

平成 26 年 9 月 25 日

各 位

会 社 名 株 式 会 社 リ ボ ミ ッ ク  
住 所 東 京 都 港 区 白 金 台 三 丁 目 1 6 番 1 3 号  
代 表 者 名 代 表 取 締 役 社 長 中 村 義 一  
(コード番号：4591 東証マザーズ)  
問 合 せ 先 取 締 役 執 行 役 員 管 理 部 長 宮 崎 正 是  
TEL. 03-3440-3303

## 当社中期経営計画等のお知らせ

平成 27 年 3 月期を初年度とする 3 カ年の中期経営計画並びに当社の事業内容等をより深く理解していただくための会社説明資料を、高い成長可能性に関する事項に係る説明資料として、下記のとおりお知らせいたします。

### 記

#### 1. 中期経営計画の策定方針

当社は、アプタマー創薬技術に関する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。

中期経営計画の策定にあたっては、自社で創製した開発候補アプタマーを製薬会社にライセンス・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、製薬会社との「共同研究」の二つをバランス良く組合せることを基本方針としております。

事業収益は、各パイプラインの開発進捗状況等を勘案しつつ、ライセンス収入及び共同研究収入の金額と計上時期を予測し策定いたしておりますが、特にライセンス収入については、ライセンス・アウト先との交渉により契約条件等が決まることから、不確定要素を完全に払しょくすることが難しいと考えております。こうした点を考慮し、平成 28 年 3 月期以降については業績予想をレンジ形式にて開示させていただきます。

#### 2. 中期経営計画等の概要（別添参照）

- ① 中期経営計画
- ② 会社説明資料

#### 3. 数値目標

(単位：百万円)

	平成 25 年 3 月期 (実績)	平成 26 年 3 月期 (実績)	平成 27 年 3 月期 (予想)	平成 28 年 3 月期 (計画)	平成 29 年 3 月期 (計画)
事業収益	168	151	508	960 ～ 280	1,075 ～ 355
営業利益又は 営業損失(△)	△411	△414	32	178 ～ △377	210 ～ △309
経常利益又は 経常損失(△)	△275	△210	50	279 ～ △276	351 ～ △169
当期純利益又は 当期純損失(△)	△276	△211	45	258 ～ △277	325 ～ △170

※ 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、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。

以上



# 中期経営計画及び会社説明資料

平成26年9月  
株式会社リボミック  
(証券コード：4591)

## 業績見通しと中期経営計画（損益計画）

（単位：百万円）

	平成25年 3月期 (実績)	平成26年 3月期 (実績)	平成27年 3月期 (予想)	平成28年 3月期 (計画)	平成29年 3月期 (計画)
事業収益	168	151	508	960 ～ 280	1,075 ～ 355
営業利益又は 営業損失（△）	△411	△414	32	178 ～ △377	210 ～ △309
経常利益又は 経常損失（△）	△275	△210	50	279 ～ △276	351 ～ △169
当期純利益又は 当期純損失（△）	△276	△211	45	258 ～ △277	325 ～ △170

## 中期経営計画の前提条件・数値根拠①

### レンジ開示の考え方

当社の業績見通しは、ライセンス収入及び共同研究収入から構成される事業収益を中心に検討がなされておりますが、当社事業収益の大きな変動要因となるのはライセンス収入であります。

ライセンス対価は、ライセンス・アウト先との交渉により契約条件等が定まるため、交渉過程において対価の内容及び収益計上時期等が当社の計画と大きく異なる可能性があり、予測が難しいという特徴があります。

この点を考慮し、平成28年3月期以降の業績数値についてはレンジ形式の開示といたしました。すなわち、次頁「中期経営計画の前提条件・数値根拠②事業収益、ライセンス収入」に記載する当社の計画通りにライセンス・アウトが達成される場合をレンジの上限とし、一方で、上述の変動要因に伴うリスクを最大限に見込むために、すでにライセンス・アウトが完了しているパイプライン（RBM004）以外にはライセンス・アウトが実現しない場合を仮定し、レンジの下限といたしました。

もちろん当社は、各年度のレンジの上限数値を達成すべき計画と認識し、予定通りのライセンス・アウト実現にむけて、すでに海外大手製薬企業を含めた複数社と交渉を開始しております。

なお平成27年3月期については、すでに第1四半期に実績として計上済みのRBM004のライセンス契約一時金のみをライセンス収入として見込んでいるため、レンジ形式の開示とはいたしておりません。

## 中期経営計画の前提条件・数値根拠②

### 事業収益

#### ▶ ライセンス収入

自社創薬および他の製薬企業との共同研究によって創製された開発品のライセンス・アウトに伴う収入を見込んでおります。RBM004に続き、前臨床試験に進んでいる6つのパイプライン（RBM001,002,003,005,006,007）を中心に順次ライセンス・アウトを実現させる方針です。具体的には、平成28年3月期および平成29年3月期のそれぞれの事業年度において、自社創薬および共同研究あわせて、2つのパイプラインのライセンス・アウトを計画しております。

収入額については、開発品の市場価値、競争優位性、開発品の創製が自社創薬か共同研究か、等の要素を考慮して想定した額に、一定の成功確率を掛けて算出しております。

#### ▶ 共同研究収入

他の製薬企業との共同研究契約に基づく、共同研究収入（研究支援費）を見込んでおります。

平成28年3月期以降は、新規の相手先との共同研究の開始も見込んでおり、すでに複数の製薬企業と交渉を開始しております。

## 中期経営計画の前提条件・数値根拠③

### 事業費用

(A)研究開発費、(B) 販管費及び一般管理費（管理部門経費）の二つに区分して策定しております。

(A)研究開発費については、各パイプラインの開発シナリオに応じた数値を見積もっており、主たる費用は、対象アプタマーの合成やその評価試験のための外注費、試薬購入のための研究用材料費となります。(B) 販管費及び一般管理費（管理部門経費）については、過去実績を勘案しつつ、今後の事業拡大にあわせて数値を見込んでおります。

### 営業外損益

営業外収益として、主に、他の製薬企業との共同研究実施に伴う、受取研究開発費（当社で要する研究経費の実費補てん）を見込んでいます。

営業外費用については、特筆すべき費用は見込んでおりません。

### 設備投資計画

特筆すべき設備投資は計画しておりません。

### 資金計画

上場による調達資金は、主に自社創薬の各パイプラインの研究開発の推進強化のために充当いたします。これにより、各パイプラインの研究開発を計画通り行うとともに、開発候補品の品質を高め、計画された時期のライセンス・アウト実現が可能になるものと考えております。

