



联拓生物宣布CAMZYOS®(mavacamten)在中国澳门特别行政区获批上市

May 11, 2023

上海和新泽西州普林斯顿, May 11, 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, 于今日宣布, CAMZYOS® (mavacamten)正式获得中国澳门特别行政区药物监督管理局批准, 用于治疗有症状的梗阻性肥厚型心肌病(oHCM)成人患者。

澳门镜湖医院内科主任顾问冯秀华医生表示:“肥厚型心肌病是一种会严重影响患者生活质量的心血管疾病。我们非常欣喜地看到, mavacamten能在澳门特区获批, 为本地患有此慢性且令人衰弱疾病的患者带来了希望”。

联拓生物首席执行官王轶喆博士表示:“Mavacamten 获得澳门特区药物监督管理局的批准, 是该产品在联拓授权区域的首次获批, 对于联拓具有非常重要的里程碑意义。此次获批也彰显了我们对于加速将创新疗法带给亚洲患者的承诺”。

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。2023年4月, 联拓生物公布了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均显示出具有临床意义的显著改善, 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。

关于Mavacamten

CAMZYOS (mavacamten)是首个且目前唯一获得美国FDA批准的心肌肌球蛋白抑制剂, 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、瑞士和中国澳门特别行政区获得了监管部门的上市批准。CAMZYOS是一种心肌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-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、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”、“潜在”和“将会”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的能力。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