

低悪性度神経膠腫（Low Grade Glioma）に対する新たな治療薬 -*BRAF* 融合遺伝子を有する LGG に対する分子標的薬として日本で初めての選択肢- オジェンダ®（トボラフェニブ）が日本における製造販売承認を取得

- LGG は小児で最も一般的な脳腫瘍であり、長期的な神経学的障害や生活の質（QOL）に重大な影響を及ぼす可能性があります¹。
- オジェンダ®は、*BRAF* 遺伝子変異又は融合遺伝子を有する低悪性度神経膠腫（LGG）における新たな治療選択肢です。
- *BRAF* 融合遺伝子を有する LGG に対する分子標的薬として、日本で初めて使用可能となる治療薬です。
- オジェンダ®は II 型 RAF 阻害薬であり、週 1 回投与の分子標的治療薬です²。

日本・東京 – 2026 年 9 月 16 日

IPSEN 株式会社（本社：東京都、代表取締役社長：野田 征吾）は本日、オジェンダ®（一般名：トボラフェニブ）について、「*BRAF* 遺伝子変異又は融合遺伝子を有する低悪性度神経膠腫」を効能又は効果として、厚生労働省より製造販売承認を取得したことをお知らせいたします。

低悪性度神経膠腫（LGG）は、小児で最も頻度の高い脳腫瘍であり、患者さんの成長や発達の過程において長期的な影響を及ぼす可能性があります¹。特に視神経経路や脳深部に発生した腫瘍では、視機能障害、神経認知機能障害、内分泌異常などが生じ、患者さんとそのご家族の生活の質に大きな負担をもたらします¹。

オジェンダ®は、*BRAF* 遺伝子変異又は融合遺伝子を有する LGG に対して開発された週 1 回経口投与の II 型 RAF 阻害薬であり、日本における新たな分子標的治療の選択肢となります²。

「オジェンダ錠 100mg」「オジェンダドライシロップ 300mg」の 2 剤型があり、錠剤の服用が難しい低年齢の患者さんのためのドライシロップ剤も用意されています。

IPSEN 株式会社 代表取締役社長 野田 征吾は次のように述べています。

「低悪性度神経膠腫は、小児期から長期にわたり患者さんとそのご家族に大きな負担をもたらす疾患です。今回、低悪性度神経膠腫に対する新たな治療薬オジェンダ®の製造販売承認を取得できたこと、またオジェンダ®と共に日本の小児患者さんに新たな治療選択肢という光を灯すことができることを心より嬉しく思っております。今後も、患者さんとそのご家族のアンメットニーズに応える革新的な医薬品の提供を通じて、希少がんおよび小児がん領域におけるアンメットメディカルニーズの解決に取り組んでまいります。」

低悪性度神経膠腫（LGG）について

低悪性度神経膠腫（LGG）は、小児脳腫瘍の中で最も頻度が高く、小児中枢神経系腫瘍の重要なサブタイプの一つです¹。

疾患の進行は比較的緩徐であるものの、多くの患者さんは長期的な疾患管理を必要とし、再発や進行により複数回の治療介入を受ける場合があります¹。

近年の研究により、LGGの多くはMAPKシグナル伝達経路の活性化によって駆動されていることが明らかになっています。なかでもBRAF遺伝子変異や融合遺伝子は主要な発がんドライバーであり、重要な治療標的として注目されています²。

オジェンダ® (トボラフェニブ) について

トボラフェニブは、経口投与可能なII型RAF阻害薬です²。長い消失半減期を有し、週1回投与が可能であり、BRAF V600変異だけでなく、BRAF融合や再構成を含むRAF経路異常に対しても活性を示します²。また、中枢神経系への移行性を有し、BRAF遺伝子異常を有する低悪性度神経膠腫患者さんを対象として開発されました²。

FIREFLY-1 試験について

本承認は、第II相FIREFLY-1試験の結果に基づいています³。

FIREFLY-1試験は、BRAF遺伝子変異又は融合遺伝子を有する再発又は難治性低悪性度神経膠腫患者を対象とした国際共同多施設試験であり、トボラフェニブの有効性及び安全性が評価されました³。

最新解析では、独立中央判定によるRANO-HGG基準に基づく客観的奏効率（ORR）が71%を示しました。さらに、RAPNO-LGG基準によるORRは53%であり、奏効期間（DoR）の中央値は19.7か月でした³。

主な治療関連有害事象として毛髪色変化、血中クレアチンホスホキナーゼ増加、成長遅延、貧血等が報告されています³。詳細は最新の電子添文をご参照ください。

IPSEN について

当社は、オンコロジー、希少疾患、神経科学の3つの治療領域において、患者さんに革新的な医薬品を届けることを使命とするグローバル・バイオ医薬品企業です。当社のパイプラインは、社内外のイノベーションによって支えられており、約100年にわたる開発経験と、米国、フランス、英国に設置されたグローバル拠点により推進されています。40か国以上に展開する当社のチームと世界各国のパートナーシップを通じて、100か国以上の患者さんに医薬品をお届けしています。IPSENはパリ（ユーロネクスト：IPN）に上場しており、米国ではスポンサー付きレベルI米国預託証券（ADR：IPSEY）を通じて上場しています。詳細はipsen.comをご覧ください。

