

2026年7月21日

各 位

会 社 名 カルナバイオサイエンス株式会社
代表者名 代表取締役社長 吉野 公一郎
(コード番号：4572)
問合せ先 取締役経営管理本部長 山本 詠美
(TEL： 078-302-7075)

monzosertib (AS-0141) の急性骨髄性白血病を対象とした

FDAオーファンドラッグ指定 (ODD) 取得のお知らせ

当社は、このたび米国食品医薬品局 (Food and Drug Administration : FDA) より、CDC7阻害剤 monzosertib (AS-0141) について、急性骨髄性白血病 (Acute Myeloid Leukemia : AML) を対象としたオーファンドラッグ指定 (Orphan Drug Designation : ODD) を取得しましたので、お知らせいたします。

AMLは、骨髄において異常な白血病細胞が増殖する血液がんであり、米国において希少疾病に指定されています。近年、治療成績は向上しているものの、再発又は難治となった患者や、既存の分子標的治療の適応とならない患者においては依然として高いアンメット・メディカル・ニーズが存在しています。

monzosertibは、当社が創製した高選択的CDC7阻害剤であり、特定の遺伝子変異やシグナル伝達経路に依存しない新たな治療アプローチとして開発を進めております。現在、当社は米国テキサス大学MDアンダーソンがんセンターと協力し、再発又は難治性AML患者を対象としたアザシチジン (AZA) およびベネトクラクス (VEN) との三剤併用療法の開発を推進しております。

FDAによるオーファンドラッグ指定は、米国における患者数が20万人未満の希少疾病を対象として開発される医薬品候補に付与される制度です。本指定を受けることにより、FDAとの開発相談機会の充実、承認申請費用の減免、承認後の市場独占権などの優遇措置を受けることが可能となります。

吉野社長コメント

「このたびFDAよりmonzosertibに対してオーファンドラッグ指定を取得できたことを大変嬉しく思います。本指定は、AML領域における高いアンメット・メディカル・ニーズを踏まえ、monzosertibの開発を進める上で重要なマイルストーンであると考えております。

monzosertibはCDC7を標的とする新規作用機序を有する開発品であり、現在、MDアンダーソンがんセンターとの連携のもと、AMLを対象とした臨床開発を進めております。

当社は、本指定取得を契機として、monzosertibの臨床開発を着実に推進し、AML患者様のアンメット・メディカル・ニーズの解決に貢献できるよう努めてまいります。」

なお、本件が2026年12月期の連結業績予想に与える影響はありません。

以上

CDC7 阻害剤 monzosertib (AS-0141) について

monzosertib (AS-0141) は当社が創製した CDC7 キナーゼを選択的かつ強力に阻害する経口投与可能な医薬品候補化合物です。

CDC7 (cell division cycle 7) キナーゼは、DNA 複製開始を制御する重要な酵素です。細胞周期制御が異常となったがん細胞では、CDC7 活性の阻害により複製ストレスが誘導され、細胞死に至ることが知られています。一方で、正常細胞では細胞周期チェックポイント機構が維持されていることから、CDC7 阻害の影響を受けにくいと考えられており、良好な忍容性を有する新たな治療薬となることが期待されています。

CDC7 は様々ながんで過剰発現していることが報告されており、CDC7 阻害によりにより DNA 複製ストレスが誘導され、がん細胞の増殖抑制や細胞死につながる新たな治療アプローチとして注目されています。さらに、非臨床試験において、monzosertib は DNA メチル基転移酵素 (DNMT) 阻害薬および BCL-2 阻害薬との併用により強力な抗腫瘍活性を示しており、既存治療に対する耐性克服や治療効果の向上につながる可能性が示唆されています。

カルナバイオサイエンスでは、高選択的 CDC7 阻害剤 monzosertib の創製に成功しており、急性骨髄性白血病 (AML) をはじめとする様々ながん種を対象として、革新的な治療薬の開発を進めています。