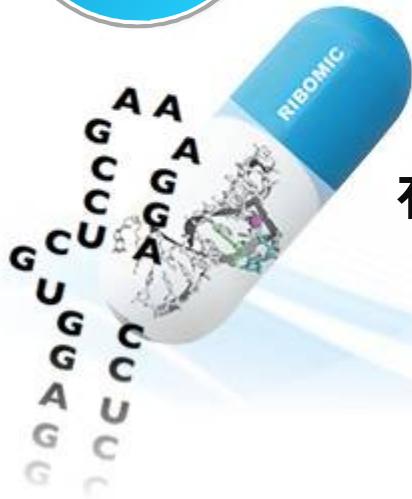
その他の調達は計画しておりません。

アプタマー  
って何？

RNAやDNAの核酸がいろんな形を造って  
タンパク質にフィットできる新素材です。

薬に  
なるの？

アプタマーは病気の原因タンパク質に  
結合して、その働きを抑制する、  
次世代の新薬として期待されています。



有効な薬のない不安・・・

そんな不安をなくしたい



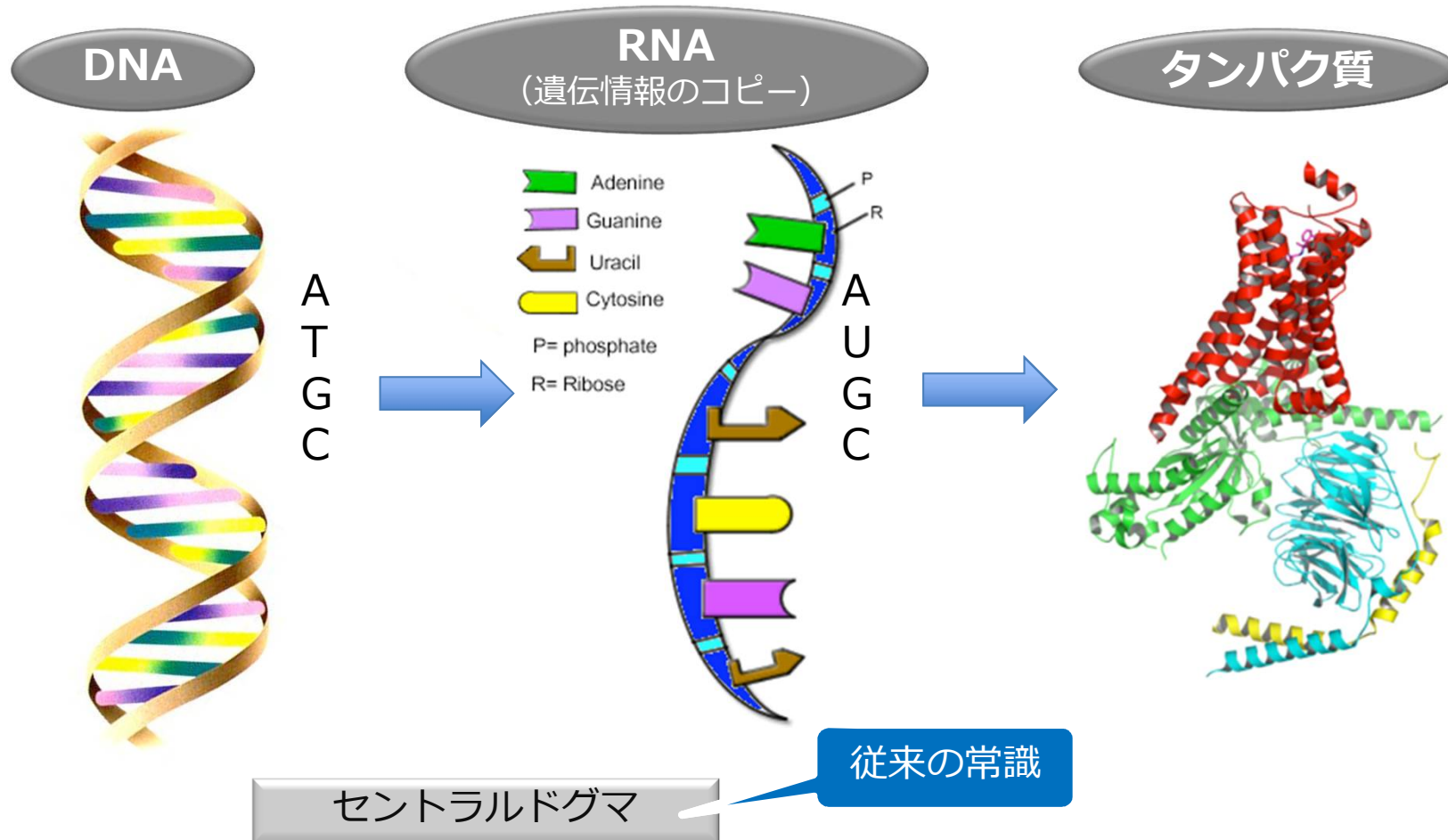
# 会社説明資料

平成26年9月



# 薬の素材となる核酸とは？

分子生物学によって生命の仕組みと核酸（DNAとRNA）の役割が明らかにされました。  
RNAが単なる遺伝情報のコピーではなく、立体構造を形成する機能に注目。

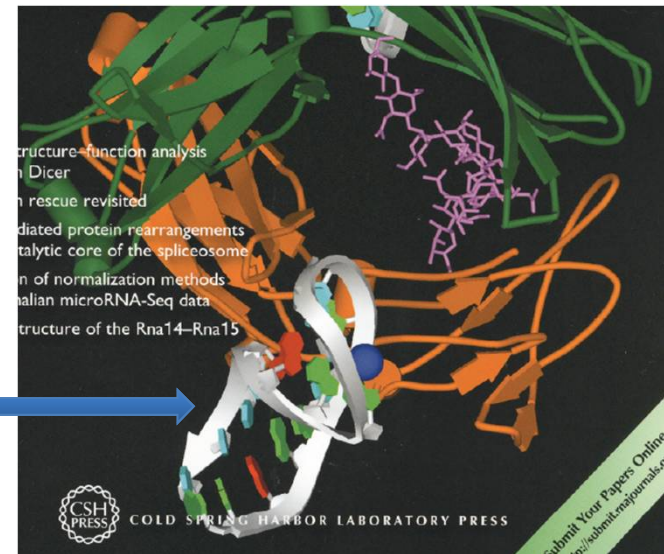
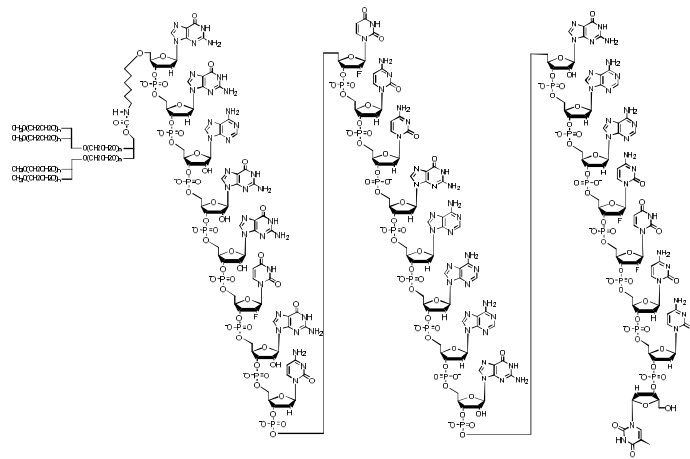


セントラルドグマ： DNA分子のもつ遺伝情報がRNA分子を介してタンパク質分子に一方方向に伝えられるという生命原理



# アプタマー医薬とは？

## 次世代医薬としての核酸（RNA）抗体



ターゲット（オレンジ色）を捕捉するアプタマー（白色）の立体構造図（\*）

核酸であるRNAが立体構造を作って、ターゲットを捕捉し、阻害する。  
これがアプタマーです。

つまり、アプタマー創薬はRNAの造形力を利用した新しい医薬品です。

(\*）出典：Nomura, Y. et al. Nucl. Acids Res., 38: 7822-7829 (2010).

