

報道関係各位

この資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が（米国カリフォルニア州サンラファエルが2021年6月28日（現地時間）に発表したプレスリリースの日本語抄訳で、参考資料として提供するものです。その内容および解釈については英文プレスリリースが優先されます。英文プレスリリースは <https://www.biomin.com/> をご参照ください。

BioMarin Pharmaceutical Inc. が重症血友病Aの遺伝子治療Valoctocogene Roxaparvecの医薬品販売承認申請（MAA）を欧州医薬品庁（European Medicines Agency）に再提出

Valoctocogene RoxaparvecのMAA、迅速審査の要望が認められる

米国カリフォルニア州サンラファエル、2021年6月28日－BioMarin Pharmaceutical Inc.（NASDAQ：BMRN）は本日、欧州医薬品庁（EMA）に対して重症血友病Aの成人患者に対する遺伝子治療の治験薬 Valoctocogene Roxaparvec の医薬品販売承認申請（MAA）を再提出したと発表しました。EMAは2021年5月に、当社の迅速審査の要望を認めています。迅速審査により、EMAのヒト用医薬品委員会（CHMP）および先進治療委員会（CAT）が、先進治療用医薬品（ATMP）のMAA審査に要する期間が短縮される可能性があります。CHMPの見解は2022年前半に示される見込みです。

CHMP および CAT が特に治療法の革新の観点から製品が公衆衛生に多大な利益をもたらすと判断した場合には、申請が迅速審査の対象となります。EMAの集中審査方式のもとでは、MAAの評価には最大210日かかる場合があります。さらに、申請者が追加情報の提出を求められた場合は審査が中断するため、この期間は長くなります。迅速審査を行うのに十分な根拠を申請者が提示した場合には、CHMP および CAT は要求に応じて150日にまで審査期間を短縮できます。しかし、当初に迅速審査を行うように指定された申請であっても、さまざまな理由から、審査の過程で標準の手順に戻されることがあります。迅速審査を許可する決定がなされたとしても、これが市販承認の可否に関するCHMP および CAT の最終的な見解に影響することは決してありません。

申請状況について

一方、米国では、BioMarin Pharmaceutical Inc.は先に食品医薬品局（FDA）から求められた通り、Valoctocogene Roxaparvec のベネフィット・リスク評価の裏付けとするために、GENEr8-1 フェーズ3試験からの被験者全員の安全性と有効性に関する2年間の経過観察データを提出する予定です。

BioMarin Pharmaceutical Japan K.K.

4th floor Round Cross Shinjuku,

2-11-17 Yoyogi, Shibuya-ku, Tokyo, Japan

Tel: (813) 6837 0880. <https://www.bmrn.co.jp/>

Date of preparation: May 2021. APAC-CLN2-00039

©2021 BioMarin Pharmaceutical Inc. All Rights Reserved.

MMRC-BMN27-00098 / Date Prepared July 2021

BioMarin Pharmaceutical Inc.は、2022年第2四半期に生物製剤承認申請（BLA）の再提出を目指しています。この試験結果が良好であると仮定して、FDAによる審査期間は6か月を見込んでいます。

FDAは2021年3月、Valoctocogene Roxaparvovecを再生医療先端治療（RMAT）に指定しました。RMATは、重症患者の満たされていない医療ニーズへの対応が期待されるValoctocogene Roxaparvovecなどの再生医療療法の開発と審査の促進を目的とする優先プログラムです。RMAT指定は画期的治療薬指定（BT指定）を補完するものであり、当社は2017年に指定を受けています。

RMAT指定とBT指定に加えて、Valoctocogene Roxaparvovecは、重症血友病Aの治療のためにFDAおよびEMAからオーファンドラッグ（希少疾病用医薬品）指定を受けています。オーファンドラッグ指定プログラムは、希少疾患や稀な病態の診断と治療の両方またはいずれか一方に有望な製品の評価と開発を進めることを目的としています。

臨床試験について

BioMarin Pharmaceutical Inc.は、血友病A治療のための包括的な遺伝子治療プログラムにおいて、複数の臨床試験を実施しています。GENEr8-1のグローバルなフェーズ3試験および進行中のフェーズ1/2投与量漸増試験に加えて、当社は積極的に被験者を募ってフェーズ3bの単群の非盲検試験を実施し、血友病A患者に対して予防的コルチコステロイド剤とともにValoctocogene Roxaparvovecを6e13 vg/kg投与して、Valoctocogene Roxaparvovecの有効性と安全性を評価しています。また、AAV5抗体を保有する血友病A患者に6e13 vg/kgのValoctocogene Roxaparvovecを投与するフェーズ1/2試験や、活性FVIIIインヒビターを持つか以前持っていた血友病A患者にValoctocogene Roxaparvovecを6e13 vg/kg投与する別のフェーズ1/2試験も実施しています。

血友病Aについて

血友病A患者は、血液凝固因子である第VIII因子が足りないため、たとえ軽微な怪我であっても、痛みを伴う出血や、死にいたる可能性がある出血のリスクを負っています。特に重度血友病A患者（FVIIIレベルが1%未満）では、多くの筋肉や関節に痛みを伴う出血を経験します。

BioMarin Pharmaceutical Japan K.K.

4th floor Round Cross Shinjuku,


2-11-17 Yoyogi, Shibuya-ku, Tokyo, Japan

Tel: (813) 6837 0880. <https://www.bmrn.co.jp/>

Date of preparation: May 2021. APAC-CLN2-00039

©2021 BioMarin Pharmaceutical Inc. All Rights Reserved.

MMRC-BMN27-00098 / Date Prepared July 2021



重度血友病 A 患者は、血友病 A 患者全体の約 45% を占めています。中等度（FVIII レベル 1～5%）または軽度（FVIII レベル 5～40%）の血友病 A 患者では、出血傾向が大幅に低下がします。重度血友病 A の成人患者に対する標準的治療は、第 VIII 因子を補充する定期補充療法で、1 週間に 2 回～3 回、または年間 100 回～150 回静脈内に凝固因子製剤を投与します。

これらの投薬療法にもかかわらず、多くの患者が破綻出血をきたします。これは進行性で関節傷害につながり、患者の生活の質に大きな影響を及ぼす可能性があります。

血友病 A は X 連鎖性遺伝性疾患です。この疾病は親から子に伝えられますが、約 3 分の 1 のケースは自然突然変異、すなわち新規に発症した突然変異により引き起こされます。10,000 人に約 1 人が血友病 A を患っています。

BioMarin Pharmaceutical Inc.について

BioMarin Pharmaceutical Inc.は、重篤で生死に関わる希少および極めてまれな遺伝性疾患に対する革新的な治療法を開発し商品化する世界的なバイオテクノロジー企業です。ポートフォリオには、6 つの市販品と複数の臨床試験中または前臨床試験中の開発候補品があります。詳細は、www.biomin.com をご参照ください。バイオマリンのウェブサイトには、このプレスリリースの参考資料として組み込まれていない情報があります。

BioMarin®はバイオマリン・ファーマシューティカルの登録商標です。