



2022年3月23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 東証マザーズ)
問合せ先 執行役員 財務経理部長 米林 渉司
TEL. 03-3440-3745

滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD) を対象としたRBM-007の臨床試験に関する総合報告

[要点]

- ・ RBM-007の臨床有効性を示す結果が治療歴のないwet AMDで初めて明らかにされる(TEMPURA試験)
- ・ 抗VEGF治療歴のあるwet AMDに対しては単剤や併用でもアイリーアを上回るRBM-007の臨床有効性は確認されない(TOFU試験の詳細解析とRAMEN試験)
- ・ RBM-007は抗VEGF治療歴のないwet AMDに対して新しい治療法を提供するものと考えられる(考察)

当社が開発中の抗FGF2アプタマーRBM-007を用いたwet AMDを対象とする米国臨床試験に関して、医師主導治験(TEMPURA試験)の結果、ならびにTOFU試験の詳細解析とRAMEN試験の結果がまとまりましたので、お知らせいたします。

TEMPURA医師主導治験は、比較薬を設定しない小規模のオープン試験(登録患者数5名)で、治療歴のないwet AMD患者でのRBM-007単独治療の有効性および安全性を評価することを目的に、米国インディアナ州インディアナポリスにあるMidwest Eye InstituteのRaj K. Maturi医師によって実施されました。被検者は3ヶ月間、2mgのRBM-007の硝子体内注射を月一回受けました。主要評価項目および副次的評価項目は、それぞれ網膜組織構造および最高矯正視力(BCVA)のベースラインからの3ヵ月後の変化です。網膜組織構造の評価では、光干渉断層撮影(OCT)を用いた中心窩網膜厚(CST)の変化値が測定されました。

TEMPURA試験の結果、臨床的に重要なこれら二つの評価項目でポジティブな効果が確認され、RBM-007が治療歴のないwet AMD患者に対して、視力および網膜組織構造を改善する可能性が明らかになりました。本試験では半数以上の被検者において視力及び/又は中心窩網膜厚の改善が認められました。特筆すべきは、視力および網膜組織構造の両方で顕著な改善を示した一人の被験者で、3ヵ月時点で視力が12文字改善し、その後も追加投与なしで改善を続けて、4ヵ月時点(試験終了時)において、視力はベースラインと比較して15文字改善しました。この被験者では、中心窩網膜厚も約200ミクロン減少とほぼ正常値に改善しました。本試験では病態が悪化した場合のレスキュー治療には標準治療である抗VEGF薬が用いられましたが、1例を除く4例は、4ヵ月間の試験期間中、レスキュー治療を必要としませんでした。本被検者1名はアイリーアを用いたレスキュー後も視力は改善しませんでした。

TEMPURA試験を主導するRaj Maturi医師は次のようにコメントしています。「RBM-007は、wet AMDの治療分野に従前にはない新しいアプローチを提供するもので、未治療のwet AMD患者の一部において臨床的に重要かつ有意義な改善を示しています。」

米国RIBOMIC社のCEOであるPadma Bezwadaは次のようにコメントしています。「当社のRBM-007の臨床開発戦略は、既治療の患者を対象とした治験と並行として、治療歴のないwet AMD患者に対して単剤

投与を行い、本薬剤の新規かつユニークな特性を見極めようというものでした。このTEMPURA試験は小規模なパイロット試験ではありましたが、その結果は我々を勇気づけるものです。この新規データが、パートナーリングもしくは共同研究の可能性を拓くことを期待しています。本試験を主導したMaturi医師、施設のスタッフや被験者に感謝の意を表します。」

抗VEGF治療歴のあるwet AMD患者を対象としたTOFU試験のトプラインデータは、すでに報告済みですが、その詳細解析の結果、RBM-007単独治療、およびアイリーアとの併用治療のいずれにおいても、副次的評価項目（網膜厚の減少または網膜下高反射物質/線維化の消失を含む各解剖学的評価）で、アイリーアを上回る改善は観察されませんでした。

またTOFU試験の延長として実施された非盲検のRAMEN試験においても、RBM-007による改善効果は確認されませんでした。

いずれの試験においても、RBM-007による新たな安全性に関する問題は発生しておりません。

要約すれば、本3件のP2試験の結果、RBM-007は、抗VEGF薬による長期治療歴のあるwet AMDに対しては、アイリーアを上回る臨床効果は確認されないものの、治療歴のないwet AMDに対しては、視力および網膜組織構造の改善に有効であると考えられます。

なお、本件による2022年3月期通期業績に与える影響はありません。

以上

RBM-007について

RBM-007は、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) です。wet AMDにおける血管新生と瘢痕形成を同時に抑制する新規な薬理作用を有することが非臨床試験で示されています。特にwet AMDにおける瘢痕形成は、失明の一因と考えられていますが、既存薬には瘢痕化を直接抑制する作用は確認されておらず、RBM-007は新規の治療法を提供できる可能性があります。wet AMDを対象に以下の3つの臨床試験が実施されました： 1. 二重盲検、実薬対象のTOFU試験 (NCT番号04200248)； 2. RBM-007のみのオープンラベル延長試験のRAMEN試験 (NCT番号04640272)； 3. 未治療のwet AMD患者を対象とした医師主導治験 (NCT番号04895293)。

滲出型加齢黄斑変性 (wet AMD) について

wet AMDは、米国およびヨーロッパにおける主要な失明要因です。この疾患は、脈絡膜血管新生と呼ばれる、網膜の下の異常で漏れやすい新しい血管の形成によって引き起こされます。血管からの体液の漏出は、網膜の肥厚および線維性瘢痕形成を含む網膜変性を引き起こし、重度かつ急速な視力喪失をもたらします。