

事業計画及び成長可能性に関する事項

2021年11月19日

ブライトパス・バイオ株式会社

会社概要

会社概要

社名 ブライトパス・バイオ株式会社 (東証マザーズ 4594)

所在地 本社事業所 : 東京都千代田区麴町2-2-4
本店／川崎創薬研究所 : 神奈川県川崎市川崎区殿町3-25-22
細胞技術研究所 : 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 6,574百万円 (2021年9月末現在)

社員数 42名 (2021年9月末現在)

役員

代表取締役社長	永井 健一	
取締役 創薬研究部長	中村 徳弘	
取締役 (非常勤)	山田 亮	久留米大学教授
取締役 (社外、独立役員)	竹内 弘高	ハーバード大学経営大学院教授
監査役 (社外)	岸野 努	
監査役 (社外、独立役員)	阿部 武敏	
監査役 (社外)	山口 芳泰	TMI総合法律事務所パートナー

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



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

局所への対応

再発・転移への対応

1846

1903

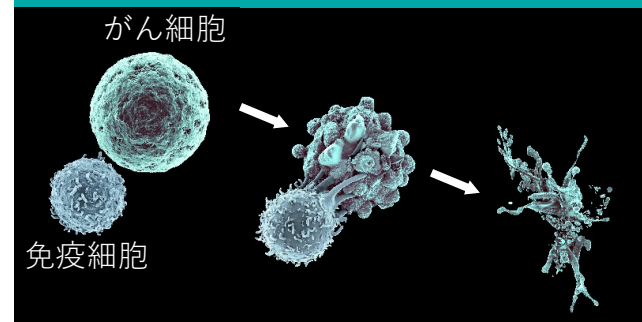
1949

2010

放射線療法



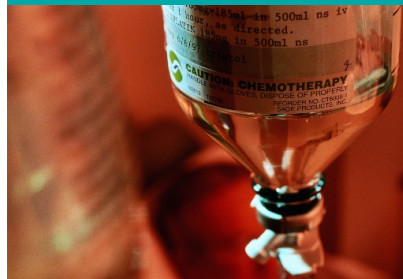
第4の治療法: がん免疫治療



外科手術



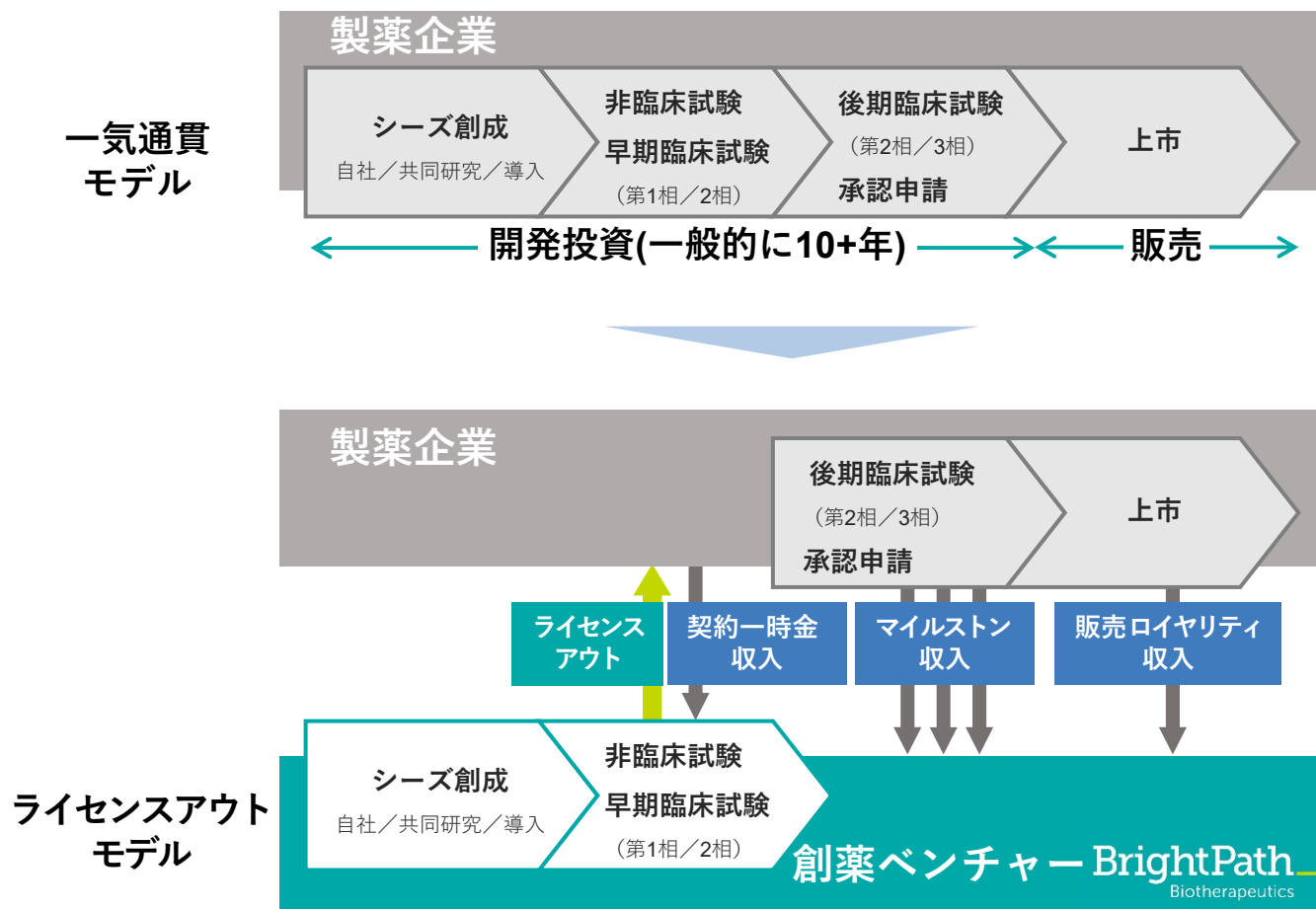
化学療法



がん細胞を免疫細胞が殺傷する仕組み(がん免疫)を活用したがん治療薬

ビジネスモデルと収益構造

- 新薬開発の途中で一気に通貫で手掛ける製薬企業に開発製造販売ライセンスを渡すことで、開発投資先行期間を短縮し早期収益化



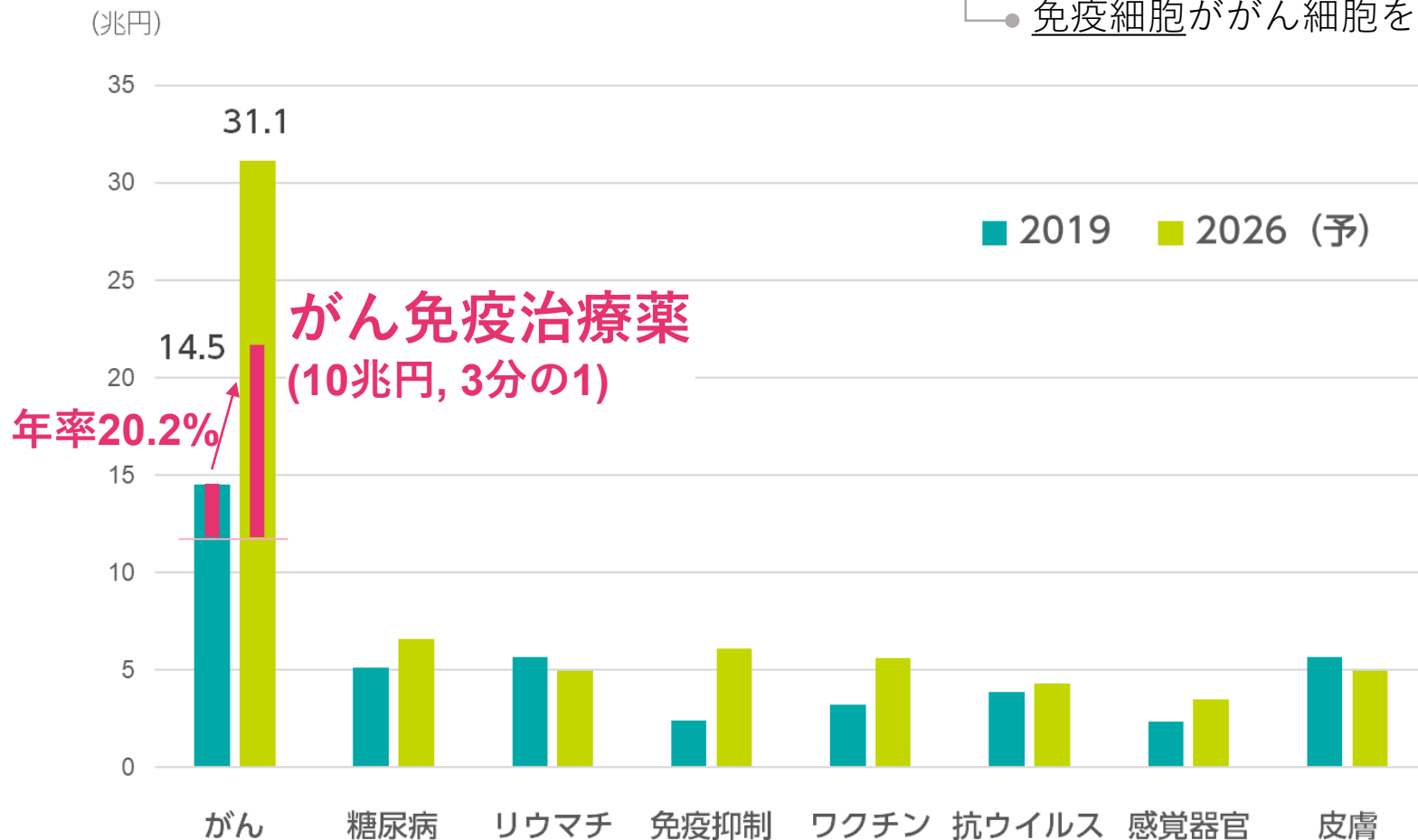
- 中長期的にはライセンスアウト型から一气通貫型へ段階的に移行

開発領域

■ 医薬品市場の成長を牽引するがん免疫治療薬

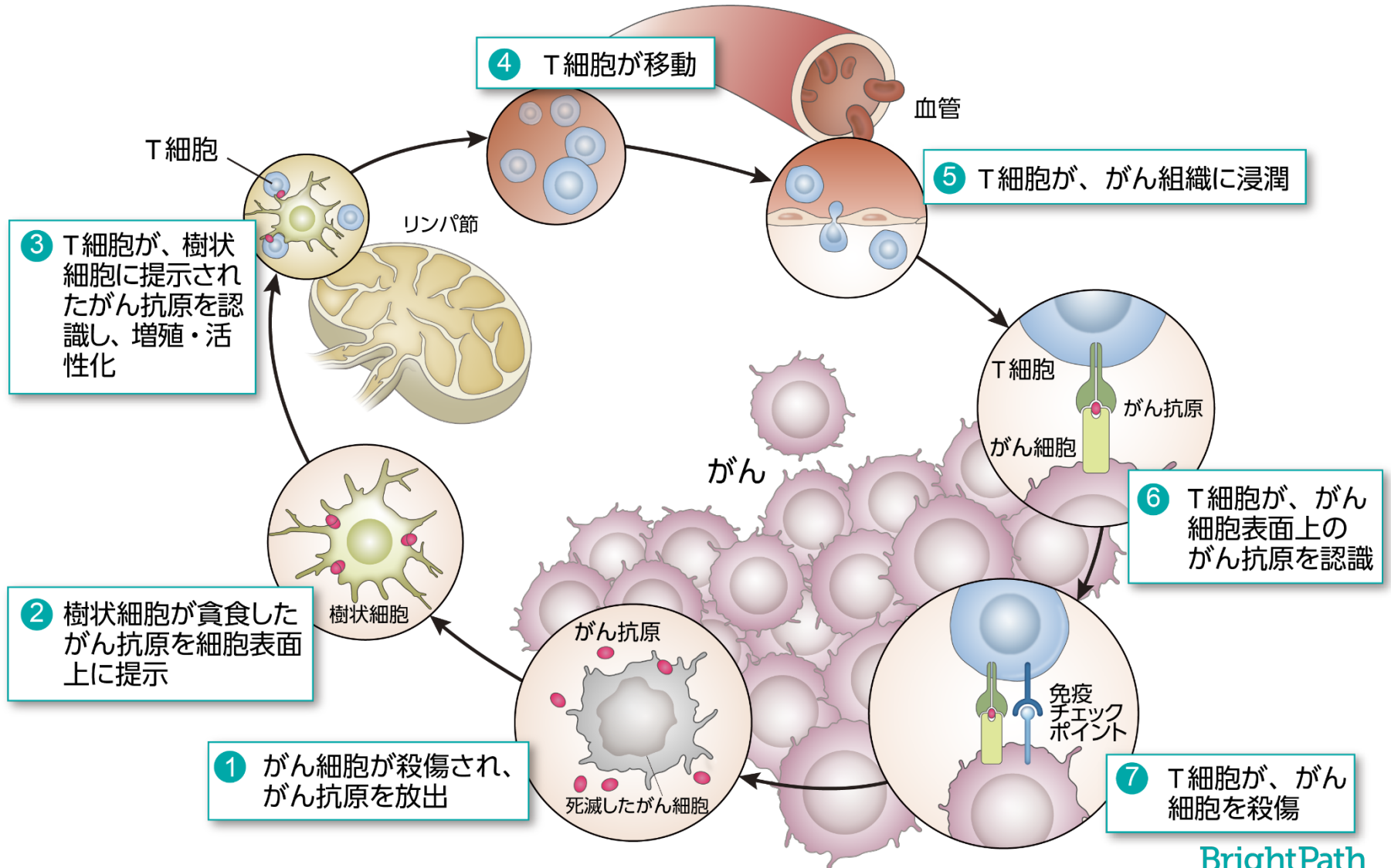
● がん免疫のメカニズムを利用

● 免疫細胞ががん細胞を殺傷



がん細胞を排除する免疫：「がん免疫」

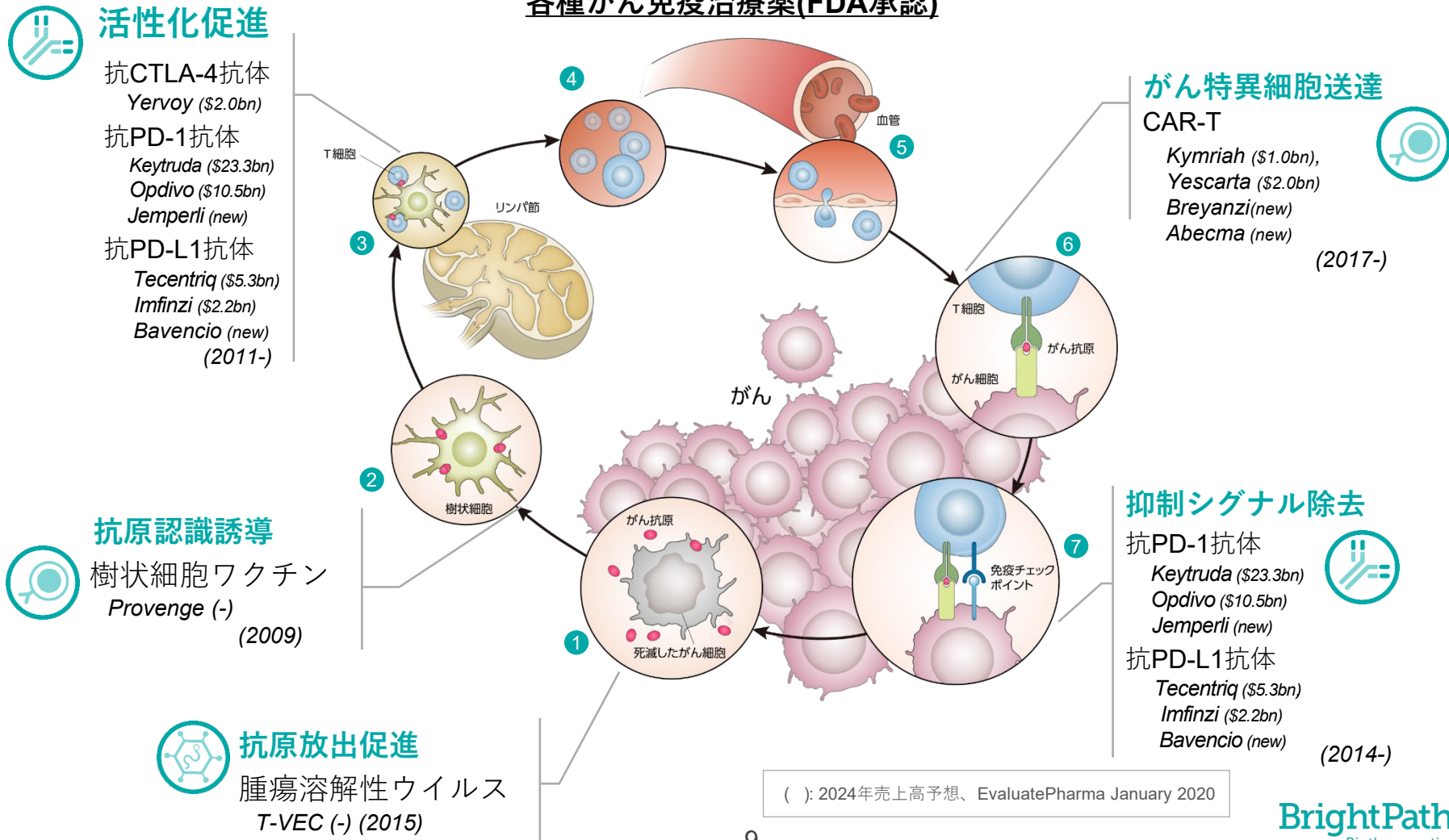
■ がん免疫サイクル：「がん免疫」を成立させる7つのステップ



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)

