

(上場市場) 東京証券取引所 グロース市場
(証券コード) 4594

第22回定時株主総会 会社説明会

2025年6月19日
ブライトパス・バイオ株式会社

Copyright © BrightPath Biotherapeutics Co., Ltd.

BrightPath—
Biotherapeutics

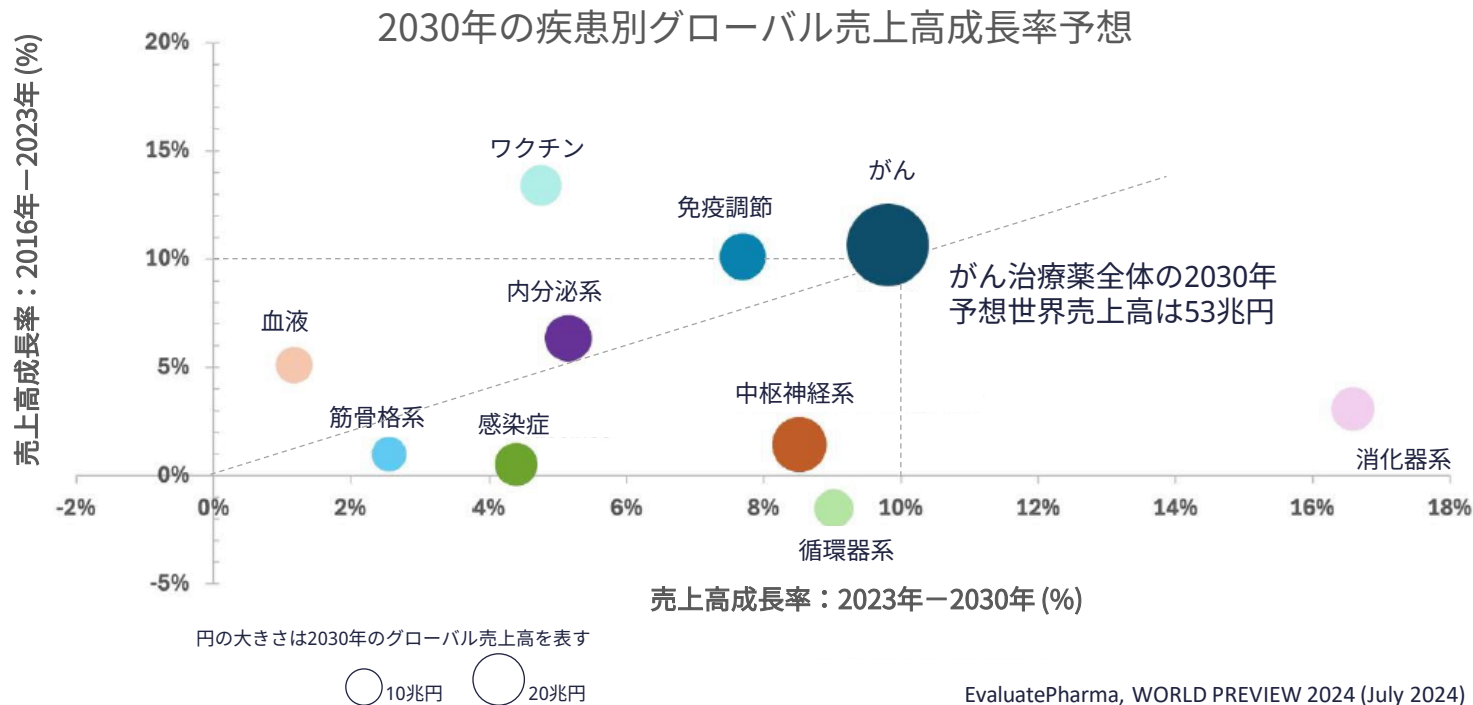
本資料の取扱いについて(免責事項)

- 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。

今後の成長戦略

開発領域の市場規模と成長率

■ がん治療薬は引き続き、高い市場規模と市場成長率が予想されている



EvaluatePharma, WORLD PREVIEW 2024 (July 2024)

開発パイプライン

開発品	メカニズム/標的	がん種	探索	非臨床	PI	PII
細胞医薬						
BP2201	iPS細胞由来再生NKT細胞	頭頸部がん				
BP2202	BCMA CAR-iPSNKT	多発性骨髄腫				
BP2301	HER2 CAR-T	骨軟部肉腫 婦人科がん				
抗体医薬						
BP1200	CD73					
BP1202	CD39					
BP1210	TIM-3					
BP1212	CD39×TIM-3					
BP1223	CD39×CD3	急性骨髄性白血病				
がんワクチン						
BP1209	個別化ネオアンチゲン	固形がん				

