

2025 年 11 月 26 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：4 5 9 1 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>

2026 年 3 月期第 2 四半期（中間期）決算説明会（質疑応答）

2026 年 11 月 18 日（火）開催のアナリスト・機関投資家向け 2026 年 3 月期第 2 四半期（中間期）決算説明会における質疑応答並びに、その後公表した説明会資料、動画に対してお問い合わせいただきました内容について回答をいたします。

1. ACH について

質問	回答
今後予定している第 3 相臨床試験において、週 1 回の皮下投与における投与薬剤量を 1mg/kg に増量することとを計画しているとのことだが、安全性に懸念がないのであれば、より増量するとか、投与期間を隔週にしたうえで投与薬剤量を 2mg/kg またはそれ以上に増量するとかいった計画はしないのか。	第 2 相臨床試験では 0.3 mg/kg 毎週、または 0.6 mg/kg 隔週を投与条件とした有効性及び安全性を評価しておりますが、この投与条件で安全性に懸念がない場合におきましても、2 mg/kg のような過剰用量が容易に許容されるものではなく、引き続き被験者の安全性に配慮して臨床試験を実施する必要がございます。現時点で得られております品質試験、非臨床試験及び臨床試験データに基づきまして、第 3 相臨床試験では、RBM-007 の有効性、安全性及び治験実現可能性を踏まえた最適な投与条件としまして、用量 1 mg/kg を計画しております。
ACH の患者様への投与は 2 年・3 年という長期の投与になると思うが、阻害剤の長期投与ということになると、耐性の問題が発生する場合がありますと認識している。他の CNP アナログとかは耐性の問題が発生するが、アプタマーは発生しないというのはどういうことなのか。	基本的に RNA に対する耐性というのは学術上知られておりません。一方で RBM-007 には PEG を付けており、PEG に対する免疫性が出てくる可能性はございます。 小児では PEG に曝露される機会が少なく、予め PEG 抗体を有する頻度は小さいと考えられますが、長期試験で PEG が付いた RBM-007 が体内に入ってくると耐性が出てくるという可能性は否定できません。長期試験の 2 年目においても効き目が落ちてきているという兆候はみられておりませんので、今のところは耐性の心配はしておりません。

動物試験で容量依存性を確認していると IR の資料で見ましたが、容量を倍にすると動物試験でどれくらい骨の成長性が確認できたのかを教えてください。	論文で発表しているデータ・していないデータございますが、TG マウスで試験をした結果で、試験範囲内で用量を倍にすると 2 倍伸びるというデータが取れております。そのため人に外挿しても充分伸びが良くなると考えております。
--	---

2. wet AMD について

質問	回答
今回の決算説明会動画で、「場合によっては wet AMD ではなく DME に展開するということも考えている」との発言があった。 wet AMD の事業提携活動がうまく進んでおらず、開発が困難と考えているのか。どのような理由でこのような発言をしたのか。	眼科領域における開発戦略を検討する際、以下のような科学的・臨床的な観点を踏まえております。 ①wet AMD では線維化の評価が重要ですが、この評価には比較的長期間の臨床試験が必要となるため、開発上のハードルの一つになっております。②これに対して、DME では評価方法が確立されており、比較的短期間の試験で有効性を確認できる可能性が高いと考えております。③米国で実施した Phase 2 試験において、RBM-007 の硝子体内投与の安全性と薬効が確立していることから、同様な投与方法を用いる DME の治療においても、直ちに第 2 相臨床試験を開始することが可能と考えております。④また、DME に対しては抗 VEGF 薬が使われるようになっていますが、その効果は限定的なため、依然として Unmet Needs として、新薬の開発が望まれております。⑤このため、RBM-007 の眼科疾患における開発方向性として、DME にも大きなチャンスがあると判断しております。 さらに、眼科疾患では一つの開発品目が wet AMD や DME 等の複数の適応を獲得する可能性があることから、複数のインディケーションを有することは導出交渉においてポジティブに受け止められる傾向があり、DME における開発可能性を示すことが wet AMD の導出促進にもつながると考えております。 従って、今回の発言は「wet AMD を諦める」という意味ではなく、眼科領域での開発ポテンシャルを最大化するために、DME という追加の選択肢を検討している」という前向きな戦略的意図によるものでございます。

