

報道参考資料

この資料は、インスメッド(米国 ニュージャージー州)が2024年2月22日(現地時間)に発表した内容を日本語に翻訳(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4四半期業績、ならびにビジネスアップデート発表

- 第Ⅲ相 ASPEN 試験の Brensocatib による成人気管支拡張症患者のトップラインデータは、2024年第2四半期後半の公表を予定
- PH-ILD 患者を対象とした TPIP の第Ⅱ相試験の登録は2023年11月に完了し、トップラインデータの公表は ASPEN 試験の結果公表前の2024年第2四半期を予定
- 2023年末に現金、現金同等物、および市場性のある有価証券を7億8,000万ドル、予定されている ASPEN 試験の結果公表後も事業運営に必要な資金を保有
- アリケイス®(アミカシンリポソーム吸入用懸濁液)*の売上高は、2023年第4四半期に8,370万ドル、2023年通年では3億520万ドルで、年間成長率24%を反映し、2023年通年のガイダンスレンジの上限を超過
- 2024年のグローバルでのアリケイスの売上予想レンジを3億4,000万ドルから3億6,000万ドルとし、2023年に比べて二桁の成長を反映

*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。

2024年2月22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12月31日に終了した第4四半期の業績、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2023年に引き続き強力なパフォーマンスを発揮し、アリケイスの収益が我々の2023年の売上レンジの上限を超えるという成功を示しました。」と述べたうえで、「2023年9月に発表されたポジティブな ARISE 試験のデータに続き、その直後に発表された TPIP 試験のデータは、会社にとって重要な変革期が始まったことを示しました。この一連の意義深いデータの結果は、PH-ILDと ASPEN 試験のトップラインの結果の公表が第2四半期に続々と予定されていることから、今後数ヶ月間も中断することなく続く予想されています。我々は、これらの近々出るデータの結果が、我々と我々が治療薬を提供する患者さんの道のりを根本的に変える可能性がある」と信じています。」と述べています。



最近の主なハイライト

Pillar1: アリケイス

- アリケイスの 2023 年の売上高は、2022 年に比べて 24%増加し、米国、日本、ヨーロッパでの強力な成長を反映しています。
- インスメッドは、第Ⅲ相 **ARISE** 試験で生成された患者報告結果データについて、2023 年 12 月に米国食品医薬品局 (FDA) から前向きなフィードバックを受け取りました。今後数ヶ月間に FDA との会議を予定しており、そこから追加の洞察とガイダンスを得て、第Ⅲ相 **ENCORE** 試験の統計計画を最終化する予定です。
- 2024 年 1 月に既に伝えられているように、新たに診断されたか再発したマイコバクテリウム・アビウムコンプレックス (MAC) に起因する肺非結核性抗酸菌症で抗生物質による治療を受けていない患者を対象とした **ENCORE** 試験において、当初の目標登録数 250 名を達成しました。試験への登録は継続されています。
- **ENCORE** 試験のデータ安全監視委員会は、2023 年 11 月に第 3 回の安全性審査会議を開催し、試験を計画通りに続行することを推奨しました。
- **ENCORE** 試験のトップラインデータの公表を 2025 年に予定しています。

Pillar2: Brensocatib

- インスメッドは、非嚢胞性線維症気管支拡張症患者を対象とした **Brensocatib** の第Ⅲ相 **ASPEN** 試験のトップラインデータの公表を、2024 年第 2 四半期後半に予定しています。
- **ASPEN** 試験が成功し薬事承認が得られた場合、2025 年半ばに米国での気管支拡張症での発売を予定しており、その後、2026 年前半にヨーロッパと日本での発売を予定しています。インスメッドは、これらの発売の可能性に向けて、発売準備活動を進めています。
- **ASPEN** 試験のデータ安全監視委員会は、2023 年 11 月に最終回となる第 5 回の会議を開催しました。安全性のシグナルは確認されず、委員会は試験を計画通りに続行することを推奨しました。
- 現在、鼻茸を伴わない慢性副鼻腔炎 (CRSsNP) 患者を対象とした **Brensocatib** の第Ⅱ b 相試験 (**BiRCh** 試験) において患者登録を行っています。
- **ASPEN** 試験の結果が良好であれば、2024 年下半期に、化膿性汗腺炎 (HS) 患者を対象とした **Brensocatib** の第Ⅱ相試験を開始する予定です。

Pillar3: TPIP

- 2023 年 10 月、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) に対する **Treprostinil palmitil** の吸入薬 (TPIP) の 2 つの進行中の第Ⅱ相試験からブラインドデータを発表しました。
- PH-ILD の第Ⅱ相安全性試験は、初期の登録目標 32 名を超え、39 名の患者を組み入れ 2023 年 11 月に完了しました。試験のトップラインデータの公表は、2024 年第 2 四半期、



