

News release

2026 年 10 月 7 日

BridgeBio による軟骨無形成症の小児患者を対象とした経口薬 infigratinib の米国 FDA 申請受理および優先審査指定取得のお知らせ -軟骨無形成症に対する新たな経口治療選択肢の実現に向けて-

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/e20261007_01.pdf

協和キリン株式会社（本社：東京都千代田区、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）の提携パートナーとして米国での開発および販売を担う BridgeBio Pharma, Inc.（以下「BridgeBio」）が、軟骨無形成症の小児患者を対象とした経口薬 infigratinib の新薬承認申請（NDA）について、米国食品医薬品局（FDA）による申請受理および優先審査（Priority Review）指定を受けたことを発表しましたのでお知らせします。FDA は審査終了目標日（PDUFA date）を 2027 年 2 月 4 日に設定しています。

今回の申請受理は、BridgeBio が主導する米国における規制当局対応の重要な進展です。加えて、重篤な疾患に対する治療において重要な改善が期待される医薬品に付与される優先審査指定は、経口薬 infigratinib の開発における重要な進展であり、軟骨無形成症の小児に対する新たな治療選択肢の実現に向けた大きな一歩となります。協和キリンは、日本国内の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保有しており、日本では KK8398 として開発を進めています。今回の米国における進展を、KK8398 の開発における重要なマイルストーンの一つと捉え、日本の患者さんに新たな治療選択肢をお届けすることを目指して、引き続き国内開発を推進してまいります。なお、BridgeBio は、FDA 申請に続き、2026 年第 4 四半期に軟骨無形成症を対象とした販売承認申請（MAA）を欧州医薬品庁（EMA）へ提出する予定です。

今回の申請受理は、BridgeBio が実施した軟骨無形成症の小児を対象とするグローバル第 3 相臨床試験「PROPEL 3」の結果に基づいています。本試験では、52 週間の治療後に infigratinib 投与群でプラセボ群と比較して成長速度の有意な改善が認められ、主要評価項目を達成しました。また、重要な副次評価項目についても達成しています。さらに、身体のプロポーションおよび腕長（arm span）の改善も確認されました。加えて、探索的評価項目では、睡眠時無呼吸および中耳関連イベントに関する指標において、プラセボ群と比較して良好な傾向が認められました。これらは探索的な結果であり、その臨床的意義については今後さらなる評価が必要です。また、PROPEL 3 試験において、infigratinib は良好な忍容性を示しました。治験薬に関連する重篤な有害事象は報告されず、治験薬に関連する有害事象による投与中止も認められませんでした。本試験の結果は、医学誌 [The New England Journal of Medicine \(NEJM\)](#) に原著論文として掲載されるとともに、International Congress of Children's Bone Health (ICCBH) 2026 において発表されました。

協和キリン株式会社 Chief Medical Officer の鳥居義史は、次のように述べています。「BridgeBio による米国での申請が FDA に受理され、優先審査の対象となったことは、軟骨無形成症の患者さんとそのご家族に新たな治療選択肢をお届けする可能性に向けた重要なマイルストーンであると考えています。軟骨無形成症は、低身長に加え、さまざまな身体的・医学的課題を生涯にわたって伴う疾患であり、患者さんやご家族が抱える課題や治療に対する期待は一人ひとり異なります。これまで得られている臨床試験結果からは、経口 infigratinib が成長速度に加え、身体のプロポーションや腕長などに影響をもたらす可能性が示されています。米国では規制当局による審査が継続しており、承認が得られるかどうかは現時点では確定していません。一方、協和キリンは、現在日本で実施している第 3 相 AOBA 試験を含め、日本における KK8398 の開発を責任をもって着実に推進してまいります。BridgeBio との協業のもと、日本の患者さんとそのご家族に新たな治療選択肢をお届けできるよう、引き続き取り組んでまいります。」

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、日本人の軟骨無形成症患者を対象に KK8398 (infigratinib) の有効性および安全性を評価する第 3 相臨床試験「AOBA 試験」([jRCT2031240562](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study?term=KK8398&rank=1)) を日本で開始しています。本試験を通じて、日本人患者および日本の医療現場に即した臨床データを取得し、国内における新たな経口治療選択肢の提供を目指します。

協和キリンは、骨・ミネラル領域を重点疾患領域の一つと位置づけ、希少疾患を含むアンメットメディカルニーズへの対応に継続して取り組んでいます。今後も BridgeBio 社との協業のもと、日本における軟骨無形成症患者さんへの新たな経口治療選択肢の提供を目指し、KK8398 の開発を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、FGFR2 および FGFR3 を選択的に阻害する開発中の低分子経口薬です。BridgeBio は、軟骨無形成症の小児患者を対象としたグローバル第 3 相臨床試験 PROPEL 3 を実施しました。日本国内では、協和キリンが骨系統疾患を対象とする infigratinib の開発および販売に関する独占的ライセンスを保有しています。なお、KK8398 は開発中の医薬品であり、日本では承認されていません。

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>