

事業計画及び成長可能性に関する事項

2024年 6月28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。

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
GRN-1201 メラノーマ対象米国第I相臨床試験開始

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(BP2201)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

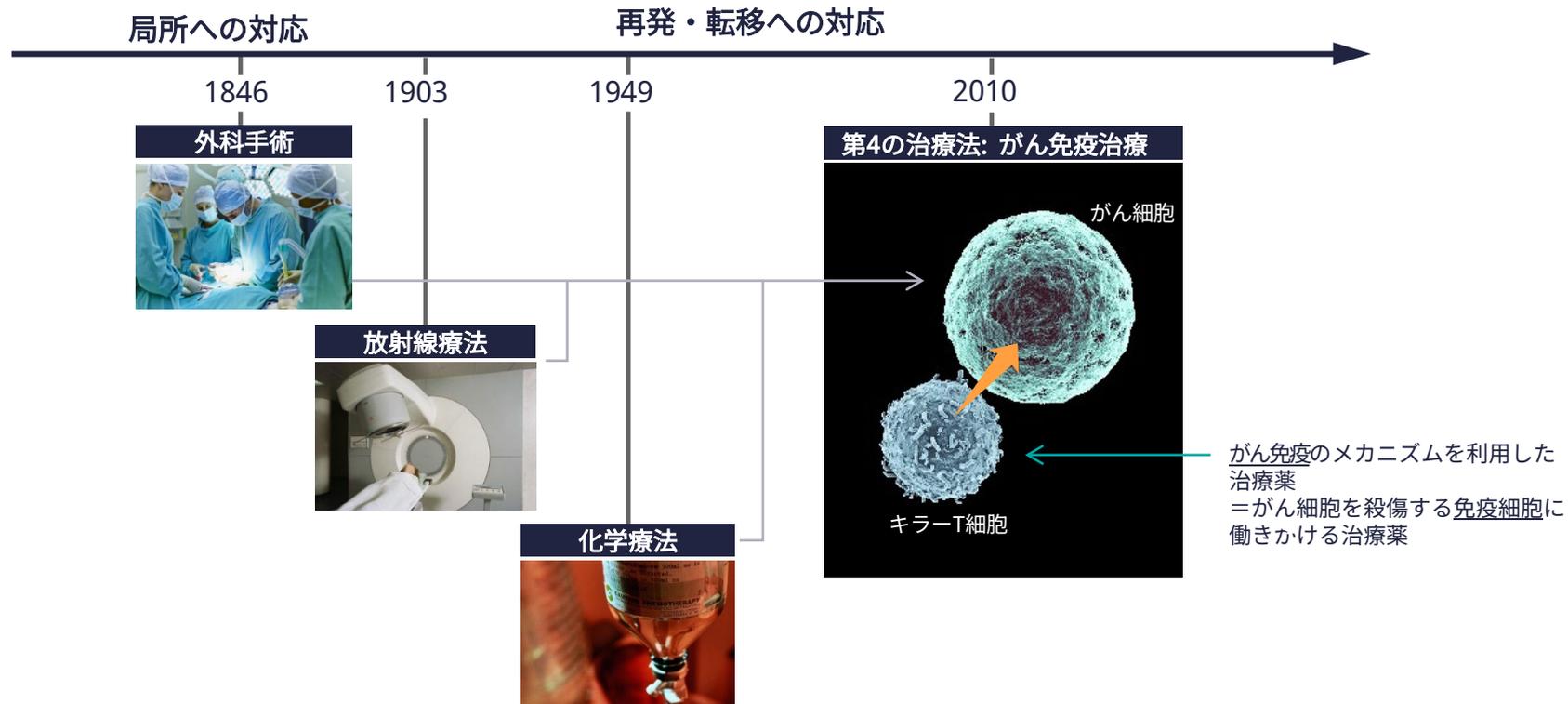
2023年5月
会社創立20周年

ビジネスモデル

がん免疫治療薬の開発に特化

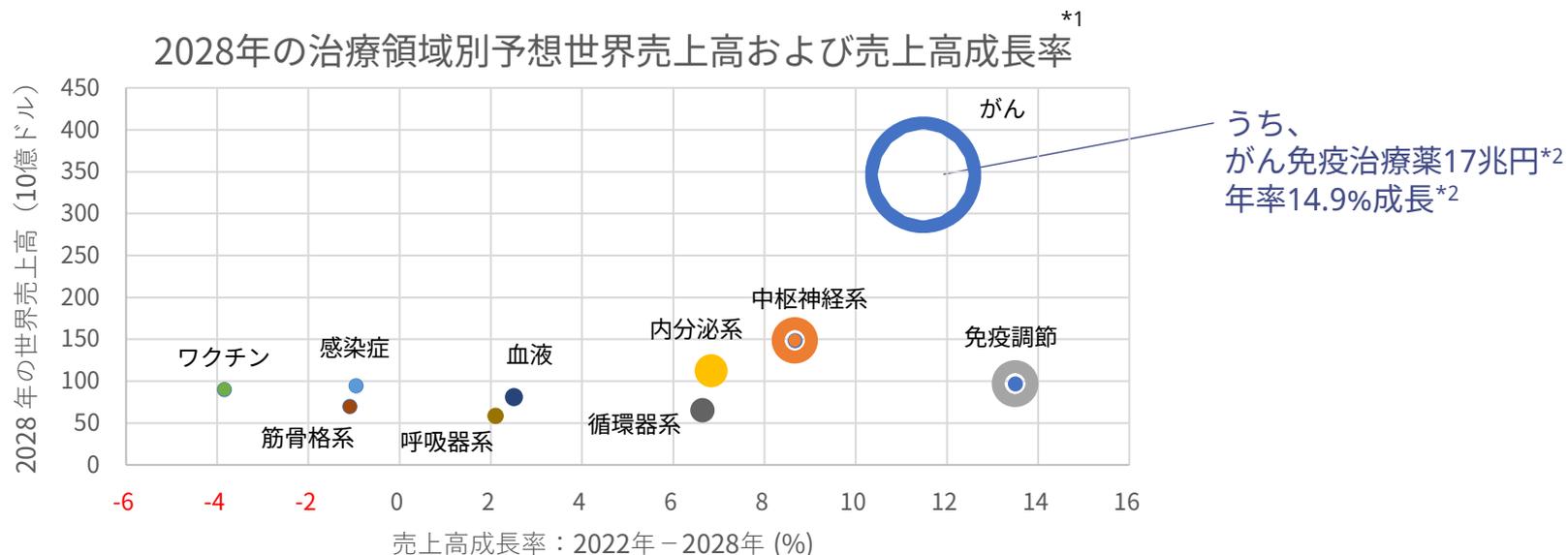
- ここ10年でがん治療のあり方を大きく変えたがん免疫治療薬の開発に特化

がん治療法の拡がりの歴史



■ 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

- 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)

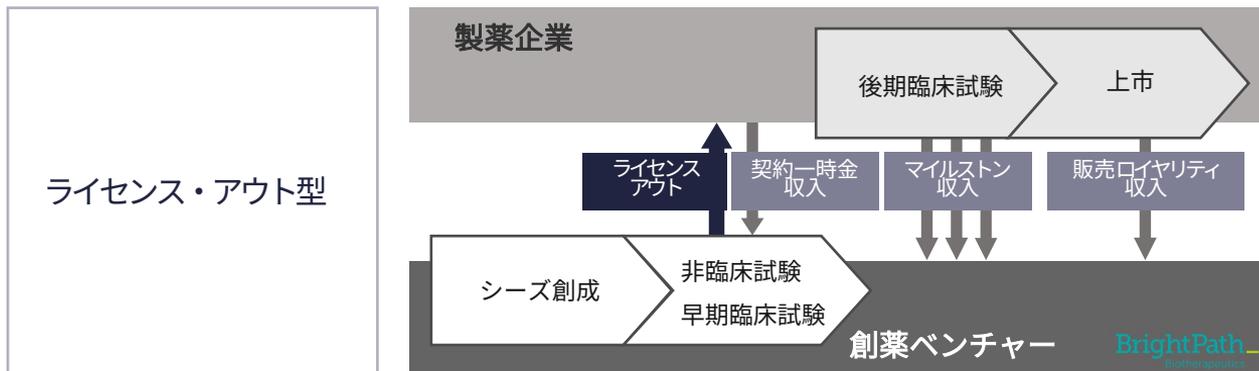


出典：

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

ビジネスモデルと収益構造

- 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

開発の進捗状況

開発パイプライン変更点

	開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
追加	細胞医薬						
	BP2202	CAR-iPSNKT (標的非開示)	血液がん				

