



# EHA2026 中間成績発表における 補足説明資料 (EHA-3974)

**Chordia Therapeutics株式会社**  
(証券コード：190A)

2026年6月15日

# 急性骨髄性白血病（AML）と骨髄異形成症候群（MDS）

## AML（急性骨髄性白血病）

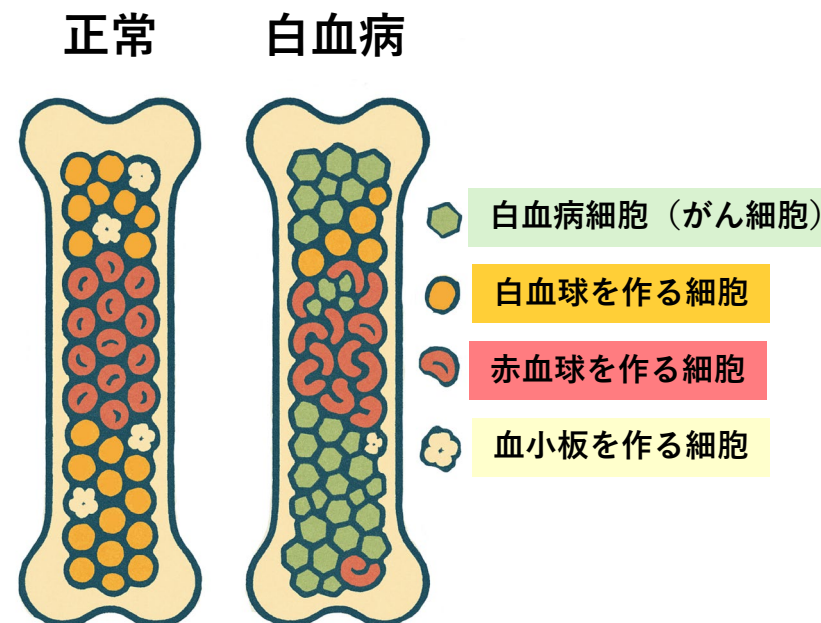
- 骨髄中で白血球のもとになる細胞ががん化し、正常な血液が作れなくなる血液がん。
- 進行が速いのが特徴。

## MDS（骨髄異形成症候群）

- 造血幹細胞に異常が生じ、正常な血液を十分に作れなくなる疾患。
- AMLに進行するリスクがある。

## なぜ新しい治療薬が必要なのか

- 再発・難治性の患者さんには十分な治療選択肢がない



## 骨髄性腫瘍におけるスプライシング因子遺伝子の変異

- スプライシング因子遺伝子の変異AML・MDSの40～60%に認められるが、この経路を標的とした承認済み治療薬はない。
- rogocekibはこの未充足ニーズに応える新たな治療アプローチ。

# Rogocekib 概要

## ■ Rogocekib (CTX-712) の特徴

- CLK (CDC2-Like Kinase) を選択的に阻害するファーストインクラススの経口薬
- RNAスプライシング（遺伝子の読み取りプロセス）を制御する新しいアプローチ

