

2020年5月19日

各 位

会 社 名 ブライトパス・バイオ株式会社
代 表 者 名 代表取締役社長 永井 健一
 (コード番号：4594 東証マザーズ)
問 合 せ 先 管理部長 長野 清司
 (TEL：03-5840-7697)

<マザーズ> 投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

記

■開催状況

- ・開催日時 : 2020年5月18日(月) 10:30~11:30
- ・開催方法 : 対面による実開催
- ・開催場所 : 東京都千代田区丸の内1丁目7-12
 ステーションコンファレンス東京 503
- ・説明会資料名 : 2020年3月期 決算説明会

■添付資料

- ・説明会において使用した資料

以上

2020年3月期 決算説明会

2020年5月18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。

2020年3月期 決算概要

損益計算書

(単位：百万円)

	2019年3月期	2020年3月期	増減
売上高	155	11	① ▲ 144
売上原価	70	4	▲ 66
売上総利益	85	6	▲ 78
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	1,750 (1,387)	1,834 (1,484)	83 ② (97)
営業利益	▲ 1,665	▲ 1,827	▲ 161
経常利益	▲ 1,678	▲ 1,823	▲ 145
当期純利益	▲ 1,884	▲ 1,857	26

① ITK-1 Ph3試験終了に伴うマイルストーン収入及び関連受託業務の減少

② パイプライン開発の進捗

貸借対照表

(単位：百万円)

	2019年3月期	2020年3月期	増減
流動資産 <i>構成比</i>	5,161 97.3%	3,328 95.8%	① ▲ 1,833
固定資産	142 2.7%	146 4.2%	3
流動負債	148 2.8%	172 5.0%	24
固定負債	59 1.1%	66 1.9%	6
純資産	5,096 96.1%	3,235 93.1%	▲ 1,860
総資産	5,304	3,474	▲ 1,829

① 研究開発による支出

キャッシュ・フロー計算書

(単位：百万円)

	2019年3月期	2020年3月期
営業活動によるキャッシュ・フロー	▲ 1,457	① ▲ 1,784
投資活動によるキャッシュ・フロー	▲ 185	② ▲ 106
財務活動によるキャッシュ・フロー	15	8
現金及び現金同等物 増減額	▲ 1,626	▲ 1,882
期首残高	6,528	4,901
期末残高	4,901	3,018

① 研究開発による支出

② 川崎創薬研究所における研究機器購入

2021年3月期 業績見通し

(単位：百万円)

	2020年3月期 実績	2021年3月期 予想	増減
売上高	11	3	▲ 8
営業利益	▲ 1,827	▲ 1,894	▲ 66
経常利益	▲ 1,823	▲ 1,894	▲ 70
当期純利益	▲ 1,857	▲ 1,907	▲ 49
研究開発費	1,485	1,536	3.4%増

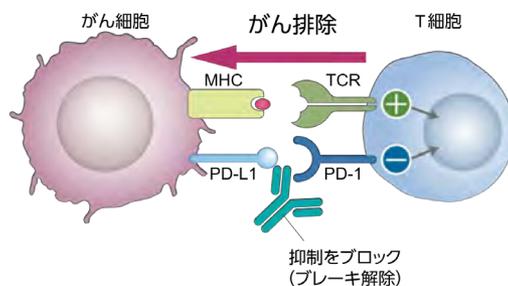
開発の進捗状況

概要

■ 新規がん免疫治療薬にフォーカス

■ 米国で第2相臨床試験を実施中 GRN-1201

肺がん
PD-1抗体併用



■ 3つのモダリティ



ワクチン

- 共通抗原 
- ネオアンチゲン(完全個別)
- “Cold tumor” to “Hot tumor”



細胞医薬

- iPS-NKT (他家)  (準備中)
- CAR-T (メモリー)
- 固形がん標的



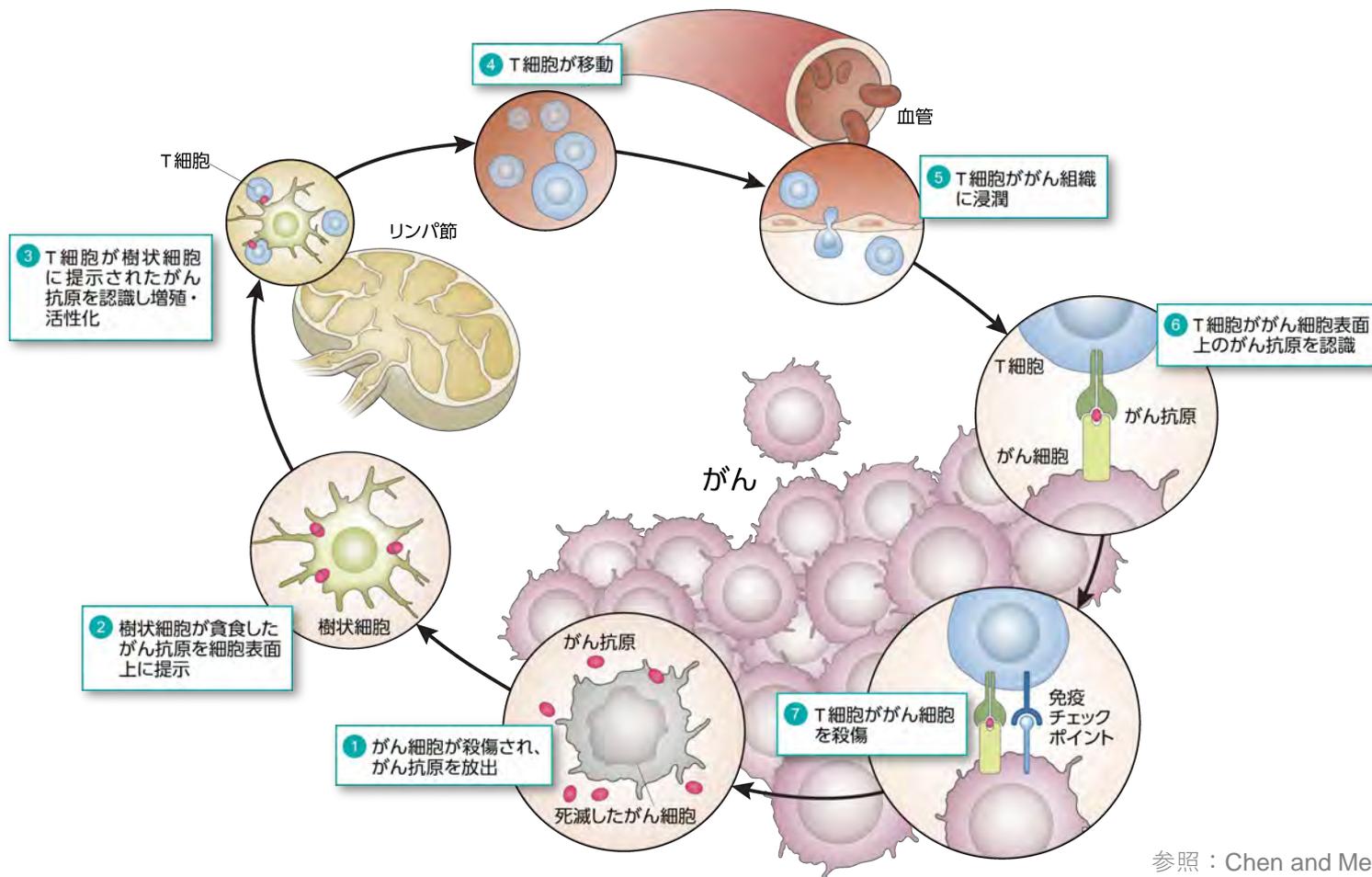
抗体

- 新規免疫チェックポイント標的
- 新規プラットフォーム

開発領域：がん免疫を成立させる”がん免疫治療薬”

- がん細胞を排除する免疫＝「がん免疫」を成立させる7つのステップ

がん免疫サイクル



参照：Chen and Mellman, Immunity 2013

がん免疫治療薬のアプローチ

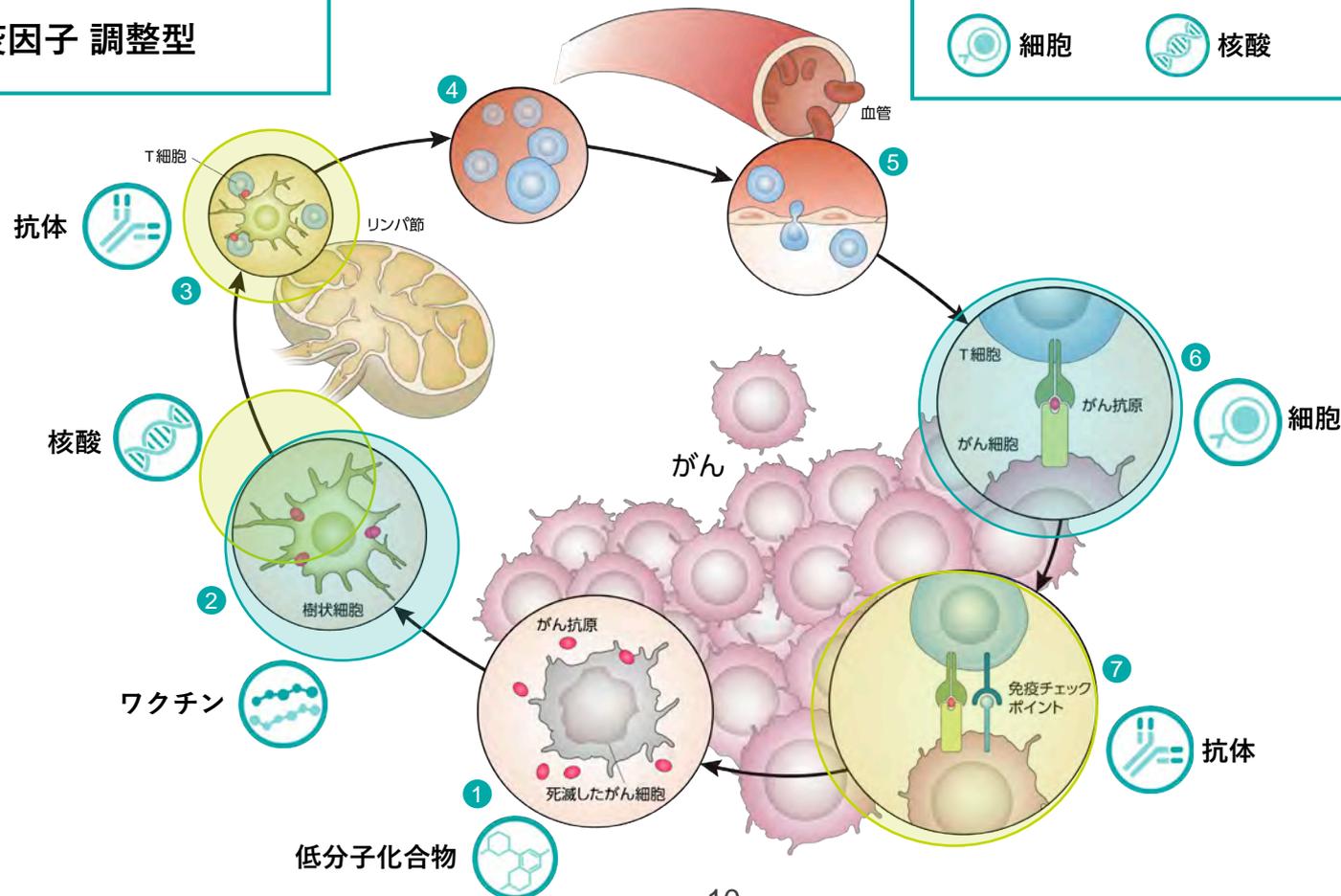
- がん種、ステージ、個人差等によって、サイクルが滞る箇所が異なり、その滞りの解消に適した方法を採用

