

2024年7月1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)前期第Ⅱ相臨床試験の 患者組み入れ完了、及び前期第Ⅱ相臨床試験コホート2における投与開始のお知らせ

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(5~14歳)を対象とする前期第Ⅱ相臨床試験の観察試験<sup>註1</sup>において13名の患者の組み入れが完了しましたのでお知らせいたします。

観察試験を終了した6名の患者については、umedaptanib pegolの有効性と安全性を調べる目的で、低用量の皮下投与試験(コホート1<sup>註2</sup>)が進行中で、今年11月には試験が完了する見込みです。これらの被験者は引き続き長期投与試験に移行する予定ですが、すでに3名がコホート1を終了して長期投与試験に移行しています。

更に、観察試験を終了した患者に対するumedaptanib pegolの高用量の皮下投与試験(コホート2<sup>註3</sup>)の第一例目の投与が行われましたのでお知らせいたします。本症例を含め現在実施中の前期第Ⅱ相臨床試験及び前期第Ⅱ相長期投与試験においては、安全性に関する懸念は発生しておりません。

<sup>註1</sup> 軟骨無形成症の小児患者における、身長伸びを含む臨床的基礎データを取得し、これらと比較することで、引き続き実施する前期第Ⅱ相臨床試験での有効性及び安全性の評価を可能とし、また同時に前期第Ⅱ相臨床試験での被験者選定を適切に行うことを目的とする(観察期間は計26週間)。

<sup>註2</sup> 0.3 mg/kgの用量で2週間に1回、8週間(計4回)の皮下投与を実施し、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)。

<sup>註3</sup> 0.6 mg/kgの用量で4週間に1回、8週間(計2回)の皮下投与を実施し、安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を2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)。

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、2024年5月14日に公表いたしました2025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