

各 位

2026年2月16日

大原薬品工業株式会社

**ドルダビプロン塩酸塩（国内開発番号：OP-10）
希少疾病用医薬品指定及び優先審査該当のお知らせ**

大原薬品工業株式会社（本社：滋賀県甲賀市、代表取締役 CEO：大原誠司、以下「当社」）は、2026年2月16日付で、ドルダビプロン塩酸塩（国内開発番号：OP-10、以下「本剤」）について「H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫」を予定される効能・効果として、厚生労働大臣より希少疾病用医薬品に指定され、優先審査に該当すると判断いただいたことをお知らせ致します。

なお、本剤は2026年1月30日に製造販売承認申請を行いました。

びまん性正中膠腫は、正中線近傍〔間脳（視床、視床下部）、脳幹（中脳、橋、延髄）、脊髄等〕に発生する浸潤性の神経膠腫（グリオーマ）の総称です。大多数に H3 K27M 変異（ヒストン H3.3 又は H3.1 遺伝子の N 末端から 27 番目のアミノ酸であるリジンがメチオニンに置換）が見られ、2016年のWHO中枢神経系腫瘍分類で「びまん性正中膠腫、H3 K27M 変異」は悪性度が最も高いGrade IV と定義されました¹⁾。

国内における H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫を含む中枢神経系の悪性新生物の総患者数は14,000人²⁾と報告されていることから、H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫の総患者数はさらに限られると考えられます。

H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫に対する治療は、可能な限り腫瘍を摘出した後に放射線療法を行うことが基本です。しかし、腫瘍部位によっては手術により症状が悪化することがあるため摘出術が行われず、放射線療法の効果は一時的で腫瘍は再増大します^{3),4)}。

なお、国内で、神経膠腫に対する治療薬はあるものの、H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫に対する治療薬は承認されていません。

当社は、一日でも早く本剤を患者さんにお届けできるよう、これからもより一層の努力を続けてまいります。

◆本件に対するお問い合わせ先◆
大原薬品工業株式会社 お客様相談室
TEL : 0120-419-363

【ドルダビプロン塩酸塩（OP-10）について】

本剤は、ミトコンドリアプロテアーゼの ClpP (Caseinolytic protease P) の活性化及びドパミン D2 受容体に対するアンタゴニスト作用により、腫瘍細胞における代謝障害、ミトコンドリアの損傷、統合的ストレス応答経路の活性化を通じ、腫瘍細胞をアポトーシスに導くと考えられています⁵⁾。

米国では、2025 年 8 月に Jazz Pharmaceuticals plc (NASDAQ:JAZZ、以下「Jazz 社」) が「成人及び 1 歳以上の小児患者において、前治療後に進行が認められた H3 K27M 変異を有するびまん性正中膠腫の治療」を本剤の効能・効果として迅速承認を取得しています（米国販売名：MODEYSO）。当社は、2019 年に国内における本剤の開発・販売に関するライセンスを Oncoceutics, Inc.（後に Jazz 社が買収）から取得して、国内での開発を進めてまいりました。

【希少疾病用医薬品について】

希少疾病用医薬品は、当該医薬品等の用途に係る対象患者数が国内において 5 万人未満で、かつ医療上特に優れた使用価値を有すること等が審議され、厚生労働大臣が指定する医薬品です。

【参考文献】

- 1) Louis DN, et al. The 2016 World Health Organization classification of tumors of the central nervous system: a summary. *Acta Neuropathol.* 2016, 131, 803-820.
- 2) 厚生労働省：患者調査 令和 5 年患者調査 全国編、第 159 表。
<https://www.e-stat.go.jp/dbview?sid=0004026065>
- 3) 日本脳神経外科学会・日本病理学会. 臨床・病理 脳腫瘍取扱い規約. 第 5 版. 金原出版株式会社. 2023.
- 4) 日本脳腫瘍学会・日本脳神経外科学会. 脳腫瘍診療ガイドライン 小児脳腫瘍編 2022 年版. 金原出版株式会社. 2022.
- 5) Prabhu VV, et al. ONC201 and imipridones: Anti-cancer compounds with clinical efficacy. *Neoplasia.* 2020, 22(12), 725-744.

【大原薬品工業株式会社について】

当社は、オーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）を中心とする新薬事業、ジェネリック医薬品事業、そしてアフリカをはじめとするグローバル事業の 3 つを柱とする製薬企業です。

「すべては患者さんの立場から 医療の未来のために 信頼の医薬品を」をミッションに掲げ、治療成績の向上や医療環境の変化に対応しながら、治療のみならず、予防・診断・アフターケアにおいてもイノベーションを追求しています。

私たちは医療の質を高めるために Total Healthcare Solution を提供できる企業を目指し、世界中の患者さんに信頼される医薬品とサービスを届けてまいります。