

2025 年 10 月 14 日

各位

会 社 名 Chordia Therapeutics 株式会社
代 表 者 名 代表取締役 三宅 洋
(コード番号：190A 東証グロース市場)
問 合 せ 先 IR マネジャー 吉良 亜実
TEL : 03-6661-9543
MAIL : ir@chorditherapeutics.com

CLK 阻害剤 Rogocekib の血液がんに対する First-in-Human 日本国内第 1 相臨床試験の論文掲載のお知らせ

Chordia Therapeutics 株式会社（本社：神奈川県藤沢市、代表取締役：三宅洋）は、CLK 阻害剤 rogocekib を人に初めて投与した日本国内第 1 相臨床試験の血液がんパートの最終結果が Blood Advances 誌に掲載されたことを報告いたします。再発または難治性の急性骨髄性白血病（AML）および高リスク骨髄異形成症候群（MDS）患者を対象とした rogocekib の第 1 相試験の臨床データは、管理可能な安全性と治療効果を示しました。また、特にスプライシング因子変異を有する患者において、より有望な治療効果の可能性が示されました。現在、米国において本患者集団に対する安全性および有効性をさらに評価するための第 1/2 相試験が進行中です。

主なハイライト

- Rogocekib (CTX-712) は、再発または難治性の AML および高リスク MDS において許容可能な安全性を示しました。
- Rogocekib 投与患者全体の奏効率は 42.9%であり、スプライシング因子変異を有する患者において、症例数は限られているものの、より有望な治療効果が認められました。

論文概要

Rogocekib (CTX-712) は、RNA スプライシングの主要な制御因子である CDC2 様キナーゼ (CLK) を選択的に阻害する経口薬です。日本で実施された第 1 相臨床試験 (jRCT2080224127) では、再発または難治性の AML および高リスク MDS 患者に 70 mg または 105 mg を週 2 回投与しました。Rogocekib を投与された 14 人の患者において、安全性プロファイルは管理可能かつ許容可能でした。12 人の AML 患者のうち、3 人が完全寛解 (CR) を達成し、1 人が血液の回復が不完全な CR (CRi) を達成しました。2 人の MDS 患者のうち 1 人が CR を達成しました。薬物動態および薬力学解析により、用量依存的な曝露および生物学的活性が確認されました。現在、米国において第 1/2 相臨床試験 (NCT05732103) が進行中です。

論文情報

Phase I Study of Rogocekib in Patients with Relapsed or Refractory Hematologic Malignancies

Hisayuki Yokoyama, Noriko Fukuhara, Koji Ando, Hiroatsu Iida, Takahiro Yamauchi, Suguru Fukuhara, Koji Izutsu, Yasushi Tanoue, Maki Yamamoto, Hirokazu Tozaki, Eiji Takahara, Shingo Shoji, Akio Mizutani, Daisuke Morishita, Robert Westley Oda, Hiroshi Miyake, Noboru Yamamoto; Phase I Study of Rogocekib in Patients with Relapsed or Refractory Hematologic Malignancies. *Blood Adv* 2025; bloodadvances.2025017601.

URL: <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2025017601>

投稿先の学術誌について

Blood Advances は、米国血液学会が発行するオープンアクセスのオンライン限定学術誌です。世界で最も多くの査読付き血液学論文を掲載しており、血液学のあらゆる分野における高品質な研究成果発表の国際的なプラットフォームとして機能しています。すべての投稿は厳格な査読を受け、革新性、科学的卓越性、明快さが重視されます。

用語集

用語	解説
AML	<u>A</u> cute <u>M</u> yeloid <u>L</u> eukemia 急性骨髄性白血病の略で、骨髄中で白血球の元になる血液細胞が癌化した疾患で、血液がんのひとつ
CLK	<u>C</u> DC2- <u>L</u> ike <u>K</u> inase の略で、対象となるタンパク質にリン酸基を転移させる反応を触媒する酵素でスプライシングにおいて重要な役割を果たしている
CR	<u>C</u> omplete <u>R</u> emission 完全寛解の略で、薬剤の抗腫瘍効果の評価において使用され、血液がんにおいては、患者の骨髄に存在するがん細胞の割合が5%未満であり、末梢血中の好中球と血小板などの正常血液細胞の数値が完全に回復している状態
CRi	<u>C</u> R with <u>i</u> ncomplete hematologic recovery の略で、患者の骨髄に存在するがん細胞の割合が5%未満であるが、末梢血中の好中球と血小板などの正常血液細胞の回復が不完全な状態
MDS	<u>M</u> yelodysplastic <u>S</u> yndrome 骨髄異形成症候群の略で、骨髄中で血液細胞のもとになる造血幹細胞に異常が起き、正常な血液細胞が作れなくなる疾患で、血液がんのひとつ

Chordia Therapeutics 株式会社について

当社は、臨床開発品を擁するがん領域専門の研究開発型バイオベンチャーとして、神奈川県藤沢市を本社として活動しています。私たちのリードパイプラインである CLK 阻害薬 rogocekib (CTX-712) は、米国での第 1/2 相試験を進行中です。Rogocekib は、がんの脆弱性をターゲットにしており、有望な治療薬としての可能性が期待されています。また、当社は、リードパイプラインの rogocekib、MALT1 阻害薬 CTX-177 に加え、CDK12 阻害薬 CTX-439、GCN2 阻害薬など、複数のパイプラインの研究開発に取り組んでいます。

詳細は、当社ウェブサイト (<https://www.chorditherapeutics.com/>) をご覧ください。