

平成30年3月期決算及びR&D説明資料

株式会社リボミック（証券コード 4591）

平成30年5月

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、資料の内容は資料作成時に当社が判断したものであり、その情報の正確性を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。



RIBOMIC、創薬探索から臨床開発へステージ・アップ

- ✓ RBM-007（抗FGF2アプタマー）を用いた加齢黄斑変性症の米国治験の準備が完了。平成30年6月、FDAへのIND申請を予定。
- ✓ RBM-007（抗FGF2アプタマー）を用いた軟骨無形成症治療薬の開発が、AMEDの難治性疾患実用化研究事業に採択（平成30~32年度）。平成31年中の臨床試験開始に向けた準備が順調に進展。
- ✓ 抗キマーゼ・アプタマー（RBM003）の急性心不全に対する予防・治療効果を、動物試験において確認。開発パートナーとの提携に向け努力。



- I . 研究開発の進捗
- II . 平成30年3月期決算
- III . 中期経営計画



- I . 研究開発の進捗
- II . 平成30年3月期決算
- III . 中期経営計画

パイプラインの状況

研究開発形態	製品コード	標的名	開発中の適応症	基礎・探索研究	前臨床試験			臨床試験	備考 (追加可能な適応疾患)	
					<i>in vitro</i> <i>in vivo</i> 試験	予備毒性試験	GLP試験	第I相		
大塚製薬へ ライセンス・アウト	RBM001	Midkine	非開示							
自社開発	RBM002	TSP-1	血小板減少症							大塚製薬から 権利譲渡
自社開発	RBM003	Chymase	心不全							
藤本製薬へ ライセンス・アウト	RBM004	NGF	疼痛							
自社開発	RBM005	HMGB1	敗血症							(循環器疾患 他)
自社開発	RBM006	Autotaxin	線維症 (臓器・組織)							ライセンス活動中 (疼痛 他)
自社開発	RBM007	FGF2	加齢黄斑 変性症							(骨疾患、癌、リ ウマチ 他)
			軟骨無形 成症							AMED事業採択
			癌性疼痛							化合物番号 「RBM-007」
自社開発	RBM008	Periostin	糖尿病性 網膜症							(アトピー性皮膚 炎 他)
自社開発【新規 パイプライン化】	RBM009	ST2	重症喘息							(アトピー性皮膚 炎 他)

