

2025 年 4 月 28 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候補 umedaptanib pegol の 日本における希少疾病用医薬品指定に関するお知らせ

当社は、このたび、軟骨無形成症を対象として開発を進めている umedaptanib pegol ^{註1}について、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）指定^{註2}を受けましたので、お知らせいたします。

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。

軟骨無形成症は、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、現在もなお有効な新薬の開発が求められております。今回の厚生労働省による希少疾病用医薬品指定は、軟骨無形成症治療薬としての umedaptanib pegol の開発の重要性と、上市までの開発計画について評価された結果であると考えており、本パイプラインの価値向上に寄与するものです。

なお、本件による 2026 年 3 月期の業績に与える影響について現在精査中です。今後開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせいたします。

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：希少疾病用医薬品指定制度は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことで、本邦では十分にその研究開発が進んでいない状況にある開発品において、安全かつ良質な医薬品を一日も早く医療の現場に提供するための特別の支援措置として制定された制度です。

以上