- 第 I 相臨床試験で初期的な臨床上の安全性と活性を確認できた非遺伝子改変iPS-NKT細胞に基づく最初のプロトタイプ製品として、血液がんを標的とするCAR-iPSNKTからプラットフォーム展開を始めます

	開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
削除	がんワクチン						
	GRN-1201	4種共通抗原 ヘンプロリズマブ併用	肺がん				

- 2022年5月、当時の治験対象が標準療法の変遷の中で事業性を失いつつあったこと、主要評価項目ががんワクチンの本来の強みを反映できるものではないことが分かってきたことから、当時米国で進めていた第II相臨床試験を早期中止し、以降治験対象と試験設計を仕切り直して開発を再開させるべく、共同開発パートナーを探してまいりました
- しかし、ペプチド・ワクチンという形態が、がん免疫治療薬の主役級の座を新しい形態に取って代わられてから久しく、中国企業を中心に100社を超える共同開発パートナー候補とコンタクトしたものの提携に至ることはできませんでした
- 開発パイプラインのリソース配分の優先順位付けの観点から、GRN-1201の開発再開を断念し、パイプラインから取り下げます

各パイプラインのイベント

- 2023年度ハイライト: iPS-NKT(BP2201)の第I相臨床試験*で、初期的な安全性と臨床活性を確認 (2024.2**)
- 2024年度以降: ①CAR-iPSNKTを優先:臨床入りに向けて非臨床開発・CMC + ②抗体医薬パイプラインの導出に注力



*千葉大学医学部附属病院における医師主導治験(AMED支援の下で実施)

**CD1-MR1 2024国際学会(豪)にて、本橋新一郎教授(千葉大学大学院 医学研究院 免疫細胞医学)より報告

個別の開発パイプラインの概要

2023年度の進捗ハイライト

■ 第I相臨床試験(First-in-human試験)で初期的な安全性と臨床活性を確認

- 理化学研究所創成シーズであり、千葉大学医学部附属病院にて、日本医療研究開発機構 (AMED) の支援を受けながら、iPS細胞由来NKT細胞(iPS-NKT)の世界初の臨床応用となる第 I 相臨床試験が、複数の前治療歴を経た難治性の再発・標準療法抵抗性頭頸部がん患者を対象に実施され、主要評価項目である忍容性および安全性に問題がないこと／初期的な安全性と臨床活性を確認することができた

- 全10例中: 低用量 (3×10^7 個/ m^2) 3例、高用量 (1×10^8 個/ m^2) 7例 / 3回投与 6例、2回 3例、1回 1例
- 高用量群の1例で、薬疹による用量制限毒性 (DLT: Dose Limiting Toxicity) が発現したものの、低用量および高用量ともに忍容性が認められ、最大耐用量 (MTD: Maximum Tolerated Dose) は高用量の 1×10^8 個/ m^2 と推定された
- 最も多く観察された治験関連有害事象*1 (trAE: treatment related adverse event) は、グレード1*1または2の発熱 (低用量群1例、高用量群4例)
- 2回以上投与された症例における腫瘍の大きさの変化
 - 低用量群: 安定(SD: stable disease) 1例、進行(PD: Progressive Disease) 2例
→病勢コントロール率(DCR: Disease control rate) 33.3%
 - 高用量群: 安定(SD) 4例、進行(PD) 1例、評価不能(NE: Not Evaluable) 1例
→評価可能であった症例における病勢コントロール率(DCR) 80%
- 高用量群では腫瘍縮小傾向を示唆する症例も見られ、初期的な安全性と臨床活性を確認することができた

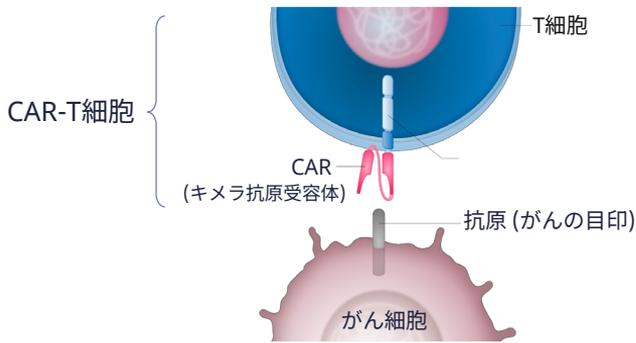
出所: 第13回CD1-MR1国際学会 本橋新一郎教授(千葉大学大学院 医学研究院 免疫細胞医学), 2024.3.4.ブライトパス・バイオ

■ 非遺伝子改変iPS-NKT細胞を土台とする、新規の他家CAR-T細胞療法プラットフォームの構築が可能となった

CAR-iPSNKTが解決する技術課題

CAR-T

- 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)



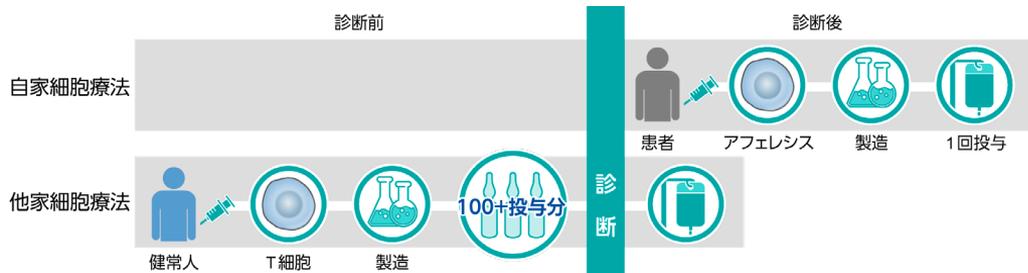
開発成功がもたらした企業取引

- GILEAD → Kite Pharma 買収 120億ドル(2017)
- Celgene | Bristol Myers Squibb Company → Juno 買収90億ドル(2018)

業界全体の取り組み

■ 自家 (患者自身の血液) → ■ 他家 (健常人ドナーの血液)

- 一定率で起こる製造失敗
- 長い待機時間
- 製造コスト
- 治療を受けられる確実性
- 待機時間無し



現状、この取り組みはあまりうまく行っていない

患者に投与された他家CAR-T細胞が、患者の免疫システムによって排除され短命に終わるから

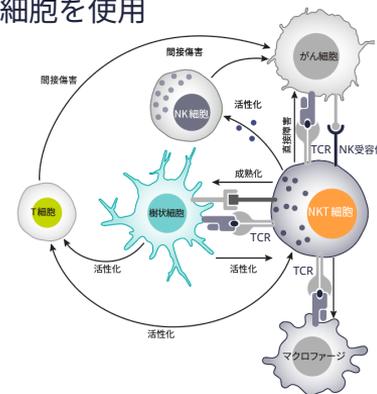
CAR-iPSNKTが解決する技術課題 (続)

