

2026年8月24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:
実施医療機関拡充完了(計画施設数到達)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6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 16 施設となりました(実施医療機関の所在地を図示)。

今回の実施施設拡充により、当社が当初計画していた治験実施体制の整備が完了しました。これは被験者登録を推進するための重要な基盤構築が整ったことを意味するものであり、今後は被験者登録の促進に注力し、本試験を着実に進めてまいります。本件は、本試験の今後の進捗を支える重要なマイルストーンであると考えております。



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