



HUTCHMED (China) Limited
和黃醫藥（中國）有限公司
(於開曼群島註冊成立的有限公司)
(股份代號：13)

自願性公告

**和黃醫藥宣佈索樂匹尼布 (sovoleplenib) 用於治療原發免疫性血小板減少症
的中國新藥上市申請獲受理並獲納入優先審批**

- 繼 2022 年 1 月取得突破性治療品種後，新藥上市申請獲受理並納入優先審批-
- 在既往接受過至少一種治療的成人原發免疫性血小板減少症患者中開展的 ESLIM-01
III 期研究的數據支持了此項新藥上市申請 -

和黃醫藥（中國）有限公司（簡稱「[和黃醫藥](#)」或「HUTCHMED」）今日宣佈索樂匹尼布用於治療成人原發免疫性血小板減少症患者的新藥上市申請已獲中國國家藥品監督管理局（「國家藥監局」）受理並予以優先審批。索樂匹尼布是一種開發用於治療血液惡性腫瘤和自身免疫性疾病的新型、高選擇性的口服脾酪氨酸激酶（「Syk」）抑制劑。

ESLIM-01 研究的數據支持了此項新藥上市申請。ESLIM-01 是一項索樂匹尼布在中國開展的隨機、雙盲、安慰劑對照的 III 期臨床試驗，共納入 188 名既往接受過至少一種治療的慢性成人原發免疫性血小板減少症患者。2023 年 8 月，和黃醫藥宣佈該研究成功達到了其主要終點，即與接受安慰劑治療的患者相比，接受索樂匹尼布治療的患者的持續應答率取得了具有臨床意義和統計學意義的顯著改善。包括總體應答率和安全性在內的所有次要終點亦已達到。完整的研究數據將於適當的時候公佈。ESLIM-01 研究的概念驗證研究結果已於 [《柳葉刀·血液病學 \(The Lancet Haematology\)》](#) 發表。

索樂匹尼布於 2022 年 1 月獲國家藥監局納入突破性治療品種，用於 ESLIM-01 研究所探索的適應症。國家藥監局將索樂匹尼布納入突破性治療品種，作為用於防治嚴重危及生命的疾病，且尚無有效防治手段或與現有治療手段相比具有明顯臨床優勢的創新藥物。

和黃醫藥首席執行官兼首席科學官蘇慰國博士表示：「我們很高興開始了索樂匹尼布在中國的新藥上市申請的滾動提交，我們期待將這種創新療法帶向免疫性血小板減少症患者。我們提交的資料包括了在中國成功完成的 ESLIM-01 III 期研究的數據，該研究證明了索樂匹尼布能為患者帶來持續的應答。成人免疫性血小板減少症會嚴重損害患者的生活品質，患者非常需要新療法。」

關於索樂匹尼布

索樂匹尼布是一種新型、選擇性的 Syk 抑制劑，每日一次口服用藥。Syk 作為 B 細胞受體和 Fc 受體信號傳導通路中的一個關鍵蛋白，是多種亞型的 B 細胞淋巴瘤及自身免疫疾病的成熟治療靶點。

於 [《柳葉刀·血液病學 \(The Lancet Haematology\)》](#) 上發表的中國 I/II 期研究結果顯示，索樂匹尼布為經治的免疫性血小板減少症患者帶來快速且持久的血小板計數改善。在接受每日一次 300mg 的 II 期臨床試驗推薦劑量（「RP2D」）的患者中，40% 的患者出現持續應答，即在研究的第 14 至 24 週期間，6 次隨訪中至少有 4 次的血小板計數大於或等於 $50 \times 10^9/L$ 。所有接受 RP2D 劑量治療的患者既往均曾接受過糖皮質類固醇激素治療，其中 80% 的患者既往曾接受過血小板生成素或血小板生成素受體激動劑治療。在研究的第 24 週期間接受任何劑量治療的患者中，7% 的患者因治療期間不良事件（TEAE）導致劑量減少或中斷，但未出現停藥。截至整個研究的 24 週內，未出現發生於超過一名患者的 3 級或以上治療期間不良事件。

索樂匹尼布目前正在臨床研究中，其安全性和療效尚未得到任何監管機構的評估。

和黃醫藥目前擁有索樂匹尼布在全球範圍內的所有權利。除了免疫性血小板減少症外，索樂匹尼布用於治療溫抗體性自身免疫性溶血性貧血 ([NCT05535933](#)) 和惰性非霍奇金淋巴瘤 ([NCT03779113](#)) 的研究亦在進行中。

關於免疫性血小板減少症 (ITP)

免疫性血小板減少症是一種自身免疫疾病，表現為血小板受免疫性破壞以及血小板生成減少。免疫性血小板減少症的患者有著更高的過度出血和瘀傷風險。¹ 免疫性血小板減少症還與疲乏（成年免疫性血小板減少症患者中報告率多達 39%）和生活質量受損有關。^{2,3,4,5,6} 成人原發免疫性血小板減少症的發病率估計為每年每 10 萬成人中有 3.3 名，患病率為每 10 萬成人中有 9.5 名。⁷ 根據上述患病率數據，中國估計約有 110,000 名原發免疫性血小板減少症患者，此外美國、德國、法國、意大利、西班牙、英國和日本約有 56,000 名患者。在除中國以外的主要醫藥市場中，據估計有多達 145,000 名慢性免疫性血小板減少症患者。⁸