## インベストメント・ハイライト

- 1 アプタマー（核酸）医薬の特徴と抗体医薬との違い
- 2 新薬シーズを創出するプラットフォーム「RiboARTシステム」
- 3 ライセンス・アウトと長期アライアンスの実現



- I. 当社のご紹介
- II. 市場の見通しと第四の矢
- III. 当社の特徴と強み
- IV. 事業戦略と実績



# I . 当社のご紹介



# 会社概要

F : 増資

## 沿革

創業

創薬事業開始

中村役員参加

中村東大退官  
CEO就任

IPO



F

F

F

F

F

## アライアンス

大塚製薬(1)

大塚製薬(2)

全薬工業

大正製薬

藤本製薬



## 会社概要

商号 : 株式会社リボミック

所在地 : 東京都港区白金台3-16-13  
白金台ウスイビル

設立 : 2003年8月

資本金 : 2,840百万円

役員 :

- 中村 義一 (代表取締役社長 PhD)
- 宮崎 正是 (取締役 財務担当)
- 宮川 伸 (取締役 研究担当 PhD)
- 藤井 素彦 (監査役 常勤)
- 高木 正明 (監査役 MBA)
- 矢部 豊 (監査役 公認会計士)

社員数 : 16名 (除く兼務役員2名)

ライセンス・アウト先 : 藤本製薬(株)

共同研究先 : 大塚製薬(株)、大正製薬(株)、全薬工業(株)

アカデミア提携先 : 東大、名大、東北大、理研等



## 「アプタマー創薬」により

- 1 Unmet Medical Needs  
(未だに満足すべき治療法のない疾患) に応える。
- 2 日本の創薬力を復活させる。
- 3 産学連携を推進する。

## 社長プロフィール



中村 義一（なかむら よしかず）  
（1947年11月生まれ、新潟県出身）

1978年 東京大学医科学研究所 助手  
1986年 東京大学医科学研究所 助教授  
2000年 東京大学医科学研究所 教授  
2003年 当社設立（Founder）  
2005年 取締役 最高技術責任者 就任  
2012年 代表取締役社長 就任  
2012年 東京大学名誉教授

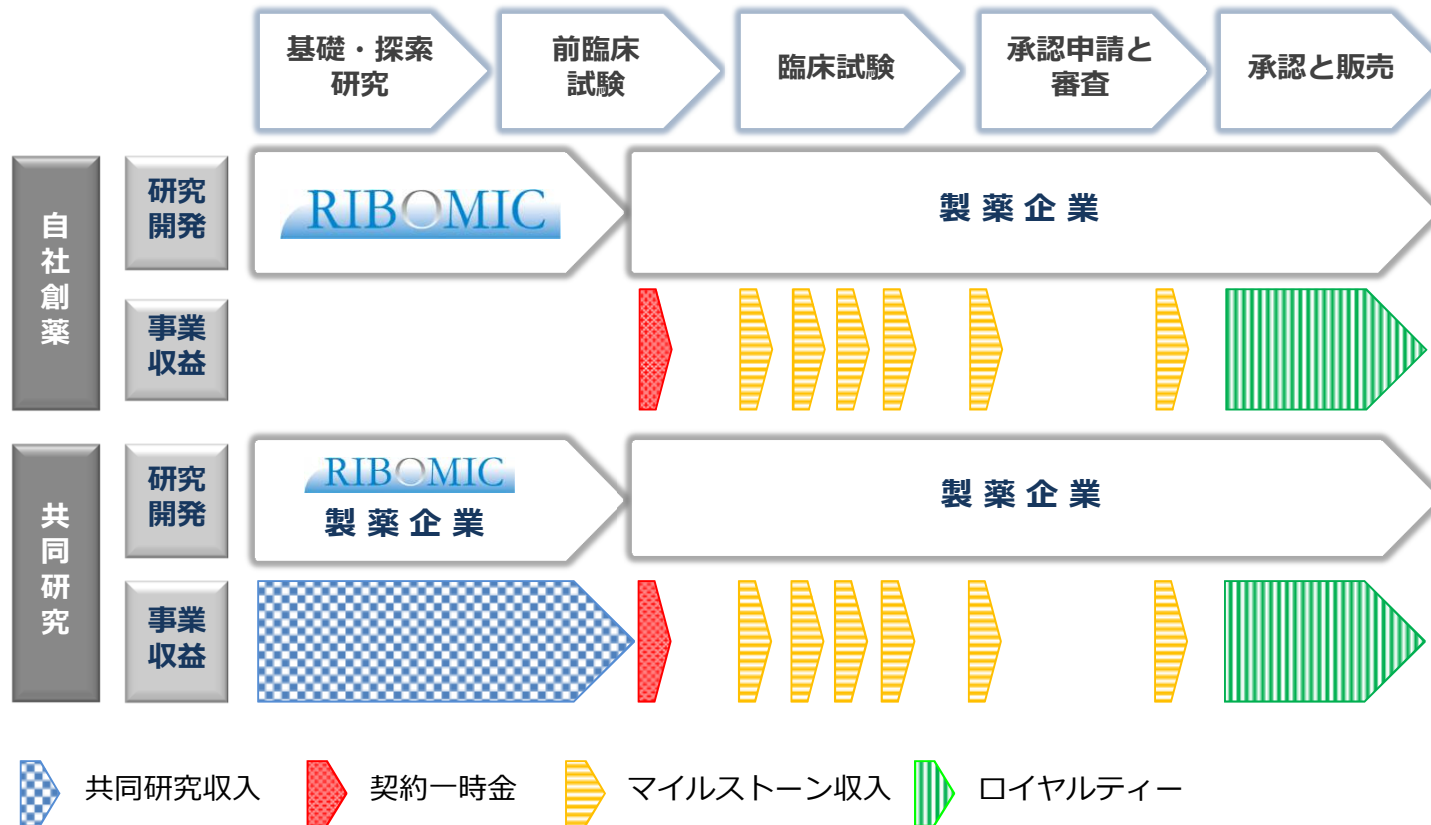
### 【研究成果】

- \* 40年にわたる遺伝子研究
- \* 創薬基盤となるRNAとタンパク質の「分子擬態」の発見
- \* RNAの造形力を利用した創薬プラットフォーム「RiboARTシステム」の開発
- \* 日本RNA学会会長、京都賞審査委員・文部科学省専門委員等歴任



