

**ドジョルビ内用液 100%
に係る医薬品リスク管理計画書**

Ultragenyx Japan 株式会社

(別紙様式 2)

ドジョルビ内用液 100%に係る医薬品リスク管理計画書 (RMP) の概要

販売名	ドジョルビ内用液 100%	有効成分	トリヘプタノイン
製造販売業者	Ultragenyx Japan 株式会社	薬効分類	873999
提出年月		令和 8 年 9 月 1 日	

1.1. 安全性検討事項		
【重要な特定されたリスク】	【重要な潜在的リスク】	【重要な不足情報】
該当なし	胚・胎児毒性	該当なし
1.2. 有効性に関する検討事項		
LC-FAOD の小児患者における主要臨床イベント (MCE) に対する、偶数鎖中鎖脂肪酸トリグリセリド (MCT) と比較したトリヘプタノインの効果		

↓ 上記に基づく安全性監視のための活動

2. 医薬品安全性監視計画の概要
通常の医薬品安全性監視活動
追加の医薬品安全性監視活動
市販直後調査
3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要
製造販売後臨床試験 (国際第 III 相 UX007-CL302 試験)

↓ 上記に基づくリスク最小化のための活動

4. リスク最小化計画の概要
通常のリスク最小化活動
追加のリスク最小化活動
市販直後調査による情報提供

各項目の内容は、RMP の本文でご確認下さい。

(別紙様式 1)

医薬品リスク管理計画書

会社名：Ultragenyx Japan 株式会社

品目の概要			
承認年月日	2026 年 3 月 23 日	薬効分類	399
再審査期間	10 年	承認番号	30800AMX00122000
国際誕生日	2020 年 6 月 30 日		
販 売 名	ドジョルビ内用液 100%		
有 効 成 分	トリヘプタノイン		
含量及び剤形	1g 中トリヘプタノイン 1g を含有する経口液剤		
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)		
効能又は効果	長鎖脂肪酸代謝異常症		
承認条件	1. 医薬品リスク管理計画を策定の上、適切に実施すること。 2. 本疾患の患者を対象に実施中の国際共同試験を適切に実施し、当該試験の成績が得られた際には、当該成績を速やかに提出するとともに医療現場に適切に情報提供すること。		
備 考			

変更の履歴

前回提出日：
2026 年 5 月 21 日

変更内容の概要：

3. 有効性に関する調査・試験の計画の概要

製造販売後臨床試験（国際第 III 相 UX007-CL302 試験）の非盲検アクセスプログラム（OAP）短縮に伴い、臨床試験報告書（CSR）の作成完了時期の変更、中間報告時期の変更

5.2 有効性に関する調査・試験の計画の一覧

製造販売後臨床試験（国際第 III 相 UX007-CL302 試験）節目となる予定時期の変更

変更理由：

製造販売後臨床試験（国際第 III 相 UX007-CL302 試験）の日本人参加者の OAP 期間を最短で 1 ヶ月間、かつ非盲検下で実施する PK 検体採取が完了するまでと短縮することになったため

1 医薬品リスク管理計画の概要

1.1 安全性検討事項

重要な特定されたリスク
該当なし

重要な潜在的リスク	
胚・胎児毒性	
	重要な潜在的リスクとした理由： 妊娠ラット及び妊娠ウサギを用いた胚・胎児発生試験において、それぞれ本剤を 50% DCI 量又は 30% DCI 量（ヒトに本剤の臨床用量を投与したときの 1.9 倍及び 0.9 倍に相当する用量）で投与したときに、骨格奇形が認められた。これらの試験では母動物の摂餌量低値が認められており、妊娠期における母動物の摂餌制限による栄養欠乏は胎児の骨格に影響を及ぼすことが報告されているが（Birth Defects Res B Dev Reprod Toxicol 2005; 74: 442-9 等）、胎児の骨格奇形を誘発する旨は示されていない。以上を踏まえ、重要な潜在的リスクに設定した。 なお、臨床において妊娠中の長鎖脂肪酸代謝異常症患者への本剤投与時に母体や胎児に悪影響を来したとの報告は得られていない。また、海外において本剤を投与された妊娠症例や、胎児・乳児における安全性等を評価するための前向き観察研究が実施中である。
	医薬品安全性監視活動の内容及びその選択理由： 〔内容〕 通常の医薬品安全性監視活動 〔理由〕 通常の医薬品安全性監視活動を通じて、妊娠中の使用に関連する安全性情報を収集すること。
	リスク最小化活動の内容及びその選択理由： 〔内容〕 通常のリスク最小化活動として、添付文書の「9.5 妊婦」に注意喚起を記載している。また、患者向医薬品ガイドによる情報提供を行う。 〔理由〕 これらのリスク最小化活動は、妊娠中のトリヘプタノインの使用に関して、現在限定的な経験しかないという情報を提供することによって、医療関係者による患者の監視を奨励するために定められた。

重要な不足情報
該当なし

1.2 有効性に関する検討事項

LC-FAOD の小児患者における主要臨床イベント（MCE）に対する、偶数鎖中鎖脂肪酸トリグリセリド（MCT）と比較したトリヘプタノインの効果	
	有効性に関する検討事項とした理由： 特に新生児を含む幼児におけるトリヘプタノインの安全性及び有効性を確認するため。
	有効性に関する調査・試験の名称： 製造販売後臨床試験（国際第 III 相 UX007-CL302 試験）：LC-FAOD の小児患者を対象に、MCE に対するトリヘプタノインの効果を、MCT と比較評価する無作為化二重盲検多施設共同試験
	調査・試験の目的、内容及び手法の概要並びに選択理由： 本試験の目的は、LC-FAOD の小児患者を対象に、MCE の頻度と期間に対するトリヘプタノインの効果を MCT と比較検討することである。本第 III 相無作為化比較試験では、特に新生児を含む幼児におけるトリヘプタノインの安全性及び有効性をより確実に評価するためのデータが得られることが期待される。

