

2022年6月22日

軟骨無形成症治療薬「ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg」 国内製造販売承認取得のお知らせ

— 世界初の新規作用機序を有する軟骨無形成症治療薬 —

BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社（本社：東京都新宿区、代表取締役：中村 圭、以下「バイオマリ
ン」）は、軟骨無形成症治療薬「ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg」（一般名：ボソリチド
（遺伝子組換え）、以下「ボックスゾゴ®皮下注用」）について、2022年6月20日「骨端線閉鎖を伴わな
い軟骨無形成症」の効能又は効果で国内製造販売承認を取得しましたので、お知らせいたします。

ボックスゾゴ®皮下注用は、BioMarin Pharmaceutical Inc. により軟骨無形成症の治療薬として開発された
世界初の C 型ナトリウム利尿ペプチド（CNP）類縁体です。軟骨無形成症は、線維芽細胞増殖因子受容
体 3（*Fgfr3*）遺伝子の機能獲得型変異を原因とし、軟骨内骨化とよばれる骨形成が障害され四肢短縮や
低身長症、またその他多くの合併症を示す希少疾患です。本剤はナトリウム利尿ペプチド受容体 B（NPR-
B）に結合し、軟骨無形成症にて異常に活性化される FGFR3 の下流のシグナル伝達を拮抗的に阻害する
ことで、軟骨内骨化による骨形成を改善します。軟骨無形成症の治療薬として、欧州連合及び米国におい
てそれぞれ 2021 年 8 月及び 2021 年 11 月に承認を取得し、患者さんに提供されています。

ボックスゾゴ®皮下注用の国内製造販売承認取得について代表取締役：中村 圭は、
「本邦において、約 25 年ぶりとなる軟骨無形成症に対する新規治療薬であるボックスゾゴ®を提供でき
ることを社員一同大変嬉しく思います。これにより、早期からの軟骨無形成症に対する治療が可能とな
ります。」と述べるとともに、「私たちはこれからも、“一日も早く、一人でも多く”への患者さん、患者
さんの事を想う全ての方々へ笑顔をお届けすることを目指します。」と語っています。

「ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg」について

販売名	ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg
一般名	ボソリチド（遺伝子組換え）
製造販売承認日	2022年6月20日
効能又は効果	骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症
用法及び用量	通常、ボソリチド（遺伝子組換え）として、2歳以上の患者には 15 µg/kg を、2歳未満の患者には 30 µg/kg を 1日1回、皮下注射する。ただし、1回投与量は 1mg を超えないこと。
製造販売元	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社

「国際共同第Ⅲ相試験又は関連する臨床試験」について

ボックスゾゴの主な臨床試験は、5歳未満の軟骨無形成症患者さんを対象とした国際共同臨床試験（111-206試験）及び継続試験（111-208試験、継続中）、5歳以上18歳未満の軟骨無形成症患者さんを対象とした国際共同臨床試験（111-301試験）及び継続試験（111-302試験、継続中）、5歳以上14歳未満の軟骨無形成症患者さんを対象とした海外臨床試験（111-202試験）及び継続試験（111-205試験、継続中）があります。

5歳以上18歳未満の軟骨無形成症患者さんを対象とした国際共同臨床試験（111-301試験）は本剤の有効性及び安全性を検証し、継続試験（111-302試験、継続中）においては本剤の長期投与の安全性、忍容性及び有効性を評価するために実施され、主要評価項目は52週時の年間成長速度が評価され、プラセボ群に対して統計学的に有意な差が認められました。

副作用の発現割合は本剤群 88.3%（53/60例）、プラセボ群 83.6%（51/61例）でした。主な副作用として注射部位反応（本剤群：71.7%、プラセボ群：45.9%）、注射部位紅斑、注射部位腫脹、注射部位蕁麻疹、注射部位内出血、血圧低下が報告されています。本試験において投与中止に至った有害事象は本剤群で処置による不安が1例（1.7%）で、死亡は報告されませんでした。

「CNP」について

C型ナトリウム利尿ペプチド（CNP）は1990年に日本で発見され、後に骨形成に重要な役割を果たすことが示された内在性のペプチドです。CNPは成長板軟骨細胞のNPR-Bに結合し、維芽細胞増殖因子受容体3（FGFR3）の下流シグナルを抑制することで、軟骨細胞の増殖や分化を促進し、軟骨内骨化による骨の伸長を促します。

バイオマリンについて

バイオマリンは、治療の選択肢が全くない又は限られている遺伝性希少疾患に対する革新的な医薬品の開発を世界中の患者さんに新しい治療の選択肢を届けることを目指す製薬会社です。

新しい治療薬の開発を通じ、これまでの希少疾患に対する治療状況を変える。これは、私たちが設立以来目指している使命です。

日本法人である BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社の詳細は、<https://www.bmrn.co.jp/> をご参照ください。