

2025年9月26日

Journal of Clinical Oncology に NPM1 変異を有する再発・難治性 AML における ziftomenib の KOMET-001 試験データが掲載

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/e20250926_01.pdf

- ・ KOMET-001 試験において、R/R NPM1-m AML に対する ziftomenib 単剤療法が主要評価項目を達成し、臨床的に有意な効果と深い奏効を示した
- ・ 造血幹細胞移植歴、ベネトクラクス使用歴、治療ライン数、FLT3/IDH 共変異の有無にかかわらず一貫した有効性
- ・ 臨床的に有意な QTc 延長や骨髄抑制が認められない、良好な安全性および忍容性プロファイル
- ・ 米国 FDA による優先審査の審査終了目標日 (PDUFA date) は 2025 年 11 月 30 日

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、米国臨床腫瘍学会（ASCO）発行の Journal of Clinical Oncology に、NPM1 変異を有する再発・難治性急性骨髄性白血病（R/R NPM1-m AML）における ziftomenib の成人患者さんを対象としたピボタル KOMET-001 試験（[NCT04067336](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04067336)）の全結果を報告した論文が掲載されたのでお知らせします。

新たに NPM1-m AML と診断された患者さんは承認された標準治療に対して高い奏効率を示す一方で、再発が多く予後は依然として不良です。現時点で NPM1 を特異的に標的とした承認済みの治療法はありません。Ziftomenib は 1 日 1 回経口投与のメニン阻害薬であり、R/R NPM1-m AML 患者の治療を対象として現在 FDA による優先審査中です。

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、特にベネトクラクスを基盤とする治療や造血幹細胞移植後の治療が困難であり、依然として大きな課題です。本論文は、深い奏効と関連するサブグループ全体での臨床的有効性を示唆する兆候、および全体的に管理可能な忍容性プロファイルを示しており、これまでの治療によって蓄積した毒性によって治療選択肢が制限される後期ラインの AML 患者の治療において重要です。ziftomenib のベネフィット・リスクプロファイルは非常に有望であり、他の治療環境においても同様の結果が得られれば、メニン経路に依存する AML を有する多くの患者の治療変革につながる可能性があります。」

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は以下の通り述べています。「Journal of Clinical Oncology への掲載は NPM1 変異を有する成人の AML 患者の治療における大きな進展です。本試験で示された単剤療法の有効性に加え、臨床的に意味のある QTc 延長が認められないこと、および骨髄抑制と治療中止率が低いことが、ziftomenib の安全性・忍容性プロファイルの特徴です。一般的な支持療法薬を含めて臨床的に意味のある薬物

相互作用は認められず、多剤併用が必要な治療環境下での投与が容易になる可能性があります。私たちは、治験担当医師や臨床試験チーム、協和キリンと密に連携し、初期治療段階や複数の治療薬との併用に関する研究を継続してまいります。」

掲載データの概要

「Ziftomenib in Relapsed or Refractory NPM1-Mutated AML」（参考和訳：NPM1 変異を有する再発・難治性急性骨髄性白血病に対する ziftomenib の臨床試験）と題された本論文には、2024 年 10 月 28 日時点にカットオフした主要データで、成人の R/R NPM1-m AML 患者 92 例の良好なフェーズ 2 データが含まれています。

KOMET-001 フェーズ 2 試験は主要評価項目を達成し、完全寛解（CR）または部分的血液学的回復を伴う完全寛解（CRh）の割合は 22%（95%信頼区間（CI）14～32、 $P=0.0058$ ）で、再発・難治性 NPM1 変異 AML 患者における標準治療の過去データ（ヒストリカルコントロール）である 12%を有意に上回りました。主要解析のデータカットオフ後に CRh 症例が 1 例追加され、累積 CR/CRh 率は 23%（95%CI 15～33）となりました。CR/CRh 達成例の 61%は微小残存病変（MRD）陰性でした。全奏効率（ORR）は 33%（95%CI 23～43）で、全奏効例における奏効期間の中央値は 4.6 か月（95%CI 2.8～7.4）でした。

全生存期間（OS）の中央値は 6.6 か月（95%CI 3.6～8.6）でした。奏効例の OS 中央値は 18.4 か月（95%CI 8.6～算出不能）、非奏効例は 3.5 か月（95%CI 2.7～4.2）でした。奏効例のうち 2 例は同種造血幹細胞移植を受け、その後 ziftomenib による維持療法を再開しました。データカットオフ時点で 9 例（うち移植後 2 例）が ziftomenib 治療を継続中でした。予め設定したサブグループ解析では、前治療ライン数、ベネトクラクス使用歴、FLT3 変異および IDH1/2 変異などの共変異の有無にかかわらず、CR/CRh 率は同程度でした。

ziftomenib は良好な忍容性を示し、安全性プロファイルはこれまでの試験と一貫していました。主な Grade3 以上の治療下発現有害事象は発熱性好中球減少症（26%）、貧血（20%）、血小板減少（20%）でした。分化症候群は 25%に発現（うち 15%が Grade3、Grade4-5 はなし）し、プロトコルに定められた対応で管理可能でした。ziftomenib 関連の有害事象による治療中止は 3%でした。

これらのデータは、R/R NPM1-m AML 患者を対象とした ziftomenib の新薬承認申請の一部として提出されました。FDA の審査終了目標日は 2025 年 11 月 30 日です。現時点で R/R NPM1-m AML 患者に対する FDA 承認を受けている治療法は存在しません。

協和キリンの取締役副社長 Chief Medical Officer である山下武美は以下の通り述べています。「今回の ziftomenib の論文掲載により、医師および患者に重要な科学的背景情報を提供できます。引き続き Kura 社との密なグローバル連携によるエビデンス創出に全力を尽くし、AML 治療領域全体でのメニン阻害のベネフィット・リスクプロファイルの評価を進めてまいります。私たちの共通目標は、ziftomenib を必要な患者に迅速に届けるため、開発を加速させ、必要なエビデンスを生み出すことです。」

「本論文は現在、[Journal of Clinical Oncology](#) のウェブサイトおよび Kura のウェブサイト内の [Scientific Manuscripts](#) セクションでご覧いただけます。」

ziftomenib は現在臨床開発中の医薬品であり、安全性および有効性は規制当局による評価を受けていません。

Kura Oncology について

Kura Oncology はがん治療における精密医療（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。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を開発し、高いニーズを持つ血液悪性腫瘍および固形腫瘍領域に挑戦しています。Kura は急性骨髄性白血病の特定の遺伝子ドライバーを標的としたメニン阻害薬 ziftomenib を開発中であり、固形腫瘍治療における獲得耐性および先天性耐性機序に挑むため、メニン阻害およびファルネシルトランスフェラーゼ阻害の両分野で革新的な研究開発を続けています。

詳細は <https://kuraoncology.com/> をご覧ください。また、[X](#) および [LinkedIn](#) でも情報を発信しています。

協和キリンについて

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>