

nAMD患者さんを対象とした KHK4951 Phase 2試験トツプラインデータ

2026年9月9日

Chief Medical Officer (CMO) 鳥居 義史

協和キリン株式会社

NCT06116890



KYOWA KIRIN

本資料には、当社(国内外の連結子会社を含む)の見通し、目標、計画など、将来に関する記述が含まれています。これら将来に関する記述は、当社が現時点において入手している情報や予測をもとになされた当社の合理的な判断に基づくものですが、実質的にこれら記述とは大きく異なる結果を招く不確実性を含んでいます。

これら不確実性には、国内外製薬業界の事業活動に潜在するリスク、知的財産権にかかるリスク、副作用に関するリスク、法的規制リスク、製品の欠陥等の発生リスク、原燃料価格の変動リスク、製品市況価格の変動リスク、為替・金融市場の変動リスクなどが含まれますが、これらに限定されるものではありません。

本資料は、投資家の皆様に向けて情報を提供することを目的としたものであり、内容には医薬品(開発中の製品を含む)に関する情報が含まれておりますが、宣伝広告や医学的アドバイスを目的としているものではありません。

Vision 2030

協和キリンは、イノベーションへの情熱と多様な個性が輝くチームの力で、日本発のグローバル・スペシャリティファーマとして病気と向き合う人々に笑顔をもたらすLife-changingな価値*の継続的な創出を実現します。

アンメット メディカルニーズを 満たす医薬品の提供

抗体技術の進化へ挑戦を続けることに加え、多様なモダリティを駆使し協和キリンの強みを生かした創薬により、有効な治療法のない病気の治療に取り組んでいきます。

患者さんを中心においた 医療ニーズへの対応

医薬品事業で培った疾患に関する知見と最先端の科学・技術の応用に努め、病気と向き合う人々のニーズを基点にした新たな価値を共創することで社会の医療ニーズに応えていきます。

社会からの信頼獲得

常に信頼され、成長が期待される企業であり続けるため、世界トップクラスの製品品質とオペレーショナルエクセレンスを追求し続けます。

* 病気と向き合う人々の満たされていない医療ニーズを見出し、その課題を解決するための新たな薬やサービスを創造し、提供することで、患者さんが「生活が劇的に良くなった」と感じ笑顔になること

KHK4951

新生血管型加齢黄斑変性、糖尿病黄斑浮腫を対象として開発中
硝子体内注射が標準治療（SOC¹）となっている疾患領域において、初の抗VEGF点眼治療となる可能性を追求

