

2022年6月7日

報道関係者各位

Chordia Therapeutics 株式会社

**Chordia、2022年米国臨床腫瘍学会（ASCO）年次総会において  
CLK 阻害薬 CTX-712 の第1相臨床試験における中間結果を発表**

がん領域に特化した研究開発型バイオベンチャー企業である Chordia Therapeutics 株式会社（以下「当社」、代表取締役：三宅洋、所在地：神奈川県藤沢市）は、2022年6月3日～7日開催の「米国臨床腫瘍学会（American Society of Clinical Oncology：ASCO）の年次総会（The 2022 ASCO Annual Meeting）」において、当社が創製した選択的汎 CDC 様キナーゼ（以下「CLK」）阻害薬 CTX-712 の第1相臨床試験の中間結果を発表したことをお知らせします。

固形がんと血液がんを対象とした CTX-712 の第1相臨床試験において、臨床的に許容できる安全性プロファイルが示されました。また、抗腫瘍効果に関して複数の被験者において認められ、初期的な POC（Proof of Concept（概念実証））が確認できました。観察された DLT（dose-limiting toxicity：用量制限毒性）は、脱水、血小板数減少、低カリウム血症であり、週2回の投与における MTD（Maximum Tolerated Dose：最大耐用量）は 140 mg と決定されました。なお、卵巣がんと急性骨髄性白血病患者において、それぞれ2例の PR（partial response：部分奏効）と2例の CR（complete response：完全奏効）が認められました。PK（pharmacokinetics：薬物動態）解析では、用量依存的な全身曝露量の増加が観察され、PD（pharmacodynamics：薬力学的）マーカーとして設定した2つの RNA のエクソンスキッピングが用量依存的に増加したことから、CTX-712 による mRNA のスプライシング変化が確認されました。現在は、推奨される第2相臨床試験での用量を決定するためのさらなる試験が進行中です。

国立研究開発法人国立がん研究センター中央病院の先端医療科長で本試験の治験責任医師である山本昇医師は次のように述べています。「世界に先駆けて、まったく新しい作用機序の抗がん薬候補のファーストインヒューマン臨床試験に携わることができて非常に光栄です。まだ初期の臨床試験ではありますが、将来的に CTX-712 が進行・再発又は難治性の悪性腫瘍の患者さんに対して有効な治療薬になることを期待しています。」

ASCO 演題番号：3080

題：A First-in-Human Phase 1 Study of CTX-712 in Patients with Advanced, Relapsed or Refractory Malignant Tumors

### CTX-712 について

CTX-712 は、細胞増殖に重要な役割を果たす RNA スプライシング反応の主要な制御因子である CDC 様キナーゼ (CLK) に対するファーストインクラスの選択的な経口型の低分子阻害薬です。CTX-712 は、in vitro において様々なヒト腫瘍細胞株に対し増殖抑制効果を示し、in vivo においても複数の異種移植マウスモデルに対する抗腫瘍活性を示します。

### 第 1 相臨床試験の内容について

国内第 1 相臨床試験では、進行・再発又は難治性悪性腫瘍患者を対象に、CTX-712 の忍容性、安全性及び薬物動態等を検討しています。試験の詳細は、JapicCTI-184188 をご参照ください。

### スプライシングについて

転写された直後の RNA は前駆型 mRNA と呼ばれます。前駆型 mRNA にはタンパク質をコードしない塩基配列 (イントロン) があり、イントロンを除き、必要な部分 (エクソン) をつなぎ合わせる「スプライシング」という過程を経て成熟型 mRNA となり、タンパク質に翻訳されます。

### CDC 様キナーゼ (CLK) について

キナーゼは生体物質である ATP などに含まれるリン酸基を、対象とする物質 (基質と呼ぶ) に転移させる反応を触媒する酵素の総称です。ヒトには 500 種類以上のプロテインキナーゼが存在すると考えられており、この一つである CLK キナーゼは、CLK1、CLK2、CLK3、および CLK4 の 4 つのファミリーメンバーによって構成され、基質としてセリン/アルギニンリッチ (SR) タンパク質をリン酸化します。