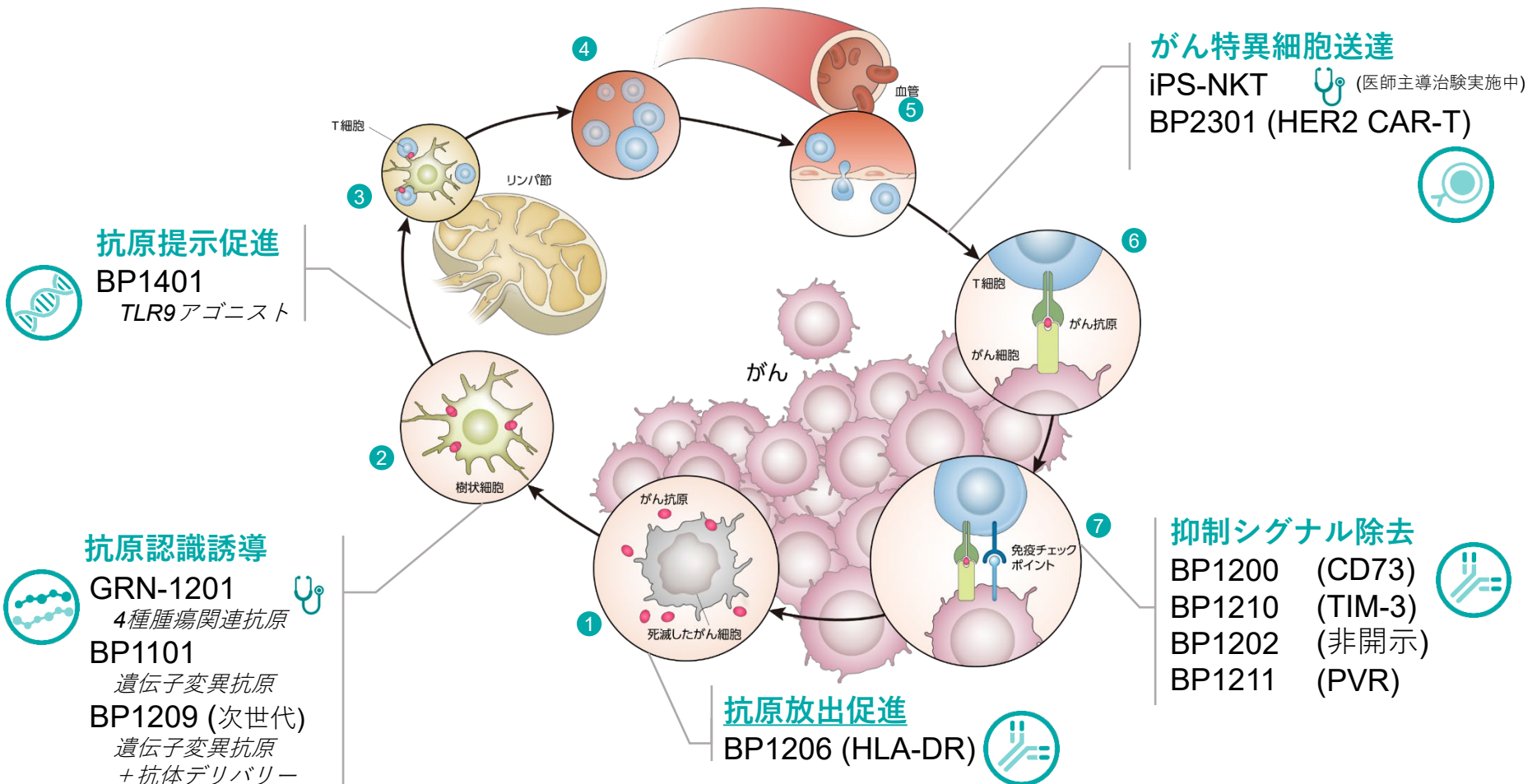
各種がん免疫治療薬(FDA承認)



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)

臨床試験段階



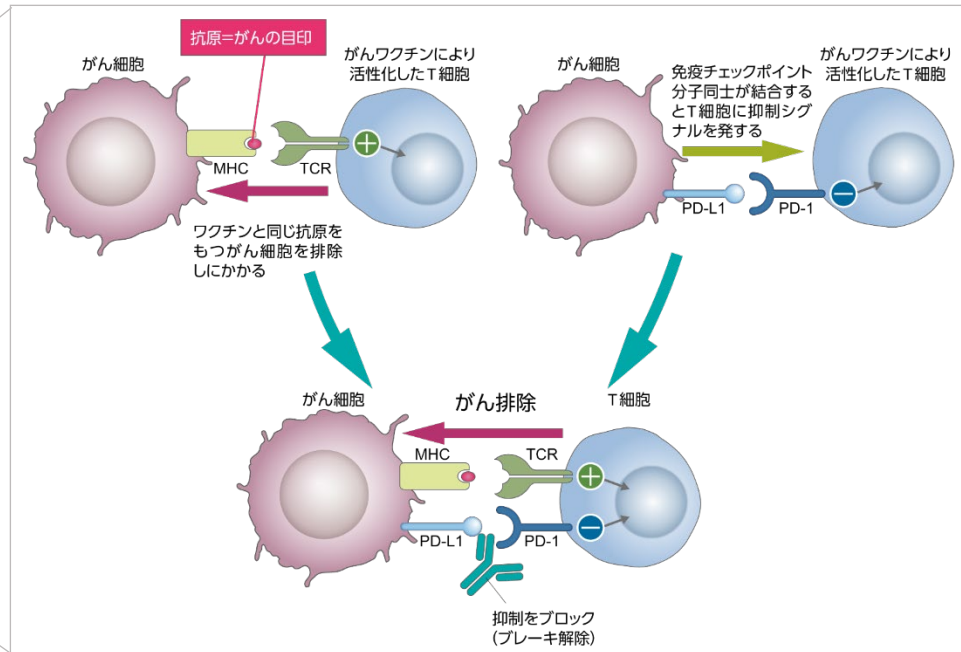
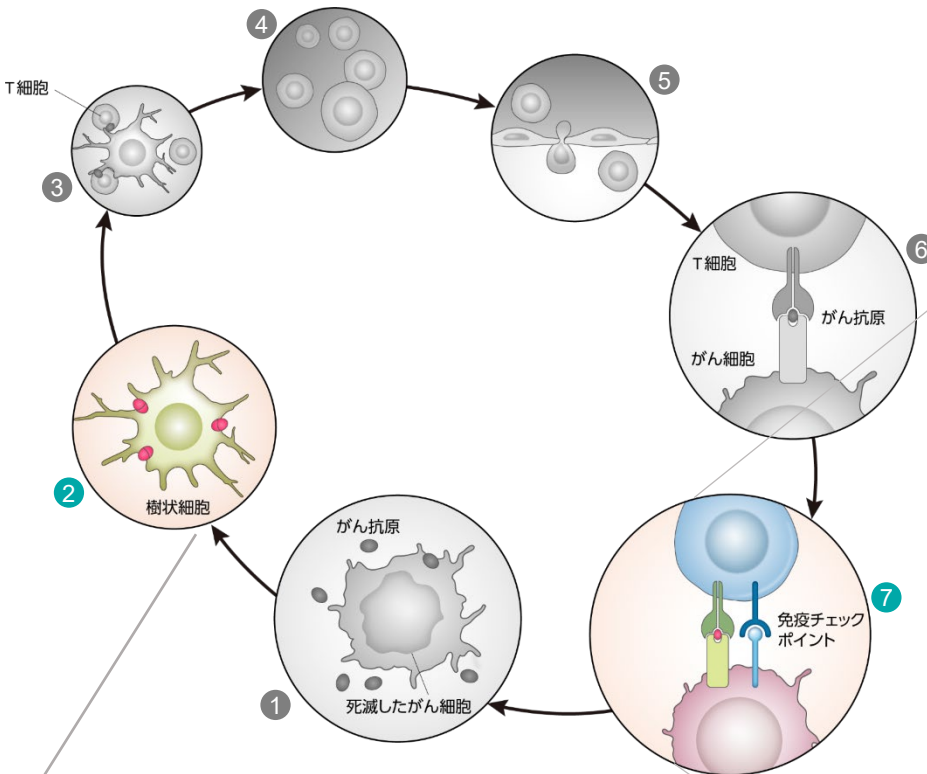
パイプライン

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				ペンプロリズマブ併用
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 BP2301	iPS細胞由来再生NKT細胞 HER2 CAR-T	頭頸部がん 固形がん 骨・軟部肉腫				
抗体						
BP1200	CD73					
BP1210	TIM-3					
BP1202	(非開示)					
BP1206	HLA-DR					
BP1211	PVR					

GRN-1201: がんペプチドワクチン

ワクチン

- 4種のがん抗原のワクチン接種により がん特異的T細胞を免疫誘導し腫瘍を殺傷
- 免疫チェックポイント阻害剤の併用により、がん特異的T細胞の活性をさらに亢進し、がんを排除



抗原認識誘導

- GRN-1201
4種腫瘍関連抗原



GRN-1201: 現在の開発段階

ワクチン

- 非小細胞肺癌1次治療を対象にペンブロリズマブ併用の第2相臨床試験を実施中
- 米国の治験実施施設がコロナ禍の影響を受け、症例登録に影響あり

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

*1 欧米人の約50%、日本人の約40%

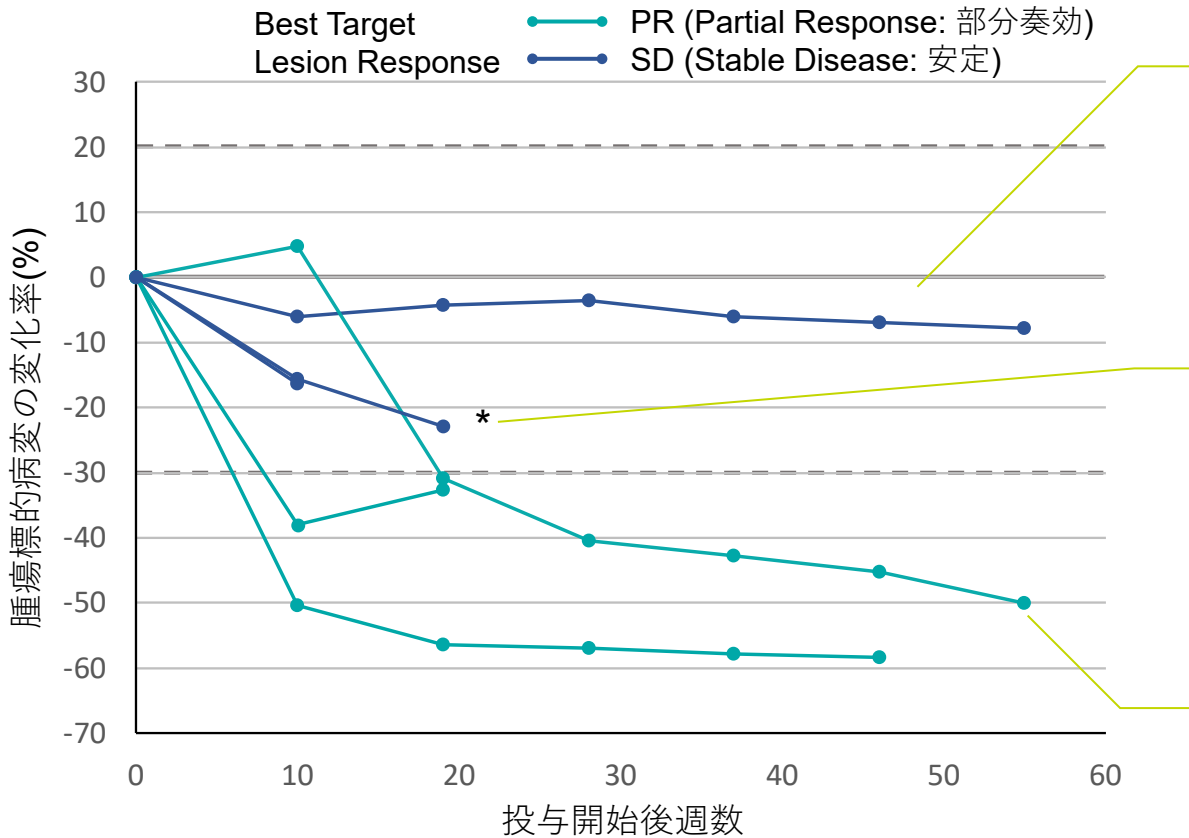
*2 TPS:Tumor Proportion Score, 腫瘍細胞のうちPD-L1発現陽性細胞の割合

GRN-1201: 速報臨床データ

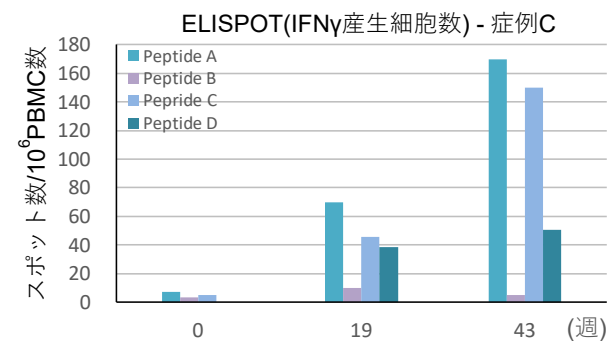
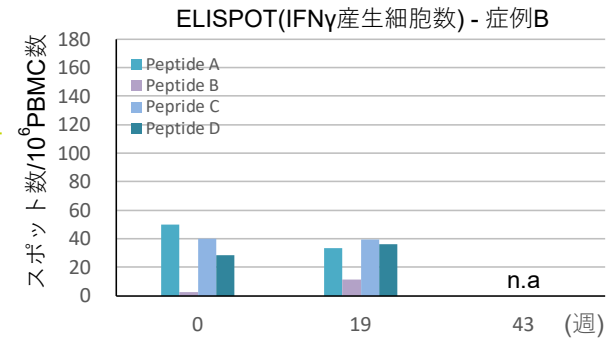
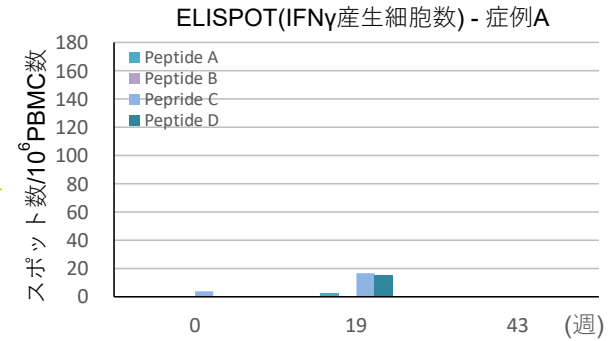
ワクチン

■ 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の変化率(2020年5月時点)



