

## 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5月9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®、2024年第1四半期業績、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2024年第1四半期の総収益は7,550万ドル、2023年第1四半期から年間16%の成長を反映。
- Treprostinil Palmitil Inhalation Powder (TPIP)の間質性肺疾患に伴う肺高血圧症(PH-ILD)を対象とした第II相試験における、安全性・忍容性に関する良好なトプラインデータを報告した。79.3%の患者が5週目までに最大用量である640µgに到達した。臨床症状悪化に関する探索的評価項目において、想定を上回るポジティブかつ力強い傾向を示した。
- TPIPの肺動脈性肺高血圧症(PAH)を対象とした第II相試験で最初の40例から、有望なブラインド下データが得られた。実薬群とプラセボ群とを併合したブラインド下データにおいて、肺血管抵抗(PVR)が平均19.9%低下し、6分間歩行距離が43メートル改善した。
- 気管支拡張症患者を対象としたブレンソカチブの第III相国際共同臨床試験であるASPEN試験のトプラインデータの公表は予定通り、2024年第2四半期後半の見込み。
- 2024年のグローバルでのアリケイス売上予想レンジを3億4,000万ドルから3億6,000万ドルの範囲で維持、2023年と比較して2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5月9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、2024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、「TPIPでは、PH-ILDを対象とした第II相試験の良好な安全性と忍容性プロファイルが引き続き確認され、PAHを対象とした第II相試験のブラインド下のPVRデータも心強いものでした。これらの結果を合わせると、TPIPはクラス最高のプロスタノイドとなり得ると考えています。」と述べたうえで、「今期後半に予定されているASPEN試験の結果を大いに期待して待ちたいと思います。私たちの研究努力を支えているのはアリケイスの優秀なコマーシャル組織であり、今期は2桁の売上増を達成し、2024年の売上予想の達成に向けて順調に進んでいます。」と述べています。



## 最近の主なハイライト

### Pillar1: アリケイス

- 2024 年第 1 四半期のアリケイスの売上高は、米国、日本、欧州での前年同期比 2 桁増を反映し、2023 年第 1 四半期比で 16% 増加しました。
- フランスの医薬品・健康安全庁より、マイコバクテリウム・アブセッサスに起因する肺感染症の成人患者に対するアリケイスの人道的見地に基づいた使用を認めるプログラムを進める予定であるとの通知を受けました。
- 6 月下旬に、第Ⅲ相 ENCORE 試験で使用する患者報告アウトカムツールに関する追加的な知見とガイダンスを得るために米国食品医薬品局 (FDA) と協議をしました。今後、ENCORE 試験の統計計画を確定します。
- 現在進行中の ENCORE 試験のデータ安全監視委員会は、2024 年 4 月に第 4 回安全性データモニタリング委員会を開催し、試験を計画通りに続行することを奨励しました。
- 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: ブレンソカチブ

- インスメッドは、非嚢胞性線維症気管支拡張症 (NCFBE) 患者を対象としたブレンソカチブの第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。
- 2024 年第 1 四半期末時点で、ASPEN 試験の全成人患者は、主要および副次的有効性評価項目が測定される 52 週目の来院を完了しています。
- 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に備えて、準備活動を進めています。
- 2024 年第 1 四半期、インスメッドは英国の医薬品・ヘルスケア製品規制庁 (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) から、当社の革新的ライセンス・アクセス・パスウェイ (Innovative Licensing and Access Pathway: ILAP) パスポート申請に対して肯定的な通知を受け、ブレンソカチブは 12 歳以上の NCFBE 患者に対する治療薬としてイノベーション・パスポートの指定を受けました。ILAP およびイノベーション・パスポートは、上市までの時間を短縮し、英国における重要な新薬への患者アクセスを促進することを目的としています。
- 鼻茸を伴わない慢性鼻副鼻腔炎 (CRSsNP) 患者を対象としたブレンソカチブの第Ⅱb 相試験 (BiRCh 試験) の患者登録を継続しており、同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。
- 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) 患者を対象としたブレンソカチブの第Ⅱ相試験を開始する予定です。

