

2025 年 6 月 12 日

新規診断 AML を対象とした ziftomenib の併用療法に関して 最新の良好なデータを 2025 年 EHA 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/e20250612_01.pdf

- KOMET-007 試験において、NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する新規診断 AML を対象とした ziftomenib 600 mg と 7+3 療法の併用療法が、深い奏効を伴う有望な結果を示した -
- 奏効評価が可能な患者における CRc の割合は、NPM1 変異 AML で 93% (41/44 例)
KMT2A 再構成 AML で 89% (24/27 例) -
- 奏効した NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する AML において
measurable residual disease (MRD) 陰性 CR の割合は、
それぞれ 71% (24/34 例)、および 88% (14/16 例) -
- NPM1 変異 AML のうち 96% (47/49 例)、
KMT2A 再構成 AML のうち 88% (29/33 例) が生存しており、試験を継続中-
- 併用療法は良好な忍容性を示し、骨髄抑制の増悪は認められていない-
- 第 3 相ランダム化試験 KOMET-017-IC (intensive chemotherapy) および NIC (non-intensive chemotherapy) は 2025 年下期に開始予定-
- Kura は 6 月 18 日午後 4 時 30 分 (東部標準時) / 午後 1 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 回経口投与の選択的メニン阻害剤 ziftomenib の、NPM1 変異もしくは

KMT2A 再構成を有する新規診断 AML（急性骨髄性白血病）を対象とした KOMET-007 第 1a/1b 相試験に関する最新の良好なデータを発表したことをお知らせします。発表内容はシタラビン・ダウノルビシン（7+3 療法）との併用療法に関するデータであり、イタリア・ミラノで 6 月 12 日から 6 月 15 日まで開催される 2025 年 EHA（欧州血液学会）年次総会において口頭発表を行いました。

Duke Cancer Institute の Director of the Leukemia Program である Harry Erba 医師 は以下の通り述べています。「EHA2025 で発表した内容は、AML の 1 次治療における早期介入として、ziftomenib と 7+3 療法の併用療法の可能性を強く裏付けるものであり、患者さんの予後を改善し臨床的に意義のある治療機会をもたらすことが大いに期待されます。特に 7+3 療法コホートにおける高い完全寛解率と高い MRD 陰性率は非常に有望な結果です。この試験の第 1b 相部分への症例登録が引き続き迅速に進んでいることは、この併用療法を積極的に評価することに対する必要性和期待を表しています。」

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は以下の通り述べています。「NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する新規診断 AML を対象とした KOMET-007 試験で得られた有効性、安全性および忍容性に関する最新のデータにより、我々は引き続き非常に勇気づけられました。今回の最新のデータは、1 次治療における ziftomenib の併用療法の可能性を再確認するものであり、かなりの部分の AML 患者さんにとって意義のある治療選択肢を提供できるという自信を深めることができました。Kura と協和キリンは、ピボタル試験となる KOMET-017-IC および NIC 試験の準備に鋭意取り組んでいます。これらの試験では ziftomenib をベースとした併用療法を検証し、承認されれば世界中の AML 患者さんの治療を大きく変革する可能性があります。」

現在実施中の試験では、新規診断 AML における ziftomenib 600 mg の 1 日 1 回投与と 7+3 療法との併用療法に関して、引き続き頑健で良好な結果が示されています。データカットオフ時点において、奏効が評価可能な患者 71 人のうち 92%（65/71 例）が複合完全寛解（CRc）（うち、NPM1 変異患者では 93%、KMT2A 再構成患者では 89%）、80%（57/71 例）が完全寛解（CR）（うち、NPM1 変異患者では 84%、KMT2A 再構成患者では 74%）を達成しました。NPM1 変異 AML において、MRD 陰性の CR（CR-MRD 陰性）は 71%であり、MRD 陰性となるまでの期間の中央値は 4.7 週でした。KMT2A 再構成 AML において、CR-MRD は 88%であり、MRD 陰性となるまでの期間の中央値は 4.4 週でした。好中球数および血小板数の回復期間は、ziftomenib の併用により遅延することはなく、強力化学療法レジメンと同程度でした。

追跡期間の中央値は、NPM1 変異患者で 24.9 週（範囲：4.3-47.1）、KMT2A 再構成患者で 15.7 週（範囲：1.1-40.3）でした。奏効が評価可能な NPM1 変異患者において、CR 期間および全生存期間（OS）の中央値は算出に至っておりません。奏効が評価可能な KMT2A 再構成患者において、CR 期間は 25.6 週（95%信頼区間：8.3-NE）であり、OS の中央値は算出に至っておりません。注目すべきことに、NPM1 変異患者のうち 96%（47/49 例）、KMT2A 再構成患者のうち 88%（29/33 例）が生存しており、試験に継続参加しています。

安全性評価の対象集団には、第 1a/1b 相試験のプールされたパートで、1 日 1 回 ziftomenib を 600 mg 投与された NPM1 変異又は KMT2A 再構成を有する新たに診断された AML 成人患者 82 人が含まれます。Ziftomenib 投与時の安全性プロファイルは、以前に報告されたデータと一致していました。Ziftomenib に関連したグレード 3 以上の有害事象で 10%以上の患者に発生したものは、発熱性好中球減少症（15%）、血小板減少（15%）、貧血（11%）、好中球減少（11%）でした。分化症候群の 1 例（KMT2A 再構成、グレード 3）は、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。治験担当医師により QTc 延長が 2 例（KMT2A 再構成、グレード 3）報告されましたが、いずれの症例においても QT 評価時に、QTc 延長の原因となる可能性が指摘されている他の薬剤（ポサコナゾールおよび／またはピペラシリン／タゾバクタム）を服用していました。用量制限毒性、薬物相互作用、臨床的に意味のある ziftomenib に関連した QTc 延長、および骨髄抑制の増悪については、いずれも認められませんでした。

協和キリンの取締役副社長 Chief Medical Officer (CMO) である山下武美は次のように述べています。「AML においては、承認された治療法が存在するにもかかわらず、最初に完全奏効を達成した患者さんの最大 70%が 3 年以内に再発を起こしてしまうため、いまだに高いアンメットニーズが残っています。EHA2025 で発表したデータは、ziftomenib の良好な安全性、忍容性、および有効性のプロファイルを示しています。我々は将来、ziftomenib が AML 治療において 1 次治療の選択肢となりうることに非常に期待しており、その価値をさらに検証するため、2025 年後半に開始が予定されている第 3 相 KOMET-017 試験を積極的に推進していきます。」

EHA2025 における、NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する新規診断 AML における ziftomenib と 7+3 療法の併用療法に関する口頭発表、および NPM1 変異を有する再発・難治性 AML における ziftomenib の承認申請を目的とする KOMET-001 試験の結果に関するアンコール発表は、Kura のウェブサイトにて資料が公開されます。KOMET-017 試験のプロトコルは 2 つの別々の第 3 相試験から構成されており、NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する新規診断 AML を対象に、標準治療と ziftomenib を併用することのベネフィットとリスクを評価するものであり、[Clinical.gov](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT07007312) において NCT07007312 として登録されています。

Kura の投資家向け説明会について

Kura は 2025 年 6 月 18 日水曜日の午後 4 時 30 分（東部標準時）／午後 1 時 30 分（太平洋標準時）から、Kura の経営陣と、NPM1 変異もしくは KMT2A 再構成を有する新規診断 AML を対象とした KOMET-007 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 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に向けた ziftomenib の開発および商業化に関する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 2 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 の新薬承認申請が FDA により受理され、審査終了目標日が 2025 年 11 月 30 日に設定され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>