

2024年3月期 第2四半期決算短信〔日本基準〕（非連結）

2023年11月13日

上場会社名 株式会社リボミック 上場取引所 東
コード番号 4591 URL https://www.ribomic.com/
代表者 (役職名) 代表取締役社長 (氏名) 中村 義一
問合せ先責任者 (役職名) 取締役執行役員管理本部長 (氏名) 大岩 久人 TEL 03 (3440) 3745
四半期報告書提出予定日 2023年11月13日 配当支払開始予定日 -
四半期決算補足説明資料作成の有無: 有
四半期決算説明会開催の有無: 有 (機関投資家・アナリスト向け)

(百万円未満切捨て)

1. 2024年3月期第2四半期の業績 (2023年4月1日~2023年9月30日)

(1) 経営成績 (累計)

(%表示は、対前年同四半期増減率)

	事業収益		営業利益		経常利益		四半期純利益	
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%
2024年3月期第2四半期	-	-	△581	-	△554	-	△554	-
2023年3月期第2四半期	3	△33.3	△927	-	△878	-	△878	-

	1株当たり 四半期純利益	潜在株式調整後 1株当たり 四半期純利益
	円 銭	円 銭
2024年3月期第2四半期	△15.55	-
2023年3月期第2四半期	△30.77	-

(注) 潜在株式調整後1株当たり四半期純利益については、潜在株式は存在するものの、1株当たり四半期純損失であるため記載しておりません。

(2) 財政状態

	総資産	純資産	自己資本比率
	百万円	百万円	%
2024年3月期第2四半期	3,974	3,829	96.4
2023年3月期	4,583	4,384	95.7

(参考) 自己資本 2024年3月期第2四半期 3,829百万円 2023年3月期 4,384百万円

2. 配当の状況

	年間配当金				
	第1四半期末	第2四半期末	第3四半期末	期末	合計
	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭	円 銭
2023年3月期	-	0.00	-	0.00	0.00
2024年3月期	-	0.00	-	-	-
2024年3月期 (予想)	-	-	-	0.00	0.00

(注) 直近に公表されている配当予想からの修正の有無: 無

3. 2024年3月期の業績予想 (2023年4月1日~2024年3月31日)

(%表示は、対前期増減率)

	事業収益		営業利益		経常利益		当期純利益		1株当たり 当期純利益
	百万円	%	百万円	%	百万円	%	百万円	%	円 銭
通期	-	-	△1,366	-	△1,249	-	△1,250	-	△35.05

(注) 1. 直近に公表されている業績予想からの修正の有無: 無

2. 当社は年次で業績を管理しているため、通期業績予想のみ開示しております。

※ 注記事項

(1) 四半期財務諸表の作成に特有の会計処理の適用：無

(2) 会計方針の変更・会計上の見積りの変更・修正再表示

- ① 会計基準等の改正に伴う会計方針の変更：無
- ② ①以外の会計方針の変更：無
- ③ 会計上の見積りの変更：無
- ④ 修正再表示：無

(3) 発行済株式数（普通株式）

① 期末発行済株式数（自己株式を含む）	2024年3月期2Q	35,694,340株	2023年3月期	35,694,340株
② 期末自己株式数	2024年3月期2Q	7,601株	2023年3月期	6,101株
③ 期中平均株式数（四半期累計）	2024年3月期2Q	35,687,313株	2023年3月期2Q	28,559,340株

※ 四半期決算短信は公認会計士又は監査法人の四半期レビューの対象外です

※ 業績予想の適切な利用に関する説明、その他特記事項

（将来に関する記述等についてのご注意）

本資料に記載されている業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手している情報及び合理的であると判断する一定の前提に基づいており、その達成を当社として約束する趣旨のものではありません。また、実際の業績等は様々な要因により大きく異なる可能性があります。業績予想の前提となる条件及び業績予想のご利用にあたっての注意事項等については、四半期決算短信（添付資料）7ページ「1. 当四半期決算に関する定性的情報（4）業績予想などの将来予測情報に関する説明」をご覧ください。

○添付資料の目次

1. 当四半期決算に関する定性的情報	2
(1) 経営成績に関する説明	2
(2) 財政状態に関する説明	6
(3) キャッシュ・フローの状況	7
(4) 業績予想などの将来予測情報に関する説明	7
2. 四半期財務諸表及び主な注記	8
(1) 四半期貸借対照表	8
(2) 四半期損益計算書	9
第2四半期累計期間	9
(3) 四半期キャッシュ・フロー計算書	10
(4) 四半期財務諸表に関する注記事項	11
(継続企業の前提に関する注記)	11
(株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記)	11
(重要な後発事象)	11

