



本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が、2026年2月23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-reports-fourth-quarter-and-full-year-2025-financial-and-operating-results/>

バイオマリン社

2025年第4四半期および通年の財務および業績発表

2025年通年の総売上は前年同期比13%増で32億ドル、酵素補充療法治療薬の収益成長率9%とVOXZOGO®の収益成長率26%が牽引

2025年第4四半期の総売上は前年同期比17%増、酵素補充療法治療薬の売上が13%増とVOXZOGO®の売上が31%増の成長となり牽引

ファブリー病に対するGalafold®やポンペ病に対するPombiliti® + Opfolda®などを擁するAmicus Therapeutics社を買収する最終契約の締結（規制当局の認可等の前提条件に従う）、買収完了後の事業への貢献を通じた売上成長および収益源の多様化の見込み

2026年第2四半期に手続きの完了が見込まれる発表済みのAmicus社買収によるクロージング後の寄与を除く、2026年の業績見通しを公表

サンラファエル（米国・カリフォルニア州）発 BioMarin Pharmaceutical Inc.（以下バイオマリン社）（NASDAQ：BMRN）は、2025年12月31日を期末とする第4四半期および通年の業績を発表しました。

バイオマリン社 アレクサンダー・ハーディ社長兼最高経営責任者（CEO）は、次のように述べています。「2025年、オペレーショナル・エクセレンスによって、2桁のトップライン成長、強力な収益性、キャッシュフローの増加など、財務業績の強化がもたらされました。また、当社のパイプラインでは複数の医薬品の開発も前進し、Amicus社の買収の発表をもってこの年を締めくくりました。Amicus社の手続きは第2四半期に完了する見込みですが、世界中のより多くの患者さんに製品をお届けし、今後10年間の売上成長をさらに強化する絶好の機会となるでしょう。

私たちは、2026年にさらに1年間、事業全体で好調な財務実績と勢いをもってこの成功を積み上げると期待しています。成長を続ける酵素補充療法事業に Galafold と Pombiliti + Opfolda が加わり、VOXZOGO をはじめとする力強い成長が継続するものと考えています。現在の事業ポートフォリオに加えて、研究開発パイプライン全体で期待感が高まり、この1年を通じてパイプラインに関連するイベントが多数予定されています。これには、承認申請の裏付けとなる3つの主要なデータの発表、2つの対象年齢の拡大、そしてポートフォリオの著しい進展に向けた複数の臨床プログラムの前進が含まれます。「私たちは、今年待ち受けるさまざまな展開に大きな期待と活力を感じており、掲げた野心的な優先課題の達成に今年も引き続き取り組んでいく考えです。こうした取り組みを通じて、イノベーションと持続的な成長への揺るぎないコミットメントを示し、患者さん、従業員、そして株主の皆さまに貢献できると確信しています。」

2025 年事業ハイライト

イノベーション

- ・ バイオマリン社の長時間作用型 C 型ナトリウム利尿ペプチド (CNP) である BMN 333 の開発が加速しました。第 1 相の PK データでは目標とする遊離 CNP 曝露量を上回る結果が得られました。本剤は開発中であり、有効性・安全性は確立していませんが、今後の臨床開発を通じて軟骨無形成症に対する新たな治療選択肢となり得る可能性を検討しています。
- ・ VOXZOGO について、CANOPY プログラムの一環として、軟骨低形成症を含む複数の疾患を対象に適応拡大に向けた臨床開発を進めています。
- ・ 12~17 歳児を対象とした PALYNZIQ® の第 3 相 PEGASUS 試験において、思春期 PKU 患者を対象に血中 Phe の変化が評価され、食事療法のみの場合と比較した結果が報告されました。
- ・ デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 BMN 351 の開発が進み、第 1/2 相データとして、25 週時点のジストロフィン発現に関する探索的解析結果が報告されました。

成長

- ・ ポートフォリオ全体にわたる力強い患者需要により、2025 年通期の売上高は前年比 13% 増となりました。
- ・ 2025 年通期の酵素補充療法治療薬の売上は前年同期比 9% 増で、PALYNZIQ の前年同期比 22% 増となった堅調な成長が牽引し、治療継続患者数の推移等に支えられています。
- ・ VOXZOGO の 2025 年通期売上高は前年比 26% 増となり、55 の市場における本剤の商業展開の進展が成長を牽引しました。2025 年通期の VOXZOGO 売上の約 73% は米国外 (OUS) 市場が占めており、同剤が世界各国で力強く普及していることを示しています。

