



平成30年 6 月21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 執行役員 経営企画部長 中村 恵美子  
TEL. 03-3440-3745

## 加齢黄斑変性症治療薬 (RBM-007) の米国治験申請完了のお知らせ

当社が開発し、加齢黄斑変性症治療薬として米国での治験を準備してまいりました RBM-007 (抗 FGF2 アプタマー) について、当社の 100%子会社である RIBOMIC USA Inc. が、その治験申請 (Investigational New Drug Application、IND 申請) を、審査当局である米国 FDA (Food and Drug Administration) に提出完了いたしましたので、お知らせいたします。

なお、本件による当事業年度の業績に対する影響はありません。

RBM-007 は、当社独自のアプタマー創薬技術により創製された医薬候補品で、加齢黄斑変性症の誘因あるいは増悪因子と考えられる FGF2 の機能を、特異的かつ強力に阻害します。

加齢黄斑変性症は、加齢に伴い網膜の黄斑部に障害がおこる疾患で、欧米では失明原因の第一位となっています。疾患の要因の一つは異常な血管新生とされており、10 年ほど前に治療薬として血管新生を阻害する医薬品 (VEGF 阻害剤) が開発され、臨床医からは夢のような薬と評価されました (既存薬の全世界市場規模は約 1 兆円)。しかし、その後の追跡調査により、臨床上の問題点が明らかになってきました。その一つは、相当数の患者に対して、有効性が乏しいことです。また、有効とみられた患者も 2~3 年程度経過すると薬効が低下し、再び失明のリスクにさらされます。これらの要因として、病変による網膜組織の癒痕化 (線維化) が関与していると考えられていますが、既存薬には癒痕化を抑制する作用はありません。これに対して RBM-007 は血管新生のみならず癒痕形成を抑制する作用をもつことが、疾患モデル動物での薬理試験から明らかになっています。こうした二重作用は既存の製品にはない新規なメカニズムで、既存製品では奏功しない患者に対して新規な治療法を提供できる可能性があります。現在、臨床ステージにある FGF2 阻害剤の報告はなく、当社の RBM-007 が FGF2 を標的とする世界初の治験となります。なお RBM-007 については、既に当社の物質特許が米国において成立しております。

今後、IND 申請から 30 日間、FDA より実施保留命令 (クリニカル・ホールド) 等の通達がない場合には、治験の開始が認められることとなり、当社グループは PI/IIa 試験 (ニックネームは SUSHI STUDY) を実施いたします。SUSHI STUDY は、RBM-007 の安全性・認容性を調べることを主な目的として、アメリカ西海岸の複数の治験施設において、約 9 名の患者様を対象に実施される計画です。当社グループとしては、迅速に PI/IIa 試験を完了して、200 名規模の患者様において本薬剤の効果等を検証する PIIb 試験 (ニックネームは TOFU STUDY) に進む計画です。

以上