### セリン/アルギニンリッチ (SR) タンパク質について

SR タンパク質はセリン (S) とアルギニン (R) に富んだ SR ドメインを有する一群のタンパク質の総称であり、ヒトで 10 種類ほど報告されています。この SR ドメイン中のセリンをリン酸化するのが CLK キナーゼです。リン酸化を受けた SR タンパク質は前駆型 mRNA のエクソン領域に結合し、結合したエクソンがスプライシングの際に成熟型 mRNA へ取り込まれることを促します。

### エクソンスキッピングについて

CTX-712 が CLK のキナーゼ活性を阻害し SR タンパク質が脱リン酸化されると、成熟型 mRNA へのエクソンの取り込みに失敗したエクソンスキッピングと呼ばれるスプライシング変化が生じます。

以 上

### Important Notice / 重要事項の通知

本文章において、「プレスリリース」とは、本文書、当社の口頭発表、質疑応答セッション、および本文書に関して当社によって議論または配布された書面または口頭の資料を意味します。プレスリリース（口頭による説明およびそれに関連する質疑応答を含む）は、有価証券を含む何かの購入または取得の申し出、招待、または勧誘の一部を構成、表明、または形成することを意図しておらず、また、その一部を構成するものではありません。

### Disclaimer / 免責事項

このプレスリリースを含む当社の発表には、医薬開発品の情報を含む場合がありますが、当社の事業に関連する最新の情報を皆様にお伝えすることを目的としたもので、これらはプロモーションや勧誘、広告、または医学的なアドバイスの提供等を目的とするものではありません。

### Forward-Looking Statements / 将来予測に関する記述

このプレスリリースおよびこのプレスリリースに関連して配布される資料には、当社の将来の事業、将来の位置付け、および見積もり、予測、目標、計画などの業績に係る将来の見通しに関する記述、情報、信念、意見が含まれている場合があります。将来の見通しに関する記述には、「目標」、「計画」、「信じる」、「希望」、「継続する」、「期待する」、「意図する」、「保証する」、「will」、「may」、「should」、「would」、「could」、「expects」、「estimates」、「projects」もしくはこれらと同様の表現、またはそれらの否定の形をとっています。これらの将来の見通しに関する記述は、多くの重要な要因に関する仮定に基づいており、実際の結果は、将来の見通しに関する記述によって表明または暗示されているものとは大きく異なる可能性があります。重要な要因は、日本と米国の一般的な経済状況を含む、当社のグローバルビジネスを取り巻く経済状況、競争圧力と発展、グローバルヘルスケア改革を含む、適用される法律および規制の変更、臨床的成功の不確実性（規制当局の決定およびそのタイミングを含む）、新製品開発に固有の課題、新規および既存の製品の商業的成功の不確実性、製造上の困難または遅延、金利および為替レートの変動、市販製品または製品候補の安全性または有効性に関するクレームまたは懸念、新しいコロナウイルスのパンデミックのような健康危機が、当社とその顧客およびサプライヤー（当社が事業を行っている国の外国政府を含む）、またはその事業の他の側面に与える影響等を含みます。当社は、法律または証券取引所の規則で義務付けられている場合を除き、このプレスリリースに含まれる将来の見通しに関する記述または当社が示すその他の将来の見通しに関するいかなる記述も更新する義務を負うものではありません。過去の実績は将来の経営結果を示すものではなく、このプレスリリースにおける当社の経営結果または記述は、当社の将来の経営結果を示すものではなく、推定、予想、保証、または予測でもありません。

### Chordia Therapeutics 株式会社について

当社は、2017年11月にがん領域に特化した研究開発型バイオベンチャーとして神奈川県藤沢市の湘南ヘルスイノベーションパークに設立され、First-in-Class の抗がん薬の研究と開発を行い、革新的な新薬を生み出すことを目指しています。

当社は、リードプログラムである CTX-712 に加え、特定の異常を有するがんの効果期待される 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を行っています。

設立	2017年11月
所在地	神奈川県藤沢市村岡東二丁目26番地の1
代表者	代表取締役 三宅 洋
URL	<a href="https://www.chordiatherapeutics.com">https://www.chordiatherapeutics.com</a>

**【お問い合わせ先】**

Chordia Therapeutics 株式会社

IR 担当 久米 健太郎

[info@chordiatherapeutics.com](mailto:info@chordiatherapeutics.com)