

(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

# 個人投資家説明会

---

2023年 12月17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。

## 1 がん免疫治療薬の開発に特化した創薬バイオベンチャー

- 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開発パイプライン
- 現在は先行開発投資期間

## 2 iPS細胞技術を用いて、免疫細胞療法のゲームチェンジャーとなる新規の他家CAR-T細胞療法プラットフォームを構築

## 3 次世代の免疫チェックポイント抗体も開発中

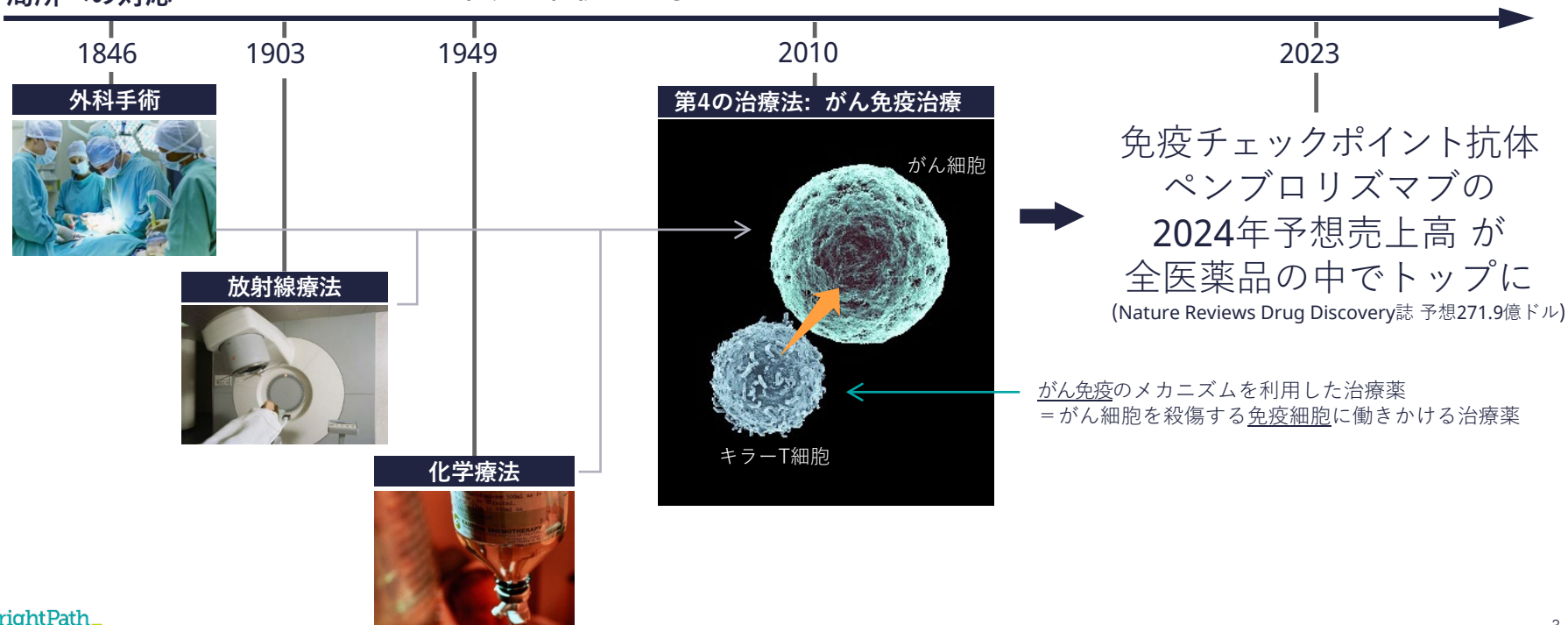
# がん免疫治療薬を開発する創薬ベンチャー

- ここ10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

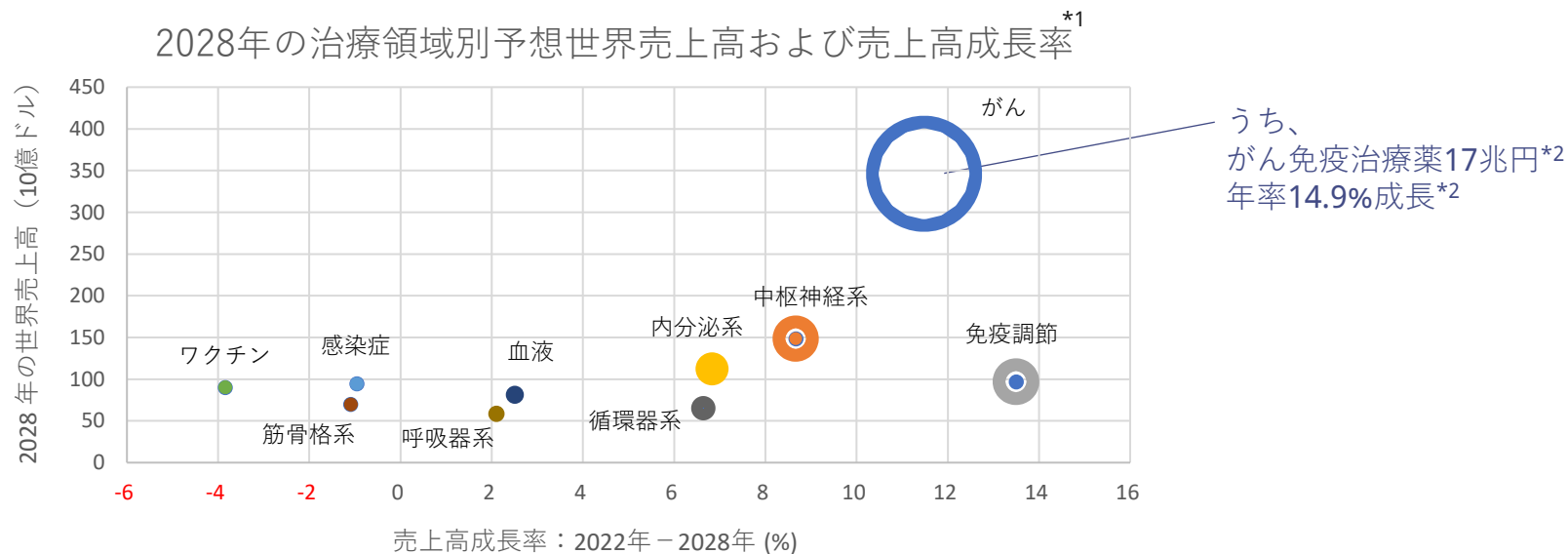
## がん治療法の拡がりの歴史

局所への対応

再発・転移への対応



## ■ 医薬品市場成長を牽引する がん免疫治療薬

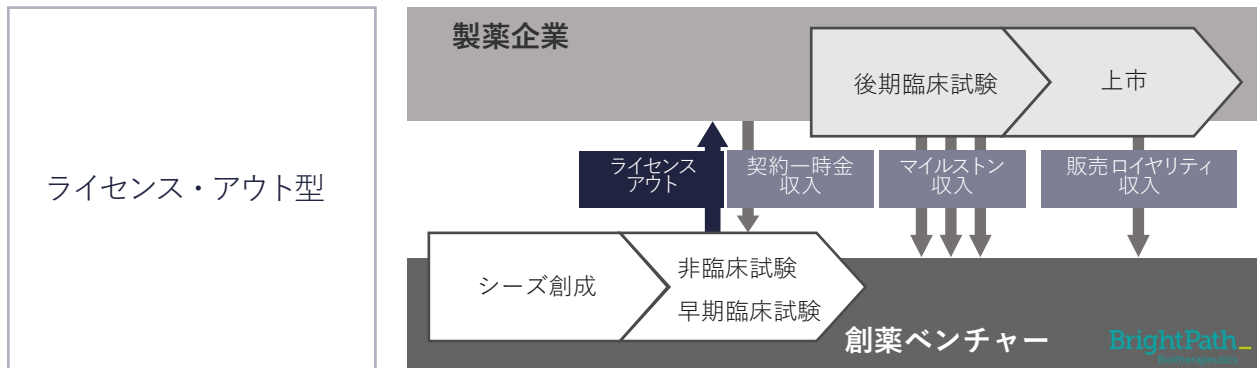
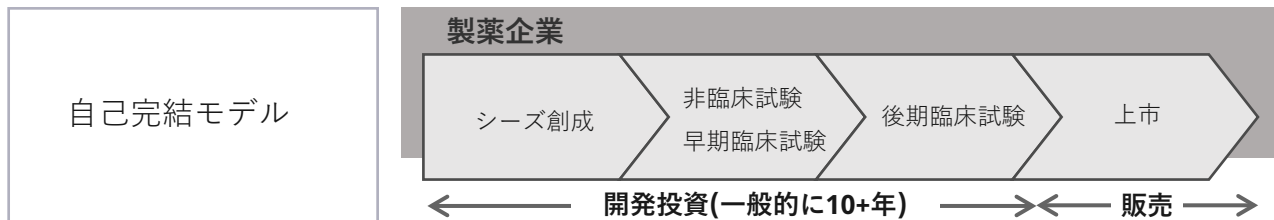


