

G G A G G C U C C G A  
C C U C A A G G A

2026年3月期

# 決算説明

株式会社リボミック(証券コード 4591)

2026年5月18日

# 本日の内容

- 事業の進捗
- 2026年3月期 決算

# トピックス

## 1 RBM-007 : 軟骨無形成症 (ACH) 治療薬の開発

- Phase 2 を完了、  
薬効を確認(POC)
- Phase 3 を開始
- 厚生労働省  
希少疾病用医薬品指定(ODD)

## 2 アプタマー装着 DDS (薬物送達) システム

- プラットフォーム技術の開発
- 脳内デリバリーの実証
- 複数の企業提携  
(3件、2026年5月現在)

## 3 Vision 2030

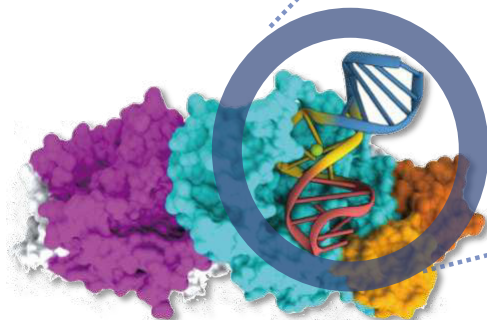
- 収益拡大を目指し、  
ビジネスモデルを変更
- 次世代アプタマー技術の開発  
と実装化
- 監査等委員会設置会社移行  
による経営基盤の改革

# アプタマー (Aptamer)とは？

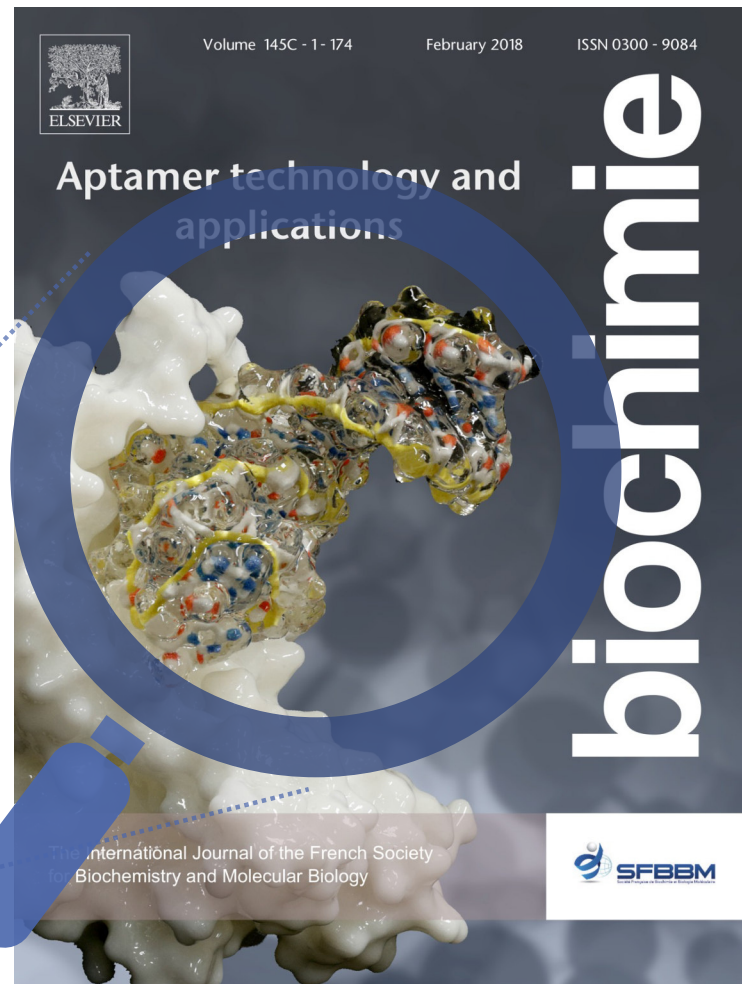
1本鎖の核酸が、塩基配列に応じて様々な立体構造を形成し  
創薬標的に結合する性質を利用した新しい医薬品

## 抗体医薬に対する優位点

- 標的に対する高い選択性と結合力
- 標的の種類を問わない汎用性
- 化学修飾の容易性
- 化学合成
- 低い免疫原性



3D printer model of 2.0 Å crystal structure of the autotoxin/aptamer complex.  
(*Nat. Str. Mol. Biol.*, 23: 395-401, 2016)



RIBOMIC

# 当社の重点領域

アプタマーというModalityが適した疾患

## 眼科(網膜疾患)

wet AMD, PVR, …

- 閉鎖系器官であるため安全性が高い
- 硝子体内投与であるため少量の薬剤用量

RIBOMIC

Unmet Medical Needs



## 希少疾患

ACH

- 大手製薬企業が研究開発をしないニッチ市場のため、先端技術を用いた創薬開発に向いている

# 主要なパイプライン

 PoC Established

化合物コード	ターゲット	疾患	探索	前臨床	臨床		
					1	2	3
RBM-007	FGF2	軟骨無形成症 (ACH)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/> 	<input type="checkbox"/>
RBM-007	FGF2	滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/> 	
RBM-007	FGF2	糖尿病黄斑浮腫 (DME)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>			
RBM-006	Autotaxin	網膜疾患 増殖性硝子体網膜症(PVR)、緑内障、糖尿病網膜症等	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>			
RBM-011	IL-21	肺動脈性肺高血圧症 (PAH)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>			



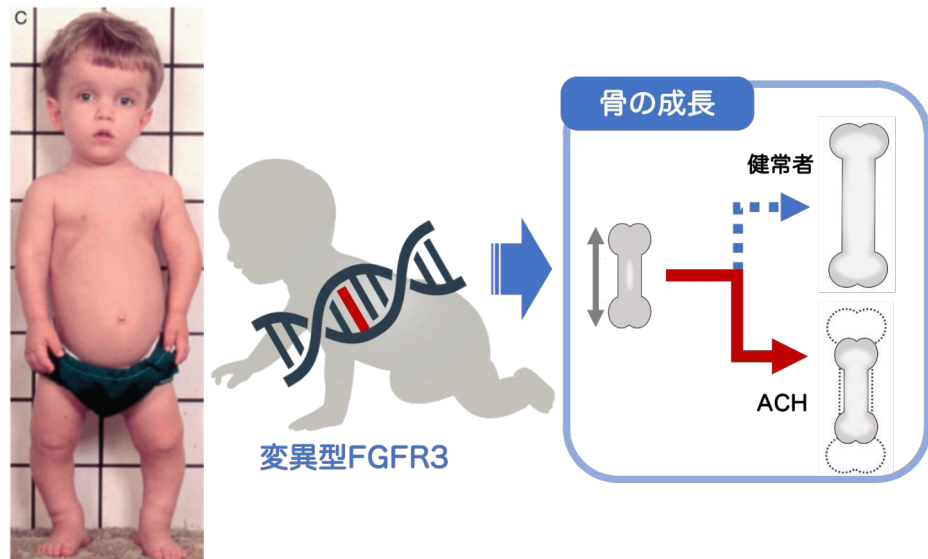
# RBM-007 (umedaptanib pegol)

軟骨無形成症 (ACH) 治療薬の開発



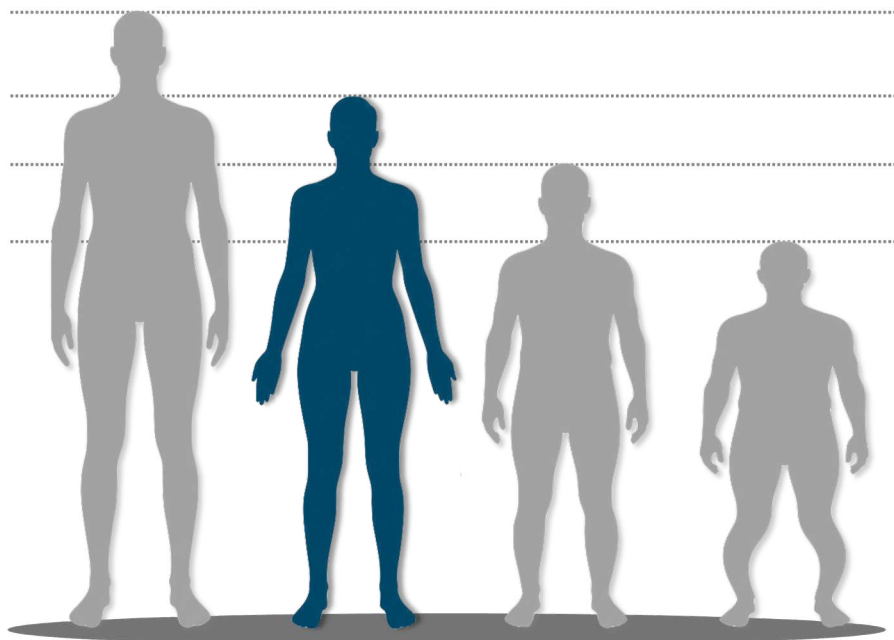
# 軟骨無形成症(ACH, Achondroplasia)

- **軟骨無形成症(ACH)とは**  
手や足の短縮を伴う低身長となる希少疾患です。  
有効な治療薬の開発が求められています。
- **軟骨無形成症(ACH)の原因**  
FGFタンパク質に対する受容体FGFR3におきた突然変異です。  
変異したFGFR3によって、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、骨の成長が妨げられます。



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

# FGFR3変異による身長の変化



CATSHL  
syndrome

Normal

HCH  
Hypochondroplasia

ACH  
Achondroplasia

	身長	FGFR3 機能	FGFR3 変異
CATSHL syndrome	≒200cm (男女とも高身長)	欠失	null
Normal	男 176cm 女 163cm	正常	WT
HCH	男 150cm 女 140cm	増強	N540K
ACH	男 130cm 女 124cm	増強	G380A

\*Am J Hum Genet. Nov;79(5):935-41.2006, Hypochondroplasia.GeneReviews® NIH, Cleveland Clinic等を元に弊社で作成

# RBM-007 (umedaptanib pegol) : 抗 FGF2 アプタマー

多角的修飾加工によって血中滞留性と結合力を実現  
( $t_{1/2} > 24$  hrs and  $K_D$  2 pM)



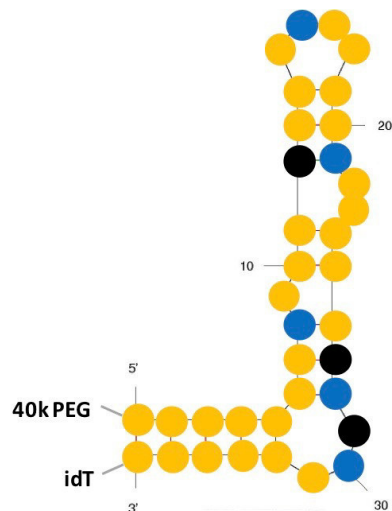
FGF2の特異的認識



FGF2・受容体結合の阻害



MAPK/ERKシグナル伝達阻害



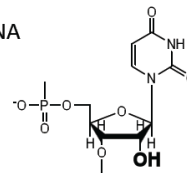
Molecular mass (Da)

Oligo 12,437

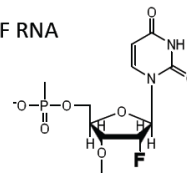
PEG 40,000

APT-F2P 52,437

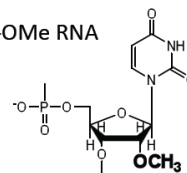
● RNA



● 2'-F RNA



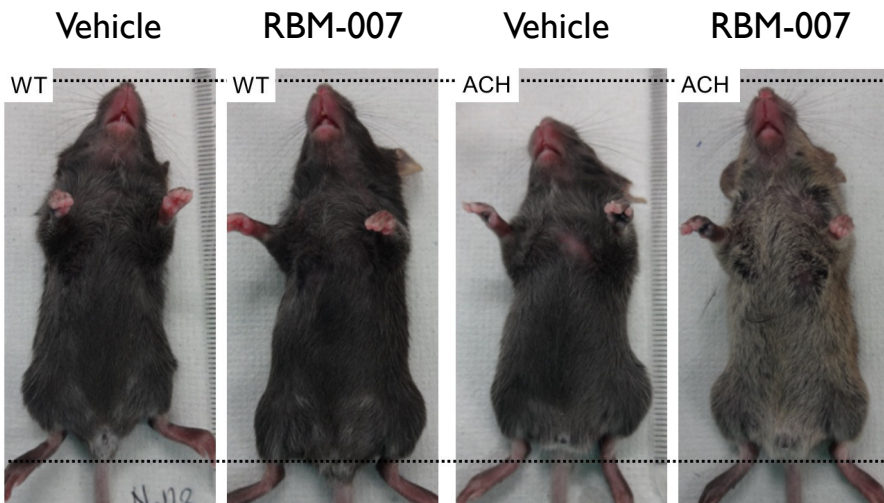
● 2'-OMe RNA



\*Mol. Ther. 24:1974-1986 (2016)

