

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10月31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3四半期業績、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3四半期の総収益は9,340万ドル、2023年第3四半期から年間18%の成長。
- 気管支拡張症患者を対象としたブレンソカチブの米国における発売準備では、予定通り2024年第4四半期に新薬承認申請、2025年中盤に米国上市の見込み。
- 米国で増員したMRを本格稼働させ、気管支拡張症に関する疾患啓発活動、ブレンソカチブ発売前のアリケイスの成長支援に注力。
- 第3四半期末時点で約15億ドルの現金、現金同等物、有価証券を保有。
- Pharmakonとタームローンを再交渉して資本コストを削減し、第4四半期にさらに1億5,000万ドルの資金を調達予定。
- 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。

*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10月31日、米国ニュージャージー発 人を第一に考え、深刻な疾患と生きる患者さんの未来を変える、ファースト・イン・クラスおよびベスト・イン・クラスの治療法の実現を目指す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9月30日に終了した第3四半期の業績、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、「第3四半期に継続中の複数の取り組みにおいて、良好な進展が得られたことを喜ばしく思います。」と述べたうえで、「2024年第4四半期のブレンソカチブの薬事承認申請に向けた準備は順調に進んでおり、引き続き2025年中盤の米国上市を見込んでいます。臨床試験においても大きく前進し、ENCORE試験と肺動脈性肺高血圧症(PAH)の試験は被験者登録完了に近づいています。これらの事項を達成する中、今期もアリケイスは3つの地域において2桁成長を遂げました。臨床上および売上で高い成果を上げつつ、資本コストを削減しキャッシュバランスを向上させる措置を取ってバランスシートを強化したこと、前途にある絶好の機会を捉える準備ができたと考えています。」と述べています。



最近の主なハイライト

Pillar 1: アリケイス

- 2024 年第 3 四半期のアリケイスの売上高は、米国、日本、欧州、その他の地域での最高収益と前年同期比 2 桁増を反映し、2023 年第 3 四半期比で 18%増加しました。
- ENCORE 試験の新規患者のスクリーニングを締め切り、新規に診断されたか、あるいは再発の肺 MAC 症で抗生物質療法を開始していない 400 名の患者登録目標を超える見込みです。
- 第 4 四半期に米国食品医薬品局 (FDA) と協議し、第 III 相 ARISE 試験の良好なデータにもとづき、肺 MAC 症の全患者へのアリケイスの適応拡大を迅速承認する可能性について検討する予定です。承認にはこれまで通り、実施中の ENCORE 試験の完全なデータが必要となる見込みです。

Pillar 2: ブレンソカチブ

- インスメッドはこれまで通り 2024 年第 4 四半期に気管支拡張症の患者を対象に、ブレンソカチブの FDA への新薬承認申請 (NDA) を予定しています。優先審査を受けられ薬事承認が得られた場合、2025 年中盤に米国、2026 年上半期に欧州と日本での上市を目指します。
- 2024 年 10 月にボストンで開催された CHEST (American College of Chest Physicians、米国胸部疾患学会) の年次総会で、ASPEN 試験の事前に定められた 19 の部分集団の新たなデータを発表しました。ほぼ全ての部分集団でブレンソカチブの 10mg および 25mg の両用量群で、年率換算した呼吸器疾患増悪発生率においてプラセボと比較して良好な結果となりました。別の分析では全ての部分集団でブレンソカチブの 25mg 群で、第 52 週時点で最小 2 乗平均差にもとづき気管支拡張薬使用後の 1 秒量 (FEV1) の低下を抑制することが確認されました。
- インスメッドは米国における発売準備を進めており、発売前に 120 名の MR (Therapeutic Specialist と呼称) を新規に採用し、研修を実施し現場に配置し、気管支拡張症に関する疾患啓発活動と、アリケイスの成長支援を行います。
- 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 II b 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 年後半に予定しています。
- 2024 年末までに米国における最初の治験実施医療機関で、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。

Pillar 3: TPIP

- Treprostinil Palmitil Inhalation Powder (TPIP) の肺動脈性肺高血圧症 (PAH) 患者を対



象とした第Ⅱ相試験の患者登録は継続しており、現在目標登録数の 90%以上が終了しています。

- 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。
- 引き続き 2025 年後半に、間質性肺疾患に伴う肺高血圧症 (PH-ILD) を対象とした第Ⅲ相試験を開始する予定です。

Pillar 4: 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ファースト・イン・クラスおよびベスト・イン・クラス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

- インスメッドはバランスシートと財務状況の強化のため、以下の取り組みを実施しました。
 - (i) 2024 年第 3 四半期にインスメッドは、2025 年 1 月満期の転換社債 2 億 2,500 万ドルの償還を完了しました。インスメッドは償還並びに早期転換に関連して、約 570 万株の普通株式を発行しました。
 - (ii) 第 3 四半期にはアット・ザ・マーケット・オフリング方式により、1 株当たり 75.64 ドルにて追加で 3 億 7,100 万ドルの資金を調達しました。
 - (iii) 2024 年 10 月、インスメッドは Pharmakon Advisors 社による 3 億 5,000 万ドルのタームローンの変更に合意しました。変更した合意条件では、Pharmakon Advisors 社が 1 億 5 千万ドルの追加資金を提供し、2024 年第 4 四半期に受領する予定です。元本の満期は 2029 年まで延長され、固定金利は 1 桁台後半に低減されます。
- 2024 年 10 月にインスメッドは、Science 誌のトップエンプロイヤーサーベイで 1 位になり、4 年連続首位を獲得しました。この調査は、バイオテクノロジー、製薬、関連産業の従業員に対して毎年アンケートを実施し、20 の優れた企業とその特性を発表しています。