**ファーストインクラスス**

CLK阻害薬として世界初の臨床開発品

## ■ 開発状況

日本  
第1相試験 (CTX-712-CL-01) 完了

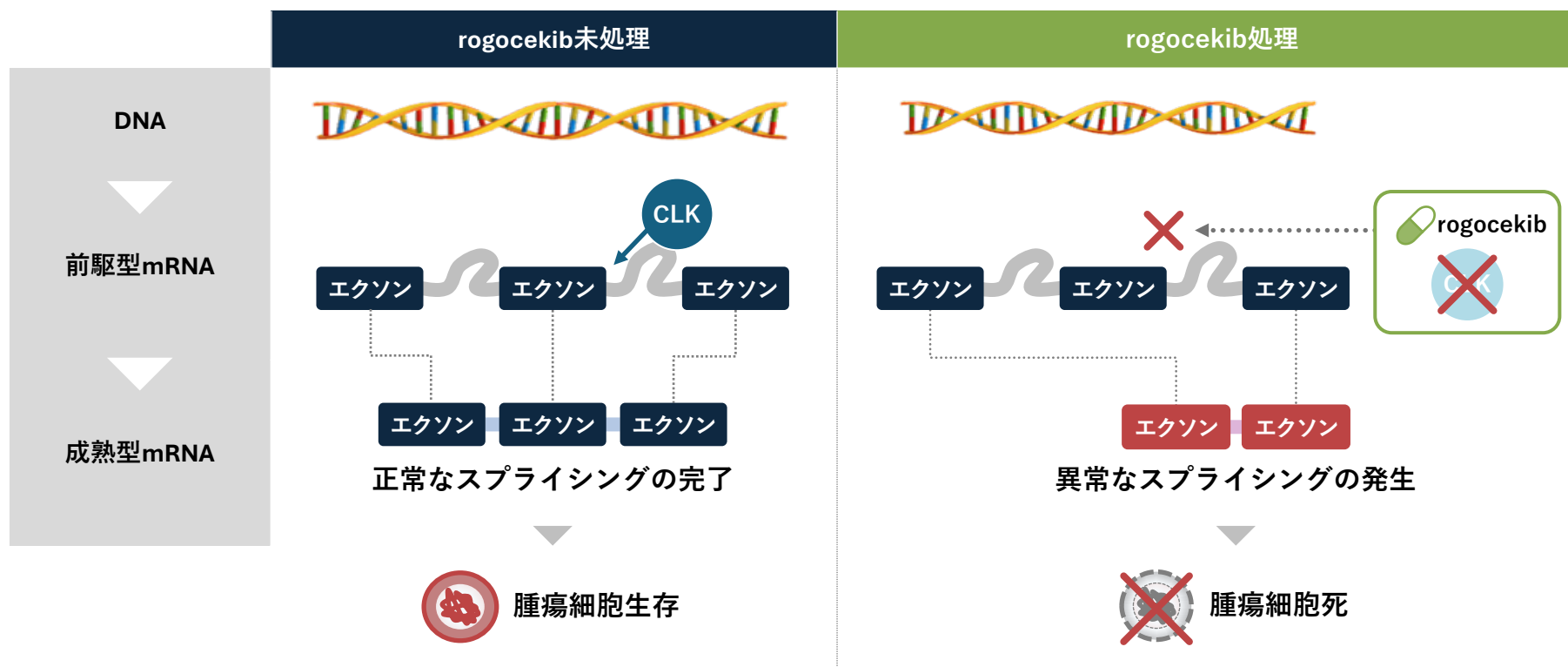
血液がんパート：Yokoyama H et al., Blood Advances 2026  
固形がんパート：Sato J et al., Clin Cancer Res. 2026

米国  
第1/2相試験 (CTX-712-CL-02) 進行中

用量漸増コホート完了 → 本発表  
拡大コホート実施中

# Rogocekitab 作用機序

- rogocekitabは異常なスプライシングを誘導することによりRNA制御ストレスを増大させがん細胞を死滅させる
- メッセンジャーRNA生成過程において、不要な箇所を取り除く“スプライシング”が行われる



# 試験概要 (CTX-712-CL-02 / NCT05732103)

項目	内容
対象疾患	再発・難治性 AML、高リスク MDS、MDS/MPN (CMMLを含む)
試験の段階	第1/2相試験 (用量漸増コホート)
投与方法	錠剤を経口投与 週1回 (QW) または 週2回 (BIW)
登録患者数	42例 (用量漸増コホート)
実施国	米国 (多施設共同)
主な目的	安全性・MTD / PK・PD評価 / 初期的な抗腫瘍活性の確認
データカットオフ	2026年4月30日

# 試験デザイン

今回の発表内容

## 用量漸増

AML or HR-MDS or MDS/MPN

n=18~30 (各用量レベル3~6例)

週1回投与

140 mg QW

100 mg QW

80 mg QW

40 mg QW

20 mg QW

n=6~18 (各用量レベル3~6例)

週2回投与

100 mg BIW

80 mg BIW

60 mg BIW

## IEコホート

AML or HR-MDS

各適応≤30例 (各用量レベル≤10例)

AML

コホート 1a

コホート 2a

コホート 3a

HR-MDS

コホート 1b

コホート 2b

コホート 3b

## 今後の予定

DDIコホート

AEコホート  
(P2D確認)

