2026年11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）の国内第Ⅲ相臨床試験：目標登録数達成のお知らせ

当社は、umedaptanib pegol（抗 FGF2 アプタマー）を用いた、軟骨無形成症（Achondroplasia、以下「ACH」）の小児患者（2～14 歳）を対象とする国内第Ⅲ相臨床試験（WAKABA 試験）を実施しております。このたび、2026 年 11 月 17 日時点で 18 例の被験者登録が完了し、本試験で計画していた目標症例数（16 例）を達成しましたので、お知らせいたします。

本試験では、2026 年 7 月の第一例目の被験者登録以降、全国の実施医療機関において症例登録を進めてまいりました。 今回、目標症例数を予定どおり達成したことにより、本試験は次の段階へと着実に進展しております。本試験における同意取得期間は 10 月末までとしており、当該期間中に同意を取得した被験者については 11 月末までの登録を予定していることから、最終的な登録症例数は最大 25 例となる可能性があります。

目標症例数を上回る登録により、当初計画より多くの患者様から臨床データを取得できる見込みであり、本剤の有効性および安全性を評価するための、より充実した臨床データの集積が期待されます。当社は、引き続き WAKABA 試験を適切かつ着実に遂行し、umedaptanib pegol の早期承認取得に向けた開発を推進してまいります。

なお、本件による2027年3月期通期業績に与える影響は軽微です。

［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。

［第Ⅲ相臨床試験について］ 以下をご参照ください。
https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2777738/00.pdf
https://ssl4.eir-parts.net/doc/4591/tdnet/2846066/00.pdf

以上