1. 当四半期決算に関する定性的情報

(1) 経営成績に関する説明

当社は、抗体に継ぐ次世代新薬として期待されているアプタマー（核酸医薬の一種）に特化して医薬品の研究開発を行うバイオベンチャーです。当社はアプタマー創製に関する総合的な技術や知識、経験、ノウハウ等からなる創薬プラットフォームである当社独自の「RiboARTシステム」を活用して、革新的なアプタマー医薬の研究開発（「アプタマー創薬」）を行っております。

当社の企業理念は「Unmet Medical Needs(未だに満足すべき治療法のない疾患領域の医療ニーズ)に応えること」であり、その実現のための最重点経営目標を、「自社での臨床Proof of Concept^{※1}の獲得に向けた開発」として、当第2四半期累計期間においても様々な取り組みを進めてまいりました。

その具体的な進捗を以下に要約いたします。

※1：臨床Proof of Concept（臨床POC）：新薬の開発段階で、投与薬剤がヒトでの臨床試験において意図した薬効と安全性を有することが示されること。

「RBM-007」の開発について

(イ) 「RBM-007」(抗FGF2アプタマー、国際一般名umedaptanib pegol)による臨床開発の狙い

当社では、自社で創製したRBM-007 (FGF2に結合し、その作用を阻害するアプタマー)を、自社での臨床開発のテーマに選び、「滲出型加齢黄斑変性 (Wet Age-related Macular Degeneration, wet AMD)」と「軟骨無形成症 (Achondroplasia, ACH)」の治療薬としての開発を進めております。

(ロ) 開発状況、及び既存治療法との比較

a) 滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD)

・臨床試験

RBM-007の複数回投与による臨床POC確認を目的とした第2相臨床試験（試験略称名：TOFU試験）を米国で実施いたしました（被験者86名）。TOFU試験は、標準治療の抗VEGF治療歴のあるwet AMD患者を対象に、①RBM-007硝子体内注射の単剤投与群、②既存の抗VEGF薬であるアイリニア[®]とRBM-007の硝子体内注射による併用投与群、及び③アイリニア[®]硝子体内注射の単剤投与群の3群間で、RBM-007の有効性及び安全性をアイリニア[®]と比較評価する、無作為化二重盲検試験でした。

また、TOFU試験の進捗に基づき、長期投与に伴う本薬剤の有効性と安全性、及び瘢痕形成を含む網膜の構造異常に対する効果を評価する目的で、RBM-007を単剤で投与するオープン試験としてのTOFU試験の延長試験（試験略称名：RAMEN試験）を行いました。RAMEN試験では、TOFU試験を完了した22名の被験者に対して、追加のRBM-007の硝子体内投与を1ヶ月間隔で計4回行いました。

さらに、治療歴のないwet AMD患者でのRBM-007単剤治療の有効性及び安全性を評価することを目的に、米国で医師主導治験（試験略称名：TEMPURA試験）が実施されました（被験者5名）。

その結果、事後解析の結果も含めて、以下の知見が明らかになりました（これらの詳細な解析結果は論文として公開する予定です）。

・治療歴のない半数以上のwet AMD患者において臨床薬効（視力の改善 and/or 網膜厚の減少）が確認された（TEMPURA試験）

・抗VEGF治療歴が長いwet AMD患者に対しては、RBM-007単剤投与、及びRBM-007とアイリニア[®]の併用投与において、アイリニア[®]単剤投与を上回る臨床有効性は観察されなかったものの、主要評価項目である視力および網膜構造の変化は、3つの治療グループともわずかであり、RBM-007による病気の進行抑制効果が確認された（TOFU試験とRAMEN試験）

・これら3試験により当社目的であるRBM-007の臨床POCに準ずる有効性が確認された

以上の結果から、RBM-007は、今後、抗VEGF薬にはない瘢痕化抑制作用を明らかにすることができれば、治療歴のないwet AMD患者に対する新規治療剤となり得ると考えています。

・現状について

TOFU/RAMEN/TEMPURA の3本の第2相臨床試験の結果から、治療歴のないwet AMD患者を対象とする臨床試験の実施が望まれます。当社としては、そのためのライセンス・アウト、もしくはパートナーリングの実現に注力してまいりました。この結果、2022年12月に、Rico International (Beijing) Medicine Technology Co., Ltd. 及び Shanghai Huirui Medical Co., Ltd. との間で、中国地域におけるwet AMD等を適応疾患とする臨床開発を担う合弁会社設立に関して基本合意に至りました。

