

2025年12月11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@chordiatherapeutics.com

rogocekib 開発に係る治験医師会議開催のお知らせ

Chordia Therapeutics 株式会社（本社：神奈川県藤沢市、代表取締役：三宅洋）は、2025年12月6日から9日まで米国フロリダ州オーランドにて開催中の第67回米国血液学会年会（以下、「本学会」という。）に参加し、rogocekib の米国第1/2相臨床試験（以下、「本臨床試験」という。）に係る Investigator Meeting（治験医師会議、以下、「本会議」という。）を開催しましたのでお知らせします。また、本臨床試験の治験責任医師であるテキサス大学 MD アンダーソンがんセンターの Guillermo Garcia-Manero 博士らのチームが、rogocekib と急性骨髓性白血病（以下、AML という。）および骨髓異形成症候群（以下、MDS という。）の標準治療薬（1次治療やそれ以降の治療でよく使用される薬剤）との併用効果を確認した非臨床の研究成果を学会発表しましたので、あわせてお知らせします。

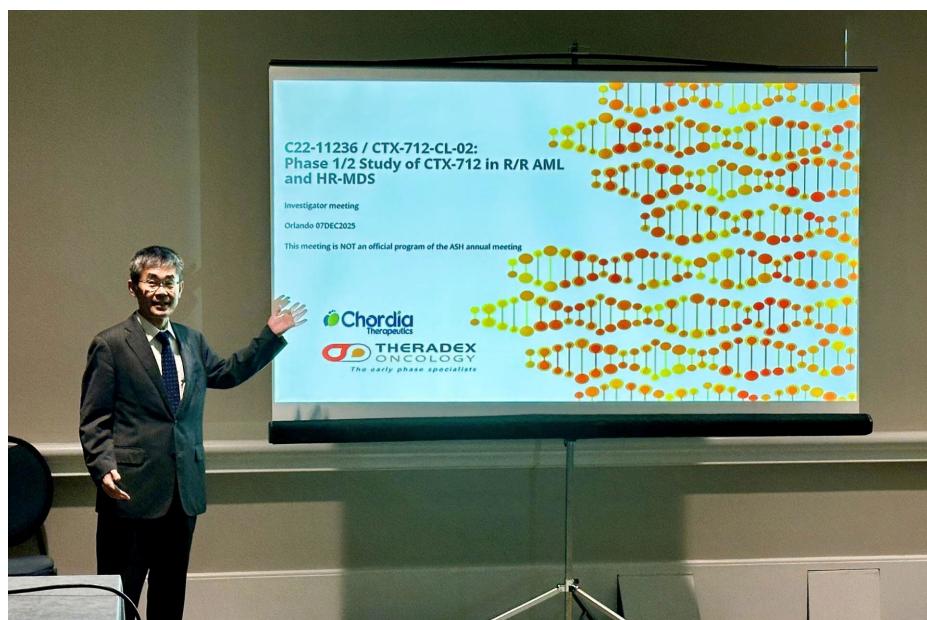
治験医師会議開催について

当社が実施中の本臨床試験には、米国において血液がんの治療で高い実績を誇る6施設が参加しています。今回、これらの施設に加え、拡大コホートより参画予定の追加施設の治験医師も加わり、これまでに得られている臨床試験データのレビューや、2026年初頭の拡大コホート開始に向けた戦略等を議論しました。なお、本会議は、今後の本臨床試験の開発戦略を定めるために、実際に rogocekib を患者に投与している治験医師と対面で対話し情報を収集し議論することを目的として、本学会に事前届出を行い、開催の許可を得て当社が主催者として開催しました。

本会議では、これまでに日本および米国で rogocekib の投与を受けた90名超の患者の安全性と有効性、薬物動態が包括的にレビューされ、質疑応答の後に、今後の開発方針について活発な議論が行われました。治験責任医師である Guillermo Garcia-Manero 博士からは、新しい作用機序を持つ rogocekib の開発は AML および MDS 患者の治療選択肢を増やすために非常に重要であると考えていること、臨床試験データの解析から、より高い有効性が期待される患者の特徴について探索的