イベント

2024年度通年ハイライト:

- ① BCMA CAR-iPSNKT (BP2202) のマスターiPS細胞株の作製とNKT細胞への分化誘導工程(製造工程)のCDMOへの移管が進展
- ② HER2 CAR-T (BP2301) の臨床試験（信州大学附属病院での医師主導治験）が進展
- ③ 抗体医薬パイプライン(BP12xx) の導出活動継続中

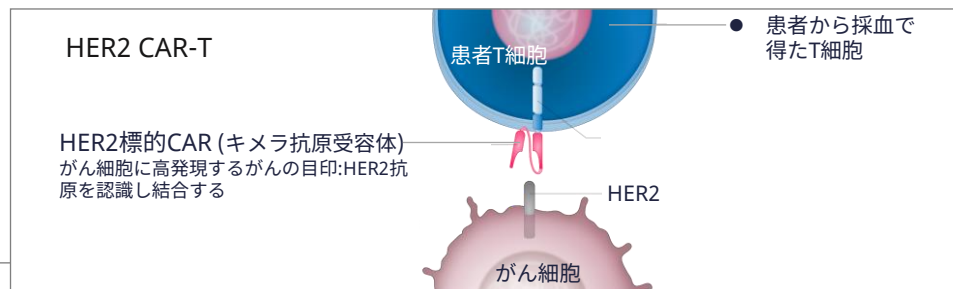
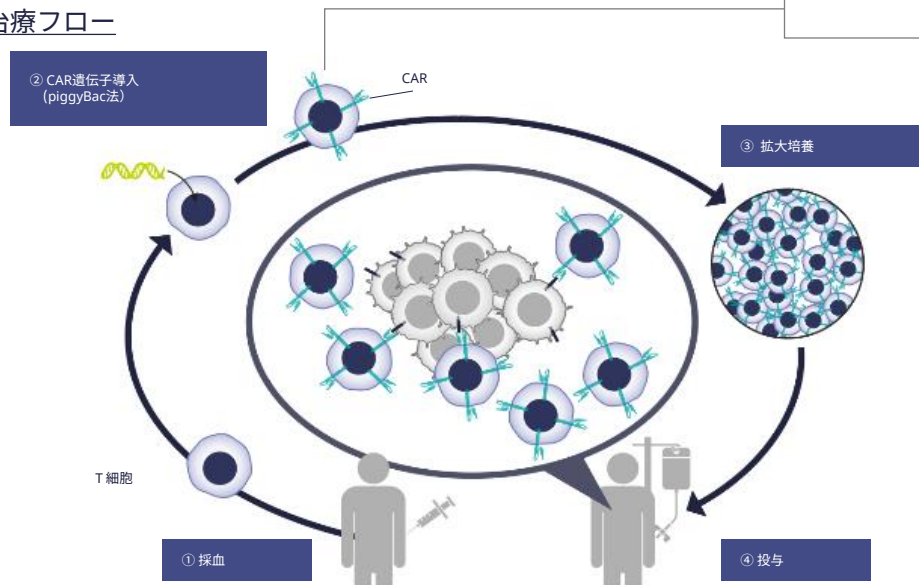
		2023年度	2024年度	2025年度	2026年度	2027年度以降
細胞医薬						改良製造工程 ↓での試験開始
BP2201	iPS-NKT		P1データ ↓			
BP2202	BCMA CAR-iPSNKT	遺伝子編集技術導入 ↓	① ↓ その他技術導入		↓ P1治験届	
BP2301	HER2 CAR-T		②		↓ P1データ	
抗体医薬						
BP1200	CD73		③ }			
BP1202	CD39	↓ 非臨床POC				
BP1210	TIM3					
BP1212	CD39 x TIM3					
BP1223	CD39 x CD3		非臨床POC ↓			
がんワクチン						臨床試験 ↓
BP1209	個別化ネオアンチゲン					

開発パイプラインの進捗状況

新規自家HER2標的CAR-T細胞療法

- 第I相臨床試験を2025年度中に完了予定
 - ・ 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

