Press Release

オジェンダ®（トボラフェニブ）を日本で新発売
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に対する新たな治療薬

-BRAF 融合遺伝子を有する低悪性度神経膠腫に対する分子標的薬として、日本で初めての治療選択肢-

- 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）に対す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あり、II 型 RAF 阻害薬です。
- 低悪性度神経膠腫（Low Grade Glioma : 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、生活の質（QOL）に長期的な影響を及ぼす可能性があります。
- オジェンダ®は、錠剤及びドライシロップ剤の 2 剤形があり、いずれも週 1 回経口投与する治療薬です。

日本・東京 – 2026 年 11 月 13 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）を日本で販売開始したことをお知らせいたします。

オジェンダ®は、2026 年 9 月 16 日に「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ました。

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 を対象とする、週 1 回経口投与の II 型 RAF 阻害薬です。「オジェンダ錠 100mg」と「オジェンダドライシロップ 300mg」の 2 剤形があり、錠剤の服用が難しい低年齢の患者さんにも配慮したドライシロップ剤を用意しています。

IPSEN 株式会社 代表取締役社長 野田 征吾のコメント
「日本の小児患者さんとご家族の皆さまにオジェンダ®という新たな治療選択肢という光を灯すことができることを大変嬉しく思っております。オジェンダ®が低悪性度神経膠腫に罹患した患者さんとそのご家族の日々の生活におけるご負担を少しでも和らげることに貢献できるよう、医療関係者の方々と連携しながら尽力してまいります。」

海外臨床試験の成績等に基づく条件付き承認と適正使用への取り組み
低悪性度神経膠腫は、患者数が限られる希少ながんであり、日本人患者を対象とした臨床試験による十分なデータ収集には困難を伴います。オジェンダ®は、製造販売承認申請時点において、日本人患者を対象とした臨床試験成績がない中、海外第 II 相 FIREFLY-1 試験等の海外臨床試験成績に基づき、日本で条件付き承認されました。

承認条件として、本邦における承認用法・用量での薬物動態試験に加え、日本人の 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患者を対象とした製造販売後調査を実施し、本剤の有効性を確認することなどが定められています。IPSEN 株式会社は、これらの承認条件に基づくデータ収集と医療現場への情報提供を通じ、本剤の適正使用及び安全性確保に取り組んでまいります。

オジェンダ®の使用条件について
本邦における薬物動態試験の結果が得られるまでの間、オジェンダ®には安全性管理及び適正使用の観点から、施設要件及び医師要件が設定されています[2]。

施設要件
以下のいずれかに該当する施設
〈概ね 15 歳以下〉

- 小児がん拠点病院
- 小児がん中央機関
- 小児がん連携病院 1-A
- その他、日本小児血液・がん学会又は日本脳神経外科学会が認めた施設

〈概ね 16 歳以上〉

- 小児がん拠点及び連携病院
- がん診療連携拠点病院（都道府県又は地域）のうち以下の病院
  - がんゲノム医療中核拠点病院
  - がんゲノム医療拠点病院
  - がんゲノム医療連携病院
- 国立／公立がんセンター
- 医学部付属病院・研究所附属病院
- 脳神経外科専門研修基幹施設
- その他、日本小児血液・がん学会又は日本脳神経外科学会が認めた施設

医師要件
以下のいずれにも該当する医師

- 小児血液・がん専門医又は脳神経外科専門医であって、小児神経膠腫経験数 3 例以上を有するもの
- 製造販売業者提供の適正使用講習を修了している医師

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。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。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を対象として開発されました[2]。

日本における効能又は効果は「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」です[3]。

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。

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。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 71.0%を示しました[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。 詳細は最新の電子添文をご参照ください[3]。

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、イプセンの経営戦略、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、イプ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）」「予期する（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、イプ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、イプ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。イプセンは、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、各段階においてイプ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、イプセンは、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、イプ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ソブリンリスク、イプ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、イプ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ル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、イプ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。イプセンは、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。イプ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、イプセンの事業、財務状況、業績に悪影響を及ぼす可能性があります。イプセンは、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。イプセンの事業は、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 で入手可能なイプ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, Kieran MW, Bouffet E, et al. Pediatric low-grade gliomas: next biologically driven steps. Neuro Oncol. 2018;20(2):160-173.
2. IPSEN 株式会社. オジェンダ®適正使用ガイド. 2026 年 10 月作成（第 1 版）
3. IPSEN 株式会社. オジェンダ®錠 100mg／オジェンダ®ドライシロップ 300mg 電子添文. 2026 年 9 月作成（第 1 版）