

医療従事者の皆様へ

軟骨無形成症治療薬

ボックスゾゴ[®] 皮下注用0.4mg

ボックスゾゴ[®] 皮下注用0.56mg

ボックスゾゴ[®] 皮下注用1.2mg

Voxzogo[®] for Subcutaneous Injection

ボソリチド(遺伝子組換え)製剤

一般使用成績調査 中間報告

(集計対象：2025年8月25日までに調査票のデータ収集が完了した症例)

謹啓 時下ますますご清栄のこととお慶び申し上げます。平素より弊社製品をご愛顧賜り、厚く御礼申し上げます。

さて、本剤につきましては、医薬品リスク管理計画（RMP）に基づき、一般使用成績調査を2023年1月より実施しております。この度、2025年8月25日までに収集されたデータをもとに中間報告を取りまとめましたので、ご報告申し上げます。本剤の適正使用の一助となれば幸甚に存じます。

なお、今回の集計結果からは、RMP及び電子化された添付文書等の改訂につながる明確な知見は得られておりませんが、引き続き適正にご使用いただきますようお願い申し上げます。本報告書は中間報告であるため、今後のデータ収集に伴い一部の結果が変更となる可能性がございますこと、予めご理解賜りますようお願い申し上げます。

今後とも適正使用のための安全管理情報の収集に努めてまいります。有害事象等が発現した際には、速やかに弊社医薬情報担当者までご連絡いただきますよう、重ねてお願い申し上げます。

ご多忙のところ誠に恐縮ではございますが、引き続き一般使用成績調査へのご協力、ご指導、ご鞭撻のほど、よろしくお願い申し上げます。

謹白

2026年1月

BioMarin Pharmaceutical Japan株式会社

1. 一般使用成績調査の概要

調 査 の 目 的	軟骨無形成症（ACH）患者に対するボックスゾゴ皮下注用0.4mg/0.56mg/1.2mg（本剤）の使用実態下における長期投与時の安全性及び有効性に関する情報を収集する。
安全性検討事項	重要な特定されたリスク：血圧低下関連事象 重要な潜在的リスク：該当なし 重要な不足情報：長期投与時の安全性
予 定 症 例 数	本剤が投与されたACH患者520例
対 象 患 者	ACHと診断された本剤の投与患者
調 査 方 法	EDCシステムにより、本剤を投与された患者の診療記録からデータを収集する。
観 察 期 間	本剤投与した時点から2031年8月25日まで
登 録 期 間	2023年1月～2025年6月（登録終了）
調 査 期 間	2023年1月～2025年8月25日

2. 症例構成

2025年8月までに登録された症例の構成を図1に示します。本調査には633例の症例が登録され、そのうち553例の調査票を回収しました。このうちデータ収集が完了した453例を調査票固定症例とし、すべて安全性解析対象症例としました。

図 1：症例構成

	GroupA	GroupB	All		
登録症例	-	-	633		
登録施設	-	-	160		
		GroupA	GroupB	All	
		調査票未回収症例	-	-	80
調査票回収症例	-	-	553		
			調査票未固定症例	-	-
調査票固定症例	445	8	453		
			安全性解析除外症例	0	0
安全性解析対象症例	445	8	453		
			有効性解析除外症例	0	0
有効性解析対象症例	445	8	453		