アプローチ

- 腫瘍特異免疫 誘導型
- 免疫因子 調整型

モダリティ

- 抗体
- ワクチン
- 低分子化合物
- 細胞
- 核酸
- 腫瘍溶解性ウイルス

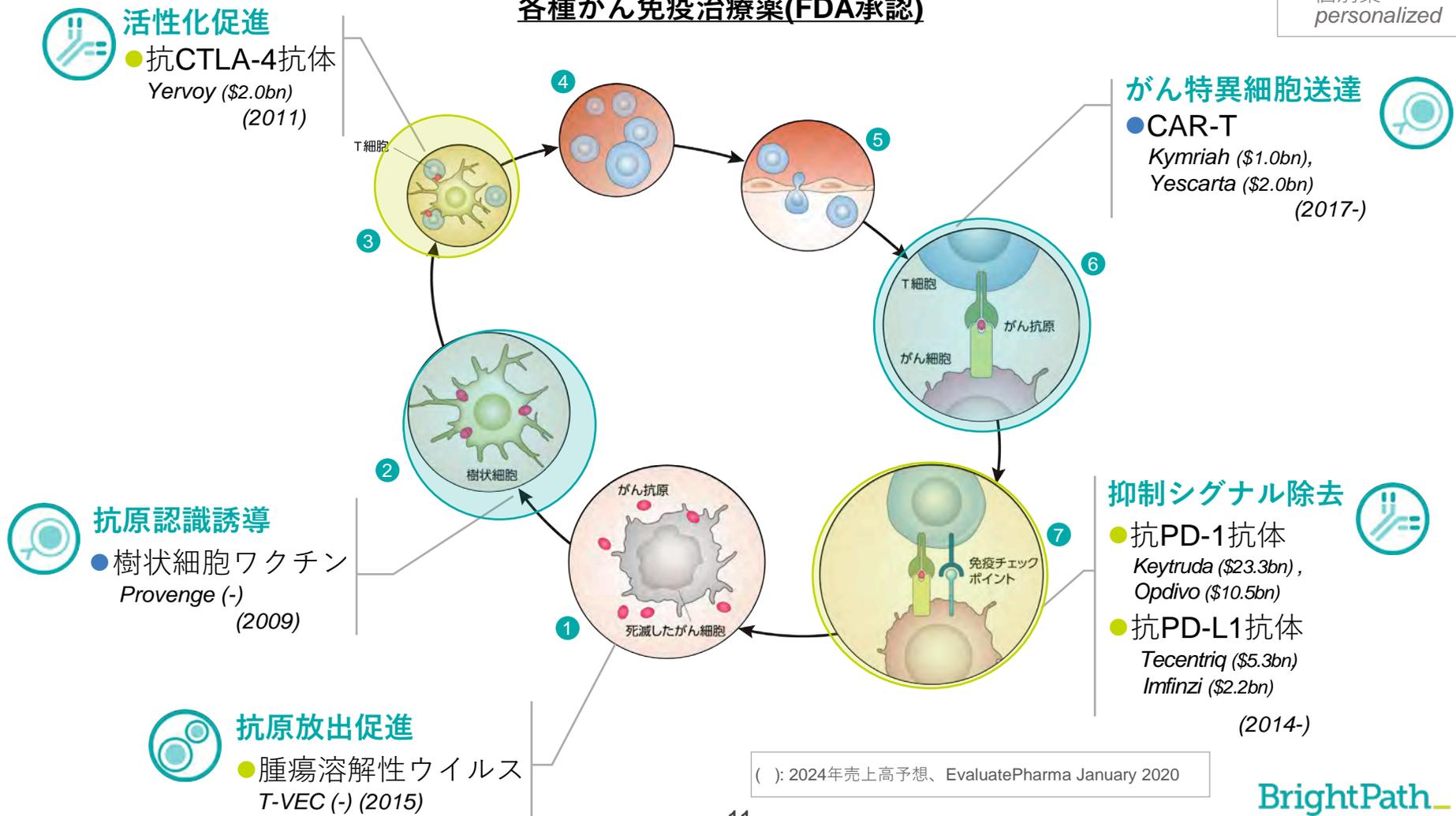


がん免疫治療薬の市場規模

■ サイクルの各ステップで薬事承認が進み、現在の上市薬だけで 約5兆円規模 (2024年)

● 共通薬
off-the-shelf
● 個別薬
personalized

各種がん免疫治療薬(FDA承認)

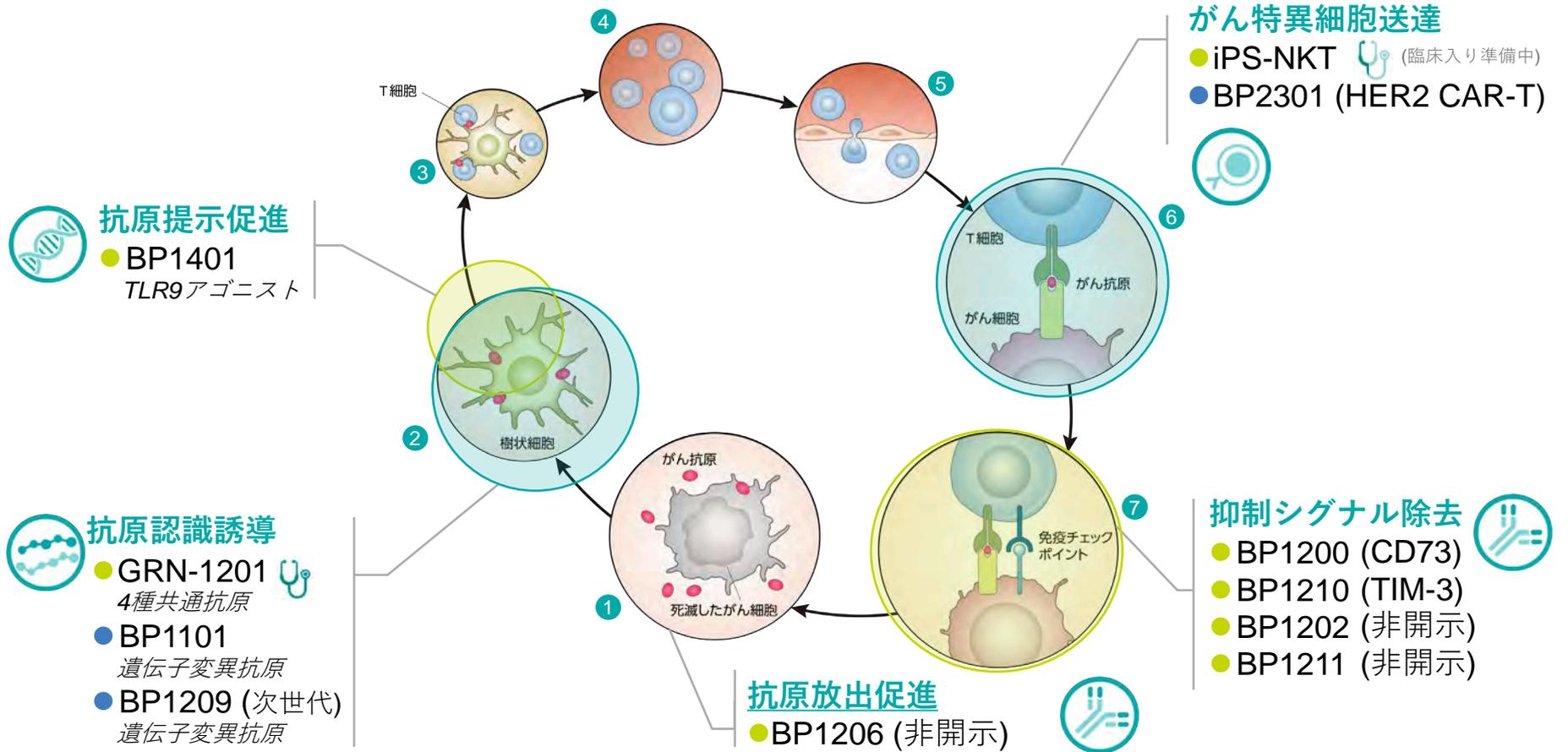


当社の開発パイプライン

- がん免疫治療薬にフォーカス
- 複数のモダリティ(ワクチン, 抗体, 細胞)
- 共通薬 (“off-the-shelf”)と個別薬 (“personalized”)の双方

 臨床試験段階

- 共通薬
off-the-shelf
- 個別薬
personalized



パイプライン

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	臨床PI	臨床PII
がんワクチン						
● GRN-1201	4種共通抗原	肺がん メラノーマ	ペンブロリズマブ併用			
● BP1101	ネオアンチゲン					
● BP1209	次世代ネオアンチゲン					
● BP1401	TLR9アゴニスト					
細胞						
● iPS-NKT	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
● BP2301	HER2 CAR-T	骨肉腫				
抗体						
● BP1200	CD73					
● BP1210	TIM-3					
● BP1202	(非開示)					
● BP1206	(非開示)					
● BP1211	(非開示)					

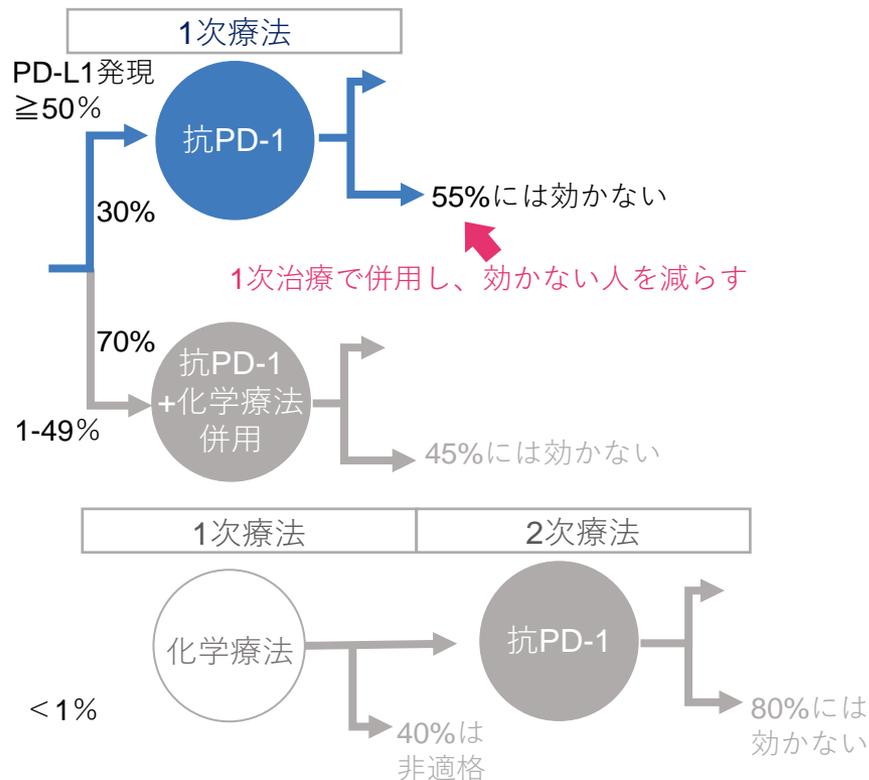
- 共通薬
off-the-shelf
- 個別薬
personalized

GRN-1201

■ 非小細胞肺癌1次治療でキイトルーダ併用の第2相臨床試験を実施中

試験タイトル	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
米国臨床試験番号	NCT03417882
被験薬	GRN-1201: HLA-A2*1拘束性4種ペプチド
対象	PD-L1陽性非小細胞肺癌 PD-L1陽性 (TPS*2 ≥ 50%)
主要評価項目	Objective Response Rate
併用薬	ペンブロリズマブ (キイトルーダ)
症例数	64例 サイモン2段階方式
実施方法	非盲検、多施設

非小細胞肺癌の治療レジメン

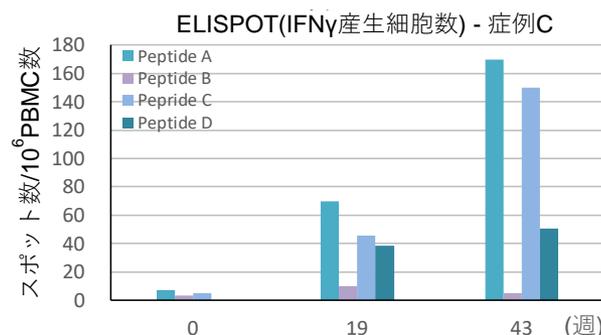
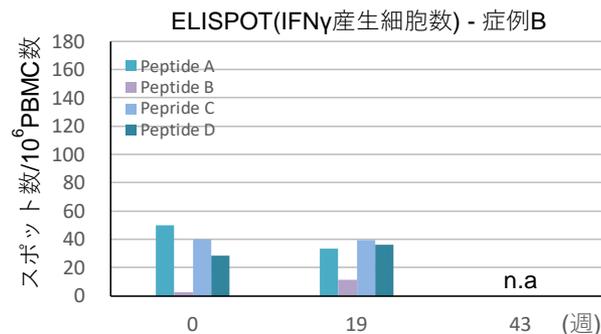
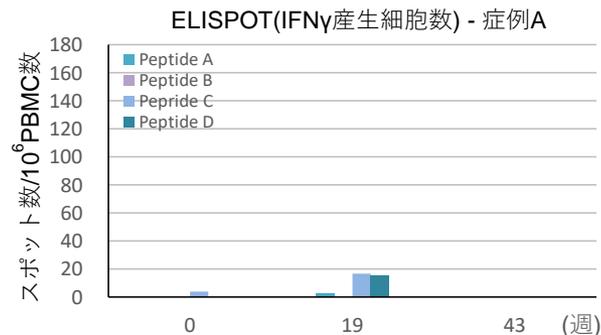
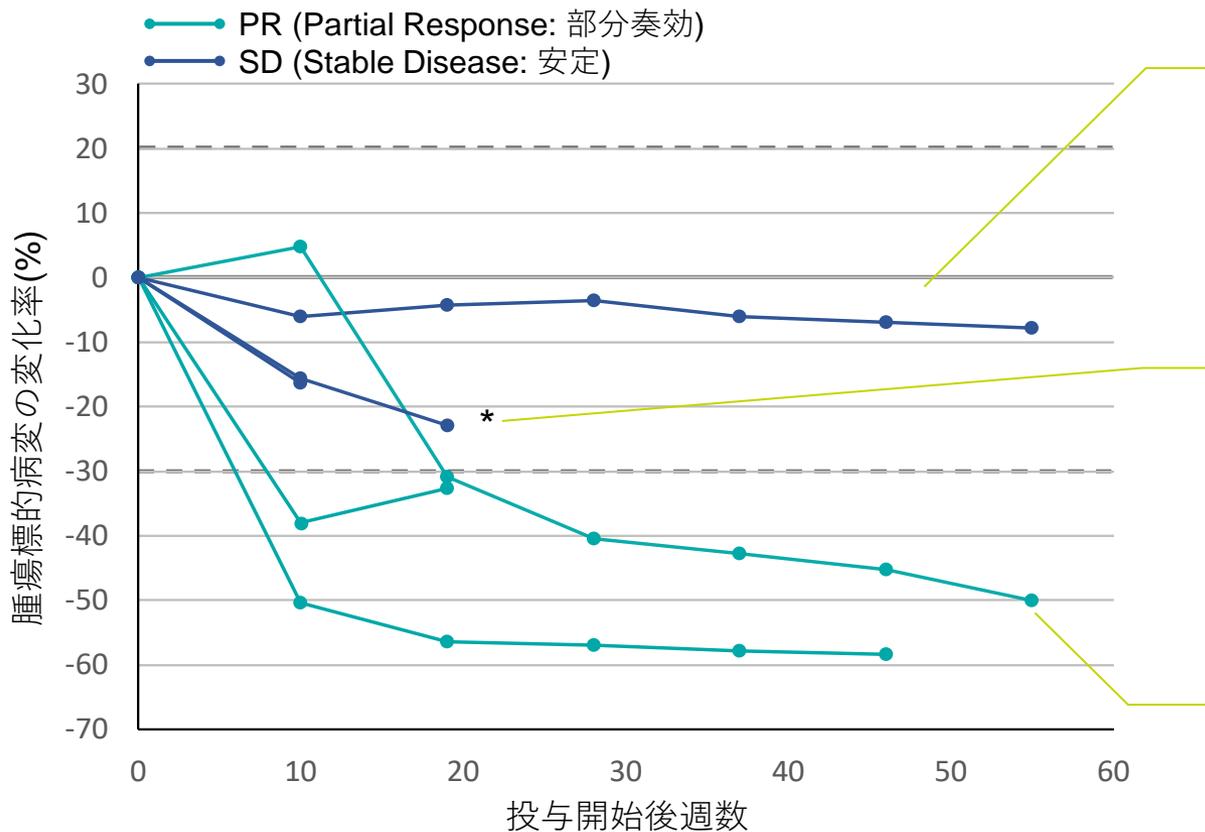


