

SMART-ACT[®] 药物发现平台：孤儿病的筛选

7000+ 孤儿疾病

患者人群定义:

- 美国: <200,000 患者
- 欧盟: 10,000 人群中<5个
- 日本: <50,000 患者
- 中国: 指定的121种罕见病清单

疾病的筛选标准

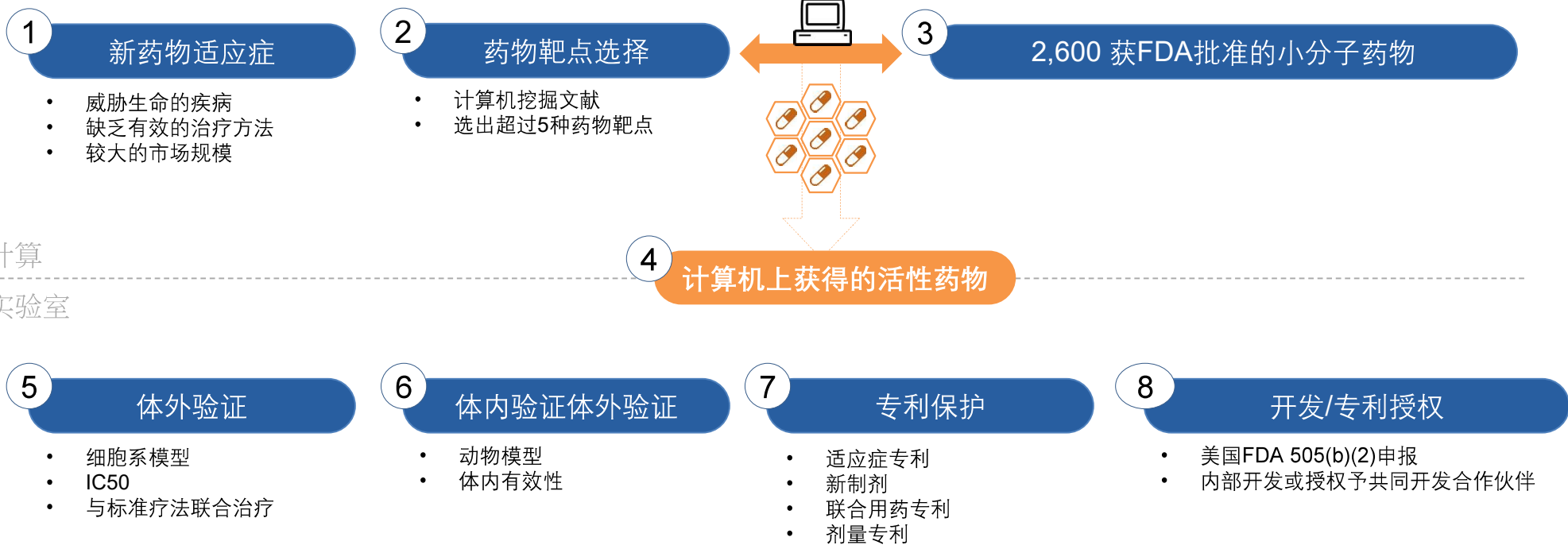
高优先级



威胁生命的疾病
迫切及满足需求的需求
知识产权保护
市场规模
竞争格局
临床试验设计
儿科疾病
按地区
目标选择
对疾病的识知

SMART-ACT[®]
高优先级
孤儿疾病

SMART-ACT[®] : 管道工作流程



先导项目#2 — SACT-1 (神经母细胞瘤) : 市场概览

SACT-1 针对神经母细胞瘤, 一种源自神经细胞的癌症

市场规模



患病率

- 在美国, 每年约有700个儿童神经母细胞瘤(NB)病例³, 我们估计欧盟的病例是这些病例的1.5倍, 每年有1050名高危NB患者
- 占儿童所有癌症相关死亡病例的15%⁴

孤儿药认定⁵

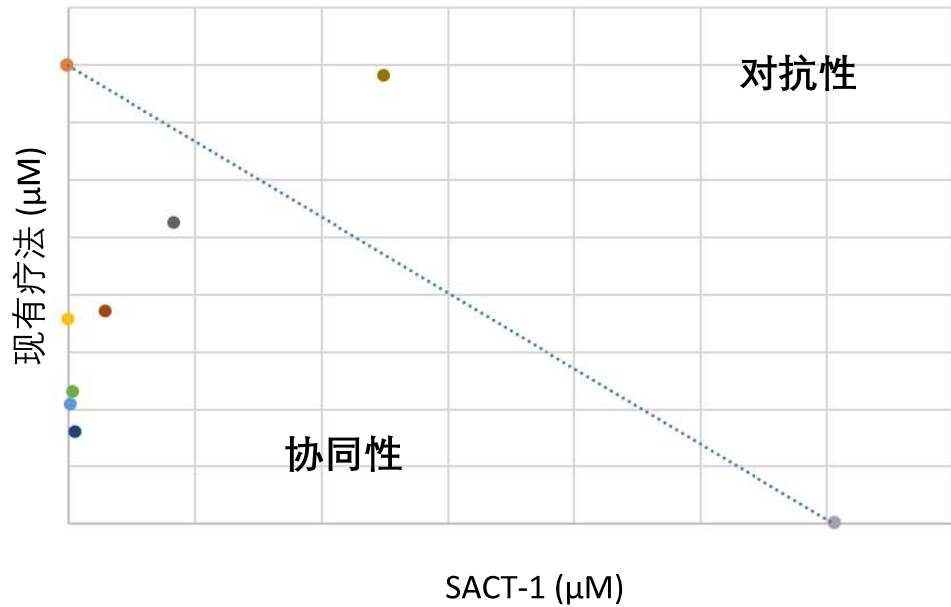
- 神经母细胞瘤是一种罕见的疾病, 药物可被FDA认定为孤儿药
- 指定的孤儿药在美国获得7年的市场独占权, 在欧盟获得10年的市场独占权
- 重新授权的专利(如果授予)将从申请之日起提供长达20年的专利专有权, 与7年市场专有权并行