出典：

1. EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2023 (October 2023)
2. Global Immuno-Oncology Market Research (May 2023)

# 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で、現在は開発投資先行期間

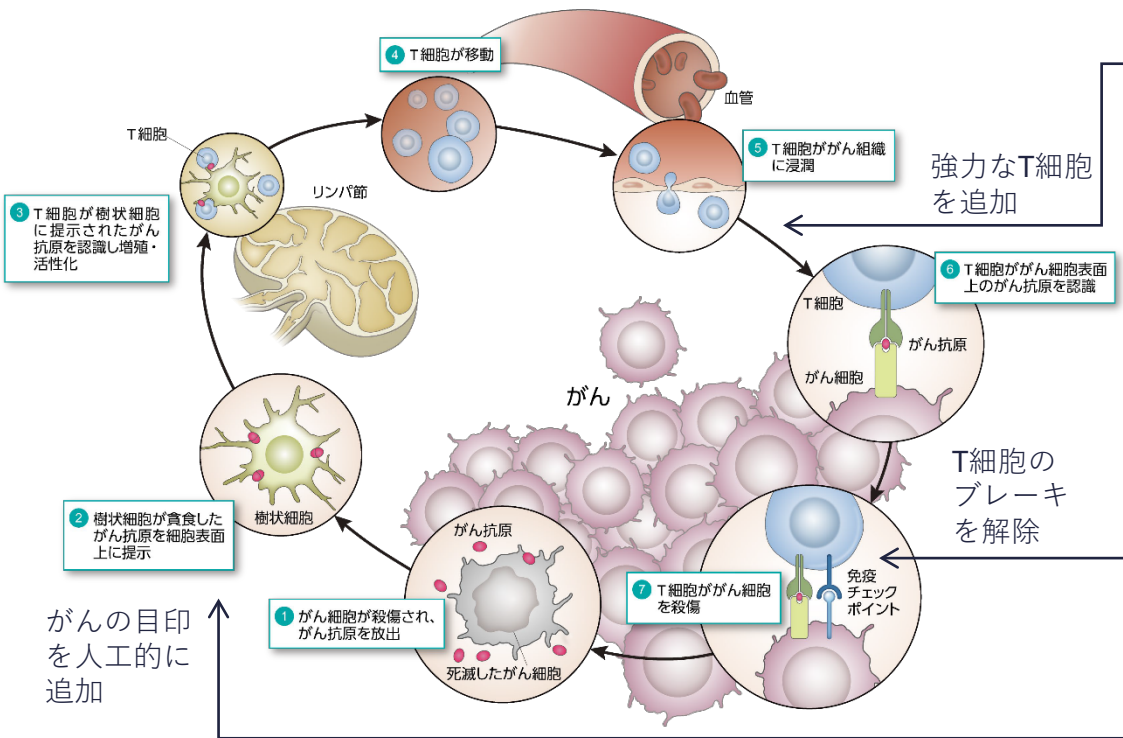


新薬開発の途中で、すべてを自己完結できる製薬企業に、開発製造販売ライセンスを渡すことによって、開発投資先行期間を短縮し早期収益化

- 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

# 開発パイプライン

## がん免疫サイクル



## 開発パイプライン

開発品	メカニズム/標的	がん種
<b>細胞医薬</b>		
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
<b>抗体医薬</b>		
BP1200	CD73	
BP1202	CD39	
BP1210	TIM3	
BP1212	CD39×TIM3	
<b>がんワクチン</b>		
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



