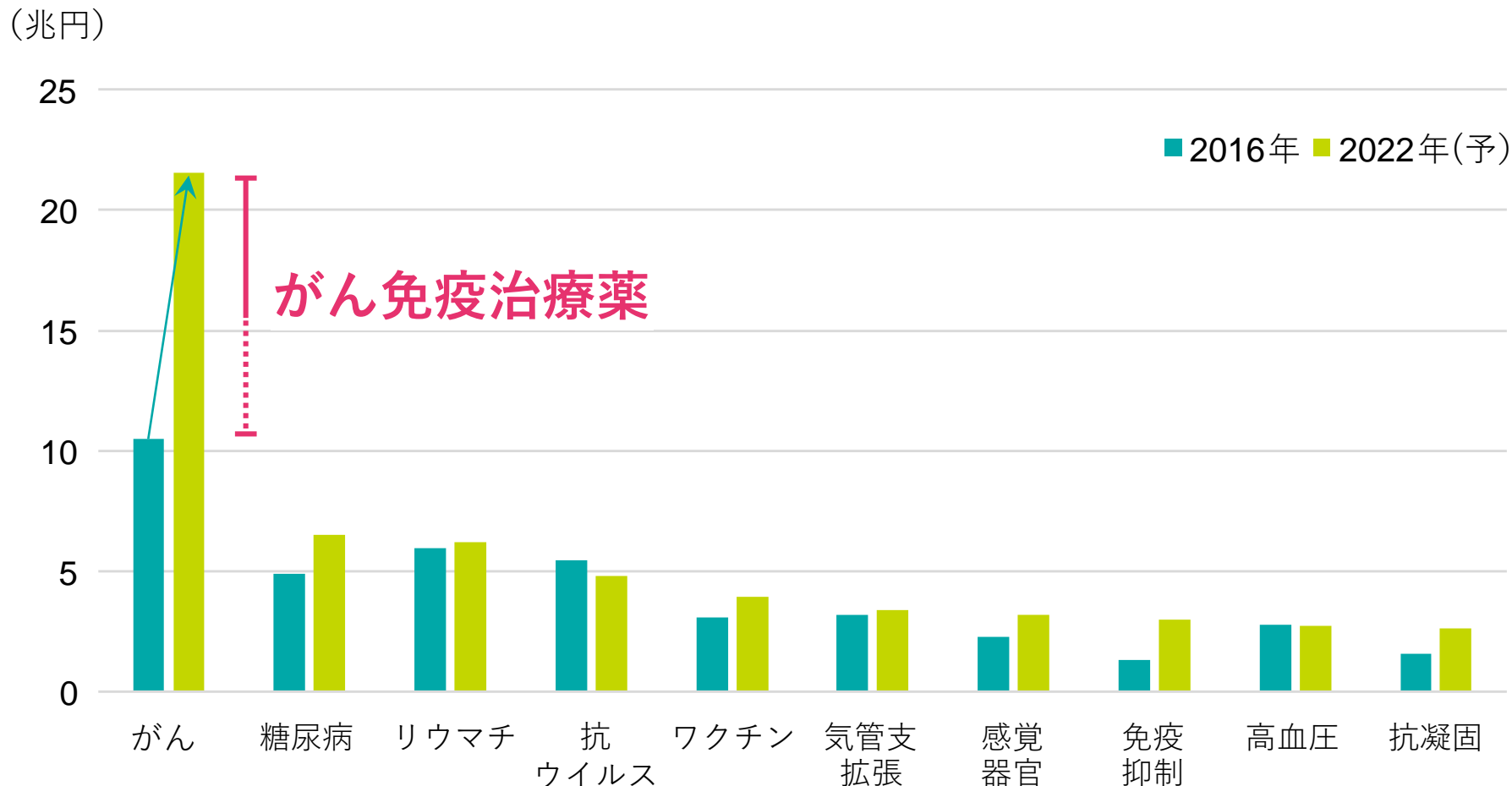
PD-1/L1抗体は大多数のメガファーマが手掛け、  
ブロックバスター化が予想されている



出典： EvaluatePharma® 15 November 2018

# がん免疫療法の成長可能性

がん領域における成長ドライバーは、がん免疫治療薬  
2022年には、がん治療の過半数を占めるとの予想も

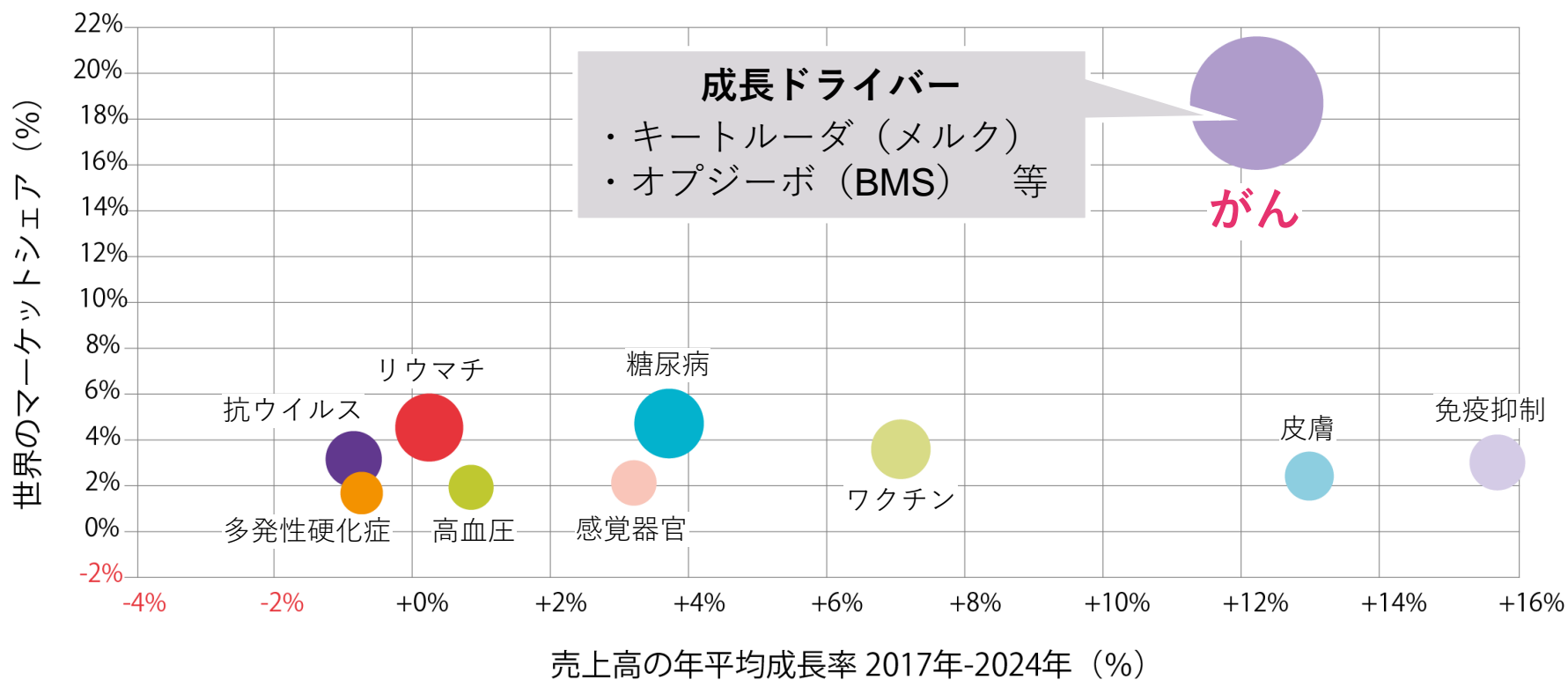


出典： Evaluate, May 2018  
Nature Reviews Drug Discovery 16, 83–84 (2017)

# 世界の医薬品市場の成長ドライバー

## がん治療薬の圧倒的な存在感

- ・ 2020年代前半までに約2倍に(予)



