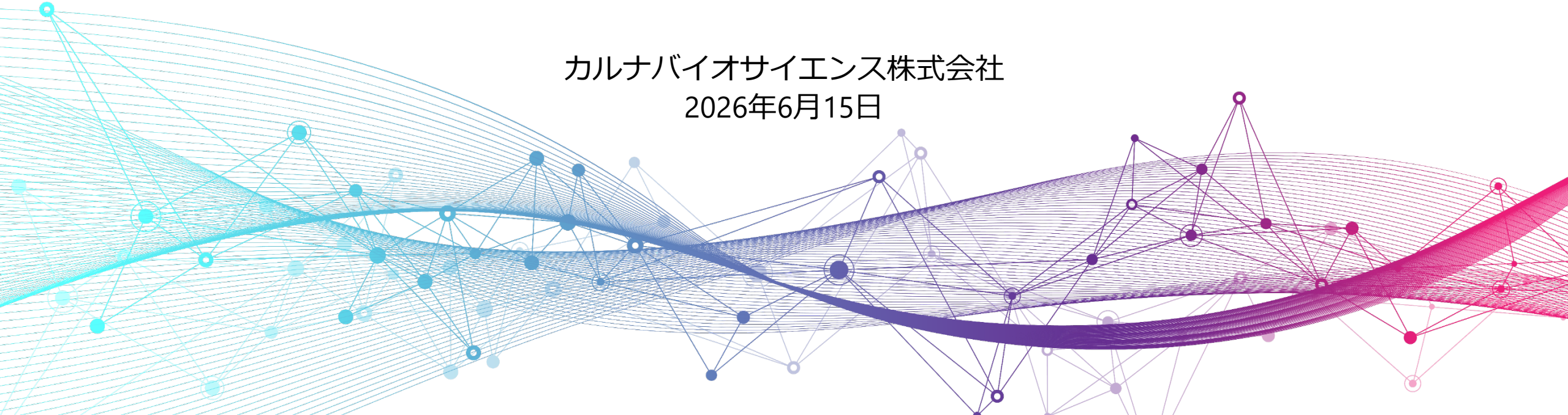


欧州血液学会 (EHA2026) 発表に関する補足説明

docirbrutinib (AS-1763)

フェーズ1b試験の途中結果

カルナバイオサイエンス株式会社
2026年6月15日





EHA2026において、docirbrutinibのフェーズ1b試験に関する最新データを発表しました
症例数の拡大後も、良好な安全性プロファイルおよび有効性が一貫して確認されています

フェーズ1b試験・途中結果



安全性

- ✓ 用量漸増パートにおいて良好な忍容性が確認されました
- ✓ 因果関係のあるグレード3以上の有害事象は10%と概して高い安全性を示しました



有効性

- ✓ CLL/SLL、MCL、WM*患者において、良好な奏効率が確認されました
- ✓ 暫定的な第2相試験推奨用量（RP2D）として、400 mg BIDが選択されました
- ✓ 有効性の検証に向けて、さらなる症例数の追加を進めています

※ WMは血中IgMレベルで抗腫瘍効果を評価

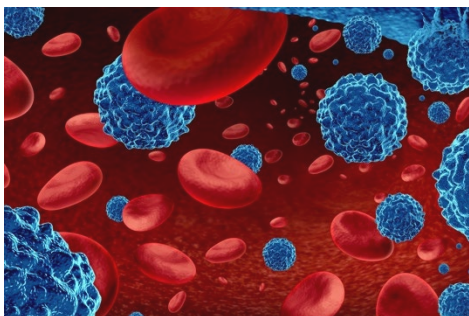
docirbrutinibは、良好な安全性とともに、2ライン以上の全身的治療を受けたCLL/SLL、MCLおよびWM患者において、有望かつ持続的な奏功を示し、新たな治療の選択肢となることが期待されます



docirbrutinib (AS-1763)

❗ docirbrutinibは、CLL/SLL等の血液がんの治療薬として、開発を進めています

これまでの試験結果から、既存のBTK阻害剤に薬剤耐性ができた患者にも効果が期待されることが示唆されています
現在はフェーズ1b試験を着実にすすめ、フェーズ2試験の早期開始を目指しています