3. 事業開発について

質問	回答
2024 年 3 月期決算説明会質疑応答の中で、「ACH については前期第 II 相試験を実施中だが、その結果を待たずして導入を希望している海外企業が 2 社あり、彼らと秘密保持契約を締結してライセンス協議を進めている。wet AMD については海外企業 2 社と現在秘密保持契約のもとで提携協議を進めている。」と回答し、あれから 1 年半経過しているにもかかわらず、未だにライセンス契約や提携等に関するアナウンスがない。現状、ACH や wet AMD の提携やライセンス契約交渉の進捗はどのようなになっているのか。	ACH に関しては、国内企業を含め、複数の候補先から関心を示していただいております。現在も情報共有を続けながら交渉を進めております。一部の企業からは、第 3 相臨床試験の結果を確認したいとの意見もありますが、当社としては他剤と比較した際の当社の薬剤の優位性を強調しつつ、オプション契約も含め早期の提携を図りたいと考えております。 wet AMD に関しては、この 1 年サウジアラビアの KAIMRC との提携を中心に進めて参りましたが、残念ながら進展しておりません。今回 DME への適応拡大可能性などのアップデートもあったことから、他の候補先を含め、引き続き、導出活動を継続しております。
サウジアラビア事業に関して今回の決算説明会動画では、全く触れられていなかった。2025 年 3 月期第 2 四半期（中間期）決算説明会質疑応答の中で、MOU について、①アプタマーの技術移転、②臨床試験をサウジアラビアで行うという 2 つの可能性の回答があったが、現状提携交渉はどのようなになっているのか。	サウジアラビアのキング・アブドラ国際医療研究センター（KAIMRC）との MOU に基づき、先方とこの 1 年間協議を続けて参りましたが、MOU の期限はこの度終了することとなりました。引き続き、MOU に関わらず、先方とは友好裡に協議を重ねていくことで合意しております。

4. 会社経営・財務について

質問	回答
今まで提携やライセンス契約に期待を持たせる発言をしておきながら、実現しないため株価は低迷。2026年にACH第3相臨床試験開始を予定しているとのことですが、株価が下落している中で、行使がうまく進まなかった場合、資金面で臨床計画に支障が生じるのではありませんか。	第18回新株予約権の行使につきましては足許まで比較的順調に行使が進んでおりますので2026年の第3相臨床試験の開始は問題ないと考えております。因みに、第18回新株予約権につきましては、12月末までに行使が完了するようコミットメント条項が付されております。 一方で、株価下落に伴い、第19回、並びに第20回新株予約権の行使が想定どおり進まない場合には、臨床試験に支障が出る懸念はあります。そうならないためにも一日でも早くグッドニュースを公表できるよう事業開発活動に尽力して参ります。
上場基準を満たすための狙いもあって早めの増資をしたという会社説明ですが、このまま株価の下落が進めば全額増資できたとして、上場基準を抵触する可能性がある。 現在のキャッシュ残高と今後の事業計画からすれば行使停止を決断して確実に上場基準の維持を狙うべきではないか。 そうした決断ができず、少しでもキャッシュを確保しておきたいということであれば、RBM-007の提携は金額を妥協してでも急ぐべきではないか。	現状の株価水準につきましては、大変ご心配をおかけしております。新株予約権の行使による資金調達と時価総額に与える影響につきましては、慎重に判断していきたいと考えております。ご指摘のとおり、RBM-007の導出活動を急ぐ必要があることは認識しており、オプション契約も含めて検討していきたいと考えております。また、ACHの臨床試験に限らず、別のパイプライン等につきましても早期に収益化するニュースをお届けし、株価に少しでも好影響を与えられるよう注力していきたいと考えております。