



索元生物授权 Aytu BioPharma 公司开发 DB102 用于治疗罕见遗传病

2021年4月14日，精准医疗领军企业索元生物与 Rumpus Therapeutics/Aytu Biopharma 签订了开发 DB102 (enzastaurin) 用于治疗血管性埃勒斯-当洛综合征 (vEDS) 等罕见遗传病的全球授权协议) Aytu BioPharma 将负责针对这一罕见病的临床开发及商业化，并在将支付索元生物 1 亿美元的里程碑及销售提成。

vEDS 是一种罕见的遗传性疾病，是埃勒斯-丹洛斯综合症的严重亚型。该病通常在儿童时期就被诊断出来，其特征是动脉瘤、解剖和破裂，肠破裂和妊娠子宫破裂。vDES 全球发病率约为 1/50,000 人，由 COL3A1 基因的致病变异导致，该基因编码 III 型胶原蛋白，而胶原蛋白是血管壁和中空器官的主要蛋白质。vEDS 患者中有 25% 的患者在 20 岁时出现首次并发症，而 80% 的患者在 40 岁时出现至少一次并发症。vEDS 是一种危及生命的疾病，vEDS 患者的平均寿命为 51 岁。目前 FDA 尚未批准任何 vEDS 疗法。

约翰·霍普金斯大学医学院遗传医学教授，霍华德·休斯医学院的研究员 Hal Dietz 博士经过多年的工作发现，发现包括 DB102 在内 PKC 抑制剂在临床前试验中显示了治疗 vEDS 的潜力。根据这一突破性发现，Rumpus Therapeutics 希望能验证 DB102 在 vEDS 病人中的疗效。随着 Rumpus 被上市公司 Aytu 的收购，合并后的公司有着足够的人力、财力启动治疗 vEDS 的临床试验。

索元生物首席商务官 Michael F. Haller 博士表示：“索元生物依托其独特的精准医疗平台收购临床晚期全球首创新药的模式，不仅可以在原有适应症上取得突破，同时也蕴藏了在其他适应症中潜在的用途和巨大价值。通过履行此协议，使得索元生物除了集中资源突破 DB102 致力于用于治疗初治高危弥漫性大 B 细胞淋巴瘤及脑胶质瘤的国际临床试验外，还可以通过合作的方式在其他病种对 DB102 的潜力进行更加及时的、充分的发掘和拓展。这项合作不仅将索元生物已有的产品管线扩展到新的适应症领域，同时也令索元生物在 DB102 临床首个适应症 ENGINE 研究数据公布之前就已经具有创造收入的能力，凸显了索元生物商业模式的多种优势。”

关于 DB102 (Enzastaurin)

DB102 是一款全球首创的小分子丝氨酸/苏氨酸激酶抑制剂，作用于 PKC β 、PI3K 和 AKT 等肿瘤领域的关键肿瘤靶点上，具有诱导肿瘤细胞死亡和阻碍肿瘤细胞增生的直接作用，以及抑制肿瘤诱导的血管生成的间接作用。DB102 原为礼来公司开发产品，用于一线治疗初治高危弥漫性大 B 细胞淋巴瘤 (DLBCL) 和脑胶质母细胞瘤 (GBM)。从礼来收购 DB102 后，索元生物利用其逆向全基因扫描平台技术对 DB102 的 III 期 PRELUDE 临床试验样本完成大规模的基因组学分析，发现一组全新的生物标记物 DGM1，DGM1 阳性患者在服用 DB102 后其生存期有着非常显著的改善。基于以上发现，索元生物已启动并开展 DB102 用于一线治疗 DLBCL 的国际多中心的临床 III 期试验 (ENGINE 研究)，ENGINE 研究已经完成全部患者入组。ENGAGE 研究已经取得美国药监局 (FDA) 快速审评通道，是索元生物在精准医疗指导下对 DB102 开展的第二个国际多中心 III 期脑胶质母细胞瘤临床试验。

关于索元生物

索元生物是一家新型的、以快速有效的模式开发一类新药的精准医疗领军企业。索元生物从国际大药厂引进经过临床后期试验证明其安全性且显示对部分患者有效的新药，利用其独创的生物标记物平台技术在残余的临床样本中找到可预测药物疗效的生物标记物。通过这些新发现的生物标记物作为伴随诊断来筛选患者，索元生物能够在敏感患者中重新开展临床试验，从而优化疗效、安全性和耐受性，提高新药开发的成功率，从而达到以较低的成本、较短的时间开发创新药的目的。索元生物目前拥有已开发至临床后期的七个产品 DB102、DB103、DB104、DB105、DB106、DB107 和 DB108，均为一类全球首创药物 (First in Class) 或一类新药。其中 DB102 原为美国礼来公司开发产品，用于治疗 DLBCL 和 GBM。DB103 (Pomaglumetad) 原为美国礼来公司开发产品，用于治疗精神分裂症。DB104 (Liafensine) 原为 ARMI/BMS 开发产品，用于治疗抑郁症。DB105 原为芬兰奥立安集团开发产品，用于治疗阿尔茨海默症。DB106 (Vosaroxin) 原为美国 Sunesis 制药公司开发产品，用于治疗急性髓系白血病。DB107 原为美国 Tocagen 公司开发产品，用于治疗复发性高级别神经胶质瘤。DB108 原为中国吴中医药开发产品，用于治疗非小细胞肺癌 (NSCLC)。

更多信息请您访问网站：www.denovobiopharma.com