



2024年11月21日

グローバルにおける急性白血病を対象とした ziftomenib の 開発と販売に関する Kura Oncology との戦略的提携に関するお知らせ

本ニュースリリースは、当社と Kura Oncology が発表した英文プレスリリースの内容を、当社が日本語に翻訳、再構成し、発表しています。本ニュースリリースの正式言語は英語であり、その内容・解釈については英語が優先しますことにご留意下さい。[協和キリン 英語リリース](#)

- Kura は 330 百万米ドルの契約一時金と、最大 1,161 百万米ドルのマイルストーン支払いを受領
これらには近い将来受領する 420 百万米ドルのマイルストーン、および固形がんに関するオプションを含む -

-共同で ziftomenib の開発と販売を実施、米国では 50 : 50 のプロフィットシェア
Kura は米国内の開発および販売を主導して売上計上、協和キリンは米国外での独占的販売権を保有 -

-急性白血病を対象とした広範な開発プログラムを共同で推進、
1 次治療法、標的療法との併用、および移植後の維持療法を含む -

- Kura は、現在の手元資金に加え、本提携による資金により、
初発患者に対する ziftomenib の併用療法を開発・商業化し、AML のプログラムを進めることが可能 -

Kura Oncology, Inc (本社 : 米国サンディエゴ、以下「Kura」) と協和キリン株式会社 (本社 : 東京、以下「協和キリン」) は、本日、急性骨髄性白血病 (AML) およびその他の血液腫瘍の治療薬として Kura が開発中の選択的経口メチン阻害剤 ziftomenib の開発と販売について、両社がグローバルな戦略的提携に関する契約を締結したことをお知らせします。

本契約に基づき、Kura は契約一時金として 330 百万米ドルを受領するほか、マイルストーン収入として近い将来最大 420 百万米ドルを受領する権利を有します。これには、再発・難治性 AML の単剤療法における上市時の支払いが含まれています。さらに Kura は固形がんに関するオプション権を含め、追加で 741 百万米ドル、合計で最大 1,161 百万米ドルの開発、薬事および販売マイルストーンを受け取る可能性があります。

米国では、主に Kura が開発・薬事・販売戦略を主導し、製造の責任を負います。また両社は、米国における計画に従って販売活動を共同で実施し、利益と損失を等しく分配します。

米国以外では、協和キリンが開発・薬事・販売戦略を主導し、販売の責任を負います。Kura は、製品の純売上高に対して段階的な 2 桁台のロイヤルティを受け取る権利を有します。

協和キリンは日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして、病気と向き合う人々に笑顔をもたらす Life-changing な価値の継続的な創出を実現します。協和キリンは、血液がん領域での経験と強みを活かし、そしてパートナーシップへの深いコミットメントにより、グローバルで ziftomenib を販売することを目指します。

協和キリンの常務執行役員 Chief Strategy Officer (CSO) である藤井泰男は次のように述べています。「Ziftomenib は、特定の遺伝子変異や再構成を有する AML 患者さんにとって非常に有望な開発品であると確信しています。Ziftomenib の導入により、協和キリンの既存の血液がん領域の製品ポートフォリオとパイプラインが補完され、血液がん患者さんの治療成績を改善する併用療法の開発がさらに広がります。Kura のチームと緊密に連携し、世界中の患者さんや医療従事者のみなさまに新たな治療選択肢を提供することを目指します。」

Ziftomenib は、予後不良と関連する NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象に、米国食品医薬品局 (FDA) から breakthrough therapy designation (BTD) を受けた最初で唯一の開発品です。NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象とした ziftomenib の第 2 相試験の症例登録は完了しており、両社は 2025 年に新薬承認申請 (NDA) を提出する予定です。さらに Kura は、初発および再発・難治性の NPM1 変異および KMT2A 再編成を有する AML を対象に、ziftomenib を現在の標準治療と併用して評価する一連の臨床試験を実施しています。また、強力な化学療法が適応および非適応の初発 AML 患者集団において、1 次治療法としての ziftomenib を評価する第 3 相試験が 2025 年に始まります。