現在、合弁会社設立に向けて交渉を継続している一方で、新たに国内外数社とライセンスアウトに向けての協議

も開始しております。

b) 軟骨無形成症（ACH）

・臨床試験

ACHに関するプロジェクトは、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）の助成（2015年度から合計6年間）を受け、2020年7月～2021年5月にかけて、国内の1治験施設において第1相臨床試験を実施いたしました。この結果を受け、2021年度から3年間は、AMEDの希少疾患用医薬品指定前実用化支援事業として、ACHの小児患者における、身長伸びを含む臨床的基礎データの取得と前期第2相臨床試験の被験者選定を目的とした前期第2相観察試験、及びACHの小児患者でのRBM-007の有効性と安全性を調べる前期第2相臨床試験と、これに引き続き実施する前期第2相長期投与試験の3つの治験計画を進めております。現在、東京及び関西地区の5施設（合計8施設を予定）において前期第2相観察試験が開始され、さらにそれに続く前期第2相臨床試験も始まっております。今後も治験実施施設を増やしつつ臨床試験を進めてまいります。

・ACHの既存治療法と課題

ACHは四肢短縮による低身長を主な症状とする希少疾患で、厚生労働省から難病指定を受けています。RBM-007は疾患モデルマウスを利用した実験で、体長の短縮を約50%回復する効果を示しました。さらに、軟骨細胞への分化誘導が欠損していることが知られているACH患者由来のiPS細胞（人工多能性幹細胞）について、RBM-007存在下で、その分化誘導が回復することも確認しました（非臨床POC獲得）。本邦ではこれまで治療薬として成長ホルモンが使用されてきましたが、その効果は十分とは言えず、骨延長術（足の骨を切断して引き離れた状態で固定し、骨の形成を促す）といった非常に厳しい治療が幼い子供に施されることもあり、効果の高い新薬が待ち望まれていました。また、2022年6月にACH治療薬としてBIOMARIN社のボックスゾゴ[®]が本邦でも製造販売が承認されましたが、ボックスゾゴ[®]は毎日の投与が必要となっております。そのため、患者への投与間隔を1,2週間と長くとれる、当社のRBM-007への期待は引き続き高いものと考えております。

なお、RBM-007を用いた上記モデル動物実験や、iPS細胞を用いた試験の結果については、2021年5月に、米国科学誌Science Translational Medicine電子版に論文として掲載されました^{**2}。

※2 : Kimura T, Bosakova M, Nonaka Y, Hrubá E, Yasuda K, Futakawa S, Kubota T, Fafilek B, Gregor T, Abraham SP, Gomoklova R, Belaskova S, Pesl M, Csukasi F, Duran I, Fujiwara M, Kavkova M, Zikmund T, Kaiser J, Buchtova M, Krakow D, Nakamura Y, Ozono K, Krejci P. RNA aptamer restores defective bone growth in FGFR3-related skeletal dysplasia. *Sci. Transl. Med.*, 13, eaba4226 (2021)

自社での第2相試験の実施により臨床POCが獲得されれば、ACHに対する新規治療剤の提供に至る第一歩になるとともに、新薬候補品としてのRBM-007の価値が高まり、ライセンス収益の拡大及び将来に向けた発展に寄与するものと考えております。同時に、wet AMDのような硝子体という局所投与のみならず、アプタマー医薬品として、全身投与による疾患治療の世界初の事例となることで、今後のアプタマー医薬品の開発に大きく弾みがつくことが期待されます。

現在、国内外数社と提携協議を開始しております。

c) 増殖性硝子体網膜症（PVR）

PVRは網膜剥離や糖尿病網膜症の放置、網膜剥離の手術によって起こる網膜疾患です。多種の細胞が網膜表面、網膜内、硝子体腔内で増殖膜を形成し、当該増殖膜が収縮することによって網膜に皺襞（すうへき）形成や牽引性網膜剥離が生じ、失明に至ります。硝子体手術などの治療によっても重篤な視力障害や失明に至る事が多く、また現在のところ有効な予防法は存在しません。

・オートタキシン抑制によるPVR予防効果の発見

当社と日本大学医学部視覚科学系眼科学分野・長岡泰司教授（現 旭川医科大学教授）との間で進めてきたPVR予防薬の開発研究において、RBM-006（抗オートタキシン・アプタマー）に優れたPVR予防作用があることが明らかになり、その成果が学術誌 *International Journal of Molecular Sciences* にONLINE掲載されました^{**3}。本知財に関しては、日本国特許庁に対して日本大学と共同で、第二医薬用途特許の出願を行なっております（2023年1月13日付開示）。

