

2022年4月19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相試験に向けた観察試験の 治験申請のお知らせ

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相試験の被験者選定を目的とした観察試験の
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)に提出いたしましたので、お知らせいたします。

今後、治験申請から14日間、PMDAより機構意見等の通達がない場合には、治験の開始が認
められることとなり、当社は前期第Ⅱ相試験に向けた観察試験を実施いたします。

観察試験の概要

対象患者	軟骨無形成症患者
目標症例数	14例
試験の目的	軟骨無形成症小児患者(5~14歳)における、身長の伸びを含む臨床 的基礎データを取得し、これらと比較することで、引き続き実施する RBM-007 前期第Ⅱ相試験での有効性及び安全性の評価を可能とし、 また同時に当該試験での被験者選定を適切に行うことを目的とする。
試験デザイン	観察試験 (治療的介入なし)
観察期間	26週間以上、最長2年間

なお、2023年3月期通期業績への影響は、今後公表する2023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