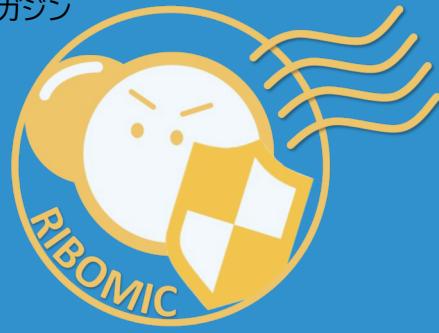


RIBOMICation vol.11

[2025.July]

株式会社リボミック

証券コード 4591



Top Message

アプタマー医薬品の臨床試験が戦略的に進捗 導出へ向け前進へ

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、厚く御礼申しあげます。

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眼科疾患と希少疾患に的を絞って進めています。

当社は、2020年にVISION 2025という事業戦略を立てました。重要な目標としては、2025年までに、当社が開発したアプタマーを用いた臨床試験を複数のパイプラインで実現することです。現在までに、当社の開発品であるumedaptanib pegol(抗FGF2アプタマー, RBM-007)を用いて、2本の臨床試験が進んでいます。

その一つ目としては、滲出型加齢黄斑変性を対象に米国で実施した臨床試験(Phase 2)であり、POC(新薬の開発段階で投与薬剤がヒトでの臨床試験において意図した薬効を有することが示されること)を確認することができました。これは、現在標準治療薬となっているVEGF阻害剤以外では、初めての薬剤となります。

代表取締役社長

中村 義一



二つ目としては、日本で実施している軟骨無形成症を対象とした臨床試験です。現在実施している前期第2相臨床試験の途中成績から、小児の患者様の身長が顕著に伸展するという好成績を得ております。また、このプログラムは厚労省の希少疾病用医薬品指定(ODD)に認定されました。今後の開発においては、さまざまな優遇措置を期待することができます。

昨年11月にサウジアラビア政府に招聘されRiyadh Global Medical Biotechnology Summit 2024において講演を行い、同国のキング・アブドラ国際医療研究センター(KAIMRC)とRNAアプタマー医薬品の開発に関するMOUを締結し、協議を続けております。今後、当社とサウジアラビアにとって実りあるものなればと期待するところです。

これまで多くの方にご支援を賜り、深くお礼を申しあげます。私どもは株主の皆様のご期待に応えるべく、なお一層努力してまいります。

2025年7月吉日



What's New

ふかぼり！

次世代型アプタマーの体内動態制御の向上、
LNPを用いた新規DDSアプタマー技術の開発、
そしてumedaptanib pegol(抗FGF2アプタマー)を用いた
軟骨無形成症治療薬の希少疾病用医薬品指定へ

昨年1年から2025年7月末直近までの「What's New」をアプタマーキーくんが深掘りします！

Topics → 1

味の素株式会社との共同研究： 次世代アプタマー抗体Fc融合による体内動態延長に成功

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®を組み合わせて、核酸アプタマーの体内動態延長技術を開発しました。技術としては、抗体の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することを可能としました。これは「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」として、特許出願しております。今後、当社の新規アプタマー医薬品には、こちらを導入していく予定です。

Topics → 2

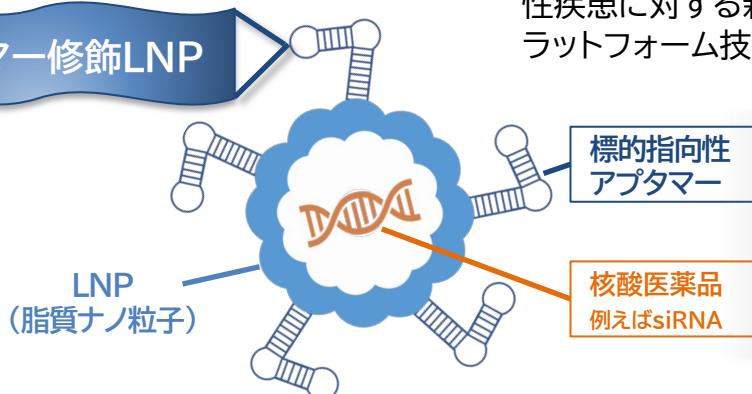
アプタマー修飾LNPの核酸医薬品の新規DDS技術開発： 脳や脾臓の組織へ核酸医薬品の送達成功

siRNAやアンチセンスあるいはmRNAなどの核酸医薬は、生体内での安定性や各種疾患の標的組織への薬剤送達技術(Drug delivery systems, DDS)が重要な課題です。残念ながら今日まで汎用的なDDS技術は開発されておらず、世界的に大きな問題となっております。この問題を解決するため、当社は核酸医薬を封入した脂質ナノ粒子(Lipid nanoparticles, LNP)に標的指向性をもつアプタマーを結合することにより体内動態制御を可能とし、核酸医薬の汎用的なDDS技術の開発に成功いたしました。

