



本資料は、インスメッド(米国 ニュージャージー州)が 2025 年 8 月 12 日(現地時間)に発表したプレスリリースを日本語に翻訳編集したもので、その内容および解釈については、英語原文の記載及び米国における規制等に基づくものが優先されます。本資料は、報道関係者各位へ参考資料として提供するもので、医薬品のプロモーションや宣伝・広告を目的とするものではありません。英語版は、<https://investor.insmed.com/2025-08-12-FDA-Approves-BRINSUPRI-TM-brensocatic-as-the-First-and-Only-Treatment-for-Non-Cystic-Fibrosis-Bronchiectasis,-a-Serious,-Chronic-Lung-Disease> をご参照ください。

2025 年 9 月 1 日

報道参考資料

米国 FDA は BRINSUPRI™ (ブレンソカチブ) を 重篤な慢性肺疾患である非嚢胞性線維症気管支拡張症に対する 初の、かつ唯一の治療薬として承認

- 米国では、約 50 万人の患者が進行性で肺に不可逆的な損傷をもたらす可能性のある疾患、非嚢胞性線維症気管支拡張症(NCFB)と診断されている。
- BRINSUPRI 10 mg および 25 mg は、非嚢胞性線維症気管支拡張症(NCFB)治療薬として承認された。
- BRINSUPRI は、好中球性炎症を標的とするファースト・イン・クラスの DPP1 阻害薬であり、包括的な専門薬局ネットワークを通じて処方箋により提供される。

2025 年 8 月 12 日、米国ニュージャージー州 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、米国食品医薬品局(FDA)が、BRINSUPRI™(ブレンソカチブ 10 mg および 25 mg 錠)を成人および 12 歳以上の小児を対象とした 1 日 1 回経口投与の非嚢胞性線維症気管支拡張症(NCFB)に対するファースト・イン・クラスの治療薬として承認したことを発表しました。BRINSUPRI は、NCFB に対して FDA が初めて承認した唯一の治療薬であり、米国の数十万人の患者および医療従事者に、この慢性で進行性の疾患を管理する選択肢を提供いたします。本疾患は、肺に不可逆的な損傷や肺機能の低下を引き起こす可能性があります。

「この FDA の承認は、非嚢胞性線維症気管支拡張症の治療アプローチにおける潜在的なパラダイムシフトを示すものです」と、ニューヨーク大学グロスマン医科大学 呼吸器・集中治療・睡眠医学の Fiona and Stanley Druckenmiller 寄付講座教授であり、NYU ラングーン・ヘルス気管支拡張症・NTM プログラムのディレクター、および ASPEN 試験の治験担当医師である Doreen Addrizzo-



Harris 氏 (M.D., FCCP) は述べた上で、「今回、初めて、好中球性炎症を直接標的とし、気管支拡張症の増悪の根本原因に対応する治療薬が登場しました。臨床データの信頼性と患者で確認された効果を踏まえると、これは非嚢胞性線維症気管支拡張症の治療における新たな標準となる可能性があると信じています。」と述べています。

米国では、NCFB と診断されている患者は約 50 万人にのぼり、世界ではさらに数百万人がこの疾患とともに生活していると推定されています。気道の狭窄を特徴とする他の呼吸器疾患とは異なり、気管支拡張症では気道が不可逆的に拡張し、粘液や細菌の排出が困難となり、慢性的な炎症や感染が引き起こされます。本疾患の特徴的な症状として、咳嗽、喀痰の増加、呼吸困難、倦怠感などが悪化する増悪が頻繁に発生します。

「非嚢胞性線維症気管支拡張症は、この慢性肺疾患とともに生きる患者さんの身体的健康のみならず、感情的な幸福度にも影響を及ぼします。」と、Bronchiectasis and NTM Association (気管支拡張症・NTM 協会) のエグゼクティブディレクターである Elisha Malanga 氏は述べた上で、「多くの患者さんが頻回の増悪を経験しており、日常生活が妨げられるだけでなく、疾患の進行につながる可能性もあります。ブレンソカチブの FDA による承認は、非嚢胞性線維症気管支拡張症に対する初の承認治療薬として、長く待ち望まれてきた大きな前進です。このような治療薬によって、気管支拡張症の患者さんが自身の疾患をより適切に管理できるようになることを期待しています。」と述べています。

