



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2月23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®、2022年第4四半期および通期の業績、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 **Brensocatic** の第Ⅲ相臨床試験である **ASPEN** 試験で成人患者のスクリーニングを完了、トップラインデータの公表は2024年第2四半期を予定
- 2023年5月8日の **Research day** にて初期段階のプログラムに関する最新情報を公表予定
- アリケイス®(アミカシンリポソーム吸入用懸濁液)*の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を2023年第3四半期に発表する予定
- アリケイスの第4四半期の売上高は5,930万ドル、2022年通期では2億4,540万ドルとなり、年間30%の成長を達成

* 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2月23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2月23日、2023年第4四半期および通年の業績、ならびにビジネスアップデートを発表しました。

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、「インスメッドはビジネス、研究開発の両面において、2022年を力強く終え、弊社の歴史において、今後最も重要となる時期に向けた準備を整えることができました。」と述べたうえで、「2023年を迎えるにあたり、深刻なアンメットメディカルニーズを抱える患者さんに貢献をもたらしうる研究開発プログラムの成果を共有できることをうれしく思います。この成果が、弊社のパイプラインの価値を高め、今後、私たちの製品をお届けできる患者さんの数が、現在の数万人から将来的には100万人以上へと拡大される可能性に期待しています。例えば、気管支拡張症を対象とした **Brensocatic** 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スクリーニングが完了したことにより、本試験のトップラインの結果は、2024年第2四半期に報告される予定です。この領域における初めての治療薬を患者さんに提供する道のりを順調に進んでいます。また、これらのマイルストーンを達成するための十分な資金が確保できていることも重要であると考えています」と述べています。

最近の主なハイライト

Pillar 1: アリケイス



- アリケイスの 2022 年の世界収益は、米国の堅調な実績、日本での継続的な売り上げ、加えて欧州市場からの貢献を反映して、2021 年比で 30%増加となりました。
- 引き続き、市販後臨床試験である **ARISE** 試験と **ENCORE** 試験を通じて、肺 **MAC** 症に対するアリケイスのフロントライン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** 試験におけるアリケイスの有効性と安全性のトッ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相臨床試験である **ASPEN** 試験の成人患者スクリーニングが完了しました。インスメッドは今後、2023 年第 1 四半期にこの試験の患者登録を完了し、2024 年第 2 四半期にトップラインデータを公表する予定です。
- 2023 年半ばに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相臨床試験を開始する予定です。米国食品医薬品局 (**FDA**) の承認を前提として、この試験には約 270 名の患者が登録されます。24 週間の治療期間中にそれぞれ **Brensocatib 10mg** 投与群、**Brensocatib 40mg** 投与群、またはプラセボ投与群に無作為に割り付けられ、主要評価項目は日々の副鼻腔炎の総症状スコアの変化とすることを想定しています。

Pillar 3: TPIP

- 現在、**Treprostinil 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相臨床試験において患者登録中です。
- **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** 試験のトップライン結果は、2024 年前半に公表できるよう計画が進行しています。

Pillar 4: 早期開発品

- 2023 年 5 月 8 日のイベントで、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する予定です。このイベントは、ニューヨークで実施され、リアルタイムでのウェブ視聴も予定されています。このイベントでは、弊社の研究開発エンジン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する予定です。
- 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**) 申請または第Ⅰ相臨床試験が進行すると予想しています。最初の **IND** は、5 月 8 日のイベント前に申請される予定です。
- 2024 年前半に筋骨格系疾患を対象とした遺伝子治療の第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験について、初期



に登録された数名の患者の臨床データの公表を予定しています。

2022年第4四半期および通期の業績について

- 2022年12月31日に終了した第4四半期の総収益は2021年第4四半期の総収益は5,610万ドルに対し、5,930万ドルでした。2022年通年の総収益は、2021年通年の総収益は1億8,850万ドルに対し、2億4,540万ドルでした。
- 2022年通年の総収益は、米国におけるARIKAYCEの売上1億8,600万ドル、日本における5,650万ドル、欧州およびその他の地域における290万ドルから構成されています。2022年第4四半期に、インスメッドは一時使用承認(Autorisation Temporaire d'Utilisation)プログラムの最終償還価格についてフランス当局と合意に達し、その結果、2022年第4四半期に約750万ドル(うち580万ドルは2022年より前の期間に関連)の収益を減額させることになりました。
- 2022年第4四半期の売上原価(無形資産償却費除く)は、2021年第4四半期の1,330万ドルに対し、1,310万ドルでした。2022年通年では、売上原価(無形資産償却費除く)は、2021年度の4,420万ドルに対し、5,510万ドルでした。
- 2022年第4四半期の研究開発費(R&D)は、2021年第4四半期の7,640万ドルに対し、1億2,480万ドルでした。2022年通年の研究開発費は、2021年の2億7,270万ドルに対し、3億9,750万ドルでした。
- 2022年第4四半期の販売および一般管理費(SG&A)は、2021年第4四半期の6,530万ドルに対し、7,350万ドルでした。2022年通年のSG&Aは、2021年の2億3,430万ドルに対して、2億6,580万ドルでした。
- 2022年第4四半期、インスメッドは1億6,010万ドルの純損失(1株当たり1.21ドル)を計上しました(2021年第4四半期は1億1,300万ドルの純損失(1株当たり0.95ドル))。2022年通年では、インスメッドは4億8,150万ドルの純損失(1株当たり3.91ドル)を計上し、2021年の4億3,470万ドルの純損失(1株当たり3.88ドル)を上回りました。

貸借対照表、財政ガイダンス、計画投資について

- 2022年12月31日現在、インスメッドは11.5億ドルの現金、現金同等物、市場性のある有価証券を保有しています。
- 2022年第4四半期の総営業費用は2億1,080万ドル、2022年通年では7億270万ドルでした。
- 2023年通年のARIKAYCEの全世界での売上を引き続き2億8,500万~3億ドルと予測しています。
- 2023年、インスメッドは総支出の80%以上を中・後期のプログラムおよび上市製品(アライケイス、Brensocatib、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 Brensocatib 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) アリケイスのフロントライン適応拡大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、2月23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3月25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)866)813-9403(米国)または (+44) 204-525-0658(国際)にダイヤルし、アクセスコード 828224 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® (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が可能となりました。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リケイ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。

Brensocatib について

Brensocatib 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。Brensocatib 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、Brensocatib 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®, インスメッド®, ARIKAYCE® and アリケイス® are trademarks of Insmmed Incorporated. PARI® is a
registered trademark of PARI GmbH. Lamira® and ラミラ® are 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。アライエスもしくは、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。既承認薬であるアライエスの商業化の失敗、またはアライエ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。アライエ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。当社によるアライエ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。当社がアライエ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。アライエス、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。