

## Cerecin 宣布 *Tricaprilin* 已成功获得美国 FDA 批准，成为治疗婴儿痉挛指定孤儿药

新加坡和科罗拉多州丹佛，2020 年 10 月 29 日讯 - 专注于发现和开发大脑疗法的生物制药公司 Cerecin 今日宣布，美国食品药品监督管理局 (FDA) 已经批准正在开发的研究药物 *tricaprilin* 作为指定孤儿药 (ODD) 用于治疗婴儿痉挛（又称 West 综合征），这是一种罕见的小儿癫痫。

FDA 批准将孤儿药资格授予用于美国获取医疗服务不足的患者人群，或不到 20 万罹患罕见疾病患者人群的产品。成为 FDA 批准指定用药后，药品开发商即对该 ODD 拥有七年市场独占权，称为“孤儿药市场独占权” (ODE)。公司还可以获得 FDA 用户费减免，以及合格临床试验费用税收抵免。

早在 10 月份，Cerecin 还获得 *tricaprilin* 作为罕见小儿疾病指定用药资格认证，用于治疗婴儿痉挛。

Cerecin 公司总裁兼首席执行官 Charles Stacey 博士指出：“在获得罕见小儿疾病指定用药资格认证后，又获批成为孤儿药，突显了 *tricaprilin* 的治疗潜力，它能够解决患有这种毁灭性疾病的儿童未满足的需求。这是 Cerecin 和婴儿痉挛研究界取得的另一个重要里程碑。”

*Tricaprilin* 是一种中链甘油三酯实验性口服药物，旨在诱导酮症和改善线粒体代谢。Cerecin 最近进行了非临床研究，以检验 *tricaprilin* 在婴儿痉挛动物模型中的作用。研究结果是积极的，证明了 *tricaprilin* 能够使酮水平高于对照水平，并减少痉挛次数。

Cerecin 计划在 2021 年提交新药研究申请之前先与 FDA 沟通交流，以促进 *tricaprilin* 治疗婴儿痉挛的临床研究。

### 关于指定孤儿药 (ODD) 资格认证

根据《孤儿药法案》，制药公司可以向 FDA 提交 ODD 申请。如果一种药物根据《新药申请》(NDA) 要求获得 FDA 批准，取得 ODD 资格认证将授予公司市场独占权，并且 FDA 在 7 年内不能批准针对同一孤儿型疾病的其他药物申请。ODD 还能带来特定开发权和其他权益，有助于收回研究和药物开发成本。FDA 还可以提供协议援助、注册费折扣，并对合格的临床试验费用进行税收抵免。

### 关于 Cerecin

Cerecin 是一家专注于发现和开发脑部疾病治疗药物的生物制药公司。Cerecin 开发项目利用其在脂质科学方面的丰富经验来探索生酮化合物的潜在治疗优势。Cerecin 由一个在中枢神经系统药物开发方面拥有强大全球专业知识的专家执行管理团队领导，并得到了全球最大的食品和保健品公司雀巢 (Nestlé) 和全球领先的脂肪酸和脂类制造商和贸易商之一丰益 (Wilmar) 这两个合作伙伴的支持。Cerecin 将其领导团队深厚的行业专业知识和高度差异化的药物开发项目结合在一起，正在努力成为神经治疗学领域的全球领导者。

## 关于 tricaprilin (CER-0001)

Tricaprilin（又称“CER-0001”）是一种特殊的中链甘油三酯，Cerecin 正开发将其应用于一系列神经系统适应症，包括阿尔茨海默病、偏头痛和婴儿痉挛。Tricaprilin 是一种生酮化合物，可以提高血浆酮水平，从而发挥酮体活性，带来治疗优势。

## 关于婴儿痉挛

婴儿痉挛 (IS) 是一种特殊的疾病，其特征包括癫痫性痉挛、被称为高度节律失调的脑电波异常，以及发育迟缓。它是一种独特的罕见疾病，在全球范围内发病率高达每 1 万例活产 6.7 例。癫痫性痉挛发作通常发生在出生后一年内，高峰发病年龄为 3 至 5 个月。90% IS 受累儿童不满 1 岁，发病高峰为 3 至 7 个月。通常采用激素药物（如 ACTH、强的松、泼尼松龙）和抗惊厥药氨己烯酸治疗婴儿痉挛。这两种干预措施都存在监测负担，并且明显存在严重不良事件风险。在这种情况下，生酮饮食也采用了数十年。Lyons 等人最近对癫痫婴儿使用生酮饮食进行的系统回顾和荟萃分析 (Epilepsia. 2020;61:1261 - 1281) 发现，约 60% 的婴儿癫痫发作降低了  $\geq 50\%$ ，33% 的婴儿癫痫发作消除。这些来自生酮饮食的人类数据支持 *tricaprilin* 治疗婴儿痉挛研究。

了解更多信息，请联系：

**Thomas Harding/Khushboo Tanna**

[cerecin@spurwingcomms.com](mailto:cerecin@spurwingcomms.com)

© 2020 Cerecin AC-20-894 10/20

根据适用的证券法，本新闻稿包含基于 Cerecin 当前预期和信念的“前瞻性陈述”。除历史事实陈述外，所有陈述均可视为前瞻性陈述，包括但不限于：(i) 公司的预计财务业绩；(ii) 公司业务、项目、药物开发计划和合资企业的预期发展；(iii) 公司愿景和增长战略的执行情况，包括与未来增长有关的情况；以及 (vi) 与公司目前正在进行、正在开发或正在考虑的项目有关的新发展。这些陈述不是对未来业绩的保证，不应过分依赖。这种前瞻性陈述必然涉及已知和未知的风险，具有不确定性，这可能导致未来的实际业绩和财务结果与对未来业绩的预测或这种前瞻性陈述可能表达或暗示的任何结果有实质性差异。

尽管本新闻稿中包含的前瞻性陈述是基于 Cerecin 管理层认为合理的假设，但不能保证或担保前瞻性陈述将被证明是准确的，因为实际结果和未来事件可能与陈述中的预期有实质性差异。如果情况或管理层的预估或意见发生变化，Cerecin 不负责更新前瞻性陈述，除非适用的证券法要求。请读者注意不要过分依赖前瞻性陈述。