Autotaxin（オートタキシン）は脂質メディエーターのLPA（リゾホスファチジン酸）の合成酵素であり、特発性肺線維症を始めとする複数の疾患においてLPAやAutotaxinの亢進が見られ、新規治療薬の標的として注目されており、本研究がPVRに対して新たな薬物治療の道を切り開くことを期待しています。

※3 : Hanazaki, H., Yokota, H., Yamagami, S., Nakamura, Y., Nagaoka, T.: Effect of Anti-Autotaxin Aptamer on the Development of Proliferative Vitreoretinopathy. *Int. J. Mol. Sci.* 24, 15926 (2023).

・RBM-007の適応拡大

当社は、RBM-007の適応拡大を目指して、長岡教授らのグループとRBM-007を用いたPVR予防に関する共同研究も実施しております。本共同研究によってRBM-007にPVR予防効果が確認された場合は、速やかに第2相臨床試験を開始することが可能となるため、当社にとって重要な適応拡大になることが期待されます。

その他の臨床開発優先度の高い自社パイプライン

当社は、既存パイプラインを継続的、重層的に拡大し、中長期的に成長するために、特に優れた薬効が確認されているRBM-011、RBM-003、RBM-010及びRBM-009を、RBM-007に次ぐ重点開発プログラムと位置づけております。

(イ) RBM-011 (抗IL-21 (インターロイキン21) アプタマー、肺動脈性肺高血圧症)

RBM-011が対象とする肺動脈性肺高血圧症は、難病に指定されている病気であり、肺動脈壁が肥厚して血管の狭窄が進行した結果、高血圧をきたして全身への血液や酸素の供給に障害が生じ、最終的には心不全から死に至ることのある重篤な疾患です。プロスタグランジンI2誘導体制剤などの既存治療薬が十分な効果を発揮しない患者の予後は依然として極めて悪い状態です。これらの既存治療薬は、いずれも血管を拡張させる作用を持つものであり、血管壁の肥厚を改善する作用を持つ上市薬はなく、その開発が強く望まれています。

2017年度から3年間は、AMEDの難治性疾患実用化研究事業の一環として、また2020年度からの3年間は、AMEDの前記事業の治験準備（ステップ1）研究として助成を受け、肺動脈性肺高血圧症の国内での専門医療機関である国立研究開発法人国立循環器病研究センター（国循）との共同研究を進めてきました。当該共同研究において、抗IL-21アプタマーが肺動脈性肺高血圧症モデル動物において、肺動脈壁の肥厚を顕著に抑制することが明らかにされました。

また、国循との共同研究と並行して、原薬合成を完了し、PMDAと協議の上、第1相試験のための毒性試験を実施し2023年6月に終了、臨床試験を開始するために必要な安全性が確認されました。

現在、海外企業への導出に向けた協議を開始しております。

(ロ) RBM-003 (抗キマーゼアプタマー、心不全)

心筋梗塞直後に、Chymase (キマーゼ) は肥満細胞と心筋細胞等の組織損傷部位から分泌され、アンジオテンシンⅡ等の活性化をとおして、心筋に悪影響を及ぼすことが知られています。ハムスターを用いた冠動脈結紮による心筋梗塞急性期モデル (ハムスターモデル) において、抗キマーゼアプタマーであるRBM-003の投与は、梗塞後のキマーゼ陽性肥満細胞の集積及びキマーゼ活性を抑制し、顕著な心機能改善効果を示しました^{*4}。さらに、RBM-003は、冠動脈結紮の前投与のみならず、後投与においても顕著な心機能改善効果を示し、前記ハムスターモデルにおける生存率を著しく改善いたしました。現在、急性心不全に対する医薬品は存在せず、Unmet Medical Needsのある疾患となっています。RBM-003は他のキマーゼ阻害剤と比べて非常に強い酵素阻害活性を持つことが確認されており、急性心不全に対する即効性の注射薬の開発に取り組んでおります。

※4 : Jin D, Takai S, Nonaka Y, Yamazaki S, Fujiwara M, Nakamura Y. A chymase inhibitory RNA aptamer improves cardiac function and survival after myocardial infarction. *Mol. Ther. Nucl. Acids*, 14, 41-51 (2019)

(ハ) RBM-010 (抗ADAMTS5アプタマー、変形性関節症)