第2相臨床試験

# 患者背景 (n=42)

78.6%

65歳以上  
(33.3%が75歳以上)

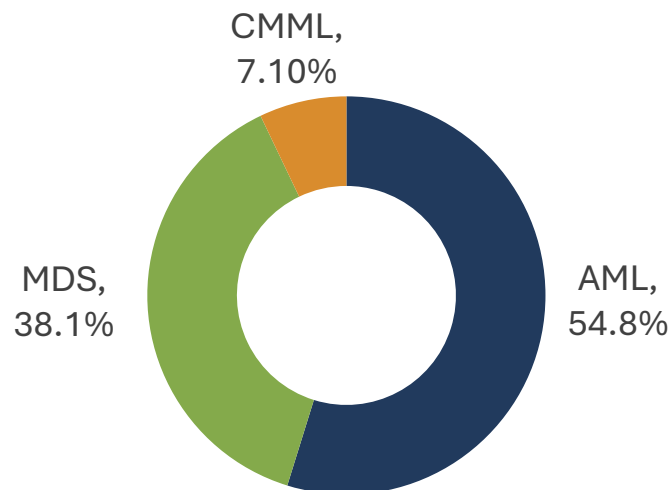
57.1%

≥3レジメン前治療歴  
(28.6%が4レジメン以上)

83.3%

ECOG PS Score 1-2  
(23.8%がPS2以上)

## 疾患内訳



## リスク分類

AML (ELN 2017) : Adverse (予後不良) が **73.9%**

MDS (IPSS-R) : High/Very High (予後不良) が **73.7%**

## 主な遺伝子変異

スプライシング遺伝子: **SRSF2 32.4%**, **SF3B1 17.6%**, **U2AF1 8.8%**, **ZRSR2 5.9%**

予後不良なリスク遺伝子: **ASXL1 32.4%**, **TP53 14.7%**

本試験の患者集団は高齢・多治療歴・予後不良リスクを有する患者が多く、治療選択肢が限られた背景で有効性が評価された。

# 安全性

12.8%

用量制限毒性 (DLT)

100 mg 週1回 (QW)  
100 mg 週2回 (BIW)  
最大耐量 (MTD)

## 主な副作用

悪心 (吐き気)	52.4%	<div style="width: 52.4%;"></div>
下痢	35.7%	<div style="width: 35.7%;"></div>
便秘	14.3%	<div style="width: 14.3%;"></div>
嘔吐	14.3%	<div style="width: 14.3%;"></div>
血小板減少	11.9%	<div style="width: 11.9%;"></div>
味覚異常	11.9%	<div style="width: 11.9%;"></div>

## DLT発現コホート

80 mg QW :	1例	低血圧
140 mg QW :	2例	呼吸困難、心嚢液貯留、胸水
		低血圧
80 mg BIW :	1例	出血性食道炎
100 mg BIW :	1例	ALT増加、AST増加

主に軽度の消化器症状が中心で血液毒性は限定的であり、  
管理可能で忍容性のある安全性プロファイル

# 有効性① — 全奏効率 (ORR)

全奏効率 (ORR)

**11.8%**

4/34 評価可能例

## サブグループ別奏効率

AML  
100mg 週1回  
**CRi 50%**  
(2/4例)

AML  
80mg 週2回  
**CRi 20%**  
(1/5例)

