

## 公開資訊觀測站精華版

本資料由 (上櫃公司) 6492 生華科 公司提供

序號	1	發言日期	109/10/06	發言時間	13:40:24
發言人	宋台生	發言人職稱	總經理	發言人電話	(02)89119856
主旨	本公司開發中新藥Silmitasertib(CX-4945)之多國多中心膽管癌一/二期人體臨床試驗期中分析達標，提前結束試驗依法規公告。				
符合條款	第 10 款	事實發生日	109/10/06		
說明	<p>1. 產品內容:本公司開發中膽管癌新藥Silmitasertib(CX-4945)</p> <p>2. 產品量產日期:NA</p> <p>3. 對公司財務、業務之影響:(1)研發新藥名稱或代號:Silmitasertib(CX-4945)</p> <p>(2)用途:膽管癌一線用藥</p> <p>(3)預計進行之所有研發階段:將和美國FDA討論後續試驗規劃,將以取得藥證上市之樞紐性試驗(Pivotal Trial)為目標。</p> <p>(4)目前進行之研發階段:膽管癌I/II期人體臨床試驗期中分析(IA)</p> <p>A. I/II期人體臨床試驗期中分析</p> <p>(A)臨床試驗設計介紹</p> <p>a. 試驗計畫名稱: CX-4945合併使用Gemcitabine及Cisplatin作為膽管癌患者一線治療之I/II期人體試驗</p> <p>b. 試驗目的:本項臨床試驗係一多國、多中心、隨機、開放性的臨床試驗設計,以疾病無惡化存活期(Progression-free survival, PFS)作為主要觀察指標。</p> <p>c. 試驗階段分級:第二期臨床試驗</p> <p>d. 藥品名稱: Silmitasertib(CX-4945)</p> <p>e. 適應症: 膽管癌一線用藥</p> <p>f. 評估指標:疾病無惡化存活期(Progression-free survival, PFS)較對照組達統計學上顯著差異</p> <p>g. 受試者收納人數:124人</p> <p>(B)主要及次要評估指標之統計結果:</p> <p>經獨立的受託研究機構(Contract Research Organization)進行統計分析,在修正意向分析(modified Intent to Treat, mITT)病患族群(指至少完成一個療程)的疾病無惡化存活期(PFS)優於對照組,達到統計上顯著差異,可提前結束試驗,具體數據將於近期內提交國際研討會或期刊發表。</p> <p>(C)單一臨床試驗結果(包含主、次要評估指標之統計學P值及統計學上是否達顯著</p>				

意義)，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。

B. 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：

新藥Silmitasertib(CX-4945)之多國多中心膽管癌I/II期人體臨床試驗期中分析達標

C. 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

D. 已通過目的事業主管機關許可者，未來經營方向：不適用

E. 已投入之累積研發費用：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：將和美國FDA討論後續試驗規劃，將以取得藥證上市之樞紐性試驗(Pivotal Trial)為目標。

B. 預計應負擔之義務：不適用

(6) 市場現況：

a. 根據Persistence Market Research的研究預測，全球膽管癌藥物市場每年以8%的複合年均增長率成長，將從2017年的1.68億美元攀升至2025年的3.12億美元，現行的標準療法以化療藥物為主，不過平均患者的五年存活率僅約8%-10%。

b. 膽管癌在歐美各國屬於罕見疾病，近年來在亞太地區、中東及非洲國家有較高患病率。生華科的Silmitasertib(CX-4945)已於2016年底獲得美國FDA核准授予膽管癌孤兒藥資格。如後續臨床試驗順利，有望申請取得「快速通道」(Fast Track)資格，加速Silmitasertib的開發及取得藥證上市，未來如進入美國市場享有七年的獨賣權等。

c. 根據EvaluatePharma Orphan Drug Report 2019報告內容，全球孤兒藥物的銷售市場以12.3%的年均增長率成長，速度幾乎是非孤兒藥物的一倍，預計到2024年孤兒藥物營收將達到2,420億美元，佔全球藥物銷售市場的五分之一。2018年美國銷售前一百大孤兒藥物每位患者的藥費中位數為109,723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。

4. 其他應敘明事項：無

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。