

2026年6月3日

NPM1 変異再発・難治性 AML 患者における ziftomenib の ベネトクラクス／アザシチジン併用療法の試験結果が「Blood」誌に掲載

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/2026/pdf/e20260603_01.pdf

- 推奨用量 600mg 1日1回投与において、ベネトクラクス未治療患者で ORR87%・CRc70%、既治療患者で ORR48%・CRc24%を達成-
- ベネトクラクス未治療の CRc 達成患者の 75%で中央判定 MRD 陰性、CRc 持続期間中央値は 9.2 か月-
- ベネトクラクス未治療患者では追跡期間中央値 10.7 か月時点で全生存期間の中央値未到達-
- 分化症候群および QTc 延長の発現率は低く、忍容性は良好-

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、再発・難治性（R/R）の NPM1 変異急性骨髄性白血病（NPM1-m AML）患者を対象とした KOMET-007 試験（Ziftomenib とベネトクラクス／アザシチジン併用療法を評価する第 1a/1b 相試験）の最新結果が、学術誌「Blood」に掲載されたことをお知らせします。本論文では、成人の R/R NPM1-m AML 患者において、約 3 分の 2 の患者で臨床的に意義のある深く持続的な奏効が得られ、安全性プロファイルも良好であったことが報告されています。

KOMZIFTI™（Ziftomenib）は NPM1 変異を有し、他に有効な治療選択肢のない再発・難治性 AML 成人患者に対する単剤療法として、米国食品医薬品局（FDA）により承認されています。一方で、ベネトクラクス／アザシチジンとの併用療法は現在も開発段階にあり、FDA の承認は取得していません。

Roswell Park Comprehensive Cancer Center の白血病部門長であり、本論文の共同筆頭著者である Eunice S. Wang は次のように述べています。「本解析は、NPM1 変異 AML 患者における ziftomenib とベネトクラクス／アザシチジン併用療法について、より成熟した評価結果を示すものです。再発・難治例においては、NPM1 変異 AML に対するベネトクラクスベースの治療レジメンの治療成績は依然として十分とは言えず、より有効な治療法の必要性が強く示されています。今回の KOMET-007 試験の結果は、この開発中の 3 剤併用療法により観察された奏効の深さおよび持続性の点で注目すべきものです。また、安全性プロファイルが良好であることも、より優れた治療選択肢が強く求められている本領域において、本併用療法の継続的な評価を支持するものです。」

Kura の Chief Medical Officer である Mollie Leoni は次のように述べています。「本領域において併用療法の重要性がますます高まる中、本論文で示されたデータは、NPM1 変異 AML における治療の基盤として ziftomenib を位置付ける根拠を強化するものです。本併用療法は、深い分子学的奏効、持続的な寛解、および全体として管理可能な安全性プロファイルを示しました。これらの知見は、初発患者を含む幅広い治療ラインにおける ziftomenib 併用療法の可能性を検証する現在進行中の取り組みを後押しするものです。」

KOMET-007 試験結果 (R/R NPM1-m AML)

本データには、2026 年 1 月 16 日時点のデータカットオフにおいて、有効性評価が可能であった 64 例が含まれており、このうち 27 例が第 1a 相用量漸増パート、37 例が第 1b 相拡大パートに登録されました。患者は 1～8 ライン（中央値 1 ライン）の前治療歴を有し、37 例（55%）がベネトクラス既治療患者でした。

すべての用量レベルにおいて高い臨床活性が認められ、全体の約 3 分の 2 の患者で臨床的に意義のある深く持続的な奏効が得られました。また、CRc 達成までの期間中央値は 3.9 週間と、迅速な奏効も確認されました。

■ ベネトクラス未治療群 (Ziftomenib 600mg)