1. *Pediatr Rev.* 2018 Feb;39(2):57-67; 2. "Neuroblastoma Market Global Industry Perspective, Comprehensive Analysis, Size, Share, Growth, Trends, and Forecast 2019 – 2023"(2019). MRFR Research. 3. *Curr Oncol Rep.* 2009 Nov;11(6):431-8 4. *Paediatr Drugs.* 2011 Aug 1;13(4):245-55 5. <https://www.fda.gov/about-fda/office-special-medical-programs/office-orphan-products-development>

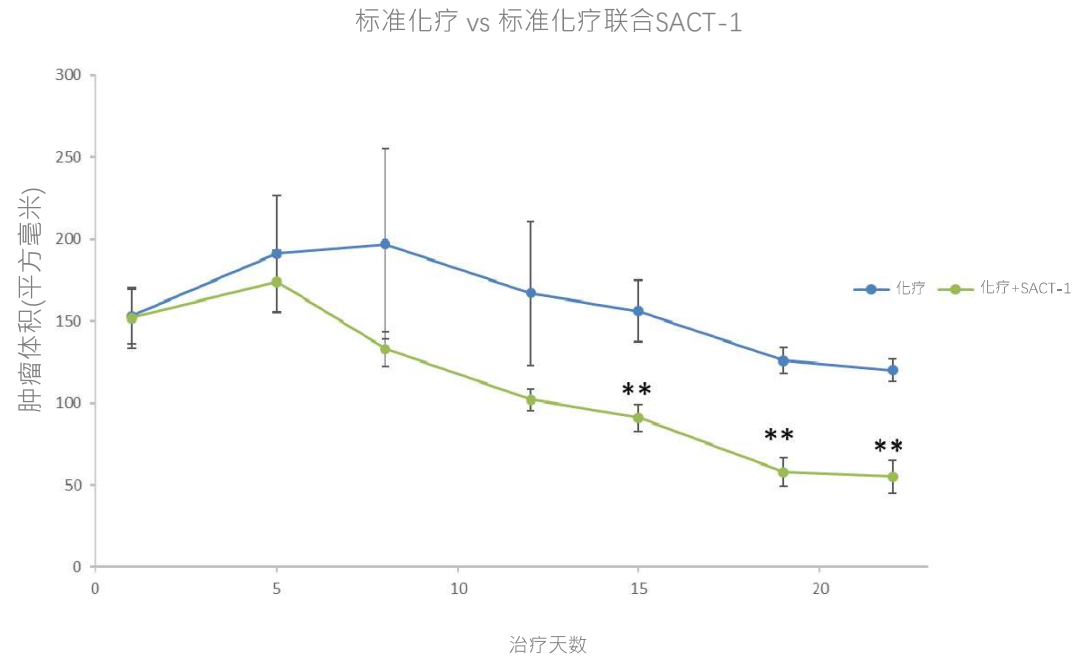
基于知临的内部测试/试验, 尚未通过临床试验或第三方测试验证。适用于此幻灯片上的所有内容。

SACT-1：体内研究及与化疗的协同效应

通过等效线图测定，
SACT-1 与神经母细胞瘤现有疗法有协同效应。



异种移植小鼠模型显示，当标准化疗联合SACT-1
后，肿瘤体积显著下降。



**未配对Student's T检验 · $p < 0.01$ · $n = 8$ (基于试验前22天的观察数据。于试验的第1至15日给予标准化疗，第1至21日给予SACT-1。)

基于知临的内部（体外/体内）测试/实验，尚未通过临床试验或第三方测试验证。适用于此幻灯片上的所有内容。

SACT-1 : 摘要

- SACT-1是从SMART-ACT®平台发现的再利用小分子药物。SMART-ACT®平台有助快捷、经济地开发安全的药物
- 用于治疗神经母细胞瘤，一种主要出现在5岁以下儿童的罕见病
- SACT-1在研究显示：
 - 在体外测试中能提高DNA损伤和肿瘤细胞死亡
 - 联合标准化疗使用时能缩小体内模型的神经母细胞瘤
 - 其他癌症（如结肠直肠癌和三阴性乳腺癌）的体外测试中有类似的抗肿瘤效果
- 在2021年2月完成与美国FDA的新药临床试验申报前会议，将于2021年下半年开始临床试验，最终依505(b)(2)途径提交新药申请