# 当社のビジネスモデル

「創薬プラットフォーム系バイオベンチャー」として  
 早期ライセンス・アウトを前提として知財を固め、  
 共同研究収入とライセンス対価による収益を計ります。

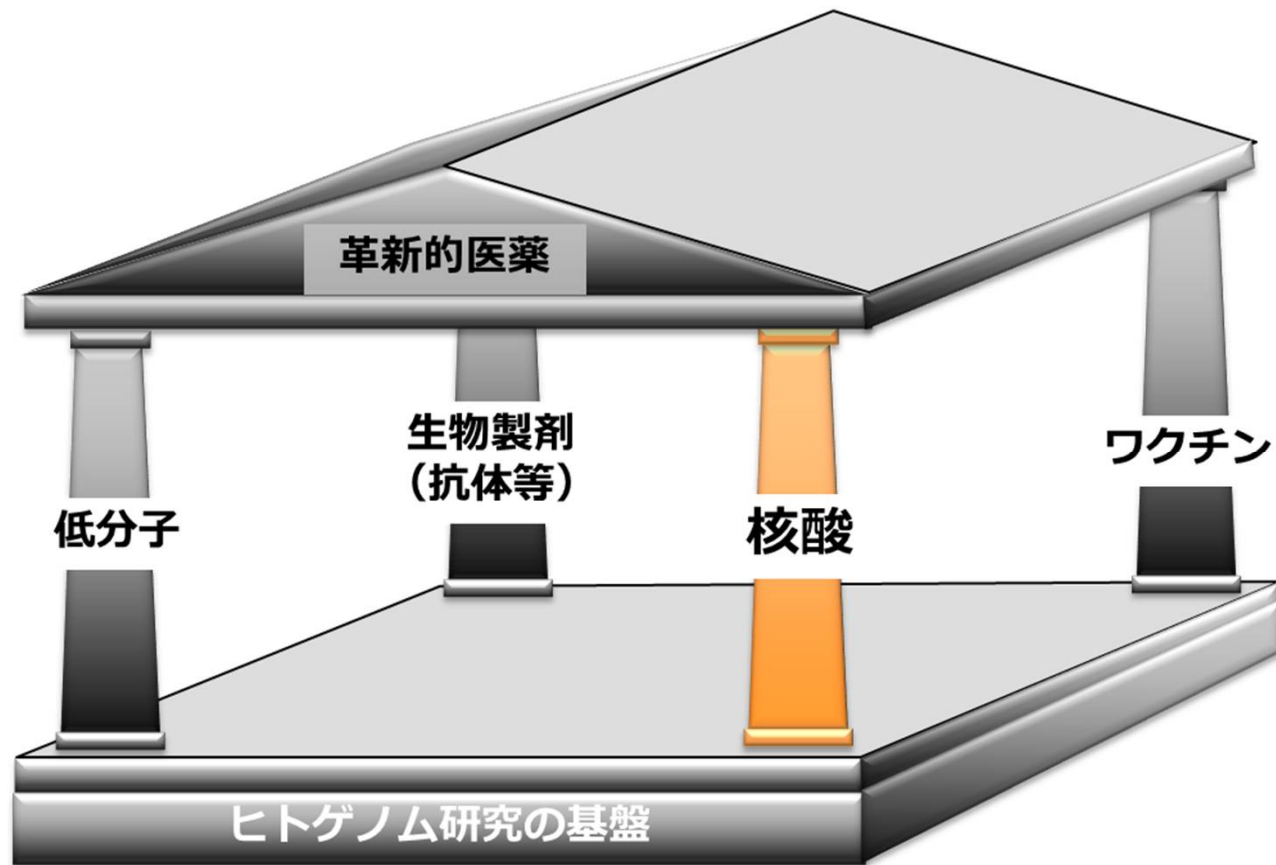


注：上記の図は、一般的なケースとして当社が想定している収益計上のタイミングを表すものです。  
 個別の契約によりそれぞれの金額や受取回数等が異なる場合があります。



## Ⅱ．市場の見通しと第四の柱

創薬立国に向けた第四の柱：  
アプタマー医薬は創薬戦略における第四の柱



# RNAを薬にする

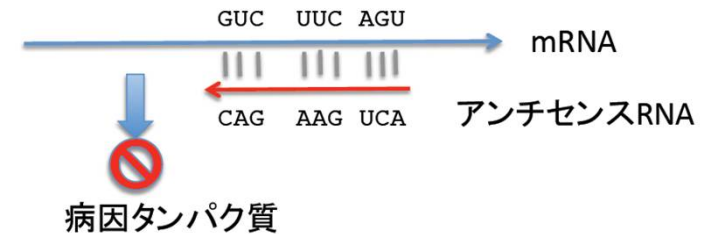
これまでは「RNAi、アンチセンス」、これからは  
「アプタマー、別名『核酸抗体』」