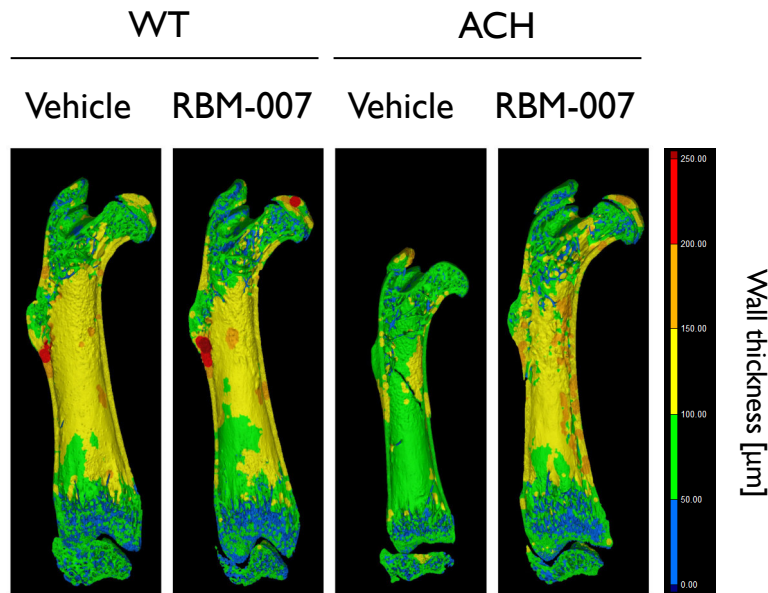
RIBOMIC

# RBM-007投与によるACHモデルマウスの骨伸長の回復



野生型(WT)マウスおよびACHマウスをRBM-007または溶媒で18日間処理した際の全体的な外観。

ACHトランスジェニックマウス(G380Rアレル)は、David Ornitz博士(ワシントン大学)より提供された凍結精子から復元された。



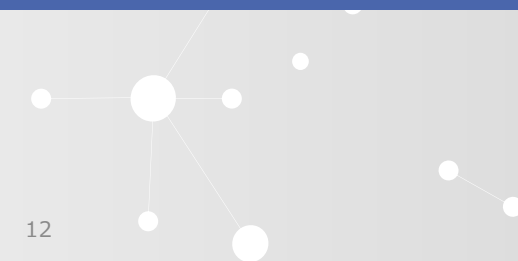
大腿骨の3DマイクロCT画像;長軸方向の冠状断面。RBM-007投与ACHマウスでは骨幹部の骨厚が増加し、野生型(WT)と同等レベルに達している。

\*Sci Transl Med. 2021 May 5;13(592):eaba4226. doi: 10.1126/scitranslmed.aba4226.



# RBM-007 (umedaptanib pegol)

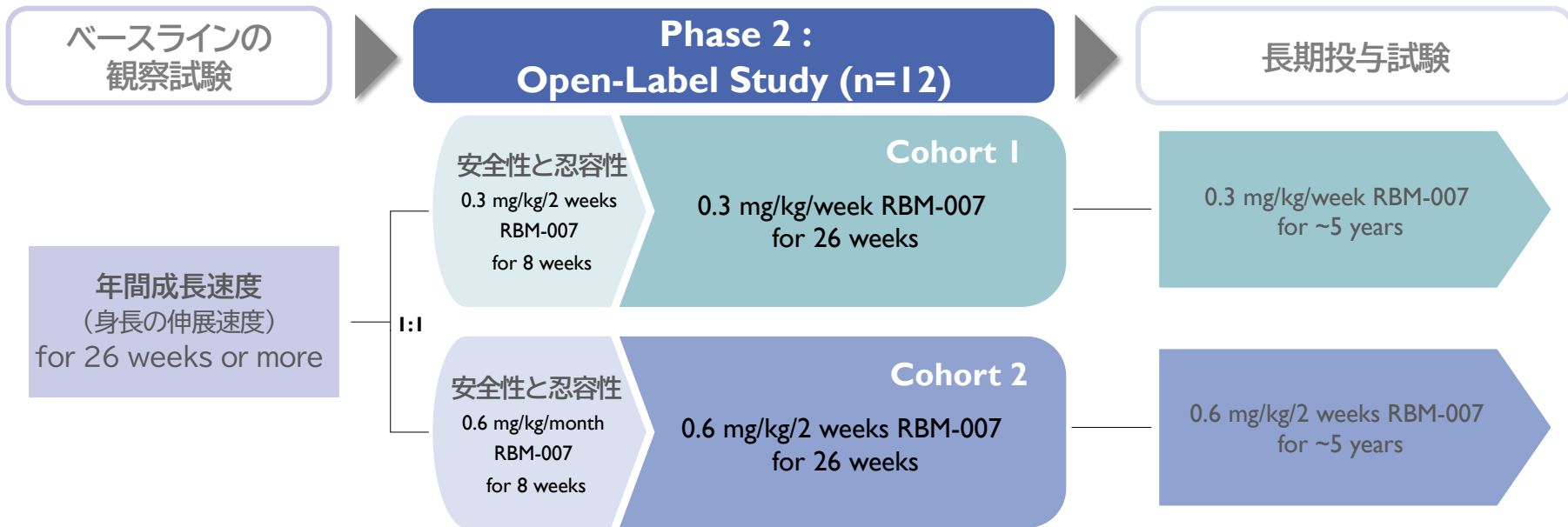
## 軟骨無形成症 (ACH) 臨床試験



## 臨床試験の概要

	Phase 1	Phase 2
試験デザイン	<ul style="list-style-type: none"><li>用量漸増単回皮下投与(0.1~1 mg/kg)</li><li>用量漸増2回皮下投与(0.1~0.6 mg/kg)</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>観察試験：投与前、身長伸び率測定</li><li>0.3 mg/kg毎週皮下投与26週間(Cohort 1)</li><li>0.6 mg/kg隔週皮下投与26週間(Cohort 2)</li></ul>
被験者	24名：健康成人男性	12名：5~14才 小児ACH患者
試験期間	2020年7月~2021年5月	2022年6月~2026年3月
試験実施施設	国内、1施設	国内、8施設
評価項目	安全性、忍容性および薬物動態	有効性：投与前後の成長の伸展速度 安全性、忍容性および薬物動態

# Phase 2 臨床試験デザイン



## 主な選択基準

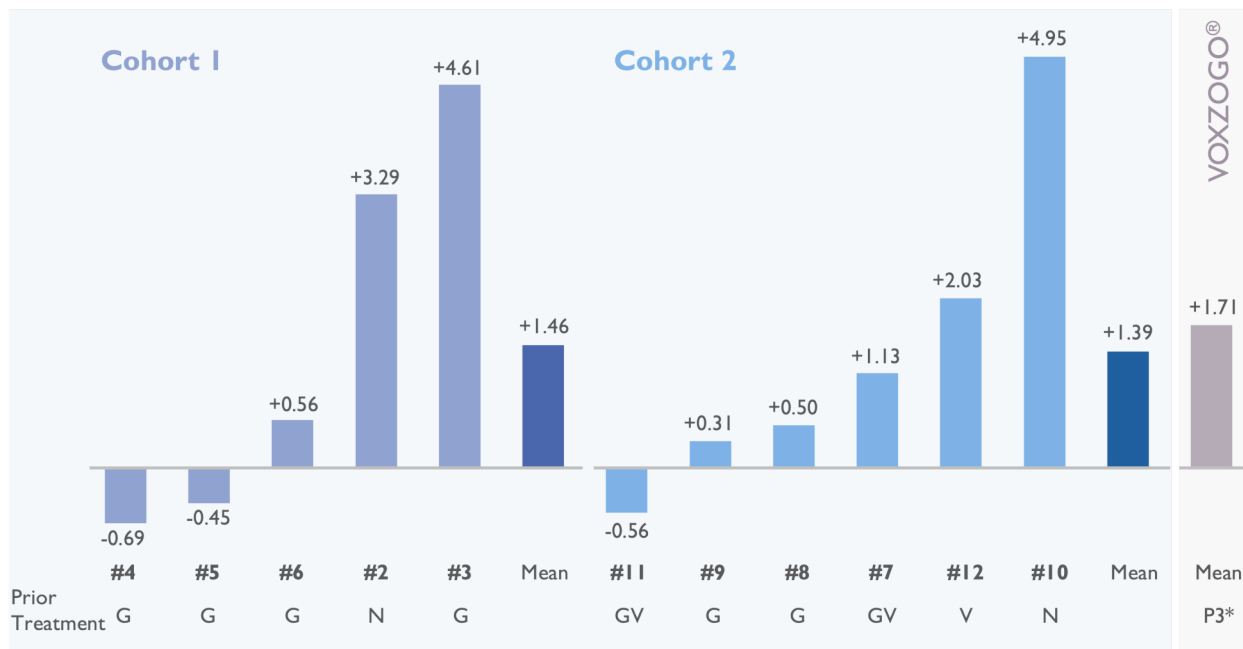
- ・ 治験開始時の年齢が5~14歳の患者
- ・ 遺伝子診断により軟骨無形成症と診断されている患者

## 主要評価項目

- ・ 26週間(6カ月間)の身長伸展速度 (AHV, Annualized Height Velocity)の  
変化

# Phase 2 Cohort 1 / Cohort 2 の結果 と VOXZOGO®との比較

ベースラインからの年間身長伸展速度(AHV)の変化 (cm/year)



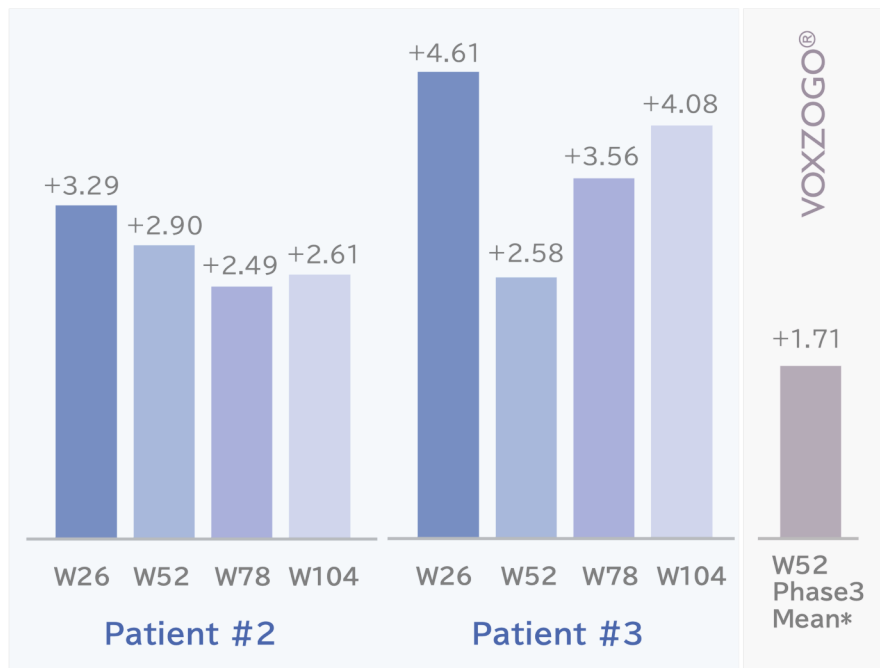
N:Untreated , G:Growth hormone , V:VOXZOGO®, GV: Growth hormone→VOXZOGO®

- レスポンダーの変化は、承認薬 VOXZOGO®の平均変化量よりも大きい
- Cohort 1および2における平均変化量は、第3相試験における VOXZOGO®と同等
- Cohort 2の方がレスポンダーの割合が高い
- VOXZOGO®投与歴患者でも改善が観察される(2/3例)
- 安全性の懸念はない

\* BioMarin VOXZOGO® Phase 3 (NCT03197766) , <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03197766?tab=results>

# Umedaptanib Pegolの長期投与試験における持続的有効性

ベースラインからの年間身長伸展速度(AHV)の変化 (cm/year)

