

開拓藥業公佈全球首個外用 PROTAC (GT20029) 美國 I 期臨床試驗 積極頂線結果

北京時間 2023 年 2 月 10 日，開拓藥業（股票代碼：9939.HK），一家專注於潛在同類首創和同類最佳創新藥物研發及產業化的生物製藥公司，宣佈其自主研發的靶向雄激素受體 (AR) 的新型蛋白降解嵌合體 (PROTAC) 化合物 GT20029 在治療雄激素性脫髮和痤瘡的美國 I 期臨床試驗中取得積極頂線結果。數據顯示，GT20029 在健康受試者、雄激素性脫髮受試者和痤瘡受試者中均展示良好的安全性、耐受性和藥代動力學特徵。GT20029 基於公司自有 PROTAC 平台開發，是全球首個在中國和美國均完成 I 期臨床試驗的外用 PROTAC 化合物。

該項 I 期臨床試驗是一項在美國開展的隨機、雙盲、安慰劑對照、平行設計的劑量遞增研究，以評估 GT20029 在健康受試者中單劑給藥劑量遞增和在雄激素性脫髮或痤瘡受試者中多劑給藥劑量遞增後的安全性、耐受性和藥代動力學特徵。該項 I 期臨床數據顯示，在單劑給藥劑量遞增階段和多劑給藥劑量遞增階段，GT20029 在所有劑量組的安全性和耐受性均良好。在單劑給藥劑量遞增階段，未發生治療期間的不良事件。在多劑給藥劑量遞增階段，常見的不良事件均為輕度，包括在給藥部位出現乾燥、瘙癢、灼熱感、疼痛等。研究期間未發生嚴重不良事件，未發生大於等於三

級的治療期間的不良事件，未發生導致受試者終止試驗或死亡的治療期間的不良事件。

在單劑給藥劑量遞增階段，所有劑量組的受試者無系統暴露量，所有樣品濃度均低於定量下限 (LL0Q, 0.003ng/mL)。在多劑給藥劑量遞增階段，雄激素性脫髮和痤瘡受試者連續 14 天給藥後，系統暴露量有限，各劑量組平均峰濃度 (C_{max}) 均在定量下限附近波動，且最高不超過 0.015ng/mL。

臨床前研究顯示，GT20029 通過降解 AR 蛋白，能夠有效阻斷 AR 信號通路啟動導致的毛囊萎縮微型化作用，抑制毛髮變細、變軟和脫落，同時能夠有效抑制皮脂腺發育和皮脂分泌。GT20029 僅在局部產生療效，較少的皮膚滲透可以減少全身藥物暴露，從而獲得更好的安全性。對二氫睾酮 (DHT) 誘導的脫髮小鼠模型藥效學研究的重複結果表明，GT20029 可顯著促進毛髮生長，且有統計學差異。此外，對丙酸睾酮 (TP) 誘導的金黃地鼠皮脂腺斑痤瘡模型藥效學研究的結果表明，GT20029 可顯著抑制皮脂腺斑的增大，且有統計學差異。

開拓藥業創始人、董事長兼首席執行官童友之博士表示：

“GT20029 在 123 例受試者的美國 I 期臨床試驗中取得積極的頂線結果，對比 2022 年 11 月發佈的中國 I 期臨床試驗 92 例受試者

的數據，進一步驗證了 GT20029 多次外用給藥具有良好的安全性和耐受性。全球範圍內有 16 億人受脫髮困擾，7.2 億人受痤瘡困擾，未被滿足的臨床需求巨大。我們將儘快啟動 GT20029 的 III 期臨床試驗，以保持公司在 PROTAC 外用創新藥物開發方面的全球領先地位。與此同時，在產品開發策略上，福瑞他恩會成為公司在治療雄激素性脫髮和痤瘡患者的首推創新藥物，而 GT20029 所具有的潛在優勢會加強公司在該治療領域的全球創新和市場競爭地位。”

關於 GT20029

GT20029 是開拓藥業基於 PROTAC 技術開發的外用化合物。2021 年 4 月，中國國家藥品監督管理局 (NMPA) 批准 GT20029 開展臨床試驗。2022 年 8 月，中國 I 期臨床試驗完成受試者入組給藥。2022 年 11 月，中國 I 期臨床試驗積極頂線數據公佈。2021 年 7 月，GT20029 獲得美國食品藥品監督管理局 (FDA) 的 I 期臨床試驗許可。2022 年 10 月，美國 I 期臨床試驗完成受試者入組給藥。

關於開拓藥業

開拓藥業成立於 2009 年，專注發展潛在“best-in-class”和“first-in-class”創新藥物的研發及產業化，致力成為創新療法研究、開發及商業化的領軍企業。公司經過多年的

發展，以雄激素受體 (AR) 相關疾病為核心，研發多通道產品組合，產品覆蓋全球高發病率癌症及其它未滿足臨床需求的疾病領域，包括新冠、前列腺癌、脫髮、痤瘡、肝癌和乳腺癌等。開拓藥業前瞻性佈局了包含小分子創新藥、生物創新藥及聯合療法的多元化產品管線，包括 7 款正在開展臨床研究的產品，如兩款雄激素受體 (AR) 拮抗劑、AR-PROTAC 化合物、ALK-1 單抗、Hedgehog 抑制劑、mTOR 激酶靶向抑制劑和 PD-L1/TGF β 雙靶點抗體，以及正在進行臨床前研究的 ALK-1/VEGF 雙抗和 c-Myc 抑制劑等。公司在全球擁有已獲得及申請中的 110 多項專利，多個項目被列為國家十二五、十三五“重大新藥創制”專項。2020 年 5 月 22 日，開拓藥業正式在香港聯合交易所有限公司主板掛牌上市，股票代碼：9939.HK。歡迎訪問公司網站：www.kintor.com.cn