

2025年12月9日

新規診断および再発・難治性の急性骨髄性白血病（AML）における Ziftomenib（KOMZIFTI™）とベネトクラクスおよびアザシチジンの 併用療法に関するデータを報告

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/e20251209_01.pdf

- 新規に診断された NPM1 変異（NPM1-m）AML において：CRc（複合完全寛解）率 86%（32/37 例）、CR（完全寛解）率 73%（27/37 例）を達成。CRc 達成者のうち 68%（17/25 例）が、中央判定機関による次世代シーケンス（NGS）解析で分子レベルの微小残存病変（MRD）陰性を確認
- データカットオフ時点で、新規診断 NPM1-m 患者における完全寛解期間中央値および全生存期間中央値は未到達
- 再発・難治性（R/R）NPM1-m AML：全奏効率（ORR）65%（31/48 例）、ベネトクラクス未治療群では ORR 83%（19/23 例）
- 再発・難治性（R/R）KMT2A 再構成（KMT2A-r）AML：ORR 41%（13/32 例）、ベネトクラクス未治療群では ORR 70%（7/10 例）
- 三剤併用療法は、新規診断および再発・難治性の両方の患者群で良好な忍容性を示し、ziftomenib の追加投与によりベネトクラクス／アザシチジン単独療法で予測される毒性水準を超える安全性の懸念は認められなかった。
- Ziftomenib の広範な臨床開発プログラムは、NPM1-m、FLT3 変異（FLT3-m）、KMT2A 再構成（KMT2A-r）AML を対象とした多様な初回治療および再発・難治性レジメンで展開中。
- Ziftomenib の初回治療 AML における企業主導治験は、強化療法適応患者および非適応患者の双方を対象に実施中

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、KOMZIFTI（ziftomenib）とベネトクラクスおよびアザシチジン（Ven/Aza）の併用療法について、新たなデータを発表しました。本データは、NPM1 変異（NPM1-m）または KMT2A 再構成（KMT2A-r）を有する急性骨髄性白血病（AML）の治療において、良好な安全性プロファイルと有望な抗白血病活性を示すものです。進行中の KOMET-007 第 1a/1b 相試験では、新規診断で化学療法不適応の AML 患者群、および再発・難治性（R/R）AML 患者群において評価が行われました。今回の新規データは、第 67 回米国血液学会年次総会（ASH 2025）にて、2 演題の口頭発表として報告されています。

Weill Cornell Medicine the William S. Paley 臨床医学教授兼臨床・トランスレーショナル白血病プログラムのディレクターであり、NewYork-Presbyterian/ Weill Cornell Medical Center で血液科・腫瘍科医を務める Gail J. Roboz 医師は以下の通り述べています。「Ziftomenib をベネトクラクスとアザシチジンに追加することで、有望な臨床効果が確認されています。新規診断の NPM1-m AML 患者の 86%が複合完全寛解

(CRc) に到達し、そのうち 68%が分子レベルで深い微小残存病変 (MRD) 陰性を達成しました。ただし、奏効期間中央値および全生存期間中央値は、現時点で未到達です。R/R NPM1-m および KMT2A-r AML では、それぞれ全奏効率 (ORR) が 65%と 41%であり、ベネトクラクス未治療患者ではそれぞれ 83%と 70%に上昇しました。これは、困難な治療環境においても ziftomenib が有用である可能性を示しています。重要なのは、ziftomenib のこの併用療法は全般的に良好な忍容性を示しており、現在進行中の登録試験を通じて、初回治療および再発・難治性治療レジメンへの導入に向けた可能性が示されています。」

KOMZIFTI™ (ziftomenib) は、R/R AML の成人患者のうち、感受性のある NPM1 変異を有し、満足できる代替治療法が存在しない方を対象とした、1 日 1 回経口投与のメニン阻害薬です。本剤は米国食品医薬品局 (FDA) に承認され、米国において販売されています。

新規診断 NPM1-m AML に対する ziftomenib + Ven/Aza 併用療法

進行中の KOMET-007 第 1a/1b 相試験 ([NCT05735184](#)) では、2025 年 9 月 24 日時点のデータカットオフにおいて、新規診断 NPM1-m AML 患者 40 例を対象に評価を実施しました。これらのうち、58% (23/40 例) が ECOG パフォーマンスステータス (PS) 2 であり、37 例が奏効評価可能例でした。

新規診断 NPM1-m AML の本患者群において、持続期間を伴う形態学的複合完全寛解 (CRc) 率 86%、完全寛解 (CR) 率 73%という高い奏効率が認められました。

- CRc 達成例のうち 68%は、中央判定機関による次世代シーケンス (NGS) 解析で微小残存病変 (MRD) 陰性を達成
- 追跡期間中央値 26.1 週 (範囲 : 1.6~54.1 週) 時点で、CR 期間中央値および全生存期間 (OS) 中央値はいずれも未到達
- データカットオフ時点で患者の 68%が生存しており、治療継続中、または長期追跡下にありました
- 化学療法適応外と判定された 5 例が造血幹細胞移植 (HSCT) を受け、そのうち 3 例は移植後に ziftomenib 維持療法へ移行