な知見が得られつつあり、今後開始予定の拡大コホートにおいてこれら仮説を検証し、rogocekib の最適な適応患者群を明らかにしていくことが重要であるとの発言がありました。その考えは、出席した全ての治験医師に同意され、2026 年の早い時期に開始を予定している拡大コホートへの全面的な協力を約束いただきました。

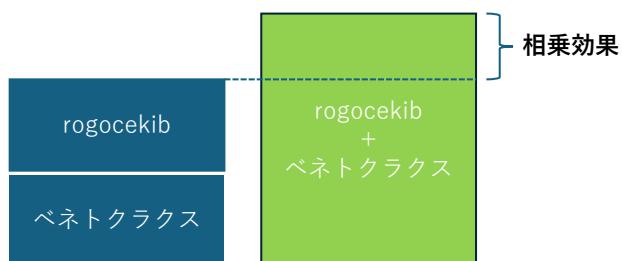
また、Guillermo Garcia-Manero 博士からは、ご自身の研究チームでの成果を踏まえて、患者の治療により大きく貢献するために、rogocekib と標準治療薬との併用療法の検討のための臨床試験の実施をしきるべきタイミングで開始して欲しいとの要望が寄せられました。



rogocekib の併用療法の可能性について

Guillermo Garcia-Manero 博士らのチームは、rogocekib と AML および MDS の標準治療薬である venetoclax（以下、ベネトクラクスという。）との併用効果を、AML 細胞株や、MDS 患者から採取したがん細胞を用いて検討した結果、細胞死の誘導で顕著な相乗効果が認められたことを発表しました。相乗効果とは、それぞれ rogocekib やベネトクラクスだけの効果と、両剤を合わせて処置したときの効果を比較すると、前者を単純に足すよりも後者は強い効果が出る際に、つまりは 1+1 が 2 以上になるときに使用できる表現です。

相乗効果のイメージ



さらに、rogocekib とベネトクラクスに、AML および MDS の標準治療薬である azacytidine（アザシチジン）を加えるとより強力に細胞死を誘導することも確認しており、これらの研究成果は、rogocekib が併用療法における新たな治療選択肢となる可能性を示唆していると結論しました。

抄録番号 3839

演題名 Synergistic apoptotic effect by the combination of clk inhibitor CTX-712 and BCL-2 inhibitor ABT-199 with or without azacytidine in AML and MDS

著者 Hui Yang, Zhihong Fang, Yue Wei, Marcos Estecio, Guillermo Montalban-Bravo, Kelly Chien, Guillermo Garcia-Manero

同様の併用効果は当社の研究チームでも確認しており、すでに併用療法の用途特許として出願しその情報は公開されています（国際公開番号：WO2025/150571）。当社は、今後、各国当局の審査を経て本出願が登録されることを期待していますが、物質特許に加えて用途特許も充実させることによって rogocekib の知財権利を固めていく戦略です。

今後の開発方針について

当社は当面は、再発又は難治性となった AML および MDS 患者への rogocekib 単剤での治療可能性の検討を継続し、単剤開発に注力します。一方で、非臨床試験で確認された標準治療薬との顕著な相乗効果を踏まえ、将来的には併用療法の開発も検討していきます。標準治療薬との併用について承認が得られた場合、rogocekib を含む治療方法が AML および MDS 治療における新たな選択肢となる可能性があり、当該領域において大きな市場機会が見込まれます。

当社は、rogocekib を通じて血液がん治療の新たな選択肢を提供し、患者さんの QOL 向上と医療の進展に貢献してまいります。

CLK 阻害薬 rogocekib (開発コード：CTX-712)について

rogocekib 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 CDC2 様キナーゼ (CLK) に対するファーストイインクラスの選択性的な経口型の低分子阻害薬です。FDA から AML 適応でのオーファンドラッグ指定 (Orphan Drug Designation(ODD): 希少疾病用医薬品指定)を受けしており、現在、米国の第 1/2 相臨床試験を実施しています。

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、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.chordiatherapeutics.com/>) をご覧ください。