
Press Release

2026 年 10 月 27 日

各 位

住友ファーマ株式会社

開発中の抗がん剤 enzomenib が FDA「ブレイクスルーセラピー」に指定

住友ファーマ株式会社(本社:大阪市、代表取締役社長:木村 徹)は、開発中の抗がん剤 enzomenib (一般名、開発コード: DSP-5336、以下「本剤」)について、米国子会社である Sumitomo Pharma America, Inc.が、再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成を有する急性白血病を対象とする米国食品医薬品局(FDA)の「ブレイクスルーセラピー(Breakthrough Therapy)」に指定されたことを発表しましたので、お知らせします。

FDA によるブレイクスルーセラピー指定は、重篤または生命にかかわる疾患の治療を目的とした薬剤の開発・審査を促進する米国の制度です。ブレイクスルーセラピー指定を受けた薬剤は、開発および審査の迅速化に向けて、FDA から継続的な助言や支援を受けることができます。指定の対象となるためには、未公表情報を含む臨床試験データに基づき、臨床的に重要なエンドポイントにおいて既存治療と比較して大幅な改善が期待できることを示す必要があります。

本剤は現在、再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成を有する急性白血病を対象としたピボタルフェーズ 2 試験を実施中です。また、再発または難治性の NPM1 遺伝子の変異を有する急性骨髄性白血病を対象としたピボタルフェーズ 2 試験も実施しています。

当社は、enzomenib の早期承認取得を目指すとともに、患者さんにベストインクラスとなる新たな治療選択肢を一日でも早くお届けできるよう、引き続き本剤の開発を推進してまいります。

* 本件に関連するプレスリリースとして、以下を開示しています。

開発中の抗がん剤 enzomenib の急性白血病を対象としたフェーズ 2 試験の患者登録状況について
<https://www.sumitomo-pharma.co.jp/news/20260610.html>

(ご参考)

enzomenib について

enzomenib はメニンタンパク質と KMT2A(lysine methyltransferase 2A)タンパク質との結合を阻害する低分子経口剤です。KMT2A 遺伝子の再構成や NPM1 遺伝子の変異を有する急性骨髄性白血病では、メニンと KMT2A の結合による、造血幹細胞の維持に必要な遺伝子の異常発現が認められ、急性骨髄性白血病の発症・維持に関連しているといわれています。本剤は、非臨床試験において、メニンと KMT2A の結合を阻害することにより、それらの遺伝子の発現減少を介した抗腫瘍作用が示されました。また、FDA から、2022 年 6 月に急性骨髄性白血病、2026 年 7 月に急性リンパ性白血病の適応でオーフアンドラッグ指定を、2024 年 6 月に KMT2A 遺伝子の再構成または NPM1 遺伝子の変異を有する再発または難治性の急性骨髄性白血病の適応でファストトラック指定を受けています。さらに、厚生労働省から、2024 年 9 月に再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成陽性または NPM1 遺伝子変異陽性の急性骨髄性白血病、2026 年 8 月に急性骨髄性白血病における対象患者の範囲拡大(初発例を含む

KMT2A 遺伝子再構成または NPM1 遺伝子変異を有する患者)および再発または難治性の KMT2A 遺伝子再構成を有する急性リンパ性白血病の適応で希少疾病用医薬品指定を受けています。

以 上

○本件に関するお問い合わせ先

住友ファーマ株式会社

コーポレートコミュニケーション部 広報グループ

E-mail: prir@sumitomo-pharma.co.jp