

公開資訊觀測站精華版

本資料由 (上櫃公司) 生華科 公司提供

序號	2	發言日期	109/08/12	發言時間	10:19:09
發言人	宋台生	發言人職稱	總經理	發言人電話	(02)89119856
主旨	公告本公司開發中新藥Silmitasertib(CX-4945)用於治療皮膚癌基底細胞瘤(BCC)已進入人體臨床一期第二階段療效擴增族群試驗，並於109年8月12日完成第一位病人收案並依照療程給藥				
符合條款	第 53 款	事實發生日	109/08/12		
說明	<p>1.事實發生日:109/08/12</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)本公司開發中新藥Silmitasertib (CX-4945)已正式進入人體臨床一期第二階段-療效擴增族群試驗，並已於108年8月12日於佛羅里達州之 H. Lee Moffitt癌症中心及研究所(H.Lee Moffitt Cancer Center and Research Institute Hospital, Inc.)完成第一位病人投藥。</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)一期臨床劑量安全性試驗階段: 已完成收案，進行藥物安全性確認及劑量探索，開發中新藥Silmitasertib (CX-4945)已經初步展現於晚期基底細胞癌病患的安全性及觀察到早期療效，相關試驗論文已於2020年ASCO網站上線連結如下:</p> <p>A Phase 1 Study of CX-4945 Administered orally twice daily to patients with advanced basal cell carcinoma</p> <p>https://meetinglibrary.asco.org/record/191797/abstract</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)，接著進入樞紐性試驗(pivotal trial)，加速CX-4945的開發與上市。</p> <p>(3)根據多項研究指出，逾九成基底細胞癌患者其致病原因和刺蝟訊號傳導路徑(Hedgehog signal pathway)有關。生華科新藥Silmitasertib為高度專一性的CK2蛋白激西每抑制劑，在多項臨床前研究發現，其為刺蝟訊號傳導路徑極重要的調控因</p>				

子，對Hh pathway下游包括GLI等蛋白基因具制約及調控作用。

(4)本公司開發中新藥Silmitasertib目前應用於包括：

A: 基底細胞癌一期臨床及療效擴展族群試驗(expansion cohort)

B: 膽管癌I/II期臨床試驗，於美國、韓國及台灣進行以併用兩種化療藥物Gemcitabine及Cisplatin做為膽管癌第一線治療臨床試驗。

C: 髓母細胞瘤(兒童腦瘤一種)人體第I/II期臨床試驗，此試驗獲得美國國衛院NIH旗下癌症研究中心抗癌計畫CTEP贊助臨床經費三百萬美元，同時由美國兒童腦瘤聯盟(PBTC)負責執行，已於108年7月同步於全美旗下12所兒童醫院及癌症中心全面啟動收案。本公司已於今年七月初接獲美國食品藥物監督管理局FDA(U.S. Food and Drug Administration)正式來函Silmitasertib (CX-4945)取得兒童惡性腦瘤-髓母細胞瘤之「罕見兒科疾病認定」(Rare Pediatric Disease Designation, RPD)，獲此項罕見兒科疾病認定，Silmitasertib (CX-4945)未來在核准上市後可取得優先審核憑證(Priority Review Voucher, PRV)，不但藥證審查期可大幅縮短至六個月，PRV具交易性也可以出售給其他藥廠。

D: 新冠病毒(SARS-CoV-2)一系列相關試驗規劃中，合作單位包括美國國衛院等，請參考本公司109年4月9日重訊。

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:

(1) 研發新藥名或代號: Silmitasertib (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增族群試驗

(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、基底細胞瘤一期/療效擴增族群試驗、髓母細胞瘤一/二體臨床試驗

A. 提出申請/通過核准/不通過核准: 不適用

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，並往下一階段樞紐性試驗(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(peaksales)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。

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。