



再鼎医药合作伙伴argenx宣布在《柳叶刀·神经病学》上发表efgartigimod治疗重症肌无力3期研究结果

2021年 6月 16日

- ADAPT研究结果显示，efgartigimod治疗可以为全身型重症肌无力患者带来具有临床意义的力量和生活质量指标的改善。

- Efgartigimod的上市申请正处于美国食品药品监督管理局（FDA）审查中，处方药使用者费用法案（PDUFA）的药证审评目标行动日期为2021年12月17日。

荷兰布雷达，2021年6月16日 — 再鼎医药合作伙伴argenx（Euronext & Nasdaq：ARGX）宣布，《柳叶刀·神经病学》（The Lancet Neurology）已正式发表了FcRn拮抗剂efgartigimod用于治疗成人全身型重症肌无力（gMG）的关键性3期ADAPT研究的结果。Efgartigimod用于治疗gMG的上市申请目前正在接受美国食品药品监督管理局（FDA）的审查，处方药使用者费用法案（PDUFA）的药证审评目标行动日期为2021年12月17日。一旦获批，efgartigimod将是全球首个且唯一获批的FcRn拮抗剂。

ADAPT研究的主要研究者、北卡罗来纳大学教堂山分校医学院神经病学教授James F. Howard Jr博士表示：“重症肌无力（MG）会对患者的生活和自主性产生毁灭性的影响，可能会影响吞咽、说话、行走甚至呼吸的能力。此外，每个患者经历的MG病程都不同，这会使疾病管理难以预测。在ADAPT研究中，我们观察到大多数接受efgartigimod治疗的患者，在给药的2周就出现了具有临床意义的改善。这些结果对MG患者群体具有重要意义。希望efgartigimod能够为患有这种慢性自身免疫性疾病的患者提供一种同类首创的个体化靶向疗法。”

ADAPT研究达到了其主要研究终点，结果显示：在乙酰胆碱受体抗体阳性（AChR Ab+）的gMG患者中，根据重症肌无力日常生活活动（MG-ADL）评分，与安慰剂组相比，efgartigimod治疗组有更高比例的患者为应答者（67.7% vs 29.7%； $p < 0.0001$ ）。应答者被定义为在MG-ADL评分上至少有2分的改善，且连续4周或更长时间。此外，efgartigimod治疗组有40%的患者实现了微小状态表达（定义为MG-ADL评分为0[无症状]或1），而安慰剂组实现这一目标的患者比例仅为11.1%。在AChR-Ab+应答者中，84.1%的患者在治疗的头2周内MG-ADL评分有临床意义的改善。该研究中，efgartigimod的安全性及与安慰剂相当。

完成ADAPT研究后，90%的入组患者进入ADAPT plus研究，这是一项持续3年的开放标签扩展研究，旨在评估efgartigimod的长期安全性和耐受性。在ADAPT和ADAPT plus中，至少有118例患者接受了12个月或更长时间的efgartigimod治疗。

Argenx首席医学官Wim Parys博士表示：“ADAPT研究结果的发表让我们和临床医生都感到非常兴奋。我们希望为gMG患者带来一种全新的治疗选择。gMG是一种慢性、使人衰弱并可能危及生命的疾病，疾病的症状和当前治疗方式带来的副作用都会对一个人的生活造成重大损害。目前，efgartigimod用于治疗gMG的上市申请正在接受FDA的审查。一旦获批，我们期待尽快将这一疗法带给亟需创新治疗方案的重症肌无力患者。”

今年1月6日，再鼎医药与argenx达成独家授权合作，获得efgartigimod在大中华区（包括中国内地、香港、台湾和澳门地区）的开发和商业化权利。再鼎医药将负责efgartigimod多个适应症在中国的全球注册临床研究开发工作。此外，再鼎医药也将在大中华区负责启动多个新适应症的2期验证性研究，以在全球范围内加速开发efgartigimod的更多自身免疫类适应症。

关于3期临床研究ADAPT

3期临床研究ADAPT是一项随机、双盲、安慰剂对照的全球性、多中心临床研究，旨在评估efgartigimod在全身型重症肌无力（gMG）患者中的安全性和疗效。北美、欧洲和日本共有167名成人gMG患者入组该研究并接受了治疗。无论抗体状态如何，患者均有资格入组ADAPT研究，包括AChR抗体阳性（AChR-Ab+）患者和未检测到AChR抗体的患者。患者以1:1的比例随机分配接受efgartigimod或安慰剂，共治疗26周。ADAPT研究旨在实现个体化治疗方式，包括初始治疗周期和可变数量的后续治疗周期。该研究主要终点是重症肌无力活动评分（MG-ADL）达到缓解（连续4周或以上至少改善2分）的AChR-Ab+患者数量。

关于Efgartigimod

Efgartigimod是一款在研的抗体片段，旨在减少致病性免疫球蛋白G（IgG）抗体并阻断IgG循环。Efgartigimod可与FcRn结合，FcRn在全身中都有广泛表达，在阻止IgG抗体的降解过程中起着核心作用。阻断FcRn可降低IgG抗体表达水平，可治疗已知由致病IgG抗体驱动导致的自身免疫性疾病，包括：重症肌无力（MG），一种导致肌肉无力的慢性病；寻常性天疱疮（PV），一种以皮肤严重起疱为特征的慢性皮肤疾病；免疫性血小板减少症（ITP），一种表现为瘀斑和出血的慢性疾病；慢性炎症性脱髓鞘性多发性神经病（CIDP），一种神经系统受损导致运动障碍的疾病。

关于重症肌无力

重症肌无力（MG）是一种罕见的慢性自身免疫性疾病，常常会导致人体衰弱和可能危及生命的肌无力。超过85%的MG患者在发病18个月内进展为全身型重症肌无力（gMG），可能影响全身肌肉，进而导致极度疲劳和面部表情、言语、吞咽和活动困难。

在更危及生命的情况下，MG能够影响控制呼吸的肌肉。美国约有6.5万名重症肌无力患者，在日本约有2万人患有重症肌无力。

关于argenx

argenx是一家全球性的免疫学公司，致力于改善严重自身免疫性疾病患者或癌症患者的生活质量。argenx通过其免疫学创新计划（IIP）与领先的学术研究人员合作，将免疫学领域的学术突破转化为世界一流的新型抗体药物。argenx正在评估efgartigimod治疗多种严重自身免疫性疾病的疗效，并与杨森合作评估cusatuzumab治疗血液肿瘤的疗效。argenx还在推进数个处于早期研究阶段的药物。argenx在美国、比利时、日本设有办事处。有关公司的更多信息，请访问并关注公司领英账号<https://www.linkedin.com/company/argenx/>。

关于再鼎医药

再鼎医药（纳斯达克代码：ZLAB；香港联交所代码：9688）是一家处于商业化阶段的创新型生物制药公司，致力于为中国及全球的肿瘤、自身免疫性及感染性疾病患者提供创新药物。我们致力于满足快速增长的医药市场所带来的巨大未满足的医疗需求。为达到这一目标，公司经验丰富的团队已与全球领先的生物制药公司建立了战略合作，打造起由创新药物组成的广泛产品管线。再鼎医药已建立起具有强大药物研发和转化研究能力的内部团队，并将打造拥有国际知识产权的候选药物管线。我们的远景是成为一家全面整合的创新生物制药公司，研发、生产并销售创新产品，为促进全世界人类的健康福祉而努力。

有关公司的更多信息，请访问www.zailaborary.com或关注公司领英账号：<https://www.linkedin.com/company/zai-lab/>及微信公众号：再鼎医药。