



2020年4月9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 管理部長 米林 渉司  
TEL. 03-3440-3745

## 軟骨無形成症治療薬(RBM-007)の国内治験申請完了のお知らせ

当社は、現在、滲出型加齢黄斑変性治療薬として米国で第Ⅱ相臨床試験を進めている RBM-007(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症を対象疾患とする新薬の治験計画届書を、審査当局である独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA; Pharmaceuticals and Medical Devices Agency)に提出完了いたしましたので、お知らせいたします。

今後、治験申請から 30 日間、PMDA 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、当社は第Ⅰ相臨床試験を実施いたします。第Ⅰ相臨床試験は、RBM-007 の安全性、忍容性及び薬物動態を調べることを目的として、国内の1治験施設において、合計 24 名の健康成人男性を対象に実施される予定です。

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 について】

RBM-007 は、当社で創製された医薬候補品で、軟骨無形成症の誘導因子と考えられる FGF2 の機能を、特異的かつ強力に阻害します。

### 【軟骨無形成症について】

軟骨無形成症は、線維芽細胞増殖因子に対する 3 型受容体(FGFR3)の遺伝子変異により FGFR3 が活性化しやすく、FGF シグナルの過剰流入によって軟骨等の正常な発育が阻害され、四肢短縮等を伴う低身長をもたらす疾患です。軟骨無形成症は、難病に指定され、新生児約 25,000 人に対して 1 人の発生率という希少疾患であり、有効な治療薬が存在せず、新薬の開発が求められております。

当社は、軟骨無形成症のモデルマウスや軟骨無形成症患者由来の iPS 細胞(多能性幹細胞)を用いた薬理試験によって、RBM-007 が本疾患の治療薬となりうることを明らかにしました。

以上