

# News release

2024年9月19日

## 米国骨代謝学会で XLH における研究の進展と治療向上のための取り組みに関して グローバルでの最新の成果を発表

— XLH の臨床現場での知見とブロスマブによる治療の影響について  
口頭で 1 演題、ポスターで 9 演題発表 —

協和キリン株式会社（本社：東京、代表取締役社長：宮本昌志、以下「協和キリン」）は、希少疾患である X 染色体連鎖性低リン血症くる病・骨軟化症（XLH）において患者さんが抱える負担、そして XLH の臨床現場におけるブロスマブ（商品名：クリスピーター®）の使用に関して理解を深める新たな研究結果を、米国骨代謝学会（ASBMR）の年次総会で発表することをお知らせします。本学会は 2024 年 9 月 27 日から 30 日にカナダのオンタリオ州トロントにて開催されます。

口頭発表では、以下の内容で、英国における成人 XLH 患者に対するブロスマブ治療について、臨床現場での知見から得られた患者報告アウトカム（PRO）に関する発表を行います。

演題： Patient reported outcomes (PRO) from a real-world study of burosumab treatment in adults with X-linked hypophosphatemia in the UK

演者： Judith Bubbea, MD, Royal National Orthopaedic Hospital

日時： 9月28日、11時30分（現地時間）

ID： #1022

協和キリンの Health Economics and Outcomes Research のグローバルヘッドである Angela Williams, PhD, は「我々は XLH が人々の生活に与える影響を研究し続けています。特に臨床現場におけるエビデンスを解析することで、適切に XLH を管理するための戦略に対して重要なインサイトが得られます。今回 ASBMR で発表する幅広いデータは、我々が XLH における科学の進展と疾患の理解、そして XLH 患者さんの生活を改善することに継続的に取り組んでいることを示すものです」と述べています。

ポスターでは、以下の内容を発表します。

### 臨床現場におけるブロスマブによる XLH 治療の影響（5 演題）

演題： Effectiveness of burosumab versus conventional therapy in adults with X-linked hypophosphatemia in a real-world setting from the XLH Disease Monitoring Program

演者： Pablo Florenzano, MD, Pontificia Universidad Católica de Chile

日時： Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）  
ID： # SAT-430

演題： Biochemical measurements according to age group in burosumab-treated patients with X-linked hypophosphatemia (XLH) in a real-world setting: an analysis of the XLH Disease Monitoring Program

演者： Leanne M. Ward, MD, Children's Hospital of Eastern Ontario

日時： Welcome Reception/Plenary Poster Session、 9月27日、17時30分—19時30分（現地時間）

Poster Session II、 9月29日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： #Fri-424, #Sun-424

演題： Symptoms experienced by adolescents living with X-linked hypophosphatemia at the end of skeletal growth (EOSG) treated with burosumab—a mixed methods analysis

演者： Vrinda Saraff, MD, Birmingham Women's and Children's Hospital (UK)

日時： Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： #SAT-445

演題： Efficacy and safety of burosumab in adult Chinese patients with X-linked hypophosphatemic rickets/osteomalacia (XLH): an open-label, multi-center, single-cohort, post-marketing phase IV study

演者： Wei Liu, MD, Peking Union Medical College Hospital

日時： Poster Session I、 9月29日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： # SUN-119

演題： Efficacy and safety of burosumab in pediatric Chinese patients with X-linked hypophosphatemic rickets/osteomalacia (XLH): an open-label, multi-center, single-cohort, post-marketing phase IV study

演者： Xiaoping Luo, MD, Tongji Medical College, Huazhong University of Science and Technology

日時： Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： # SAT-121

### **XLH 患者が生活の中で抱える様々な側面における負担（3演題）**

演題： Association between pain medication use and patient-reported outcomes in adults with X-linked hypophosphatemia: an exploratory analysis of a phase 3 study

演者： Angela Williams, PhD, Kyowa Kirin International

日時： Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： # Sat-025

演題： Individuals with hereditary hypophosphatemia are not prone to early death despite significant earlier development of co-morbidities: a retrospective Danish register study

演者： Signe Sparre Beck-Nielsen, MD, PhD, Aarhus University Hospital (Denmark)

日時： Poster Session II、 9月29日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： # Sun-024

演題： X-linked Hypophosphatemia Community Impact Survey: psychosocial health, symptoms, and self-care

演者： Jill Simmons, MD, Vanderbilt University Medical Center

日時： Late Breaking Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： #SAT-LB 543

### **XLHのエビデンスギャップを埋め、臨床現場における意思決定を改善する（1 演題）**

演題： Advancing Patient Evidence in XLH (APEX): rationale and design of real-world XLH global data unification program

演者： Maria Luisa Brandi, MD, PhD, FIRMO Foundation, Florence, Italy and the University Vita-Salute San Raffaele, Milan, Italy

日時： Poster Session I、 9月28日、14時15分—15時45分（現地時間）

ID： #SAT-427

### **注：X染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症**

X染色体連鎖性低リン血症性くる病・骨軟化症は、FGF23関連低リン血症性くる病・骨軟化症※の1種で、生まれつき特定の遺伝子に変異があるために起こる先天性のものを指し、日本では発生頻度は2万人に1人といわれる指定難病※です。FGF23というホルモンの過剰作用によって体内のリンが尿中に過剰に排泄され低リン血症となり、その結果として骨の成長・代謝に障害をきたし、骨の変形や痛みを伴う希少・難治性疾患です。

※「ビタミンD抵抗性くる病/骨軟化症」（指定難病238）および小児慢性特定疾患の「原発性低リン血症性くる病」と「ビタミンD抵抗性骨軟化症」を含む疾患の総称