



2025 年 4 月 8 日

ziftomenib の新薬承認申請の提出に関するお知らせ

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/2025/pdf/e20250408_01.pdf

– NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML に対する治療法として承認申請を提出–

Kura Oncology, Inc（本社：米国サンディエゴ、以下「Kura」）と協和キリン株式会社（本社：東京、以下「協和キリン」）は、2025 年 3 月 31 日に、1 日 1 回経口投与の選択的メニン阻害剤 ziftomenib について、NPM1 変異を有する再発・難治性の成人急性骨髄性白血病（AML）に対する治療薬として新薬承認申請（NDA）を米国食品医薬品局（FDA）に提出したことをお知らせします。

Ziftomenib は、Breakthrough Therapy Designation、Fast Track Designation、そして Orphan Drug Designation を受けています。NDA が適切に提出されており、審査に値するものであるかどうかを判断するために、FDA は 60 日間の期間を設けて申請内容の確認を行います。Kura は、2025 年第 2 四半期に FDA からこの初期評価に関する通知を受け取る予定です。優先審査が認められれば、NDA の受理後 6 か月以内に FDA による審査が完了する予定です。

Kura の社長兼 Chief Executive Officer である Troy Wilson は以下の通り述べています。「NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML には FDA によって承認された分子標的薬が存在せず、患者さんにとって非常に深刻な病気です。今回の NDA 提出により、NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML に対する新たな治療選択肢として ziftomenib をお届けするという目標にさらに一步近づきました。承認審査のプロセスを通じて FDA と緊密に連携し、ziftomenib が NPM1 変異を有する AML 患者さんに貢献できる可能性に大いに期待しています。我々は、Kura のチーム、治験担当医師、治験実施機関のチーム、そして何より治験に参加くださった患者さん、さらに治験を支えてくださった患者さんの家族と介護者に心から感謝します。パートナーである協和キリンからの支援と協力に感謝しており、引き続き協和キリンと協力して ziftomenib のプログラムを進めていきます。」

NPM1 変異を有する AML について

AML は成人において最も頻度の高い急性白血病であり、骨髄が異常な骨髄芽球（白血球）、赤血球、または血小板を作り出すことで発症します。AML には多くの治療法が存在するにもかかわらず、患者さんの予後はいまだ不良であり、高いアンメットニーズが残されています。メニン経路は本疾患の複数の遺伝子変異のドライバーになっていると考えられており、その中でも NPM1 変異は最も頻度が高く、AML の約 30% を占めています。NPM1 変異を有する AML では、1 次治療に対して高い奏効率を示すものの再発率が高く、再発・難治性の症例では 12 ヶ月時点での全生存率はわずか 30% です。さらに、NPM1 は、FLT3、DNMT3A、IDH1/2 などの他の疾患関連遺伝子との共変異を発生することが多く、このような複数変異の発生は予後に大きな影響を与えます。NPM1 変異を有し、なおかつ特定の共変異を有する、および・または再発・難治性の AML は予後不良であり、全生存期間の中央値について 2 次治療では約 7.8 か月、3 次治療では 5.3 か月、4 次治療では 3.5 か月です¹。現在、NPM1 変異を有する AML を対象として FDA が承認している治療法は存在しません。

Ziftomenib について

Ziftomenib は強力かつ選択的な経口メニン阻害薬で、特定の遺伝子変異や再構成を有する AML や消化管間質腫瘍（GIST）に対する治療薬として開発中です。2024 年 4 月、Kura が実施中の臨床試験 KOMET-001 のデータに基づき、ziftomenib は NPM1 変異を有する再発または難治性 AML の治療を対象として FDA より breakthrough therapy designation（BTD）を受けました。Ziftomenib の臨床試験に関する情報は、こちらをご覧ください。

kuraoncology.com/clinical-trials/#ziftomenib

Kura Oncology について

Kura Oncology はがん治療におけるプレジジョン・メディシンの実現に取り組むバイオ医薬品企業です。Kura のパイプラインは、がんのシグナル伝達経路を標的とする低分子医薬品候補で構成されています。Ziftomenib は 1 日 1 回経口投与のメニン阻害薬であり、NPM1 変異を有する再発・難治性 AML の治療を対象として FDA より BTD を受けた最初で唯一の開発品です。2024 年 11 月、Kura は協和キリンと AML およびその他の血液悪性腫瘍の治療のために ziftomenib を開発および商業化するためのグローバルな戦略的提携契約を締結しました。NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象とした ziftomenib の承認申請を目的とした第 2 相試験の登録はすでに完了しており、両社は 2025 年第 2 四半期に新薬承認申請の提出を発表しました。また、Kura と協和キリンは、新規に診断された、および再発・難治性の NPM1 変異 AML および KMT2A 再構成 AML を対象に、ziftomenib を現在の標準治療と併用する一連の臨床試験を実施しています。次世代 farnesyl transferase 阻害薬（FTI）である KO2806 について、単剤療法および標的治療との併用療法として、第 1 相用量漸増試験（FIT-001）を行っています。強力かつ選択的な FTI である Tipifarnib については、PIK3CA 依存性の頭頸部扁平上皮がん患者を対象に alpelisib との併用で第 1/2 相試験（KURRENT-HN）を実施中です。その他の情報については、Kura のウェブサイト

www.kuraoncology.comを確認する、または [X](#) や [LinkedIn](#) をフォローしてください。

協和キリンについて

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>

¹ Issa G, et al. Blood Adv 2023;7(6):933-42.