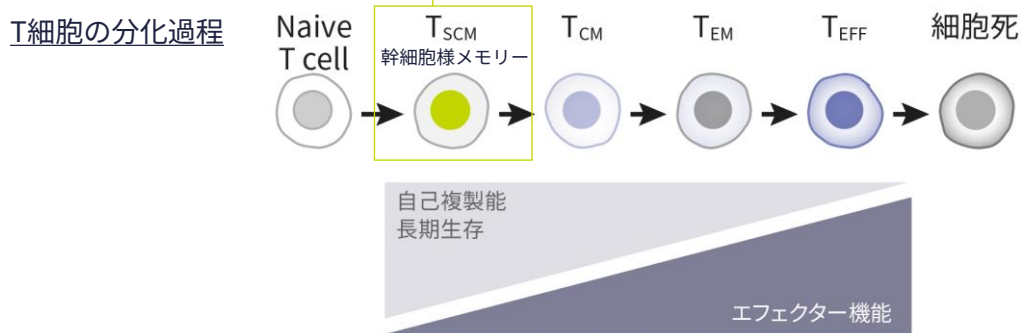
CAR-T治療フロー



BP2301の開発コンセプト

● 幹細胞様メモリーT細胞の活用

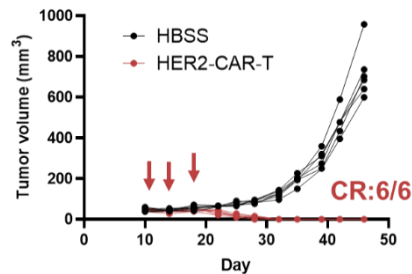
- 免疫抑制的な固形がん腫瘍組織において、すぐに疲弊し無機能化することを免れ、がん細胞を殺傷し続けるCAR-T細胞となる
- 分化をたどるT細胞の中で、若く自己複製能と持続性に長けた幹細胞様メモリーT細胞を多くCAR-T細胞として用いることができるように製造工程を構築



