

報道参考資料

この資料は、インスメッド(米国 ニュージャージー)が2023年5月4日(現地時間)に発表したものを日本語に翻訳(要約)したもので、参考資料として提供するものです。資料の内容および解釈については、米国における規制等に基づくもの及び英語による記載が優先されます。英語版および関連財務表は、<https://insmed.com>をご参照下さい。

インスメッド®、2023年第1四半期業績、ならびにビジネスアップデート発表

- 気管支拡張症を対象とした **Brensocaticib** の第Ⅲ相臨床試験である **ASPEN** 試験で成人患者の登録を完了、トップラインデータの公表は予定通り2024年第2四半期の見込み
- 2023年5月8日に初期研究開発段階のプログラムに関する詳細な最新情報を公表
- アリケイス®(アミカシンリポソーム吸入用懸濁液)*の米国における市販後臨床試験の一つである **ARISE** 試験のトップラインデータは、予定通り2023年第3四半期に発表の見込み
- アリケイスの2023年第1四半期の売上高は6,520万ドル、2022年第1四半期から23%の成長を達成
- アリケイスの2023年通年の売上は世界全体で2億8,500万ドルから3億ドルとなる予想

* 日本ではアリケイス吸入液 590mg(アミカシン硫酸塩 吸入用製剤)として承認されています。

2023年5月4日、米国 ニュージャージー発 深刻な希少疾患と生きる患者さんの未来を変えることを使命とするグローバルバイオ医薬品企業のインスメッド(Nasdaq: INSM)は、2023年3月31日に終了した第1四半期の業績、ならびにビジネスアップデートを2023年5月4日に発表しました。

インスメッド会長兼最高経営責任者(CEO)のウィル・ルイスは、「インスメッドは世界全体で好調な第一四半期の業績と中期及び後期段階のパイプラインの継続的な開発促進に示されるように、力強い2023年を迎えることができました。」と述べたうえで、「第1四半期では、気管支拡張症を対象とした **Brensocaticib** の第Ⅲ相臨床試験である **ASPEN** 試験において成人患者さんの登録を完了しました。このようなペースでの登録を地理的に広範にわたって完了できたことは、本試験に対する世界的な期待と、弊社の不断の努力の賜物であると考えています。私たちは、これと並行し、初期段階の開発の取り組みも引き続き進めてまいります。そして、5月8日にこれらの初期研究開発段階のパイプラインに関する適応症、開発候補、独自の技術、前臨床データなどを皆さんと共有できることを楽しみにしています。このイベント当日には、重篤/希少な疾患に対する治療薬の開発において、イノベーションを推進する弊社の担当者も紹介する予定です」と述べています。

最近の主なハイライト

Pillar 1: アリケイス



- 2023 年第 1 四半期のアライケイスの全世界の収益は、2022 年同時期と比較して 23%増加しました。これは、米国における好調な業績と、日本およびヨーロッパにおける販売状況を反映しています。
- 引き続き、米国における市販後臨床試験である ARISE 試験と ENCORE 試験を通じて、肺 MAC 症に対するアライケイスの未治療患者への適応症拡大に向けた開発を推進しています。インスメッドは、2023 年第 3 四半期に ARISE 試験におけるアライケイスの有効性と安全性のトプラインデータを入手し、2023 年末までに ENCORE 試験の患者登録を完了する予定です。

Pillar 2: Brensocatib

- 気管支拡張症に対する Brensocatib の有効性、安全性、忍容性を評価する国際共同無作為化プラセボ対照二重盲検比較試験である第Ⅲ相臨床試験となる ASPEN 試験において 1700 人以上の成人患者の登録を完了しました。インスメッドは 2024 年第 2 四半期にトプラインデータを公表する予定です。
- ASPEN 試験に登録された評価可能な成人患者のベースライン特性は https://investor.insmed.com/download/ASPEN_Baseline.pdf で確認可能です。第Ⅱ相臨床試験である WILLOW 試験のそれぞれのベースライン特性との予備的な比較では、両試験の参加者のベースラインプロファイルが主要な指標においてほぼ同じであることが示されています。
- ASPEN 試験での迅速な患者登録により、鼻茸を伴わない慢性副鼻腔炎 (CRSsNP) 患者を対象とした本剤の第Ⅱ相臨床試験の患者登録が、これまでの予想よりも早くなることが期待されています。そのため、CRSsNP の臨床開発の開始時期を現在の 2023 年中中期から 2023 年第 4 四半期に調整することとしています。これには短期の金銭配分を減らすという付加的な利点が見込まれます。