BrightPath_ の「ゲーム・チェンジ」

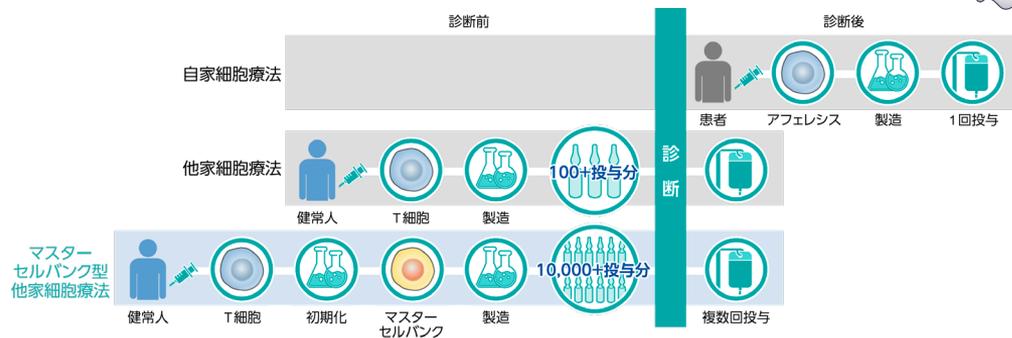
■ T細胞 → ■ iPS細胞（マスターセルバンク化）から分化させたNKT細胞

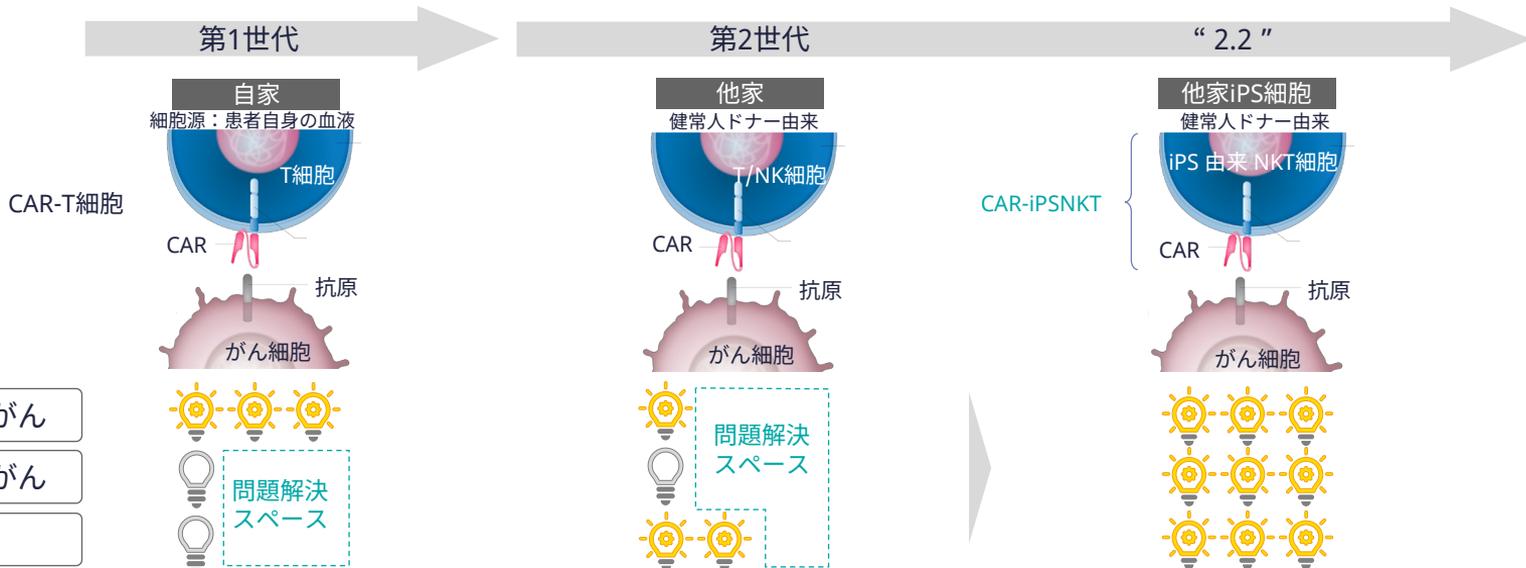
① 患者体内の免疫細胞を患者体内で活性化させるNKT細胞を使用

☞ 患者自身のT細胞が臨床効果の持続性をもたらす



② 製造面のハードルをiPS細胞技術によって克服





臨床有効性

血液がん

固形がん

製造コスト

先行開発品において
顕在化した課題

- 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

BrightPath_の
「ゲーム・チェンジ」

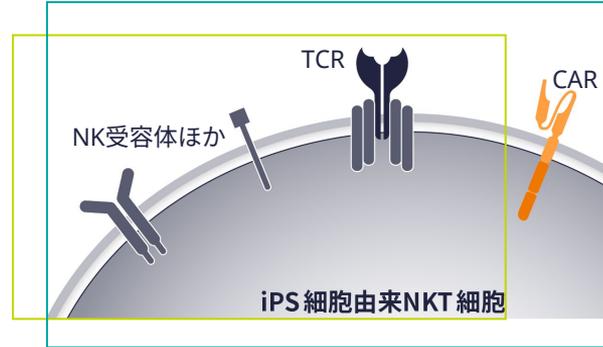
- 投与されたCAR-iPSNKT細胞によって患者体内で活性化された患者自身のキラーT細胞が持続
→ 臨床効果の持続性の担い手

承認薬（血液がん領域）

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

BP2202 (続)

現在の開発段階 (2023年度末時点)

BP2201
(非遺伝子改変 iPS-NKT)BP2202
(CAR-iPSNKT)BP2201
(非遺伝子改変 iPS-NKT)

- **薬効の確認** *in vitro*, *in vivo*での抗腫瘍効果の確認
- **知的財産権の確保** グローバル3拠点(日米欧)で特許登録
- **製造の実行可能性** 増殖率 x 高純度の目標水準達成 (ラボレベル)
- **初期的な安全性と臨床活性の確認** 第 I 相臨床試験の完了(2024.2)

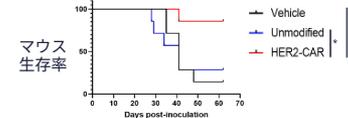
複数の前治療歴を経た難治性の再発・標準療法抵抗性頭頸部がん患者対象

- ・ 低用量群: 1 SD, 2 PD, DCR 33.3%
- ・ 高用量群: 4 SD, 1 PD, 1NE DCR 80%, 腫瘍縮小傾向を示唆する症例あり

BP2202
(CAR-iPSNKT)

- **薬効の確認** 試作品での*in vitro*での抗腫瘍効果の研究報告 (SITC2022)
*in vivo*での抗腫瘍効果の研究報告 (SITC2023)

- 非臨床コンセプト検証用試作品の担がんマウスモデルにおける*in vivo*効果

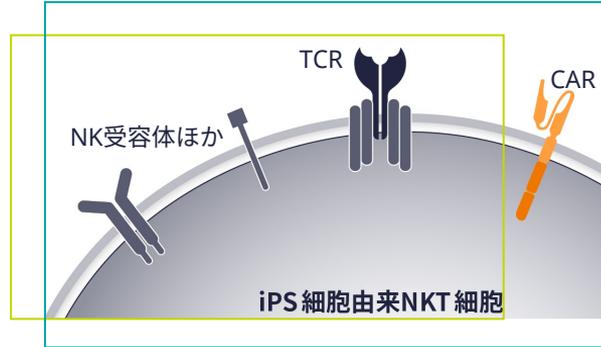


- **遺伝子改変技術導入** STAR-CRISPR™遺伝子改変技術の導入 (2023.5)

BP2202 (続)

今後の開発 (2024年度以降)

BP2201
(非遺伝子改変 iPS-NKT)



BP2202
(CAR-iPSNKT)

BP2201
(非遺伝子改変 iPS-NKT)