● 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

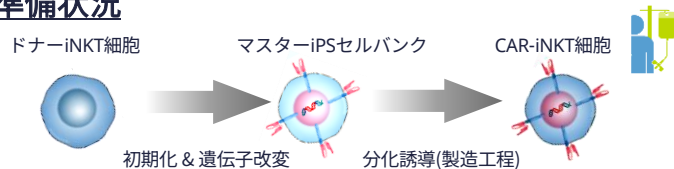
出所：ブライトパス・バイオ AACR2022



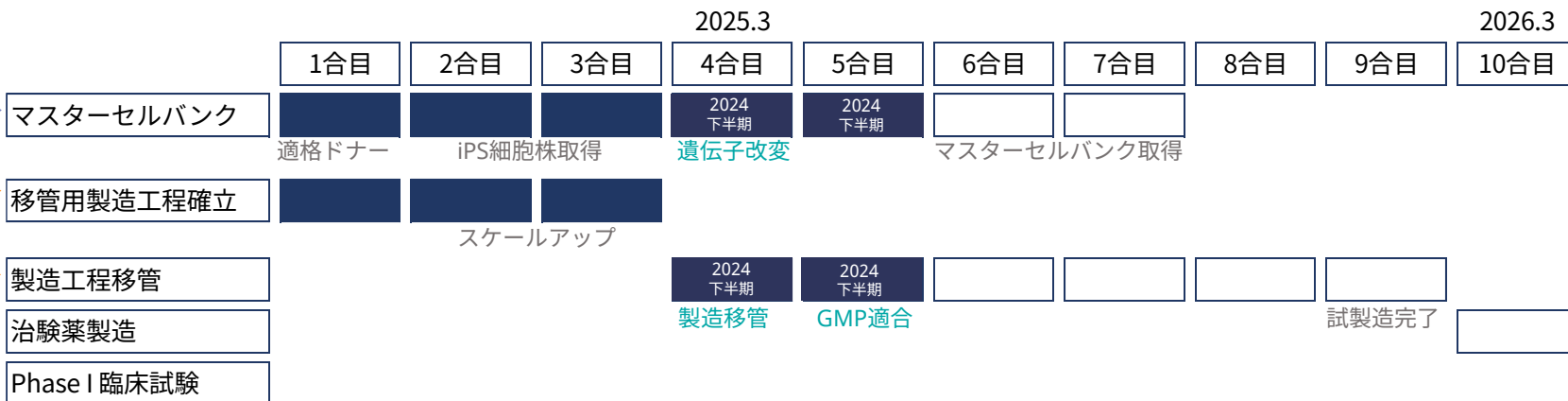
iPS細胞から作製するBCMA CAR-NKT細胞療法

- 2025年度末を目途に開始する米国臨床試験（対象：多発性骨髄腫）の準備段階

準備状況



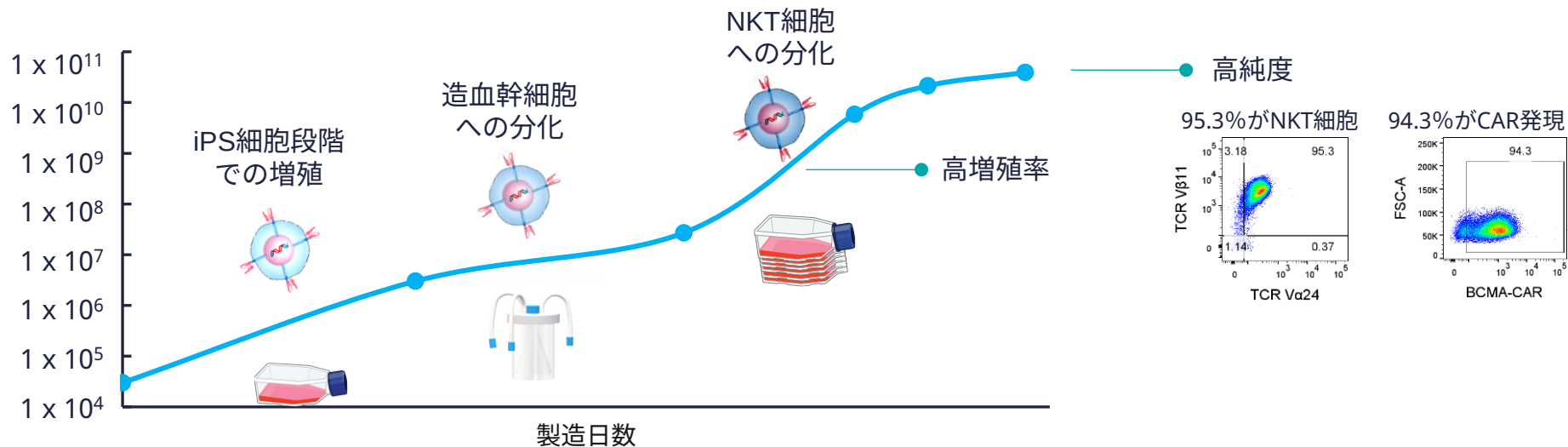
達成
今後



臨床試験に向けての準備状況