対象疾患と目指す製品像

- B細胞性悪性腫瘍（CLL/SLL等の血液がんの一種）の治療を目的とした低分子経口薬（非共有結合型BTK阻害剤）
- 既存のBTK阻害薬が効かなくなった患者にも有効な薬剤
- 既存のBTK阻害薬が副作用により投与できなくなった患者にも投与可能な薬剤

想定される市場規模や競合薬

- 既存のBTK阻害薬の売上高の合計は現時点でも120億ドルを超え、今後の成長も期待されている
- 競合薬であるibrutinib（米AbbVie、Johnson & Johnson）の2024年における売上高は63億ドル
- acalabrutinib（英AstraZeneca）の2024年における売上高は31億ドル



開発状況およびイベント

- 2021年 ✓ 健常人を対象としたフェーズ1試験を開始(完了)
(オランダ)
全ての用量で安全性、忍容性、良好な薬物動態および薬力学プロファイルを確認
- 2023年 ✓ 患者を対象としたフェーズ1b試験を開始(実施中)
(米国)
フェーズ2試験における推奨用量の決定や最大耐用量の決定が目的
- 2026年 6月 ✓ 欧州血液学会にて発表
docirbrutinibのフェーズ1b臨床試験の最新データについて発表

docirbrutinibにおける次の目標

- 2026年 ○ パートナーの確保及びフェーズ2試験の早期開始



フェーズ1b試験について

フェーズ1b試験は、フェーズ2試験推奨用量の決定と探索的な有効性評価を目的としています

用語説明

2ライン以上の前治療歴のある患者

過去に2ライン以上の全身的治療を受けた患者を指します。一般に、有効性・安全性が確認されていない薬剤の初期臨床試験では、既存治療が効果を示さなくなったり、副作用により治療継続が困難となった患者において実施することが求められます

CLL/SLL

CLLは慢性リンパ性白血病、SLLは小リンパ球性リンパ腫を指します。これらは異常なリンパ球がどこで増えるかによって呼び名が異なりますが、同じ病気と理解されています

B-cell NHL

B細胞性非ホジキンリンパ腫を指します

用量漸増パート

低用量から投与を開始し、段階的に増量しながら、安全性と忍容性を評価し、副作用が忍容できる最大の用量（最大耐用量）や推奨用量を見極めることを目的とする試験パートです

3+3デザイン

1用量につき3人ずつ患者を登録し、副作用の発生状況に応じて次の用量に進むか判断する仕組みを指します

用量拡大パート

用量漸増パートで安全性や忍容性が確かめられた用量に基づき、より多くの患者で評価します

コホート

特定の条件を共有するグループを指します

pirtobrutinib

Eli Lilly社の開発した新薬（非共有結合型BTK阻害薬）です

試験の目的

フェーズ2試験推奨用量（RP2D）の決定と探索的な有効性評価

対象患者

2ライン以上の前治療歴があるCLL/SLL患者またはB-cell NHL患者

用量漸増パート

- 3+3デザインでの実施
- 1日2回投与 (BID)
- 100mg BID から 500mg BID まで患者登録完了

用量拡大パート

3コホートに患者をエントリー

- コホート1：CLL/SLL患者
- コホート2：B-cell NHL患者
- コホート3：pirtobrutinib前治療歴のある患者

コホート1 ※	コホート2	コホート3
用量レベルの設定と患者登録状況（現時点）		
300mg BID (患者登録完了)	300mg BID (患者登録完了)	400mg BID (患者登録中)
400mg BID (患者登録中)	400mg BID (患者登録中)	

※ コホート1 今後の登録方針

300mg BID、400mg BIDについて、当初計画に基づく10名の患者登録を完了。暫定的なRP2Dとして400 mg BIDが選択されたことから、より信頼性の高いデータを取得するため、400 mg BID にさらなる症例を追加予定