* 1 欧米人の約50%、日本人の約40%

* 2 TPS:Tumor Proportion Score, 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合

■ 第2相臨床試験ステージ1 途中報告: 臨床評価と免疫レスポンスの相関

投与開始からの腫瘍標的病変変化率(速報ベース)



Direct ELISPOT(24h)による

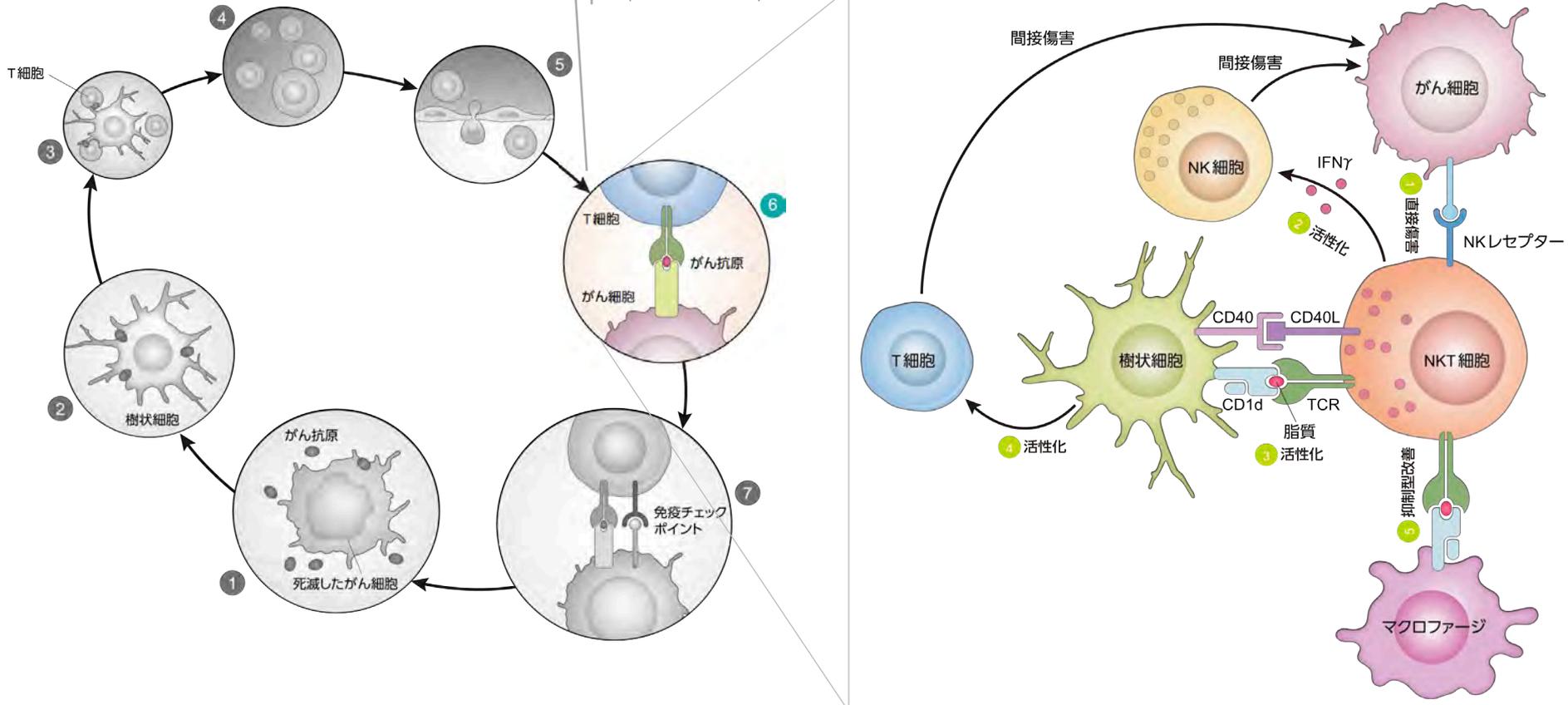
■ iPS細胞から分化誘導したNKT細胞による新規他家がん免疫細胞療法

- 多面的な抗腫瘍効果をもつものの血中に僅かにしか存在しないNKT細胞を、iPS細胞から人工的に分化誘導し、臨床効果が期待できる十分量の細胞をがん患者に供与

がん特異細胞送達

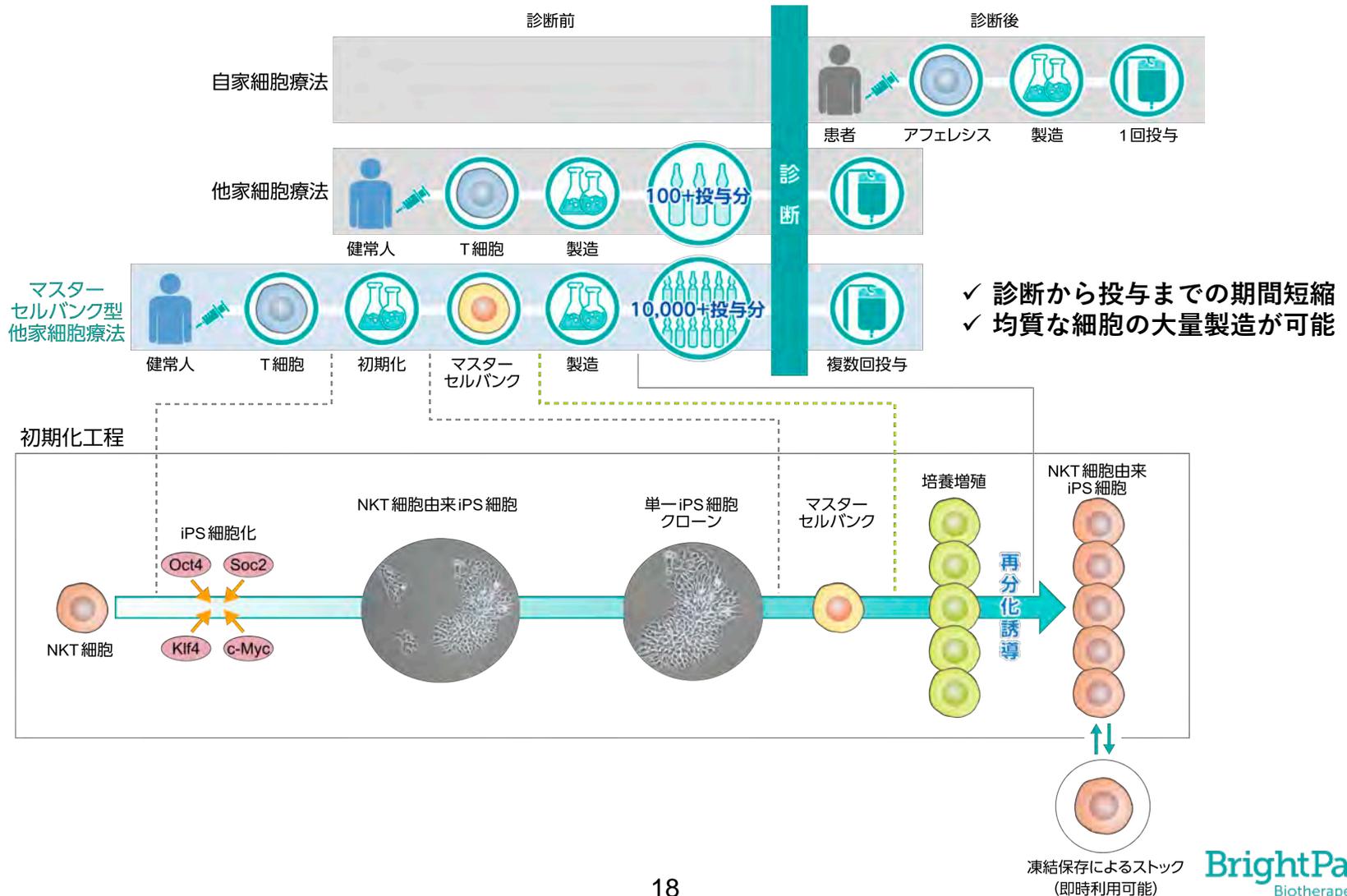
- iPS-NKT (臨床入り準備中)

多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞



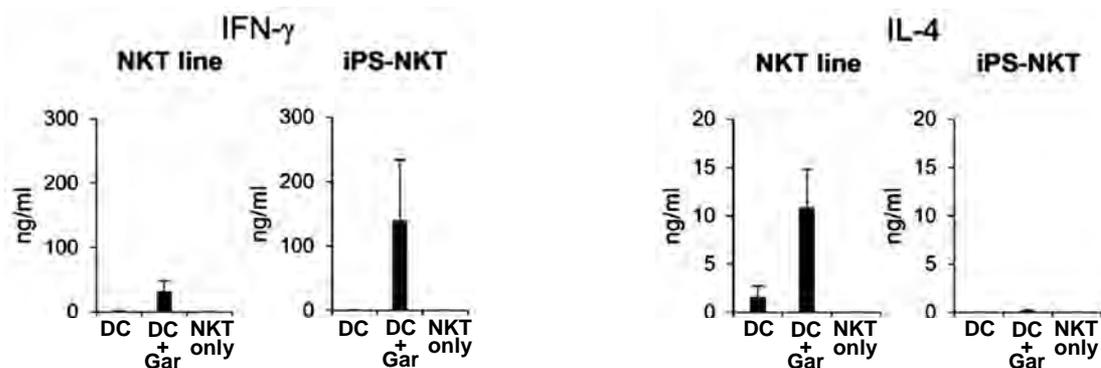
iPS-NKT

- NKT細胞に分化可能なiPS細胞のマスターセルバンクを樹立
- GMP下でのiPS細胞からのNKT細胞への再分化誘導技術を確立



■ iPS細胞化により抗腫瘍効果は増強する

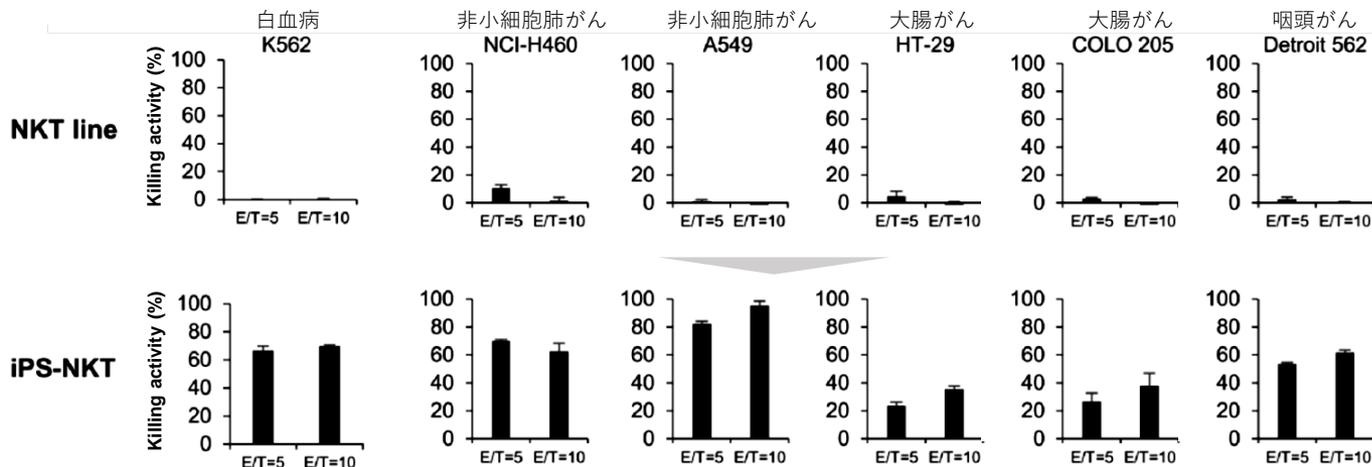
- iPS細胞化を経ると、抗腫瘍サイトカインIFN γ 分泌が増強され、免疫抑制性サイトカインIL-4分泌が減少



