

2016年6月28日

米国食品医薬品局が小児 X 染色体遺伝性低リン血症に対して 抗 FGF23 完全ヒト抗体 (KRN23) を Breakthrough Therapy に指定

協和発酵キリン株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：花井 陳雄、以下「協和発酵キリン」）は、現在開発中の抗線維芽細胞増殖因子 23^{※1} 完全ヒト抗体 (KRN23) が、米国食品医薬品局（以下「FDA」）により 1 歳以上の小児 X 染色体遺伝性低リン血症^{※2}（以下「XLH」）に対する Breakthrough Therapy（画期的治療薬）に指定されたことをご知らせいたします。協和発酵キリンは、KRN23 の開発、販売に関して、ウルトラジェニクス・ファーマシューティカル（以下「ウルトラジェニクス」）と協業およびライセンス契約を締結しています。

本剤への Breakthrough Therapy の指定は、現在米国および欧州で実施中の小児 XLH を対象とした第 2 相試験において、当初組み入れられた 36 例の試験開始 40 週目に得られた中間解析結果に基づき行われたものです。

Breakthrough Therapy の指定制度は、重篤もしくは致命的な疾患の治療のため、新薬の開発および審査を促進することを目的としています。同指定を受けるには、臨床試験の予備的結果において、重要な評価項目について既存の治療を超える本質的な改善が示されることが必要です。指定を受けると、効率的に開発プログラムを進めるための FDA ガイダンスが適用されるとともに、審査には経験豊富な FDA の審査担当が直接携わるなどの優遇策が図られます。このことにより、重篤な疾患への治療法の有用性が確認された際には、速やかに承認が得られ、臨床での使用が可能になります。

現在実施中の第 2 相試験に加え、ウルトラジェニクスは協和発酵キリンとの協業により小児 XLH を対象とした KRN23 の第 3 相臨床試験を 2016 年中頃に開始する予定です。なお、成人 XLH を対象とした第 3 相臨床試験は、昨年 12 月より開始しています。

協和発酵キリングループは、ライフサイエンスとテクノロジーの進歩を追求し、新しい価値の創造により、世界の人々の健康と豊かさに貢献します。

※1 線維芽細胞増殖因子 23 (FGF23)

FGF23 は、主として骨組織で産生される 251 アミノ酸からなるポリペプチドであり、腎臓に作用し、腎尿細管でのリンの再吸収を阻害します。近年、低リン血症性くる病、腫瘍性骨軟化症、腎不全等の疾患における FGF23 の関与が示唆されています。

※2 X 染色体遺伝性低リン血症 (XLH)

XLH は、X 染色体上の PHEX 遺伝子の異常により血中の FGF23 濃度が過剰になった結果、体内のリンが尿中に過剰に排泄され低リン血症となり、その結果として骨の成長・維持に障害をきたしたり、QOL の低下を生じたりする希少な疾患です。