

AOP 孤兒藥公司在「美國血液學會 (ASH) 2020 年會」宣布了 BESREMI® (Ropeginterferon alfa-2b) 治療紅血球過多症的五年研究結果

與目前最佳的療法 (主要為羥基尿素) 相比, 本隨機分配、對照、長期治療分析結果顯示, Ropeginterferon alfa-2b 在療效和安全性/耐受性方面具有明顯優勢。

- Ropeginterferon alfa-2b 治療組中, 靜脈放血時血球容積比低於 45% 的患者占 81.8%, 而對照組僅為 63.2% ($p = 0.01$)。
- Ropeginterferon alfa-2b 治療組患者的 JAK2 等位基因突變負荷從 37.3% 的基線值降至 7.3%, 顯示病情有所改善; 對照組的 JAK2 等位基因突變負荷則從 38.1% 增至 42.6% ($p < 0.0001$)。
- 接受 Ropeginterferon alfa-2b 治療的患者, 病情惡化比例降至 0.2% 每人-年 (有 1 例轉為骨髓纖維化), 對照組的惡化比例為 1.0% 每人-年 (有 2 例轉為急性白血病, 2 例轉為骨髓纖維化)。
- 一般而言, Ropeginterferon alfa-2b 治療的安全性和耐受性良好, 第 5 年治療期間並未出現任何新發生的安全性訊號 (危險)。整整 5 年的治療期內, Ropeginterferon alfa-2b 治療組僅有 4 名患者相當罕見地發生重大血栓栓塞事件, 對照組則有 5 名患者發生重大血栓栓塞事件。
- BESREMI® 是第一個核准上市可治療骨髓增生性腫瘤的干擾素。歐洲已核准該藥物作為無症狀性脾腫大真性紅血球過多症 (PV) 成人患者的第一線單一藥物治療。奧地利 AOP 孤兒藥公司將持續探討 Ropeginterferon alfa-2b 對骨髓增生性腫瘤 (包括 ET、MF 和 CML) 的療效。

2020 年 12 月 6 日, 維也納 (Vienna) : AOP 孤兒藥公司 (簡稱 AOP 孤兒藥) 在「ASH 2020 年會」上, 由奧地利維也納醫學大學的 Heinz Gisslinger 教授宣布 Ropeginterferon alfa-2b 在 CONTINUATION-PV 試驗中, 對真性紅血球過多症 (PV) 的最新追蹤結果。

CONTINUATION-PV 是一項開放標記、多中心、第 IIIb 期試驗, 旨在評估 Ropeginterferon alfa-2b 對曾參加 PROUD-PV 試驗 PV 患者的長期療效和安全性, 對照藥物為羥基尿素 (HU) 或目前最佳的治療藥物 (BAT)。

BESREMI® 已在 31 個歐洲國家核准上市

Ropeginterferon alfa-2b 是一種新型、長效、單聚乙二醇脯氨酸干擾素 (ATC L03AB15)。起始劑量為每兩週一次, 或待血液參數穩定後每月一次。根據 AOP 臨床試驗資料, 歐洲委員會 (EC)

已核准 BESREMI® (Ropeginterferon alfa-2b) 上市銷售，作為無脾腫大真性紅血球過多症 (PV) 成人患者的第一線單一治療藥物。目前，BESREMI®已核准在歐洲藥品管理局 (EMA) 及瑞士和列支敦士登管轄範圍內的 31 個歐洲國家中使用。

法國聖路易斯醫院和巴黎大學 (Saint-Louis Hospital & Université de Paris in France) 的 **Jean-Jacques Kiladjian 教授**表示：「對 PV 患者而言，*Ropeginterferon alfa-2b* 是有效且安全的新一線治療藥物。明顯的 JAK2 分子反應，代表 *Ropeginterferon alfa-2b* 可有效改善病情，我們希望該藥物可減緩疾病惡化，改善無惡化存活期，為患者帶來長期效益」。

更新後的 5 年治療結果證實本藥物具有正面效益

曾報導過的 Ropeginterferon alfa-2b 正面效益在目前更新的 5 年治療結果獲得證實：進行分析時，Ropeginterferon alfa-2b 治療組有 70 位患者仍留在試驗中，對照組則有 57 位。各治療組的停藥率幾乎相同 (在整個 CONTINUATION-PV 試驗期間，Ropeginterferon alfa-2b 治療組為 26.3%，對照組為 25.0%)。Ropeginterferon alfa-2b 治療組患者的血液參數反應率更高、持續性更長：就重大相關參數「靜脈放血時血球容積比低於 45%」而言，Ropeginterferon alfa-2b 治療組的達標率為 81.8%，對照組僅為 63.2% ($p = 0.01$)。

