

## 株式会社リボミック

(4591 Growth)

発行日 2026年3月24日

## RBM-007(対象 ACH) Phase3 治験申請提出

## 核酸医薬(アプタマー)の創薬ベンチャー

リボミックは、核酸医薬の一種であるアプタマー医薬の研究開発を専門とする東京大学発のバイオベンチャーである。核酸医薬は、低分子薬や抗体医薬による創薬の種が、これまでの開発競争で枯渇化している懸念のなか、治療が難しかった疾患に対する新しい創薬モダリティ(治療手段)として注目を集めている。リボミックは、数多くの開発候補品を保有するが、ACH(軟骨無形成症)を対象とした RBM-007、RBM-006 の非臨床開発、DDS アプタマーの研究開発の三分野に選択と集中を行っているところである。

## ACH を対象とした RBM-007: Phase3 治験申請提出

2026年3月に公表された ACH を対象とする RBM-007 の Phase2 の総括報告では、主要評価項目(年間身長伸展速度の変化量)は、既存薬(VOXZOGO®)に匹敵する結果が確認された。RBM-007 は VOXZOGO®と同じ皮下注射剤であるが、VOXZOGO®に比べ投与間隔を大幅に改善できる。ただし、RBM-007 のライバルとみなされる Infigratinib(経口薬)は、現在 Phase3 を完了し、承認申請準備中であるが、既存薬を上回る効果を示唆している。リボミックの提携候補先である複数の大手製薬会社は、RBM-007 が Infigratinib を上回る効果を挙げる可能性があるか注目している。リボミックでは、これまでの PMDA とのやり取りのなかで、Infigratinib を上回る効果を期待できる高用量での Phase3 へ移行できる可能性が高まってきたと考え、2026年3月18日 Phase3 の治験申請を行った。治験申請から14日間の審査期間のあと、本試験に入ることとなる。そして、2028年には最終結果を得て、2029年上市の予定である。

## ACH 治療薬は大型導出契約となる公算

ACH を対象とした治療薬は、日本では、対象患者数が約900人と推定され、先行する VOXZOGO®の薬価を参考に置くと、潜在市場規模は約350億円と推定される。なお、VOXZOGO®は2022年8月に承認されたばかりであるが、既に日本での売り上げは年間100億円程度となっている。ちなみに、全世界では、ACH 治療薬のピーク時売上は約20億ドル(3兆円)以上と推計されている。また、ACH を巡る日本での開発販売権の導入例を見ると、契約一時金が7000万ドル~1億ドルとなっており、仮にリボミックがライセンスアウトできれば、大型契約になることが期待できる。欧米まで開発販売権を広げるとさらに大きな金額が期待できよう。さらに、ACH から HCH(軟骨低形成症)への適応拡大も期待される。HCH の市場規模は ACH と同程度の規模が期待される。今後の開発の進捗と提携の浮上が楽しみとなってくる。また、ACH を対象とした RBM-007 だけでなく、網膜疾患等を対象とした RBM-006 の開発の進捗にも期待したい。

## フォローアップレポート

フェアリサーチ株式会社

鈴木 壯

会社概要	概要
所在地	東京都港区
代表者	中村義一
設立年月	2003年8月
資本金	872百万円
上場日	2014年9月
URL	www.ribomic.co.jp
業種	医薬品
従業員数	25人(単独)
主要指標 2026/3/23 現在	
株価	91
52週高値終値	120
52週安値終値	73
発行済株式数	54,332千株
売買単位	100株
時価総額	4,944百万円
会社予想配当	0円
予想当期利益ベースEPS	-23.52円
予想PER	NA倍
実績BPS	59.33円
実績PBR	1.53倍

(注)EPS、PER、BPS、PBRは自己株式数除く発行済株式数ベース。

業績動向	事業収益 百万円	前期比 %	営業利益 百万円	前期比 %	経常利益 百万円	前期比 %	当期純利益 百万円	前期比 %	EPS 円	年度終値株価 円	
										高値	安値
2022/3 通期実績	80	87.9	-1,748	NM	-1,635	NM	-1,684	NM	-59.95	904	146
2023/3 通期実績	65	81.5	-1,786	NM	-1,649	NM	-1,653	NM	-53.14	278	156
2024/3 通期実績	0	NM	-1,116	NM	-982	NM	-1,024	NM	-28.70	193	88
2025/3 通期実績	2	NM	-1,050	NM	-1,014	NM	-1,018	NM	-25.21	119	64
2026/3 3Q 実績	0	NM	-788	NM	-762	NM	-763	NM	-15.86	120	73
2026/3 会社通期予想	3	NM	-1,317	NM	-1,269	NM	-1,277	NM	-23.52		

## 会社概要・経営理念

核酸医薬(アプタマー)の研究開発型創薬企業

独自のアプタマー創薬プラットフォームを有し、次々と創薬の種を創出

眼科と希少疾患(軟骨無形成症)にフォーカスして開発

### <ビジネスモデル>

株式会社リボミック(以下、リボミック)は、核酸医薬の一種であるアプタマー医薬の研究開発を専門とする東京大学発のバイオベンチャーである。核酸医薬は、低分子薬や抗体医薬による創薬の種が、これまでの開発競争で枯渇化している懸念のなか、治療が難しかった疾患に対する新しい創薬モダリティ(治療手段)として注目を集めている。アプタマーは、核酸の一種であり、1本鎖の核酸が、塩基配列に応じて様々な立体構造を形成し、疾患の原因になっているタンパク質などの標的に特異的に結合し、その動きを阻害することで疾患を治療しようとする核酸である。

リボミックの技術の源泉は、社長の中村義一氏が東京大学医科学研究所でRNAを長年研究してきたことに由来する。中村社長は、研究の中で、一本鎖のRNAは、それ自体で様々な形を形成することができ、体内においてタンパク質と類似した構造や作用(分子擬態)を持つことを発見した。このRNAの性質を応用し、抗体医薬と同様に、標的タンパク質に直接作用する分子標的薬が開発できるという確信のもと、2003年にリボミックが創立された。