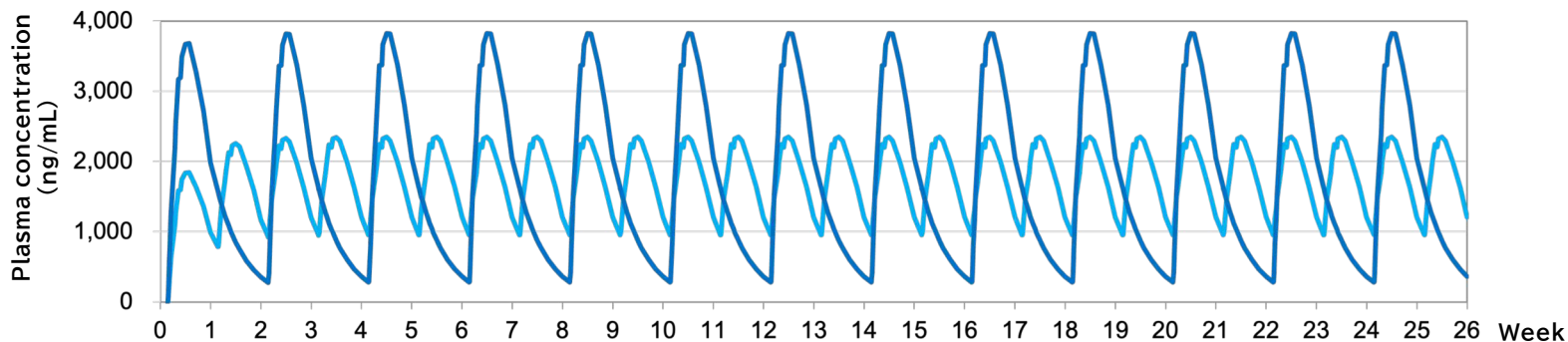


1年以上の長期試験により、Cohort 1 レスポンダー  
2名の年間成長率は、VOXZOGO®の平均身長成長  
率を上回り続けた。

\* BioMarin VOXZOGO® Phase 3 (NCT03197766) ,  
<https://clinicaltrials.gov/study/NCT03197766?tab=results>

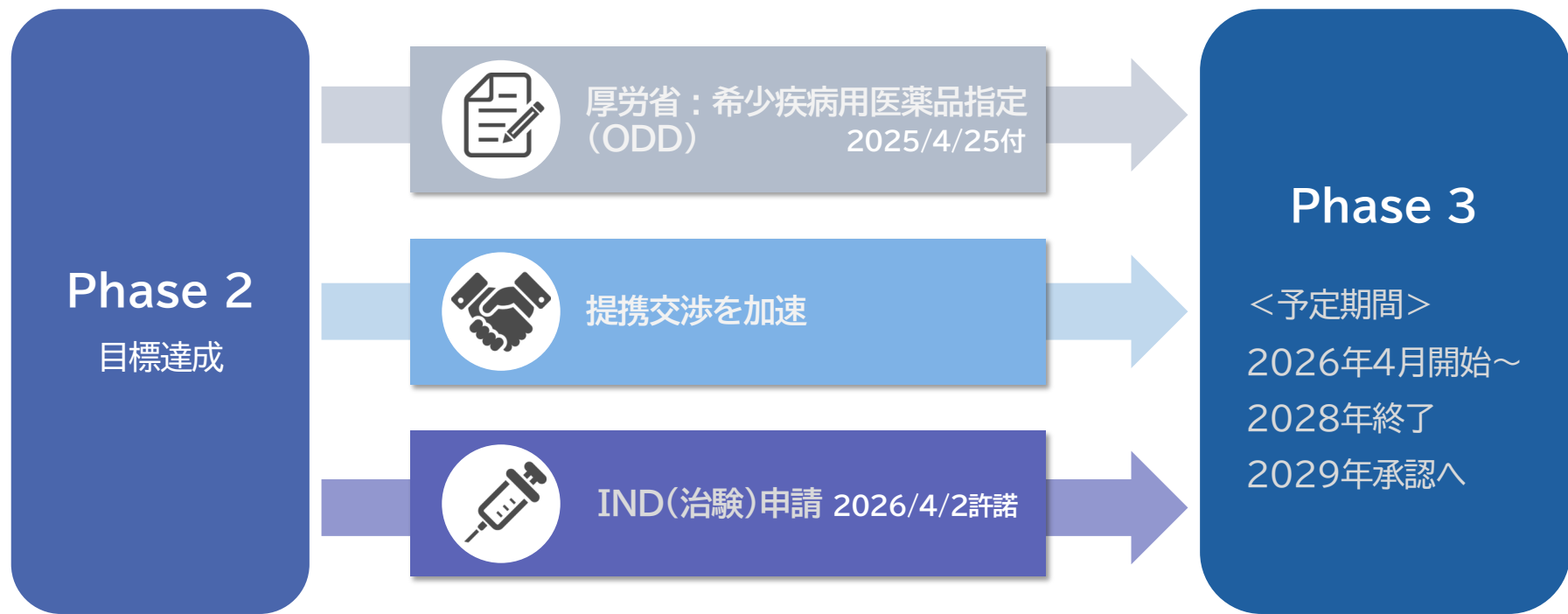
# Phase 2 試験の PK シミュレーション

- Phase 1 試験 24症例の投与における薬物濃度データを用いてPhase 2試験データのシミュレーションを実施
- 投与開始より概ね4週間で $C_{max}$ 、AUCが定常状態に達する

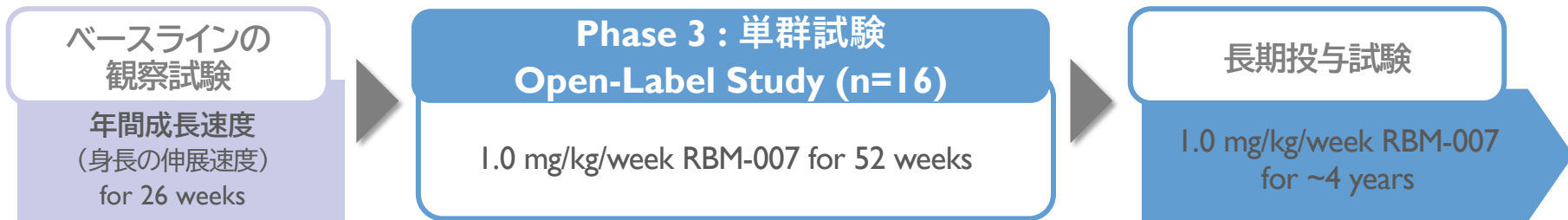


	成長速度増加率 (AHV)	定常状態の $C_{max}$ (ng/mL)	定常状態の $AUC_{0\sim 336\text{ h}}$ (ng·h/mL)
Cohort 1(0.3mg/kg,w)	+1.5cm/y	2,349	592,989
Cohort 2(0.6mg/kg,biw)	+1.4cm/y	3,822	592,810
結論		$C_{max}$ はAHVに寄与しない	AUCがAHVに寄与する

## 今後の方針



# Phase 3 臨床試験デザイン



## 主な選択基準

- ・ 治験開始時の年齢が2~14歳の患者
- ・ 遺伝子診断により軟骨無形成症と診断されている患者

## 主要評価項目

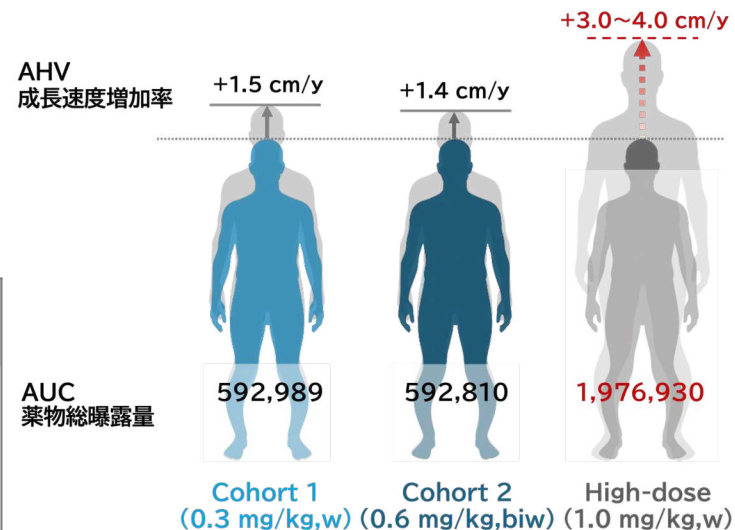
- ・ ベースラインからの年間身長伸展速度の変化量

# 高用量 (1mg/kg) 投与の PK シミュレーションと年間成長率の予測

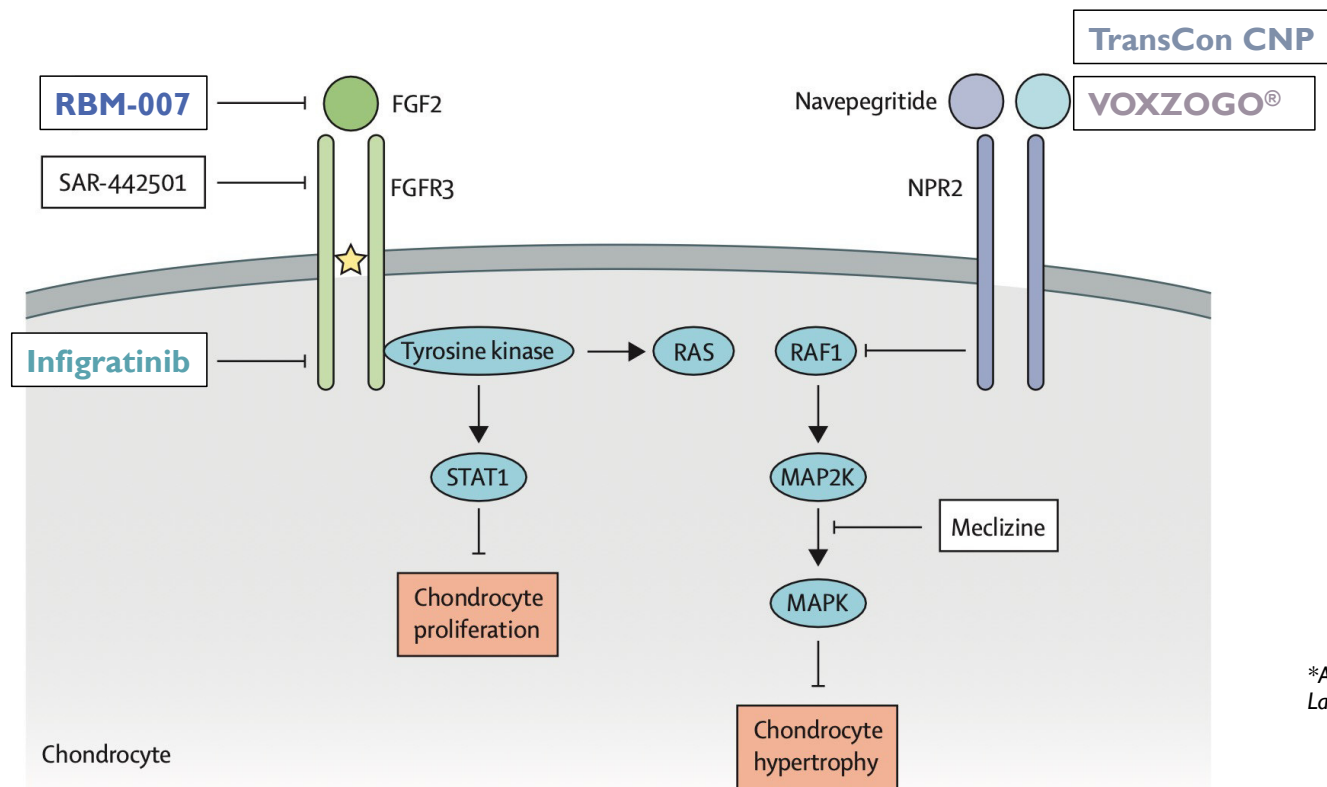
Best in Class の薬を目指して

- Phase 1 試験 24症例の投与における薬物濃度データを用いて Phase 2 試験データのシミュレーションを実施
  - 投与開始より概ね4週間で $C_{max}$ 、AUC(薬物総曝露量)が定常状態に達する
- 上記PK シミュレーションを元に高用量(1.0mg/kg,w)における年間成長率の予測を実施

	Growth Rate Increase (AHV)	Steady-state $C_{max}$ (ng/mL)	Steady-state $AUC_{0\sim336\text{h}}$ (ng·h/mL)
Cohort 1(0.3mg/kg,w)	+1.5 cm/y	2,349	592,989
Cohort 2(0.6mg/kg,biw)	+1.4 cm/y	3,822	592,810
High-dose (1.0mg/kg,w)	>+3.0~4.0 cm/y	7,831	1,976,930