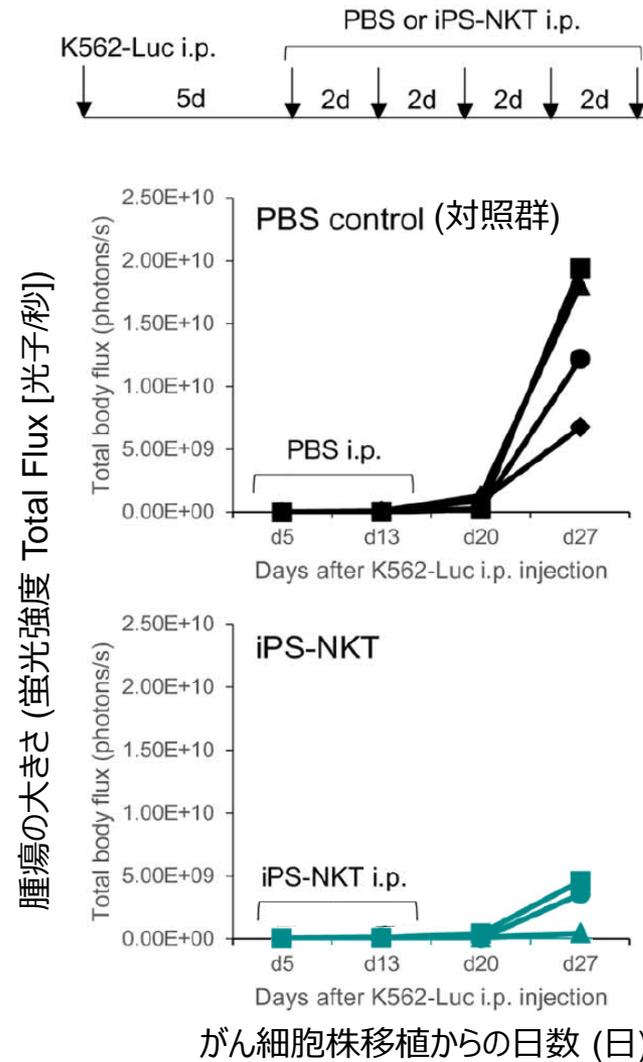
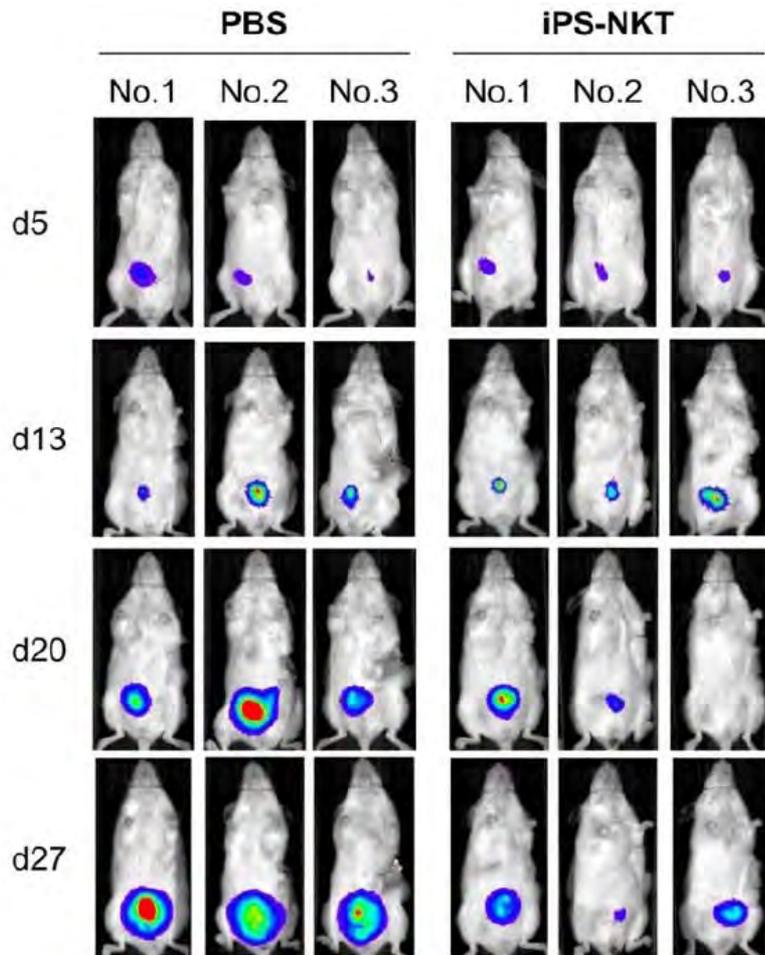
NKT Line: iPS細胞化前
iPS-NKT: iPS細胞化(初期化)後NKT細胞へ再分化誘導

DC: 樹状細胞(抗原提示細胞)と共培養
DC+Gal: 樹状細胞と抗原(α -GalCer)と共培養
NKT Only: 樹状細胞も抗原も無し

- iPS細胞化を経るとがん細胞殺傷能が増強



■ *in vivo*抗腫瘍活性：iPS-NKTはがん細胞の増殖を抑制

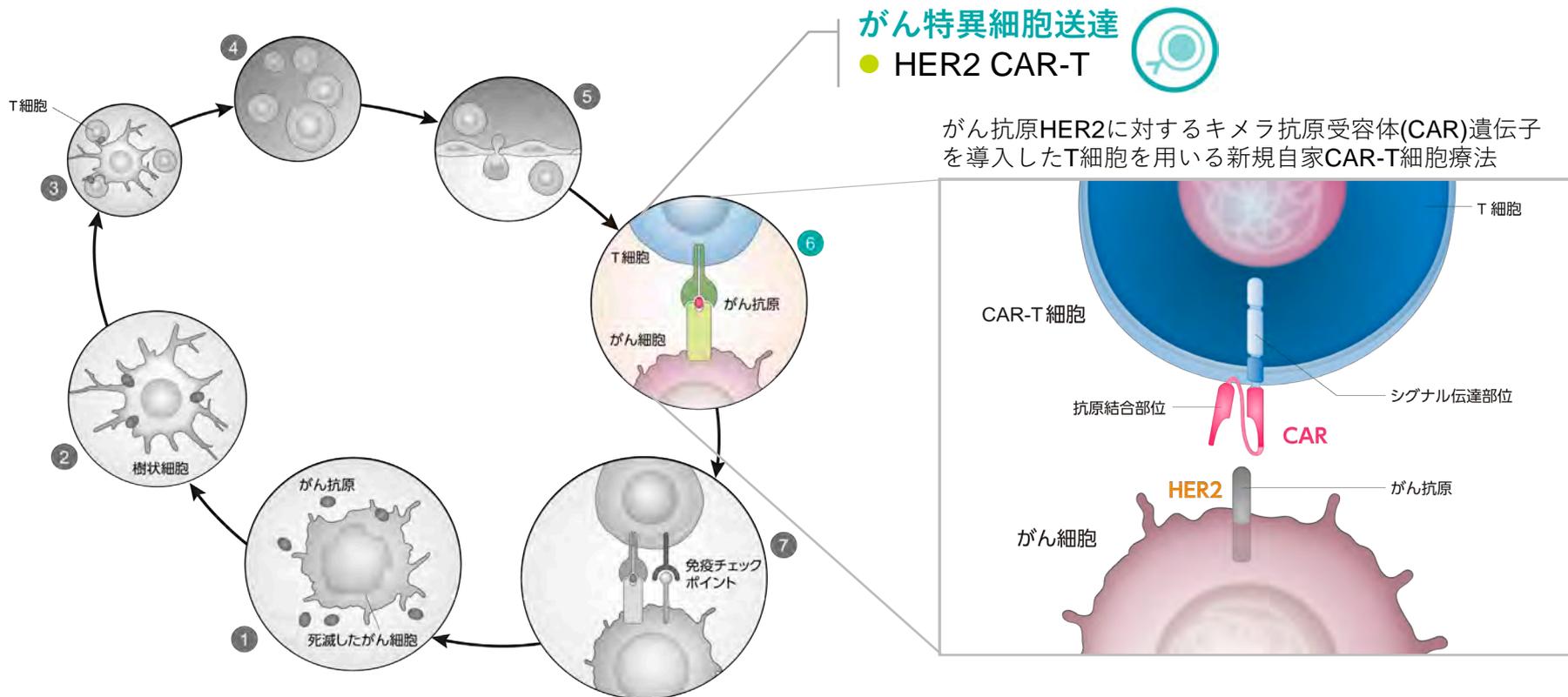


出所: Yamada et al., *Stem Cells*. 2016

- 理研が中心となって日本医療研究開発機構(AMED)の支援を受けた「NKT細胞再生によるがん免疫治療技術開発拠点」にて進められる理研創薬・医療技術基盤プログラム
- 千葉大学で頭頸部がんを対象とする医師主導治験がまもなく開始予定
- 当社は独占的開発製造販売ライセンスのオプション権を取得し、共同研究開発(2018.4-)

■ 自家HER2 CAR-T細胞療法

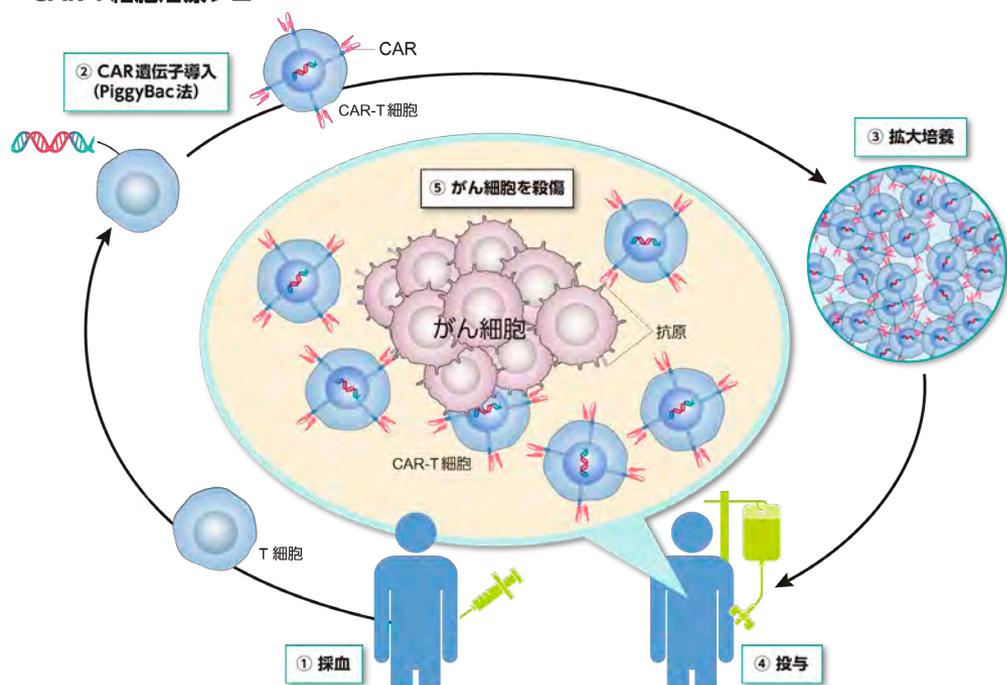
- 血液がんで奏効率70-90%にも至るCAR-Tモダリティを固形がんへ展開
- その中でも既に米国で臨床成功例*をもつHER2 CAR-Tをより良いフォーマットで展開



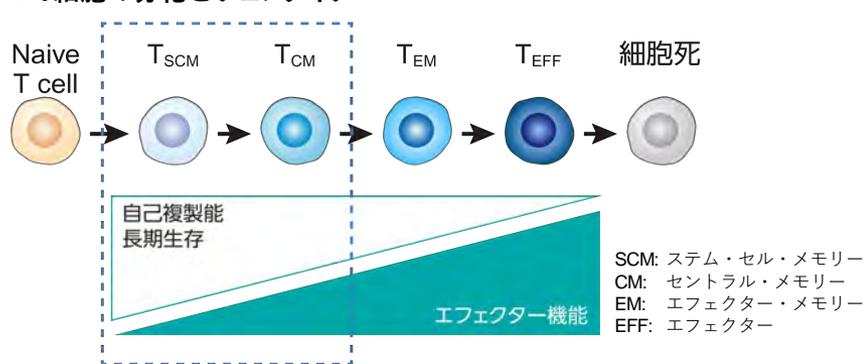
* Baylor College of Medicine HEROS2試験で完全寛解1例, 奏効率18% (AACR2019)
固形がんを対象とするCAR-T標的抗原でCRが出ているものは少ない