リボミックは、アプタマー創薬技術に関する独自のプラットフォームである「RiboARTシステム(Ribomic Aptamer Refined Therapeutics System)」をベースに創薬事業を展開している。リボミックでは、従来、他の製薬会社の要請に応じて新薬の種を提供する創薬探索をビジネスの柱としてきた。共同研究開発から実際のライセンス契約に切り替わるものが出現したが、リボミックは、自社創薬の開発にも着手し、2018年以降、自社でも臨床試験を開始し、一定の段階で導出を行うことで、さらに企業価値を高めようという段階にステップアップしたところである。

現在、リボミックでは、アプタマーというモダリティが適した疾患として眼科(網膜疾患)と軟骨無形成症(ACH)のような希少疾患が適していると考えている。眼科疾患は、眼球が閉鎖系器官で薬剤が他の組織に漏出せず全身反応を惹起しないため安全性が高いことと、少量の薬剤用量で有効であるためである。また、希少疾患はニッチで大手が参入しない市場である。また、アプタマーの標的選択性と結合力の高さを利用して、DDS(薬物伝達システム)としての開発も注目されており、製薬会社やバイオベンチャーとの共同開発にも注力している。



(出所)リボミック 会社説明会資料 2025年11月

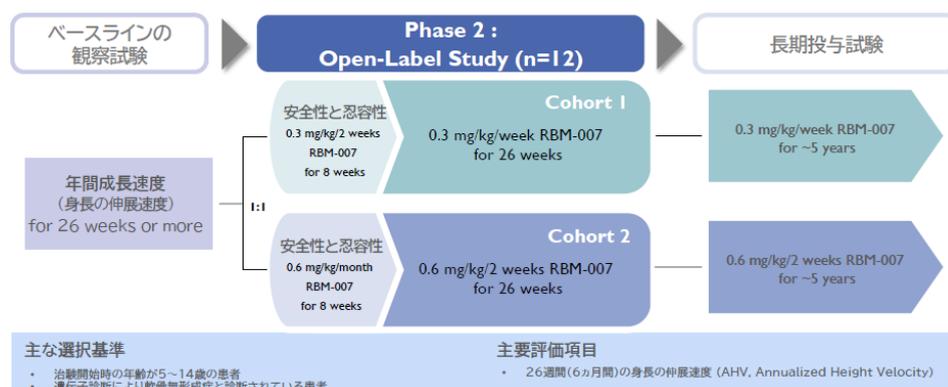
2026年3月、Phase2  
の総括報告を公表

## 1. RBM-007 軟骨無形成症(ACH)を対象とした Phase3 治験申請を提出

### (1) 国内 Phase2 の総括報告

2026年3月10日、リボミックはRBM-007(一般名:umedaptanib pegol)を用いた軟骨無形成症(Achondroplasia、ACHと略)の消費患者におけるPhase2試験の総括を発表した。既に、トップラインデータ(速報)は2025年10月7日に公表されており、有効性が示唆されていたが、総括報告にて、改めて、RBM-007の有効性が確認された。

### Ph2 試験デザイン



(出所)リボミック 第17回次世代モダリティセミナー資料 2026年2月

被験者:5~14歳の小児ACH患者 計12名

投与量・投与間隔:コホート1 0.3mg/kg 1回/週

コホート2 0.6mg/kg 1回/隔週

投与期間:投与開始前に26週間の観察期間

その後、安全性・忍容性を確認する導入期間(8週間)に続いて  
26週間投与(合計34週間投与)

主要評価項目:有効性(導入期間後の26週間投与後と観察期間との年間身長伸張速度の変化量)

### 試験結果

#### (有効性)

主要評価項目である  
AHVは+1.4cm/年  
統計学的有意差が認められた

速報で既に報じられていたが、コホート1の投与完了5名(1名は途中休薬があったため除外)とコホート2の6名の計11名を対象とした結果は、投与開始前と比較して、投与終了後の年間身長伸張速度(AHV)の変化幅は平均+1.4cm/年であった。これは承認済の薬剤 VOXZOGO®の結果(+1.7cm/年;Phase3)とほぼ同等である。総括報告では、p値は0.04であったことが加えられ、探索的解析として統計学的有意差が認められた。

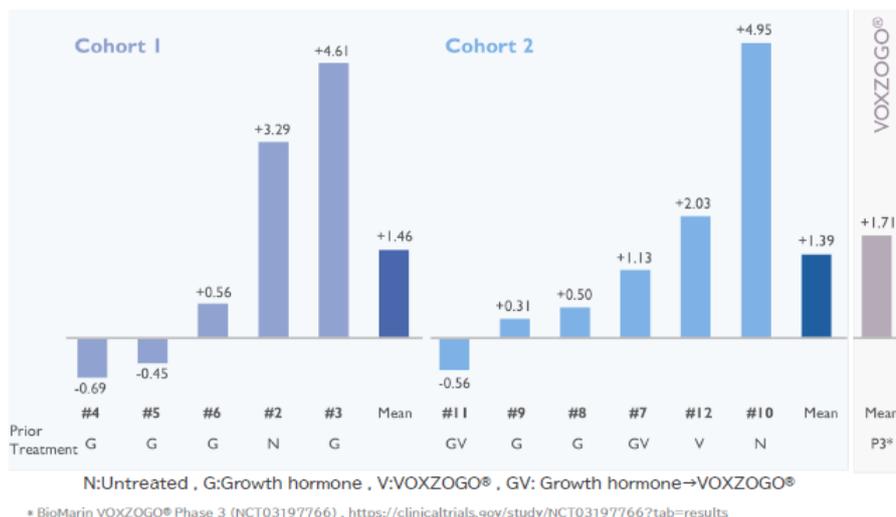
なお、被験者のうち3名(患者番号#11、#7、#12)がVOXZOGO®の投与歴がある患者であるが、うち2名で改善が観察されている。

