

2025 年 7 月 3 日

株主様からの Q&A

・ 本 Q&A の開示に付きましては、弊社第 22 回定時株主総会におきまして株主様から事前にいただきましたご質問並びに当日頂きましたご質問とその回答を、ご質問順に開示するものです。

・ 事前質問

1	質問	各パイプラインの事業戦略について教えてほしい。
	回答	当社の事業戦略については、いずれもライセンスアウトより事業収益化を図ることを考えており、各パイプラインの進捗と計画については下記の通りです。 ・ RBM-007(umedaptanib pegol)：軟骨無形成症 現在、日本において前期第 2 相臨床試験を実施しており、本年 10 月に完了予定です。試験結果を基に導出活動を推進すると同時に、早期の上市に向けて、更なる臨床試験についても準備を進めていく予定です。一方で、厚生労働省から希少疾病用医薬品指定（ODD）を受けることが出来、所管の機関に対して、助成金を申請中であります。 承認が得られれば、3 年間、最大でかかった費用の 50%まで受けられる可能性があります。 ・ RBM-007（umedaptanib pegol）：滲出型加齢黄斑変性 米国で第 2 相臨床試験を実施済みです。今後未治療患者様に対して更なる臨床試験を実施し、網膜の瘢痕抑制が実証できれば、既存の標準治療薬と大きな差別化を図ることができるので、この試験の実現に向けて、現在パートナー探しをしております。 ・ RBM-006（抗オートタキシン・アプタマー） 日本大学医学部との共同研究において増殖性硝子体網膜症（PVR）に対しては、ブタ PVR モデルに RBM-006 を投与し、効果を検証した論文を発表しておりますが、現在、東京大学医学部との共同研究で、緑内障や糖尿病網膜症にも効果があるかを検証しております。引き続き、眼科疾患に対する臨床効果の検証に進めていきたいと考えております。

2	質問	現在進行中あるいは終了した共同研究について、今後の事業展開の見通しについて教えてほしい。
	回答	① 味の素株式会社との共同研究契約 成果目標を達成し、契約を終了しております。今後確立した技術を用いて、さらに有用性の高いアプタマーの創出を進めて参ります。 ② 学校法人早稲田大学との共同研究契約 成果を共同で特許出願しております。当該成果を通じて、アプタマー創薬のプロセスの機能向上により、新規共同研究の獲得につながると期待しております。 ③ 国立大学法人 北海道大学との共同研究契約 契約を終了しておりますが、本研究成果により IL-21 アプタマーの適応疾患が拡大することによりライセンスアウトの可能性が向上すると考えております。 ④ 三菱商事ライフサイエンス株式会社との共同研究契約 先方との守秘義務があるため、直接の回答は控えさせていただきます。 なお、同社とは「抗好中球エラスターゼアプタマー」の特許を共同出願しております。 ⑤ 国立大学法人 東京大学との共同研究契約 緑内障モデル等を始めとして複数のモデル動物での薬理試験を進めております。開発候補疾患と開発品を特定し、臨床試験に繋げることを目的としております。 ⑥ 学校法人 慈恵大学との共同研究契約 光免疫療法の新しいアプローチとして、製薬企業を中心とした共同研究を目指しております。
3	質問	サウジアラビアとの提携の実現時期を教えてください。 また、国際共同治験も視野にいられているのか教えてください。
	回答	現在キング・アブドラ国際医療研究センターとの間で、提携交渉を進めておりますが、具体的な内容については決定次第開示いたします。

4	質問	新規 DDS アプタマーに関して、専売特許のプラットフォームとして世界展開していきたいとの話だが、具体的に何社とディスカッションを実施しているのか教えて欲しい。また、今年度内に収益化の見込みがあるのか教えて欲しい。
	回答	相手方のある事柄であり、営業秘密に関わる内容のため、回答は控えさせていただきます。
5	質問	今後の資金調達について、どのように考えているのか教えて欲しい。 また、今後3年間の資金繰りについてどのように考えているのか教えて欲しい。
	回答	新薬の研究開発については、長い年月と多額の資金が必要であり、資金調達は弊社の重要課題と認識しております。そのため、資金調達は適時適切なタイミングで実行してまいります。
6	質問	現在、ライセンス交渉はどのようになっているのか教えて欲しい。
	回答	ライセンス交渉の詳細については、営業秘密に属することであり、回答は致しかねます。ご理解を賜りますようお願い申し上げます。
7	質問	現在、ライセンス契約等の締結まで至っておらず、役員の経営責任として、過去支給分の役員報酬の返上及び今後の役員報酬の削減を行うべきではないか。
	回答	現在、各パイプラインの進捗や新たな共同研究によって、企業価値を向上することが経営陣の責任だと認識しておりますが、役員報酬につきましては、弊社の指名・報酬委員会における議論において、基本方針に基づき、各取締役の職責・業績評価を踏まえた上で、その妥当性を含めて審議しております。
8	質問	代表取締役は、アプタマー医薬に精通しているが高齢である。代表取締役が業務執行出来なくなった場合、事業の継続に支障をきたすのではないか。
	回答	代表取締役の後継者計画につきましては、重要な経営課題として認識しております。現在、幸いなことに健康面に懸念等はなく、経営執行に問題はないと考えておりますが、後継者計画及び事業の継続については、社内での昇進人事や社外からの人材登用を通じ体制強化を図っております。
9	質問	6月18日発売の会社四季報の中で、2027年3月期の業績予想として、売上20億円・営業利益8億円と記載があったが、これについて説明をして欲しい。
	回答	最近発売された四季報の業績予想については、東洋経済社様が公表されている通り、同社の記者が、弊社の公開情報（決算短信・決算説明会資料）や取材などによって会社計画の前提条件を確認し、作成した独自予想です。 弊社は中期事業計画を公表しておらず、また取材時においても公表しておりません。決算説明会等にて今までお伝えしてきました ACH のライセンスアウト

