



联拓生物公布Mavacamten在用于治疗中国患者的EXPLORER-CN III期临床试验中获得积极顶线结果

April 26, 2023

- Mavacamten在治疗中国有症状的梗阻性肥厚型心肌病患者的研究中达到了主要终点
- Mavacamten显示出与之前研究结果相一致的安全性特征
- 未来如获批, mavacamten将成为中国首个被批准用于治疗梗阻性肥厚型心肌病的心肌球蛋白抑制剂
- 联拓生物将于美国东部时间5月1日(星期一)上午8点/中国时间晚8点召开线上直播会议, 就EXPLORER-CN试验的顶线数据及mavacamten在中国的市场机会与分析师和投资者进行沟通

上海和新泽西州普林斯顿, April 26, 2023 (GLOBE NEWSWIRE) -- 联拓生物(纳斯达克:LIAN), 一家致力于为中国和其他亚洲主要市场的患者带来创新药物的生物技术公司, 于今日公布了mavacamten 用于治疗中国有症状的梗阻性肥厚型心肌病(oHCM)患者的EXPLORER-CN III期临床试验的积极顶线结果。

EXPLORER-CN试验达到了其预设的主要终点。其结果显示, 与安慰剂相比, mavacamten 从基线到第30周为患者带来了具有统计学和临床意义的Valsalva左心室流出道(LVOT)压差的改善($p < 0.001$)。此外, 在所有次要终点方面mavacamten均显示出改善, 包括第30周静息状态下LVOT 峰值压差较基线的变化、第30周Valsalva 激发的LVOT 峰值压差 < 30 mmHg 的受试者比例、第30周Valsalva 激发的LVOT 峰值压差 < 50 mmHg 的受试者比例、第30周纽约心脏协会(New York Heart Association, NYHA) 心功能分级较基线改善至少1级的受试者比例、第30周堪萨斯城心肌病问卷临床总结评分较基线的变化以及经心脏核磁共振评估的第30周左心室质量指数较基线的变化。

试验的安全性结果与之前mavacamten在有症状的oHCM的研究结果相一致, 没有观察到新的安全性信号。研究中没有受试者出现左心室射血分数(LVEF)下降到小于50%从而需要中断治疗的情况。EXPLORER-CN III期临床试验在中国共招募了81名有症状(NYHA 心功能II或III级)的oHCM患者。所有受试者在筛选时的LVOT压差(静息或Valsalva 激发)均大于等于50 mmHg。

“几十年来, 临床医生使用的治疗肥厚型心肌病的药物, 仅能尝试缓解症状”, 北京协和医院院长、心脏病学教授、EXPLORER-CN研究牵头研究者, 张抒扬教授说:“在mavacamten出现之前, 患者还没有靶向该疾病潜在病理生理机制的治疗选择。EXPLORER-CN的顶线数据在其丰富的临床证据的基础上, 进一步证明了 mavacamten对全世界患有这种慢性且令人衰弱疾病的患者来说是一种有效的治疗方案”。

2023年4月, 中国国家药品监督管理局(NMPA)已接受mavacamten用于治疗有症状的梗阻性肥厚型心肌病(oHCM)成人患者的新药上市申请(NDA), 并将其纳入了优先审评。该新药上市申请的递交是基于mavacamten的全球关键III期EXPLORER-HCM临床试验的数据结果。该试验评估了与安慰剂相比, mavacamten在有症状的oHCM患者中的安全性和有效性。EXPLORER-HCM试验的结果证明mavacamten具有强大的疗效, 在运动能力、功能状态和患者报告结局以及缓解左心室流出道梗阻的能力方面可为患者带来具有临床意义的改善。EXPLORER-HCM试验达到了其预设的所有主要和次要终点, 且具有统计学意义。该NDA还包括联拓在中国健康志愿者中开展的mavacamten I期药代动力学研究的临床数据。该研究证明了mavacamten的安全性、耐受性以及与美国开展的I期药代动力学研究中观察到的相似的药代动力学特征。此外, EXPLORER-CN试验的双盲初步安全性数据也被用以支持该NDA的递交。