既存薬 VOXZOGO®  
の投与歴のある患者でも奏効

AHV には、薬剤の血中濃度のピーク値よりも、総暴露量が関与する

長期投与試験でも効果は継続

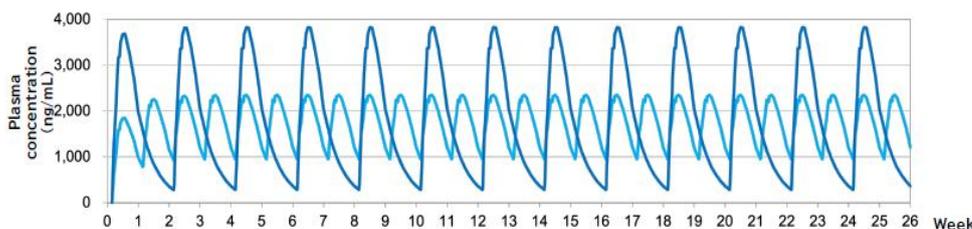
コホート1及びコホート2の投与前後の AHV 変化幅



(出所)リボミック 会社説明会資料 2025年11月

また、コホート1の平均 AHV 変化幅は+1.5cm/年で、コホート2の平均+1.4 cm/年とほぼ変わらない。これは、コホート1とコホート2で、薬物総暴露量(AUC:血中濃度曲線の下部の面積)はほぼ同等であるからと推察される。一方、コホート1では5名中3名で、コホート2では6名中5名で投与後の AHV は投与開始前よりも増加している。コホート2の方がレスポンドーの割合が高いが、これは、薬剤の血中濃度のピーク値(Cmax)が、コホート2の方が高いからと推察される。

薬物の血中濃度のシミュレーション



	成長速度増加率 (AHV)	定常状態のC <sub>max</sub> (ng/mL)	定常状態のAUC <sub>0-336h</sub> (ng·h/mL)
Cohort 1(0.3mg/kg,w)	+1.5cm/y	2,349	592,989
Cohort 2(0.6mg/kg,biw)	+1.4cm/y	3,822	592,810
結論		CmaxはAHVに寄与しない	AUCがAHVに寄与する

(出所)リボミック 第17回次世代モダリティセミナー資料 2026年2月

換言すると、AHVにはAUCが寄与するが、Cmaxは寄与しないとみられる。

AHVの増加は同一条件の長期投与試験でも継続している。1年以上の長期試験によりコホート1のレスポンドー2名(患者番号#2及び#3)のAHVの変化幅はVOXZOGO®よりも上回り続けた。

## 長期投与試験での AHV 増加幅の推移



(出所)リボミック 2025年11月20日適時開示資料

(注) W52 52週投与 W78 78週投与 W104 104週投与

## (安全性)

重篤な有害事象は観察されなかった

RBM-007 と関連性ありと判定された有害事象は、注射部位の疼痛(1例)、頭痛(1例)、関節痛(1例)、知覚過敏(1例)であったが、いずれも短期間かつ軽微で、治験中止に至る重篤な有害事象は観察されなかった。

## (副次的評価項目)

副次的評価項目のなかで、有効性が低いサブグループの存在を示唆する項目なし

今般の総括報告では、副次的評価項目に関する開示があった。身長Zスコア(注)、血清中骨代謝マーカー、体格検査(頭囲、胸囲、上腕長、前腕長、大腿長、下腿長およびアームスパン)、身体の体系バランスを探索的に評価した結果、今回の試験の範囲では、有効性を示唆する一貫した傾向は観察されなかったと記述されている。これが意味するところは、上記の副次的項目の中で、有効性が低いサブグループを示唆する項目は見いだせなかったということである。総括報告の中で、より重要であると考えられる点は、骨年齢、大腿骨成長板の形成状態、臨床所見に基づく肘関節及び股関節の所見、及びターナー発達分類においては、次試験に進む上での障害となる事象は観察されなかったことである。

次試験に進む上での障害となる事象は観察されなかった

POCは確立

以上から、リボミックでは、RBM-007(umedaptanib pegol)のACHを対象とした治療薬として POC(Proof-of-Concept)が確立されたと考えており、詳細結果を医学専門誌に論文投稿する予定である。

(注)身長Zスコア:成長指標は性や年齢差で効果が異なるため単純な比較はできない。観測データが平均値からどれだけ乖離しているかを標準偏差の単位で評価し、性や年齢に寄らず同じ尺度で比較できる。

2026年3月18日、Phase3の治験申請を提出  
高用量(1.0mg/kg 週1回)で単群16例の試験

対象年齢も2歳から14歳へ拡大

主要評価項目はAHV

高用量でライバルとなるInfigratinibを上回るAHVを目指す

RBM-007の用量依存性は非臨床試験で実証済

またPhase1で1.0mg/kgの投与例は存在し安全性は担保済

## (2) Phase3の治験申請をPMDAへ提出

リボミックは、2026年3月18日、Phase3の治験申請をPMDAに提出した。14日間の審査期間を経て本試験を開始する予定である。さて、Phase3のポイントは、

- ① 現在開発が進展している競合薬(後述)に対する優位性を示せるだけの有効性を示すためPhase2よりも高用量で行うこと、
- ② 競合薬と同じ対象年齢となるよう、投与対象年齢を引き下げること、
- ③ Phase2で有効性は示すことが出来ており、患者数が少ないオーファン指定(2025年4月厚労省指定)であるため、単群の試験とすることである。

対象患者	軟骨無形成症
目標症例数	16例
試験目的	軟骨無形成症小児患者(2~14歳)における umedaptanib pegol の有効性の検証、安全性及び薬物動態の評価
試験デザイン	1 mg/kg 週1回の皮下投与、多施設共同、非盲検、単群試験
試験期間	78週間(観察期間:26週、投与期間:52週)
主要評価項目	52週間投与後における投与開始前(観察期間)からの年間身長伸展速度(Annualized Height Velocity:AHV)の変化量

