



2026 年 8 月 25 日
Ultragenyx Japan 株式会社

報道関係各位

本資料は、米国 Ultragenyx 社が 2026 年 8 月 19 日(現地時間)に発表したプレスリリースの日本語訳として発表させていただきます。内容につきましては原本である英文が優先します。本資料は、企業情報の開示を目的としており、医療用医薬品、再生医療等製品または開発品のプロモーションを目的とするものではありません。

Ultragenyx、糖原病 Ia 型の根本原因に対する初の遺伝子治療薬 GENGLYCOS™が FDA 承認を取得

GENGLYCOS は Ultragenyx にとって初の遺伝子治療の承認であり、全体では 5 番目の FDA 承認となる。この承認により、長らく待ち望まれていた糖原病 Ia (GSDIa)患者の負担を軽減できる初の治療選択肢が提供される。

承認に伴い、Ultragenyx は FDA から Priority Review Voucher を取得した。

Ultragenyx は同日(8 月 19 日)、米国東部時間午後 6 時にカンファレンスコールを開催した。

カリフォルニア州ノバト、2026 年 8 月 19 日、Globe Newswire 発。Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE)は本日、米国食品医薬品局(FDA)が、糖原病 Ia 型(GSDIa)の 8 歳以上の小児及び成人患者を対象として、GENGLYCOS™(一般名: pariglasgene brecaaparvovec-opnr、開発コード: DTX401)に対する迅速承認を与えたことを発表しました。

※同社の日本法人である Ultragenyx Japan 株式会社は、2026 年 6 月 30 日に同治療法について、厚生労働省に製造販売承認を申請し、現在審議中です。

Ultragenyx の Chief Medical Officer である Eric Crombez, M.D.は、「GENGLYCOS の承認により、GSDIa の根本原因を直接標的とする初の治療法を提供するという当社の約束を果たすことができました。当社の臨床試験において患者が経験したコーンスターチへの依存度の低下は、この遺伝子治療が、絶食時または代謝ストレス時にグリコーゲンを正常に分解してブドウ糖を産生する機能をもたらすことを示しています。このブドウ糖調節機能によって疾患に起因する負担が軽減され、重篤または生命を脅かす低血糖のリスクを低減できる可能性があります。当社にとって初の遺伝子治療の承認となる GENGLYCOS は、重要な成果であり、希少疾患を抱える人々に変革をもたらす治療法を届ける強力な新しい手段の可能性を実現するものです」と述べています。

GSDIa は、肝臓から血流中へ放出されるブドウ糖を作り出す酵素の欠損によって発症する、極めてまれな遺伝性代謝疾患です。この酵素欠損により、肝臓は血糖値を調節する能力を失い、生命を脅かす可能性のある低血糖やその他の重篤な合併症を引き起こします。そのため、経口ブドウ糖補充療法として、生のコーンスターチを 24 時間体制で摂取するという負担の大きい厳格な栄養管理が必要となります。コーンスターチによる血糖管理は大まかな調節にとどまり、血糖値は大きく変動します。その結果、低血糖を避けるため、患者は 1 日のかなりの時間を著しい高血糖状態で過ごすこととなります。GSDIa の患者数は、商業展開が見込まれる地域において、米国で 1,500～2,500 人、世界で 6,000～8,000 人と推定されています。



「GSDIa の日常管理では、生のコーンスターチを絶えず摂取することと厳格な食事管理を行う必要があります。患者と家族にとって非常に大きな負担となっています。この管理をどれほど忠実に続けても、患者さんは常に完璧でなければなりません。コーンスターチを 1 回でも欠かすと、重篤な低血糖、痙攣発作、さらには死に至るリスクがあります」と、世界有数の GSDIa 専門家である David Weinstein 医師 (MMSc) は述べました。「GENGLYCOS の承認は GSDIa コミュニティにとって大きな前進であり、疾患を抱えて生活する人々の安全性と生活の質の向上を目指してきた約 30 年にわたる研究と科学的進歩を反映しています」と述べています。

また、The Children's Fund for Glycogen Storage Disease Research の共同創設者で現理事でもある David Feldman 氏および Wendy Feldman 氏は、次のように述べました。「GSDIa 患者の家族にとって、日々の生活は厳格なスケジュール管理や夜間の見守り、そして食事やコーンスターチの摂取が一度でも遅れれば生命を脅かす低血糖を引き起こしかねないという絶え間ない不安を中心に回っています。今回の承認は、この病気の負担を軽減し得る新たな治療法の研究を前進させるべく、何十年にもわたって希望を抱き、声を上げ、尽力してきた当事者コミュニティにとって、極めて意義深い節目となるものです。」