2 医薬品安全性監視計画の概要

通常 of 医薬品安全性監視活動	
通常 of 医薬品安全性監視活動の概要： 安全性データについては、副作用の自発報告、文献・学会情報及び外国における安全性措置情報を収集／確認／解析して評価する。良好なベネフィット・リスクプロファイルを確保するため、講じるべき対策や実施すべき措置がないか安全性情報を評価する。	
追加 of 医薬品安全性監視活動	
市販直後調査	
	実施期間：発売後 6 ヶ月間 予定の評価及び報告期間：市販直後調査終了から 2 ヶ月以内

3 有効性に関する調査・試験の計画の概要

製造販売後臨床試験（国際第 III 相 UX007-CL302 試験）

試験の略名と標題：

UX007-CL302：LC-FAOD の小児患者を対象に、MCE に対するトリヘプタノインの効果を、MCT と比較評価する無作為化二重盲検多施設共同試験

理論的根拠及び試験の目的：

本試験の目的は、LC-FAOD の小児患者を対象に、MCE の頻度と期間に対するトリヘプタノインの効果を MCT と比較検討することである。

試験デザイン：

本試験は、18 歳未満の LC-FAOD 小児患者を対象とした無作為化二重盲検多施設共同試験である。本試験は、2 歳から 6 歳の被験者 10 例以上、出生から 2 歳までの被験者 5 例以上、1 歳未満の被験者 3 例以上、月齢 3 ヶ月未満の被験者 2 例以上を含み、少なくとも 60 例を組み入れることを目標とする。被験者は、トリヘプタノイン投与群又は従来の MCT 投与群に 1:1 の割合で無作為に割付けられ、1 日あたりのカロリー必要量の 30～35% を目標用量として、少なくとも 1 日 4 回分割投与を受ける。無作為化は、年齢及びスクリーニング前 18 ヶ月間の主要臨床イベントの発現状況により層別化する。また、日本人被験者 4 例以上をトリヘプタノイン群又は MCT オイル群に 1:1 の割合で、層別因子を用いずに無作為に割付ける。主要有効性解析は、約 228 件の主要臨床イベントが発生した後に実施する。

節目となるスケジュール及びその根拠：

本試験はイベント駆動型であり、主要有効性解析は、独立した外部判定委員会によって約 228 件の主要臨床イベント（MCE）が確認された時点で実施する。二重盲検期間の終了（EDB）は 2026 年 10 月頃を見込んでいる。日本人患者については、EDB 来院後も少なくとも 1 ヶ月間治療を継続し、さらに非盲検下で実施するトリヘプタノインの PK 検体採取が完了するまで治療を継続する予定である。日本人患者を対象とした非盲検アクセスプログラム（OAP）において、非盲検下でのトリヘプタノイン投与および 1 ヶ月間の観察が完了した後、臨床試験報告書（CSR）は 2027 年 8 月までに完成する予定である。得られた試験結果については、適宜、医療関係者へ情報提供を行う予定である。

中間評価の提出予定時期は、2028 年第 1 四半期であり、当該結果についても医療関係者に情報提供を行う予定である。

4 リスク最小化計画の概要

通常のリスク最小化活動	
通常のリスク最小化活動の概要： 「添付文書」による情報提供 患者向医薬品ガイドによる情報提供	
追加のリスク最小化活動	
市販直後調査による情報提供	
	実施期間：発売後 6 ヶ月間 予定の評価及び報告期間：市販直後調査終了から 2 ヶ月以内

5 医薬品安全性監視計画、有効性に関する調査・試験の計画及びリスク最小化計画の一覧

5.1 医薬品安全性監視計画の一覧

通常の医薬品安全性監視活動				
講じるべき安全措置については、自発的な副作用報告、文献情報、学会情報、海外において講じられた安全措置から安全性データを収集／確認／解析して評価（及び実行）する。				
追加の医薬品安全性監視活動				
追加の医薬品安全性監視活動の名称	節目となる症例数／目標症例数	節目となる予定の時期	実施状況	報告書の作成予定日
市販直後調査	該当なし	発売から6ヵ月後	実施中	発売から8ヵ月後

5.2 有効性に関する調査・試験の計画の一覧

有効性に関する調査・試験の名称	節目となる症例数／目標症例数	節目となる予定の時期	実施状況	報告書の作成予定日
製造販売後臨床試験（国際第Ⅲ相 UX007-CL302 試験）	全世界で 60 症例	主要有効性解析期間の完了は 2027 年 8 月に予定されている。OAP の日本人の治療結果を含む中間評価の提出は、2028 年第 1 四半期に行われる予定である。	継続中	試験終了次第速やかに作成

5.3 リスク最小化計画の一覧

通常のリスク最小化活動		
「添付文書」による情報提供 患者向医薬品ガイドによる情報提供		
追加のリスク最小化活動		
追加の医薬品安全性 監視活動の名称	節目となる 予定の時期	実施状況
市販直後調査による情報提供	発売後 6 ヶ月間	実施中