

News release

2026 年 8 月 25 日

メニン阻害薬 ziftomenib が NPM1 遺伝子変異又は KMT2A 遺伝子再構成を有する急性骨髄性白血病を対象に日本で希少疾病用医薬品指定を取得 — 高いアンメットメディカルニーズを有する AML 患者さんへの新たな治療アプローチとして開発中 —

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・マリック、以下「協和キリン」）は、日本の厚生労働省が、メニン阻害薬 ziftomenib を希少疾病用医薬品に指定したことをお知らせします。本指定は、希少疾病に対する医薬品の研究開発を促進することを目的とした制度に基づき、対象疾患における医療上の必要性および開発の可能性が評価されたものです。今回の指定は、NPM1 遺伝子変異（以下、NPM1 変異）又は KMT2A 遺伝子再構成（以下、KMT2A 再構成）を有する AML における高いアンメットメディカルニーズに対し、本剤の開発意義が評価されたものと考えています。

AML は、骨髄において異常な白血病細胞が増殖する重篤な血液がんです。NPM1 変異および KMT2A 再構成は、AML に認められる代表的な遺伝子異常であり、AML の病態形成に重要な役割を果たすことが知られています。これらの遺伝子異常を有する AML では、依然として高いアンメットメディカルニーズが存在しており、新たな治療アプローチの開発が求められています。

Ziftomenib は、米国のバイオ医薬品企業である Kura Oncology 社が開発を進めてきた、メニンと KMT2A との相互作用を選択的に阻害する経口低分子薬です。現在、NPM1 変異 AML および KMT2A 再構成 AML を対象としてグローバルに開発が進められています。協和キリンは、日本において本剤の開発を進めており、今後も患者さんへの新たな治療機会の提供を目指して取り組んでまいります。

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。「Ziftomenib が日本において希少疾病用医薬品に指定されたことを大変意義深く受け止めています。NPM1 変異又は KMT2A 再構成を有する AML は、依然として再発や治療抵抗性が課題となっており、患者さんにとって新たな治療選択肢が強く求められています。Ziftomenib は、これらの AML の発症や進展に関わる分子メカニズムに着目したメニン阻害という新たなアプローチで開発を進めている薬剤です。私たちは、本剤が将来的に患者さんの治療選択肢の拡充に貢献できることを期待しています。今回の指定は、本疾患に対する医療上の必要性を踏まえたものであり、日本における本剤の開発を後押しするものと受け止めています。血液がん・難治性血液疾患は、協和キリンが重点疾患領域の一つとして取り組む領域です。当社は今後も、患者さんとそのご家族に Life-changing な価値をお届けすることを目指し、日本における開発を着実に進めてまいります。」

協和キリングループは、ライフサイエンスとテクノロジーの進歩を追求し、新しい価値の創造により、世界の人々の健康と豊かさ に貢献します。

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。

協和キリン株式会社について

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>