三剤併用療法は、新規診断 NPM1-m AML 患者において全般的に良好な忍容性を示し、安全性プロファイルは Ven/Aza 単独療法で報告されている安全性プロファイルと同水準でした。Ziftomenib の投与に関連した骨髄抑制の発現率は低く、好中球および血小板の回復期間中央値は、Ven/Aza 単独療法で予測される範囲と一致していました。有害事象としては、グレード 2 の分化症候群および治験担当医評価によるグレード 3 の QTc 延長が、それぞれ 1 例ずつ発生しましたが、いずれも治療中止を要することなく適切に管理されました。

R/R AML に対する ziftomenib + Ven/Aza 併用療法

進行中の KOMET-007 第 1a/1b 相試験 ([NCT05735184](#)) では、2025 年 9 月 24 日時点のデータカットオフにおいて、R/R NPM1-m AML 患者および KMT2A-r AML 患者 83 例を対象に評価を実施しました。これらのうち、58% (48/83 例) がベネトクラクスを含む治療歴を有しており、80 例が奏功評価可能でした。

ベネトクラクス既治療患者を含む R/R NPM1-m AML 症例においても、有望な治療成績が認められました。

- ORR (全奏効率) : 65%、CRc (複合完全寛解) 率 : 48%、CRc 持続期間中央値 : 39.9 週

- ベネトクラクス未治療群では、ORR 83%、CRc 率 70%、一方、ベネトクラクス既治療群では、それぞれ 48%、28%
- 全生存期間（OS）中央値：54.9 週（95%信頼区間：32.0～NE）
- 14 例が造血幹細胞移植（HSCT）を受け、データカットオフ時点でそのうち 5 例が ziftomenib 維持療法へ移行、さらに 5 例が維持療法開始を待機中

R/R KMT2A-r AML 患者においても、有望な治療成績が認められました。

- ORR（全奏効率）：41%、CRc（複合完全寛解）率：28%、CRc 持続期間中央値：12.4 週
- ベネトクラクス未治療群では、ORR 70%、CRc 率 60%
- OS の中央値：21.1 週（95%信頼区間：12.4～64.9）
- 2 例が造血幹細胞移植（HSCT）を受け、全例が移植後に ziftomenib 維持療法へ移行

R/R NPM1-m AML および R/R KMT2A-r AML 双方において、三剤併用療法は全般的に良好な忍容性を示しました。Ziftomenib 投与に関連する骨髄抑制の発生率は低く、好中球および血小板の回復期間は、Ven/Aza 単独療法で予測される範囲と一致していました。また、ziftomenib。Ziftomenib に関連する QTc 延長は報告されませんでした。NPM1-m AML 患者においてグレード 3 の分化症候群が 1 例発生しましたが、プロトコールに規定された対応措置により適切に管理され、その後同患者は ziftomenib による治療を再開しました。

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は以下の通り述べています。「新規診断および再発・難治性の NPM1-m および KMT2A-r AML 患者において、ziftomenib とベネトクラクスおよびアザンチジンの併用療法で一貫した安全性プロファイルと深い寛解、ならびに有望な治療成績が認められていることに、私たちは非常に心強く感じています。これらの説得力あるデータは、ziftomenib が基盤的かつ最高水準のメニン阻害薬として AML 患者治療の柱となり得る可能性に対する私たちの確信をさらに強めるものです。重要なこととして、当社の主要な試験である KOMET-017 では、治験実施施設の開設を継続的に進めています。緻密に設計された試験デザインと、ziftomenib の説得力のあるベネフィット・リスクプロファイルの組み合わせにより、新規診断および再発・難治性患者の登録ペースと質について自信を持っています。」

発表資料について

口頭発表のスライドは、Kura のウェブサイト（www.kuraoncology.com）の「Posters and Presentations」タブ内にある [Ziftomenib](#) セクション、または ASH 2025 オンラインプログラムにて入手・閲覧いただけます。

KOMZIFTI™ (ziftomenib) について

KOMZIFTI™（一般名：ziftomenib）は、感受性のある NPM1 遺伝子変異を有し、満足できる代替治療選択肢がない再発または難治性急性骨髄性白血病（AML）の成人患者を対象として承認された経口メニン阻害薬です。

現在、Ziftomenib は AML の初回治療（フロントライン治療）における開発を進めており、対象は NPM1 変異、KMT2A 転座、FLT3 変異を有する AML 患者です。承認済み治療薬との併用を検討し、疾患のより早期段階において、幅広い患者層に臨床的利益をもたらす可能性があります。

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取り組んでいます。Kura は、再発または難治性の NPM1 遺伝子変異を有する成人急性骨髄性白血病患者を対象とする、FDA 承認済みの 1 日 1 回経口投与メニン阻害薬 KOMZIFTI™（ziftomenib）を開発し、現在米国で商業化しています。さらに、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分野で新たな進展を切り拓き、固形腫瘍治療における獲得耐性・先天性耐性機序への挑戦を続けています。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>