迅速承認を裏付ける臨床プログラムと市販後試験要件

GENGLYCOS の承認は、48 週間にわたる無作為化、二重盲検、プラセボ対照の第 III 相試験「Glucogene」で得られた良好なデータに基づいています。この試験では、8 歳以上の 46 名が DTX401 (1.0×10^{13} GC/kg) またはプラセボの投与を受け、治療群ではコーンスターチの必要量が減少しました ($p < 0.001$)。修正版 ITT (mITT) 解析対象は 44 名で、48 週の解析期間における有効性データは、DTX401 投与群 20 名、プラセボ群 24 名から得られました。48 週時点で、適格な参加者はもう一方の治療へクロスオーバーされました。クロスオーバー後も追跡が継続され、96 週および 144 週時点で解析が実施されました。

迅速承認の条件として、Ultragenyx は既存の GSDIa Disease Monitoring Program (DMP) を拡充し、治療を受けた 50 名と対照 20 名について、市販後 2 年間のオープンラベル治療から得られる安全性および有効性データを提供することに合意しました。対照群には、市販治療を希望したものの、抗 AAV8 抗体の存在により GENGLYCOS を投与できない患者が含まれます。この試験では、市販後の実臨床環境において患者が即時の血糖値をすぐに把握でき、医師がコーンスターチや食事をより迅速に調整できることから、コーンスターチ摂取に伴う臨床的負担の軽減、絶食への耐性、その他の指標を裏付けるためのさらなるデータを提供します。DMP は、これらの市販治療患者に加え、既に臨床試験で投与を受けた患者も対象として、全体で 10 年間の評価を行います。

適格患者へのアクセス支援

Ultragenyx は、登録患者および介護者が治療へのアクセスを進められるよう、支援プログラム「UltraCare®」を通じてサポートを提供します。現在このプログラムには、保険適用の理解、治療支援の取得、治療プロセスに関する質問への対応を支援する、特別な訓練を受けた「UltraCare Gene Therapy Guides」が含まれています。専任の社内ガイドは、米国東部時間の月曜日から金曜日まで、午前 9 時から午後 8 時まで、888-756-8657 で対応します。詳細は、www.ultracaresupport.com で確認できます。

GENGLYCOS は、遺伝子治療を安全に実施するための専門的な知識と訓練を備えた、全国の認定治療センター (Qualified Treatment Centers: QTCs) のネットワークを通じて提供されます。



GENGLYCOS は、マサチューセッツ州ベッドフォードにある Ultragenyx の遺伝子治療製造施設 (GTMF) のみで製造されます。これにより、Ultragenyx は高品質な遺伝子治療製品を生産拡大能力を強化し、患者へ可能な限り効率的に届けることができます。

詳細については、www.genglycos.com をご覧ください。

今回の承認は、長年にわたり多くの組織にまたがって尽力してきた卓越したチームの成果を反映するものです。Ultragenyx は、当社の臨床試験を可能にくださった患者の皆様、ご家族、臨床研究者の方々、初期研究および臨床試験全般にわたり極めて重要な基盤を築く科学的・臨床的リーダーシップを発揮された David Weinstein 博士、NIH における初期の取り組みを行った Janice Chou 博士、そして Dimension Therapeutics のチームに深く感謝しています。彼らの総意に基づく献身と忍耐により、科学的なビジョンは患者のための新たな治療選択肢へと変わりました。

投資家向けカンファレンスコールおよびウェブキャストに関するお知らせ

Ultragenyx は本日 (8 月 19 日)、米国東部時間午後 6 時/太平洋時間午後 3 時より、GENGLYCOS の承認について協議するカンファレンスコールを開催しました。このカンファレンスコールのライブおよび録画配信 (ウェブキャスト) は、Ultragenyx のウェブサイト (<https://ir.ultragenyx.com/events-presentations>) にてご覧いただけます。

適応症

GENGLYCOS (pariglasgene brecaparvovec-opnr) は、糖原病 I 型 a (GSDIa) を有する 8 歳以上の小児および成人患者において、栄養管理の補助として、コーンスターチの 1 日摂取量を低減させることを適応症としています。

本適応症は、コーンスターチの 1 日摂取量の低減に基づき、迅速承認制度の下で承認されています。本適応症の承認の継続は、検証試験において臨床的有用性が確認されることを条件とする場合があります。

重要な安全性情報

禁忌

GENGLYCOS は、重度の肝線維症または肝硬変が認められる患者には禁忌です。

警告および使用上の注意

過敏症および注入反応 (IRs)