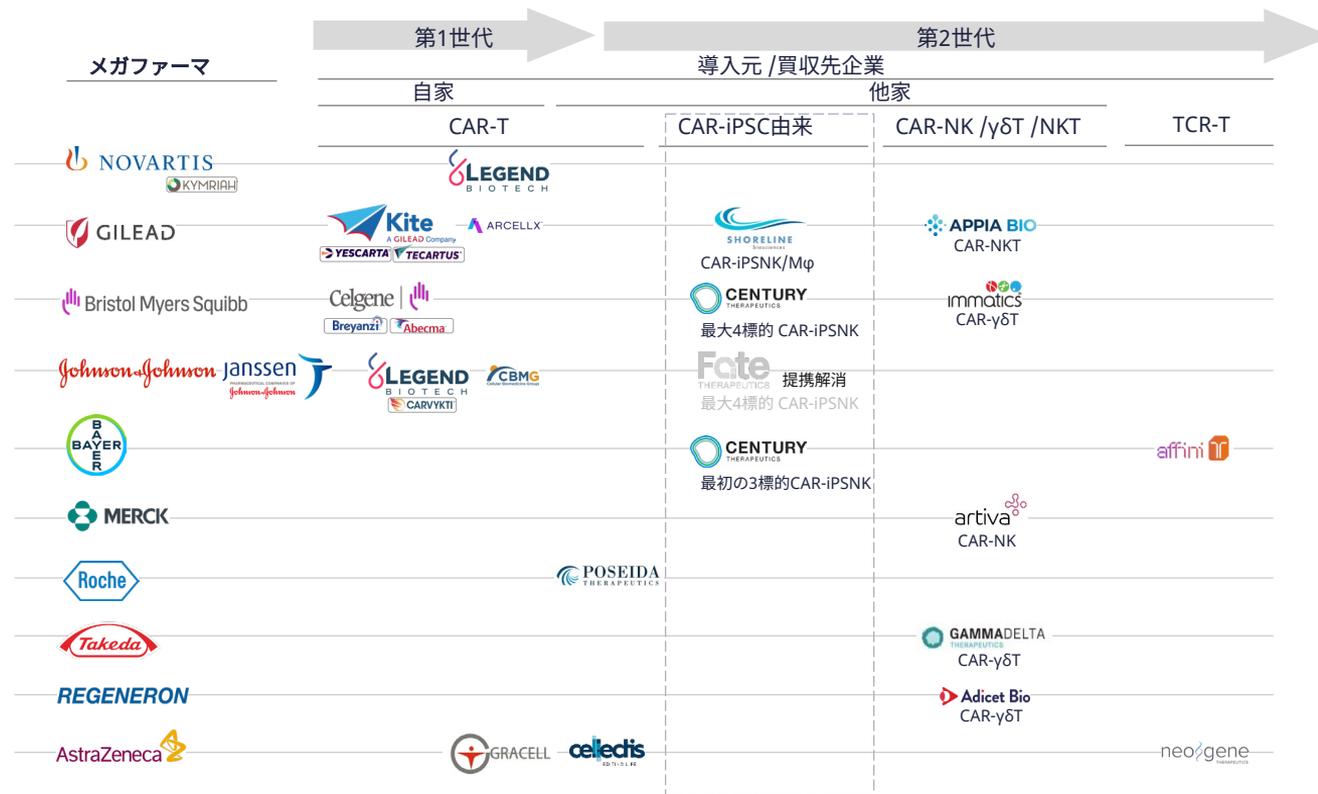
- **新製造法のGMP化** CAR-iPSNKTと同じになる
- **次相臨床試験の準備** 戦略的優先順位付けにより、CAR-iPSNKTの臨床入りを優先させる

BP2202
(CAR-iPSNKT)

- **CAR-iPSNKTのマスターセルバンク構築**
- **製造法のGMP化**
- **治験届に向けて非臨床・製造関連データ取得**

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

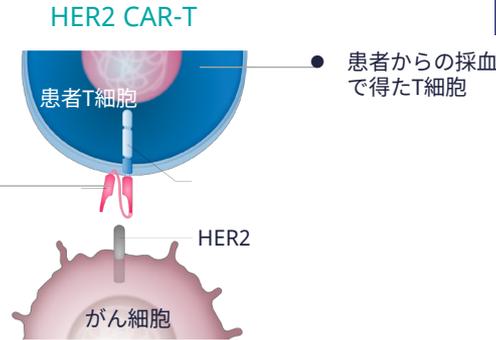


BP2301 (HER2 CAR-T)

■ 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

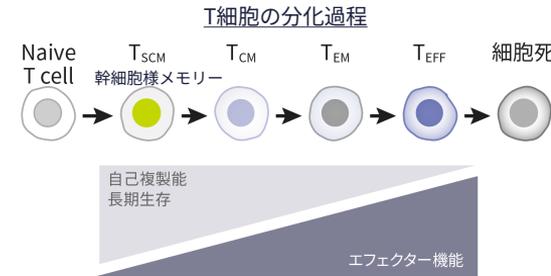
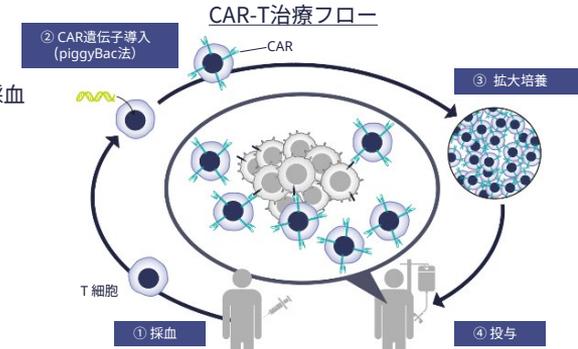
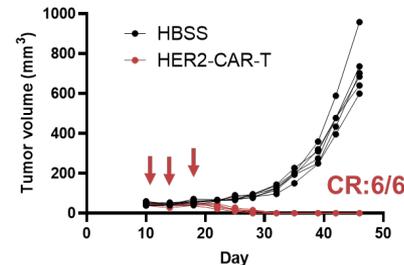


● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

- ・ 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

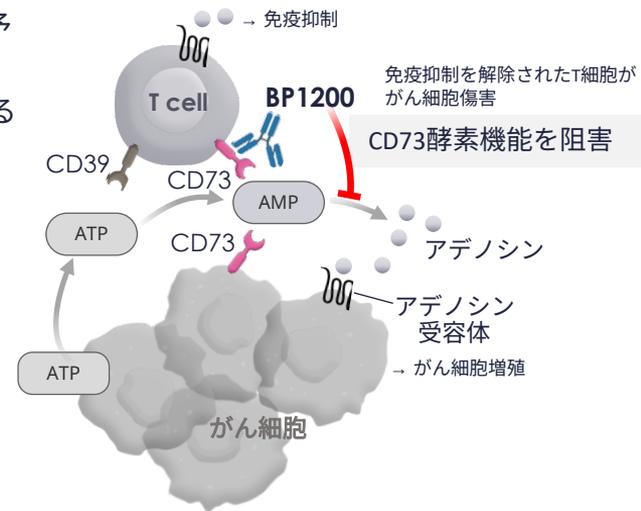


出所：ブライトパス・バイオ AACR2022

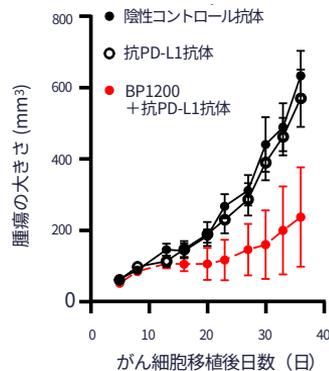
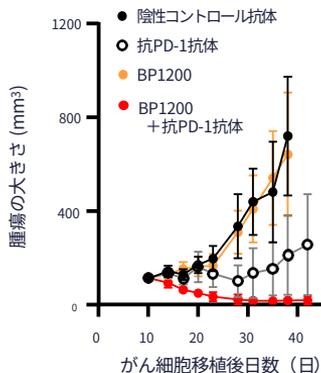
■ ベスト・イン・クラスとなる新規ヒト化抗CD73モノクローナル抗体