## Pillar3: TPIP

### PH-ILD

- 本日、PH-ILD 患者を対象とした Treprostinil palmitil の吸入薬 (TPIP) の第 II 相試験から、安全性と忍容性のトプラインデータ、および一部の探索的有効性評価項目を発表しました。
  - TPIP 群では、79.3%の患者が 5 週目までに 640 $\mu$ g の最大用量に達することができたのに対し、プラセボ群では 100.0%でした。
  - 治療中止に至った、治験薬投与下の有害事象は、TPIP 群では 13.8%、プラセボ群では 30.0%に発現しました。
  - 何らかの有害事象は TPIP 群で 93.1%、プラセボ群で 90.0%に発現しました。治験薬に関連した有害事象は TPIP 群で 55.2%、プラセボ群で 40.0%に見られました。
    - 治験薬に関連した咳嗽は、TPIP 群では 37.9%、プラセボ群では 0.0%に見られました。
    - 咳嗽の症状はすべて軽度で、治療中止に至ったものではありませんでした。
  - 重篤な有害事象は TPIP 群で 20.7%、プラセボ群で 40.0%に発現しました。
  - 死亡は TPIP 群で 6.9%、プラセボ群で 20.0%でした。
    - 死亡の原因はすべて疾患の進行または合併症であり、治験薬との関連は認められませんでした。
  - TPIP で治療された患者は、安静時、運動中あるいは運動後の最低酸素濃度において、ベースラインと比較して有意な変化はみられませんでした。また、TPIP を投与された患者において、補助酸素の使用量に変化はありませんでした。
    - TPIP を投与された患者では運動後に酸素化レベルがわずかに低下したのに対し、プラセボを投与された患者ではわずかに上昇しました。しかし、この評価項目が測定されたタイミングにはばらつきがあり、安静時や運動中あるいは運動後の最も低い時点での測定と比較すると、結果の解釈が難しくなる可能性があります。
  - 6 分間歩行距離のベースラインからの変化という探索的評価項目では、TPIP 群はプラセボ群と比較して 30 メートルの改善を示しました。しかしながら、ばらつきが大きい結果となりました。
  - NT-proBNP 値のベースラインからの変化は、TPIP 群では改善傾向がみられ、プラセボ群では悪化傾向がみられましたが、群間で有意な差はみられませんでした。
  - TPIP 群では 10.3%に臨床的悪化がみられたのに対し、プラセボ群では 50.0%でした。この差は名目上有意となります ( $p=0.0164$ )。
- これらの試験結果は、症例数の少ない臨床試験から得られたものであるため、当社はこれらの結果を適切な注意を払って解釈しています。



- インスメッドは、本試験の薬物動態学的結果、更なる安全性および探索的評価項目について、本年末に開催予定の医学関連学会で発表する予定です。
- PH-ILD を対象とした第Ⅱ相試験の結果に基づき、当社は PH-ILD を対象とした第Ⅲ相試験のデザインについて世界の規制当局と協議を進めており、2025 年に開始する予定です。

#### PAH

- 本日、PAH を対象とした TPIP の進行中の第Ⅱ相試験において、16 週間の全治療期間を終了した最初の 40 名の患者から得られた最新の併合したブラインド下データを発表しました。
  - プラセボを含む 40 人の患者のうち、16 週目の肺血管抵抗 (PVR) の平均減少率は 19.9% でした。
  - 治療群とプラセボ群を併合した 40 人の患者において、6 分間歩行距離のベースラインからの改善の平均値は 43 メートルでした。
  - 5 週目の来院を完了した最初の 43 人の患者のうち、79.1% が最大用量の 640 $\mu$ g (プラセボ群では一致するプラセボの用量) に達することができました。
- インスメッドは、一部の PAH 患者を対象としたオープンラベル延長試験において、治験責任医師の判断に基づき、TPIP の最大投与量を 1 日 1 回 640 $\mu$ g から最大 1,280 $\mu$ g まで増量できるようプロトコルを修正するために、試験が実施されている 17 カ国のうち 10 カ国において必要な規制当局の了承を得ました。
- PAH を対象とした第Ⅱ相試験は現在も進行中であり、現在目標登録数の半分以上が終了しています。
- 2024 年 3 月、PAH を対象とした第Ⅱ相試験の第 2 回データモニタリング委員会が開催され、その結果、委員会は変更なく試験を継続するよう勧告しました。
- PAH を対象とした第Ⅱ相試験のトップライン結果の公表は、引き続き 2025 年に予定しています。

