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　✓ 2026年6月30日からの進捗

更新日:2026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 第Ⅰ相 / 第Ⅱ相 / 第Ⅲ相	[自社or導入] 備考
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 日本で希少疾病用医薬品指定取得
		軟骨低形成症		日本での第III相試験準備中 日本で希少疾病用医薬品指定取得
ziftomenib ※ 経口剤	メニン阻害薬	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相試験実施中 日本で希少疾病用医薬品指定取得
		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で試験実施中 NPM1及びFLT3変異を有するAML シタラビン・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、KMT2A 再構成もしくは、FLT3変異を有する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（NPM1変異のみ）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) 及びその他造血器腫瘍		[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)、優先審査(Fast Track)及び再生医療先進治療(RMAT)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）	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)) 希少疾病用医薬品指定(アメリカ食品医薬品局(FDA)、欧州医薬品庁(EMA)) イノベーション・パスポート指定(英国医薬品・医療製品規制庁(MHRA))
KHK4951 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
		新生血管型加齢黄斑変性		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

※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　✓ 2026年6月30日からの進捗

更新日:2026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 第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相	[自社or導入] 備考
	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)] ポテリジェント抗体 日本、アジアで臨床試験完了
	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] 抗体薬物複合体 北米で第Ⅰ相臨床試験実施中 欧州で第Ⅰ相臨床試験準備中
	KK8005		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日本で第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験実施中
	KK4408		自己免疫疾患				[自社] REGULGENT技術を使用 第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験準備中

（注）　2026年9月30日からの進捗は、以下のとおりです。
2026年10月6日に、KK4408の自己免疫疾患を対象とした日本での第Ⅰ/Ⅱ相試験において、最初の患者への投与を開始しました。

主な申請承認情報

更新日　2026年9月30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	–