

# 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:2026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	FGFR3阻害薬	軟骨無形成症				[QED Therapeutics社] 日本で試験実施中
			軟骨低形成症				日本での第III相試験準備中
	ziftomenib ※ 経口剤	メキン阻害薬	急性リンパ性白血病 (ALL) (単剤)				[Kura Oncology社] 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
							NPM1 変異を有する再発・難治性の成人AML 日本での第II相試験準備中
			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・ダウノルビシンの併用 KOMET-007試験
							グローバル開発品として北米で試験実施中 NPM1及びFLT3変異を有するAML シタラピン・ダウノルビシン、キザルチニブとの併用 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、シタラピン・ダウノルビシンの併用 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

※ ziftomenib (米国製品名: KOMZIFTI) 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	
	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III A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))
	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)] 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日本で第I相試験実施中
	OTL-200 atidarsagene autotemcel	造血幹細胞遺伝子治療	早期発症型異染性白質ジストロフィー (MLD)				[自社] 日本で希少疾病用再生医療等製品指定取得 日本での第III相臨床試験準備中 米国製品名: Lenmeldy 欧州製品名: Libmeldy
	KK2223		皮膚T細胞リンパ腫 末梢性T細胞リンパ腫				[自社] 第I相臨床試験準備中

注) KHK4083/AMG 451 (ロカチンリマブ) は中等症から重症のアトピー性皮膚炎, 結節性痒疹及び中等症から重症の喘息の臨床試験を中止したため, 該当する開発情報を本表から削除しました。

注) 2026年4月24日に, ziftomenibのNPM1変異を有する再発・難治性のAMLを対象とした日本での第II相試験において, 最初の患者への投与を開始したことを発表しました。

### 主な申請承認情報

更新日 2026年3月31日

開発番号, 一般名, 製品名	対象疾患	申請状況	2026年に承認取得した国・地域
OTL-200 (atidarsagene autotemcel, 米国製品名: Lenmeldy 欧州製品名: Libmeldy)	早期発症型異染性白質ジストロフィー (MLD)	日本申請済	-