# ACH治療薬の作用機序



\*Adopted from:  
*Lancet Child Adolesc Health* 2024; 8: 301–10

## 他社開発品との比較

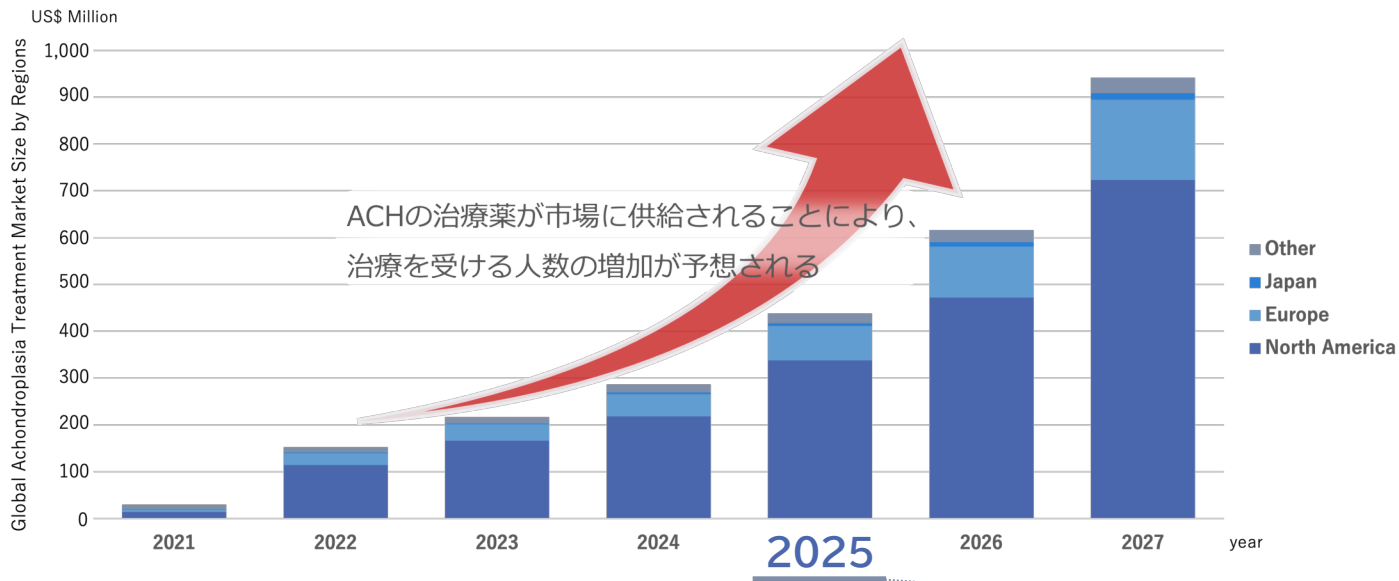
プロフィール	umedaptanib pegol	VOXZOGO®	Infigratinib	YUVIWEL® (TransCon CNP)
開発企業	RIBOMIC Inc. (Tokyo) 	BioMarin Pharmaceutical Inc. (CA) 	BridgeBio Pharma, Inc. (CA) 	Ascendis Pharma A/S (Denmark) 
医薬品	RNAアプタマー	CNPアナログ	低分子	徐放性CNPアナログ
作用機序	FGF2阻害(直接的)	MAPKシグナル阻害(間接的)	FGFR1-3チロシンキナーゼ阻害(直接的)	MAPKシグナル阻害(間接的)
開発ステージ	Phase III 開始	上市 (2022年)	Phase III 終了	FDA 承認 (2026年2月)
投与方法	皮下投与(1回/1 or 2週)	皮下投与(1回/日)	経口投与(1回/日)	皮下投与(1回/週)
身長伸展効果	<b>&gt; +2.0 cm/year</b> (Phase 3 予測値)	<b>+1.7 cm/year</b> (Launched*1)	<b>+1.7 cm/year</b> (Phase 3 *2)	<b>+1.5 cm/year</b> (Phase 3 *3)

\*1 BioMarin VOXZOGO® Phase 3 (NCT03197766) , <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03197766?tab=results>

\*2 [https://s205.q4cdn.com/224494602/files/doc\\_events/2026/Feb/12/Infigratinib-PROPEL3-Topline-results\\_Feb-2026-FINAL-FINAL.pdf](https://s205.q4cdn.com/224494602/files/doc_events/2026/Feb/12/Infigratinib-PROPEL3-Topline-results_Feb-2026-FINAL-FINAL.pdf)

\*3 <https://investors.ascendispharma.com/static-files/ac6e8fb8-8ab9-4c5c-b25c-14a90f766b48>

# 世界におけるACH治療薬の市場



\*Source: Secondary Sources, Expert Interviews and QYResearch, 2021

VOXZOGO®

2025年  
売上予測

\$900M  
~935M

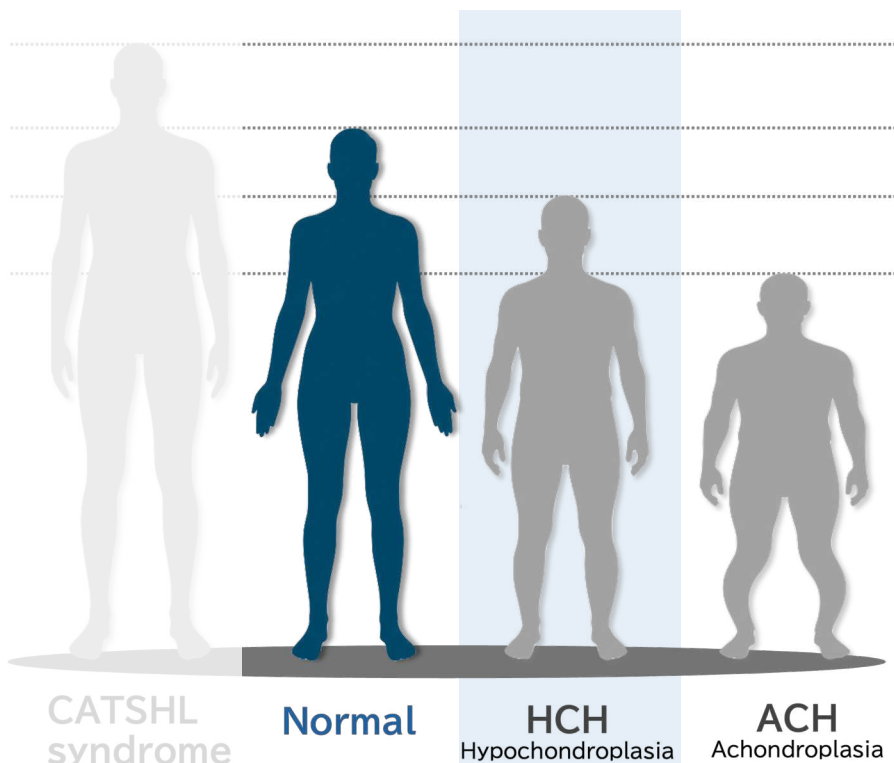


BioMarin社

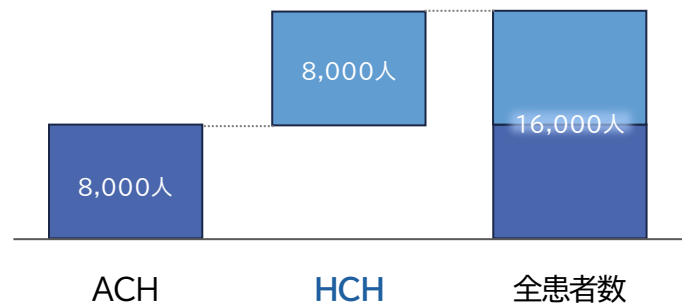
3Q 2025 Earnings

RIBOMIC

# ACH治療薬の適応拡大と市場規模拡大



## ● ACH治療薬が適応する患者数(米国と欧州)



## ● 軟骨低形成症(HCH, Hypochondroplasia)

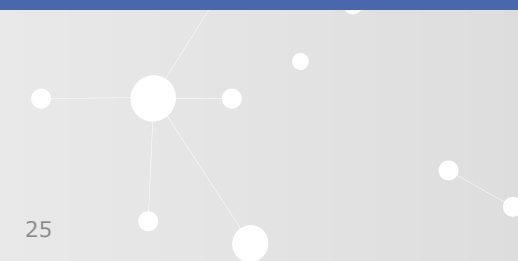
軟骨無形成症(ACH)と同様に手や足の短縮を伴う低身長となる遺伝性疾患ですが、ACHより程度は軽度です。FGFR3遺伝子におきた突然変異ですが、ACHとは場所が異なり、大半はN540Kの変異です。発症頻度はACHと同様(1/15,000~40,000)です。根本的な治療はなく、有効な治療薬の開発が求められています。

\*Cleveland Clinic. Hypochondroplasia, Michael B Bober, et al. Hypochondroplasia. GeneReviews Last Update May 7, 2020., US Census.gov. The U.S. Adult and Under-Age-18 Populations: 2020 Census, Eurostat Database等を元に弊社で作成



RBM-007

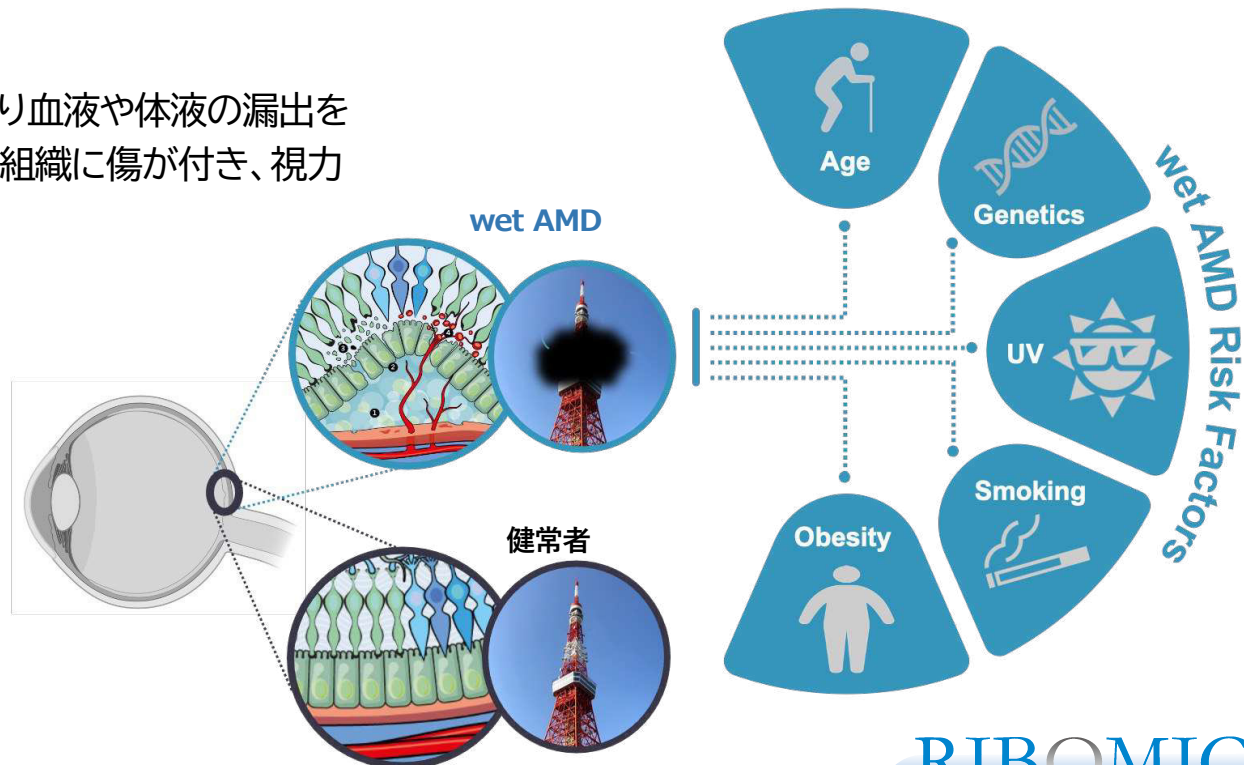
wet AMDに対する臨床POCを確認



# 滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD)

- **滲出型加齢黄斑変性とは**  
網膜の下に生じた新生血管により血液や体液の漏出を引き起こします。これにより黄斑組織に傷が付き、視力障害となります。

- **滲出型加齢黄斑変性の症状**  
物が歪んで見えたり、視野の中心部が暗く欠けて見えたりします。さらに網膜での瘢痕形成が進むと失明の原因になります。



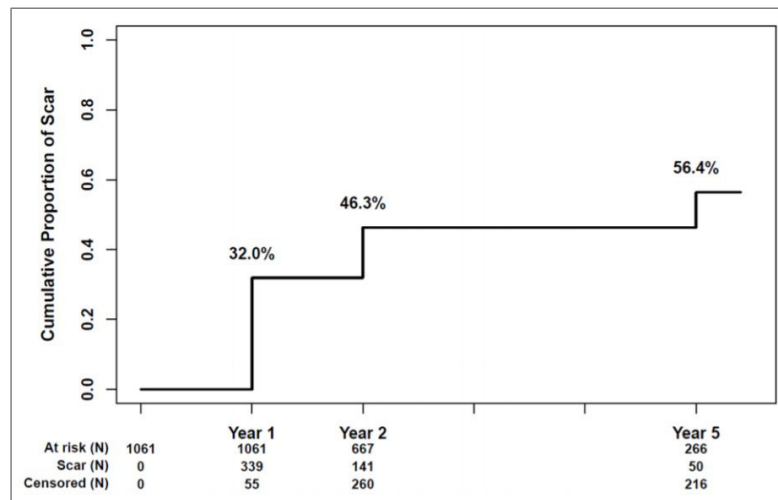
# 標準治療(抗VEGF薬)の Unmet Need

## 網膜の線維化(瘢痕形成)リスク

- In the CATT trial, it has been reported that approx. **60% of the eyes treated with anti-VEGF develop fibrotic scars and majority of scars develop** within the first year of treatment.\*1
- Additionally, it has been reported that about **25% of AMD patients respond poorly or not at all to anti-VEGFs**.\*2
- Anatomical findings predictors of therapy failure include subfoveal fibrosis, scar formation or atrophy in retina.