RBM-010は、当社と大正製薬株式会社との共同研究で創薬された製品で、変形性関節症の増悪因子の一つであるADAMTS5 (a disintegrin and metalloproteinase with thrombospondin motifs 5) の働きを抑制する作用があります。変形性関節症は、種々の原因により、膝や足の付け根、肘、肩等の関節に痛みや腫れ等の症状が生じ、その後関節の変形をきたす病気です。現在、治療法としては、痛みや腫れを和らげる薬の服用や関節置換術などの手術しかなく、寛解させる薬はありません。本邦には、変形性関節症を有している人が、2,500万人以上、また、世界では、変形性関節症の患者が約2億4,000万人以上と推定されており、今後高齢化に伴いさらに増加が予測されています。

RBM-010は、関節での軟骨成分の分解を促進しているADAMTS5を抑制することにより、変形性関節症の症状進行を遅らせることが期待でき、現在、局所投与による徐放性製剤の開発に取り組んでおります。

(ニ) RBM-009 (抗ST2 (IL-33 receptor) アプタマー、重症喘息)

RBM-009が対象とする重症喘息は、頻繁な息切れや呼吸困難によって日常生活や睡眠が妨害され、生活の質の低下を余儀なくされる疾患です。喘息の治療には、吸入ステロイドや気管支拡張薬に加え、抗体医薬品（抗IgE抗体、抗IL-5/5R抗体、抗IL-4/13R抗体）や経口ステロイド薬が使用されますが、重症喘息患者の中にはこれらの薬剤でもコントロールできない患者が一定数存在しています。

ST2の刺激分子であるIL-33は炎症カスケードの上流因子であり、様々な免疫細胞に発現するST2を刺激して炎症を惹起します。最近では免疫細胞の一つであるILC2が、コントロール不良の一つの要因であるステロイド抵抗性に寄与しており、その抵抗性メカニズムにST2が関与することが示唆されております。当社ではST2をブロックすることにより複数の機序で惹起される炎症を抑え、既存薬が良好な反応を示さない喘息も治療できる可能性があると考えており、開発に取り組んでおります。

その他のプロジェクト

(イ) 新型コロナウイルス感染症 (COVID-19) 治療薬アプタマーの開発

COVID-19の原因ウイルスであるSARS-CoV-2のスパイクタンパク質 (Sタンパク質) と、ヒトの細胞表面にある受容体 (ACE2タンパク質) との結合を阻害し、細胞への侵入を阻止するアプタマーの創製を試みております。

現在までに、多数の候補配列情報を取得、表面プラズモン共鳴法を用いたスクリーニングによって、抗Sタンパク質アプタマーの候補 (Sタンパク質に対する結合活性、及び宿主受容体ACE2への結合阻害活性を持つアプタマー) を複数特定することに成功しておりますが (ヒット化合物の取得)、動物モデルを用いた感染阻害試験において、SARS-CoV-2ウイルスの感染を阻害するのに十分な効果をもったアプタマーは未だ確認されていません。近年世界的に進化したSARS-CoV-2研究によれば、ヒト細胞表面へのウイルスの結合には複数の作用機序があることが明らかになっているため、取得したアプタマーを用いた新たな抗ウイルス戦略を検討しております。

また、これまでの研究成果を取りまとめた論文を学術誌に投稿する予定です。

(ロ) 共同研究

ビタミンC60バイオリサーチ株式会社との共同研究開発契約に基づき、化粧品原料候補の創製・開発に関する共同研究を実施し、現在までに有望なアプタマーの創製に成功しており、実用化へ一歩進んでおります。

(ハ) 継続中の自社創薬プロジェクト

・AIアプタマープロジェクト:

アプタマー医薬品の汎用性をさらに活かすため、国立研究開発法人科学技術振興機構から委託されているコンピューター科学を応用した技術開発 (以下、「JST委託事業」) 等を継続して進めております。2018年度から開始されたJST委託事業において、当社は早稲田大学と共同し、バイオインフォマティクスを駆使したアプタマー探索技術 (RaptRanker) を開発いたしました^{※5}。RaptRankerを用いることにより、当社のアプタマー創薬プロセスを効率化し、創薬期間の短縮及び成功率の向上が期待されます。2021年4月からは、3年間の事業として、「AIアプタマー創薬プロジェクト」がJSTに採択され、当社は早稲田大学と共同で、RNAアプタマーの創薬のプロセスを、深層学習などの人工知能技術を活用することで自動化し、創薬期間の短縮及び創薬成功確率の向上を実現させることを目指し、研究を進めております。この研究におきまして、変分オートエンコーダを応用した革新的な配列生成技術であるRaptGenを開発いたしました。SELEXで得られた特定の標的に対する多数の標的結合アプタマーの配列を、RaptGenを用いて解析することにより、もともとのSELEXデータに含まれていない、前記標的に強く結合する新規のアプタマー配列の生成も可能となりました (RaptGenについては、2022年6月3日にNature Computational Scienceのオンライン版に掲載されております^{※6})。

