

2021年3月期第2四半期

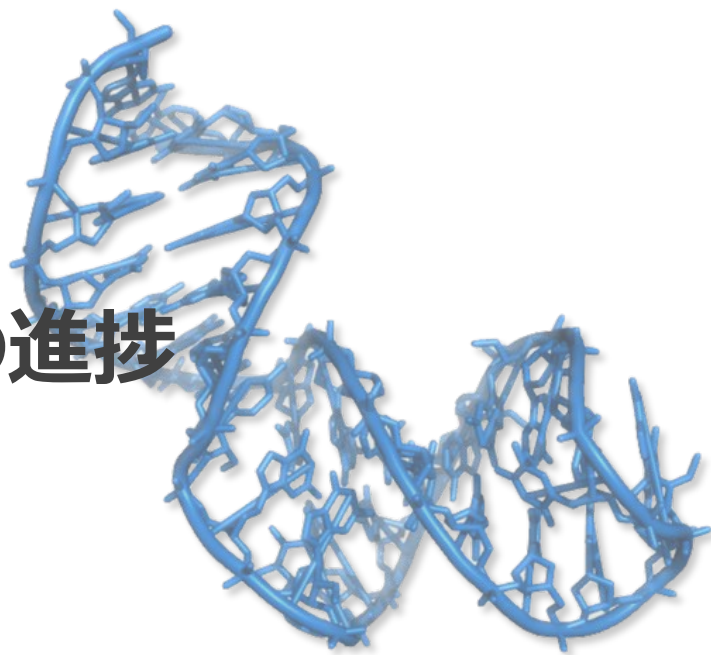
決算説明 資料

株式会社リボミック（証券コード 4591）

2020年11月

本日の内容

1. 2021年3月期2Q決算
2. パイプラインと事業の進捗
3. 中期計画

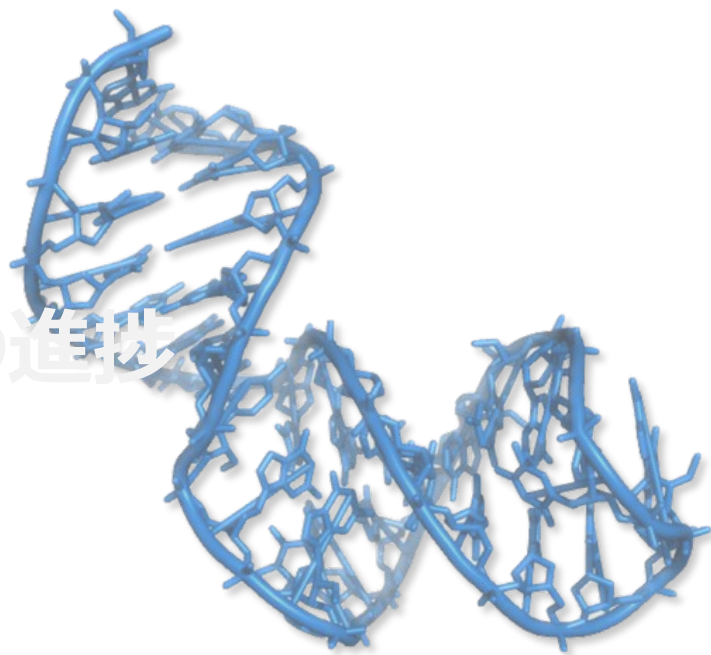


本日の内容

1. 2021年3月期2Q決算

2. パイプラインと事業の進捗

3. 中期計画



損益計算書の概要

	2020年3月期 第2Q	2021年3月期第2Q		
			前年度比 増減額	主な増減要因
事業収益	3	4	0	
営業利益	▲400	▲563	▲162	研究開発費の増加 +149
助成金収入	6	-	▲6	
経常利益	▲398	▲587	▲189	
当期利益	▲399	▲588	▲189	

研究開発費	228	378	149	RBM-007(AMD,ACH)開発費の増加 +141
-------	-----	-----	-----	--------------------------------

(単位：百万円)

貸借対照表の概要

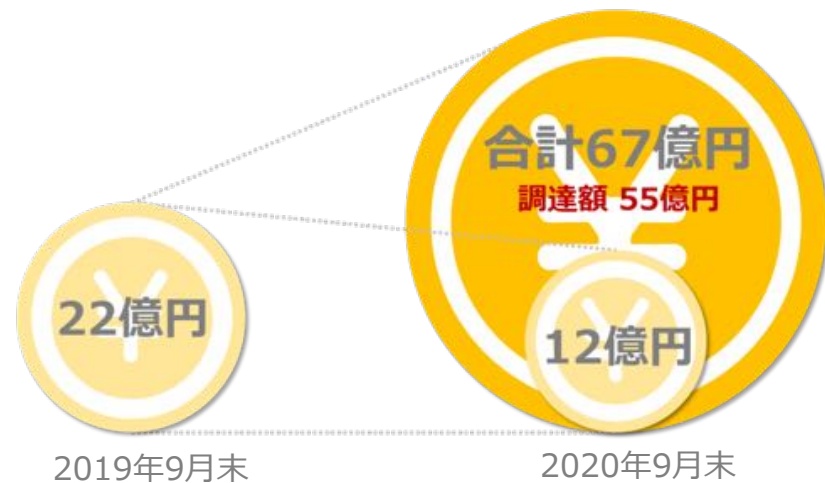
		2020年3月末	2021年9月末		
				前年比 増減額	主な増減要因
	流動資産	2,175	6,863	4,688	現預金及び有価証券の増加 +4,729
	固定資産	94	80	▲13	
	資産合計	2,269	6,944	4,674	
	流動負債	88	343	254	試験受託（国立循環器病研究センター）、 助成金（AMED、JST）の前受 +148
	負債合計	88	343	254	
純資産合計		2,180	6,601	4,420	第15回新株予約権行使に伴う資金調達 +5,020
負債・純資産合計		2,269	6,944	4,674	