- GENGLYCOS の投与により、アナフィラキシーや IRs を含む過敏症反応が認められています。重篤な反応も報告されています。蕁麻疹、潮紅、低血圧、気管支痙攣、呼吸困難、胸部圧迫感、悪心、嘔吐、頭痛、腹痛、ふらつき、インフルエンザ様症状、悪寒、発疹、高血圧などの過敏症や注入反応の徴候・症状を監視してください。
- アセトアミノフェンおよび非鎮静性抗ヒスタミン薬による前投薬を行い、推奨される注入速度に従って GENGLYCOS を投与してください。GENGLYCOS の注入中および注入終了後は、臨床的必要性に応じて患者を監視してください。アナフィラキシーや重篤な注入反応が認められた場合は、直ちに注入を中断し、臨床的必要性に応じて適切な処置を開始するとともに、必要に応じて患者の状態を監視してください。軽度から中等度の注入反応の場合は、注入速度を遅くするか一時的に中断することを検討し、臨床的必要性に応じて対症療



法を行ってください。症状が消失した後は、それまでの注入速度の半分の速度で注入を再開することができます。

- GENGLYCOS の投与中は、心肺蘇生用機器やアナフィラキシー治療薬（エピネフリン、抗ヒスタミン薬、副腎皮質ステロイドなど）を含む医療的支援体制を整えておいてください。

肝毒性

- GENGLYCOS の投与により、アラニンアミノトランスフェラーゼ（ALT）および／またはアスパラギン酸アミノトランスフェラーゼ（AST）値の上昇を伴う免疫介在性肝毒性が認められています。既存の肝機能障害または急性ウイルス性肝炎を有する患者への投与は避けてください。
- GENGLYCOS の投与前に、肝疾患に関する既往歴を確認し、診察および臨床検査により肝機能を評価してください。患者に対し、倦怠感、黄疸、濃色尿、悪心、嘔吐、右上腹部痛などの肝毒性の徴候や症状が認められた場合には、直ちに報告するよう指導してください。肝反応を軽減するため、GENGLYCOS 投与後のすべての患者にコルチコステロイドを投与してください。トランスアミナーゼ値が上昇した場合は、コルチコステロイドの増量や減量期間の延長など、コルチコステロイドによる治療計画の調整が必要となることがあります。
- GENGLYCOS 投与後最初の 6 ヶ月間は、トランスアミナーゼ値をモニタリングしてください。トランスアミナーゼ値の上昇が認められた患者については、値がベースラインに戻るまで、または臨床的に必要と判断される期間、継続してモニタリングを行ってください。

副腎機能不全

- コルチコステロイドの投与中および漸減中に、GENGLYCOS の投与を受けた患者において、重篤な症例を含む副腎機能不全が報告されています。
- 副腎機能不全の徴候および症状には、疲労、倦怠感、食欲不振、悪心、嘔吐、低血圧、低ナトリウム血症、低血糖が含まれます。副腎クリーゼでは、重度の低血圧、急性腹痛、意識消失がみられることがあります。
- コルチコステロイド療法およびその減量中・減量後に GENGLYCOS を投与する際は、副腎機能不全および副腎クリーゼの徴候や症状について患者を観察してください。コルチコステロイド療法は段階的に減量してください。急激に中止しないでください。

AAV ベクターの組み込みおよび腫瘍形成リスク

- AAV ベクター DNA がゲノムへ組み込まれることにより、腫瘍形成につながる理論上のリスクがあります。
- GENGLYCOS は、増殖能を持たない組換え AAV8 ベクターから構成され、その DNA は主にエピソーム形態で残存します。組換え AAV ベクター DNA がヒト DNA ヘランダムに組み込まれた事例は、AAV 遺伝子治療で報告されています。個々の組み込み事象の臨床的意義は不明ですが、個別の組み込みが腫瘍形成リスクへ寄与する可能性は認識されています。GENGLYCOS 投与患者に腫瘍が発生した場合、医療従事者は Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (1-888-756-8657) へ連絡し、報告してください。

副作用

- 試験 1 の主要有効性評価期間（PEAP、1～48 週）では、重篤な有害事象が 7 件確認されました。内訳は、アナフィラキシーまたは注入反応 2 件、副腎機能不全 2 件、高乳酸血症 2 件、低血糖 1 件です。



- この期間中、GENGLYCOS 群でプラセボ群より頻度が高く、患者の 10%以上に発生した主な副作用は、ALT または AST 上昇:71%、悪心:38%、高トリグリセリド血症:29%、頭痛:24%、副腎機能不全:24%、便秘:19%、にきびまたはざ瘡様皮膚炎:19%、高血糖:14%、クッシング様徴候:14%、アナフィラキシー:10%

薬物相互作用:

ワクチン接種

- 免疫抑制療法に伴い、ワクチン接種の予定を調整する必要がある場合があります。GENGLYCOS 投与前 1 か月間はワクチン接種を避けてください。

特定の集団への使用:

