

2026年9月2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
(WAKABA 試験)における被験者登録の進展に関するお知らせ

当社は、umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症(Achondroplasia、略称名:ACH)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、略称名:WAKABA 試験)を実施しております。このたび、新たに2例の被験者登録が完了し、本日時点での累計被験者登録数は3例となりましたのでお知らせいたします。

本試験では目標症例数16例の登録を計画しております。2026年8月24日付で当初計画していた全16施設における治験体制整備を完了しており、試験は計画に沿って進捗しております。引き続き、各実施医療機関との連携のもと、目標症例数の達成に向けて被験者登録を推進してまいります。

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」、および2026年7月1日付の当社開示「軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の国内第Ⅲ相臨床試験における試験デザイン及び安全性に関する補足説明」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>

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。

以上