

2026年6月29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: 実施医療機関拡充(6施設)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)を開始しました。国内臨床試験を実施する医療機関は治験審査委員会(IRB)の承認が必要なため、最初の承認は6月3日付で開示させていただきましたが、本日までにIRB承認を累計6医療機関で得られ、当社臨床試験の患者登録が可能になりました(実施医療機関の所在地を図示)。

本試験は、患者数が限られる希少疾患であり、かつ成長過程にある小児患者を対象とする臨床試験のため、実施医療機関には高い専門性と慎重な対応が求められます。当社の「新薬」の開発に対して、多くの優れた医療機関が積極的に参加していただけることとなり、当社として感謝申し上げますとともに、一丸となって日本発の医薬品をACHの子供達に提供できるように努力してまいります。

今後、実施医療機関は合計16施設に拡充して、日本全土をカバーできるようにする予定です。



本試験の概要は2026年3月18日付の当社開示「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」をご参照ください。

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

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ダプター(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