

2024年11月5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 低用量群で顕著な効果(成長速度増加)確認のお知らせ

当社は、umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH と略)の小児患者(5~14歳)における、有効性と安全性を調べる目的の前期第Ⅱ相臨床試験を実施しております。今般、低用量(0.3mg/kg)の皮下投与(1回/週)群(コホート1^{註1})の投与が完了し、被験薬の顕著な効果が確認されましたので、お知らせいたします。

コホート1では6名が試験を完了し、途中休薬の1名を除いた5名のうち、2名で身長 of 伸展速度が、被験薬投与前(観察試験^{註2})に比較して、+4.6cm、+3.3cm/年と増加しました。この結果は、現在 ACH 治療薬として承認されているボックスゾゴ®(ボソリチド、BioMarin 社製、毎日皮下投与)の身長平均伸展速度+1.7cm/年^{註3}を顕著に上回る成績でした。3名については、低用量下では被験薬に対して無反応でした。

コホート1を完了した6名のうち、5名の被験者は低用量(0.3mg/kg)の長期投与試験に移行しており、継続して被験薬の有効性及び安全性を評価いたします。また、高用量(0.6mg/kg)の皮下投与(1回/2週)試験(コホート2^{註4})も7名の登録が完了し、うち4名で投与が開始されており、その結果は来年9月に明らかになる予定です。

本症例を含め現在実施中の前期第Ⅱ相臨床試験において、安全性に関する懸念は発生しておりません。

今般、5名中2名の患者において、低用量の1週間1回の皮下投与で顕著な成長速度の増加が確認されたことは、ACH の治療に新たな選択肢を提供し、ACH の小児患者にとっては朗報となるものです。今後、用量を更に増やし投与間隔も伸ばして、さらに優れた治療方法を確認していくことを検討しております。

^{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。

^{註2} ACH の小児患者における、身長の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)。

^{註3} <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03197766?tab=results>

^{註4} 高用量(0.6mg/kg)の皮下投与を4週間に1回、8週間(計2回)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)試験群。

前期第Ⅱ相臨床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8月9日に修正いたしました2025年3月期通期業績予想値に変更はありません。

[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