GroupA：登録時にすでに市販のボックスゾゴ治療を受けている患者

GroupB：臨床試験でボソリチド（BMN111）を開始し、現在は市販のボックスゾゴ治療に移行した患者

a：転院症例の場合、転院前の施設を採用した

3. 患者背景

安全性解析対象症例453例は、ACHと診断された本剤の投与患者であり、その患者背景を表1に示します。

表 1 : 安全性解析対象症例の患者背景

		GroupA N (%)	GroupB N (%)	All N (%)
解析対象症例数		445	8	453
性別	男性	241 (54.16)	5 (62.50)	246 (54.30)
	女性	204 (45.84)	3 (37.50)	207 (45.70)
	妊娠の有無	1 (0.49)	0 (0.00)	1 (0.48)
	*全期間	203 (99.51)	3 (100.00)	206 (99.52)
	該当せず	0 (0.00)	0 (0.00)	0 (0.00)
不明		0 (0.00)	0 (0.00)	0 (0.00)
立位身長 (cm)	症例数	411	6	417
	平均値	86.40	99.07	86.58
	標準偏差	23.21	12.97	23.13
	最小値	42.5	83.4	42.5
	中央値	88.00	98.65	88.30
	最大値	139.9	117.1	139.9
体重 (kg)	症例数	411	6	417
	平均値	17.36	21.33	17.42
	標準偏差	10.77	8.37	10.74
	最小値	2.4	12.3	2.4
	中央値	15.50	19.40	15.50
	最大値	52.6	34.5	52.6
BMI (kg/m ²)	症例数	411	6	417
	平均値	20.574	20.864	20.579
	標準偏差	3.455	2.806	3.444
	最小値	12.80	17.68	12.80
	中央値	19.975	19.955	19.975
	最大値	37.34	25.16	37.34
心拍数 (bpm)	症例数	140	2	142
	平均値	106.8	110.0	106.9
	標準偏差	24.2	4.2	24.0
	最小値	57	107	57
	中央値	105.0	110.0	106.0
	最大値	157	113	157
収縮期血圧 (mmHg)	症例数	144	2	146
	平均値	107.4	101.0	107.3
	標準偏差	15.0	22.6	15.0
	最小値	64	85	64
	中央値	108.0	101.0	108.0
	最大値	147	117	147
拡張期血圧 (mmHg)	症例数	136	2	138
	平均値	64.8	72.0	64.9
	標準偏差	13.2	12.7	13.1
	最小値	28	63	28
	中央値	65.0	72.0	65.0
	最大値	103	81	103
ACH関連事象の病歴	有	358 (80.45)	7 (87.50)	365 (80.57)
	無	87 (19.55)	1 (12.50)	88 (19.43)
軟骨無形成症の診断の種類 ※複数選択可	症状（低身長、特徴的な顔貌、三尖手など）	421 (94.61)	8 (100.00)	429 (94.70)
	単純X線検査	398 (89.44)	8 (100.00)	406 (89.62)
	遺伝学的検査	256 (57.53)	7 (87.50)	263 (58.06)
	未記載	2 (0.45)	0 (0.00)	2 (0.44)
本剤の使用理由	軟骨無形成症	445 (100.00)	8 (100.00)	453 (100.00)
	軟骨無形成症以外	0 (0.00)	0 (0.00)	0 (0.00)
遺伝子情報取得の同意	有	309 (69.44)	8 (100.00)	317 (69.98)
	無	136 (30.56)	0 (0.00)	136 (30.02)
FGFR3 遺伝子変異の有無 ^a	有	183 (59.22)	7 (87.50)	190 (59.94)
	FGFR3 遺伝子変異の種類	G1138A	6 (85.71)	153 (80.53)
		G1138C	0 (0.00)	21 (11.05)
		その他	1 (14.29)	16 (8.42)
	無	89 (28.80)	1 (12.50)	90 (28.39)
	未記載	37 (11.97)	0 (0.00)	37 (11.67)
前治療薬使用の有無	有	83 (18.65)	0 (0.00)	83 (18.32)
	無	362 (81.35)	8 (100.00)	370 (81.68)
ACH関連の外科的処置・手術歴の有無	有	149 (33.48)	1 (12.50)	150 (33.11)
	無	296 (66.52)	7 (87.50)	303 (66.89)
四肢延長/伸長		18 (4.04)	0 (0.00)	18 (3.97)
	合併症、術後感染の有無	有	-	5 (27.78)
		無	-	12 (66.67)
		未記載	-	1 (5.56)
	合併症等による追加手術の有無	有	-	7 (38.89)
		無	-	11 (61.11)
	薬物療法の有無	4 (22.22)	-	4 (22.22)
		14 (77.78)	-	14 (77.78)

*: 全観察期間を対象とした。

a: 遺伝子情報取得の同意症例のみとした。

4. 副作用の発現状況

安全性解析対象症例453例のうち、副作用を発現した症例は24例であり、その発現割合は5.30%でした（表2）。重篤な副作用を発現した症例は2例であり、その内訳は「大後頭孔狭窄」及び「酸素飽和度低下」の各1例でした（表3）。発現割合が高かった副作用は「注射部位疼痛」の10例（2.21%）、「倦怠感」3例（0.66%）であり、その他の副作用はいずれも0.5%以下でした。

また、安全性検討事項の重要な特定されたリスクに設定している血圧低下関連事象に係る副作用の発現割合は3例（0.66%）であり、いずれも非重篤でした（表4）。その内訳は「悪心」2例（0.44%）、「低血圧」及び「浮動性めまい」各1例（0.22%）でした。

