



2019年6月17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 東証マザーズ)
問合せ先 執行役員経営企画部長 米林 渉 司
TEL. 03-3440-3745

滲出型加齢黄斑変性を適応症とする RBM-007 の治験 (SUSHI 試験) における
ポジティブなトップラインデータについてのお知らせ

株式会社リボミックは、滲出型加齢黄斑変性(wetAMD)を適応症とした RBM-007 (抗 FGF2 アプタマー) の第 1/2a 相試験 (SUSHI 試験) において、ポジティブなトップラインデータ (速報) が得られたことをご通知いたします。本 SUSHI 試験は、9 名の wetAMD の患者さんを被験者として、低用量群 (第 1 コホート) から中用量群 (第 2 コホート) さらに高用量群 (第 3 コホート) へと漸増し、各被験者に RBM-007 を単回投与したものです。本 SUSHI 試験において、主要評価項目である安全性及び忍容性が確認され、さらに RBM-007 の有効性を支持する傾向が確認されました。

本 SUSHI 試験に参加した被験者は、wetAMD に罹患し、既存薬である抗 VEGF 薬の硝子体内投与がほとんど効かない患者さんです。本 SUSHI 試験において、最終コホートの最後の患者さんの投与後 56 日目の最終来院日が到来しておりませんが、これを除いた全てのケースで、投与後 56 日目に至るまで、投与量の制限につながる毒性、全身性の有害事象、眼での重篤な有害事象のいずれも認められませんでした。高用量群の第 3 コホートの一例において、前眼部に炎症が生じましたが、ステロイド (プレドニゾロン) の点眼により、一日で治癒いたしました。なお、本 SUSHI 試験においては、被験者が一定の要件を満たした場合、抗 VEGF 薬によるレスキュー治療を認めていました。

主要評価項目を判定する投与後 28 日目時点において、RBM-007 の副次評価項目である薬理効果が認められました。9 名の被験者のうち 7 名が RBM-007 に対して治療効果を示しました (最高矯正視力 (BCVA) が 1 文字以上改善した場合、または光干渉断層撮影 (OCT) で測定した中心網膜厚 (Central Retinal Thickness) が 50 マイクロメートル (μm) 以上減少した場合を、治療効果を示したと定義)。投与後 28 日目での視力改善は、第 1 コホートで 2 名、第 2 コホートで 2 名、第 3 コホートで 1 名に認められました。同時点での OCT 画像の改善、すなわち 50 μm 以上の中心網膜厚の減少は、第 2 コホートで 1 名、第 3 コホートで 3 名全員に認められました。全体として、RBM-007 の眼への単回の硝子体内投与は、既存薬である抗 VEGF 薬がほとんど奏功しなかった被験者において、高い忍容性が認められ、大半の被験者において、薬理効果を示しました。

SUSHI 試験のデータ解析作業は継続しており、医学系の学会で今後発表される予定です。本試験に続く、第 2 相試験 (複数回投与試験) は計画の策定中であり、患者登録は 2019 年度第 3 四半期から開始される予定です。

なお、本件による当事業年度の業績に対する影響はありません。

RBM-007 と開発背景について

RBM-007 は、新規の核酸アプタマーで、強い FGF2 (線維芽細胞増殖因子 2) 阻害活性を持ちます。現在、抗 VEGF 薬の硝子体内注射が wetAMD の治療法として承認されており、本既存薬は、wetAMD 患者において素晴らしい視力回復効果を実証しています。しかし、wetAMD 患者の中には、一定の割合でこの既存薬が奏功しない患者がおり、さらに治療が長期に及ぶと、視力を失うケースがあり、この原因の一つが黄斑下の線維化です。リボミックは、複数の疾患で血管新生および線維化に関与している FGF2 をターゲットとして、wetAMD の新薬を研究し、強力

な FGF2 阻害活性を有する核酸アプタマーである RBM-007 を創製しました。RBM-007 は化学合成が可能で、さらにウサギの硝子体内投与による硝子体内薬物動態試験では、既存の抗 VEGF 薬に勝る、長期間の優れた硝子体内滞留性を示しています。血管新生抑制および線維化抑制という、RBM-007 が有するいわば二重の作用は、既存治療薬とのコンビネーションもしくは既存薬に代替する形で、wetAMD の新規治療法を提供する可能性があります。

SUSHI 試験について

SUSHI 試験 (The Phase 1/2a Safety and ocUlar tolerability of a Single intravitreal (IVT) injection of RBM-007 in subjects with exudative age-related macular degeneration study) は、オープンラベル (非盲検) で、過去に 3 回以上の抗 VEGF 薬の投与を受けたものの病気が治癒しなかった 9 人の wetAMD 患者さんを被験者として、用量別に 3 群、すなわち 0.2 mg (第 1 コホート)、1.0 mg (第 2 コホート)、2.0 mg (第 3 コホート) を設定し、低用量群から、各コホート 3 名ずつ、各被験者の被験眼に RBM-007 を単回投与しました。主要評価項目の判定は投与後 28 日目に行われ、観察は 56 日目まで継続しました。検査項目には、ETDRS 最高矯正視力 (BCVA)、眼科検査一式、蛍光眼底造影検査、光干渉断層撮影 (OCT)、OCT 血管撮影、そして血漿内の RBM-007 レベル測定 (PK/PD) が含まれました。SUSHI 試験は RBM-007 の最初の臨床試験であり、臨床段階にあるその他の FGF2 阻害剤は現在報告されておりません。本試験の概要は、ClinicalTrials.gov (臨床試験に関する情報を提供する米国の公式サイト) をご参照ください。

URL : <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03633084>

滲出型加齢黄斑変性症 (wetAMD) について

wetAMD は欧米における失明の主な原因となっています。この疾患は、網膜の後ろ側で、異常な漏出性の新生血管が形成される (脈絡膜血管新生) ことで引き起こされます。これらの血管から体液が漏出すると、網膜が肥厚し、線維性の癒痕形成を含む網膜の変性が生じ、重度かつ急速な視力低下がもたらされます。網膜の肥厚は、wetAMD の患者における視力低下の唯一の原因ではありませんが、主な原因であると考えられています。そのため wetAMD 治療では、網膜の肥厚の減少 (改善) は、治療効果の測定指標として広く用いられています。

リボミックについて

創薬バイオベンチャーである株式会社リボミックは、次世代医薬品として注目される核酸医薬の一種であるアプタマー医薬の開発を行っています。当社の創薬プラットフォームである RiboART システムは、様々なアプタマー医薬の創出に応用できます。リボミックは、眼科疾患、疼痛を含む、幅広い Unmet Medical Needs (未だに満足すべき治療法のない疾患領域の医療ニーズ) に対して新規医薬品を提供すべく、研究開発に邁進しております。当社ホームページもぜひご参照ください。

<https://www.ribomic.com/>

注意事項

このプレスリリースに記載されている現在の計画、予想、戦略、想定に関する記述及び業績見通し等の将来に関する記述は、当社が現在入手可能な情報に基づく前提や想定によるものであり、当社として実現を約束するものではありません。さまざまな要因によって、これら将来の見通しは実際の結果と大きく異なる可能性があります。その要因としては、1) 医薬品市場における事業環境の変化及び関係法規制の改正、2) 為替レートの変動、3) 製品に関する安全性並びに有効性に対するクレームや懸念、4) 臨床試験の完成・中止、5) 第三者による知的財産の侵害等がありますが、これらに限定されるものではありません。

また、このプレスリリースに含まれている医薬品 (開発中のものを含む) に関する情報は、宣伝広告、医学的アドバイスを目的としているものではありません。