妊娠

- 妊娠中は GENGLYCOS を使用しないでください。妊婦への使用データはありません。妊婦に投与した場合に胎児へ害を及ぼすか、また生殖能力へ影響するかは不明です。

避妊

- 妊娠可能な女性は、GENGLYCOS 投与後少なくとも 12 か月間、効果的な避妊を行う必要があります。
- 男性は GENGLYCOS 投与後 6 か月間、精液を提供してはいけません。また、生殖能力のある男性とその女性パートナーは、効果的な避妊により妊娠を防止するか、妊娠を延期する必要があります。

患者への追加説明:

ベクター排出

- 投与後、血液中へのベクター分布、および尿、便、唾液中へのベクター排出が起こる可能性があります。患者または介護者には、患者の排泄物を扱う際の適切な衛生管理を説明してください。これらの注意は投与後 3 か月間続ける必要があります。

処方薬による副作用については、FDA の「MedWatch」(www.fda.gov/medwatch、または 1-800-FDA-1088)へ報告できます。また、Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (1-888-756-8657)にも報告できます。

GENGLYCOS の完全な添付文書を参照してください。

糖原病 I 型 a (GSDIa) について

GSDIa は、G6PC 遺伝子の病的変異によって生じる、先天性糖質代謝異常による極めてまれで重篤かつ生命を脅かす疾患です。同遺伝子がコードする G6Pase は、グリコーゲンなどの代謝源からブドウ糖を放出するうえで重要な酵素です。

G6Pase 活性が欠損すると、食事間および夜間の絶食時に重度の低血糖が起こり、肝臓への過剰なグリコーゲン蓄積、代謝異常、その他の疾患関連合併症につながります。

コーンスターチは、血漿ブドウ糖濃度の急激で重篤な低下を防ぐ外因性ブドウ糖源として、昼夜を通じた GSDIa 管理に不可欠です。ただし、現在の管理方法は患者と家族に大きな負担を伴います。



Ultragenyx について

Ultragenyx は、重篤な希少・超希少遺伝性疾患に対する革新的な治療法を、患者へ届けることに取り組むバイオ医薬品企業です。Ultragenyx は、根本的な疾患原因を対象とした承認薬や治療候補薬が通常存在しない、満たされていない医療ニーズが高く、明確な生物学的根拠を持つ疾患を対象とする、多様な承認済み医薬品および開発品のポートフォリオを構築しています。

Ultragenyx は、希少疾患治療薬の開発・商業化に豊富な経験を持つ経営陣によって運営されています。開発期間とコストの効率化を戦略の中核に据え、安全性と有効性を備えた治療法を、最大限の緊急性をもって患者へ届けることを目指しています。

詳細: www.ultragenyx.com

将来予想に関する記述およびデジタルメディアの利用

本文書に含まれる過去の事実以外の事項には、GENGLYCOS の上市、提供状況、市場受容性、遺伝子治療製造施設における同製品の製造能力、生産拡大および QTC への供給能力、保険適用と償還、GENGLYCOS の安全性・有効性・持続性・潜在的利益、GSDIa 患者数の推計、市場規模、市販後 DMP その他の市販後要件の設計・登録・時期・実施・結果、ならびに FDA 要件を満たし迅速承認を維持する能力に関する記述が含まれます。

これらは、1995 年私訴証券改革法の「セーフハーバー」条項にいう将来予想に関する記述です。実際の結果は、こうした記述で明示または示唆された内容と大きく異なる可能性があります。

主なリスクには、上市と市場受容、適格患者の特定、QTC ネットワークの構築・支援、保険適用と償還、重篤または望ましくない副作用、AAV 遺伝子治療に伴うリスク、製造・供給リスク、DMP その他の市販後要件を期限内に完了し臨床的利益を確認する能力、FDA による適応症変更や追加要件の付加、臨床的利益が確認されない場合または要件を満たせない場合の迅速承認撤回、想定を下回る市場規模、競合治療、製造物責任、規制当局による監視などがあります。

Ultragenyx は、将来予想に関する記述を更新または修正する義務を負いません。詳細なリスクと不確実性については、2026 年 8 月 5 日に SEC へ提出された Form 10-Q、およびその後に提出された定期報告書を参照してください。

Ultragenyx は SEC 提出書類、プレスリリース、投資家向けカンファレンスコールに加え、投資家向けウェブサイトおよび LinkedIn を通じて、投資家にとって重要とみなされる情報を公開しています。

本件に関するお問い合わせ先:

Ultragenyx Japan株式会社 広報事務局 (株式会社ジャパン・カウンセラーズ内)

メール: ultragenyx_pr@jc-inc.co.jp