出典： Evaluate, May 2018

# 相次ぐ大型M&A

続々と登場する新技術が注目を集めており、  
がん免疫療法が市場の成長を牽引

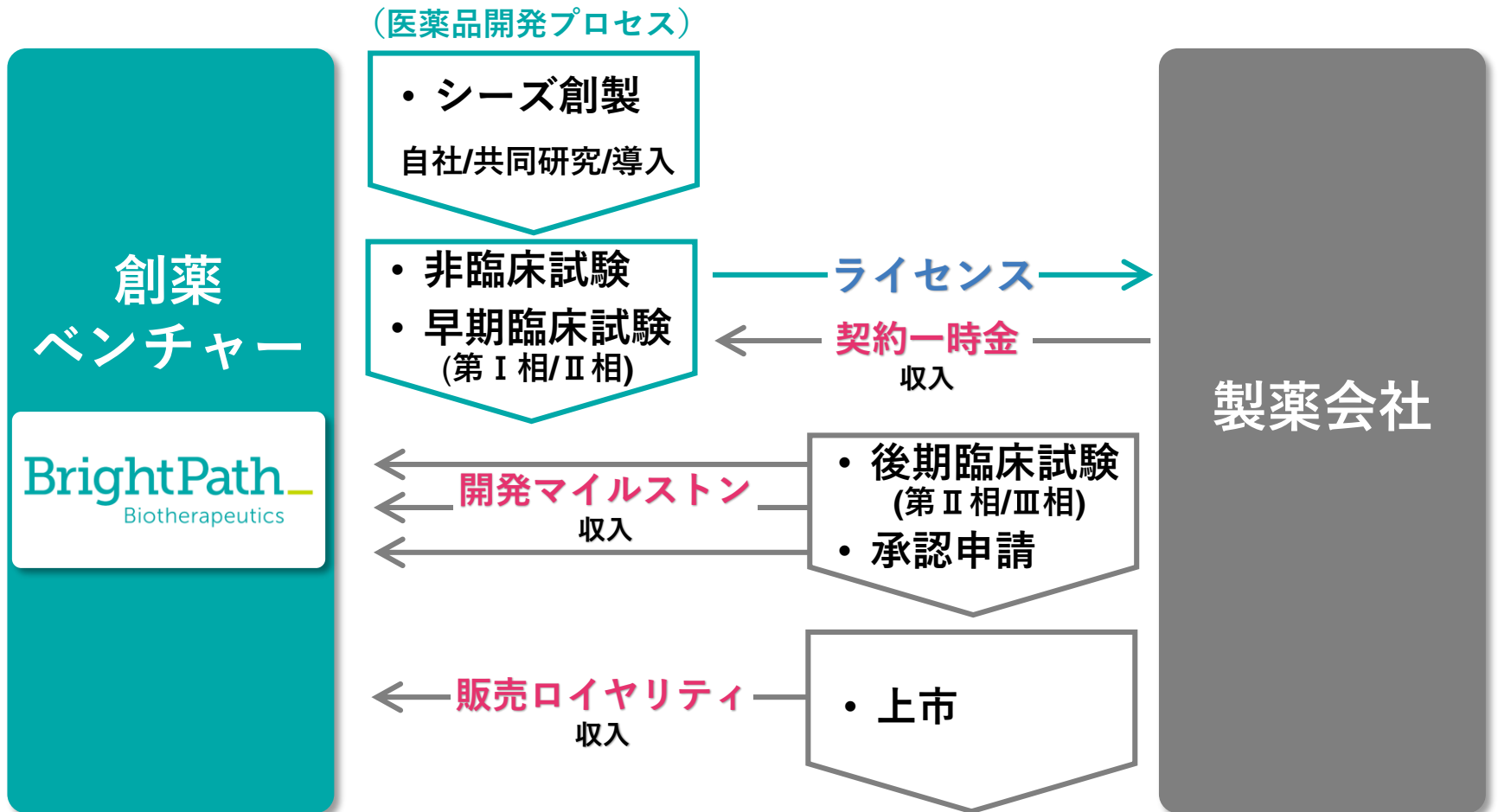


# パイプラインと開発領域

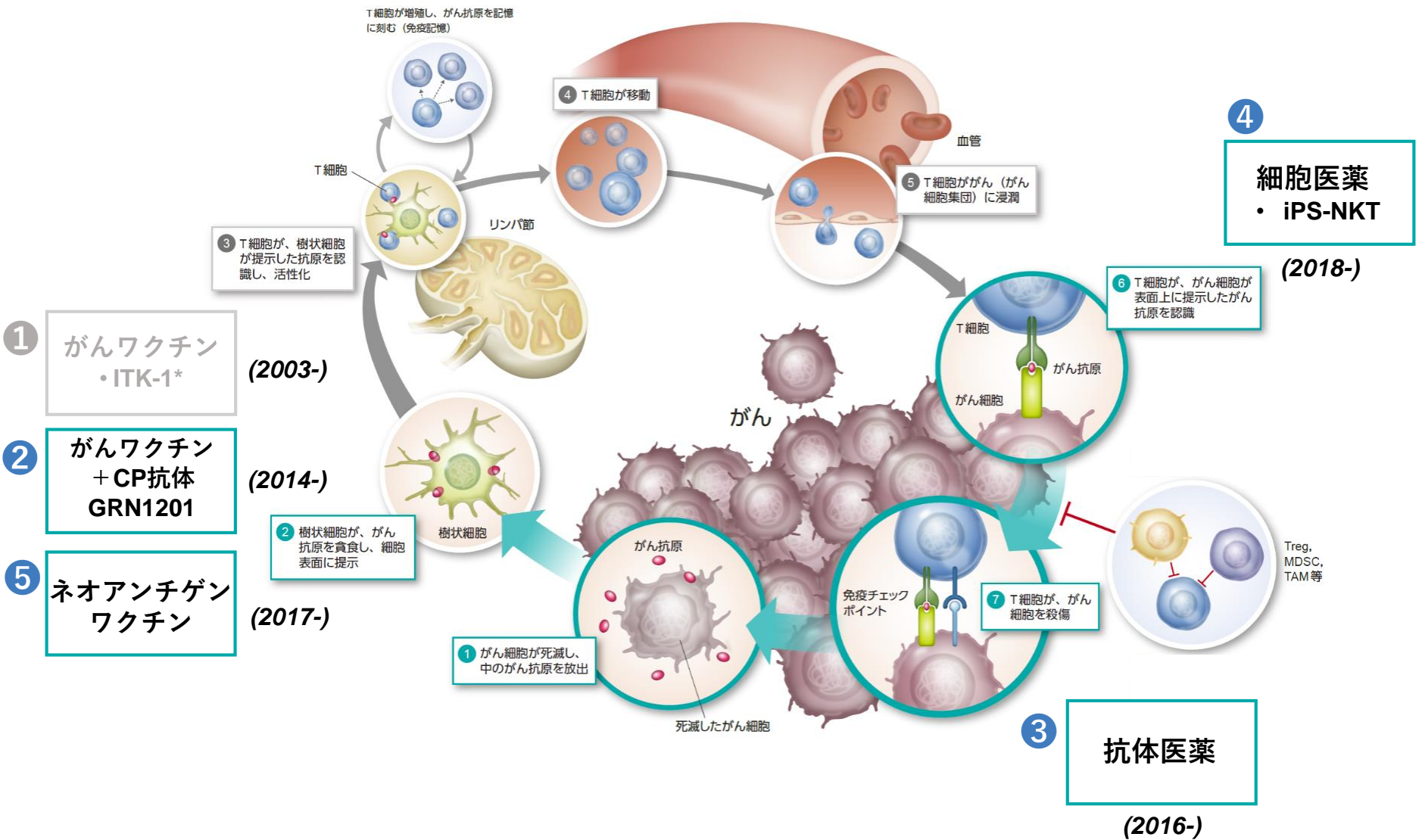


# 創薬ベンチャーの事業モデル

10+年かかる新薬開発の途中で、開発製造販売ライセンスを製薬会社に渡して早期収益化



# 開発領域



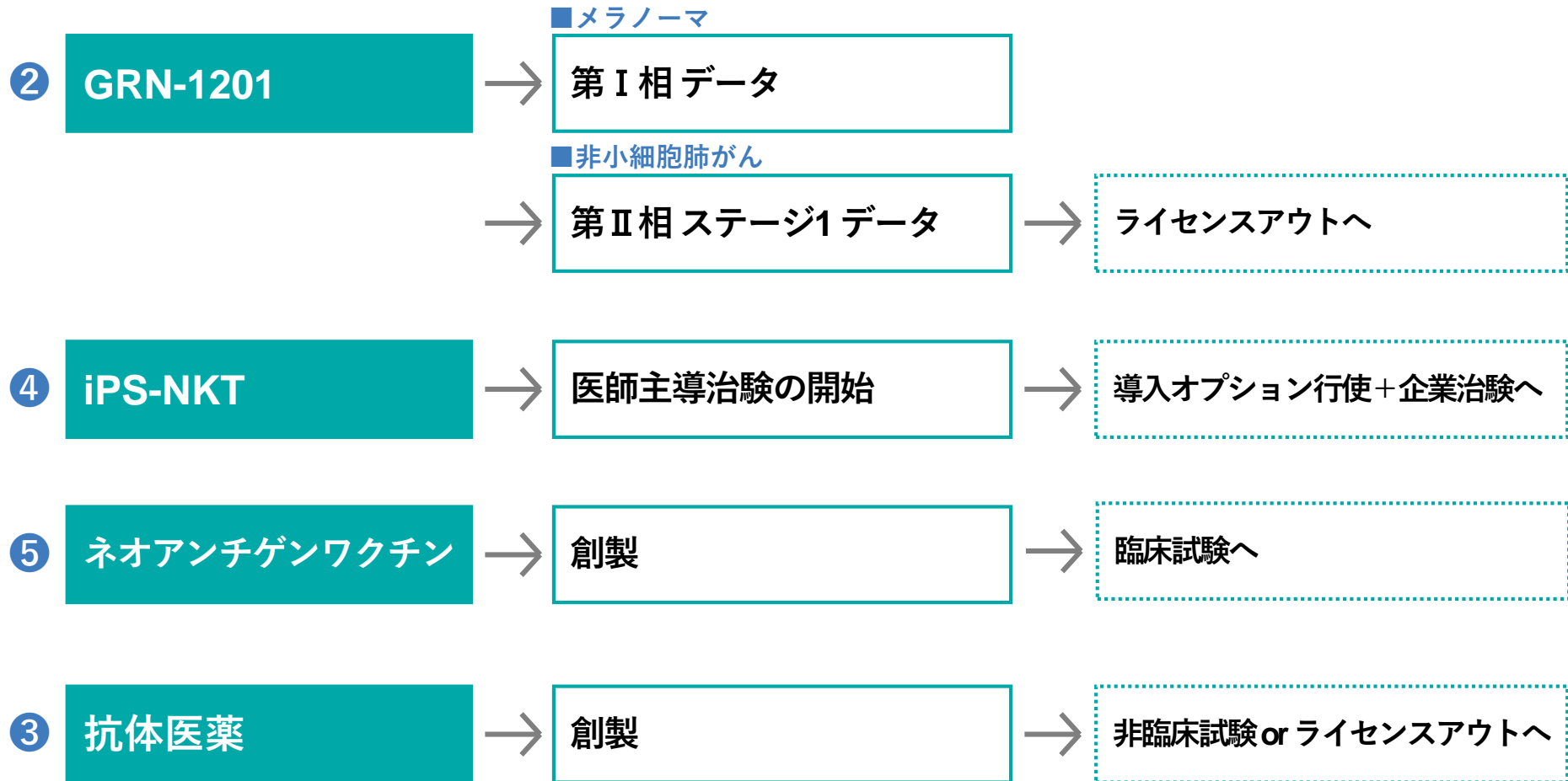
\* 第III相臨床試験 主要評価項目(全生存期間)達成せず (2018.5.17)

# 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	第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相	上市
② がんワクチン + CP抗体	GRN-1201 第Ⅱ相から キートルーダと併用	メラノーマ	米国	■					
		非小細胞肺がん	米国	■					
④ 細胞医薬	iPS由来再生NKT細胞 導入オプション(理研)	頭頸部がん	日本	■					
⑤ ネオアンチゲン ワクチン	GRN-1301 共通変異ワクチン	非小細胞肺がん	-	■					
	完全個別化ワクチン	各種固形がん	-	■					
③ 抗体医薬	免疫調整因子抗体	各種固形がん	-	■					
① がんワクチン	ITK-1 12種ペプチドワクチン 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 (2018.5)

