

本資料は、BioMarin Pharmaceutical Inc.が、2025年2月19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-2024-results-sets-full-year-2025-guidance/>

## バイオマリン社

### 2024年第4四半期および通年の業績発表ならびに2025年業績見通し

2024年の強力な実行力と業務改革が過去最高の業績をもたらし、2025年の2桁増収増益の弾みとなる

2024年第4四半期総売上 7億4,700万ドル(前年同期比16%増、為替の影響を除き21%増)

2024年総売上 28億5,000万ドル(前年同期比18%増、為替の影響を除き22%増)

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、2024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。「2024年の業務改革と強力な財務実績は、バイオマリン社のさらなる継続的成長の第一歩となるでしょう。私たちは、2025年を、遺伝性疾患の治療において力強いリーダーシップを発揮し、画期的な医薬品を患者さんにお届けするための準備の年と位置付けています。今年、デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 BMN 351、骨格系疾患治療薬 BMN 333 を含む多くの革新的なパイプライン候補の開発が進み、早期の臨床データが得られ、12~17歳のフェニルケトン尿症患者を対象とした治療薬 PALYNZIQ®の第3相試験の結果にも期待を寄せています。PALYNZIQ®のデータが良好であれば、2025年後半に米国と欧州で対象年齢を拡大する申請をする予定です。」  
「軟骨無形成症治療薬 VOXZOGO®の継続的なグローバル展開により、骨格系疾患ビジネスユニットは2025年も強力な実行力と成長の年になると期待しています。酵素補充療法ビジネスユニットでは、世界中のより多くの患者さんに製品をお届けするため、新たな取り組みを進めています。このような業績に加えて、当社は事業開発戦略を実行するとともに、CANOPY 臨床プログラムにおいて VOXZOGO®の5つの新たな適応症への開発を進める予定です。従って、2025年においても、当社の新たな企業戦略と事業モデルによって引き続き高い業績を達成できると期待しています。」

#### 第4四半期財務ハイライト

- 2024年度第4四半期の総売上は、全世界での新患治療開始による VOXZOGO の好調により、前年同期比16%増の7億4,700万ドルとなりました。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)の売上高は、2023 年度第 4 四半期と比較して 9%増加しました。酵素補充療法ビジネスユニットの増収は、全世界における患者需要の増加と、米国外の特定地域における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 純利益**は、2024 年度第 4 四半期に前年同期比 1 億 500 万ドル増の 1 億 2500 万ドルとなりました。この増加は、主に、上述の要因による総利益の上昇、および同社の戦略的ポートフォリオ見直しに伴い終了したプログラムに対する研究開発 (R&D) 支出の減少によるものに起因します。この増加は、主に貸倒費用の増加による販売費および一般管理費 (SG&A) の増加により一部相殺されています。
- 2024 年度第 4 四半期の **Non-GAAP ベースの利益**は、前年同期比 8,500 万ドル増の 1 億 8,000 万ドルでした。Non-GAAP ベースの利益の増加は主に上述の要因によるものです。

## 2024 年度第 4 四半期および通年のハイライトと 2025 年度の見通し

### イノベーション

- **骨格系疾患領域の状況**：最近発表されたデータは、VOXZOGO による早期治療の重要性を示しています。MEDICINE 誌 2024 年 12 月号によると、VOXZOGO は、介護者や医療専門家にとって重要な治療対象分野である身長以外にも貢献していると記載されています。3 年間の追跡調査において、VOXZOGO を投与された子供たちは、同じ年齢層と性別の未投与の子供たちと比較して、体のプロポーションの指標となる上体と下体の身体比率に関するスコアが統計的に有意に改善されました。VOXZOGO は、軟骨無形成症の治療薬として、未治療の対照群と比較して統計学的に有意な体格比の改善を実証して専門誌に発表されました。
- 2025 年 1 月、Nature Reviews Endocrinology 誌に新しい国際的な治療ガイドラインが発表され、軟骨無形成症の早期スクリーニングを行い、診断後すぐに VOXZOGO 治療を行うことで、子どもたちにより良い臨床効果の機会をもたらすと評価されました。このガイドラインは、軟骨無形成症の子どもたちが乳幼児期から治療を受けると重要な決断をする際に、医療従事者や家族が VOXZOGO を選択することへの信頼感を与えると期待しています。
- また 2025 年 1 月には、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 のヒトを対象とした初めての臨床試験を開始しました。本剤の初回の薬物動態 (PK) データは、2025 年末までに、詳細な PK データは 2026 年前半までに得られる予定です。非ヒト霊長類を対象とした BMN 333 の前臨床試験では、遊離 CNP 濃度が 100pM の持続が確認され、他の長時間作用型 CNP アナログと同様の臨床モデルで公表されたデータと比較して、約 2~3 倍の濃度上昇が認められました。
- 同四半期、バイオマリン社は、軟骨低形成症、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 VOXZOGO を用いた CANOPY 臨床プログラムに着手しました。軟骨低形成症を対象とした極めて重要な臨床試験は、2025 年前半に患者登録が完了する見込みで、2027 年の適応拡大に向けて順調に進んでいます。
- **その他臨床パイプラインプログラム** デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対するバイオマリンの次世代アンチセンスオリゴヌクレオチド BMN 351 は、2025 年後半に開催される学術会議において、POC 試験データ (25 週間投与後の筋ジストロフィンレベルを含む) 報告を予定しています。12~17 歳のフェニルケトン尿症患者を対象とした PALYNZIQ の第 3 相試験の結果は、2025 年半ばに報告の見込みで、今年後半に米国および欧州で適応対象年齢拡大の申請をする可能性があります。α1 アンチトリプシン欠乏症 (AATD) 関連肝疾患の経口治療薬である BMN 349 については、ヒトを対象とした初めての臨床試験の単回投与 (SAD) フェーズが終了し、2024 年 12 月に複数回投与 (MAD) フェーズの投与を開始しました。