バリュー・コミットメント

- ・ 2025 年 12 月に Amicus Therapeutics 社の買収を発表しました。規制当局の認可、Amicus 社株主の承認、その他の慣習的なクローリング条件を充足することを条件として 2026 年第 2 四半期の買収完了を予定しています。高成長製品であるファブリー病治療薬 Galafold とポンペ病治療薬 Pombiliti + Opfolda の追加は、バイオマリン社の売上成長を加速させ、収益性を向上させることが期待されます。2026 年後半には、Pombiliti + Opfolda について、思春期への対象年齢拡大を目指しています。
- ・ 2025 年第 4 四半期のキャッシュフローは総額 1 億ドル、2025 年通年では総額 8 億 2,800 万ドルでした。現金と投資の総額は年末で約 20 億ドルであり、営業キャッシュフローの持続的な増加は、イノベーションと将来の成長への継続的投資を支えると予想されます。
- ・ 2025 年の好調な業績により、Inozyme 買収に関連する取得時研究開発費 (IPR&D) 費用 (1 株当たり 1.10 ドル) および ROCTAVIAN® に関連する在庫評価損 (税引後で合計 1 株当たり 0.46 ドル) を除いて、GAAP ベースおよび Non-GAAP ベースの希薄化後一株当たり利益 (EPS) が大幅に増加しました。
- ・ 当社は、Amicus 社の買収を支えるために、高い需要を背景に約 37 億ドルの非転換社債による資金調達を確保し、資本構造全体で有利な条件を実現しました。

2026年のプログラム更新予定

※以下は主に海外における開発・申請計画の概要です。各プログラムは開発中であり、有効性・安全性は確立していません。また、承認取得・適応拡大・上市時期等は規制当局の審査等に左右され、保証されるものではありません。

VOXZOGO :

- 2026 年前半 : HCH 第 3 相臨床試験データ、2026 年後半 : 承認申請
- 2026 年第 2 四半期に、軟骨無形成症に対する VOXZOGO の通常承認取得のための米国医薬品承認事項一部変更承認申請 (sNDA)
- 特発性低身長症、ヌーナン症候群、ターナー症候群、SHOX 異常症を対象とした第 2 相試験の推進

BMN 333 (長時間作用型 CNP) :

- 2026 年前半に軟骨無形成症を対象とした第 2/3 相試験を開始

PALYNZIQ :

- 米国における思春期患者への対象年齢拡大の審査終了目標日は 2026 年 2 月 28 日であり、欧州は 2026 年中を承認目標としている

BMN 401 :

- 2026 年前半に 1~12 歳の ENPP1 欠損症患者を対象とする第 3 相試験のトップラインデータ、2026 年後半に海外での承認申請、2027 年にこの疾患で初めての上市を目指しています

BMN 351 :

- Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Congress (2026 年 3 月 8 日~11 日) における 6 mg/kg および 9 mg/kg コホートの第 1/2 相データ発表

ROCTAVIAN :

- バイオマリン社は、2025 年 10 月に ROCTAVIAN の売却検討を発表した後、譲渡の可能性を含めた取り組みを進めてきました。しかし、こうした努力にもかかわらず、適当な譲渡先を見つけることができなかつたため、ROCTAVIAN を自主的に市場から撤退することを決定しました。

2025 年第 4 四半期財務ハイライト

- 2025 年度第 4 四半期の**総売上**は、全世界での新患治療開始と、主に南米の政府からの大型受注のタイミングによる VOXZOGO の売上の前年同期比 31%増により、前年同期比 17%増の 8 億 7,500 万ドルとなりました。同四半期、バイオマリン社の酵素補充療法薬 (ALDURAZYME、BRINEURA、NAGLAZYME、PALYNZIQ および VIMIZIM) の売上高も、2024 年度第 4 四半期と比較して 13%増加しました。これは全世界における患者需要の増加と政府からの大型受注のタイミングが重なったことによるものです。
- **GAAP 純損失**は、2025 年度第 4 四半期に前年同期の GAAP 純利益の 1 億 2,500 万ドルと比較して、4,700 万ドルでした。GAAP 純損失の増加は主に、ROCTAVIAN の市場からの自主的撤退を会社が戦略的に決定し、その結果四半期中に約 2 億 4,000 万ドルの費用が発生したこと起因します。これらの費用は主に、売上原価に含まれる在庫償却 1 億 1,900 万ドルと、販売費および一般管理費に含まれ