Pillar 3: TPIP

- 現在、Trepstinil palmitil の吸入薬 (TPIP) について、間質性肺疾患に伴う肺高血圧症 (PH-ILD) 患者と肺動脈性肺高血圧症 (PAH) 患者を対象とする 2 つの第Ⅱ相臨床試験を実施しています。
- PH-ILD および PAH の両試験から得られる盲検下での用量漸増および安全性と忍容性の中間データを、登録状況次第では、2023 年の後半に共有できる予定です。PH-ILD 試験のトプラインデータは、2024 年前半に公表できる予定です。

Pillar 4: 早期開発品

- 2023 年 5 月 8 日、遺伝子治療、人工知能を使用した蛋白工学と蛋白製造などを含む初期段階の研究ポートフォリオに関する最新情報を開示し、弊社の研究開発内容を構成するさまざまなプラットフォームについて深く掘り下げ、これらのチームを率いる専門的な経歴をもった担当



者を紹介しました。

- 2025 年末までに、現在のポートフォリオから少なくとも 6 つの治験薬 (IND) 申請が行われると予想しています。
- 2023 年後半に最初の遺伝子治療の第 I / II 相臨床試験を開始し、2024 年前半に初期の臨床データの公表を予定しています。

企業の最新情報

- 2023 年 4 月、インスメッド合同会社において、中村誠が社長に就任しました。中村は日本におけるアライエイスのビジネスおよび、今後の同国での開発パイプラインの上市に向けた準備を統括します。中村はギリアド・サイエンシズ株式会社やファイザー株式会社において、日本国内のコマーシャル部門を率いるリーダーとしての実績を積んでまいりました。

2023 年第 1 四半期の業績について

- 2023 年 3 月 31 日に終了した第 1 四半期の総収益は 2022 年第 1 四半期の 5,310 万ドルに対し、6,520 万ドルであり、前年比 23% の増加となりました。
- 2023 年第 1 四半期の総収益は、米国および日本でそれぞれ 20% および 23% の前年比増加を反映して、アライエイスの米国における純売上高が 4910 万ドル、日本が 1320 万ドル、欧州およびその他の地域が 300 万ドルで構成されています。
- 2023 年第 1 四半期の売上原価 (無形資産償却費除く) は、2022 年第 1 四半期の 1,220 万ドルに対し、1,380 万ドルでした。
- 2023 年第 1 四半期の研究開発費 (R&D) は、2022 年第 1 四半期が 8,440 万ドル、2022 年第 4 四半期が 1 億 2,480 万ドルであったのに対し、1 億 2,790 万ドルでした。
- 研究開発費が 2022 年第 4 四半期と比較して増加したのは、2023 年 1 月に Vertuis Bio, Inc. を買収したことに関連した非現金支出費用 1,030 万ドルによるものでした。
- 2023 年第 1 四半期の販売および一般管理費 (SG&A) は、2022 年第 1 四半期の 5,670 万ドル、2022 年第 4 四半期の 7,350 万ドルに対し、7,990 万ドルでした。2022 年第 4 四半期と比較して、SG&A 費用がわずかに増加したのは、主に上市準備活動への追加投資を反映しています。
- 2023 年第 1 四半期は、1 億 5,980 万ドルの純損失 (1 株当たり 1.17 ドル) を計上しました。2022 年第 1 四半期は、9,460 万ドルの純損失 (1 株当たり 1.21 ドル) を計上し、2022 年の第 4 四半期は 1 億 6,010 万ドルの純損失 (1 株当たり 1.21 ドル) でした。

貸借対照表、財政ガイダンス、計画投資について

- 2023 年 3 月 31 日現在、インスメッドの現金、現金同等物、市場性のある有価証券は 2022 年 12 月 31 日時点で保有していた 11 億 5,000 万ドルから 9,900 万ドルへ減少しています。2023 年第 1 四半期のキャッシュ・バーンの増加は、主に、年次従業員奨励報酬の支払いなど、