■ piggyBac法*によるCAR遺伝子導入により、体内で長期生存する若いメモリーフェノタイプをT細胞が獲得し、持続的な抗腫瘍効果が期待されるCAR-Tを実現

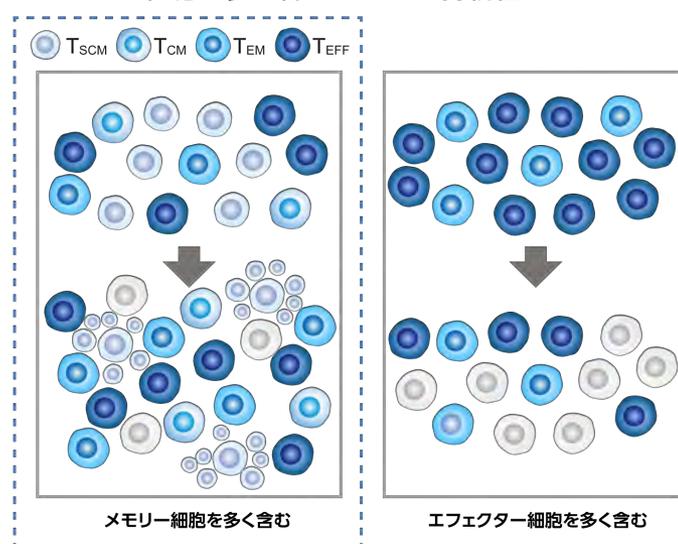
■ CAR-T細胞治療フロー



■ T細胞の分化とフェノタイプ

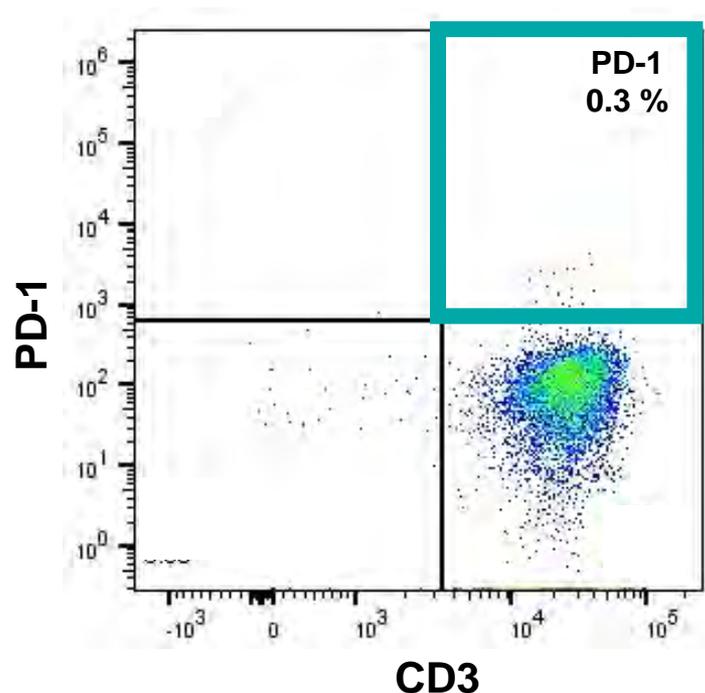
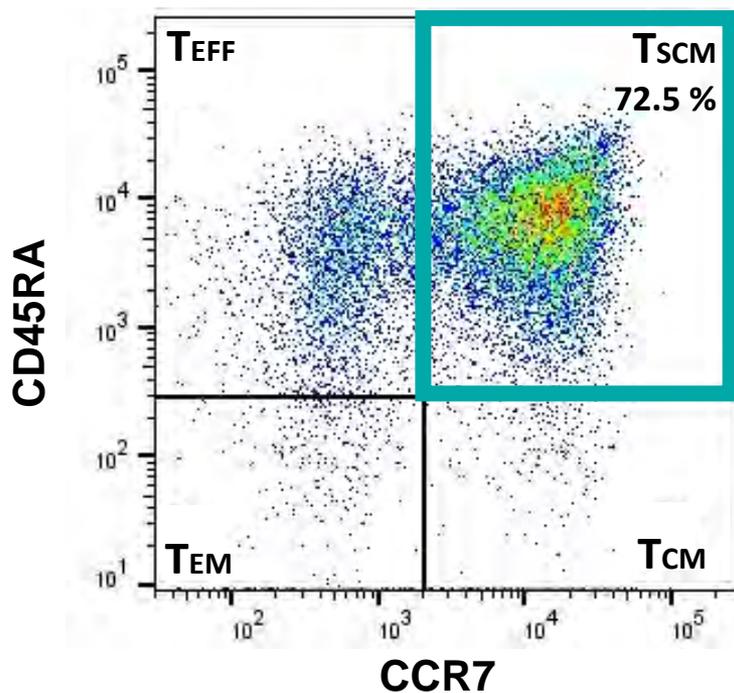


■ メモリー細胞を多く含むCAR-Tの持続性



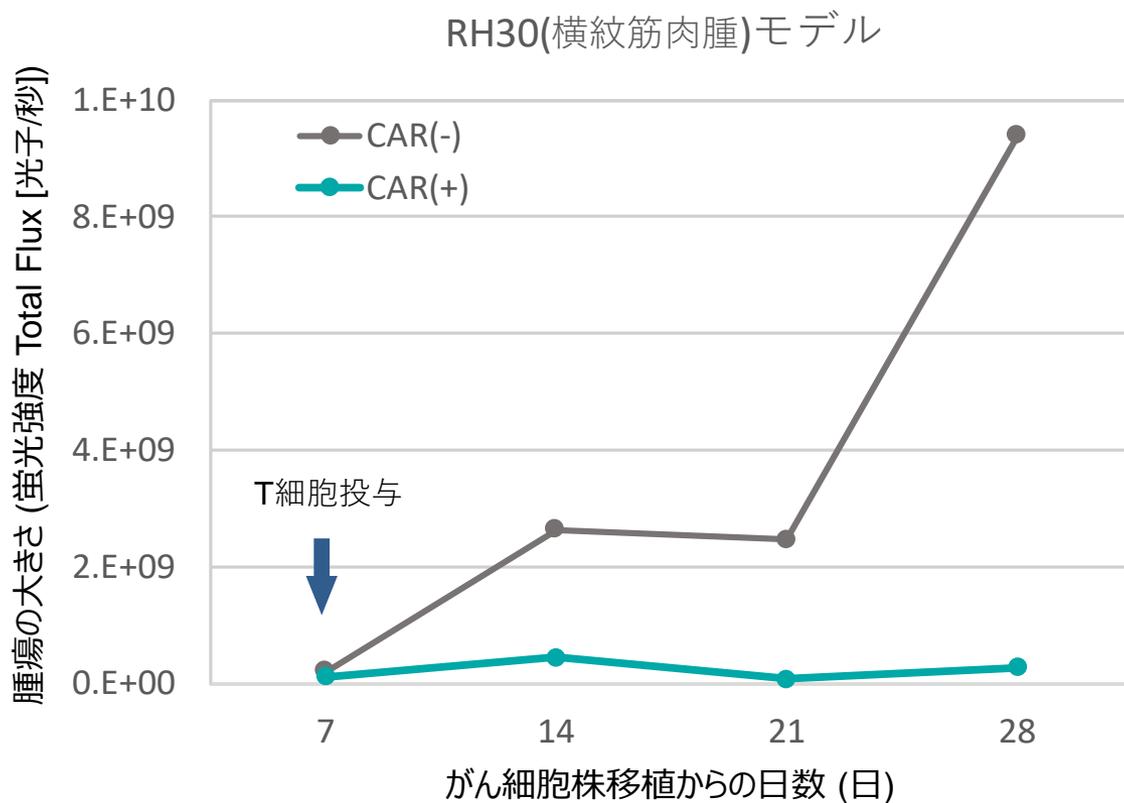
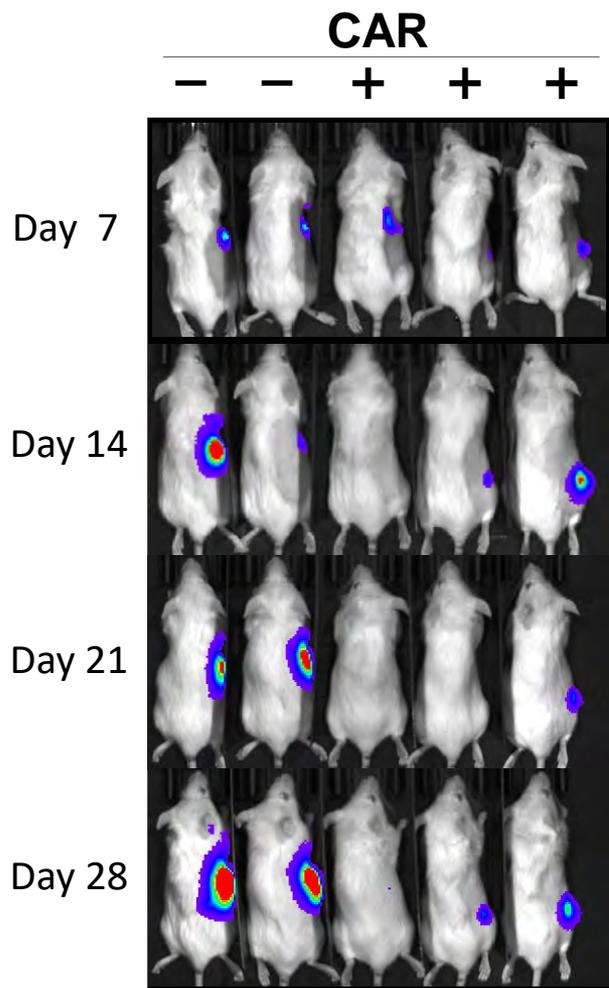
* 信州大学中沢洋三教授らの非ウイルスCAR遺伝子導入法+当社と共同創製の細胞培養法(特許共同出願中)により実現

■ BP2301細胞は自己複製能が高いメモリーフェノタイプを維持

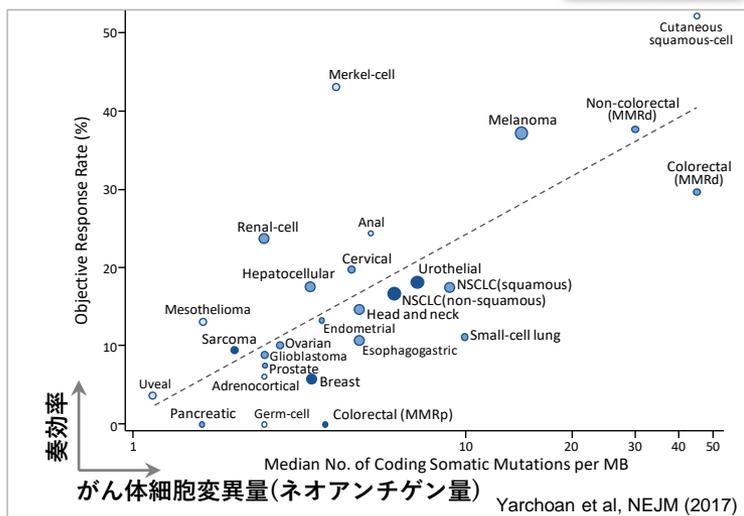
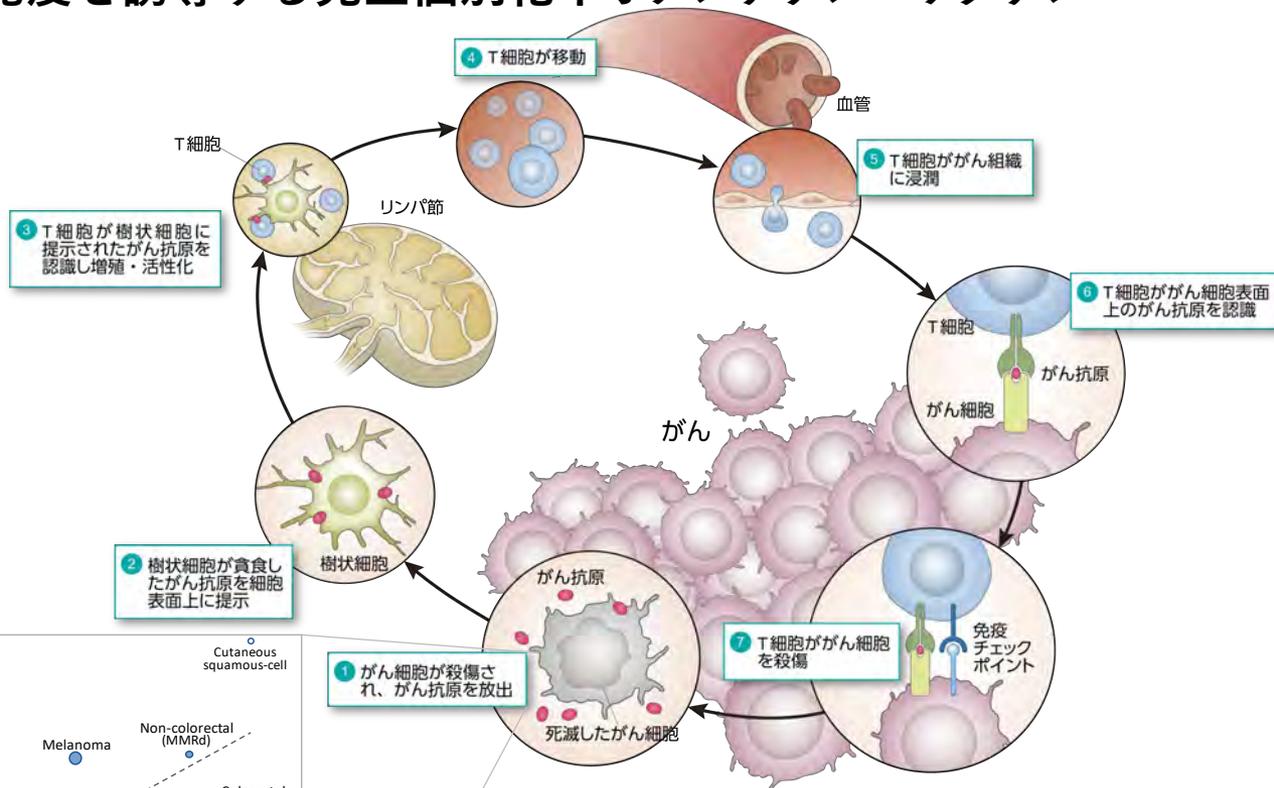


