

2026年10月22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:
目標登録数を上回る治験参加同意取得のお知らせ**

当社は、umedaptanib pegol (抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症 (Achondroplasia、以下「ACH」)の小児患者(2～14 歳)を対象とする国内第Ⅲ相臨床試験(WAKABA 試験)を実施しております。このたび、本試験において、当社が目標とする被験者登録数(16名)を上回る患者様から治験参加への同意を取得いたしましたので、お知らせいたします。

今後、同意をいただいた患者様について、組み入れ基準等への適格性を確認するとともに、既存の薬物療法を受けている場合には所定の休薬期間を経た上で、本試験への登録を進めてまいります。

今回、複数の ACH 治療薬の開発が進む中で、短期間で目標登録数を上回る患者様から治験参加への同意が得られたことは、当社の ACH 新薬に対する大きな期待を示すものと受け止めております。今後、被験者登録を着実に進め、WAKABA 試験の遂行に注力してまいります。

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。

[第Ⅲ相臨床試験について] 以下をご参照ください。

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

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

以上