

## 生華科新藥獲選美知名兒癌聯盟實驗藥 將爭取 PRV 加速上市

生華科開發中新藥 Silmitasertib(CX-4945)為人類蛋白激酶 CK2 抑制劑，具有獨特的治療優勢，能夠借由靶向抑制 CK2 這一關鍵蛋白，從而抑制腫瘤細胞的增殖和生存。臨床前研究顯示，Silmitasertib (CX-4945) 在治療多種難治型兒童腫瘤中具有顯著療效。因此 Silmitasertib(CX-4945)獲得全美知名兒癌聯盟 Beat Childhood Cancer Research Consortium (BCC) 攜手美國賓州州立大學附設兒童醫院團隊選用實驗用藥，將運用 Silmitasertib (CX-4945)合併使用化療藥物治療復發/難治型兒童及青少年實體腫瘤之一/二期人體臨床實驗(IIT)，並已由 BCC 兒癌聯盟向美國 FDA 提出 IND 申請。由於此臨床將收治罕病神經母細胞瘤患者，因此生華科規劃申請孤兒藥及罕見兒科疾病認定，爭取取得可加速上市的優先審核憑證(Priority Review Voucher, PRV)。

本項實驗經費將由長期支持美國賓州州立大學附設兒童醫院兒癌治療和研究之 Four Diamonds Foundation 贊助，生華科則提供 Silmitasertib(CX-4945)臨床實驗用藥，本次合作不僅為研究提供了豐富的資源，還強化了研究的專業性和前瞻性。實驗初步規劃共 59 人，將收治復發/難治型兒童實體腫瘤，包括神經母細胞瘤、尤因氏肉瘤和骨肉瘤等。若展現早期臨床助益，Four Diamonds Foundation 基金會將以向本公司購藥方式繼續一項 55 人尤因氏肉瘤的試驗。

其中神經母細胞瘤是除了腦瘤、淋巴瘤之外，最常發生的兒童惡性實體腫瘤，超過 9 成在 5 歲之前就被診斷出，由於生長快速容易侵犯到骨髓、骨頭、肝臟、軟組織、遠處淋巴結、腦部及皮膚等，7 成的病童在症狀出現前就已經發生轉移，20 年存活率僅 3 成。全美國平均一年新增 700~800 案例，約佔兒童癌症的 6%，符合罕見疾病定義。因此生華科規劃申請 Silmitasertib(CX-4945)用於治療神經母細胞瘤的孤兒藥資格認定(Orphan Drug Designation, ODD)及罕見兒科疾病認定(Rare Pediatric Disease Designation, RPD)。

生華科特別感謝發起此項臨床實驗的 Beat Childhood Cancer Research Consortium，該聯盟由來自北美洲多個頂尖醫學研究機構和兒童醫院的科學家和醫生組成，具全美 50 家以上醫院的網絡資源，專注對抗兒童癌症的臨床實驗及國際合作。這些實驗成果為復發或難治型的罹癌兒童帶來希望，並曾成功協助開發治療高危族群神經母細胞瘤復發藥物取得藥證。因此對於這項臨床合作，生華科充滿期待和信心，希望在亟需更有效的兒童癌症治療領域提供新穎藥物。

新聞聯絡人：生華生技 張怡芬 02 8911-9856