- 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



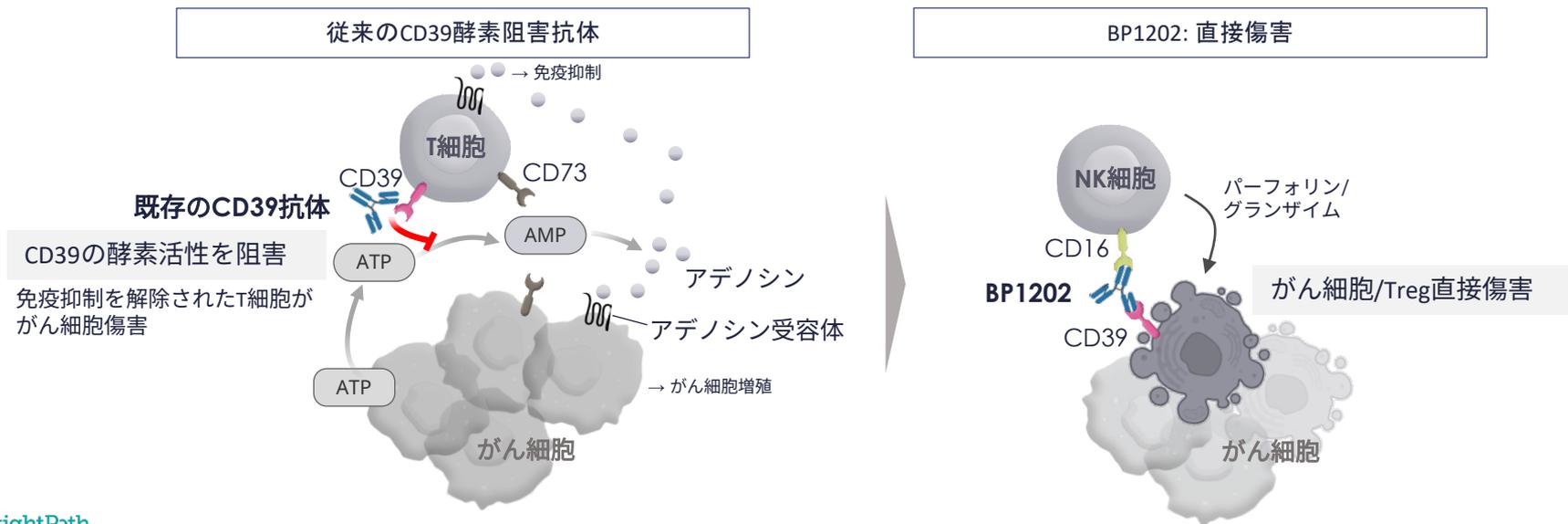
BP1200 担がんマウスにおける腫瘍抑制



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

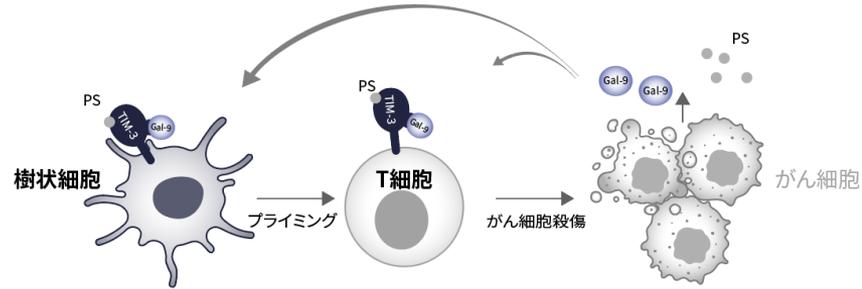
- CD39分子もCD73分子同じく、多くの腫瘍で高発現し、抗腫瘍免疫活性を低下させ予後不良を引き起こすアデノシンの産生に関わる酵素活性をもつ
- これまでの抗CD39抗体は、CD39酵素活性阻害のみを作用メカニズムとして開発されてきた
- 当社は、このCD39を、特定のがん種でがん細胞そのものが、そして抗腫瘍免疫活性抑制をもたらす制御性T細胞(Treg, 「ティー・レグ」)が、高発現していることに着目
- 当社は、抗体を改変し、CD39を目印としてがん細胞とTregを殺傷する抗体を創生



BP1210 (抗TIM-3抗体)

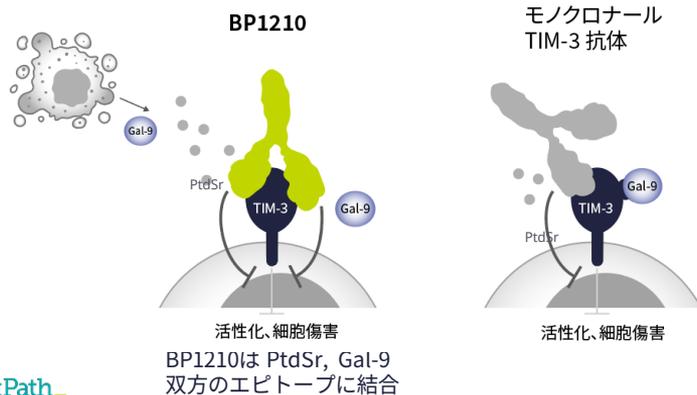
■ すべてのリガンド結合を阻止するバイパラティック抗体

- 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

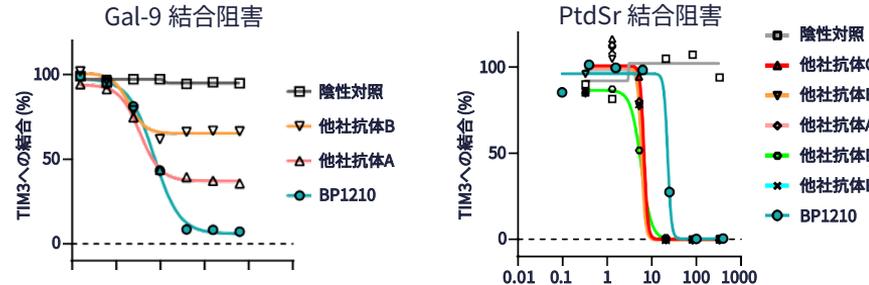


TIM3には樹状細胞のインフラソーム活性化を制御することで抗腫瘍免疫を抑制する (Dixon, et al. 2021)

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)

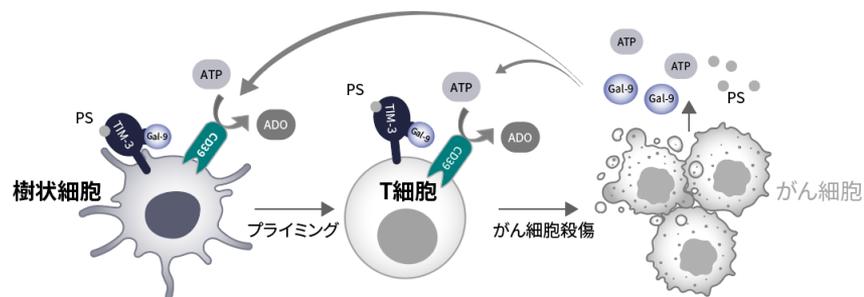


■ BP1210は開発先行他社抗体が実現していないリガンドGal-9の結合阻害を、PS結合阻害とともに実現

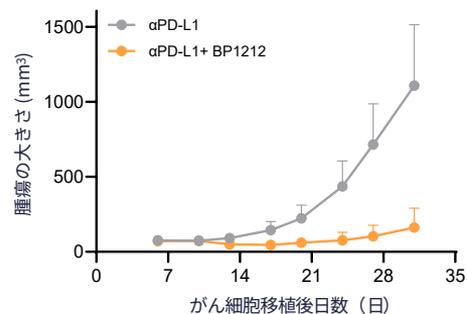
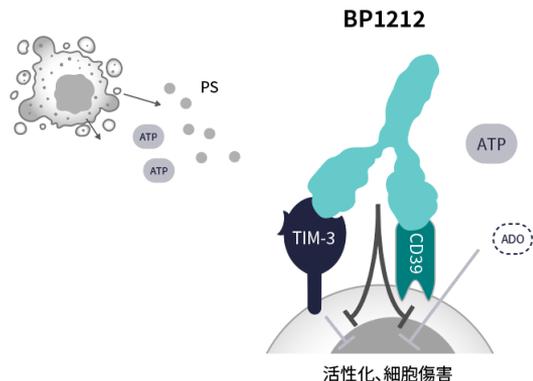


