

2026年3月10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)国内第Ⅱ相臨床試験 主要評価項目に関する総括報告のお知らせ

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)の小児患者における第Ⅱ相臨床試験を実施しております。今般、第Ⅱ相臨床試験における全データの集計および解析が完了し、主要評価項目において本薬剤の有効性を支持する結果が得られましたのでお知らせいたします。

本試験は、小児 ACH 患者(5~14 歳)を対象とした国内第Ⅱ相臨床試験であり、本薬剤の有効性および安全性を評価することを目的としています。全被験者は、投与開始前に 26 週間の観察期間を経た後、本薬剤の投与を開始し、投与開始初期の安全性・忍容性を確認する導入期間(8 週間)に続いて、所定の投与間隔にて 26 週間投与する設計としました。本試験は 2 つのコホートで構成され、各 6 名、合計 12 名が登録されました。

コホート 1(低用量群)では、0.3 mg/kg の皮下投与を 2 週毎で 8 週間(計 4 回)実施して安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を 1 週毎に変更して 26 週間投与しました。コホート 2(高用量群)では、0.6 mg/kg の皮下投与を 4 週毎に 8 週間(計 2 回)実施して安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を 2 週毎に変更して 26 週間投与しました。なお、両コホートは投与期間中の総投与量が同一となるよう設定されています。有効性の主要評価項目は、導入期間終了後の 26 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 ( $\Delta$ AHV) です。

臨床試験の結果を以下に要約します。

- 主要評価項目である年間身長伸展速度 (AHV) について、途中休薬のあった 1 名を除き、コホート 1 の投与完了 5 名およびコホート 2 の投与完了 6 名の計 11 名を解析対象として評価した結果、投与開始前(観察期間)と比較した投与後の  $\Delta$ AHV の平均は +1.4 cm/年となり、探索的解析として統計学的有意差が認められた ( $p=0.04$ )。
- コホート 1 では 5 名中 3 名で、コホート 2 では 6 名中 5 名で治療後の AHV が投与開始前の AHV よりも増加した。うち 4 名の  $\Delta$ AHV は +2.0、+3.3、+4.6、+5.0 cm/年

と顕著な増加を示した。これら AHV の増加は、同一条件での長期投与試験においても継続している。

- ボックスゾゴ®投与歴のある被験者においても、AHV の改善が観察された(3名中2名)。
- 副次評価項目として身長 Z スコア、血清中骨代謝マーカー、体格検査(頭囲、胸囲、上腕長、前腕長、大腿長、下腿長及びアームスパン)、及び身体の体型バランスを探索的に評価した結果、本試験の範囲では有効性を示唆する一貫した傾向は観察されなかった。また、骨年齢、大腿骨成長板の形成状態、臨床所見に基づく肘関節及び股関節の所見、及びタナー発達分類においては、次試験に進む上での障害となる事象は観察されなかった。
- 本薬剤との関連性ありと判定された有害事象として、注射部位の疼痛(1例)、注射部位の腫脹(1例)、頭痛(1例)、関節痛(1例)、及び知覚過敏(1例)が発生したが、いずれも短期間かつ軽微であり、これら以外で治験中止に至る重篤な有害事象は観察されなかった。

以上の結果から、umedaptanib pegol の第Ⅱ相臨床試験において、有効性が確認されるとともに、安全性についても開発継続の観点から重要な知見が得られました。これらは、ACH 治療薬としての概念実証(Proof-of-Concept, POC)を支持するもので、詳細解析の結果は、医学専門誌に論文投稿する予定です。

当社は、本試験結果を踏まえ、第Ⅲ相臨床試験の治験申請を提出する予定です。

なお、本試験結果は、現時点における本薬剤の有効性および安全性に関する知見を示すものであり、将来の製造販売承認を保証するものではありません。

本件による2026年3月期通期業績予想に影響はありません。

#### [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