

本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc. が、2025年4月2日に発表したプレスリリース*の和文抄訳であり、内容につきましては英語原文が優先されます。本プレスリリースに記載されている医薬品情報（本邦未承認情報を含む）は、BioMarin Pharmaceutical Inc. に関連する企業情報の開示を目的としたもので、最新情報、医薬品のプロモーションや宣伝・広告を目的とするものではありません。

*<https://www.biomin.com/news/press-releases/biomin-announces-positive-pivotal-data-for-palynziq-pegvaliase-pqpz-in-adolescents-with-phenylketonuria/>

バイオマリン社 12～17歳のフェニルケトン尿症患者における PALYNZIQ® (ペグバリアーゼ) の有益なピボタルデータを発表

サンラファエル(カリフォルニア州)発 BioMarin Pharmaceutical Inc. (以下バイオマリン社) (Nasdaq: BMRN) は、PALYNZIQ® (一般名: ペグバリアーゼ) を評価する第3相 PEGASUS 試験において、12～17歳のフェニルケトン尿症 (PKU) 患者の血中 Phe 濃度が食事療法のみの場合との比較において統計学的に有意に低下し、有効性の主要評価項目を達成したことを発表しました。安全性の結果は、本剤の既知のプロファイルと一致しています。PALYNZIQ は、PKU 成人の治療に承認された酵素代替療法です。

PEGASUS 試験の詳細な結果は、今後の学術集会で発表するとともに、PALYNZIQ の12～17歳の患者を対象とした適応拡大のために各国の規制当局への提出を開始する予定です。

バイオマリン社エグゼクティブ バイス プレジデント兼チーフ リサーチ&ディベロップメント オフィサーである Greg Friberg, M.D は、「20年以上にわたり、バイオマリン社は PKU 患者さんのために進歩を続けてきました。PALYNZIQ によって新たな治療選択肢をもたらし、研究のパイプラインを前進させるなど、イノベーションを生み出しています。実績がもととなり積み上げられた今回の肯定的なデータは、成人移行を意識し始める思春期の世代にも、PALYNZIQ が影響をもたらす可能性があると考えられます。このデータを学会で発表できること、また、PALYNZIQ の12歳以上の PKU 患者への使用拡大を目指して各国の規制当局に提出できることを心待ちにしています。」と述べています。

PEGASUS 試験について

PEGASUS 試験は、12～17歳のフェニルケトン尿症患者 55 例を対象に、PALYNZIQ と食事療法のみは無作為化割り付けし、PALYNZIQ の安全性と有効性を評価する第3相多施設共同非盲検無作為化比較

対照試験です。主要評価項目は、12～17歳の患者での血中 Phe 濃度の変化量および安全性プロファイルの特性としました。副次評価項目は、食事からの総タンパク質摂取量の変化や薬物動態などとしてしました。

この試験は、2段階で実施されています。1～73週にわたる主要投与フェーズ（Part 1）と、PALYNZIQ 投与群をさらに最長 80 週間経過観察し、食事療法のみ群の患者にクロスオーバーを許容する延長フェーズ（Part 2）です。

詳細は、clinicaltrials.biomarin.com をご参照ください。

PALYNZIQ について

PALYNZIQ は、PKU において欠損したフェニルアラニン水酸化（PAH）酵素を、PEG 化したフェニルアラニンアンモニアリアーゼ酵素が代替し、Phe を分解します。PALYNZIQ®は、忍容性に対処できるようデザインされた投与レジメンを用いて増量されます。PALYNZIQ の安全性プロファイルの中心はアナフィラキシーを含む免疫介在性の反応であり、そのため、臨床試験で有効であったリスク管理対策が講じられています。

PALYNZIQ は、米国および日本では成人、欧州、カナダおよびブラジルでは 16 歳以上の、既存の管理では血中 Phe 濃度のコントロールが不良な PKU 患者に対して、血中 Phe 濃度を下げるために承認されています。