今回の承認は、いずれも New England Journal of Medicine に掲載された第 III 相 ASPEN 試験および第 II 相 WILLOW 試験のデータに基づいています。ASPEN 試験では、BRINSUPRI 10 mg 群で増悪の年間発生率がプラセボ群に比べ 21.1% 減少し、25 mg 群では 19.4% 減少しました。BRINSUPRI の両用量は、最初の増悪までの時間を有意に延長し、治療期間を通じて無増悪であった患者の割合を有意に増加させるなど、増悪に関連する複数の副次評価項目を達成しました。さらに、25 mg 群では、気管支拡張薬投与後の 1 秒量 (FEV₁) による評価で、52 週時点における肺機能低下が統計学的に有意に抑制されました。また、BRINSUPRI の安全性は両試験で評価されました。ASPEN 試験において発現率が 2% 以上であった主な有害事象は、上気道感染、頭痛、発疹、皮膚乾燥、過角化、高血圧でした。成人の NCFB 患者を対象とした WILLOW 試験における安全性プロファイルは概ね ASPEN 試験と同様でしたが、歯肉および歯周に関連する有害事象の発現率が高い傾向が認められました。

「非嚢胞性線維症気管支拡張症に対する初の治療薬が FDA に承認されたことは、患者さん、そしてインスメッドにとって歴史的な節目となります。」と、インスメッドの最高医学責任者 (CMO) であるマルティナ・フラマー (M.D., M.B.A.) は述べた上で、「私たちは常に患者さんを中心に据え、これまで承認治療薬のなかった疾患に対し、再びファースト・イン・クラスの医薬品を届けることができました。」



た。これは医学における素晴らしい成果です。この実現にご尽力いただいた患者さん、医療従事者、そして支援者の皆さまに心より感謝いたします。これは、このコミュニティのために私たちが共に成し遂げていけることの、ほんの始まりにすぎません。」と述べています。

BRINSUPRI は、**NCFB** における慢性気道炎症の主要な原因である好中球内の酵素(好中球セリンプロテアーゼ)の活性化を阻害するよう設計された、ファースト・イン・クラスのジペプチジルペプチダーゼ 1(DPP1)阻害剤です。**BRINSUPRI** は、**NCFB** の根本的な炎症プロセスに対処する初の承認治療薬です。

ブレンソカチブは、欧州医薬品庁(EMA)および英国医薬品・医療製品規制庁(MHRA)への申請も受理されており、**2025** 年中に日本での申請を予定しています。各地域で承認が得られ次第、商業販売は **2026** 年に開始される見込みです。

BRINSUPRI は現在、米国で処方箋により、包括的な専門薬局ネットワークを通じて入手可能です。

カンファレンスコール

インスメッドは、**2025** 年 8 月 12 日正午(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。

BRINSUPRI™ (ブレンソカチブ)について

BRINSUPRI™ (ブレンソカチブ) は、成人および 12 歳以上の小児を対象とした非嚢胞性線維症気管支拡張症(**NCFB**)の治療薬として承認された、1 日 1 回経口投与の可逆的ジペプチジルペプチダーゼ 1(DPP1)阻害剤です。ブレンソカチブは、**NCFB** における慢性気道炎症の主要な原因である好中球内の酵素(好中球セリンプロテアーゼ)の活性化を阻害するよう設計されています。さらに、ブレンソカチブは他の好中球介在性疾患における有用性についても評価を行っています。

ASPEN 試験について

ASPEN は、非嚢胞性線維症気管支拡張症(**NCFB**)患者におけるブレンソカチブの有効性、安全性および忍容性を評価するために実施された、世界規模のランダム化二重盲検プラセボ対照第 III 相試験です。**ASPEN** 試験の実施にあたり、約 40 か国で 460 以上の治験施設が参加しました。患者を登録していない施設およびウクライナの全施設を除外した結果、**ASPEN** 試験の実稼働施設は 35 か国で 391 施設となりました。成人患者(18 以上 85 歳まで)は 1:1:1 の割合で、青少年患者(12 歳以上 18 歳未満)は 2:2:1 の割付比で、ブレンソカチブ 10 mg、ブレンソカチブ 25 mg、又はプラセボを 1 日 1 回、52 週間投与する群にランダムに割り付けし、投与終了後に 4 週間の追跡調査期間が設けられました。主要な有効性解析には、1,680 人の成人患者と 41 人の青少年患者