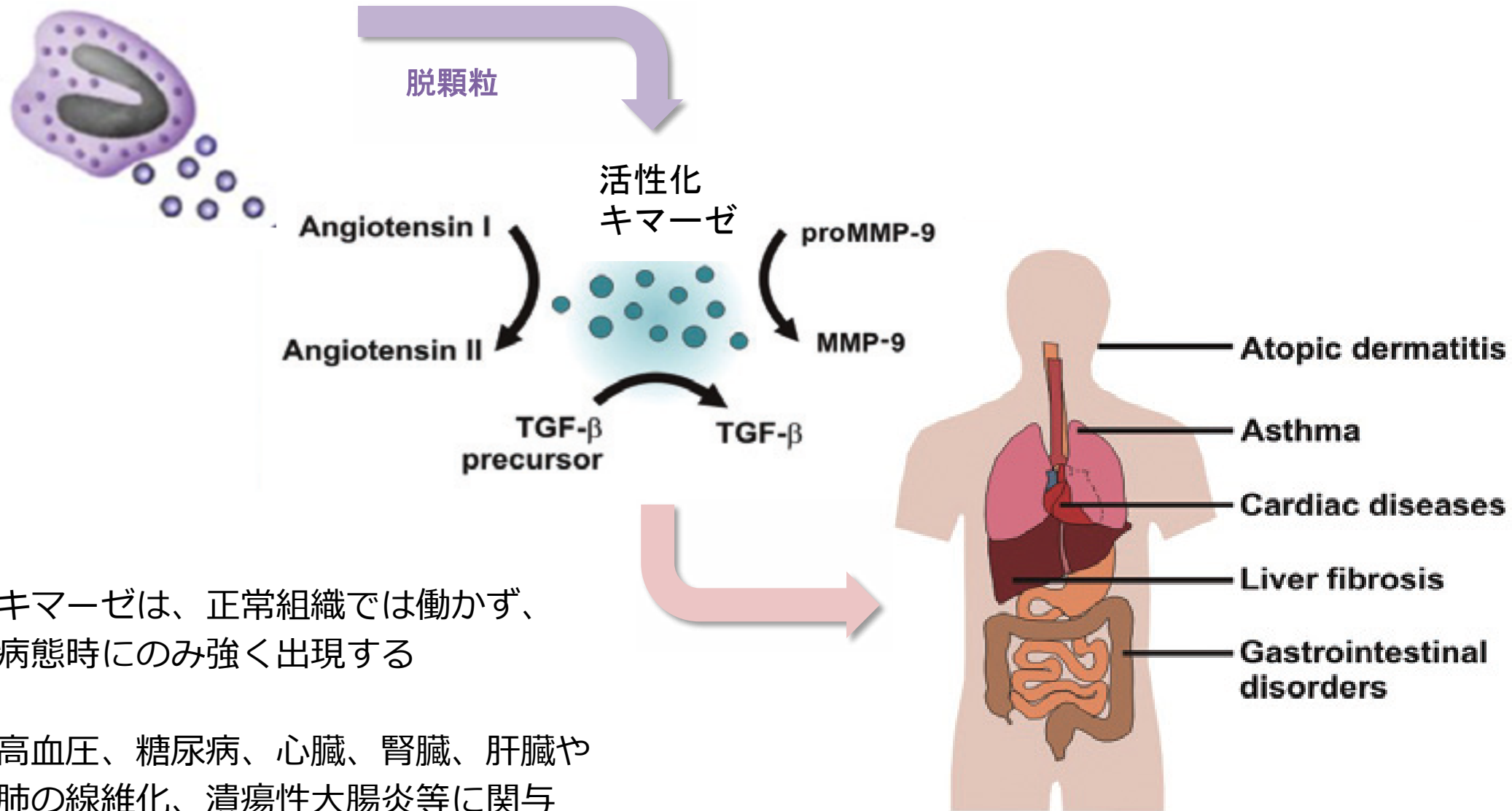
重点課題

最重点課題



RBM003（抗キマーゼ・アプタマー）：
急性心不全に対する非臨床薬効（POC）確認
（大阪医科大学・高井真司教授との共同研究）

肥満細胞顆粒



- キマーゼは、正常組織では働かず、病態時にのみ強く出現する
- 高血圧、糖尿病、心臓、腎臓、肝臓や肺の線維化、潰瘍性大腸炎等に関与

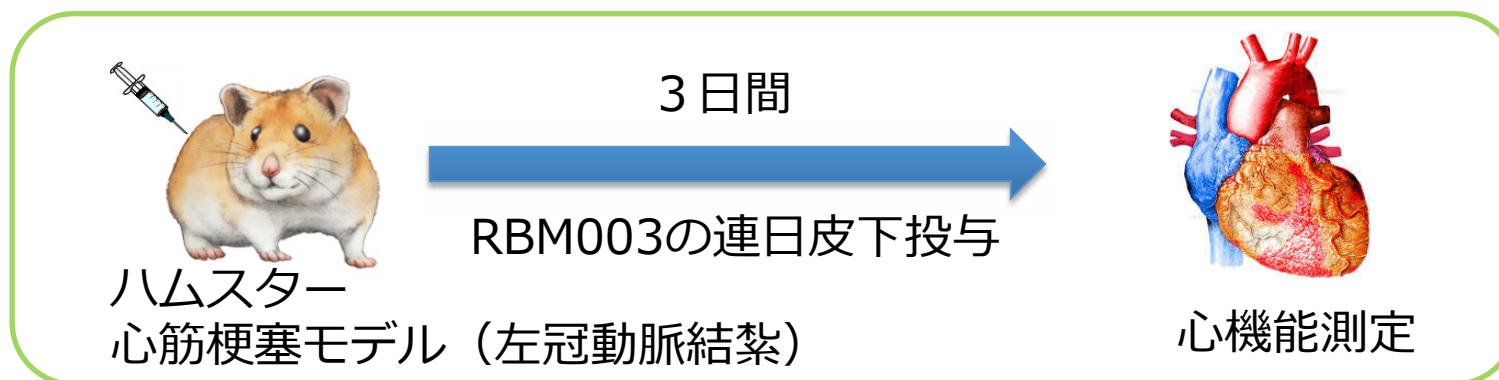
抗キマーゼ阻害薬開発の世界動向



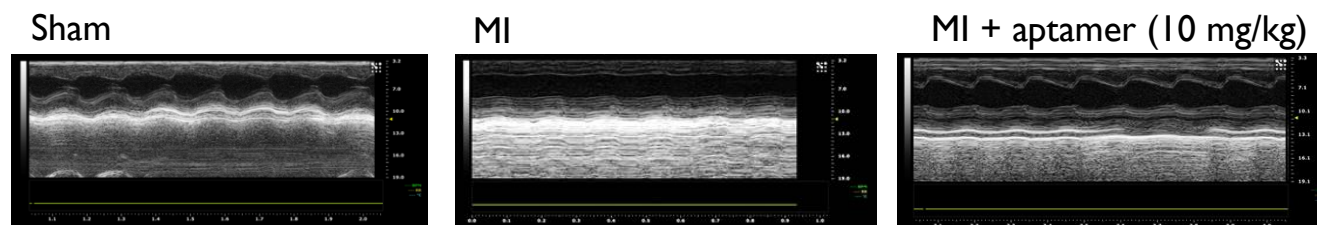
Drug	Sponsor	Indication	Clinical Phase Status
Fulacimstat (BAY1142524)	Bayer Pharma AG	Myocardial Infarction (心筋梗塞)	Phase 2 On-going
		Diabetic Kidney Disease (糖尿病性腎症)	Phase 2 On-going
ASB17061	Daiichi Sankyo Inc.	Atopic Dermatitis (アトピー性皮膚炎)	Phase 2 No further development report
SUN13834			Phase 2 No further development report
JNJ-18054478	Johnson & Johnson Pharmaceutical Research & Development, L.L.C.	Asthma (喘息)	Phase 2 No further development report
JNJ-10311795		Asthma (喘息) COPD (慢性閉塞性肺疾患)	Phase 2 No further development report
TPC-806	Teijin Limited.	Heart Failure (心不全)	Phase 2 No further development report

*Data from ClinicalTrial.gov, the company's web site and/or Therapeutic Target Database
April 2018 update

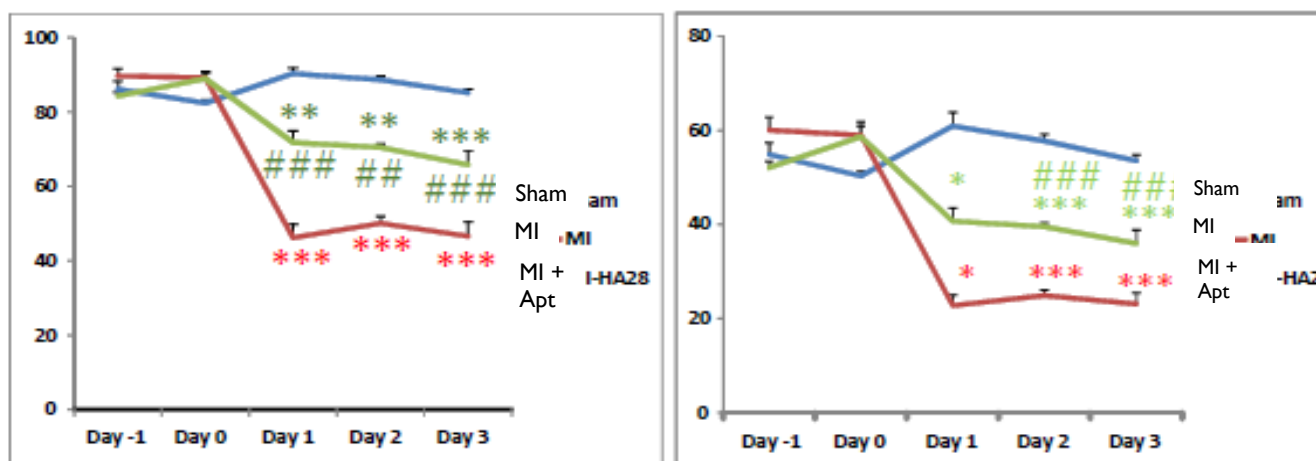
ハムスター急性心不全モデルにおける薬効



Echocardiography
: 心エコー



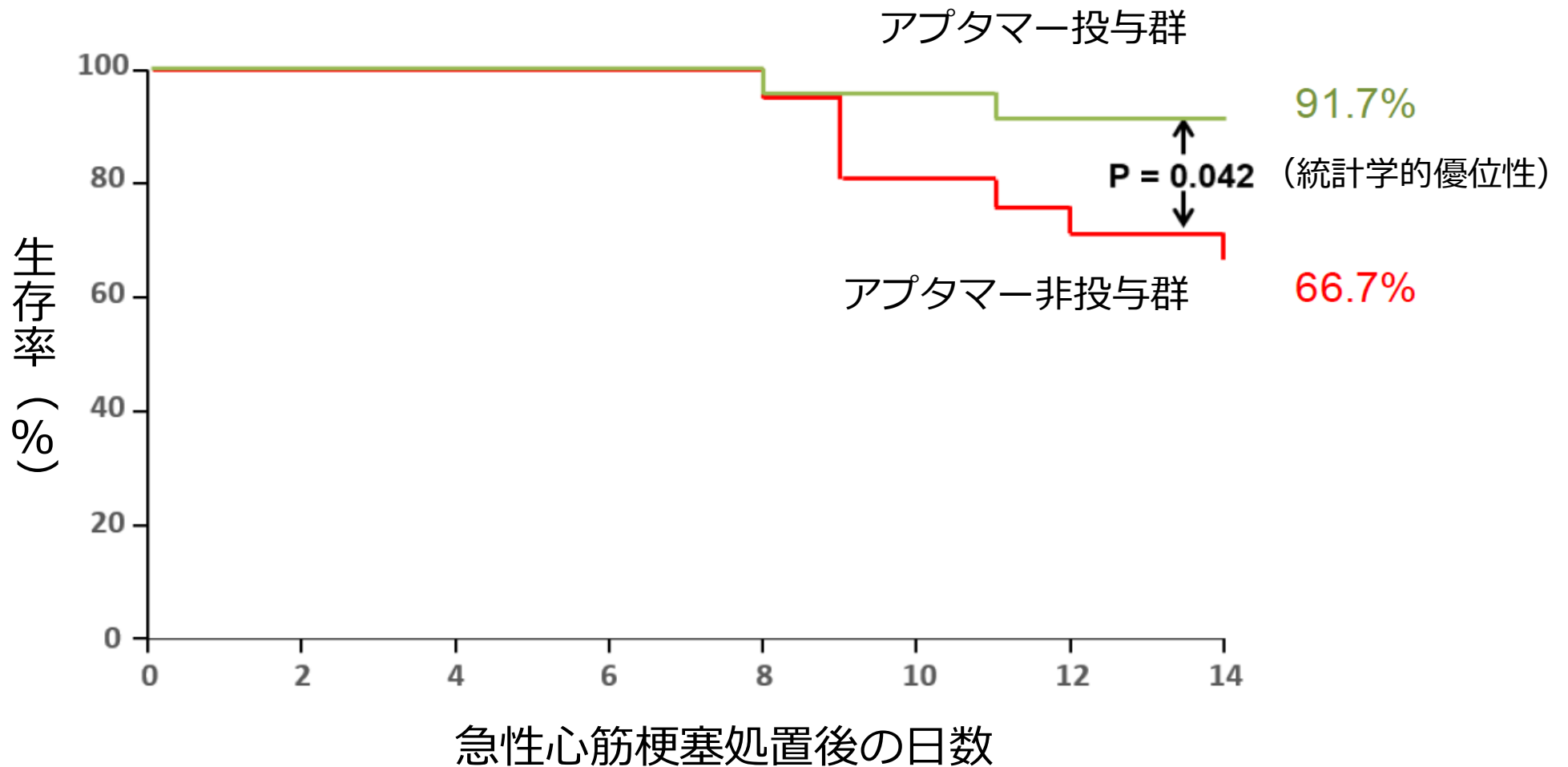
Ejection Fraction (%) : 左室駆出力 Fractional Shortening (%) : 左室内径短縮率



*P<0.05, **P<0.01, ***P<0.001 vs. Sham. ##P<0.01, ###P<0.001 vs. MI.

