

各位

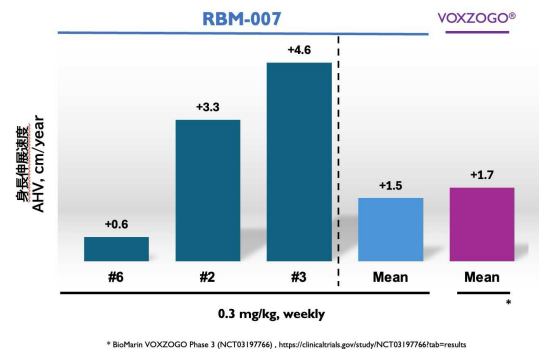
会社名株式会社リボミック  
代表者名代表取締役社長中村義一  
(コード番号:4591東証グロース)  
問合せ先財務経理部長今井利哉  
<https://www.ribomic.com/contact.php>

## Fusion Conference 2025 における軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol) 第II相臨床試験低用量群奏功に関する発表のお知らせ

2025年2月14日から17日にかけてドミニカ共和国プンタカナで開催される **Fusion Conference 2025 “Growth Factors in Regeneration and Regenerative Medicine”**<sup>註</sup>において、当社の代表取締役社長/東京大学名誉教授 中村義一が招聘され、軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の第II相臨床試験(低用量群)奏功に関して発表します。

当社が実施した、umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー、RBM-007)による、軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH)の前期第II相臨床試験において、低用量(0.3 mg/kg)の皮下投与(1回/週)群(Cohort 1)で被験薬の顕著な効果が確認されました(右図)。

試験を完了した5名の ACH 小児患者(5~14歳)のうち、被験薬投与前(観察試験)に比較して、3名で身長伸展速度の増加が確認され、うち2名の速度増加は極めて顕著でした。低用量にも関わらず、5名の身長平均伸展速度(+1.5 cm/年, Mean AHV)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)の身長平均伸展速度(+1.7cm/年)に相当する結果でした。



この結果は、毎日の皮下投与が必要なボックスゾゴ®に比べて、umedaptanib pegol の優位性(利便性)を示すものと考えており、本 Conference は世界各国の学術界および産業界の研究者、臨床医および有識者と情報交換する有益な機会になると期待しています。

当社は、現在進めている高用量試験(Cohort 2)を含めて、一連の結果が明らかになった段階で、速やかに次の試験に移行し、早期承認を目指します。

演題名: Anti-FGF2 Therapy in Achondroplasia  
セッション名: Growth factors in stem cell function  
日時: 2025年2月15日 16.50-20.00 EST  
会議 URL: <https://www.fusion-conferences.com/conference/168>

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。

<sup>註</sup> Fusion Conference は隔年で開催される国際的な研究集会で、発生学、遺伝性疾患、組織恒常性、組織再生における成長因子の機能、および先天性疾患や再生医療への治療等について、学術界および産業界の研究者、臨床医および有識者等、各分野の専門家が交流し、討議する場であり、新しい研究プロジェクトや共同研究の開始を促進しています。本会議のオーガナイザーの一人 David Ornitz 教授は当社が用いた ACH 疾患モデルマウスを作成した著名な研究者です。

以上