

2024年12月25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相観察試験における 最終症例の観察期間完了のお知らせ

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前期第Ⅱ相観察試験^{註1}を進めておりますが、このたび、最終症例の観察期間が完了しましたのでお知らせいたします。本症例は、引き続き、高用量投与試験(コホート2^{註2})に移行して、2025年8月末に投与を完了する予定です。コホート2の結果は、判明次第速やかに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。

^{註1} 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。

^{註2} 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)。

なお、本件による2025年3月期通期業績への影響はございません。

[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