2023年の残りの四半期に再度発生する見込みのない項目によるものです。

- 2023年通年のアリケイスの全世界での売上を引き続き2億8,500万～3億ドルと予想しています。
- 2023年、総支出の80%以上を中期および後期段階のプログラムおよび上市製品(アリケイス、Brensocatic、TPIP)に、また、全体の20%未満を初期段階の研究開発プログラムに投じる予定です。これは弊社のこれまでの支出状況を反映したものです。
- 2023年に以下の主要な活動への投資を計画しています。
 - (i) 「アリケイス」のグローバルでのさらなる上市および拡大。
 - (ii) 気管支拡張症患者を対象とした第Ⅲ相 ASPEN 試験および上市準備活動を含む Brensocatic のプログラムの進捗推進、ならびに好中球が介在する新たな疾患に対する研究開発。
 - (iii) 現在の適応症の完全な承認のための市販後要件を満たすとともに、肺 MAC 症の全患者を対象とする適応拡大にむけたアリケイスの臨床試験プログラム (ARISE および ENCORE) の推進。
 - (iv) TPIP の第Ⅱ相試験および初期段階の研究プラットフォームの開発を含む、早期開発パイプラインの推進。

カンファレンスコール

インスメッド社は、5月4日午前8時30分(米国東部時間)よりカンファレンスコールを実施しました。このカンファレンスコールは、2023年6月3日まで、会議記録のリプレイを視聴することが可能です。(+1)833-470-1428(米国)または(+44)204-525-0658(国際)にダイヤルし、アクセスコード281829を使用してください。また、この会議のウェブキャストは、弊社ウェブサイト(www.insmed.com)の投資家情報セクションに90日間保存されます。

アリケイスについて

アリケイスは、米国ではARIKAYCE®(Amikacin Liposomal Inhalation Suspension/ALIS、アミカシンリポソーム吸入用懸濁液)、欧州ではARIKAYCE® Liposomal 590mg Nebuliser Dispersion、日本ではアリケイス吸入液 590mg(アミカシン硫酸塩 吸入用製剤)として承認されています。現在、国際的な治療ガイドラインでは、適切な患者にアリケイスを使用することが推奨されています。アリケイスは、これまで静脈内投与されていたアミカシンを、1日1回、吸入投与する新規製剤です。弊社独自のPULMOVANCE® リポソーム技術により、アミカシンを肺に直接到達させることで、従来懸念されていた聴覚、平衡感覚、および腎機能といった全身性の副作用の発現を抑えながら、主要な感染細胞である肺マクロファージに取り込まれることを可能としました。アリケイスは、PARI® Pharma GmbH(以下、PARI社)社製のラミラ® ネブライザシステムを使用して1日1回投与されます。

PARI社とラミラネブライザシステムについて

アリケイスは、PARI社が開発した新しい吸入器であるラミラネブライザシステムによって投与されま



す。ラミラは、振動する多孔質膜を介してアライクスを効率的に噴霧することができる、静かで持ち運び可能なネブライザです。PARI 社は、エアロゾルに関する 100 年の知見に基づき、患者の治療を向上させるための革新的な送達プラットフォームの開発を通じて、吸入治療の進歩に貢献しています。

Brensocaticib について

Brensocaticib は、インスメッドが気管支拡張症やその他の好中球介在性疾患の治療薬として開発している低分子の経口可逆的ジペプチジルペプチダーゼ 1 (DPP1) 阻害剤です。DPP1 は、好中球が骨髄で形成される際に、好中球エラスターゼなどの好中球セリンプロテアーゼ (NSP) を活性化する酵素です。好中球は白血球の中で最も多く存在し、病原体の破壊や炎症性媒介において不可欠な役割を担っています。慢性炎症性肺疾患では、好中球が気道に蓄積し、その結果、過剰に活性化した NSP が肺の破壊と炎症を引き起こします。**Brensocaticib** は、DPP1 およびその NSP の活性化を阻害することにより、気管支拡張症などの炎症性疾患への損傷作用を低下させることが期待されます。現在、**Brensocaticib** は開発治験段階にあり、世界中のどの国・地域においても、承認されていません。

TIIP について

Treprostinil palmitil inhalation powder (TIIP) は、トレプロスチニルのプロドラッグ乾燥粉末製剤であり、16 炭素鎖にエステル結合でトレプロスチニルを連結したものです。TIIP は、すべて弊社の研究所で開発され、PAH、PH-ILD、その他の希少かつ重篤な肺疾患患者の治療薬として将来が非常に期待される高分化プロスタノイドです。TIIP は、カプセル製剤であり、吸入器を使用して投与されます。現在、TIIP は開発治験段階にあり、世界中のどの国・地域においても、承認されていません。

