

即時重大訊息

本資料由 (上櫃公司) 生華科 公司提供

序號	2	發言日期	108/07/25	發言時間	10:36:15
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用於治療兒童腦瘤-髓母細胞瘤 (Medulloblastoma, MB)，已於美國正式啟動人體一/二期臨床試驗，並於美國時間108年7月24日完成第一位病人收案。				
符合條款	第	53	款	事實發生日	108/07/25
說明	<p>1.事實發生日:108/07/25</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已於美國正式啟動兒童腦瘤-髓母細胞瘤(Medulloblastoma,MB)人體臨床試驗，並於108年7月24日於美國俄亥俄州之辛辛那提市兒童醫院醫學中心(Cincinnati Children's Hospital Medical Center)完成第一位病人收案。 (詳情請見ClinicalTrials.gov:PBTC-053 A Pediatric Brain Tumor Consortium Phase I/ II and Surgical Study of CX-4945 in Patients With Recurrent SHH Medulloblastoma https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03904862?term=CX-4945&cond=Pediatric+Brain+Tumor&cntry=US&rank=1)</p> <p>(2)此項人體臨床試驗係本公司與美國兒童腦瘤聯盟(Pediatric Brain Tumor Consortium, PBTC)合作，由美國國家癌症研究中心(National Cancer Institute, NCI)的癌症治療評估計畫(Cancer Therapy Evaluation Program, CTEP)全額經費贊助。本試驗採開放性、單國多試驗中心之一/二期臨床試驗設計，主要收案為髓母細胞瘤復發病人(接收或未接受過手術)，提供另一種治療選擇，試驗規劃如下:</p> <p>(a)一期臨床: 規劃在PBTC 旗下12所知名兒童醫院及癌症中心，同步收錄病患，預計收案30人。主要目標: 確認CX-4945在治療具SHH(sonic hedgehog)復發髓母細胞瘤兒童病患的劑量限制性毒性(DLT)，同時進行藥物最大耐受劑量(MTD)或二期使用劑量(RP2D)確認。</p> <p>(b)二期臨床: 預計收案30人。主要目標: 確認CX-4945在治療具SHH(sonic hedgehog)復發髓母細胞瘤成人病患的安全性及療效試驗，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為蛋白激酶C2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；同時也於美國進行皮膚癌-基底細胞瘤的一期/劑量擴增族群試驗。</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。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。</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: 治療髓母細胞瘤 (Medulloblastoma, MB)</p> <p>(3)預計進行之所有研發階段: 一/二期人體臨床試驗</p> <p>(4)目前進行之研發階段</p>				

A. 提出申請/通過核准/不通過核准/各期人體臨床試驗(含期中分析)結果/發生其他影響新藥研發之重大事件：

本公司新藥CX-4945已於美國正式啟動兒童腦瘤-髓母細胞瘤(Medulloblastoma, MB)人體臨床試驗，並於108年7月24日完成第一位病人收案。

B. 未通過目的事業主管機關許可者、各期人體臨床試驗(含期中分析)結果未達統計上顯著意義或發生其他影響新藥之研發之重大事件者，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、各期人體臨床試驗(含期中分析)結果達統計上顯著意義或發生其他影響新藥研發之重大事件者，未來經營方向：本公司將與PBTC合作完成髓母細胞瘤人體一/二期臨床試驗，並往下一階段關鍵性臨床試驗(pivotal trial)邁進，或完成一/二期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：關鍵性臨床試驗(pivotal trial)

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) 市場現況：

(a) 髓母細胞瘤(MB)發生率和惡性程度僅次於星形膠質細胞瘤，在美國屬於罕見兒科疾病，好發於10歲以下兒童，一年新增病例平均約400人。目前的治療方式先以手術切除腫瘤，再以放射線治療腦部和脊髓，緊接著就是一年的綜合性化療藥物，不過通常病人幾個月就會產生抗藥性，如果復發只能接受幹細胞或骨髓移植。

(b) 由美國藥廠Genentech所開發的Vismodegib，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皮膚癌-基底細胞瘤(Basal Cell Carcinoma, 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。據研究指出由於MB患者其致病原因也和Hh訊號傳導路徑相關，因此臨床上化療藥物復發的病人，則常以仿單外使用於治療髓母細胞瘤。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。一般使用Vismodegib的病患約5-12個月後就會復發，而復發後就Smoothened下游(hedgehog pathway)的Gli 抑制劑，且是多靶點的抑制Gli，比較沒有其他標靶藥物，CX-4945作為在不容易產生抗藥性，若臨床試驗結果表現如預期，CX-4945將有機會發展成為髓母細胞瘤(MB)新一代的藥物。

(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。