*この後、新病変の出現によりPD(Progression Disease:進行)判定



Direct ELISpot(24h)による

BrightPath
Biotherapeutics

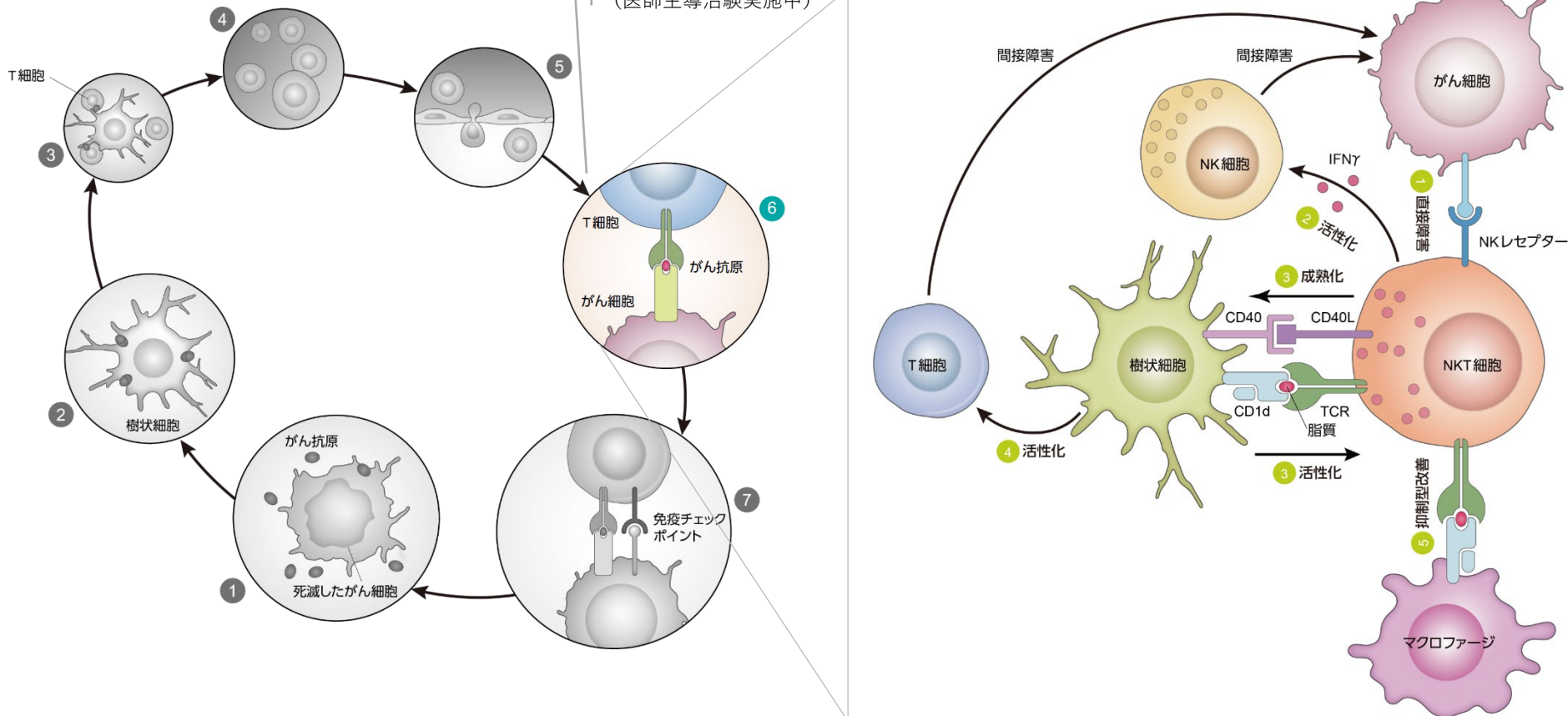
iPS-NKT: 再生NKT細胞療法

■ 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  多面的な抗腫瘍効果をもつNKT細胞
(医師主導治験実施中)



iPS-NKT : 現在の開発ステージ

細胞

■ Ph1試験（医師主導治験）を実施中（2020.6-）

試験概要

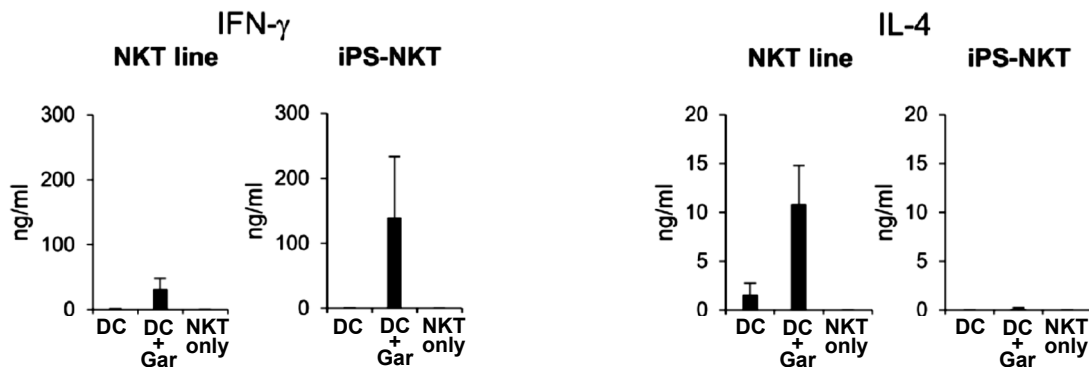
試験タイトル	再発・進行頭頸部癌患者を対象としたiPS-NKT細胞動注療法に関する第 I 相試験 (First in human試験)
対象	標準治療後又は標準治療の適応とならない再発・進行頭頸部がん
目的	根本治療が困難な標準治療後の再発・進行頭頸部癌患者に対する、iPS-NKT 細胞の腫瘍栄養動脈内投与の忍容性の検討並びに安全性及び有効性を探索的に評価する
主要評価項目	各用量における用量制限毒性（DLT）発現割合
副次評価項目	有効性の副次評価項目 ・奏効割合 ・病勢コントロール割合 安全性の副次評価項目 ・有害事象の発現状況 ・臨床検査値の推移
探索的評価項目	・末梢血中iPS-NKT細胞濃度推移 ・免疫細胞分画 ・血中サイトカイン濃度
症例数	4～18名
実施方法	単施設、非盲検、非対称、容量漸増試験
治験実施施設	千葉大学医学部附属病院

出所： 千葉大学医学部附属病院

iPS-NKT : 非臨床試験データ

■ iPS細胞化により抗腫瘍効果が増強するようリプログラムされる

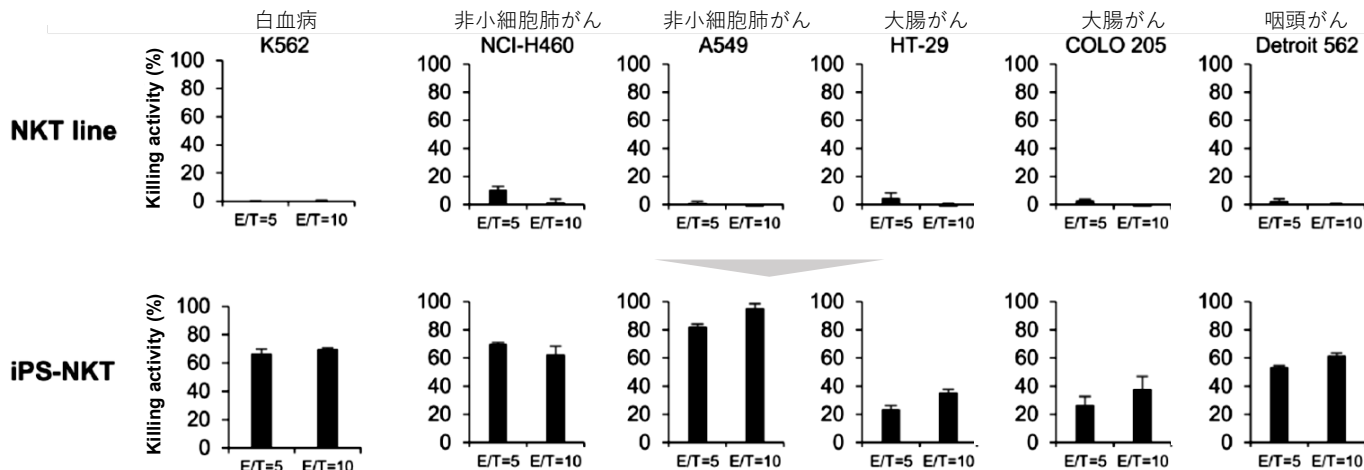
- iPS細胞化を経ると、抗腫瘍サイトカインIFN γ 分泌が増強され、免疫抑制性サイトカインIL-4分泌が減少



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

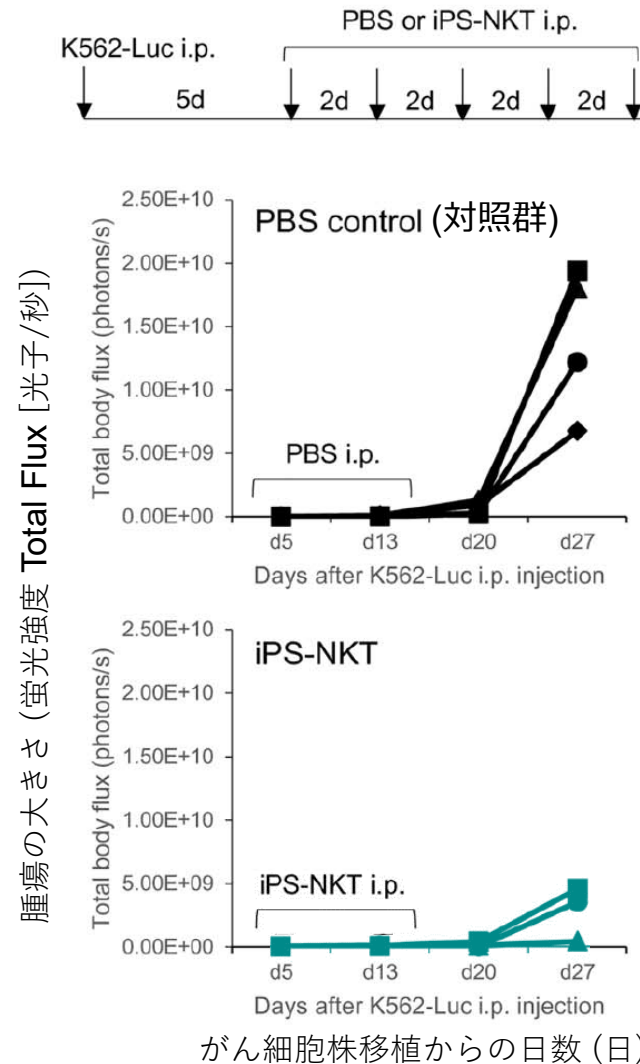
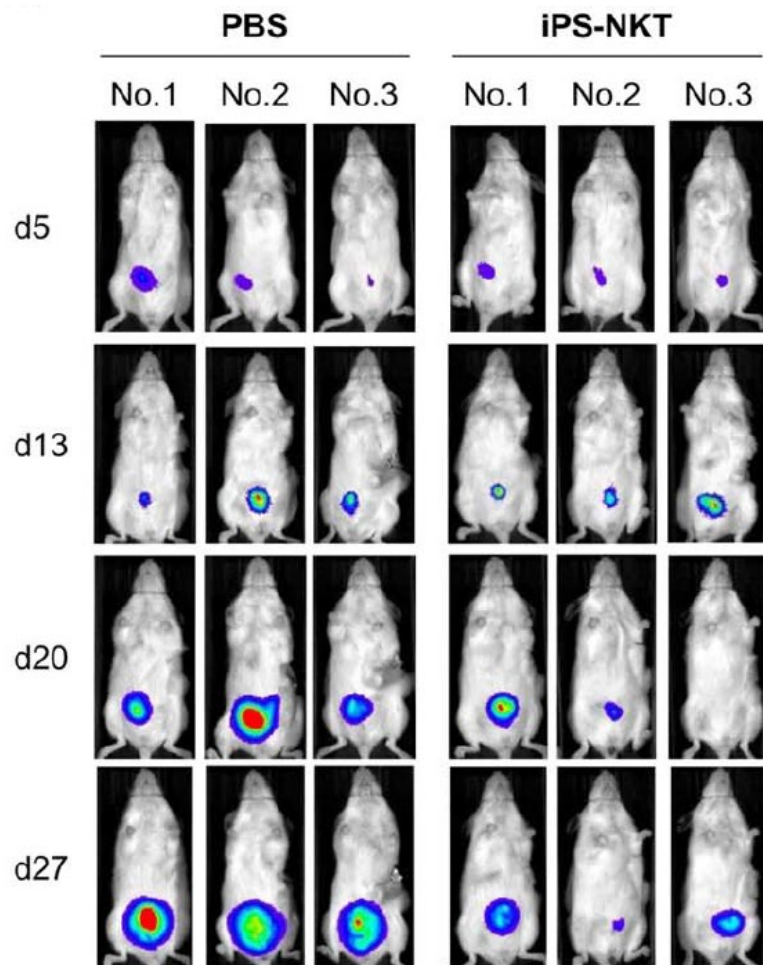
DC: 樹状細胞(抗原提示細胞)と共培養
DC+Gal: 樹状細胞と抗原(α -GalCer)と共培養
NKT Only: 樹状細胞も抗原も無し

- iPS細胞化を経るとがん細胞殺傷能が増強



iPS-NKT : 非臨床試験データ(続)

■ 担がんマウスモデルにおける抗腫瘍活性：iPS-NKTはがん細胞の増殖を抑制

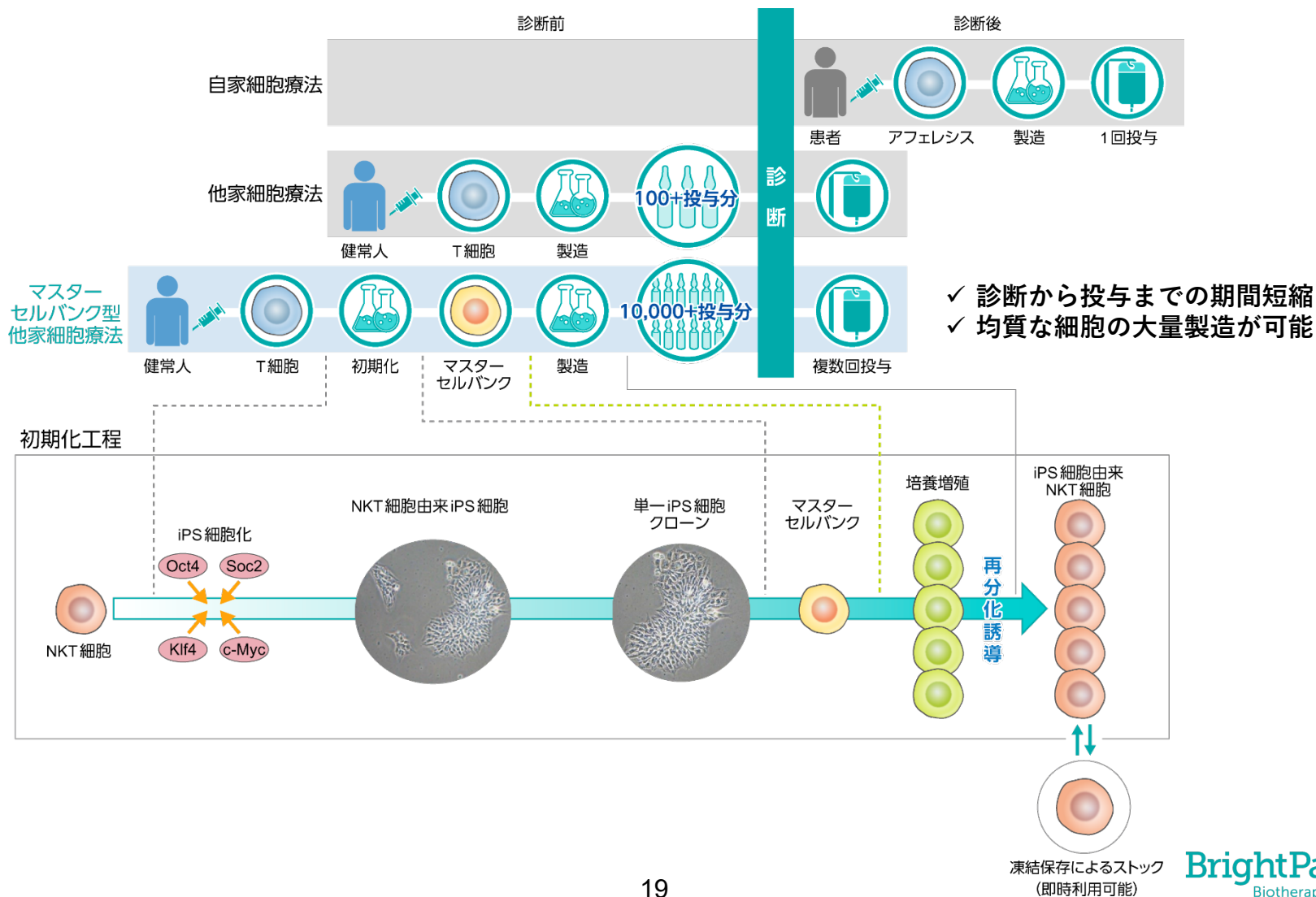


出所: Yamada et al., *Stem Cells*. 2016

iPS-NKT: マスターセルバンク型他家細胞療法

細胞

- 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



BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法

細胞

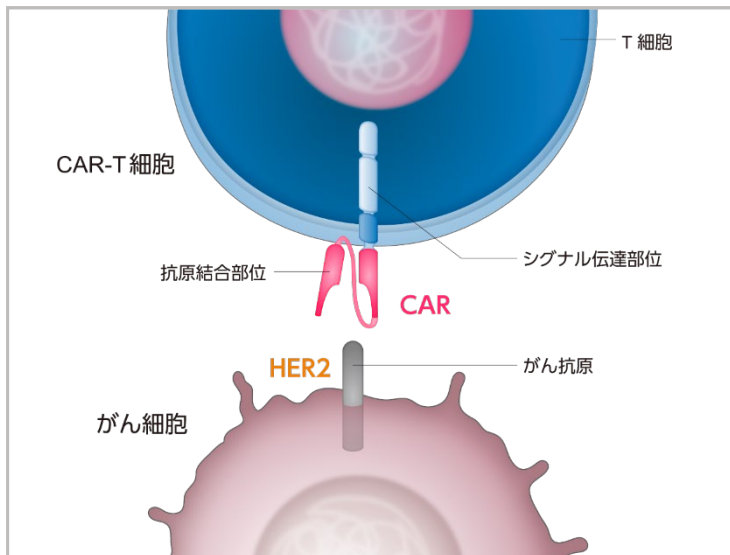
- 血液がんでは奏効率70-90%に至るCAR-Tを、より患者数の多い固形がんで開催
- 多くのがん種で発現し、がん治療標的として適正であることが臨床で検証されたHER2を標的とする細胞医薬品
- 既に米国で良い臨床試験成績を収めているHER2 CAR-Tを、より良いフォーマットで開催

