

RIBOMICation vol.10

[2024.July]

株式会社リボミック

証券コード 4591



CEOご挨拶

株主の皆様におかれましては、平素より格別のご高配を賜り、厚く御礼申し上げます。

当社は、核酸の「造形力」を利用した「アプタマー医薬品」を開発しており、アプタマーという新しい治療手段(Modality)に適した疾患として網膜疾患と希少疾患に的を絞って進めております。

当社の主力開発品であるumedaptanib pegol(RBM-007)は、網膜疾患では滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)に対する第Ⅱ相試験を米国で実施し、臨床POCを明らかにすることができました。また、希少疾患では軟骨無形成症に対する第Ⅱ相試験を本邦で開始し、現在まで順調に進んでおります。

今後とも変わらぬご理解・ご支援を賜りますよう、心よりお願い申し上げます。



代表取締役社長

2024年7月吉日

中村 義一

What's New

● 味の素株式会社との共同研究契約締結

2023年10月、当社独自の核酸アプタマー化合物作成及び測定技術と、味の素株式会社が有する抗体-薬物複合体製造技術AJICAP®を組み合わせ、核酸アプタマーの体内動態改善に向けた新技術を開発しております。

● 滲出型加齢黄斑変性に対するumedaptanib pegolの臨床POC確立

2023年12月、未治療あるいは抗VEGF薬による短期標準治療の患者では視力や網膜異常を改善する作用が確認され既存薬に対して非劣性であることが明らかになりました(英国王立眼科学会誌EYE 2024年1月号掲載)。

● 軟骨無形成症に対するumedaptanib pegolの前期第Ⅱ相臨床試験の患者組み入れ完了

2024年7月、軟骨無形成症の小児患者(5~14歳)を対象とする前期第Ⅱ相臨床試験において13名の患者の組み入れが完了しました。

● 東京大学医学部眼科学教室と包括的な共同研究契約を締結

2024年7月、当社パイプラインを用い、緑内障や糖尿病網膜症等に対する新しい治療薬を開発する目的で共同研究契約を締結しました。

中村社長！
お話を聞かせてください！！

Unmet Medical Needs の 創薬開発に向けた更なる展開へ



Q. 昨年1年間の総括を簡単にご説明ください。

当社の主力開発品であるumedaptanib pegol(RBM-007)を用いた2つの臨床試験に進展がありました。米国で実施した滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)に対する第Ⅱ相試験の結果から臨床POCが明らかになり、日本で進めている軟骨無形成症(ACH)に対する第Ⅱ

相試験も順調に進んでいます。

また、当社は探索型(discovery)から臨床開発型(clinical)のバイオベンチャーへの脱皮と次世代型のアプタマー・テクノロジーの開発を目標に掲げましたが、その目標はほぼ達成できたと考えております。

Q. まず、軟骨無形成症(ACH)の臨床試験の進捗はいかがでしょうか？

第Ⅱ相試験は今年6月末に13名の小児ACH患者の組入が完了して、異なる用量の試験が進行中であり、また一部においては長期投与

試験に移行しております。これまで計150回近くの皮下投与を実施してきましたが、幸い安全性に関する懸念は発生しておりません。

Q. 次に、滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)の臨床POC※に関して、ご説明ください。

第Ⅱ相試験はafibercept(商品名アイリーア®)を比較薬として無作為化二重盲検試験(TOFU/RAMEN試験)を実施しました。

速報では、umedaptanib pegolの効果がafiberceptに僅かに劣性であるという結果でした。しかし、その後サブグループ解析を含めた詳細分析によって、umedaptanib

pegolの効果はafiberceptに対して同等(非劣性)でありwet AMD治療における臨床有効性が確認されました。また、追加実施した医師主導型の未治療患者へのumedaptanib pegol単剤投与試験(TEMPURA試験)では、劇的な治癒例を含め、視力や網膜厚(腫れ)の改善が確認されました。