(出所)リボミック IR資料 2026年3月18日

症例数16例で、Phase2と同様に、毎週1回、1.0mg/kgの皮下投与を行う単群試験(非盲検)で、2026年中に開始し、2028年の結果発表を想定している。また、投与対象年齢は、Phase2では5歳から14歳までだったが、Phase3では2歳から14歳児へ拡大する。主要評価項目は、投与前後のAHVの変化量である。

高用量が効果を向上させるか否かは、RBM-007の用量依存性にある。RBM-007に対し興味関心を持つ大手製薬会社が、Infigratinibに対する優位性(AHV+1.7cm/年)を意識しているため、リボミックとしては、自力でPhase3を行い、Infigratinibを上回る効果を示すことで、導出を実現する計画である。そこで、リボミックでは、投与量を毎週1.0mg/kgとし、血中濃度のAUCをPh2の3.3倍とすることで、Infigratinibを上回る+3.0cm/年以上のAHVを期待している。実際に、非臨床試験(マウスモデル)にて用量依存性が確認されている。アプタマーでは、in vitro(試験管内)での試験とin vivo(生体内)の試験では薬物動態が大きく異なる場合があるため、in vitroの結果は参考になりにくい。FGF2トランスジェニックマウスを用いた試験(in vivo)で、薬剤への総暴露量を2倍に増加させた場合、薬剤を投与しなかった群とのTibia(脛骨)Lengthの成長幅の差が約2倍になることが示されている(出所:Kimura et al., Sci. Transl. Med.13,5May 2021「An RNA aptamer restores defective bone growth in FGFR3-related skeletal dysplasia in mice」)。また、既に、Phase1で1.0mg/kgの投与例は存在し、RBM-007そのものに関する副作用は発生しなかったため、安全性は担保されていると考えられる。

**(注)RBM-007 の競合薬**

ACH に対する治療薬として FGFR3 のシグナルを抑制する薬剤が研究・開発され、既に上市されているものもある。代表例として、

## ① ナトリウム利尿ペプチドアナログ (CNP)

MAPK シグナル阻害により間接的に FGFR3 を阻害

(例1:米国 BIOMARIN 社 一般名 Vosoritide 商品名 Voxzogo® 注射剤  
**2022 年上市 毎日皮下投与**)

(例2:北欧の Acsendis 社の TransCon CNP(一般名 navepegritide;商品名 YUVIWEL®)は、CNP の徐放化製剤で、投与回数を減らす工夫をしたもの  
注射剤 週 1 回皮下投与、**2026 年 2 月 FDA 迅速承認** 2026 年2Q に上市  
予定)

## ② 抗 FGF2 アプタマー

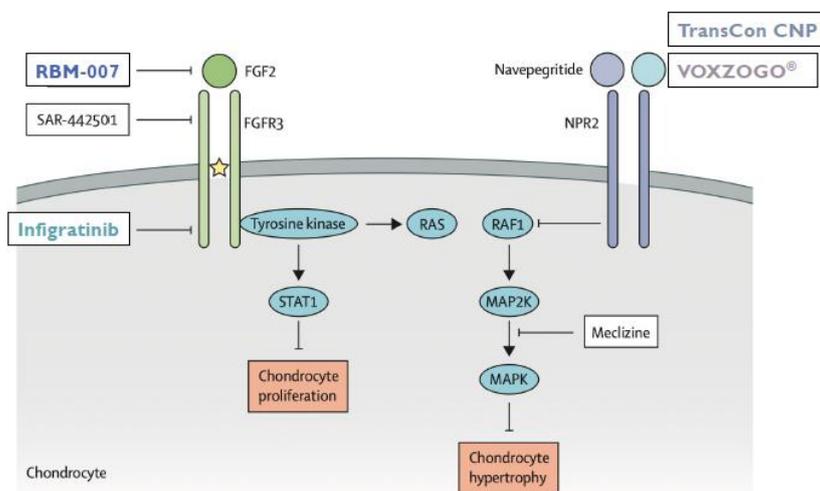
(例:リボミックの RBM-007; RBM-007 は FGF2 と FGFR3 の結合を阻害し、  
FGFR3 の異常な活性化を抑制する 注射剤 週 1 回皮下投与)

## ③ FGFR3 等阻害剤

(例 1 BridgeBio 社の Infigratinib (**Phase3 完了** 2026 年 2 月) 経口剤)

(例 2 Tyra 社の Dobogratinib (Ph2) 経口剤)

また、かつて FGFR3 に関するデコイ受容体(スイス Therachon 社の TA-46; Pfizer 社による買収後の名称は Recifercept)が存在したが、2023 年 2 月 Ph2 で開発中止となっている。デコイを用いると、FGFR3 に結合する他の FGF ファミリーも補足され、副作用が懸念されるためである。

**ACH 治療薬の作用機序**

(出所)リボミック 会社説明会資料 2025 年 11 月

CNP に関しては、FGFR3 が常に活性化されている状況では、CNP アナログにシグナル伝達を担う NPR2 の活性が阻害されることがあり、CNP が十分に作用しにくい可能性がある。また Infigratinib は、FGFR3 のみならず FGFR1 や FGFR2 も阻害する可能性があるため、高用量では副作用の懸念を指摘する意見もある(ただし、Phase2 及び Phase3 では治療に伴う重篤な副作用は発現していない)。Tyra 社の Dobogratinib は FGFR3 への選択性をより高めたものであるが、まだ Phase2 が始まったばかりである。

これに対し、RBM-007 は、CNP アナログに比べて FGFR3 を直接阻害することでより高い薬効が期待でき、投与回数も低頻度である。また、耐性発生の可能性は小さい。さらに経口投与の Infigratinib に対し、注射剤である RBM-007 はより低年齢からの投与に適していると考えられる。