		を目指す時期を基に東洋経済社様が独自で予想した数値と理解している。
--	--	-----------------------------------

・会場内でのご質問

1	質問	研究者としての社長の話はわかったが、会社経営者としていつごろ黒字浮上の見通しを考えているのか教えて欲しい。また、年に数回株価が急に上昇することがあるが、例えば M&A や資本提携の情報があるのか、現象が出る背景を教えて欲しい。
	回答	①我々の会社の経常利益が黒字化するという予想は下記3点が予想され、その段階で初めて黒字化すると考えております。 1) 製品を作り、その製品を販売していく。 2) あるいはそれがライセンス契約によって大きな収入を得る。 3) 我々の手元で上市まで進め、売上予想が立つといった段階になる。 直近では、ACH の開発を進めており予断を以って語ることはできないが、例えば製薬会社様がライセンスインしていただければ、一時金収入が期待できます。 そういう事象が、黒字化の大きな要因となりますし、製品が市場にできれば製品の売上に基づいた恒常的な収入を得ることが出来ると考えております。 ②株価の変動要因について、先日も四季報の発売に伴って、東洋経済社の記者様が予想された業績予想によって弊社の株価が、ストップ高になったというのは弊社も驚いております。弊社が提供した以外の外部的な要因で値動きするといったことも時々ありえますが、M&A に関わるような提案はいただいておりますので、そういったものが関係しているといったことはございません。 それよりも弊社から良いニュースを開示・公表していき、弊社自身で株価が上昇するよう努めてまいりたいと考えております。
2	質問	【五十嵐監査役に対して】計算書類があったが、銀行の残高証明書がないので、拝見できるか。
	回答	銀行の残高証明書等は、会社の執行側が管理しているので、具体的にはそちらに尋ねていただきたいと考えているが、昨年も質問を頂いていたと思いますが、お手元にお配りしている事業報告或いは招集通知に添付してお配りする必要はないと思っております。ご理解いただければと思います。
3	質問	資金の「入り」と「出」を見ました。それで合ってますというからには、証明が必要なので、今回この場で用意できなかったら HP に掲載いただきたい。
	回答	法的においても HP に掲載する必要はないので、我々としては掲載することは考えておりません。

4	質問	ACH の治験症例数が 6 名といったお話があったが、全国的に ACH の患者様はどれぐらいいるのか。
	回答	ACH の我々の患者様は、13 例で開始させていただいており、そのうちの 6 例のデータを開示させていただいております。 ACH の患者様は、成人を含めると全国で凡そ 6,000 名ぐらいの規模となります。 弊社の試験は、骨を伸ばす組織（軟骨成長板）が、活発に動いている時期（以下、「対象範囲」とします。）にしか薬の効果が出ませんので、対象範囲内の患者様を対象として臨床試験を実施しております。ACH の患者様は全国で 6,000 名と先ほどお伝えいたしました、対象範囲に該当する患者様は 500 名～700 名ぐらいとなります。 一旦スタートすると成長板が閉じるまでの期間、ずっと皮下投与し続けなければいけないため、長い間皮下投与を続けなければならないといった性質の薬となります。
5	質問	ACH の臨床試験について、第 1 相試験への参加者が成人された方とのことで、成長板が動いていない成人に対してなぜ治験を実施したのか教えて欲しい。
	回答	ACH の第 1 相試験は患者様ではなく成人男性 24 名の方にご参加いただき、実施いたしました。 RBM-007 (umedaptanib pegol) は全身投与の新薬であり、どのような安全性の懸念が生じるのか全くわからない状態であったため、即、患者様に対して、全身投与を実施するといった進め方はリスクが高いと考え、成人男性 24 名の方にご参加いただき、安全性の懸念がないのかどうかといった試験を実施いたしました。
6	質問	wet AMD の治験について、治験実施先を米国にしたのは、どういう繋がりで見定めたのか。コロナウイルスが流行り、治療薬の話が出た際に、米国では対象者が多くいるため治験の実施が可能だが、日本ではあまり対象者がいないので、治験はできないといった話もあったので、考え方を教えて欲しい。
	回答	治験を日本で実施することは可能でした。 弊社として、治験実施先を米国に選定した理由は、米国の規制当局である FDA の基本ポリシーがサイエンスドリブンの新薬開発に非常に前向きであり、ある程度リスクがあったとしても、患者様の利益が大きければ、積極的にサポートしてくれます。（ただし、何かあったときは会社責任というスタンスです。） 一方、日本の PMDA は、安全性重視のスタンスなのでポリシーが異なります。我々のような新薬の開発は、サイエンスドリブンで実施していきたいと

