

在 FRONTIER 2 试验中，相较于按需治疗和既往预防治疗，每周一次和每月一次的 Mim8 在减少血友病 A 患者接受治疗的出血次数方面展示出优效性

丹麦 Bagsværd, 2024 年 5 月 13 日——诺和诺德今天公布了来自 FRONTIER 2 试验的主要结果；此项试验是为期 26 周、开放标签、随机、对照、多组别的关键性 3a 期试验，共纳入 254 名患者。在 12 岁及以上伴/不伴抑制物的血友病 A 患者中，此项试验对每周一次和每月一次皮下注射 Mim8 与未预防治疗和既往凝血因子预防治疗进行了有效性和安全性的比较。

试验达成其共同主要终点：相较于未预防治疗和既往凝血因子预防治疗，每周一次和每月一次的 Mim8 均展示出具有统计学意义且优效的接受治疗的出血次数的减少。

在未预防治疗的患者中，每周一次和每月一次的 Mim8，相较于未接受预防治疗，在减少接受治疗的出血次数方面展示出优效性，分别使接受治疗的出血次数降低 97%和 99%。此外，在接受每周一次和每月一次 Mim8 治疗的患者中，分别有 86%和 95%未发生接受治疗的出血，在未接受预防治疗的患者中这一比例为 0%。

针对既往凝血因子预防治疗的患者进行的患者间分析显示，每周一次和每月一次的 Mim8，相较于既往凝血因子预防治疗（导入期为起始 Mim8 治疗前的 26-52 周），在减少接受治疗的出血次数方面展示出优效性，分别使接受治疗的出血次数降低 48%和 43%。此外，在接受每周一次和每月一次 Mim8 治疗的患者中，分别有 66%和 65%未发生接受治疗的出血。

在试验中，Mim8 展示出了安全且耐受性良好的特性，与此前各项试验一致。试验中未报告死亡或血栓栓塞事件。

“我们对来自 FRONTIER 2 临床试验的阳性结果感到非常高兴。这些数据表明，Mim8 能够在血友病 A 患者中有效且安全地预防出血事件，无论给药频率如何。”诺和诺德全球开发执行副总裁 Martin Holst Lange 表示，“考虑到血友病 A 患者的不同需求，每周一次或每月一次的便捷给药可以为伴/不伴抑制物的血友病 A 患者提供更多选择和更大的灵活性。”

基于和监管机构的互动，诺和诺德计划在 2024 年底前递交 Mim8 首个上市申请。此外，来自 3 期临床试验 FRONTIER 项目的数据，包括 FRONTIER 2 的结果将于 2024 年和 2025 年在陆续举行的各项会议和陆续出版的各个期刊上公布。

关于血友病

血友病是一种罕见的遗传性出血性疾病，患者体内生成凝血块的能力受损，而生成凝血块是止血的必要过程。据估计，全球共有 1,125,000 名血友病患者，估计血友病 A 患者约占所有血友病患者的 80-85%。由于血友病是 x 染色体相关隐性遗传疾病，其在男性和女性中的表现常常不同，全球约 88% 的被诊断的血友病患者为男性。血友病有不同的分型，其类型取决于患者体内缺乏或缺失的凝血因子类型。血友病 A 由凝血因子 VIII (FVIII) 缺失或缺乏所导致。部分血友病患者可能会出现抑制物，抑制物是人体免疫系统对替代治疗中所使用的凝血因子产生的免疫反应，可导致治疗失效。目前，据估计有至高 30% 的血友病 A 患者产生抑制物。

关于 Mim8

Mim8 是下一代 FVIIIa 模拟物双特异性抗体，通过每周一次或每月一次的预防性治疗，可为伴/不伴抑制物的血友病 A 患者实现持续的止血效果。Mim8 通过皮下注射给药，激活后可将 IXa 因子和 X 因子 (FIXa/FX) 桥接在一起，从而替代缺失的 FVIII，有效重建人体的凝血酶生成能力，促进血液凝固。

关于 FRONTIER 临床试验项目

FRONTIER 临床试验项目将 Mim8 作为一种用于伴/不伴抑制物的血友病 A 患者的预防性治疗手段进行研究。其 3 期临床试验包含：

FRONTIER 2 - 一项为期 52 周的有效性与安全性 3 期试验，其中 26-52 周为导入期，在 12 岁及以上伴/不伴抑制物的血友病 A 患者中将每周一次和每月一次的 Mim8 治疗与未预防治疗和入组前既往凝血因子预防治疗进行比较。在完成试验 26 周的主试验期之后，为期 26 周的扩展期正在进行。

FRONTIER 3 - 一项为期 52 周的安全性和有效性 3 期试验，在伴/不伴抑制物的青少年血友病 A 患者中进行 (1-11 岁)。患者在试验前 26 周将接受每周一次的 Mim8 治疗，后续可选择接受每月一次的 Mim8 治疗。

FRONTIER 4 - 在参加 2 期和 3 期 FRONTIER 临床试验后进行的开放标签扩展研究。此项试验可收集长期安全性数据。

FRONTIER 5 - 针对从 emizicumab 换用 Mim8 进行的药代动力学、药效动力学和安全性试验，在伴/不伴抑制物的成年和青少年血友病 A 患者中进行。

**本新闻稿中涉及的药品尚未获得中国药品主管部门颁发的上市许可。本文内容仅作新闻用途，不应被视为对所涉医疗产品的推荐或功效证明。涉及疾病诊断、治疗、康复相关的，请务必前往专业医疗机构就诊，寻求专业意见。*