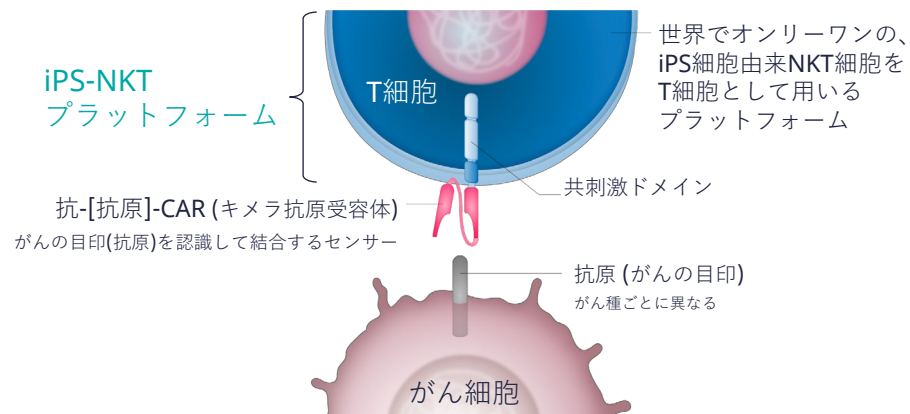


# 中核パイプライン

---

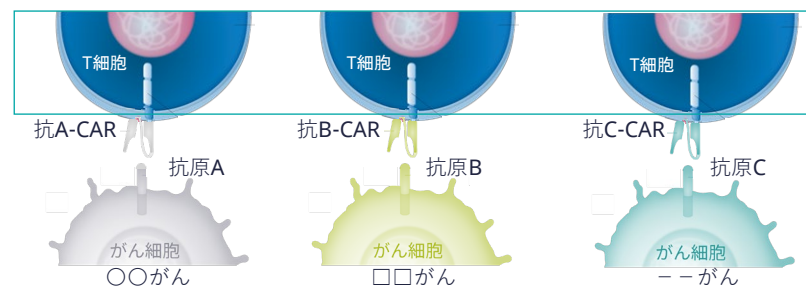
■ iPS細胞技術を用いて、免疫細胞療法のゲームチェンジャーとなる 新規の他家CAR-T細胞療法プラットフォームを構築

## 新規の他家CAR-Tプラットフォーム



## プラットフォーム展開

### 共通のiPS-NKTプラットフォーム



米国がん免疫学会(SITC)2022ではプロトタイプとしての

- ・抗CD19 CAR-iPSNKT (リンパ腫)
- ・抗HER2 CAR-iPSNKT (各種固形がん)

の研究報告

# 細胞医薬パイプラインBP2201: iPS-NKT (続)

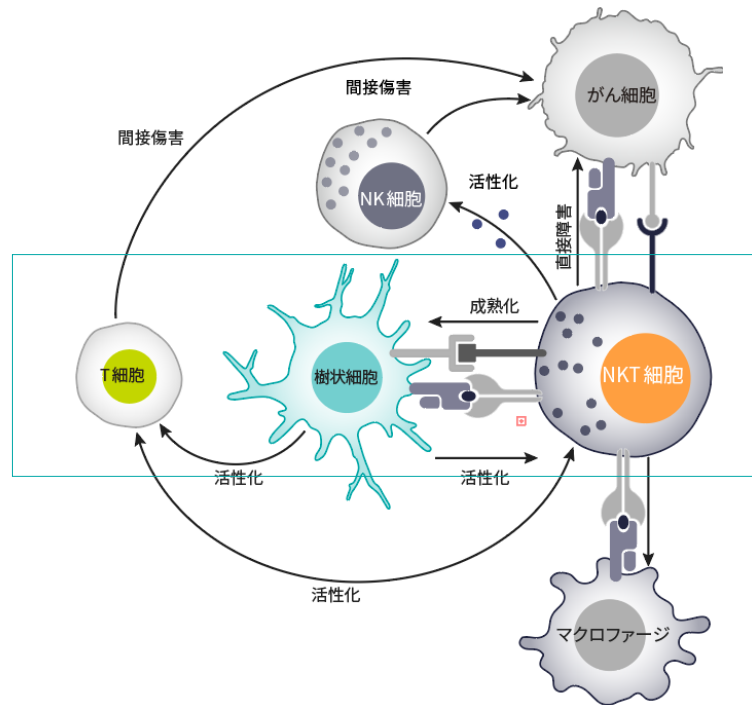
## ■ 世界でオンリーワン

- NKT細胞は、T細胞やNK細胞以上に多面的な抗腫瘍効果を持ちながら、血中にわずかしかな存在しないため作れない状態であったNKT細胞を、iPS細胞技術によって細胞免疫として使えるようにした  
(特許登録済み)