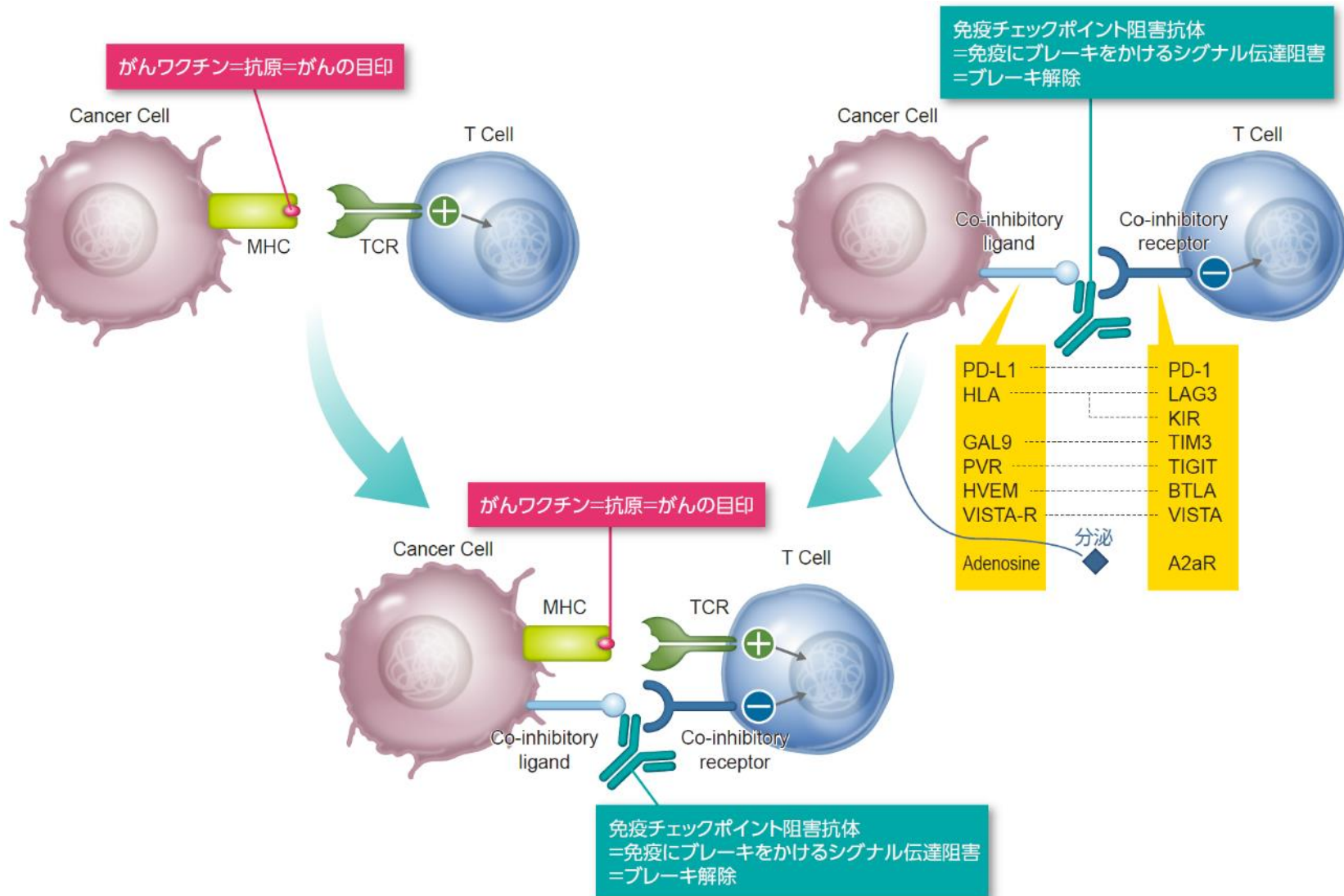
# 今後の開発マイルストーン



# GRN-1201 : 複合的がん免疫療法

# GRN-1201併用効果のメカニズム

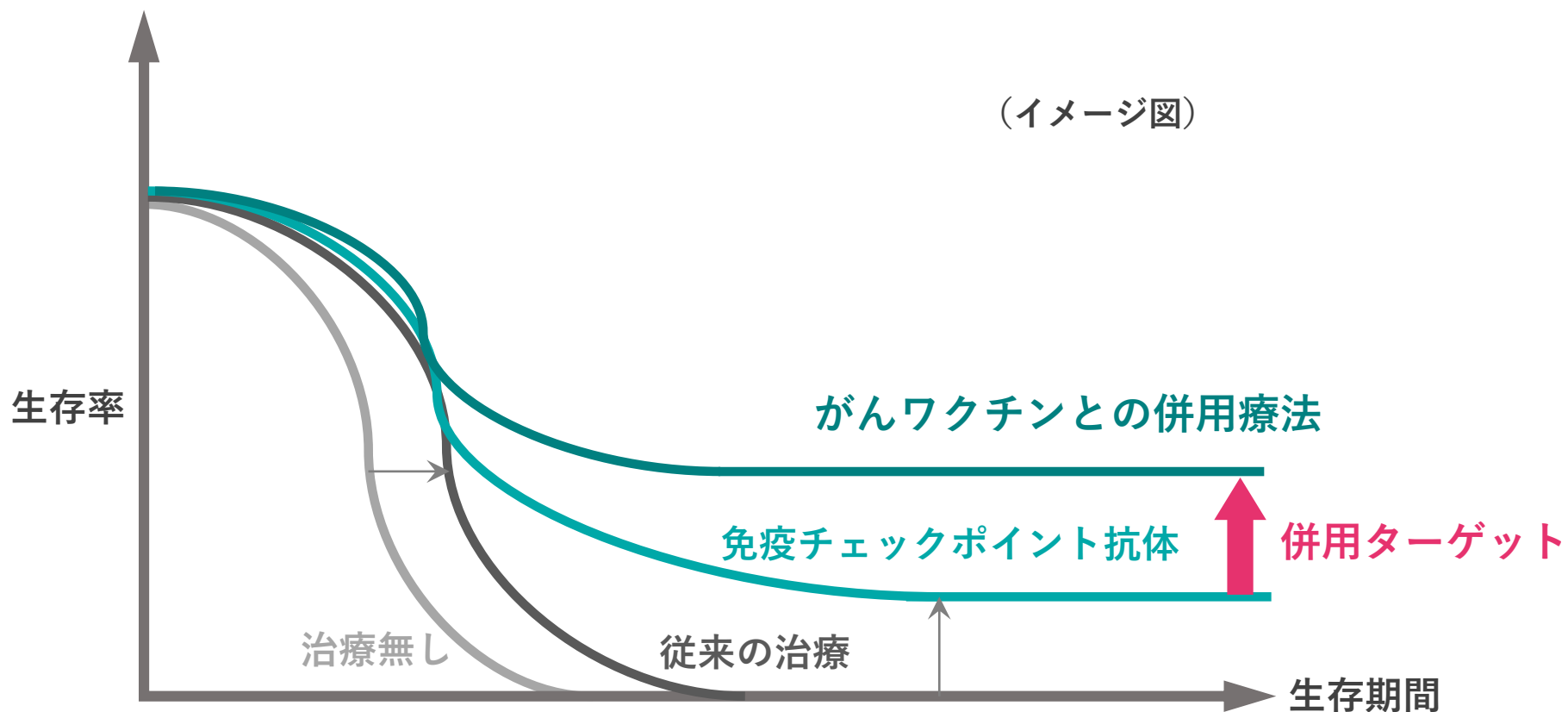
## GRN-1201（がんワクチン）と免疫チェックポイント抗体の相乗効果



# GRN-1201の開発戦略

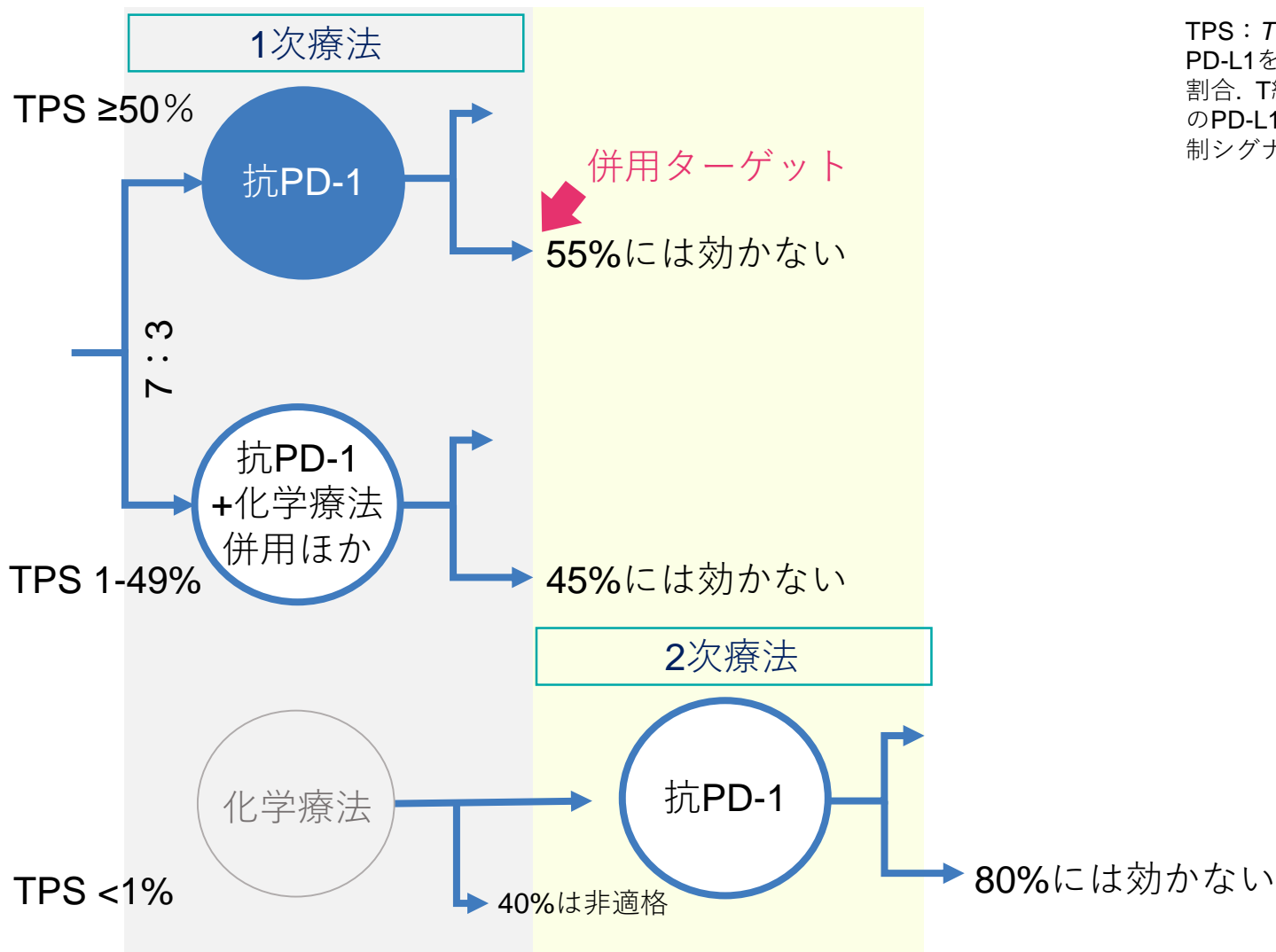
