

本國及第一上市(櫃)公司(含98.10.30前TDR重訊)

本資料由 (上櫃公司) 生華科 公司提供

序號	1	發言日期	107/11/01	發言時間	13:33:59
發言人	宋台生	發言人職稱	總經理	發言人電話	(02)89119856
主旨	公告本公司新藥CX-4945用於新適應症皮膚癌-基底細胞瘤 (Basal Cell Carcinoma) 人體臨床試驗，獲美國食品藥物管理局 (FDA) 核准執行。				
符合條款	第 53 款	事實發生日	107/11/01		
說明	<p>1.事實發生日:107/11/01</p> <p>2.公司名稱:生華生物科技股份有限公司</p> <p>3.與公司關係(請輸入本公司或子公司):本公司</p> <p>4.相互持股比例:不適用</p> <p>5.發生緣由:</p> <p>(1)本公司新藥CX-4945為蛋白激西每CK2抑制劑，目前係於美國、韓國及台灣進行併用兩種化療藥物Gemcitabine及Cisplatin做為膽管癌第一線治療的多國多中心第二期臨床試驗。</p> <p>(2)CK2在多項臨床前研究發現，其為刺蝟訊號傳導路徑 (Hedgehog signal pathway) 極重要的調控因子，對Hh pathway下游包括Gli等蛋白基因具制約及調控作用。生華科團隊運用CX-4945在對現有標靶藥物產生抗藥性的基底細胞瘤 (Basal Cell Carcinoma, BCC皮膚癌的一種) PDX模型實驗中發現，CX-4945能有效抑制腫瘤生長，展現其在這類皮膚癌治療上的潛力。</p> <p>(3)為擴大CX-4945適應症及進一步驗證CX-4945於治療BCC的有效性，此項人體臨床試驗將採一期臨床及療效擴展族群試驗 (expansion cohort)，係符合FDA為加速新藥開發，最新指引所設計，規劃如下:</p> <p>(a) 一期臨床: 規劃在美國啟動3個臨床中心，收案3-6人，進行藥物安全性確認及劑量探索。</p> <p>(b) 療效擴增族群試驗: 規劃在美國啟動6個臨床中心，收案20人，執行開放性的人體試驗，2個cohort分別納入接受SMO抑制劑治療已產生抗藥性、面臨無藥可醫的局部晚期和癌細胞已經轉移的BCC病患。冀透過療效擴增族群試驗，取得概念性驗證 (Proof of Concept)，早日進入關鍵性臨床試驗 (pivotal trial)，加速CX-4945的開發與上市。</p> <p>6.因應措施:於公開資訊觀測站發布重大訊息</p> <p>7.其他應敘明事項:</p>				

- (1)研發新藥名或代號：CX-4945
- (2)用途：基底細胞瘤 (Basal Cell Carcinoma, BCC)
- (3)預計進行之所有研發階段：一期人體臨床試驗及療效擴展族群試驗
- (4)目前進行之研發階段：CX-4945現正用於治療膽管癌人體二期臨床試驗
 - A. 提出申請/通過核准/不通過核准：

本公司向美國食品藥物管理局(FDA)申請新藥CX-4945應用於新適應症基底細胞瘤(Basal Cell Carcinoma)人體一期臨床及療效擴展族群(Expansion cohort)試驗審查許可(IND)。
 - B. 未通過目的事業主管機關許可者，公司所面臨之風險及因應措施：不適用
 - C. 已通過目的事業主管機關許可者，未來經營方向：

本公司將完成基底細胞瘤(Basal Cell Carcinoma)人體一期臨床及療效擴展族群(Expansion cohort)試驗，並往下一階段關鍵性臨床試驗(pivotal trial)邁進，或完成療效擴展族群(Expansion cohort)臨床試驗後與其他藥廠進行可能之授權或共同開發。
 - D. 已投入之研發費用：因涉及未來國際授權談判資訊，為避免影響授權金額，以保障投資人權益，暫不揭露。
- (5)將再進行之下一研發階段：
 - A. 預計完成時間：將依相關法規及臨床進展揭露相關訊息。
 - B. 預計應負擔之義務：不適用
- (6)目前該新藥所適應病症之市場狀況、現有治療相同病症之主要藥物等資訊：

基底細胞瘤(BCC)是最常見的一種惡性皮膚癌，全美一年的新增病例約430萬人，並導致3千人死亡。除了紐澳、北美，包括歐洲、中國大陸及日本等都是較高盛行率發生的地區。根據Transparency Market Research的市場分析報告，從2017年到2025年，和BCC相關藥物及療法的全球潛在商機以9.2%的年複合成長率遞增，深具發展潛力。

 - a. 由美國藥廠Genentech所開發的Vismodegib，在2012年1月被美國FDA核准，是全球市場第一個治療轉移性、局部晚期、無法手術切除或無法接受放射線治療BCC患者的標靶藥物，其作用機制靶向Hh訊號傳導路徑的SMO蛋白基因，進而抑制癌細胞DNA進行修復，促進凋亡。據研究指出超過九成的BCC患者其致病原因都和Hh訊號傳導路徑相關。根據GlobalData的資料，Vismodegib 2017年全球的銷售金額達2.53億美元；另外Coven & Co.的分析報告預測到2022年，Vismodegib的銷售高峰(peak sales)將達到5.33億美元。
 - b. 市場上第二個治療BCC的標靶藥物是由瑞士大藥廠諾華開發的Sonidegib，在2015年7月被美國FDA核准，主要針對局部晚期、無法手術切除或無法接受放射線治療的BCC病患，同樣是靶向Hh訊號傳導路徑的SMO蛋白基因。

(7)新藥開發時程長、投入經費高且並未保證一定能成功，此等可能使投資面臨風險，投資人應審慎判斷謹慎投資。

以上資料均由各公司依發言當時所屬市場別之規定申報後，由本系統對外公佈，資料如有虛偽不實，均由該公司負責。