

2026年8月3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)の国内第Ⅲ相臨床試験:
実施医療機関拡充(10 施設)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(2~14 歳)を対象とする国内第Ⅲ相臨床試験 (検証的試験)を実施しております。今般、新たに 4 施設において治験審査委員会 (IRB) の承認を取得し、本日時点で患者登録が可能な実施医療機関は累計 10 施設となりました(実施医療機関の所在地を図示)。

本試験は、患者数が限られる希少疾患であり、かつ成長過程にある小児患者を対象とする臨床試験であることから、高度な専門性を有する医療機関との連携が重要となります。今回、実施医療機関の体制が全国規模で拡充されたことにより、患者アクセスの向上と円滑な被験者登録の推進が期待されます。

今後、実施医療機関は合計 16 施設まで拡充する計画であり、引き続き全国的な試験実施体制の整備を進めてまいります。



本試験の概要は2026年 3 月18 日付の当社開示「軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の国内第Ⅲ相臨床試験治験申請のお知らせ」、および2026年7月1日付の当社開示「軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の国内第Ⅲ相臨床試験における試験デザイン及び安全性に関する補足説明」をご参照ください。

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2777738/00.pdf>

<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2846066/00.pdf>

なお、本件による2027年3月期通期業績に与える影響はありません。

[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、本薬剤は厚労省から希少疾病用医薬品指定を受けています。

[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