

2025年10月7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)第Ⅱ相臨床試験 コホート2 トップライン positive データのお知らせ

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(5~14歳)における、治療の有効性と安全性を調べる目的の第Ⅱ相臨床試験^{註1}を実施しております。今般、高用量(0.6mg/kg)の皮下投与(1回/2週)群(コホート2^{註2})の投与が完了し、コホート2においてもコホート1^{註3}で明らかになった umedaptanib pegol の有効性と安全性が確認されました。

この第Ⅱ相臨床試験では、被験薬の総投与量はコホート1、2の両方で同一で、先に完了したコホート1は低用量(0.3mg/kg)の週1回の皮下投与群、今回のコホート2は高用量(0.6mg/kg)の隔週投与群となっており、本試験の目的は umedaptanib pegol の有効性と安全性、そして持続性(durability)を確認することです。

コホート1では、投与を完了した5名中3名で、被験薬投与前(観察試験^{註4})に比較して、身長伸展速度が増加し、うち2名は+4.6cm、+3.3cm/年と顕著でした(2024年11月5日付適時開示)。コホート2では、6名が試験を完了し、うち5名で身長の伸展速度が増加し、うち2名の速度増加は+5.0cm、+2.0cm/年と顕著でした。これら顕著に身長が伸びた4名の結果は、現在 ACH 治療薬として承認されているボックスゾゴ®(ボソリチド、BioMarin 社製、毎日皮下投与)の身長平均伸展速度+1.7cm/年^{註3}を上回る成績でした。また、コホート1とコホート2の身長伸展速度の平均値は、それぞれ、+1.5cm、+1.4cm/年で、ボックスゾゴ®と同程度でした。また、第Ⅱ相臨床試験を通じて、安全性に関する懸念は発生しておりません。

これらの結果から、umedaptanib pegol の第Ⅱ相臨床試験における有効性と安全性が明らかになり、ACH 治療薬としての概念実証(Proof-of-Concept、POC)に成功いたしました。本試験によって、投与量を上げることで投与間隔を延長できることも明らかになりました。毎日の皮下投与が必要なボックスゾゴ®と比較して、隔週あるいは週1回の投与で効果が見込める umedaptanib pegol の薬効は長期間の投与が必要な ACH 小児患者にとっては大きなベネフィットになるものと考えます。

当社は、さらに、umedaptanib pegol の ACH 治療薬としての有効性を検証する目的で第Ⅲ相臨床試験を計画しています。これまで ACH モデル動物を用いた非臨床試験^{註5}において、骨伸展速度は薬剤の投与量に応じて増加することが明らかになっているため、第Ⅲ相試験では、週1回の皮下投与における

投与薬量を1mg/kg 程度に増量し、治験に参加する小児患者の年齢も2歳程度に引下げて実施することを計画しています。これにより、既承認薬に比較しても大幅な治療成績の向上を期待することが可能です。

第Ⅲ相試験は、2026年度 1Q に開始して、2027年度内には完了する予定です。本薬剤は厚生労働省から希少疾病用医薬品指定を受けているため、その優遇措置を利用して、2028年度内の医薬品承認を目指します。

註¹ これまでは「前期」第Ⅱ相臨床試験として表記してきましたが、今後、「後期」試験は実施せずに、直接第Ⅲ相臨床試験に移行することとしたので、「前期」の表記は割愛しました。

註² 高用量(0.6mg/kg)の皮下投与を4週間に1回、8週間(計2回)実施し、安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を2週間に1回に変更し、26週間投与する(投与期間は計34週間)試験群。

註³ 低用量(0.3mg/kg)の皮下投与を隔週1回、8週間(計4回)実施し、安全性・忍容性を確認した後、投与間隔を1週間に1回に変更し、26週間投与する(投与期間は計34週間)試験群。

註⁴ ACH 小児患者の、投薬前の身長伸びを含む臨床的基礎データ(ベースライン)を取得して、これらと比較することで、第Ⅱ相臨床試験での有効性の評価を可能とし、また同時に被験者選定を適切に行うことを目的とする試験(観察期間は計26週間)。

註⁵ Kimura T, ・・ Nakamura Y, Ozono K, Krejci P. An RNA aptamer restores defective bone growth in FGFR3-related skeletal dysplasia. Sci. Transl. Med., May 5;13(592):eaba4226 (2021)

なお、2026年3月期通期業績予想値に変更はありません。

[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