## 開発戦略

がんワクチンを併用させることにより、  
免疫チェックポイント抗体の効果をさらに引き出す



# GRN-1201のターゲット

## 非小細胞肺癌1次療法における免疫チェックポイント抗体とワクチン併用

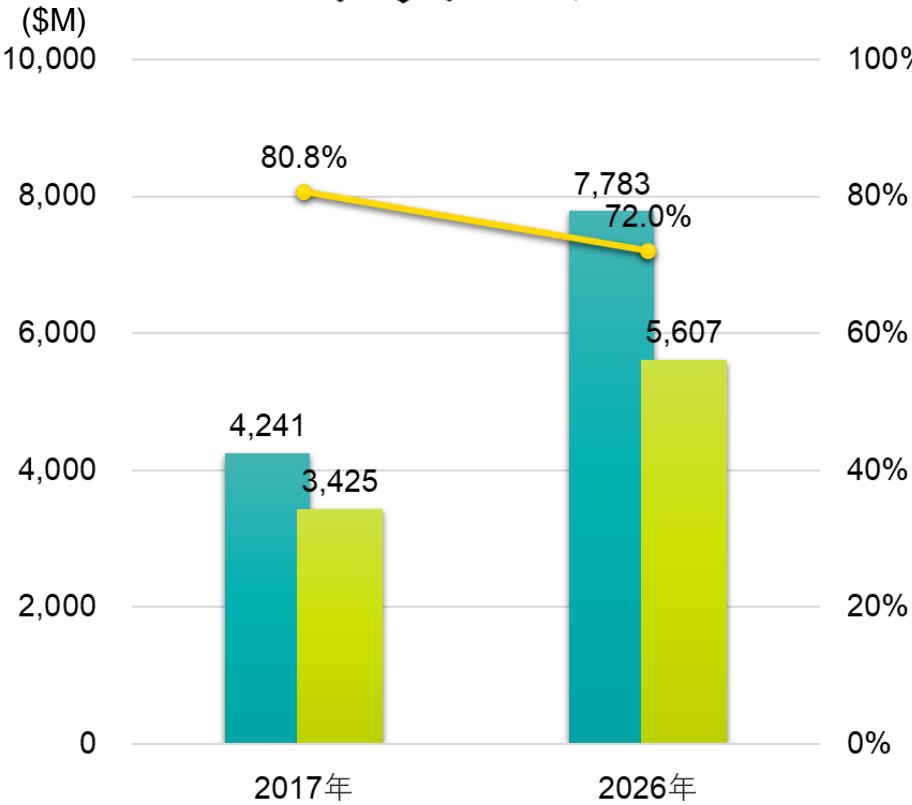


TPS : *Tumor Proportion Score*  
PD-L1を発現したがん細胞が占める割合. T細胞側のPD-1とがん細胞側のPD-L1が結合すると、T細胞に抑制シグナルが入る.



