

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	2	發言日期	110/01/12	發言時間	08:29:02
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Silmitasertib(CX-4945)治療膽管癌I/II期期中分析提前達標之療效數據摘要，今日已於2021年國際胃腸道癌症研討會(ASCO GI Cancers Symposium)官網公布。				
符合條款	第 53 款	事實發生日	110/01/12		
說明	<p>1.事實發生日:110/01/12</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)以併用化療藥物Gemcitabine及Cisplatin用於一線治療膽管癌I/II期人體臨床試驗，經期中分析主要試驗指標--無惡化存活期(PFS) (P值<0.05)達到統計上顯著差異提前結束試驗 (請見本公司109年10月6日公告)，本試驗計畫主持人、國際膽管癌研究網絡主席(International Cholangiocarcinoma Research Network,ICRN) Dr. Mitesh J. Borad團隊受邀於美國太平洋時間2021年1月17日下午2:30-3:15 (PST)之壁報焦點(Poster Highlight)議程以口頭簡報和壁報形式發表此項臨床正向數據，主要重點包括：</p> <p>A.此項試驗在用藥組共收案88位病患，並有55位病患至少完成一個完整療程(21天)，被定義為修正意向分析(modified Intent to Treat, mITT)病患族群，其臨床數據和二期實驗僅用化療、未服藥的對照組病患經期中分析在主要試驗指標(無惡化存活期;PFS)差異近一倍，達統計上顯著差異，本試驗提早達標。</p> <p>B.療效分析：</p> <p>(1) mITT無惡化存活期(PFS)中位數為11.2個月，相較著名膽道癌BT22臨床數據(僅用兩種化療藥物Gemcitabine及Cisplatin)PFS中位數5.8個月，Silmitasertib(CX-4945)併用Gemcitabine及Cisplatin顯著延緩病患惡化近一倍時間。</p> <p>(2) mITT整體存活期(OS)中位數為17.4個月，相較於BT22臨床數據OS中位數11.2個月，可延長病患生命6個月以上時間。</p> <p>(3)mITT客觀緩解率(ORR)及疾病控制率(DCR)分別為32.1%和79.3%，同樣優於</p>				

BT22臨床數據的19.5%和68.3%。

(4)實驗結果表明，使用Silmitasertib(CX-4945)併用Gemcitabine及Cisplatin於一線膽管癌治療，在臨床上對病人的助益在各項觀察指標一致且全面。

C. 安全性分析：

臨床病患近99%都出現至少一起不良事件TEAE (Treatment-emergent adverse events)，多是輕微和中度反應。最常見的不良事件包括腹瀉和噁心。

D. 結論：

Silmitasertib(CX-4945)並用Gemcitabine及Cisplatin治療膽管癌I/II期人體臨床試驗期中分析結果，展現此項治療方案在局部惡化或已轉移之膽管癌病患深具療效和開發潛力。

相較於BT22臨床試驗，Silmitasertib(CX-4945)引發較少和血液性相關之不良事件。

經過治療，66%病患的CA 19-9腫瘤指數降低。

根據期中分析的臨床成果將規劃三期試驗。

(2)會議資訊：2021 ASCO GI Cancers Symposium於2021年1月15-17日於美國舊金山市舉行，因應新冠肺炎疫情影響，改為線上(Virtual)形式召開。生華科此臨床成果論文標題：Silmitasertib(CX-4945) in combination with gemcitabine and cisplatin as first-line treatment for patients with locally advanced or metastatic cholangiocarcinoma: A phase Ib/II study完整論文摘要已於2021年1月11日美東時間下午5點

<https://meetinglibrary.asco.org/record/194519/abstract>官網公布。

(3)本公司開發中新藥Silmitasertib目前應用於其他適應症包括：

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

B: 髓母細胞瘤人體第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。Silmitasertib (CX-4945)於2020年七月正式取得兒童惡性腦瘤-髓母細胞瘤之「罕見兒科疾病認定」(Rare Pediatric Disease Designation, RPD)。

C: 新冠病毒(SARS-CoV-2)一系列相關試驗規劃及進行中，合作單位包括美國國衛院、Banner Health醫療機構以及喬治亞州先進研究所等，請參考本公司109年4月9日、109年11月26日以及109年12月3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：

A: 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。

B: 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。

C: 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。