

2021年9月1日

**BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社は、日本において軟骨無形成症治療薬ボソリチド（遺伝子組換え）が希少疾病用医薬品に指定されましたことをお知らせいたします**

BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社は、軟骨無形成症の小児に対し開発中の遺伝子組換えヒト C 型ナトリウム利尿ペプチド類縁体 [一般名：ボソリチド（遺伝子組換え）] を対象に、8月24日、厚生労働省より希少疾病用医薬品の指定を受けましたことをお知らせいたします。

指定番号 : (R3薬) 第521号  
医薬品の名称 : ボソリチド（遺伝子組換え）  
予定される効能又は効果 : 骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症  
申請者の氏名又は名称 : BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社

#### **希少疾病用医薬品の指定制度について**

医療上の必要性が高いにも関わらず、患者数が少なく、研究開発が進まない医薬品等の開発を支援するために、厚生労働省が希少疾病用医薬品を指定する制度です。希少疾病用医薬品指定を取得すると、製薬会社は製造販売承認の優先審査などの支援を受けることができます。

#### **BioMarin について**

BioMarinは、希少疾患と向き合われている患者さんとそのご家族へ、治療薬をお届けすることを使命としています。日本においては現在、3つの希少疾患に対する治療薬の承認販売を行っています。当社については<https://www.bmrn.co.jp/> をご覧ください。

BioMarin Pharmaceutical Japan株式会社

〒151-0053

東京都渋谷区代々木2丁目11番17号ラウンドクロス新宿4階

MMRC-VOS-00144