



本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が、2025 年 5 月 12 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-presents-new-data-for-vozzogo-vosoritide-in-children-with-achondroplasia-and-other-skeletal-conditions-at-two-international-endocrinology-meetings/>

バイオマリン社

ボックスゾゴ®（ボソリチド）の軟骨無形成症および他の骨疾患の 小児患者の治療に関する新たなデータを 2つの国際的な内分泌学の学術集会で発表

5歳未満の軟骨無形成症小児患者を対象とした新たなデータにより、痛みと機能障害の原因となる
脛骨弯曲がボックスゾゴ治療により改善することが示された

600例を超える軟骨低形成症の小児および成人患者を対象とした複数年観察研究のデータから、合併症、手術、全般に関して医療機関受診の増加傾向が明らかに

BioMarin Pharmaceutical Inc.は、軟骨無形成症の小児患者の脛骨弯曲に対する効果と、他の骨疾患に対する早期段階での有効性の結果を示すボックスゾゴ®（一般名：ボソリチド）の新たな試験データを発表しました。このデータは、デンマーク・コペンハーゲンで開催された欧州小児内分泌学会（ESPE）と欧州内分泌学会（ESE）の 2025 Joint Congress ですでに発表され、米国メリーランド州ナショナルハーバーで開催される米国小児内分泌学会議（PES）でも発表される予定です。

ボックスゾゴは脛骨弯曲に対して良好な効果を示す

PES で発表される予定の、年少児患者を対象としたボックスゾゴの第 2 相 CANOPY 臨床試験データの解析は、軟骨無形成症の小児患者において整形外科的な合併症と痛みの主な要因である脛骨弯曲に対する治療の効果を評価しました。ボックスゾゴを投与された小児患者は、プラセボを投与された小児患者と比較して、脛骨弯曲の重症度が低下しました。さらに、この改善は数年間治療を受けた小児患者で持続することが確認されました。

Little People of America's (LPA) Biotech Industry Liaison Committee の会長である Michael Hughes は、「低身長症のコミュニティでは、長らく身長以外の転帰が重要視されてきました。軟骨無形成症の小児患者にとって、脛骨弯曲は痛みや外科的処置の原因となり得るため、この研究は患者コミュニティに意味のある結果をもたらす有望な変化を表しています。」と述べています。

Children's Hospital Colorado の小児整形外科医 Klane White, M.D.と小児整形外科寄付講座教授 (Endowed Chair of Pediatric Orthopedics) の Rose Brown は、「軟骨無形成症の小児患者さんにとって、脛骨弯曲は痛みを伴うものであり、しばしば外科的処置を必要とします。私の臨床経験を通じて、ボックスゾゴによる早期の治療開始が、軟骨無形成症の小児患者さんに均整や生活の質 (QoL) などの改善をもたらすのを見てきました。今回の脛骨弯曲の改善によって、成人移行期を迎える小児患者さんの身体的な快適さが改善する可能性があります。」と述べています。

ボックスゾゴの第 3 相臨床試験の最新結果は、現在までの最長の追跡期間に関する報告であり、早期からの継続的な治療は年間成長速度 (AGV) の持続的な上昇につながることを示しました。軟骨無形成症の小児患者を対象に、生後 6 カ月から最終成人身長 (FAH) に至るまで、早期に開始して持続的に治療した場合の最終的な身長増加の可能性を初めてモデル化することができました。このモデル化によって、ボックスゾゴを投与した結果、未治療の小児患者と比較した身長増加は女児で 21.7cm (95%CI 18.7-24.6)、男児で 26.4 cm (95%CI 22.9-29.8) になる可能性が示されました。これらのデータは、ESPE にて口頭発表され、ボックスゾゴによる早期からの継続的な治療が軟骨無形成症の小児患者の臨床的有用性を高めることを示す根拠の一部に加えられました。

軟骨低形成症によって合併症が有意に増加

現在臨床試験でボックスゾゴの評価が行われている軟骨低形成症は、遺伝的に定義された骨格異形成症であり、関連する合併症に光を当てるデータも発表されました。英国のプライマリケアの電子診療記録を用いたリアルワールドデータ研究によると、600 例を超える軟骨低形成症の成人および小児患者では、軟骨低形成症のない人と比較して、合併症の発現率が高率でした。また軟骨低形成症は、医療機関受診、手術、整形外科治療の増加にも関連していました。

