

2026年9月28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>

国内第Ⅱ相臨床長期投与試験における用法・用量の変更 (1 mg/kg 週 1 回投与)と安全性に関するお知らせ

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)を対象とする国内第Ⅱ相臨床試験を完了した被験者に対して、長期的な安全性および有効性を評価する長期投与試験を実施しております。このたび、umedaptanib pegol を1年以上投与した被験者のうち、現在実施中の国内第Ⅲ相臨床試験(WAKABA 試験)と同一の用法・用量である 1 mg/kg 週1回皮下投与へ移行した最初の被験者において、当該用量への移行後 3 か月時点まで新たな安全性上の懸念は認められませんでしたので、お知らせいたします。

本試験には、国内第Ⅱ相臨床試験を完了した 12 名の被験者のうち 11 名が治験参加しており、現在 7 名が継続して安全性および有効性の評価を実施しております。このうち 3 名が WAKABA 試験と同一の用法・用量である 1 mg/kg 週1回の投与へ移行しており、今回お知らせする内容は、その最初の被験者における増量投与開始後 3 か月時点までの経過です。

今回、WAKABA 試験と同一の用法・用量へ移行した最初の被験者において、移行後 3 か月時点まで新たな安全性上の懸念が認められていないことは、umedaptanib pegol の長期投与時の安全性に関する知見を蓄積するとともに、WAKABA 試験で採用している用法・用量に関する安全性情報を先行して補完するものと考えております。当社は、第Ⅱ相長期投与試験および WAKABA 試験の両試験を着実に推進し、ACH 患者さんへの新たな治療選択肢の提供を目指して開発を推進してまいります。

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