## RNAi (RNA干渉)、アンチセンス

形状：直線状のRNA

標的：mRNA

作用：塩基対合(A:U, G:C)で阻害



## Aptamer (アプタマー、別名「核酸抗体」)

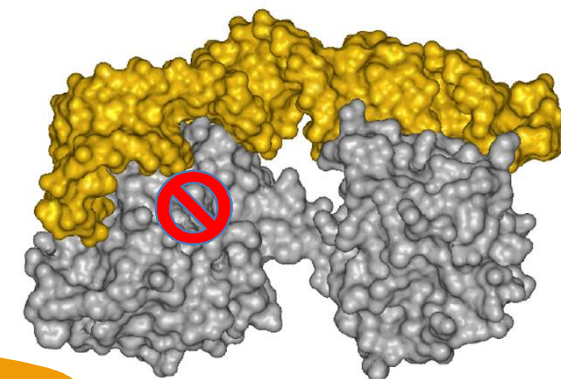
形状：立体的なRNA

標的：タンパク質

作用：形のフィッティングで結合阻害

当社での取り組み

RNAアプタマー



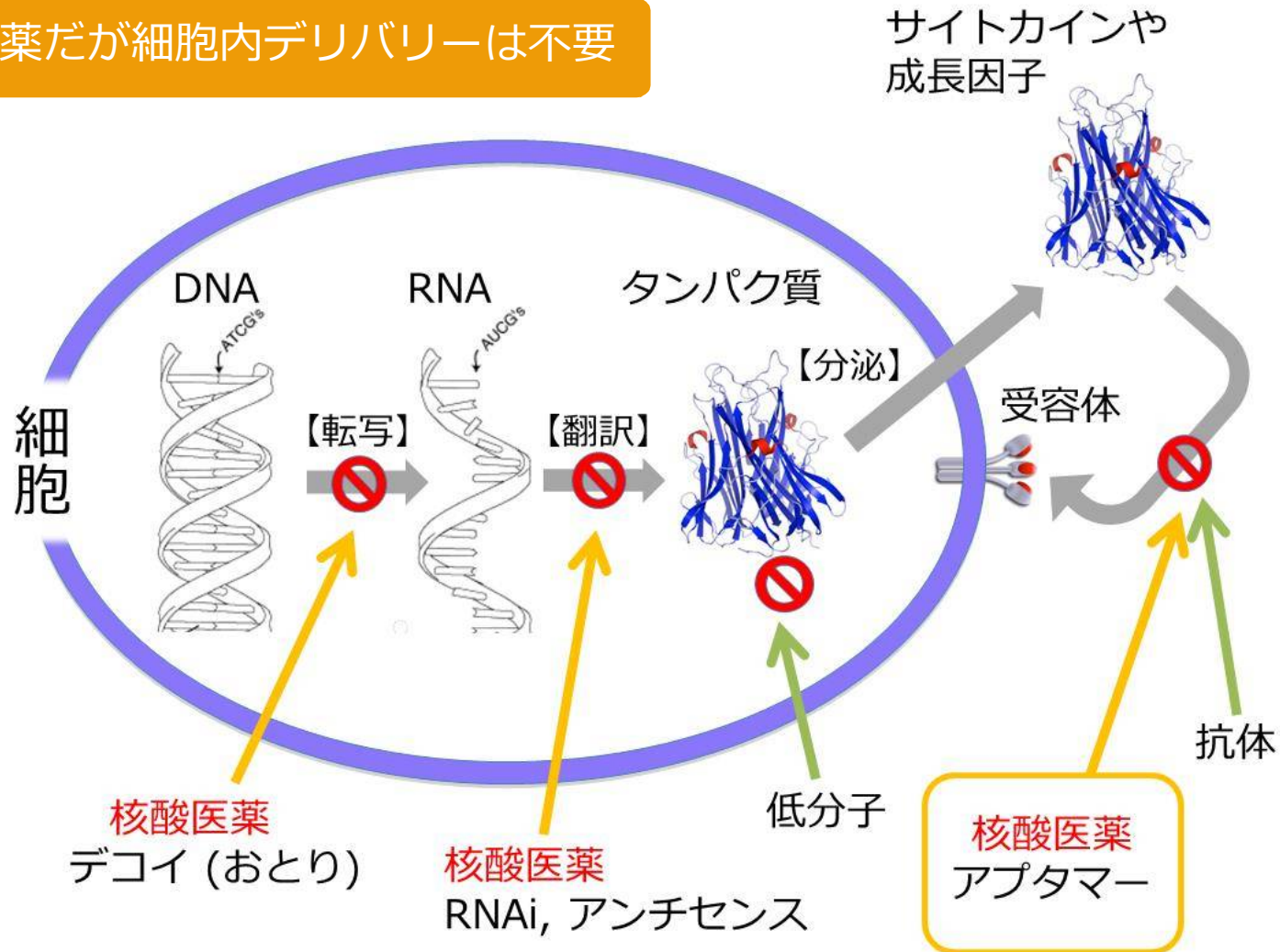
病因タンパク質

“RNAに備わった造形力を利用”

# 核酸医薬品の作用

アプタマー医薬は、分子標的薬として抗体医薬と同様の作用が期待できます。

核酸医薬だが細胞内デリバリーは不要

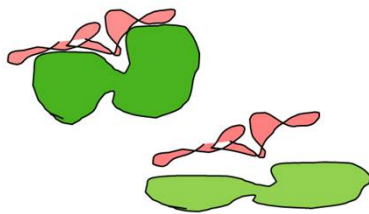


# 医薬としてのポテンシャル

アプタマー医薬は、抗体医薬にはない利点が期待される新薬です。

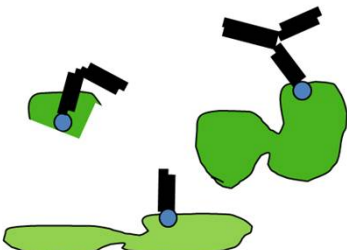
## <アプタマー医薬と抗体医薬の比較>

アプタマー  
「かたち」で標的を捕捉



次世代市場、チャレンジ

抗体  
ピンポイントで捕捉



5兆円市場、市場拡大中

項目	アプタマー医薬	抗体医薬
標的タンパク質に対する結合力	抗体の千倍は可能	強い
創薬ターゲットの種類	極めて多様	抗原タンパクに限定
製造	化学合成法	細胞培養法
コスト (製造コスト低減の容易さ)	比較的高価 (製造コスト低減の期待あり)	比較的高価 (製造コストの低減は難しい)
抗原性/免疫排除	起きにくい	起きる
製剤の可逆性・安定性	強い	弱い
体内動態 (長時間作用)	苦手、限界あり	良い、得意
短期作用性	得意	困難
加工・化学修飾	容易	困難
開発・販売の歴史	短い	長い
上市実績	一品	多くの製品

(当社作成)