\*1. Daniel E, et al. Development and Course of Scars in the Comparison of Age-Related Macular Degeneration Treatments Trials. *Ophthalmology* 125(7):1037, 2018.

\*2. Zuber-laskawiec et al. Non-responsiveness and tachyphylaxis to anti-vascular endothelial growth factor treatment in naive patients with exudative age-related macular degeneration: *JPP* 2 2019, 70, 5, 779-785



### 標準治療における問題点

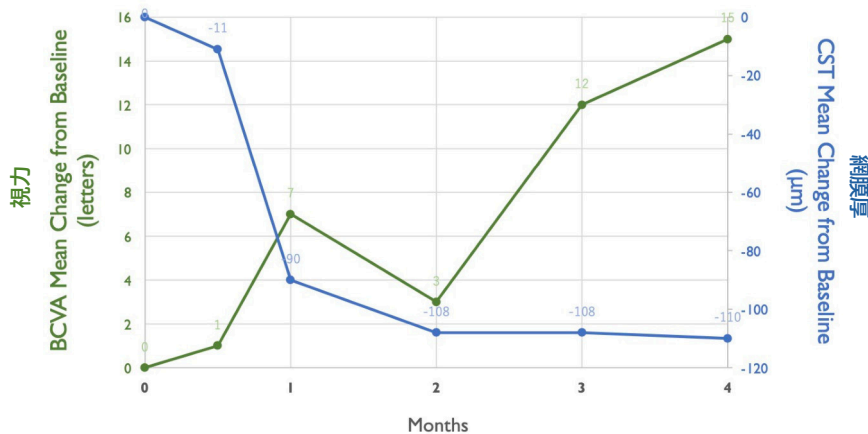
- 線維化(瘢痕形成)発生を予防できない
- 1/4の患者に無効

## 米国で実施した臨床試験の概要

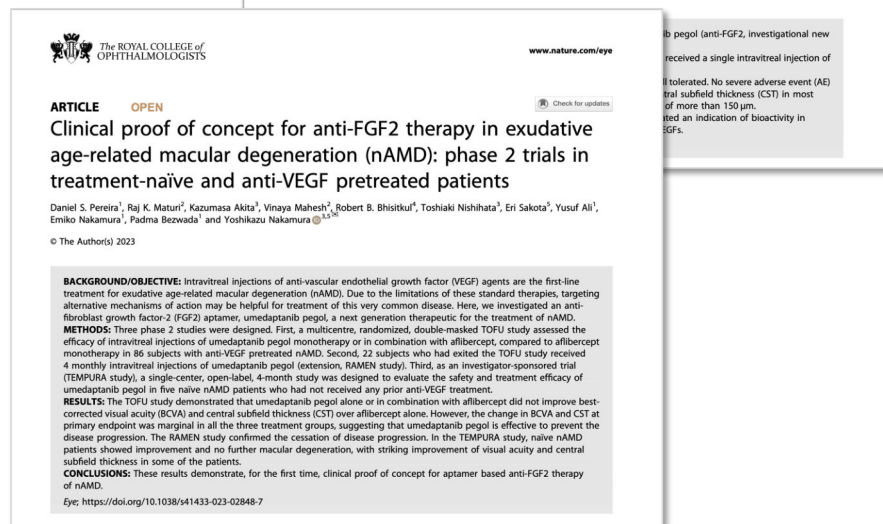
	Phase 1/2a SUSHI Study	Phase 2 TOFU Study	Phase 2 Extension RAMEN Study	Phase 2 IST TEMPURA Study
試験デザイン	単回硝子体内注射、3用量漸増	ランダム化二重盲検実薬(Eylea®)対照試験、毎月1回、4回硝子体内注射	毎月1回、4回硝子体内注射	毎月1回、3回硝子体内注射
被験者	抗VEGF薬で治療歴があり、完治しないwet AMD患者 9症例	抗VEGF薬で治療歴があり、完治しないwet AMD患者 86症例	TOFU Studyを完了したwet AMD患者 22症例	未治療のwet AMD患者 5症例
試験期間	2018年10月～2019年6月	2019年12月～2021年12月	2020年11月～2021年12月	2021年6月～2022年3月
試験実施施設	米国、4施設	米国、8施設	米国、8施設	米国、1施設
評価項目	<ul style="list-style-type: none"> <li>安全性および忍容性</li> <li>(視力と網膜厚の変化)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>安全性および忍容性</li> <li>視力と網膜厚の変化</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>視力の変化</li> <li>瘢痕化抑制効果</li> </ul>	視力と網膜厚の変化

# RBM-007 の臨床 POC(Proof of Concept)確立

- ▷ 抗VEGF標準治療患者で同等な視力回復(非劣性)
- ▷ 未治療患者において顕著な視力回復(治療効果)



未治療患者において網膜の瘢痕(線維化)抑制が  
確認できれば画期的な新薬になり得る



\*Phase 1 Eye: <https://doi.org/10.1038/s41433-023-02849-6>  
 Phase 2 Eye: <https://doi.org/10.1038/s41433-023-02848-7>

## 今後の方針

### wet AMDに対するP2までのデータ精査完了

- ✓ 米国にて、P2試験 完了
- ✓ 論文採択、臨床POC取得
- ✓ 未治療患者において顕著な視力回復

### 資金調達

- 提携パートナー候補との協議
- ライセンス・アウトあるいは共同開発契約の締結
- 機関投資家からの資金提供

### Phase 2b/Phase 3試験 の実施を計画

未治療患者における

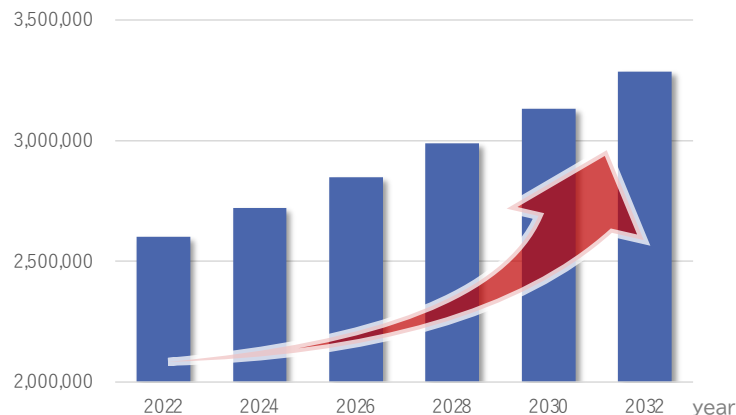
- 瘢痕化抑制
- 視力回復

瘢痕化抑制の機能を持つ

First-in-Classの新薬

# 世界におけるwet AMDの市場

## ▷ 主要国7カ国\*1のwet AMD患者数

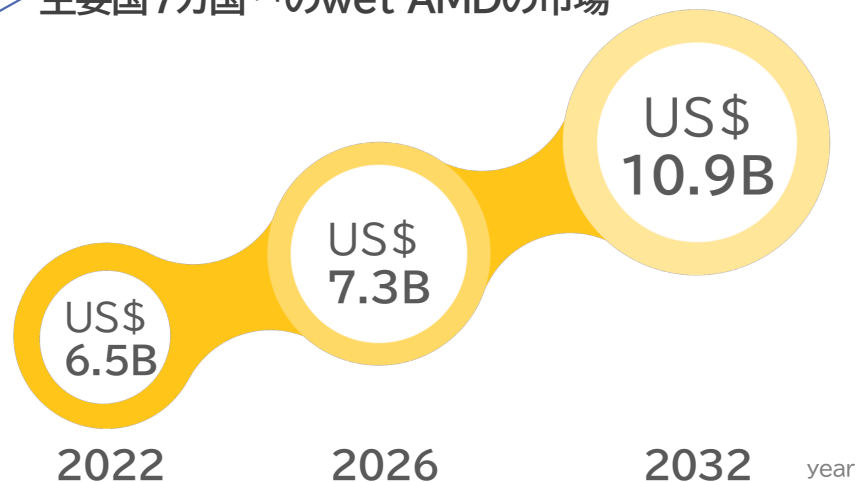


- 患者の開拓や先進国の高齢化により、患者数の増加による市場の拡大

\*1 日本、アメリカ、ドイツ、スペイン、イタリア、フランス、英国の患者数。

\*2 Citeline Datamonitor Healthcare, data as of May 20, 2024 こちらのデータを用い、当社にて作成。

## ▷ 主要国7カ国\*1のwet AMDの市場

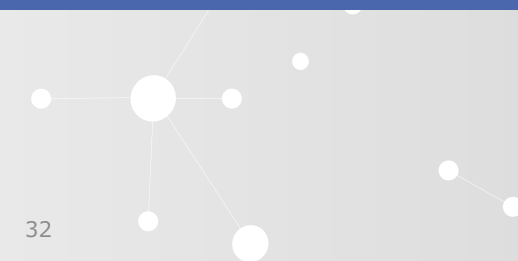


- 予測されていたVEGF薬のpatent cliffによる市場の落ち込みは起きなかった
- 高用量化やバイスペシフィック化合物等が新しい市場を形成し、市場が拡大



RBM-007 適応拡大

糖尿病黄斑浮腫（DME）に対する非臨床POCを確認



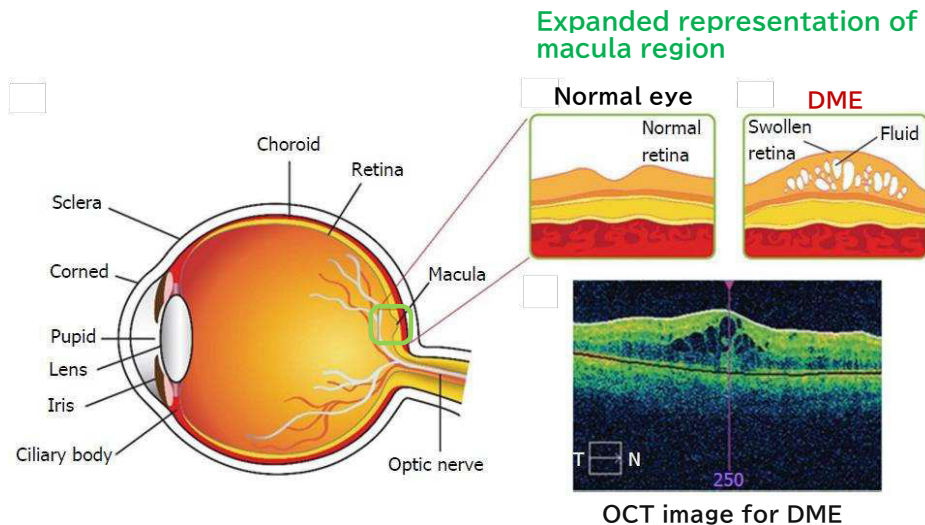
# 糖尿病黄斑浮腫(DME, Diabetic Macular Edema)

