



本資料は、インスメッド(米国 ニュージャージー州)が 2025 年 12 月 17 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/2025-12-17-Insmed-Provides-Clinical-and-Business-Update> をご参照ください。

2025 年 12 月 26 日

## 報道参考資料

### インスメッド®、臨床ならびにビジネスアップデート発表

- ブレンソカチブの鼻茸を伴わない慢性鼻副鼻腔炎(CRSsNP)を対象とした第Ⅱb 相 BiRCh 試験では、主要評価項目および副次評価項目を達成しなかった。安全性はこれまでの試験結果と一貫していた。インスメッドは CRSsNP プログラムを中止する。
- インスメッドは呼吸器および免疫・炎症性疾患を対象とした開発の可能性がある、第Ⅱ相試験実施予定のモノクローナル抗体を獲得した。

**2025 年 12 月 17 日、米国ニュージャージー州発** 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、本日、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 BiRCh 試験において、10 mg および 40 mg の両用量群で、主要評価項目および副次評価項目を達成しなかったことを発表しました。ブレンソカチブの忍容性は良好であり、これまでにインスメッドが実施した試験において最も高用量である 40 mg 群を含め、新たな安全性シグナルは認められませんでした。インスメッドは、CRSsNP を対象としたブレンソカチブの開発プログラムを即時中止するとともに、本試験データを今後開催される学会において発表する予定です。

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、次のように述べています。「本疾患には動物モデルが存在しないことから、本概念実証試験(proof-of-concept 試験)は、ブレンソカチブが CRSsNP 患者に治療上の有用性をもたらす可能性があるかどうかを確認することを目的として実施しました。今回の結果は残念ではありますが、明確な結論を得ることができました。本 BiRCh 試験の実施にご協力いただいた患者さんおよび治験参加医師の皆様に、心より感謝申し上げます。」



本試験においては、1日あたりの副鼻腔全症状スコア(Sinus Total Symptom Score:sTSS)の24週時点における投与開始時からの28日平均の変化量を主要評価項目としました。このスコアが負の値を示す場合に症状の改善を示すことになります。各投与群におけるトップラインの結果は以下のとおりです:最小二乗平均(LS平均)はプラセボ群で-2.44、プレンソカチブ10mg群で-2.21、プレンソカチブ40mg群では-2.33でした。治験薬投与後に発現した有害事象(TEAE)の発現率は以下のとおりです。

	プレンソカチブ 10 mg 1日 1回投与 (N=99)	プレンソカチブ 40 mg 1日 1回投与 (N=93)	プラセボ (N=95)
何れかの有害事象を発現した人数(%)	63 (63.6)	65 (69.9)	62 (65.3)
重篤な有害事象を発現した人数 (%)	2 (2.0)	3 (3.2)	2 (2.1)
重度の有害事象を発現した人数 (%)	0	0	3 (3.2)

#### 第II相試験実施予定の開発候補品であるINS1148の取得について

インスマッドは本日、呼吸器疾患および免疫・炎症性疾患領域における高いアンメット・メディカル・ニーズに対応する、ファースト・イン・クラスとなる可能性を有する開発中のモノクローナル抗体であるINS1148を取得したことを発表しました。INS1148は新規作用機序を有しており、c-Kitシグナル伝達の下流に位置する炎症性カスケードのみを選択的に阻害することで、造血や組織修復などに関与する重要な恒常性維持および組織修復経路を温存したまま、特定の幹細胞因子(Stem Cell Factor:SCF)のアイソフォームであるSCF248を優先的に標的とする可能性があります。インスマッドはINS1148について、まず間質性肺疾患および中等症から重症の喘息を対象として、第II相開発プログラムを進める予定です。INS1148(旧称:OpSCF)は、臨床段階を対象とした民間企業であるOpsidio社により開発されました。

マルティナ・フラーは、次のように述べています。「INS1148の取得により、新規作用機序を有する臨床開発段階のモノクローナル抗体が、当社の拡大するパイプラインに加わりました。本剤を、複数の重篤な疾患において、ファースト・イン・クラスとなる可能性を有する治療法として開発を進めていくことを期待しています。」

#### 第IIb相BiRCh試験について

プレンソカチブのCRSsNP患者を対象とした第IIb相BiRCh試験は、プレンソカチブの有効性および安全性をプラセボと比較して評価することを目的とした、多施設共同、無作為化、二重盲検、



並行群間、プラセボ対照試験です。本試験は世界 104 施設で実施され、合計 288 例の患者が、ブレンソカチブ 10 mg 群(n=99)、ブレンソカチブ 40 mg 群(n=94)、またはプラセボ群(n=95) のいずれかに 1:1:1 で無作為に割り付けられ、モメタゾンフランカルボン酸エステル点鼻薬による背景治療と共に、1 日 1 回、24 週間投与されました。主要評価項目は、1 日あたりの副鼻腔全症状スコア(Sinus Total Symptom Score:sTSS)の 24 週時点における投与開始時からの 28 日平均の変化量でした。副次評価項目には、副鼻腔混濁率の変化、Sino-Nasal Outcome Test 22 (SNOT-22)スコアの変化、修正 Lund-MacKay CT スコアの変化、1 日あたりの鼻閉スコアの 28 日平均の変化、1 日あたりの最大鼻吸気流量(Peak Nasal Inspiratory Flow)の 28 日平均の変化、ならびにレスキュー治療を必要とした被験者の割合およびブレンソカチブの平均血漿中濃度が含まれました。

#### 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 端末結合、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プリン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 5 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 インスメッド® 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要因には、以下のものが含まれます。BiRCh 試験から得られた完全なデータセットから得られたデータが BiRCh 試験のトップライン結果と一致しないリスク。当社が計画している間質性肺疾患及び中等症から重症の気管支喘息の INS1148 の第Ⅰ相試験など、BiRCh の将来の臨床試験が成功しないこと（当社が、試験を実施および完了するために、または規制当局の承認に必要なデータを得るために十分な数の患者を登録もしくは維持できない可能性があることを含む）。その製品候補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。当社が製造を委託している第三者が、臨床ニーズに対応するために十分な量の治験薬を製造できない、当社の臨床試験を実施できない、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。当社の製品候補の規制当局の承認を取得できないこと。当社の製品候補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さ。当社の製品候補が承認された場合の予想される患者の服用率、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。当社または当社の第三者製造業者が当社の製品候補に関連する規制要件を遵守できること。当社の製品候補が承認された場合に当社が政府または第三者支払者からその製品候補について適切な保険償還、または許容可能な薬価であること。当社の製品候補に関連する契約によって当社に課せられる制限またはその他の義務、および当該契約に基づく当社の義務を遵守できないこと。当社の臨床試験が遅延するリスク、または医薬品開発中に重篤な副作用が明らかになるリスク。当社の知的財産権または第三者の権利の強さおよび執行可能性。当社が第三者から買収により取得した製品（例えば INS1148）を自社の開発体制に取り込み、開発を進めることができないリスク。当社が当事者となる可能性のある訴訟（製造物責任請求を含む）から生じる費用および潜在的な評判の損失。

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マット年次報告書 (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。