



2025 年 6 月 3 日

Ziftomenib の単剤療法に関するピボタル試験の良好な結果を 2025 年 ASCO 年次総会で口頭発表

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/e20250603_01.pdf

– NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象とし、承認申請を目的とした第 2 相試験コホートにおいて
CR/CRh の割合が 23%であり、主要評価項目を達成–

–造血幹細胞移植歴、ベネトクラクス治療歴、FLT3 や IDH 遺伝子との共変異の有無といった
予め設定したサブグループにわたって CR/CRh の割合は同等であり、
なおかつ臨床的に意義のある MRD 陰性の反応が認められた–

–前治療歴のある患者集団であったが安全性と忍容性のプロファイルは良好
骨髄抑制は限定的であり、臨床的に問題となる QTc 延長はなく、副作用による投与中止は 3%–

– NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML において、
1 日 1 回経口投与のメニン阻害剤として初めて承認される可能性があり、
審査終了目標日は 2025 年 11 月 30 日–

–Kura は 6 月 2 日午後 7 時 30 分（東部標準時）／午後 4 時 30 分（太平洋標準時）から
投資家向け説明会を開催–

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、本日、1 日 1 回経口投与のメニン阻害剤 ziftomenib の、再発・難治性の NPM1 変異 AML 対象とした承認申請を目的とした KOMET-001 第 2 相試験の良好な結果に関して、米国イリノイ州・シカゴで 5 月 30 日から 6 月 3 日まで開催される 2025 年 ASCO（米国臨床腫瘍学会）年次総会の口頭セッションで発表されたことをお知らせします。

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。「再発・難治性の NPM1 変異を有する AML を対象とした、ziftomenib の承認申請を目的とする KOMET-001 試験における良好なピボタルデータをご報告できることをうれしく思います。NPM1 変異は AML の約 30% の症例で見られる最も一般的な変異ですが、NPM1 変異を有する AML に対して FDA が承認した治療法は存在しません。今回発表したような良好な結果が得られ、PDUFA で定める審査終了目標日が 2025 年 11 月 30 日に設定されたことで、我々と協和キリンは FDA と緊密に連携することで承認審査のプロセスを推し進め、NPM1 変異を有する再発・難治性 AML 患者さんに貢献できるよう万全の態勢を整えていきます。」

Roswell Park Comprehensive Cancer Center の Chief of Leukemia Service かつ Professor of Oncology である Eunice Wang 医師は以下の通り述べています。「NPM1 変異を有する再発・難治性 AML は非常に治療が困難な疾患であり、予後不良で新しい治療法の開発が急がれています。多くの前治療を受けた患者集団において、ziftomenib が有望な試験結果を示したことは、非常に励みになります。特に注目すべきは、前治療歴のある症例において臨床的に意義のある微小残存病変（MRD）陰性の反応が認められた点と、造血幹細胞移植やベネトクラスを含む前治療の種類に関係なく同様の奏効率が認められた点です。NPM1 変異を有する再発・難治性 AML 患者の治療において ziftomenib が使用できるようになることを大いに期待しています。」

KOMET-001 第 2 相試験のプロトコルで定義された有効性評価の解析対象集団は、NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML 患者 92 人でした。年齢の中央値は 69 歳（33～84 歳）でした。患者は多くの前治療を受けており、そのうち 33% が 3 ライン以上の前治療を（前治療ラインの中央値：2）、59% はベネトクラスによる治療を以前に受けていました。

KOMET-001 第 2 相試験において、NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象とした有効性評価可能な患者のうち、完全寛解（CR）および部分的血液学的回復を伴う完全寛解（CRh）の割合は 23%（21/92 例）であり、主要評価項目を達成しました。CR/CRh を達成した 21 例のうち、13 例が CR、8 例が CRh でした。CR/CRh の奏効期間の中央値は 3.7 か月（95%信頼区間：1.9, NE（not estimable））で、データカットオフ時の境界内平均奏効期間は 4.3 か月（95%信頼区間：3.1, 5.6）でした。MRD については CR/CRh を達成した 21 例中 19 例で評価され、63%（12/19 例）が MRD 陰性でした。