がん特異細胞送達

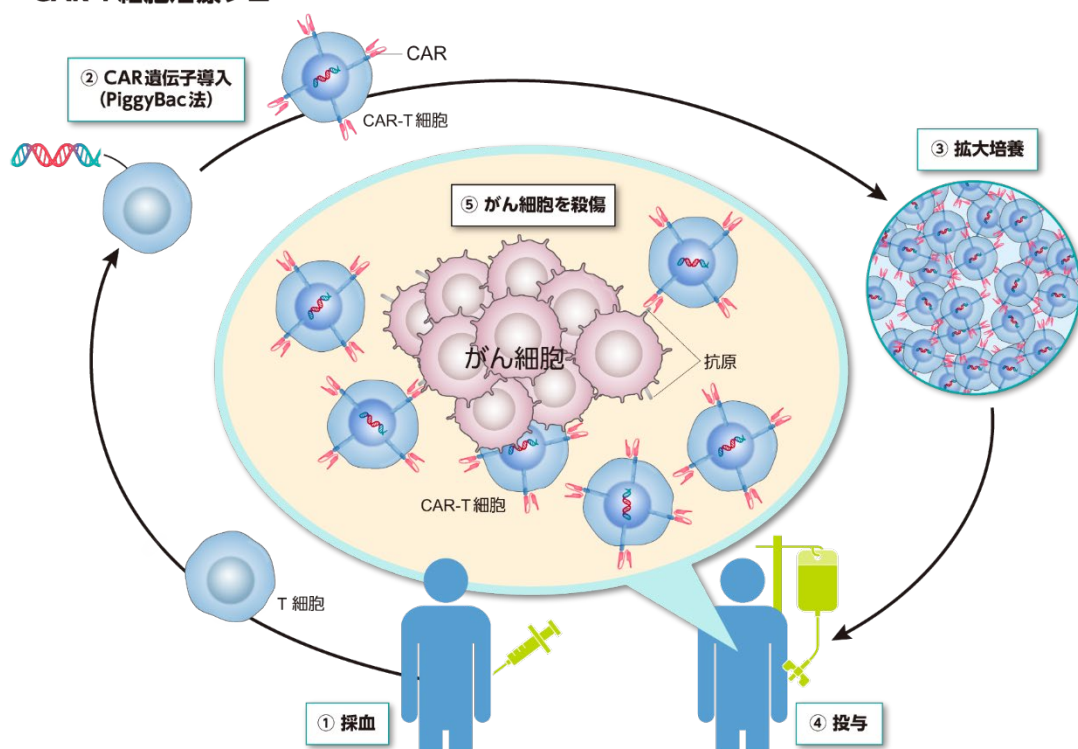
HER2 CAR-T



がん抗原HER2に対するキメラ抗原受容体(CAR)遺伝子を導入したT細胞を用いる新規自家CAR-T細胞療法



CAR-T細胞治療フロー



BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法(続)

細胞

■ 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

■ 直近実施されたHER2 CAR-T臨床試験とBP2301

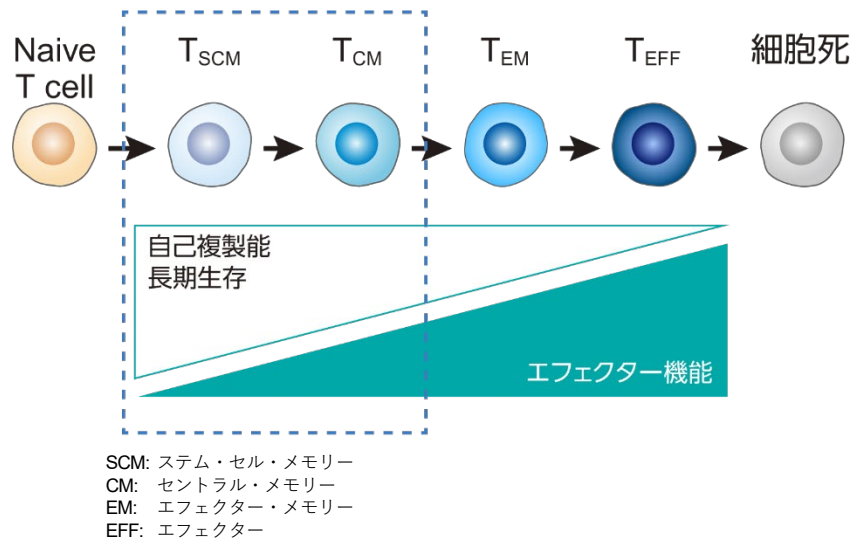
臨床試験	中国人民解放军总医院 2017	米ベイラー医科大学 2017	米ベイラー医科大学 (HEROS2試験) 2019	BP2301 FY2022 1Q開始
CAR遺伝子導入	レンチウイルスベクター	レトロウイルスベクター	レトロウイルスベクター	piggyBac* (非ウイルス)
CARコンストラクト	オリジナルaHer2 4-1BB	FRP5 CD28	FRP5 CD28	FRP5 CD28
治験対象がん種	胆管細胞がん すい臓がん	膠芽腫	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性 かつ転移病変有り)	骨・軟部肉腫 (再発・治療不応性)
患者数	11	17	10 (骨肉腫5例)	
有害事象	中程度	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 CAR-T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

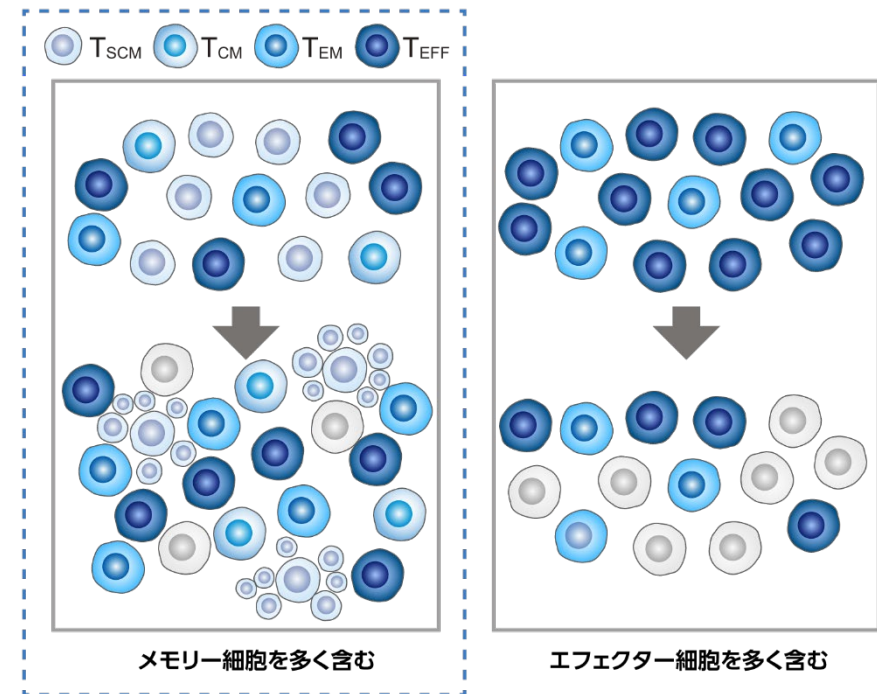
BP2301: 差別化ポイント

- 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

■ T細胞の分化とフェノタイプ(免疫表現型)



■ メモリー細胞を多く含むCAR-Tの持続性



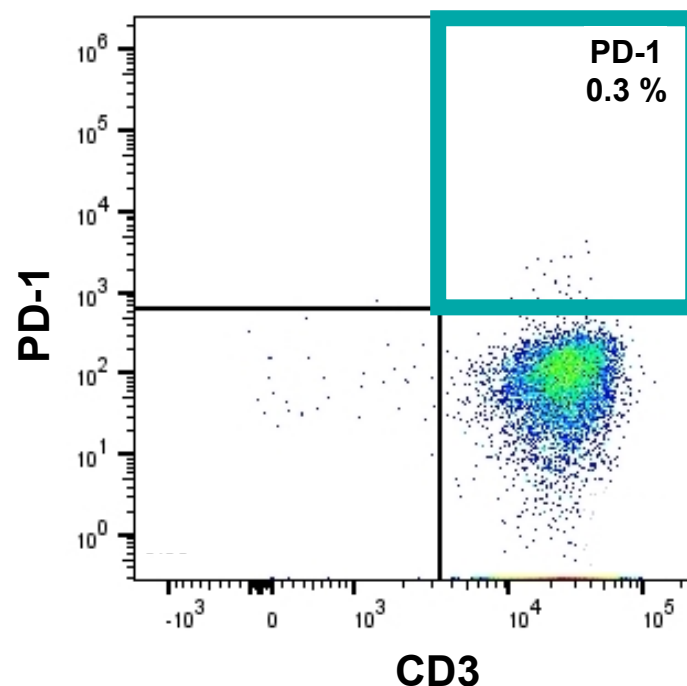
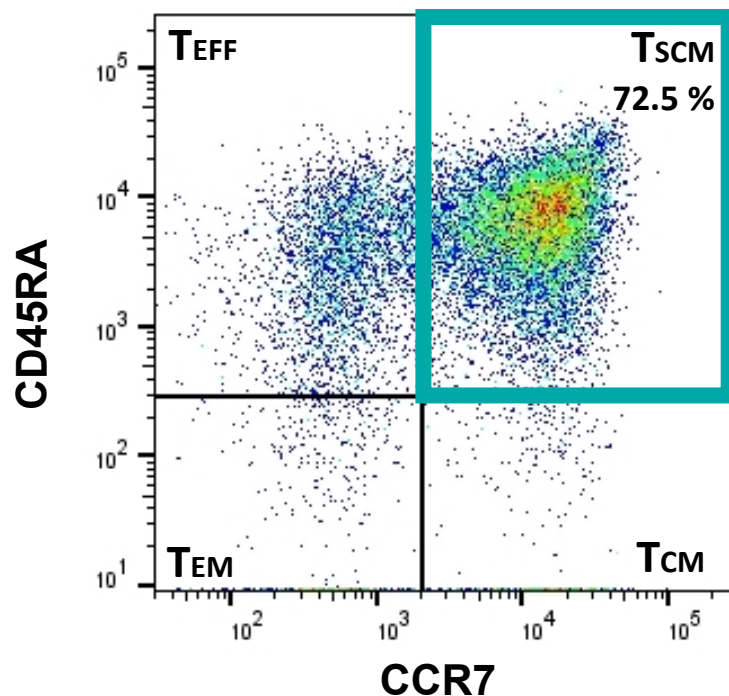
- 最近の研究報告でも、幹細胞様T細胞が固形がんに対する抗腫瘍免疫細胞輸注治療の成否を決めると報告されている

サイエンス誌2020年12月: Rosenberg et. al., Stem-like CD8 T cells mediate response of adoptive cell immunotherapy against human cancer

BP2301: 幹細胞メモリー細胞の製造実現

細胞

- 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

BP2301：非臨床データ

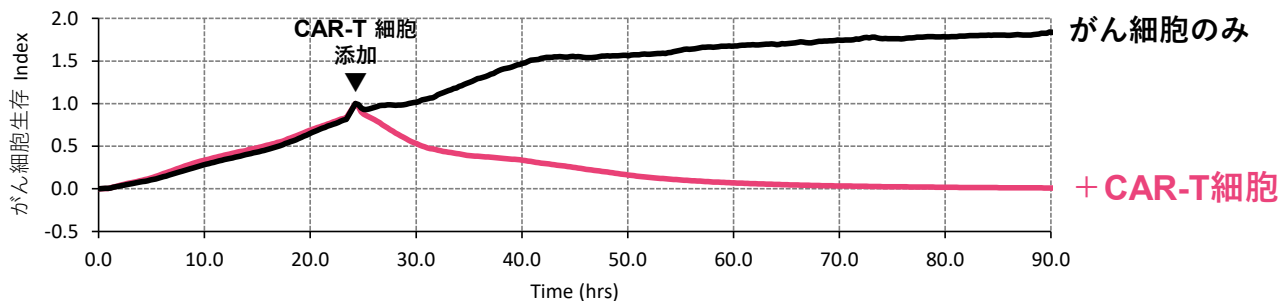
細胞

■ 幹細胞メモリー(Tscm)CAR-T細胞は持続的な抗腫瘍効果と疲弊抵抗性をもつ

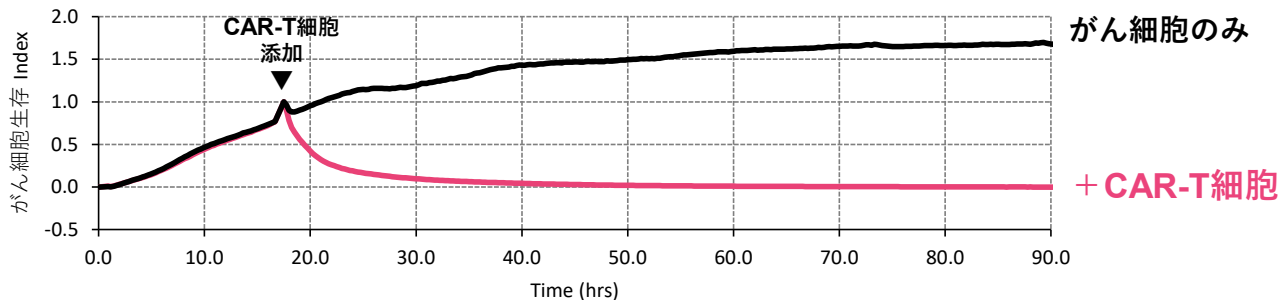
■ 再播種培養がん細胞株に対するCAR-T細胞の連続殺傷試験

がん細胞: 骨肉腫細胞株U2-OS
E:T 比率=1:1

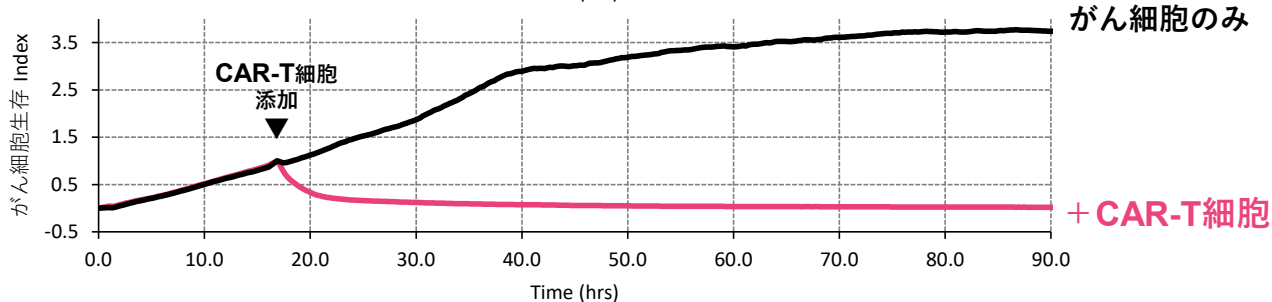
1回目



2回目



3回目



BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法(続)