## 成長

- 2024 年の VOXZOGO の売上は、世界的な高い需要により、2023 年同期比で第 4 四半期は 42%増、通期では 56%増となりました。VOXZOGO の広範な安全性と有効性プロファイルにより、より多くのご家族が早期に治療介入を開始し、成長速度の持続的な増加に加え、頭蓋顔面容積、大後頭孔面積、体格比例、QOL を改善できる可能性があります。2024 年末現在、47 カ国で VOXZOGO は、売上に貢献しており、2027 年までに 60 カ国以上で VOXZOGO が使用可能になると期待しています。VOXZOGO は、2023 年から 2027 年にかけて 25%を超える年平均成長率(CAGR)を達成する予想です。
- VOXZOGO のグローバル展開の内訳では、VOXZOGO の総売上のうち、米国と米国外(OUS)からの比率を発表しました。2024 年第 4 四半期の VOXZOGO の世界での売上は、2 億 800 万ドルで、米国 26%、米国外 74%でした。2024 年通年では、VOXZOGO の世界での売上は 7 億 3,500 万ドルで、米国 24%、米国外 76%となっています。
- 軟骨無形成症の最大の市場である米国では、同四半期に治療を開始した新規患者の大半は 5 歳未満の小児でした。2025 年においては、米国内での販売の勢いが、乳児期からすべての年齢層を対象とした VOXZOGO の継続的な世界的拡大に大きく寄与することが期待されます。
- 酵素補充療法治療薬は、引き続き成長の原動力であり、2024 年第 4 四半期の売上高は前年同期比 9%増、通期では同 12%増となりました。2024 年は受注のタイミングが良かったため、ALDURAZYME の売上が前年同期比 40%増となりました。2024 年通年では、ALDURAZYME を除く酵素補充療法治療薬が前年比 10%増の成長に寄与しました。2024 年を通して PALYNZIQ の売上は 2 桁の伸びを示しており、また、当社の他の酵素補充療法治療薬の堅調な成長は 2025 年も続くと予想され、年平均成長率 1 桁台後半という長期的な成長の見通しで順調に推移しています。

## バリュー・コミットメント

- バイオマリン社は、2024 年、事業全体で記録的な業績を達成しました。2024 年通年の総売上は 18%増加しました。バイオマリン社の通年の GAAP ベースの営業利益率は 17.0%で前年比 9.3%ポイント上昇し、GAAP ベースの希薄化後 1 株当たり利益(EPS)は 2.21 ドルで前年比 154%上昇しました。Non-GAAP ベースの営業利益率は 28.6%で、前年同期比 9.2%ポイント上昇、Non-GAAP ベースの希薄化後 1 株当たり利益 EPS は 3.52 ドルで、前年同期比 69%上昇しました。これらの収益性指標は売上高の伸びを上回るペースで上昇しており、当社の経営効率化への注力の表れといえます。
- 2025 年には、2024 年 9 月に発表した 5 億ドルのコスト構造改革を引き続き実行し、2026 年にはその効果が十分に実現する予定です。この 2025 年の効率化の統合により、バイオマリン社は、2026 年に Non-GAAP ベース営業利益率において 40%を実現できると予想しています。
- 2025 年の総売上高見通しは、VOXZOGO の継続的なグローバル展開と酵素補充療法治療薬全体の堅調な需要が牽引し、中間点で前年比 10%増となる見込みです。2027 年の総売上高目標は約 40 億ドルです。Non-GAAP ベースの営業利益率は年度の中間点で前年同期比 14%(3.9 ポイント)増、Non-GAAP ベースの希薄化後 1 株当たり利益(EPS)は年度の中間点で前年同期比 22%増となる見込みです。
- 2024 年通年のキャッシュフローは、5 億 7300 万ドルで、2023 年通年と比べ 260%増加しました。第 4 四半期末のキャッシュおよび投資総額は約 17 億ドルです。収益性向上が見込まれるバイオマリン社は、2027 年以降の年間 12 億 5000 万ドル以上のキャッシュフローを目指し、将来にわたってキャッシュフローを増加させる体制を整えています。