さらに、2023年度から2025年度の予定で、国立研究開発法人新エネルギー・産業技術総合開発機構 (NEDO) が実施する「量子・AIハイブリッド技術のサイバー・フィジカル開発事業」において、当社と産業技術総合研究所ならびに早稲田大学を実施予定先とする研究課題「量子・AI次世代創薬」が採択されました。本研究課題では、RNAアプタマーの最適化を題材として、量子計算技術と人工知能を組み合わせる「量子・AIハイブリッド技術」の活用により、従来技術では達成困難な医薬品創生プラットフォームの確立を目指します。

※5 : Ishida R, Adachi T, Yokota A, Yoshihara H, Aoki K, Nakamura Y, Hamada M. RaptRanker: in silico RNA aptamer selection from HT-SELEX experiment based on local sequence and structure information. Nucl. Acids. Res., 48, e82 (2020)

※6 : Iwano N, Adachi T, Aoki K, Nakamura Y, Hamada M. : Generative aptamer discovery using RaptGen. Nat. Comput. Sci., 2, 378-386 (2022)

・DDSアプタマープロジェクト：

当社では、RaptRanker及びRaptGenを含むRiboARTシステムをさらに発展させると共に、現在、RiboARTシステムを用いて、ドラッグデリバリーシステム（DDS）用のアプタマー開発に取り組んでいます。DDSとは、体内で薬物の分布を制御することで、薬物の効果を最大に高める一方で、薬の投与回数及び副作用を軽減するための、理想的な体内動態を制御する技術です。近年の医薬品開発を取り巻く環境は著しい変化を遂げており、ブロックバスター創出のための疾患発症の標的分子の枯渇や、Unmet Medical Needsの高まりなどを理由に、多数のモダリティ（治療手段）が生まれてきています。特に核酸医薬を中心として、さまざまな生体内バリアを突破させ、標的部位（臓器、組織、細胞等）へと効率的に送り込むにはDDSが必要不可欠となります。

アプタマーは化学合成品であり、抗体、低分子化合物、及びASO、siRNA、mRNAなどの核酸等に化学的に結合させることが可能です。DDSとして利用可能なアプタマーを取得するための期間は1年から2年単位と短いため、アプタマーを取得後は、迅速に特許出願を行うと共に、大手製薬企業を含む様々な企業に提供することで、基礎段階より早期に収益をあげていきたいと考えております。

DDSアプタマープロジェクトの一環として、リボミックの所有するアプタマーの光免疫療法への応用可能性を検討するために学校法人慈恵大学との共同研究契約を2023年9月に締結いたしました。光免疫療法は、標的的特異的な薬剤送達と腫瘍に局限した光照射を組み合わせることで、正常組織へのダメージを最小限に抑えた、患者負担の少ない治療法として、がん領域を中心に注目を集めております。共同研究先となる学校法人慈恵大学 光永真人講師らのグループは光免疫療法に関する高い研究実績があり、細胞試験系、動物実験系のノウハウを保有しております。

リボミックでは、膜タンパク質を認識する複数のアプタマーを開発しており、本共同研究においてこれらアプタマーの光免疫療法への応用可能性を検討いたします。

世界におけるアプタマー医薬品の臨床開発動向

Macugen[®]は世界初のwet AMD治療薬として承認されましたが、その後VEGFを標的とする抗体や可溶性のデコイ（おとり）受容体を利用した、さらに有効な医薬（Lucentis[®]、Eylea[®]、Avastin[®]等）が開発されて、現在、Macugen[®]はほとんど使用されなくなりました。2004年のMacugen[®]の成功は、アプタマー医薬の開発を鼓舞する意味も大きく、その後、複数のアプタマー医薬候補品が臨床試験に進みました。その中でも注目された二つのアプタマー（REG1、Fovista[®]）の治験が最終の第3相試験で成功せず、アプタマー創薬に関してネガティブな印象を残し、その後、アプタマー医薬品の開発は世界的に停滞しているようにもみえました。しかし、ようやく最近、補体C5に対するアプタマー（ARC1905: Zimura[®]）が萎縮型加齢黄斑変性（dry AMD）に有効であることが、第3相試験で証明され、2023年8月米国FDAは製造承認申請を承認しました。Zimura[®]を開発したIveric Bio社は、アステラス製薬に総額約8,000億円で買収されています。