のデータが含まれています。

WILLOW 試験について

WILLOW 試験は、非嚢胞性線維症気管支拡張症(NCFB)患者におけるブレンソカチブの有効性、安全性、忍容性、および薬物動態を評価するために実施された、ランダム化二重盲検プラセボ対照並行群間、多施設・多国籍の第 II 相試験です。ブレンソカチブは 1 日 1 回、24 週間投与されました。WILLOW 試験は 116 施設で実施され、スクリーニング前 12 か月間に少なくとも 2 回の呼吸器疾患増悪が記録されている NCFB 成人患者 256 例が登録されました。患者は 1:1:1 の割合で、ブレンソカチブ 10 mg 群、ブレンソカチブ 25 mg 群、またはプラセボ群に割り付けられました。有効性に関する主要評価項目は、24 週間の投与期間中の最初の呼吸器疾患増悪までの時間(ブレンソカチブ群とプラセボ群との比較)でした。

気管支拡張症について

気管支拡張症は、感染、炎症、肺組織損傷のサイクルにより気管支が不可逆的に拡張する重篤な慢性肺疾患です。この疾患は、抗生物質治療や入院を必要とする呼吸器疾患増悪が頻繁に起こることが特徴です。症状としては、慢性の咳嗽、過剰な喀痰生産、息切れ、繰り返す呼吸器感染などがあり、基礎疾患を悪化させます。成人の気管支拡張症の大部分は、非嚢胞性線維症気管支拡張症(NCFB)です。現在、米国では約 50 万人、EU5 カ国(フランス、ドイツ、イタリア、スペイン、イギリス)で約 60 万人、日本で約 15 万人が NCFB と診断されており、米国以外の地域では、気管支拡張症そのものに対して認可された治療法はありません。

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かつ消耗性の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/>



Insmed®, Insmed logo, and インスメット® are registered trademarks of Insmed Incorporated.

将来予想に関する記述

本プレスリリースには、重大なリスクおよび不確定要素を伴う将来予想に関する記述が含まれております。1995 年米国民事証券訴訟改革法に定義されているように「将来予想に関する記述」は、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の要因には、以下のものが含まれます。米国で **BRINSUPRI** の商業化に成功しないこと、または **BRINSUPRI** の米国での承認を維持できないこと。欧州または日本で **BRINSUPRI** の規制当局の承認を取得できないこと、または承認の取得が遅れること（承認された場合でも、規制当局により使用に重大な制限が課されるリスク、または規制当局による撤回もしくはその他の不利な措置の対象となるリスクを含む）。医師、患者、第三者支払人、および医療コミュニティのその他の者による **BRINSUPRI** の市場受容度の不確実性。**BRINSUPRI** の潜在的市場規模の当社推定値または当社が医師を特定するために使用したデータの不正確性。予想される患者導入率、予想される治療期間、または予想される患者の服薬遵守率もしくは中止率。**BRINSUPRI** について政府または第三者支払人から十分な償還を受けられないこと、または当社が許容可能な **BRINSUPRI** の価格を取得できないこと。**BRINSUPRI** に関連する安全性または有効性に関する予期しない懸念の発生（ブレンソカチブのさらなる臨床試験から得られたデータが **ASPEN** 試験の結果と一致せず、その結果製品ラベルが変更され、売上に悪影響を与える可能性があり、または **BRINSUPRI** が市場から撤退する可能性があるリスクを含む）。**AstraZeneca AB** とのライセンス契約を含むブレンソカチブに関連する契約を当社が遵守できないこと。ブレンソカチブの将来の臨床試験が成功しないこと（当社が、試験の実施および完了、または規制当局の承認に必要なデータの取得等に十分な患者を登録または維持できない可能性等を含む）。将来のブレンソカチブの潜在的な適応症に対する規制当局の承認を取得できないこと。当社が製造を委託している第三者が商業上または臨床上の必要性に応じて十分な量のブレンソカチブを製造できないこと、当社の臨床試験を実施できないこと、または、当社の契約または当社の事業もしくは当社との契約に影響を与える法律および規制を遵守できないこと。

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、リスクおよび不確定要素を伴うことから、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、**2024 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、あくまでも本プレスリリースの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、予測の変化、かかる記述の根拠となる事象、条件、状況の変化、または実際の結果が将来予想に関する記述に記載されたものと異なる可能性に影響を与えうる変化を反映するために、かかる記述を公に更新または修正する義務を負いません。