

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 11 月 19 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。

骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症を有する 5 歳以上の小児患者を対象とした成長促進を適応とする注射剤として BioMarin の VOXZOGO™（ボソリチド）を FDA が承認  
不均衡型の低身長に最もよくみられる、軟骨無形成症の米国では初の治療薬

11 月 19 日金曜日（東部時間 11 時 30 分）に投資家向け電話会議とウェビナー開催  
2021 年 11 月 19 日

米国カリフォルニア州サンラファエル、2021 年 11 月 19 日/PR Newswire/ — BioMarin Pharmaceutical Inc. (NASDAQ : BMRN) は本日、米国食品医薬品局 (FDA) が、骨端線閉鎖前（成長板）の軟骨無形成症を有する 5 歳以上の小児に対する成長促進を適応とする注射剤として VOXZOGO®（ボソリチド）を迅速承認したことを発表しました。年間成長速度 (AGV) に改善が認められたことからこの適応が迅速承認されました。承認継続は、検証的試験での臨床的ベネフィットの検証と説明が条件となります。この市販後要件を満たすため、BioMarin は、現在実施中の非盲検継続投与試験を利用可能な自然経過と比較する予定です。

Voxzogo は軟骨無形成症の小児に対して FDA から承認された初の治療薬です。軟骨無形成症患者では、線維芽細胞増殖因子受容体 3 型遺伝子 (FGFR3) の機能獲得変異によって、骨組織の形成に欠かせない軟骨内骨化が負の調節を受けます。Voxzogo は、C 型ナトリウム利尿ペプチド (CNP) 類縁体であり、FGFR3 シグナル伝達を下方制御して正の調節を行った結果として軟骨内骨化を促進する新規クラスの治療薬です。

今回の承認に伴い、FDA は希少小児疾患優先審査バウチャー (PRV) にも指定しました。PRV では、当該指定に適格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。

2021年8月、欧州委員会（EC）は Voxzogo を承認しました。日本、ブラジルおよびオーストラリアでは販売承認審査が進行中であり、2022年にこれらの国で承認される可能性があります。

#### 包括的臨床開発プログラム

Voxzogo は軟骨無形成症を対象とした広範な臨床開発プログラムで引き続き検討されており、安全性と有効性についてあらゆる年齢で経時的にさらに評価中です。これまでに、8カ国の軟骨無形成症小児患者 243 例が、ボソリチドの安全性と有効性を評価する BioMarin の臨床試験 7 件に登録されています。

#### 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。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。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](http://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®は BioMarin Pharmaceutical Inc.の登録商標です。

連絡先:

投資家

Traci McCarty

BioMarin Pharmaceutical Inc.

(415) 455-7558

メディア

Debra Charlesworth

BioMarin Pharmaceutical Inc.

(415) 455-7451

情報源 : BioMarin Pharmaceutical Inc.

MMRC-VOS-00188

---