### 他社開発品との比較

	RBM-007 (umedaptanib pegol)	VOXZOGO®	YUWIWEL® TransCon CNP	Infigratinib
開発会社	RIBOMIC Inc.	BioMarin Pharmaceutical Inc.	Ascendis Phrama A/S	BridgeBio Pharma.Inc.
モダリティ	RNA アプタマー	CNPアナログ	CNPアナログ	低分子
作用機序	FGF2阻害 (直接的)	MAPKシグナル阻害 (間接的)	MAPKシグナル阻害 (間接的)	FGFR1-3 TK阻害 (直接的)
開発段階	Phase2	上市 2022年	FDA迅速承認 2026年2月 今後はConfirmatory trialへ 2026年2Q上市予定	Phase3速報 2026年2月 2026年後半 承認申請予定
投与方法	週1回 皮下注射 (2週に1回も)	毎日1回 皮下注射	週1回 皮下注射	毎日1回 経口投与
効果 (AHV)	+1.4cm/年 ⇒高用量で+3.0cm/年以上 を目指す	+1.7cm/年	+1.5cm/年 (LS平均)	+1.74cm/年 (LS平均) +2.10cm/年 (単純平均)

(出所)各種資料よりフェアリサーチ作成

(注)BioMarin 社では、Long-acting CNP(BMN333)の開発を計画中(2026年 Ph2/3 開始予定)

LS 平均とは、実薬群に対してプラセボ群の症例が相対的に少ない場合、用いられる手法

日本だけを対象とした  
開発販売権の導出で  
契約金 1 億ドルの事例  
あり  
ライセンスアウトできれば  
大型契約が期待できる

なお、協和キリンが Infigratinib の日本での開発販売に関し、BridgeBio 社から導入しており、契約一時金は 1 億ドルである。また、帝人が TransCon CNP の日本での開発販売に関して、Ascendis Pharma 社から導入しているが、契約一時金が 7000 万ドルである。リボミックの RBM-007 は非盲検試験(オープンラベル)なので、試験途上でも途中結果を得られるため、仮に、RBM-007 が Infigratinib を上回る効果を示すことが出来れば、Phase3 の途上でも、相応の導出契約が期待できる可能性がある。日本だけでなく、他の地域での開発販売権も加えれば、さらに大型契約となる可能性もあろう。

## (参考) 他社の Pivotal 試験の概要

薬剤	Infigratinib	YUWIWEL®	VOXZOGO®
Pivotal試験	PROPEL3 (Phase3) プラセボ対比2重盲検試験	Phase2b プラセボ対比2重盲検試験	Canopy ACH-3 (Study301) (Phase3) プラセボ対比2重盲検試験
主要評価項目	AHV (52週時)	AHV (52週時)	AHV (52週時)
対象年齢	3歳から18歳	2歳から11歳	5歳から18歳
症例数	約110名 実薬2 : プラセボ1	84名 (実薬57, プラセボ27)	121名 (実薬60, プラセボ61)

(出所) 各社資料よりフェアリサーチ作成

他社の Pivotal 試験は、プラセボ対比の二重盲検試験であり、主要評価項目は 52 週時点での AHV である。(なお、実薬群の症例数がプラセボ群の症例数に偏りがある場合は、LS 平均値を用いて計測している。)

今回、リボミックの Phase3 が単群非盲検試験であるのは、後述のように希少疾患で国内の対象患者数が少ないこと、既に承認薬があるなかで、プラセボ対象群に割り当てられた被験者は 1 年以上の無治療期間が生じ、治療は成長版が閉鎖するまでの期間に限定されるため、1 年以上にわたる無治療期間は医学倫理上問題となること等が理由として考えられる。

**(3) 対象患者数と市場規模**

日本だけでも対象患者数は約 900 人と推定

VOXZOGO®の平均薬価を前提とすると、日本だけで 350 億円の市場規模

全世界では 20 億ドルの市場規模を予想する会社もある

HCH への適応拡大も期待できる

HCH は ACH と同程度の市場規模

ACH は指定難病に認定されている希少疾患であり、その発生頻度は 1 万人から 3 万人に 1 人 (Horton Wa, Hall JG, Hecht JT. Achondroplasia. Lancet 2007) とされ、全世界の患者数は約 25 万人 (前出 Lancet 2007) と報告されている。ただし、このうち薬剤の治療対象となるのは、軟骨分化予定領域 (軟骨成長板) を保有する年齢 (およそ 15 歳未満) に限定される。日本での ACH 患者数は 6,000 人程度 (難病情報センター) であるが、0 歳 ~ 14 歳の患者数は約 900 人と推定されている。VOXZOGO® の平均薬価が約 10 万 6 千円 / 瓶であることを参考にすると、365 日投与で患者数 900 人 (日本) として市場規模は約 350 億円と試算される。ちなみに、VOXZOGO® の日本での売上は 2022 年 8 月に承認された後拡大し、100 億円程度 (2024 年) まで到達しているものと推察される。

なお、全世界での VOXZOGO® の売上は、2024 年 735 百万ドルであり、2025 年には上市地域の拡大とともに 927 百万ドルまで拡大している。BioMarin 社では 2026 年の売上として 975 ~ 1,025 百万ドルを予想している。Infigratinib を開発している BridgeBio 社では、ACH を対象としたピーク時売上を 2,000 百万ドル以上と想定している。希少疾患ではあるが、グローバル市場の規模は、ブロックバスター級の規模である。

また、将来的には、軟骨無形成症 (ACH) だけでなく、**軟骨低形成症 (HCH, Hypochondroplasia) への適応拡大も期待できる**。軟骨低形成症 (HCH) は ACH と同様に手や足の短縮を伴う低身長となる遺伝性疾患で、ACH より程度は軽度である。FGFR3 遺伝子に起きた変異が原因であるが、変異の場所は ACH とは異なり、N540K の変異が多い。発症頻度は ACH と同程度で、欧米では 8,000 人程度と推計されている。ACH と同程度の市場が期待できる。

