



本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が、2026 年 6 月 16 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 New Three-Year VOXZOGO® \(vosoritide\) Data in Hypochondroplasia and BMN 333 Early Results at ENDO 2026 | BioMarin Corporate](#)

バイオマリン社

軟骨低形成症に対する VOXZOGO®（一般名：ボソリチド）の 3 年間の新データと BMN 333 の早期結果を ENDO 2026 で発表

- 医師主導試験により、軟骨低形成症の小児において VOXZOGO 投与が 3 年間にわたり持続的な成長改善をもたらすことが示された
- 開発中の BMN 333 の新たな第 1 相試験結果も発表され、軟骨無形成症の小児患者への週 1 回投与の可能性が示唆された

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）および軟骨無形成症に対する BMN 333 の新たな試験データが、シカゴで開催された米国内分泌学会 ENDO 2026 で公開されたことを発表しました。

Children's National Hospital の Andrew Dauber 医師および治験担当医師が主導し、軟骨低形成症の小児患者 13 名を組み入れた VOXZOGO の医師主導第 2 相・3 年間継続試験の新たなデータが、年間成長速度（AGV）と身長標準偏差スコア（SDS）の持続的な改善と、好ましい安全性プロファイルを示しました。3 年間の治療で平均身長 SDS は 0.72 SD 改善し、平均 AGV はベースラインの 4.27 cm/年から 1 年後には 7.24 cm/年（ $p < 0.001$ ）に増加し、2 年目と 3 年目を通じてベースラインを上回り続けました。

バイオマリン社は、軟骨低形成症の小児患者を対象として VOXZOGO を評価する、承認申請を目的とした第 3 相ヒト試験である CANOPY-HCH-3 試験の肯定的なトップライン結果を最近発表しました。これらの結果は、2026 年の第 3 四半期に米国食品医薬品局（FDA）に提出予定の医薬品承認事項変更申請（sNDA）に組み込まれます。

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。「先日発表した良好な第 3 相試験の結果を踏まえて、今回の新たな長期間のデータは、軟骨低形成症の小児患者さんの成長アウトカムに意味のある改善をもたらす VOXZOGO の可能性をさらに強く支持するものです。重要なのは、長期にわたる持続的な成長の改善と良好な安全性プロファイルを観察し、VOXZOGO のこの新たな適応の可能性を裏付けるエビデンスの蓄積に加えることです。」

BMN 333 の第 1 相データ、後期開発への前進を後押し

ENDO 2026 で発表された追加データは、軟骨無形成症に対して、バイオマリン社の開発中の長時間作用型 C 型ナトリウム利尿ペプチド (CNP) BMN 333 の可能性を際立たせました。健康成人を対象とする第 1 相用量漸増単回投与試験において、BMN 333 は持続的な全身曝露および薬力学的標的への長時間にわたる結合が認められ、週 1 回投与スケジュールを支持する結果が示されました。BMN 333 の最大試験用量 (500 μ g/kg) では、別の長時間作用型 CNP 薬との比較で遊離 CNP への曝露が 13 倍超に増加し、軟骨無形成症の新たな標準治療となる BMN 333 の可能性を表しています。BMN 333 は評価したすべての投与量で良好な忍容性を示し、用量制限毒性は認められず、治療関連の重篤な有害事象は認められませんでした。

バイオマリン社は、承認申請を目的とした BMN 333 の第 2/3 相試験の患者登録を 4 月に開始しました。この試験の用量設定パートの最新データは、2027 年に発表予定です。

軟骨無形成症について

軟骨無形成症は、ヒトにおいて不均衡な低身長をもたらす骨格異形成の中では最も多くみられる疾患で、軟骨内骨化の遅れを特徴とし、不均衡な低身長と、長骨、脊椎、顔面、頭蓋底の形成不全をもたらします。この疾患は、骨成長の負の調節因子である FGFR3 遺伝子の変異によって引き起こされます。

軟骨無形成症の小児患者の 80% 以上は平均的な身長のお母さんを持ち、自然発生的な遺伝子変異の結果として疾患を発症します。全世界での軟骨無形成症の発生率は、生児出生 25,000 件に約 1 件です。VOXZOGO は、成長板がまだ「開いている」小児、典型的には 18 歳未満の小児を対象として試験されています。軟骨無形成症患者の約 25% がこのカテゴリーに含まれます。

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。バイオマリン社は、同社の事業展開している国・地域において約 14,000 人の軟骨低形成症の小児患者が VOXZOGO の治療対象になりうると推定しています。

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® 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が負の調節を受けます。VOXZOGO 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、軟骨内骨成長を促進します。

VOXZOGO は、出生時から開始して軟骨無形成症の小児患者の成長を助けるために承認された唯一の薬剤であり、国際的なコンセンサスの取れたガイドラインでできるだけ早期に VOXZOGO の投与を開始することが推奨されています。2021 年に最初に承認され、50 を超える国で 5,000 人を超える乳児および小児に投与されています。バイオマリン社は、継続中の試験を通じて、アームスパン、脛骨弯曲（脚の弯曲）、身体比率、脊髄の形態（脊柱管狭窄を含む）、生活の質など、軟骨無形成症患者に関連する重要な臨床評価項目について、引き続き VOXZOGO を評価しています。

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。

軟骨低形成症に対する VOXZOGO の使用は、まだいずれの規制当局の承認も受けていません。

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 9 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、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ー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）。米国内分泌学会 ENDO 2026 の口頭発表およびポスター発表で発表するデータ（口頭発表およびポスター発表を含む）。軟骨低形成症の小児患者を対象とした VOXZOGO の開発についてのバイオマリン社の計画と k 期待事項（安全性プロファイルおよび潜在的なベネフィット、2026 年の第 3 四半期に米国食品医薬品局（FDA）に対し提出する医薬品承認事項変更申請（sNDA）の計画を含む）。軟骨無形成症の小児患者を対象とした BMN 333 の開発に関するバイオマリン社の計画と期待事項（2027 年の BMN 333 の承認申請を目的とした第 2/3 相試験の用量設定パートの最新データを発表する計画を含む）。軟骨無形成症の新たな標準治療となる可能性を含めた BMN 333 の安全性プロファイルおよび潜在的なベネフィット。バイオマリン社の製品候補および製品が対象とする軟骨低形成症を含めた疾患に関して対象となる患者集団全体（TAPP）に関するバイオマリン社の推定。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。

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

COM-SC-1910 July 2026