联拓生物首席执行官王轶喆博士表示:“EXPLORER-CN 试验无论从其开展的速度还是质量方面都体现了联拓在加速为患者提升创新药物可及性方面的能力。在此, 我要感谢联拓团队的辛勤付出以及他们对oHCM患者的坚定承诺, 同时也要感谢所有参与EXPLORER-CN的研究者和受试者所给予的支持。现在我们已经获得了积极的关键性数据且该药物的NDA也已在审评之中, 这些有理由让我们对mavacamten明年在中国的上市充满乐观”。

联拓将进行对EXPLORER-CN研究数据的全面评估, 并与研究者紧密合作在即将召开的学术会议上报告该研究的详细数据结果。

分析师及投资者电话会议和网络直播

联拓将召开一场线上会议, 就EXPLORER-HCM的顶线数据及mavacamten在中国的市场机会与分析师和投资者进行沟通。网络直播将于美国东部时间5月1日星期一上午8点/中国时间晚上8点开始。

如需收听该电话会议的网络直播, 请登录联拓生物官网的投资者网页, 网址为<http://investors.lianbio.com>。

如有分析师想参加现场问答环节, 可点击[注册](#)获取接入信息及密码。参与者可在会议开始前任意时间进行注册。

会议结束后90天内可在公司官网上观看该会议的重播和会议幻灯片的相关内容。

关于Mavacamten

Camzyos™ (mavacamten)是首个且目前唯一获得美国FDA批准的心肌球蛋白抑制剂, 适用于治疗症状性纽约心脏协会(NYHA) 心功能II-III级的梗阻性肥厚型心肌病(oHCM)成人患者, 以改善功能能力和症状。除在美国外, 该药也在澳大利亚、加拿大、巴西和瑞士获得了监管部门的上市批准。Camzyos是一种心肌球蛋白选择性的别构可逆性抑制剂。Camzyos调节能进入“可结合肌动蛋白”(产生收缩力)状态的肌球蛋白头的数量, 从而减少动力产生(收缩期)和残留(舒张期)横桥形成的概率。过量的肌球蛋白-肌动蛋白横桥的形成和超松弛状态的失调是HCM的机理特征。Camzyos将整体肌球蛋白群转变到节能、可募集的超松弛状态。在HCM患者中, 用Camzyos抑制肌球蛋白可减少动力性左心室流出道(LVOT)梗阻并改善心脏充盈压。

联拓生物于2020年8月获得了百时美施贵宝旗下全资子公司MyoKardia的许可授权, 在中国大陆、香港、澳门、台湾、泰国和新加坡对Camzyos进行开发和商业化。2022年2月, mavacamten在中国获得了突破性疗法资格认定, 用于治疗oHCM患者。

关于 EXPLORER-HCM

III期EXPLORER-HCM试验总共入组了251名有症状(NYHA心功能II级或III级)的梗阻性肥厚型心肌病患者。所有受试者在筛选时的左心室流出道(LVOT)压差(静息或激发)均大于等于50 mmHg。

EXPLORER-HCM的主要终点为复合功能性终点, 旨在评估mavacamten对患者症状和心功能的改善效果。次要终点包括从基线到第30周的运动后LVOT压差改变、pVO₂、NYHA心功能改善至少一级的受试者比例以及患者报告的结局量表评分的改变。其它终点包括从基线到第30周的超声心动图指标、循环生物标志物、心律模式和加速度的变化。

关于 EXPLORER-CN

EXPLORER-CN III期试验在中国共招募了81名有症状(NYHA心功能II或III级)的梗阻性肥厚型心肌病患者。所有受试者在筛选时的左心室流出道(LVOT)压差(静息或激发)均大于等于50 mmHg。患者以2:1的比例被随机分组, 分别接受 mavacamten或安慰剂的治疗。