従来の SELEX 法では、薬剤候補の取得に試行錯誤が繰り返され、多大な費用と時間を要した

早稲田大学との共同研究で人工知能を応用し効率のよいアルゴリズムを開発

配列の有効性をランキングするアルゴリズム

より高活性で短鎖化した新しいアプタマーを創出するアルゴリズム

結合親和性を予測するアルゴリズム

これらを組み合わせてよりアプタマー創薬の開発を効率化

## 2. RBM-007 以外の進展について

### (1) AI アプタマー創薬

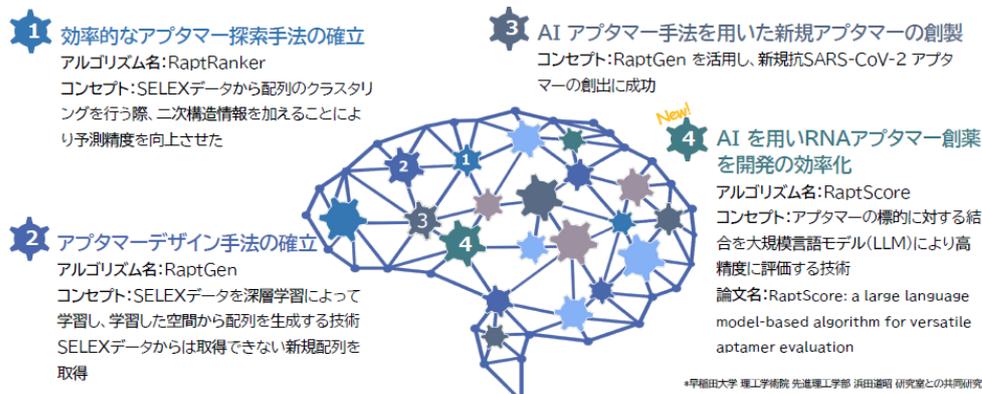
アプタマー創薬のプロセスは SELEX 法を用いて高結合アプタマーを取得するところから始まるが、この段階でも百万単位の候補が浮上し、それ以降の候補の絞り込みは、実験者の経験と勘に頼る部分が多く、試行錯誤が繰り返され、多大な時間と費用を要するものであった。そこで、リボミックは、JST・CREST や NEDO プロジェクトにて、早稲田大学浜田研究室と、人工知能を活用して、SELEX 法で取得されたアプタマーの中から、効率よくリード配列を取得するための共同研究を行ってきた。これまでに、「RaptRanker」や「RaptGen」というアルゴリズムが開発され、実際に RaptGen を活用して、新規の SARS-CoV-2 アプタマーの創出に成功している。そして、このほど(2026年1月16日)、AIを用いて RNA アプタマー創薬を効率化する新技術「RaptScore」の開発とその論文が発表された。

「RaptRanker」は、SELEX 法で得られた膨大な配列候補のクラスタリングを行う過程で、どの配列に有効性があるかランキングするアルゴリズムである。ただし、新しい配列を発明するものではない。

「RaptGen」は、SELEX 法で得られた大量の配列情報を低次元に圧縮することで、SELEX データを可視化し、Key となる要素を発見し、実験データに含まれない新しい配列を生成・最適化するアルゴリズムである。これにより、より高活性で、より短鎖化したアプタマーの創出が可能となる。

「RaptRanker」は、大規模言語モデル(LLM)を用いた結合親和性予測手法で、任意の配列に対する親和予測スコアを計算するものである。RaptGen など他のツールと連携させることでよりアプタマー創薬開発の効率化が期待できる。

### AI アプタマーの進捗



(出所)リボミック 第17回次世代モダリティセミナー資料 2026年2月

## (注) 創薬と LLM

一般的な大規模言語モデル(LLM)には、もっともらしい誤った内容を出力する「ハルシネーション」や、因果関係を本質的に理解できないという課題がある。特に、文献情報から新規標的や作用機序を導き出す用途では、記述の曖昧さ、研究バイアス、相関と因果関係の取り違えが起こりやすい。一方で、「RaptScore」は、LLM の枠組みを利用しつつも、対象は自然言語の文献ではなく、核酸配列という分子情報で、配列を「文章」として扱うことにより、出力は合成・評価可能な候補に限定され、実験検証とフィードバックを可能にしている。

## (2) RBM-006(抗オートタキシンアプタマー)の薬効確認

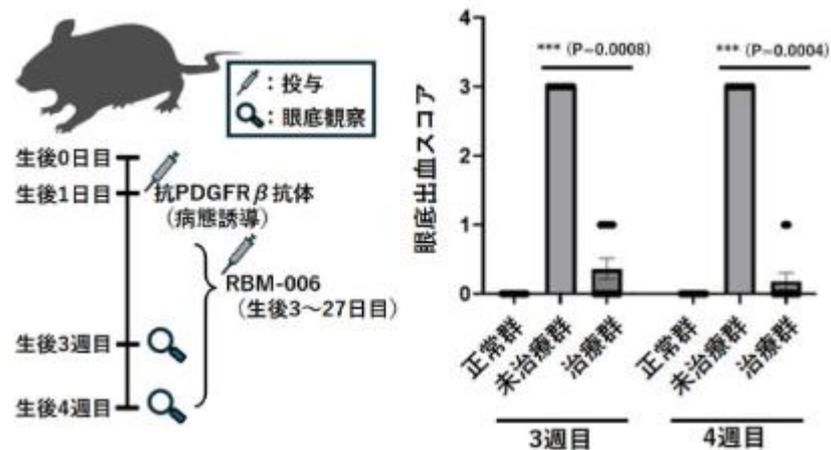
RBM-006 はオートタキシンを阻害し、LPA の過剰な産生を抑制

眼科疾患を対象とした薬剤として有望

マウス糖尿病網膜症モデルで眼底出血を顕著に抑制

オートタキシンは、リン脂質代謝酵素であり、LPA(リゾホスファチジン酸)を産生する。しかし、LPA の過剰な産生は LPA 受容体の活性化を惹起し、それが線維芽細胞の遊走を促進して組織の線維化をもたらすと考えられている。リボミックでは、RBM-006 について、東京大学医学部眼科教室との共同研究で、緑内障、滲出型加齢黄斑変性症、糖尿病網膜症、増殖性硝子体網膜症(PVR)など眼科疾患を主なターゲットとして治療効果を調べているところであり、2026年1月14日、RBM-006 の新規物質特許の出願を完了した。