成人免疫性血小板減少症是一種異質性疾病，即使接受現有最佳治療，仍可持續數年，並且治癒率較低。儘管現時已有數種不同作用機制的治療方法，但慢性疾病仍是一個難題。許多患者出現耐藥性而容易復發。⁹ 因此，目前仍有大量對現有治療反應不佳的患者人群，急需新的治療方法。

由於免疫性血小板減少症的血小板破壞是和 Syk 調控的細胞吞噬與 Fcγ 受體結合的血小板有關，因此 Syk 抑制劑可能成為頗具前景的免疫性血小板減少症療法。¹⁰

關於和黃醫藥

和黃醫藥（納斯達克/倫敦證交所：HCM；香港交易所：13）是一家處於商業化階段的創新型生物醫藥公司，致力於發現、全球開發和商業化治療癌症和免疫性疾病的靶向藥物和免疫療法。集團旗下公司共有約 5,000 名員工，其中核心的腫瘤/免疫業務擁有約 1,800 人的團隊。自成立以來，和黃醫藥致力於將自主發現的抗腫瘤候選

藥物帶向全球患者，首三個藥物現已在中國上市，其中首個藥物亦於美國上市。欲了解更多詳情，請訪問：
www.hutch-med.com 或關注我們的 [LinkedIn](#) 專頁。

前瞻性陳述

本公告包含 1995 年《美國私人證券訴訟改革法案》「安全港」條款中定義的前瞻性陳述。這些前瞻性陳述反映了和黃醫藥目前對未來事件的預期，包括對向國家藥監局提交索樂匹尼布用於治療免疫性血小板減少症的新藥上市申請以及提交時間的預期，索樂匹尼布用於治療免疫性血小板減少症患者的治療潛力，以及索樂匹尼布在上述適應症及其他適應症中進一步臨床研究計劃的預期。前瞻性陳述涉及風險和不確定性。此類風險和不確定性包括下列假設：對研究時間和結果發佈的預期、支持索樂匹尼布於中國或其他地區獲批用於治療免疫性血小板減少症或其他適應症的新藥上市申請的數據充足性、獲得監管部門快速審批或審批的潛力，索樂匹尼布的療效及安全性、和黃醫藥為索樂匹尼布進一步臨床開發計劃及商業化提供資金並實現及完成的能力，此類事件發生的時間，以及新冠肺炎對整體經濟、監管及政治狀況帶來的影響等。當前和潛在投資者請勿過度依賴這些前瞻性陳述，這些陳述僅在截至本公告發佈當日有效。有關這些風險和其他風險的進一步討論，請查閱和黃醫藥向美國證券交易委員會、AIM 以及香港聯合交易所有限公司提交的文件。無論是否出現新訊息、未來事件或情況或其他因素，和黃醫藥均不承擔更新或修訂本公告所含訊息的義務。

-
- ¹ Zufferey A, Kapur R, Semple JW. Pathogenesis and Therapeutic Mechanisms in Immune Thrombocytopenia (ITP). *J. Clin. Med.* 2017, 6(2), 16.
 - ² McMillan R, Bussel JB, et al. Self-reported health-related quality of life in adults with chronic immune thrombocytopenic purpura. *Am J Hematol.* 2008 Feb;83(2):150-4.
 - ³ Snyder CF, Mathias SD, Cella D, et al. Health-related quality of life of immune thrombocytopenic purpura patients: results from a web-based survey. *Curr Med Res Opin.* 2008 Oct;24(10):2767-76.
 - ⁴ Doobaree IU, Nandigam R, Bennett D, et al. Thromboembolism in adults with primary immune thrombocytopenia: a systematic literature review and meta-analysis. *Eur J Haematol.* 2016 Oct;97(4):321-30.
 - ⁵ Sarpatwari A, Bennett D, Logie JW, et al. Thromboembolic events among adult patients with primary immune thrombocytopenia in the United Kingdom General Practice Research Database. *Haematologica.* 2010 Jul;95(7):1167-75.
 - ⁶ Sarpatwari A, Watson S, Erqou S, et al. Health-related lifestyle in adults and children with primary immune thrombocytopenia (ITP). *Br J Haematol.* 2010 Oct;151(2):189-91.
 - ⁷ Lambert MP, Gernsheimer TB. Clinical updates in adult immune thrombocytopenia. *Blood.* 2017 May 25;129(21):2829-2835.
 - ⁸ Clarivate Landscape & Forecast for Immune Thrombocytopenic Purpura, 2018.
 - ⁹ Provan D, Arnold DM, Bussel JB, et al. Updated international consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia. *Blood Adv.* 2019;3(22):3780-3817.
 - ¹⁰ Crowley MT, Costello PS, Fitzer-Attas CJ et al. A critical role for Syk in signal transduction and phagocytosis mediated by Fcγ receptors on macrophages. *J. Exp. Med.* 186(7), 1027–1039 (1997).

承董事會命

非執行董事兼公司秘書

施熙德

香港，2024 年 1 月 11 日

於本公告日期，本公司之董事為：

執行董事：

杜志強先生

(主席)

蘇慰國博士

(首席執行官兼首席科學官)

鄭澤鋒先生

(首席財務官)

非執行董事：

艾樂德博士

施熙德女士

楊凌女士

獨立非執行董事：

卡博樂先生

(高級獨立董事)

蒞紀倫先生

莫樹錦教授