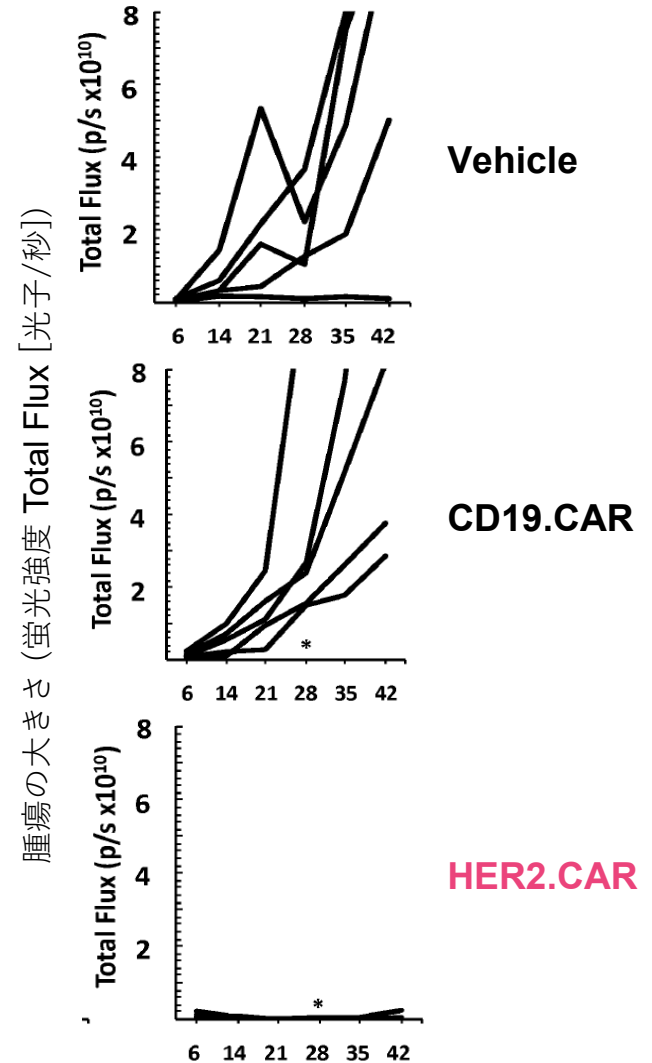
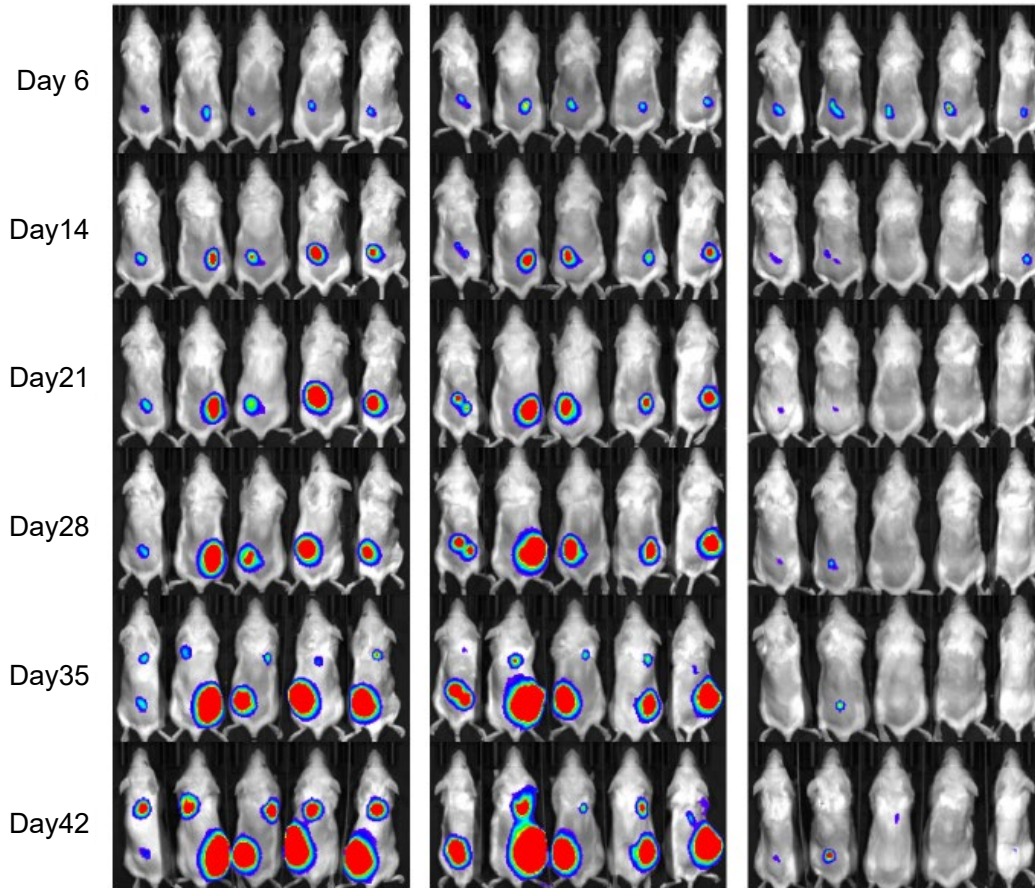
細胞

■ 担がんマウスモデルにおいてHER2陽性がん細胞の増殖を抑制

Vehicle

CD19.CAR

HER2.CAR

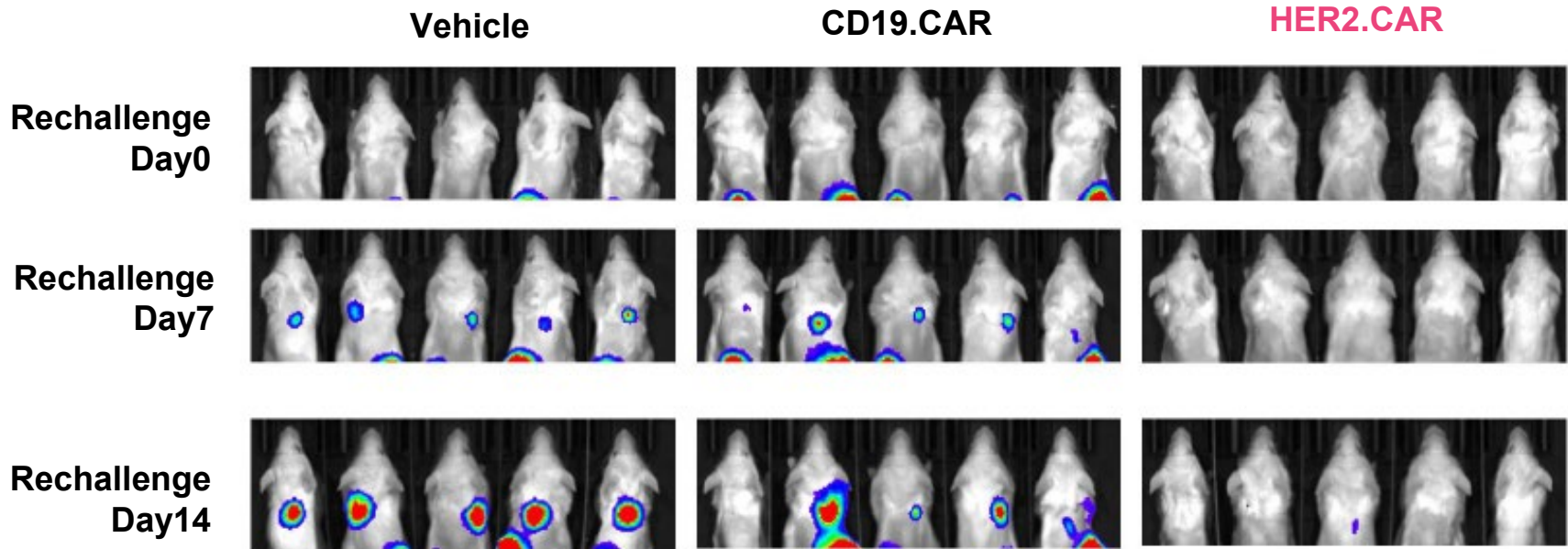
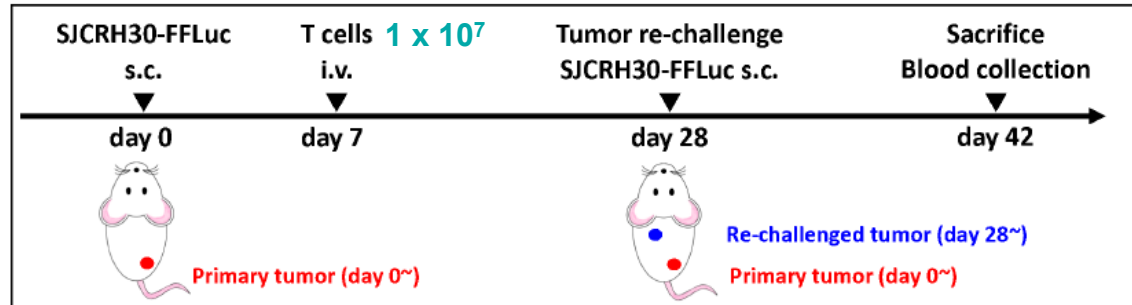
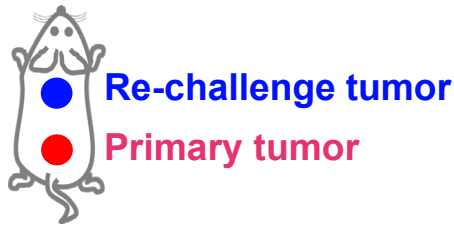


がん細胞株移植からの日数 (日)

出所： 信州大学, プライトパス・バイオ

BP2301: 自家HER2 CAR-T細胞療法(続)

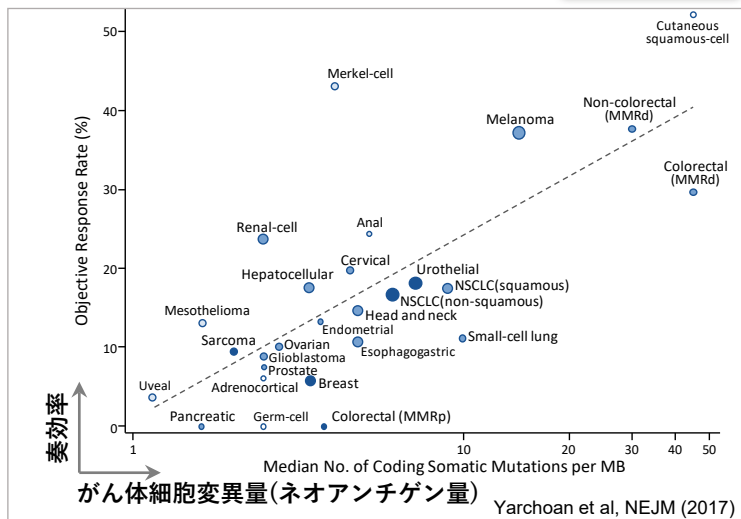
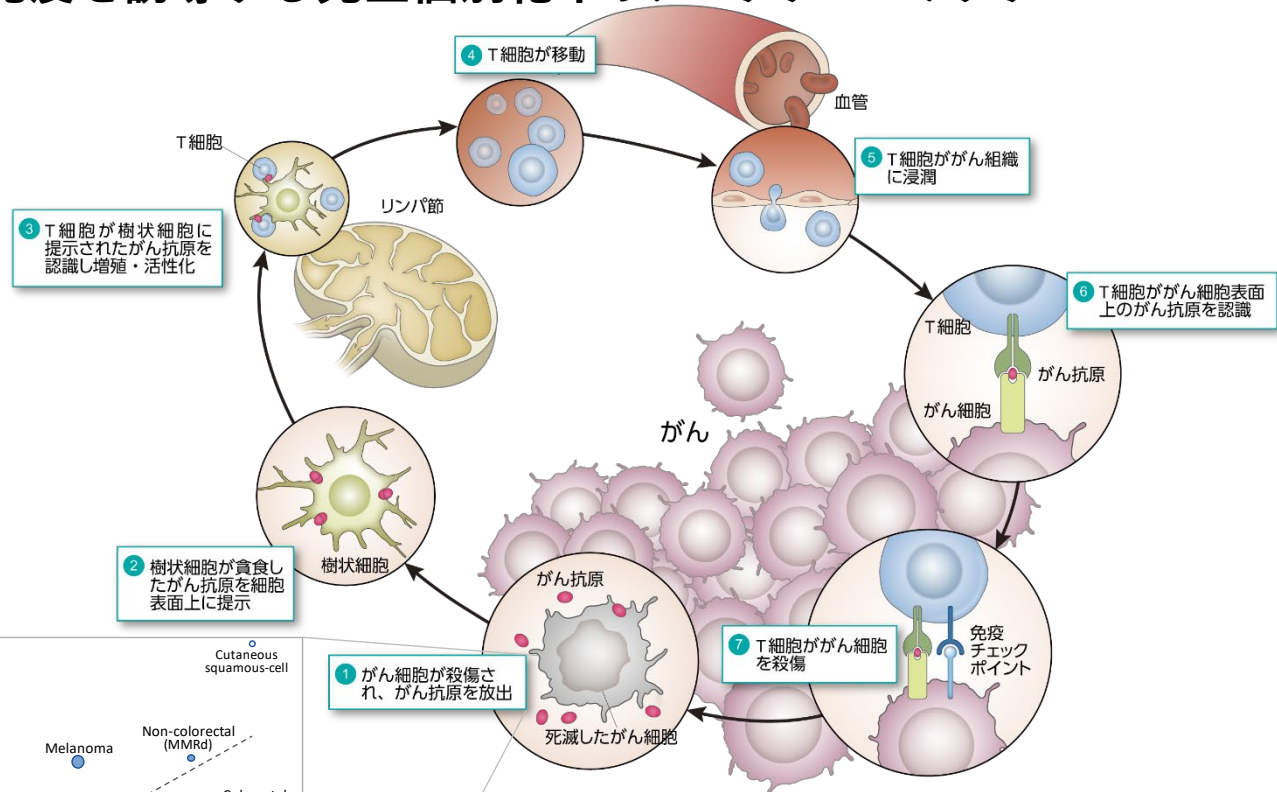
■ 腫瘍再移植マウスモデルにおいても顕著な抗腫瘍効果を示した



BP1101：ネオアンチゲン ワクチン

ワクチン

- 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

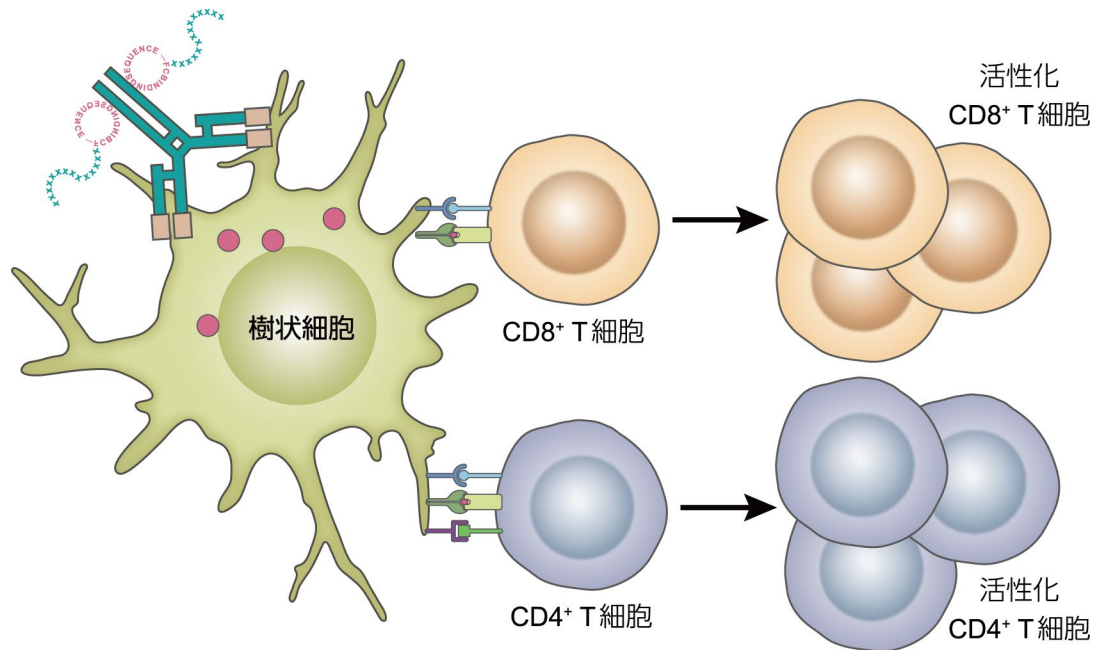
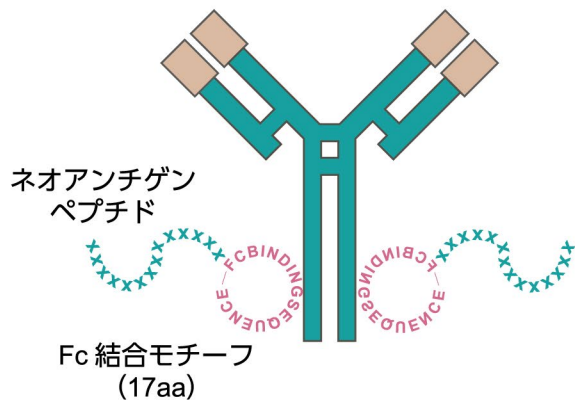
BP1209 : 次世代ネオアンチゲン ワクチン

