

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	2	發言日期	108/04/17	發言時間	13:34:44
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用於治療皮膚癌-基底細胞瘤(Basal Cell Carcinoma)已正式啟動人體臨床試驗，並於108年4月17日納入第一位受試者。				
符合條款	第 53 款	事實發生日	108/04/17		
說明	<p>1.事實發生日:108/04/17</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已正式啟動人體臨床試驗，並已於108年4月17日於美國德克薩斯州之Texas Oncology臨床中心完成第一位病人收案。</p> <p>(2)此項人體臨床試驗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>(3)CX-4945為蛋白激西每CK2抑制劑，目前已於美國、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>(4)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。</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> <p>(1)研發新藥名或代號: CX-4945</p> <p>(2)用途: 基底細胞瘤 (Basal Cell Carcinoma, BCC)</p>				

- (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。
- 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 2018年全球的銷售金額達2.58億瑞士法郎(約折合2.6億美元)；另外Cowen & 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。諾華已於2016年底將此藥物以1.75億美元出售給總部位於印度的Sun Pharmaceutical Industries Ltd. GlobalData資料預測到2024年，Sonidegib的銷售高峰將達到6.53億美元。
- (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。

責。