

News release

2026 年 6 月 24 日

FGFR1-3 阻害薬 KK8398 (infigratinib) が骨端線閉鎖を伴わない 軟骨無形成症を対象に日本で希少疾病用医薬品指定を取得 —経口薬として治療選択肢の拡充に寄与し得る開発品—

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・マリク、以下「協和キリン」）は、日本の厚生労働省が、KK8398（一般名：infigratinib）を希少疾病用医薬品に指定したことをお知らせします。本指定は、希少疾病に対する医薬品の研究開発を促進することを目的とした制度に基づき、医療上の必要性および開発の可能性が評価されたものです。軟骨無形成症におけるアンメットメディカルニーズの高さとともに、KK8398 の開発意義が公的に認識されたものです。

軟骨無形成症は、低身長を示す代表的な遺伝性疾患であり、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る指定難病です。低身長に加えて、脊柱管狭窄や閉塞性睡眠時無呼吸などの多様な合併症が生涯にわたり継続し、患者さんの健康状態及び生活の質に影響を及ぼすことが知られていることから、幼少期から成長や合併症の状況を適切に把握し、早期の管理および治療につなげていくことが重要と考えられています。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。

KK8398 は、FGFR1-3 を選択的に阻害することで、FGFR3 シグナルの活性化を抑制する低分子の経口薬です。現在、BridgeBio Pharma 社により 3 歳以上 18 歳未満の小児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（PROPEL 3）が実施されており、日本国内においては、第 3 相臨床試験『AOBA 試験』において、日本の小児軟骨無形成症患者さんにおける有効性および安全性を評価中です。

協和キリンの Chief Medical Officer である鳥居義史は次のように述べています。「KK8398 が日本において希少疾病用医薬品に指定されたことを大変意義深く受け止めています。今回の指定は、本疾患に対する医療上の必要性の高さを示すものと認識しています。軟骨無形成症は、患者さんの成長や生活に長期的な影響を及ぼす疾患であり、幼少期における適切な治療が重要です。治療の継続にあたっては、患者さんやご家族の生活に寄り添った治療のあり方も重要であると考えており、KK8398 が経口投与という新たな治療選択肢を提供することで、患者さんの多様なニーズに応えられるものと期待しています。今後も、臨床試験を通じて安全性および有効性に関する科学的根拠を確立し、患者さんとそのご家族に Life-changing な価値をお届けできるよう努めてまいります。」

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。

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>