

# 開発パイプライン一覧

低分子化合物
 抗体
 造血幹細胞遺伝子治療

更新日:2025年3月31日

開発番号 一般名 剤型	作用機序等	対象疾患	開発段階			[自社or導入] 備考
			第I相	第II相	第III相	
KK8123 注射剤	ヒト型抗FGF23抗体	X染色体連鎖性低リン血症				[自社] グローバル開発品として北米, 欧州で試験実施中
KK8398 infigratinib 経口剤	FGFR 3 阻害薬	軟骨無形成症				[QED Therapeutics社] 日本での第III相試験準備中
ziftomenib ※ 経口剤	メニン阻害薬	急性骨髄性白血病 (AML) (単剤)				[Kura Oncology社] 2025年2月にトプラインデータを発表 NPM1 変異を有する再発・難治性の成人AML KOMET-001試験
		急性リンパ性白血病 (ALL) (単剤)				グローバル開発品として北米, 欧州で試験実施中 KMT2A 再構成を有する ALL KOMET-001試験
		急性骨髄性白血病 (AML) (単剤)				グローバル開発品として北米, 欧州で試験実施中 NPM1 変異及びKMT2A 再構成を有さないAML KOMET-001試験
		急性骨髄性白血病 (AML) (併用)				グローバル開発品として北米で試験実施中 NPM1 変異もしくは、KMT2A 再構成を有するAML ベネトクラクス・アザシチジンとの併用及び、シタラピン・ダウナルビシンとの併用 KOMET-007試験
		急性骨髄性白血病 (AML) (併用)				グローバル開発品として北米, 欧州で試験実施中 NPM1 変異もしくは、KMT2A 再構成を有するAML ギルテリチニブ・FLAG-IDA・LDACとの併用 KOMET-008試験
KK2845	抗TIM-3 ADC	急性骨髄性白血病 (AML)				[自社] 抗体薬物複合体 グローバル開発品として日本での第I相試験実施中
OTL-203	造血幹細胞遺伝子治療	Δα多糖症I型 (Hurler症候群)				[自社] 希少小児疾患(RPD)および優先審査(Fast Track)指定 (アメリカ食品医薬品局(FDA)) 優先医薬品(PRIME)指定(欧州医薬品庁(EMA)) 試験実施地域:北米, 欧州
OTL-201	造血幹細胞遺伝子治療	Δα多糖症IIIA型 (Sanfilippo症候群A型)	第I/ 第II相			[自社] 希少小児疾患(RPD)指定(アメリカ食品医薬品局(FDA)) ヒポタル試験(第III相試験相当)準備中
KHK4083/AMG 451 rocatinlimab 注射剤	抗OX40抗体	中等症から重症のアトピー性皮膚炎				[自社] ポテリジェント抗体 ヒトモノクローナル抗体作製技術を使用 Amgen社と共同開発契約を締結(日本以外のテリトリー) グローバル開発品として日本, 北米, 欧州, 英国, 中東, アジア, オセアニア, その他地域で試験実施中
		結節性痒疹				グローバル開発品として日本, 北米, 欧州, アジア, オセアニアで試験実施中
		中等症から重症の喘息				グローバル開発品として日本, 北米, 欧州, アジア, オセアニアで試験実施中

※ ziftomenibの開発状況詳細については、Kura Oncology社のホームページをご参照ください。 <https://kuraoncology.com/>

開発番号 一般名 剤型		作用機序等	対象疾患	開発段階			[自社or導入] 備考
				第I相	第II相	第III相	
	KKH4951 tivozanib 点眼剤	VEGF受容体阻害剤	糖尿病黄斑浮腫				[自社] グローバル開発品として日本、北米、アジア、オセアニアで試験実施中
			滲出型加齢黄斑変性				グローバル開発品として日本、北米、アジア、オセアニアで試験実施中
	KK2260 注射剤	EGFR-TfR1バイスベシフィック抗体	進行性又は転移性固形がん				[自社] REGULGENT技術を使用 完全ヒト抗体作製技術を使用 グローバル開発品として日本で試験実施中、及び北米での第I相試験準備中
	KK2269 注射剤	EpCAM-CD40バイスベシフィック抗体	進行性又は転移性固形がん				[自社] REGULGENT技術を使用 完全ヒト抗体作製技術を使用 グローバル開発品として日本、北米で試験実施中
	KK4277 注射剤	ヒトヒ抗PTPRS抗体	全身性エリテマトーデス/皮膚エリテマトーデス				[SBIバイオテック(株)] ポテリジェント抗体 日本、アジアで試験実施中
	KK3910 注射剤		本態性高血圧				[自社] グローバル開発品として第I相試験準備中

(注) KK3910は、2025年4月に第I相試験を開始しました。

## 主な申請承認情報

更新日 2025年3月31日

開発番号, 一般名, 製品名	対象疾患	申請状況	2025年に承認取得した国・地域
ziftomenib	NPM1 変異を有する再発・難治性の成人急性骨髄性白血病 (AML)	米国申請中	-
KHK4827(一般名: プロダルマブ, 日本製品名: ルミセフ)	掌跖膿疱症	台湾申請中	-
AMG531(一般名: ロミプロスチム, 日本製品名: ロミブレート)	再生不良性貧血	台湾申請中	-