

2026年7月8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相臨床試験における jRCT 登録情報公開のお知らせ

当社は、umedaptanib pegol(抗 FGF2 アプタマー)を用いた、軟骨無形成症(Achondroplasia, ACH と略)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)を実施しております。このたび、本試験の情報が、厚生労働省が所管する「jRCT (Japan Registry of Clinical Trials:臨床研究等提出・公開システム)」に公開されましたので、お知らせいたします。

【jRCT 登録情報】

umedaptanib pegol の軟骨無形成症の小児を対象とした第Ⅲ相臨床試験
<https://jrct.mhlw.go.jp/latest-detail/jRCT2061260037>

本試験については、各実施医療機関との契約締結および IRB(治験審査委員会)承認等の手続きを順次進めております。今後、実施医療機関に関する情報等については、手続きの進捗に応じて jRCT 上で随時更新される予定です。

当社は引き続き、本試験を着実に推進し、軟骨無形成症に対する新たな治療選択肢の提供と、日本発の医薬品創製の実現に向けた取り組みを一層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」をご参照ください。
<https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2777738/00.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