# アプタマー医薬開発の現状

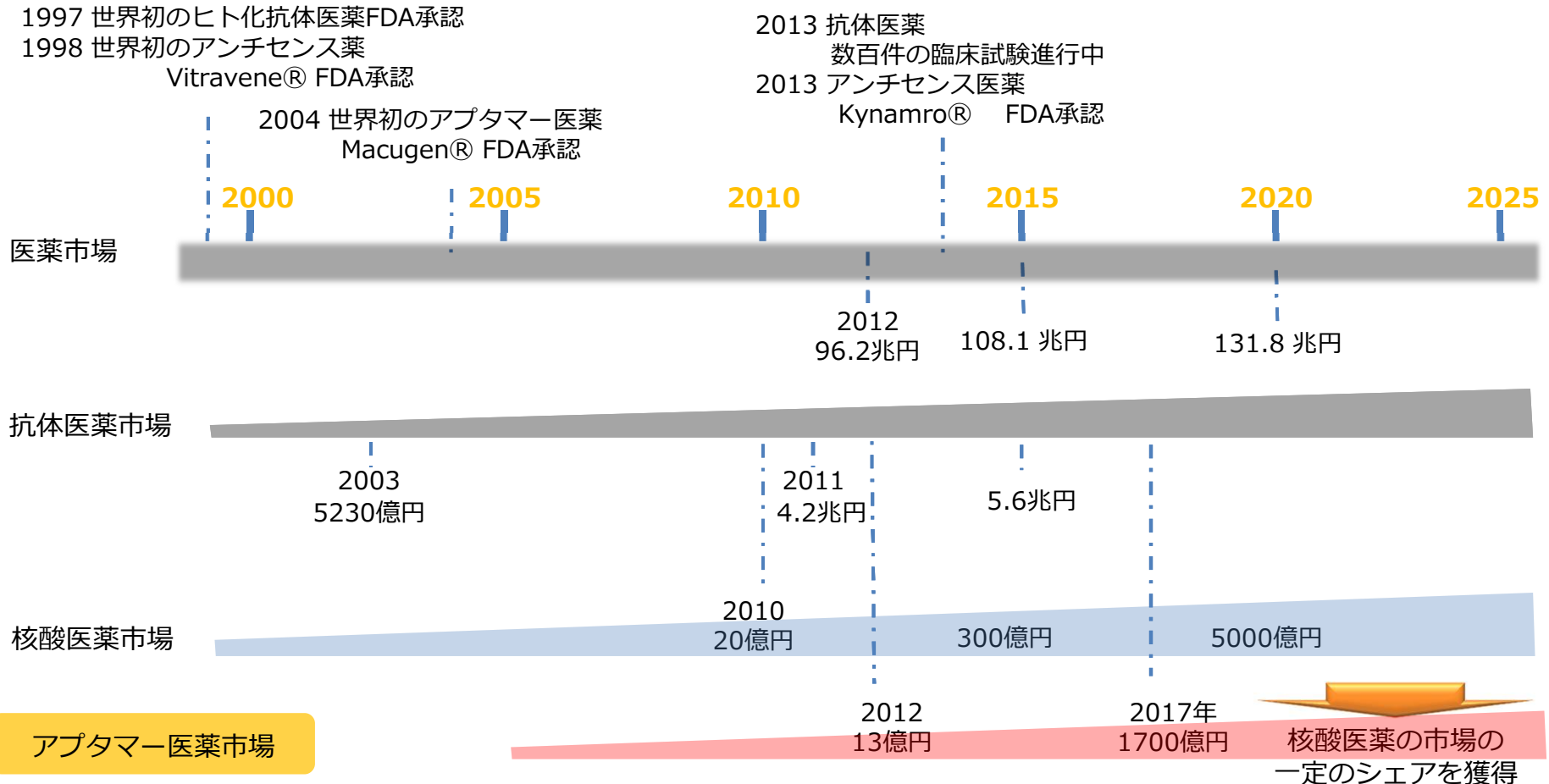
アプタマー医薬の開発は世界的に加速しています。

アプタマー (製品名)	標的タンパク質	開発製薬企業	標的疾患	開発段階
Pegaptanib (Macugen®)	VEGF (Vascular endothelial growth factor)-165	Eyetech/Pfizer	加齢黄斑変性症 (AMD)	発売中
		Pfizer	糖尿病性網膜浮腫	P III
		G. Husuton Retina Re.	増殖性糖尿病性網膜症	P III
REG1	Factor IXa	Regado	心臓カテーテル治療 (PCI) 中の抗凝固 PCIでのヘパリン併用抗凝固 急性動脈症候群の抗凝固	P III P II P II
E10030 (Fovista®)	PDGF (Platelet-Derived Growth Factor) -β	Ophthotech (Novartisにライセンス 2014.5.20 Upfront : \$200M)	AMD AMD (ルセンティスとの併用) AMD (アバスチン、アイリーアとの併用)	P III P III P III
NOX-E36	CCL2/MCP-1 (Monocyte Chemotactic Protein-1)	NOXXON	糖尿病性腎症 II型糖尿病 腎傷害	P II P II P I
NOX-A12	SDF-1	NOXXON	再発多発性メラノーマ 慢性骨髄性白血病	P II P II
NOX-H94	Hepcidin	NOXXON	癌患者の慢性貧血 慢性貧血	P II P I
ARC1905	C5 (補体)	Ophthotech	ドライ型AMD AMD (ルセンティスとの併用)	P I P I



# 医薬市場の展望

医薬市場は「抗体医薬」「核酸医薬」に牽引されて拡大する見通し  
 アプタマー医薬は核酸医薬市場の拡大を牽引すると考えています。



金額換算：1ドル = 100円換算

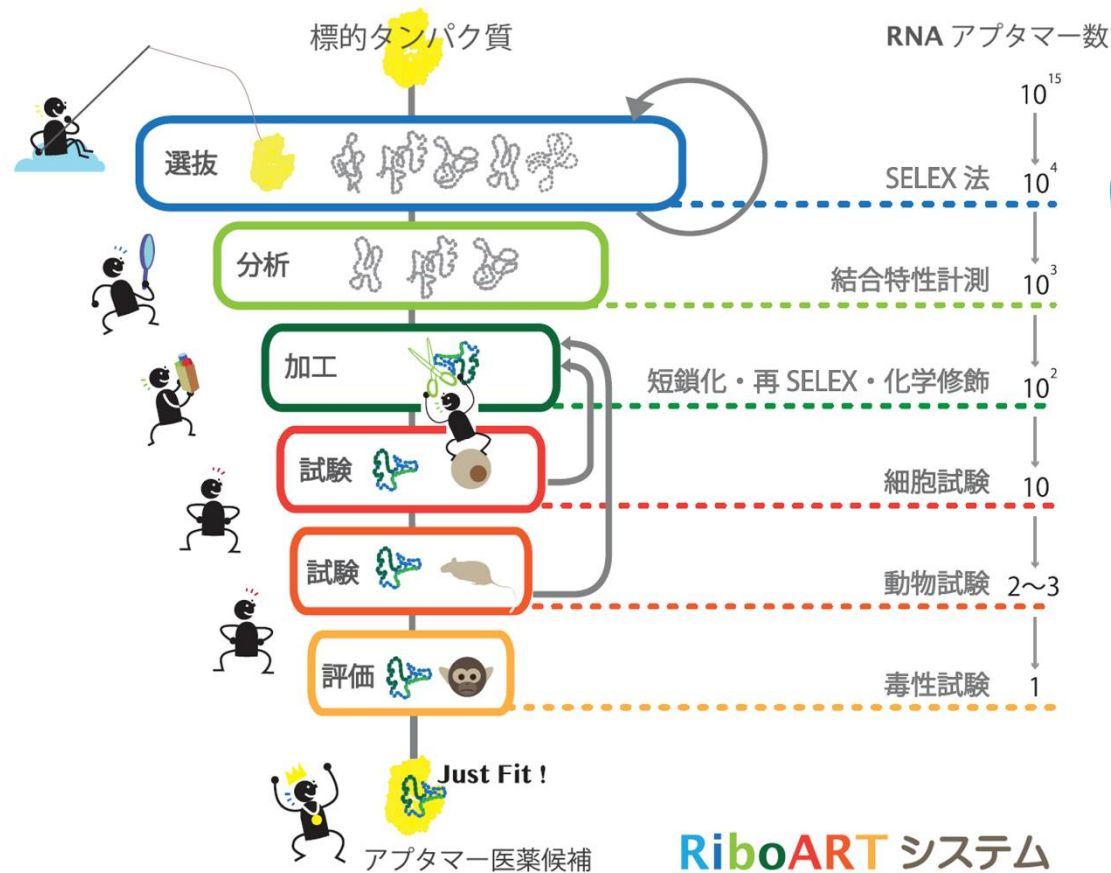
出典：世界医薬品市場（2012年の医薬品市場：「IMS Health Market Prognosis」, IMS, 2013年6月、2015年及び2020年の医薬品市場：「Future Pharma, Five Strategies to Accelerate the Transformation of the Pharmaceutical Industry by 2020」, KPMG. Co, UK, 2011年）、抗体医薬の市場（「2012年版 世界の抗体医薬品開発の最新動向と市場展望」、株式会社シード・プランニング、2012年7月、核酸医薬の市場（「核酸医薬品等共同製造施設設置に向けた事前調査」報告書、株式会社シード・プランニング、2011年2月）、アプタマー医薬市場（BCC Research 2012年10月24日ニュースリリース）の予測をもとに当社で作成。



