

2017年8月24日

抗FGF23完全ヒト抗体burosumabの臨床試験結果に関する学会発表について

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」）と協和発酵キリンの子会社である Kyowa Kirin International PLC（英国ガラシールズ、代表取締役社長：トム・ストラッドフォード、以下「Kyowa Kirin International」）は、現在開発中の抗線維芽細胞増殖因子 23（Fibroblast Growth Factor 23、以下「FGF23」）完全ヒト抗体 burosumab（開発コード：KRN23）の X 染色体遺伝性低リン血症²（XLH）及び腫瘍性骨軟化症³（TIO）を対象とした臨床試験結果について、2017年9月8日から11日まで開催される American Society for Bone and Mineral Research（米国骨代謝学会）の2017年年会にて発表されることをお知らせ致します。

協和発酵キリンと Kyowa Kirin International、Ultragenyx Pharmaceutiacal Inc.（米国カリフォルニア州ノバト、CEO：エミール・D・カキス、以下「ウルトラジェニクス」）は burosumab を共同で開発しています。

1. 口頭発表（2件）

XLH を対象とした成人第3相試験（134例、24週のデータ）および小児第2相試験（52例、64週のデータ）の結果の2件の口頭発表を行います。

< 演題名（成人） >

A Phase 3 Randomized, 24 Week, Double-Blind, Placebo-Controlled Study Evaluating the Efficacy of Burosumab, an Anti-FGF23 Antibody, in Adults with X-Linked Hypophosphatemia (XLH)

（演題番号：#LB-1159）

< 演題名（小児） >

Burosumab (KRN23), a Fully Human Anti-FGF23 Monoclonal Antibody for X-linked Hypophosphatemia (XLH): Final 64-Week Results of a Randomized, Open-label, Phase 2 Study of 52 Children

（演題番号：#1154）

2. ポスター発表（3件）

XLH を対象とした小児第2相試験の患者報告アウトカムに関する追加データ、腫瘍性骨軟化症²（TIO）を対象とした第2相臨床試験、および5歳未満のXLH患者を対象とした第2相試験の3件のポスター発表を行います。

< 演題名（小児 XLH 患者報告アウトカム） >

Effects of Burosumab (KRN23), a Fully Human Anti-FGF23 Monoclonal Antibody, on Functional Outcomes in Children with X-linked Hypophosphatemia (XLH): Final Results from a Randomized, 64-week, Open-label Phase 2 Study

（演題番号：#FR0331）

< 演題名（TIO 第2相試験） >

Effects of Burosumab (KRN23), a Human Monoclonal Antibody to FGF23, in Patients with Tumor-Induced Osteomalacia (TIO) or Epidermal Nevus Syndrome (ENS)

（演題番号：#SU0325）

< 演題名（5歳未満小児第2相試験） >

The Effects of Burosumab (KRN23), a Fully Human Anti-FGF23 Monoclonal Antibody, on Phosphate Metabolism and Rickets in 1 to 4-Year-Old Children with X-linked Hypophosphatemia (XLH)

（演題番号：#MO0695）

協和発酵キリングroup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、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。

3 腫瘍性骨軟化症 (TIO)

TIO 及びその皮膚病変の変異型表皮母斑症候群 (ENS) に伴う骨軟化症は FGF23 を過剰分泌する一般的には良性の腫瘍や皮膚病変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。これらの症状は原因となる腫瘍や病変を切除すれば急速に改善しますが、摘出が不可能な場合や摘出しても再発する場合があります。切除不能な腫瘍や病変の場合、現在はリン酸製剤やビタミン D 製剤による治療が行われていますが、この治療法は疾患そのものに作用するものではなく、また腎臓の石灰化や高カルシウム血症を引き起こすリスク踏まえて行う必要があるため、治療効果は限定的です。米国では TIO の患者さんは 500 から 1,000 程度存在し、その内の半数は切除不能と推定されています。