(単位：百万円)

資金調達

第三者割当による第 15 回新株予約権(行使価額修正条項付)の発行 及び
ファシリティ契約(行使停止指定条項付)の締結 (2020年1月10日決議)

割当先	SMBC日興証券
割り当て日	2020年1月27日
行使完了日	2020年7月14日
発行株式数	11,800,000 株
資金調達額	55億円 (当初想定比 : 97.5%)

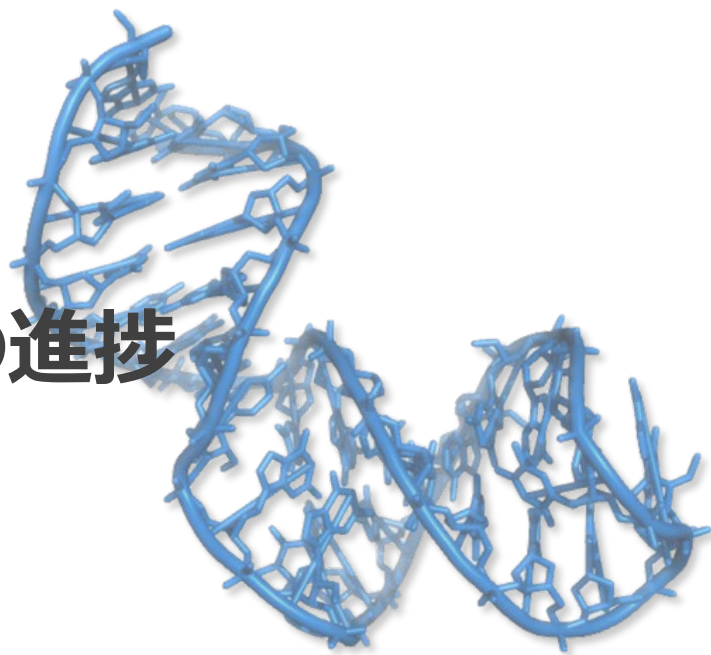


本日の内容

1. 2020年3月期4Q決算

2. パイプラインと事業の進捗

3. 中期計画



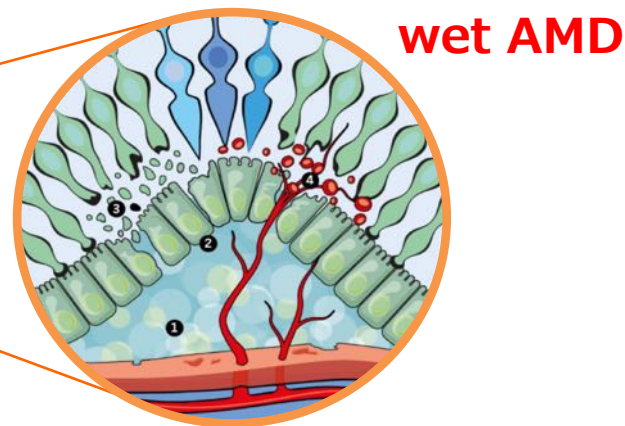
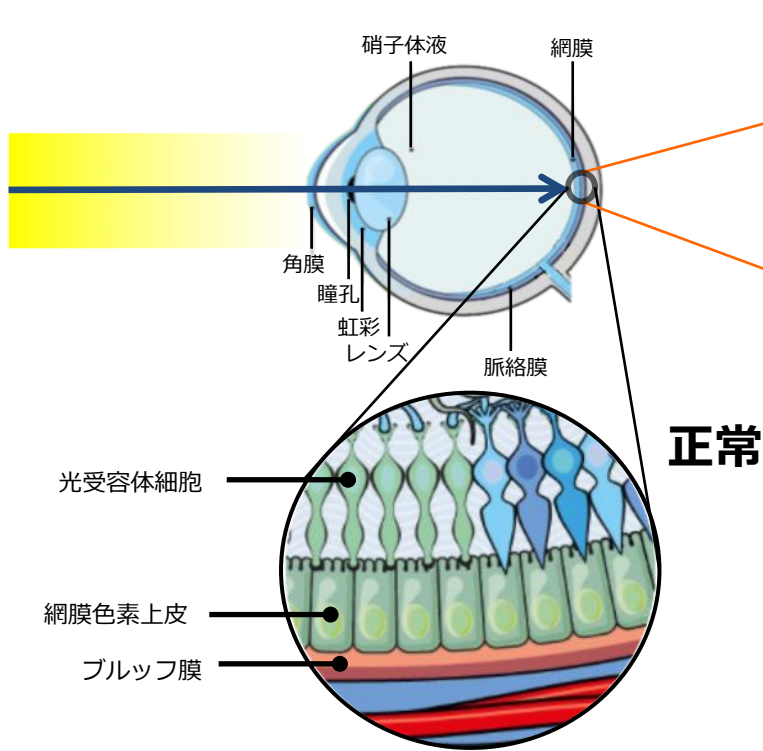
パイプライン

