

2024年5月24日

各位

株式会社リボミック
(コード番号：4591 東証グロース)**2024年3月期決算説明会（質疑応答）**

2024年5月22日（水）開催のアナリスト、機関投資家向け2024年3月期決算説明会における質疑応答を記載させていただきます。

尚、決算説明会の内容につきましては、昨日掲載しました関連資料並びに後日配信予定の動画をご高覧願います。

1. 提携について

質問	回答
ACH に関しては海外 2 社様という話がありましたが、wet AMD、RBM-011 に関する提携・ライセンス状況の詳細を教えてください。	<p>ご指摘のとおり、ACH については前期第 II 相試験を実施中ですが、その結果を待たずに導入を希望している海外企業があり、彼らと秘密保持契約を締結してライセンス協議を進めているところです。</p> <p>wet AMD については、米国での第 II 相試験終了直後の速報で、RBM-007 が比較薬の Eylea[®] に対する優位性を示すことができなかったという結果を開示して stakeholder の皆様の大きな失望に繋がり株価も急落しましたが、実はこの治験は失敗ではなかったことが、その後の事後解析の結果から明らかになりました。それらの詳細は今年初頭に、英国王立眼科学会誌 Eye に論文が受理掲載されましたが、RBM-007 は Eylea[®] に対しては非劣勢であり、単剤で wet AMD の治療に有効であるという臨床 POC を示すことに成功しました。その発表に注目した海外企業 2 社と現在秘密保持契約のもとで提携協議を進めているところです。彼らの着眼するところは、一般に既存薬（Eylea[®] や Lucentis[®] 等の抗 VEGF 薬）に対する非劣性が証明できていれば医薬品として上市することが原則可能であり、さらに既存薬では効果がない線維化（瘢痕形成）予防という新しい作用が確認できれば、現在 1.5 兆円の抗 VEGF 薬マーケットのか</p>

	<p>なりを当社の薬で置き換えることが期待できると考えているからです。私もこの点については同感です。</p> <p>RBM-011 については、肺動脈性肺高血圧症（PAH）モデルでの薬理試験や原薬の GMP 合成と安全性試験が完了して、いつでも第 I 相試験を開始できる状態です。PAH を重点領域とする海外企業から、速やかに第 I 相試験の開始が可能な RBM-011 について、導入の打診があり、現在秘密保持契約下で協議を進めているところです。</p>
<p>RBM-007 について、wet AMD と ACH でそれぞれ別の企業に対して導出交渉をされていると理解すればよいか。</p> <p>また、それぞれ導出した場合、別々の企業で Phase 3 を実施し、それぞれの地域で承認申請されるという認識でよいか。</p>	<p>ご指摘のとおり、RBM-007 は wet AMD と ACH の2つの疾患に対して有効ですが、ライセンスは対象疾患を限定した契約を前提に協議を進めています。導出先での承認申請については、基本にご指摘のとおりだと理解していますが、場合によっては、多国間での国際共同治験もありうると思っています。</p>

2. ACH の臨床試験の進捗について

質問	回答
<p>前期第 II 相試験の中間ぐらいまできているという状況で、今の見通しでは 2025 年のところまで順調に進むと理解してよいか。</p>	<p>RBM-007 は新薬ですから、これを小児の ACH の患者様に皮下投与する治験で一番心配してきたことは「安全性」です。幸い現在まで合計 140 回程度の皮下注射を実施してきましたが、副作用や安全性の懸念が全く発生しておらず、安堵しています。このまま障害なく進めば、RBM-007 を高用量にして投与間隔も長くとる後半の治験に進めることができるものと考えております。</p>

3. RBM-011 について

質問	回答
<p>貴社で臨床試験を準備中と思っていたが、場合によっては Phase1 の開始前に導出する可能性もあると理解してよいか。</p>	<p>1 の項でご説明させていただきましたように、当社としては、Phase1 の開始前に導出する方針でおります。</p>

4. RBM-007 以外のパイプラインの状況について

質問	回答
決算短信にて、RBM-007 以外のパイプラインの記載で、優先順位を変更したという表記になっていたが、いつのタイミングでどういふふうに変更をしたのかを教えてください。	今年 2 月 20 日に開示した第三者割当による第 15 回新株予約権及び第 16 回新株予約権に係る資金使途及び支出予定時期の変更に関するお知らせの中にパイプラインの優先順位について詳しく記載しております。本日の説明会でもご紹介したように、当社はアプタマーが眼科疾患、とりわけ網膜疾患に適した modality（治療手段）だということを前提にして、ACH 以外の全身投与型のアプタマー治療薬の開発の優先度を下げる判断をいたしました。しかしながら、これまでに開発を進めてきたパイプラインには免疫系や増殖因子等、眼科疾患に関与することが想定される因子に対するアプタマーが多数含まれるため、これらを網膜疾患に対する新規治療薬として検討する予定です。

5. 中国合弁会社について

質問	回答
RBM-007 について、以前中国の会社と合弁会社設立で合意というお話があったと思うが、その話は無くなってしまい、論文が出たので、新たに違うところに導出というお考えになっているのか。	ご指摘のとおり、2022 年 12 月に中国の会社と合弁会社設立で基本合意というお知らせをいたしました。その後の中国における経済状況と投資環境の悪化により、予定していた資金の確保が難しくなり今日に至っております。中国の現在の状況を勘案するに、当社が参加する中国企業との合弁会社という構想はいったんペンディングにして、RBM-007 の導入に関心がある企業との導出協議を個別に進めているところです。

^註動画の中で、2024 年 3 月期 論文発表のページにて、RBM-006 : PVR（増殖性硝子体網膜症）に対する予防効果を RBM-007 と言い間違えた部分がありますが、訂正させていただきます。

以上