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			2024年度		
	12月31日まで			12月31日まで		
	2024	2023	% Change	2024	2023	% Change
総売上高	\$747	\$646	16%	\$2,854	\$2,419	18%
製品別純利益						
VOXZOGO	\$208	\$146	42%	\$735	\$470	56%
酵素補充療法:						
VIMIZIM	\$191	\$176	9%	\$740	\$701	6%
NAGLAZYME	110	98	12%	480	420	14%
PALYNZIQ	100	88	14%	355	304	17%
BRINEURA	48	44	9%	169	162	4%
ALDURAZYME	39	43	(9)%	184	131	40%
酵素補充療法合計	\$488	\$449	9%	\$1,928	\$1,718	12%
KUVAN	\$28	\$37	(24)%	\$121	\$181	(33)%
ROCTAVIAN	\$11	\$3	267%	\$26	\$3	767%
GAAPベース利益	\$125	\$20	525%	\$427	\$168	154%
Non-GAAP ベース利益 <sup>(1)</sup>	\$180	\$95	89%	\$686	\$405	69%
GAAP ベース営業利益率 % <sup>(2)</sup>	21.6%	4.2%		17.0%	7.7%	
Non-GAAP ベース営業利益率 % <sup>(1)</sup>	31.1%	17.2%		28.6%	19.4%	
GAAPベースの希薄化後一株当たり利益 (EPS)	\$0.64	\$0.11	482%	\$2.21	\$0.87	154%
Non-GAAPベースの希薄化後一株当たり利益 <sup>(1)</sup>	\$0.92	\$0.49	88%	\$3.52	\$2.08	69%
				2024年12月31日	2023年12月31日	
現金、現金同等物および投資合計				\$ 1,659	\$ 1,685	

(1) 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。

(2) GAAPベースの営業利益率は、GAAPベースの営業利益を総売上高で除したものです。

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。

2025 年度財務見込み(単位:百万ドル、%および 1 株当たり利益の金額を除く)

項目	2025 ガイダンス		
総売上高 <sup>(1)</sup>	\$3,100	to	\$3,200
Non-GAAP ベース営業利益率 % <sup>(2)</sup>	32%	to	33%
Non-GAAPベースの希薄化後1株当たり利益 <sup>(2)(3)</sup>	\$4.20	to	\$4.40

(1) 2025 年通年の総売上に対する VOXZOGO の寄与は 9 億ドルから 9 億 5,000 万ドルの範囲となる見込み。

(2) 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 株当たり利益の定義については、本プレスリリース 10 ページ以降の非 GAAP 情報を参照。

(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、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](http://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)。2025 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、Non-GAAP ベースの希薄化後 1 株当たり利益(EPS)および営業キャッシュフローに関する期待事項、ならびに 2025 年における 2 桁の売上高および収益性の成長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、骨格系疾患の治療薬すなわち VOXZOGO による収益機会、PALYNZIQ を含む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の可能性、バイオマリン社のコスト構造改革による利益の十分な実現および効率性の統合に関する期待事項など。骨格系疾患ビジネスユニットの期待される成長、バイオマリン社の事業開発戦略の実行を含む、2025 年およびそれ以降

におけるバイオマリン社の刷新された企業戦略および事業モデルに関する計画およびその期待される利益。VOXZOGO および酵素補充療法治療薬の将来期間における年平均成長率(CAGR)に関する期待事項。市販製品の受注のタイミング。バイオマリン社の製品需要への対応能力。臨床研究および臨床試験のデータの発表を含むバイオマリン社の臨床開発および商業的見通しのタイミング。バイオマリン社の製品候補および市販製品の臨床開発および商業化に関する計画、例えば、(i) BMN333、BMN349 および BMN351 を含むパイプライン候補の期待される進展、ならびに BMN333 および BMN351 の 2025 年に期待される早期臨床データの発表、(ii) 12~17 歳のフェニルケトン尿症患者を対象とした第 3 相 PALYNZIQ 試験の 2025 年における期待される結果、および 2025 年後半における米国および欧州における対象年齢の拡大申請の計画、(iii) 軟骨低形成症に関する重要な臨床試験の 2025 年前半の患者登録完了および 2027 年の適応拡大に関する計画、(iv) VOXZOGO のグローバル展開および 2027 年までに VOXZOGO が 60 カ国以上で発売予定であることに関する期待事項、(v) バイオマリン社の CANOPY 臨床プログラムにおいて VOXZOGO について新たに 5 疾患への適応拡大を進める計画、(vi) バイオマリン社の酵素補充療法を世界中のより多くの患者さんに提供する計画など。バイオマリン社の製品および製品候補に期待される効果と入手可能性。潜在的な成長機会および動向。

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。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。現在および計画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 2024 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、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®、BRINEURA®、KUVAN®、NAGLAZYME®、PALYNZIQ®、ROCTAVIAN®、VIMIZIM®および VOXZOGO® 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。