

香港交易及結算所有限公司、香港聯合交易所有限公司及香港中央結算有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示，概不就因本公告全部或任何部份內容而產生或因倚賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。



## **CARsgen Therapeutics Holdings Limited**

**科濟藥業控股有限公司**

(於開曼群島註冊成立的有限公司)

(股份代號：2171)

### **自願公告**

## **國家藥品監督管理局受理澤沃基奧侖賽注射液 新藥上市申請用於治療復發／難治多發性骨髓瘤**

本公告由科濟藥業控股有限公司（「本公司」，連同其附屬公司及併表聯屬實體統稱「本集團」或「科濟藥業」）自願作出，以告知本公司股東及潛在投資者本集團最新業務更新。

本公司董事會（「董事會」）欣然宣佈，中國國家藥品監督管理局(NMPA)已受理澤沃基奧侖賽注射液 (zevorcabtagene autoleucel，研發代號：CT053) 的新藥上市申請(NDA)，一種用於治療復發／難治多發性骨髓瘤的全人抗自體BCMA CAR-T細胞候選產品。

此NDA被受理是基於在中國進行的開放標籤、單臂I/II期臨床試驗 (LUMMICAR STUDY 1 (方案編號：CT053-MM-01)) 的數據。研究結果顯示，澤沃基奧侖賽注射液具有良好的安全性和療效。澤沃基奧侖賽注射液對伴隨高危因素患者也表現為一種前景光明的治療手段。

多發性骨髓瘤是一種致命性的血液惡性腫瘤，骨髓中的漿細胞失去控制的增長，並產生異常蛋白，從而導致包括心臟和腎臟等重要器官受損。<sup>1</sup>根據世界衛生組織的資料，在2020年，中國有超過21,000例新病例和近16,200例由於多發性骨髓瘤導致的死亡病例。<sup>2</sup>由於患者平均生存期超過5年，中國在同期估計有113,000名多發性骨髓瘤患者（包括新確診的和難治／復發者）。Frost and Sullivan預測，在2020年代，多發性骨髓瘤的患病人數將保持每年8-10%的增長率。<sup>3</sup>儘管患者可以通過傳統療法獲得緩解，但他們中的大多數都會經歷反覆的疾病進展。<sup>4</sup>在傳統療法下復發的患者，包括蛋白酶抑制劑、免疫調節劑和／或抗CD38單抗，預後較差，且治療選項很少。<sup>5-6</sup>因此，這些患者存在巨大的未被滿足的臨床需求，亟需一種有效、安全和方便的治療方法。

## 關於澤沃基奧侖賽注射液

澤沃基奧侖賽注射液(CT053)是一種用於治療復發／難治多發性骨髓瘤的全人抗自體BCMA CAR-T細胞候選產品。澤沃基奧侖賽注射液基於中國I/II期臨床試驗(LUMMICAR STUDY 1)的新藥上市申請已被國家藥品監督管理局受理。科濟藥業正在北美開展1b/2期臨床試驗(LUMMICAR STUDY 2)，以評估澤沃基奧侖賽注射液用於治療復發／難治多發性骨髓瘤的安全性及療效。本公司也計劃進行其他臨床試驗以開發澤沃基奧侖賽注射液作為多發性骨髓瘤的早線治療方法。

澤沃基奧侖賽注射液於2019年獲得美國FDA的再生醫學先進療法(RMAT)及孤兒藥稱號，以及先後於2019年及2020年獲得歐洲藥品管理局(EMA)的優先藥物(PRIME)及孤兒藥產品稱號。澤沃基奧侖賽注射液也於2020年獲得國家藥監局的突破性治療藥物品種。

本公司認為，澤沃基奧侖賽注射液有可能重塑多發性骨髓瘤的治療範式，並成為多發性骨髓瘤患者的基礎性治療方法。

## 關於本公司

科濟藥業是一家在中國及美國擁有業務的生物製藥公司，主要專注於治療血液惡性腫瘤和實體瘤的創新CAR-T細胞療法。本公司建立了一個綜合細胞治療平台，其內部能力涵蓋靶點發現、抗體開發、臨床試驗和商業規模生產。科濟藥業通過自主研發新技術以及擁有全球權益的產品管線，以解決CAR-T細胞療法的重大挑戰，比如提高安全性，提高治療實體瘤的療效和降低治療成本。我們的使命是成為能為全球癌症患者帶來創新和差異化的細胞療法並使癌症可治癒的全球生物製藥的領導者。