		いう思いが強いので、米国で実施いたしました。 また、社外取締役である西畑氏は、前職の参天製薬様で、米国での眼科疾患開発に精通しており、そういった人脈もありましたので、米国で実施いたしました。
7	質問	ライセンスアウトのパートナー探しですが、業界として、いきなり個別交渉を実施していくのか、まずは一斉に集まり、基本情報をシェアしたうえで業界のレベルアップ的なことを行ってから個別交渉に進んでいくのか教えて欲しい。
	回答	弊社は、事業開発部長がおり、非常に頻繁に Bio US, Bio Euro, Bio Taiwan といった交流・商談の場に参加し、各企業と世界的な広がり、商談機会をつくっております。そういった活動を実施しておりますので、非常に多くの国内外の企業様と秘密保持契約を締結し、ビジネス協議を進めております。 それに加えて、エージェントも活用し、パートナー探しも実施しております。
8	質問	貴社のことをちゃんと理解している評価者（証券会社のアナリスト）がちゃんといえるのか。 証券会社の中で、そういったアナリストを育てるべきだと思うし、ちゃんとした評価で我々株主に情報発信して欲しいなと考えている。
	回答	機会を見つけて、証券会社のアナリストと接触しております。 独立の立場から評価報告を書いていただいているアナリストもおりますし、資金提供に関してもアナリストの評価が重要です。我々としては、国内外の機関投資家の投資が入るような評価をアピールしていく必要があると考えておりますので、経営者の責任において、色々な接触・機会を見つけてアピールしていきたい。
9	質問	バイオベンチャーは、とりあえず資金を集めるために受託をして資金を廻しているところもあるが、そういったことは実施しないのか教えて欲しい。
	回答	弊社は、本業から離れた受託は基本的には考えておりません。 我々の作ったアプタマーの開発・臨床開発を進めることを最優先に進めたいと考えております。 ただし、我々の技術に興味を持ってくださる企業様から話をいただければ、限定的な受託は実施いたします。 受託契約を締結した場合、作成したアプタマーに関する権利等は、我々もある程度確保するといった考えのもと実施してまいります。
10	質問	過去にメキシコのカンクーンで行われた国際会議に参加したか？ 社長にそっくりの写真が出回っているので教えて欲しい。 また、公費で参加したのか、私費で参加したのか、どんなことをしていたのかを IR で公表されていませんでしたので、教えて欲しい。

	回答	2023 年 2 月にカンクーンで国際会議があり、参加しております。 出回っているお写真は、この国際会議での集合写真であります。 FGF に関する国際会議は毎年 1 回あり、50 年～60 年ほど継続しているゴードン会議が 2 年毎に実施され、その間の年に、参加者が経費負担するフュージョンカンファレンスが 2 年毎に開催されます。 本国際会議は、FGF に関する世界のトップランナーの専門家が集まって、基礎研究・臨床研究・医薬品開発について、4 日間議論するという会議です。 本国際会議に関して、弊社の方で、発表に際しての開示はしていませんが、新しい発見等を発表したわけではなく、今までご説明をさせていただいてきた流れの中で、本発表も実施しておりますので、これに関して改めて開示するといった判断は致しませんでした（2023 年 5 月 15 日適時開示の 2023 年 3 月期決算報告資料の中には記録しております）。
11	質問	ライセンスアウトについて、今までライセンスアウトの話は何回も出ており、そのたび期待をして待っている。しかし、なかなか現実にも成果として結びついておらず、いつの間にか話がなくなっているという印象を持っており、これはなぜなのか。ライセンスアウトの話がかなりの数あるにも関わらず、成果に結びつかないのはなぜなのか。原因をきちんと把握しないといつまでたっても期待感だけが先行し、実際には成果に結びつかないといったことになるのではないか。 取締役の方々がそういうことをどのように真摯に考えているのか。 株主の立場からすると一刻も早く成果をみたいと期待している。上場してから 10 年間経過しても成果に結びつかないというのは根本的に何か問題が無いのかどうか。どのように反省しているのかを聞きたい。 いつも秘密保持契約の話は出てくるが、出来るだけ納得感があるような形でご説明いただきたい。
	回答	ライセンスアウトに関して、藤本製薬株式会社様・AJU 製薬株式会社様へ実行したライセンスアウト以外で、大きな収入に繋がるようなライセンスアウトが成就していないというのは、ご指摘の通りでございます。 アプタマー医薬品というのはかねてご説明しておりますように、医薬品としては成功例が少なく、市民権を得るところまでなかなか到達していないという状況でしたが、Iveric Bio が開発した dry AMD に対する治療薬をアステラス様が約 8,000 億円を買収したといったことが、最近起きており、アプタマーの上市品の 2 例目になります。弊社は、弊社の技術でアプタマー医薬品を実現したいと真剣に取り組んでおります。弊社の手持ち品の中で一番ライセンスアウトに近いのは ACH であり、現在進めている臨床試験を順調に進めて、RBM-007 (umedaptanib pegol) をライセンスアウトするというのが収益を