本アプタマー投与による顕著な心機能改善効果を確認

ハムスター急性心不全モデルにおける救命効果



さらに心筋梗塞発生後の本アプタマーの治療効果を示すデータの取得に成功

RBM003とバイエル社の薬剤を比較

キマーゼ阻害剤

ヒト・キマーゼの活性を
50%阻害する濃度 (IC₅₀)

BAY1142524 (バイエル)

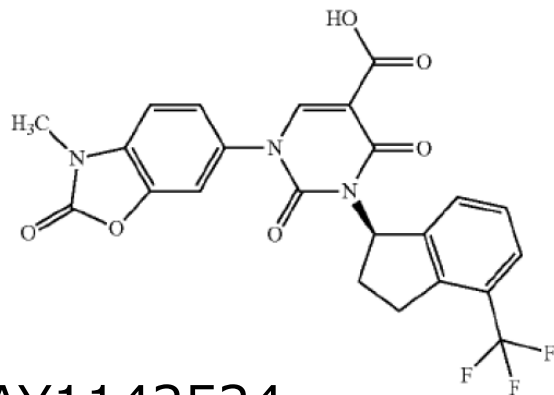
4.0 nM

*出典Circulation. 2017;136:A13624

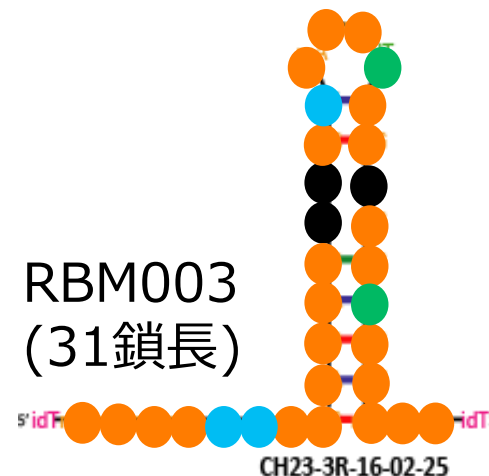
RBM003 (リボミック)

0.048 nM

(RBM003は、BAY1142524 の 1/100 の濃度で同等の阻害作用を示す)



BAY1142524
(米国特許US9481672_B2)