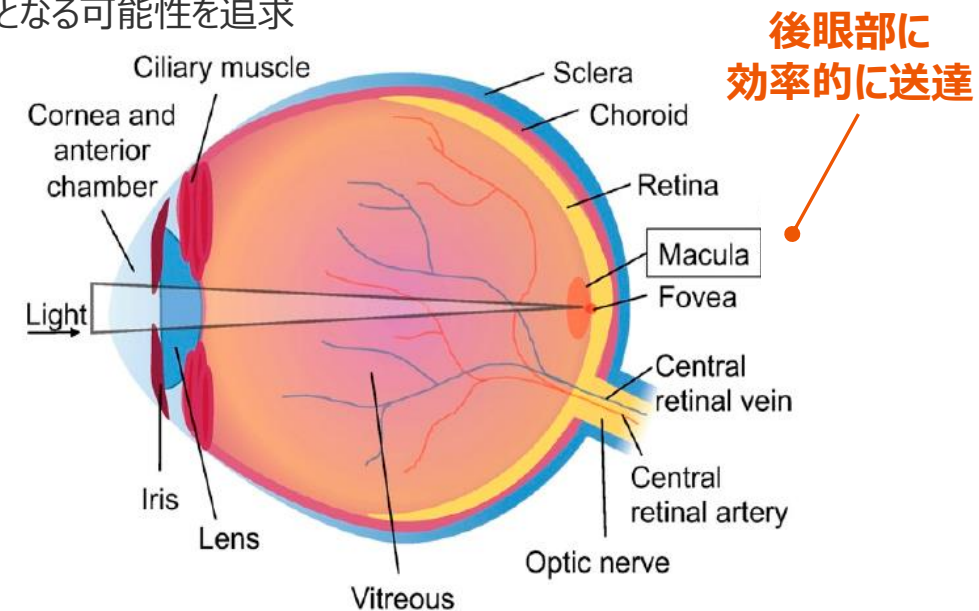
Lancet 2012; 379: 1728–38



KHK4951



Tivozanibを
ナノクリスタル化



疾患領域

眼科



モダリティ

低分子医薬品
（点眼薬）



商業化基盤

戦略的パートナーリング
を検討

市場性 | 新生血管型加齢黄斑変性（nAMD）

グローバル



患者数

267万人



既存市場規模²

1兆円~

市場性 | 糖尿病黄斑浮腫（DME）

グローバル



患者数

222万人



既存市場規模²

5千億円~1兆円

KHK4951 P2 試験結果の概要

当社が設定した製品プロファイル上の目標を達成
点眼薬中心の維持療法戦略の可能性を示唆する結果を得た

有効性

低用量群を含む全ての投与群において、追加のレスキュー IVT注射¹を必要とせずに、約**65～69%の被験者が52週時点でBCVA²の15文字以内の低下で視力を維持**

主要評価項目

8週から52週までのBCVAが15文字以上低下した被験者の割合について、用量群間で統計学的に有意な差は認められなかった

安全性および 忍容性

本試験において、新たな安全性シグナルは認められなかった

副次評価項目

いずれの群においてもBCVAおよびCST³は安定して推移した

1. 硝子体内注射 (IVT = Intravitreal) ; 2. Best-Corrected Visual Acuity (最高矯正視力) ; 3. Central Subfield Thickness (中心窩網膜厚)

nAMDにおける点眼維持療法の臨床的ニーズ

01

継続的な治療が必要な疾患

nAMDは、長期的な視力維持のために継続的な抗VEGF薬の硝子体内注射治療と経過観察を必要とする

02

現行治療の負担

硝子体内注射による治療は、繰り返しの注射、専門医療機関への定期的な通院、患者さんの移動およびそのサポートなど、患者さん・医療従事者の皆様に大きな負担をもたらしている



KHK4951が目指す姿

硝子体内注射による導入治療後の点眼薬中心の維持療法（視力の維持、硝子体内注射回数の低減、必要時のみレスキュー治療）を目指す

点眼維持療法としてのKHK4951の治療コンセプト

現行の硝子体内注射による維持療法

- 硝子体内注射の投与間隔の延長が中心
- 専門センターでの繰り返しの処置が必要
- 注射・通院に伴う負担が継続



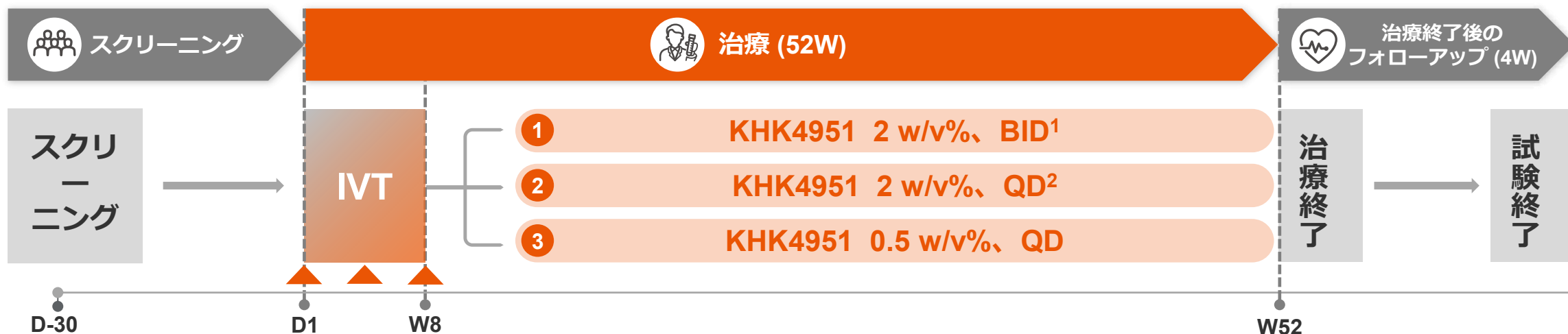
KHK4951で目指す点眼維持療法モデル

- **維持療法**は毎日の点眼薬を中心に行う
- 毎日の自己管理、必要に応じて専門的なレスキュー治療
- 注射回数および来院負担の減少の可能性

KHK4951 Phase 2試験のデザイン

投与量に応じて3つのグループを設定した

1. 1日2回投与; 2. 1日1回投与



概要	
研究目的	- 異なる用量でのKHK4951の有効性と安全性を評価すること - 第3相試験に最適なKHK4951用量を決定する
主要評価項目	KHK4951投与群間の優位性評価：W8からW52の間にBCVAが15文字以上低下する症例の割合に統計的に有意な差を示す
対象患者	- 治療未経験者の患者 - 抗VEGF薬による治療歴のある患者
サンプルサイズ	KHK4951投与を受ける症例132名（プラセボ群設定無し）

