

平成28年8月11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本部長 宮 崎 正 是 TEL. 03-3440-3303

RBM007 に関する論文掲載のお知らせ

この度、当社が創製した線維芽細胞増殖因子 2 (FGF2) に対する核酸 (RNA) アプタマーの論文が、Molecular Therapyの電子版 (論文題目「Dual Therapeutic Action of a Neutralizing Anti-FGF2 Aptamer in Bone Disease and Bone Cancer Pain」) に掲載されましたので、お知らせいたします。

FGF2を阻害するRNAアプタマー(本アプタマー)は、自社創薬品目RBM007として、骨疾 患に対する根本的治療薬を目指して開発を進めてきたものです。

関節リウマチや骨粗鬆症に対する医薬品はこれまでに数多く開発されてきましたが、骨破壊を防止する根本的な医薬品はほぼないか、あってもごく限られています。FGF2は40数年前に発見された増殖因子で、組織修復や再生に働く「善玉」タンパク質として知られていますが、骨疾患においては「悪玉」として病気の増悪に加担する可能性が学術研究によって示唆されていました。しかし、低分子や抗体を含めて、FGF2に対する優れた阻害剤がこれまでに開発されなかったために、生体におけるFGF2の機能や創薬ターゲットとしての理解が不十分でした。

当社は、RiboARTシステムを用いて、FGF2に対し特異性の高い、強力な阻害活性を有するアプタマーを創製することに成功し、その特性を、分子生物学、細胞試験、動物試験等を用いて多角的に解析しました。その結果、

- 1) FGF2は骨疾患において増悪因子として作用する、
- 2) 本アプタマーは骨破壊防止とともに、骨疾患に伴う痛み(特に癌性疼痛)に対してモルヒネと同等の鎮痛作用をもつ、
- 3) 骨疾患においてFGF2は軟骨形成にブレーキをかける「悪役」となり、本アプタマーは そのブレーキを解除して軟骨形成を回復する働きがある、

等の知見が明らかになりました。これらはいずれも学術的に世界初の発見です。

特に、3)の発見は、四肢短縮による低身長を主な症状とする軟骨無形成症(Achondroplasia)に対しても根本的な治療薬となりうる可能性を示唆するもので、現在、国立研究開発法人

日本医療研究開発機構 (AMED) の希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業として研究開発 を進めています。

今回、このような研究成果が世界的に権威のある欧米の一流学術雑誌に掲載されたことは、 抗FGF2アプタマーの認知度を高め、また、それを創製した当社技術への評価に結びつくも のと考えております。

当社は、RBM007の臨床試験(軟骨無形成症)の準備を進めると同時に、国内外の製薬企業を対象としてライセンス活動を展開しており、その成約に向け邁進してまいります。なお、当社は抗FGF2アプタマーに関して2件の物質特許を出願しており、その内の1件については、日本および米国にて成立しております(日本特許番号 特許第5899550号)。

上記論文内容の詳細につきましては、以下のWebページをご覧ください。 (http://www.nature.com/mt/journal/vaop/naam/pdf/mt2016158a.pdf)

なお、本論文掲載による、平成29年3月期の通期業績への影響はありません。

以上