

2025年7月24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 に対する
令和7年度希少疾病用医薬品等試験研究助成金交付決定のお知らせ**

この度、当社は、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所が所管する令和7年度希少疾病用医薬品等試験研究助成事業において、22,030千円の助成金交付決定通知書を受領しましたので、お知らせいたします。

軟骨無形成症(Achondroplasia、ACHと略)は、新生児約25,000人に対して1人の発生率という、四肢短縮等の低身長をもたらす希少疾患であり、現在もなお有効な新薬の開発が求められております。当社のACH治療薬umedaptanib pegol^{註1}は、現在実施中の前期第2相臨床試験において、顕著な身長伸展作用が確認され、令和7年5月30日、厚生労働省が定める希少疾病用医薬品(オーファンドラッグ)に指定されました^{註2}。本件は、その研究助成事業に応募し採択されたものです。

本助成事業は、厚生労働大臣から指定を受けた希少疾病用医薬品等の製造販売承認申請を行うために必要な試験研究(製造販売承認申請に係る添付資料作成のための開発費用)が対象で、最大3事業年度の期間、助成対象となる経費の2分の1を上限として、事業年度毎に助成金額が決定される制度です。

今回の助成金交付を受け、当社は引き続き umedaptanib pegol の製造販売承認取得に向けた開発を加速して進めて参ります。なお、本件による 2026 年3月期の業績に与える影響は軽微です。

^{註1} 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、本薬剤は滲出型加齢黄斑変性に対する臨床 POC が確認されています。

^{註2} 希少疾病用医薬品は、医薬品医療機器法第77条の2に基づき、対象患者数、医療上の必要性、開発の可能性のいずれの要件にも合致するものとして、薬事審議会の意見を聴いて厚生労働大臣が指定するものです。本指定により、国からの研究開発資金助成に応募する資格や、上市後の再審査期間の延長等の優遇措置を受けることができます。

以上