

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8月3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2四半期業績、ならびにビジネスアップデート発表

- アリケイス®(アミカシンリポソーム吸入用懸濁液)*の2023年第2四半期の売上高は7,720万ドルで、発売以来最高の売上高を達成、2022年第2四半期と比較して18%の成長を達成
- アリケイスの2023年通年の全世界売上予想レンジを2億9500万ドルから3億500万ドルに引き上げ
- アリケイスの米国における市販後臨床試験の一つであるARISE試験のトプラインデータは、予定通り2023年9月に得られる見込み
- 間質性肺疾患に伴う肺高血圧症(PH-ILD)と肺動脈性肺高血圧症(PAH)を対象としたTPIPの盲験下での用量漸増試験の結果は2023年後半に得られる見込み
- 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試験で成人患者の登録を完了、ト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

* 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8月3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6月30日に終了した第2四半期の業績、ならびにビジネスアップデートを2023年8月3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、「2023年の第2四半期は、米国での好調な勢いと日本での予想より早い成長の兆しを反映し、アリケイスの売上高が発売以来最も好調な四半期となりました」と述べたうえで、「この好調な商業業績の中、当社は株主のみなさんと患者さんにとって有意義な結果をもたらさうの一連のデータ発表の準備を進めています。現在成長を続ける既存ビジネス、中期から後期研究開発段階にある開発パイプライン、初期研究開発段階品を携えて、私たちは次の時代の突出したバイオテクノロジー企業となることを目指して戦略的に歩みを進めてまいります」と述べています。

最近の主なハイライト

Pillar 1: アリケイス

- 米国、日本およびヨーロッパにおける販売状況に支えられた結果、発売以来の最高売上を記



録し、2023 年第 2 四半期のアライケイスの全世界の収益は、2022 年第 2 四半期と比較して 18%増加しました。

- インスメッドは、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、新規または再発の肺 **MAC** 症に対する抗生剤での治療を行っていない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 9 月に **ARISE** 試験におけるアライケイスの有効性と安全性のトップラインデータを手し、2023 年末までに **ENCORE** 試験の患者登録を完了する予定です。
- インスメッドは 2023 年末までに **ENCORE** 試験に 250 人の患者を登録できるよう進めています。なお、**ARISE** データの発表後に **ENCORE** の対象登録数を再評価する予定です。

Pillar 2: Brensocatib

- インスメッドは引き続き、気管支拡張症における **Brensocatib** の有効性、安全性、忍容性を評価するために設計された国際共同第 III 相試験である **ASPEN** 試験のトップラインデータを 2024 年第 2 四半期に公表する見込みです。
- 2023 年 5 月に開催されたデータ安全性監視委員会の第 4 回会議においても、**ASPEN** 試験を計画通り継続することが推奨されました。
- 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 相臨床試験の開始時期は 2023 年第 4 四半期となる予定です。

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 年後半に共有できる予定です。
- **PH-ILD** 試験のトップラインデータは、2024 年前半に公表できる予定で引き続き順調に進んでいます。

Pillar 4: 早期開発品

- インスメッドは 2023 年下半期にデュシェンヌ型筋ジストロフィー (**DMD**) 遺伝子治療の臨床試験を開始する予定で、2024 年上半期には少なくとも 1 人の患者の筋生検データを発表する予定です。
- インスメッドは、遺伝子治療開発プログラムにおいて、2024 年にシュタルガルト病を含む 1~2 件の治験新薬 (**IND**) の申請を予定しています。また、インスメッドは、2024 年に独自の製造プラットフォームである **AlgaeneX** による完全なカプシド生産能力の達成を期待しています。
- インスメッドはプラットフォームを用いた脱免疫化されたもののなかから、2025 年に最初の **IND**



申請を行う予定です。また、2023年6月に Adrestia Therapeutics Ltd.を買収したことで、2025年に失調性毛細血管拡張症での IND 申請も行う予定です。

2023年第2四半期の業績について

- 2023年6月30日に終了した第2四半期の総収益は、7,720万ドルで、当社において最も好調な四半期の売上高を反映しました。2022年第2四半期の総収益6,520万ドルに対し、18%の増加となりました。
- 2023年第2四半期の総収益は、アライケイスの米国における純売上高が5,770万ドル(前年比22%増)、日本が1,560万ドル、欧州およびその他の地域が400万ドルで構成されています。これは2023年第1四半期の収益と比較した各地域の大幅な前四半期比の成長を表しています。
- 2023年第2四半期の売上原価(無形資産償却費除く)は、アライケイスの販売量の増加を反映し、2022年第2四半期の1,640万ドルに対し、1,660万ドルでした。
- 2023年第2四半期の研究開発費(R&D)は、2022年第2四半期が8,850万ドル、2023年第1四半期が1億2,790万ドルであったのに対し、1億9,700万ドルでした。研究開発費の増加は主に、2023年6月の Adrestia Therapeutics Ltd.の買収に伴う7,650万ドルの非現金費用と、進行中の後期パイプラインプログラムへの継続投資によるものです。買収に関連する非現金費用を除くと、2023年第2四半期の研究開発費は2023年の第1四半期と同等でした。
- 2023年第2四半期の販売および一般管理費(SG&A)は、2022年第2四半期の6,000万ドル、2023年第1四半期の7,990万ドルに対し、8,440万ドルでした。販売費および一般管理費は前年同期比で増加しました。これは、主に Brensocatib の上市準備活動および人員増加によるものです。
- 2023年第2四半期は、2億4,480万ドルの純損失(1株当たり1.78ドル)を計上しました。2022年の第2四半期は9,560万ドルの純損失(1株当たり0.80ドル)、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)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6月30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2023年3月31日時点で保有していた9億9,900万ドルから9億1,800万ドルへ減少しています。これは、アライケイスのビジネス促進、Brensocatib の上市準備活動、および中期から後期のパイプラインプログラムに向けた臨床試験への継続的な投資を反映しています。
- インスメッドは、2023年通年のアライケイスの全世界での売上予想レンジを2億8,500万~3億ドルの範囲から2億9,500万ドルから3億500万ドルの範囲に上方修正しました。
- 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、および CRSsNP 患者を対象とした第Ⅱ相臨床試験を含む Brensocatib のプログラムの進捗推進。
 - (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、8月3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9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)647-362-9199(米国/国際)にダイヤルし、アクセスコード 7862189 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[®], 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。アライクスもしくは、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クスの商業化の失敗、またはアライク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。アライク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。当社によるアライク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。当社がアライク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。アライクス、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。