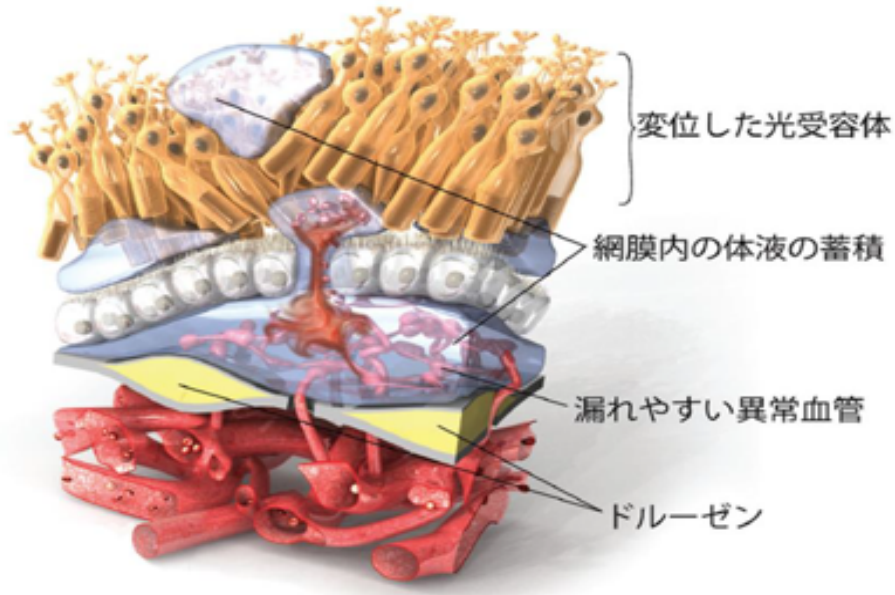


RBM-007（抗FGF2アプタマー）：

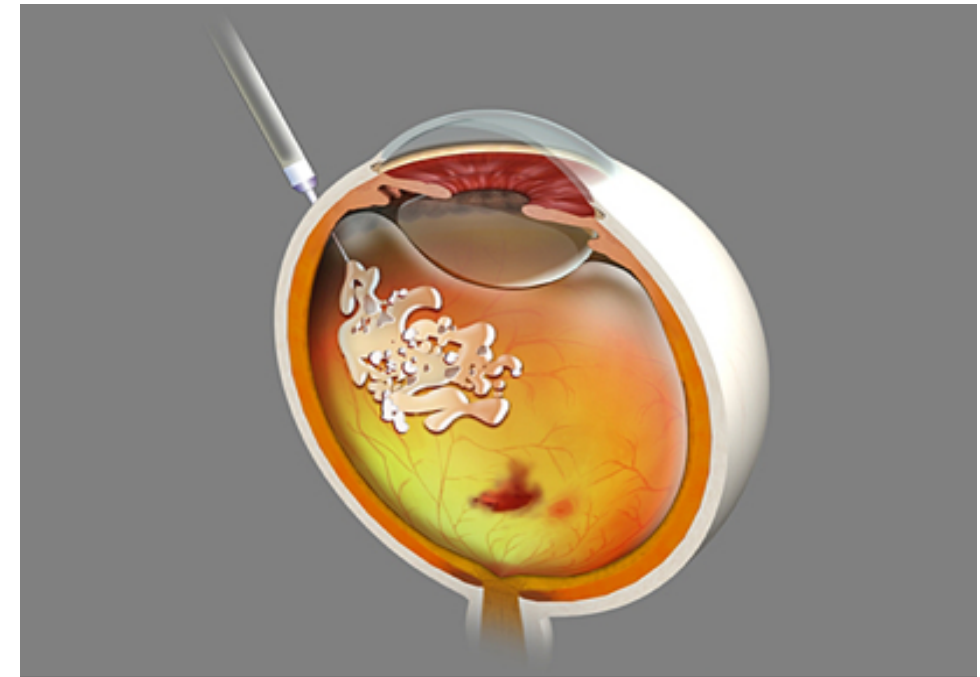
加齢黄斑変性症（AMD）に対する

非臨床薬効（POC）確認

血管新生が失明の基本的な原因



血管新生を抑制する薬剤を 眼球（硝子体）に注射する



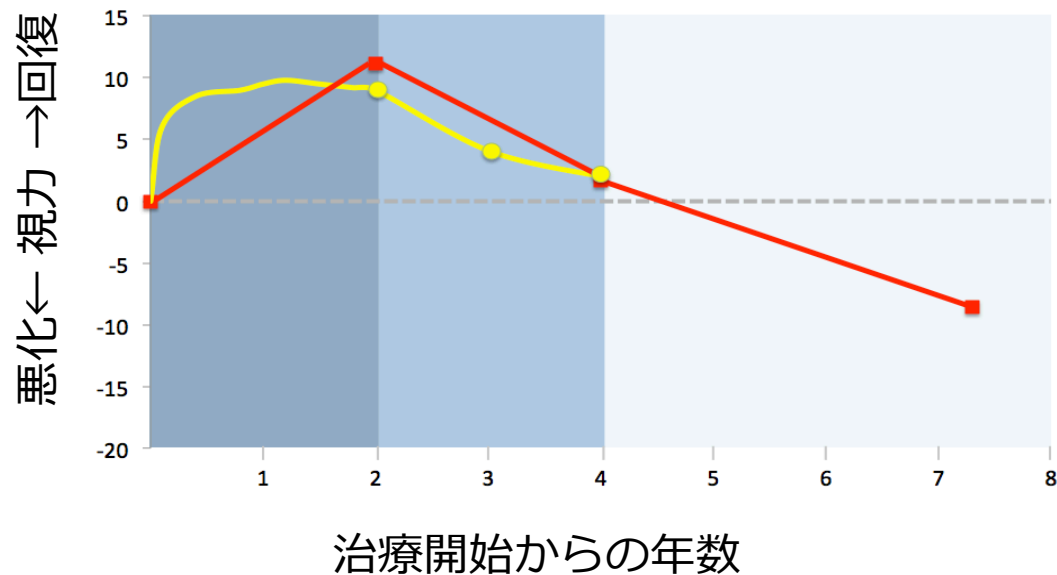
© Japanese Ophthalmological Society

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治療薬として**約1兆円**のマーケットを形成

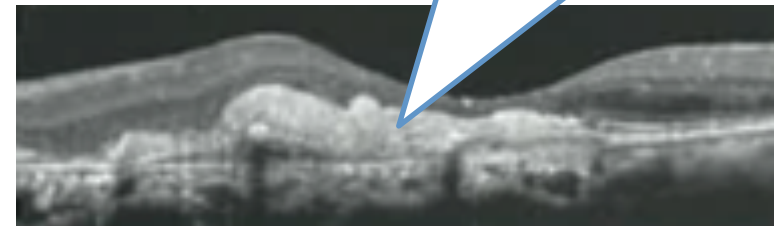
*日本眼科学会homepage(http://www.nichigan.or.jp/public/disease/momaku_karei.jsp)より転載

既存薬（抗VEGF阻害剤）の問題点


7年間の追跡調査の結果、視力の再悪化が確認



この再燃は網膜部の瘢痕形成（線維化）が原因と思われるが、これを防止する薬がない。



OCT (光干渉断層計)


Ophthalmology
2013; 120: 2292-99



1) 新しい作用機序 (Mode of Action) : 新ターゲット FGF2

Dual Action (異なる二つの作用)

- 血管新生の抑制 (VEGF阻害薬よりも強力)
- 瘢痕形成 (線維化) の抑制

2) 優れた薬理効果

3) 硝子体での長期滞留性 : 3ヶ月に1回の硝子体注射を想定

4) 化学合成薬剤として高い安全性と将来の製造原価低減

脈絡膜血管新生 (CNV) マウス及びラットモデル

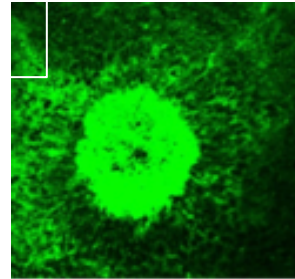
薬理試験データ



眼底にレーザー照射後、薬剤投与



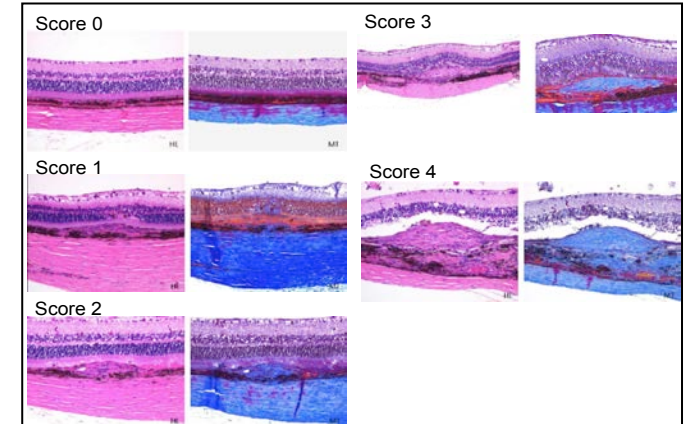
1週間後に新生血管面積を計測



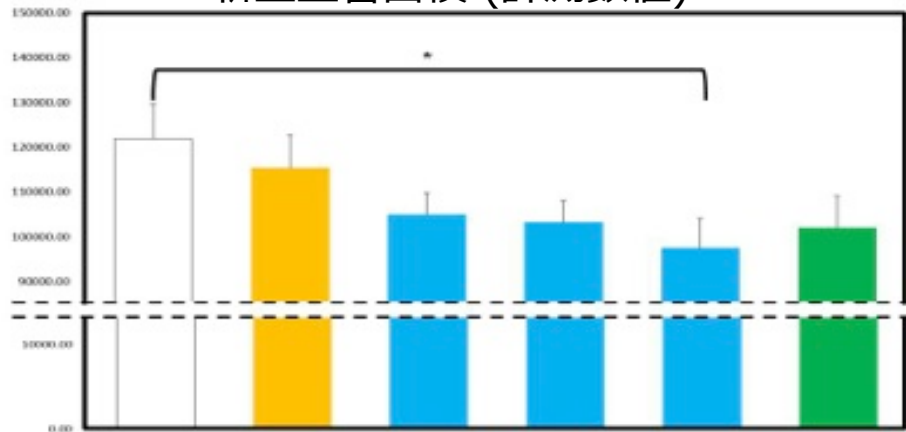
2週間おきアプタマー投与



6週間後癒痕化を病理計測



新生血管面積 (計測数値)



投与薬剤

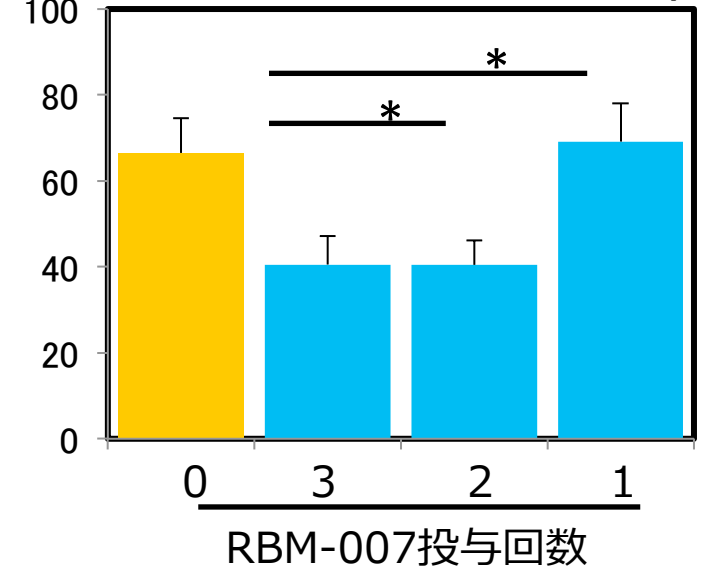
ルセンティス

RBM-007

- + - - + ++

- - + ++ + -

Score 2以上の癒痕化の出現率(%)



脈絡膜血管新生と癒痕化を統計学的有意差をもって抑制



RBM-007 (抗FGF2アプタマー) :

軟骨無形成症 (ACH) に対する

非臨床薬効 (POC) 確認

軟骨無形成症 (ACH, Achondroplasia)