		あげるうえで、一番近道であり、努力を傾注して、計画を進めております。ボードメンバー全員が同じ思いをもっております。
12	質問	2025 年 5 月 26 日付「2025 年 3 月期決算説明会」の動画がアップロードされていたので、拝見いたしました。その中で、第 17 回新株予約権（8,900,000 株の新株予約権）を実行し、6.9 億円の調達をしたと言っておりました。 また、手元資金が約 31 億円あるので、2～3 年経営は問題ないと言っていたが、貴社は毎年約 10 億円ほど資金を使っております。 現実的な資金調達でいうと新株予約権で資金確保しているが、一般的には金融機関からの借入という手段もある中で、一切金融機関からの借入といった話はでてこないの、金融機関からの借入れは難しいのだろうと読んでいるが、公的助成金は金額的に小さく、貴社の資金繰りから見れば、焼石に水だと思われる。そう考えると、新たな新株予約権という話になるかと思うが、株価が低迷しているので、今までのように新株予約権でまだまだ大丈夫という感じにはならないのではないかと考えており、あと 2 年ぐらいで成果出さない限り倒産するという事は目に見えているのではないか。その辺の資金繰りに対するシビアさが取締役の方々からあまりうかがえない。 崖っぷちの状態だと思うので、一刻も早くライセンスアウトして資金繰りに目途を付けない限り、倒産が迫ってきているというところをシビアにタイムスケジュール引いてやっていっていただきたい。 一月とは言わないので、半年のタイムスパンの中で、資金繰り計画及びライセンスアウトに向かった研究開発を真剣に考えていただきたい。
	回答	資金繰りに対して、楽観的に考えているわけではございません。 2025 年 3 月末時点で約 31 億円の資金が残っておりますが、本資金だけでは、そんなに長くもたないと考えております。また、その間に、弊社の導出を実現し、ライセンス収入を得るというのは必須であると考えております。 これまで、銀行借入れを実施しておりませんが、基本的には新株予約権という形で資金調達を行ってきております。 今後も国費に対する申請はできるだけチャンスを見つけて実施していくという努力は続けていきたいと思っておりますし、そういった多角的な方面から資金を確保し、開発を進めてきており、その中で我々のプログラムをなんとか成功させ、ライセンス収入を得るということに努力を尽くすしかないと考えている次第です。 ご納得いただけないかもしれませんが、努力していくしかないですし、それに向けて全員覚悟してやっているというところをご理解いただければと思います。

13	質問	学校法人 慈恵大学の光免疫療法は、米国の研究所が、最初がん細胞を色付けして、がん細胞だけ見つけられないかといった研究を実施しており、そこに赤外線を照射したところ、がん細胞が破壊したということで、米国で話題になり、慈恵大学も後続で研究を実施しているという認識をしておりますが、貴社との研究の接点を教えて欲しい。
	回答	ご認識のとおり、がん細胞に光感受性の化学物質を送達し、その後光照射してがん細胞を破壊するといった治療法が光免疫療法です。 これはすでに一部実用化されておりますが、一番のキーは、がん細胞を狙って、そこに化学物質を到達させることが出来るかということです。弊社は、がん細胞特有の目印（受容体）を選別して結合するアプタマーを作成し、そのアプタマーに光感受性化学物質を結合させることによって、がん細胞に送達させ、光照射によってがん細胞を破壊するという方法を研究しております。弊社では、これを汎用的なアセットとして商品化し、製薬会社に提供するというビジネスを目指し取り組んでいる状況です。