

开拓药业宣布完成全球首个外用 PROTAC(GT20029)I 期临床试验

北京时间 2022 年 11 月 24 日，开拓药业（股票代码：9939.HK），一家专注于潜在同类首创和同类最佳创新药物研发及产业化的生物制药公司，公布其自主研发的新型靶向雄激素受体（AR）的蛋白降解嵌合体（PROTAC）化合物 GT20029 治疗雄激素性脱发（AGA）和痤疮的中国 I 期临床试验积极结果，显示其在健康受试者中具有良好的安全性、耐受性和药代动力学特征。GT20029 是全球首个完成 I 期临床试验的外用 PROTAC 化合物。

临床前研究显示，GT20029 通过降解 AR 蛋白，从而有效阻断 AR 信号通路激活导致的毛囊萎缩微型化作用，抑制毛发变细、变软和脱落，并且能够有效地抑制皮脂腺发育与皮脂分泌。GT20029 仅在局部产生疗效，通过限制皮肤渗透从而减少全身药物暴露，以获得更好的安全性。对二氢睾酮（DHT）诱导的小鼠模型药效学研究的重复结果表明，GT20029 可显著减少脱发，且有统计学差异。此外，对丙酸睾酮（TP）诱导的金黄地鼠皮脂腺斑痤疮模型药效学研究的结果表明，GT20029 可显著抑制皮脂腺斑的增大，且有统计学差异。

该项在中国开展的 I 期临床试验是一项随机、双盲、安慰剂对照研究，以评估 GT20029（凝胶和酊）外用局部给药的安全性和药代动力学等特征。本试验分别在健康受试者中进行 GT20029（凝胶和酊）的单、多剂外用给药。

该项 I 期临床数据显示，92 名受试者接受了至少一剂试验用药，其中 68 名受试者接受凝胶，24 名受试者接受酊剂。GT20029 作为外用药在健康受试者中安全性和耐受性良好，人体药物浓度暴露水平低。单次用药后，所有受试者均无体内药物暴露量，所有剂量组的所有样品血药浓度均低于定量下限（LLOQ，0.001ng/mL）。连续 14 天用药后，各剂量组最大血药浓度均值均在 0.05ng/mL 以下。试验期间发生的与研究药物相关的不良事件（TRAE）均为 1 级，没有发生 1 级以上的 TRAE。

开拓药业创始人、董事长兼首席执行官童友之博士表示：“作为全球首个完成临床 I 期的外用 PROTAC 化合物，GT20029 在近百名健康受试者的临床 I 期中表现出良好的安全性和耐受性。这项人体试验提供了二大关键性数据：1) 药代动力学结果证明 PROTAC 化合物的外用可以浸透进入体内，且体内暴露远低于福瑞他恩（小分子拮抗剂），预示外用时体内安全性可控；2) 重复高剂量（2%）给予外用 PROTAC 化合物没有观察到皮肤表面的损伤，证明特异性降解 AR 靶向蛋白的局部安全性，为未来临床 II 期中进行药物有效性观察奠定基础。基于该临床结果，公司将尽快确定临床 II 期的剂量，启动相应的临床试验，保持在全球范围内利用 PROTAC 技术发展外用创新药物的领先地位。”

关于 GT20029

GT20029 是开拓药业基于 PROTAC 技术开发的外用化合物。2021 年 4 月，中国国家药品监督管理局（NMPA）批准 GT20029 开展临床试验。2022 年 8 月，GT20029 中国 I 期临床试验完成受试者入组给药。2021 年 7 月，GT20029 获得美国食品药品监督管理局（FDA）的 I 期临床试验许可。2022 年 10 月，GT20029 美国 I 期临床试验完成受试者入组给药。

关于开拓药业

开拓药业成立于 2009 年，专注发展潜在“best-in-class”和“first-in-class”创新药物的研发及产业化，致力成为创新疗法研究、开发及商业化的领军企业。公司经过多年的发展，以雄激素受体 (AR) 相关疾病为核心，研发多通道产品组合，产品覆盖全球高发病率癌症及其它未满足临床需求的疾病领域，包括新冠肺炎、前列腺癌、乳腺癌、肝癌、脱发和痤疮等。开拓药业前瞻性布局了包含小分子创新药、生物创新药及联合疗法的多元化产品管线，包括 7 款正在开展临床研究的产品，如两款雄激素受体 (AR) 拮抗剂、ALK-1 单抗、AR-PROTAC 化合物、PD-L1/TGF β 双靶点抗体、mTOR 激酶靶向抑制剂和 Hedgehog 抑制剂，以及正在进行临床前研究的 ALK-1/VEGF 双抗和 c-Myc 抑制剂等。公司在全球拥有已获得及申请中的 110 多项专利，多个项目被列为国家十二五、十三五“重大新药创制”专项。2020 年 5 月 22 日，开拓药业正式在香港联合交易所有限公司主板挂牌上市，股票代码：9939.HK。欢迎访问公司网站：www.kintor.com.cn