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

軟骨無形成症とは？

成長期の骨の成長に必要な成長板という軟骨組織が、FGFR3受容体（ブレーキ役）の異常によって、機能しない希少疾患。

有効な治療薬が存在しない。



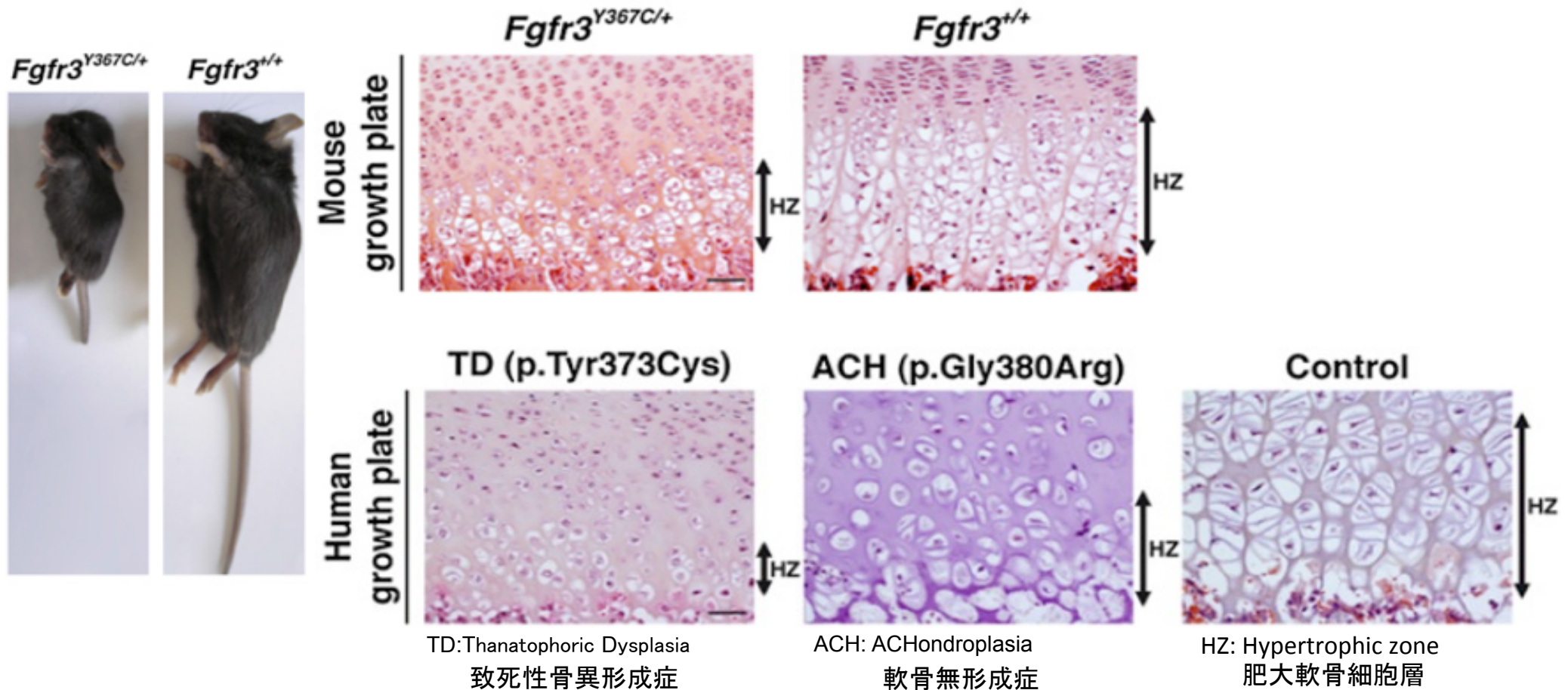
FGF2はFGFR3に作用する主要な因子として、骨の成長を妨げる要因となっているとみられる。



当社のRBM-007はFGF2の働きを阻害
骨の成長を促す新薬へ

ACH トランスジェニック・マウス

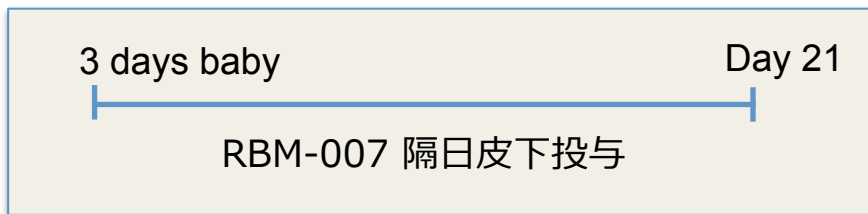
— FGFR3の遺伝子を人為的に改変した軟骨無形成症モデルマウス



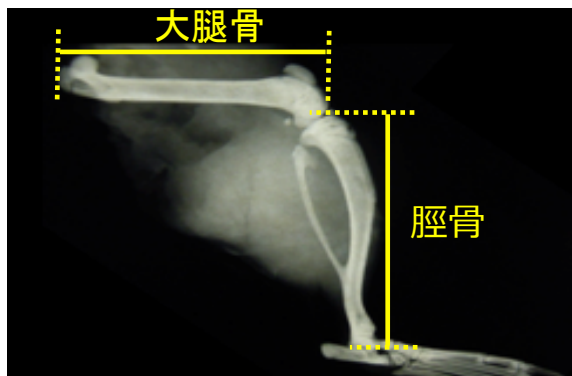
* *Am J Hum Genet.* 2012 Dec 7;91(6):1108-14.

本トランスジェニックマウスを作製したワシントン大学の
Dr. Ornitzより分与を受け、評価試験を実施

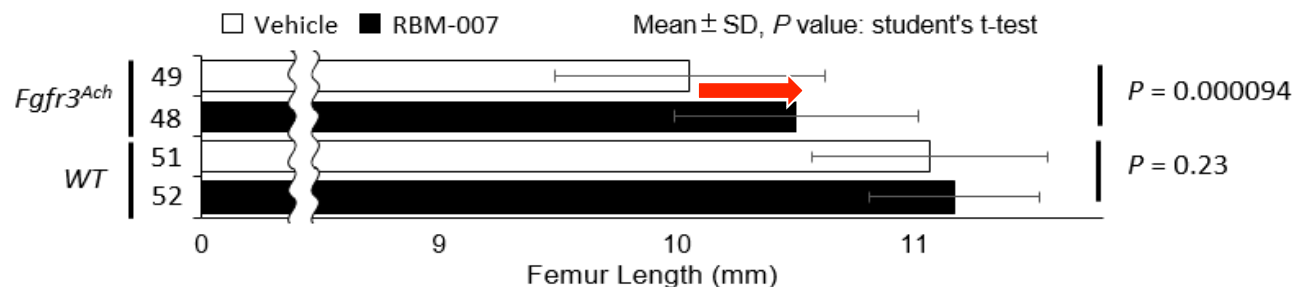
RBM-007による ACH マウスの骨伸張回復



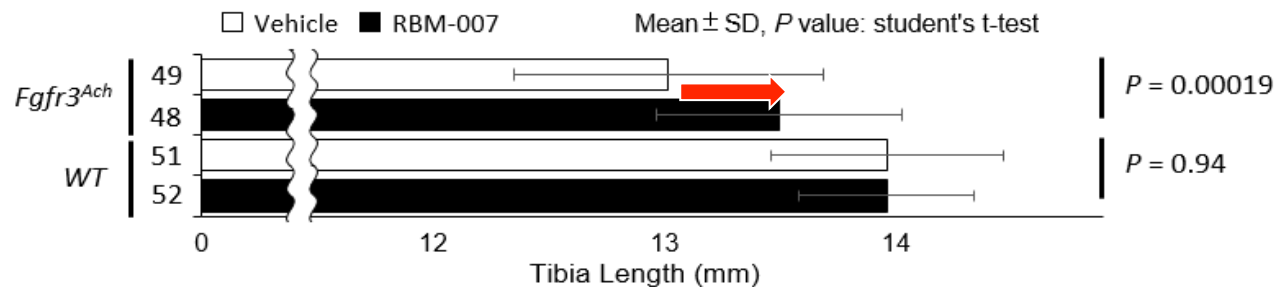
マウスにおいては骨短縮を5割回復



大腿骨長 (21日目)



脛骨長 (21日目)



RBM-007は低身長改善効果を示し、軟骨無形成症に対する本薬剤の非臨床POCが確認された

RBM-007（抗FGF2アプタマー）：

臨床試験計画



RIBOMIC USA Inc. (当社100%子会社)

- ✓ 設立日：平成29年8月
- ✓ 所在地：米国カリフォルニア州バークレー
- ✓ CEO：Yusuf Ali (Ph.D.)



