

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



2024年12月31日からの進捗



2025年6月30日からの進捗

更新日:2025年9月30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	FGFR3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	メキン阻害薬	急性骨髄性白血病（AML） （単剤）				[Kura Oncology社] 2025年6月に詳細データをASCOにて発表、 同年9月にJCOに掲載 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
			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、シタラビン・ダウノルビシンとの併用 KOMET-007試験
							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及び、LDACとの併用 KOMET-008試験
							グローバル開発品として試験実施中 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、シタラビン・ダウノルビシンとの併用 KOMET-017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	ムコ多糖症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	ムコ多糖症ⅢA型（Sanfilippo症候群A型）				[自社] 希少小児疾患(RPD)指定(アメリカ食品医薬品局(FDA))
	KHK4083/AMG 451 ロカチンリマブ 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] ボテジエント抗体 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バイスペシフィック抗体	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バイスペシフィック抗体	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	ヒト化抗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)] ボテリジェント抗体 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日本で第Ⅰ相試験実施中

- ※ 2025年10月2日にziftomenibのNPM1 及び FLT3 変異を有する新規診断 AML 患者を対象とした臨床試験（KOMET-007）の開始を発表しました。
- ※ 2025年10月にOTL-200 が日本で早期発症型 MLD に対する希少疾病用再生医療等製品指定を取得しました。

主な申請承認情報

更新日 2025年9月30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）	米国審査中	—
KHK4827(一般名：プロダルマブ, 日本製品名：ルミセフ)	掌蹠膿疱症	—	台湾

AMG531は再生不良性貧血を予定適応症とする台湾での承認申請を取り下げたため、該当する申請情報を本表から削除しました。