## ● 糖尿病黄斑浮腫とは

糖尿病網膜症に含まれ、変視症や視力低下の原因となる合併症です。糖尿病を起因とし、網膜における細小血管障害を生じ、網膜内の黄斑に体液が漏れ出すことで発症します。

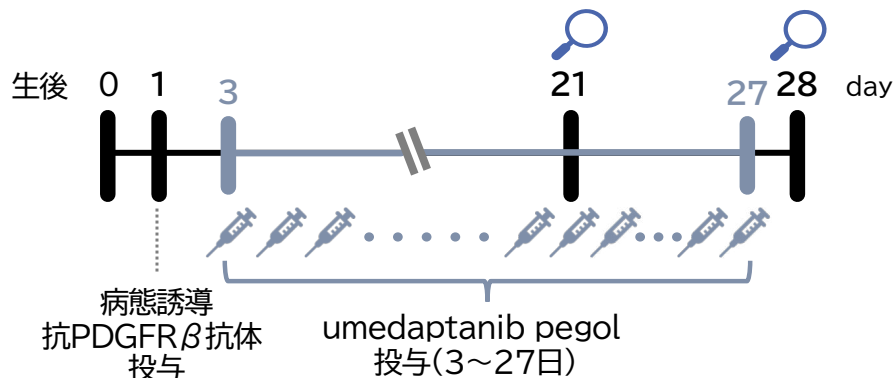
## ● 糖尿病黄斑浮腫の症状

糖尿病患者における視力障害の原因の一つですが、初期には自覚症状が出にくいです。視力低下や物が歪んで見えたり(変視)、視野の中心部が暗く欠けて見えたり等の症状が出た時には既に病状が進んでおります。



\*糖尿病網膜症診療ガイドライン(第1版), *World J Pharmacol* 5(1): 1-14, 2016. 等を参考に弊社で作成

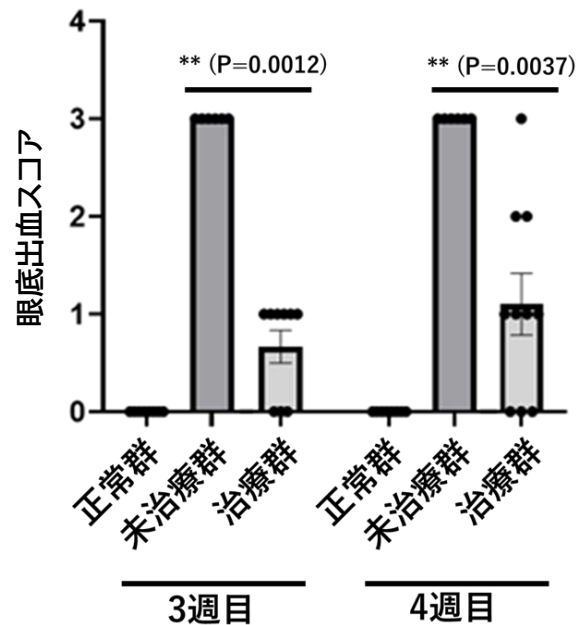
# 糖尿病網膜症モデルマウスにおける薬理試験



## 糖尿病網膜症モデルマウス



糖尿病網膜症では、網膜血管を取り巻くペリサイト(周皮細胞)の脱落がしばしば観察され、これが血液網膜関門の破綻や微小血管障害、眼底出血の原因となる。今回の抗PDGFR $\beta$ 抗体を用いたマウス糖尿病網膜症モデルでは、網膜血管内皮を取り巻くペリサイトが脱落することにより、血液網膜関門の破綻と眼底出血を引き起こす病態が再現される。

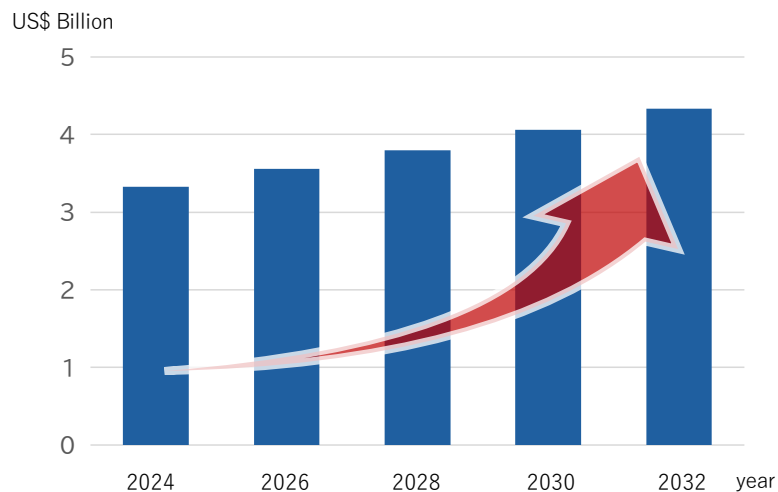


\*2025年9月特許出願済

Umedaptanib pegolは糖尿病網膜症モデルマウスにおいて優れた薬理効果を示す

# 世界におけるDMEの市場

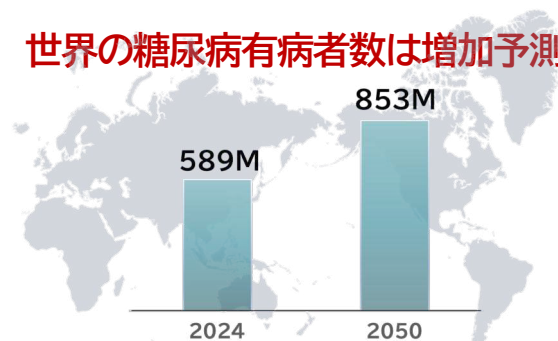
## ▷ 全世界でのDMEの市場規模\*1



## ▷ 糖尿病患者の10人に1人がDMEを発症\*2



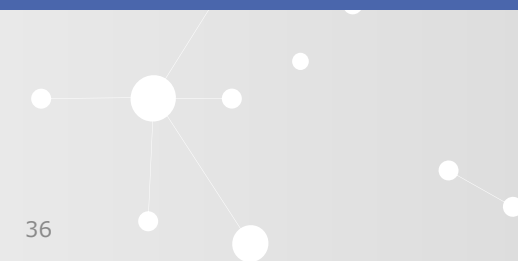
世界の糖尿病有病者数は増加予測





# RBM-006（抗オートタキシン アプタマー）

～網膜疾患に新たな治療法を求めて～



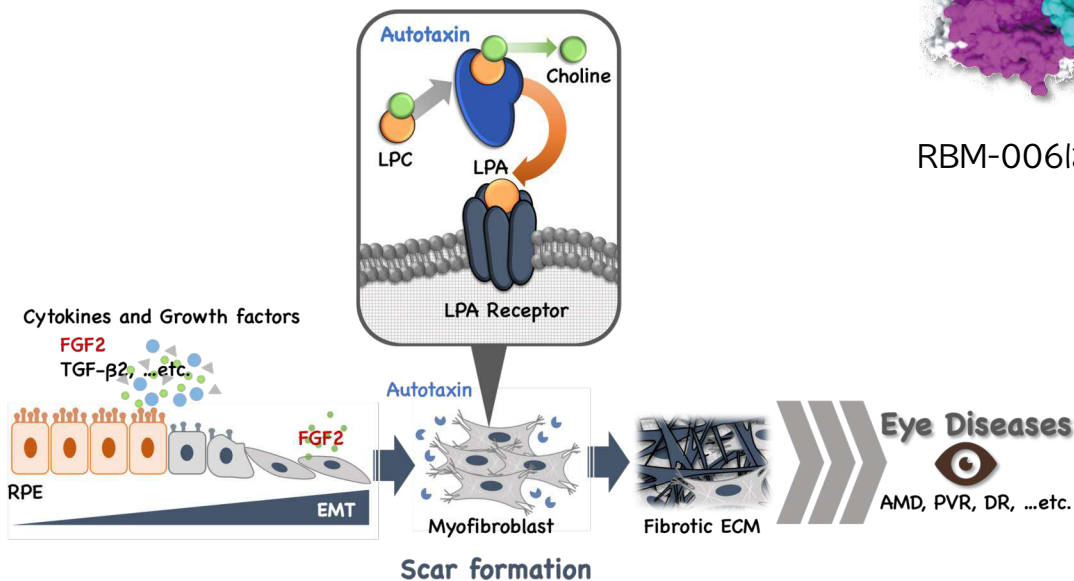
# RBM-006 (抗Autotaxin アプタマー)

## Autotaxin と RBM-006 について

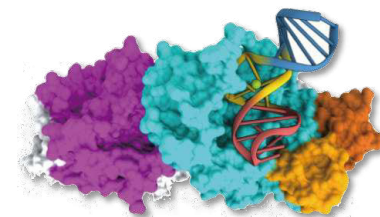
### ● Autotaxin(ATX)

リン脂質代謝酵素で、LPC → LPA を産生する

LPA は生体の機能維持に働く重要な脂質メディエーター



### ● RBM-006



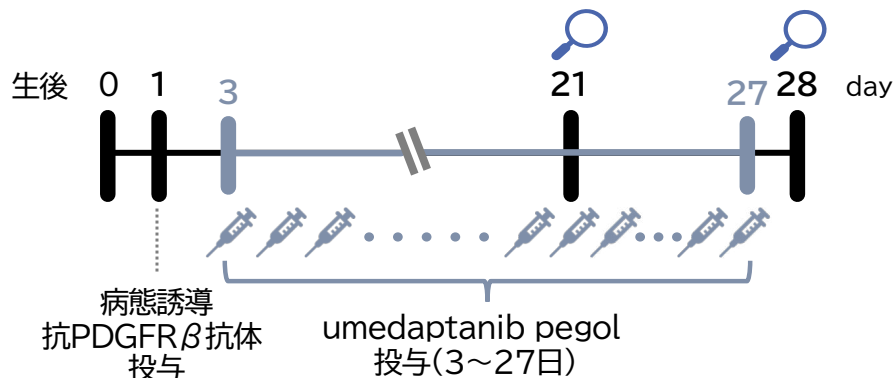
2.0 Å crystal structure of the autotaxin/AX3 complex  
Collaboration with Osamu Nureki's laboratory  
Kato et al., *Nature Str. Mol. Biol.*, 23: 395-401, 2016

RBM-006は対象疾患を増殖性硝子体網膜症(PVR)とし、開発中

### PVR適応のコンセプト

- PVRはRPE細胞やグリア細胞の活性化により線維原性の増殖膜が形成され、牽引性網膜剥離に伴う重篤な視力障害に繋がる疾患である。
- ATX阻害剤はRhoA経路、IL-6、ET-1、CTGF等の線維化因子の発現抑制によって抗線維化作用を示すと想定される。

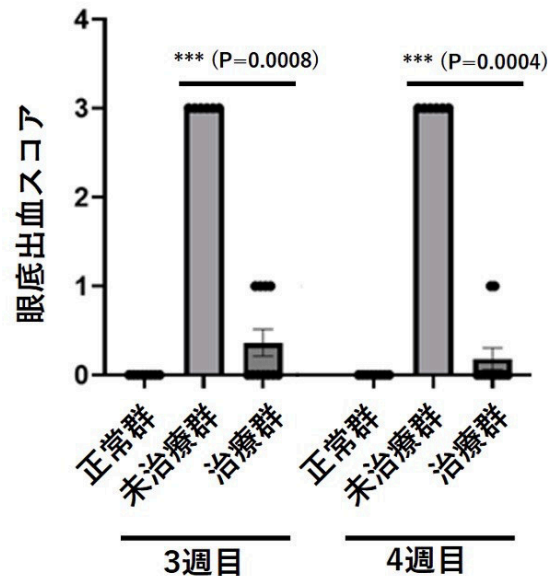
# 糖尿病網膜症モデルマウスにおける薬理試験



## 糖尿病網膜症モデルマウス



糖尿病網膜症では、網膜血管を取り巻くペリサイト(周皮細胞)の脱落がしばしば観察され、これが血液網膜関門の破綻や微小血管障害、眼底出血の原因となる。今回の抗PDGFR $\beta$ 抗体を用いたマウス糖尿病網膜症モデルでは、網膜血管内皮を取り巻くペリサイトが脱落することにより、血液網膜関門の破綻と眼底出血を引き起こす病態が再現される。