化合物コード	ターゲット	疾患	探索	前臨床	臨床				パートナー
					1	2a	2b	3	
RBM-007	FGF2	滲出型加齢黄斑変性症(AMD)	■	■	■	■	■		AJU薬品と提携(韓国テリトリー)
RBM-007	FGF2	軟骨無形成症	■	■	■				AMED (研究費助成)
RBM-007	FGF2	疼痛	■	■					
RBM-004	NGF	疼痛	■	■					藤本製薬 (導出)
RBM-003	Chymase	心不全	■	■					大阪医科大学 (共同研究)
RBM-010	ADAMTS5	変形性関節症	■	■					
RBM-001	Midkine	骨硬化性疾患	■	■					
RBM-011	IL-21	肺高血圧症	■	■					国立循環器病研究センター (共同研究)、AMED (研究費助成)
(未指定)	ST2	重症喘息・アトピー	■						
(未指定)	FGF9	精神疾患	■						米国プリツカー・コンソーシアム (共同研究)
(未指定)	SARS-CoV-2	新型コロナウイルス感染症 (COVID-19)	■						

RBM-007

**wet AMD を対象とした
Phase 2 (TOFU) 試験**

滲出型加齢黄斑変性症(wet AMD)の病理と治療

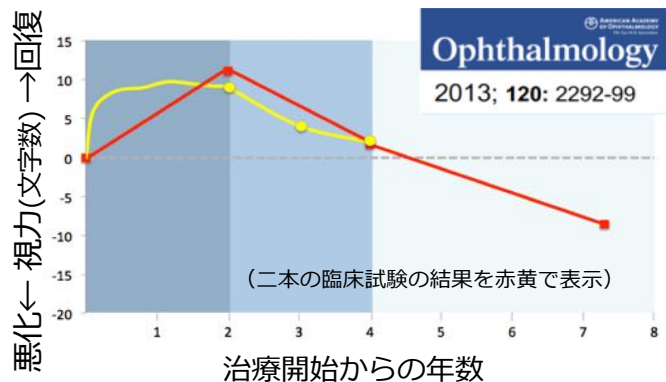


VEGF阻害薬 (ルセンティス [ノバルティス]、アイリーア [バイエル]) : AMD治療薬等として約**1兆円**のマーケットを形成

既存薬（抗VEGF阻害剤）の問題点

抗VEGF薬（Lucentis®, Eylea®, Avastin®）はAMD患者にとって福音となったが、

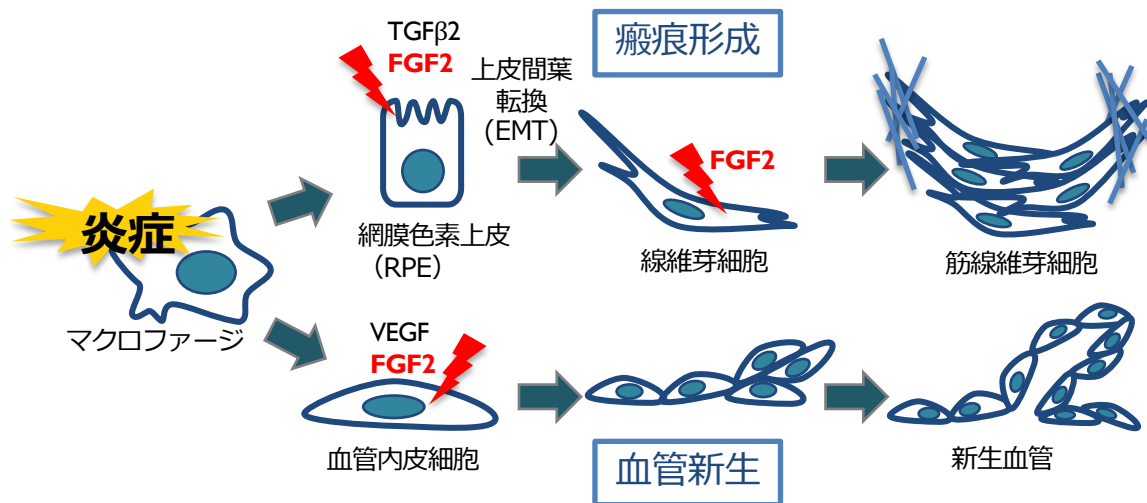
- ▷ 患者の1/3は薬が奏効せず、効いた患者も、2年経過後 薬効が低下し、視力が再悪化する（追跡調査結果）
- ▷ 網膜部の瘢痕形成（線維化）が再燃の原因となるが、防止する薬がない
- ▷ 毎月1回の眼球（硝子体）注射は容易ではない



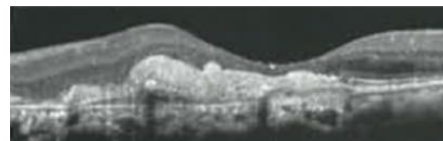
AMD治療には、抗VEGF薬にかわる新しい機序の薬が必要

FGF2を標的とする理由：wet AMD発症の要因

- ▷ FGF2 はVEGFよりも強力な血管新生作用をもつ
- ▷ FGF2 は網膜の線維化（癒痕化）を誘導する



OCT (光干渉断層計)



眼底写真



Phase 1/2a (SUSHI) 試験と結果

2018年10月 2019年7月



試験計画

被験者組み込み基準

難治性wet AMD : 長期の抗VEGF
治療歴にも関わらず症状(視力や
中心網膜厚)が改善しない
70代~90代の高齢者を対象

試験デザイン

単回の硝子体注射
3用量群の順次漸増

主要評価項目

- ▷ 安全性と忍容性の確認

副次的評価項目

- ▷ ベースラインからの視力変化
- ▷ ベースラインからの中心窩網膜厚(CFT)の変化

国際学会発表

EURETINA 2019 (European Society of Retina Specialists)

Date : September 9, 2019 in Paris

Presenter : Yoshikazu Nakamura, CEO of RIBOMIC Inc.