#### 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プログラムが含まれており、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。

#### コーポレートアップデート

- インスメッドは、2024 年 5 月 17 日から 22 日まで開催される米国胸部学会 (ATS) 2024 年国際会議において、呼吸器領域 (アライズ、ブレンソカチブ、TPIP) のポートフォリオから 9 演題を発表する予定です。
- 当社は、気管支拡張症と非結核性抗酸菌性肺疾患患者のための COPD 財団の新しいケ



アセンターネットワークの設立スポンサーとなりました。このイニシアチブを通じて、COPD財団は、専門家主導の学術センターから一貫した治療基準を確立し、より広範なコミュニティと共有することで、治療目標を達成しようと努力する患者により包括的なケアを提供することを目指し、全米に 150 の学際的な卓越したセンターを設立することを目指しています。

- インスメッドの最高医学責任者であるマルティナ・フラマー (M.D., M.B.A.) が、フィル・マーフィー知事によりニュージャージー希少疾患諮問委員会 (RDAC) の委員長に任命されました。全米希少疾患機構 (NORD) により設立された RDAC は、希少疾患に対する認識を高め、必要とされる新しい研究に資金を提供することに焦点を当てた、州全体の専門家による統一された学際的ネットワークを結集するものです。マルティナは、ニュージャージー州のライフサイエンス業界団体である BioNJ から、ニュージャージー州の RDAC におけるバイオ製薬業界の代表として指名されました。

#### 2024 年第 1 四半期の業績について

- 2024 年第 1 四半期の売上高は 7,550 万ドルで、2023 年第 1 四半期の売上高 6,520 万ドルと比較して 16%の伸びを示しました。
- 2024 年第 1 四半期の売上高は、米国で 5,630 万ドル、日本で 1,490 万ドル、欧州およびその他の地域で 430 万ドルで、米国で前年同期比 15%増、日本で同 13%増、欧州およびその他の地域で同 42%増となり、これらの地域におけるアライエンスの継続的な成長傾向を反映しています。
- 製品売上原価 (償却費を除く) は、2023 年度第 1 四半期の 1,380 万ドルに対し、2024 年度第 1 四半期は 1,750 万ドルで、主にアライエンスの販売数量の増加を反映しています。
- 研究開発 (R&D) 費は、2023 年度第 1 四半期の 1 億 2,790 万ドルに対し、2024 年度第 1 四半期は 1 億 2,110 万ドルとなりましたが、これは 2023 年度第 1 四半期のベルトウイ・バイオ社 (Vertuis Bio, Inc.) の買収に関連する 1,030 万ドルの非現金支出費用を反映して減少しました。
- 2024 年第 1 四半期の販売費および一般管理費 (SG&A) は 9,310 万ドルで、2023 年第 1 四半期は 7,990 万ドルでした。販売費および一般管理費の前年同期比増加は、主に報酬および福利厚生関連費用の増加によるものです。
- 2024 年第 1 四半期のインスメッドの純損失は 1 億 5,710 万ドル (1 株当たり 1.06ドル) で、2023 年第 1 四半期の純損失は 1 億 5,980 万ドル (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

- 2024 年 3 月 31 日現在、インスメッドは、5 億 9,570 万ドルの現金および現金同等物を保有しています。
- 2024 年通年のアライエン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(アリケイス、ブレンソカチブ、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ブレンソカチブ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) アリケイスの臨床試験の推進。現在の適応症の完全承認のための条件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、5月9日午前8時(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](http://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。

### ブレンソカチブについて

ブレンソカチブは、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ロ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。ブレンソカチブは、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、ブレンソカチブ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、歴史的な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、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。