



# 事業計画及び成長可能性に関する 事項

株式会社リボミック(証券コード 4591)

2025年6月

# 目次

- 会社概要
- 事業概要
- 財務と成長戦略
- リスク情報

# 目次

- 会社概要
- 事業概要
- 財務と成長戦略
- リスク情報

# 会社概要と社名の由来

## 会社概要

商号	株式会社リボミック
本社所在地	東京都港区白金台3-16-13
設立	2003年8月1日
代表者	代表取締役社長 中村義一
資本金	401百万円 / 資本剰余金 4,685百万円 (2025年3月末)
事業内容	核酸アプタマーを用いた分子標的薬の開発
役員・従業員数	取締役 6名 / 監査役 3名、従業員 25名 (2025年3月末)
子会社	RIBOMIC USA Inc. (米国)

## 社名の由来



自社の開発に重要な RIBONUCLEIC ACID (リボ核酸) と MIMIC (擬態) の造語です。

ここでのMIMICとは、分子擬態\*を示しております。

\*分子擬態とは、上記の図のようにリボ核酸等がタンパク質と同様の形をつくり、タンパク質のように生体内で機能することです。

# マネジメントチーム



代表取締役社長CEO 中村 義一 PhD  
創業者・ファウンダー

東京大学 名誉教授



取締役管理本部長 大岩 久人

元 SMBC日興証券(株) 常務執行役員



取締役研究開発本部長 安達 健朗 PhD

東京大学大学院薬学系研究科 博士課程卒



社外取締役 西畑 利明 PhD

元 参天製薬(株)  
取締役専務執行役員米国・欧州事業管掌兼研究開発本部長



社外取締役 松藤 千弥 MD PhD

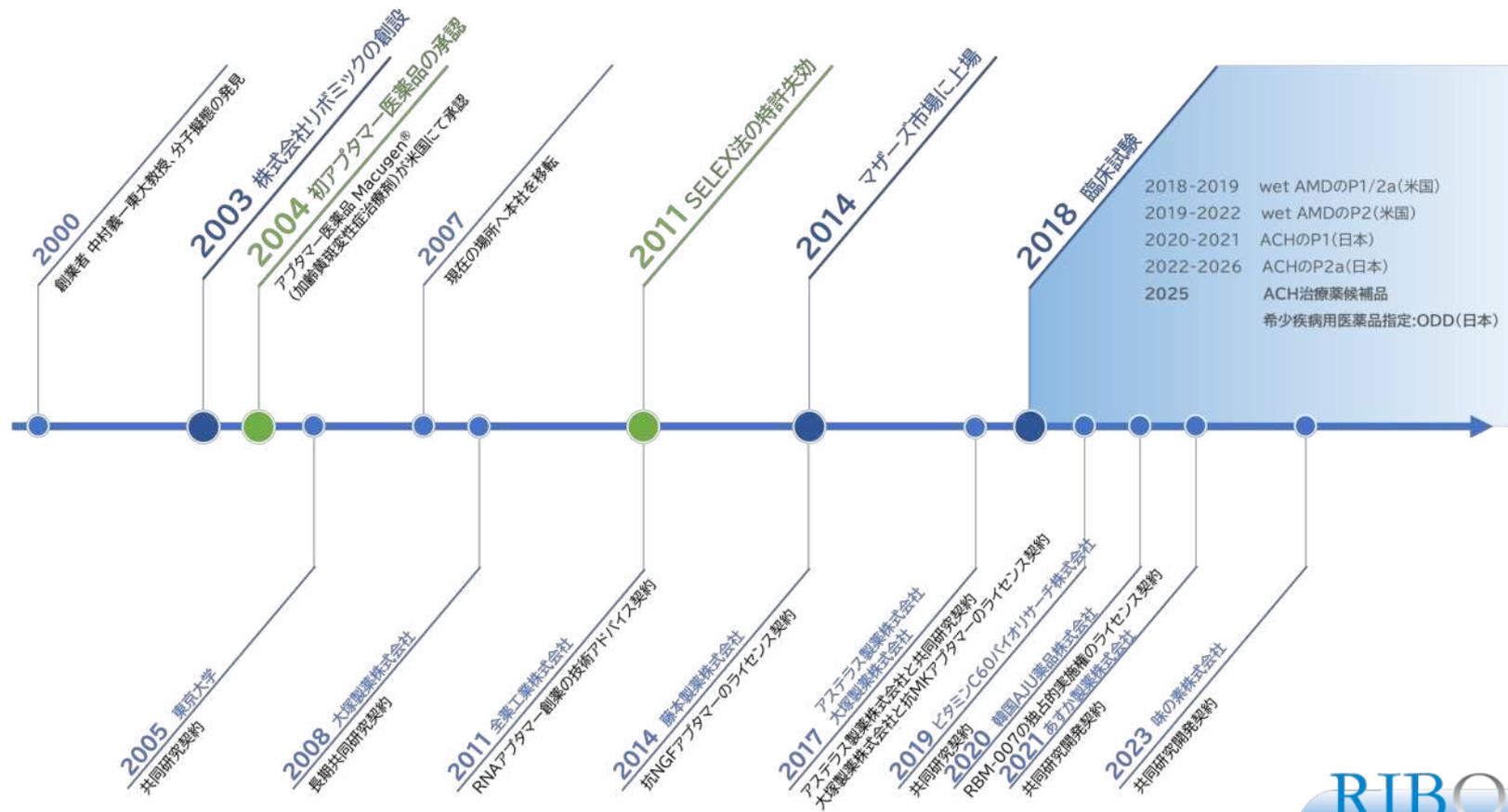
東京慈恵会医科大学 学長・理事



社外取締役 藤原 俊伸 PhD

近畿大学薬学部医療薬学科 教授・薬学研究科長

# 沿革



# RIBOMIC's Mission



# 事業モデル

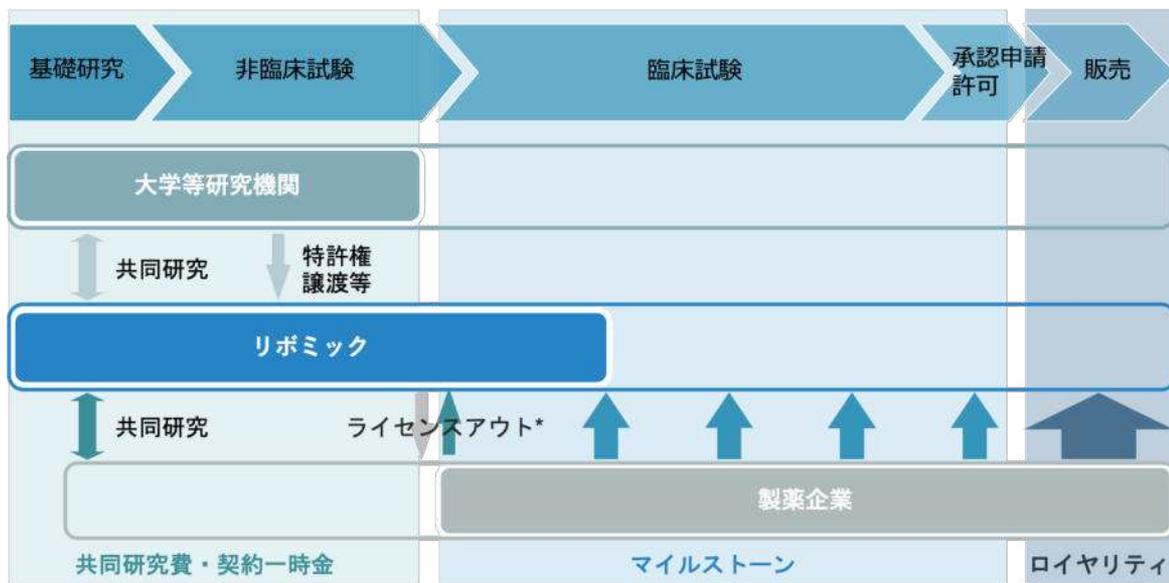
- **自社開発又は大学等研究機関との共同研究開発**

自社又は大学等研究機関との共同研究で医薬候補となるアプタマーを開発し、その成果を製薬企業にライセンスアウトし、ライセンス対価を得る事業です。

今後、自社にて臨床試験を行い、その後ライセンスアウトすることを中心に進めてまいります。

- **製薬企業との共同研究開発**

製薬企業とのアプタマー医薬品の共同研究開発を実施し、製薬企業から支払われる研究費や、開発の進捗によるライセンス対価を得る事業です。



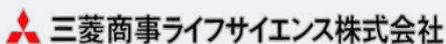
\*ライセンスアウトの時期は、疾患や開発状況によって前後します。

# アライアンス・パートナー

株主・資本提携



ライセンス契約



Eat Well, Live Well.



共同研究・成果契約



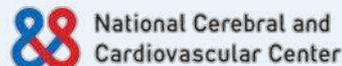
RIBOMIC

共同研究・学術連携



MUNI Masaryk University

Faculty of Science and Engineering,  
Waseda University



RIBOMIC

## 主なアライアンスに関して

- **味の素株式会社との共同研究開発契約締結(2025年3月末日満了)**

2023年10月、味の素株式会社と核酸アプタマーの体内動態制御に関する技術開発について共同研究契約を締結しました。なお、マイルストーン収入は発生していません。

- **韓国AJU薬品株式会社とライセンス契約締結**

2020年3月、RBM-007の独占的実施権(滲出型加齢黄斑変性症に対する韓国および東南アジア地域)の供与に関するライセンス契約を韓国AJU薬品と締結しました。本契約により、当社は契約一時金として1百万USドルを受領済み、今後は開発マイルストーンとして最大5百万USドルを受け取る権利を有し、ロイヤリティを含めた価格でRBM-007製品を供給します。

現在、両社でRBM-007の活用に向けた検討を継続しております。

- **三菱商事ライフサイエンス株式会社との共同研究成果**

2019年1月、ビタミンC60バイオリサーチ株式会社と化粧品原薬候補となる「好中球エラストーゼアプタマー」の創製・開発に成功し、三菱商事ライフサイエンス株式会社と共同で特許出願しました(特願 2025-000070)。なお、一時金及びマイルストーン収入は発生していません。

(2024年4月、三菱商事ライフサイエンス株式会社はビタミンC60バイオリサーチ株式会社を統合。)

# 目次

- 会社概要
- 事業概要
- 財務と成長戦略
- リスク情報



# アプタマー創薬 事業環境、技術の特徴、パイプライン

# 飛躍する核酸医薬: アプタマーもそのひとつ

## Aptamer

標的分子に特異的に結合する1本鎖の核酸。立体構造を持つことにより、抗体よりも特異的に標的分子へ結合する。  
製品: Macugen<sup>®</sup>、IZERVAY<sup>™</sup>

## mRNA

標的遺伝子と同じ遺伝子配列を持つmRNAを脂質に梱包し、細胞へ導入する。mRNAが細胞質で標的遺伝子のタンパク質合成を行う。  
製品: Comirnaty<sup>®</sup>、Spikevax<sup>®</sup> (mRNA Vaccine)

## CRISPR

標的遺伝子と同じ遺伝子配列を持つガイドRNAを用いたゲノム編集技術。標的遺伝子の改変をすることによってタンパク質合成の発現を制御する。  
製品: CASGEVY<sup>™</sup>

## 核酸医薬

## RNAi

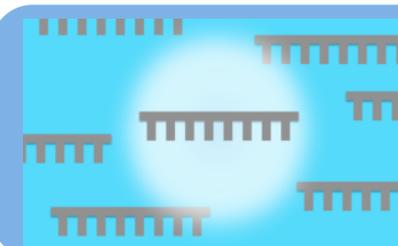
二本鎖RNAと同じ塩基配列を持つmRNAを分解する現象。標的遺伝子を抑制するsiRNAが治療薬では主流。  
製品: Onpatro<sup>®</sup>、他3品

## Antisense oligonucleotide

標的遺伝子と同じ遺伝子配列を持つ1本鎖の核酸。標的遺伝子のタンパク質合成の発現を制御する。  
製品: Spinraza<sup>®</sup>、他8品

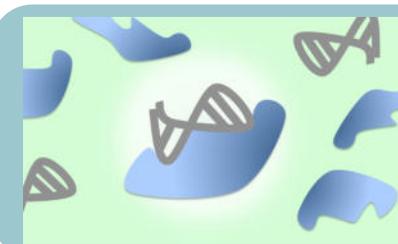
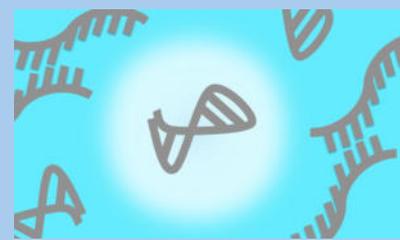
# アプタマーとは:核酸の造形力を利用した結合性分子

What's RNA Aptamer?



