

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	109/11/25	發言時間	06:36:51
發言人	宋台生	發言人職稱	總經理	發言人電話	(02)89119856
主旨	本公司新藥CX-5461用於治療具特定基因缺損多種實體腫瘤人體臨床療效擴增族群試驗，已同步向美國FDA和加拿大衛生部Health Canada完成IND送件申請。				
符合條款	第 53 款	事實發生日	109/11/25		
說明	<p>1.事實發生日:109/11/25</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)曾獲得2015年加拿大SU2C-CBCF所共同支持之「抗乳癌夢幻團隊」(Breast Cancer Dream Team)用藥及九百萬加幣的研究經費補助，在前一階段由合作夥伴Canadian Cancer Trials Group (CCTG)執行之未經基因篩選、不分腫瘤的癌症病人體臨床試驗，經數據分析具致病性特定基因缺損(如BRCA1/2、PALB2)或基因同源重組缺陷(HRD)之病患對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、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。此試驗結果獲選於2019美國聖安東尼乳癌大會SABCS (San Antonio Breast Cancer Symposium)發表，請見本公司108年12月13日的公告訊息。</p> <p>(2)為進一步驗證Pidnarulex (CX-5461)具一藥治多種癌症的開發潛力，生華科此次同步向美國FDA及加拿大衛生部Health Canada申請IND為上一階段臨床成果之延伸，此臨床試驗設計如下：</p> <p>A.試驗名稱：CX-5461用於治療具包括BRCA2或PALB2基因缺損之多種實體腫瘤人體1b療效擴增族群試驗。</p> <p>B.試驗設計：此試驗為開放性、多國、多中心收案，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</p>				

BRCA1基因缺損或具其他HRD基因同源重組缺陷之卵巢癌患者。

C. 試驗指標：此試驗主要指標為確認對具特定基因缺損癌症病人之最適投藥劑量，次要指標包括評估Pidnarulex (CX-5461)的安全性、耐受性以確認遲發性毒性(late onset toxicity)、抗腫瘤活性及受試者生活品質改善情形等。

(3) 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：Pidnarulex (CX-5461)

(2) 用途：用於治療具特定基因缺損之多種實體腫瘤人體臨床療效擴增族群試驗

(3) 預計進行之所有研發階段：此1b療效擴增族群試驗完成後，將視臨床成果和美國FDA討論爭取未定性腫瘤類型臨床試驗(tissue-agnostic trial)，以加速藥物開發取得上市核准。

(4) 目前進行之研發階段：

A: 本公司合作夥伴Canadian Cancer Trials Group (CCTG)已完成乳癌及多種實體腫瘤之一期臨床-劑量遞增階段試驗，且於2019美國聖安東尼乳癌大會SABCS (San Antonio Breast Cancer Symposium)發表，本實驗結案活動進行中。

B: Pidnarulex (CX-5461)於今年7月獲Pfizer輝瑞跨國製藥公司和美國攝護腺癌基金會共同評選脫穎而出，將獲臨床經費贊助與輝瑞已上市PARP抑制劑合併用於治療攝護腺癌人體臨床試驗，目前由合作夥伴澳洲墨爾本彼得麥克林癌症中心(PMCC)和Pfizer進行臨床試驗合約洽談中。

A. 提出申請/通過核准/不通過核准：本公司已向美國食品藥物管理局FDA及加拿大衛生部提出開發中新藥Pidnarulex (CX-5461)用於治療具特定基因缺損之多種實體腫瘤人體臨床療效擴增族群試驗IND申請。

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：不適用

D. 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：

A. 第一代DDR機制藥物為PARP抑制劑，在2018年1月第一個被核准用於治療具BRCA1/2基因缺損、轉移性乳癌的PARP抑制劑是由AZ和Merck & Co. 開發的Lynparza，之後由Pfizer開發的Talzenna也被核准在同一適應症。由於PARP抑

制劑為合成致死作用，目前至少已有Lynparza、Rubraca、Zejula三個PARP抑制劑被核准用於治療具BRCA1/2基因缺損之卵巢癌患者，其中Lynparza接續又分別被核准用於治療具BRCA1/2基因缺損之胰臟癌和攝護腺癌患者。

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，相較之下不容易產生抗藥性，且在多項臨床前研究，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。根據Global Data統計，PARP抑制劑2019年的全球市場銷售量為16.4億美元，而根據Coherent Market Insights Analysis (2020)資料，預測2019-2027年的複合年均成長率為24.5%。

(7)其他應敘明事項：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。