科学諮問委員会 (網膜疾患専門医チーム)

- ✓ Robert B. Bhisitkul 博士：
UCSF(米国)Medical Center教授
- ✓ Quan Dong Nguyen博士：
Stanford大学教授
- ✓ Karl G. Csaky 博士：
Southwest網膜財団 Director





	PI/IIa	PIIb
AMD患者数	少人数	200人程度
臨床試験の目的	安全性・ 認容性の 確認	薬効の確認 (POC)

対象患者：
抗VEGF既存薬
が奏功しない
AMD患者



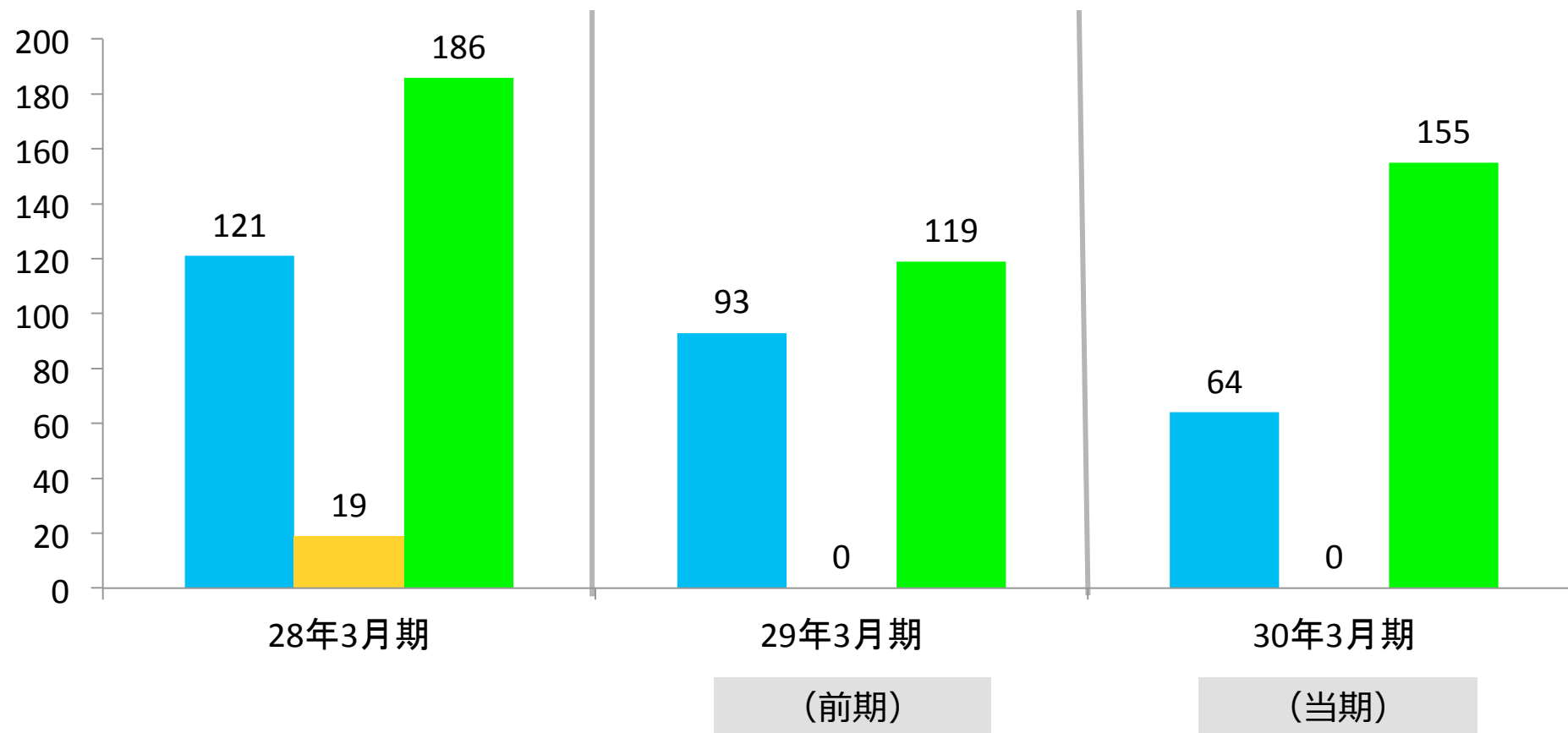
- I . 研究開発の進捗
- II . 平成30年3月期決算**
- III . 中期経営計画

平成30年3月期決算概要

① 業績推移 – 事業関連収入

(百万円)

