

News release

2026年2月16日

BridgeBio による軟骨無形成症を対象とした infigratinib のグローバル 第3相臨床試験「PROPEL 3」の良好なトプラインデータ報告に関するお知らせ

本ニュースリリースは、本日発表した英文プレスリリースの内容を、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。原文（英文）については以下をご参照ください。

https://www.kyowakirin.com/media_center/news_releases/2026/pdf/e20260216_01.pdf

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）の提携パートナーである BridgeBio Pharma（以下「BridgeBio」）が、軟骨無形成症を対象とした infigratinib のグローバルでの第3相臨床試験（PROPEL 3）のトプラインデータを報告したことをお知らせします。PROPEL 3 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ています。

BridgeBio のトプラインデータの報告に関するニュースリリースは[こちら](#)、投資家向けウェビナーの録画映像およびプレゼンテーション資料は[こちら](#)よりご確認ください。

トプラインデータでは、主要評価項目が達成され、高い有効性と優れた忍容性が明らかになりました。この結果は、軟骨無形成症患者に対して、infigratinib が経口治療という新たな治療選択肢となり得ることを示しています。詳細な試験結果については、今後開催される学会において順次発表する予定です。また、BridgeBio は今回の結果を受けて、2026年後半に米国および欧州における承認申請に向けた協議を規制当局と行う予定です。

協和キリンは、2024年2月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 BridgeBio より取得し、2025年11月より 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）を開始しています。本試験では、日本人患者における有効性及び安全性を評価し、国内における新たな経口治療選択肢の確立を目指します。これまでに蓄積されたグローバルでの知見を踏まえつつ、日本の医療環境に即した臨床データの取得を進めていく計画です。

協和キリンは、骨・ミネラル領域を重点領域の一つとして位置づけ、希少疾患を含むアンメットメディカルニーズに継続的に向き合ってきました。軟骨無形成症においても、患者さん一人ひとりやそのご家族、医療従事者の声に耳を傾けながら、科学的根拠に基づいた治療選択肢の提供を目指しています。今後も、臨床試験を通じて得られる知見を大切にし、実臨床に貢献できる価値の創出に、着実かつ誠実に取り組んでいきます。

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貢献します。

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>