

burosumab の米国での承認申請受理 および優先審査指定に関するお知らせ

本ニュースリリースは、当社と当社子会社のKyowa Kirin International PLC、ならびに米国ウルトラジェニクス・ファーマシューティカルが発表した英文プレスリリースを、当社が日本語に翻訳し、発表しています。

本ニュースリリースの正式言語は英語であり、その内容・解釈については英語が優先しますことをご留意下さい。

協和発酵キリン グローバルサイト：www.kyowa-kirin.com

協和発酵キリン株式会社（本社：東京、社長：花井陳雄、以下「協和発酵キリン」）と当社子会社の Kyowa Kirin International PLC（以下「Kyowa Kirin International」）、ならびにウルトラジェニクス・ファーマシューティカル（本社：米国、社長：エミル・D・カキス、以下「ウルトラジェニクス」）は、米国食品医薬品局（FDA）が小児・成人 X 染色体遺伝性低リン血症（XLH）^{注1}を適応症とした burosumab の生物製剤承認申請（BLA）を受理し、またこれを優先審査指定したことをお知らせします。

burosumab は、昨年 FDA により 1 歳以上の小児 XLH に対する Breakthrough Therapy（画期的治療薬）に指定されました。

FDA は、重篤な症状に対する治療薬となり、承認された場合、安全性もしくは効果の面から著しい改善をもたらすことが期待される薬剤に対して与えられる「優先審査」に burosumab を指定しました。審査終了目標日（PDUFA action date）は 2018 年 4 月 17 日です。現時点において、FDA は諮問委員会による本申請に関する議論が必要かどうかは明らかにしていません。FDA は以前、burosumab を「rare pediatric disease」に対する薬剤に指定しているため、burosumab が承認された場合は、Priority Review Voucher を得ることができます。

ウルトラジェニクスと協和発酵キリンの間で締結した協業およびライセンス契約に基づき、ウルトラジェニクス、協和発酵キリンおよび Kyowa Kirin International の 3 社は、共同で burosumab のグローバルな開発および販売に取り組んでいます。

注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。

注2 burosumab（KRN23）について

burosumab は協和発酵キリンにより創製された線維芽細胞増殖因子 23（FGF23）に対する完全ヒトモノクローナル抗体です。FGF23 は、腎臓におけるリン排泄と活性型ビタミン D 産生を制御することで、血清リンおよび活性型ビタミン D 濃度を低下させる液性因子です。burosumab は FGF23 の過剰発現に由来した疾患である XLH および腫瘍性骨軟化症（TIO）を対象として開発が進められています。XLH および TIO 患者さんにおけるリン排泄亢進は FGF23 の過剰な作用により引き起こされています。burosumab は、XLH および TIO の患者さんにおける FGF23 の過剰な作用を阻害することで、腎臓におけるリンの再吸収を増加させ、腸管におけるリンとカルシウムの吸収を促進するビタミン D の産生を増加させます。