

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分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

於2022年ASH年會上呈列的澤沃基奧侖賽注射液的研究成果更新

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」）宣佈，在2022年美國血液學會（「ASH」）年會上，本公司展示了一篇關於澤沃基奧侖賽注射液（zevorcabtagene autoleucel，研發代號：CT053，一種針對BCMA的自體CAR-T候選產品）在中國復發／難治多發性骨髓瘤患者中的II期臨床研究（LUMMICAR STUDY 1）的研究結果的海報。這份海報首次報告了LUMMICAR STUDY 1的關鍵性II期安全和療效資料。

海報：一項全人抗BCMA靶向CAR-T細胞（Zevorcabtagene Autoleucel澤沃基奧侖賽注射液）治療復發／難治多發性骨髓瘤患者的II期研究

澤沃基奧侖賽注射液是一種全人抗B細胞成熟抗原（BCMA）嵌合抗原受體（CAR）T細胞，目前正在中國開展一項在復發／難治多發性骨髓瘤（R/R MM）患者中進行的I/II期研究（LUMMICAR STUDY 1，NCT03975907）。LUMMICAR STUDY 1的I期14例患者的結果表明，澤沃基奧侖賽注射液耐受性良好，而且緩解深入持久，總緩解率（ORR）為100%，完全緩解／嚴格意義完全緩解率（CR/sCR）為78.6%。

共有102例R/R MM患者接受了劑量為 150×10^6 CAR+T細胞的澤沃基奧侖賽注射液治療。患者的中位年齡為59.5歲，病史年限的中位時間為3.6年，既往治療中位線數為4線（範圍為3-15）。在接受治療的患者中，39例（38.2%）國際分期系統分期為III期；46例（45.1%）為高危細胞遺傳學異常，定義為del(17p), t(4;14), t(14;16), t(14;20)；24例（23.5%）曾接受自體幹細胞移植。淋巴細胞清除方案包括每天使用環磷醯胺300 mg/m²和氟達拉濱25 mg/m²，連續使用3天，清淋完成後再進行澤沃基奧侖賽注射液治療。

安全性

澤沃基奧侖賽注射液的耐受性良好，安全性可控。102例患者報告了治療相關的不良事件(AEs)，AEs主要包括與清淋相關的血液學毒性。92例患者(90.2%)發生了CRS，其中7例(6.9%)發生了3/4級CRS，所有CRS均完全恢復。沒有發生3級及以上的神經毒性。2例(2%)患者發生ICANS，均為1級且完全恢復，均未使用托珠單抗或類固醇激素治療。38例(37.3%)患者發生了治療相關的嚴重不良事件(SAE)，主要包括血液學毒性和感染。沒有導致澤沃基奧侖賽注射液輸注中斷的AE。1例伴隨慢性肺炎病史的患者在CAR-T細胞輸注後5個月因嚴重肺炎判斷為治療相關死亡。

有效性

截至2022年8月16日，102例患者至少完成3個月的隨訪或提前退出，其中60例患者至少完成6個月的隨訪或提前退出。102例患者的中位隨訪時間為9個月(範圍為0.4-17.8個月)，ORR為92.2%(95%CI, 85.13, 96.55)，VGPR及以上緩解的比率為85.3%，CR/sCR的比率為45.1%。其中接受治療的前60例患者中，中位隨訪時間為12.1個月(0.4-17.8個月)，CR/sCR率為56.7%。中位DOR和中位PFS均尚未達到。在9個月的中位隨訪中，DOR率為86.1%，PFS率為84.6%。在達到VGPR及以上緩解的患者中評估了微小殘留病(MRD)，達到CR/sCR患者的MRD($<10^{-5}$)陰性率為100%，VGPR及以上緩解的患者比率為96.3%。

結論

LUMMICAR STUDY 1的關鍵性II期研究的初步結果顯示，澤沃基奧侖賽注射液在既往接受過多線治療且預後不良的R/R MM患者中顯示了深度和持久的緩解。

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

「AE」	指	不良事件，不良事件從簽署知情同意書後開始收集
「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
「CI」	指	置信區間
「CR」	指	完全緩解
「CRS」	指	細胞因數釋放綜合徵，一種全身炎症反應綜合徵，為若干疾病或感染的併發症，亦為若干單克隆抗體藥物以及過繼性T細胞療法的副作用
「DOR」	指	緩解持續時間
「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
「ICANS」	指	免疫細胞治療相關神經毒性綜合徵神經毒性綜合徵，這是一種潛在的威脅生命的神經毒性，通常發生在CAR-T細胞治療中
「IRC」	指	獨立評審委員會
「MM」	指	多發性骨髓瘤

「MRD」	指	微小殘留病，預後指標的敏感標記
「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
「ORR」	指	客觀緩解率
「PFS」	指	無進展生存期
「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準的安全性、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
「PR」	指	部分緩解
「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
「R/R」	指	復發／難治
「SAE」	指	嚴重不良事件
「sCR」	指	嚴格意義的完全緩解
「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
「VGPR」	指	非常好的部分緩解
「zevor-cel」	指	澤沃基奧侖賽注射液

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12月12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。