

2025年7月31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 東証グロース)  
問 合 せ 先 財 務 経 理 部 長 今 井 利 哉  
<https://www.ribomic.com/contact.php>

## 当社の臨床開発方針に関するお知らせ

当社は、2025年7月23日開催の取締役会において、新株予約権の発行とともに、今後の臨床開発の方針について下記のように決議しており、7月23日付の新株予約権発行決議の開示に関して、これまで多数のご質問を頂戴しましたので、それらを今後の臨床開発の方針に沿って整理してお答えするものです。

### 1. 軟骨無形成症治療薬 umedaptanib pegol の開発について

現在、前期第2相臨床試験を実施中ですが、既に開示済みの Cohort 1(低容量群試験)の結果と、現在進行中の Cohort 2(高用量群試験)の途中成績等を考慮して、直接、第3相臨床試験に移行することが、当社と株主にとって最善の進展であり、可能と判断して、第3相臨床試験を2026年度上半期に開始するための準備を始めることを決議しました。予定通りに第3相臨床試験が進捗すれば、2028年度下半期には承認申請が可能で、2029年度半ばに承認が得られるものと予想しております。

上記の判断に至ったもう一つの理由は、厚労省より希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)の指定(ODD)を受けたことです。本指定により、国からの研究開発資金助成に応募する資格や、優先審査、上市後の再審査期間の延長等の優遇措置を受けることができます。既に、当社は今年度の研究助成事業費を受領することが決定しております(7月24日開示)。この費用は、希少疾病用医薬品等の製造販売承認申請を行うために必要な試験研究(製造販売承認申請に係る添付資料作成のための開発費用)が対象であるため、当社には速やかに第3相臨床試験を実施して、「一日も早く医療の現場に治療薬を提供する」ミッションが求められています。

### 2. 新株予約権の発行について

以上の計画を実現するために、当社は、第三者割当による第18回乃至第20回新株予約権(行使価額修正条項付)の発行及び新株予約権の買取契約(コミット・イシュー)の締結を決議いたしました。この資金調達によって、「日本発」新薬の実現という ODD のミッションにそって、umedaptanib pegol の第3相臨床試験を財務的にシームレスに推進することが可能となります。

当社は決算短信や有価証券報告書で開示させていただいた通り、2025年3月末で30億円あまりの比較的換金性の高い資産として、現金及び預金、並びに安全性の高い有価証券(以下、「現預金等」)を保有しており、概ね2年間程度の資金を確保していると判断しております。但し、2026年3月期の業績予想で開示させていただきましたとおり、今年度事業収益が見込まれない場合で

も、その後の事業運営に懸念はないものの、継続企業の前提に関する重要な不確実性が生じるリスクが高まると考えております。

そのため、新株予約権の行使には一定の時間を要することに加え、東証グロース市場の上場維持基準の1つである時価総額基準の算定期間(2026年1月～3月)についても考慮し、余裕をもってこのタイミングで発行することとしたものです。

### 3. 軟骨無形成症治療薬 umedaptanib pegol の提携活動について

umedaptanib pegol の導出については、従来から提携活動を継続しており、前期第2相臨床試験の投与が完了する2025年10月以降のタイミングで提携交渉が進捗した場合には、最速で2026年度に収益化が可能になると見込んでおります。その場合には、幾つもの提携スキーム(単純なライセンスアウト、あるいは、オプション契約等の共同開発等)が想定されますが、当社と株主にとって最善な選択をはかりたいと考えております。

なお、収益化が実現した場合には、その時点で残存している新株予約権の行使停止指定の実施、又は第19回及び第20回新株予約権については当社が任意で取得し償却することも可能な仕組みとなっております。

### 4. 網膜疾患治療薬としての umedaptanib pegol の開発について

当社の臨床開発の中で最も進捗しているプログラムは、滲出型加齢黄斑変性(wet AMD)を対象とした umedaptanib pegol の臨床試験です。米国で第2相臨床試験を完了し、精緻な解析によって、現在標準治療薬となっている抗 VEGF 薬と同等な臨床成績(POC)が確認されています。umedaptanib pegol は抗 VEGF 薬以外では、初めて臨床効果が証明された薬剤であり、今後、未治療の wet AMD 患者での臨床試験によって、抗 VEGF 薬では効果がない、網膜の瘢痕(線維化)抑制作用が証明されれば、画期的な新薬となって、現在の抗 VEGF 薬市場(約 1.5 兆円)に参入することが期待できます。

しかしながら、wet AMD の第3相臨床試験には、軟骨無形成症に比べ更に多額の資金が必要となり、新株予約権の発行では賄いきれず、現在協議中のサウジアラビアとの提携か、あるいは、軟骨無形成症プログラムの提携による事業収益により実施することが妥当と考えております。また、現在、umedaptanib pegol の適応拡大について、東京大学医学部眼科学教室と共同研究を進めており、その成果の中から、wet AMD 以外の網膜疾患に対して、umedaptanib pegol を用いた第2相臨床試験が可能となることを期待しています。

以上、新株予約権の発行につきましては、資金使途の支出予定時期開始である2026年4月までに時間がありますが、余裕を持ったタイミングでの発行により、今後の中長期的な経営目標の達成に向けて、財務の柔軟性を確保し、ライセンス・アウト交渉においても安定的かつ強固な経営基盤であることが有利にはたらくこと等、副次的な効果も期待したいと考えております。

以 上