ワクチン

- 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た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
- 免疫チェックポイント抗体がワクチン抗原の樹状細胞への送達とワクチンによる腫瘍特異的T細胞の活性化を促進

BP1209

樹状細胞発現免疫チェックポイントに対する抗体
(抗 PD-L1 抗体 / 抗 CD40 抗体)



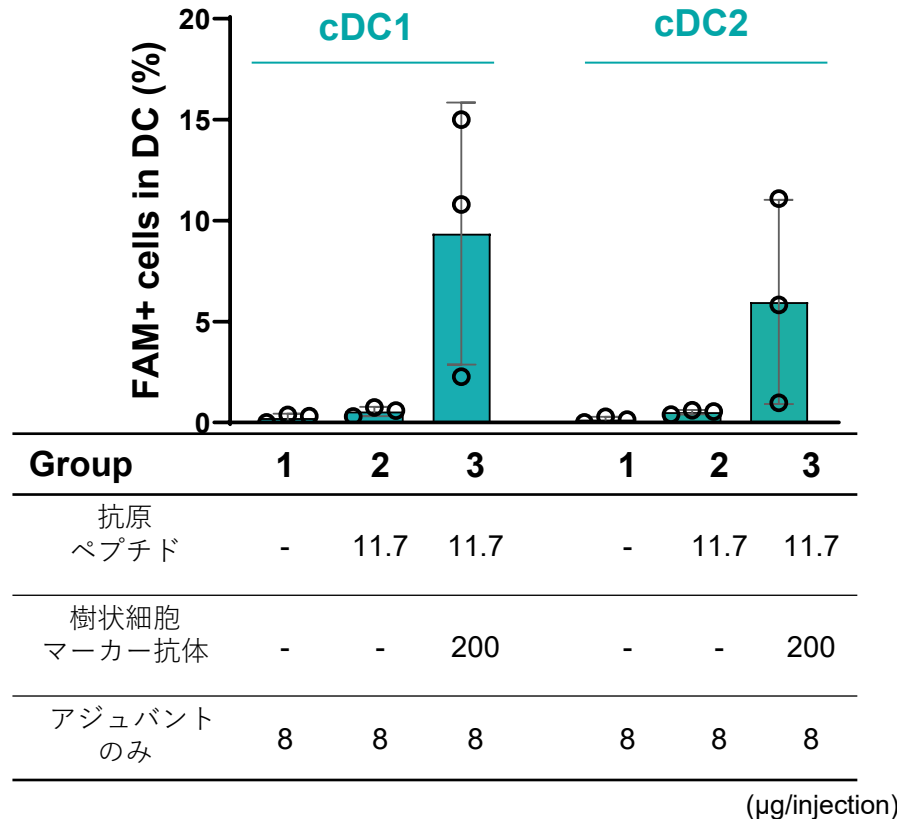
出所： ブライトパス・バイオ

BP1209 : 次世代ネオアンチゲン ワクチン(続)

ワクチン

- ワクチン(ペプチド)のcDC1およびcDC2の取り込みとリンパ節への移行を向上させ、抗腫瘍免疫を亢進

樹状細胞(DC)によるワクチン
取り込みとリンパ節への移行

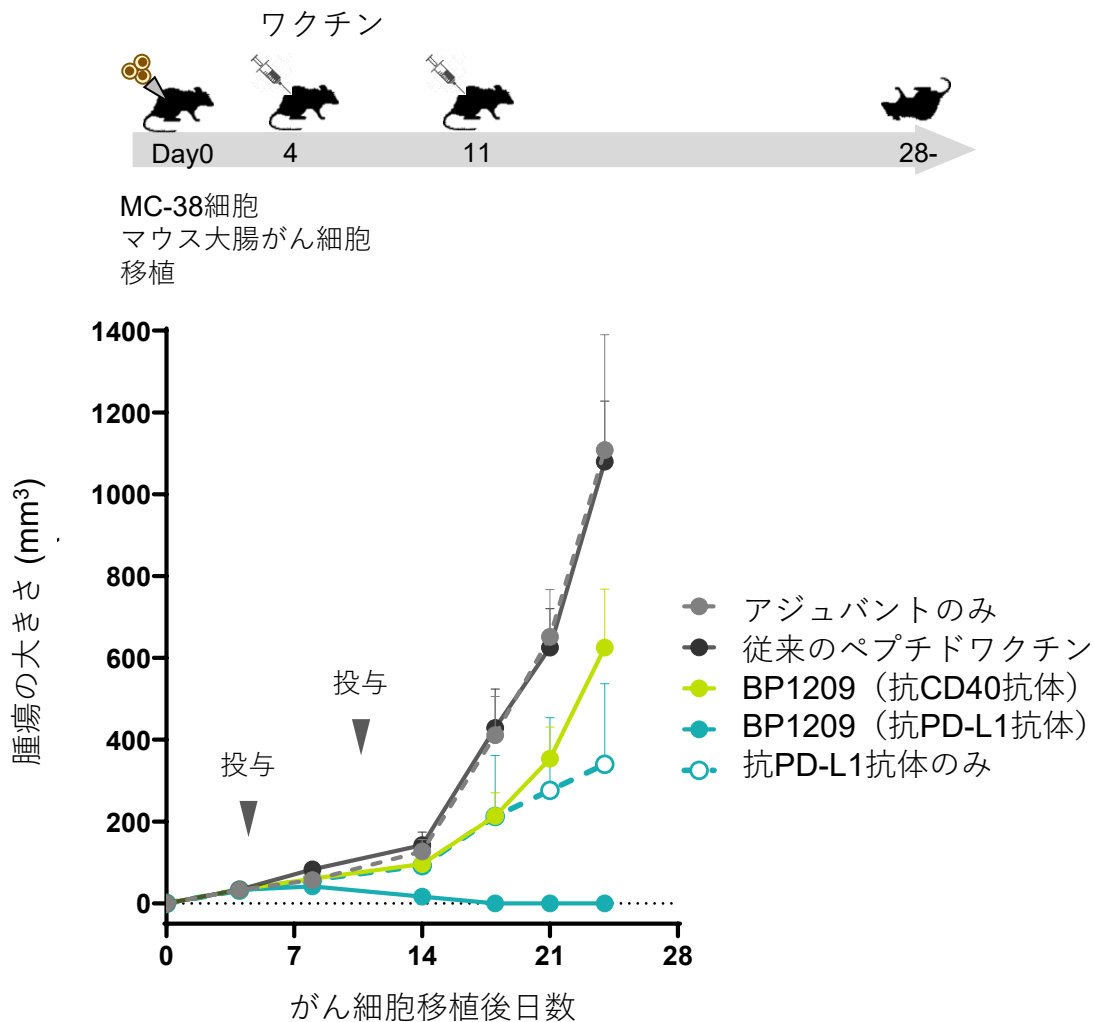


出所： ブライトパス・バイオ ESMO 2021

BP1209：次世代ネオアンチゲンワクチン(続)

ワクチン

■ 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



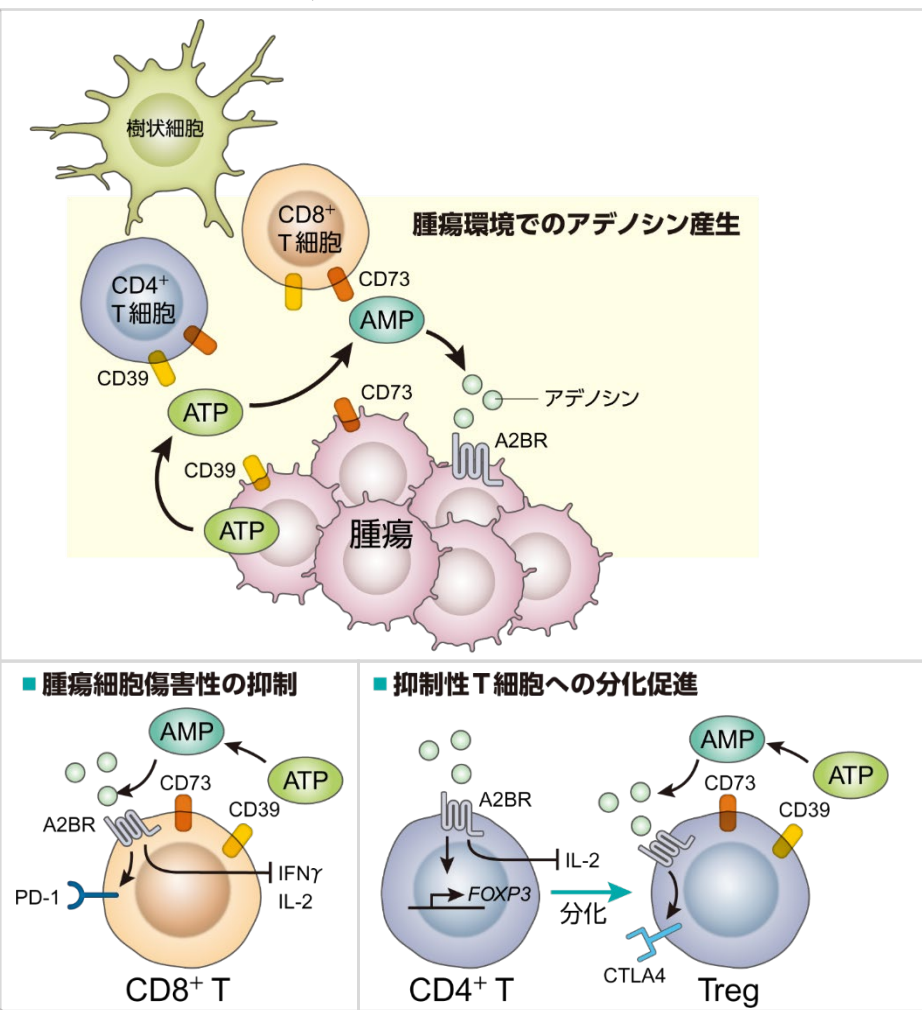
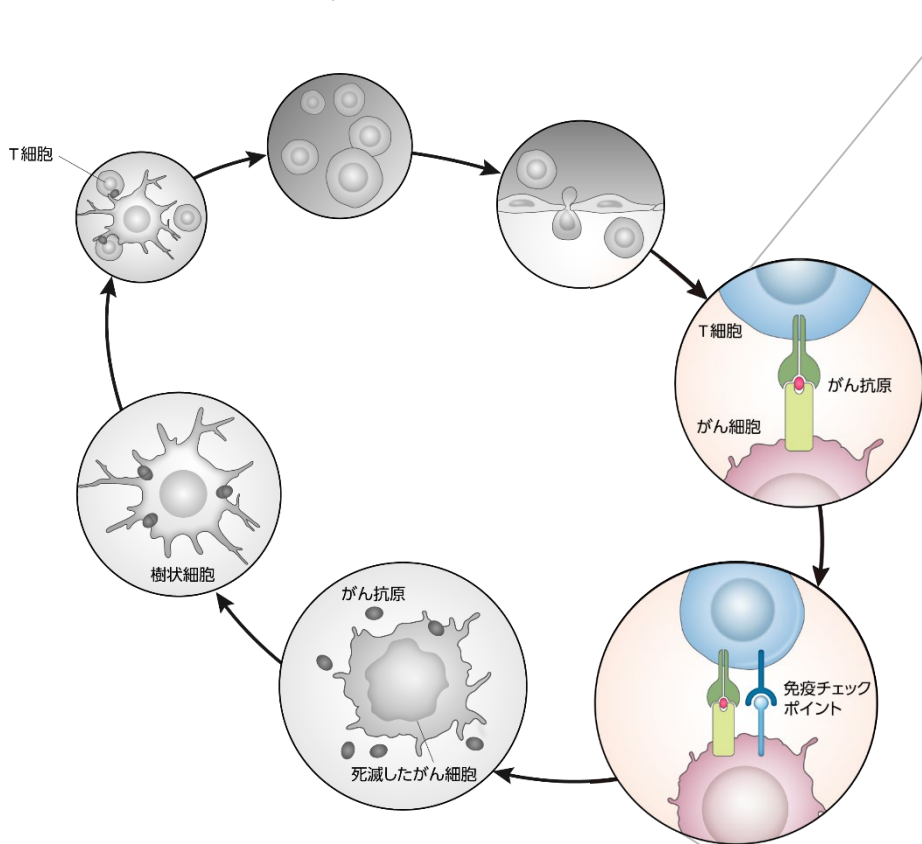
出所： プライトパス・バイオ ESMO 2021

BP1200: CD73抗体

抗体

■ CD73を標的とする新規腫瘍環境改善・免疫活性化抗体

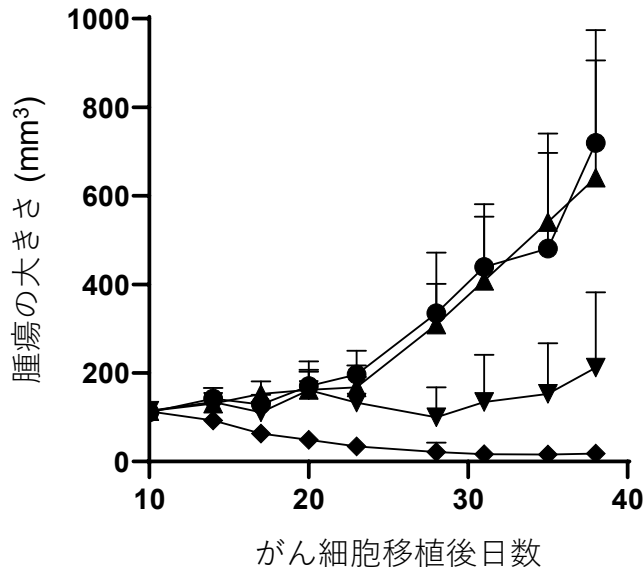
- ・ 腫瘍内アデノシン産生は、T細胞の疲弊と抑制を引き起こし抗腫瘍免疫活性を低下させる
- ・ CD73は多くの腫瘍で高発現してアデノシン産生に関与し、予後不良を引き起こす



BP1200: CD73抗体 (続)