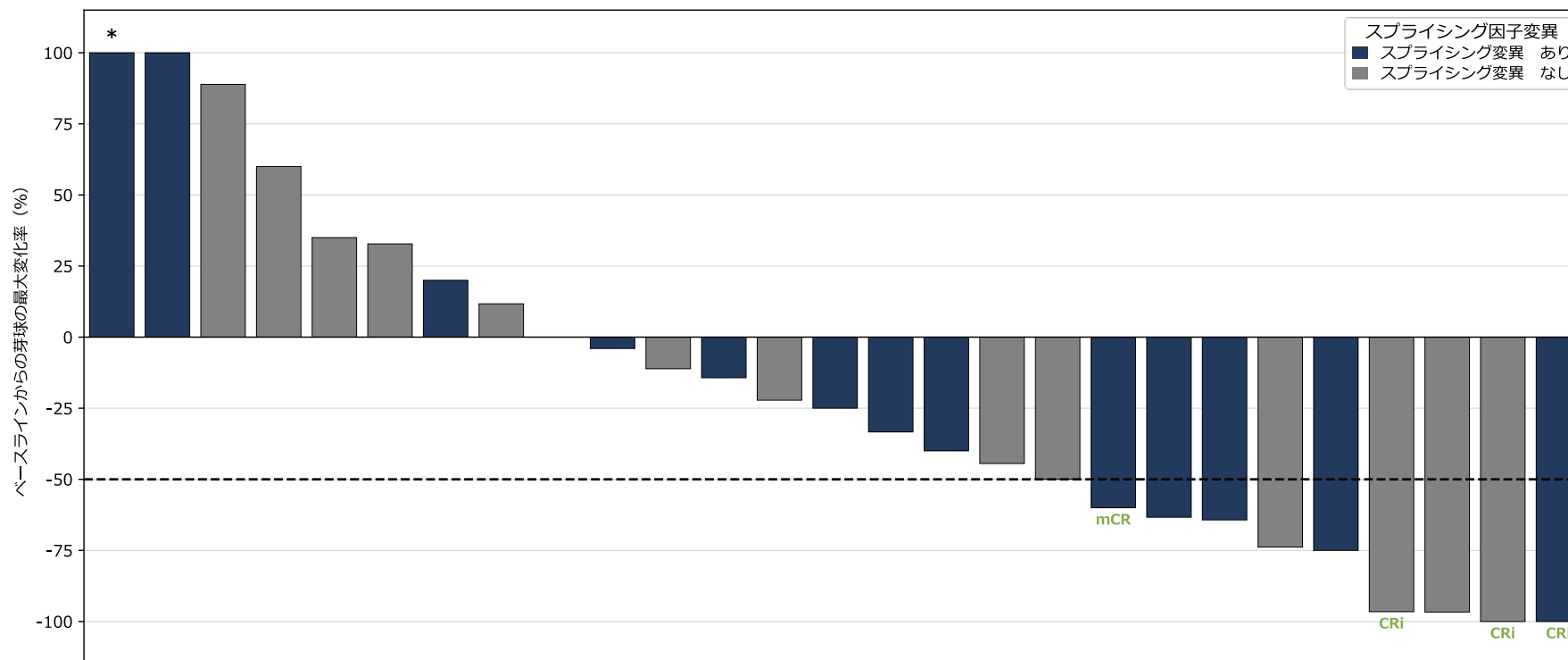
MDS  
80mg 週1回  
**mCR 25%**  
(1/4例)

