

2026年10月6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>

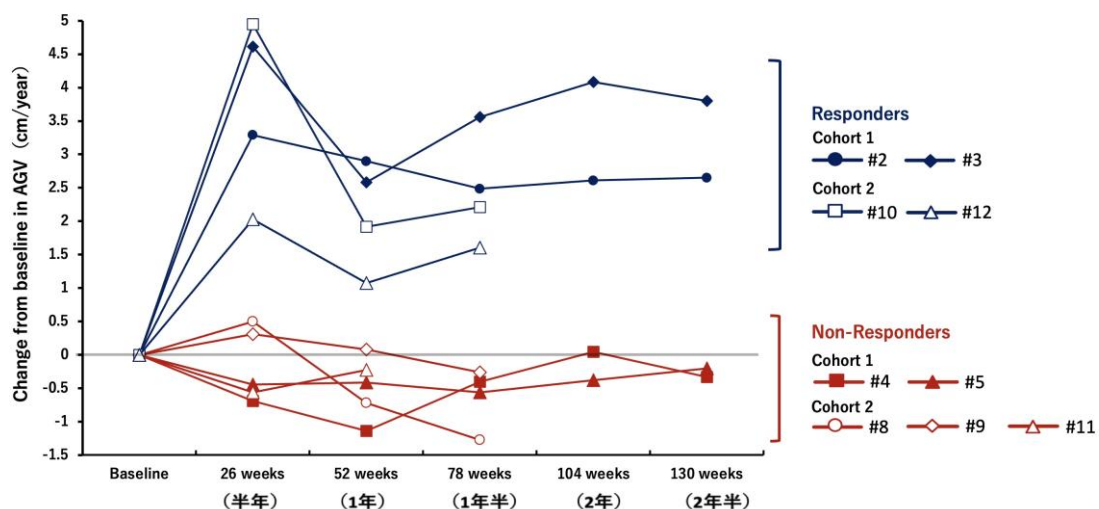
軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)第Ⅱ相長期投与試験の経過報告と 奏効患者における効果の継続性に関するお知らせ

当社の umedaptanib pegol による、軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH)の第Ⅱ相臨床試験においては、以下の11名の小児患者が長期投与試験に移行して投薬が継続されました。今般、本試験における途中経過のデータが得られ、奏効患者における効果の継続性が確認されましたので、ご報告いたします。

Cohort 1: 0.3 mg/kg 被験薬の毎週1回皮下投与群 5名

Cohort 2: 0.6 mg/kg 被験薬の隔週1回皮下投与群 6名

現在も治験を継続している患者7名におきましては、Cohort 1は投与開始から2年半以上経過し、Cohort 2も1年半以上経過しています。また、投与中止例を含め、被験薬を1年以上継続して投与しました9名の、被験薬投与前(観察試験)と比較した身長の間年成長速度^註(AGV: Annualized Growth Velocity, cm/year)の推移を以下に示します。



身長の伸展速度が半年間で顕著に増加した4名の小児患者においては、umedaptanib pegol の成長促進効果が継続していることが確認されました。これに対して、奏効しなかった、もしくは顕著な効果ではなかった5名の患者においては、本試験期間内において、投与継続による反応性の改善は認められませんでした。奏効患者における AGV 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(+1.5~1.7cm/年)を上回るものです。また、これらの長期投与試験の過程で安全性上の懸念は認められませんでした。

以上の長期試験移行患者のうち、現在、奏効しなかった患者を含め 4 名が試験を中止し、4名はそのままの用法・用量を継続し、3名が用法・用量変更により、1.0 mg/kg 被験薬の毎週1回皮下投与に移行しております。今後、1.0 mg/kg 被験薬の増量がどのような成長促進効果をもたらすか注視してまいります。

なお、本件による2027年3月期業績への影響はございません。

註：年間成長速度(AGV:Annualized Growth Velocity)は、当社がこれまで適時開示等で使用してきた年間身長伸展速度(AHV:Annualized Height Velocity)と同じ指標を指します。本資料では軟骨無形成症領域の学術文献等で一般的に用いられている AGV の表記を使用しております。

以上