

2026年6月3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相臨床試験における IRB(治験審査委員会)承認のお知らせ

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、2026年4月2日付でPMDAより治験開始を許諾され、試験開始に向けた準備を進めてまいりました。このたび、本試験の実施医療機関の一つにおいて治験審査委員会(IRB)の承認を取得いたしましたのでお知らせいたします。

本試験は複数の医療機関での実施を予定しており、今後、各施設での IRB 承認を経て試験体制を順次整備してまいります。本承認は、最初の被験者登録(First Patient In, FPI)に向けた最終準備段階への移行を示す重要な進捗であり、当社は早期の症例登録開始を目指し準備を進めてまいります。

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 週間、投与期間:52 週間)
主要評価項目	52 週間投与後における投与開始前(観察試験期間)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2027年3月期通期業績予想値に変更はありません。

[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