フェーズ2試験へ

フェーズ1b試験において、良好な安全性、忍容性が確認されています

「Grade 3 以上の有害事象」の割合



- ✓ 前回(ASH2025)における発表データから、新たに20人の患者が登録され、計58名が登録されました。
- ✓ 用量漸増パートにおいて、500mg BIDまで良好な忍容性が確認され、最大耐用量に到達しませんでした
- ✓ 患者データの増加も、治験薬に関連した心房細動や高血圧は認められておらず、また**Grade 3以上の有害事象（因果関係あり）の発生割合は10%**と、高い安全性が確認されています
- ✓ また、副作用が少ないことから多くの患者において投与が継続されており、既に複数の患者で投与期間が2年以上に達しています。(先行薬であるibrutinibは約41%の患者が投与中止となっており、その半数は副作用による中止であることが報告されています※)
- ✓ 今後、症例数のさらなる拡大を通じて、安全性の検証を継続する予定です

※ Mato AR, et al., Haematologica. 2018;103(5):874-879から引用

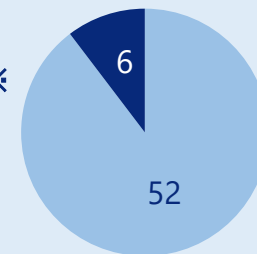
2026年5月8日時点



docirbrutinib

Grade 3 以上の有害事象※
(因果関係あり)

10%



	有害事象 (すべて) N (%)	有害事象 (因果関係あり) N (%)
すべての有害事象	51 (88)	37 (64)
Grade 3以上の有害事象	25 (43)	6 (10)
重篤な有害事象	14 (24)	2 (3)
有害事象による投与中断/減薬	21 (36)	3 (5)
有害事象による投与中止	1 (2)	1 (2)
有害事象による死亡	2 (3)	0 (0)

※ 当社の数値はフェーズ1b試験の途中結果（EHA2026発表データ）に基づく数値

Grade 3 の有害事象

重症または医学的に重大であるが、ただちに生命を脅かすものではない程度の副作用を指します

CLL/SLL 患者において、高い奏効率を示しています

● 前治療歴を有する患者に高い有効性が認められました

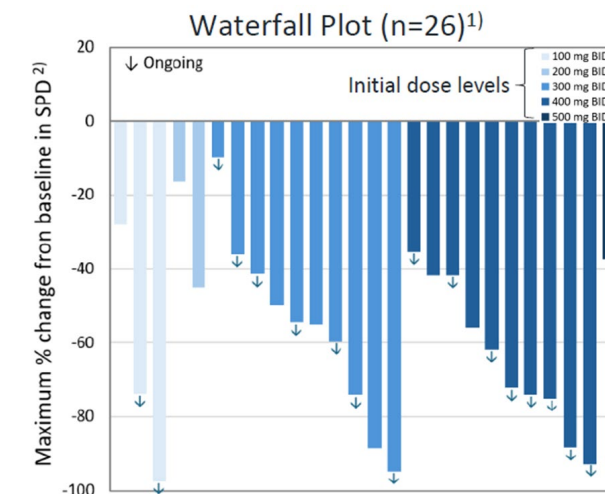
- ✓ 400 mg BID群において、cBTK阻害薬とBCL-2阻害薬の両治療歴のある患者も86%の全奏効率を示し、またcBTK阻害薬耐性変異を有する患者においても、4名中3名が部分奏功を達成しています(C481x, L528WやPLCG2変異を併せ持つ症例が含まれています)
- ✓ 有効性評価対象患者は28名 (ASH2025発表時+8名) となり、CLL/SLL患者の全奏効率は57% (ASH2025発表時40%) に向上し、400 mg BID群では73% (8/11名) となりました

● 以上より400mg BIDを暫定的な第2相試験推奨用量(RP2D)とし、引き続き症例集積を進めています

● pirtobrutinib前治療歴を有する患者 (コホート3)