- 臨床グレードで、第I相臨床試験の予定症例数 x 1人当たりの投与細胞数を1バッチで確保できる製造工程を構築
→ CDMOへ製造移管 → CDMOでGMP適合

臨床スケールの製造（細胞拡大培養）工程

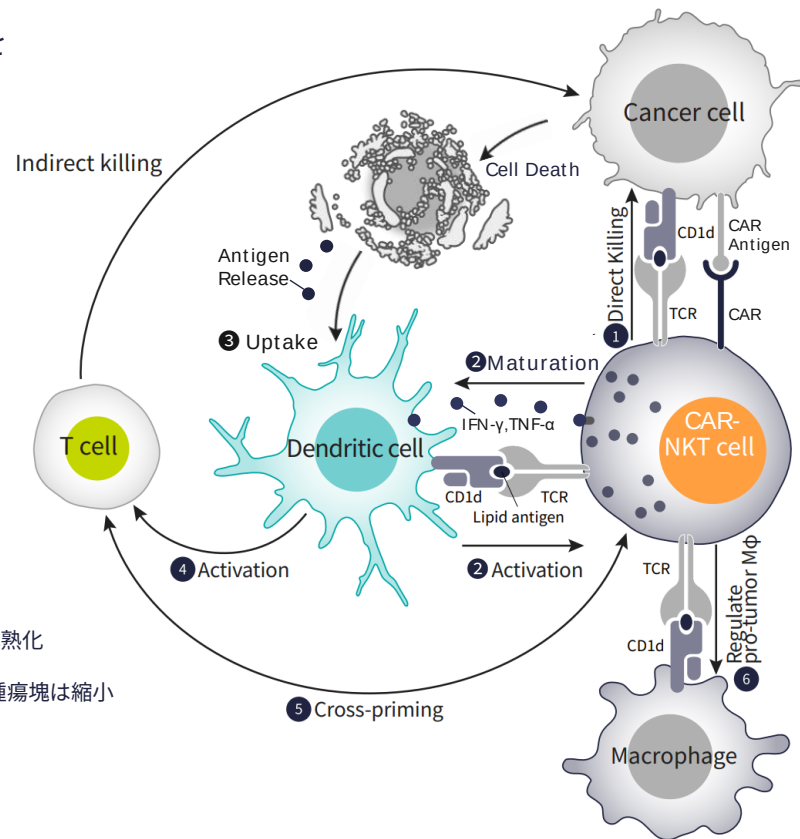
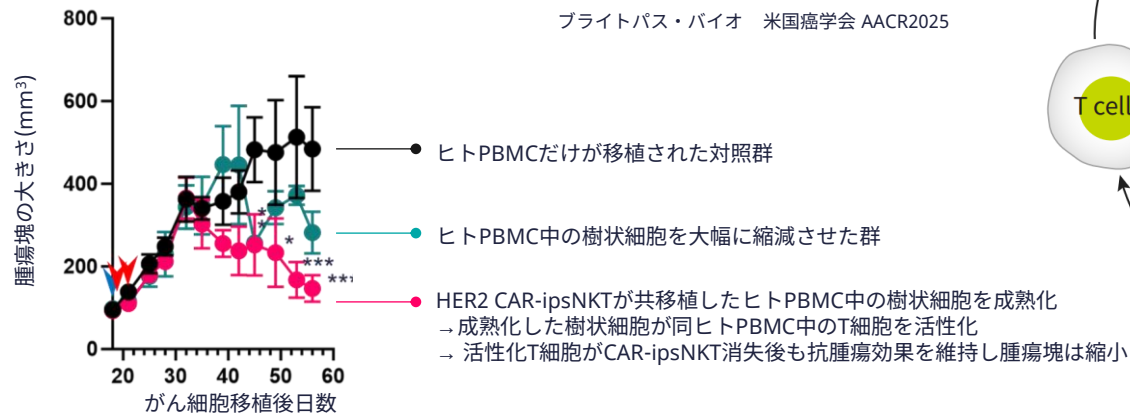


BP2202の開発コンセプト

- 他家CAR-T細胞療法のT細胞として、通常のT細胞とは異なる特性をもつNatural Killer T (NKT) 細胞を用いる
- CAR-NKT細胞にがん細胞を直接傷害させるとともに、かつNKT細胞の患者体内の免疫細胞を活性化させる機能を活用して、2次的ながん細胞傷害を引き出す

