

News release

2026 年 6 月 24 日

軟骨無形成症を対象とした経口薬 infigratinib の第 3 相臨床試験 「PROPEL 3」主要データを ICCBH 2026 で発表

— 主要評価項目達成後の新たな知見を報告 —

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/e20260624_01.pdf
BridgeBio 社からのプレスリリースについては、[こちら](#)をご参照ください。

協和キリン株式会社（本社：東京、代表取締役社長 CEO：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）の主要データを、2026 年 6 月 27 日から 30 日までカナダ・モントリオールで開催される International Congress of Children's Bone Health（ICCBH）2026 において Late-Breaking Oral Presentation として発表予定であることをお知らせします。ICCBH は、小児・若年者の骨代謝および骨量に関する研究を扱う国際学会で、同分野に特化した学術集会として国際的に広く認知されており、原則として 2 年に一度開催されています。

PROPEL 3 は、軟骨無形成症の小児を対象に、infigratinib の有効性および安全性を評価するグローバル臨床試験です。これまでに公表されたトップライン結果では、主要評価項目を達成し、経口治療選択肢としての可能性が示唆されています。さらに、PROPEL 3 の発表に加え、BridgeBio により、生活の質（QoL）、早期介入、観察研究に関する知見、ならびに小児患者とその家族向け教育プログラムに関する複数の発表も予定されています。演題は以下の通りです。

Late-Breaking Oral Presentation:

A Randomized Controlled Trial of Oral Infigratinib in Children with Achondroplasia

Presenter: Ravi Savarirayan, M.D., Ph.D. of Murdoch Children's Research Institute, Melbourne, AU, and Global Lead Investigator for PROPEL 3

Date & Time: Sunday, June 28 at 3:45 pm EDT

Oral Presentation:

Health-Related Quality of Life in Children with Achondroplasia: Findings from the Observational PROPEL Study

Presenter: Marie-Eve Robinson, M.D., M. Sc., Shriners Hospital for Children Canada, McGill University, CA

Date & Time: Monday, June 29 at 11:00 am EDT

Posters:

A Phase 2/2b Study of Infigratinib in Children Under 3 Years Old with Achondroplasia: Design of PROPEL Infant and Toddler

Presenter: Julie Hoover-Fong, M.D., Ph.D., Johns Hopkins University, U.S.

Date & Time: Sunday, June 28 at 12:00 pm EDT

The ACCEL Observational Study: Diagnostic Features, Medical History, and Baseline Characteristics of Children with Hypochondroplasia

Presenter: Marie-Eve Robinson, M.D., M. Sc., Shriners Hospital for Children Canada, McGill University, CA

Date & Time: Monday, June 29 at 12:00 pm EDT

MyAchonJourney: An Online Educational Resource for Individuals with Achondroplasia and Their Families, Developed by Advocacy Leaders and Healthcare Providers

Presenter: Kirsten Kiefer, BridgeBio Skeletal Dysplasias, U.S.

Date & Time: Monday, June 29 at 12:00 pm EDT

Qualitative Research to Evaluate the Content Validity and Relevance of Patient-Reported Outcome Measures for Children and Parents of Children with Hypochondroplasia

Presenter: Chandler Crews, The Chandler Project, U.S.

Date & Time: Monday, June 29 at 12:00 pm EDT

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、日本の小児患者における有効性および安全性を評価し、国内の現行治療にはない経口治療という新たな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。日本における軟骨無形成症の患者さんに新たな治療選択肢を提供することを目指し、infigratinib の開発を引き続き推進してまいります。

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、この活性化変異により軟骨細胞の分化、軟骨基質の産生および増殖が抑制され、内軟骨性骨化が障害されることで軟骨無形成症を発症すると考えられています。

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>