Angiogenesis 2020 (Univ. of Miami BP Eye Institute)

Date : February 9, 2020 in Miami

Presenter : Quan Dong Nguyen, Professor at Stanford Univ.,
Palo Alto, CA

43rd Annual Macula Society Meeting

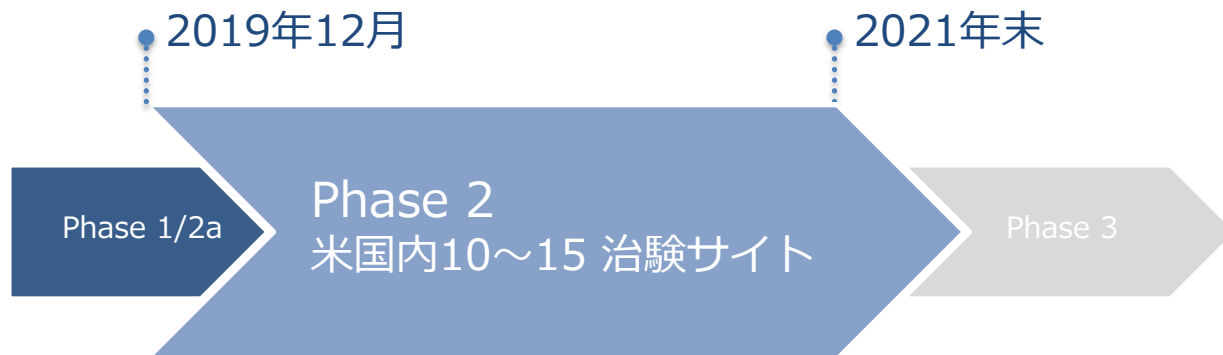
Date : February 19-22, 2020 in San Diego

Presenter : Rajendra S. Apte, Professor at Washington Univ.,
St. Luis, MO



RIBOMIC

Phase 2 (TOFU) 試験



試験計画

被験者組み込み基準	抗VEGF治療歴のあるwet AMD : 1) 抗VEGF薬が奏功しない (non- or poor-responders) 2) OCT (光干渉断層計) 検査により網膜黄斑部に構造変性が見られない
試験デザイン	被験者数 : 81 (27 per arm x 3 arms) Arm 1: RBM-007単独投与 Arm 2: RBM-007 + Eylea® (Aflibercept) 併用投与 Arm 3: Eylea® (Aflibercept) 単独投与
試験期間	各被験者5ヶ月 (主要評価項目 4ヶ月目)、全体で2年未満
投与方法	硝子体内注射、RBM-007は1ヶ月間隔で計4回、Eylea® は隔月で計2回

Phase 2 (TOFU) 試験 エンドポイント

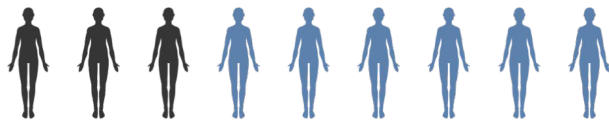
主要評価項目

- ▶ ベースラインからの視力 (BCVA) 向上
- ▶ 安全性と忍容性の確認

副次的評価項目

- ▶ ベースラインからの中心網膜厚 (OCT thickness) の減少
- ▶ 網膜の瘢痕化 (Scar formation) や黄斑萎縮の抑制

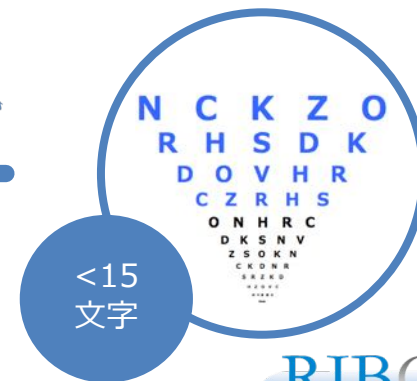
ETDRS視力表検査のイメージ (例)