更引人矚目的是，Ropeginterferon alfa-2b 治療組患者的 JAK2 等位基因突變負荷 (一般認為該基因為 PV 的致癌基因) 自 37.3% 的基線值降至 7.3%，對照組則自 38.1% 升至 42.6%。 ($p < 0.0001$)。

與觀察到的病情改善參數一致 (JAK2 等位基因突變負荷降低)，Ropeginterferon alfa-2b 治療組的自然病情惡化比例降至 0.2% 每人-年 (有 1 例轉為骨髓纖維化)，對照組則為 1.0% 每人-年 (有 2 例轉為急性白血病，2 例轉為骨髓纖維化)。

一般而言，Ropeginterferon alfa-2b 的安全性和耐受性良好，且第 5 年治療期間並未出現任何新發生的安全性訊號 (危險)。整整 5 年的治療期內，治療組 (Ropeginterferon alfa-2b) 僅有 4 名患者相當罕見地發生重大血栓栓塞事件，而對照組 (BAT) 則有 5 名患者發生重大血栓栓塞事件。皮膚毒性特殊評估結果顯示，僅有對照組通報出現皮膚癌 (3.2% 的患者) 和皮膚潰瘍 (5.5% 的患者)。

關於 BESREMI®

BESREMi®是一種新型、長效、單聚乙二醇脯氨酸干擾素 (ATC L03AB15)，獨特的藥物動力學特性使患者對該藥物的耐受性較佳。BESREMi®設計為可透過筆式注射器進行皮下注射，患者可自行注射且操作方式相當簡便；用藥頻率為每兩週一次，或待血液參數穩定後每月一次。整體而言，預期與傳統的聚乙二醇干擾素相比，BESREMi®的安全性、耐受性和用藥遵從性均較佳。

有關 EMA 產品特性摘要 (仿單)，請造訪：**BESREMi®**

連結：<https://www.ema.europa.eu/zh-CN/documents/product-information/besremi-epar-product-information-en.pdf>

Ropeginterferon alfa-2b 是由 AOP 孤兒藥公司的長期合作夥伴 PharmaEssentia 研發。2009 年，AOP 孤兒藥獲得獨家授權，可於歐洲、獨立國家國協 (CIS) 和中東市場銷售 Ropeginterferon alfa-2b，用於治療 PV 和其他 MPN，並進行臨床研發。

關於真性紅血球過多症

真性紅血球過多症 (PV) 是一種罕見的骨髓造血幹細胞癌，會導致紅血球、白血球和血小板慢性增加。該疾病會提高諸如血栓形成和栓塞等循環系統疾病的風險，症狀包括生活品質下降，長期下來，病情會惡化為骨髓纖維化，或轉為白血病。儘管 PV 的分子機制仍有待深入探討，目前的研究結果顯示，骨髓造血幹細胞發生一系列的後天突變為致病主因，其中最重要的是 JAK2 細胞株的惡性突變。

PV 的重要治療目標包括達到健康的血球細胞計數 (血球容積比低於 45%)、改善生活品質並減緩或延遲疾病惡化。

奧地利 AOP 孤兒藥公司是一間註冊辦事處位於維也納的國際製藥公司，專門關注需要複雜處置的特殊疾病。過去 25 年間，該公司自維也納的總部成長為知名的全方位醫療解決方案提供者。此轉型發展一方面來自持續對研發投注大量心力，另一方面來自本公司始終務實地對待所有關係者——尤其是患者及其家人，以及醫師和專業醫護人員。2020 年第三季，AOP 孤兒藥接管了兩間歐洲醫療保健公司——Amomed 和 SciPharm，作為泛歐醫療保健集團，會繼續秉持一貫的發展方針，專門關注需要複雜處置的特殊疾病。

聯繫方式

AOP Orphan Pharmaceuticals AG (AOP 孤兒藥公司)

Wilhelminenstrasse 91/IIlf, 1160 Vienna, Austria (奧地利)



Christoph Klade 博士 · 首席科學官
christoph.klade@aoporphan.com

Nina Roth 女士 · 行動應用系統 (MAS) · 企業傳播經理
nina.roth@aoporphan.com