

2018年2月23日

Crysvita® (プロスマブ) が小児 X 染色体遺伝性低リン血症を適応症 とした条件付き販売承認を欧州で取得

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の内容を、当社が日本語に翻訳、再構成し、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、代表取締役社長：花井 陳雄、以下「協和発酵キリン」）および当社の欧州子会社である Kyowa Kirin International PLC（本社：英国ガラシールズ、代表取締役社長：トム・ストラットフォード、以下「協和キリンインターナショナル」）と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・カクス、以下「ウルトラジェニクス」）は、Crysvita（一般名：プロスマブ、開発番号：KRN23）が、X 線画像診断で骨疾患所見を有し、成長期にある 1 歳以上の小児および青少年における X 染色体遺伝性低リン血症（XLH）の治療薬として、欧州委員会（European Commission）から条件付き医薬品販売承認を取得したことをお知らせします。

XLH は、小児および成人が罹患する希少な慢性の進行性骨格筋障害です。今回の欧州委員会の販売承認により、抗 FGF23 完全ヒトモノクローナル抗体である Crysvita は本疾患の原因である過剰に分泌した FGF23 に直接作用する世界で初めての治療薬となります。また、Crysvita は、内分泌治療領域における治療を大幅に改善し、公衆衛生に対して顕著に貢献できることが、欧州医薬品庁（EMA）に認められました。

今回の欧州における販売承認は、医薬品評価委員会（CHMP）が 2017 年 12 月 15 日に公表した、X 線画像診断で骨疾患所見を有し、成長期にある 1 歳以上の小児および青少年における X 染色体遺伝性低リン血症（XLH）治療に対する条件付き医薬品販売承認を勧告する肯定的な見解を受けたものです。CHMP による承認勧告は、小児 XLH に対する臨床試験データに基づいて行われています。

本販売承認により、EU 加盟 28 か国ならびにノルウェー、アイスランド、リヒテンシュタインにおいて、本剤の販売が認められます。Crysvita の欧州における最初の販売国は 2018 年第 2 四半期のドイツを予定しており、その後他の欧州諸国が続く予定です。なお、今回の条件付き医薬品販売承認においては、現在進行中の小児 XLH を対象とした Crysvita の臨床試験を完遂させることが必要とされます。

協和発酵キリンとウルトラジェニクス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協和キリンインターナショナルの 3 社は、共同でプロスマブのグローバルな開発および販売に取り組んでいます。

X 染色体遺伝性低リン血症 (XLH) について

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。XLH は幼児から発症し、成人までその影響がみられます。

小児の XLH 患者さんでは、骨疾患を引き起こし、下肢の変形や低身長が多くみられます。

Crysvita (一般名：プロスマブ、開発番号：KRN23) について

Crysvita は協和発酵キリンにより発見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。Crysvita 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、ウルトラジェニクスと協和発酵キリンにより開発が行われています。XLH および TIO のリン排出は FGF23 の過剰な作用により引き起こされています。Crysvita は、XLH および TIO の患者さんの 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。成人および小児の XLH の患者さんに対する Crysvita の臨床試験は現在も行われています。また Crysvita は、FGF23 を過剰に産生する腫瘍に起因する疾患である、重症の骨軟化症や骨折、骨痛、筋肉痛、さらに筋肉の衰弱を引き起こす、TIO を対象疾患として、現在開発されています。

米国では、FDA が現在、Crysvita の小児・成人 XLH を対象とした生物製剤承認申請 (BLA) の審議を行っているところで、審査終了目標日 (the Prescription Drug User Fee Act action date) は 2018 年 4 月 17 日となっています。