- 複合完全寛解 (CRc) 率 : 70% (16/23)
 - このうち 75% (9/12) で中央判定微小残存病変 (MRD) 陰性 ($\leq 0.01\%$) を達成
- 全奏効率 (ORR) : 87% (20/23)
- CRc 持続期間中央値 : 9.2 か月 (95%CI : 5.8–未到達)
- 全生存期間 (OS) 中央値 : 追跡期間中央値 10.7 か月時点で未到達 (N=25)

■ ベネトクラス既治療群 (Ziftomenib 600mg)

- CRc 率 : 24% (6/25)
 - このうち 50% (3/6) で中央判定 MRD 陰性 ($\leq 0.01\%$)
- 全奏効率 (ORR) : 48% (12/25)
- CRc 持続期間中央値 : 8.6 か月 (95%CI : 1.6–未到達)
- 全生存期間中央値 : 7.4 か月 (追跡期間中央値 9.9 か月、N=26)

■ 安全性 (全用量レベル、N=67)

- 本 3 剤併用療法は良好な忍容性を示し、安全性プロファイルはベネトクラス／アザシチジン併用療法で報告されているものと概ね一致
- プロトコルで規定された、menin 阻害に先行してベネトクラス／アザシチジンを段階的に投与するスケジュールにより、分化症候群の発現率は低く (3%、2/67 例)、いずれの症例もプロトコルに基づく対処により回復
- Ziftomenib に関連する QTc 延長は 1 例認められたが、投与中断や用量調整を行うことなく回復
- 好中球および血小板の回復までの期間中央値は、ベネトクラスベースの治療レジメン単独時と同程度であり、併用療法としての実施可能性を支持

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。「再発・難治性の NPM1 変異 AML 患者にとって、新たな治療選択肢へのニーズは依然として大きい状況です。今回の Blood 誌に掲載されている結果は、ziftomenib とベネトクラクス／アザシチジン併用療法に関する理解を深めるものであり、本プログラムを迅速かつ着実に推進し、患者さんに貢献するという Kura Oncology との共通のコミットメントを改めて示すものです。」

進行中の KOMET-007 第 1a/1b 相試験 ([NCT05735184](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05735184)) では、強化化学療法不適応の初発 AML および再発・難治性 AML の複数コホートにおいて、ziftomenib とベネトクラクス／アザシチジン併用療法の評価が行われています。また本試験では、以下の併用療法も評価されています：

- 初発 NPM1 変異または KMT2A 再構成 AML に対する ziftomenib + シタラピン／ダウノルビシン（7 + 3 療法）
 - FLT3-ITD/NPM1 変異共変異を有する初発 AML に対する ziftomenib + キザルチニブ + 7 + 3 療法
- さらに、Kura および協和キリンは、初発 NPM1 変異ならびに KMT2A 再構成 AML を対象としたピボタル第 3 相試験（KOMET-017）を含め、複数の併用療法および治療ラインにおいて ziftomenib の開発を継続しています。

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挑戦しています。Kura は、急性骨髄性白血病（AML）の遺伝的ドライバーを標的とする米国 FDA 承認 Menin 阻害剤 KOMZIFTI™ を開発し、製品化しました。また、ファルネシル基転移酵素阻害（farnesyl transferase inhibition）の分野でも先駆的な技術開発を継続しています。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>

Ziftomenib について

Ziftomenib（米国では KOMZIFTI™ の製品名で販売）は、1 日 1 回経口投与されるメニン阻害剤であり、感受性のある NPM1 遺伝子変異を有し、他に満足できる代替治療選択肢のない再発・難治性急性骨髄性白血病（AML）の成人患者を対象として、米国食品医薬品局（FDA）より承認を受けています。Ziftomenib は現在、AML の治療全体を通じた幅広い開発が進められており、新規診断および再発・難治性の NPM1 変異 AML、KMT2A 再構成 AML、FLT3 変異を併せ持つ AML を対象とした併用療法を含む複数の臨床試験で評価されています。また、ziftomenib は進行性消化管間質腫瘍を含む、他の腫瘍学的適応症についても現在検討が進められています。