

## 本資料由 (上櫃公司) 6492 生華科 公司提供

序號	1	發言日期	111/01/25	發言時間	06:37:51
發言人	張小萍	發言人職稱	財務長	發言人電話	(02)89119856
主旨	本公司新藥Pidnarulex(CX-5461)通過美國FDA審查，授與「快速審查認定」(FTD)，用於治療具特定基因缺損之乳癌和 卵巢癌，有利加速此新藥申請美國藥證之時程。				
符合條款	第	53	款	事實發生日	111/01/24
說明	<p>1.事實發生日:111/01/24</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)本公司接獲美國食品藥物管理局 (Food and Drug Administration, FDA)通知開發中新藥Pidnarulex (CX-5461)，已通過審查，授與新藥「快速審查認定」(Fast Track Designation)用於治療具包括BRCA1/2或PALB2基因缺損之乳癌和卵巢癌。具這項資格認定，本公司將獲得美國FDA多項協助包括:</p> <p>a. 密集諮詢:可於執行臨床試驗期間，透過書面或面對面會議密切諮詢，包括但不限於臨床設計、藥物開發計畫以及確保適當資料的蒐集等，有助加速申請藥證進程。</p> <p>b. 具資格申請加速核准(Accelerated Approval)和優先審查(Priority Review)，有利藥物及早上市。</p> <p>c. 滾動式審查(Rolling Review): 在執行人體試驗同時，即先行提交新藥查驗登記所需相關文件供審，以縮短完成三期試驗後，申請藥證時審查的時程。</p> <p>(2)本公司獲快速審查認定起15天內，應制定並公佈「擴大取得政策」(Expanded Access Policy)，讓美國具BRCA1/2或PALB2基因缺損之實體腫瘤患者，在無法取得可以相比或更適切的其他療法時，可於Pidnarulex(CX-5461)核准上市前，獲得Pidnarulex(CX-5461)進行治療。</p> <p>(3)根據美國FDA法規規定「快速審查」係依據臨床與臨床前數據進行審查，認定該項臨床試驗中藥物具：a. 可治療嚴重疾病(serious condition) b. 具潛力解決未被滿足之醫療需求(unmet medical need)時，所提供之加速審查機制，目的希望加速潛力藥物早日上市讓病人使用。</p> <p>(4)本公司開發中新藥Pidnarulex (CX-5461)為First in Class市場首見之DNA損傷反應(DDR)新穎機制的小分子標靶藥物，透過合成致死(Synthetic Lethality)作用，加速腫瘤細胞凋亡。Pidnarulex (CX-5461)目前用於治療具包括BRCA1/2或PALB2基因缺損之多種實體腫瘤人體療效擴增族群試驗進行中，此試驗為開放性、多國、多中心收</p>				

案，分為主要試驗組(Main Study Cohort)和探索組(Exploratory Cohort)，分別收治具BRCA2或PALB2基因缺損之多種腫瘤病患(乳癌、卵巢癌、攝護腺癌及胰臟癌)以及具BRCA1基因缺損或具其他HRD基因同源重組缺陷之卵巢癌患者。

(5)根據美國醫學遺傳學和基因組學學院 (ACMG)發布的醫病指南，PALB2突變基因是第三大最重要的乳癌基因，具這項突變基因罹患乳癌風險和BRCA1/2突變相同，提高四到六成，也同樣有較高罹患卵巢癌和胰腺癌的風險，PALB2也是目前藥物開發重要的生物標記(biomarker)。本公司期許此項試驗，除了BRCA1/2，Pidnarulex(CX-5461)在治療具PALB2突變基因的不同腫瘤患者亦有正面療效，展現一藥治多癌的創新藥物機制。

(6)Pidnarulex(CX-5461)上一階段未經基因篩選、不分腫瘤類型的人體臨床試驗中，經數據分析具基因缺損(如BRCA1/2、PALB2)或基因同源重組缺陷(HRD)病患對Pidnarulex(CX-5461)表現較高敏感性，且半數以上收案病患對鉑類(Platinum)化療藥物已經產生抗藥性、在無其他治療藥物選擇下Pidnarulex (CX-5461)仍具療效，符合精準醫療的新藥發展趨勢。單一臨床試驗結果並不足以充分反映未來新藥開發上市之成敗，投資人應審慎判斷謹慎投資。

6. 因應措施:於公開資訊觀測站發布重大訊息。

7. 其他應敘明事項:

A. 第一代DDR機制藥物為PARP抑制劑，由AZ和Merck & Co.共同開發的Lynparza是第一個被FDA核准的PARP抑制劑，適應症從具BRCA基因缺損的卵巢癌，擴大到乳癌、胰臟癌和攝護腺癌，為靶向特定基因缺損的標靶藥物，2021上半年Lynparza創造營收約12億美元，目前全球已經有4個PARP抑制劑核准使用。由於PARP抑制劑一藥可治多癌的機轉，2019年全球PARP抑制劑市場價值為21.78億美元，預計到2026年底將達到161.8億美元，2021-2026年復合年增長率為32.8%。

B. PARP抑制劑在臨床治療已經陸續發展出抗藥性、癌症患者面臨無其他藥物選擇的情況；另外PARP抑制劑藥須用於對如鉑類(Platinum)化療藥物敏感的癌症患者才具療效，如患者對化療藥物發展出抗藥性，也同樣面臨無其他藥物選擇方案。

C. Pidnarulex (CX-5461)為新一代DDR機制，多項臨床前研究，Pidnarulex (CX-5461)不論單獨用藥或是合併PARP抑制劑，皆具成為PARP抑制劑救援藥物潛力。新藥開發時程長、投入經費高且未保證一定能成功，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。