



2021年11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 東証マザーズ)  
問合せ先 執行役員財務経理部長 米林 渉司  
TEL. 03-3440-3745

## 軟骨無形成症治療薬（RBM-007）の第Ⅰ相臨床試験の結果に関するお知らせ

軟骨無形成症を対象疾患とするRBM-007（抗FGF2アプタマー）の第Ⅰ相臨床試験は、今年5月に全ての被験者への投与が終了し、データの取りまとめを完了、第Ⅱ相試験の開始に必要な評価項目を達成いたしましたので、お知らせいたします。

24名の健康な成人男性を被験者とする、RBM-007の単回投与群（Cohort 1）と2回投与群（Cohort 2）で、用量漸増して皮下注射し、RBM-007の安全性、忍容性及び体内動態を評価しました。試験の過程で、高用量（1.0 mg/kg）1回投与の1名で重篤な副作用（急性アナフィラキシー反応）が発生しましたが、適切な処置により同日に症状は消失したため、高用量を0.6 mg/kgに減量して試験を継続し、完了いたしました。その結果、RBM-007を0.1～0.6 mg/kgで2回まで、1又は2週間隔で皮下投与した際の忍容性については良好であり、安全性に問題はありませんでした。また、本試験のRBM-007の血中濃度測定により、次に実施する初期第Ⅱ相臨床試験（Phase 2a）の基礎データを取得できました。現在、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と第Ⅱ相試験に関する協議を行っています。

なおこれらの試験結果については、11月18日開催の当社決算説明会で報告する予定です。  
また、本件による2022年3月期業績への影響はございません。

### [RBM-007について]

線維芽細胞増殖因子2（FGF2）の機能を阻害するアプタマーで、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。

### [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。

本試験の概要は、JapicCTIからもご確認いただけます。

<https://www.clinicaltrials.jp/cti-user/trial/ShowDirect.jsp?directLink=0p52SZqEULFxxBQ0QuD.Vg-->

以上

本リリースに記載されている医療用医薬品（開発品を含む）の情報は、当該製品を宣伝・広告するものではなく、投資家への情報開示を目的とするものであり、その製品化を保証するものではありません。