

報道関係各位

Ultragenyx、長鎖脂肪酸代謝異常症（LC-FAOD）治療薬 「ドジョルビ内用液 100%（一般名：トリヘプタノイン）」の 日本における製造販売承認を取得

Ultragenyx Japan 株式会社（本社：東京都江東区、代表取締役社長：桐谷 忠）は、本日、長鎖脂肪酸代謝異常症（LC-FAOD）に対する治療薬として、「ドジョルビ内用液 100%（一般名：トリヘプタノイン）」の日本における製造販売承認（医薬品の条件付き承認制度適用）を取得したことをお知らせいたします。本剤は、LC-FAOD に対する国内で初の薬物療法の選択肢となります。

LC-FAOD は、長鎖脂肪酸のミトコンドリア内取り込みや β 酸化に関与する酵素の遺伝子異常により、主に心筋・骨格筋・肝臓などの主要な臓器にエネルギー不足や代謝物の蓄積を引き起こす先天性代謝異常症です¹。主な臨床像として、横紋筋融解、低ケトン性低血糖、心筋症などを呈し、急性期には入院治療を要することもあります^{2,3}。国内ではこれまでに承認された薬物療法がなく、MCT（Medium Chain Triglycerides, 中鎖中性脂肪）補充などの食事療法が中心でした⁴。

LC-FAOD の患者さんは、体内での長鎖脂肪酸のエネルギー変換に障害をきたします。本剤は、LC-FAOD 患者さんに対して迅速かつ効率的なエネルギー源となる、高度に精製された合成奇数鎖中鎖脂肪酸です。

本承認は、主に健康成人を対象とした海外第 1 相試験、LC-FAOD の小児および成人を対象とした 2 つの海外第 2 相非盲検試験（CL201 試験、CL202 試験）の成績に基づいています。これら 2 つの第 2 相試験において、投与前と比較して、横紋筋融解などの主要臨床イベント（MCE：Major Clinical Events）の年換算発現頻度および発現日数の低下が示されました。なお、日本も参加している国際共同第 3 相試験が現在進行中です。

主な有害事象は消化管関連（下痢、嘔吐、腹痛等）で、多くは軽度～中等度でした。重篤な有害事象は基礎疾患に関連するイベントが大半であり、本剤投与に起因した新たな安全性上の重大な懸念は示されませんでした。

本剤の承認に際し、Ultragenyx Japan 株式会社代表取締役社長 桐谷忠は次のように述べています。
「このたび、本剤が医薬品の条件付き承認制度のもと、LC FAOD の医療上の緊急性と高い未充足ニーズが認められたうえで承認されたことを心より嬉しく思います。これまで治療選択肢が限られていた LC-FAOD の患者さん、そして日々支えてこられたご家族にとって、本剤が少しでも希望につながる存在となることを願っています。

当社は、患者さんご家族の声に耳を傾けながら、希少疾患と向き合う皆さまの生活の質向上に貢献できるよう、今後も真摯に取り組んでまいります。」



ドジョルピ内用液100%の製品概要

| | |
|----------|---|
| 販売名 | ドジョルピ内用液 100% |
| 一般名 | トリヘプタノイン |
| 剤形・含量 | 1g中にトリヘプタノイン1gを含有する経口服液 |
| 効能又は効果 | 長鎖脂肪酸代謝異常症 |
| 用法および用量 | 通常、以下の計算式を用いて算出した本剤の1日総投与量を4回に分けて経口又は経管投与する。計算式における「DCIに対する本剤の割合」は、10%から開始し、2～3日毎に約5%ずつ増加させる。目標値は25～35%とするが、患者の状態に応じて適宜増減する。 1日総投与量（mL）＝1日あたりのカロリー摂取量（DCI）（kcal）×DCIに対する本剤の割合÷8.3（kcal/mL） |
| 作用機序（要約） | 本剤は、グリセリン骨格に奇数鎖脂肪酸であるヘプタン酸3分子が結合しており、経口投与後に生体内でヘプタン酸が生成される。ヘプタン酸からはTCAサイクルの基質であるアセチルCoAとTCAサイクルの中間体であるスクシニルCoAが生成されるため、本剤の投与により、LC-FAODにおけるTCAサイクルの機能が改善すると考えられる。 |

トリヘプタノイン（Triheptanoin）について

トリヘプタノインは合成中鎖脂肪酸で、3つの7炭素脂肪酸分子がそれぞれグリセロール骨格に結合した構造を持ちます。本剤はLC-FAODの治療薬として20年以上の臨床経験があり、2026年3月1日時点で、米国（2020年）、カナダ（2021年）、ブラジル（2021年）、メキシコ（2022年）、クウェート（2025年）で承認されています。

長鎖脂肪酸代謝異常症（LC-FAOD）について

長鎖脂肪酸代謝異常症（LC-FAOD）は、ミトコンドリアにおける長鎖脂肪酸のエネルギー変換に関与する酵素をコードする遺伝子の両アレルに疾患原因変異を有する、6つの常染色体劣性遺伝性疾患の総称です⁵。