■ CD39とTIM-3への作用メカニズムを捉え直したファースト・イン・クラス二重特異性抗体

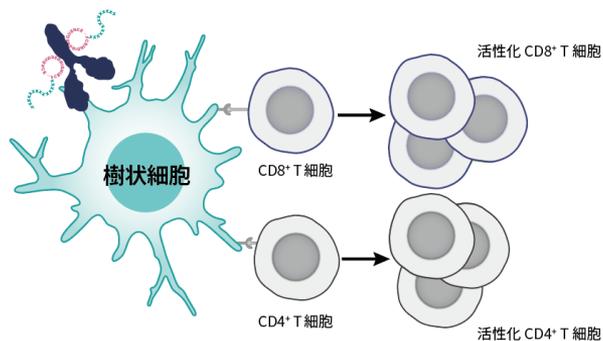
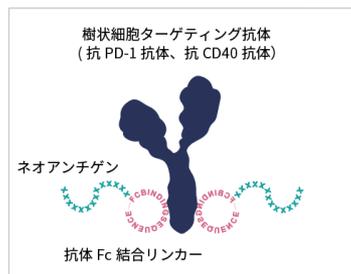
- 2つの抗腫瘍免疫活性抑制分子CD39とTIM3を標的とする作用メカニズムを再定義
- 2つの免疫抑制経路を複合的に阻害することにより、従来のTIM-3のみを標的とする抗TIM-3抗体またはCD39のみを標的とする抗CD39抗体では成しえなかった抗腫瘍免疫活性亢進を実現
- 従来の抗TIM-3抗体、抗CD39抗体はCD39とTIM3双方を発現する疲弊T細胞を標的としてきたが、当社は新たに、これらを共発現する樹状細胞における同細胞の機能抑制に着目した
- CD39とTIM3を共発現する細胞を選択的にターゲティングする抗CD39x抗TIM-3バイスペシフィック抗体BP1212による抑制解除は強力な抗腫瘍免疫の活性化をもたらす



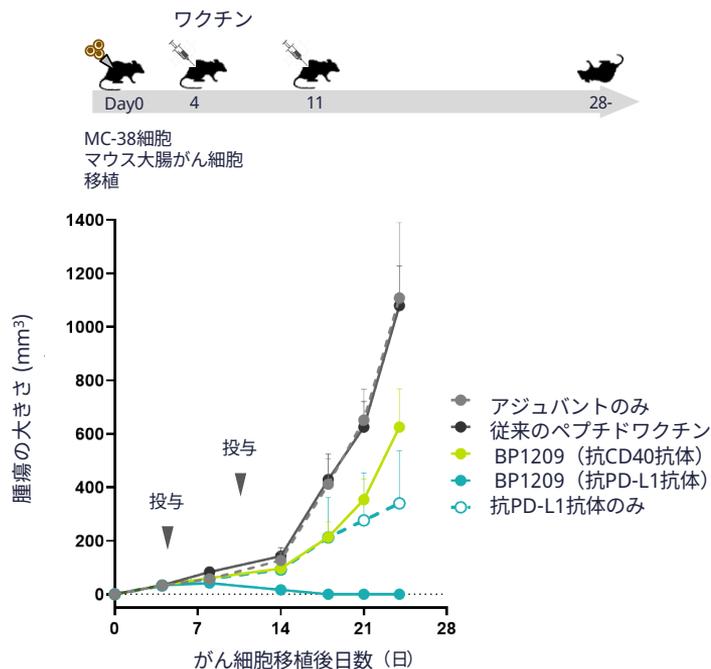
- BP1212は担がんマウスモデルにおいて、免疫チェックポイント抗体併用により強力に腫瘍増殖を抑制した



■ 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



出所: プライトパス・バイオ ESMO 2021

市場規模

BP2201(iPS-NKT)の国内想定患者数

- 現在の非改変iPS-NKT再生細胞療法は、特定のがん種で発現する抗原を標的にするCAR遺伝子を導入したCAR-Tと異なり、幅広いがん種への適用が可能
- 現在臨床試験を進めている頭頸部がんの患者数（日本国内）

- 年間頭頸部がん罹患数(新規診断数) 27,000人*1
- 現在の治験対象：切除不能・局所進行/再発頭頸部がん患者

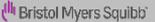
x 局所進行(ステージIII/IV) 35%*2 x 再発率 50%*3 = 4,600人

出所：

1. 国立がん研究センター 全国がん罹患データ(2016年～2017年)及び将来推計
2. 日本頭頸部がん学会 頭頸部悪性腫瘍全国登録の2017年度初診症例の報告書
3. Adelstein DJ, Li Y, Adams GL, Wagner H Jr, Kish JA, Ensley JF, et al. An intergroup phase III comparison of standard radiation therapy and two schedules of concurrent chemoradiotherapy in patients with unresectable squamous cell head and neck cancer. J Clin Oncol. 2003;21: 92-8.

BP2202のポジショニング

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)			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
	開発企業	非遺伝子改変	リンパ腫 標的	白血病 標的	多発性骨髄腫 標的		
iPS-T		2018				 HER2 (2023)	 小野薬品工業 2018 (2候補品)
iPS-NK				 CD19 (2023)	 非開示(-)	 TACI/BCMA(-)	 2021 (複数候補品) Creating Possible  2021
		 CD19 (2022)	 非開示(2024)	 非開示(2024)	 2019 (3候補品)  2021 (4候補品)		
					CD38 (2025)	EGFR (2025) GPC3 (2024)	
iPS-NKT		2020 (RIKEN)	➔				千葉大学医学部附属病院 (First-in-human試験)

—: 研究段階でIND予定非公表

出所:各企業

BP2301(HER2 CAR-T)の国内想定患者数

■ HER2は、多くのがん種で発現し、がん治療標的として適格であることが臨床で確認されている

HER2発現がん種におけるアンメット メディカル ニーズ

	がん種	罹患数 (千人)	5年生存率	HER2陽性率*4
		日*1 / 米*2 / 欧*3	(遠隔転移有)	
2022.5に開始された 医師主導治験の対象	骨・軟部肉腫	0.85 / na / na (希少がん)	15%*5	10-60%
	子宮体がん	17 / 67 / 51	17%	50-80%
	卵巣がん	13 / 21 / 30	16%	20-30%
適応がん種の 拡大余地	乳がん	93 / 284 / 271	28%	15-40%
	胃がん	159 / 27 / 52	6%	10-38%
	大腸がん	141 / 135 / 249	14-16%	3-10%
	膠芽腫	1.8 / 9 / 12	10%	20-30%

¹ 小児慢性特定疾病情報センター, Datamonitor Healthcare® | Informa, 2021

² American Cancer Society, Cancer Facts & Figures 2021;

³ WHO, Global Cancer Observatory, CANCER TODAY 2020;

⁴ Haffner et al. J Clin Oncol. 2021, Iqbal et al. Mol Biol Int. 2014, Wang H, et al. Cancer Invest 2014, Zhang et al. Int J Clin Exp Pathol 2016, Mason et al. Clin Cancer Res 2016, Ganti et al. modern pathology 2006, Liu et al. Cancer Res 2004, Grushko et al. Gynecologic Oncol 2008, Berchuck et al. Cancer Res 1990, Bartlett et al. Brit J Cancer 1996, Cronin et al. Cancer Invest. 2010, Gravalos et al. Annals Oncol 2008, Tu et al. Exp Ther Med 2018, Ang YL, et al. Crit Rev Oncol Hematol 2016, Ryan E, et al. Front Oncol 2020

⁵ 国立がん研究センター中央病院の治療成績 進行再発骨軟部肉腫例(2002年から2007年)の予後(集学的治療が実施された症例)

BP2301(HER2 CAR-T)の競合環境

■ HER2 CAR-Tの先行例

- BP2301は、既に米国で良い臨床成績を収めているHER2 CAR-Tをより良いフォーマットで展開するコンセプト

臨床試験	中国人民解放军总医院 2017	米ベイラー医科大学 2017	米ベイラー医科大学 (HEROS2試験) 2019	BP2301 FY2022 1Q開始
CAR遺伝子導入	レンチウイルスベクター	レトロウイルスベクター	レトロウイルスベクター	piggyBac* (非ウイルス)
CARコンストラクト	オリジナル aHer2 4-1BB	FRP5 CD28	FRP5 CD28	FRP5 CD28
治験対象がん種	胆管細胞がん すい臓がん	膠芽腫	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性 かつ転移病変有り)	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性) 婦人科がん
患者数	11	17	10 (骨肉腫5例)	
有害事象	中程度	中程度	中程度 -DLT/輸血/感染症無し -CRSはgrade 2まで	
臨床効果	1 PR	1 PR	2 CR	
体内でのCAR-T細胞数	中	少	多 -全例で7日目までに細胞数増加 -6週後以降も検出	