Q. この詳細解析が論文になったのですか？

経営者あるいは研究者として、臨床試験に参加してくださった患者さんたちのデータを無駄にすることがないように、1年かけてサブグループ解析を行い、上記の結果に辿り着きました。そして、信頼性を保証するため、単なる会社発

表ではなく、これらの結果を論文投稿しました。英国王立眼科学会の機関誌である「Eye」に論文は受理されましたが、専門家による厳正な審査に約1年かかり、最終的には2年を経て、晴れて臨床POC※獲得に至りました。

Q: 臨床POC※が獲れたにも関わらず、なぜwet AMD治療薬としてumedaptanib pegol(RBM-007)の契約が進まないのですか？

第Ⅱ相試験の速報においてumedaptanib pegolの効果が比較薬afiberceptを超えるものではなかったため、umedaptanib pegolに対するマイナスの印象が染み付いてしまったためだと思います。さらに重要なことは、既存薬(抗VEGF薬)に比較して効き目が同等(非劣性)だとしても、既存薬にはない利

点が見せないと大手製薬企業は容易に契約には進みません。

その意味で、今後の未治療患者での臨床試験からumedaptanib pegolの瘢痕(線維化)抑制作用が明らかになれば既存薬にはない利点を示せるので、当社としては、ぜひこの試験を実施したいと考えております。

Q:論文掲載後の海外での評価はいかがですか？

「Eye」に論文が掲載された結果、海外の機関投資家からの打診を含めて、大きな反響がありました。今年9月にリスボンで開催される

「The Retina Society(網膜学会)国際会議」の登壇発表にも採択されましたので、積極的に宣伝したいと思っております。

Q:ところで、アプタマーが網膜疾患に適しているとお話ですが、その理由は何ですか？

これまで世界では2種類のアプタマー医薬が承認されました。wet AMD 治療薬のMacugen®とdry AMD 治療薬のIZERVAY™ですが、いずれも網膜疾患に対する硝子体内注射薬です。硝子体は閉鎖系の

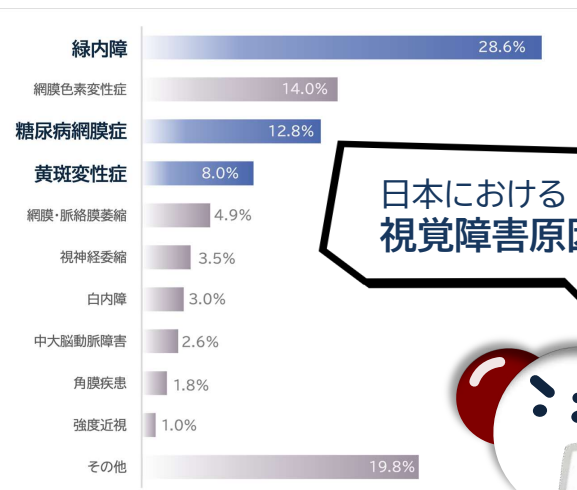
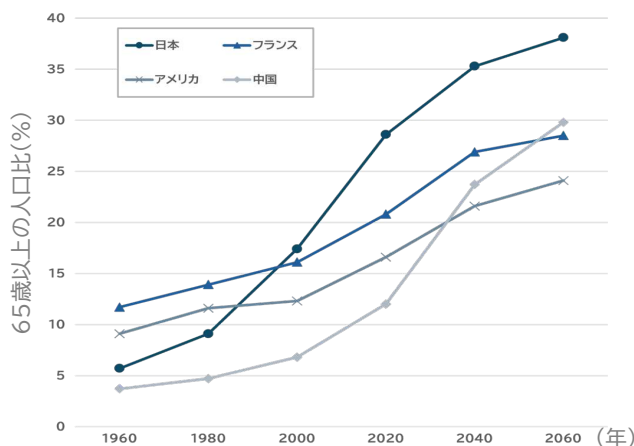
小さな器官ですから、投与薬剤の量が少なくすみ、かつ全身への移行もほぼなく安全性に優れています。このことから、アプタマーは網膜疾患に適したmodality(治療手段)であるということが強く示唆されます。