- ✓ 全例 (3名) 投与継続中で、うち1名で安定を達成しております(2名は有効性の結果はまだ得られていません) 引き続き症例集積を継続しています

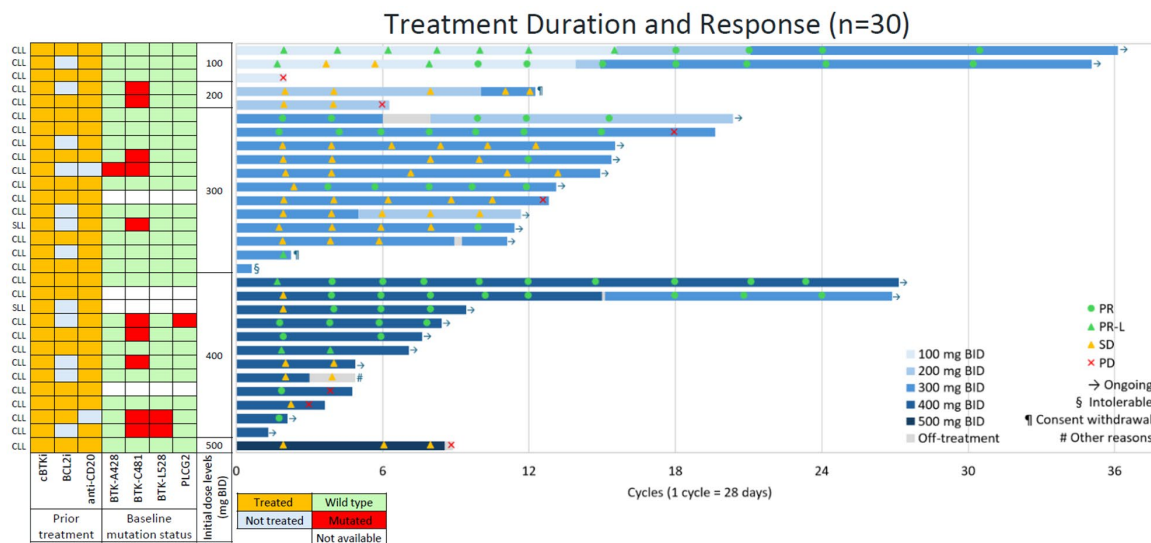
用量漸増パート及びコホート1に登録された CLL/SLL患者の有効性評価



Baseline mutation status	BTK-A428	BTK-C481	BTK-L528	PLCG2
1	Not available	Mutated	Not available	Not available
2	Not available	Mutated	Not available	Not available
3	Not available	Mutated	Not available	Not available
4	Not available	Mutated	Not available	Not available
5	Not available	Mutated	Not available	Not available
6	Not available	Mutated	Not available	Not available
7	Not available	Mutated	Not available	Not available
8	Not available	Mutated	Not available	Not available
9	Not available	Mutated	Not available	Not available
10	Not available	Mutated	Not available	Not available
11	Not available	Mutated	Not available	Not available
12	Not available	Mutated	Not available	Not available
13	Not available	Mutated	Not available	Not available
14	Not available	Mutated	Not available	Not available
15	Not available	Mutated	Not available	Not available
16	Not available	Mutated	Not available	Not available
17	Not available	Mutated	Not available	Not available
18	Not available	Mutated	Not available	Not available
19	Not available	Mutated	Not available	Not available
20	Not available	Mutated	Not available	Not available
21	Not available	Mutated	Not available	Not available
22	Not available	Mutated	Not available	Not available
23	Not available	Mutated	Not available	Not available
24	Not available	Mutated	Not available	Not available
25	Not available	Mutated	Not available	Not available
26	Not available	Mutated	Not available	Not available

- 4 pts are not included (no measurable lesions; early terminated before response assessment; not yet reached the first post-dose assessment point; data not yet available)
- SPD: Sum of products of diameters

CLL及びSLLの有効性は、それぞれiwCLL基準及びLugano基準に従い評価した。



有効性評価対象症例

ベースライン及び投与後に1回以上の腫瘍評価が実施され、データが入手可能な患者

全奏効率 (ORR)

PR、PR-LまたはCRを示した患者の割合を指します

cBTKi (covalent BTK inhibitor)

共有結合型BTK阻害剤

BCL2i (BCL2 inhibitor)

BCL2阻害剤

完全奏功 (CR)

腫瘍病変が完全に消失した状態

部分奏功 (PR)