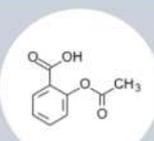
RNAは4種類の塩基 A・U・G・C から成り立っており、アプタマーは1本鎖のRNAで構成されている

1本鎖のRNAは溶液中や生体内では不安定なため、塩基対同士が対をなし、立体構造を組んでいる



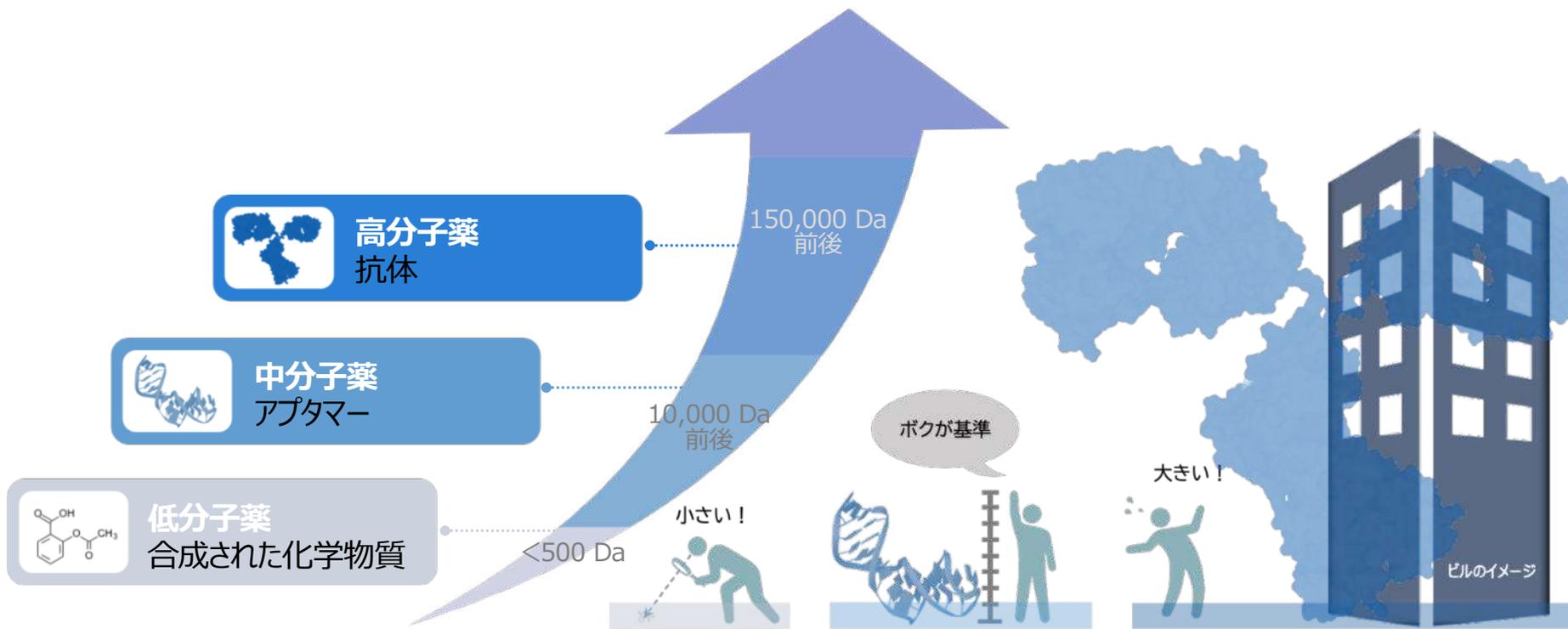
立体構造を組んだアプタマーは標的分子に特異的に結合する

# アプタマーと他の医薬品との比較

	 <b>低分子医薬品</b> 低分子薬	 <b>アプタマー</b> 中分子薬	 <b>抗体医薬品</b> 高分子薬
大きさ (分子量)	小さい (500以下)	中くらい (10,000前後)	大きい (100,000以上)
活性・結合力	中～高	極めて高い	極めて高い
選択性・特異性	低い	極めて高い	極めて高い
標的の認識領域	狭い	広い	中くらい
生体内安定性	低～中	中～高	極めて高い
製造方法 (コスト)	化学合成 (低)	化学合成 (中～高)	細胞や微生物を用いて合成 (高)

アプタマーは、ターゲットとなる分子へ特異的に結合して、その働きを阻害したり、促進する事により、病気の治療を行う医薬品(分子標的薬)です。大きさ(分子量)から中分子薬に分類されます。病気のターゲットに対して、それぞれの特徴を活かした医薬品の開発が重要です。

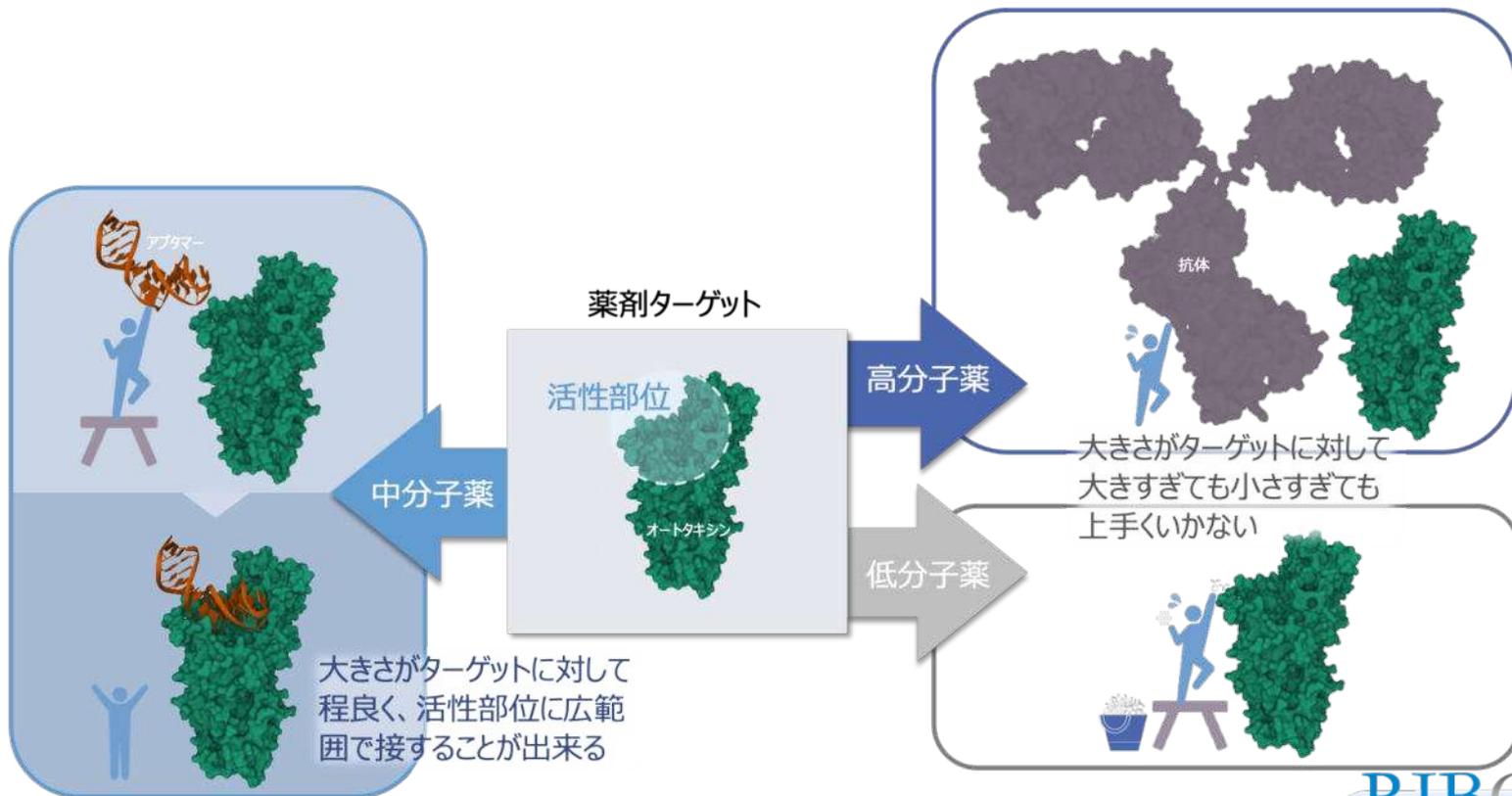
# アプタマーと他の薬の大きさの違い



分子の大きさとイメージ

# 中分子薬の利点:

## オートタキシン(線維症創薬ターゲット)に対するアプタマーの事例



## その他、アプタマーの主な特徴



選択性・特異性が極めて高い



活性・結合力が極めて高い

# 当社の重点領域

アプタマーというModalityが適した疾患

## 眼科(網膜疾患)

wet AMD, PVR, …

- 閉鎖系器官であるため安全性が高い
- 硝子体内投与であるため少量の薬剤用量

RIBOMIC

Unmet Medical Needs

## 希少疾患

ACH

- 大手製薬企業が研究開発をしないニッチ市場のため、先端技術を用いた創薬開発に向いている

# 主要なパイプライン

(updated on May 20, 2025)

化合物コード	ターゲット	疾患	探索	前臨床	臨床			
					1	2a	2b	3
RBM-007	FGF2	滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	
RBM-007	FGF2	軟骨無形成症 (ACH)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>		
RBM-006	Autotaxin	網膜疾患 増殖性硝子体網膜症(PVR)、緑内障、糖尿病網膜症	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>				
RBM-011	IL-21	肺動脈性肺高血圧症 (PAH)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>				

前回開示からの変更点:

- 1) 網膜疾患治療薬の開発を推進する目的でRBM-006の開発優先順位の変更と疾患の追加
- 2) 開発優先順位の変更によりRBM-003、RBM-010を削除

 臨床POCの獲得を示す。



# RBM-007 (umedaptanib pegol) 軟骨無形成症を対象とした臨床試験

# 軟骨無形成症治療薬候補 RBM-007(umedaptanib pegol) 日本における希少疾病用医薬品指定

軟骨無形成症を対象としたRBM-007  
(umedaptanib pegol)が厚生労働省の希少疾病用  
医薬品指定を受けました。

希少疾病用医薬品指定制度：  
医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないために、本邦では十分にその研究開発が進んでいない状況にある開発品において安全かつ良質な医薬品を一日も早く医療の現場に提供する特別の支援措置として制定された制度

2025年4月28日

各位

会社名 株式会社リボミック  
代表者名 代表取締役社長 中村義一  
(コード番号:4591 東証グロス)  
問合せ先 財務経理部長 今井利哉  
<https://www.ribomic.com/contact.php>

軟骨無形成症治療薬候補 umedaptanib pegol の  
日本における希少疾病用医薬品指定に関するお知らせ

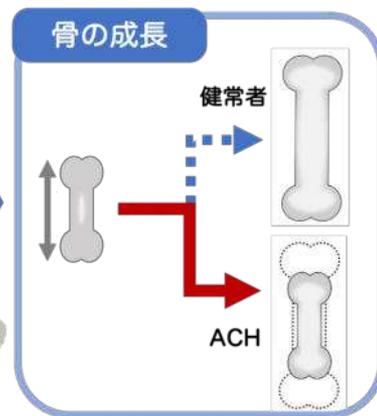
当社は、このたび、軟骨無形成症を対象として開発を進めている umedaptanib pegol<sup>#1</sup>について、厚生労働省が定める希少疾病用医薬品（オーファンドラッグ）指定<sup>#2</sup>を受けましたので、お知らせいたします。

希少疾病用医薬品は、医薬品医療機器法第77条の2に基づき、対象患者数、医療上の必要性、開発の可能性のいずれの要件にも合致するものとして、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。本指定により、国からの研究開発資金助成に応募する資格や、上市後の再審査期間の延長等の優遇措置を受けることができます。

軟骨無形成症は、新生児約 25,000 人に対して 1 人の発症率という希少疾患であり、現在もなお有効な新薬の開発が求められております。今回の厚生労働省による希少疾病用医薬品指定は、軟骨無形成症治療薬としての umedaptanib pegol の開発の重要性と、上市までの開発計画について評価された結果であると考えており、本パイプラインの価値向上に寄与するものです。

# 軟骨無形成症(ACH, Achondroplasia)

- **軟骨無形成症(ACH)とは**  
手や足の短縮を伴う低身長となる希少疾患です。  
有効な治療薬が存在しません。
- **軟骨無形成症(ACH)の原因**  
FGFタンパク質に対する受容体FGFR3におきた突然変異です。  
変異したFGFR3によって、骨の成長に必要な軟骨組織(成長板)の形成に過剰なブレーキがかかり、骨の成長が妨げられます。



\*Horton et al. Lancet 2007; 370: 162-72

# 研究成果: Science Translational Medicine 掲載

SCIENCE TRANSLATIONAL MEDICINE | RESEARCH ARTICLE

BONE

## An RNA aptamer restores defective bone growth in FGFR3-related skeletal dysplasia in mice

Takeshi Kimura<sup>1†</sup>, Michaela Bosakova<sup>2,3,4†</sup>, Yosuke Nonaka<sup>5†</sup>, Eva Hrubá<sup>4</sup>, Kie Yasuda<sup>1</sup>, Satoshi Futakawa<sup>5</sup>, Takuo Kubota<sup>1</sup>, Bohumil Fafílek<sup>2,3,4</sup>, Tomas Gregor<sup>2,3</sup>, Sara P. Abraham<sup>2</sup>, Regina Gomolkova<sup>2,4</sup>, Silvie Belaskova<sup>3</sup>, Martin Pesi<sup>2,3,6</sup>, Fabiana Csukas<sup>7,8</sup>, Ivan Duran<sup>7,8</sup>, Masatoshi Fujiwara<sup>9</sup>, Michaela Kavkova<sup>9</sup>, Tomas Zikmund<sup>9</sup>, Josef Kaiser<sup>9</sup>, Marcela Buchtova<sup>4,10</sup>, Deborah Krakow<sup>7</sup>, Yoshikazu Nakamura<sup>5,11\*</sup>, Keiichi Ozono<sup>1\*</sup>, Pavel Krejci<sup>2,3,4\*</sup>

Achondroplasia is the most prevalent genetic form of dwarfism in humans and is caused by activating mutations in FGFR3 tyrosine kinase. The clinical need for a safe and effective inhibitor of FGFR3 is unmet, leaving achondroplasia currently incurable. Here, we evaluated RBM-007, an RNA aptamer previously developed to neutralize the FGFR3 ligand FGF2, for its activity against FGFR3. In cultured rat chondrocytes or mouse embryonal tibia organ culture, RBM-007 rescued the proliferation arrest, degradation of cartilaginous extracellular matrix, premature senescence, and impaired hypertrophic differentiation induced by FGFR3 signaling. In cartilage xenografts derived from induced pluripotent stem cells from individuals with achondroplasia, RBM-007 rescued impaired chondrocyte differentiation and maturation. When delivered by subcutaneous injection, RBM-007 restored defective skeletal growth in a mouse model of achondroplasia. We thus demonstrate a ligand-trap concept of targeting the cartilage FGFR3 and delineate a potential therapeutic approach for achondroplasia and other FGFR3-related skeletal dysplasias.