## ■ iPS-NKTがゲームチェンジャーとなる所以

- 他家NKT細胞は、既存のCAR-Tで使われているT細胞やNK細胞にはない、患者体内にいるT細胞を活性化させる特性をもつ

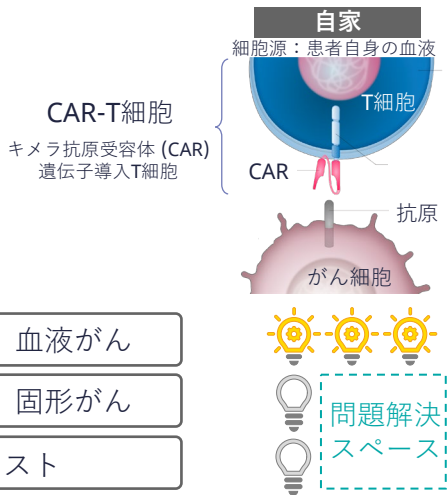
多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞



# CAR-Tの現状

- 自家CAR-Tはこれまでは見られなかったリンパ腫の治療効果を示した
- ✓ 4割の患者が治癒

第1世代



- 自家CAR-Tの治療が受け入れられる人は限られている
- 患者から採取した血液から作られるため、投与する細胞製品の品質も採血時の患者の状態次第
- 作ることさえできないことがある
- 自家CAR-Tが奏功しない患者は予後不良

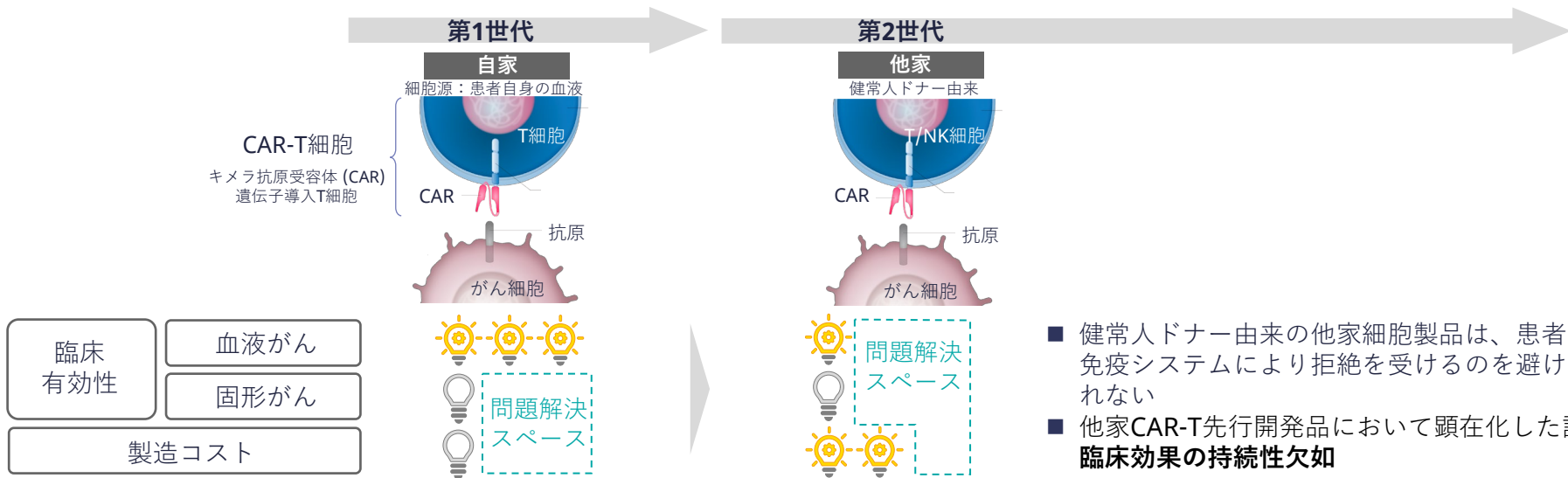
- ・ GILEAD による Kite 買収 120億ドル(2017)
- ・ Celgene による Juno 買収 90億ドル(2018)



