

2022年11月28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 執行役員財務経理部長 米林 渉 司
TEL. 03-3440-3745

軟骨無形成症治療薬(RBM-007)の国内前期第Ⅱ相観察試験症例登録のお知らせ

当社は、RBM-007(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症の小児患者における、身長
の伸びを含む臨床的基礎データの取得と前期第Ⅱ相臨床試験の被験者選定を目的とした観察試
験を進めており、第一例目の症例登録が東京医科歯科大学病院において行われましたのでお知
らせいたします。

なお、軟骨無形成症の小児患者での RBM-007 の安全性と有効性を調べる前期第Ⅱ相臨床試
験と、これに引き続き実施する長期投与試験の治験計画届書を、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)に提出し、治験
実施の許可を得ており、観察試験に引き続き、前期第Ⅱ相臨床試験と長期投与試験を進めてま
います。

前期第Ⅱ相試験の概要は臨床研究等提出・公開システムをご参照ください。

前期第Ⅱ相観察試験:<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220113>

前期第Ⅱ相臨床試験:<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220291>

前期第Ⅱ相長期投与試験:<https://jrct.niph.go.jp/latest-detail/jRCT2031220338>

なお、本件による2023年3月期通期業績に与える影響はありません。

[RBM-007 について]

線維芽細胞増殖因子 2(FGF2)の機能を阻害するアプタマーで、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。

[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