

新闻稿

Caeregen Therapeutics 公司与瓦克联合新闻稿

编号 24

Caeregen Therapeutics 公司和瓦克生物技术 宣布达成协议，合作生产视网膜疾病治疗用 CTR-107（Noregen™）再生医学候选药物

美国密歇根州 Rochester/德国哈雷，2023 年 6 月 28 日—再生医学治疗公司 **Caeregen Therapeutics** 与合同定制加工外包服务商

（**CDMO**）瓦克生物技术将携手开发和生产 **CTR-107（Noregen™）** 新型再生治疗剂，以对抗因视网膜引起的视障疾病。瓦克生物技术作为 **Caeregen Therapeutics** 公司 **CTR-107** 产品的 **CDMO** 合作商，将在旗下德国哈雷生产基地生产相应散装原料药，并在荷兰阿姆斯特丹生产基地完成临床试验用制剂药的生产，为 2024 年启动 **I/II** 期临床研究提供支持。**CTR-107** 是第一个获得美国 **FDA** 罕见儿科疾病指定（**RPDD**）用于治疗家族性渗出性玻璃体视网膜病变（**FEVR**）的产品。

CTR-107 是一种合成的靶向生长因子，模仿诺林蛋白（**norrin**）的特性；**norrin** 作为一种天然存在的人体蛋白质，可促进人类眼睛、耳朵和中枢神经系统的血管及神经元有组织地正常发育。**CTR-107** 是首款为治疗 **FEVR** 而开发的药剂。**FEVR** 是一种会导致视力部分或完全丧失的遗传性视网膜血管疾病，如将 **CTR-107** 注射入眼睛，可使视网膜血管和神经元再生，恢复视网膜正常功能，抵消 **FEVR** 造成的视障。

Caeregen Therapeutics 公司还计划之后将 **Noregen™** 用于其它重要视网膜疾病适应症，包括视网膜静脉闭塞（**RVO**）、糖尿病视网膜病变

新闻稿 编号：24 2023 年 6 月 28 日 第2页，共4页

（DR）、老年性黄斑变性（AMD）。Noregen™已于 2022 年 12 月获得美国食品药品监督管理局（FDA）罕见儿科疾病资格指定用于治疗 FEVR，有资格在上市批准时获得优先审查凭证（PRV），是 FDA 首次为治疗儿童 FEVR 而发放的罕见儿科疾病资格，此前已分别获得 FDA 和欧洲药品管理局（EMA）的孤儿药指定（ODD）。

Caeregen Therapeutics 公司寻求 CTR-107 初始制造及工艺开发支持，2022 年首次与瓦克生物技术签约，现再次委托瓦克生物技术在德国哈雷生产 CTR-107 活性散装原料药，供首次计划中的 I/II 期临床研究使用。CTR-107 临床研究用制剂药的生产将在瓦克生物技术位于荷兰阿姆斯特丹的生产基地完成，生产符合 GMP（生产质量管理规范），按计划可于 2024 年初启动。

Caeregen Therapeutics 首席执行官 Walter Capone 先生表示：

“CTR-107 有潜力为尚无治疗选择的破坏性视网膜罕见疾病实现突破。我们之所以选择瓦克生物技术作为 CDMO 合作开发商，是因为瓦克在蛋白质化学领域拥有丰富经验和深度知识，以及与我们一样的推动科学变革的紧迫感。”双方的共同目标，是启动临床开发，以推动新药上市批准工作，让那些会因渐进性视障而失明的患者早日得到治疗。“CTR-107 以其独特的结构，有能力修复和再生神经血管，恢复视力，逆转听力损失和神经退行性疾病。我们很高兴能够为 Caeregen Therapeutics 公司开发这种具有开创性的再生候选药物和产品平台提供支持。”瓦克生物医药业务副总裁 Guido Seidel 先生如此表示。

作为总部位于慕尼黑的瓦克化学股份有限公司旗下全资子公司，瓦克生物技术将使用专有 FOLDTEC®技术生产 CTR-107。该蛋白质复性技术能够在微生物工艺中以可靠而具经济效益的方式，高产量产出易于

新闻稿 编号：24 2023 年 6 月 28 日 第3页，共4页

在生产过程中形成包涵体的纯度极高的药用蛋白。这套受专利保护的工艺使用多种专门开发及优化的大肠杆菌菌株、一套获得专利的不含抗生素及噬菌体的质粒维护系统，并拥有全面的蛋白质复性知识与技能。

CTR-107 (Noregen™) 简介

CTR-107 (Noregen™) 是一种合成的靶向生长因子，模拟诺林蛋白 (norrin)，可用于治疗因视网膜引起的视障疾病。norrin 是一种天然存在的人体蛋白质，可在胎儿发育过程中指导视网膜形成。CTR-107 能够促进人类眼睛、耳朵和中枢神经系统的血管与神经元有组织地正常发育，适用于先天性及后天性视网膜疾病患者，也有适用于其它神经感觉疾病患者的潜能。CTR-107 作为可用于再生和修复视网膜血管，从而恢复和保护缺血性视网膜病变患者视力的 **first-in-class** 首创候选药物，目前正处于面向 FEVR 的开发阶段。FEVR 这种罕见病急需有效疗法。更多信息，请访问：www.caeregen.com。

Caeregen Therapeutics 公司简介

Caeregen Therapeutics 有限责任公司位于美国密歇根州 Rochester，在北卡罗来纳州 Chapel Hill 设有办事处，是一家开发神经感觉疾病再生医学疗法的公司，专注于利用与细胞和器官发育有关的生物信号通路及传导，研发能够有针对性地修复、恢复和保护受遗传性或后天性疾病影响的神经感觉组织的疗法。Caeregen Therapeutics 公司目前正在开发的 Noregen™ 是一种能够模仿人体诺林生长因子的、独特而新颖的重组体蛋白质，是有效治疗因视网膜疾病而导致的视力丧失的潜在药物。更多信息，请访问：www.caeregen.com。

新闻稿 编号：24 2023 年 6 月 28 日 第4页，共4页

瓦克生物技术简介

瓦克生物技术有限公司（Wacker Biotech GmbH）、瓦克生物技术（荷兰）有限公司（Wacker Biotech B.V.）、瓦克生物技术（美国）有限公司（Wacker Biotech US Inc.）作为提供全套服务的定制生产商，采用微生物系统生产治疗性蛋白质、活性微生物产品（LMP）、质粒 DNA（pDNA）、信使核糖核酸（mRNA）和疫苗。瓦克生物技术的业务涵盖菌株/工艺开发、分析测试，以及为临床及商业应用进行生产，在德国耶拿和哈雷、荷兰阿姆斯特丹和美国圣地亚哥拥有 4 个符合 GMP（生产质量管理规范）的生产基地，耶拿、哈雷及阿姆斯特丹生产基地还通过了 FDA 及 EMA 认证。瓦克生物技术有限公司、瓦克生物技术（荷兰）有限公司、瓦克生物技术（美国）有限公司均为总部位于慕尼黑的瓦克集团旗下全资子公司。更多信息，请访问：wacker.com/biologics。

如想获取更多信息，请联系：

媒体联系

Wacker Chemie AG

Manuela Dollinger 女士

电话：+49 89 6279-1629

manuela.dollinger@wacker.com

Caeregen Therapeutics, LLC

Walter Capone 先生

电话：+1 984-309-8915

wmcapone@caeregen.com