



2019年4月25日

各位

会社名 株式会社 リポミック  
代表者名 代表取締役社長 中村 義一  
(コード番号：4591 東証マザーズ)  
問合せ先 取締役執行役員経営企画部長 中村 恵美子  
TEL. 03-3440-3745

**国立研究開発法人日本医療研究開発機構による  
難治性疾患実用化研究事業の2019年度委託研究開発契約書  
締結に関するお知らせ**

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）が公募した難治性疾患実用化研究事業に採択された当社事業「抗 FGF2 アプタマー（RBM-007）を用いた軟骨無形成症治療薬の開発」について、AMED との間で 2019 年度委託研究開発契約書を締結することを、本日開催の当社執行役員会にて承認しましたので、お知らせいたします。

AMED の難治性疾患実用化研究事業は、希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化を支援することを目的としたものです。

本事業の期間は、2018 年度からの最大 3 年間で、2019 年度は第 2 年目に当たります。2019 年度に受け取る委託研究開発費は税込 78 百万円（予定）であります。

なお、2020 年 3 月期通期業績への影響は、今後公表する 2020 年 3 月期の業績予想に織り込む予定です。

以上

「抗 FGF2 アプタマー（RBM-007）を用いた軟骨無形成症治療薬の開発」について

軟骨無形成症は四肢短縮による低身長を主な症状とする希少疾患で、治療薬はなく、厚生労働省から難病指定を受けています。軟骨無形成症患者においては、FGF2 が骨伸長を抑制する要因の一つとして作用しています。当社が開発した RBM-007 は FGF2 に結合してその働きを阻害する作用を有し、疾患モデルマウスでは、体長の伸びの抑制を約 50%回復する効果を確認しました。現在、治療には本邦では成長ホルモンが使用されていますが、効果は十分とはいえず、骨延長術（足の骨を切断して引き離れた状態で固定し、骨の形成を促す）といった非常に厳しい治療が幼い子供に施されることもあり、新薬が待ち望まれています。

当社の RBM-007 を用いた軟骨無形成症治療薬開発については、AMED より 2015 年度より 3 年間、希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業として支援を受け、データを蓄積してまいりました。昨年度からの新規支援のもと、治験開始に向けた準備をさらに着実に進めております。