

2026年3月18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
治験申請のお知らせ

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)について、治験申請を、審査当局である独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency)に提出いたしましたので、お知らせいたします。

今後、PMDA の 14 日間のレビュー期間を経て本試験を開始します。

本試験の概要は以下の通りです。

対象患者	軟骨無形成症
目標症例数	16 例
試験目的	軟骨無形成症小児患者(2~14 歳)における umedaptanib pegol の有効性の検証、安全性及び薬物動態の評価
試験デザイン	1 mg/kg 週 1 回の皮下投与、多施設共同、非盲検、単群試験
試験期間	78 週間(観察期間:26 週、投与期間:52 週)
主要評価項目	52 週間投与後における投与開始前(観察期間)からの年間身長伸展速度 (Annualized Height Velocity:AHV)の変化量

なお、本件による2026年3月期通期業績予想に影響はありません。

[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