

News release

2025 年 11 月 21 日

軟骨無形成症の患者を対象とした KK8398 (infigratinib) の国内第 3 相臨床試験 AOBA 試験開始のお知らせ

協和キリン株式会社（本社：東京、代表取締役社長 COO：アブドゥル・マリック、以下「協和キリン」）は、本日、開発中の FGFR1-3 経口阻害薬 KK8398 (infigratinib) を用いた、軟骨無形成症の患者を対象とした AOBA 試験 (jRCT2031240562) で、11 月 20 日に最初の患者への投与を実施し、試験を正式に開始したことをお知らせします。AOBA 試験は KK8398 (infigratinib) の多施設共同、非盲検、単群での国内第 3 相臨床試験です。

協和キリンの取締役副社長 Chief Medical Officer である山下武美は次のように述べています。「協和キリンは、患者さんに Life-changing な価値をお届けすることを使命としています。このたび、軟骨無形成症を対象とした KK8398 (infigratinib) の国内第 3 相臨床試験『AOBA 試験』を開始いたします。軟骨無形成症は低身長だけでなく、多様な身体的・社会的課題を伴う指定難病であり、その影響は生涯にわたり続きます。本試験を通じ、安全性および有効性の科学的根拠を確立し、本邦の患者さんの生活の質を向上させる新たな治療選択肢をすこしでも早くご提供できるように取り組んでまいります。」

本試験は、日本の患者さんにおける有効性及び安全性を評価します。対象は 3 歳以上 18 歳未満の約 6 例を予定し、52 週間での投与・観察を行います。主要評価項目は年間身長成長速度、副次評価項目は成長および体型のパラメータ、生活の質（QOL）、安全性指標などです。国際試験とのデータ整合を図りつつ、日本国内における新たな治療選択肢の提供を目指します。

協和キリングループは、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関与します。

KK8398 (infigratinib) について

KK8398 (infigratinib) は、FGFR1-3 を選択的に阻害する低分子経口薬です。現在、BridgeBio Pharma 社により軟骨無形成症患者を対象とした国際共同第 3 相臨床試験が実施されています。日本国内においては、骨系統疾患を対象とした開発および販売に関する独占的ライセンスが協和キリン株式会社に付与されています。

軟骨無形成症について

低身長を示す代表的な遺伝性疾患である軟骨無形成症はおおよそ 2 万出生に 1 人の割合で発症し、米国および EU で約 55,000 人、日本でもおおよそ 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、低身長、大後頭孔狭窄、脳室拡大、脊柱管狭窄症、脊椎後弯、閉塞性睡眠時無呼吸、呼吸症状、中耳炎、難聴、歯科不整、四肢合併症、肥満等の様々な合併症をきたします。本症の 97% 以上に FGFR3 の活性化変異が認められ、この活性化変異は現在軟骨無形成症を発症させることが知られている唯一の遺伝子変異です。

協和キリン株式会社について

協和キリンは、Life-changing な価値をもつ新しい医薬品や治療法を創出し、患者さんへ届けることに真摯に取り組んでいます。日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして、70 年以上にわたり医薬品の創出とバイオテクノロジーの革新に貢献してきました。現在、高いアンメットメディカルニーズを解決し得る次世代抗体および遺伝子細胞治療の開発に取り組んでいます。特に骨・ミネラル、血液がん・難治性血液疾患、希少疾患の治療法の研究開発に注力し、また他領域で活用され得る研究成果についてはパートナーシップによる価値最大化を目指します。協和キリンは共通の価値観のもと、持続可能な成長を実現し、人々に笑顔をもたらすために尽力します。

<https://www.kyowakirin.co.jp/index.html>

BridgeBio Pharma について

BridgeBio Pharma（BridgeBio）は革新的な医薬品の商業化に取り組む新しい形のバイオ医薬品会社です。遺伝性疾患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](#)、[X](#)、[Facebook](#)、[Instagram](#) や [YouTube](#) をご確認ください。