



2022年3月30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 東証マザーズ)
問合せ先 執行役員財務経理部長 米林 渉司
TEL. 03-3440-3745

滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)を対象としたRBM-007の臨床試験結果に関する 補足説明

3月23日付で、「滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)を対象としたRBM-007の臨床試験に関する総合報告」をお知らせしましたが、これに関連した多数のご質問に関して、以下の通り補足説明をさせていただきます。

問合せ	回答
昨年 9 月 30 日付の暫定的中間ブラインドデータに関するリリースにおける「第 16 週目を完了した被検者の約 70%において、視力は改善もしくは安定であった」旨の発表と、12 月 28 日付のトップラインデータに関する暫定的報告との間で整合性は保っているのか。	はい。TOFU 試験の最終結果および暫定的中間ブラインドデータいずれも、第 16 週目を完了した被検者全体の約 70%において、視力は改善もしくは安定という結果であり、整合しております。トップラインは、第 16 週目における 3 治療群間の有効性(ベースラインからの視力変化)の差に基づくものです。
TOFU 試験においてリクルートされた患者は抗 VEGF 治療で抵抗性となった患者ではなかったのか。当該患者にアイリーアが奏効したというのは矛盾していないか。	アイリーア投与群の視力改善は、平均すると 2 文字程度であり、多くの患者でアイリーアが奏効したわけではないと考えられますが、一部に顕著な改善や異常変動を示した患者がごく少数認められました。このことがアイリーア投与群での視力平均値を底上げする結果につながった可能性があります。本試験のプロトコールは、複数の網膜専門医、治験に精通した人材の協力を得て、抗 VEGF 治療が完全には奏効していない患者を登録するための基準を設定したものの、結果論になりますが、奏効する患者をすべて排除することは困難でした。抗 VEGF 薬への抵抗性のメカニズムが必ずしも

	明らかではないこともその要因のひとつと考えられます。
TOFU 試験では、RBM-007 治療群がアイリーア単独治療群を上まわらなかったということだが、アイリーア単独群と同等程度(非劣勢)の薬効は観られたということか。	本試験は統計学的に RBM-007 治療群がアイリーア単独治療群に対して非劣勢であることを証明するようデザインされた試験ではなく、RBM-007 がアイリーアを上回る効果を示さなかったという回答に留めさせていただきます。非劣勢かどうかを判定するためには患者数を TOFU 試験の数倍の規模で実施する必要があります。
抗 VEGF 治療歴のある患者に対する TOFU 試験の結果と未治療の患者に対する TEMPURA 試験の結果を合わせて何が言えるのか、分かりやすく解説して欲しい。	TEMPURA 試験は 5 名の未治療の患者の小規模の試験ですが、半数以上の患者において、臨床薬効(視力の改善 and/or 網膜厚の減少)が確認されました。TOFU 試験は長期にわたって抗 VEGF 治療薬で治療を受けてきた患者を対象にしているため、症状の進行(悪化)によるか、あるいは抗 VEGF 治療薬の長期作用によって、網膜の生理的な機能構造が不可逆的に変質している可能性があると考えています。そのため、RBM-007 は発症初期の治療前の wet AMD 患者において効果を発揮しやすいものと考えられます。
試験において RBM-007 の瘢痕形成抑制及び新生血管抑制に関する薬効は確認できたのか。	TEMPURA 試験の結果から、未治療の wet AMD 患者においては RBM-007 の新生血管抑制作用(視力の改善 and/or 網膜厚の減少)が認められました。しかし、TOFU 試験と RAMEN 試験では、病変が進行した患者を対象としているため、アイリーアを上回る臨床薬効は確認できませんでした。(複数の網膜専門医からは、RBM-007 単独治療も、治療を一切行わなかった場合に比較して、病態の悪化を防ぐ効果を示していると考えられる旨、助言を得ております。)瘢痕形成抑制に関しては、病変が進行した患者において既に瘢痕が形成されている場合には、それを除去(治療)する作用は確認できませんでした。そのため、未

	治療の初期の wet AMD 患者で RBM-007 の作用を試験する必要があると考えています。
RBM-007 の wet AMD に関しての開発は継続するのか。	TOFU/RAMEN/TEMPURA の3本の P2 試験の結果から、未治療の wet AMD 患者を対象とする臨床試験の実施が望まれます。当社としては、そのためのライセンスアウト、もしくはパートナーリングの実現に注力して参ります。
RBM-007 について新規適応症での開発の可能性はあるのか。	当社ホームページにも記載しておりますが、RBM-007 には疼痛抑制作用があり、疼痛を網膜疾患以外の新規適応症とする可能性は存在します。開発方針が決定しましたら適宜お知らせいたします。

なお、本件による2022年3月期通期業績に与える影響はありません。

以上