CAR-ipsNKT細胞による抗腫瘍性T細胞活性化を確認した担がんマウスモデル試験

ブライトパス・バイオ 米国癌学会 AACR2025

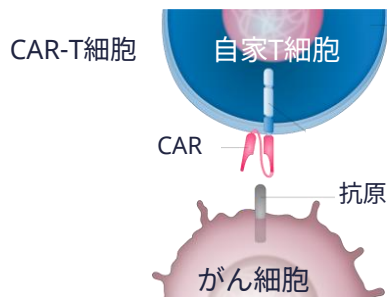


事業コンセプト: 他家CAR-Tの課題を解決し、真に自家CAR-Tを置き換え得る他家CAR-Tに

自家

細胞源：患者自身の血液

- 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）



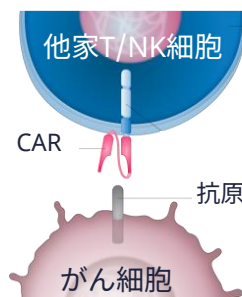
自家CAR-Tの課題

- 一定の割合で起こる製造失敗
- 長い待機時間
- 製造コスト

他家

健康人ドナー由来

- 治療を受けられる確実性
- 待機時間無し



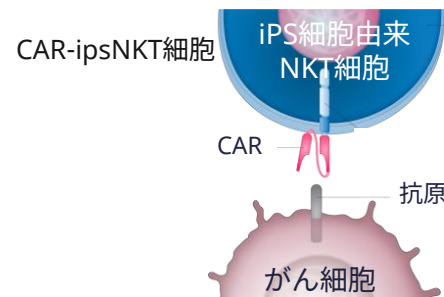
先行開発CAR-Tの課題

- 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

他家iPS細胞

健康人ドナー由来

- 臨床効果の持続性の担い手となる患者自身のT細胞を活性化する他家CAR-T



- NKT細胞が誘導する患者自身の抗腫瘍性T細胞によって、既存の他家CAR-T細胞療法には欠如している臨床効果の持続性がもたらされる

iPS細胞由来免疫細胞を用いる先行CAR-T/CAR-NK開発品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	CAR遺伝子導入			プラットフォーム型 ライセンス先
			血液がん	固形がん	自己免疫疾患	
iPS-T		2018		 HER2 (2023)	CD19 (2024)	 小野薬品工業2018 (2候補品)
			CD19 (2023)		CD19 (2025)	
iPS-NK					 GILEAD 非開示(2025)	 GILEAD 2021 (複数候補品)
					CD19 (2024)	
iPS-γδT			非開示 (一)			
iPS-NKT		2020 (理研)	BCMA (2026E)			

千葉大学医学部附属病院
(第I相臨床試験完了報告2024)

出所:各企業

一: 研究段階でIND予定非公表

グローバル大手製薬企業のCAR-T細胞製品への取り組み

- 大手製薬企業は細胞医薬ベンチャーとの提携によって第2世代に参入

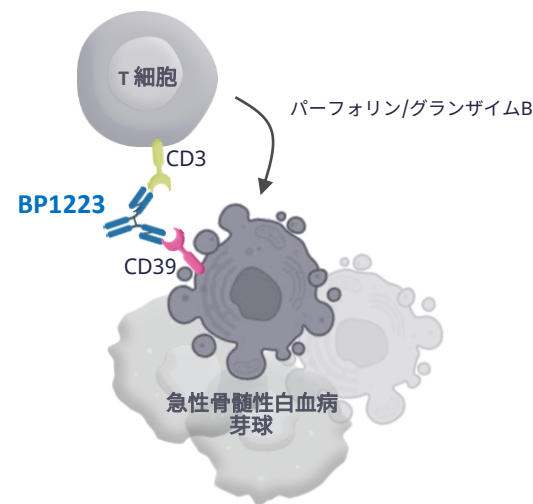


BP1223 (抗CD39 T細胞エンゲージャー抗体)

抗体

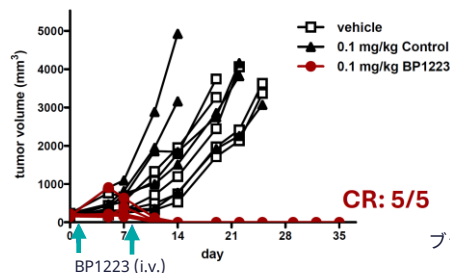
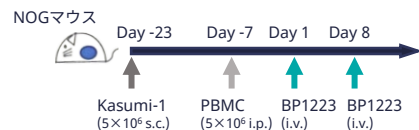
開発コンセプト: CD39を標的とする急性骨髄性白血病芽球の直接傷害

- 急性骨髄性白血病 (AML, Acute Myeloid Leukemia) などの血液がん細胞上に多く発現するCD39と、免疫細胞であるT細胞上に発現するCD3の双方に結合する二重特異性抗体 (T細胞エンゲージャー抗体)
 - ・ がん細胞とT細胞を架橋することによって、CD3経路の刺激を受けて活性化したT細胞が、CD39を目印にがん細胞を排除
- CD39は初診および再発急性骨髄性白血病の標準療法Venetoclaxに対する耐性/治療抵抗性が増すとともに発現亢進してくる点が、これまでの開発品の治療標的となってきたCD123, CD33, CD47, TIM-3等と大きく異なる



急性骨髄性白血病マウスモデル試験

BP1223は単剤で5匹全匹のマウス腫瘍を完全に排除した



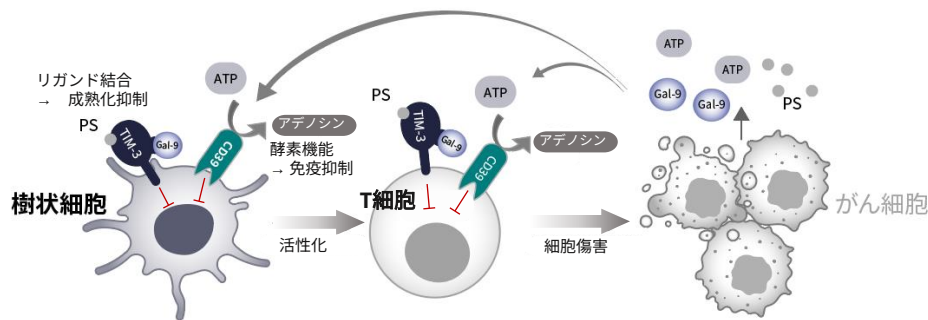
ブライトパス・バイオ 米国血液学会年次会議 ASH2024

BP1212 (抗CD39 × 抗TIM-3バイスペシフィック抗体)

