

## 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 7 月 15 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.biomarin.com/> をご参照ください。

### 欧州医薬品庁が、BioMarin Pharmaceutical Inc. の重度血友病A治療薬である valoctocogene roxaparvovecの医薬品販売承認申請を認証

*欧州初の血友病Aの遺伝子療法となる可能性*

*CHMP（ヒト用医薬品委員会）の見解は2022年前半となる見込み*

米国カリフォルニア州サンラファエル、2021 年 7 月 15 日 — BioMarin Pharmaceutical Inc. (NASDAQ : BMRN) は本日、欧州医薬品庁 (EMA) が、同社の重度血友病 A の成人患者に対する遺伝子治療の治験薬 valoctocogene roxaparvovec の医薬品販売承認申請 (MAA) を認証したと発表しました。本日の認証により、MAA 審査がすぐにも開始されます。CHMP の見解は 2022 年前半に示される見込みです。

当社の提出資料には、フェーズ 3 の GENEr8-1 試験に参加した被験者 134 人から得た安全性と有効性に関するデータも含まれています。これは被験者全員に対して valoctocogene roxaparvovec での治療後少なくとも 1 年間の追跡調査を実施し、さらに、進行中のフェーズ 1/2 用量漸増試験における 6e13 vg/kg および 4e13 vg/kg の投与対象群に対して、それぞれ 4 年および 3 年の追跡調査を実施して得たデータです。

EMA は 2021 年 5 月、当社の迅速審査の要望を認めました。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、申請が迅速な評価の対象となります。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。迅速な評価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、当初に迅速な評価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。迅速な評価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ありません。

BioMarin Pharmaceutical Japan K.K.

4<sup>th</sup> 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-BMN27-00114 / Date Prepared July 2021

**B:OMARIN**

## 申請状況について

BioMarin Pharmaceutical Inc. は、2021年6月25日に欧州医薬品庁（EMA）に医薬品販売承認申請（MAA）を再提出しました。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 roxaparvovec 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試験における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 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を目指す 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BT指定を受けています。

RMAT指定とBT指定に加えて、当社の valoctocogene roxaparvovec は、重度血友病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用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、valoctocogene roxaparvovec の有効性と安全性を評価しています。当社はさらに、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。また、重度血友病 A 患者（FVIII レベルが 1%未満）は、多くの筋肉や関節に痛みを伴う出血をたびたび経験します。重度血友病 A 患者は、血友病 A 患者全体の約 45～50%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します。重度血友病 A の成人患者に対する標準治療は第 VIII 因子を補充する定期補充療法で、最大で 1 週間に 2 回～3 回、年間 100 回～150 回静脈内投与します。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、進行性で難治性の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 は第 VIII 因子欠乏症または古典的血友病とも呼ばれ、凝固タンパク質である第 VIII 因子の欠損または欠陥により引き起こされる 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、すなわち遺伝ではない新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.biomarin.com](http://www.biomarin.com) をご参照ください。バイオマリンのウェブサイト上の情報は、本プレスリリースには参照により組み込まれないものとします。

BioMarin®は BioMarin Pharmaceutical Inc. の登録商標です。