インスメッドについて

グローバルバイオ医薬品企業であるインスメッドは、深刻な希少疾患と生きる患者さんの未来を変えることを使命としています。インスメッドは初めての製品として、米国、欧州、日本において、難治の慢性肺疾患に対する初の治療薬を上市しました。インスメッドは好中球が関与する炎症性疾患や希少肺疾患など深刻なアンメットニーズを有する疾患に対する研究開発に注力しています。インスメッドは、米国ニュージャージー州ブリッジウォーターに本社を置き、欧州や日本において事業を展開しています。

日本法人概要

会社名： インスメッド合同会社

設立日： 2017 年 12 月 5 日

住 所： 〒100-0014 東京都千代田区永田町 2-10-3 東急キャピトルタワー 13 階

<https://insmed.jp/>



Insmmed[®], Insmmed logo, インスメッド[®], ARIKAYCE[®], アリケイス[®] are registered trademarks of Insmmed Incorporated.

PARI[®] is a registered trademark of PARI GmbH. ラミラ[®] is registered trademarks of PARI Pharma GmbH. All other trademarks referenced herein are the property of their respective owners.

将来予想に関する記述

本プレスリリースには、1995 年米国民事証券訴訟改革法で定義されている「将来予想に関する記述」が含まれており、歴史的事実ではない記述であり、多くのリスクや不確定要素を伴っています。本プレスリリース記載の「かもしれない」、「予定する」、「はずである」、「可能性がある」、「だろう」、「期待する」、「計画する」、「見込む」、「信じる」、「見積もる」、「想定する」、「予測する」、「予定する」、「可能性がある」、「継続する」およびその他同様の表現(ならびに将来の事象、条件、状況に言及しているその他の言葉や表現)は、将来予想に関する記述であることを示しています。

本プレスリリースに記載されている将来予想に関する記述は、当社の現時点での予測や見解に基づくものであり、既知および未知のリスク、不確定要素およびその他の要因を伴っています。これらの要因により、当社の実際の業績、実績、成果および特定の事象の発生時期が、将来予想に関する記述で検討、予測、予想または提示されているそれらと大きく異なる可能性があることをご留意ください。これらのリスク、不確定要素およびその他要因には、以下のものが含まれます。アリケイスもしくは、当社の製品候補についての規制当局による承認を取得できないこと、またはその取得が遅延すること。既承認薬であるアリケイスの商業化の失敗、またはアリケイスの現在の薬事承認維持の失敗。自然災害または新型コロナウイルス感染症 (COVID-19) のような公衆衛生上の緊急事態を含む大災害やその他の事象による事業または経済活動の混乱。アリケイスまたは当社の製品候補に対して予測せぬ安全性または有効性に関する懸念事項の発生。当社によるアリケイスまたはその他製品候補の潜在的な市場規模予測が不正確であること。当社または当社の他の製造委託先が薬事規制要件を遵守できないこと。当社がアリケイスに対する適切な償還を得られないこと、または許容できる薬価を得られないこと。当社の新規遺伝子治療製品候補の開発、規制当局の薬事承認および商業化に要する時間および費用を正確に予測できないこと。当社が委託している第三者による失敗。当社の実施する買収が失敗する、または商業的に成功しないリスク。米国、欧州、日本および全世界における一般的な経済状況の悪化(長期的なインフレの影響を含む)。当社が知的財産権を適切に保護できないこと。アリケイス、または当社の製品候補に関連する契約により当社に課される制限またはその他の義務の発生。当社の継続的な営業損失、および当社が収益性を達成または維持できない可能性。当社の既存債務の返済能力および将来の資金調達能力に関する不確実性。第三者製造施設の追加建設に関連するリスク。

将来予想に関する記述は、将来発生するまたは発生しない可能性のある事象に関連し、かつその性質上、将来発生するまたは発生しない可能性のある状況に依存するため、当社が将来予想に関する記述で示した実績、計画、意図、または予測を実際に達成できない場合があります。当社の事業に影響を及ぼすリスクや不確定要素に関する追加情報については、2022 年 12 月 31 日を期末とするインスメッド年次報告書 (Form 10-K) およびそれ以降に米国証券取引委員会 (SEC) に提出している書類に記載されている Item 1A「リスク要因



(Risk Factors)」で説明されている要因をご覧ください。

将来予想に関する記述は、あくまでも公表日現在における発表であるため、それらに過度に依拠することのないようご注意ください。当社は、法律および米国証券取引委員会 (SEC) の規則で特に定められている場合を除き、将来予想に関する記述を公に更新または修正する義務を負いません。