Kura の社長兼 Chief Executive Officer (CEO) である Troy Wilson は以下の通り述べています。「今回の提携は、がん治療におけるプレジジョン・メディシンを実現するという Kura のコミットメントにとって重要な一歩であり、サステナブルなバイオ医薬品会社となるという我々の目標を大きく前進させるものです。協和キリンは、グローバルな製薬会社として高い専門性と規模を有する素晴らしいパートナーです。協和キリンと協働し、AML 患者さんにとって画期的な治療薬となりうる ziftomenib の可能性を実現できることを、Kura のリーダーシップチームと取締役会を統括する立場としてうれしく思います。そして、この提携から得られる契約一時金と想定されるマイルストーン、そして現在のキャッシュポジションを合わせれば、1 次治療における ziftomenib プログラムを開発・販売するのに十分な資金が得られると考えています。」

コラボレーションの詳細

承認取得後、米国においては Kura が売り上げを計上し、かつ販売戦略立案の主導的役割を担います。また両社は販売活動を分担し、販売による利益と損失は折半されます。米国以外では、協和キリンが販売を行い、売

上を計上、販売の実施および資金拠出の責任を負い、Kura は製品の純売上高に対して段階的な 2 桁台のロイヤルティを受け取ることができます。

戦略的提携の一環として、両社で合意した開発計画の中で定められたグローバルでの臨床試験について、実施を分担します。このグローバル臨床試験 については、2028 年末までは Kura が開発費を負担し、2029 年以降は、両社が 50 : 50 の割合で費用を分担します。本契約には、今後数年間にわたって行われる、AML およびその他の血液腫瘍を対象とした複数の第 2 相および第 3 相試験に関する計画が含まれています。本提携に基づく開発および販売活動は、共同で管理された体制で行っていきます。

現在 Kura は、イマチニブで治療効果が得られない進行性消化管間質腫瘍（GIST）を対象に ziftomenib とイマチニブの併用効果を評価する Proof of Concept（PoC）試験を実施中です。本契約に基づき協和キリンは、この臨床試験データを受領後、GIST およびその他の固形がんを適応症とする開発および販売を行うオプションを有します。協和キリンがオプション権を行使した場合、Kura は契約一時金およびマイルストーンとして総額 228 百万米ドルを受け取ることができ、両社の役割と責任は、AML およびその他の血液腫瘍における提携と同じ体制で行います。現在 Kura は特定のがんの適応症および糖尿病やその他の代謝性疾患を対象に複数の次世代メニン阻害剤の開発を行っていますが、これらは本提携からは除外されます。

この取引にあたって、Kura は BofA 証券の助言を受け、Cooley LLP が代理人を務めました。

ziftomenib について

Ziftomenib は選択的経口メニン阻害薬で、特定の遺伝子変異や再構成を有する AML に対する治療薬として開発中です。2024 年 4 月、Kura が実施中の臨床試験 KOMET-001 のデータに基づき、ziftomenib は NPM1 変異を有する再発・難治性 AML の治療を対象として FDA より BTM を受けました。Ziftomenib の臨床試験に関する情報は、こちらでご覧いただけます。

kuraoncology.com/clinical-trials/#ziftomenib

Kura Oncology について

Kura Oncology はがん治療におけるプレジジョン・メディシンの実現に取り組むバイオ医薬品企業です。Kura のパイプラインは、がんの病態に関わるシグナル伝達経路を標的とする低分子医薬品候補で構成されています。Ziftomenib はメニン-KMT2A 蛋白質間相互作用を標的とする 1 日 1 回経口投与の新薬候補であり、NPM1 変異を有する再発・難治性 AML の治療を対象として FDA より BTM を取得しました。Kura は NPM1 変異を有する再発・難治性 AML を対象とした ziftomenib の第 2 相試験（KOMET-001）の登録をすでに完了しております。また、初発および再発・難治性の NPM1 変異および KMT2A 再編成を有する AML を対象に、ziftomenib を現在の標準治療と併用する一連の臨床試験を実施しています。次世代 farnesyl transferase 阻害剤（FTI）である KO-2806 について、単剤療法および標的治療との併用療法として、第 1 相用量漸増試験（FIT-001）を行っています。強力かつ選択的な FTI である Tipifarnib については、PIK3CA 依存性の頭頸部扁平上皮がん患者を対象に alpelisib との併用で第

1/2 相試験（KURRENT-HN）を実施中です。その他の情報については、Kura のウェブサイト www.kuraoncology.com を確認する、または [X](#) や [LinkedIn](#) をフォローしてください。

協和キリンについて

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.com>.