# CAR-Tの現状 (続)

- 製造が「特注品」となるがゆえの様々な制約

- 自家と異なり、  
 ✓ オン・デマンドで入手可能  
 ✓ 均一な品質



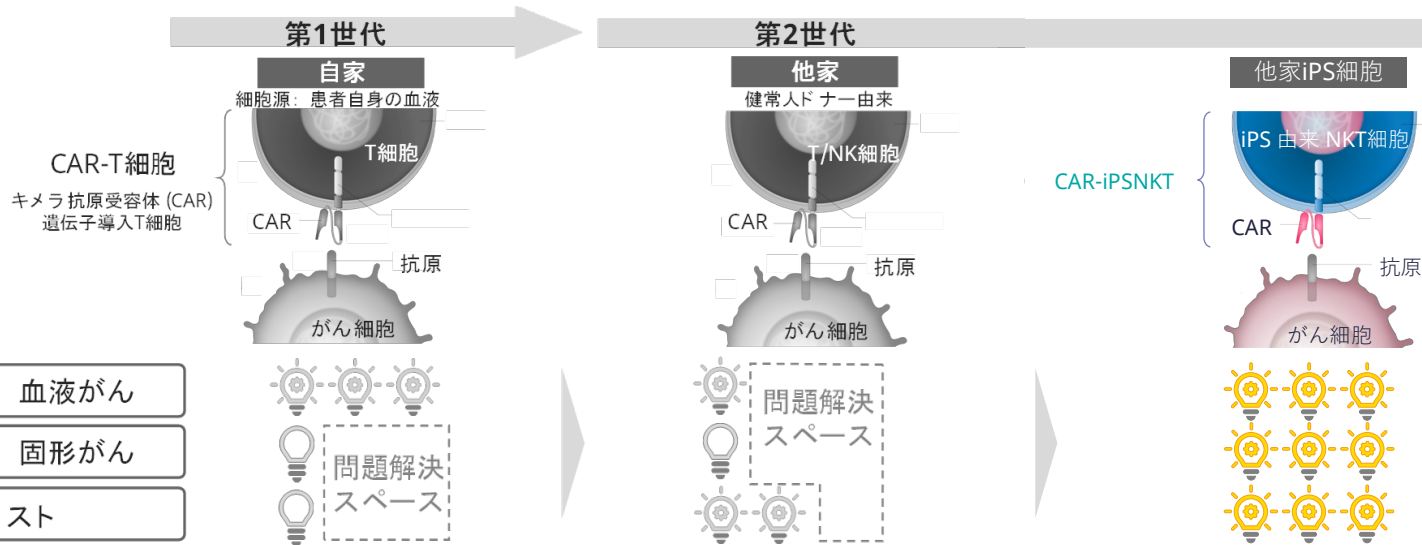
- 健康人ドナー由来の他家細胞製品は、患者の免疫システムにより拒絶を受けるのを避けられない
- 他家CAR-T先行開発品において顕在化した課題：**臨床効果の持続性欠如**

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



# BP2201: iPS-NKTのポジショニング

- 今まで誰も使ってこなかったiPS-NKTを使うことにより、従来の他家CAR-Tが克服できていない壁を乗り越える



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



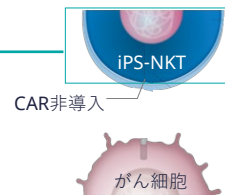
- 先行品において顕在化している課題: 臨床効果の持続性欠如

- 他家CAR-iPSNKTは排除されても、患者の体内にもともと存在するT細胞が活性化され、持続的な抗腫瘍免疫の担い手となる

# BP2201(iPS-NKT)のこれからの展開

## ■ CAR非導入のiPS-NKT細胞療法の第I相臨床試験を実施中(2020-)

- 世界で初めて使われる細胞の安全性の確認が現在順調に推移



再発・進行頭頸部がん対象

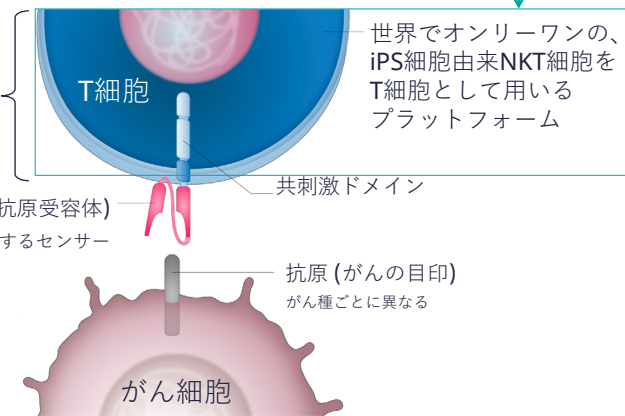
主要評価項目：安全性  
(各用量における用量制限毒性発現割合)

