

2022年5月19日

各位

株式会社リボミック
(コード番号：4591 東証グロース)

2022年3月期決算説明会（質疑応答）

2022年5月17日（火）開催のアナリスト、機関投資家向け2022年3月期決算説明会における質疑応答を記載させていただきます。

尚、決算説明会の内容につきましては、一昨日掲載しました関連資料並びに本日配信の動画をご高覧願います。

1. RBM-007（滲出型加齢黄斑変性）について

質問	回答
抗VEGF薬治療歴のある患者に対する2つの試験と、治療歴のない（ナイーブな）患者に対するTEMPURA試験ではRBM-007の効果が異なる結果となったのはなぜか。	仮説にはなりますが、長期治療歴のある患者では、病歴の進行や抗VEGF薬の投与に基づき、既に網膜構造の不可逆的な変化が起こっている可能性が大きいものに対して、ナイーブな患者では網膜構造変化が進行していないと考えられ、その違いがRBM-007の効果の差になっているのかもしれませんが。
未治療のナイーブな患者に対する治験を今後行う際には、どのような治験デザインを想定しているか。	治験デザインは、ナイーブな患者を被験者とする以外は、基本的にTOFU試験と同様なデザインにすることが妥当です。アイリーアやルセンティスなどの抗VEGF薬を比較薬として、RBM-007単独投与あるいは抗VEGF薬との併用投与を行い、治療効果を比較するものとなります。RBM-007と既存薬（抗VEGF薬）との差別化はそれらの標準的なP2試験が終了したのちに検討することが妥当だと考えています。

<p>既存薬が複数ある中で、RBM-007を開発する意義は何か。</p>	<p>現在上市済み、あるいは開発中のwet AMDに対する薬剤は全てVEGFをターゲットとしているのに対して、RBM-007が唯一VEGF以外の標的であるFGF2をターゲットとしていることが特徴です。大手製薬メーカーがさまざま抗VEGF薬の誘導体を開発していますが、それらは全て既存薬のfine tuningに属するもので、全く新しい標的や全く新しい作用機序（MOA, Mode of Action）をもつ新薬の開発には成功していません。10数年前に開発された抗VEGF薬については、これまで臨床に使用されてきた過程で、医療ニーズを満たさない複数の問題点が明らかになってきており、抗VEGF薬とは異なる新薬の開発が世界的に求められております。当社としては、RBM-007がそのニーズに応えられる候補であると期待するところです。今後、新たな臨床試験を進めていく中で、他剤に対して優位性を示すRBM-007の薬効を見つけていきたいと考えています。</p>
<p>ナীব患者のTEMPURA試験でRBM-007がよく効いたケースでは何か特徴的なことがあったか。</p>	<p>TEMPURA試験において顕著な改善を示した患者の特徴としては、治療前の眼底出血が顕著であった点を指摘することができます。この眼底出血もRBM-007の硝子体投与により速やかに解消されました。網膜疾患専門医の詳細な分析によれば、この結果からRBM-007は網膜疾患の新しい医薬品としての可能性が指摘されました。</p>
<p>今後の予定を教えてください。</p>	<p>すでに数社とは秘密保持契約を結び協議を開始しており、そのほか秘密保持契約のない段階でも複数社とコンタクトしている。当社の資金状況に問題はないが、今後、他のパイプラインの開発を考慮すると、当社単独でナীবな患者に対する新たな治験を行うよりも、他社との共同開発あるいはライセンスアウトを目指していく方針です。</p>

2. RBM-007（軟骨無形成症）について

質問	回答
<p>今後の開発スケジュールを教えてください。</p>	<p>前期第2相試験の被験者選定と、ACH患者での無治療での身長伸びに関するデータを取得することを目的とした観察試験の治験計画届書をPMDAへ提出し、承認されました。現在治験実施施設での治験開始に向けた手続き等を行っています。観察試験の観察期間は患者1人に対して半年間で、それが終わったら症例毎に前期第II相試験に移行してもらいます。RBM-007の投与を1例ずつ、安全性を確認しながら順次開始することを加味しますと、観</p>

	<p>察試験全体では1年間程度かかります。観察試験の開始は本年8月末から9月を予定しています。前期第2相試験が終了して同意が取れた症例については、更に長期投与試験（1年以上）に移行して頂く予定です。</p>
--	---

3. その他

<p>今期業績予想について：</p> <p>1. 売上はどこからあがってくるものか、</p> <p>2. 今期も前期同様研究開発費が大きく増えている要因は何か。</p>	<p>売り上げは製薬企業や医療機関との共同研究収入です。今期の研究開発費はRBM-007のACHに関する前期第2相試験の推進、及びRBM-011の合成費用が主となります。RBM-007のwAMDに関する試験費用は予定しておりません。</p>
--	--

以 上