

## 重磅！史丹佛大學聯手生華科 加速啟動兒童腦瘤新臨床

台灣生技史上第一次！生華科今天宣布正式和美國知名的史丹佛大學(Stanford University) 醫學研究團隊，以及全球頂尖兒童腦瘤研究和治療權威機構－美國「兒童腦瘤聯盟」(Pediatric Brain Tumor Consortium, PBTC)，共同組成抗兒童腦瘤大聯盟，同時生華科已經和負責臨床執行及監督的美國兒童腦瘤聯盟簽署合作計畫，將共同開發及規劃啟動公司新藥”CX-4945 於兒童惡性腦瘤－髓母細胞瘤(Medulloblastoma) 人體一/二期臨床試驗”。這是首度台灣本土的生技公司贏得全球權威醫學研究機構主動提出合作，除了是台灣生技產業的重磅喜事，更是生華科快速邁入全球市場的關鍵。

此項國際合作更具關鍵價值的是，美國兒童腦瘤聯盟將啟動旗下 12 所於全美各地聲譽卓越的兒童醫院及癌症中心，同步收錄病患，加快臨床試驗的成功完成，聯盟成員包括史丹佛大學教學醫院及附設兒童醫院、全美排名第一的癌症專科中心：紀念斯隆-凱特琳癌症中心和全美排名第一的聖猶大兒童研究醫院等(表一)。這些醫院都擁有頂尖的專業醫生和一流的臨床治療經驗。

除了動員龐大的國家級醫療體系資源，美國兒童腦瘤聯盟也將自行投入經費執行本項臨床計畫，此試驗同時更獲得美國癌症研究中心(NCI) 旗下的癌症治療評估計畫(CTEP)贊助全額臨床經費，預估超過三百萬美元。據了解，美國 CTEP 評審團隊對 CX-4945 臨床前的試驗數據大為驚艷，希望透過贊助經費，更快加速 CX-4945 進入人體臨床並上市。

生華科董事長胡定吾表示，這項合作案已經醞釀一段時間，合作的契機是史丹佛大學 SPARK 計畫的一個醫學研究團隊，曾經篩選數千個化合物大量進行臨床前的細胞試驗和髓母細胞瘤的病人腫瘤異種移植(PDX)試驗，結果發現只有 CX-4945 不但讓腫瘤縮小，甚至最後讓腫瘤細胞完全消失。這樣驚人的數據讓史丹佛大學醫學研究團隊大為振奮，認為 CX-4945 是最具潛力的治療藥物，於是主動向生華科提出全面性的合作計畫，這對生華科來說是公司發展的一個關鍵里程碑，公司也將與這群全球頂尖國際專家和醫療團隊全力投入。

生華科總經理宋台生博士同時指出，罹患這種疾病的兒童，目前的治療方式就是先以手術切除腫瘤，再以放射線治療腦部和脊髓，緊接著就是一年的綜合性化療藥物，不過病人幾個月就會產生抗藥性，而根據史丹佛大學醫學研究團隊的臨床前數據顯示 CX-4945 可以把癌細胞殺光。宋博士表示，生華科真的覺得很榮幸、也很感動，希望盡快與國際醫療專家推展臨床並上市，讓全球病童有機會被治癒。

這項臨床試驗針對的髓母細胞瘤，在美國屬於罕見兒科疾病。除了規劃申請「罕見兒科疾病用藥認定」，如順利取得此認定的藥物在藥證送審時即可申請「罕見兒科疾病優先審查憑證」(PRV)。實務上更誘人的是 PRV 可轉賣給大藥廠，縮短審查時間，加速藥品上市。過去 PRV 屢創成交天價，包括 2015 年瑞士商艾柏維以 3.5 億美元購入一張，同年賽諾菲購入一張成交價 2.45 億美元，近期 2017 年的成交價也高達 1.25 億美元，PRV 因此成為各大藥廠競逐的標的。

法人指出，這樣國際高規格的合作對台灣生技產業來說，的確是重磅喜訊！生華科新藥 CX-4945 在史丹佛大學醫學研究團隊及全球頂尖兒童腦瘤研究和治療權威機構 PBTC 的認同下，

將順利完成臨床試驗，未來可望透過優先審查途徑進入藥證申請及全球上市，將更有利生華科國際授權談判合作，前景十分可期。

表一、

**兒童腦瘤聯盟(Pediatric Brain Tumor Consortium, PBTC)**  
**全美頂尖兒童醫院及癌症中心據點**

據點	位置
1. 芝加哥安&羅伯特-盧瑞兒童醫院	伊利諾州
2. 洛杉磯兒童醫院	加州
3. 匹茲堡兒童醫院	賓夕法尼亞州
4. 國家兒童醫學中心	華盛頓特區
5. 亞特蘭大兒童健康中心	喬治亞州
6. 科羅拉多州兒童醫院	科羅拉多州
7. 辛辛那提兒童醫院醫學中心	俄亥俄州
8. 紀念斯隆-凱特琳癌症中心	紐約市
9. 美國國立衛生研究院兒科分院	馬里蘭州
10. 史丹佛大學露西爾-帕卡德兒童醫院	加州
11. 聖猶大兒童研究醫院	田納西州
12. 德克薩斯州兒童癌症中心	德州

新聞聯絡人：生華生技      張怡芬 0978-566-822

新聞聯絡人：精彩創意整合行銷 胡恒士 0952-343-528