治験実施施設：千葉大学医学部附属病院

## ■ プラットフォーム型事業展開

### 新規の他家CAR-Tプラットフォーム

iPS-NKT  
プラットフォーム



共通の  
iPS-NKT  
プラットフォーム



















### プラットフォーム展開



# BP2201(iPS-NKT)にあてはまるプラットフォーム型ライセンス展開

## ■ 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		2018	CD19 (2021)			 HER2 (2023)	 小野薬品工業 2018 (2候補品)
			CD19 (2023)		BCMA (2021)		
iPS-NK			 CD19/CD20 (-) CD5 (-)	 非開示(-)	 TACI/BCMA(-)	 GILEAD 2021(複数候補品)  BeiGene 2021	
			 CD19 (2022)	 非開示(2024)	 非開示(2024)	 2019 (3候補品)  Bristol Myers Squibb 2021(4候補品)	
		2023			BCMA (2025)	EGFR (2025) GPC3 (2024)	
iPS-NKT		2020 (RIKEN)					● BP2201 (iPS-NKT) 千葉大学医学部附属病院 (First in human臨床試験実施中)

一: 研究段階でIND予定非公表

出所:各企業



# 2024年3月期 第2四半期 決算概要

---

# 損益計算書

(単位：百万円)

	2023年3月期 上半期	2024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)	805 (643)	550 (363)	① △254 (△279)
営業利益	△805	△550	+254
経常利益	△809	△551	+258
当期純利益	△810	△553	+256

① 前年同期の前払金費用振替を除くと、ほぼ前年と同水準

# 貸借対照表

(単位：百万円)

	2023年3月期	2024年3月期 上半期	増減
流動資産 (構成比)	1,651 97.0%	1,113 95.7%	① △537
固定資産	50 3.0%	50 4.3%	—
流動負債	76 4.5%	91 7.9%	+15
固定負債	57 3.4%	58 5.0%	+0
純資産	1,567 92.1%	1,013 87.1%	△553
総資産	1,701	1,163	△537

① 研究開発費の支出による現金減467百万円を含む

# キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2023年3月期 上半期	2024年3月期 上半期
営業活動によるキャッシュ・フロー	△588	① △466
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	197	—
現金及び現金同等物 増減額	△391	△467
	期首残高	1,530
	期末残高	1,063

① 研究開発による支出

# 2024年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2023年3月期		2024年3月期			前年比
	予想	実績	当初	①最新	増減	
売上高	5	5	0	0	+0	△5
営業利益	△1,635	△1,467	△1,353	△1,588	△235	△121
経常利益	△1,635	△1,473	△1,353	△1,589	△236	△116
当期純利益	△1,637	△1,485	△1,357	△1,592	△235	△107
研究開発費	1,267	1,168	973	1,214	② +241	+3.9%

① 2023年11月14日公表の第16回新株予約権による資金調達計画を織り込み、業績見通しを更新

② 主に、BP2201のプラットフォーム化の推進（CAR-iNKTのプロトタイプ製品の開発等）による

# 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 本店／川崎創薬研究所 細胞技術研究所	: 東京都千代田区麴町2-2-4 : 神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22 : 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	362百万円 (2023年9月末現在)	
社員数	22名 (2023年9月末現在)	
役員	代表取締役社長 取締役 創薬研究部長 取締役 CFO 取締役 (非常勤) 取締役 (社外、独立役員) 監査役 (社外) 監査役 (社外、独立役員) 監査役 (社外)	永井 健一 中村 徳弘 竹下 陽一 山田 亮 竹内 弘高 岸野 努 阿部 武敏 山口 芳泰 久留米大学教授 ハーバード大学経営大学院教授 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



BrightPath\_

Biotherapeutics