

2017年8月24日

burosumab の米国での承認申請に関するお知らせ

協和発酵キリン株式会社(本社:東京、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 23¹(Fibroblast Growth Factor 23、以下「FGF23」)完全ヒト抗体 burosumab について、共同開発先の Ultragenyx Pharmaceutical Inc.²(米国カリフォルニア州ノバト、CEO:エミール・D・カクス、以下「ウルトラジェニクス」)が、X染色体遺伝性低リン血症³(XLH)を適応症として、米国食品医薬品局(FDA)に生物製剤承認申請(Biologics License Application: BLA)を行っ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は今後本申請を評価し、申請から60日以内に申請受理可否を決定の上、審査終了目標日(PDUFA action date)を指定します。

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 Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

ウルトラジェニクスは、2010年に設立されたバイオ医薬品企業で、重篤な遺伝病に焦点を当て、希少疾病や超希少疾病の治療薬となりうる新規製品の臨床開発と製品化を行っています。同社は、承認された治療法がなく、治療メカニズムが明らかで、かつ医療ニーズが高い疾病に対する医薬品開発について、これまで多様なポートフォリオを急速に構築してきました。

同社の経営陣は、希少疾患治療薬の開発と製品化に関する経験を有しています。同社の戦略は、緊急性の高い患者に安全かつ効果的な治療法を提供することを目標に、時間と費用両面の効率に基づいたものとなっています。

詳細な情報はこちらのHPをご参照ください。<http://www.ultragenyx.com/>

3 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。