### INTRODUCTION

Achondroplasia (ACH) is the most common dwarfism in humans, occurring in between 1:15,000 and 1:40,000 live births (1). ACH is caused by mutations in the *FGFR3* gene, which encodes a transmembrane receptor tyrosine kinase. Fibroblast growth factor receptor 3 (FGFR3) transduces the communication signals delivered by fibroblast growth factors (FGFs) (2). In addition to ACH, activating

cytokine/signal transducer and activator of transcription (STAT) signaling, and bone morphogenetic protein (BMP) and Hedgehog signaling (5–7). The complex molecular phenotypes induced by FGFR3 affect chondrocyte behavior, inducing proliferation arrest, degradation of cartilaginous extracellular matrix, and premature senescence. Collectively, these changes lead to disruption of the growth plate cartilage and defective endochondral ossification (8).

Copyright © 2021  
The Authors, some  
rights reserved;  
exclusive licensee:  
American Association  
for the Advancement  
of Science. No claim  
to original U.S.  
Government Works

Downloaded from <http://stm.sciencemag.org>



論文内容:  
軟骨無形成症モデルマウスとACH患者由来iPS細胞で、当社開発のRBM-007(FGF2アプタマー)を用いたFGF2阻害により骨の成長が促進された

軟骨無形成症に対するRBM-007  
の薬理効果・作用機序の解明  
治療薬開発の科学的な裏付け

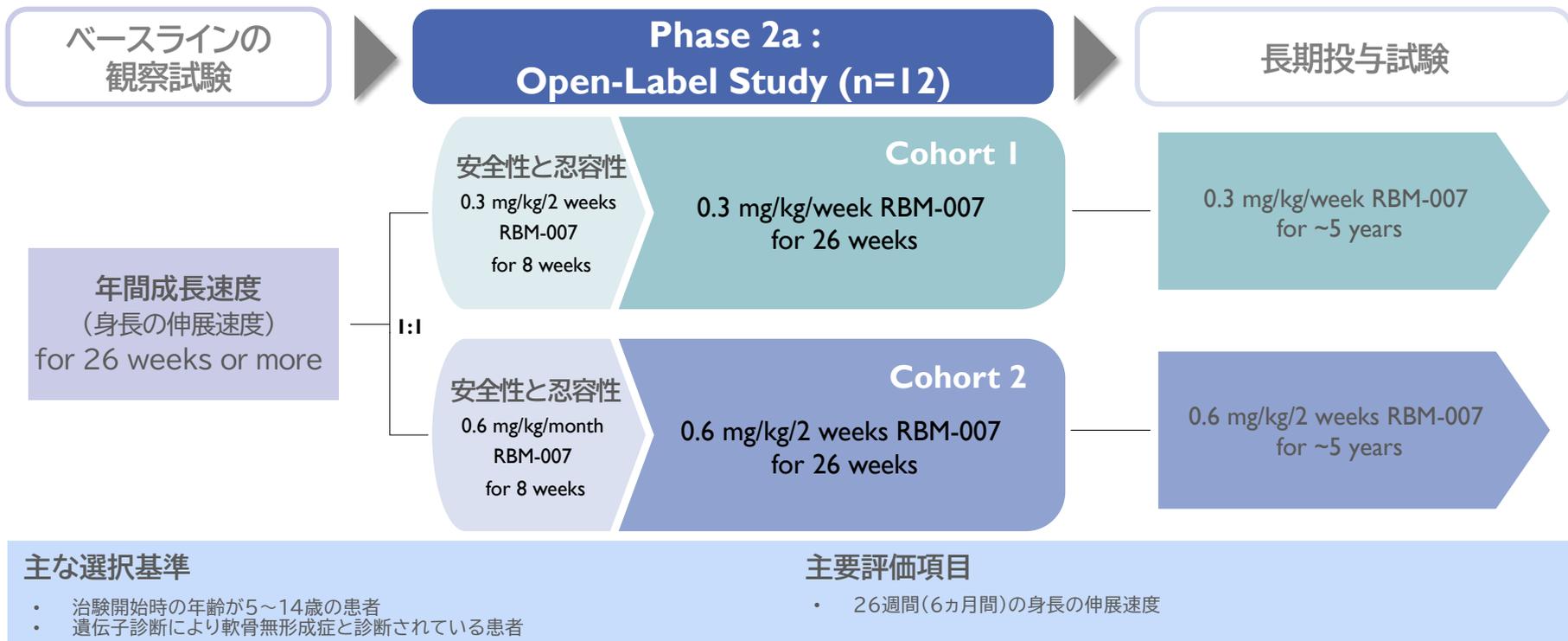
\**Sci Transl Med.* 2021 May 5;13(592):eaba4226. doi: 10.1126/scitranslmed.aba4226.

RIBOMIC

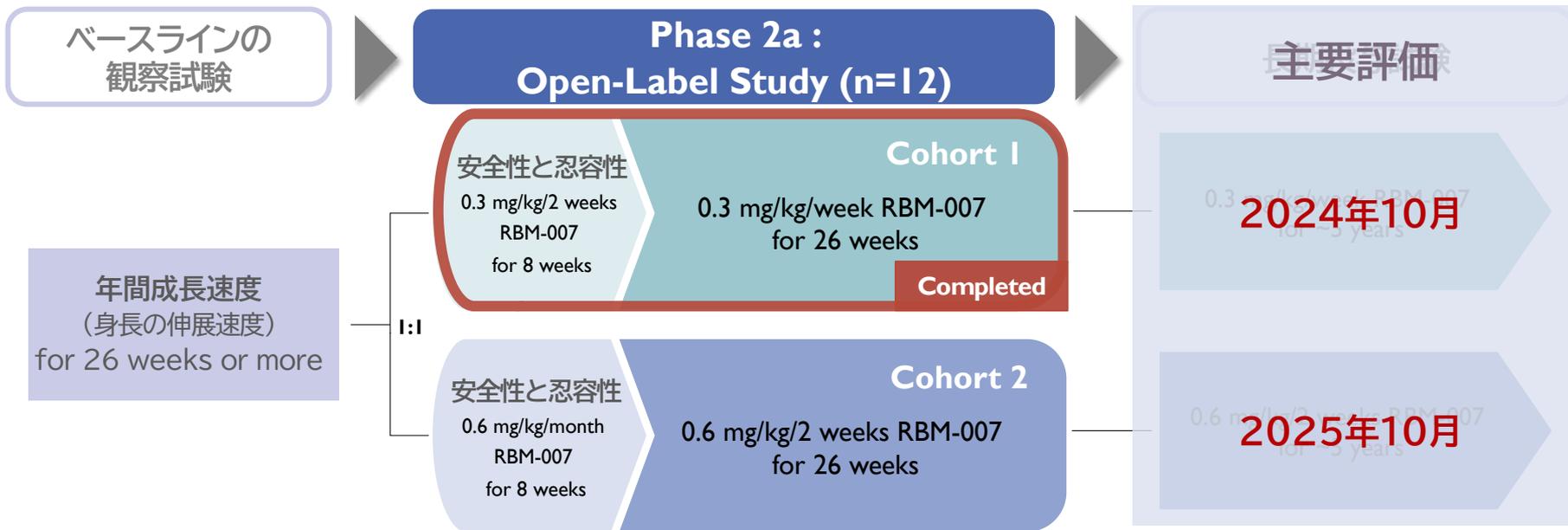
## 臨床試験の概要

	Phase 1	Phase 2a
試験デザイン	<ul style="list-style-type: none"><li>用量漸増単回皮下投与(0.1~1 mg/kg)</li><li>用量漸増2回皮下投与(0.1~0.6 mg/kg)</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>観察試験：投与前、身長伸び率測定</li><li>0.3 mg/kg毎週皮下投与26週間(Cohort 1)</li><li>0.6 mg/kg隔週皮下投与26週間(Cohort 2)</li></ul>
被験者	24名：健康成人男性	12名：5~14才 小児ACH患者
試験期間	2020年7月~2021年5月	2022年6月~2026年3月
試験実施施設	国内、1施設	国内、8施設
評価項目	安全性、忍容性および薬物動態	投与前後の成長の伸展速度

# Phase 2a 臨床試験デザイン



# Phase 2a 臨床試験の進捗



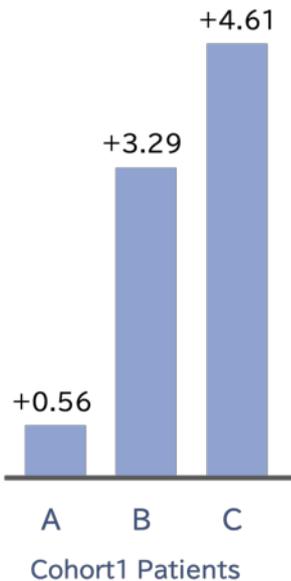
安全性 合計400回以上の皮下投与において、問題は確認されていない

# Phase 2a Cohort 1 結果 と 他剤との比較

● 年間成長速度  
(cm/年)

● 平均年間成長速度  
(cm/年)

**RBM-007**



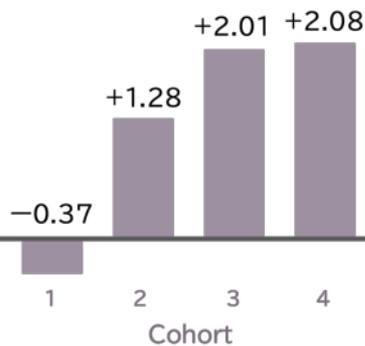
**RBM-007**

Phase 2 M6



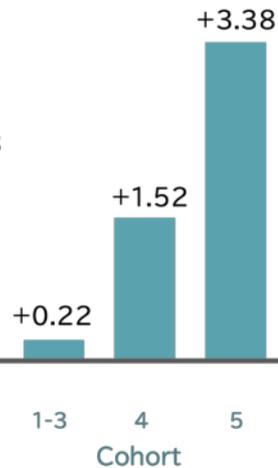
**VOXZOGO**

Phase 2 M6



**Infigratinib**

Phase 2 M6



▷ 低用量群で比較

RBM-007:薬効を確認

▷ 投与間隔で比較

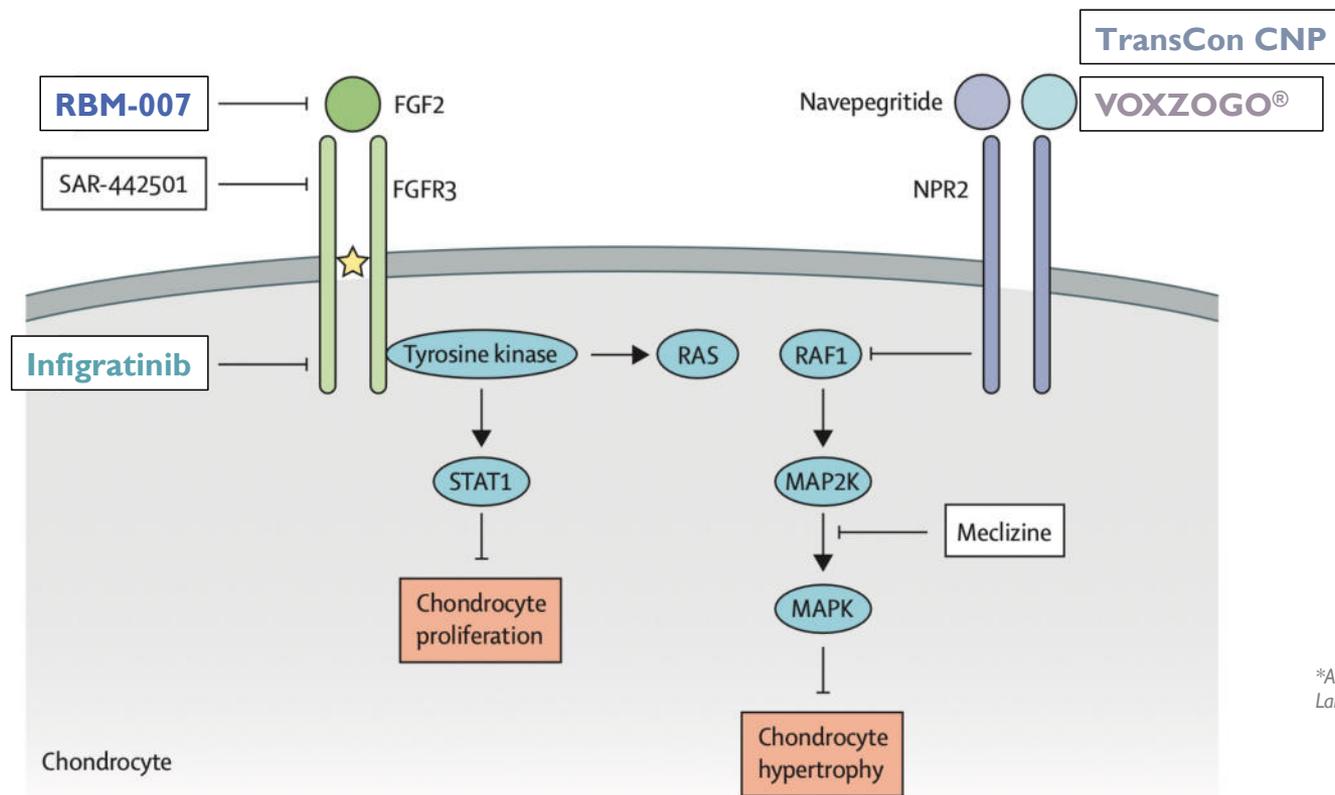
RBM-007:週1回の投与で奏効

\*VOXZOGO、Infigratinibは下記のデータを元に弊社にて作成  
ボックスゾゴ 医薬品インタビューフォーム 2024年10月改訂、BBIO - Infigratinib - ENDO 2023 - Updated Six Month Results in Phase 2 Cohort 5 Study 等

