

2023年4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相臨床試験での投与開始のお知らせ

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、有効性と安全性を調べる前期第Ⅱ相臨床試験での第1例目の投与が行われましたのでお知らせいたします。

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、本件を含む軟骨無形成症の臨床試験実施による 2024 年 3 月期通期業績への影響は、今後公表する 2024 年 3 月期の業績予想に織込む予定です。

[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