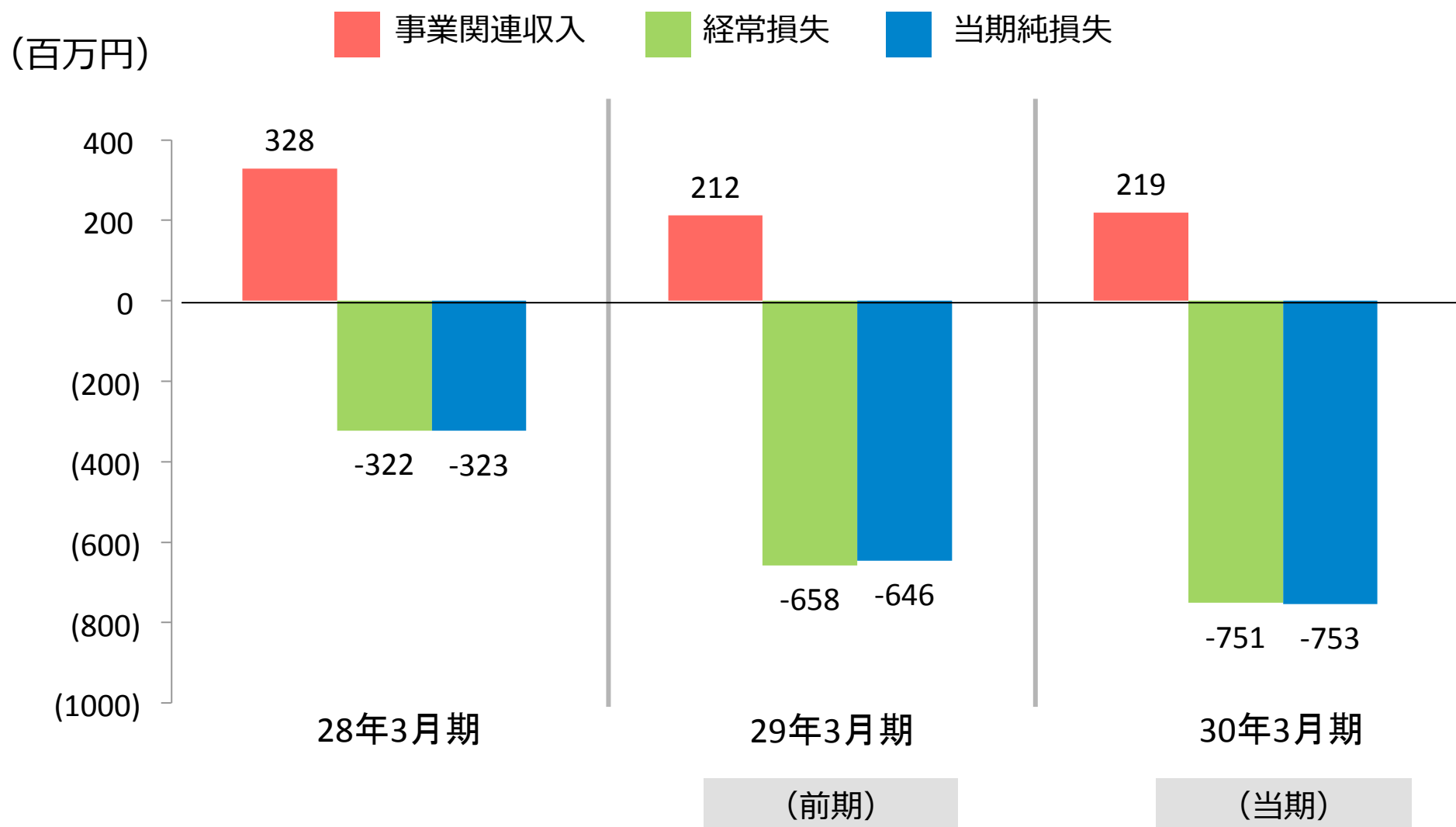
■ 事業収益 ■ 受取研究開発費 ■ 助成金収入



- ✓ 当期の事業収益は、製薬会社からの共同研究収入を計上。
- ✓ 当期の助成金収入としては、AMEDからの「抗FGF2アプタマーを用いた軟骨無形成症治療薬の開発」への補助金（122百万円）および「GPCR を標的とするRNA アプタマー創薬基盤技術の開発」の委託研究開発費（32百万円）等を計上

平成30年3月期決算概要

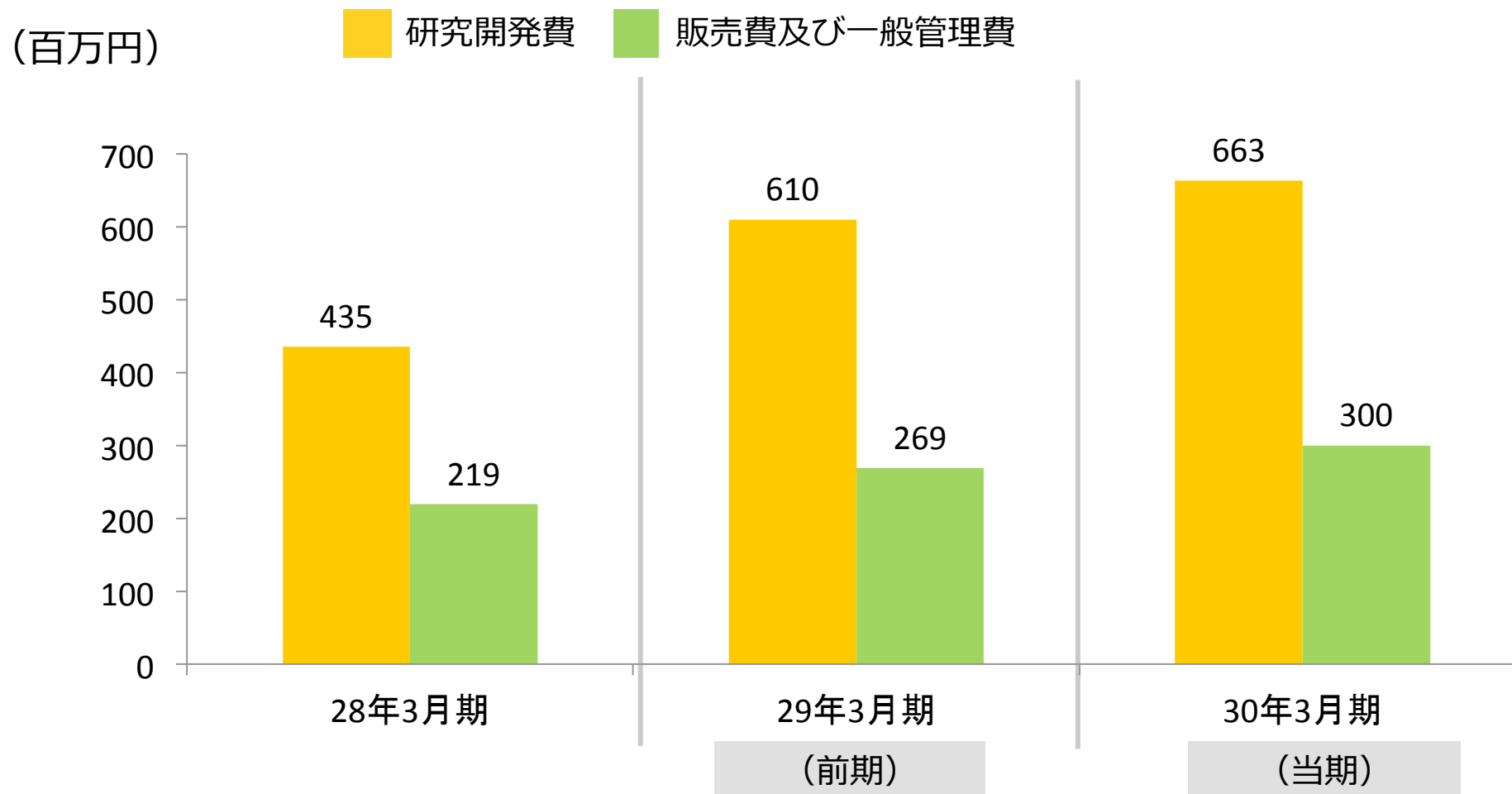
② 業績推移 – 事業関連収入、経常損失、当期純損失



- ✓ 当期、RBM-007の加齢黄斑変性症並びに軟骨無形成症の治験計画届出に向けた準備を積極的に推進（主にGLP安全性・毒性試験や治験薬製造の委託費用等に支出）

平成30年3月期決算概要

③ 業績推移 – 研究開発費、販売費及び一般管理費



- ✓ 当期はRBM-007の臨床開発の準備（一部にAMEDの補助金を充当）、AMEDからの委託事業であるGPCRプロジェクトを含む新規技術開発への取組、既存の自社プロジェクトの推進、製薬会社との共同研究プロジェクトの推進に重点的に投資を行う。

平成30年3月期決算概要

④ 参考：主要な経営指標等の推移

(単位：百万円)

	平成26年 3月期	平成27年 3月期	平成28年 3月期	平成29年 3月期	平成30年 3月期
事業収益	151	479	121	93	64
営業利益	△414	6	△532	△785	△899
営業外収益	203	34	210	127	156
営業外費用	—	27	0	0	7
経常利益	△210	13	△322	△658	△751
当期純利益	△211	10	△323	△646	△753
現預金	330	3,337	1,860	1,783	※1,580
純資産	353	3,262	3,039	2,438	2,227
総資産	492	3,419	3,183	2,495	2,326
営業C/F	△162	134	△324	△706	△694
投資C/F	63	△1,302	△1,362	594	958
財務C/F	1	2,871	98	45	534