Arm 3
Eylea®単独

Arm 1
RBM-007単独

Arm 2
RBM-007+Eylea®併用

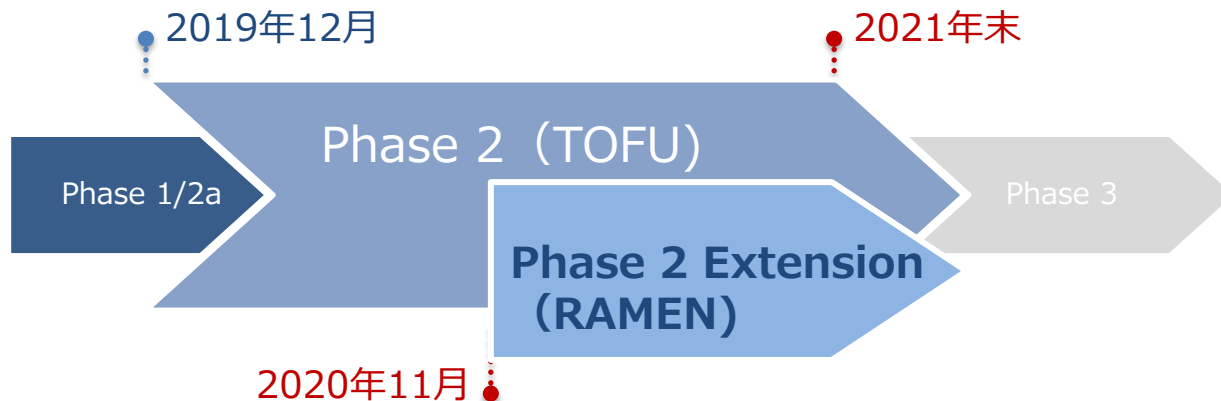


RBM-007

wet AMD を対象とした

Phase 2 Extension (RAMEN) 試験

Phase 2 Extension (RAMEN) 試験

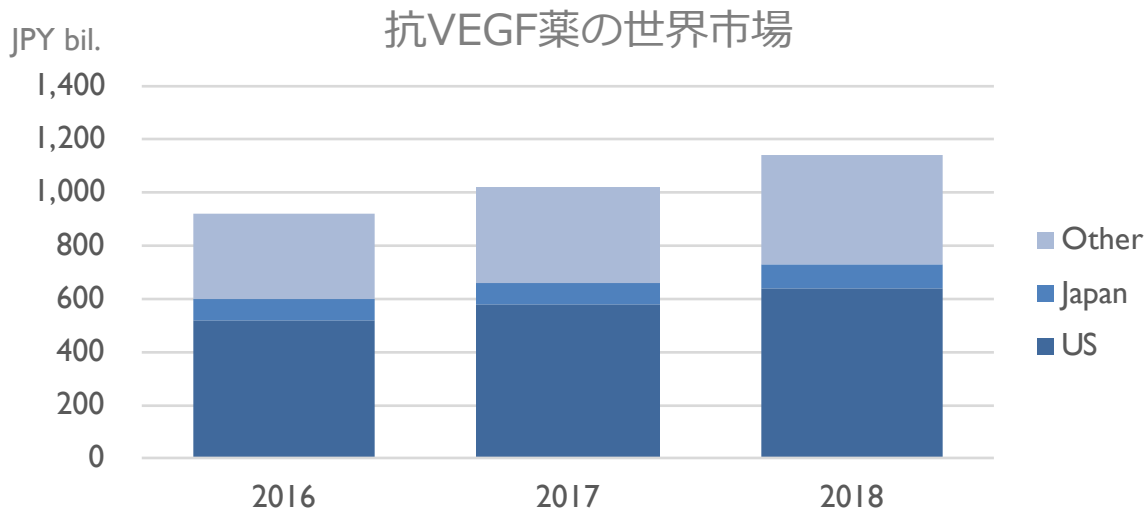


治験計画

被験者	TOFU試験を完了した被験者40名
試験デザイン	RBM-007 を一ヶ月間隔で4回硝子体内投与
評価項目	試験目的：長期的な薬理作用に関する知見収集 ・追加投与に伴う、安全性と有効性 ・ 癬痕形成 の抑制効果に関する情報

癬痕形成は失明の原因となるが、既存薬の癬痕抑制効果は確認されていない。RAMEN試験によって、癬痕抑制の示唆が得られれば臨床的に重要な結果となる。

抗VEGF薬の世界市場とRBM-007の予想価値



“The value of RBM-007’s market holds the potential to grow to a blockbuster size of **US\$ 4 billion** since there is no other drug to have the dual effect of inhibiting scar formation and angiogenesis.”

(Fair Research Inc. アナリストレポート、2019年12月)