SCM: ステム・セル・メモリー
CM: セントラル・メモリー
EM: エフェクター・メモリー
EFF: エフェクター

■ *in vivo*抗腫瘍活性：BP2301はHER2陽性がん細胞の増殖を抑制



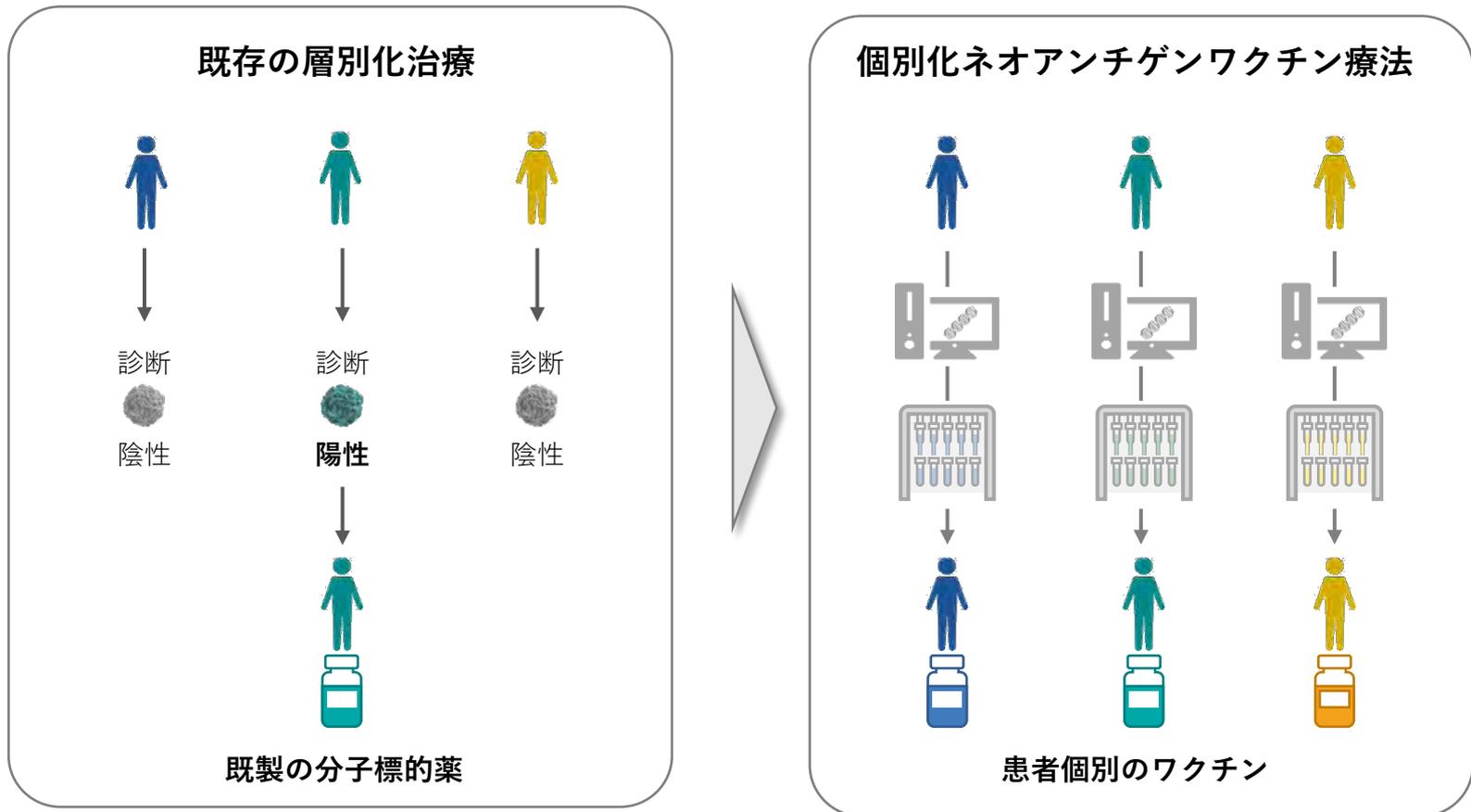
■ 一人一人で全く異なるがん特有の遺伝子変異由来の抗原(ネオアンチゲン)に対するがん免疫を誘導する完全個別化ネオアンチゲン・ワクチン



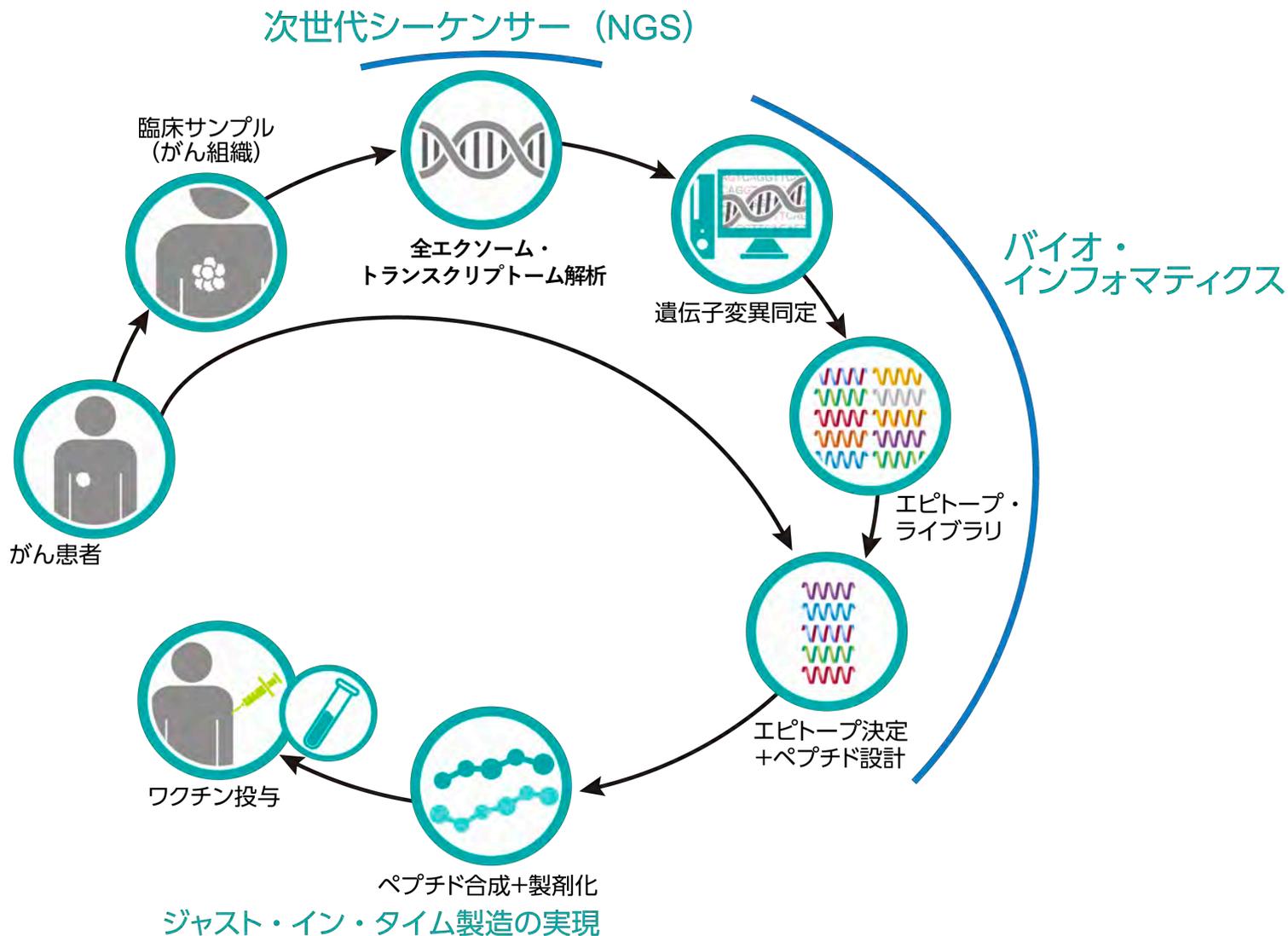
がん遺伝子変異量(ネオアンチゲンの量)と免疫チェックポイント抗体療法の奏効が相関することから、ネオアンチゲンががん免疫の標的であると考えられている

- 各患者の腫瘍を解析し、最適なワクチンを患者ごとに製造し投与

層別化治療から完全個別化治療へ



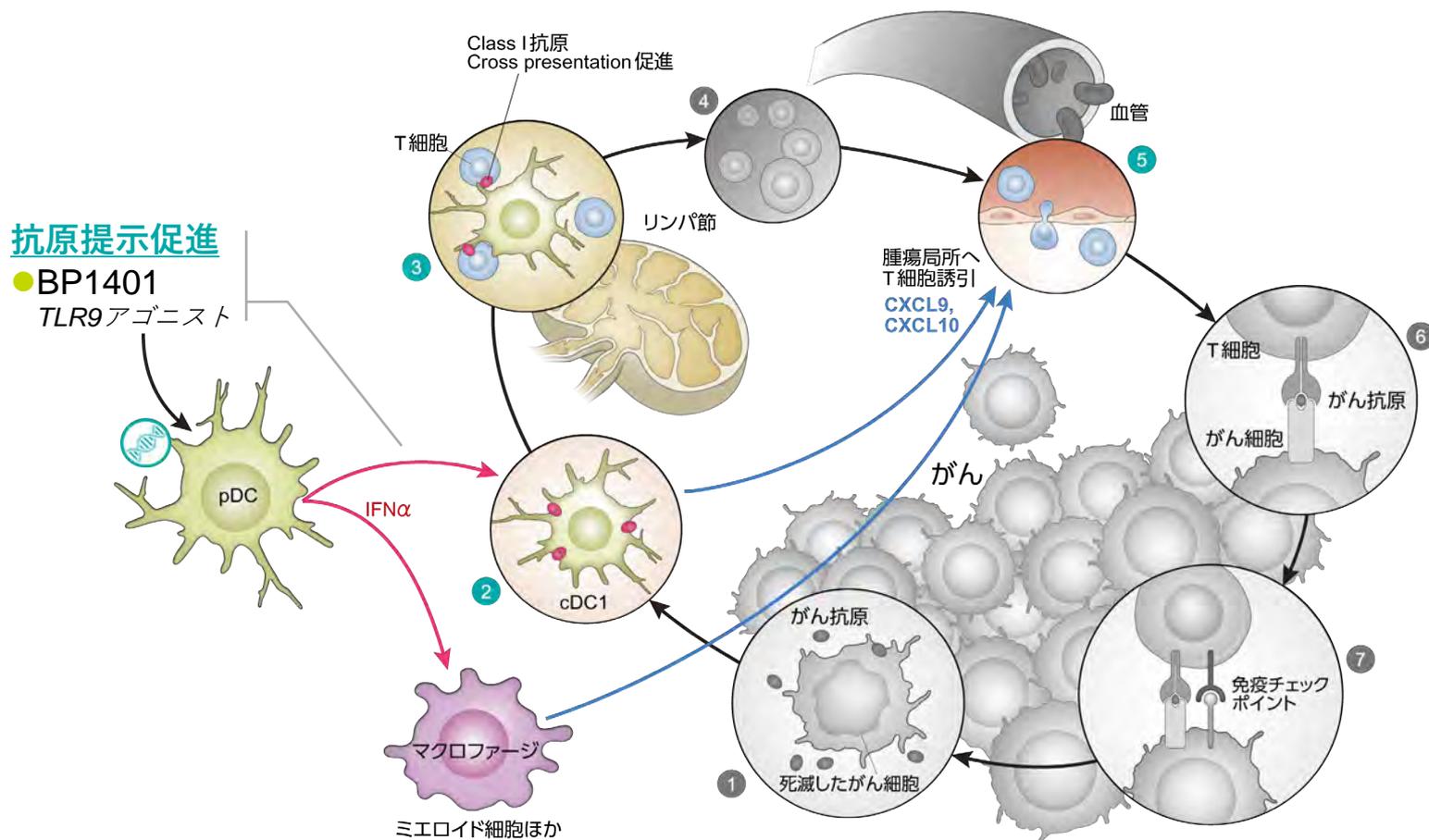
■ 完全個別化ネオアンチゲン・ワクチン療法の流れ



BP1401

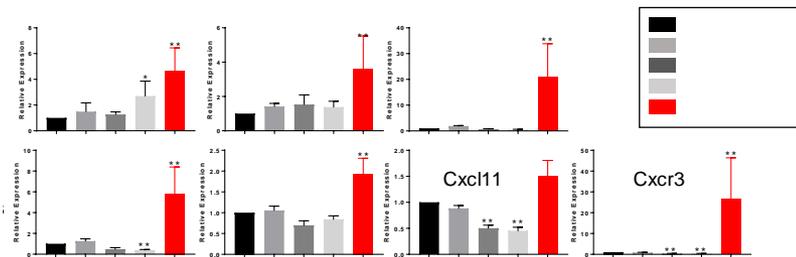
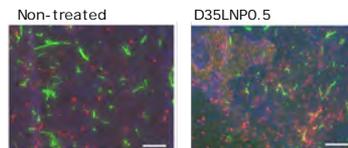
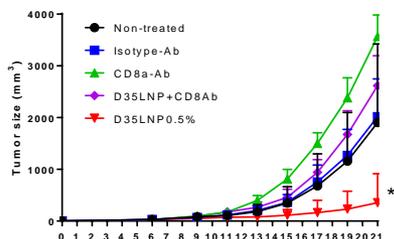
■ Cold tumorをHot tumorへ変える免疫調整因子TLR9(Toll-like receptor 9)に対するアゴニスト

- 他社の先行開発品はいずれも腫瘍局所投与なのに対し、BP1401はドラッグ・デリバリー・システムとしてLNP(脂質製剤)に包埋することで、安全に全身性の効果が期待される静注投与を可能に

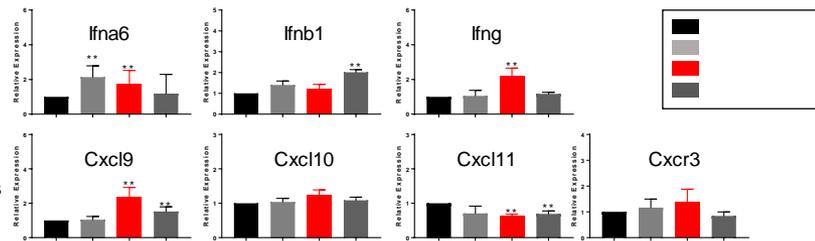
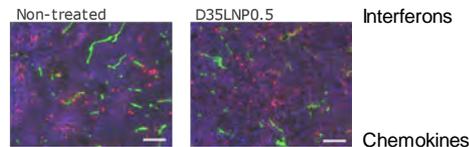
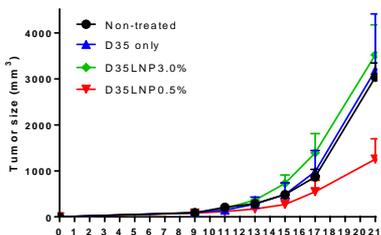


