

報道者関係各位

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8月27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。

低身長症に最もよくみられる原因である、骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症を有する2歳以上の小児患者を対象とした治療薬として BioMarin の VOXZOGO®（ボソリチド）を欧州委員会が承認

軟骨無形成症の小児用治療薬として、欧州では初の承認

米国カリフォルニア州サンラファエル、2021年8月27日/[PR Newswire/](#) — BioMarin Pharmaceutical Inc. (NASDAQ : BMRN) は本日、欧州委員会 (EC) が、最終成人身長に達する思春期後に生じる骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症を有する2歳以上の小児に対する治療薬として VOXZOGO®（ボソリチド）1日1回注射剤の販売承認申請を承認したと発表しました。Voxzogo は軟骨無形成症の小児に対して承認された欧州初の治療薬です。修飾C型ナトリウム利尿ペプチド (CNP) であり、線維芽細胞増殖因子受容体3型における (FGFR3) シグナル伝達を下方制御し、その結果として軟骨内骨化を促進することにより、軟骨無形成症の基礎にある病態生理を直接標的としています。

推定では欧州、中東およびアフリカの小児11,000人以上が軟骨無形成症に罹患しており、この小児らはVoxzogoによる治療に適していると考えられます。この集団の約3分の1は欧州医薬品庁 (EMA) の認可を受けている国の居住者です。また、フランス医薬品・保健製品安全庁 (ANSM) は、一時使用承認 (Autorisation Temporaire d'Utilisation de cohorte [ATU コホート]) を与えて、承認されたプロセスの下でVoxzogoを直ちに入手できるようにしています。

ATU 下では、代替選択肢のない希少疾患に提供され、ベネフィットとリスクのバランスが肯定的と推定される場合、フランスでまだ承認されていない医薬品を入手できません。

米国での Voxzogo に対する新薬承認申請（NDA）は食品医薬品局（FDA）の審査中であり、処方薬ユーザーフィー法（PDUFA）の目標達成予定日は 2021 年 11 月 20 日です。当社は今年初め、Voxzogo の製造施設に対する FDA の対面承認前査察を無事完了しました。

申請状況について

当社は 2021 年 1 月、Voxzogo の対象が小児の重篤な適応疾患であり、現在利用可能な治療選択肢が不足していることから、Voxzogo の NDA が優先審査指定を受けたと FDA から通知を受けました。進行中の申請審査の審査分類の変更に関する FDA の方針と一致して、PDUFA 措置日はこの指定の影響を受けません。Voxzogo の NDA が承認されると、優先審査バウチャー（PRV）に該当する可能性があります。PRV では、当該指定に適合でない後続の医薬品申請に対して優先審査が行われます。希少小児疾患の審査バウチャープログラムは、希少小児疾患の予防や治療のための新薬と生物製剤の開発を奨励するために設計されています。

Voxzogo は、小児軟骨無形成症の治療のために 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。

軟骨無形成症について

軟骨無形成症は、ヒトにおいて不均衡型の低身長を引き起こす骨系統疾患の最もよくみられる形態であり、軟骨内骨化の遅延を特徴とし、これにより不均衡型の低身長ならびに長骨、脊椎、顔面および頭蓋底の構造異常が生じます。この病態は、骨成長の負の調節因子である線維芽細胞増殖因子受容体 3 型遺伝子（FGFR3）の変異によって引き起こされます。不均衡な低身長以外に、軟骨無形成症患者は、大後頭孔狭窄による中枢神経圧迫や睡眠時無呼吸、O 脚、中顔面低形成、永久的な腰部の揺れ、脊柱管狭窄症、再発性耳感染症などの重篤な健康合併症を経験する場合があります。これらの

合併症の中には、脊髄除圧やO脚の矯正など、侵襲的な手術が必要となるものもあります。さらに、研究ではあらゆる年齢で死亡率が増加することが示されています。

軟骨無形成症の小児の80%以上が平均的な身長の高親を持ち、自然発生的な遺伝子変異の結果として疾患を発症します。全世界での軟骨無形成症の発症率は、生児出生25,000件に約1件です。Voxzogoは、骨端線がまだ「開いている」小児（通常は18歳未満）を対象に試験を実施しています。軟骨無形成症患者の約25%が該当します。米国、欧州、ラテンアメリカ、中東およびアジア太平洋の大半で現在のところ軟骨無形成症に対して認可された医薬品は存在しません。

BioMarin について

BioMarin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、7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 をご参照ください。当社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®およびVOXZOGO®はBioMarin Pharmaceutical Inc.の登録商標です。

連絡先：

投資家

メディア

Traci McCarty

Debra Charlesworth

BioMarin Pharmaceutical Inc. BioMarin Pharmaceutical Inc.

(415) 455-7558

(415) 455-7451

情報源：BioMarin Pharmaceutical Inc.
