

证券代码：600276

证券简称：恒瑞医药

公告编号：临 2022-072

江苏恒瑞医药股份有限公司

关于海曲泊帕乙醇胺片获得

美国 FDA 孤儿药资格认定的公告

本公司董事会及全体董事保证本公告内容不存在任何虚假记载、误导性陈述或者重大遗漏，并对其内容的真实性、准确性和完整性承担法律责任。

近日，江苏恒瑞医药股份有限公司（以下简称“公司”）产品海曲泊帕乙醇胺片用于恶性肿瘤化疗所致血小板减少症适应症获得美国食品药品监督管理局（以下简称“美国 FDA”）授予的孤儿药资格认定。孤儿药又称罕见病药，是指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。本次公司获得美国 FDA 孤儿药资格认定，将有机会在产品研发、注册及商业化等方面享受美国的政策支持。现将相关情况公告如下：

一、药物基本情况

药物名称：海曲泊帕乙醇胺片

适应症：恶性肿瘤化疗所致血小板减少症（CIT）

申请编号：DRU-2022-8823

申请人：江苏恒瑞医药股份有限公司

审批结论：根据美国《联邦食品、药品和化妆品法案》第 526 条，授予公司海曲泊帕乙醇胺片用于治疗恶性肿瘤化疗所致血小板减少症的孤儿药资格。

二、药物的临床试验情况

2017 年 12 月，海曲泊帕乙醇胺片获批开展治疗再生障碍性贫血的临床试验；2019 年 8 月，获批开展治疗肿瘤化疗所致血小板减少症的临床试验；2020 年 11 月，获批开展治疗儿童和青少年慢性原发免疫性血小板减少症的 III 期临床试验；2022 年 1 月，在美国获批开展治疗恶性肿瘤化疗所致血小板减少症的 III 期临床试验。

三、药物的已获批适应症情况

海曲泊帕乙醇胺片已获批上市两个适应症，分别为：2021年6月获得国家药品监督管理局批准用于既往对糖皮质激素、免疫球蛋白等治疗反应不佳的慢性原发免疫性血小板减少症成人患者的治疗，以及用于对免疫抑制治疗疗效不佳的重型再生障碍性贫血成人患者的治疗。

四、药物的其他情况

海曲泊帕乙醇胺是一种口服非肽类血小板生成素受体（TPO-R）激动剂，通过激活 TPO-R 介导的 STAT 和 MAPK 信号转导通路，促进血小板生成。经查询，目前国外有海曲泊帕乙醇胺片同类产品 Eltrombopag（葛兰素史克/诺华，商品名 Promacta）、Avatrombopag（Dova Pharmaceuticals, 商品名 Doptelet）、Lusutrombopag（Shionogi, 商品名 Mulpleta）获批上市。在国内，Eltrombopag 于 2017 年获批上市，产品名称为艾曲泊帕乙醇胺片，用于慢性免疫性（特发性）血小板减少症成人患者，2022 年 5 月扩展至 6-11 岁儿童患者。Avatrombopag 于 2020 年获批上市，产品名称为马来酸阿伐曲泊帕片，用于择期行诊断性操作或者手术的慢性肝病相关血小板减少症的成年患者。经查询 EvaluatePharma 数据库，2021 年上述 3 个同类产品全球销售额约为 21.43 亿美元。截至目前，海曲泊帕乙醇胺片相关项目累计已投入研发费用约 23,468 万元。

五、本次获得美国 FDA 孤儿药认定的影响

本次海曲泊帕乙醇胺片治疗恶性肿瘤化疗所致血小板减少症适应症获得孤儿药资格认定后，能够加快推进临床试验及上市注册的进度。同时，可享受一定的政策支持，包括但不限于临床试验费用的税收抵免、免除新药申请费、产品获批后将享受 7 年的市场独占权。

六、风险提示

本次获得孤儿药资格认定后，公司仍需就海曲泊帕乙醇胺片用于治疗恶性肿瘤化疗所致血小板减少症的后续临床试验、注册申报方案等与 FDA 进行沟通与协商，能否通过 FDA 的最终批准、获批上市及上市时间具有不确定性。获得 FDA 上市批准前，如有相同适应症的其他相同药物率先获批上市，则需进一步证明该药物在临床上具有优越性，否则将失去作为孤儿药享有的政策支持。

公司高度重视药品研发，并严格控制药品研发、制造及销售环节的质量及安全。药品的前期研发以及从研制、临床试验报批到投产的周期长、环节多，而且

药品获得证书后生产和销售也容易受到一些不确定性因素的影响。敬请广大投资者谨慎决策，注意防范投资风险。

特此公告。

江苏恒瑞医药股份有限公司董事会

2022年6月14日