

2025年1月10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 財務部長 久米 健太郎
TEL : 03-6661-9543
MAIL : ir@chorditherapeutics.com

再発難治性の急性骨髄性白血病（AML）の治療薬候補 rogocekib 米国における希少疾患指定受理のお知らせ

Chordia Therapeutics 株式会社（本社：神奈川県藤沢市、代表取締役：三宅洋）は、再発難治性の急性骨髄性白血病（AML）にて当社が開発を進めている CLK 阻害薬 rogocekib について、米国食品医薬品局（FDA）から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)を受理しましたのでお知らせします。

このたび受理した ODD は、米国では 1983 年に制定された Orphan Disease Act に基づき、米国内の患者数が 20 万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして指定される制度です。希少疾患治療薬が医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより、十分にその研究開発が進んでいない状況を踏まえ、安全かつ良質な医薬品を一日も早く医療の現場に提供することを目的に、開発を支援・促進することを目的に本制度は設定されました。

本指定により米国新薬承認申請時の申請費用の免除、臨床開発に係る連邦税の減免など、FDA からの各種薬事・研究費支援などの開発優遇・促進策が米国にて活用可能となるとともに、承認後には米国における 7 年間の排他的先発販売権が与えられ、rogocekib の商用化に向けての大きな一歩であると考えております。なお、業績への影響はありません。

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ンクラスの選択的な経口型の低分子阻害薬です。現在、米国の第 1 / 2 相臨床試験を実施しています。米国第 1 / 2 相臨床試験の詳細は clinicaltrials.gov/ (NCT05732103)をご参照ください。

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。私たちの主要なパイプラインである CLK 阻害薬 rogocekib 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、小野薬品工業に導出された MALT1 阻害薬 CTX-177 (ONO-7018) に加え、特定のがん変異に対する 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に取り組んでいます。

詳細については、<https://www.chordiatherapeutics.com/>をご覧ください。