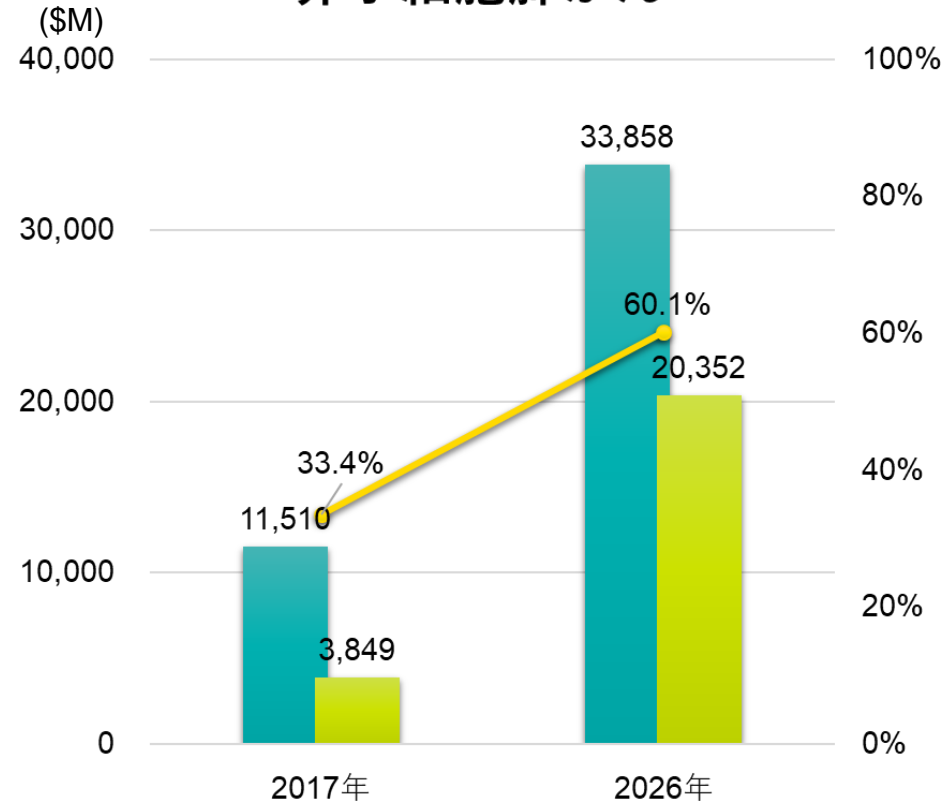
# 世界のがん治療薬市場の推移

## メラノーマ



■ 市場全体 ■ 内、がん免疫 ● がん免疫の占める割合

## 非小細胞肺がん



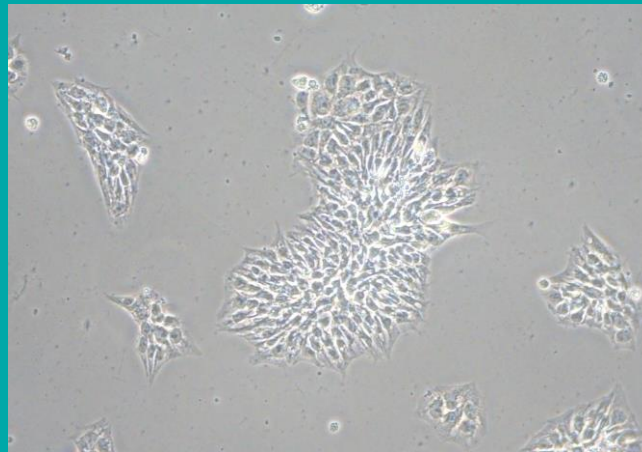
■ 市場全体 ■ 内、がん免疫 ● がん免疫の占める割合

(出典) Source: Datamonitor Healthcare® | Informa, 2019

## 第Ⅱ相試験の概要

タイトル	<b>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</b>
被験薬	<b>GRN-1201: HLA-A2*拘束性4種ペプチド</b> *欧米人の約50%、日本人の約40%
対象	<b>PD-L1陽性非小細胞肺癌</b> <b>PD-L1陽性 (TPS* <math>\geq</math> 50%)</b> *TPS : Tumor Proportion Score 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合
主要評価項目	<b>Objective Response Rate</b>
併用薬	キートルーダ
症例数	64例 サイモン2段階方式
実施方法	非盲検、オープンラベル、多施設

