

<報道関係各位>

2025年10月22日

Krystal Biotech Japan 株式会社

日本で初めて承認された、栄養障害型表皮水疱症に対する塗布型遺伝子治療用製品

「バイジュベック®ゲル」

薬価基準収載ならびに新発売のお知らせ

Krystal Biotech Japan 株式会社（本社：東京都港区、代表取締役社長 兼 日本ゼネラルマネージャー 笠本 浩）は、遺伝子治療用製品バイジュベック®ゲル（一般名：ベレマゲン ゲベルパベク）について、本日10月22日に、栄養障害型表皮水疱症を効能・効果又は性能として薬価基準に収載され、本日から発売開始することをお知らせします。



バイジュベック®ゲルは、日本で初めて承認された、表皮水疱症（EB）の一種である遺伝性の希少皮膚疾患「栄養障害型表皮水疱症（DEB）」に対する塗布型遺伝子治療用製品です。この疾患は、COL7A1 遺伝子の変異によって引き起こされ、皮膚が非常にもろく、わずかな摩擦や外圧でも水疱や裂傷が生じることが特徴です。Vyuvek® Gel は、疾患の根本原因にアプローチするために設計されており、ヒト COL7A1 遺伝子の機能的なコピーを投与することで、傷の治療と機能的な VII 型コラーゲンタンパク質の発現を再投与により実現するように設計されています。これらの作用により、希少な遺伝性皮膚疾患である栄養障害型表皮水疱症の創傷を治癒する効果が期待されます。

なお、本品は、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（以下、カルタヘナ法）により、適切に取り扱うことが規定されている製品です。患者会ならびに学会の強い要望を受け、医療施設だけでなく自宅での投与が可能となり、患者さんまたはその家族による在宅投与も、条件を満たした場合に適用できる事となりました。

Krystal Biotech Japan の代表取締役社長の笠本 浩は次のように述べています。「日本における栄養障害型表皮水疱症の患者さんは、これまでこの疾患に対して有効な根本治療を受けられずに苦しんでいました。本日、再投与可能な遺伝子治療用製品としてバイジュベック®ゲルが薬価収載され、栄養障害型表皮水疱症の新しい治療選択肢としてお届けできることを大変嬉しく思います。」

Krystal Biotech Japan は、今後もアンメットメディカルニーズの高い希少疾患患者さんへ、革新的な遺伝子治療の開発・製品化に取り組んでまいります。

製品概要

| | | | |
|--------------|--|------------------------------|-----------------------|
| 販売名 | バイジュベック®ゲル | | |
| 一般名 | ベレマゲン ゲベルパベク | | |
| 効果、効能又は性能 | 栄養障害型表皮水疱症 | | |
| 使用目的 | <p>本品は、栄養障害型表皮水疱症（DEB）の原因遺伝子であるヒトCOL7A1遺伝子を搭載した非増殖性組換え単純ヘルペスウイルス1型（HSV-1）を成分とする再生医療等製品である。</p> <p>患者の創傷部位に塗布された本品が真皮のヒト皮膚線維芽細胞及び表皮のヒトケラチノサイトに感染することにより、本品のウイルスゲノムは細胞の核内にエピソームとして留まるとともに、ヒト皮膚線維芽細胞及びヒトケラチノサイトにおいて機能的なCOL7タンパク質を発現する。発現したCOL7タンパク質により、アンカリングフィブリルが形成され、表皮と真皮が繋ぎ止められることで、DEB患者の創傷を治癒する効果が期待される。</p> | | |
| 用法及び用量又は使用方法 | <p>通常、週1回、本品の液滴を約1cm×1cmの格子状になるように皮膚創傷部に滴下塗布する。創傷面積1cm²あたりの投与量は2×10⁷PFU(10μL)を目安とする。</p> <p>本品の1週あたりの最大用量及び最大液量は、下表に従い年齢に基づき算出する。</p> | | |
| | 年齢 | 1週あたりの最大用量 (プラーク形成単位：PFU) | 1週あたりの最大液量 (mL) 注) |
| | 3歳未満 | 2×10 ⁹ | 1 |
| | 3歳以上 | 4×10 ⁹ | 2 |
| | 注) 製剤とHPMCゲルを混合した後の液量 | | |
| 薬価 | バイジュベック®ゲル 1キット：2,955,232.7円 | | |

| | |
|---------|--|
| 製造販売承認日 | 2025年7月24日 |
| 薬価基準収載日 | 2025年10月22日 |
| 発売日 | 2025年10月22日 |
| 製造販売元 | 選任外国製造再生医療等製品製造販売業者 Krystal Biotech Japan株式会社 |

最適使用推進ガイドラインについて

バイジュベック®ゲルは、最適使用推進ガイドラインの対象であり、遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（以下、カルタヘナ法）により、適切に取り扱うことが規定されています。本品を扱う医師、薬剤師、看護師ならびに患者とその家族は、処方や調剤、在宅投与にあたり定められた使用規定を遵守する必要があります。詳しくは、厚生労働省の最適使用推進ガイドライン ベレマゲン ゲベルパベクをご参照ください。