*信州大学中沢洋三教授らの非ウイルスCAR遺伝子導入法+当社と共同創製の細胞培養法(特許共同出願中)により実現

BP2301(HER2 CAR-T)の競合環境(続)

■ 同じ製品コンセプトの先行例

- 製品コンセプト：疲弊抵抗性をもつ幹細胞様メモリーT細胞を駆使し固形がんにも有効なCAR-T細胞を創製
- 同じ非ウイルス遺伝子導入法を用い幹細胞様メモリーCAR-Tを作製するCAR-Tプレイヤー：POSEIDA

ブライトパス	主な相違点	開発品	段階	がん種	開発企業
BP2301	<ul style="list-style-type: none">• HER2標的 vs. MUC-1 標的• 自家 vs. 他家	P-MUC1C-ALLO01	Ph1	固形がん	POSEIDA

出所：企業

BP1200(抗CD73抗体)の競合環境

■ 抗CD73抗体の先行開発品

- アデノシン産生に関わるCD73を標的とする抗体の開発状況

開発企業	開発品	標的	現在の開発段階	備考
AstraZeneca	Oleclumab (MDI9447)	CD73	Ph3	抗PDL-1抗体との併用（非小細胞肺がん）、Ph2（乳がん）、P1b/2(膵がん)
Arcus (Gilead)	AB680	CD73 (低分子)	Ph2	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺がん）
I-Mab	Uliledlimab (TJ004309)	CD73	Ph2	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺がん）
Akeso	AK119	CD73	Ph2	抗PD-1/VEGF抗体との併用、（非小細胞肺がん）
Coherus/ Surface	NZV930	CD73	Ph1	抗PD-1抗体、化学療法剤との併用（固形がん）
Corvus	CPI006	CD73	Ph1	抗PD-L1抗体、化学療法剤との併用（頭頸部扁平上皮がん）
Innate	IPH53	CD73	Ph1	抗HER2抗体、化学療法剤との併用（固形がん）
Oric	ORIC-533	CD73 (低分子)	Ph1	（多発性骨髄腫）

BP1202(抗CD39抗体)の競合環境

■ 抗CD39抗体の先行開発品

- BP1202の差別化ポイント：アデノシン産生に関わるCD39酵素の阻害機能に加えて、CD39高発現Treg(抑制性T細胞)を殺傷する機能を付加したエンジニアリング抗体であること

開発企業	開発品	標的	現在の開発段階	備考
AstraZeneca /Innate Pharma	IPH5201	CD39	Ph2	抗PD-L1抗体、化学療法剤との併用（非小細胞肺癌）
Abbvie/Trishula	TTX-030	CD39	Ph2	抗PD-1抗体との併用（膵がん）、Ph1b(固形がん)
Arcus	AB598	CD39	Ph1	抗PD-L1抗体との併用（固形がん）
Elpiscience	ES002	CD39	Ph1	（固形がん）
Elpiscience	ES014	CD39 x TGF-β	Ph1	（固形がん）
Junshi	JS019	CD39	Ph1	（固形がん、リンパ腫）

出所：各企業

BP1210(抗TIM3抗体)の競合環境

■ 抗TIM-3抗体の先行開発品

- BP1210の差別化ポイント: TIM3の抑制シグナルを引き起こすリガンドの結合阻害を全種類で可能にするバイパラトピック抗体であること

開発企業	開発品	標的	現在の開発段階	備考
GSK	Cobolimab	TIM3	Ph3	抗PD-1抗体との併用（非小細胞肺癌）
Incyte /Agenus	Verzistobart	TIM3	Ph2	抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用（頭頸部扁平上皮がん、子宮内膜がん）、Ph1/2(悪性黒色腫)
AstraZeneca	Sabestomig	TIM3 x PD-1	Ph2	バイスペシフィック抗体（固形がん）、Ph1（血液がん）
BeiGene	Surzebiclimab	TIM3	Ph2	抗PD-1抗体との併用（頭頸部扁平上皮がん）
Servier	Sym023	TIM3	Ph1/2	単剤および抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用（固形がん）

出所：各企業

がんワクチンの競合環境

■ がんワクチンの先行開発品

プラットフォーム	主な相違点	開発品	段階	がん種	併用薬	開発企業 (導出先/共同開発)
BP1209	• 抗体+ペプチド vs. DNA	VB10.NEO	Ph2	頭頸部他	PD-1抗体	Nykode (Roche)
	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	mRNA-4157	Ph2	高リスク メラノーマ	PD-1抗体	Moderna(Merck)
	• 抗体+ペプチド vs. mRNA	BNT 122	Ph2	結腸直腸 がん他	PD-1抗体	BioNTech(Roche)

*Nykodeは旧社名Vaccibody

出所：各企業

競争力の源泉

細胞医薬の経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP2301	iPSNKT	CAR-iPSNKT
1	幹細胞様メモリーT細胞によって固形がんのハードルを克服するCAR-T	幹細胞様メモリーT細胞を集中的に増殖させる製造技術	✓		
2	CAR-iPSNKTプラットフォーム展開	CAR-T技術 X iPS由来 NKT細胞 プラットフォーム		✓	✓

抗体医薬の経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP1200	BP1202	BP1210	BP1212
1	腫瘍環境改善による新たな抗腫瘍免疫作用メカニズム	アデノシン産生の阻害効率	✓	✓		
2	改変抗体	Fcエンハンスメント		✓		
3	二重特異性抗体	<ul style="list-style-type: none"> 免疫チェックポイント分子の徹底阻害 二重の免疫チェックポイント分子経路阻害 			✓	✓

がんワクチンの経営資源・競争優位性

	方向性	技術的な資源・競争優位性	GRN-1201	BP1209
1	免疫チェックポイント抗体を併用する複合的療法	併用療法の臨床経験	✓	
2	ネオアンチゲン対応	がんの目印としてT細胞が認識するネオアンチゲンを的確に予測するバイオインフォマティクス		✓
3	リンパ節へのワクチン送達	免疫細胞を標的とする ドラッグデリバリー・システム		✓

事業計画

2024年3月期 修正計画と実績の対比

(単位：百万円)

	期初計画	実績	差異
売上高	0	0	0
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	1,353 (973)	1,155 (775)	△197 ①(△197)
営業利益	△1,353	△1,155	197
経常利益	△1,353	△1,158	194
当期純利益	△1,357	△1,168	188

- ① 研究開発費の差異の主な内訳
第4四半期に予定されていた研究開発活動の一部が翌期に繰り越されたもの

2025年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2024年3月期		2025年3月期 予想	増減
	① 予想	実績		
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 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、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

実施中の資金調達

■ 2023年11月発行の第16回新株予約権を2024年7月に取得し、消却予定

概要

- 予約権総数: 156,600個 株式会社数: 普通株式15,660,000株
- 当初行使価額: 104円 (行使価額修正条項付き) すべて行使された場合の調達額: 1,613百万円
- 当初支出予定期間: 2023年12月～2024年12月
- 資金使途: がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費、その他事業運営資金
- 割当先: マッコーリー・バンク・リミテッド
- 現在までの調達額: 580百万円 行使率: 52.7% (2024年6月20日時点)
- 修正支出予定期間: 2023年12月～2024年6月

資金支出予定

(単位: 百万円)

資金使途	資金調達	2024年3月 までの 充当状況	支出予定時期									
			FY2023		FY2024				FY2025			
			3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q		
①がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費												
細胞医薬	第16回 (当初計画)	1,227										
	第16回 (修正後)	303	117									
抗体医薬	第16回 (当初計画)	143										
	第16回 (修正後)	148	77									
小計	第16回 (当初計画)	1,370										
	第16回 (修正後)	451	193									
②その他事業運営資金												
計	第16回 (当初計画)	244										
	第16回 (修正後)	129	50									
計	第16回 (当初計画)	1,614										
	第16回 (修正後)	580	244									

