

2016年10月26日

小児X染色体遺伝性低リン血症を対象とした 抗FGF23完全ヒト抗体KRN23の第3相国際共同治験開始

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、小児X染色体遺伝性低リン血症¹（XLH）を対象とした抗線維芽細胞増殖因子23²（Fibroblast Growth Factor 23、以下「FGF23」）完全ヒト抗体KRN23の第3相国際共同治験を開始しましたのでお知らせします。

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・ファーマスーティカル（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。

今回開始した試験は、米国、EU、カナダ、日本、韓国で実施する経口リン製剤及びビタミンD製剤治療群を比較対照とした第3相無作為化オープンラベル試験で、1歳から12歳までの小児XLH患者さん約60例を対象に有効性と安全性を比較します。本試験の主要評価項目ではRadiographic Global Impression of Change（RGI-C）スコアに基づき、試験開始後40週時点におけるくる病画像所見の変化を評価します。副次的評価項目では、RGI-Cスコア評価およびThacher Rickets Severity Scoring（RSS）を指標とする追加のくる病画像所見の評価や、成長速度および身長の変化、薬力学的評価、歩行能力、痛みや疲労および身体機能に関する患者報告アウトカム、安全性を評価します。本治験では、すべての患者さんはこれまで経口リン製剤および活性型ビタミンD製剤による治療を受けており、7日間の休薬期間を経た後、KRN23投与群および比較対照群に無作為に割り付けられます。KRN23の投与群に割り付けられた患者さんには、2週間に1度、0.8 mg/kgのKRN23が投与されます。なお、投与量は1.2 mg/kgまで増量が可能です。

本試験の他に、成人を対象としたKRN23の第3相臨床試験と、小児XLH対象の第2相臨床試験も現在進行中です。また、KRN23は腫瘍性骨軟化症³（TIO）を対象とした開発も行われています。

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 X染色体遺伝性低リン血症（XLH）

XLHは、遺伝的な原因により血中のFGF23が過剰となることで、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・維持に障害をきたす希少な疾患です。

2 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。

3 腫瘍性骨軟化症（TIO）

TIOはFGF23を過剰分泌する一般的には良性の腫瘍により生じるもので、尿中への過剰なリン排泄を引き起こすことにより、重篤な低リン血症や骨軟化症、筋力低下、疲労、骨痛、骨折を引き起こします。