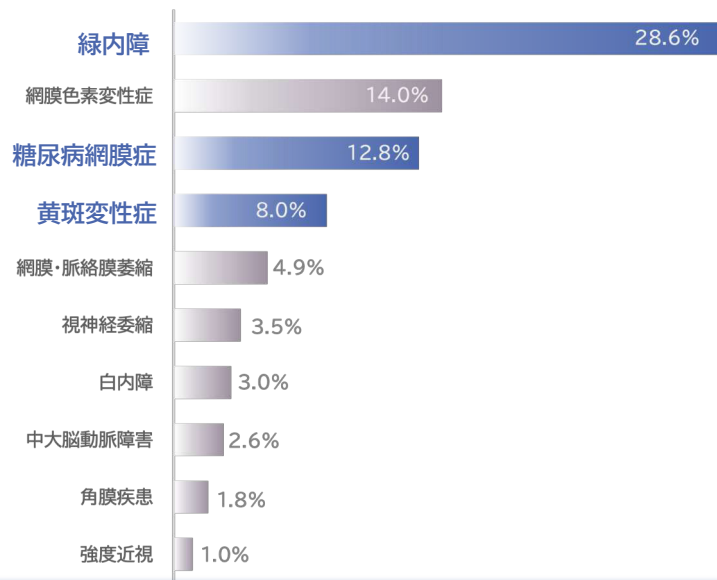


RBM-006は糖尿病網膜症モデルマウスにおいて優れた薬理効果を示す

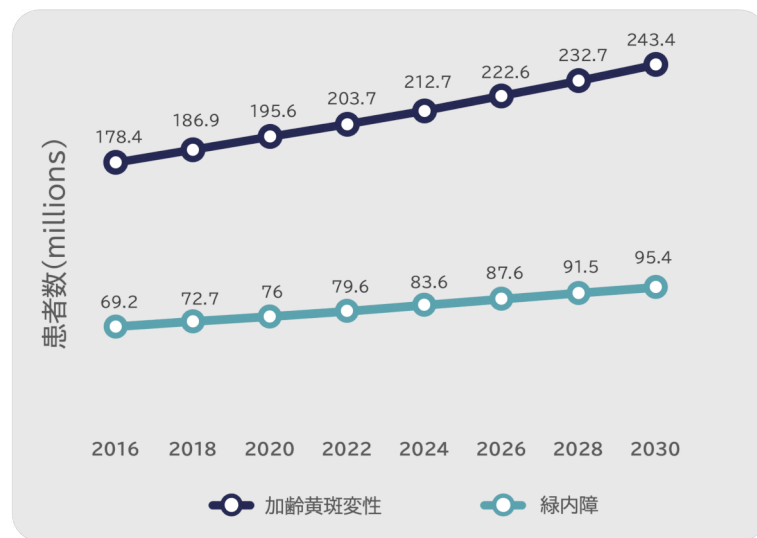
\*2026年1月特許出願済

# 拡大する網膜疾患の市場

## ● 日本における視覚障害原因\*1



## ● 全世界における加齢黄斑変性と緑内障の患者数\*2



緑内障、糖尿病網膜症、黄斑変性は加齢が重要なリスク因子であり、世界的にも視力障害の患者数が加齢に伴い増加傾向

# RBMアプタマーの網膜疾患への適応

		眼科疾患で予測される作用機序			適応可能な網膜疾患
		血管新生抑制	線維化抑制	炎症抑制	
<b>RBM-007</b> (抗FGF2 アプタマー)	血管新生、線維芽細胞増殖・遊走を誘導するFGF2阻害剤	○	○		wet AMD(P2終了) PDR、PVR
<b>RBM-006</b> (抗Autotaxin アプタマー)	組織の線維化、マクロファージやグリアの活性化を誘導するリゾホスファチジン酸の産生酵素Autotaxin阻害剤		○	○	PDR、PVR、 Glaucoma
<b>RBM-011</b> (抗IL-21 アプタマー)	炎症性サイトカインであるIL-21阻害剤			○	Glaucoma
<b>RBM-008</b> (抗Periostin アプタマー)	血管新生、組織の線維化を誘導するPeriostin阻害剤	○	○		wet AMD、PDR、 PVR

東京大学医学部眼科学教室と包括的共同研究契約の締結(2024.7)

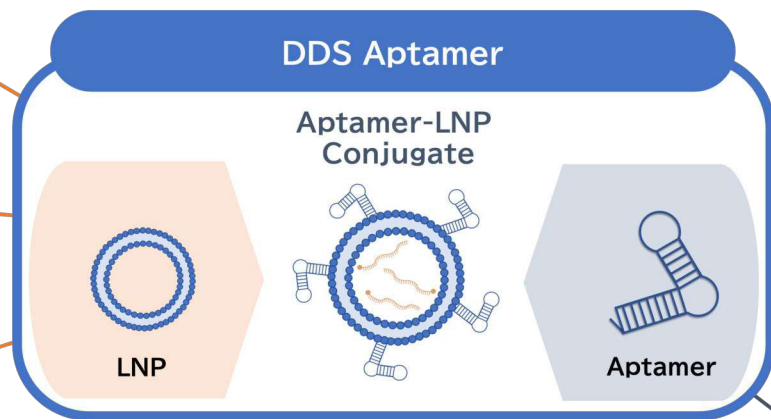


# DDS(薬物送達)アプタマーシステムの構築

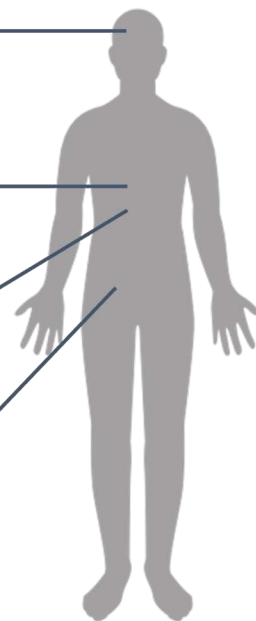
# 新規DDSアプタマー技術開発の進捗

## アプタマー-LNP(修飾脂質ナノ粒子)

Encapsulated  
Drugs



Target



- 完全化学合成 : 抗体に比べ、化学修飾や分析が容易
- 組合せ自由 : LNPに入れる薬剤、体内ターゲットのアプタマーを自由自在に作製可能

\*2025年7月  
特許出願済

RIBOMIC

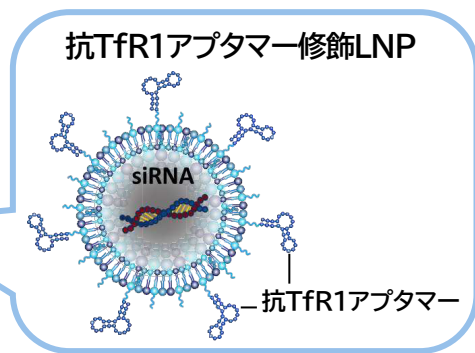
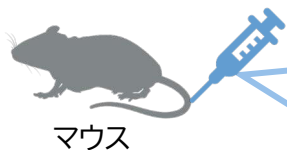
# 抗トランスフェリン受容体1(TfR1)アプタマー修飾LNP *in vivo*試験

## ～主要臓器別評価～

### トランスフェリン受容体1(TfR1)

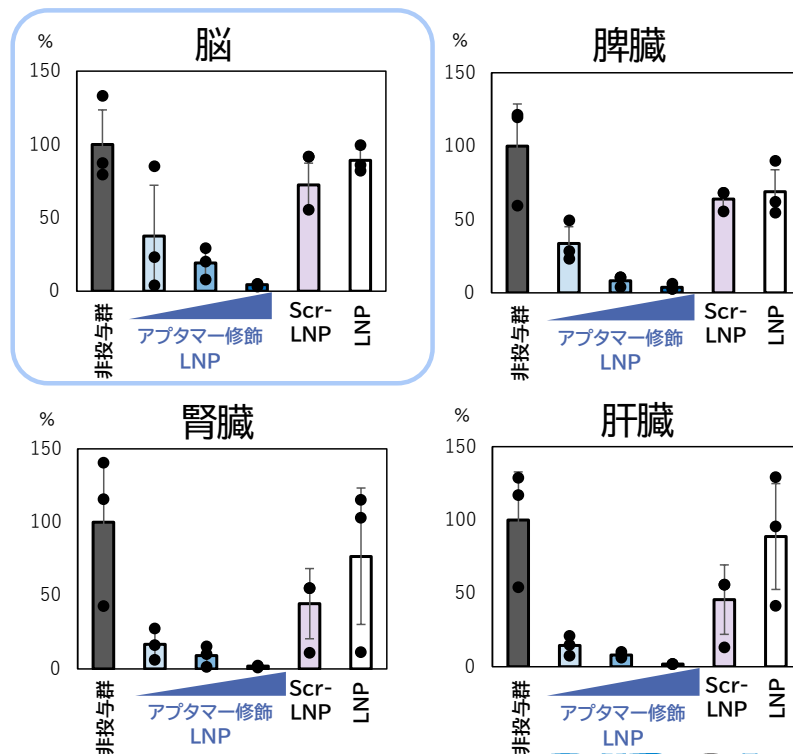
細胞が鉄を取り込むための受容体であり、脳の血管にも発現している。そのため、血液脳関門(BBB)を介して脳へ物質(医薬品)を輸送する手段として各企業が開発に取り組んでいる。

### 各臓器での薬効を評価



脳への核酸医薬品送達を確認

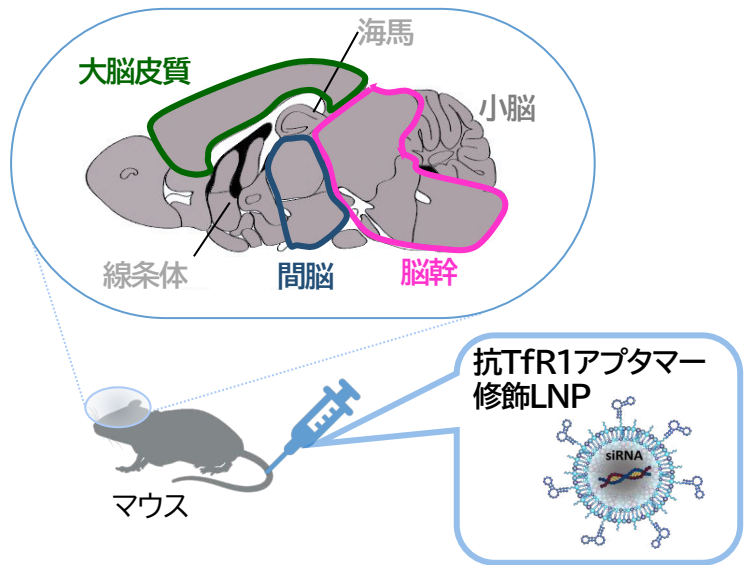
- LNPに梱包したsiRNAより阻害された相対的なmRNA量



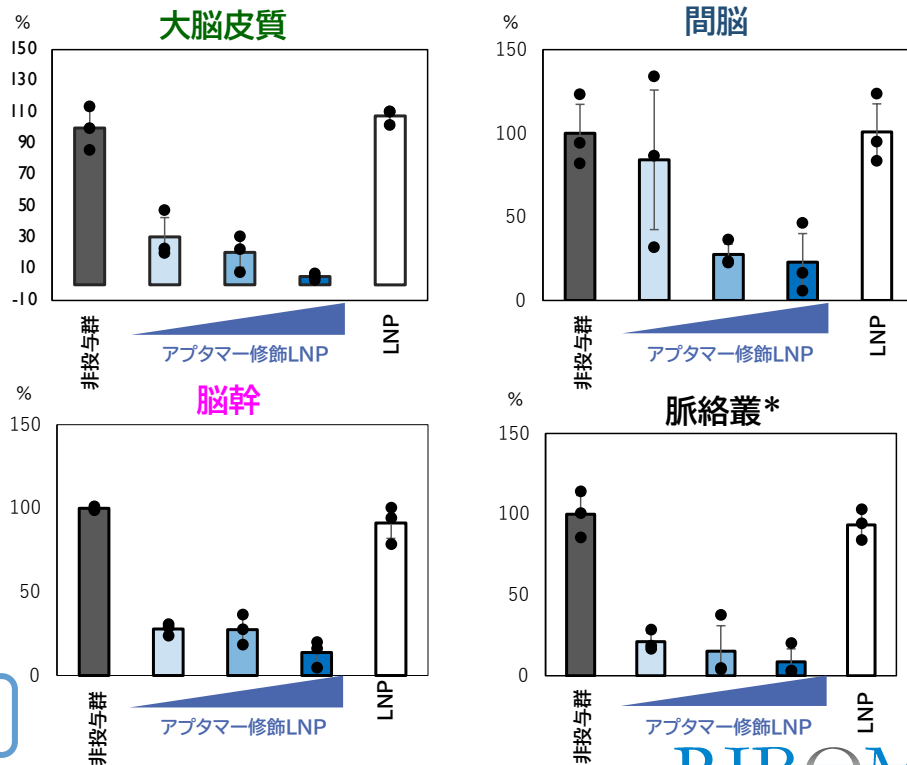
# 抗トランスフェリン受容体1(TfR1)アプタマー修飾LNP *in vivo*試験