※サブグループは例数が少なく、今後の拡大コホートでの確認が必要

- CRiを達成したAML 3例は、全例がベネトクラクスに抵抗性を示した患者
- うち2例は4回以上の前治療歴を有していた



## 有効性② — 芽球最大変化率



注：芽球評価可能な30例中27例において遺伝子情報が取得された。\*は100%を超える変化を示す。

全患者（遺伝子情報取得済）

**10/27例**

で芽球50%以上の減少を達成

スプライシング因子変異陽性患者

**5/14例**

で芽球50%以上の減少を達成

## 安全性

- ✓ 管理可能な安全性プロファイル
- ✓ 主に軽度の消化器症状が中心

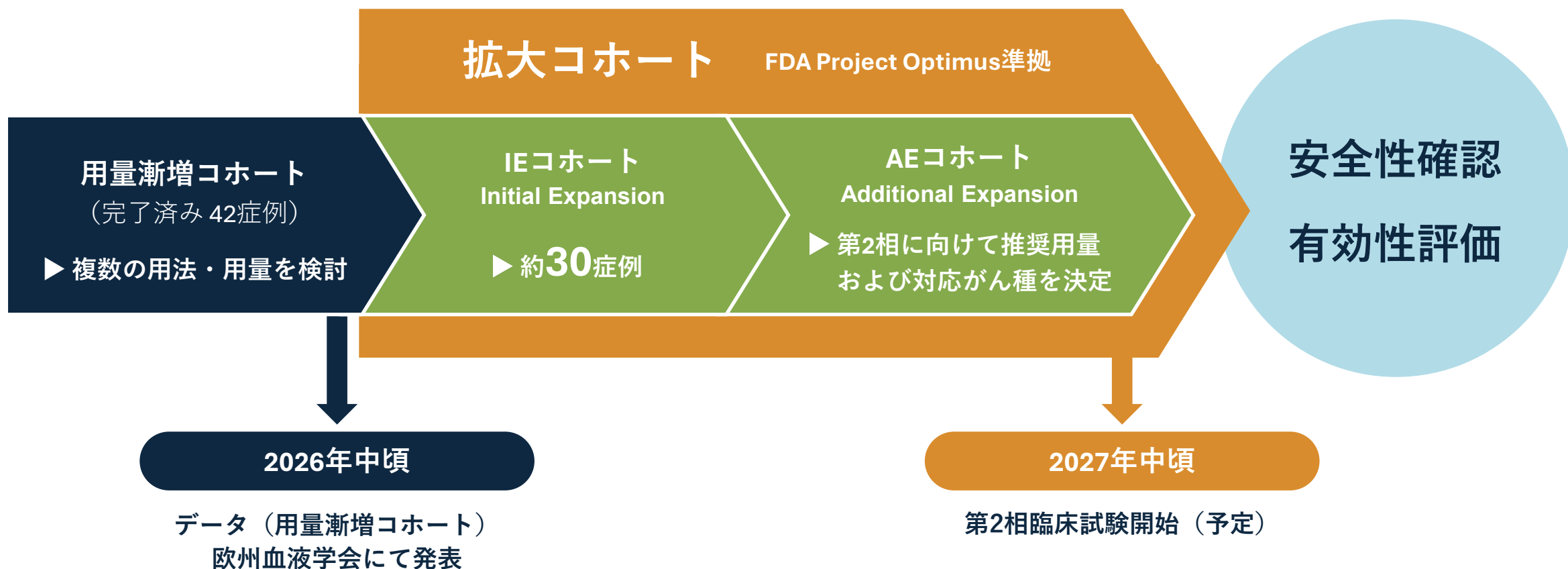
## 有効性

- ✓ CRi 3例、 mCR 1例
- ✓ 治療困難な患者での有効性シグナル
- ✓ スプライシング変異陽性例で芽球減少の傾向

# Rogocekib CTX-712(CLK阻害薬)：拡大コホートの開始決定

拡大コホートの目的

安全性確認と有効性評価に基づき、推奨用量および対応がん種を決定



# 当社の経営理念と2030年ビジョン

---

## Tomorrow is Another Day

明日に希望を感じる社会の実現

「日本発」「世界初」のこれまでにない新しい抗がん薬を、  
一日でも早く患者様のもとに。

### ———— Mission ————

**We are passionate to deliver first in class cancer drugs to patients.**

First in Class 抗がん薬を創る

### ———— 2030 Vision ————

**To be an R&D oriented pharmaceutical company based in Japan.**

日本発の研究開発型の製薬会社になる

# 免責事項

---

- 本資料は、関連情報の開示のみを目的として当社が作成したものであり、米国、日本国またはそれ以外の一切の法域における有価証券の売付けの申込みまたは買付けの申込みの勧誘を構成するものではありません。
- 米国、日本国またはそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録もしくは届出またはこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集または販売を行うことはできません。
- 本資料の作成にあたり、当社は当社が入手可能なあらゆる情報の真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としていますが、その真実性、正確性あるいは完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。
- 将来の業績に関して本プレゼンテーション資料に記載された記述は、将来予想に関する記述です。
- 将来予想に関する記述には、これに限りませんが「信じる」、「予期する」、「計画」、「戦略」、「期待する」、「予想する」、「予測する」または「可能性」や将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます。
- 将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績は将来に関する記述に明示または黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。したがって、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。
- 新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更または訂正する一切の義務を当社は負いません。

# アンケートご協力をお願い

---

今後のIR活動をよりよいものにするために、  
アンケートを実施しております。

皆さまのご意見・ご感想をぜひお聞かせください。

ご回答は匿名で、所要時間は3分程度です。

スマートフォンおよび  
携帯電話にて  
以下のQRコードを読み取り  
アンケートURLに  
アクセスしてください