リンパ節腫大、脾腫、リンパ球数などが50%以上減少しているが、完全奏功までには至らない状態

リンパ球増多を伴う部分奏功 (PR-L)

リンパ節腫大、脾腫などが50%以上減少しているが、リンパ球数の減少が基準に達していない状態

安定 (SD)

病勢が安定している状態

進行 (PD)

病勢が進行した状態



用語説明

MCL、WM患者において、高い奏効率が認められています

2026年5月8日時点

● MCL、WMに著効を示しました

- ✓ MCLでは全奏効率100%（7名中、3名は完全奏功）、WMでは全奏効率及び主要奏効率100%（4名）を示しており、それぞれcBTK阻害薬前治療歴を有する患者においても奏効が確認されています

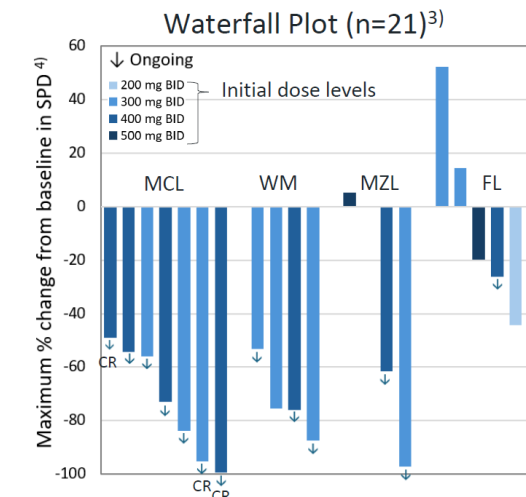
● NHL全体

- ✓ NHL患者は25名(MCL9名、WM患者4名、MZL患者6名、FL患者6名)で、36%はcBTK阻害薬前治療歴を有していました。有効性可能評価症例数は23名となりました。MZL及びFLの全奏効率はそれぞれ50%及び0%でした

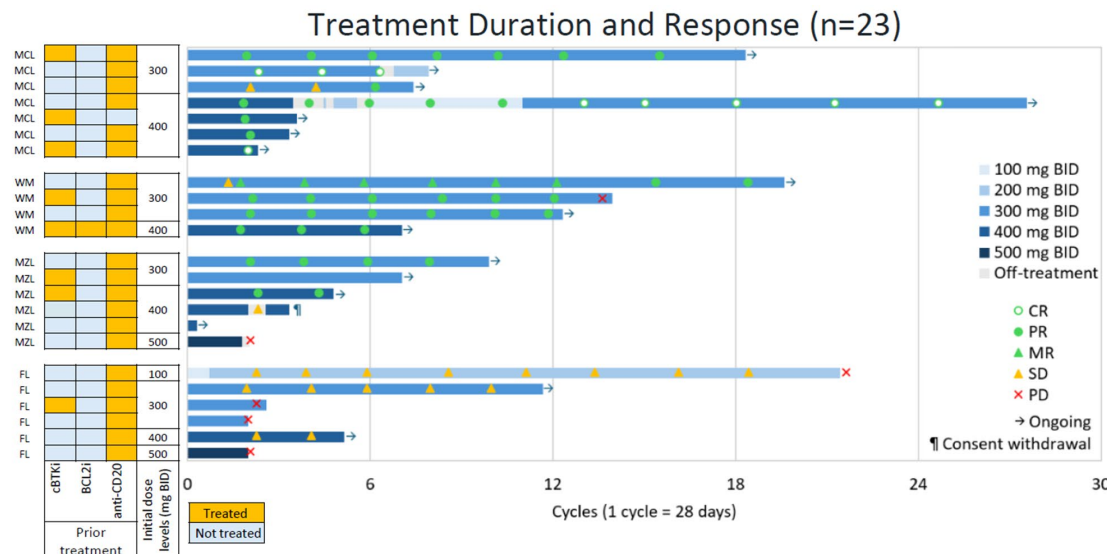
● pirtobrutinib前治療歴を有する患者（コホート3）

- ✓ 2名中1名が安定、1名が進行であり、引き続き症例集積を継続しています

用量漸増パート及びコホート2に登録された NHL患者の有効性評価



- 2 pts are not included (not yet reached the first post-dose assessment point; data not yet available)
- SPD: sum of products of diameters for MCL, MZL, and FL, serum IgM levels for WM