抗体

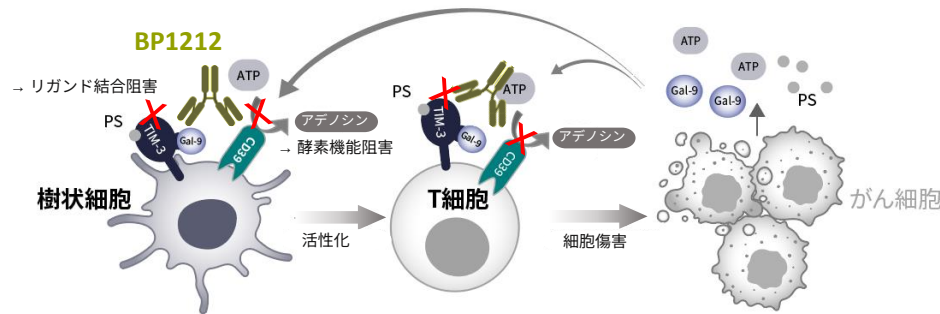
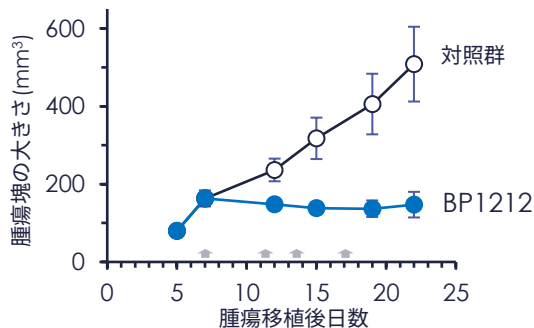
開発コンセプト: がん免疫療法におけるファースト・イン・クラスのNLRP3活性化剤

- CD39, TIM3双方を高発現する樹状細胞における、CD39, TIM3双方の経路から来るNLRP3インフラマソーム抑制の解除を通じた樹状細胞活性化
- 樹状細胞による抗原提示を通じたT細胞活性化の促進
- ATPや細胞死を起こしているがん細胞由来分子が多量に放出される腫瘍環境下で作用
- 樹状細胞同様、双方ともに高発現する腫瘍反応性活性化T細胞にも選択的に結合し、疲弊と機能低下を抑制



固形がんマウスモデル試験 (CD39, TIM3ダブル・ノックインマウス)

BP1212は単剤で腫瘍の増殖を著しく抑制する



資金調達状況と今後の施策

2025年3月期 期初計画と実績の対比

(単位：百万円)

	期初計画	実績	差異
売上高	0	1	1
販売費及び一般管理費 (研究開発費)	925 (616)	1,162 (888)	※ 235 (272)
営業利益	△925	△1,160	△235
経常利益	△925	△1,147	△222
当期純利益	△927	△1,151	△224

※ パイプライン2202の研究開発費増加による

	2025年3月期 実績	2026年3月期 予想	増 減
売上高	1	0	△1
営業利益	△1,160	△1,182	△21
経常利益	△1,147	△1,164	△16
純利益	△1,151	△1,166	△15