フェニルケトン尿症について

フェニルケトン尿症（PKU）は、フェニルアラニン水酸化酵素（PAH）が欠損する遺伝性疾患であり、バイオマリン社が事業を展開する全世界の地域で患者数は約 70,000 人に上ります。この酵素は、タンパク質含有食品のほとんどに含まれる必須アミノ酸 Phe の代謝に必要です。機能する酵素の量が十分でない場合、Phe が血中に高濃度に蓄積して脳に毒性を及ぼし、無治療の場合、重度の知的障害や痙攣発作、振戦、行動障害、精神症状などのさまざまな合併症が生じる可能性があります。

1960 年代から 1970 年代初頭にかけて導入された新生児スクリーニングの取り組みの結果、スクリーニングが実施されている国においては、PKU を有する新生児のほぼ全例が出生時に診断され、また、その直後に治療が行われています。

PKU は、低タンパク質調整食品や治療用 Phe 除去食品を取り入れた厳格な Phe 制限食によって管理できます。しかし、ほとんどの患者さんにとって、適正な血中 Phe 濃度コントロールを達成するため、必要な範囲で生涯にわたって行う厳格な食事療法には困難を伴います。小児期の Phe の食事管理によって重大な発達神経毒性を防ぐことができますが、思春期および成人期に Phe の管理が不十分な場合には、重大な機能への影響を伴うさまざまな神経認知障害が生じる可能性があります。

バイオマリン社について

バイオマリン社は、世界的なバイオテクノロジー企業であり、遺伝学的発見の成果を患者さん一人ひとりの生活に大きな影響を与える医薬品に変えることに注力しています。同社はカリフォルニア州サンラファエルを本社として1997年に設立され、すでに発売されている8つの治療薬によるイノベーションの実績と強力な臨床および前臨床のパイプラインを有しています。バイオマリン社は、創薬・開発に対する独自のアプローチにより、希少疾患や治療が困難な遺伝性疾患を持つ世界中の患者さんにご家族に新たな可能性をもたらす治療法を追求しています。詳細については、www.biomarin.com をご参照ください。

将来の見通しに関する記述

本プレスリリースには、BioMarin Pharmaceutical Inc. (バイオマリン社) の事業展望についての将来の見通しに関する記述が含まれています。当該記述には以下のようなものがあります (ただし、これらに限定されません)。PALYNZIQ を評価する第3相 PEGASUS 試験 (今後の学術集会での結果発表の計画を含みます)、12歳以上の患者に対する PALYNZIQ の安全性プロファイルおよび潜在的な効果 (12~17歳のフェニルケトン尿症 (PKU) 患者において食事療法のみと比較して血中 Phe 濃度を下げる能力を含む)、バイオマリン社の PALYNZIQ プログラム全般の進展 (PALYNZIQ の12歳以上の PKU 患者への適応拡大を目指して、12歳以上の患者を含めた詳細な結果を本年中に各国の規制当局に提出する計画を含む)、PALYNZIQ の継続的な臨床開発。これらの将来の見通しに関する記述は予測であり、記述内容が実際の結果と大きく異なる可能性があるリスクおよび不確実性を含むものです。これらのリスクおよび不確実性には、特に以下のものが含まれます。PALYNZIQ の現在および計画の前臨床試験および臨床試験の結果および時期、臨床試験中の患者への継続的なモニタリングにおいて観察される潜在的な有害事象、米国食品医薬品局、欧州医薬品庁、欧州委員会およびその他の規制当局による決定の内容および時期。バイオマリン社が米国証券取引委員会に提出した書類に記載されている要因 (バイオマリン社の2024年12月31日に終了した年についての年次報告書 (Form 10-K) に「リスク要因」として記載されている要因およびそれ以降の報告書において更新される可能性のある当該要因を含みますが、これらに限定されません)。株主の皆様におかれましては、当該将来見通しに関する記述に過度に依拠しないようご注意ください。バイオマリン社は新たな情報、将来の出来事またはその他の理由によるか否かを問わず、将来の見通しに関する記述を更新または変更する義務を負うものではなく、またそのような義務を明示的に否認します。

BioMarin®、BioMarin RareConnections®および PALYNZIQ®は BioMarin Pharmaceutical Inc. の登録商標です。

APAC-PAL-00289 May 2025