実施予定の資金調達

■ 2024年7月に第17回～第19回の新株予約権の発行を予定し、資金調達を実施予定

概要

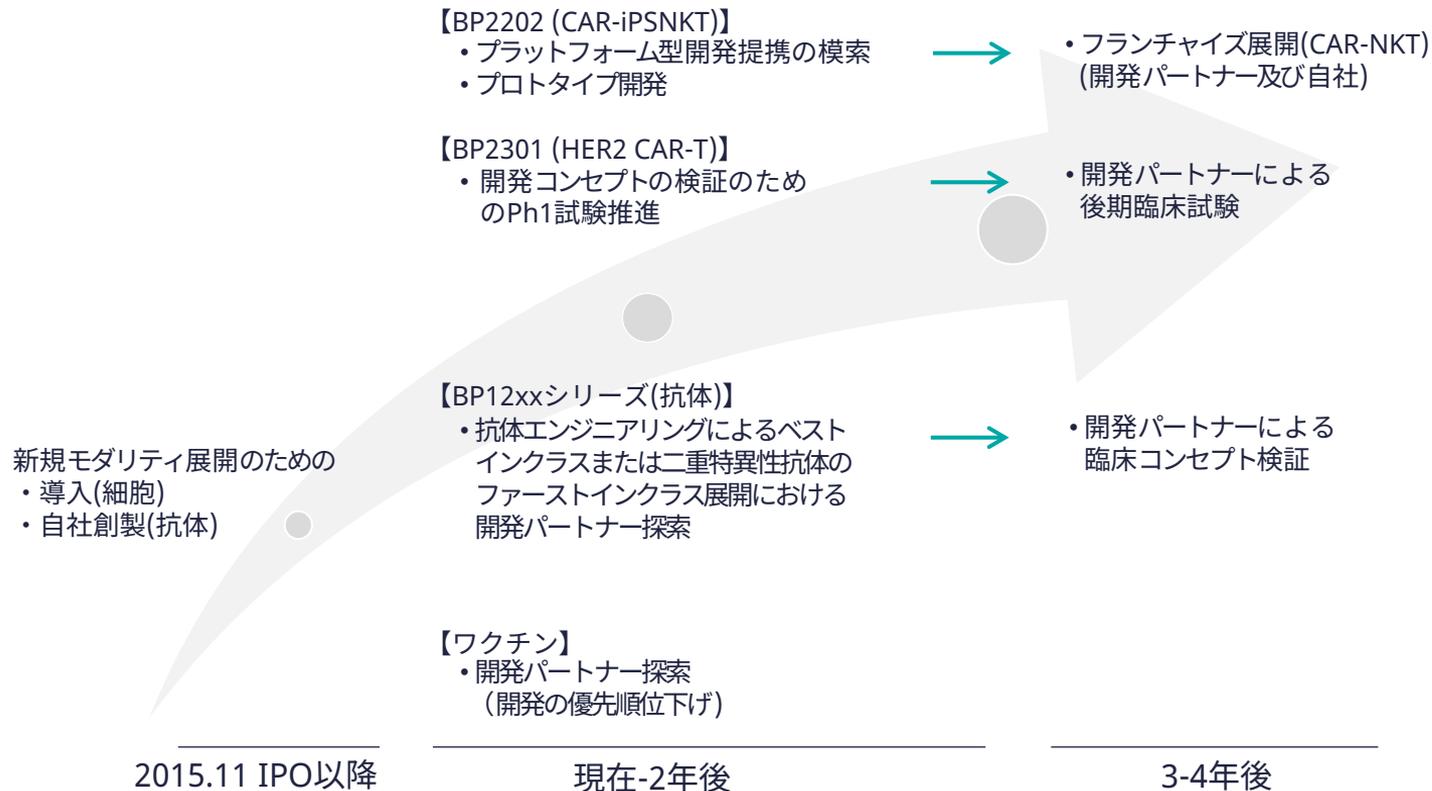
- 予約権総数: 360,000個 株式数: 普通株式36,000,000株
- 当初行使価額: 第17回 62円 (行使価額修正条項付き) すべて行使された場合の調達額: 2,232百万円
 第18回 62円 (行使価額修正条項付き)
 第19回 64円 (行使価額修正条項付き)
- 支出予定期間: 2024年7月～2026年3月
- 資金使途: がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費、その他事業運営資金
- 割当先: EVOFUND (エボ ファンド)

資金支出予定

(単位: 百万円)

資金使途	第17-19回 調達計画	支出予定時期							
		FY2024				FY2025			
		1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
①がん免疫治療薬パイプラインの研究開発費									
細胞医薬	1,368								
抗体医薬	341								
小計	1,709								
②その他事業運営資金	523								
計	2,232								

成長イメージと今後の施策



リスク情報

リスク情報

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
新薬開発の不確実性	<ul style="list-style-type: none"> 医薬品開発の成功確率が低いこと 技術革新がもたらす技術の陳腐化 	研究開発が長期化することにより、投資額が回収できず開発が中止となり、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視し、当社の技術を駆使して開発に取り組んでいます。
資金繰り	<ul style="list-style-type: none"> 研究開発の期間は長期にわたり、また日本国内のみならず海外においても研究開発活動を行っていることなどから今後も多額の資金が必要 事業計画の修正を必要とする状況になった場合、資金不足が生じる可能性 研究開発推進等のための資金調達の方法として新株発行や新株予約権付社債などを発行する可能性 新株等発行した場合、1株当たりの株式価値が希薄化する可能性 	必要なタイミングで研究開発資金を確保できなかった場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	製薬企業等とのライセンス契約から発生する契約一時金収入、マイルストーン収入、ロイヤリティ収入を研究開発中のパイプライン及び新規パイプラインに再投資することを事業及び資金サイクルとしていくことを目指しています。
競合	<ul style="list-style-type: none"> 競合他社が開発する医薬品が先行した場合、競争力が低下する可能性 	開発の遅延又は中止となる可能性、ライセンスアウトしていた場合はライセンス契約解約の可能性又は上市後に想定した販売ロイヤリティが得られない可能性があります。	中	中長期	外部環境を常に注視して開発に取り組んでいます。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

リスク情報(続)

リスクの種類	リスクの内容	事業計画の遂行に与える影響	顕在化の可能性	顕在化の時期	対応策
特許	<ul style="list-style-type: none"> 出願中の特許が成立しなかった場合又は登録された特許権が無効化された場合 優れた技術が出現して、当社の特許が陳腐化する可能性 	当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。また、出願費用・維持費用等のコストを回収できない可能性があります。	中	中長期	新たな技術の研究開発に取り組み、新規特許の獲得に取り組んでいます。また、定期的に他社の特許及び技術情報を調査しています。なお、当社のパイプラインにおいて、その実施に支障又は支障をきたす可能性のある事項は、調査した限りにおいて存在していません。
新型コロナウイルス感染症をはじめとする災害等の影響	<ul style="list-style-type: none"> 新型コロナウイルス感染拡大に伴い、当社の事業所及び研究施設並びに国内外の臨床試験・非臨床試験・製造委託先及び共同研究開発先社員等の罹患や移動制限・自粛等に伴う要員不足や原材料の納入遅延、並びに製造機能や物流・卸機能の停滞が生じる可能性 臨床試験施設において新規登録の一時中断や来院制限の措置が取られるなどした結果、臨床試験の遅延等が発生する可能性 	臨床試験施設においても感染拡現在進行中または新規に立ち上げようとしている臨床試験の遅延等の発生の可能性があります。その場合は、当社の事業、業績や財務状況等に影響を及ぼす可能性があります。	中	中長期	リスク情報共有会議を頻回開催し、当社の国内・海外の製造委託先、共同研究開発のパートナー及び臨床試験施設の状況確認やビジネスにおける影響等について、情報の把握と対応の検討、経営レベルでの議論と意思決定を行っています。

有価証券報告書の「事業等のリスク」に記載内容のうち、成長の実現や事業計画の遂行に影響する主要なリスクを抜粋して記載しています。その他のリスクは、有価証券報告書の「事業等のリスク」をご参照ください。

BrightPath_

Biotherapeutics