# iPS-NKT： 細胞医薬パイプライン



ヒト血球由来細胞（T細胞）に  
初期化因子を遺伝子導入し、  
フィーダーフリー条件下にて  
樹立に成功したiPS細胞株

- 固形がんを対象とする他家細胞療法
- iPS細胞技術のがん免疫療法分野への応用

## NKT細胞

多面的な抗腫瘍効果を有する免疫細胞

- 自然免疫の活性
- 獲得免疫の誘導
- 免疫抑制環境の改善

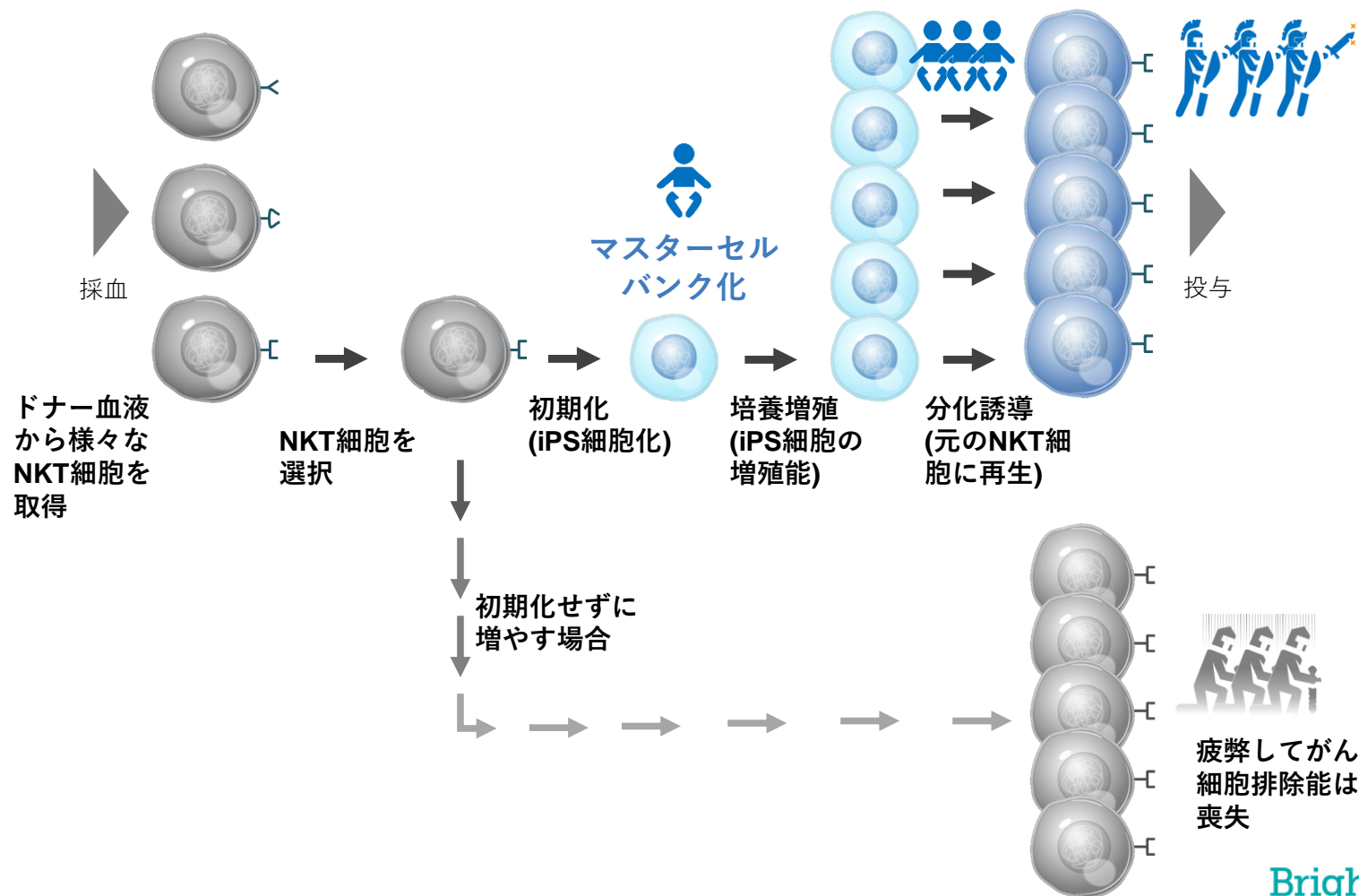


## iPS技術

iPS細胞由来のマスター・セル・バンクから、臨床効果を期待できる十分量の再生NKT細胞をタイムリーに準備可能

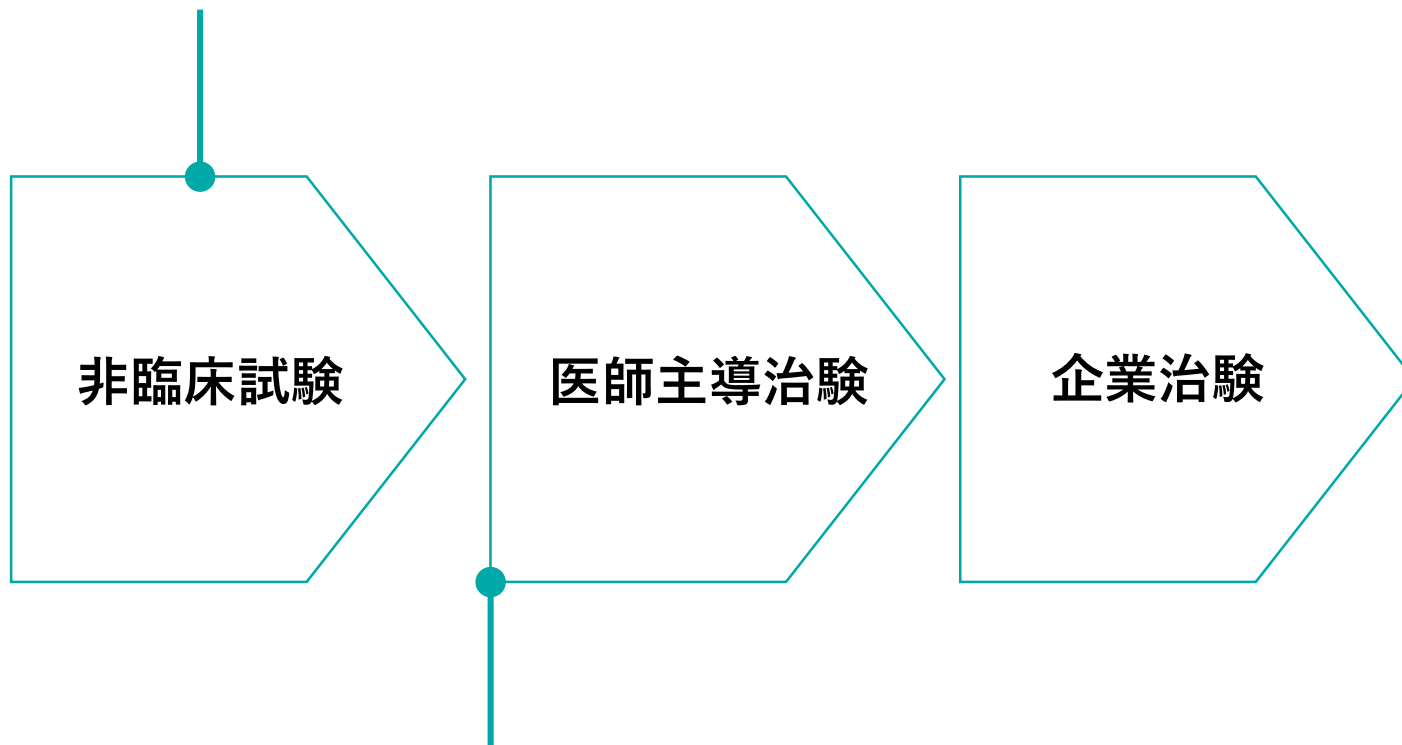
# iPS細胞技術のがん免疫療法への応用

- 従来十分量が確保困難なNKT細胞を、iPS細胞技術でマスターセルバンク化し、そこからNKT細胞を再生することで、必要に応じて十分量を確保可能に



# プロジェクト概要

- 理研/AMED推進プロジェクト
- 2017年度に理研から導入オプション取得／現在共同研究推進中



- 2019年度中に医師主導治験開始予定

# 完全個別化がんワクチン

遺伝子解析技術の発展に伴い、  
患者の個別診断と、治療に影響を  
及ぼす要因を考慮に入れた、  
個々人に最適な治療の提供が可能に

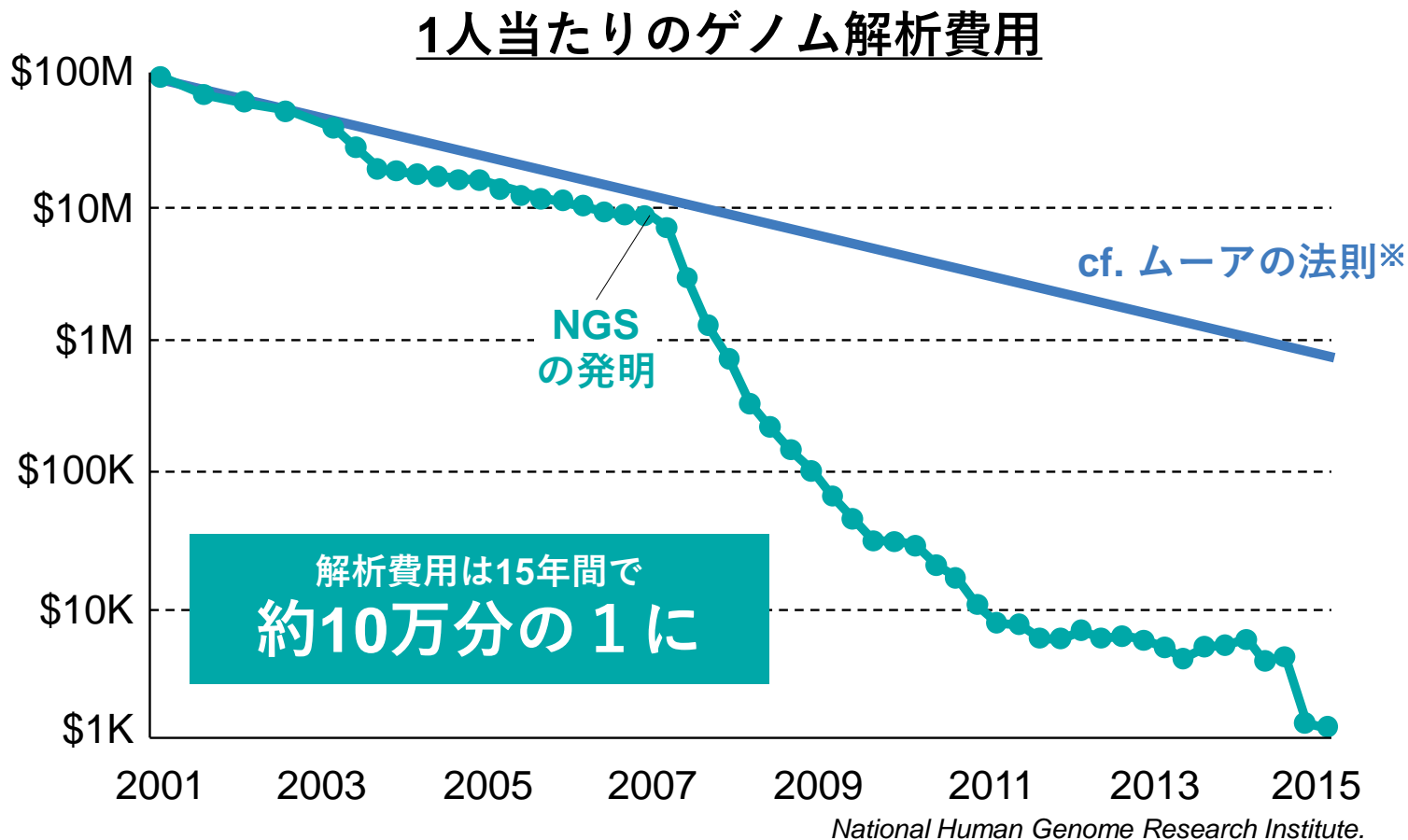
ANALYSING  
[EXOME SEQUENCING]

