

News release

2022年6月27日

CRYSVITA[®]の腫瘍性骨軟化症（TIO）への適応拡大について 欧州医薬品評価委員会（CHMP）から肯定的な見解を取得

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。 [協和キリン 英語リリース](#)

協和キリン株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長：宮本 昌志、以下「協和キリン」）は、欧州医薬品庁（EMA）の医薬品評価委員会（CHMP）より、1～17歳の小児および青年ならびに成人における治癒切除不能なリン酸塩尿性間葉系腫瘍（phosphaturic mesenchymal tumours：PMTs）に伴う腫瘍性骨軟化症（TIO）における FGF23 関連低リン血症の治療薬として、CRYSVITA[®]（一般名：burosumab、以下「本剤」）が承認勧告を受けましたのでお知らせします。

TIO は腫瘍に起因する骨軟化症として知られており、小さくて増殖の遅い、良性の PMTs によって引き起こされる後天性疾患です。平均発症年齢は 40～45 歳で、学術文献での報告症例数は 1000 例未満と非常に希少な疾患です。TIO は、進行性の筋骨格系障害を伴い、日常生活における活動性や身体的・社会的な QOL に著しく影響を及ぼすとされています。

現在、欧州における TIO の唯一の治療法は、原因となる腫瘍を外科的に完全に切除することです。しかしながら、腫瘍の位置や検出の難しさから、外科的切除が常に可能とは限りません。また、TIO は外科的切除後も再発・継続する症例が存在します。

本剤が欧州委員会により承認されれば、FGF23 の作用を阻害することでリンの恒常性を回復させるという、TIO 治療における初のバイオ医薬品となります。

ドイツ・ハンブルク大学医療センター Department of Osteology and Biomechanics の Ralf Oheim 教授は以下のように述べています。「TIO のような希少疾患と診断された場合、有効な治療法がないことも含め、患者さんにとって多くの困難が伴います。TIO 患者さんのアンメットニーズは明確であり、この CHMP の肯定的な見解は、TIO 患者さんと患者さんを支える医療従事者にとって重要な一歩となります。」

協和キリンの子会社で EMEA 地域を統括している Kyowa Kirin International 社長の Abdul Mullick は以下のように述べています。「欧州において、腫瘍の外科的切除が不可能な TIO 患者さんにとって初のバイオ医薬品を提供できることに一歩近づきました。現在、欧州において成人および小児の X 染色体連鎖性低リン血症（XLH）を適応症として承認されている本剤にとって、今回の CHMP の肯定的な見解は非常に歓迎されるものです。Kyowa Kirin International は、希少

疾患の患者さんが Life-changing な治療法にアクセスできるよう、幅広い活動を行うことを大事にしていますが、その一環として TIO 患者さんの支援を行えることを誇りに思います。」

ヒト型モノクローナル抗体である本剤は、皮下投与後、FGF23 に結合してその活性を阻害することで、リンの恒常性を回復させます。本剤の TIO における有効性と安全性は、2 つの第 2 相臨床試験で実証されています。本剤は、2018 年より欧州連合（EU）全域および英国で XLH への使用が承認されています。現在、XLH 治療においては、X 線画像診断で骨疾患所見を有する 1～17 歳の小児および青年ならびに成人への使用が承認されています。

欧州委員会は今回の CHMP の勧告をふまえ、1 歳から 17 歳までの小児および青年ならびに成人における切除不能な PMTs に伴う TIO における FGF23 関連低リン血症の治療に対する本剤の適応拡大について、今後数ヶ月以内に最終決定を行う予定です。よって今現在は TIO を適応とする本剤の使用について、EU 全域および英国では承認されていません。

協和キリング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。

▼欧州において、この医薬品は追加モニタリングの対象となっております。すべての医薬品の安全性に関する情報は慎重に監視されています。特に販売されて間もない新薬や長期投与に関する情報が少ない薬剤など、臨床的なエビデンスをより積極的に収集する必要がある医薬品に対しては、その報告を強化する取り組みがなされております。

腫瘍性骨軟化症（TIO）について

TIO は、fibroblast growth factor 23（FGF23）を過剰に分泌する腫瘍により生じる慢性的な低リン血症を特徴とし、腸管でのリン酸吸収の低下やビタミン D の活性化の低下などの問題を引き起こします。

最も一般的な症状は、骨の痛み、歩行困難、骨折、身長低下、筋力低下です。これら筋力低下や痛みが身体機能に支障をきたし、介助なしでの起立、歩行、労働が非常に困難となります。また TIO の痛みによって、患者さんは気分を著しく損ない、日常生活を送ることが難しくなります。

TIO の診断はしばしば見落とされたり、遅れたりすることがあり、血清リン酸値の検査を行うことが重要です。TIO の唯一の根本的治療法は、原因となる腫瘍を完全に切除することです。腫瘍を完全に切除できない、もしくは検出できない TIO の症例では、薬物療法を検討する必要があります。TIO 患者さんにとって、体内のリン酸の恒常性を回復させることは、症状を改善するために不可欠です。

CRYSVITA® (burosumab)について

CRYSVITA®は協和キリンにより創製された、FGF23 に対するヒト型 IgG1 モノクローナル抗体です。TIO 患者さんにおいては、腫瘍からの過剰な FGF23 産生によりリン排泄が亢進しており、本剤はこの FGF23 の作用を阻害することで、リンの恒常性を回復させます。

TIO における本剤の有効性と安全性は、2 つの第 2 相臨床試験ですでに実証されています。本剤は、忍容性が高く、許容可能な安全性プロファイルを示しました。欧州委員会が承認した場合、本剤は、1 歳から 17 歳までの小児および青年ならびに成人において、治療切除不能な PMTs に伴う TIO における FGF23 関連低リン血症の治療に適応される予定です。本剤は皮下注射剤であり、成人では 4 週間ごとに、1 歳から 17 歳までの小児および青年では 2 週間ごとに投与されます。現在、本剤は米国や日本を含む、多くの国々で承認されています。

また、本剤は欧州委員会の承認に基づき、希少疾病である XLH の治療薬としてすでに使用されています。

協和キリンとウルトラジェニクス・ファーマシューティカル（米国カリフォルニア州ノバト、CEO：エミール・D・カキス）との間で締結した協業およびライセンス契約に基づき、協和キリンおよびウルトラジェニクスは、共同で本剤のグローバルな開発および販売に取り組んでいます。