IPSEN お問い合わせ：03-6205-3483（メディカルインフォメーション，受付時間:平日 9:00～17:00）

免責事項および将来の見通しに関する記述

本資料に含まれる将来の見通しに関する記述、目的および目標は、イブセンの経営戦略、現時点での見解および仮定に基づいています。これらの記述には、既知および未知のリスクや不確実性が含まれており、実際の結果、業績または事象が本資料で予想される内容と大きく異なる可能性があります。上記のリスクはすべて、イブセンが財務目標を達成する将来的能力に影響を与える可能性があります。これらの目標は、現時点で入手可能な情報に基づき、合理的なマクロ経済状況を想定して設定されています。「信じる（believes）」「予想する（anticipates）」「見込む（expects）」および類似の表現は、将来の見通しに関する記述を特定する目的で用いられています。これには、規制当局への申請やその決定などの、イブセンが将来の出来事について持つ見込みが含まれます。さらに、本資料に記載された目標は、外部成長の想定や将来の買収の可能性を考慮せずに作成されており、これらにより目標の根拠や条件が変更となる可能性があります。これらの目的は、イブセンが合理的とみなすデータおよび前提に基づいています。これらの目標は将来起こりうる状況や事実に基づいており、過去のデータのみに依存するものではありません。特定のリスクや不確実性が生じた場合、実際の結果はこれらの目標から大きく逸脱する可能性があります。特に、開発初期

段階や臨床試験段階にある有望な医薬品が、規制上の理由や競争上の理由などにより、市場に投入されない、あるいは商業的目標を達成できない場合があります。イブセンは、自身の市場シェアの喪失につながる可能性のある後発医薬品との競争にほぼ確実に直面するか、または直面する可能性があります。さらに、研究開発プロセスには複数の段階があり、各段階においてイブセンが目標を達成できず、多額の投資を行った医薬品に関する取り組みを断念せざるを得ないという重大なリスクが伴います。したがって、イブセンは、前臨床試験で得られた良好な結果が臨床試験でその後確認される保証はなく、また臨床試験の結果が当該医薬品の安全性および有効性を十分に示すことを保証するものではありません。医薬品が必要な薬事承認を取得すること、あるいは商業的に成功する保証はありません。基礎となる前提が不正確であったり、あるいはリスクや不確実性が現実化した場合、実際の結果は将来の見通しに関する記述に記載された内容と大きく異なる可能性があります。その他のリスクおよび不確実性には、業界の一般的な状況および競争、金利・為替レートの変動を含む一般的な経済的要因、医薬品業界の規制や医療関連法の影響、医療費抑制に向けた世界的な傾向、技術進歩、新薬開発、競合他社による新薬および特許取得、薬事承認取得を含む新薬開発に内在する課題、イブセンが将来の市場状況を正確に予測する能力、製造上の困難または遅延、国際経済における金融不安定性およびサプライリスク、イブセンの革新的医薬品に対する特許およびその他の保護の有効性への依存、ならびに特許訴訟を含む訴訟および規制措置への曝露などが挙げられますが、これらに限定されません。また、イブセンは一部の医薬品の開発および販売を第三者に依存しており、これにより多額のロイヤリティが発生する可能性があります。これらのパートナー企業は、イブセンの事業活動や財務実績に損害を与えるような行動を取る可能性があります。イブセンは、パートナー企業が義務を果たすことを確約できません。また、これらの契約から何の利益も得られない可能性があります。イブセンのパートナー企業のいずれかが債務不履行に陥った場合、予想を下回る収益が生じる可能性があります。このような状況は、イブセンの事業、財務状況、業績に悪影響を及ぼす可能性があります。イブセンは、適用される法令により要求される場合を除き、本プレスリリースに含まれる将来の見通しに関する記述、目標、または見積もりを、それらの記述の根拠となる事象、条件、仮定、または状況の変化に応じて更新または修正する義務または約束を明示的に否認します。イブセンの事業は、フランス金融市場庁（Autorité des Marchés Financiers）に提出された登録書類に記載されているリスク要因の影響を受けます。ここに記載されているリスクおよび不確実性は網羅的なものではなく、読者は [ipsen.com](https://www.ipsen.com) で入手可能なイブセンによる最新のユニバーサル登録書類をご参照いただくことを推奨します。

参考文献・ソース

1. Jones DTW, et al. *Pediatric low-grade gliomas: next biologically driven steps*. Nat Rev Neurol. 2017.
2. Lassaletta A, et al. *Therapeutic and molecular advances in pediatric low-grade glioma*. Nat Rev Clin Oncol. 2022.
3. Ipsen. *Ojemda® (tovorafenib) receives positive CHMP opinion for the treatment of relapsed or refractory BRAF-altered pediatric low-grade glioma*. February 27, 2026