

2026年4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 開始許諾に関するお知らせ

当社はこのたび、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)から軟骨無形成症治療薬・umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー)を用いた第Ⅲ相臨床試験の許諾を得られましたので、お知らせします。

これは、複数回の事前面談と書面回答にもとづき、2026年3月18日に提出していた臨床試験開始申請(IND申請)に対して申請日から所定の日数が経過、PMDAからも追加の指摘事項がなく、規制上いつでも臨床試験を開始できる状態となりました。

PMDAからの許諾を得た umedaptanib pegol 第Ⅲ相臨床試験は、16名の軟骨無形成症小児患者(2~14歳)を対象とし、1 mg/kg 用量の週1回皮下投与(偽薬や比較薬を用いない単剤)で実施、主要評価項目は52週間投与後における投与開始前(観察期間)からの年間身長伸展速度(Annualized Height Velocity:AHV)の変化量です。*

本臨床試験において、目標とする AHV の変化量が+2 cm/year 以上が達成された場合は、軟骨無形成症小児患者様に新しい強力な治療薬の選択肢を提供できると考えております。

なお、本件を含む軟骨無形成症の臨床試験実施による2027年3月期通期業績への影響は、今後公表する2027年3月期業績予想に織り込む予定です。

以上

*当該試験の概要については、2026年3月18日の適時開示「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。