## Ⅲ. 当社の特徴と強み

# 当社のコア技術 「RiboARTシステム」

「RiboART (Ribomic Aptamer Refined Therapeutics) システム」：  
シーズの探索から臨床開発品の仕上げまで、一貫したアプタマー創薬を実現



## 【強み】

アプタマーの最適化  
プロセスで結合力(Kd)を  
 $10^3 \sim 10^4$ 倍増強し  
 $K_d < pM$  を達成！

## RiboARTシステムの主な内容

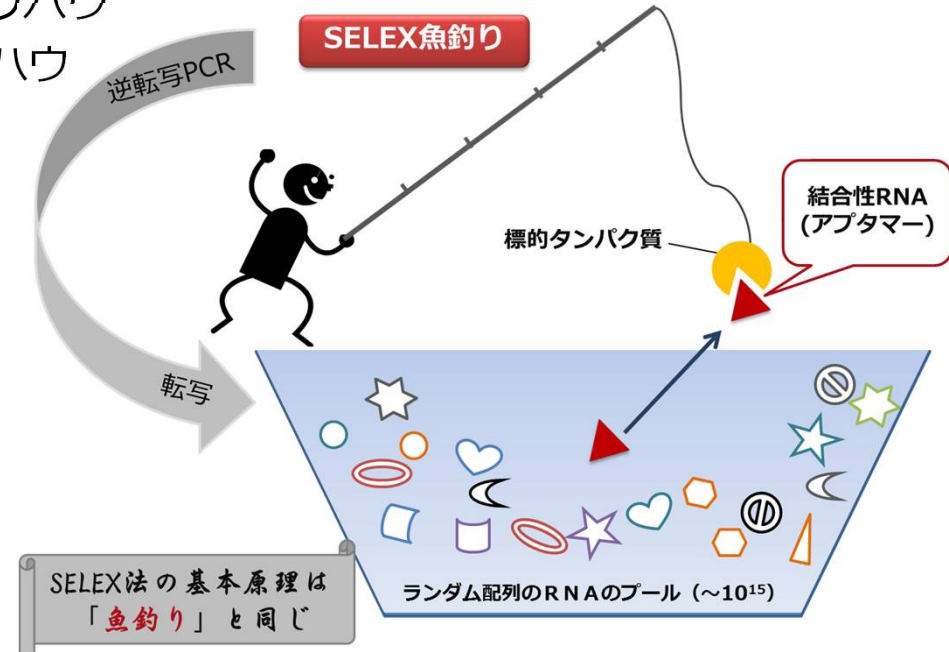
1. アプタマーの取得技術
2. アプタマーの最適化技術
  - 2-1. 短鎖化
  - 2-2. 化学修飾
3. アプタマーの製造法、品質規格の設定、品質管理等のノウハウ

# RiboARTシステムのイメージ (i)

世界でも有数のSELEX法に関する高度で、かつ、広汎な技術を有しています。

## 【アプタマーの取得技術】

- ◆ 目標とする創薬標的（タンパク質）に結合するアプタマーを取得するSELEX法に関する技術。
- ◆ 様々なタンパク質を標的に使用できる汎用性が特徴。
- ◆ 様々な標的に応用可能な多くの核酸プールを保有。
- ◆ 以下についての高度な知識と長年の経験が必要。
  - ✓ 新規の核酸プールを構築するノウハウ
  - ✓ 最適なSELEX法を選択するノウハウ



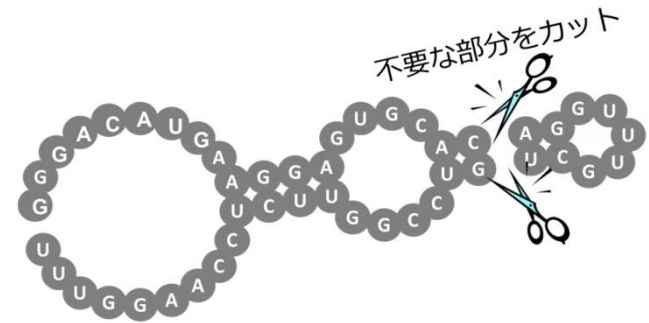
## RiboARTシステムのイメージ (ii)

医薬品に適したアプタマーへと改良する技術・ノウハウを有しています。

### 【アプタマーの最適化技術】

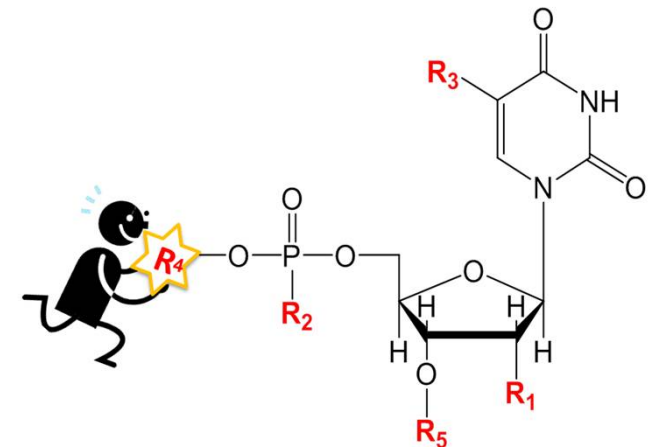
#### ◆ 短鎖化

取得したアプタマーから不要な部分を除去する  
⇒ 必要最小限の長さにする



#### ◆ 化学修飾

アプタマーの塩基を化学修飾したり、末端へ化合物を結合する  
⇒ 活性を増強し、薬物体内動態（作用時間）を改善



評価試験で効果を確認しつつ、最適化作業を繰り返す

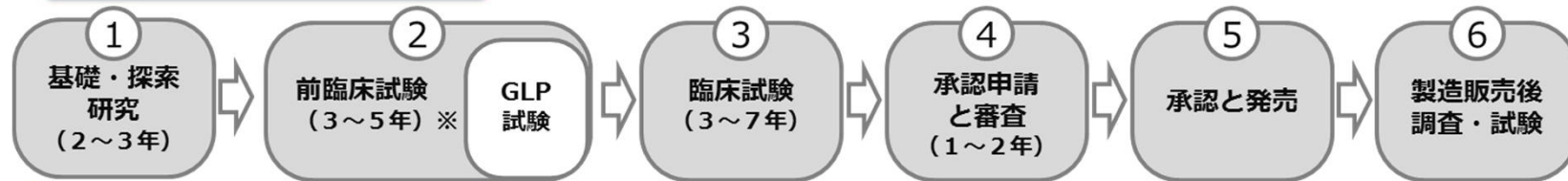
➡ 臨床開発品の完成

# 創薬プロセスの短縮化

新薬の研究開発は、10数年の長い年月と場合により数百億円もの多額の資金を要します。「RiboARTシステム」は、GLP試験開始までのステージに約3~4年で到達可能です。