2024 年第 3 四半期の業績について

- 2024 年第 3 四半期の売上高は 9,340 万ドルで、2023 年第 3 四半期の売上高 7,910 万ドルと比較して 18%の伸びを示しました。
- 2024 年第 3 四半期の売上高は、米国で 6,690 万ドル、日本で 2,100 万ドル、欧州およびその他の地域で 560 万ドルで、米国で前年同期比 13%増、日本で同 31%増、欧州およびその他の地域で同 45%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 3 四半期の 1,670 万ドルに対し、2024 年度第 3 四半期は 2,120 万ドルと増加しており、主にアライケイ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 3 四半期の 1 億 910 万ドルに対し、2024 年度第 3 四半期は 1 億 5,080 万ドルでした。この増加は主に、製造費、報酬、福利厚生関連費用の増加によるものです。
- 2024 年第 3 四半期の販売費および一般管理費(SG&A)は 1 億 1,890 万ドルで、2023 年第 3 四半期の 9,060 万ドルから増加しました。この増加は、主にブレンソカチブ上市準備のための社員数増加に応じた報酬、福利厚生関連費用、株式型報酬の増加によるものです。
- 2024 年第 3 四半期のインスメッドの純損失は 2 億 2,050 万ドル(1 株当たり 1.27ドル)で、2023 年第 3 四半期の純損失 1 億 5,890 万ドル(1 株当たり 1.11ドル)に対し損失拡大しました。

貸借対照表、財政ガイダンス、計画投資について

- 2024 年 9 月 30 日現在、インスメッドは、14 億 6,790 万ドルの現金、現金同等物、および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 3 億 4,000 万~3 億 6,000 万ドルと再確認しており、2023 年と比較し 15%の成長を予測しています。
- 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。これは当社のこれまでの支出方針を維持したものです。
- 当社は、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既存適応症のさらなる拡大、ならびに現在の適応症完全承認のための市販後の条件を満たすと共に、肺 MAC 症の全患者への適応拡大を目指す臨床試験の推進。
 - (ii) ブレンソカチブの推進。
 - a. 気管支拡張症患者を対象とした薬事申請と上市準備活動
 - b. CRSsNP 患者を対象とした進行中の第 II 相 BiRCh 試験と開始予定の HS に対する第 II 相試験。
 - (iii) TPIP の臨床試験の推進。
 - (iv) 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、10 月 31 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、当社ウェブサイト(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。当社独自の **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。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、すべて当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。TPIP 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、TPIP 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

人を第一に考えるグローバルバイオ企業であるインスメッドは、深刻な疾患と生きる患者さんの未来を変える、ファースト・イン・クラスおよびベスト・イン・クラスの治療法の実現を目指しています。当社は既承認薬から、中期から後期開発段階にある治験薬、最もニーズの高い患者コミュニティに提供する先進的な創薬まで、多様なポートフォリオを推進しています。インスメッドの最も進んだ段階にあるプログラムは、米国・日本・欧州で承認された慢性的で衰弱しやすい肺疾患の治療をはじめとする肺疾患と炎症性疾患に関するものです。当社の初期段階の研究プログラムは、遺伝子療法、AI を用いたタンパク質工学、タンパク質製造、RNA 末端結合、合成救済など、幅広い技術とモダリティを網羅しています。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。インスメッドは **Science** 誌のトップエンプロイヤーサーベイで 4 年連続 1 位に選ばれ、バイオ医薬品産業で優良企業の 1 つとして認められています。

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にいう「将来予想に関する記述」が含まれており、これは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。アリケイスの



商業化の失敗、またはアレイスの現在の規制当局による承認維持の失敗。当社が米国食品医薬品局からアレイスに対する完全承認を取得できないこと。より広範な患者群を対象としたアレイスの適応拡大に必要な薬事承認を取得できないこと。ブレンソカチブに関する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。規制当局により承認されたにもかかわらずブレンソカチブの商業化に成功しないこと。アレイスまたは(承認された場合)ブレンソカチブの市場受容度の不確実性または変化。アレイスまたは(承認された場合)ブレンソカチブ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。アレイス、ブレンソカチブまたはその他の製品候補の潜在的な市場規模予測が不正確であること。当社が製造に関して委託している第三者の失敗。アレイス、ブレンソカチブまたは当社の他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。当社が発表する臨床試験の中間データ、トップラインデータもしくは予備データがより多くの患者データが入手可能になるにつれて変化するリスク、または盲検化されたデータから盲検化されていないデータを予測できないリスク。獲得した技術、製品および製品候補が商業的に成功しないリスク。自然災害、公衆衛生上の緊急事態またはサイバーセキュリティ攻撃を含む、大災害またはその他の事象による事業または経済活動の混乱。AI および機械学習の現在および将来的な利用が成功しないリスク。米国、欧州、日本および全世界における一般的経済状況の悪化。高額な知的財産に関する紛争に巻き込まれるリスク、または当社の知的財産権を適切に保護できないリスク。当社が当事者である訴訟または当事者となる可能性のある訴訟に起因するコストおよび潜在的なレピュテーションダメージ。当社の事業に適用される法令の変更。過去の営業赤字、および収益性を達成または維持できない可能性。既存債務の返済不能および将来の資本調達能力に関する不確実性。追加的な第三者製造施設の建設計画実行の遅延。

将来予想に関する記述は、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事象に関連し、かつ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。