バイオマリンの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、「この研究は、軟骨低形成症への理解を深めるために重要であり、医師が小児患者さんおよびそのご家族とできるだけ早期に診療に取り組めるように、早期診断が重要となることを明確にしています。我々は、軟骨低形成症やターナー症候群などの骨疾患の新たな治療選択肢を開発するために努力を続けており、このような早期データは臨床試験に活用されます。」と述べています。

ターナー症候群の女児を対象とした前向き、単施設第 2 相非盲検臨床試験では、ボックスゾゴによる治療が、ベースラインの AGV との比較で、6 カ月時点での有望な AGV の上昇に関連することが明らかになりました。重要なのは、本試験の登録前にヒト成長ホルモンによる治療を受け、効果不十分で治療を中止した小児患者でも AGV が上昇したことです。ボックスゾゴは忍容性も良好で、安全性の結果は軟骨無形成症での既知のプロファイルに一致していました。

バイオマリンは、軟骨低形成症、特発性低身長、ヌーナン症候群、ターナー症候群、SHOX 異常症を対象として、引き続きボックスゾゴの CANOPY 臨床試験プログラムの開発を進めて参ります。BioMarin は 4 月に軟骨低形成症を対象とするボックスゾゴのピボタル第 3 相試験の登録を完了し、2026 年にトップラインデータの発表を予定しており、2027 年に上市の見込みです。

ボックスゾゴについて

軟骨無形成症の小児患者では、*FGFR3* 遺伝子の機能獲得型変異によって、骨組織の形成に重要な過程である軟骨内骨形成が負の調節を受けます。ボックスゾゴは、C 型ナトリウム利尿ペプチド（CNP）類縁体であり、*FGFR3* の下流シグナル伝達の正の調節因子として働き、軟骨内骨形成を促進します。

ボックスゾゴは、骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症を適応とし、全年齢の小児患者における成長促進を目的として、米国、日本、およびオーストラリアで承認されています。欧州では、適切な遺伝子検査による確認後に、骨端線が閉鎖していない生後 4 カ月以上の小児における軟骨無形成症の治療に適応があります。米国では、年間成長速度の改善結果に基づいて、この適応について迅速承認されています。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。この市販後の要件を満たすため、バイオマリンは実施中の非盲検継続投与試験を入手可能な自然経過と比較する予定です。

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）。欧州小児内分泌学会（ESPE）と欧州内分泌学会（ESE）の 2025 Joint Congress で発表されたデータおよび米国小児内分泌学会議（PES）で発表されるデータ（口頭発表、ポスター発表を含む）、軟骨無形成症小児患者を対象としたボックスゾゴの有効性、安全性および効果（ボックスゾゴの早期治療による身長増加、均整、生活の質（QoL）および脛骨弯曲に対して見込まれるベネフィット、成人期に向かう小児患者の身体的な快適さの改善可能性を含む）、軟骨低形成症およびターナー症候群の小児患者を対象としたボックスゾゴに見込まれるベネフィット、安全性および効果（年間成長速度（AGV）の上昇の可能性を含む）、骨疾患の新たな治療選択肢を開発するためにバイオマリン社が払う努力、軟骨無形成症、軟骨低形成症、特発性低身長、ヌーナン症候群、ターナー症候群、SHOX 異常症に対するバイオマリン社の CANOPY 臨床開発プログラム（2027 年の上市を見込んで 2026 年に軟骨低形成症を対象とするボックスゾゴのピボタル第 3 相試

験トップラインデータを発表するバイオマリン社の計画と見込みを含む）。このような将来の見通しに関する記述は予測であり、実際の結果が記述と著しく異なる可能性のあるリスクや不確実性が含まれています。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。ボックスゾゴの現在および計画中の前臨床試験および臨床試験の結果およびタイミング、臨床試験での継続的な患者の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2025年3月31日に終了した四半期についての報告書（Form 10-Q）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®およびボックスゾゴ®は、BioMarin Pharmaceutical Inc.の登録商標です。