EXPLORER-CN研究的主要终点是从基线到第30周的Valsalva LVOT压差的变化。次要终点包括第30周静息状态下LVOT峰值压差较基线的变化、第30周Valsalva激发的LVOT峰值压差<30 mmHg的受试者比例、第30周Valsalva激发的LVOT峰值压差<50 mmHg的受试者比例、第30周NYHA心功能分级较基线改善至少一级的受试者比例、第30周堪萨斯城心脏病问卷临床总结评分较基线的变化、第30周N末端B型利钠肽前体(NT-proBNP)较基线的变化、第30周心肌肌钙蛋白较基线的变化以及经心脏核磁共振评估的第30周左心室质量指数较基线的变化。

关于肥厚型心肌病

肥厚型心肌病是一种由心肌过度收缩和左心室血液充盈受阻引起的慢性进行性疾病, 可导致衰弱症状和心脏功能障碍。据估算, 全球每500人中就有1人是肥厚型心肌病患者。导致肥厚型心肌病最常见的原因是心肌肌节蛋白的突变。在梗阻性或非梗阻性肥厚型心肌病患者中, 强体力活动可导致疲劳或呼吸困难, 影响患者的日常生活。肥厚型心肌病还与房颤、卒中、心力衰竭和心脏性猝死风险的增加有关。

目前, 中国约有110万至280万名肥厚型心肌病患者。

关于联拓生物

联拓生物(联拓)是一家跨国生物技术公司,其使命是为中国和亚洲患者带来颠覆性药物。通过与全球高度创新的生物制药公司合作, 联拓生物正在推进其多样化的临床候选药物产品管线, 有可能推动心血管、肿瘤、眼科、炎症疾病等不同适应症的新治疗标准。联拓生物正在建立国际化的基础设施, 从而将公司定位为首选的合作对象, 并为合作伙伴提供进入中国和其他亚洲市场的平台。如需了解更多信息, 请访问www.lianbio.com。

关于前瞻性陈述说明的注意事项

本新闻稿包含对未来预期、计划和前景的陈述及其他并非对历史事实的陈述, 这些陈述可能构成前瞻性陈述。这些前瞻性陈述或以“预期”、“相信”、“持续”、“预估”、“和”、“潜在”等措辞或其他类似表达来识别, 但并非所有的前瞻性陈述都含有该等识别性措辞。本新闻稿中的前瞻性陈述包括但不限于公司就以下事项的计划和期望的陈述: 联拓快速为患者提升创新药物可及性和在中国强大的临床开发能力、联拓将使用EXPLORER-CN及其药代动力学研究数据来支持mavacamten在中国的上市注册的计划, 包括其计划进行EXPLORER-CN试验数据的完整评估以及与研究者合作在即将召开的学术会议上报告该研究详细数据结果的期望, 以及联拓就其在特定时间内将mavacamten带到中国市场的能力的预期。由于各种重要因素的影响, 实际结果可能与前瞻性陈述中显示的结果存在重大差异, 包括: 联拓是否有能力成功地启动和实施其计划的临床试验, 完成该临床试验并在预期时间内获得结果; 联拓计划利用其合作伙伴的全球注册试验和临床开发项目中产生的数据, 以获得监管部门的批准, 并最大限度地扩大其候选产品的患者范围; 联拓识别新候选产品并成功从第三方获取该候选产品的能力; 来自其他生物技术和制药公司的竞争; 一般市场情况; 不断变化的法律和法规的影响, 以及在LianBio向美国**证券交易委员会**(SEC)提交的文件中描述的风险和不确定性, 包括截至2022年12月31日的10-K年度报告以及后续提交的各类报告。本新闻稿中包含的任何前瞻性声明仅以本文发布日期为准, LianBio明确声明没有任何义务更新任何前瞻性声明, 无论是由于新信息、未来事件或其他原因。本文发布日期后读者不应视这些信息为当前的或准确的信息。

投资者联络:

Elizabeth Anderson, 传播与投资者关系副总裁

邮件: elizabeth.anderson@lianbio.com

电话: +1 646 655 8390

媒体联络:

Josh Xu, 传播部总监

邮件: josh.xu@lianbio.com

电话: +86 136 6140 8315

Katherine Smith, Evoke Canale

邮件: katherine.smith@evokegroup.com

电话: +1 619 849 5378