

2023年12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東証グロース)
問合せ先財務経理部長今井利哉
<https://www.ribomic.com/contact.php>

軟骨無形成症治療薬 (umedaptanib pegol) の前期第Ⅱ相長期投与試験 開始のお知らせ

当社は、umedaptanib pegol (抗 FGF2 アプタマー) を用いた、軟骨無形成症の小児患者における、有効性と安全性を調べる前期第Ⅱ相臨床試験を現在実施しております。この8ヶ月間の本試験を完了したコホート1^{註1}の第一例目の症例が、次の長期投与試験である前期第Ⅱ相長期投与試験に移行しましたのでお知らせいたします。

前期第Ⅱ相長期投与試験では、低用量 (0.3mg/kg) の皮下投与 (1回/週) を1~5年間、継続して投与した場合の有効性及び安全性を評価いたします。本症例を含め現在実施中の前期第Ⅱ相試験においては、安全性に関する懸念は発生しておりません。

^{註1} 低用量 (0.3mg/kg) の皮下投与を隔週1回、8週間 (計4回) 実施し、安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を1週間に1回に変更し、26週間投与する (投与期間は計34週間) 試験群。

前期第Ⅱ相試験の概要は臨床研究等提出・公開システムをご参照ください。

前期第Ⅱ相観察試験: <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220113>

前期第Ⅱ相臨床試験: <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220291>

前期第Ⅱ相長期投与試験: <https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220338>

なお、2023年5月12日に公表いたしました2024年3月期通期業績予想値に修正はありません。

Umedaptanib Pegol について

umedaptanib pegol は、RBM-007の国際一般名であり、線維芽細胞増殖因子2 (FGF2) の機能を強力に阻害するアプタマー (核酸医薬) として、軟骨無形成症の発症機序に直接作用する根本的な治療法になることが期待されています。なお、本薬剤は滲出型加齢黄斑変性に対する臨床POCが確認されています。

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 (FGF) 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。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、難病に指定されております。有効な新薬の開発が求められております。

以上