～脳部位別評価～

脳部位での薬効を評価



● LNPに梱包したsiRNAより阻害された相対的なmRNA量



\* 神経細胞を含まず血管と特殊な細胞からなる組織

# 創薬支援事業：DDSアプタマーシステム

## DDS Aptamer



### プラットフォーム 技術の開発

- ターゲットのアプタマーを創製
- 運びたい薬剤(LNP、siRNA、低分子薬 等)を調整
- 取得したアプタマーと薬剤の複合体を作成



### デリバリーの実証

- 動物実験で体内動態を確認
- ターゲット先での薬効を確認

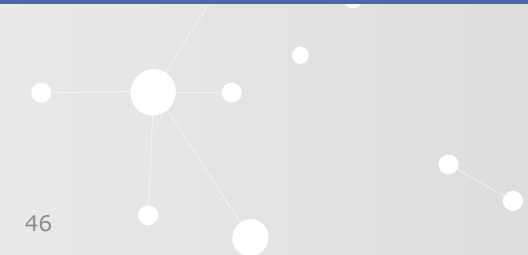


### 企業と提携

- 複数の企業と提携
- 創薬支援事業は初期段階で複数契約が可能(収益拡大)



# Vision 2030



# 事業の差別化と収益構造



## 創薬事業

### 自社開発

アプタマーを用いた疾患  
に対する創薬開発

自社で開発したアプタマーを用いた  
疾患に対する新規医薬品候補を  
製薬企業へ導出

医薬品候補の導出のため **高価**

(契約一時金、マイルストーン、ロイヤリティ)



### 目的

### ビジネス モデル

### 収益 モデル



## 創薬支援事業

### 受託事業

アプタマーを用いた  
技術の提供

企業や研究施設等からの要望を元に  
アプタマーやアプタマー-DDS等の  
技術の提供

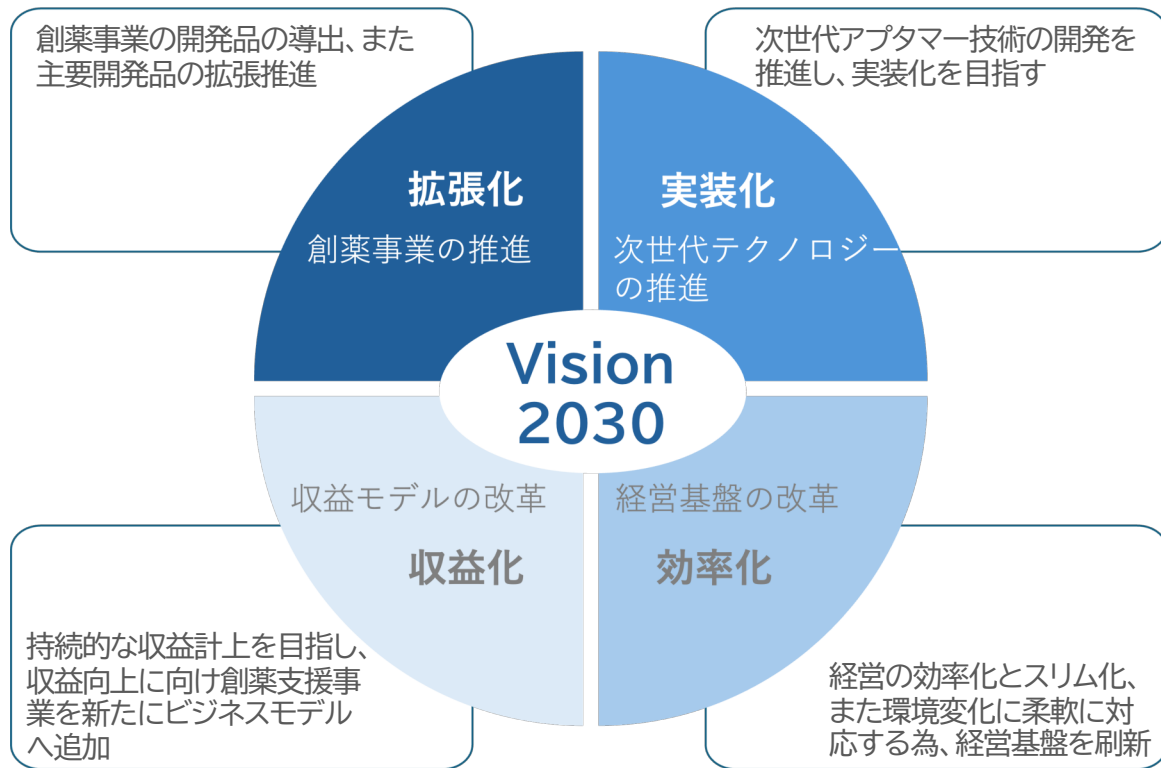
基礎研究からの技術提供のため **安価**

(契約一時金が主体になるが、企業の契約数を  
増やす等で**持続可能な収益**を得られる)

**x N**

# Vision 2030

～持続的に事業収益を計上できる創薬企業へ進化～



# 本日の内容

- 事業の進捗
- 2026年3月期 決算

# 損益計算書の概要

(単位:百万円)

	2026年3月期	2025年3月期	前年度比 増減額	主な増減要因
事業収益	3	2	1	2025年3月期：アプタマー販売 2026年3月期：DDSの技術提供
営業利益	▲1,207	▲1,050	▲156	研究開発費の増加 136百万円 一般管理費の増加 21百万円
営業外収益	82	40	41	助成金 22百万円 東大共同研究返還金 11百万円 資金運用利息等 8百万円
経常利益	▲1,138	▲1,014	▲123	
当期利益	▲1,145	▲1,018	▲126	
研究開発費	803	667	136	RBM-007(ACH) 64百万円 RBM-006 97百万円

- DDS技術の開発に伴う、共同研究収入を計上
- ACHの第2相試験完了・第3相準備開始による費用増やRBM-006の非臨床試験の実施に伴い研究開発費は136百万円増加、当期純損失は126百万円増加し、▲1,145百万円

## 貸借対照表の概要

(単位：百万円)

		2026年3月末	2025年3月末	前年度末比 増減額	主な増減要因
流動資産	流動資産	2,928	3,147	▲219	現預金 + 90百万円 有価証券 ▲300百万円
	固定資産	48	38	9	
	資産合計	2,976	3,185	▲209	
流動負債	流動負債	135	142	▲7	
	負債合計	135	142	▲7	
純資産合計		2,841	3,043	▲202	新株予約権の行使に伴う増加額 + 942百万円 当期純損失 ▲1,145百万円
負債・純資産合計		2,976	3,185	▲209	

- RBM-007(ACH)第3相臨床試験を主目的とした第18回乃至第20回新株予約権のうち第18回新株予約権の行使が完了し、9.2億円を調達。
- 軟骨無形成症を含む研究開発に必要な資金27億円以上を保有。

## 公的研究助成金

助成機関名	事業名	研究開発課題名	研究開発予定期間	2025年度 受取額
NEDO	量子・古典ハイブリッド技術のサイバー・フィジカル開発事業	量子・AI技術創薬	2023～2025年度	21.3百万円※1
NIBN	希少疾病用医薬品の試験研究※2	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症	2025～2029年度 単年契約	39.1百万円
合計				60.4百万円

※1 2025年度末日において、未受領の助成金額(約2.3百万円)につきましては、2026年度に実施される確定検査後に受取を予定しております。

※2 2025年5月30日、当社ACH治療薬RBM-007(umedaptanib pegol)が厚生労働省が定める希少疾病用医薬品に指定されました。それに伴い、新規助成金を獲得しております。希少疾病用医薬品等の大臣指定日(2025年5月30日)から製造販売申請年度末までの原則最大3事業年度を上限とし、助成金額は助成対象経費の最大1/2相当額が限度で、事業年度毎に決定されます。

# 資金調達

## 第三者割当による第18回新株予約権乃至第20回新株予約権(行使価額修正条項付)の発行及び買取契約の締結(2025年7月23日決議)

### 概要

割当日	2025年8月8日
発行株式数	31,500,000株(315,000個 潜在希薄化率 70.6%※1) (18回…9,500,000株、19回・20回…各11,000,000株)
行使期間	2025年8月12日～2028年1月31日
資金調達の額	総額34億2千万円(当初行使価額109円)
割当先	EVO FUND
買取契約	行使コミット条項※2、行使停止指定条項
資金用途	<ul style="list-style-type: none"><li>RBM-007(umedaptanib pegol)を用いたACHに対するPhase 3を実施する費用</li><li>運転資金</li></ul>

※1 本新株予約権は原則として約2年6ヵ月間にわたって段階的に行使される予定であるため、かかる希薄化は一度に生じるものではありません。

※2 各回号すべてに、期間内に各回号の新株予約権をすべて行使する条項を設けております。

### 2026年3月末日までの行使状況

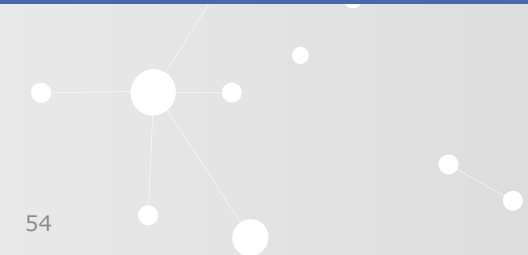
行使済株式数	9,500,000株
資金調達額	約9.2億円
未行使残高	22,000,000株 (19回・20回…各11,000,000株)

### コミット期間

第18回	2025年8月12日～2025年12月30日 完了
第19回	2026年4月1日～2026年12月30日
第20回	2027年4月1日～2027年12月31日



# 2026年3月期 成果発表



# 2026年3月期 国際・国内学会 発表

- **The 21<sup>st</sup> OTS (Oligonucleotide Therapeutics Society) Annual Meeting**  
Date : Oct 19-22, 2025 (Budapest, Hungary)  
Presenter : Yoshikazu Nakamura  
Title : Anti-FGF2 Aptamer Therapy in Achondroplasia
- **Keystone Symposia on Nucleic Acid Therapeutics and Targeted Delivery**  
Date : March 9-12, 2026 (Banff, Canada)  
Presenter : Yoshikazu Nakamura  
Title : Anti-FGF2 Aptamer Therapy in Achondroplasia
- **Aptamers 2026**  
Date : March 23-24, 2026 (Oxford, UK)  
Presenter : Tatsuo Adachi  
Title : Development of nucleic acid drug delivery systems using aptamers
- **日本核酸医薬学会 第10回年会**  
日程 : 2025年7月1-3日  
発表者 : 高橋 理貴  
形式 : 口頭発表  
タイトル : アプタマー修飾LNPを用いた核酸医薬品のデリバリーシステム開発
- **第17回 次世代モダリティセミナー ～核酸アプタマー医薬品の可能性～ (関西医薬品協会主催)**  
日程 : 2026年2月20日  
発表者 : 中村 義一  
形式 : 依頼講演  
タイトル : アプタマー創薬の発展
- **日本化学会 第106春季年会**  
日程 : 2026年3月17-20日  
発表者 : 安達 健朗  
形式 : 依頼講演  
タイトル : アプタマーを用いた核酸医薬品のデリバリーシステム開発

## 2026年3月期 論文発表

- **AIを利用したアプタマー創成技術の開発**

論文名: RaptScore: a large language model-based algorithm for versatile aptamer evaluation

学術誌: Nucleic Acids Research, Volume 54, Issue 2, 27 January 2026

(早稲田大学理工学術院浜田道昭教授との共同研究成果)

- **感染症に対する新規DDSアプタマー創製**

論文名: Generation of RNA aptamers against chikungunya virus E2 envelope protein

学術誌: J Virology, 10 February (2025)

(東京大学医科学研究所「RNA医科学」社会連携講座との共同研究成果)

- **免疫応答に対する制御性アプタマーの開発**

論文名: Refined modulation of natural killer cells by transforming growth factor- $\beta$  isoforms

学術誌: Genes to Cells, 31(2):e70094 (2026)

(東京大学医科学研究所「RNA医科学」社会連携講座との共同研究成果)

# 2026年3月期 IR活動

- 個人投資家向け会社説明会「バイオ IR Day」  
（日本証券新聞主催）  
日程：2026年2月26日  
発表者：中村 義一  
会場：朝日生命ホール(大阪府大阪市)

- 「皆様からのQ&A」運用方法の変更

情報開示の透明性向上及びステークホルダーの皆さまへの情報提供の充実を目的として、「皆様からのQ&A」の運用方法を見直し、フェアディスクロージャーの観点から、皆さまから頂戴したご質問に対する当社の回答は、原則として毎週月曜日に当社ホームページ「皆様からのQ&A」に掲載

皆様からのQ&A : <https://www.ribomic.com/ir/faq.php>

## 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。



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

Contact information : [info@ribomic.com](mailto:info@ribomic.com)