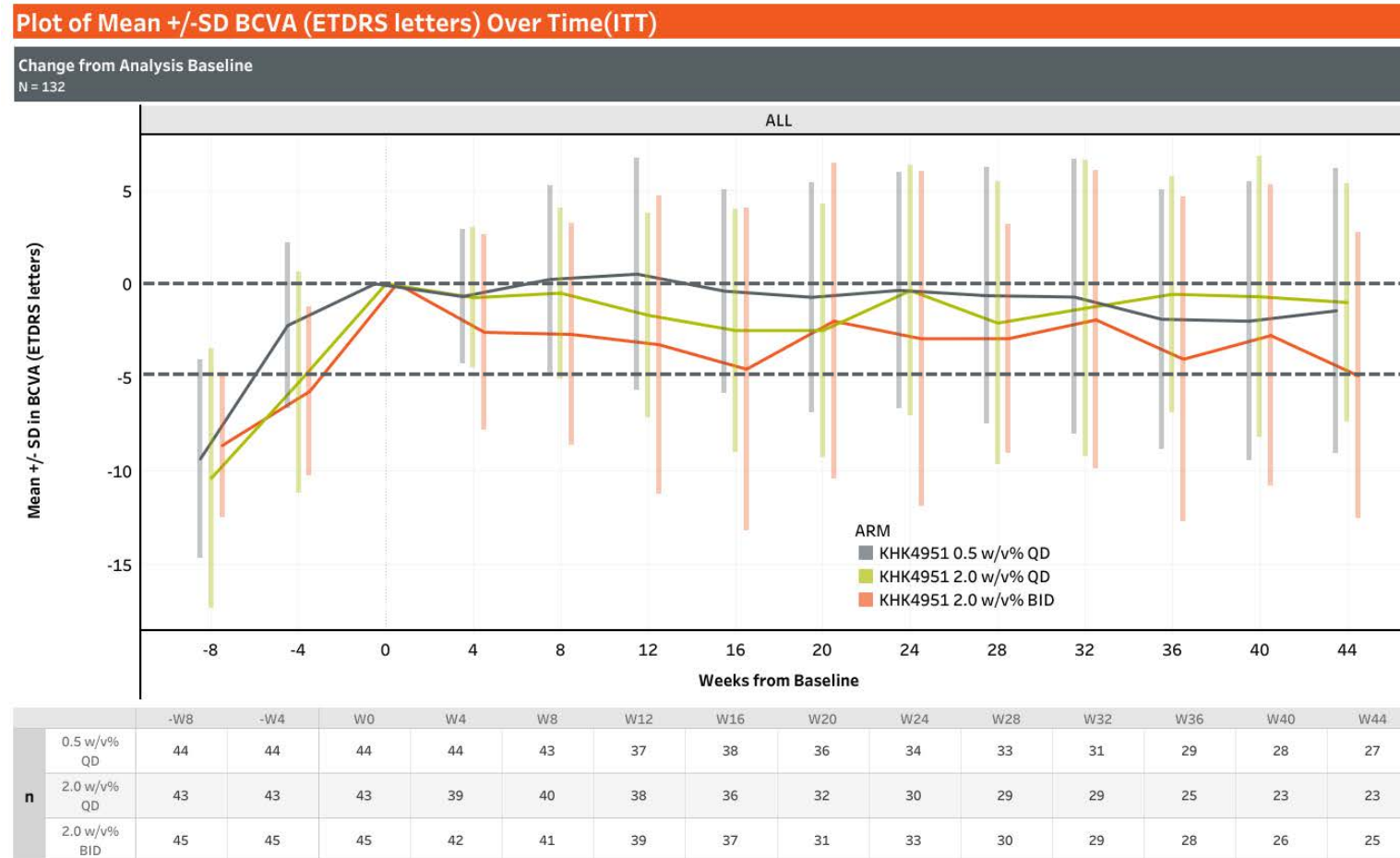
全ての投与群で約65～69%の症例が、追加のレスキューIVT注射を必要とせずにBCVAの15文字以内の低下で視力を維持