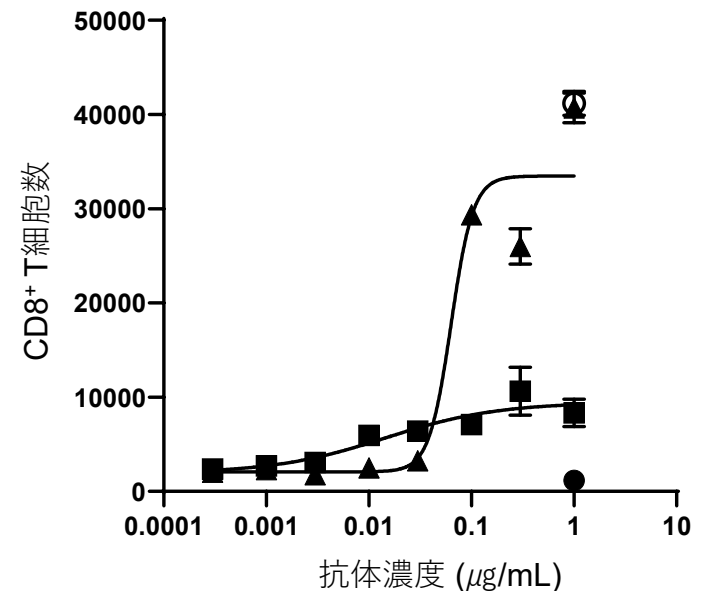
■ 免疫チェックポイント抗体との併用により、腫瘍増殖を強く抑制

担がんマウスモデルの腫瘍抑制



- ▲ BP1200
- ◆ BP1200 + 抗PD-1抗体
- ▼ 抗PD-1抗体
- 陰性コントロール抗体

T細胞の増殖促進と活性化



- ▲ BP1200
- 他社ベンチマーク抗体
- 陰性コントロール抗体

出所： ブライトパス・バイオ ESMO2021

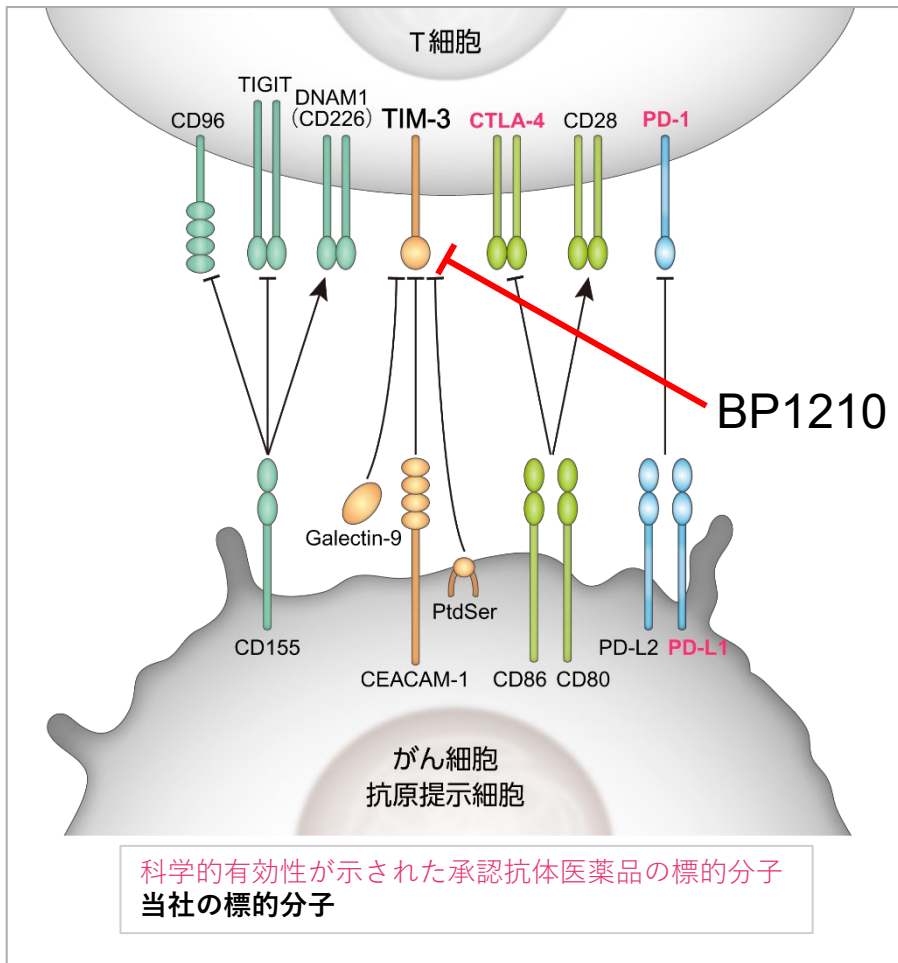
BP1210: TIM-3抗体

抗体

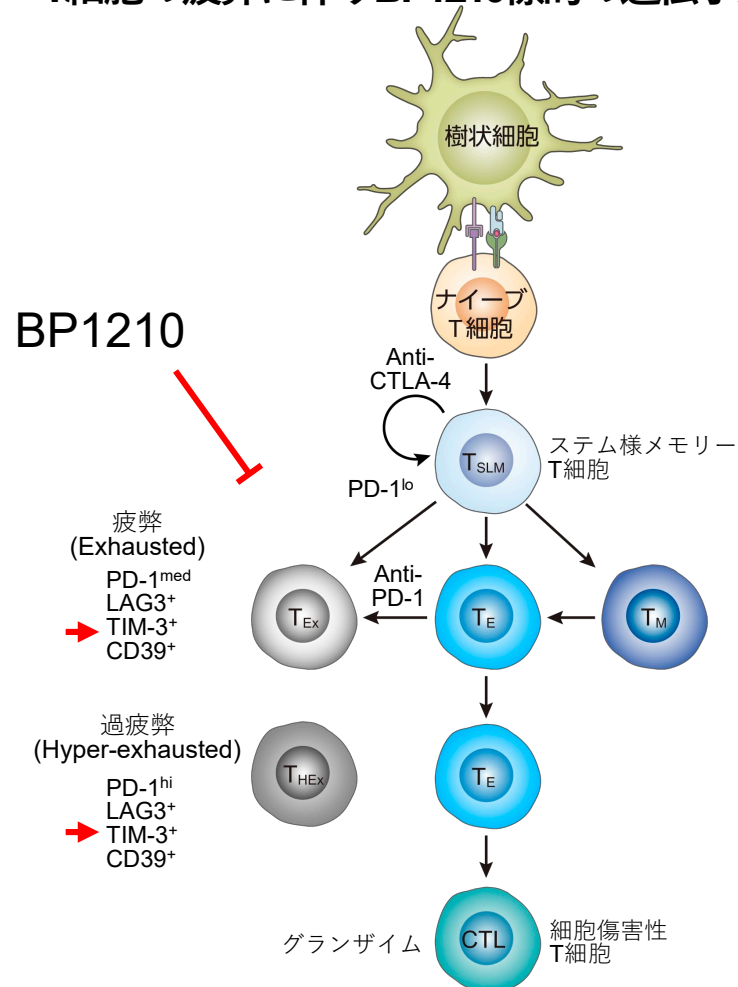
■ キイトルーダ、オプジーボ、テセントリクに続く新規免疫チェックポイントTIM-3阻害抗体

- 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

■ 当社のターゲット免疫チェックポイント分子群



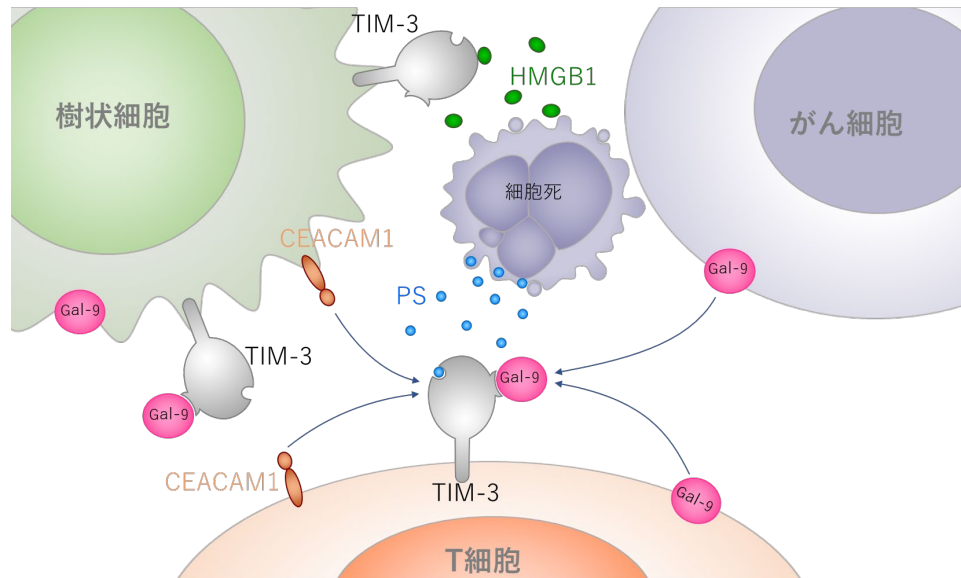
■ T細胞の疲弊に伴うBP1210標的の遺伝子発現



BP1210: TIM-3抗体 (続)

抗体

- 二重特異性抗体技術を駆使し、免疫チェックポイント分子TIM-3を抑制するバイパラトピック抗体BP1210を創製
 - これまでのTIM-3抗体では、複数存在するリガンド*の結合を同時に阻害できず、TIM-3を介する免疫抑制の発動を完全に抑えることができなかった



推定分子構造

抗TIM-3バイパラトピック抗体

抗TIM3
scFv

抗TIM3
scFv

PS結合部位

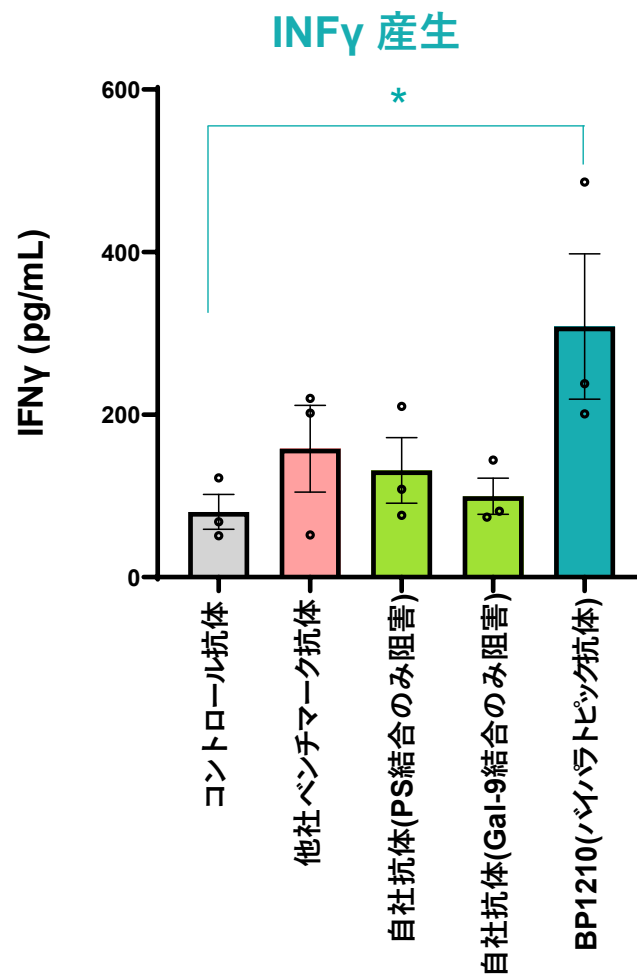
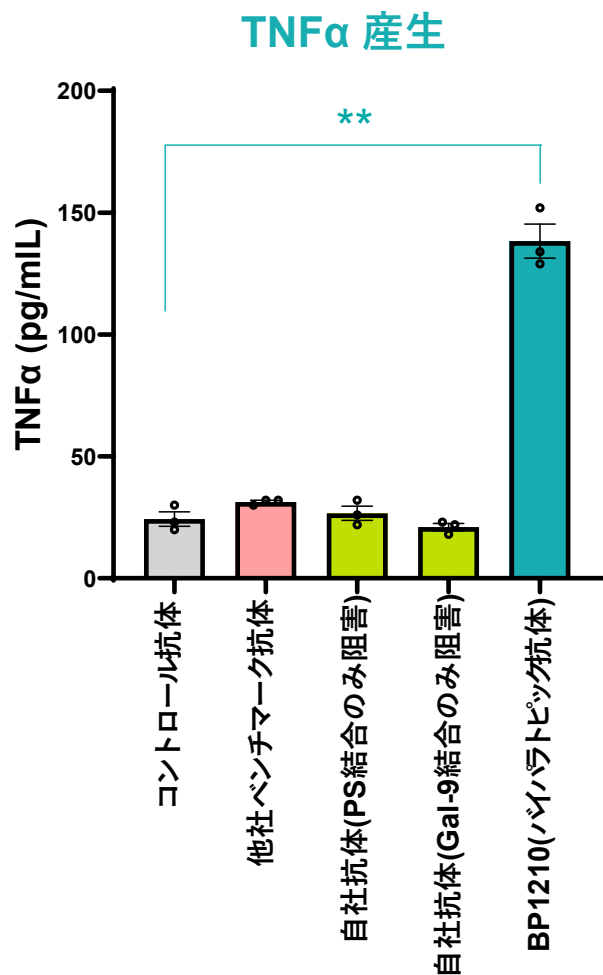
TIM-3

Gal-9 結合部位

* TIM-3には、TIM-3の抗腫瘍免疫抑制機能を発動させる生体内分子が複数存在 (ホスファチジルセリン(PS)、CEACAM1、ガレクチン9(Gal-9)、HMGB1)

BP1210: TIM-3抗体 (続)

■ T細胞の抗腫瘍サイトカイン分泌を促進



(* p<0.05, ** P<0.01)

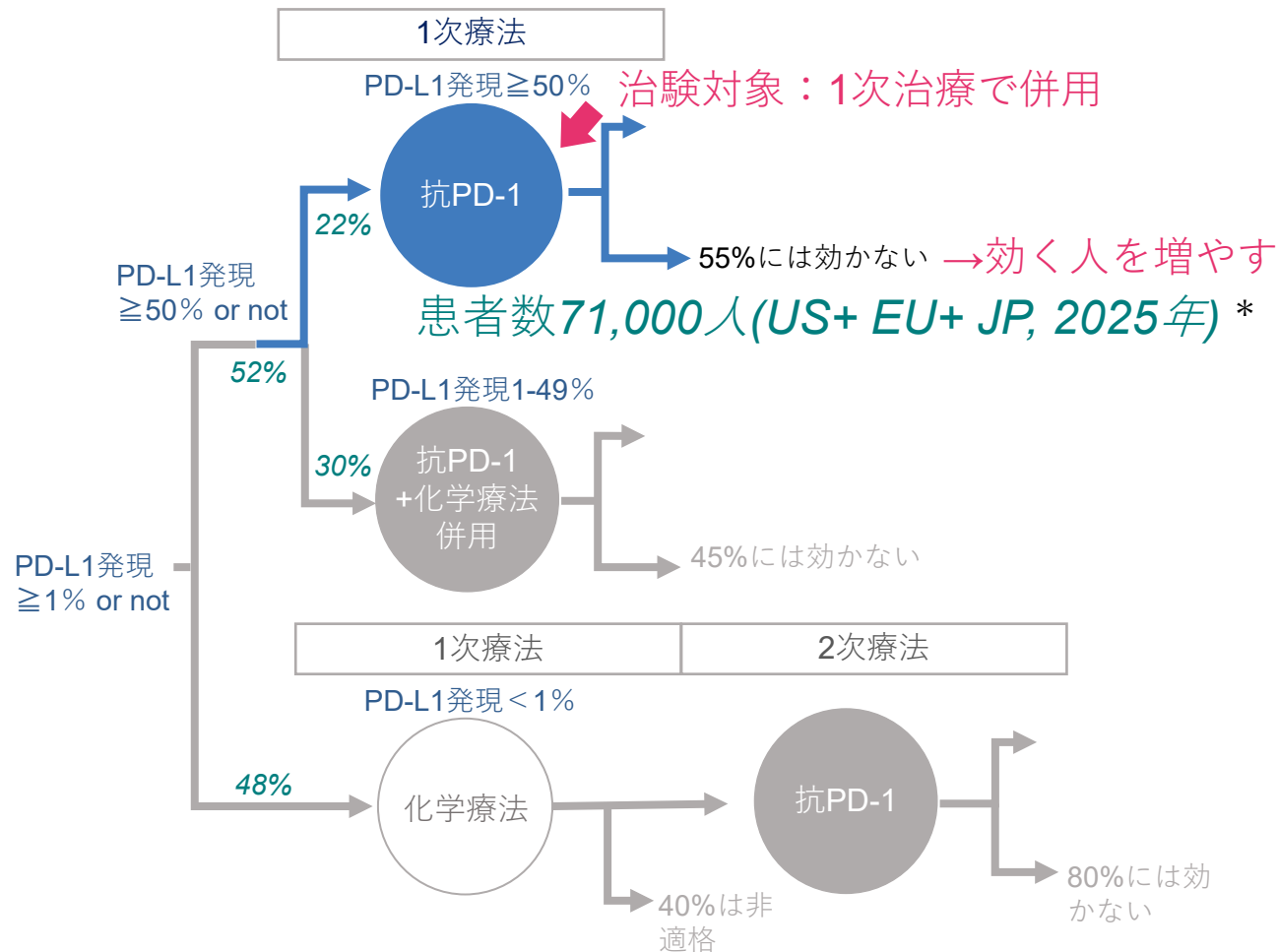
出所: ブライトパス・バイオ SITC 2021

市場環境

GRN-1201の想定患者数(非小細胞肺がん)

ワクチン

■ 非小細胞肺がんの治療シーケンスとGRN-1201の対象患者



* 出所：Datamonitor Healthcare® | Informa, 2020、Dietel et al. Lung Cancer 134(2019)、ブライトパス・バイオ

iPS-NKT細胞療法の想定患者数

- 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**

- 現在の治験対象：切除不能・局所進行/再発頭頸部がん患者

年間罹患数27,000 x 診断時ステージIII/IV割合 20-30% = 4,600人

BP2301の想定患者

- 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が標的

■ HER2発現がん種におけるアンメット メディカル ニーズ

最初の治験
の対象

より患者数の
多い適応症への
拡大余地



がん種	罹患者数 (千人) 日 ¹ / 米 ² / 欧 ³	5年生存率 ² (遠隔転移有)	HER2陽性率 ⁴
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%
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)

がんワクチンの競合環境

ワクチン

ブライトパス	主な相違点	競合開発品	段階	がん種	併用薬	開発企業 (導出先/共同開発)	時価総額
GRN-1201	<ul style="list-style-type: none"> 共有野生抗原 vs 共有NeoAg ペプチド vs mRNA 	BNT111	Ph2	メラノーマ	PD-1抗体	BioNTech	\$54.0bn
		SLATE	Ph1	肺がん他	PD-1抗体 CTLA-4抗体	Gritstone	\$766m
BP1101	<ul style="list-style-type: none"> ペプチド vs mRNA 	iNeST	Ph2	メラノーマ	PD-1抗体	BioNTech (Roche)	\$54.0bn
		mRNA-4157	Ph2	メラノーマ	PD-1抗体	Moderna (Merck)	\$92.8bn
		GRANITE	Ph1	大腸がん他	PD-1抗体 CTLA-4抗体	Gritstone	\$766m
BP1209	<ul style="list-style-type: none"> 抗体+ペプチド vs DNA 	VB10.NEO	Ph2	頭頸部他	PD-1抗体	Vaccibody(Roche)	\$2.2bn