表2：副作用の発現状況

	製造販売後調査等の状況
安全性解析対象症例数	453
副作用等の発現症例数	24
副作用等の発現割合	5.30%
副作用等の種類	副作用等の種類別発現症例数 (発現割合)
神経系障害	2 (0.44)
浮動性めまい	1 (0.22)
頭痛	1 (0.22)
血管障害	1 (0.22)
低血圧	1 (0.22)
胃腸障害	3 (0.66)
悪心	2 (0.44)
嘔吐	1 (0.22)
皮膚および皮下組織障害	1 (0.22)
そう痒症	1 (0.22)
蕁麻疹	1 (0.22)
筋骨格系および結合組織障害	1 (0.22)
椎間板突出	1 (0.22)
椎間孔狭窄	1 (0.22)
先天性、家族性および遺伝性障害	1 (0.22)
大後頭孔狭窄	1 (0.22)
一般・全身障害および投与部位の状態	16 (3.53)
注射部位紅斑	1 (0.22)
注射部位疼痛	10 (2.21)
倦怠感	3 (0.66)
疼痛	1 (0.22)
注射部位腫脹	1 (0.22)
注射部位知覚低下	1 (0.22)
臨床検査	2 (0.44)
酸素飽和度低下	1 (0.22)
脳性ナトリウム利尿ペプチド増加	1 (0.22)

MedDRA/J version (28.0)

表 3：重篤度別副作用の発現状況

	重篤 N (%)	非重篤 N (%)	全体 N (%)
解析対象症例数	453		
発現症例数	2	22	24
発現割合	0.44%	4.86%	5.30%
神経系障害	-	2 (0.44)	2 (0.44)
浮動性めまい	-	1 (0.22)	1 (0.22)
頭痛	-	1 (0.22)	1 (0.22)
血管障害	-	1 (0.22)	1 (0.22)
低血圧	-	1 (0.22)	1 (0.22)
胃腸障害	-	3 (0.66)	3 (0.66)
悪心	-	2 (0.44)	2 (0.44)
嘔吐	-	1 (0.22)	1 (0.22)
皮膚および皮下組織障害	-	1 (0.22)	1 (0.22)
そう痒症	-	1 (0.22)	1 (0.22)
蕁麻疹	-	1 (0.22)	1 (0.22)
筋骨格系および結合組織障害	-	1 (0.22)	1 (0.22)
椎間板突出	-	1 (0.22)	1 (0.22)
椎間孔狭窄	-	1 (0.22)	1 (0.22)
先天性、家族性および遺伝性障害	1 (0.22)	-	1 (0.22)
大後頭孔狭窄	1 (0.22)	-	1 (0.22)
一般・全身障害および投与部位の状態	-	16 (3.53)	16 (3.53)
注射部位紅斑	-	1 (0.22)	1 (0.22)
注射部位疼痛	-	10 (2.21)	10 (2.21)
倦怠感	-	3 (0.66)	3 (0.66)
疼痛	-	1 (0.22)	1 (0.22)
注射部位腫脹	-	1 (0.22)	1 (0.22)
注射部位知覚低下	-	1 (0.22)	1 (0.22)
臨床検査	1 (0.22)	1 (0.22)	2 (0.44)
酸素飽和度低下	1 (0.22)	-	1 (0.22)
脳性ナトリウム利尿ペプチド増加	-	1 (0.22)	1 (0.22)

MedDRA/J version (28.0)

表 4：血圧低下関連事象

	重篤 N (%)	非重篤 N (%)	全体 N (%)
解析対象症例数	453		
血圧低下関連事象	-	3 (0.66)	3 (0.66)
低血圧	-	1 (0.22)	1 (0.22)
低血圧	-	1 (0.22)	1 (0.22)
その他の低血圧の可能性のある症状	-	2 (0.44)	2 (0.44)
浮動性めまい	-	1 (0.22)	1 (0.22)
悪心	-	2 (0.44)	2 (0.44)

MedDRA/J version (28.0)

最新の電子化された添付文書、その他情報等は、PMDAホームページ「医薬品に関する情報」及び弊社ホームページでご覧いただくことができます。また、添付文書閲覧アプリ「添文ナビ」を利用し、GS1バーコードを読み取ることでご覧いただくこともできます。

- ・PMDAホームページ「医薬品に関する情報」<https://www.pmda.go.jp/safety/info-services/drugs/0001.html>
- ・BioMarin Pharmaceutical Japan「医療関係者向け情報サイト」<https://www.bmrn.co.jp/physicians/>
- ・ボックスゾゴ皮下注用GS1コード

