

Press Release

2025 年 10 月 14 日

各 位

住友ファーマ株式会社

日本血液学会 (JSH) 2025 における開発中の抗がん剤 enzomenib (DSP-5336) に関する最新の臨床データ発表のお知らせ

住友ファーマ株式会社 (本社: 大阪市、代表取締役社長: 木村 徹) は、日本血液学会 (JSH: The Japanese Society of Hematology) の 2025 年年次総会 (開催時期: 10 月 10 日～10 月 12 日、開催場所: 神戸市) において、開発中の抗がん剤であり、再発または難治性の急性白血病を対象としたメニン-KMT2A タンパク質結合阻害剤 enzomenib (一般名、開発コード: DSP-5336) に関する臨床データを発表しましたので、お知らせします。

enzomenib のフェーズ 1/2 試験 (以下、「本試験」) の新たな予備的な臨床データは、米国血液学会 (ASH: American Society of Hematology) の 2024 年年次総会 (開催時期: 2024 年 12 月 7 日～12 月 10 日、開催場所: 米国サンディエゴ) において発表しましたが、JSH2025 では、それらのデータとともに日本人患者のデータを新たに抽出、解析した結果を口頭発表しました。

本試験の安全性解析対象集団 (以下、「全体集団」) は急性白血病患者 84 例で構成され、そのうち 94% (79/84 例) が急性骨髄性白血病患者でした。試験には多様な患者が組み入れられ、白人以外が 47.6% (40/84 例) であり、うち日本人 (以下、「日本人集団」) は 22 例で、その 96% (21/22 例) が急性骨髄性白血病患者でした。

enzomenib は、40mg 1 日 2 回から 300mg 1 日 2 回までの用量を、28 日のサイクルで連続投与されました。全体集団と日本人集団のいずれにおいても、enzomenib の忍容性は良好で、enzomenib と関連のある有害事象の発現率は全体的に低く、用量制限毒性 (DLT) は認められませんでした。分化症候群は全体集団の 10.7%、および日本人集団の 13.6% の患者で報告されましたが、死亡例や enzomenib の投与中止に至るものは認められていません。

また、用量最適化コホートにおける 200mg 1 日 2 回および 300mg 1 日 2 回の投与量における予備的な有効性のデータも発表しました。このデータには、KMT2A 遺伝子の再構成または nucleophosmin 1 (NPM1) 遺伝子の変異を有し、enzomenib を少なくとも 1 回投与され、メニン阻害剤の治療を受けたことのない全例のデータ (全体集団: 40 例、日本人集団: 12 例) が含まれています。全体集団では、ELN-2017 ガイドラインに基づく客観的奏効率 (ORR) は 62.5% (25/40 例)、完全寛解 + 部分的血液学的回復を伴う完全寛解 (CR+CRh) 達成率は 37.5% (15/40 例) でした。日本人集団における ORR は 75.0% (9/12 例)、CR+CRh 達成率は 41.7% (5/12 例) でした。

これらの結果より、enzomenib は、日本人の再発・難治性急性白血病患者において、全体集団と同様に良好な安全性プロファイルと臨床効果を示し、KMT2A 再構成または NPM1 遺伝子変異を有する再発または難治性の急性白血病患者の治療に、enzomenib が重要な役割を果たす可能性が示唆されました。

白血病は造血組織に発生する血液悪性腫瘍の一種で、骨髄における血液細胞 (通常は白血球) の無秩序な増殖を特徴とします。白血病の一種である急性白血病患者では、血液細胞が急速に増殖し、突然症状が現れるため、早急な治療が必要とされています。急性骨髄性白血病患者さんの約 30% が NPM1 遺伝子の変異を有し、5～10% が KMT2A 遺伝子の再構成を有しているといわれています。

また、JSH2025 では、再発または難治性の骨髄線維症患者を対象とした PIM1 阻害剤 nuvisertib (一般名、開発コード: TP-3654) のフェーズ 1/2 試験に関する臨床データも口頭で発表されました。こちらは 2025 年欧州血液学会 (EHA、開催時期: 2025 年 6 月 12 日～6 月 15 日、開催場所: イタリア ミラノ) で発

表した内容であり、nuvisertib の忍容性は良好で、症状の反応と相関するサイトカインおよび脾臓容積の改善を含む臨床効果が示唆されました。

骨髄線維症は稀な血液悪性腫瘍の一種で、JAK シグナル伝達経路の調節異常によって骨髄に線維組織が蓄積することを特徴とし、血液細胞の産生に影響を及ぼすことがあります。骨髄線維症は重篤かつ希少な疾患であり、世界中で毎年 10 万人あたり 0.7 人が新たに発症しています。

今後も、当社は enzomenib および nuvisertib の開発を通じて、治療選択肢の少ない急性白血病患者および骨髄線維症患者の治療成績の改善に貢献していきます。

本件に関連するプレスリリースとして、以下を開示しています。

開発中の抗がん剤 DSP-5336 について米国食品医薬品局 (FDA) よりファストトラック指定の受領のお知らせ

<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20240716.html>

米国血液学会 (ASH) 2024 における開発中の抗がん剤 nuvisertib (TP-3654) および enzomenib (DSP-5336) に関する最新の臨床データ発表のお知らせ

<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20241210.html>

開発中の抗がん剤 nuvisertib (TP-3654) について FDA「ファストトラック指定」受領のお知らせ

<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20250613.html>

(ご参考)

enzomenib (DSP-5336) について

enzomenib (DSP-5336) はメニンタンパク質と KMT2A (lysine methyltransferase 2A) タンパク質との結合を阻害する低分子経口剤です。KMT2A 遺伝子の再構成や NPM1 遺伝子の変異を有する急性骨髄性白血病では、メニンと KMT2A の結合による、造血幹細胞の維持に必要な遺伝子の異常発現が認められ、急性骨髄性白血病的発症・維持に関連しているといわれています。本剤は、非臨床試験において、メニンと KMT2A の結合を阻害することにより、それらの遺伝子の発現減少を介した抗腫瘍作用が示されました。本剤は、米国食品医薬品局 (FDA) から、2022 年 6 月に急性骨髄性白血病的適応でオーファンドラッグ指定を、2024 年 6 月に KMT2A 遺伝子の再構成または NPM1 遺伝子の変異を有する再発または難治性の急性骨髄性白血病的適応でファストトラック指定を受けています。また、厚生労働省から、2024 年 9 月に、再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成陽性または NPM1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病的適応で希少疾病用医薬品指定を受けています。

nuvisertib (TP-3654) について

nuvisertib (TP-3654) は、PIM1 (proviral integration site for Moloney murine leukemia virus 1) キナーゼ阻害を介して炎症性シグナル経路を抑制します。PIM1 キナーゼは、様々な血液がんおよび固形がんにおいて過剰発現し、がん細胞のアポトーシス回避、腫瘍増殖の促進につながる可能性があります。本剤は骨髄線維症の適応で、FDA から 2022 年 5 月にオーファンドラッグ指定を、2025 年 6 月にファストトラック指定を、厚生労働省から 2024 年 11 月に希少疾病用医薬品指定を、欧州医薬品庁 (EMA) から 2025 年 7 月にオーファンドラッグ指定を受けています。

以 上

○本件に関するお問い合わせ先

住友ファーマ株式会社 コーポレートガバナンス部 コーポレートコミュニケーショングループ

E-mail: prir@sumitomo-pharma.co.jp