

報道関係各位

**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）」
新発売のお知らせ**

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、2026年3月23日付で「医薬品の条件付き承認制度」のもと、製造販売承認を取得した「ドジョルビ内用液 100%」（一般名：トリヘプタノイン、以下「ドジョルビ」）について、5月20日に薬価収載され、本日5月21日に発売したことをお知らせいたします。ドジョルビは、長鎖脂肪酸代謝異常症（LC-FAOD）に対して国内で初めて承認された治療薬となります。



「ドジョルビ内用液 100%」製剤写真

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。
「LC-FAOD は、生まれつき脂肪をエネルギーとして利用しにくい疾患で、空腹時や体調不良時に低血糖やエネルギー欠乏を生じやすいため、食事管理を中心とした生活管理が必要とされます。LC-FAOD と診断され、新たな治療法の登場を待ち望んでこられた方々とそのご家族にドジョルビをお届けできることを心より嬉しく思います。当社は、患者さんと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。」



ドジョルビ内用液100%の製品概要

販売名	ドジョルビ内用液 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剤
効能又は効果	長鎖脂肪酸代謝異常症
用法及び用量	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）
承認取得日	2026年3月23日
薬価基準収載日	2026年5月20日
発売日	2026年5月21日
薬価	734,770.00円／100%500mL1瓶

*: ドジョルビの製品情報は医療従事者専用のウェブサイト<https://www.ultragenyx.com/jp/>にてご覧いただけます。

トリヘプタノイン (Triheptanoin) について

ドジョルビは、炭素数7のヘプタン酸3分子がグリセロールで結合した合成中性脂肪で、LC-FAODに対して迅速かつ効率的なエネルギー源となります。経口摂取後に腸管内より吸収・代謝されたヘプタン酸は、長鎖脂肪酸とは異なり直接ミトコンドリア内に拡散移動し、生体エネルギー産生回路である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 を生成します。その後、速やかにTCAサイクルに入ることによって脂肪酸代謝の改善及びエネルギー産生の向上が期待されます。

ドジョルビは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¹。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²。

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^{3, 4}。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⁵。

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: <https://jsimd.net/pdf/newborn-mass-screening-disease-practice-guideline2019.pdf>
- ² 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.
- ³ 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.
- ⁴ 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.
- ⁵ Intractable Disease Research Group (2010) Metabolic Disease - Long-chain fatty acid metabolism disorder. Available at: <https://www.nanbyou.or.jp/entry/5429>