## 釋義及科技詞彙

「BCMA」	指	B細胞成熟抗原，多種血液惡性腫瘤過度表達的蛋白質
「CAR」	指	嵌合抗原受體
「CAR-T」	指	嵌合抗原受體T細胞
「EMA」	指	歐洲藥品管理局
「FDA」或「美國FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「MM」或「R/R MM」	指	多發性骨髓瘤，一種於白細胞中形成的癌症；出現復發或治療無效的多發性骨髓瘤稱為復發及／或難治多發性骨髓瘤

「國家藥監局」	指	國家藥品監督管理局，即國家食品藥品監督管理總局(國家食藥監總局)、國家食品藥品監督管理局(國家食藥監局)及國家藥品監督管理局(國家藥監局)的繼任部門
「Ib期」	指	II期或III期臨床試驗開始前的一個臨床試驗階段，主要是評估多次遞增劑量水平的安全性、耐受性及藥代動力學／藥效學
「II期臨床試驗」	指	對有限數量的患者群體給藥的研究，以確定可能的不良反應及安全風險，初步評價該藥物對特定目標疾病的療效，並確定劑量耐受性及最佳劑量
「關鍵試驗」	指	為證明申報藥物上市批准之前所需臨床效果及安全性證據而進行的對照試驗或研究
「RMAT」	指	再生醫學先進療法，FDA授予擬治療嚴重或有生命威脅的疾病或症狀且初步臨床證據表明該藥物具備潛力解決有關疾病或症狀的未被滿足醫療需求的再生醫學療法(包括細胞療法)的特殊地位
「實體瘤」	指	組織的異常腫塊，通常不包含囊腫或液性暗區
「美國」	指	美利堅合眾國，其領土及屬地及受其司法管轄的所有地區

## 參考文獻

1. American Society of Clinical Oncology. Multiple myeloma: introduction. Available at: <https://www.cancer.net/cancer-types/multiple-myeloma/introduction>. Accessed December 2021.
2. Ferlay J, Ervik M, Lam F, Colombet M, Mery L, Piñeros M, Znaor A, Soerjomataram I, Bray F (2020). Global Cancer Observatory: Cancer Today. Lyon, France: International Agency for Research on Cancer. Available from: <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/populations/160-china-fact-sheets.pdf>, accessed 10 August 2022.
3. Frost and Sullivan. Cellular Immunotherapy Market. Independent Market Research version March, 2021. Data on file.
4. Abdi J, Chen G, Chang H, et al. Drug resistance in multiple myeloma: latest findings and new concepts on molecular mechanisms. *Oncotarget*. 2013;4:2186-2207.

5. Kumar SK, Lee JH, Lahuerta JJ, et al. Risk of progression and survival in multiple myeloma relapsing after therapy with IMiDs and bortezomib: a multicenter international myeloma working group study. *Leukemia*. 2012;26:149-57.
6. Gandhi UH, Cornell RF, Lakshman A, Gahvari ZJ, McGehee E, Jagosky MH, Gupta R, Varnado W, Fiala MA, Chhabra S, Malek E, Mansour J, Paul B, Barnstead A, Kodali S, Neppalli A, Liedtke M, Narayana S, Godby KN, Kang Y, Kansagra A, Umyarova E, Scott EC, Hari P, Vij R, Usmani SZ, Callander NS, Kumar SK, Costa LJ. Outcomes of patients with multiple myeloma refractory to CD38-targeted monoclonal antibody therapy. *Leukemia*. 2019 Sep;33(9):2266-2275. doi: 10.1038/s41375-019-0435-7. Epub 2019 Mar 11. PMID: 30858549; PMCID: PMC6820050.

香港聯合交易所有限公司證券上市規則第18A.05條規定的警示聲明：本公司無法確保其將能成功開發或最終成功銷售澤沃基奧侖賽注射液。本公司股東及潛在投資者在買賣本公司股份時務請審慎行事。

承董事會命  
科濟藥業控股有限公司  
董事長  
李宗海博士

香港，2022年10月18日

於本公告日期，本公司董事會包括執行董事李宗海博士、王華茂博士及蔣華博士；非執行董事郭炳森先生、郭華清先生及謝榕剛先生；獨立非執行董事樊春海博士、顏光美博士及蘇德揚先生。

本公告之中英文版本如有任何歧義，概以英文版本為準。