る長期資産減損 1 億 1,800 万ドルで構成されています。GAAP 純損失の増加は、上述した収益成長の改善と法人税費用の減少により一部相殺されています。

- 2025 年度第 4 四半期の **Non-GAAP ベースの利益**は、前年同期の 1 億 8,000 万ドルと比較して、8,900 万ドル減少しました。Non-GAAP ベースの利益の減少は主に、ROCTAVIAN の在庫の評価損を売上原価に含めて計上していることに起因します。Non-GAAP ベースの収益の減少は、上述の収益成長の改善により一部相殺されています。

財務ハイライト（単位：百万米ドル、1 株当たりデータを除く、未監査）

	第四半期 12 月 31 日まで			2025 年度 12 月 31 日まで		
	2025	2024	%	2025	2024	%
総売上高	\$875	\$747	17%	\$3,221	\$2,854	13%
製品別純利益						
VOXZOGO	\$273	\$208	31%	\$927	\$735	26%
酵素補充療法：						
VIMIZIM	\$206	\$191	8%	\$792	\$740	7%
NAGLAZYME	120	110	9%	485	480	1%
PALYNZIQ	125	100	25%	433	355	22%
ALDURAZYME	49	39	26%	209	184	14%
BRINEURA	49	48	2%	186	169	10%
酵素補充療法合計	\$549	\$488	13%	\$2,105	\$1,928	9%
KUVAN	\$23	\$28	(18)%	\$100	\$121	(17)%
ROCTAVIAN：	\$13	\$11	18%	\$36	\$26	38%
GAAP ベース利益（損失） ⁽¹⁾	\$(47)	\$125	(138)%	\$349	\$427	(18)%
Non-GAAP ベース利益 ⁽¹⁾⁽²⁾	\$89	\$180	(51)%	\$614	\$686	(10)%
GAAP ベース営業利益率 % ⁽¹⁾⁽³⁾	(5.1)%	21.6%		12.7%	17.0%	
Non-GAAP ベース営業利益率 % ⁽¹⁾⁽²⁾⁽⁵⁾	15.1%	31.1%		23.3%	28.6%	
GAAP ベースの希薄化後一株当たり利益 (EPS) ⁽¹⁾⁽⁴⁾	\$(0.24)	\$0.64	(138)%	\$1.80	\$2.21	(19)%
Non-GAAP ベースの希薄化後一株当たり利 益 ⁽¹⁾⁽²⁾⁽⁵⁾	\$0.46	\$0.92	(50)%	\$3.15	\$3.52	(11)%

- (1) 2025 年 12 月 31 日までの 12 カ月間に Inozyme 社の買収に関連して取得した IPR&D 費用 2 億 2,100 万ドル（又は一株当たり約 1.10 ドル）が含まれます。
- (2) Non-GAAP ベースの利益、Non-GAAP ベースの営業利益率、Non-GAAP ベースの希薄化後 1 株当たり利益の定義、および米国会計基準で報告された比較可能な情報との関連した調整については、本プレスリリースの原文 10 ページ以降の Non-GAAP 情報を参照ください。
- (3) GAAP ベースの営業利益率は、GAAP ベースの営業利益（損失）を総売上高で除したものです。
- (4) 2025 年 12 月 31 日までの 3 カ月間および 12 カ月間に、ROCTAVIAN の市場からの自主的撤退を会社が戦略的に決定したことに関連する再編費用約 2 億 4,000 万ドル（または一株当たり約 0.94 ドル）が含まれます。

- (5) 2025年12月31日までの3カ月間および12カ月間に、ROCTAVIANの市場からの自主的撤退を会社が戦略的に決定したことに関連する在庫償却費1億1,900万ドル（または一株当たり約0.46ドル）が含まれます。

Non-GAAPに基づく将来の財務情報

バイオマリン社は、GAAPベースの財務指標（売上高を除く）の指針や将来のNon-GAAPベースの財務指標と最も直接的に比較可能なGAAPベースの財務指標への調整を提供していません。これは、不合理な努力を伴うことなく、戦略的ポートフォリオおよび事業運営モデルの見直し、将来起こりうる資産の減損、投資損益、ならびにその他の通常ではない損益に起因する変化が財務に与える影響を合理的な確実性をもって予測することはできないためです。これらの項目は不確実であり、様々な要因に左右され、ガイダンス期間のGAAP報告業績に重大な影響を与える可能性があります。そのため、いかなる調整が提供される場合にも、その正確性の程度により、投資家を混乱させ又は誤解を招く可能性があります。

