



2026年4月24日

NPM1 変異を有する再発又は難治性の急性骨髄性白血病患者を対象とした ziftomenib の承認申請の根拠となる国内第 2 相臨床試験開始のお知らせ

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/2026/pdf/e20260424_01.pdf

協和キリン株式会社（本社：東京都千代田区、代表取締役社長 CEO：アブドゥル・マリク、以下「協和キリン」）と Kura Oncology, Inc.（本社：米国カリフォルニア州サンディエゴ、CEO:Troy Wilson, Ph.D.、以下「Kura」）は、本日、再発又は難治性（R/R）の NPM1 遺伝子変異陽性（NPM1-m）急性骨髄性白血病（AML）患者を対象とした経口メニン阻害剤 ziftomenib の日本における第 2 相臨床試験（jRCT 番号：jRCT2031250550）において、最初の患者への投与を開始したことを発表しました。AML 患者の約 30%が NPM1-m AML に該当します。本試験の開始は、日本の患者さんに新たな治療選択肢を提供するための重要な一歩となります。協和キリンは、本臨床試験の完了後、日本における承認申請を予定しています。

Ziftomenib は、2025 年 11 月に米国食品医薬品局（FDA）より、十分な代替治療選択肢がない R/R NPM1-m AML の成人患者の治療薬として、KOMZIFTI™ の製品名で承認されました。

協和キリンの Chief Medical Officer である鳥居義史は次のように述べています。「R/R NPM1-m AML の患者さんは、既存の治療選択肢に限界があることが多く、新たな治療の選択肢が切実に求められています。Ziftomenib は、これらの患者さんに新しい治療アプローチを提供できる可能性があります。本試験の開始は、当社の重点疾患領域である『血液がん・難治性血液疾患』における患者さん中心の医薬品開発の取り組みの一環です。本試験を適切に推進し、有効性と安全性を確認することで、日本の患者さんの生活の質を向上させる新たな治療選択肢を少しでも早くご提供できるように取り組んでまいります。」

協和キリンが開始した本試験は、R/R NPM1-m AML の成人患者を対象に、ziftomenib の有効性と安全性を評価する多施設共同、非対照、非盲検の日本における第 2 相臨床試験です。主要評価項目として、本試験では完全寛解（CR）と血液学的部分回復を伴う完全寛解（CRh）から構成される複合完全寛解率を評価します。

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は以下の通り述べています。「日本における ziftomenib の第 2 相臨床試験の開始は、当社のグローバル開発戦略における重要なマイルストーンです。R/R

NPM1-m AMLにおいては、多くの地域や患者集団において治療選択肢が依然として限られており、革新的な治療法への高いニーズが浮き彫りになっています。日本国外における臨床試験において、ziftomenib は 1 日 1 回の経口投与という利便性と相まって、一貫して良好な有効性と安全性プロファイルを示してきました。日本における臨床開発の推進は、この有望な治療法へのグローバルなアクセスを確立するための意義深い一歩です。試験を支援し、必要としている患者さんに新たな希望をお届けするため、協和キリンとの緊密な協力関係を楽しみにしています。」

協和キリン株式会社は、アンメットメディカルニーズの高い領域における革新的医薬品の研究開発に取り組んでいます。Ziftomenib は、NPM1 変異、KMT2A 転座、FLT3 変異を有する AML の一次治療において、標準治療および分子標的治療との併用療法として開発が進められており、疾患経過の早期段階において幅広い患者さんに恩恵をもたらす可能性があります。

略語

NPM1; *Nucleophosmin 1*(ヌクレオフォスミン 1), *KMT2A*; *Lysine Methyltransferase 2A*(リジンメチルトランスフェラーゼ 2A), *FLT3*; *Fms-Like Tyrosine Kinase 3*(FMS 様チロシンキナーゼ 3)

協和キリンと Kura Oncology の戦略的提携について

協和キリンと Kura Oncology は、世界中の患者さんに新たな治療選択肢を提供するため、緊密に協力しています。2024 年 11 月、両社は ziftomenib を含むメニン阻害剤に関するグローバルライセンス契約を締結しました。本契約に基づき、協和キリンは米国以外において開発・薬事・販売戦略を主導し、販売の責任を負います。米国内においては、主に Kura が開発・薬事・販売戦略を主導し、製造の責任を負います。また両社は、米国における計画に従って販売活動を共同で実施します。詳細は、[過去のニュースリリース](#)をご覧ください。

Kura Oncology について

Kura Oncology はがん治療における精密医療（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。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>