- 15文字以上の視力低下：31.1%(2.0% BID)、34.9%(2.0% QD)、31.8%(0.5% QD)
- 用量群間で有意な差は認められず、主要評価項目は満たされなかった

	KHK4951 0.5 w/v% QD (N = 44)	KHK4951 2.0 w/v% QD (N = 43)	KHK4951 2.0 w/v% BID (N = 45)
Participants Meeting Criteria	14	15	14
Proportion with Exact 95% CI (%)	31.82 (18.610, 47.578)	34.88 (21.008, 50.927)	31.11 (18.166, 46.649)
Difference (%) vs. 0.5 w/v% QD (Reference Dose)	—	3.07	-0.71
Adjusted Difference (%) (Stratified Newcombe 95% CI)	—	2.35 (-17.040, 21.558)	-0.43 (-19.213, 18.360)
p-value	—	NA	0.965

KHK4951投与期間におけるBCVAの平均変化量

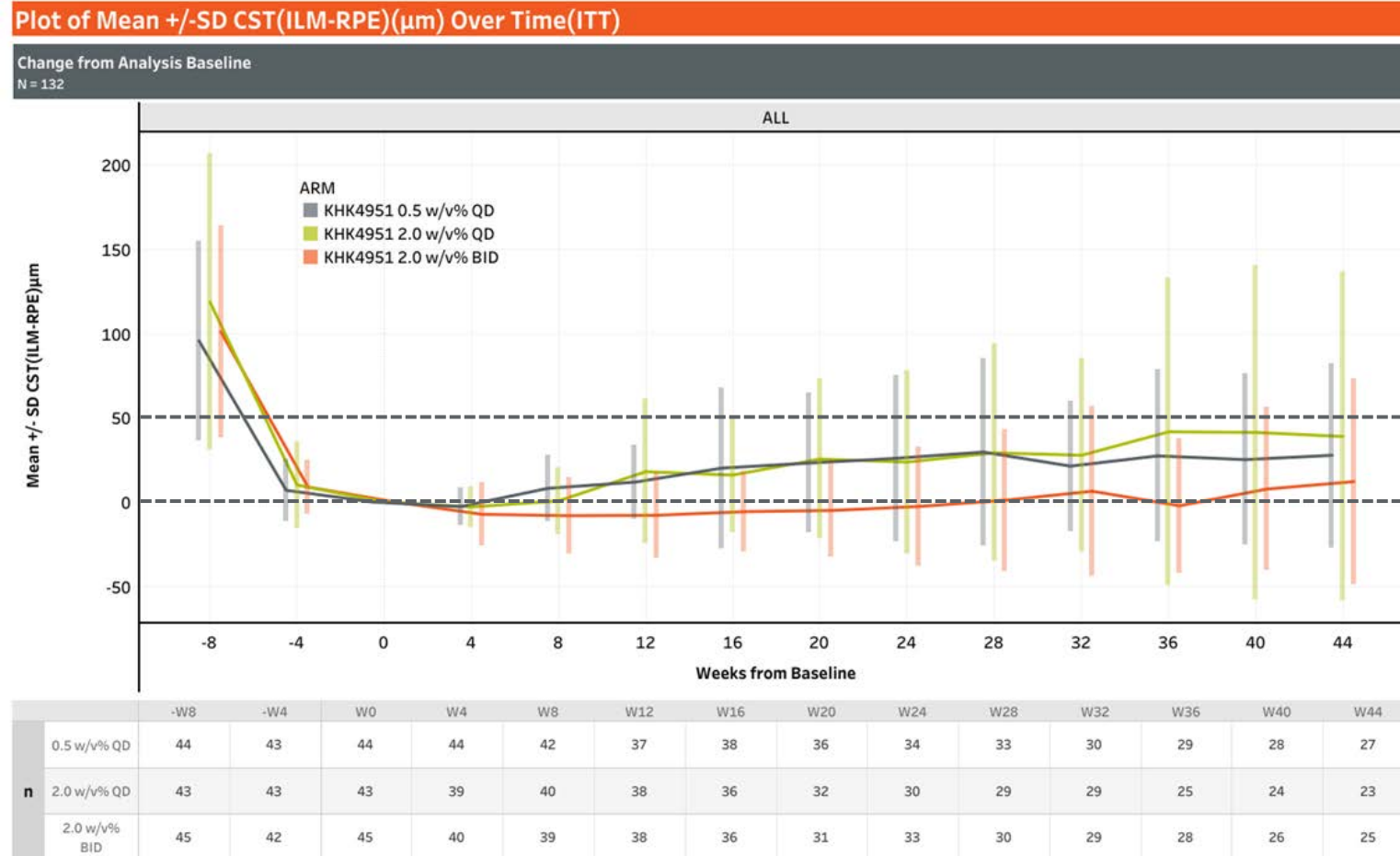
いずれの群においても平均BCVAはKHK4951投与開始時点から安定して推移した
用量群間のBCVA平均変化量に明確な差は認められなかった