特に、心臓、骨格筋、肝臓に影響を及ぼし、特徴的な症状として低ケトン性低血糖、心筋症、筋力低下が挙げられます⁶。主な症状は低ケトン性低血糖、心筋症、筋肉症状で、横紋筋融解症、代謝性アシドーシス、高アンモニア血症などの重篤な合併症を引き起こすことがあります。LC-FAODには、日本で承認された具体的な治療法はなく、長い空腹を避け、脂肪摂取を制限する食事療法や中鎖中性脂肪酸（MCT）の補充、減少した脂肪酸の輸送酵素をサポートするL-カルニチンの投与が行われたりしています⁴。

Ultragenyxについて

Ultragenyx Pharmaceutical Inc. は、重篤な希少遺伝子疾患および超希少遺伝子疾患の治療のための新しい治療法を患者さんに提供することに特化したバイオ医薬品企業です。アンメットメディカルニーズが高く、疾患のメカニズムが明らかで、かつ原疾患に対して承認された治療法が未だ無い疾患に対処することを目的に、承認された医薬品と治療薬候補の多様なポートフォリオを構築してきました。

当社は、希少疾患治療薬の開発と商業化の経験を持つ経営陣によって率いられています。その戦略は、緊急を要する患者さんに安全で効果的な治療法を提供することを目標とし、時間効率とコスト効率の高い医薬品開発を前提としています。詳しい情報は、当社のウェブサイトをご覧ください。 <https://www.ultragenyx.com/>



今後の見通しに関する記述およびデジタル・メディアの利用

本プレスリリースに記載されている過去よりの事実情報を除き、Ultragenyx の将来の営業成績および財務実績に関する期待および予測、トリヘプタノインに関する事業計画および目標、トリヘプタノインの忍容性および安全性に関する期待、ならびにトリヘプタノインの将来の臨床開発および薬事開発を含む、本プレスリリースに記載されている事項は、1995 年米国証券民事訴訟改革法の「safe harbor」条項に規定される意味における将来の見通しに関する記述です。こうした将来の見通しに関する記述には、当社の臨床開発プログラム、第三者との提携、将来の結果、業績または成果が、将来予想に関する記述によって明示または暗示されるものと大きく異なる可能性のある、相当なリスクと不確実性が伴います。

こうしたリスクと不確実性には、その他の事項に加え、有害な副作用に関連するリスク、当社に代わって特定の活動を行う第三者パートナーへの依存に関連するリスク、当社の製品および製品候補の市場機会が予想より小さいこと、製造リスク、特にトリヘプタノイン製造における単一ソースサプライヤーへの依存に伴うリスク、他の治療法または製品との競争リスク、当社が製品を国際的に販売するために商業インフラを拡大する能力に関連するリスク、当社製品の市場受容度、保険適用および償還に関連する不確実性、および事業運営資金として既存の現金、現金同等物および短期投資の充足度、当社の将来の営業成績および財務実績、臨床試験活動の時期およびその結果の報告、および Ultragenyx の製品および医薬品候補の入手可能性または商業的可能性に影響を与える可能性のあるその他の事項が含まれます。Ultragenyx は、将来の見通しに関する記述を更新または修正する義務を負いません。

実際の結果がこれらの将来見通しと異なる可能性のあるリスクと不確実性、ならびに Ultragenyx の事業全般に関連するリスクについては、2026 年 2 月 18 日に米国証券取引委員会（SEC）に提出された Ultragenyx の Form 10-K 年次報告書、および SEC に提出されたその後の定期報告書をご参照ください。

Ultragenyx は、SEC への提出書類、プレスリリース、公開会議等に加え、投資家向け広報ウェブサイトおよびソーシャルメディアを通じて、投資家にとって重要とみなされる可能性のある情報を含む当社に関する重要な情報を公開し、レギュレーション FD に基づく開示義務を遵守します。Ultragenyx の財務情報およびその他の情報は、Ultragenyx の投資家向け広報ウェブサイト (<https://ir.ultragenyx.com/>) および LinkedIn ウェブサイト

(<https://www.linkedin.com/company/ultragenyx-pharmaceutical-inc-/>) に定期的に掲載され、閲覧可能です。

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

参考文献

- ¹ 日本先天代謝異常学会診療ガイドライン、[newborn-mass-screening-disease-practice-guideline2019.pdf](#)
- ² Yamada K, Shiraishi H, Oki E, et al. (2018) Open-label clinical trial of bezafibrate treatment in patients with fatty acid oxidation disorders in Japan. *Mol Genet Metab Rep* 15: 55-63.
- ³ Yamada K and Taketani T (2019) Management and diagnosis of mitochondrial fatty acid oxidation disorders: focus on very-long-chain acyl-CoA dehydrogenase deficiency. *J Hum Genet* 64(2): 73-85.
- ⁴ Intractable Disease Research Group (2010) Metabolic Disease - Long-chain fatty acid metabolism disorder. Available at: <https://www.nanbyou.or.jp/entry/790>

-
- ⁵ Baker JJ and Burton BK (2021) Diagnosis and clinical management of long-chain fatty-acid oxidation disorders: A review. *touchREVIEWS in Endocrinology* 17(2): 108.
 - ⁶ Merritt JL, 2nd, MacLeod E, Jurecka A, et al. (2020) Clinical manifestations and management of fatty acid oxidation disorders. *Rev Endocr Metab Disord* 21(4): 479-493.