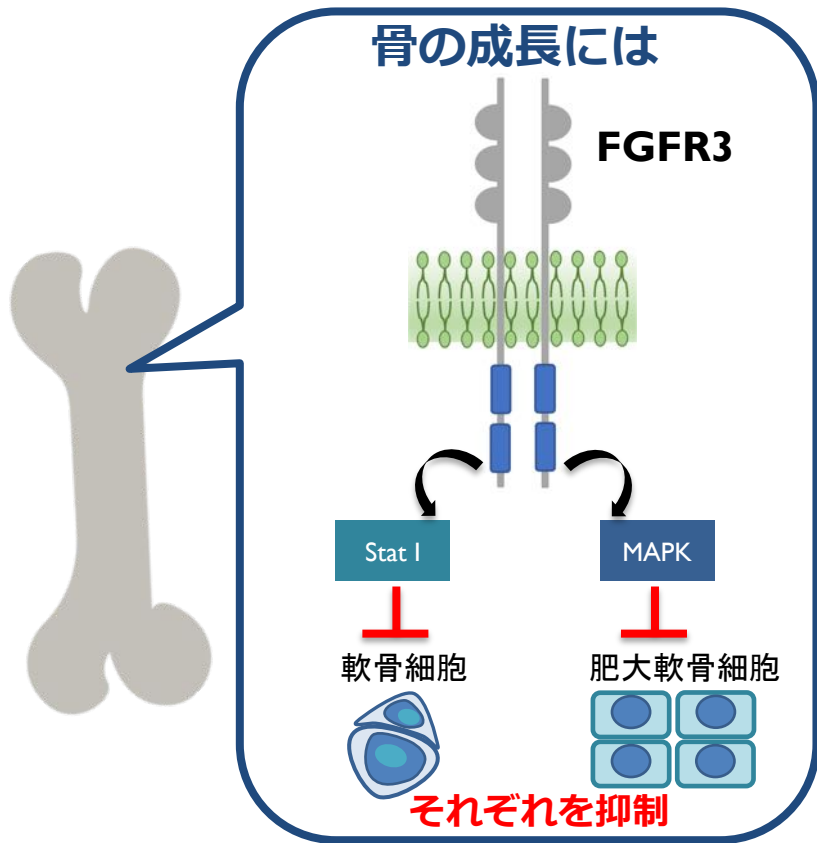
RBM-007

軟骨無形成症を対象とした Phase 1 臨床試験の開始

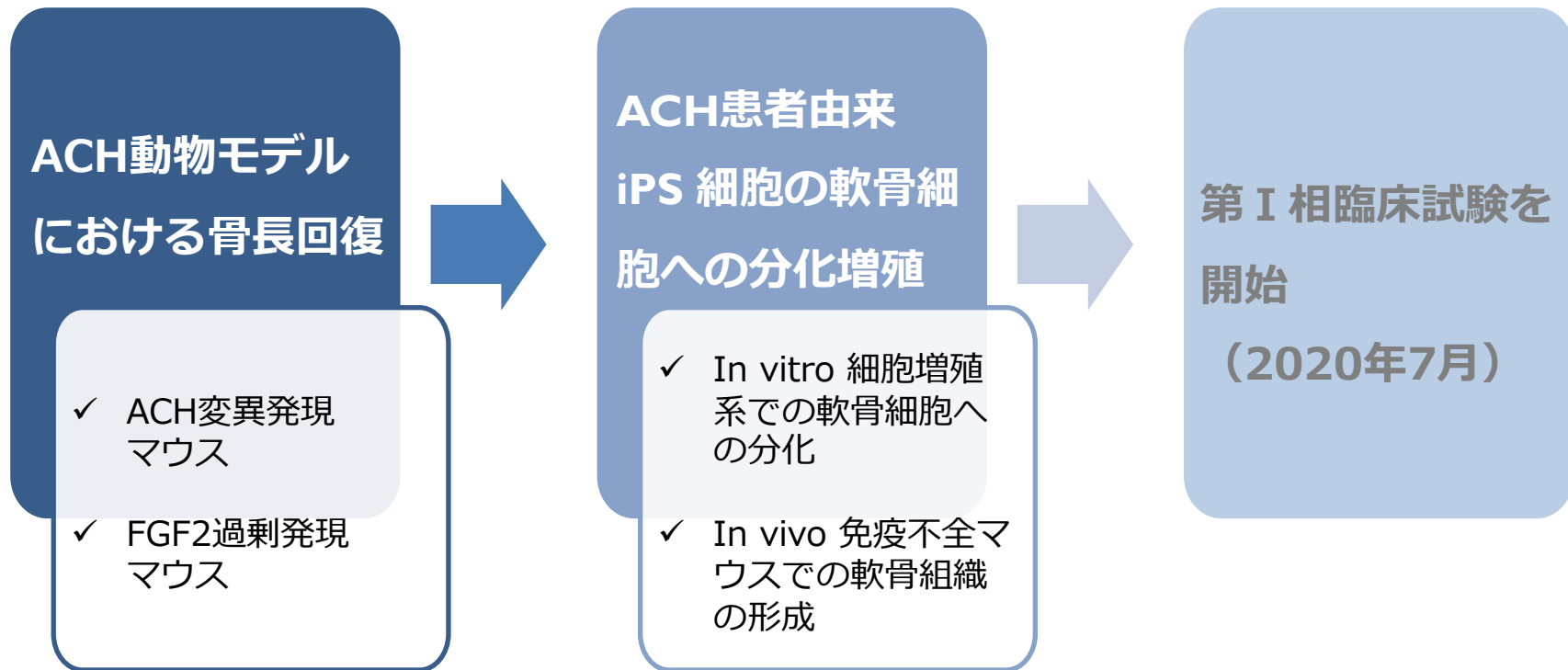
軟骨無形成症 (ACH, Achondroplasia)

軟骨無形成症は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、
四肢短縮となる希少疾患
有効な治療薬 が存在しない
原因は、FGFタンパク質に対する受容体
FGFR3におきた突然変異

RBM-007は過剰なブレーキを解除し骨の
成長を促す新薬となることが期待される



RBM-007による ACH 治癒効果



ACH 第1相臨床試験の概要



治験計画

被験者組み込み基準

健康な成人男性 24名



試験デザイン

単回あるいは2回の皮下注射
3用量群の順次漸増

試験目的

- ・安全性と忍容性の確認
- ・薬物動態の検討

開発中の他剤との比較

プロフィール	RBM-007	TA-46
開発企業	RIBOMIC (Tokyo) 	Therachon (Basel)* 
医薬品	抗FGF2 アプタマー	FGFR3細胞外領域とFc融合タンパク質 (sFGFR3)
分子量	52 KDa	100~150 KDa
作用機序	FGF2 阻害	FGF トラップ
開発ステージ	Phase I (2020年)	Phase I (2018年)
投与方法	月1回皮下注射	週1回皮下注射

*Therachon社はPfizer社によって、3億4千万米ドルで買収。別途、成功報酬4億7千万米ドル。(2019年5月)