機械学習 + がん免疫療法



# 技術革新

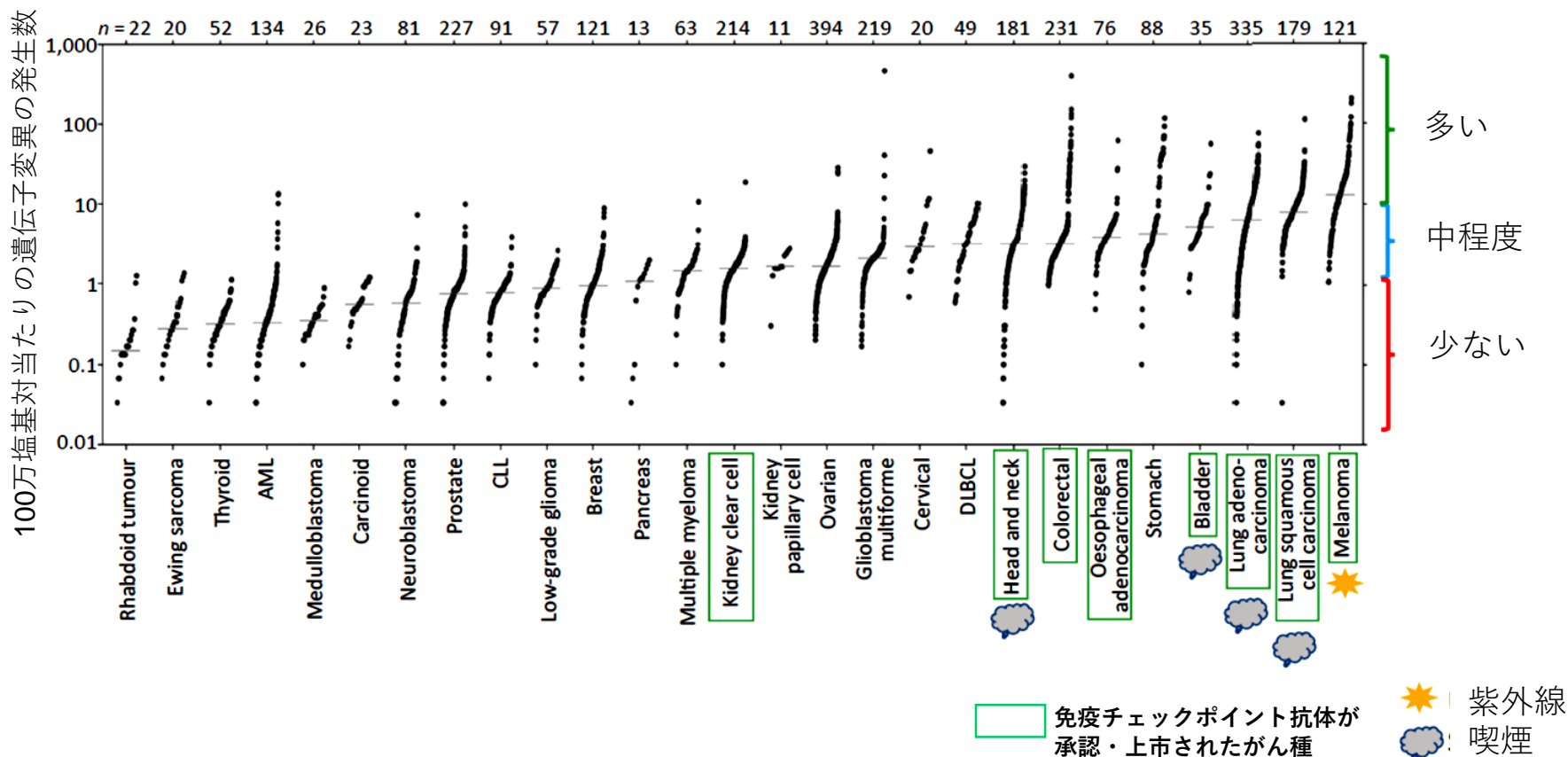
- 次世代シーケンサー(NGS)の登場により、解析費用は加速度的に安価に



※ムーアの法則：半導体の集積率は18か月で2倍になるという半導体業界の経験則。NGSのデータ出力量は、毎年2倍以上というムーアの法則を超えるスピードで増加

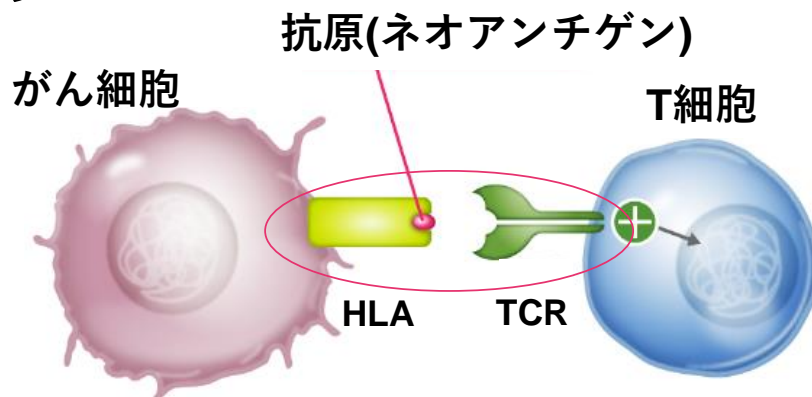
# 技術革新 x がん免疫療法の進展

- 遺伝子変異が多いがん種で免疫チェックポイント抗体の効果が高い



# 技術革新 x がん免疫療法でわかったこと

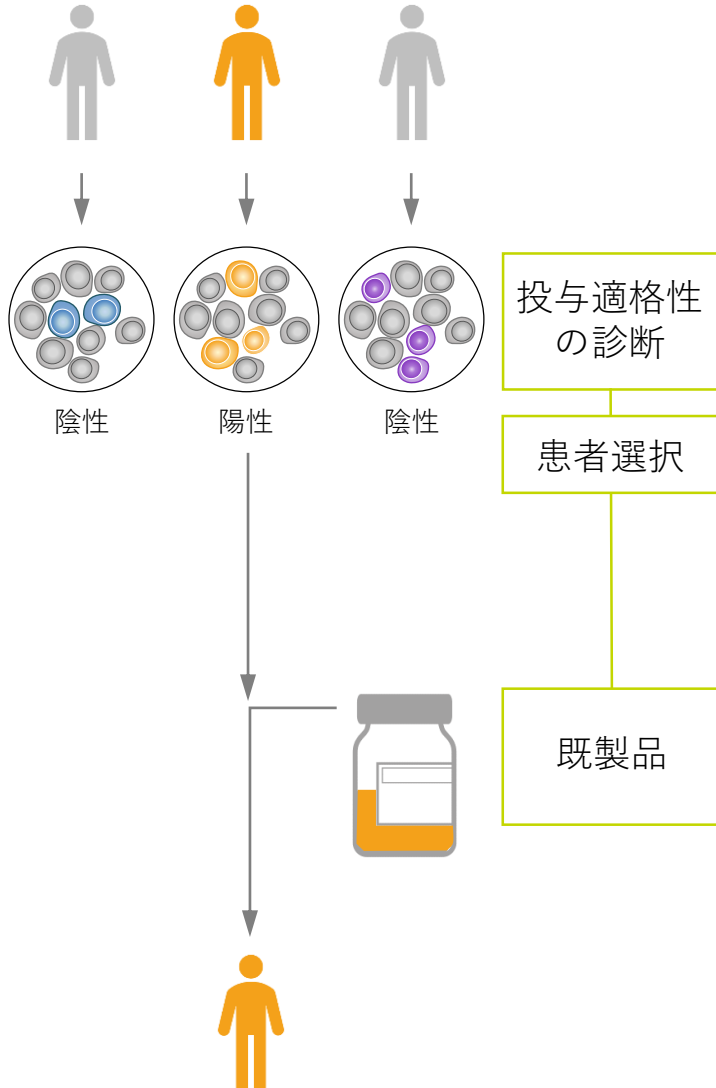
- 遺伝子変異が多いがん種で免疫チェックポイント抗体の効果が高い
- 遺伝子変異が免疫システムにとって有効ながん抗原(標的)となっている可能性を示唆