造血幹細胞移植歴、ベネトクラス治療歴、FLT3 や IDH 遺伝子との共変異の有無といった予め設定したサブグループに関わらず、CR/CRh の割合は同等でした。CR/CRh 以外の評価に関しては、輸血依存から輸血非依存に移行した割合は 21%（17/82 例、95%信頼区間：13-31）、輸血非依存が継続した割合は 20%（2/10 例、95%信頼区間：3-56）でした。データカットオフ時点で、奏効者（CR、CRh、CRi/CRp、MLFS または PR を達成した患者）における全生存期間（OS）の中央値は 16.4 か月（95%信頼区間、9.6-20.4 か月）であり、非奏効者における OS の中央値は 3.5 か月（95%信頼区間、2.5-4.0 か月）でした。

安全性評価の解析対象集団には、KOMET-001 試験の第 1b 相と第 2 相パートを統合した、NPM1 変異を有する再発・難治性の成人 AML 患者 112 人が含まれます。これらの症例における ziftomenib の安全性プロフ

アイルは以前に報告されたデータと一致していました。治療に関連した有害事象（TRAE）によって、3%の症例で治療を中止しました。10%以上の症例で認められた Grade 3 以上の TRAE は分化症候群（15%）のみであり、プロトコルで指定された対応策により適切に管理可能でした。治療に関連した分化症候群は、Grade 3 が 13%（15/112 例）認められ、Grade 4 もしくは Grade 5 は認められませんでした。医師による評価により、3 例（Grade 2 が 1 例、Grade 3 が 2 例）で QTc 延長が報告されましたが、3 例とも QTc 延長に関連する薬剤を併用しており、2 例は電解質異常、1 例は心房細動の診断歴がありました。

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は以下の通り述べています。「Ziftomenib の有効性だけでなく、一貫した安全性と忍容性のプロファイルに強い自信を持ちました。特に、骨髄抑制の発生率が低いこと、投与中止率が低いこと、臨床的に問題となる QTc 延長が認められていないこと、薬物相互作用の問題がないこと、分化症候群が適切に管理可能であることが確認されており、ziftomenib が再発・難治性の NPM1 変異 AML において良好なベネフィット・リスクのプロファイルを有する可能性を明確に示しています。」

協和キリンの取締役副社長 Chief Medical Officer である山下武美は次のように述べています。「NPM1 変異を有する再発・難治性の AML 患者さんは、治療選択肢が限られ、極めて予後不良であるという問題に直面してまいります。今回 ASCO で発表したデータから、ziftomenib が非常に重要な治療選択肢となる可能性についての確信を強めています。これまでに認められている良好な安全性と忍容性、そして有効性のデータをもとに、できるだけ早くかつ責任を持って患者さんに ziftomenib の単剤療法をお届けできるよう、Kura と協力して取り組んでまいります。」

Kura の投資家向け説明会について

Kura は 2025 年 6 月 2 日月曜日の午後 7 時 30 分（東部標準時）／午後 4 時 30 分（太平洋標準時）から Kura の経営陣と KOMET-001 試験の治験責任医師が登壇する投資家向け説明会を開催します。参加を希望される方は[ライブ配信](#)にアクセスするか、事前に[電話会議](#)に登録してください。また、この説明会は Kura のウェブサイト www.kuraoncology.com の「Investor」用ページからも視聴可能です。ライブ配信終了後、アーカイブ再生が利用可能となります。

Kura Oncology について

Kura Oncology はがん治療におけるプレシジョン・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 Breakthrough Therapy Designation 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（KOMET-001）の登録はすでに完了しており、両社は 2025 年第 1 四半期に再発・難治性 NPM1 変異 AML の

成人患者の治療を対象とした ziftomenib の新薬承認申請を提出したことを発表しました。また、Kura と協和キリンは、新規診断、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。Kura は、進行性 GIST を対象にイマチニブと ziftomenib の併用を評価する第 1 相試験（KOMET-015）を実施しています。次世代 farnesyl transferase 阻害薬（FTI）である KO-2806 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。詳細情報については、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>