

2024年2月7日

日本における骨系統疾患を対象とした infigratinib の 独占的ライセンス契約に関する BridgeBio Pharma との提携に関するお知らせ

本ニュースリリースは、当社と BridgeBio Pharma 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にご留意下さい。[協和キリン 英語リリース](#)

- BridgeBio は協和キリンに、国内における骨系統疾患を対象とした infigratinib の開発および販売に関する独占的ライセンスを付与
- BridgeBio は 100 百万米ドルの契約一時金と、最大 20% 台後半のロイヤルティ、およびマイルストーンに基づいて追加の支払いを受領
- 小児の軟骨無形成症を対象とした第 2 相臨床試験（PROPEL 2）で忍容性を確認、およびベストインクラスとなりうる可能性が示されており、1 日 1 回投与の経口薬という治療選択肢を提供しうる
- 軟骨無形成症を対象とした第 3 相臨床試験（PROPEL 3）について、2023 年 12 月に小児患者に対して投与を開始し、現在グローバルで（日本を除く）試験が進行中
- infigratinib の導入により、協和キリンは骨・ミネラル領域におけるポートフォリオを強化

BridgeBio Pharma（以下「BridgeBio」）と協和キリン株式会社（本社：東京、代表取締役社長：宮本 昌志、以下「協和キリン」）は、本日、BridgeBio 傘下の QED Therapeutics が協和キリンに対し、軟骨無形成症、軟骨低形成症およびその他の骨系統疾患を対象とした infigratinib の日本における開発および販売に関する独占的ライセンスを付与する契約を締結したことをお知らせします。BridgeBio は、100 百万米ドルの契約一時金、最大 20% 台後半のロイヤルティ、およびマイルストーンに基づいた支払いを受領します。infigratinib は FGFR3 を阻害する経口の低分子化合物であり、軟骨無形成症や軟骨低形成症など FGFR3 の機能異常が原因で引き起こされる骨系統疾患を対象として開発されています。

BridgeBio の最高経営責任者で、かつ設立者である Neil Kumar は次のように述べています。「クリースピーターやその他希少疾患治療薬の製品化で成功を収め、life-changing な価値を持つ治療法を提供することで患者さんに笑顔を届けるというミッションを持つ協和キリンと提携できることをうれしく思います。BridgeBio のミッションは、人々が新しい治療法や臨床試験にアクセスできるよう支援することです。この提携により、小児の軟骨無形成症患者、いずれは他の骨系統疾患に対して infigratinib の開発が確実に進むことをうれしく思います。」

BridgeBio 傘下 QED Therapeutics 社の最高経営責任者である Justin To は次のように述べています。「協和キリンとの提携により、infigratinib の日本での開発を大幅に促進し、軟骨無形成症、軟骨低形成症、ひいては骨系統疾患を持つお子さんにあらたな治療選択肢を提供できる可能性が広がります。1 日 1 回経口投与という治療選択肢に対するニーズは高く、今後日本で臨床試験を開始できることを心待ちにしております。」

協和キリンの常務執行役員戦略本部長 藤井泰男は次のように述べています。「BridgeBio とのライセンス契約締結に関して発表できることをうれしく思います。骨・ミネラル領域で開発パイプラインを導入しポートフォリオを強化することは我々にとって重要な取り組みです。これまでの臨床試験結果から、BridgeBio が開発している infigratinib は、軟骨無形成症などの治療薬として可能性を秘めた開発品であると期待しています。日本での開発を着実に進め、軟骨無形成症を含む骨系統疾患の患者さんに Life-changing な価値を届けることを目指します。」

2023 年 12 月、QED は、第 3 相臨床試験（PROPEL 3）における最初の投与を行いました。本試験は、プラセボ対照で 2:1 に無作為化、1 年にわたってグローバル（日本を除く）で行われるピボタル試験であり、骨端線閉鎖を伴わない 3 歳から 18 歳未満の小児軟骨無形成症患者を対象に infigratinib の有効性及び安全性を評価します。第 3 相臨床試験は第 2 相臨床試験（PROPEL 2）の成功に基づくものであり、軟骨無形成症を対象とした第 2 相臨床試験では、年間成長速度のベースラインからの変化量は+3.38 cm/年であり、これまでに公表された臨床試験の中で最も強力な結果でした。日本では、協和キリンが 2024 年中に独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）との議論を開始し、2025 年からの臨床試験開始を目指します。

日本の骨系統疾患患者支援団体である GLORY TO ACHONDROPLASIA の設立者であり代表を務める糸岡栄博氏は以下のように述べています。「軟骨無形成症の子供を持つ父親として、当事者の身体的特徴による心身の健康の問題を痛感しています。GLORY TO ACHONDROPLASIA は、医学や社会の進歩を支えてきた研究者や医師、そしてこの疾患と生きる当事者およびその家族の方々に深く感謝しています。軟骨無形成症の子供たちの将来を思うと、治療法の選択肢を増やし、社会における認知度を向上させることが、私たち支援団体としての非常に重要な責務であると考えています。私たちは、BridgeBio と協和キリンが提携することをうれしく思うと同時に、今後の取り組みに関する連携について期待しております。」

PROPEL 3 に関する情報は Clinical.gov 上の[こちら](#)をご覧ください。また QED は、2024 年前半に軟骨低形成症を対象とした観察試験（ACCEL）を開始する予定です。軟骨低形成症は、軟骨無形成症と同じく FGFR3 の機能獲得変異によって引き起こされる骨系統疾患の一種です。QED はすでに ENDO 2023（アメリカ内分泌学会年会）および ASHG 2022（アメリカ人類遺伝学会年会）において有望な前臨床データを発表しています。

軟骨無形成症について

低身長を示す代表的な疾患である軟骨無形成症は、米国および EU で約 55,000 人、日本でも 6,000 人が罹患しているとされています。軟骨無形成症は、患者さんの健康状態及び生活の質に影響を及ぼし、閉塞性睡眠



時無呼吸、中耳機能障害、後彎症、脊柱管狭窄症などの症状をきたします。一貫して FGFR3 の活性化変異によって引き起こされます。

BridgeBio Pharma について

BridgeBio Pharma は革新的な医薬品の商業化に取り組むバイオ医薬品会社です。遺伝性疾患や、明確な遺伝的素因が関係するがんで苦しむ患者さんを治療するため、革新的な医薬品を発見、創製、試験、提供するために設立されました。BridgeBio の開発パイプラインは、初期研究から臨床試験に進んだものまで多岐にわたります。BridgeBio は 2015 年に設立され、創薬研究および開発の経験が豊富で、なおかつ創意工夫に富んだメンバーで構成されるチームが、遺伝子医学の進歩をできるだけ早く患者さんのために役立てることに全力を尽くしています。詳しくは[ウェブサイト](#)、もしくは [LinkedIn](#) や [X](#) をご確認ください。