## 今後の方針



# ACH治療薬の作用機序

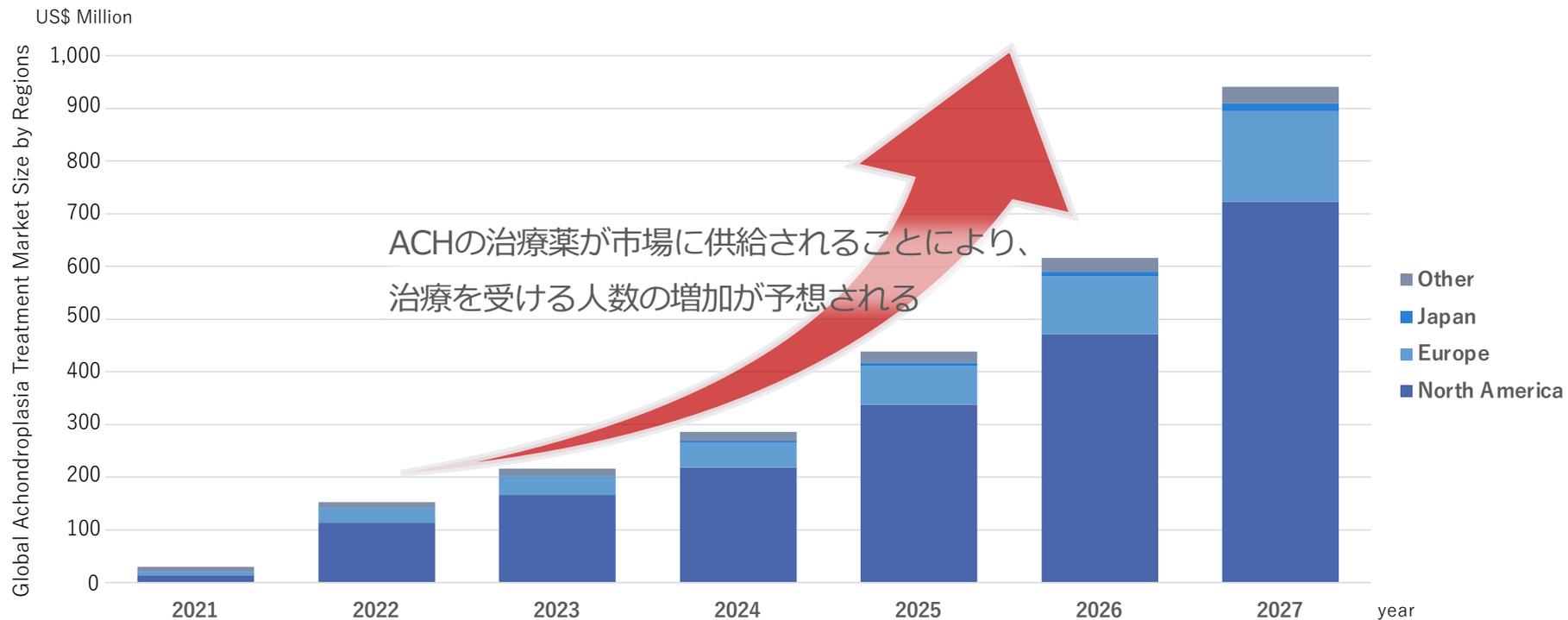


\*Adopted from:  
*Lancet Child Adolesc Health* 2024; 8: 301–10

## 他社開発品との差別化

プロフィール	umedaptanib pegol	VOXZOGO®	Infigratinib	TransCon CNP
開発企業	 RIBOMIC Inc.(Tokyo)	 BioMarin Pharmaceutical Inc. (CA)	 BridgeBio Pharma, Inc (CA) 日本限定:協和キリン \$100M	 Ascendis Pharma A/S (Denmark) 日本限定:帝人 \$70M
医薬品	RNAアプタマー	CNPアナログ	低分子	CNPアナログ
作用機序	FGF2阻害	MAPKシグナル阻害	FGFR1-3チロシンキナーゼ阻害	MAPKシグナル阻害
開発ステージ	Phase II	上市 (2022年)	Phase III	Phase IIb/III (NDA submitted)
投与方法	皮下投与 (1回/1~2週)	皮下投与 (1回/日)	経口投与 (1回/日)	皮下投与 (1回/週)
ポイント	FGFR3に結合するFGF2のみを阻害	間接的にFGFR3シグナルを阻害	抗がん剤 (胆管がん) FGFR3以外も阻害、高用量では重篤な副作用が報告	間接的にFGFR3シグナルを阻害

# 世界におけるACH治療薬の市場



\*Source: Secondary Sources, Expert Interviews and QYResearch, 2021



# アプタマー医薬に適した眼科領域

# 世界におけるアプタマー医薬品開発の動向

Aptamer	Target	Company	Indication	Stage	Notes
Pegaptanib (Macugen®)	VEGF-165	Eyetech/Pfizer	wet AMD ☀️	Launched	
avacincaptad pegol (IZERVAY™)	C5	Iveric Bio/Astellas	dry AMD ☀️	Launched	Astellas acquired for \$5.9B.
RBM-007 (umedaptanib pegol)	FGF2	RIBOMIC	wet AMD ☀️ Achondroplasia	P2 P2	
ApTOLL	TLR-4	aptaTargets	Cerebral ischemia	P2	
BC007 (rovunaptabin)	Autoantibodies against GPCRs	Berlin Cures	Dilated cardiomyopathy	P2	
NOX-A12 (olaptased pegol)	CXCL12 SDF-1	TME Pharma	Cancer (brain, colorectal, pancreatic)	P2	
AON-D21	C5a	Aptarion Biotech	Community-acquired pneumonia	P2	
DTRI-031 (BB-031)	VWF	Basking Biosciences	Cerebral ischemia	P2	
NOX-E36 (emapticap pegol)	MCP-1 CCR2	TME Pharma	Cancer	P1	
AM-003	T cells, Cancer cells	Aimmune Therapeutics	Cancer	P1	
SJP-1604	Nucleolin	Samjin Pharmaceutical	Cancer Myelodysplastic syndrome	P1 P1	
AST-201	GPC3	Aptamer Sciences	Cancer	P1	
APTA-1	Thrombin	Aptahem	Sepsis	P1	



アプタマーは網膜疾患に適したModalityである

\*Citeline Pharmaprojects, data as of May 22, 2025  
より弊社作成

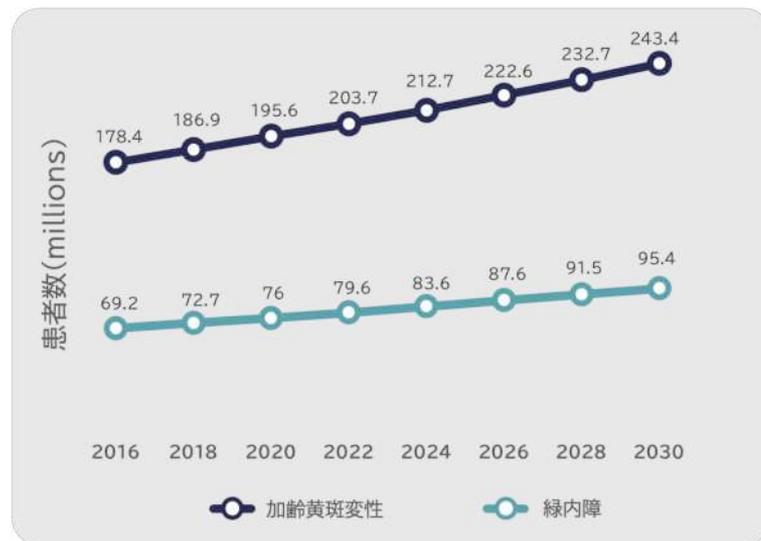
RIBOMIC

# 拡大する網膜疾患の市場

## ● 日本における視覚障害原因\*1



## ● 全世界における加齢黄斑変性と緑内障の患者数\*2



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、世界的にも視力障害の患者数が加齢に伴い増加傾向

# 弊社パイプラインと網膜疾患

		眼科疾患で予測される作用機序			適応可能な網膜疾患
		血管新生抑制	線維化抑制	炎症抑制	
<b>RBM-007</b> (抗FGF2 アプタマー)	血管新生、線維芽細胞増殖・遊走を誘導するFGF2阻害剤	○	○		wet AMD(P2終了) PDR、PVR
<b>RBM-006</b> (抗Autotaxin アプタマー)	組織の線維化、マクロファージやグリアの活性化を誘導するリソホスファチジン酸の産生酵素Autotaxin阻害剤		○	○	PDR、PVR、 Glaucoma
<b>RBM-011</b> (抗IL-21 アプタマー)	炎症性サイトカインであるIL-21阻害剤			○	Glaucoma
<b>RBM-008</b> (抗Periostin アプタマー)	血管新生、組織の線維化を誘導するPeriostin阻害剤	○	○		wet AMD、PDR、 PVR

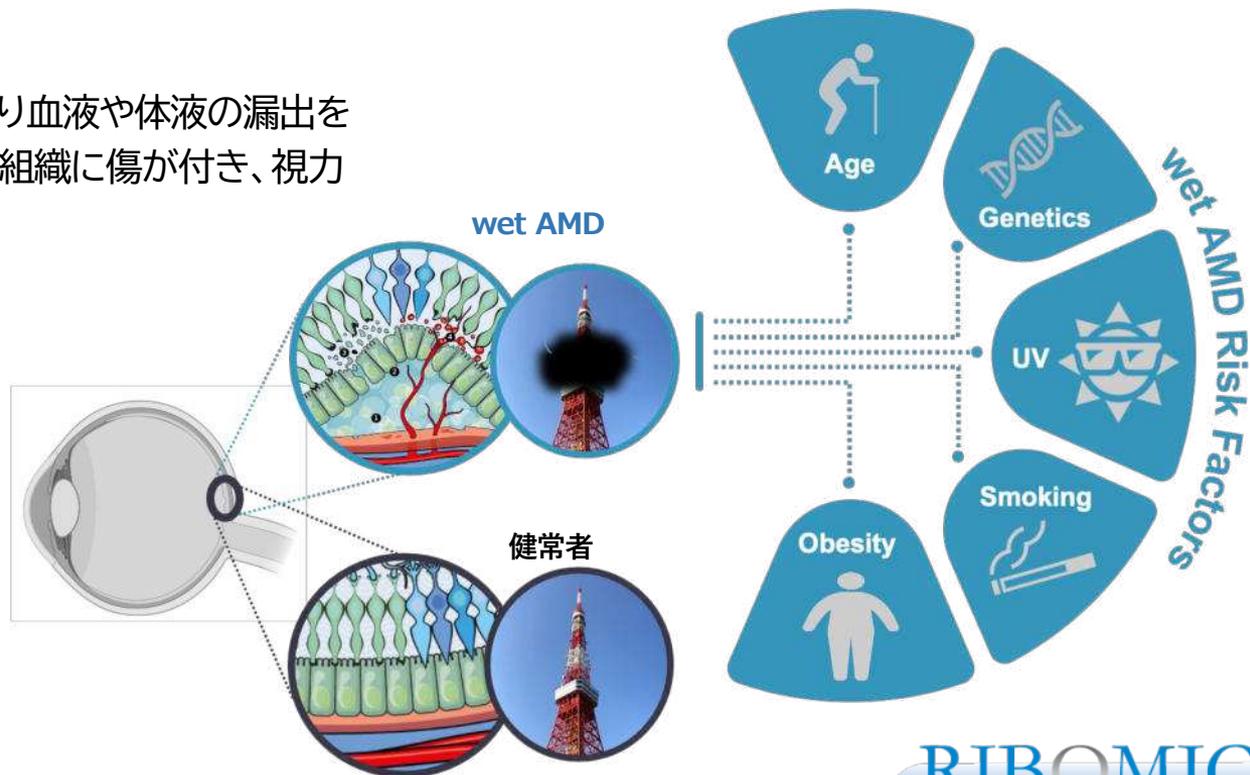


# RBM-007 (umedaptanib pegol) wet AMDを対象とした臨床試験

# 滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD)

- **滲出型加齢黄斑変性とは**  
網膜の下に生じた新生血管により血液や体液の漏出を引き起こします。これにより黄斑組織に傷が付き、視力障害となります。

- **滲出型加齢黄斑変性の症状**  
物が歪んで見えたり、視野の中心部が暗く欠けて見えたりします。さらに網膜での瘢痕形成が進むと失明の原因になります。



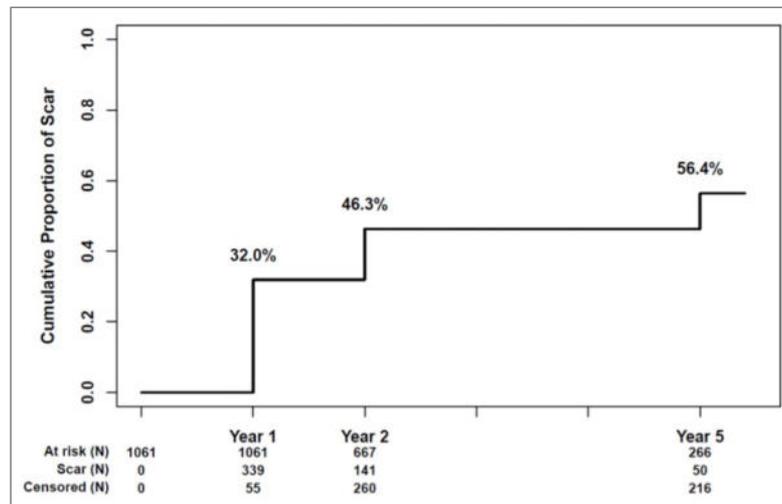
# 標準治療(抗VEGF薬)の Unmet Need

## 網膜の線維化(癥痕形成)リスク

- In the CATT trial, it has been reported that approx. **60% of the eyes treated with anti-VEGF develop fibrotic scars and majority of scars develop** within the first year of treatment.\*1
- Additionally, it has been reported that about **25% of AMD patients respond poorly or not at all to anti-VEGFs**.\*2
- Anatomical findings predictors of therapy failure include subfoveal fibrosis, scar formation or atrophy in retina.