LNPはDDSに有効な手段の一つとして注目されておりますが、LNPだけでは送達組織の指向性を制御することは困難です。この問題を克服するために、当社はLNPの表面に標的指向性アプタマーを結合し、LNPだけでは送達が困難である脳などの組織への核酸医薬の送達を可能にする技術の開発に成功しました(図)。アプタマーの標的に対する高い結合活性と合成の際に化学修飾が容易である利点を活かし、LNPと融合させました。

今後、DDSを目的とした種々のアプタマーを開発することで神経変性疾患やがんなど難治性疾患に対する新たな核酸創薬を実現するプラットフォーム技術となることが期待されます。

アプタマー修飾LNP



アプタマーキーくん MEMO

標的指向性アプタマーと
封入する核酸医薬品など
は疾患によって
変更可能



軟骨無形成症 前期第2相臨床試験： 臨床試験は順調に進捗、そして希少疾病用医薬品に指定

軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH)は、新生児約25,000人に対して1人の発生率という、四肢短縮等の低身長をもたらす希少疾患であり、現在もなお有効な新薬の開発が求められています。

当社のACH治療薬umedaptanib pegolは線維芽細胞増殖因子2(FGF2)の機能を強力に阻害するアプタマー(核酸医薬)であり、軟骨無形成症の発症機序に直接作用し、根本

的な治療法になることが期待されています。今般、umedaptanib pegolが、現在実施中の小児患者(5~14歳)を対象とする前期第2相臨床試験において、顕著な身長伸展作用が確認されました。こちらのデータを元に、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)に令和7年5月30日付で指定され、この程今年度の研究助成金交付決定通知書を受領しました。



アプタマーくん MEMO

希少疾病用医薬品 とは？

医薬品医療機器法第77条の2に基づき、対象者数、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。



希少疾病用医薬品指定はメリットが沢山あるんだね。
「一日も早く医療現場にACH治療薬umedaptanib pegolを提供する」ため、当社一丸となって頑張らないとね。

このプログラムを推進するため、当社としては、現在実施中の前期2相臨床試験の結果を確認後、早急に第3相臨床試験に移行したいと考えております。今月中旬に資金調達の準備も整えたところです。

希少疾病用医薬品 の指定を受けると？

- ① 開発に必要な試験研究費への助成金の交付
- ② 試験研究に対する指導・助言
- ③ 試験研究費に対する税制措置上の申請額の認定事務
- ④ 優先的な治験相談、優先審査の実施
- ⑤ 再審査期間の延長

今後の予定としては、2026年第3相試験を開始、2028年承認申請、2029年承認を目指して進めて参ります。勿論、提携交渉も並行し継続しており、希少疾病用医薬品への指定は交渉では優位になります。「日本発」の希少疾患治療薬の上市に向けて邁進していきます。

軟骨無形成症治療薬に期待する



大園 恵一 先生

医誠会国際総合病院
難病医療推進センター
センター長
大阪大学名誉教授

軟骨無形成症は、四肢短縮型の低身長を呈する代表的な骨系統疾患であり、線維芽細胞増殖因子(FGF)の3型受容体(R3)の異常により引き起こされる。日本では、25年以上前から、-3SD以下の高度低身長を呈する本症に、成長ホルモン(GH)治療が適応となっている。しかし、その効果は限定的であった。3年前にはC型利尿ペプチド(CNP)のアナログ製剤が製造販売承認されたが、その効果および安全性は実臨床の中で確認中である。

リボミック社は、画期的な技術を用いたアプタマー医薬品をFGFに応用し、希少疾患の治療薬として開発している(RBM-007)。私は、RBM-007の効果・安全性を確かめる非臨床試験から参加している。その成果を示す論文は一流誌に掲載され、さらに、治験も開始されている。臨床的にこの薬剤が使用できる日を心待ちにしている。

今後も
がんばります





会社概要・株式の状況

会社概要 (2025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 401百万円(資本剰余金 4,685百万円)
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 25名 (PhD 10名)

マネジメントチーム (2025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	安達 健朗
取締役 (社外)	西畠 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 (2025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 44,613,940株
株主数 18,062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 每年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 及び電話照会先	〒168-0063 東京都北区和泉二丁目8番4号 三井住友信託銀行株式会社 証券代行部 TEL 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。



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>



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/>