## 新薬のシーズ探索の効率化

### 通常の新薬開発プロセス



### 「RiboARTシステム」



※前臨床試験（3~5年）にはGLP試験の期間1年前後が含まれています。



## IV. 事業戦略と実績



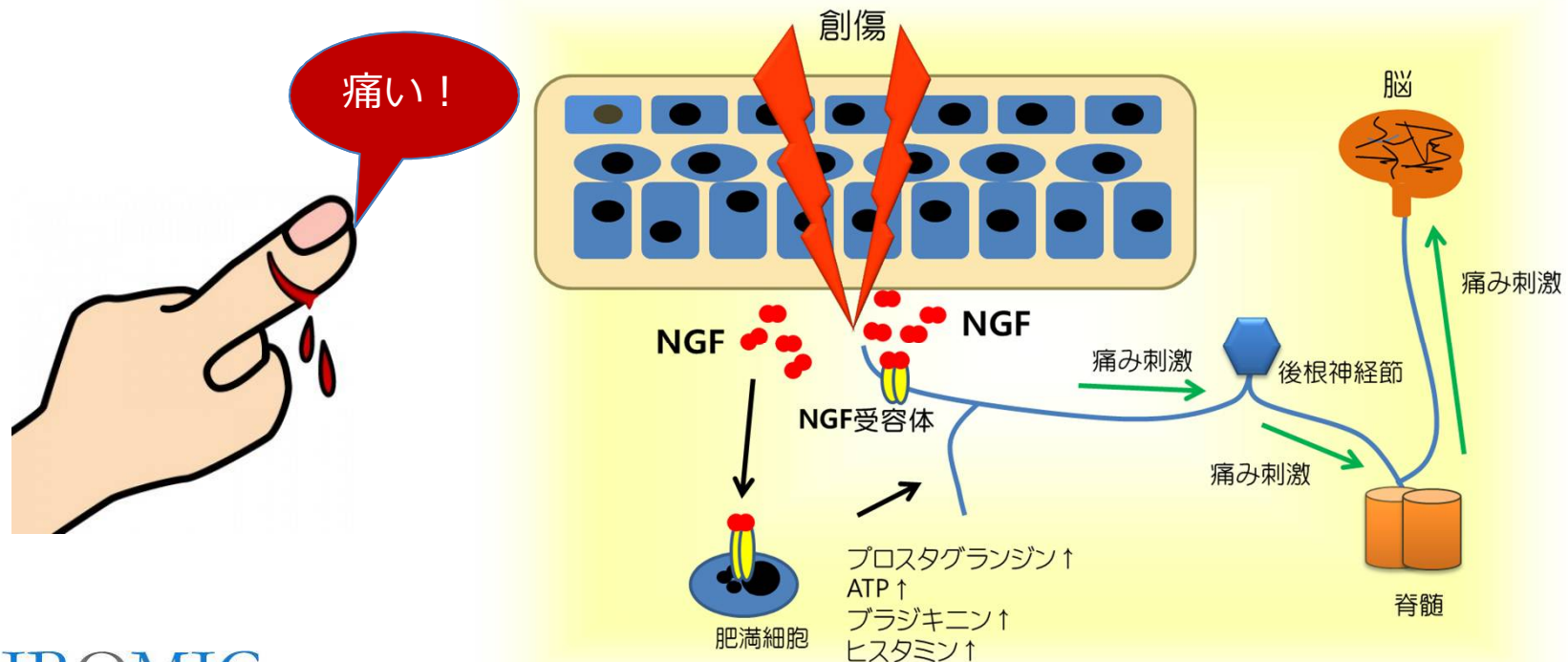


# ライセンス・アウト実績

当社の創薬事業のプロジェクトのうちライセンス・アウト済みのプロジェクトは、以下のとおりです。

区分	プロジェクト	ターゲット	導出先	権利地域	適応症
自社創薬	RBM004	NGF (神経成長因子)	藤本製薬株式会社	全世界	疼痛

NGFは痛みの伝達物質。抗NGFアプタマーはその働きを完全に抑制することが可能で、モルヒネを代替する鎮痛剤としての開発を進めています。



# RBM004（抗NGFアプタマー）のポテンシャル

2012年度の日米欧の鎮痛剤の市場は1兆8,523億円  
オピオイド（医療麻薬）製剤で7,368億円 の市場を構成しています。

抗NGFアプタマーはオピオイドに代替し、または併用によって  
QOLを高める、大きな医薬市場が期待できます。

<2012年・日米欧の鎮痛剤市場規模>

地域	市場規模 (単位：百万円)	シェア (%)
米国	1,097,900	59.3
欧州	388,700	21.0
日本	365,700	19.7

<2012年・種類別鎮痛剤市場規模>

鎮痛剤の種類	市場規模 (単位：百万円)
NSAIDs（外用剤含む）	328,400
COX-2阻害剤	227,100
オピオイド	736,800
片頭痛治療薬	183,300
その他	376,700

(株式会社総合企画センター大阪「2013年、世界の疼痛薬市場」より)

## 共同研究等実績



アプタマー創薬への注目の高まりが当社との共同研究に結実しています。

パートナー名称	共同研究概要
大塚製薬株式会社	2008年1月1日付契約に基づく「RBM002」に関する共同研究 2008年1月1日付契約に基づく「RBM003」に関する共同研究 2010年6月10日付契約に基づく「RBM001」に関する共同研究
全薬工業株式会社	2011年2月より、技術アドバイス（および試験実施）に関連する業務を受託
大正製薬株式会社	2014年3月付契約に基づく、同社が選定した創薬領域に関する共同研究

## 製薬企業との資本提携実績

当社はこれまでライセンス・アウトや共同研究に連動して製薬企業と資本提携も実施し、統合的な事業推進を図ってまいりました。

資本提携先	保有株式 (株)	シェア (%)	提携時期
大塚製薬株式会社	4,000,000	33.1	2007年11月
全薬工業株式会社	1,025,800	8.4	2011年2月
藤本製薬株式会社	300,000	2.4	2014年5月

(2014年9月25日現在)

# 産学連携

「学」の知と協業し、成果を社会に還元します。

