

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」 薬価収載及び新発売のお知らせ

— 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、本日（2022年8月25日）発売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。

BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社は、ボックスゾゴ®皮下注用の提供を通じて「一日も早く、一人でも多く」の患者さんとそのご家族に笑顔をお届けする事を目指します。

「ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg/0.56mg/1.2mg」製剤写真



「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。
薬価	ボックスゾゴ®皮下注用 0.4mg : 121,034 円 ボックスゾゴ®皮下注用 0.56mg : 124,241 円 ボックスゾゴ®皮下注用 1.2mg : 124,994 円
薬価基準収載日	2022年8月18日
発売日	2022年8月25日
製造販売元	BioMarin Pharmaceutical Japan 株式会社

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非常に限られている希少疾患に対する革新的な医薬品の開発し、世界中の患者さんに新しい治療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・提供を通じ、希少疾患に対する治療環境を変える。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。