※ 現預金 1,580百万円に加えて、有価証券599百万円を保有。



- I. 研究開発の進捗
- II. 平成30年3月期決算
- III. 中期経営計画**



1

リボミック・アプタマーの自社臨床試験
の実施と臨床薬効（POC）の取得

2

メガファーマとのアライアンスの締結

3

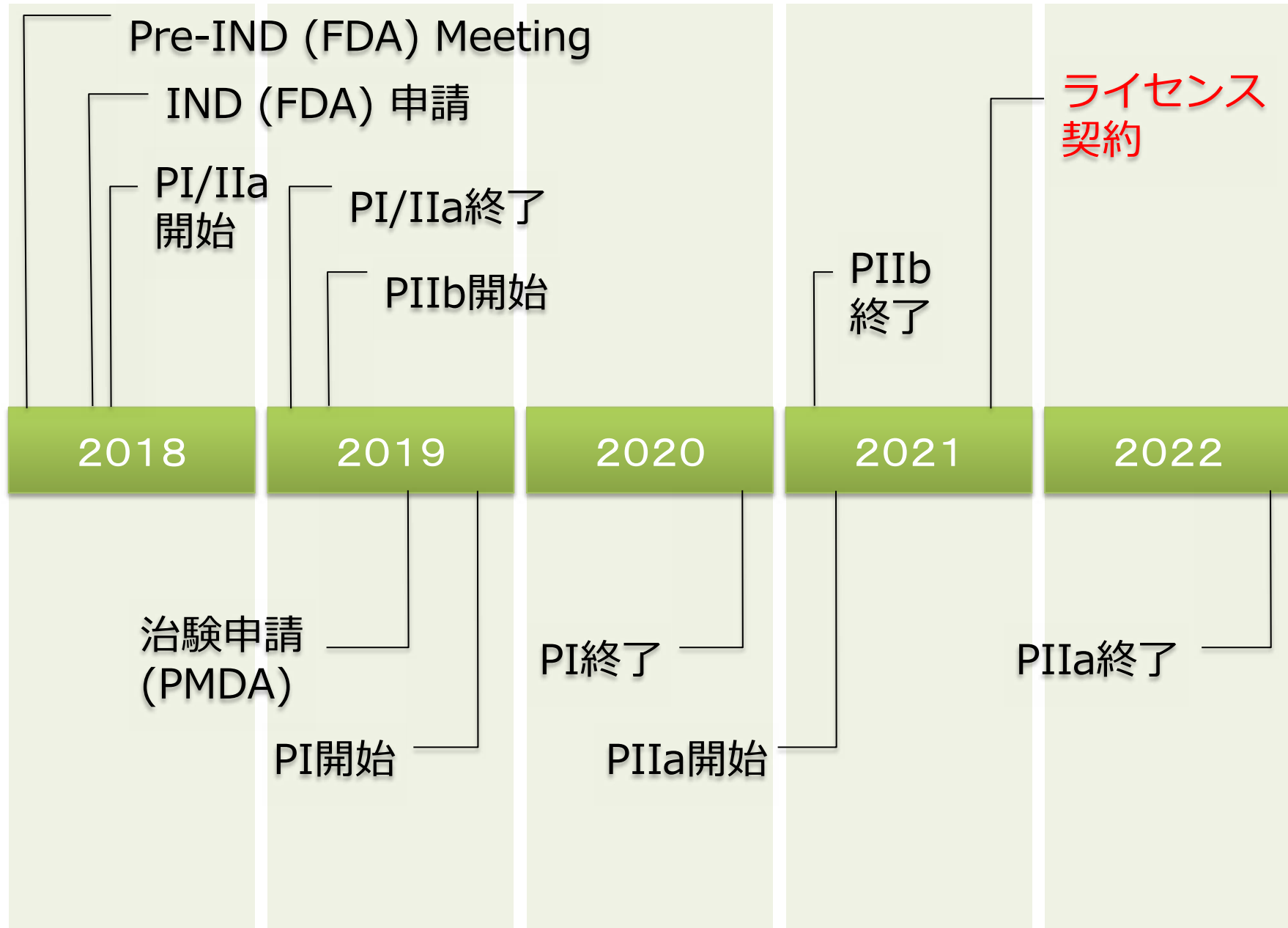
臨床試験推進のための財務基盤の拡充



世界の核酸医薬開発における
主要な地位確立

当社 Value に関するベスト・シナリオ

AMD



ACH

RIBOMIC

当社 Value に関するベスト・シナリオ

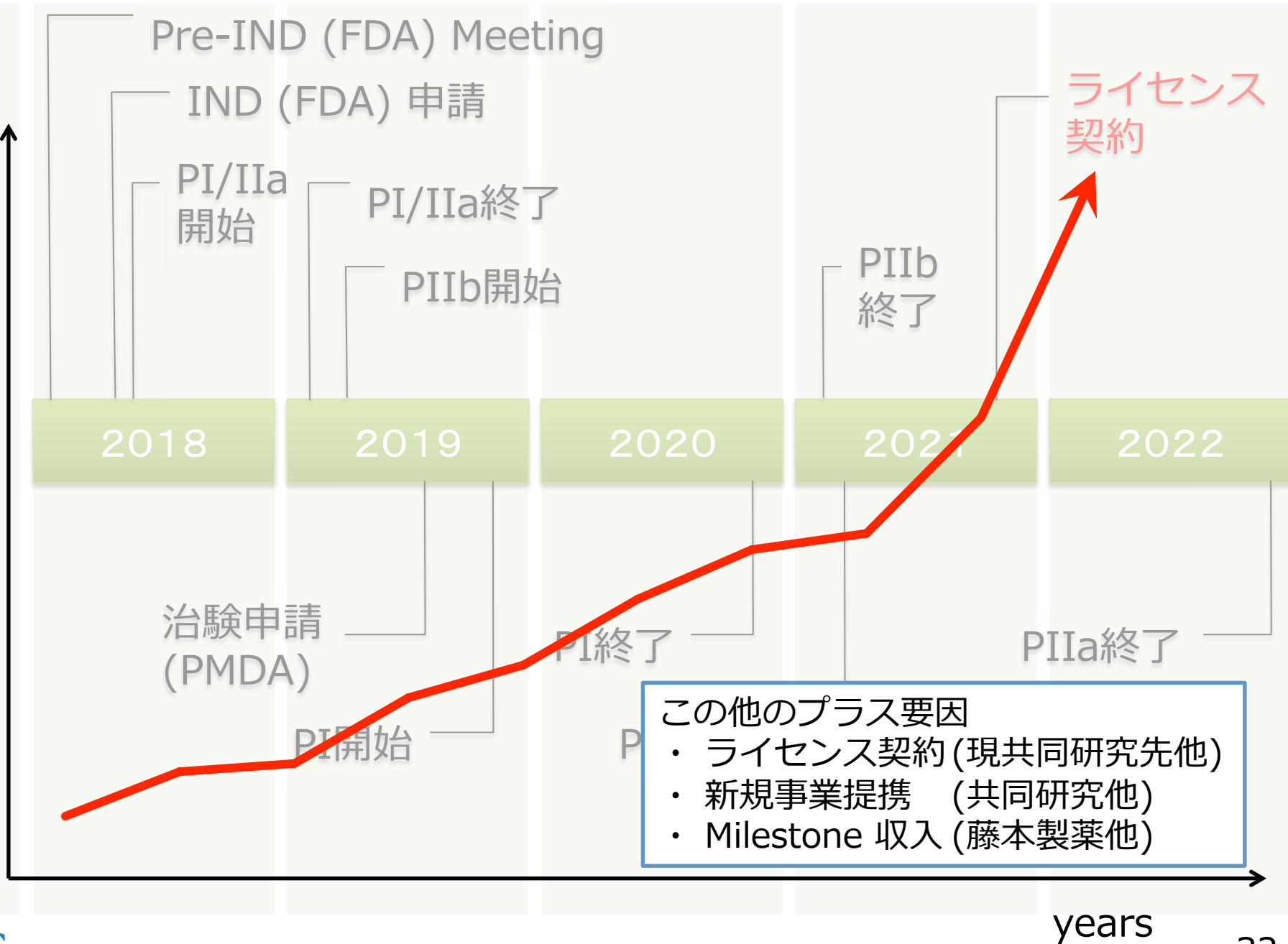
AMD

YWD

当社 Value

ACH

YCH



RIBOMIC

全社一丸となって頑張ります。
よろしくご支援をお願いいたします。