時価総額：2021年11月10日時点

出所：各企業

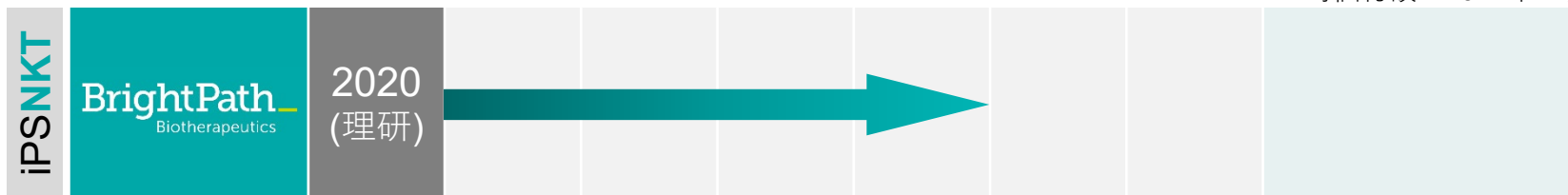
細胞医薬の競合環境

- iPS-NKT
- iPS-NK開発プレイヤーがベンチマーク
- iPS-NKTは日米欧で成立済の特許で広範に守られている

(治験開始の年)

		血液がんCAR			固形がんCAR			時価総額 / 資金調達額
企業	非改変	CD19	BCMA	CD38	EGFR	GPC3	MICA	
iPSNK	Fate Tx	2018	2020	2021			2022	\$5.4bn
	Century Tx		2021	2022				未上場 \$250m Series A (FujiFilm + Bayer) \$160m Series C
	Cytovia Tx	2021			2022	2022	2022	未上場 UCSF/Parker Institute母体

時価総額：2021年11月10日時点



細胞医薬の競合環境 (続)

■ BP2301

- 幹細胞(様)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CAR-Tを作製するCAR-Tプレイヤーがベンチマーク

ブライトパス	主な相違点	開発品	段階	がん種	開発企業	時価総額
BP2301	•HER2標的 vs 血液がん・固形 がん標的双方	P-BCMA-101	Ph2	多発性骨髄腫	POSEIDA	\$437m
		P-PSMA-101	Ph1	前立腺がん		

時価総額：2021年11月10日時点

出所：各企業

抗体医薬の競合環境

抗体

■ BP1200

■ 過去のライセンス取引がベンチマーク

メガファーマによる、アデノシンの産生阻害を作用メカニズムとする抗体のライセンス取引

導入企業	標的	導出企業	取引日	取引時の段階	取引条件 (販売ロイヤリティ除く)
Gilead	CD73抗体	Arcus	2020.5	P1b	10開発品の一括取引 契約一時金\$175m+出資\$200m 総額\$1.6bn
Abbvie	CD39抗体	Tizona	2019.1	IND-ready → IND 2019.4	導入オプション料+共同開発費で アップフロント\$105m
Gilead	CD73抗体 x TGFβRII	Agenus	2018.12	IND-ready → IND 2019.5 (2021.2 drop)	3開発品の一括取引 契約一時金\$120m+出資\$30m 総額\$1.7bn
Astra Zeneca	CD39抗体	Innate Pharma	2018.10	Pre-clinical → IND 2020.3	導入オプション料+共同開発費で アップフロント\$50m
Novartis	CD73抗体	Surface Oncology	2016.1	Pre-clinical → IND 2018.6	現在以降のマイルストーン総額 \$525m

出所：各企業

抗体医薬の競合環境 (続)

■ BP1210

- TIM-3は分子機能の解明がここに来て再び活発化しており、これからライセンス取引が発生する局面にあると想定される

開発企業	現在の開発段階	備考
Novartis	自社創製 Ph3 @High-risk MDS	
GSK	Ph2 PD-1抗体併用@肝臓がん	Tesaro買収(2018.12,買収価額\$5.1bn)により取得
BMS	Ph1/2	Five Prime Therapeuticsとの共同開発(2017)で創製
AstraZeneca	Ph1/2	抗PD-1 x 抗TIM-3のバイスペシフィック抗体
BeiGene	Ph1-2	抗PD-1抗体との併用
Roche	Ph1	抗PD-1 x 抗TIM-3のバイスペシフィック抗体
Incyte	Ph1	抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用
Symphogen	Ph1	単剤および抗PD-1抗体、抗LAG-3抗体との併用
Eli Lilly	Ph1	抗PD-L1抗体との併用

出所：各企業

競争力の源泉

がんワクチンの経営資源・競争優位性

ワクチン

方向性	技術的な資源・競争優位性	GRN-1201	BP1101	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			✓

細胞医薬の経営資源・競争優位性

細胞

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP2301	BP2201	CAR-iPSNKT
1	幹細胞様T細胞を駆使する、固形がんにも有効なCAR-T	幹細胞様T細胞を集中的に増殖させる製造技術	✓		
2	iPS由来NKT細胞を用いる他家細胞療法	世界に先駆けて臨床応用されている、NKT細胞へ分化するiPS細胞マスターセルバンク		✓	✓
3	CAR-iPSNKT展開	CAR-T技術 X iPS由来NKT細胞プラットフォーム			✓

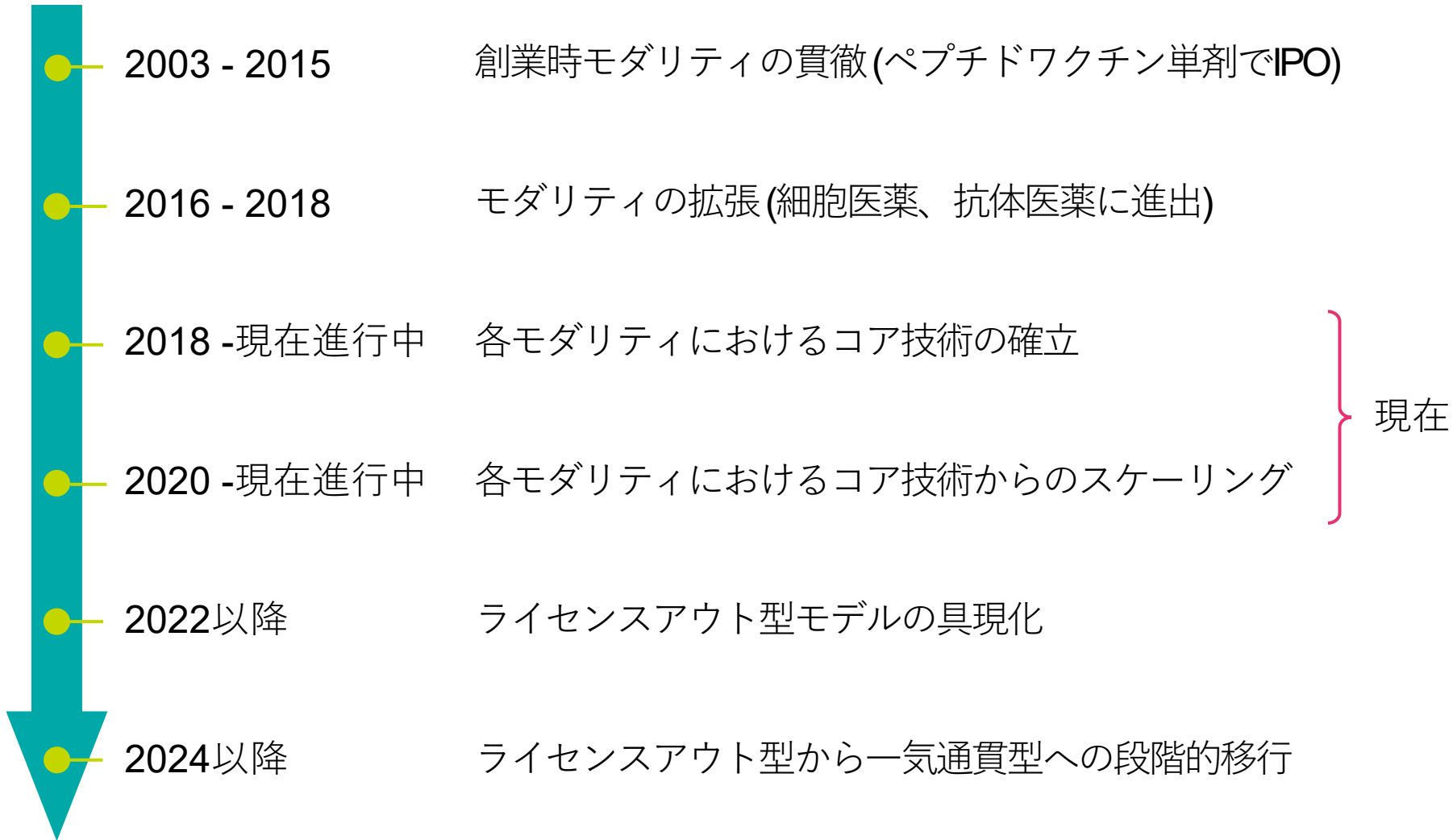
抗体医薬の経営資源・競争優位性

抗体

	方向性	技術的な資源・競争優位性	BP1200	BP1210	Bispecific
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と免疫細胞の活性化効果	✓		
2	がん免疫抑制の起点となる免疫チェックポイントの阻害	二重特異性技術(バイパラトピック抗体)による免疫チェックポイント分子の徹底的阻害		✓	
3	二重特異性を始めとする機能改変抗体	多彩な組み合わせと、掛け合わせを可能にする自社保有モノクローナル抗体			✓

事業計画

これまでの経緯と今後



成長戦略

完了後にライセンスアウト活動

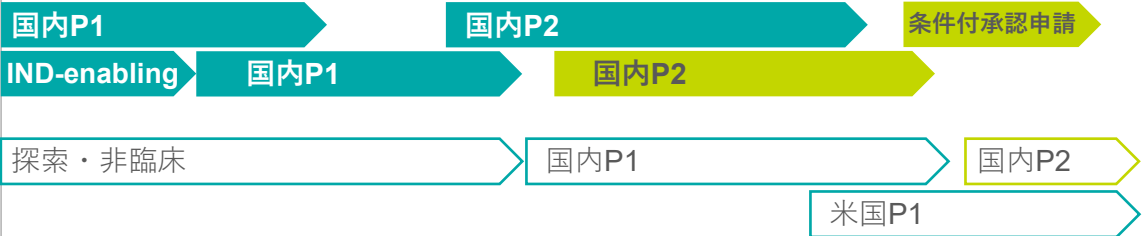
がんワクチン

GRN-1201 4種共通抗原
 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
 BP2301 HER2 CAR-T



抗体

BP1200 CD73
 BP1210 TIM-3
 BP1202 (非開示)
 BP1206 HLA-DR
 BP1211 PVR

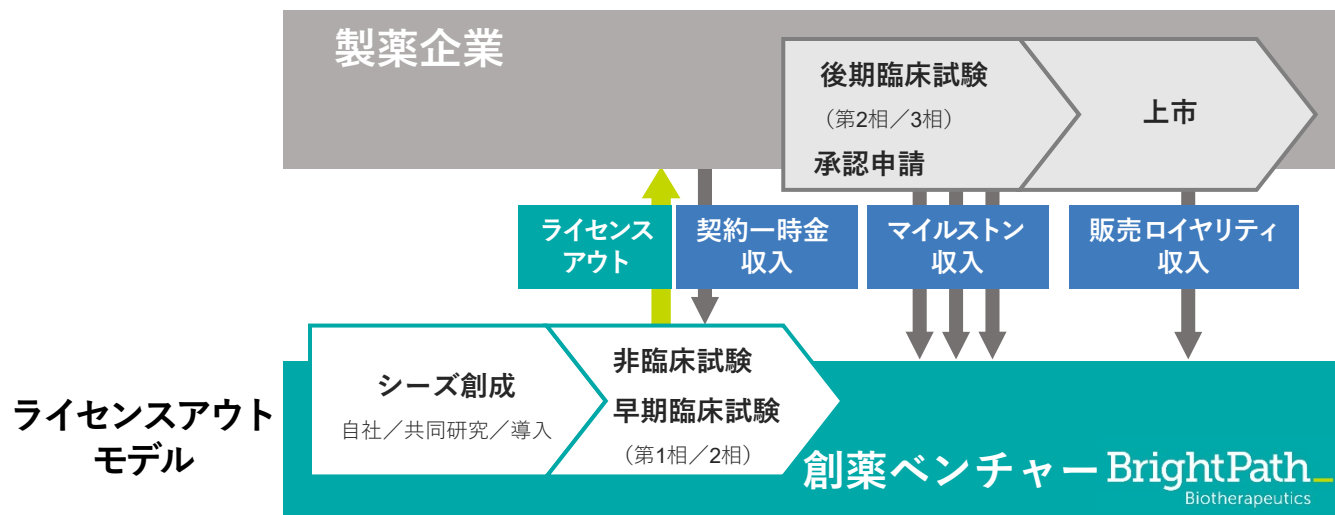


(注) 開発品が定まった段階でパイプラインヘアップ予定

- * 当社想定によるもので記載通りに進行することを保証するものではありません
- * 導出後のすべての開発は、導出先企業の開発戦略により決まります

経営指標

- 早期段階までの医薬品開発を手掛けた後に医薬品候補を製薬企業へライセンスアウトしライセンス収入を得る事業モデル
- パイプラインの開発進捗が企業価値の向上につながるため、これを重要な経営指標としている
- 世界で数多く起こっているライセンス取引は、パイプライン/モダリティ毎に開発段階が異なり、それぞれの取引額の相場も形成されているため、ライセンス取引フローの状況を常にアップデートし、その段階に到達するまでの期間とコストを目安としている。
- 医薬品開発は投資回収サイクルが長期に及び、ライセンスアウト型事業モデルで早期回収を図るとはいえ開発投資が先行することは変わらず、当社は現在先行開発投資の段階にいるため、1年単位で見るROAやROE等は経営指標として馴染まない



利益計画及び前提条件

- 足元では年間10-15億円を研究開発に投じ、臨床試験、臨床試験入りさせるための非臨床試験および治験薬製造準備、さらに早期シーズの探索研究を推進
- ライセンス取引が発生している開発段階への到達が早いものに優先的に開発資金を投じる
- 前倒しのライセンスアウトや共同開発スポンサーと提携機会を探る
- パイプラインの開発推進には短期的・中期的な資金確保が重要であるため、計画的な資金調達により必要な資金を確保し、成長戦略の実現を目指す。なお、直近では第14回新株予約権により2,265百万円（当初調達予定額比+234百万円）の資金調達を完了

（単位：百万円）

	2020年3月期 （実績）	2021年3月期 （実績）	2022年3月期 （予想）	対前期 増減額
売上高	11	2	2	0
販売費及び一般管理費	1,834	1,734	1,854	120
研究開発費	1,485	1,408	1,515	107
その他	349	326	339	13
営業利益	△ 1,827	△ 1,732	△ 1,852	△ 120
経常利益	△ 1,823	△ 1,738	△ 1,852	△ 114
当期純利益	△ 1,857	△ 1,719	△ 1,854	△ 135

進捗状況

		FY2020	FY2021	FY2022
がんワクチン				
GRN-1201	4種共通抗原			↓ P2 ステージ1 データ FY2021 4Q
BP1101 BP1209 BP1401	ネオアンチゲン 次世代ネオアンチゲン TLR9アゴニスト		ESMO 2021 1005P "A new platform of personalized neoantigen cancer vaccines directed by checkpoint inhibitor antibodies to improve cancer immunity." ◆	
細胞				
iPS-NKT BP2301	iPS細胞由来再生NKT細胞 HER2 CAR-T		↓ P1開始	↓ P1開始 FY2022 1Q
抗体				
BP1200 BP1210 BP1202 BP1206 BP1211	CD73 TIM-3 (非開示) HLA-DR PVR		ESMO 2021 987P "A novel therapeutic antibody against CD73 that ameliorates the tumor microenvironment and improves the efficacy of cancer immunotherapy" ◆◆	SITC 2021 235 "Novel biparatopic TIM-3 antibody effectively blocks multiple inherent ligands and activates anti-tumor immunity"

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大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。

本資料の取扱いについて(免責事項)

- 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。
- 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。
- 業界等に関する記述は、信頼できると思われる各種データに基づいて作成されていますが、当社はその正確性、完全性を保証するものではありません。
- 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ないものではありません。
- 本資料の更新は、今後、本決算の発表時期を目途に開示を行う予定です。また、開発計画に重要な進捗・変更が生じた場合は、適宜開示いたします。

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