2026年度財務見込み（単位：百万ドル、1株当たり利益の金額を除く）

- 2026年の見込みでは、2026年第2四半期に手続き完了予定の発表済みのAmicus Therapeutics社買収のクローリング後の寄与を除外しています。
- 総売上高の見込みには、2026年に酵素補充療法とVOXZOGOで患者さんの需要が引き続き高いとする予想を反映しています。
- その他の利益見込みは、KUVAN、ロイヤルティ利益（2026年1月の米国のFirdapseロイヤルティ期間終了を含む）、および当社がROCTAVIANを市場から自主的に撤退する戦略的決定を反映しています。
- Non-GAAPベースの希薄化後EPSの見込みには、Amicus社の取引に関連する約0.25ドルのクローリング前の営業費用と利息費用が含まれます。
- 2026年には、Amicus社の取引による影響を除き、Non-GAAPベースの営業利益率は通年で約40%となる見込みです。

項目	2025実績	2026ガイダンス		
総売上高	\$3,221	\$3,325	to	\$3,425
酵素補充療法	\$2,105	\$2,225	to	\$2,275
VOXZOGO	\$927	\$975	to	\$1,025
その他の売上 ⁽¹⁾	\$189	\$100	to	\$125
Non-GAAPベースの希薄化後1株当たり利益 ⁽²⁾⁽³⁾	\$3.15	\$4.95	to	\$5.15

(1) その他の売上には、KUVAN、ROCTAVIAN、ロイヤルティが含まれます。

(2) Non-GAAPベースの希薄化後1株当たり利益の定義については、本プレスリリース10ページ以降のNon-GAAP情報を参照ください。

(3) Non-GAAPベースの希薄化後1株当たり利益ガイダンスは約2億株の加重平均希薄化後発行済み株式を前提としています。

バイオマリン社について

バイオマリン社は、遺伝学的要因により生じる疾患を持つ患者さんに医薬品を提供することに重点を置き、希少疾患の分野を牽引する世界的なバイオテクノロジー企業です。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複数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、患者さんに多大な影響を及ぼすカテゴリ一定義薬を追求することで、遺伝科学の可能性を最大限に引き出すことを目指しています。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

本プレスリリースならびに関連するカンファレンスコールおよびウェブキャストには、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）。2026年および将来の期間における総売上高、Non-GAAPベースの営業利益率およびNon-GAAPベースの希薄化後1株当たり利益（EPS）に関する期待事項を含む将来の財務業績、これらの結果の基礎となる要因、例えば、バイオマリン社の酵素補充療法治療薬ポートフォリオの期待される需要および継続的な成長、VOXZOGOの期待される成長、およびその他の売上の期待される影響など。バイオマリン社が予定している Amicus Therapeutics, Inc.の買収の予想される手続き完了と利益。バイオマリン社のイノベーションおよび今後の成長に対する投資計画。市販製品の受注のタイミング。バイオマリン社の製品候補および市販製品の開発、商業化および商業化の見通しに関する計画および期待事項、例えば、研究開始、研究の進歩、データの発表、申請、提出、承認および適応拡大などの臨床研究および臨床試験ならびに製品承認に関連する措置の見込みおよび時期など。バイオマリン社の市販製品および製品候補に期待される効果と入手可能性。バイオマリン社の製品候補および市販製品が標的とする疾患に関して、対象となる患者集団全体（TAPP）に関する前提事項および期待事項を含む、潜在的な成長機会と傾向。

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。バイオマリン社による製品の商業化の成功。買収を完了させ、予想される利益を実現するバイオマリン社の能力。マクロ経済およびその他の外部要因がバイオマリン社の事業に及ぼす影響、規制上の不確実性、新規関税または関税増加、その他の貿易保護対策、および貿易緊張の高まりによる影響。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ならびにこれらの試験から得られるデータの公表。バイオマリン社が製品および製品候補の製造を成功させる能力。本プレスリリースに記載された各製品および製品候補に関する米国食品医薬品局、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。これらの各製品の市場。バイオマリン社の製品需要への対応能力。バイオマリン社の市販製品の実際の販売状況。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9月30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、これに限定されません）。将来見通しに関する記述はあくまでも本プレスリリースの発表日時点におけるものであるため、投資家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[®]、VOXZOGO[®]、VIMIZIM[®]、NAGLAZYME[®]、PALYNZIQ[®]、BRINEURA[®]、KUVAN[®]およびROCTAVIAN[®]は、BioMarin Pharmaceutical Inc.またはその関連会社の登録商標です。ALDURAZYME[®]はBioMarin/Genzyme LLCの登録商標です。本プレスリリースに記載されているその他のブランド名、サービスマーク、商標、その他の商号は、各所有者に帰属します。

CORP-BM-0081 April 2026