

吉利德在研抗 CD47 单克隆抗体 magrolimab 获 FDA 突破性疗法认定，用于治疗骨髓增生异常综合征

*-正在进行的临床项目包括了针对骨髓增生异常综合征的三期临床研究 ENHANCE-*

*-更多研究正在评估 Magrolimab 用于治疗血液肿瘤和实体瘤-*

美国加利福尼亚州福斯特城——2020 年 9 月 15 日，吉利德科学宣布美国食品药品监督管理局（FDA）授予同类首创的在研抗 CD47 单克隆抗体 magrolimab 突破性疗法认定（Breakthrough Therapy designation），用于治疗新确诊的骨髓增生异常综合征。

骨髓增生异常综合征是一种由骨髓中形成不良或功能失调的血细胞引起的癌症，在美国每年大约有 15,000 名患者确诊。FDA 已有 14 年没有批准新的治疗方法了。低风险骨髓增生异常综合征患者的平均生存期为 6 年，高风险骨髓增生异常综合征患者的平均生存期约为 18 个月。突破性疗法认定可加速开发及审评针对严重或威胁生命的疾病的在研疗法，前提是，相比现有疗法，在研究法的初步临床证据需显示其有潜力显著提升临床效果。

FDA 授予 magrolimab 突破性疗法认定是基于正在进行的一项 1b 期研究的积极结果，该研究评估了 magrolimab 与阿扎胞苷联用治疗初治中风险、高风险和极高风险骨髓增生异常综合征。在 2020 年欧洲血液学协会大会上发布的数据显示，在 33 名可评估疗效的患者中，magrolimab 和阿扎胞苷的组合疗法达到 91% 的客观应答，42% 的患者达到了完全缓解(CR)。magrolimab 和阿扎胞苷的组合疗法大体耐受良好。研究中没有使用到最大耐受剂量，也没有骨髓增生异常综合征患者因为治疗相关的不良反应而停止治疗。

吉利德科学首席医疗官 Merdad Parsey 博士表示：“FDA 的突破性疗法认定是对 magrolimab 潜力的认可，说明其有可能帮助应对骨髓增生异常综合征患者重大未被满足的医疗需求，同时也体现了吉利德在免疫肿瘤领域推动治疗革新发展的潜力。”

Magrolimab 目前正在进行随机双盲、安慰剂对照的 3 期临床试验 ENHANCE。该试验将以完全缓解率和完全缓解持续期来评估 magrolimab 与阿扎胞苷联用，治疗初治更高风险骨髓增生异常综合征患者的安全性和有效性。

Magrolimab 是在研药物，尚未在全球任何国家获批，其安全性和有效性尚未明确。

## 关于 Magrolimab

Magrolimab 是同类首创的在研抗 CD47 单克隆抗体和巨噬细胞检查点抑制剂，旨在干扰巨噬细胞上的 SIRP $\alpha$  受体对 CD47 的识别，从而扰乱癌症细胞逃避被巨噬细胞吞噬的“别吃我”信号。Magrolimab 正在被开发用于数种血液学和实体瘤恶性肿瘤，其中包括了骨髓增生异常综合征。美国 FDA 已经授予 magrolimab 快速通道资格，用于治疗骨髓增生异常综合征、急性髓系白血病（AML）、弥漫大 B 细胞淋巴瘤(DLBCL)和滤泡性淋巴瘤。此外，Magrolimab 被 FDA 授予孤儿药资格，用于治疗骨髓增生异常综合征、急性髓系白血病；被欧洲药品管理局授予孤儿药资格，用于治疗急性髓系白血病。

更多有关 magrolimab 临床试验的信息，请登录 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) 查看。