\*1. Daniel E, et al. Development and Course of Scars in the Comparison of Age-Related Macular Degeneration Treatments Trials. *Ophthalmology* 125(7):1037, 2018.

\*2. Zuber-laskawiec et al. Non-responsiveness and tachyphylaxis to anti-vascular endothelial growth factor treatment in naive patients with exudative age-related macular degeneration: *JPP* 2 2019, 70, 5, 779-785



### 標準治療における問題点

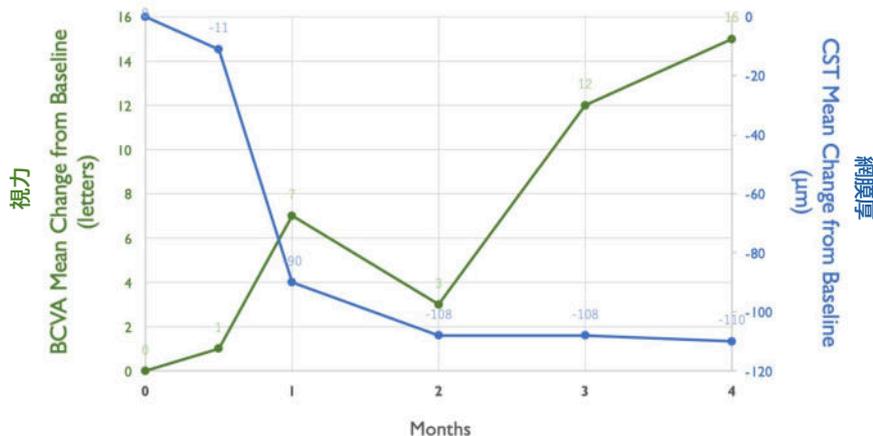
- 線維化(癥痕形成)発生を予防できない
- 1/4の患者に無効

# 臨床試験の概要

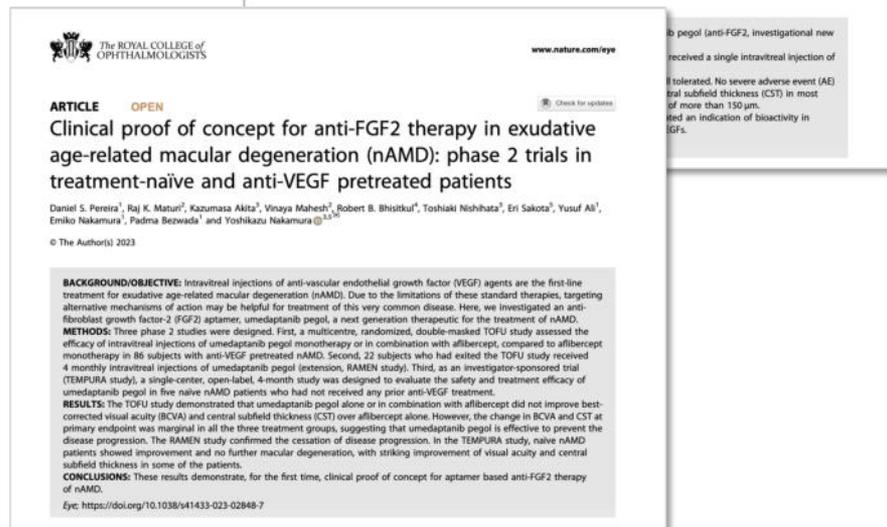
	Phase 1/2a SUSHI Study	Phase 2 TOFU Study	Phase 2 Extension RAMEN Study	Phase 2 IST TEMPURA Study
試験デザイン	単回硝子体内注射、3用量漸増	ランダム化二重盲検実薬(Eylea®)対照試験、毎月1回、4回硝子体内注射	毎月1回、4回硝子体内注射	毎月1回、3回硝子体内注射
被験者	抗VEGF薬で治療歴があり、完治しないwet AMD患者 9症例	抗VEGF薬で治療歴があり、完治しないwet AMD患者 86症例	TOFU Studyを完了したwet AMD患者 22症例	未治療のwet AMD患者 5症例
試験期間	2018年10月～2019年6月	2019年12月～2021年12月	2020年11月～2021年12月	2021年6月～2022年3月
試験実施施設	米国、4施設	米国、8施設	米国、8施設	米国、1施設
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>安全性および忍容性</li> <li>(視力と網膜厚の変化)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>安全性および忍容性</li> <li>視力と網膜厚の変化</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>視力の変化</li> <li>瘢痕化抑制効果</li> </ul>	視力と網膜厚の変化

# RBM-007 の臨床 POC(Proof of Concept)確立

- ▷ 標準治療(抗VEGF薬)患者における病態進行の抑制
- ▷ 未治療患者において顕著な治療効果を確認



未治療患者において網膜の瘢痕(線維化)抑制が確認できれば画期的な新薬になり得る



\*Phase 1 Eye: <https://doi.org/10.1038/s41433-023-02849-6>  
Phase 2 Eye: <https://doi.org/10.1038/s41433-023-02848-7>

## 今後の計画: 提携実現と承認申請のための臨床試験の実施

### wet AMDに対するP2までのデータ精査完了

- ✓ 米国にて、P2試験 完了
- ✓ 論文採択、臨床POC取得

### 資金調達

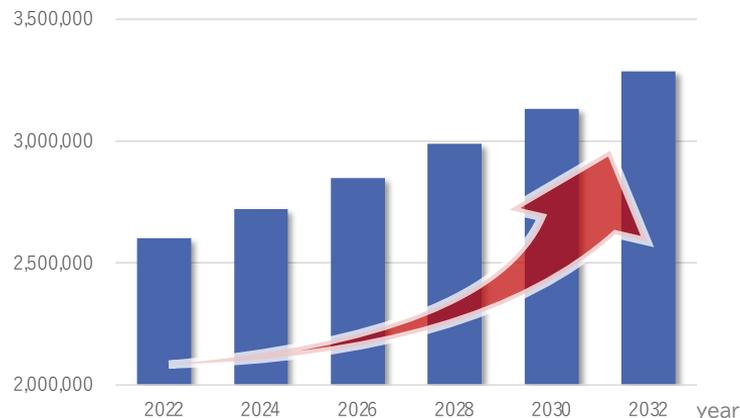
- 提携パートナー候補との協議
- ライセンス・アウトあるいは共同開発契約の締結
- 機関投資家からの資金提供

### 今後の臨床試験

未治療患者における瘢痕化抑制の証明を目指し、Phase 2b/Phase 3試験の実施を計画

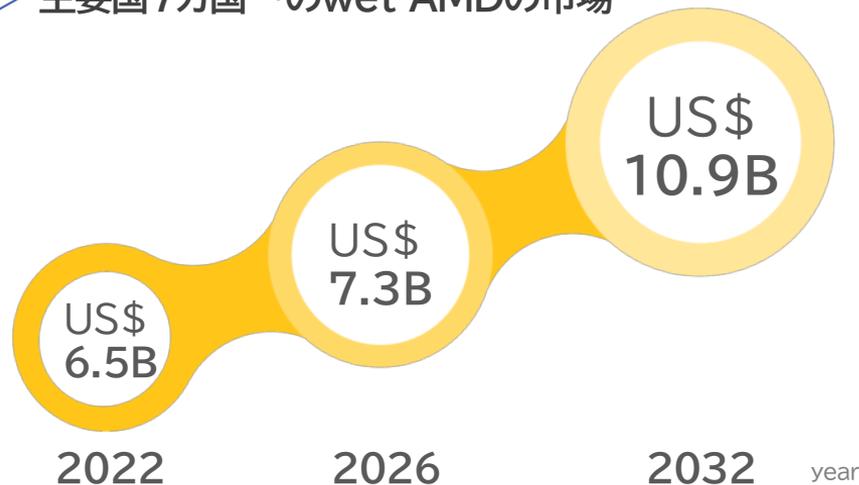
# 世界におけるwet AMDの市場

## ▷ 主要国7カ国\*1のwet AMD患者数



- 患者の開拓や先進国の高齢化により、患者数の増加による市場の拡大

## ▷ 主要国7カ国\*1のwet AMDの市場



- 予測されていたVEGF薬のペテントクリフによる市場の落ち込みは起きなかった
- 高用量化やバイスペシフィック化合物等が新しい市場を形成し、市場が拡大

\*1 日本、アメリカ、ドイツ、スペイン、イタリア、フランス、英国の患者数。

\*2 Citeline Datamonitor Healthcare, data as of May 20, 2024 こちらのデータを用い、当社にて作成。



# RBM-006 (抗Autotaxinアプタマー)

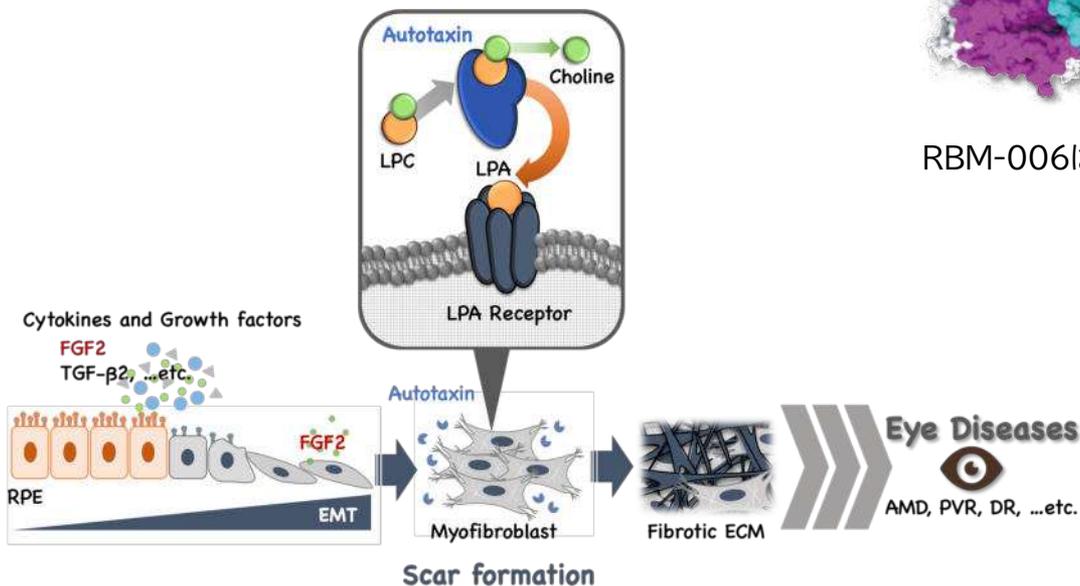
# RBM-006 (抗Autotaxin アプタマー)

## Autotaxin と RBM-006 について

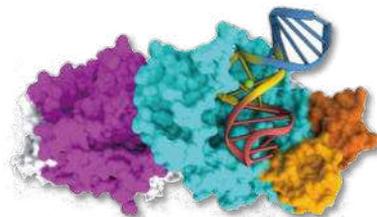
### ● Autotaxin(ATX)

リン脂質代謝酵素で、LPC → LPA を産生する

LPA は生体の機能維持に働く重要な脂質メディエーター



### ● RBM-006



2.0 Å crystal structure of the autotaxin/AX3 complex  
Collaboration with Osamu Nureki's laboratory  
*Kato et al., Nature Str. Mol. Biol., 23: 395-401, 2016*

RBM-006は対象疾患を増殖性硝子体網膜症(PVR)とし、開発中

### PVR適応のコンセプト

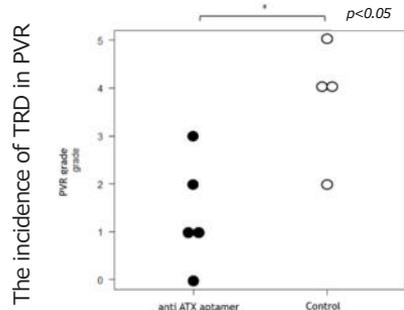
- PVRはRPE細胞やグリア細胞の活性化により線維原性の増殖膜が形成され、牽引性網膜剥離に伴う重篤な視力障害に繋がる疾患である。
- ATX阻害剤はRhoA経路、IL-6、ET-1、CTGF等の線維化因子の発現抑制によって抗線維化作用を示すと想定される。

# RBM-006 (抗Autotaxin アプタマー)

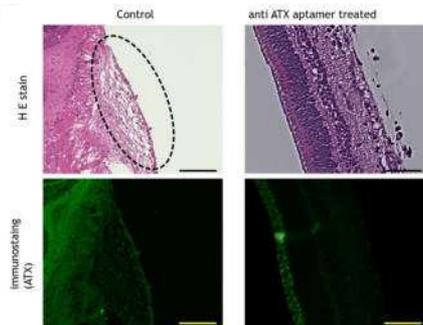
## In vivo Preclinical data と 他網膜疾患への展開

### ● In vivo Preclinical data\*1 (ブタPVRモデルを使用)

Effect of the anti-ATX aptamer on PVR in vivo.



Histological image of anti-ATX aptamer administration.



\*1 Hanazaki H, Yokota H, Yamagami S, Nakamura Y, Nagaoka T. The Effect of Anti-Autotaxin Aptamers on the Development of Proliferative Vitreoretinopathy. *Int J Mol Sci.* 2023;24(21):15926.

