

2026年4月23日

各位

株式会社リボミック  
(コード番号：4591 東証グロース)

## Fusion Conference 2026 における軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol) 第Ⅱ相臨床試験の結果に関する講演のお知らせ

2026年5月7日から10日にかけてマルタ共和国セント・ジュリアンズで開催される Fusion Conference 2026 “Fibroblast Growth Factor Signaling in Development, Health & Disease Conference”<sup>註1</sup>において、当社代表取締役社長 中村義一 が招聘され、軟骨無形成症治療薬(umedaptanib pegol)の第Ⅱ相臨床試験の包括的な成果に関して発表します。

演題名： Anti-FGF2 Aptamer Therapy in Achondroplasia: Clinical Proof of Concept  
セッション名： Targeting the FGF-FGFR Axis in Translational Research  
日時： 2026年5月9日 17.00-17.55 CEST  
会議 URL： <https://fusion-conferences.com/conference/195>

講演要旨は以下の通りです。

- umedaptanib pegol の投与回数が規定の50%未満の被験者1例を除外した11例で解析した結果、投与前後での身長年平均年間伸展速度(AHV)の差は全体で+1.43 cm/年であり、統計学的に有意な差が認められた( $p = 0.0421$ )。
- 同11例において、投与前後での AHV 変化量が増加した割合は72.7%(11例中8例)であった。この結果は、既承認薬であるボックスゾゴ<sup>®</sup>と比較して反応率が高い(72.7% vs 50%<sup>註2</sup>)ことを示している。
- ボックスゾゴ<sup>®</sup>治療歴を有する3名の被験者のうち2名で、umedaptanib pegol 投与による AHV の改善が認められた。
- 有害事象の程度はほとんどが軽度で、高度の有害事象は認められなかった。重要な有害事象、重篤な有害事象、及び死亡に至った有害事象はいずれの試験においても認められず、安全性及び忍容性に大きな問題はなかった。
- 身長伸展速度に顕著な増加が観察された小児患者においては、その後の延長試験においても薬効が持続している。

以上の結果は、軟骨無形成症治療における umedaptanib pegol の有効性(Proof of Concept, POC)を明らかにすると同時に、毎日の皮下投与が必要なボックスゾゴ<sup>®</sup>に比べて、1週間か2週間間隔の皮下投与で効果のある umedaptanib pegol の優位性(利便性)を示すものと考えています。

Fusion Conference は、当該研究分野における第一線の研究者が集う国際的専門学会であり、本発表を通じて、当該分野における研究の位置づけや今後の発展性について専門的な議論を深めることに資するものです。

なお、本件による 2027 年3月期通期業績への影響はございません。

註<sup>1</sup> Fusion Conference は隔年で開催される国際的な研究集会で、発生学、遺伝性疾患、組織恒常性、組織再生における成長因子の機能、および先天性疾患や再生医療への治療等について、学术界および産業界の研究者、臨床医および有識者等、各分野の専門家が交流し、討議する場であり、新しい研究プロジェクトや共同研究の開始を促進しています。

註<sup>2</sup> Supplement to: Savarirayan R, Tofts L, Irving M, et al. Once-daily, subcutaneous vosoritide therapy in children with achondroplasia: a randomised, double-blind, phase 3, placebo-controlled, multicentre trial. Lancet 2020; 396: 684-92.

以上