

## 開発パイプライン一覧



低分子化合物



高分子化合物



抗体



造血幹細胞遺伝子治療



2023年12月31日からの進捗



2024年9月30日からの進捗

更新日:2024年12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] グローバル開発品として北米, 欧州で試験実施中 NPM1 変異を有するAML
		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
		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
		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・ダウルビシンの併用
						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
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1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	中等度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
		中等度から重症の喘息				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	
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
		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1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

## 主な申請承認情報

開発番号, 一般名, 製品名	対象疾患	申請状況	2024年に承認取得した国・地域
KRN125(一般名: ベグフィルグラスチム, 日本製品名: ジーラスタ)	自家末梢血幹細胞移植のための造血幹細胞の末梢血中への動員	-	日本
OTL-200(一般名: atidarsagene autotemcel, 欧州製品名: Libmeldy, 米国製品名: Lenmeldy)	異染性白質ジストロフィー	-	米国
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	-
KHK7580(一般名: エボカルセト, 日本製品名: オルケディア)	二次性副甲状腺機能亢進症	-	台湾, 中国
AMG531(一般名: ロミブラスチム, 日本製品名: ロミアレート)	再生不良性貧血	台湾申請中	-
	重症の再生不良性貧血	-	韓国

KHK4827は全身性強皮症を予定適応症とする日本での承認事項一部変更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。