### ● 他網膜疾患への展開(東京大学眼科学教室と共同研究)

- ATXは緑内障患者において発現が亢進している
- ATX阻害剤により眼圧降下作用が認められる
- 正常眼圧緑内障モデルにおいてATX阻害剤により網膜神経節細胞保護作用が報告されている

疾患対象はPVRのみならず緑内障、糖尿病網膜症があり、治療の可能性をin vivoにて模索中

当社は前述した開発方針(36ページ)に従いRBM-006を用いた各種の網膜疾患に対する薬理効果を包括的に解析する予定であり、その結果にもとづいて臨床開発を検討する。併せて、RBM-007を用いたPVR薬理試験を継続中。



# RBM-011 抗IL-21アプタマー 肺動脈性肺高血圧症(PAH)

国立循環器病研究センターNCVC(中岡部長ら)との共同研究

# 肺動脈性肺高血圧症(PAH)と IL-21

- **肺動脈性肺高血圧症(PAH)とは**

難治性呼吸器疾患に認定されている難病

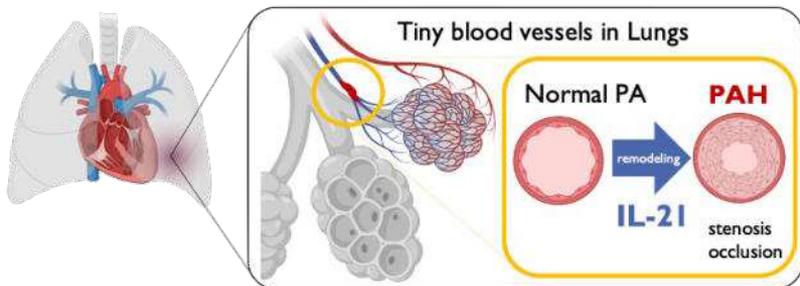
肺動脈壁が肥厚して血管の狭窄が進行した結果、全身への血液や酸素の供給に障害が生じ、最終的には心不全から死に至ることのある重篤な疾患

- **既存の治療法**

既存治療薬は血管を拡張させる作用を持つものであり、血管壁の肥厚を抑制する根本治療薬は存在しない

- **肺動脈性肺高血圧症(PAH)の原因**

IL-21(インターロイキン21)による肺動脈壁のリモデリング



\*Hashimoto-Kataoka T, et al. Proc Natl Acad Sci USA. 112: E2677-86 (2015)

患者数 (世界)

76,600

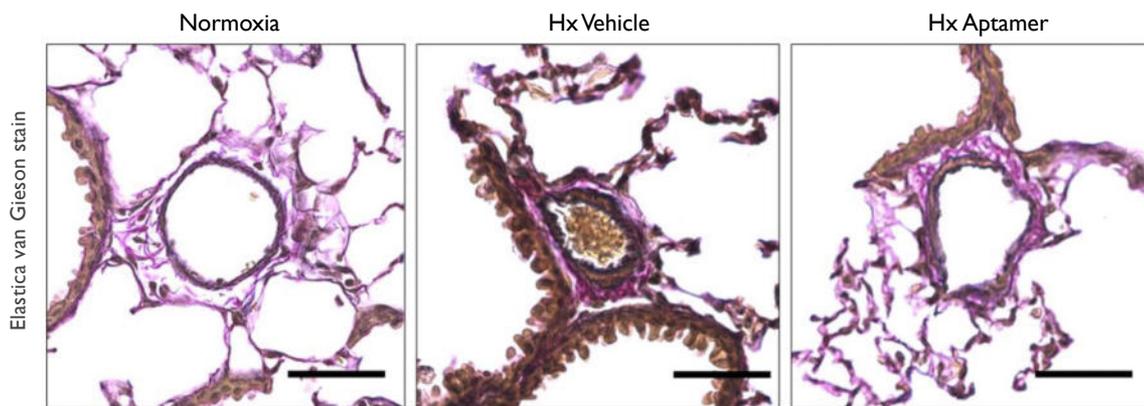
市場規模

US\$ 1.35B

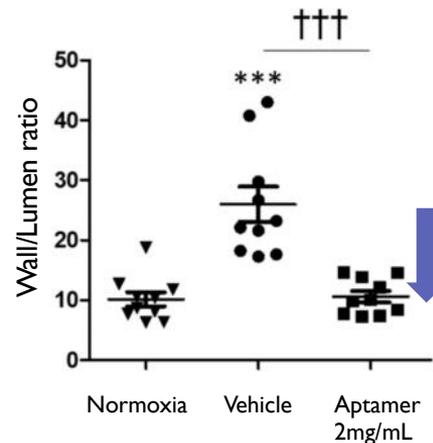
\*患者数・市場規模  
Informa, Datamonitor Healthcare を用い、  
当社にて検索・作成。(2022/6/20)

RIBOMIC

# 肺高血圧症モデルマウス実験



Anti-mIL-21 aptamer significantly inhibited on smooth muscle in hypertrophy pulmonary arterial near trachea in PAH mouse model.



抗IL-21アプタマーによる肺動脈壁の肥厚抑制効果を確認

## これまでの進捗と今後の展望

### ▷ 動物モデルでの検証実験

薬理効果を確認済み

### ▷ 臨床試験の準備

- 2021年 原薬のGMP合成を完了
- 2022年 毒性試験を開始、2023年6月終了
- 2024年 導出交渉を開始（Saudi KAIMRCに対して事業提携を協議中）

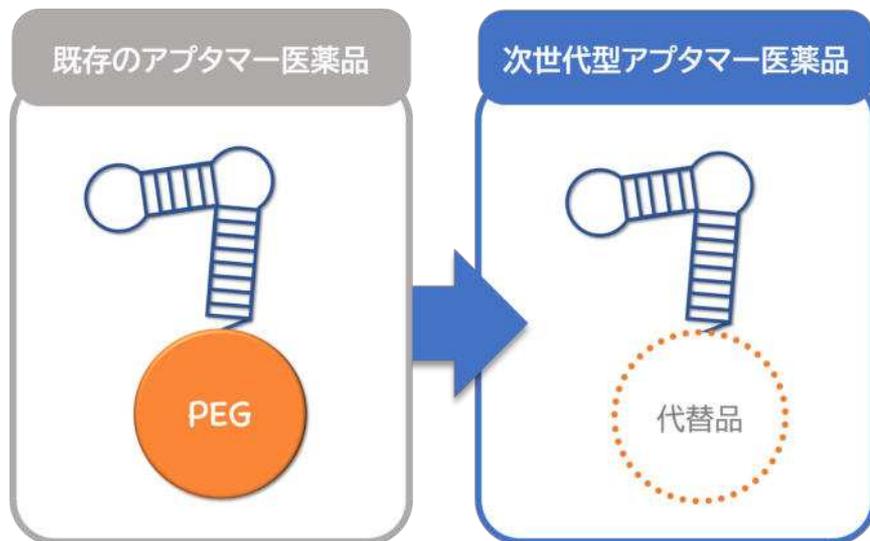
導出先での臨床試験の実施を計画





# 次世代型アプタマー医薬品の技術開発

# 次世代型アプタマー医薬品の体内動態制御に向けた新規技術開発



## ① 味の素株式会社との共同研究

味の素社が有する抗体-薬物複合体製造技術 AJICAP®を用い、アプタマーの体内動態制御技術を開発

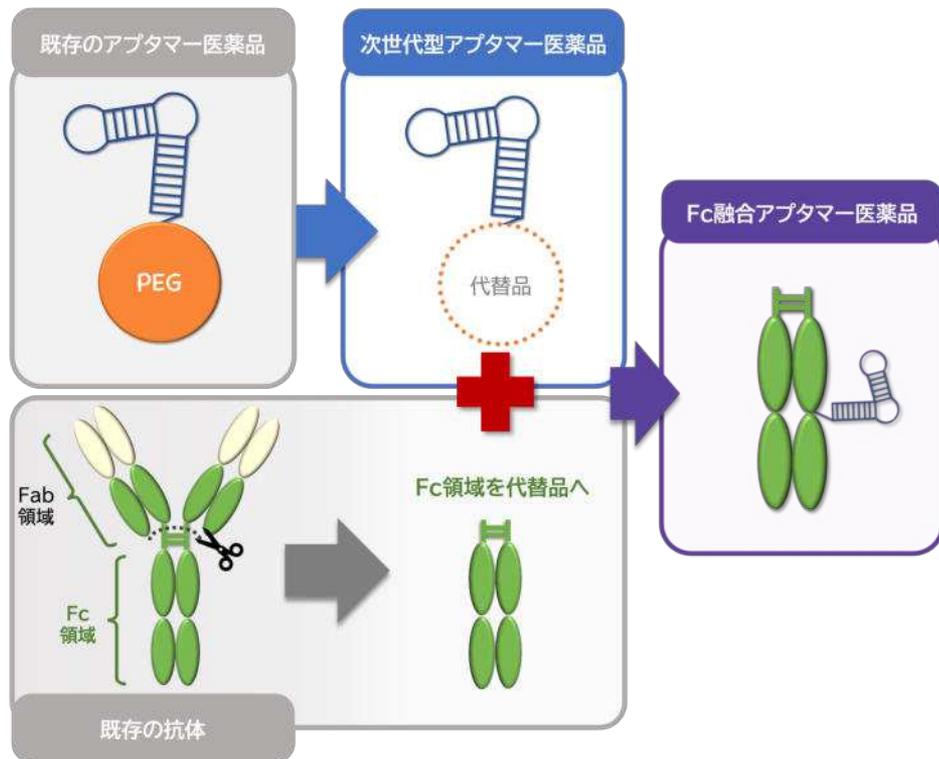
## ② 自社開発

自社で既存のポリマーを組み合わせ、アプタマーに適した代替品を開発

ポリエチルオキサゾリン(PEOZ)ポリマーとのコンジュゲートに関する特許出願  
(特願2024-12285)

# 次世代型アプタマー医薬品の体内動態制御に向けた新規技術開発

味の素株式会社との共同研究



## ① 味の素株式会社との共同研究

味の素社が有する抗体-薬物複合体製造技術 AJICAP®を用い、アプタマーの体内動態制御技術を開発

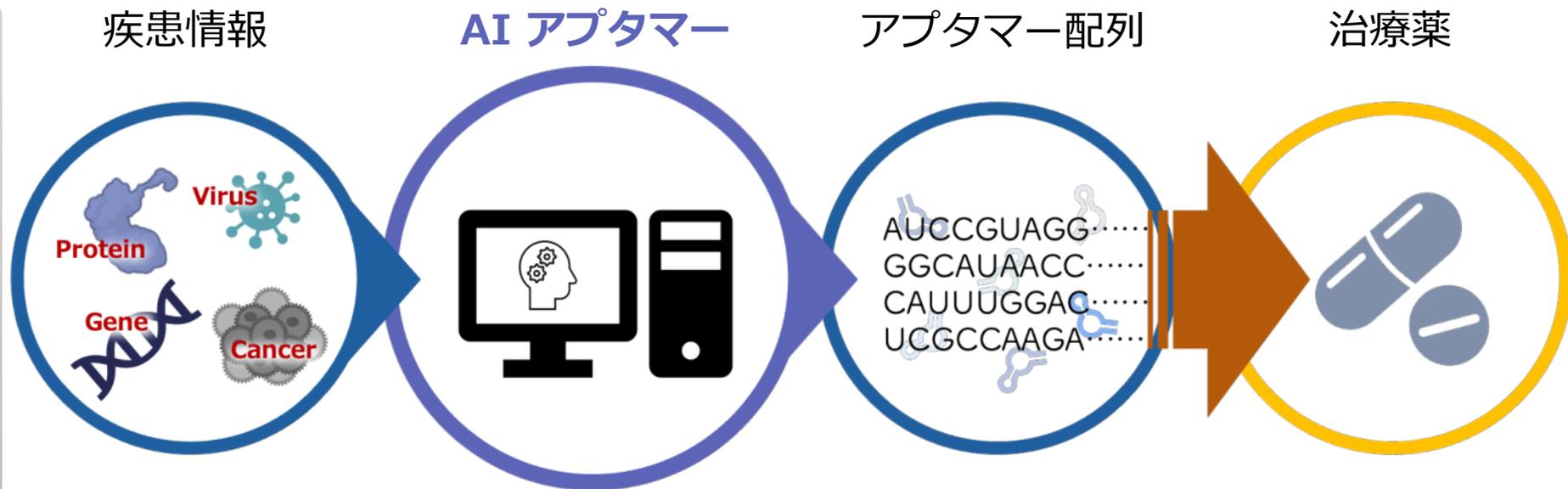
アプタマーおよび免疫グロブリンのFc領域のコンジュゲートに関する特許出願 (特願2025-037963)

抗体Fc領域にアプタマーを融合させることにより、アプタマーの血中半減期を飛躍的に延長



# AI（人工知能）アプタマーの開発

# AI アプタマーのコンセプト



AI アプタマーとは、人工知能(AI)を活用し、効率良くアプタマーのリード配列を取得すること

JST・CREST : AIアプタマー創薬プロジェクトにて、早稲田大学理工学院浜田研究室を中心に共同研究

# AI アプタマーの進捗

## 1 効率的なアプタマー探索手法の確立

アルゴリズム名: RaptRanker

コンセプト: SELEXデータから配列のクラスタリングを行う際、二次構造情報を加えることにより予測精度を向上させた

## 2 アプタマーデザイン手法の確立

アルゴリズム名: RaptGen

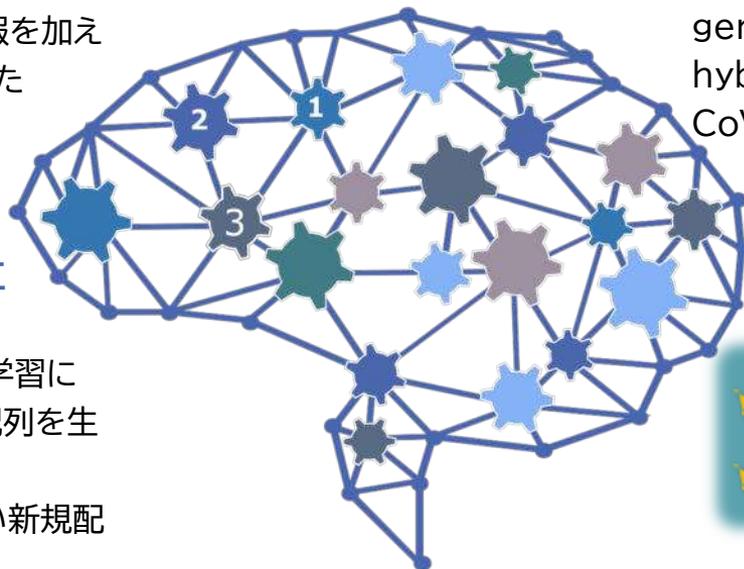
コンセプト: SELEXデータを深層学習によって学習し、学習した空間から配列を生成する技術