KHK4951投与期間におけるCSTの平均変化量

いずれの群においても平均CSTはKHK4951投与開始時点から安定して推移した
一方で用量群間のCST平均変化量に明確な差は認められなかった

ILM:内境界膜
RPE:網膜色素上皮



安全性および忍容性

本試験では新たな安全性シグナルは認められなかった

評価項目	主な所見
眼局所	少数のドライアイおよび点状角膜炎が主に2.0% BIDコホートで観察された
全身性	KHK4951投与期間中、血圧上昇などの重大な新規シグナルは認められなかった
試験完遂	約70%が試験を完遂した。試験中止の主な理由は代替治療の必要性またはnAMDの進行（約15%）であった

点眼薬の維持療法に関する臨床的視点 — KOLコメント

KOLs	Feedbacks
Dr. Pieramici 	Although the absence of a true control group is the study's primary limitation, making it difficult to attribute the observed outcomes directly to the drug, Dr. Pieramici noted that approximately 70% of patients maintained vision (lost less than 3 lines vision or needed rescue) after induction therapy, which may be better than expected from observation alone.
Dr. Iida 	- Dr. Iida agreed Kyowa Kirin's interpretation that this result shows therapeutic effect of KHK4951. - Based on Ph2 result, Ph3 plan should be carefully considered. At this time, non-inferiority study to aflibercept 2 mg with appropriate rescue criteria is reasonable for Ph3 study.
Dr. Murata 	- It is exceeded our expectations that 70% of participants maintained their vision through Week 52 without any intravitreal anti-VEGF injections. This suggests that KHK4951 showed a therapeutic effect. - Even if there is a dose-dependent increase in the frequency of adverse events, these are manageable and acceptable compared to the invasiveness of intravitreal anti-VEGF injections.

総括および結論

当社が設定した製品プロファイル上の目標を達成
点眼薬中心の維持療法戦略の可能性を示唆する結果を得た

有効性

全ての用量群で約65～69%の被験者が52週
時点でBCVAの15文字以内の低下で視力を
維持した

用量群間差がつかず、主要評価項目は未達

副次評価項目

いずれの群においてもBCVAおよびCSTは安定し
て推移した

新たな治療戦略の可能性

患者さんや医療従事者の皆様の負担軽減につな
がる、点眼薬中心の維持療法戦略の可能性を提示

当社は本試験で得られた知見を踏まえ、本プログラムの価値最大化に向けて様々な選択肢を検討する

協和キリンは、疾患サイエンスと創薬テクノロジーを駆使して Life-changingな価値を継続的に創出する

Story for Vision 2030 より

疾患サイエンス

疾患のUMNs¹および原因、メカニズムを深耕

- ・満たされていない患者さんのニーズを起点に、治療の可能性を探索

KHK4951：頻回の硝子体内注射に依存しない維持療法という患者さんのUMNに着目

創薬テクノロジー

治療実現に最適なモダリティの応用

- ・研究と製剤技術の知見を組み合わせ、治療コンセプトを臨床で検証

KHK4951：tivozanibをナノクリスタル化して効率的な後眼部送達に挑戦



Life-changingな
価値の創出

KHK4951：戦略的パートナーリングアセット

注力する疾患領域以外のアセットーパートナーとの連携で価値最大化を実現

1. Unmet Medical Needs



～本資料のお問合せ先～

協和キリン株式会社
財務経理部 IRグループ

03-5205-7206 / ir@kyowakirin.com