■ BP1401(D35-LNP)によりT細胞が腫瘍に浸潤し、腫瘍を縮小する

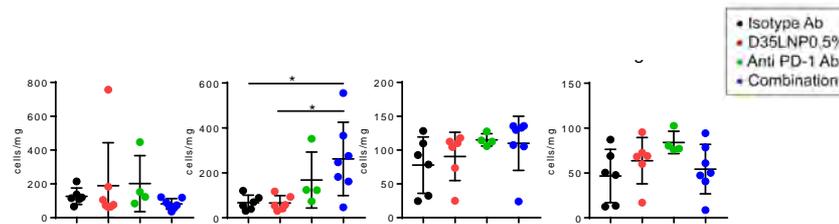
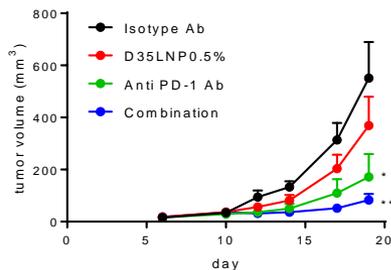
単剤 腫瘍局所投与 臨床試験中の他社開発品はすべて腫瘍局所投与



単剤 静脈注射 利便性の高い脂質製剤(LNP)



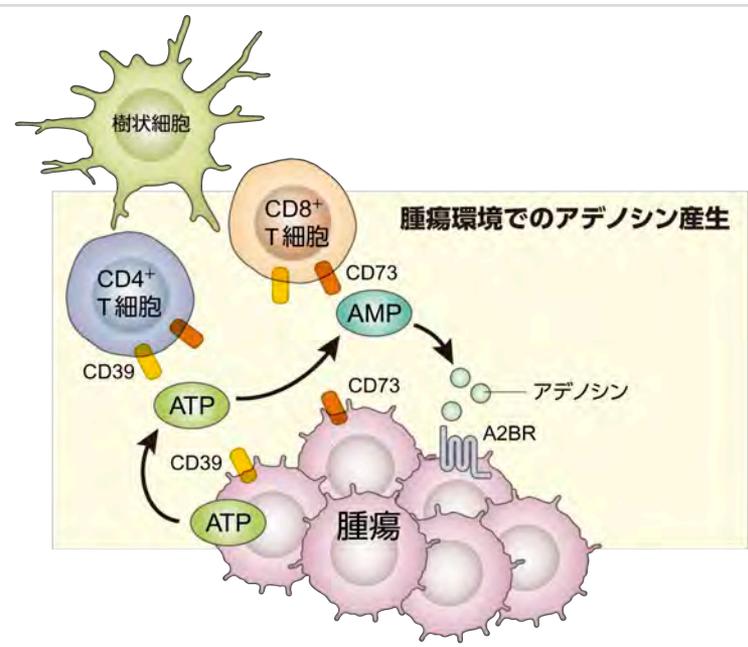
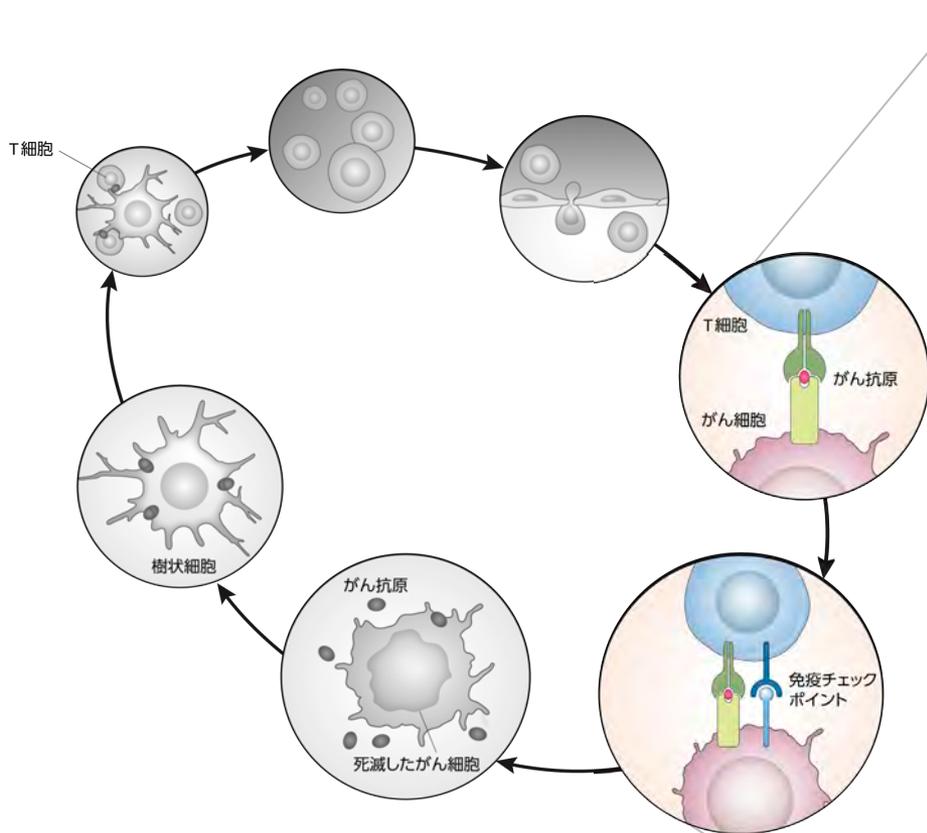
抗PD-1抗体併用 静脈注射



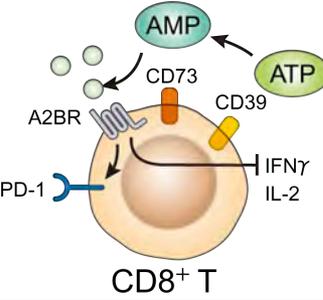
Lipid nanoparticles of Type-A CpG D35 suppress tumor growth by changing tumor immune-microenvironment and activate CD8 T cells in mice
Journal of Controlled Release 313 (2019) 106-119

■ CD73を標的とする新規腫瘍環境改善・免疫活性化抗体

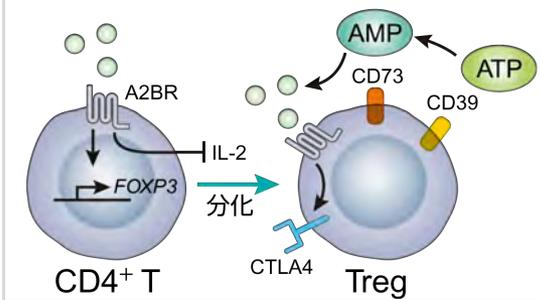
- 腫瘍内でのアデノシン産生は、T細胞の疲弊と抑制を引き起こし、抗腫瘍免疫活性を低下させる
- CD73は多くの腫瘍で高発現し、予後不良を引き起こす



