



本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が、2026年5月20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。

[BioMarin Announces Positive Phase 3 Pivotal Study Results for VOXZOGO® \(vosoritide\) in Children with Hypochondroplasia | BioMarin Corporate](#)

バイオマリン社

軟骨低形成症の小児を対象とした VOXZOGO®（一般名：ボソリチド）の 第3相ピボタル試験における主要評価項目を達成した結果を発表

- 本試験は主要評価項目を達成し、52週時点の年間成長速度（AGV、ベースラインからの変化量）はプラセボとの比較で2.33 cm/年と統計的に有意な改善に加え、立位身長および身長のZスコアの統計的に有意な増加が認められた
- 本試験では、機能的自立に関連する重要な指標であるアームスパンについて、52週時点でプラセボ群と比較して統計学的に有意な改善が示された
- 安全性所見は軟骨無形成症で確立された安全性プロファイルと一貫しており、新たな安全性シグナルは特定されなかったが、引き続き評価が行われる予定
- 米国食品医薬品局（FDA）への医薬品承認事項変更申請（sNDA）の提出を第3四半期に計画しており、その後に、欧州医薬品庁（EMA）およびその他の地域の規制当局への提出が計画されている
- データの詳細については今後の医学学会で発表予定

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、軟骨低形成症の小児患者を対象とした VOXZOGO®（一般名：ボソリチド）の第

3相 CANOPY-HCH-3 試験が主要評価項目を達成し、52 週時点における年間成長速度（AGV）のベースラインからの変化量について、プラセボとの比較で統計的に有意な増加（最小二乗平均差は+2.33 cm/年、 $p<0.0001$ ）を示したことを発表しました。VOXZOGO を投与された小児は、1 年投与後にプラセボと比較して、立位身長（ $p<0.0001$ ）および身長の Z スコア（ $p<0.0001$ ）が統計的に有意に増加しました。

また、この試験で事前に規定した主要副次評価項目であるアームスパンの有意な改善が認められました（ $p=0.004$ ）。これらの肯定的な知見は、手足の届く範囲、日常活動および自立の改善をもたらして軟骨低形成症の小児にとって重要な意味を持つ可能性があり、患者コミュニティで意味のあるアウトカムとして注目されています。

主任治験責任医師で、Children's National Hospital（ワシントン D.C）の内分泌科長である Andrew Dauber 医師は次のようにコメントしています。「軟骨低形成症の小児を治療する医師として、これらの好ましい結果は臨床的意義が期待される結果です。長らく治療の選択肢がありませんでしたが*、今回、成長にこうした改善が見られたことは、今後の評価に資する重要な知見であると考えています。このデータは、軟骨低形成症の小児をどのように治療するか、という将来的な治療の選択肢の検討に資する可能性があることを示唆しています。」（訳注*本邦では成長ホルモン製剤が軟骨異栄養症として承認済）

バイオマリン社エグゼクティブ・バイスプレジデント兼最高研究開発責任者である Greg Friberg 医師は次のようにコメントしています。「軟骨低形成症を対象とした第 3 相ピボタル試験は、アームスパンの改善に加え、成長への影響が確認され、VOXZOGO がこの疾患における治療理解を更に深める可能性を示しました。今回の試験でこれらの結果が得られたことは重要な進展であり、このアウトカムを可能にしたご家族と治験担当医師の皆さまには深く感謝しています。今後これらのデータを規制当局やさまざまなコミュニティと共有することを予定しており、この薬剤を世界中の軟骨低形成症を持つ小児患者さんにお届けできるよう尽力します。」

VOXZOGO の試験での安全性所見は軟骨無形成症で確立された安全性プロファイルと一貫しており、新たな安全性シグナルは確認されませんでした。安全性については今後も継続的に評価されます。CANOPY-HCH-3 試験のすべての結果は今後の医学学会で発表される予定です。

米国食品医薬品局（FDA）への医薬品承認事項変更申請（sNDA）の提出を 2026 年の第 3 四半期に計画しており、その後に、欧州医薬品庁（EMA）およびその他の地域の規制当局への提出が計画されています。

CANOPY-HCH-3 試験について

CANOPY-HCH-3（111-303 試験）は、3 歳～17 歳の軟骨低形成症の小児患者 80 名を対象として、VOXZOGO の有効性および安全性を評価するようデザインされた第 3 相無作為化（1 : 1）、二重盲検プラセボ対照、グローバル多施設共同試験です。この試験の主要評価項目は、プラセボと比較した、52 週時点における年間成長速度（AGV）のベースラインからの変化量でした。事前に規定した主要副次評価項目は、安全性および忍容性の評価に加え、立位身長、身長の Z スコア、アームスパン、上体と下体の身体比率および健康関連の生活の質におけるベースラインからの変化量などでした。長期継続投与試験において、被験者の追跡調査を継続します。

軟骨低形成症について

軟骨低形成症は、骨成長障害を特徴とする稀な遺伝性骨系統疾患であり、不均衡な低身長と骨格差をもたらし、これにより長骨、脊椎、その他の骨格部分に影響を及ぼす可能性や、身体機能や全体的な生活の質に影響を及ぼす場合があります。この疾患は、広範囲かつ多様な臨床スペクトラムを示し、耳鼻咽喉科的（耳、鼻および咽喉関連）および神経学的合併症を伴うことがあり、多くの場合、臨床所見および放射線学的所見に基づいて幼児期または学童前期に診断されます。

現在のところ、米国食品医薬品局または欧州医薬品庁に承認された軟骨低形成症の治療薬はありません。

軟骨低形成症、軟骨無形成症、およびその他骨系統の骨格疾患を対象とした臨床試験に関する詳細については、clinicaltrials.biomarin.com をご参照ください。

VOXZOGO（ボソリチド）について

VOXZOGO は、骨端線閉鎖を伴わない軟骨無形成症の全年齢の小児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に基づいて、この適応が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る可能性があります。この市販後の要件を満たすため、バイオマリン社は軟骨無形成症に対する VOXZOGO の通常承認に向けて 2026 年 4 月に米国で承認事項変更申請（sNDA）を提出しました。同社は 2026 年第 3 四半期までに sNDA の受理通知を受ける予定です。

バイオマリン社について

バイオマリン社は、遺伝学的に定義された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治療薬のポートフォリオ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、独自の創薬・開発に対するアプローチにより、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）。バイオマリン社の VOXZOGO プログラムの開発全般、特に軟骨低形成症の小児を対象に VOXZOGO 投与を評価した第 3 相ピボタル試験（CANOPY-HCH-3 試験）の結果。軟骨低形成症の小児に対する VOXZOGO の安全性プロファイルおよび潜在的ベネフィット（VOXZOGO が軟骨低形成症の治療状況を根底から変える可能性を含む）。バイオマリン社が 2026 年後半に世界各国の規制当局に対し提出する承認申請の計画。VOXZOGO の需要に関するバイオマリン社の期待事項。

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

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。CANOPY-HCH-3 試験結果の最終解析。臨床試験中の患者への継続的なモニタリングで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（SEC）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 2026 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®および VOXZOGO®は BioMarin Pharmaceutical Inc.の登録商標です。

COM-SC-1803 June 2026