現在、当社のRBM-007を含めて9種類のアプタマーが臨床試験の過程にあり、アプタマー医薬品開発の機運が再び盛り上がっております。これらの動向において、Macugen[®]やZimura[®]、そしてRBM-007がいずれも網膜疾患に対して奏功したことから、アプタマーは網膜疾患にフィットするモダリティ（治療手段）であることが示唆されました。今後も、世界におけるアプタマー医薬品の臨床開発動向を注視してまいります^{※7}。

※7： 中村義一．アプタマー：加齢黄斑変性への適応．Clinical Neuroscience Vo. 41 (No. 5) 630-634 (2023)

これらの結果、事業収益については当第2四半期累計期間において計上ありません。当第2四半期累計期間において事業費用として研究開発費を399百万円、販売費及び一般管理費を182百万円計上し、営業損失は581百万円（前年同四半期の営業損失は927百万円）となりました。

また、営業外収益として、コンピューター科学を応用した技術開発を目的としたJST委託事業等による助成金収入25百万円を計上したこと等により、経常損失は554百万円（前年同四半期の経常損失は878百万円）となりました。これにより四半期純損失は554百万円（前年同四半期の四半期純損失は878百万円）となりました。

また、当社は創薬事業及びこれに付随する事業を行う単一セグメントであるため、セグメント別の記載を省略しております。

(2) 財政状態に関する説明

① 資産の部

当第2四半期会計期間末における総資産は、前事業年度末に比べて609百万円減少し、3,974百万円となりました。これは有価証券が300百万円増加した一方で、現金及び預金が867百万円減少したこと等によるものです。な

お、当第2四半期会計期間末において保有している有価証券は、第16回新株予約権等により調達した資金の一部について、研究開発への充当時期まで、一定以上の格付けが付された金融商品で元本が毀損するリスクを抑えて運用することを目的としたものです。

② 負債の部

当第2四半期会計期間末における負債は、前事業年度末に比べて54百万円減少し、144百万円となりました。これは、その他が40百万円増加した一方で、ACHの臨床試験実施費用を含む未払金が68百万円、未払法人税等が32百万円減少したこと等によるものです。

③ 純資産の部

当第2四半期会計期間末における純資産は、前事業年度末に比べて554百万円減少し、3,829百万円となりました。これは、四半期純損失554百万円計上したことにより、利益剰余金が同額減少したこと等によるものです。

なお、2023年6月27日開催の第20回定時株主総会の決議に基づき、2023年8月1日付で資本金672百万円、資本準備金980百万円をそれぞれその他資本剰余金へ振り替え、当該その他資本剰余金1,653百万円を繰越利益剰余金に振り替え欠損填補を行いました。これによる純資産合計に変動はありません。

(3) キャッシュ・フローの状況

当第2四半期会計期間末における現金及び現金同等物（以下「資金」という。）は、前事業年度末に比較し867百万円減少し1,957百万円となりました。

（営業活動によるキャッシュ・フロー）

営業活動の結果使用した資金は547百万円（前年同四半期は859百万円の支出）となりました。主な資金増加要因は、前渡金の減少額27百万円によるものです。一方で主な資金減少要因は、税引前四半期純損失554百万円、未払金の減少額66百万円によるものです。

（投資活動によるキャッシュ・フロー）

投資活動の結果使用した資金は321百万円（前年同四半期は477百万円の収入）となりました。資金減少要因は、有価証券の増加額300百万円、有形固定資産の取得による支出21百万円によるものです。

（財務活動によるキャッシュ・フロー）

財務活動の結果使用した資金はありませんでした（前年同四半期も使用した資金はありません）。

(4) 業績予想などの将来予測情報に関する説明

当社は、アプタマー創薬技術のプラットフォームである「RiboART システム」をベースとして、新規のアプタマー医薬の開発に取り組んでおります。

当社の基本方針は、自社で創製した開発候補アプタマーを製薬企業にライセンス・アウトし、そのライセンス収入を見込む「自社創薬」と、安定的な共同研究収入を一定期間期待できる製薬企業との「共同研究」の二つをバランス良く組合せ、持続的な収益向上を図ることです。

2024年3月期の事業収益については現時点で確定しているものがないため計上しておりません。事業の進捗により確定した段階で改めてお知らせいたします。

なお、2024年3月期の業績予想につきましては、2023年5月12日付の決算短信で公表しました通期の業績予想から変更はありません。

2. 四半期財務諸表及び主な注記

(1) 四半期貸借対照表

(単位：千円)