またこのほど、共同研究の一環として、抗 PDGFR $\beta$  抗体を用いた網膜血管を取り巻くペリサイト脱落により惹起されるマウス糖尿病網膜症モデルにおいて、RBM-006 が眼底出血を顕著に抑制することが確認された。



(出所)リボミック IR 資料 2026年1月14日

既に RBM-007 でも同一の糖尿病網膜症モデルを用いた薬理実験を実施し、糖尿病網膜症の主要な合併症である糖尿病黄斑浮腫への適応可能性があるが、今後得られる試験結果を基に、RBM-007 と RBM-006 の開発優先度を総合的に判断していく予定である。

## 3.業績予想変更と開発進捗に伴う資金使途及び支出時期の変更

2025年12月、業績を  
上方修正

DDSに関する共同研  
究による売上げを計上

研究進捗による研究開  
発費の一部削減あり

営業外で研究助成金な  
どの計上

リボミックの事業収益は、共同研究収入とライセンス収入によって構成されている。2026年3月期は、当初収益を見込んでいなかったが、2025年12月、リードフーマ社と中枢神経疾患を対象とした創薬を目指し、脳血液関門を通過可能なアプタマーを用いたDDS(Drug Delivery System)に関する共同研究契約を締結したことで、研究費を受領することとなり、売上予想を修正した。また、網膜疾患を対象としたRBM-006の非臨床試験の進捗を加味して、研究開発費の一部が削減できる見込みとなったことも反映し、営業利益も上方修正した。さらに、2025年7月公表の希少疾病用薬品等試験研究助成金及び2025年8月公表の東京大学との社会連携講座終了に伴う受取返還金を計上して、経常利益・当期純利益も上方修正している。なお、業績修正の後、2026年2月、希少疾病用薬品等試験研究助成金の交付金額増額(約17百万円)が発生している。

## 業績の推移

	2024年3月期 (実績)	2025年3月期 (実績)	2026年3月期		2025年4-12月期 (実績)
			(当初計画)	(修正計画)	
事業収益	0	2	0	3	0
事業費用	1,116	1,052	1,357	1,320	788
うち研究開発費	764	667	889	---	491
営業利益	-1,116	-1,050	-1,357	-1,317	-788
当期利益	-1,024	-1,018	-1,351	-1,277	-763
手元流動性(期末) (現金+有価証券)	3,399	3,037			3,200

(出所)有価証券報告書等からフェアリサーチ作成

(注)2026年3月期修正計画の研究開発費は非開示。850-860百万円と推定(フェアリサーチ)

2019年12月末の現預  
金と短期有価証券の合  
計は約32億円

さらに第19回及び第20  
回新株予約権の発行と  
行使で24億円を調達  
する計画

研究開発の進捗を反  
映し、資金使途や支出  
時期を変更

リボミックは、2025年8月から2027年12月にかけて原則3年に分けて新株予約権(第18回~第20回)、総額約34億円を調達する計画であるが、このうち第18回新株予約権の行使が2025年12月10日に完了している。第18回新株予約権による調達額の実績は約9.2億円(予定10.4億円)で、この調達により、2025年12月末に保有している現預金と有価証券の合計残高は32億円程度となった。この32億円と第19回及び第20回新株予約権による資金調達(合計24億円の予定)により、既存のパイプラインのライセンスアウト収入などがなくとも、RBM-007(ACH)のPh3の費用などRBM-007に関する開発資金約30億円を確保、さらにRBM-006の非臨床試験費用やDDSアプタマーの開発が可能となる見込みは不変である。

また、2026年3月17日に、ここまでの研究開発の進捗を反映して、新株予約権により資金調達に関する資金使途及び支出時期の変更が公表されている。

RBM-007(対象 ACH)では承認申請を見据えた非臨床試験も加えた

① ACHを対象としたRBM-007に関し、これまでのPMDAとのやり取りから高用量でPhase2をやり直すのではなく、**直接Phase3へ移行可能と判断されたことから、Phase3臨床試験費用のみならず、承認申請を見据えた非臨床試験(毒性試験)も行うこととし、具体的な用途の変更を行った。**

第18回～20回新株予約権の資金使途 (百万円)

	予定金額	支出予定時期
①RBM-007のACHを対象とした臨床開発費用 ⇒RBM-007のACHを対象とした開発費用	2,548	2026年4月～2029年3月
②運転資金	876	2026年4月～2029年3月

RBM-007(対象 ACH)の長期投与試験(Phase2)に合わせて支出予定時期を若干延長

② ACHと対象とするPhase2費用について、Phase2に含まれる長期投与試験に残高を充当するため、支出予定時期を若干延長した。

第15回新株予約権の資金使途 (百万円)

	予定金額	うち充当済	支出予定時期
①RBM-007臨床開発費用 (対象：ACH及びwet-AMD)	3,239	3,066	2020年1月～2026年3月 ⇒2026年4月
②RBM-003の非臨床開発費用 (対象：心不全)	40	40	2020年1月～2023年12月
③RBM-010の非臨床開発費用 (対象：変形性膝関節症)	80	80	2020年1月～2023年12月
④新規技術開発費用 (製剤化技術・導入など)	95	95	2020年8月～2024年3月
⑤DDSアプタマーを中心とした 探索研究費用	152	119	2025年6月～2027年3月
⑥運転資金	1,880	1,530	2020年1月～2027年3月

2026年2月時点

RBM-006は臨床試験入りを見据えてCMC開発や毒性試験への移行を計画 支出時期を延長

③ RBM-006に関し、PVRを対象とした開発や網膜疾患への適応拡大を目的とした非臨床試験を進めてきたが、前述のように、マウス糖尿病網膜症モデルにおける眼底出血抑制など有益な成果が出てきている。これらを踏まえ、今後のヒトでの臨床試験を見据え、引き続き必要なデータを取得するとともに、**CMC開発及び毒性試験への移行を計画することとなり、資金の支出時期を変更することとした。**

第17回新株予約権の資金使途 (百万円)

