



平成26年10月17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16番13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

自社創薬パイプラインRBM007の前臨床試験進捗に関するお知らせ

かねて研究開発を進めてきた自社創薬パイプラインRBM007（線維芽細胞増殖因子FGF2 に対するアプタマー医薬品、以下「本アプタマー」）について、このたび予備毒性試験ならびに動物を用いた主要な薬効確認試験を終了いたしましたので、お知らせいたします。

予備毒性試験では、本アプタマーについてラット、カニクイザルを用いた5日間反復静脈内投与を実施し、十分な安全性が確認されました。これにより、ヒトでの臨床試験に入る前に不可欠なGLP試験の実施への目途がたちました。

本アプタマーの適応疾患としては、骨粗鬆症や難治性の骨折等の骨疾患、抗TNF α 抗体の効かない慢性関節リウマチ、癌性疼痛(特に癌の骨転移に伴うもの)、高齢者の失明の原因ともなる加齢黄斑変性症等を想定しております。

また、薬効確認試験では、これらの疾患に対する本アプタマーの効果を、自社および外部の試験研究会社において標準的なマウスやラットの当該疾患モデルを用いて試験し、いずれの疾患モデルでも、本アプタマーの優れた薬効が確認されました。

本パイプライン、本アプタマーに関連して、3件のアプタマーに関する物質特許を世界各国に出願しており、日米欧、その他主要国での特許成立に向けた手続きを着実に進めております。その内の1件について、本年7月8日、米国で物質特許(U. S. Patent No. 8, 772, 259)が成立しております。

上記のとおり、本アプタマーの動物試験での薬効が確認され、また安全性面での課題が生じないことが予想でき、さらに世界最大の市場である米国で物質特許が成立したことから、本アプタマーについて、ライセンス・アウトのための準備がすべて整いました。

従いまして、今後、国内外の製薬企業とのライセンス交渉を更に積極的に進めていく予定でおります。

自社創薬パイプラインRBM007の進捗

| 研究開発形態 | Project No. | 開発中の適応症 | 基礎・探索研究 | 前臨床試験 | | | 臨床試験 | 備考 (追加可能な適応疾患等) |
|--------|-------------|---------|---------|-------------------------------------|--------|-------|------|--------------------|
| | | | | <i>in vitro</i> / <i>in vivo</i> 試験 | 予備毒性試験 | GLP試験 | 第I相 | |
| 自社開発 | RBM007 | 骨疾患 | | | | | | 癌、リウマチ他 |
| | | 癌性疼痛 | | | | | | |
| | | 線維症 | | | | | | |
| | | 加齢黄斑変性症 | | | | | | |

注：赤の矢印の部分は、平成26年8月20日に提出いたしました「新規上場申請のための有価証券報告書」（Iの部）からの本パイプラインの進捗を示しております。

なお、本件による通期業績への影響は軽微であります。

以上

<用語解説>

線維芽細胞増殖因子 FGF2

神経組織、下垂体、副腎皮質、胎盤などから単離される成長因子のひとつで、細胞増殖因子、血管新生因子、神経栄養因子として幅広い機能を有しています。FGF2の異常が、癌や骨疾患などの発症や増悪に関与することが報告されているため、当社はアプタマーによってその異常な働きを抑制できる新薬の開発を進めてまいりました。

株式会社リボミックについて

株式会社リボミックは、次世代新薬として注目されている核酸医薬の一種「アプタマー医薬」の開発を目的とする、創薬プラットフォーム系バイオベンチャーです。株式会社リボミックの創薬基盤技術である「RiboART システム」は、様々なアプタマー医薬の開発に応用することが可能です。株式会社リボミックは疼痛・線維症・血液疾患・骨疾患を始めとして、広い領域の 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）に対する新薬の提供を目指してまいります。