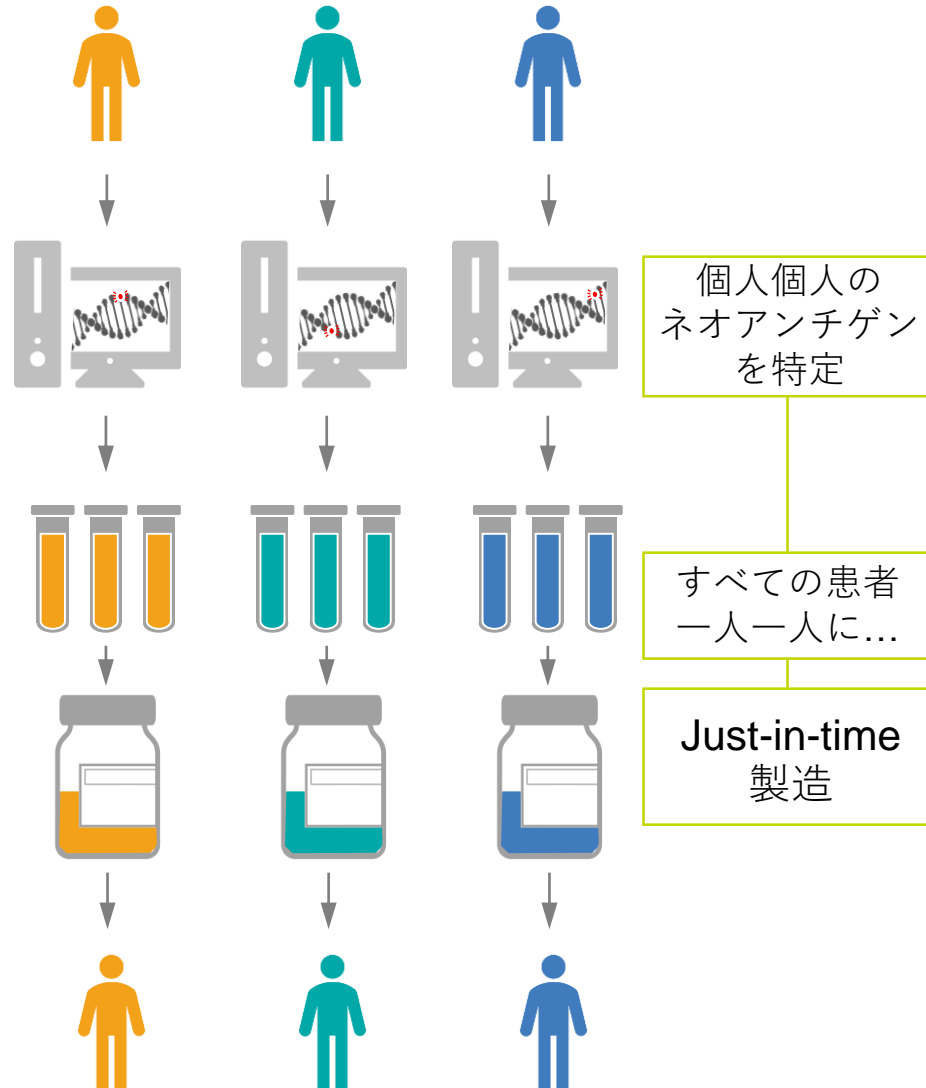
- 遺伝子変異の発現パターンは、一人一人大きく異なり、人間が扱える情報量をはるかに越えていることが判明
- 患者一人一人のがん抗原（ネオアンチゲン）の選定を、機械学習で予測精度を高めたアルゴリズムによって行うことが必要

# 完全個別化Just-in-timeがんワクチン

## 従来のがん治療薬



## 完全個別化がん免疫療法



# 国内をリードする研究機関と共同研究組成

- 様々な角度からのネオアンチゲン同定法 + 最適な医薬品モダリティ開発
- 臨床試験を見据えた展開

2017年10月



国立研究開発法人  
国立がん研究センター  
National Cancer Center Japan

2018年1月



地方独立行政法人 神奈川県立病院機構  
神奈川県立がんセンター  
Kanagawa Cancer Center



東京大学  
THE UNIVERSITY OF TOKYO

2018年2月



三重大学  
MIE UNIVERSITY

2018年12月



東京大学  
THE UNIVERSITY OF TOKYO

ネオアンチゲン同定法  
(アルゴリズム)

ネオアンチゲン同定法  
(質量解析)

ネオアンチゲン同定法  
+  
医薬品モダリティ

ネオアンチゲン同定  
アルゴリズム

BrightPath  
Biotherapeutics

# 質量解析を用いたネオアンチゲン同定法

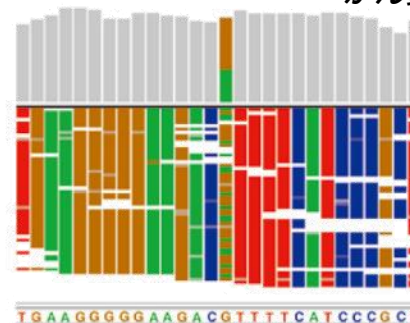
次世代シーケンサー(NGS)による遺伝子解析

がん変異の同定

遺伝子変異



DNA

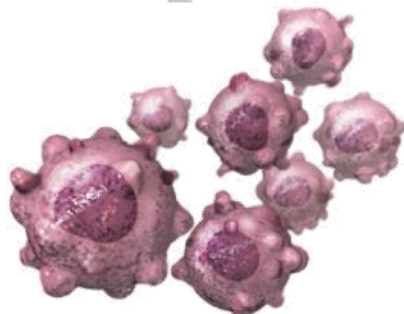


がん変異抗原  
(ネオアンチゲン)  
の同定

データ突き合わせ

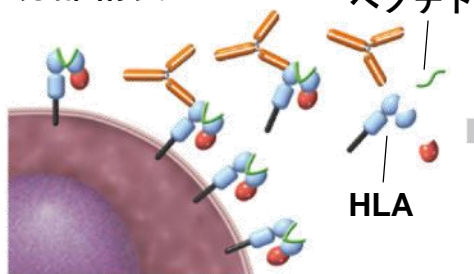


ネオアンチゲンワクチン



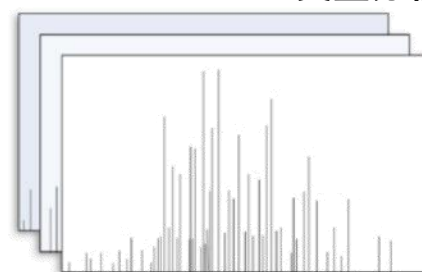
がん

分離精製



がん細胞

LC-MS/MSによる質量分析解析



がん細胞表面に提示されている  
ペプチドの同定

# 会社概要

# 会社概要

- 社名            ブライトパス・バイオ株式会社（証券コード：4594）
- 資本金        5,421百万円（2018年9月末現在）
- 従業員数      52名（2018年9月末現在）
- 役員
  - 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              山田 亮
    - 久留米大学先端癌治療研究センター 所長・教授
  - 社外取締役         竹内 弘高
    - ハーバード大学経営大学院教授
    - 一橋大学名誉教授
  - 社外監査役         今井 義浩
  - 阿部 武敏
  - 山口 芳泰



# 拠点



## 久留米本社

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



## 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



## 川崎創薬研究所

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



# 2019年3月期 通期連結業績見通し

(単位：百万円)

	2018年3月期 実績	2019年3月期 予想	増減
売上高	354	150	① ▲ 204
営業利益	▲ 1,561	② ▲ 2,200	▲ 638
経常利益	▲ 1,573	▲ 2,200	▲ 626
当期純利益	▲ 1,577	▲ 2,200	▲ 622

① ITK-1 第Ⅲ相試験終了に伴う開発協力金の減少

② パイプラインの開発進捗に伴い、

研究開発費 1,253百万円(2018年3月期 実績) → 1,900百万円(2019年3月期 予想)

# BrightPath

## Biotherapeutics

### 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

# 質疑応答







**BrightPath**—  
Biotherapeutics