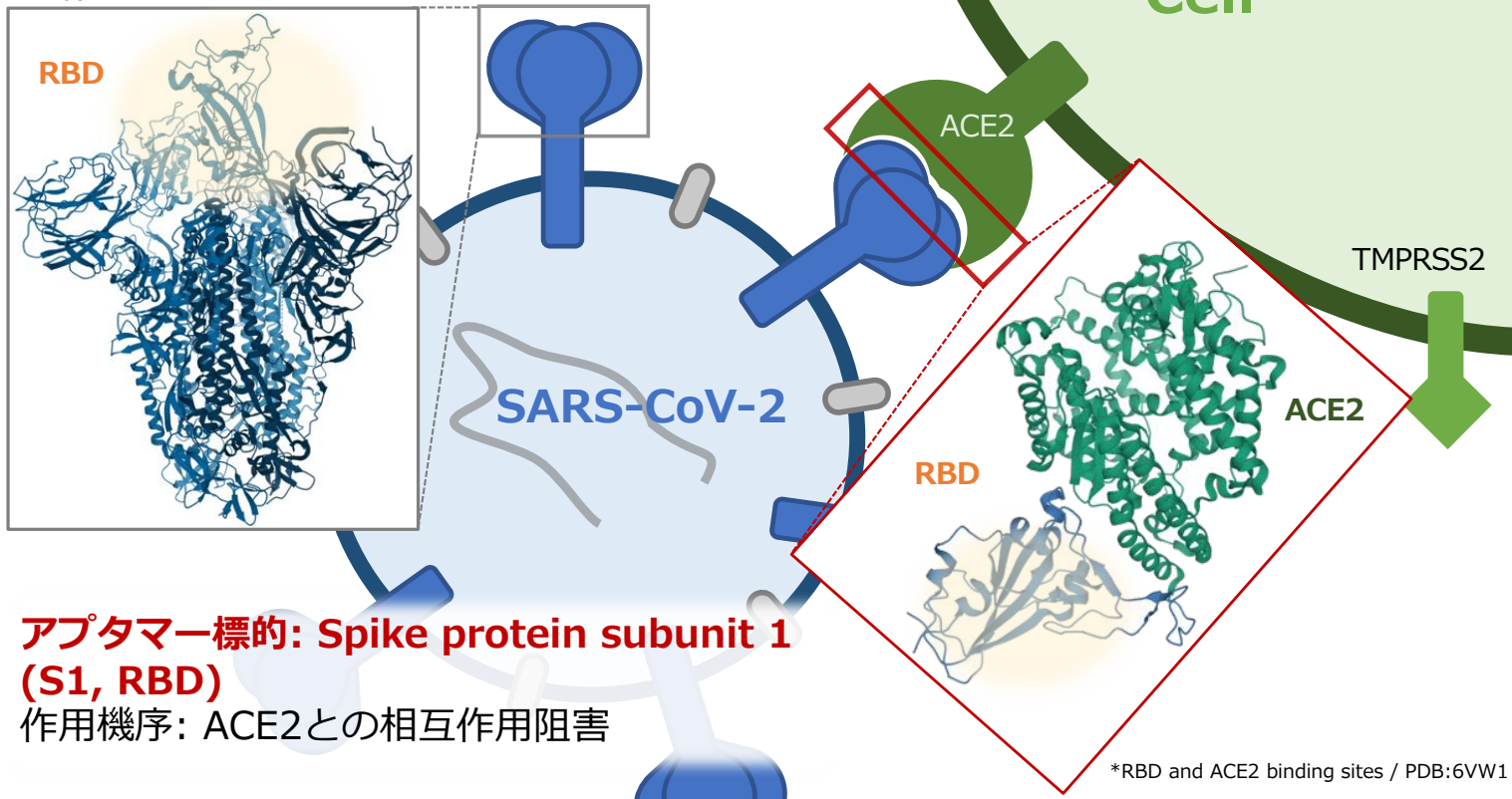
COVID-19

新型コロナウイルス感染症に対する アプタマー治療薬の開発

SARS-CoV-2 Spike (S) Protein

Spike protein

PDB:6CRZ



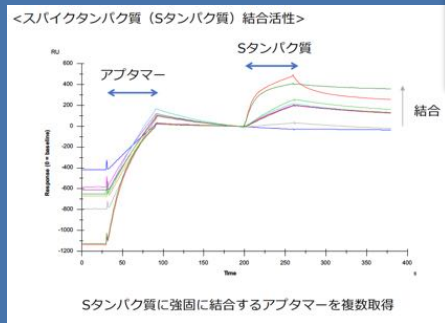
アプタマー標的: Spike protein subunit 1 (S1, RBD)

作用機序: ACE2との相互作用阻害

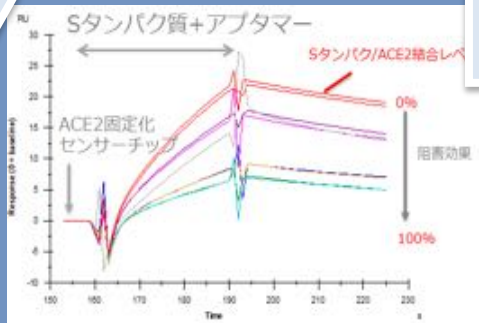
*RBD and ACE2 binding sites / PDB:6VW1

Anti-Spike アプタマーの創製

SELEXによる
Spike結合性
アプタマーの取得



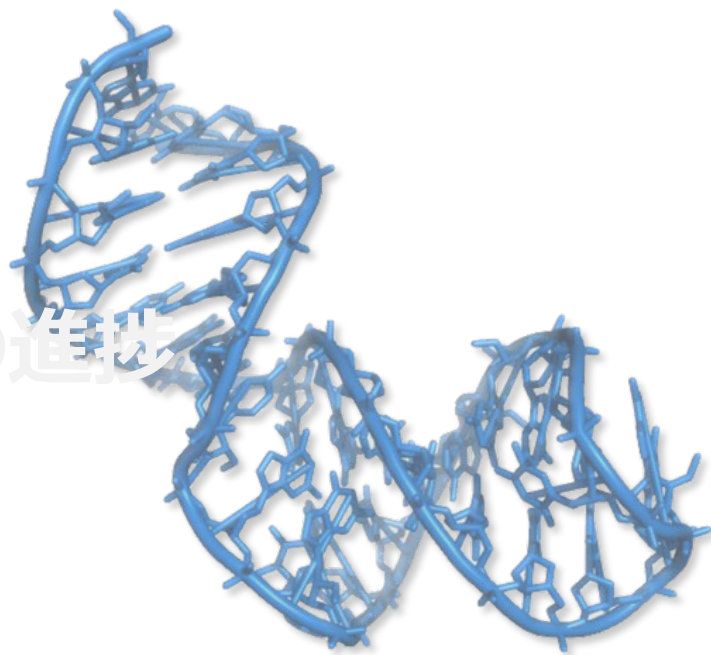
Spike-ACE2
結合阻害活性
の確認



シュードウイルス
増殖阻害の確認
(東大医科研
アジア感染症拠点
との共同研究)