SELEXデータからは取得できない新規配列を取得

## 3 AI アプタマー手法を用いた新規アプタマーの創製

コンセプト: RaptGen を活用し、新規抗 SARS-CoV-2 アプタマーの創出に成功  
論文名: RaptGen-assisted generation of an RNA/DNA hybrid aptamer against SARS-CoV-2 spike protein

<https://doi.org/10.1021/acs.biochem.3c00596>



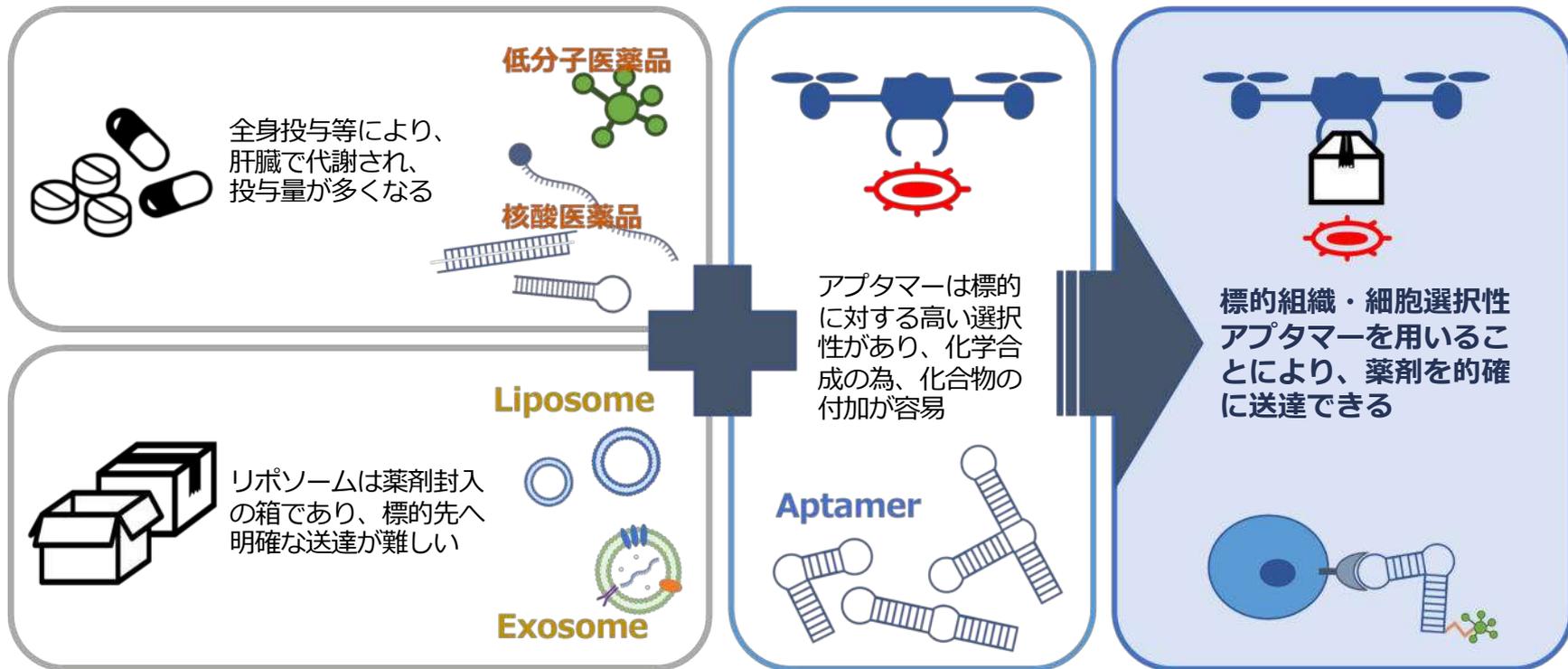
👑 JST・CRESTの追加支援決定！

👑 NEDOの本格研究フェーズ決定！



# DDS(薬物送達)アプタマーシステムの構築

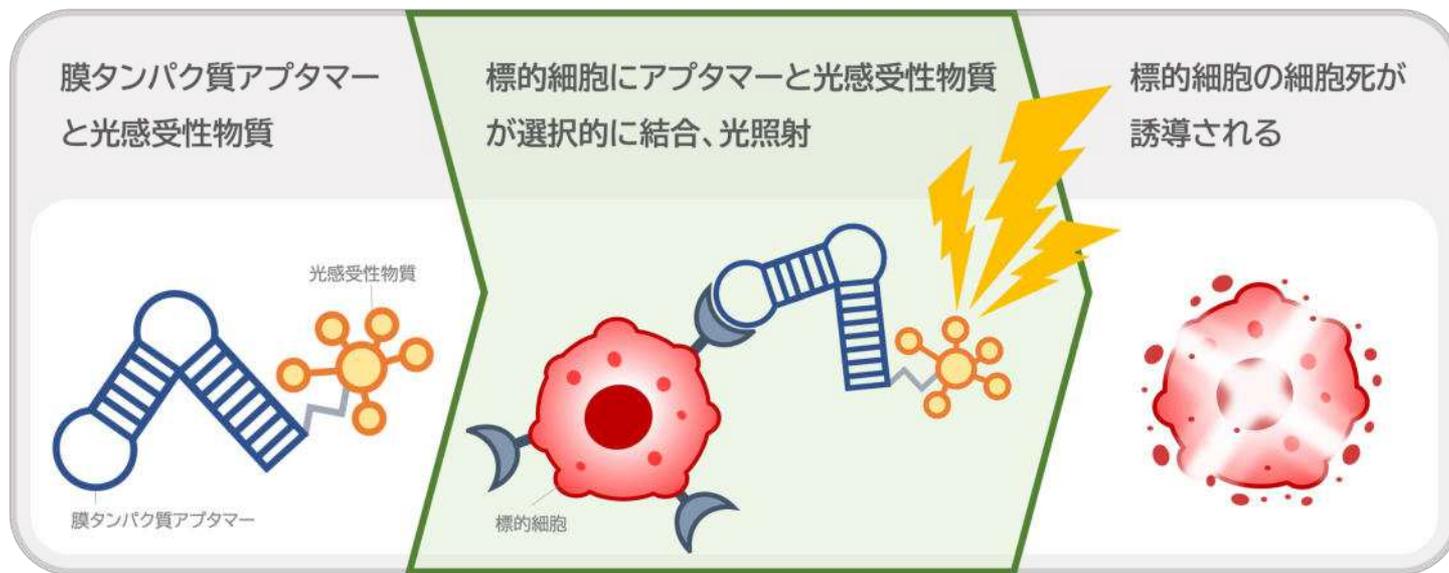
# DDSアプタマーのコンセプト



# 新規DDSアプタマー技術開発の進捗

## 光免疫療法

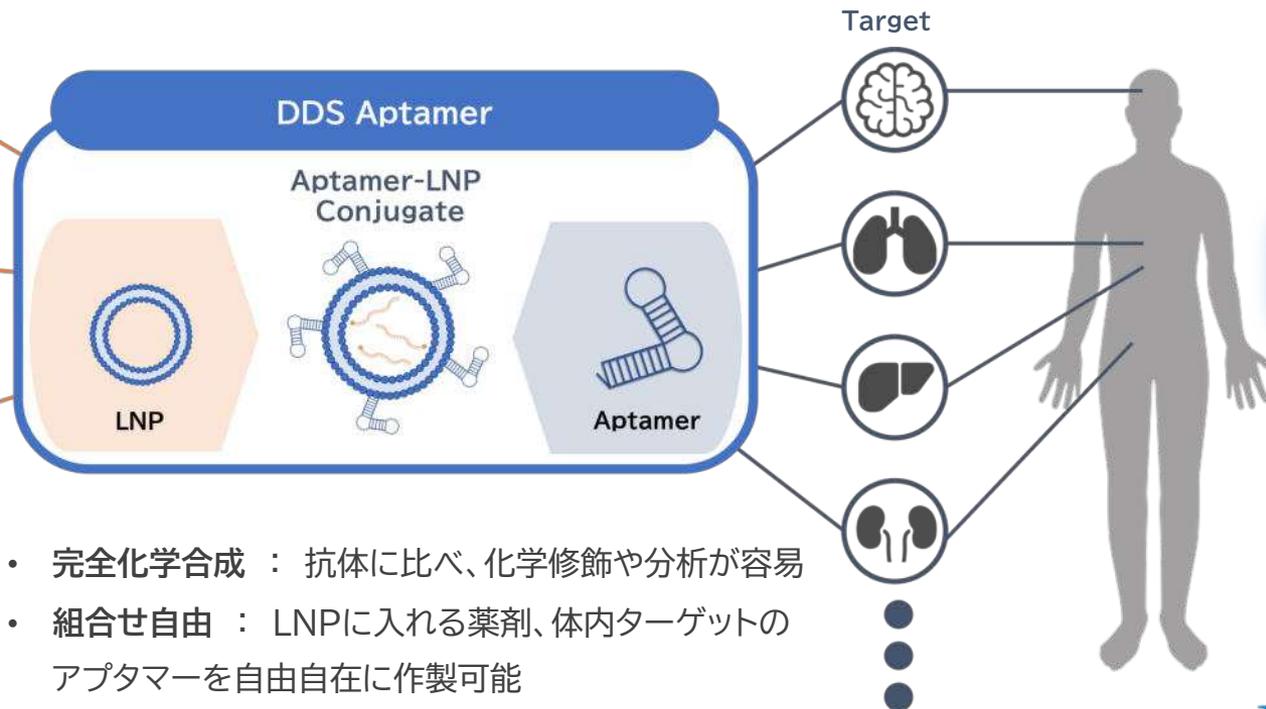
学校法人慈恵大学（東京慈恵会医科大学） 消化器・肝臓内科 光永真人 講師のグループとアプタマーを用いた光免疫療法の共同開発を実施



# 新規DDSアプタマー技術開発の進捗

## アプタマー-LNP(修飾脂質ナノ粒子)

Encapsulated  
Drugs



動物実験において  
概念実証を試験中

- 完全化学合成 : 抗体に比べ、化学修飾や分析が容易
- 組合せ自由 : LNPに入れる薬剤、体内ターゲットのアプタマーを自由自在に作製可能

# 目次

- 会社概要
- 事業概要
- 財務と成長戦略
- リスク情報

# 業績ハイライト

(単位:百万円)

	2024年3月期 (実績)	2025年3月期		増減額 B-A	2026年3月期 C(予想)	増減額 C-B
		A(業績予想)	B(実績)			
事業収益	-	2	2	-	-	▲2
営業利益	▲1,116	▲1,436	▲1,050	385	▲1,357	▲306
営業外収益	137	41	40	▲1	18	▲21
経常利益	▲982	▲1,403	▲1,014	388	▲1,350	▲335
当期利益	▲1,024	▲1,404	▲1,018	386	▲1,351	▲332
研究開発費	764	991	667	▲323	889	221
流動性の状況	3,399	2,743	3,037	294	1,645	▲1,391

		2025年3月期(実績)	2026年3月期(予想)
業績について	事業収益	アプタマーの有償提供を実施しております。	契約済みの取引がないため、事業収益は見込んでおりません。
	事業費用	RBM-006の非臨床試験・軟骨無形成症の前期第Ⅱ相臨床試験の費用が主要因であり、外注費の発生時期ずれ等により計画比385百万円減となりました。	主に軟骨無形成症の前期第Ⅱ相臨床試験費用、RBM-006の増殖性硝子体網膜症(PVR)を対象とした非臨床試験、ドラッグデリバリーシステムの開発費を見込んでおります。
流動性資産の状況		外注費の発生時期ずれを主要因とした研究開発費用の減少により、3,037百万円の残高となりました。(計画比294百万円増)	第17回新株予約権の行使が2025年1月27日にすべて完了(調達額:6.9億円)し、2026年3月期事業費用を勘案後も十分な資金残高を有しております。

# 資金調達に関する説明

(単位:百万円)

※2025年3月末時点での充当状況

具体的な資金使途	調達額(充当済額)			支出(予定)時期
	第15回	第16回	第17回	
RBM-007の加齢黄斑変性症及び軟骨無形成症を対象とした臨床開発費用 (臨床開発のための薬剤合成費用を含む)	3,239 (2,537)			2020年1月～2026年3月
RBM-011(肺動脈性肺高血圧症に対するアプタマー医薬)の研究開発費用		606 (405)		2020年10月～2025年3月
RBM-006(抗オートタキシン・アプタマー医薬)の研究開発費用			650 (71)	2024年4月～2026年3月
RBM-003の心不全を対象とした非臨床試験費用	40 (40)			2020年1月～2023年12月
RBM-010の変形性関節症を対象とした非臨床試験費用	80 (80)			2020年1月～2023年12月
新規技術開発費用(製剤化技術開発・導入他)	95 (95)			2020年1月～2024年3月
ドラッグデリバリーシステム用アプタマーを中心とした探索研究費用	502 (-)	494 (463)		2024年3月～2026年3月
運転資金	1,530 (1,516)	239 (-)	45 (-)	2020年1月～2027年3月
合計	5,485 (4,268)	1,339 (868)	695 (71)	-

第15回・第16回・第17回新株予約権…行使完了済

# VISION 2025: 臨床試験プログラムの進捗と目標達成

(updated June 2025)

	 <b>RBM-007</b> 滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)	2022 Phase 2 試験の完了 2023 臨床POCの確立、未治療患者の治験に向け提携協議中 2024 Saudi KAIMRCに対して事業提携を協議中
	 <b>RBM-007</b> 軟骨無形成症(ACH)	2022 ACH 小児に対する Phase 2a 観察試験の開始 2023 Phase 2a 試験の推進 2024 Phase 2a 試験が奏効 2025 厚労省ODD取得
	 <b>RBM-011</b> 肺高血圧症(PAH)	2023 非臨床試験の完了、ライセンス交渉開始 2024 Saudi KAIMRCに対して事業提携を協議中
	 <b>RBM-006</b> 網膜疾患	2023 日本大学・長岡教授(現・旭川医大教授)とPVR予防作用の論文 2024 東京大学眼科学教室と共同研究を開始
	 <b>RBM-003</b> 急性心不全	2024 非臨床試験の完了 2025~ 自社開発の優先度を下げて導出を検討
	 <b>RBM-010</b> 変形性関節症	

