

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示，概不就因本公告全部或任何部分內容所產生或因依賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。



Abbisko Cayman Limited
和譽開曼有限責任公司
(於開曼群島註冊成立的有限公司)
(股份代號：2256)

自願性公告
FGFR2/3抑制劑ABSK061
獲FDA授予孤兒藥資格認定，用於治療軟骨發育不全

和譽開曼有限責任公司（「本公司」，連同其附屬公司統稱「本集團」）謹此隨附新聞稿，以告知本公司股東及潛在投資者，本公司之附屬公司上海和譽生物醫藥科技有限公司（「和譽醫藥」）宣佈，其自主研發的高選擇性口服小分子FGFR2/3抑制劑ABSK061已獲得美國食品藥品監督管理局（「FDA」）授予的孤兒藥資格認定（「ODD」），用於治療軟骨發育不全（「ACH」）。這是ABSK061近期獲得FDA授予罕見兒科疾病（「RPD」）資格認定後，在其全球開發進程中的又一關鍵里程碑。ODD有望為該產品在美國的臨床開發、註冊申報與商業化進程提供有力支持。

此為本公司刊發的自願性公告。本集團無法保證ABSK061最終將成功獲批上市。本公司股東及潛在投資者於買賣本公司股份時務請審慎行事。

承董事會命
和譽開曼有限責任公司
徐耀昌博士
主席

上海，2026年3月19日

於本公告日期，本公司董事會包括執行董事徐耀昌博士、喻紅平博士及嵇靖博士；以及獨立非執行董事孫飄揚博士、孫洪斌先生及徐海音女士。

和譽醫藥FGFR2/3抑制劑ABSK061獲FDA授予孤兒藥資格認定，用於治療軟骨發育不全

2026年3月19日，上海和譽生物醫藥科技有限公司（「和譽醫藥」）宣佈，其自主研发的高選擇性口服小分子FGFR2/3抑制劑ABSK061已獲得美國食品藥品監督管理局（「FDA」）授予的孤兒藥資格認定（「ODD」），用於治療軟骨發育不全（「ACH」）。這是ABSK061近期獲得FDA授予罕見兒科疾病（「RPD」）資格認定後，在其全球開發進程中的又一關鍵里程碑。ODD有望為該產品在美國的臨床開發、註冊申報與商業化進程提供有力支持。

孤兒藥資格認定是FDA為支持罕見病創新療法開發與評估而設立的一項重要激勵政策。此次ABSK061獲得ODD認定，不僅體現了FDA對其潛在臨床價值及需求的認可，更將為其帶來多項潛在利好：包括符合條件的臨床試驗稅收抵免、NDA/BLA費用免除，以及批准後享有七年市場獨佔權的潛在資格。

ACH是一種罕見的常染色體遺傳病，會導致嚴重的生長發育障礙。研究表明，ACH的發病機制主要源於FGFR3基因突變引起的FGFR3異常激活，從而抑制軟骨的正常骨化過程¹。靶向抑制劑有望為ACH患者提供更為精準且有效的治療選擇。

ABSK061是和譽醫藥自主研发的一款高活性、高選擇性小分子FGFR2/3抑制劑。臨床前研究顯示，其具有強效的靶點抑制活性、良好的藥代動力學特徵以及具有前景的安全性特徵。口服給藥的方式預期將大幅提升治療的便利性和依從性，尤其對於兒童患者群體而言，這突顯了其作為兒童及青少年ACH患者治療選擇的潛力。

ABSK061目前正在一項針對3-12歲ACH兒童患者的II期臨床試驗中進行評估。該研究已於2025年12月在中國完成首例患者給藥，初步數據預計將於2026年下半年公佈。

在獲得FDA授予的RPD與ODD資格認定後，和譽醫藥將持續加速ABSK061的全球臨床開發與註冊進程，致力於為全球ACH患者提供安全有效的創新治療選擇。

參考文獻：

- [1] Savarirayan R, et al. International Consensus Statement on the diagnosis, multidisciplinary management and lifelong care of individuals with achondroplasia. *Nat Rev Endocrinol*. 2022 Mar;18(3):173-189.

關於ABSK061

ABSK061是和譽醫藥自主研發並完全擁有的一款新型口服生物利用度良好、高活性、高選擇性小分子FGFR2/3抑制劑。第一代泛FGFR抑制劑已在多種攜帶FGFR2/3變異的腫瘤中展現出臨床療效並在全球範圍內陸續獲得監管批准。然而，泛FGFR抑制劑的治療窗及臨床療效均受限於抑制FGFR1的相關副作用。通過降低對FGFR1的抑制以及保持對FGFR2/3的高活性，ABSK061作為新一代FGFR抑制劑，有望實現更寬的治療窗口，從而提升臨床療效。ABSK061用於治療軟骨發育不全已獲得FDA授予的RPD和ODD認定，II期臨床試驗正在推進中。

關於和譽醫藥

上海和譽生物醫藥科技有限公司成立於2016年4月，是一家專注於腫瘤領域的生物製藥公司，總部位於上海，其致力於發現和開發創新藥物，以滿足中國和全球未滿足的醫療需求。公司的創始人和管理團隊均為資深藥物研發專家，擁有來自頂尖跨國藥企的豐富研發和管理經驗。自成立以來，和譽醫藥已經建立了豐富的創新產品管線，專注腫瘤精準治療領域以及腫瘤免疫治療領域。

更多信息，歡迎訪問www.abbisko.com。

前瞻性陳述

本文所作出的前瞻性陳述僅與本文作出該陳述當日的事件或資料有關。除法律規定外，於作出前瞻性陳述當日之後，無論是否出現新資料、未來事件或其他情況，我們並無責任更新或公開修改任何前瞻性陳述及反映預料之外的事件。請閣下細閱本文，並理解我們的實際未來業績或表現可能與預期有重大差異。本文內有關任何董事或本公司意向的陳述或提述乃於本文刊發日期作出。任何該等意向均可能因未來發展而出現變動。