	前事業年度 (2023年3月31日)	当第2四半期会計期間 (2023年9月30日)
資産の部		
流動資産		
現金及び預金	2,825,182	1,957,408
有価証券	1,500,000	1,800,000
貯蔵品	2,070	2,317
前渡金	107,694	80,304
前払費用	36,542	45,767
未収消費税等	70,191	34,674
その他	694	176
流動資産合計	4,542,376	3,920,649
固定資産		
有形固定資産	0	15,871
投資その他の資産	41,279	37,853
固定資産合計	41,279	53,725
資産合計	4,583,655	3,974,374
負債の部		
流動負債		
未払金	122,308	54,107
未払費用	12,083	17,805
未払法人税等	32,906	605
その他	32,005	72,369
流動負債合計	199,303	144,887
負債合計	199,303	144,887
純資産の部		
株主資本		
資本金	722,040	50,000
資本剰余金	5,315,313	4,334,352
利益剰余金	△1,653,002	△554,864
自己株式	△0	△0
株主資本合計	4,384,351	3,829,487
純資産合計	4,384,351	3,829,487
負債純資産合計	4,583,655	3,974,374

(2) 四半期損益計算書
(第2四半期累計期間)

(単位：千円)

	前第2四半期累計期間 (自 2022年4月1日 至 2022年9月30日)	当第2四半期累計期間 (自 2023年4月1日 至 2023年9月30日)
事業収益	3,333	—
事業費用		
研究開発費	764,416	399,277
販売費及び一般管理費	166,449	182,522
事業費用合計	930,865	581,799
営業損失(△)	△927,532	△581,799
営業外収益		
助成金収入	23,636	25,344
金銭の信託運用益	442	553
為替差益	24,360	1,390
その他	362	251
営業外収益合計	48,802	27,540
経常損失(△)	△878,729	△554,259
特別利益		
新株予約権戻入益	673	—
特別利益合計	673	—
税引前四半期純損失(△)	△878,056	△554,259
法人税等	605	605
四半期純損失(△)	△878,661	△554,864

(3) 四半期キャッシュ・フロー計算書

(単位：千円)

	前第2四半期累計期間 (自 2022年4月1日 至 2022年9月30日)	当第2四半期累計期間 (自 2023年4月1日 至 2023年9月30日)
営業活動によるキャッシュ・フロー		
税引前四半期純損失 (△)	△878,056	△554,259
減価償却費	80	4,076
受取利息	△338	△250
為替差損益 (△は益)	△29,589	△1,723
株式報酬費用	3,111	3,836
新株予約権戻入益	△673	—
金銭の信託の運用損益 (△は運用益)	△442	△553
棚卸資産の増減額 (△は増加)	291	△246
前渡金の増減額 (△は増加)	53,717	27,389
前受金の増減額 (△は減少)	65,233	—
未払金の増減額 (△は減少)	△89,099	△66,210
その他	16,980	40,548
小計	△858,786	△547,392
利息の受取額	781	806
法人税等の支払額	△1,069	△972
営業活動によるキャッシュ・フロー	△859,073	△547,558
投資活動によるキャッシュ・フロー		
有形固定資産の取得による支出	△22,969	△21,938
有価証券の純増減額 (△は増加)	500,000	△300,000
投資活動によるキャッシュ・フロー	477,030	△321,938
財務活動によるキャッシュ・フロー		
財務活動によるキャッシュ・フロー	—	—
現金及び現金同等物に係る換算差額	29,599	1,723
現金及び現金同等物の増減額 (△は減少)	△352,443	△867,774
現金及び現金同等物の期首残高	2,901,796	2,825,182
現金及び現金同等物の四半期末残高	2,549,352	1,957,408

（４）四半期財務諸表に関する注記事項

（継続企業の前提に関する注記）

該当事項はありません。

（株主資本の金額に著しい変動があった場合の注記）

当社は、2023年6月27日開催の第20回定時株主総会において、資本金及び資本準備金の額の減少並びに剰余金の処分について承認可決され、2023年8月1日付でその効力が発生しております。この結果、当第2四半期会計期間において、資本金が672,040千円、資本準備金が980,961千円それぞれ減少し、この減少額全額をその他資本剰余金に振り替えを行い、当該その他資本剰余金1,653,002千円を繰越利益剰余金に振り替えることで、欠損補填を行いました。

これらの結果、当第2四半期会計期間末において資本金が50,000千円、資本剰余金が4,334,352千円、利益剰余金が△554,864千円となっております。

（重要な後発事象）

該当事項はありません。