2020年当初に目標とした「複数の自社パイプラインの臨床試験入り」の計画は達成された。

今後は資金を確保の上、さらに臨床開発を加速する。

# 今後の事業発展プラン

## 合併事業の設立と投資誘致

### 臨床試験を目的とした合併事業の設立(国内外の機関投資家等と検討中)

- RBM-007:未治療のwet AMD患者と対象とする臨床試験
- その他のパイプラインの臨床試験



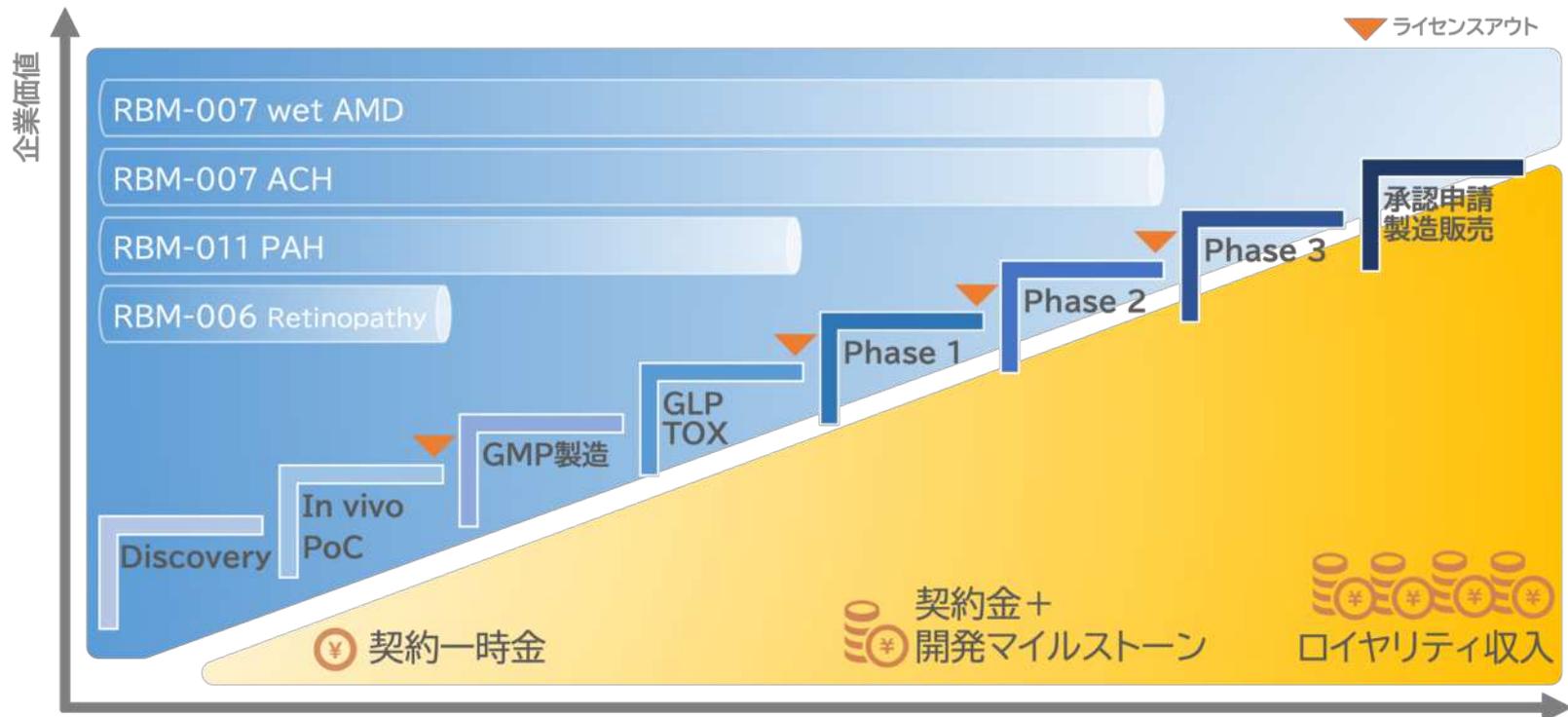
2024年11月11日

キング・アブドラ国際医療研究センター(Saudi)  
とのMOU締結

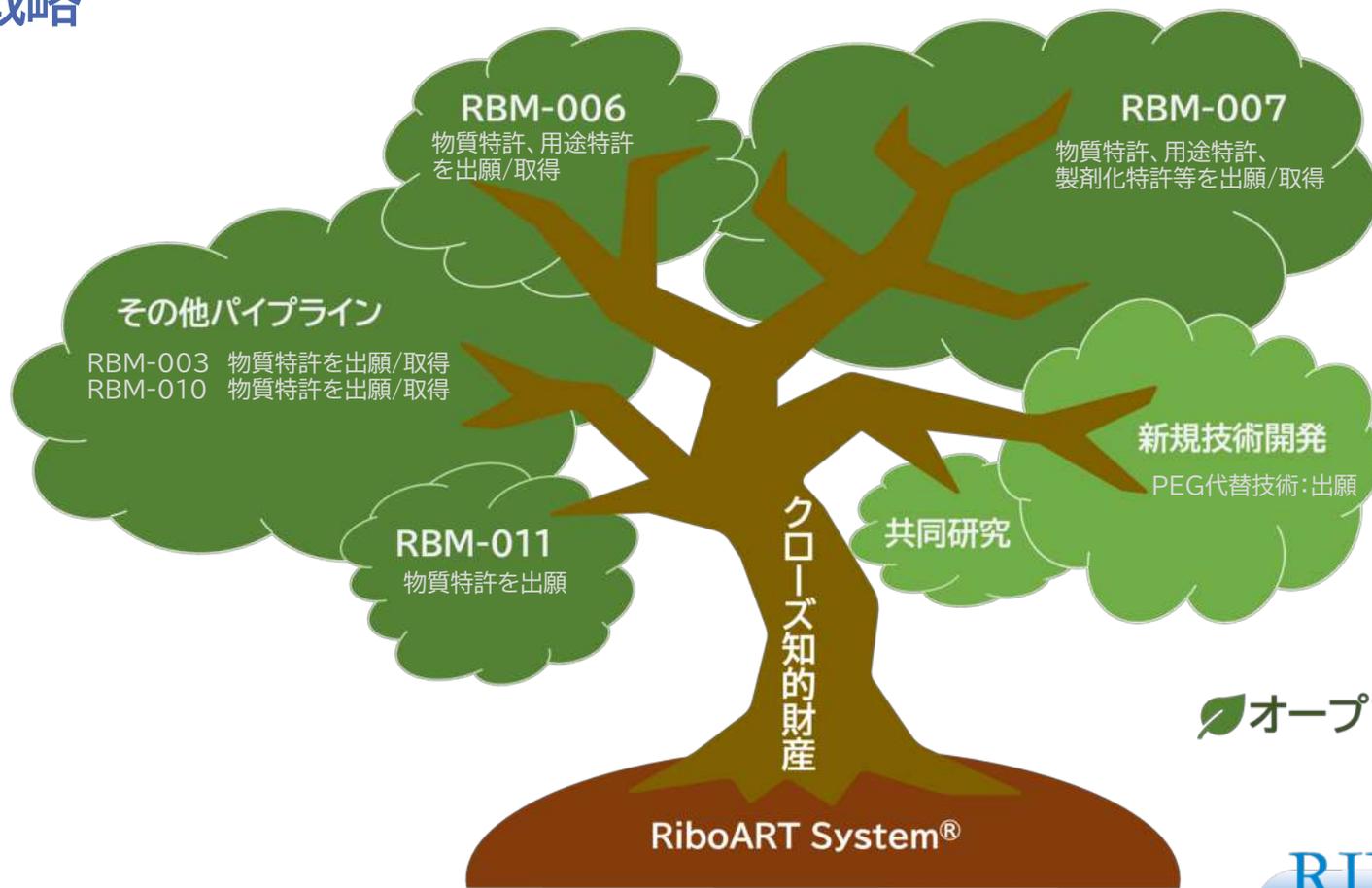
現在、協議中



# 事業の進歩と企業価値



# 知財戦略





# 社会に対する企業価値の創出

# サステナビリティの取り組み

## Environment 環境

- リサイクル活動
- 社内ペーパーレス化
- 研究資源の管理
- 廃棄物の徹底した分別管理



## Social 社会

- 次世代の研究者への貢献
- ダイバーシティの尊重
- 働きやすい環境づくり
- 従業員の労働安全衛生
- イノベーション創出



## Governance 企業統治

- BCP対応/ニューノーマルの推進
- 経営ガバナンス強化
- 株主・投資家との対話
- 法令遵守



# 目次

- 会社概要
- 事業概要
- 財務と成長戦略
- リスク情報

# リスク情報 1

## 創薬・医薬品開発事業全般に関する事項

顕在化の可能性/時期	中/短中期	顕在化した場合の影響	大
リスク	<u>医薬品研究開発が想定通り進まない場合</u> 新規パイプライン創出について、新規標的たんぱく質に対して開発候補品となりうるアプタマーを創出できなかった場合や、臨床開発について、一つの開発候補化合物が医薬品として承認され上市に至るまでには、ヒトでの臨床試験を含む様々な試験によって有効性・安全性の確認のみならず、製造・販売に至るまでに様々な関門があり、その全てをクリアすることができなかった場合には、当社の事業計画の変更を余儀なくされること等により、当社の事業等に影響を及ぼす可能性がある。		
予防策/対応策	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 製薬企業との情報交換による需要の発掘やアカデミアとの産学連携等により、Unmet Medical Needsを満たす新規パイプラインの選定・獲得・創出の可能性を高める努力を続ける</li><li>・ 一つのターゲット(ターゲットタンパク質)に結合するアプタマーについて、有力なものが得られても、必要に応じ、バック・アップ品を準備</li><li>・ 互いに独立した複数の開発パイプラインを保有</li><li>・ 優秀な人材や経験豊富な人材の確保</li></ul>		

## リスク情報 2

### 会社組織に関する事項

顕在化の可能性/時期	中/不明	顕在化した場合の影響	大
リスク	<b>個人への依存</b> 当社は少数精鋭の組織であるため、事業全般の推進を担う中村義一代表取締役社長の経営執行が困難になった場合や優秀な研究開発人材が退職した場合には、経営成績及び今後の事業展開に影響を及ぼす可能性があります。		
対応策	<ul style="list-style-type: none"><li>・ サステナブルな会社経営のために、人材の採用並びに後継者育成</li><li>・ 人材育成の研修制度の充実、従業員の意欲向上のための人事制度の構築等</li><li>・ 役員構成にも配慮</li></ul>		

### 株式に関する事項

顕在化の可能性/時期	低/中長期	顕在化した場合の影響	大
リスク	<b>敵対的買収による影響</b> 株価水準によっては、第三者の株式取得を通じた敵対的買収が行われ、経営的なリスクが生じる可能性がある。  <b>東京証券取引所:グロース市場の上場維持基準への適合性</b> 当社は、株式会社東京証券取引所にて2022年4月適用の新市場区分においてグロース市場を選択しており、上場来10年が経過していることから、グロース市場の上場維持基準の1つである時価総額基準への適合が求められることとなります。今後株価水準によっては、本基準に抵触することとなり、上場廃止となった場合には、資金調達に大きな影響を及ぼす可能性があります。		
予防策/対応策	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 既存株主に対しての適時的確な情報発信を通じた友好関係を構築</li><li>・ 機関投資家など、新たな安定株主の確保</li><li>・ グロース市場が求める高い成長性の実現に努める。(企業価値の向上)</li></ul>		

## リスク情報 3

### 知的財産権に関する事項

顕在化の可能性/時期	低/中長期	顕在化した場合の影響	大
リスク	<u>特許出願が成立しない等の影響</u> ライセンスアウトが出来ない、または低額な対価しか得られず、事業戦略や経営成績に影響を及ぼす恐れがある。		
対応策	・ 特許事務所や外部専門家を活用し、知財委員会にて検討・調査を実施したうえで最適な特許出願を実施		

### 財務状態・経営成績に関する事項

顕在化の可能性/時期	中/中長期	顕在化した場合の影響	大
リスク	<u>安定的な収益に至るまでの期間の資金不足</u> 創業ベンチャー企業の特徴として当初から多額の資金が必要になる一方で、安定的な収益の計上に至るまでの期間を要するため、必要なタイミングで資金を確保できなかった場合、事業に影響を及ぼす可能性がある。		
対応策	・ 自社パイプラインのライセンスアウト ・ 新株発行等による資金調達の実施 ・ 助成金等の活用		

- 上記以外のリスク情報につきましては、直近の有価証券報告書「第2 事業の状況、3 事業等のリスク」をご参照ください。

## 留意事項

当該資料は当社の事業内容を説明するために作成されたものであり、勧誘を目的に作成されたものではありません。当該資料に記載された内容については合理的な注意を払うよう努めておりますが、当該資料の作成時において入手し得た情報に基づき、当社の判断において記載したものです。市場環境等当社外の事項に関する情報については、その正確性、完全性について保証するものではなく、また、業績の見通し等の将来に関する記述については、リスクや不確実な要素が含まれているため、実際の業績は大きく異なるものとなる可能性があり、これについて確約や保証を与えるものではありません。投資等を行われる際には、投資家ご自身の責任と判断で行っていただくことを前提に当該資料をご提示させていただいております。

なお当該資料に記載されている開発品の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではありません。

- 次回の「事業計画及び成長可能性に関する事項」の開示は、2026年6月の株主総会前を予定しております。



URL : <https://www.ribomic.com>

Contact information : [info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)