本日の内容

1. 2020年3月期4Q決算
2. パイプラインと事業の進捗
- 3. 中期計画**



三つの中期事業目標

1

Discovery(探索)からClinical(臨床)ステージへの脱皮

2

次世代アプタマー・テクノロジーの開発

3

社会に対する企業価値の創出

Discovery(探索)からClinical(臨床)ステージへの脱皮



RBM-007
滲出型加齢黄斑変性
(wet AMD)

2021 Phase 2 試験の完了とPOCの証明
2022 大手企業との提携とPhase 3 試験の開始



RBM-007
軟骨無形成症
(ACH)

2020 Phase 1 試験の開始
2021 Phase 1 試験の完了
2022 Phase 2a 試験の開始



RBM-003
心不全

2021 非臨床試験の完了
2022 Phase 1 試験の開始



RBM-010
変形性関節症

2022 非臨床試験の完了
2023 Phase 1 試験の開始

次世代アプタマーテクノロジーの開発 脳内と細胞内因子の標的化

脳内標的アプタマー：神経精神疾患治療薬の開発

- ▶ 対象疾患：大うつ病性障害、双極性障害、統合失調症などの精神疾患
- ▶ ターゲット：FGF9（Fibroblast Growth Factor-9）
- ▶ 開発テーマ：FGF9に対する阻害性アプタマーの創製

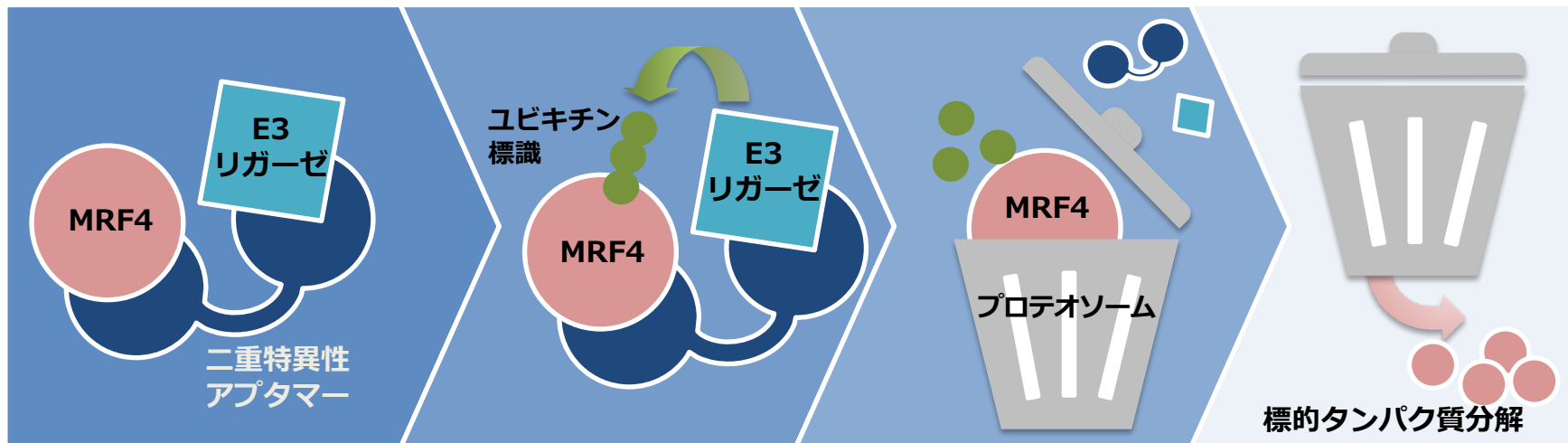


米国プリツカー精神疾患研究コンソーシアムとの共同研究

細胞内標的アプタマー :

標的化タンパク質分解PROTAC (PROteolysis TArgeting Chimera)

- ▶ 対象疾患 : サルコペニアやカヘキシー等の筋肉減少症
- ▶ ターゲット : MRF4 (Myogenic Regulatory Transcription Factor 4), 筋肉増殖の抑制因子
- ▶ 開発テーマ : 筋肉特異的遺伝子群の亢進による筋肥大



Stefano Schiaffino教授 (イタリアPadova大学) との共同研究

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



- リサイクル活動
アイシティecoプロジェクト参加
- 社内ペーパーレス化
社内IT環境の強化により、web会議導入やノートパソコン導入で会議資料のペーパーレス化
- アプタマーで治療法のない薬をつくる
希少疾患（ACH）、新型コロナウイルス等
- 次世代の研究者への貢献
BIOMOD Team Tokyoへの支援
東京大学学生への講義
- BCP対応の推進
新型コロナウイルス対応の為、在宅勤務や時差出勤の導入

RIBOMIC's RNA ローラーコースター



Credit: Neil Webb

*Eisenstein M. *Nature* 574(7778):S4-S6, 2019

RIBOMIC

留意事項

当該資料は当社の会社内容を説明するために作成されたものであり、投資勧誘を目的に作成されたものではありません。

また、当該資料に記載された内容について合理的な注意を払うよう努めておりますが、記載された情報の内容の正確性、適切性、網羅性、実現可能性等について、当社は何ら保証するものではありません。

投資を行う際は、投資家ご自身の判断で行っていただきますよう、お願いいたします。

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。

新型コロナウイルス感染拡大のため、医療機関等の負担軽減や研究機関等の事業一時停止により一部の研究開発には影響が出ております。研究推進に大きな影響が出ないよう社としては努力いたしますが、その旨ご了承ください。



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

Contact information : info@ribomic.com