第Ⅲ相 ASPEN 試験のデータの前に予定されています。

- PAH の第Ⅱ相試験の登録は引き続き進行中です。インスメッドは、PH-ILD 試験の結果が 2024 年第 2 四半期に利用可能になると同時に、PAH 試験の約 40 名の患者からの更新されたブラインドデータを共有する予定です。第Ⅱ相 PAH 試験のトップラインデータの公表は、引き続き 2025 年に予定されています。
- インスメッドは、第Ⅱ相 PAH のオープンラベル長期試験のためのプロトコル修正を FDA および他の規制当局に提出しています。この修正案が承認されれば、TPIP の投与量を最大 1,280 マイクログラム/日まで増量することが可能になります。

Pillar4: 早期開発品

- インスメッドの初期研究の取り組みには、30 以上の特定された前臨床試験が含まれており、すべてが当該領域で初めての治療法または最善の治療法になる可能性があります。
- 初期研究プログラム全体に対する支出は年間支出全体の 20%未満になると予想しています。

2023 年第 4 半期および通期の業績について

- 2023 年 12 月 31 日に終了した第 4 四半期の売上高は 8,370 万ドルで、2022 年第 4 四半期の売上高 5,930 万ドルに比べて 41%の成長を反映しています。2023 年通年の売上高は 3 億 520 万ドルで、2022 年通年の売上高 2 億 4,540 万ドルに比べて 24%の年間成長を反映しています。
- 2023 年通年の売上高は、アライケイスの米国における売上高が 2 億 2,420 万ドル、日本の売上高が 6,570 万ドル、欧州およびその他の地域における売上高が 1,530 万ドルで構成されていました。2023 年通年の売上高は、米国で 21%、日本で 16%の年間成長を示し、これらの地域でのアライケイスの強い成長傾向を反映しています。
- 売上原価(無形資産償却費を除く)は、2023 年第 4 四半期には 1,840 万ドルで、2022 年第 4 四半期の 1,310 万ドルに比べて主に販売量の増加を反映しています。2023 年通年における売上原価(無形資産償却費除く)は、2022 年通年の 5,510 万ドルに対し 6,560 万ドルでした。
- 研究開発(R&D)費用は、2022 年第 4 四半期の 1 億 2,480 万ドルに対し 2023 年第 4 四半期では 1 億 3,700 万ドルでした。2023 年通年の R&D 費用は 2022 年の 3 億 9,750 万ドルに対し 5 億 7,100 万ドルで、一時的な非現金資産取得費用とインスメッドの初期および中期から後期のパイプラインプログラムへの継続的な投資、およびそれらの既存および取得プログラムを支援するための人員増を反映しています。
- 2023 年第 4 四半期の販売および一般管理費(SG&A)は、2022 年第 4 四半期の 7,350 万ドルに対し 8,950 万ドルでした。2023 年通年の SG&A 費用は、2022 年通年の 2 億 6,580 万ドルに対し 3 億 4,450 万ドルでした。SG&A 費用の年間増加は、主に Brensocatib



の商業化準備活動と人員増加によるものです。

- 2023 年第 4 四半期において、インスメッドは純損失として 1 億 8,610 万ドル(1 株あたり 1.28 ドル)を報告しました。2022 年第 4 四半期の純損失 1 億 6,100 万ドル(1 株あたり 1.21 ドル)でした。2023 年通年において、インスメッドは純損失として 74 億 9,600 万ドル(1 株あたり 5.34 ドル)を報告しました。2022 年通年の純損失は 48 億 1,500 万ドル(1 株あたり 3.91 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 12 月 31 日現在、インスメッドは 7 億 8,040 万ドルの現金、現金同等物、および市場性のある有価証券を保有しています。
- 2024 年通年のアライケイスの全世界での売上を中間値で 2023 年と比較して 15%の年間成長をするという方向性を反映し 3 億 4,000 万~3 億 6,000 万ドルと予測しています。
- 全年間支出の 80%以上を中期から後期段階のプログラム(アライケイス、Brensocaticib、および TPIP)に、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。
- 弊社は、2024 年には以下の主要な活動への投資を計画しています。
 - (i) 「アライケイス」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 Brensocaticib のプログラムの進捗推進、ならびに CRSsNP 患者を対象とした進行中の第 II 相試験、ASPEN 試験の結果により下半期に開始予定の HS に対する第 II 相試験。
 - (iii) アライケイスの臨床試験の進展。現在の適応症の完全承認のための要求を満たすことを目指し、可能性として肺 MAC 症の全患者への適応拡大を含みます。
 - (iv) TPIP の第 II 相試験の推進。
 - (v) 早期開発パイプラインの推進。

カンファレンスコール

インスメッドは、2 月 22 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。

アライケイスについて

アライケイスは、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、日本ではアライケイス吸入液 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、適切な患者にアライケイスを使用することが推奨されています。アライケ



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。

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ジペプチジルペプチダーゼ 1(DPP1) 可逆的阻害剤です。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。アライアンス、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、**2023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。