■ 腫瘍細胞傷害性の抑制

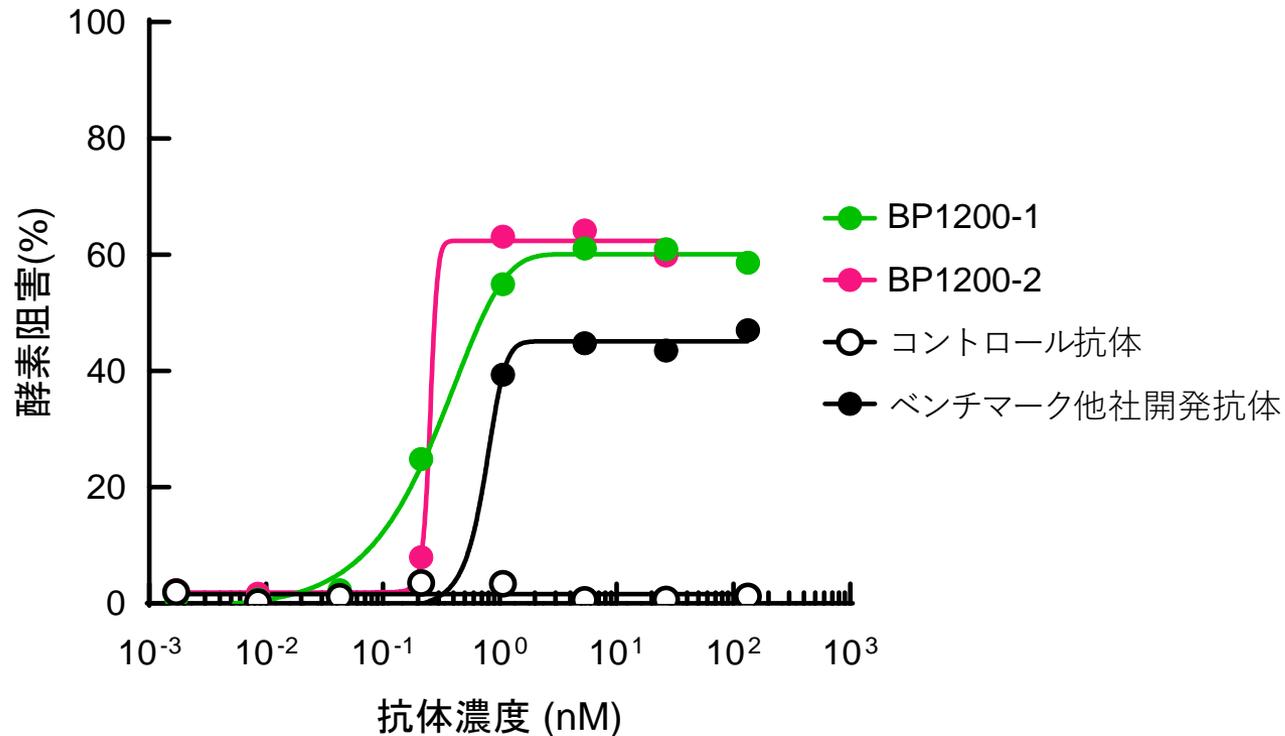


■ 抑制性T細胞への分化促進



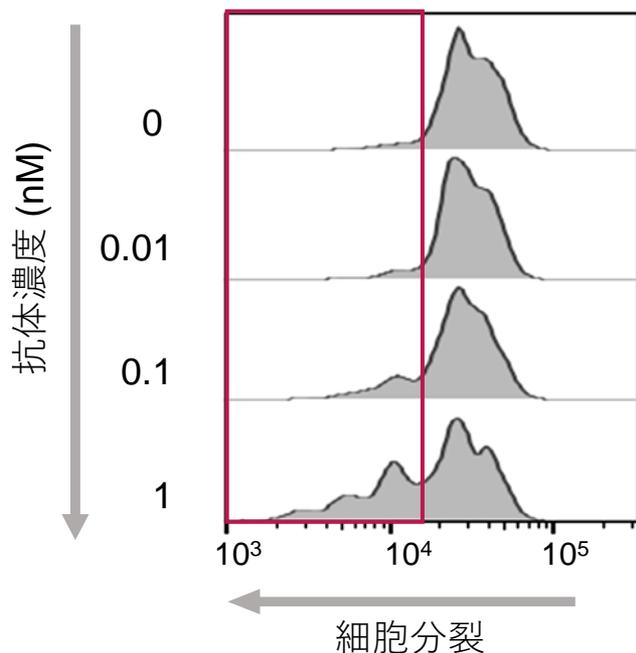
BP1200

- BP1200はアデノシン産生酵素の機能を阻害する
- 阻害効果は他社臨床開発品の効果を上回る

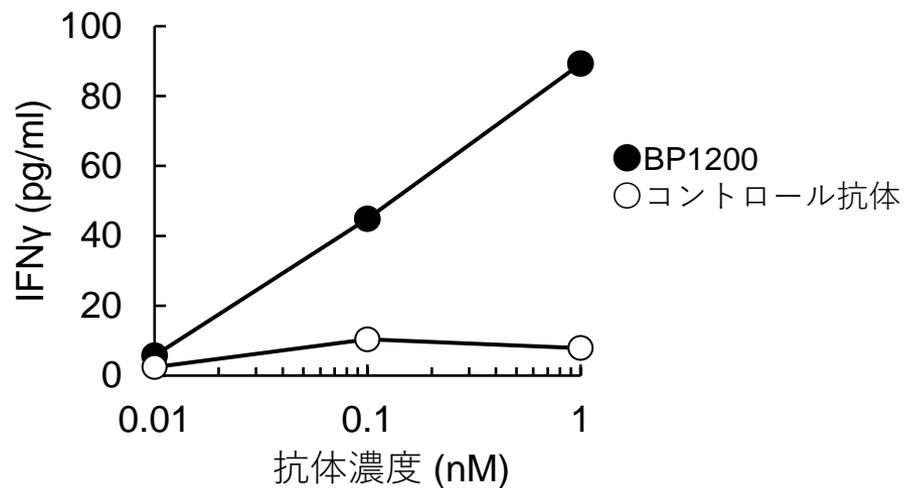


- BP1200はT細胞の分裂とサイトカイン分泌を促進する
- BP1200はがん免疫を亢進し、抗腫瘍効果を発揮することが期待される

T細胞分裂の促進

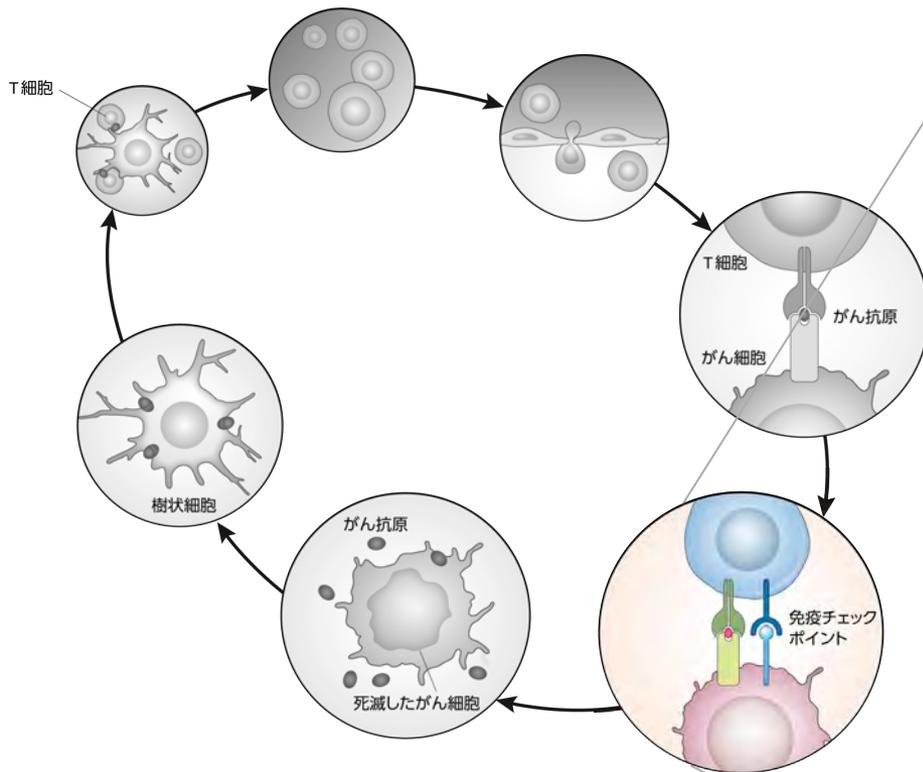


サイトカイン(IFN γ)分泌の誘導

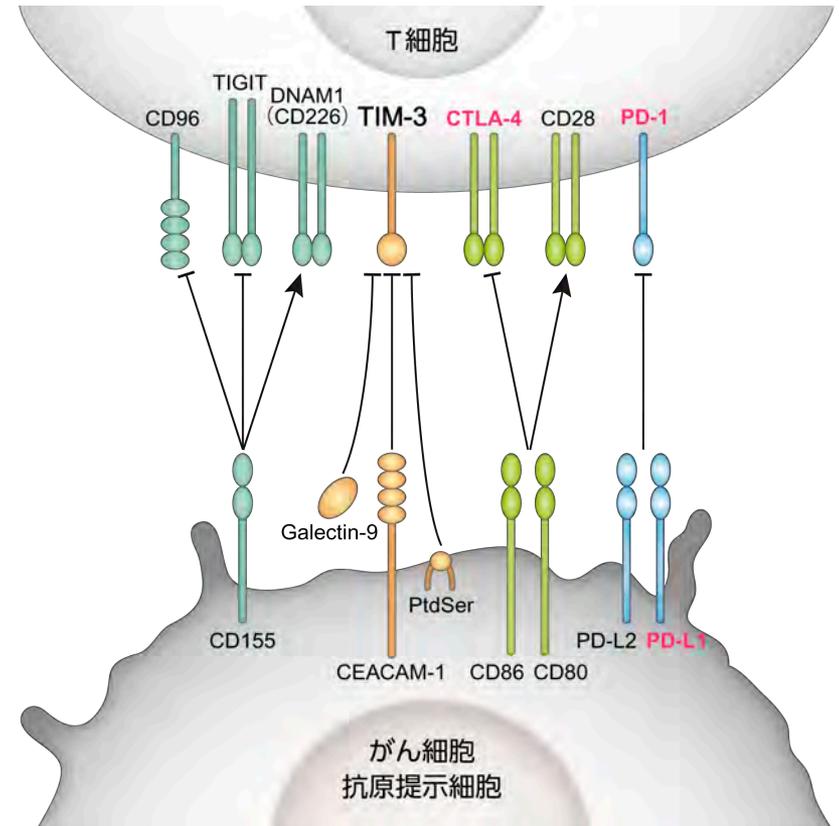


BP1210

- キイトルーダ、オプジーボ、テセントリクに続く、新規免疫チェックポイント阻害抗体
- 細胞傷害性T細胞の疲弊を抑制し、抗腫瘍免疫活性を亢進する



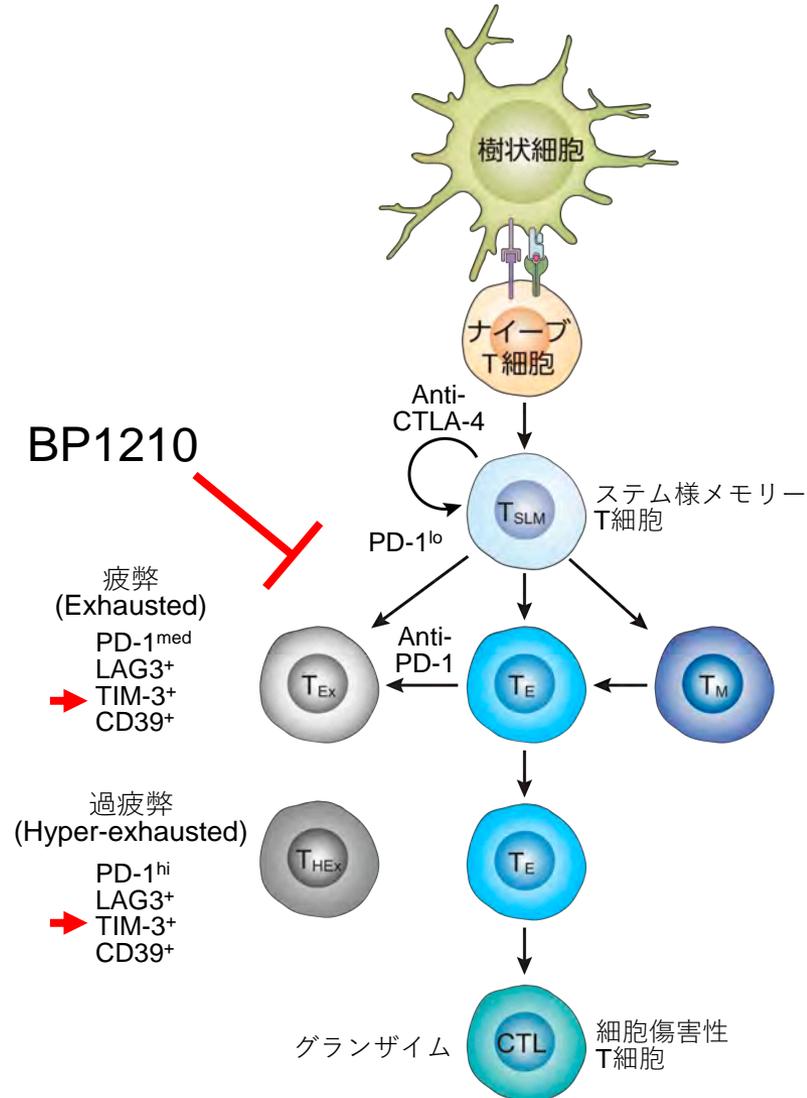
当社がターゲットにする免疫チェックポイント分子群



科学的有効性が示された承認抗体医薬品の標的分子
当社の標的分子

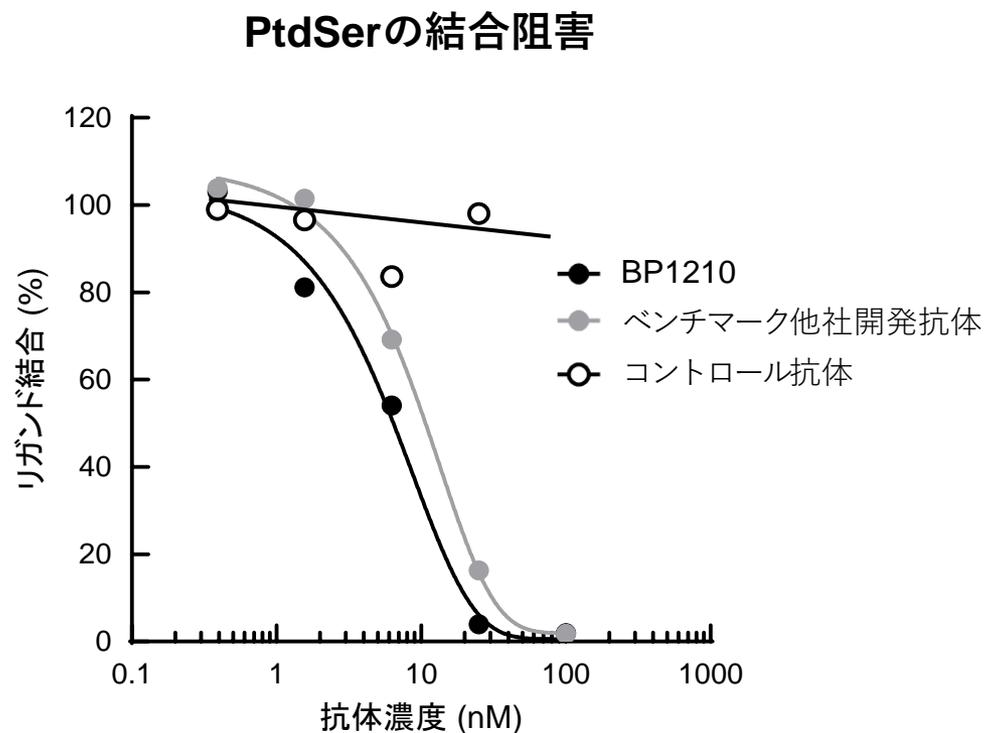
BP1210

■ T細胞の疲弊に伴うBP1210標的の遺伝子発現



BP1210

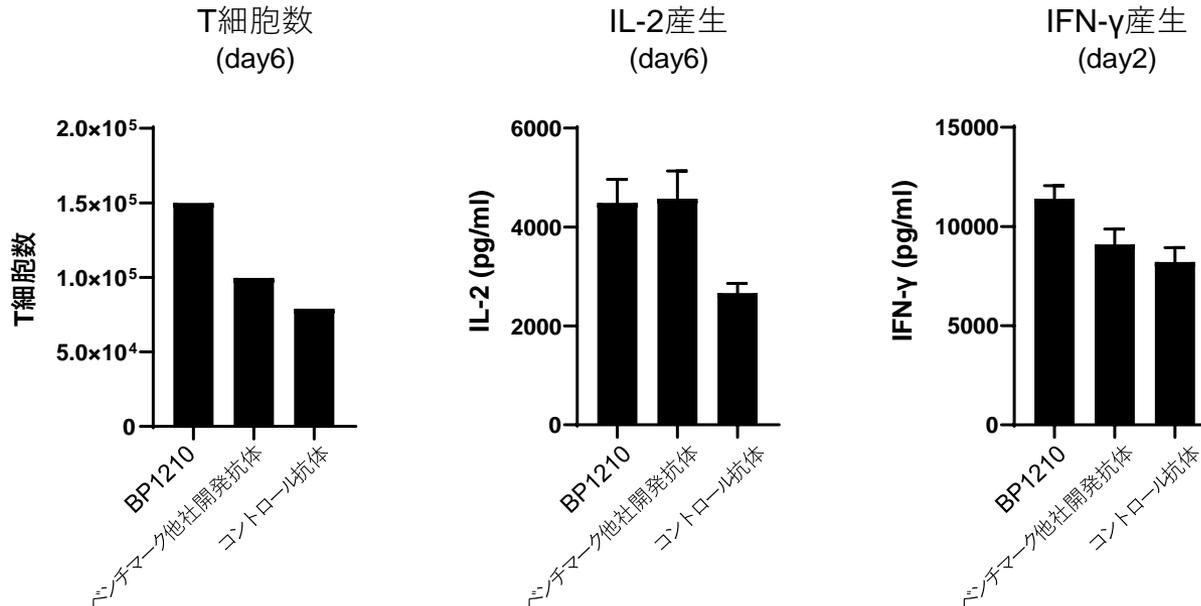
- がん細胞が放出する腫瘍免疫抑制リガンドPtdSerとの結合を強く阻害
- 阻害効果は他社臨床開発品の効果を上回る



BP1210

- BP1210はT細胞の増殖とサイトカイン分泌を促進
- 促進効果は他社臨床開発品の効果を上回る

PBMCのSEB刺激 (PD-1抗体併用)



次のステップ

Covid-19



		2019 上半期	2019 下半期	2020 上半期	2020 下半期	2021 以降
がんワクチン						
● GRN-1201	4種共通抗原	↓ P1データ				P2 Stage1 ↓ データ
● BP1101	ネオアンチゲン					FIH 臨床試験入り ↓
● BP1209	次世代ネオアンチゲン					
● BP1401	TLR9アゴニスト					FIH 臨床試験入り ↓
細胞						
● iPS-NKT	iPS細胞由来再生NKT細胞				↓ FIH 臨床試験入り	
● BP2301	HER2 CAR-T					FIH 臨床試験入り ↓
抗体						
● BP1200	CD73			パイプライン リストアップ ↓		
● BP1210	TIM-3				↓	
● BP1202	(非開示)				↓	
● BP1206	(非開示)				↓	
● BP1211	(非開示)				↓	

会社概要

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



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



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