研究開発費	888	865	△22
-------	-----	-----	-----

新株予約権による調達資金の使途 : パイプライン進捗に向けた投資

2026年3月期 計画

調達資金の投入

細胞医薬：BP2202（他家CMA CAR-NKT細胞療法）

- ✓ プロトタイプ開発品の開発⇒マスターセルバンク取得
- ✓ GMP適合製造工程移管： 試製造完了
- ✓ 米国での臨床試験実施に向けた申請

細胞医薬：BP2301（自家HER2 CAR-T細胞療法）

- ✓ 第 I 層医師主導治験の完了

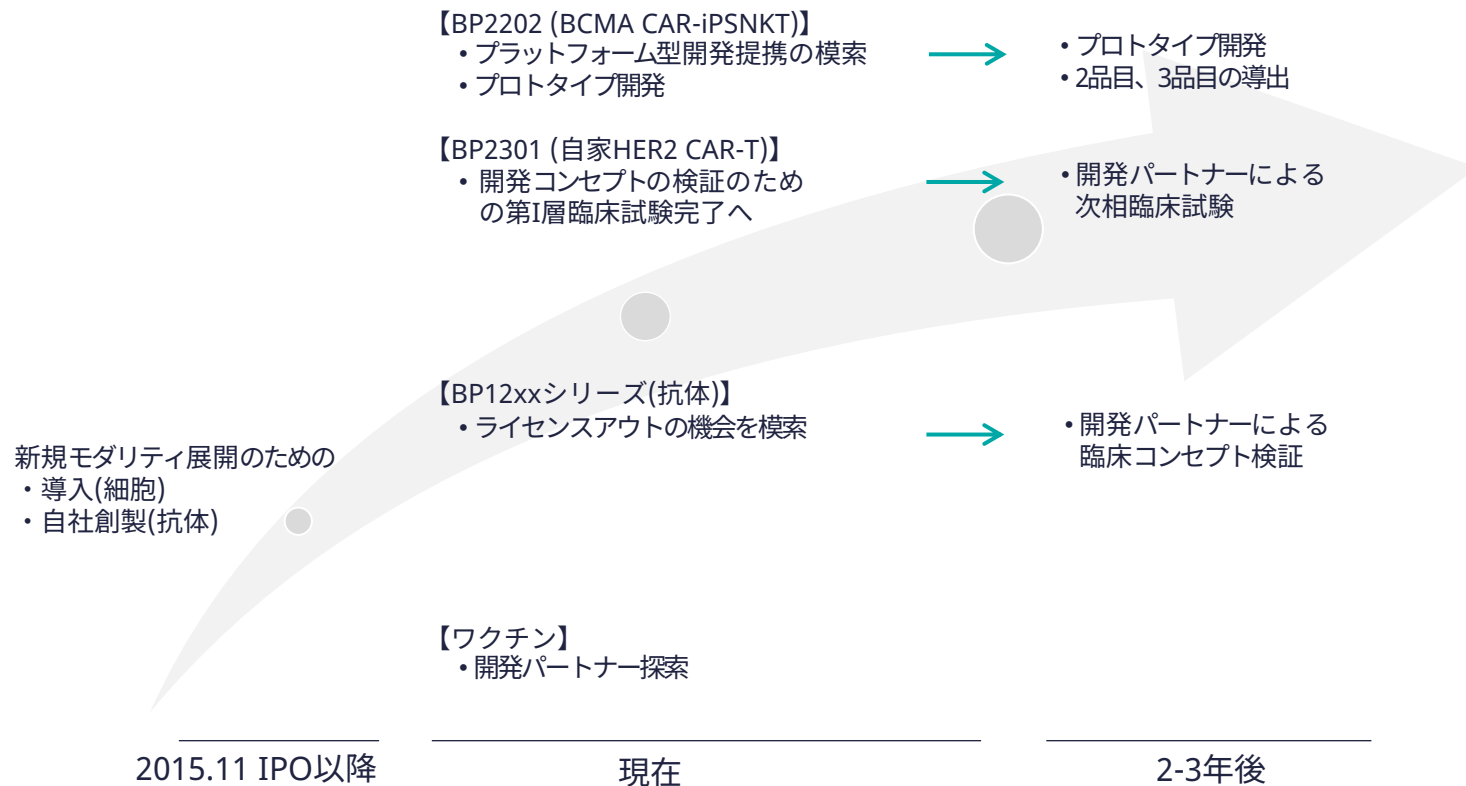
抗体医薬：BP1200/1202/1210/1212/1223

- ✓ 導出に向けた、抗体のプロファイリングのための非臨床データ取得

その他事業運営資金

- ✓ 事業開発並びに研究開発推進支援および経営管理関連費用 他

中期的な成長イメージと今後の施策



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	：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	1,199百万円 (2025年3月末現在)		
社員数	24名 (2025年3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	久留米大学名誉教授
	取締役 (社外、独立役員)	竹内 弘高	一橋大学名誉教授
	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

BrightPath_

Biotherapeutics