



平成28年3月2日

各位

会社名 株式会社リボミック  
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

## 国立研究開発法人日本医療研究開発機構による創薬支援推進事業（希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業）への採択についてのお知らせ

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が公募した創薬支援推進事業（希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業）に当社の申請事業が採択されたことに関して、本日 AMED ホームページにおいて公表されましたので、下記のとおりお知らせいたします。

今回採択となった「抗 FGF2 アプタマーを用いた軟骨無形成症治療薬の開発」は、当社開発品 RBM007 を用いて軟骨無形成症の治療薬の開発を目指すものです。

この RBM007 は、FGF2（線維芽細胞増殖因子2）の生理作用を阻害する RNA アプタマー（本アプタマー）です。これまでの細胞や動物を用いた本アプタマーの評価試験によって、本アプタマーが様々な骨の疾患に対して顕著な予防・治療効果を示すことを確認してきました。その過程で、軟骨の形成不全を予防・回復させる効果を発見しました。

今回の採択事業の対象となった軟骨無形成症は、軟骨の形成不全により低身長となる疾患（四肢短縮型低身長症）で、厚生労働省により難病指定されており、国内には約 6,000 名の患者がいると推定されていますが、根本的な治療方法はありません。本疾患は、軟骨の成長を抑制する作用のある線維芽細胞成長因子の受容体（FGFR3）が、遺伝子の変異によって異常に活性化することが原因で起きることが明らかになっております。そのため、本アプタマーを用いて FGFR3 の異常な活性化をブロックすることにより、軟骨無形成症に対する画期的な新薬を開発することが可能ではないかと我々は考えています。

本事業の期間は、平成 27 年度から平成 29 年度までの 3 年間となります。計上可能な対象経費の上限額は年度当たり 2 億円であり、この対象経費をもとに、年度ごとに補助金の額が決定されます。当社はこの期間内に、前臨床試験に必要な薬剤の GLP 合成、動物薬理試験、安全性試験を完了させ、臨床試験に用いる薬剤の GMP 合成を実施する計画です。当社は、AMED の本事業への採択を感謝するとともに、1 日も早く患者様へ当社の新薬を提供できるように努力する所存です。

今回の採択案件につきましては、AMED ホームページをご参照ください。

[http://www.amed.go.jp/news/program/060020151104\\_kettei.html](http://www.amed.go.jp/news/program/060020151104_kettei.html)

なお、本採択による平成 28 年 3 月期業績への影響については、現在、精査中であり、業績に大きな影響を与えることが判明した場合には、速やかにお知らせいたします。

以上