	予定金額	うち充当済	支出予定時期
①RBM-006の研究開発費用	650	166	2024年4月～2026年3月 ⇒2027年4月
②運転資金	44	-	2025年4月～2027年3月

2026年2月時点

## 結論

選択と集中により、3つの分野の開発を先行させている

リボミックは、小規模の会社ながら数多くの開発候補品を保有するが、ACHを対象とした RBM-007、RBM-006 の非臨床開発、DDS アプタマーの研究開発の三分野に選択と集中を行っているところである。

最も注力しているのは、ACH 対象の RBM-007  
既存薬と同等の効果を証明済

2026年3月、ACH(軟骨無形成症)を対象とする RBM-007 の Phase2 の総括結果が公表された。主要評価項目(年間身長伸展速度の変化量)に関し、実薬群は、プラセボ群に対し+1.4cm/年の有意差を示し、既存薬(VOXZOGO®)に匹敵する結果であった。また、RBM-007 は VOXZOGO®と同じ皮下注射剤であるが、VOXZOGO®に比べ投与間隔を大幅に改善できる。ただし、RBM-007 のライバルとみなされる Infigratinib(経口薬)は、現在 Phase3 を終え、2026 年下期に承認申請を予定しているが、既存薬を上回る効果を示している。

しかし、提携候補先は、他社が開発中の Infigratinib を上回る効果を期待

現在、リボミックの提携候補先である複数の大手製薬会社は、RBM-007 が Infigratinib を上回る効果を挙げる可能性があるか注目している。リボミックでは、RBM-007 は動物モデルで用量依存性が確認されており、投与量を上げた Phase3 を行うことによって、Infigratinib を上回る効果を示し、ライセンスアウトにつなげる方針である。これまでの PMDA との協議で、高用量で Phase2 をやり直すのではなく、直接 Phase3 へ移行できることとなり、2026年3月18日、Phase3 の治験申請を行った。2028年までに最終結果を得て、2029年の上市に到達する予定している。ただし、オープンラベル試験なので、Phase3 の完了を待つことなく、途中結果を得ることができるため、Phase3 途上でのライセンスアウトも可能である。なお、リボミックでは、幼児に対して、経口剤よりも皮下注射剤である RBM-007 の方が、服薬コンプライアンス面で優位と考えている。

投与量を上げた Phase3 で、ライバルを上回る効果を証明へ

日本だけでも ACH 治療薬の潜在市場規模は 350 億円と想定される

ACH を対象とした治療薬は、日本では、対象患者数が約 900 人と推定され、先行する VOXZOGO®の薬価を参考に置くと、潜在市場規模は約 350 億円と推定される。先行する VOXZOGO®は 2022 年 8 月に承認されたところだが、既に年間 100 億円程度の売り上げ規模となっているようだ。グローバルには、ピーク時 20 億ドルの市場規模が期待されている分野である。さらに、ACH の先には、ACH と同程度の市場規模である HCH への適応拡大も期待できる。

また、日本での開発販売権の導入例からライセンスアウトは大型契約となる公算

また、ACH を巡る日本での開発販売権の導入例を見ると、契約一時金が 7000 万ドル~1 億ドルとなっており、大型契約が期待できる。欧米まで開発販売権を広げるとさらに大きな金額が期待できよう。今後の開発の進捗と提携の浮上が楽しみとなる。

RBM-006、DDS アプタマーの開発進捗にも注目

また、ACH を対象とした RBM-007 だけでなく、網膜疾患等を対象とした RBM-006 や DDS アプタマーの開発の進捗にも期待したい。

(巻末注) アプタマーの特性、リボミックのパイプライン概観やこれまでの開発の経緯、軟骨無形成症のメカニズムなどは、2025年12月9日発行のベーシック・レポートをご参照ください。

フェアリサーチ株式会社

<連絡先>

104-0033 中央区新川 1-3-21 BIZ SMART 茅場町

[メール info@fair-research-inst.jp](mailto:info@fair-research-inst.jp)

## ディスクレマー

本レポートは、株式会社ティー・アイ・ダヴリュ(以下、発行者)が、「ANALYST NET」のブランド名(登録商標)で発行するレポートであり、外部の提携会社及びアナリストを主な執筆者として作成されたものです。

- 「ANALYST NET」のブランド名で発行されるレポートにおいては、対象となる企業について従来とは違ったアプローチによる紹介や解説を目的としております。発行者は原則、レポートに記載された内容に関してレビューならびに承認を行っておりません。
- 発行者は、本レポートを発行するための企画提案およびインフラストラクチャーの提供に関して対価を直接的または間接的に対象企業より得ている場合があります。
- 執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは、本レポートを作成する以外にも対象会社より直接的または間接的に対価を得ている場合があります。また、執筆者となる外部の提携会社及びアナリストは対象会社の有価証券に対して何らかの取引を行っている可能性あるいは将来行う可能性があります。
- 本レポートは、投資判断の参考となる情報提供のみを目的として作成されたものであり、有価証券取引及びその他の取引の勧誘を目的とするものではありません。有価証券およびその他の取引に関する最終決定は投資家ご自身の判断と責任で行ってください。
- 本レポートの作成に当たり、執筆者は対象企業への取材等を通じて情報提供を受けておりますが、当レポートに記載された仮説や見解は当該企業によるものではなく、執筆者による分析・評価によるものです。
- 本レポートは、執筆者が信頼できると判断した情報に基づき記載されたものですが、その正確性、完全性または適時性を保証するものではありません。本レポートに記載された見解や予測は、本レポート発行時における執筆者の判断であり、予告無しに変更されることがあります。
- 本レポートに記載された情報もしくは分析に、投資家が依拠した結果として被る可能性のある直接的、間接的、付随的もしくは特別な損害に対して、発行者ならびに執筆者が何ら責任を負うものではありません。
- 本レポートの著作権は、原則として発行者に帰属します。本レポートにおいて提供される情報に関して、発行者の承諾を得ずに、当該情報の複製、販売、表示、配布、公表、修正、頒布または営利目的での利用を行うことは法律で禁じられております。