

新闻稿

和黄医药在中国启动一项 IDH1/2 双重抑制剂治疗恶性血液肿瘤患者的 I 期临床试验

— HMPL-306 是和黄医药自主研发的第 9 个肿瘤候选药物 —

香港、上海和新泽西：2020 年 7 月 24 日，星期五：和黄中国医药科技有限公司（简称“[和黄医药](#)”或“Chi-Med”）（纳斯达克/伦敦证交所：HCM）在中国启动了一项 HMPL-306 治疗恶性血液肿瘤患者的 I 期临床试验。HMPL-306 是一种靶向异柠檬酸脱氢酶（“IDH”）1 和 2 突变的新型双重小分子抑制剂，靶向选择性高。首名患者已于今日接受给药治疗。

该试验是一项多中心研究，旨在评估 HMPL-306 在伴有 IDH1 和/或 IDH2 突变的复发性或难治性恶性血液肿瘤患者中的安全性、药代动力学、药效学和疗效。在研究的第一阶段，每组患者将接受递增剂量的口服 HMPL-306 治疗，以确定最大耐受剂量和/或 II 期推荐剂量（“RP2D”）。该研究的第二阶段是剂量扩展阶段，患者将分成 3 组队列接受 HMPL-306 治疗，以进一步评估 RP2D 的安全性、耐受性和临床疗效。该项研究的其他详情可登录 clinicaltrials.gov，检索注册号 [NCT04272957](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04272957) 查看。

HMPL-306 是和黄医药自主研发的第 9 个肿瘤创新药物。已有临床数据表明，当使用单一靶向 IDH1 突变或靶向 IDH2 突变的抑制剂时，细胞质的 IDH1 突变和线粒体的 IDH2 突变会相互转化。通过同时抑制 IDH1 和 IDH2 突变，该候选药物有望为具有 IDH 突变的癌症患者提供治疗效益，并可能解决因亚型转化导致的 IDH 抑制获得性耐药问题。

关于 IDH 和恶性血液肿瘤

IDH 是一类重要的代谢酶，参与分解营养物质并为细胞提供能量。发生突变的 IDH 会产生一种能改变细胞遗传程序的分子，阻止细胞成熟。IDH1 或 IDH2 突变是各种类型的血液肿瘤和实体瘤中常见的基因变异，急性髓系白血病（“AML”）患者中约有 20% 伴有 IDH 基因突变，在骨髓增生异常综合症（MDS）、骨髓增生性肿瘤（MPN）和低级别神经胶质瘤和肝内胆管癌中也有一定的发生率。IDH 突变亚型转化，是对 IDH 抑制剂产生获得性耐药的主要机制之一，无论是由细胞质的 IDH1 突变转为线粒体的 IDH2 突变，或反之亦然。^{1,2,3}

根据美国国家癌症研究所（NCI）的数据，2020 年美国将有大约 20,000 例 AML 新增病例，而五年相对存活率为 28.7%。⁴目前，美国食品药品监督管理局（FDA）已批准一种靶向于 IDH1 突变的药物以及一种靶向于 IDH2 突变的药物，但尚无可同时靶向 IDH1 和 IDH2 突变的双重抑制剂获批。据估计，2018 年中国有 19,700 例 AML 新增病例，预计到 2030 年将达到 24,200 例。⁵在中国，目前尚未有 IDH 抑制剂获批。

关于和黄医药

和黄中国医药科技有限公司（简称“和黄医药”或“Chi-Med”）（纳斯达克/伦敦证交所：HCM）是一家创新型生物医药公司，在过去 20 年间致力于发现和全球开发治疗癌症和自身免疫性疾病的靶向药物和免疫疗法。

目前，和黄医药共有 9 个抗癌类候选药物正在全球开发中，并在中国本土市场拥有广泛的商业网络。欲了解更多详情，请访问：www.chi-med.com。

前瞻性陈述

本新闻稿包含 1995 年《美国私人证券诉讼改革法案》“安全港”条款中定义的前瞻性陈述。这些前瞻性陈述反映了和黄医药目前对未来事件的预期，包括对 HMPL-306 临床开发的预期及 HMPL-306 对伴有 IDH 突变患者的潜在效益。前瞻性陈述涉及风险和不确定性。此类风险和不确定性包括下列假设：临床试验入组率、满足研究入选和排除标准的受试者的时间和可用性、临床方案或监管要求变更、非预期不良事件或安全性问题、候选药物 HMPL-306 作为单药或联合疗法达到研究的主要或次要终点的疗效、获得不同司法管辖区的监管批准，以及获得监管批准后取得商业认可的能力、HMPL-306 用于目标适应症的潜在市场和资金充足性以及新冠肺炎全球大流行对整体经济、监管及政治状况带来的影响等。当前和潜在投资者请勿过度依赖这些前瞻性陈述，这些陈述仅在截至本新闻稿发布当日有效。有关这些风险和其他风险的进一步讨论，请查阅和黄医药向美国证券交易委员会和 AIM 提交的文件。无论是否出现新信息、未来事件或情况或其他因素，和黄医药均不承担更新或修订本新闻稿所含信息的义务。

联络方法

投资者咨询

李健鸿，高级副总裁
郑嘉惠，副总裁

+852 2121 8200
+1 (973) 567 3786

传媒咨询

美洲 – Brad Miles, Solebury Trout

+1 (917) 570 7340 (手机)
bmiles@troutgroup.com

欧洲 – Ben Atwell / Alex Shaw, FTI Consulting

+44 20 3727 1030 / +44 7771 913 902 (手机) /
+44 7779 545 055 (手机)
Chi-Med@fticonsulting.com

亚洲 – 卢志伦/周怡，博然思维集团

+852 9850 5033 (手机)
jlo@brunswickgroup.com /
+852 9783 6894 (手机)
yzhou@brunswickgroup.com

中国大陆 – 张瑞丹，爱德曼公关公司

+86 139 1694 1712 (手机)
fay.zhang@edelman.com

任命保荐人

Freddie Crossley / Atholl Tweedie,
Panmure Gordon (UK)Limited

+44 (20) 7886 2500

-
1. S Choe S et al. *Blood* 2019;134(Supplement 1):545. doi:[10.1182/blood-2019-122671](https://doi.org/10.1182/blood-2019-122671).
 2. Harding JJ et al. Isoform Switching as a Mechanism of Acquired Resistance to Mutant Isocitrate Dehydrogenase Inhibition. *Cancer Discov.* 2018;8(12):1540-1547. doi:[10.1158/2159-8290.CD-18-0877](https://doi.org/10.1158/2159-8290.CD-18-0877).
 3. Delahousse J et al. Circulating oncometabolite D-2-hydroxyglutarate enantiomer is a surrogate marker of isocitrate dehydrogenase-mutated intrahepatic cholangiocarcinomas. *Eur J Cancer.* 2018;90:83-91. doi:[10.1016/j.ejca.2017.11.024](https://doi.org/10.1016/j.ejca.2017.11.024).
 4. 资料来源: National Cancer Institute – seer.cancer.gov/statfacts/html/amy1.html.
 5. Lin J et al. IDH1 and IDH2 mutation analysis in Chinese patients with acute myeloid leukemia and myelodysplastic syndrome. *Ann Hematol.* 2012;91(4):519-525. doi:[10.1007/s00277-011-1352-7](https://doi.org/10.1007/s00277-011-1352-7).