※厚生労働省：最適使用推進ガイドライン ベレマゲン ゲベルパベクより一部抜粋（p.10）

| | |
|---|---|
| 施設要件 （右記に該当する医療機関であること） | <ul style="list-style-type: none"> ● 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物多様性の確保に関する法律（以下、「カルタヘナ法」という）に基づく第一種使用規程（名称：1つのICP22遺伝子及び2つのICP4遺伝子領域を欠失し、2つのICP4遺伝子領域にヒトVII型コラーゲンをコードする配列が挿入された遺伝子組換え単純ヘルペスウイルス1型（B-VEC））に従い、本品を適切に取り扱うことが可能であること。 ● 本品の有効性及び安全性に関する情報を収集するため、本品に課せられている製造販売後調査を適切に実施することが可能であること。 ● DEBの診断、治療及び不具合・副作用発現時の対応並びに十分な知識と経験を有し、製造販売業者が実施する、本品の使用にあたっての講習を修了した医師が、本品を用いた治療の責任者として配置されており、かつ本品の使用にあたっての講習を修了した薬剤師等の調剤担当者が配置されていること。具体的には以下のすべてに該当する医師が治療の責任者として配置されていること。 |
| 治療の責任者に関する要件（右記の基準を満たす医師が、上記の「治療の責任者」に該当する） | <ul style="list-style-type: none"> ● 日本皮膚科学会専門医の資格を有すること ● 表皮水疱症の診療に必要な学識・技術を習得していること ● 製造販売業者による本品の適正使用に関する講習を受講していること ● カルタヘナ法を十分に理解し、施設内における第一種使用規程に従った取扱いが行えること |

バイジュベック®ゲルの第3相試験（B-VEC-EX-02-JP試験）について

B-VEC-EX-02-JP試験は、海外（米国）で実施された第1/2相非盲検比較試験（KB103-001試験）、第3相二重盲検比較試験（B-VEC-03〔GEM-3〕試験）及び第3相非盲検継続投与試験（B-VEC-EX-02試験）の成績に基づき、日本人のDEB患者を対象とした第3相非盲検継続投与試験です。本試験結果は、米国で実施された第3相試験をはじめとするこれまでの臨床経験と非常に一致しており、試験を完了した4人全員が、主要評価項目である「6か月時点での創傷の完全閉鎖」を達成しました。また、試験を完了した4人中3人が52週時点での創傷の完全閉鎖を達成しました。なお、バイジュベック®ゲルは日本人患者においても良好な忍容性を示し、安全性プロファイルもこれまでの試験結果と一貫していました。

日本における適応症

栄養障害型表皮水疱症

栄養障害型表皮水疱症（DEB : dystrophic epi dermolysis bu llosa）は、早ければ出生時に発症し、皮膚の脆弱性、表皮と真皮の剥離（水疱形成）、水疱治癒後の瘢痕化及び稗粒腫形成を特徴としており^{1,2}、Ⅶ型コラーゲンα1鎖（COL7A1 : type Ⅶ collagen alpha 1 chain）をコードするCOL7A1遺伝子変異によって引き起こされる遺伝性希少疾患です^{3,4}。創傷の形成は、栄養障害型表皮水疱症の患者さんにとって問題であり、皮膚感染症や線維化を引き起こす原因となります。線維化は、指や足の指の癒着（くっついてしまうこと）を招く可能性があり、重篤な場合には致命的となることもある、悪性度の高い有棘細胞癌（皮膚がん）の発症リスクが増加します。

Krystal Biotech, Inc.について

Krystal Biotech, Inc. (NASDAQ: KRYS) は、未だ十分な治療法が存在しないアンメットニーズの高い疾患に対し、遺伝子治療用製品の研究、開発、商業化を一貫して行うグローバルなバイオテクノロジー企業です。同社初の製品であるバイジュベック®ゲルは、世界初の再投与可能な遺伝子治療用製品です。栄養障害型表皮水疱症の治療用製品として、米国、欧州、日本で承認された初の遺伝子治療用製品でもあります。ペンシルベニア州ピッツバーグに本社を置き、呼吸器、がん、皮膚科、眼科、美容医療といった分野において、遺伝子治療用製品の前臨床および臨床パイプラインを精力的に進めています。詳細については、<http://www.krystalbio.com> をご覧ください。また、[LinkedIn](#) と [X \(旧 Twitter\)](#) でも情報を公開しています。

Krystal Biotech Japan 株式会社について

会社名 : Krystal Biotech Japan 株式会社

所在地 : 〒105-6923 東京都港区虎ノ門 4-1-1 神谷町トラストタワー 23F

社長 : 笠本 浩

事業内容 : 主に希少疾患領域における遺伝子治療の開発・製品化

企業ホームページ : <https://www.krystalbio.jp/>

本件に関する報道お問い合わせ先

Krystal Biotech Japan 広報事務局（株式会社プラップジャパン内）

Mail : kbj-pr@prap.co.jp

本件に関する医療関係者お問い合わせ先

メディカルインフォメーションセンター 0120-000-591

受付時間：月曜日から金曜日 9:00～17:30（土・日・祝日・会社休業日を除く）