Q:世界的には、眼科疾患に対する治療薬の開発はどうなっているのでしょうか？

網膜疾患を始めとする眼科疾患には未だに治療薬がない病気が多数あります。特に、緑内障、糖尿病網膜症、黄斑変性は加齢が重要なリスク因子であり、世界的にも高齢化が進んでいるために視力障害の患者数が増加

傾向にあります。これらの疾患には増殖因子や免疫系因子の機能不全が関与することが報告されており、当社保有の複数のアプタマー開発品がこれらの疾患の予防や治療に役立つ可能性があります。

主要国による65歳以上人口比率推移



日本における
視覚障害原因

Q:眼科疾患に対する今後の研究開発の方針はいかがでしょう？

当社は、東京大学医学部眼科学教室(相原一教授)と核酸アプタマーを用いた新たな眼科疾患治療薬の包括的な共同研究契約を締結いたしました。相原研究室が専門とする緑内障や糖尿病網膜症等において、病態モデルを用いた薬

理試験や臨床研究を通じて、当社保有の複数のアプタマーの効果を検証したいと考えております。これらの結果並びに先行している増殖性硝子体網膜症(PVR)や社内データも含め、眼科疾患への開発を順次検討する予定です。

※臨床POC：研究段階で構想した薬効がヒトでも有効性を持つこと、つまり「効く」ことの確認をPOC(Proof of Concept)と言い、概念実証とも訳します。

現状のご報告ありがとうございました。
次の展開を期待しております！





会社概要・株式の状況

会社概要 (2024年3月末現在)

会 社 名 株式会社 リボミック
設 立 2003年8月1日
資 本 金 63百万円(資本剰余金 4,348百万円)
本 社 〒108-0071
東京都港区白金台3丁目16番13号
白金台ウスイビル6階
子 会 社 RIBOMIC USA Inc.(米国、CA)
従 業 員 24名 (PhD 10名)

マネジメントチーム (2024年6月末現在)

代表取締役社長	中村 義一
取締役執行役員 管理本部長	大岩 久人
取締役執行役員 研究開発本部長 兼 探索研究部長	安達 健朗
取締役(社外)	西畑 利明
取締役(社外)	松藤 千弥
取締役(社外)	藤原 俊伸
常勤監査役(社外)	五十嵐 章之
監査役(社外)	矢部 豊
監査役(社外)	藤井 康弘

株主の状況 (2024年3月末現在)

発行可能株式総数 114,000,000株
発行済株式総数 36,022,040株
株主数 16,555名

株主メモ

事 業 年 度 毎年4月1日から翌年3月31日まで
定 時 株 主 総 会 毎年6月開催
基 準 日 定時株主総会 毎年3月31日
期末配当 毎年3月31日
中間配当 毎年9月30日

1単元の株式数 100株
証 券 コ ー ド 4591
株主名簿管理人 三井住友信託銀行株式会社
東京都千代田区丸の内一丁目4番1号

郵 送 物 送 付 先 〒168-0063
及び電話照会先 東京都港区和泉二丁目8番4号
三井住友信託銀行株式会社
証券代行部
☎ 0120-782-031
(通話料無料)

公 告 方 法 電子公告により行います。ただし、
事故その他やむを得ない事由に
よって電子公告による公告をす
ることができない場合は、日本経
済新聞に掲載して行います。



IRのお知らせ

● IRメール配信サービス

当社が開示した情報を配信する、IRメール配信サービスを実施しております。
ホームページのトップ画面の右上のバナーから登録できます。
ご希望の方は是非ご登録ください。



IRメール配信サービス

クリック!

● IRに関する お問い合わせ 及び 回答

お問い合わせについてはホームページの「お問い合わせ」からお尋ねいただき、フェアディスクロージャー
の観点から後日「皆様からのQ&A」にて回答をさせていただいております。

皆様からのQ&A

<https://www.ribomic.com/ir/faq.php>

RIBOMIC



株式会社 リボミック
〒108-0071
東京都港区白金台3丁目16番13号
<https://www.ribomic.com/>