MCL、MZL及びFLの有効性はLugano基準、WMはIWWM6基準に基づいて評価された

用語説明

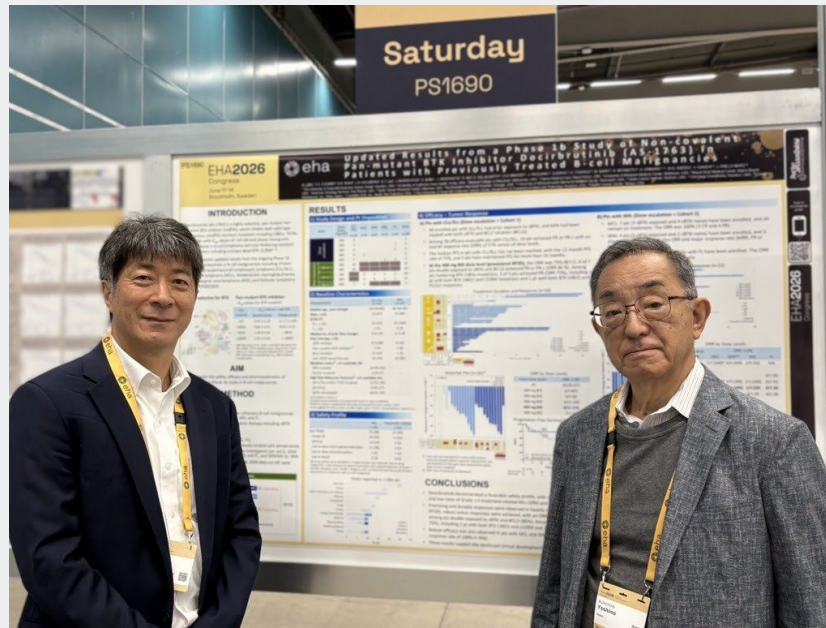
主要奏効率（WMの評価指標）

全奏効率は血中IgMレベルが25%以上低下したMinor Response（MR）以上を達成した割合を示しますが、主要奏効率は50%以上低下したPR以上を達成した患者の割合を表します

- MCL マントル細胞リンパ腫
- WM ワルデンシュトレーム・マクログロブリン血症
- MZL 辺縁帯リンパ腫
- FL 濾胞性リンパ腫



ポスター発表には多くの研究者・医療関係者が来場し、筆頭著者であるテキサス大学MDアンダーソンがんセンター白血病科教授 Nitin Jain 医師および当社メンバーによる説明や質疑応答が行われました



(左) テキサス大学MDアンダーソンがんセンター白血病科教授 Nitin Jain 医師



本資料は投資家の皆様への情報提供のみを目的としたものであり、売買の勧誘を目的としたものではありません
本資料における、将来予想に関する記述につきましては、目標や予測に基づいており、確約や保証を与えるものではありません
将来における当社の業績が、現在の当社の将来予想と異なる結果になることがある点を認識された上で、ご利用下さい
また、業界等に関する記述につきましても、信頼できると思われる各種データに基づいて作成されていますが、当社はその正確性、完全性を保証するものではありません
本資料は、投資家の皆様がいかなる目的に利用される場合においても、ご自身の判断と責任において利用されることを前提にご提示させていただくものです



カルナ《CARNA》は、ローマ神話に登場する人間の健康を守る女神で、cardiac（心臓）の語源とも言われています。バイオサイエンス
《BIOSCIENCES》は、生物科学と言われ、生物学（Biology）と生命科学（Life Science）から、つくられた言葉です。「生命科学の世紀」とも言われる21世紀の初めに、カルナバイオサイエンス社とともに新しい女神“カルナ”が誕生しました

カルナバイオサイエンス株式会社

経営管理本部 経営企画部

〒650-0047

兵庫県神戸市中央区港島南町1-5-5 BMA3F

<https://www.carnabio.com/>

ir-team@carnabio.com