



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) 獲FDA孤兒藥資格認定
用於治療原發免疫性血小板減少症**

— 獲授予孤兒藥資格，用於治療原發免疫性血小板減少症 —

— 彰顯索樂匹尼布的巨大潛力，以應對這種罕見且嚴重自身免疫性疾病患者面臨的重大未滿足醫療需求 —

— 可享有多項開發激勵措施，包括有資格獲得監管批准後為期7年的美國市場獨佔權 —

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 (sovoleplenib) 獲美國食品藥品監督管理局（「FDA」）授予孤兒藥資格，用於治療原發免疫性血小板減少症。免疫性血小板減少症是一種導致出血風險增加的自身免疫疾病。索樂匹尼布是一種新型、高選擇性的口服脾酪氨酸激酶（「Syk」）抑制劑。

FDA 的孤兒藥資格認定（Orphan Drug Designation）計劃，旨在為用於安全有效治療、診斷或預防在美國影響人數少於 20 萬人的罕見疾病或狀況的藥物及生物製品提供孤兒藥資格。若獲FDA批准用於指定適應症，獲授予孤兒藥資格認定的藥物有資格自獲批日起享有為期 7 年的美國市場獨佔權，並可就符合條件的臨床試驗獲得稅收抵免、豁免《處方藥用戶付費法案（PDUFA）》下規定的使用者費用，以及可在臨床開發期間獲得來自FDA的專業監管指導。

在中國，索樂匹尼布用於治療原發免疫性血小板減少症以及溫抗體型自身免疫性溶血性貧血的兩項新藥上市申請，目前正在中國國家藥品監督管理局的審評中。這兩項申請分別是基於關鍵性ESLIM-01研究及ESLIM-02研究的積極數據。

關於免疫性血小板減少症

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

關於索樂匹尼布

索樂匹尼布是一種探索性的新型、選擇性的口服小分子Syk抑制劑。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。

和黃醫藥目前保留索樂匹尼布在全球的所有權利。

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。自成立以來，和黃醫藥致力於將自主發現的候選藥物帶向全球患者，首四個藥物現已在中國上市，其中首個藥物亦於美國、歐洲和日本等全球各地獲批。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，包括對索樂匹尼布的治療潛力的預期，索樂匹尼布的進一步臨床研究計劃，對索樂匹尼布的研究是否能達到其主要或次要終點的預期，以及對此類研究完成時間和結果發佈的預期。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；支持索樂匹尼布在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；非預期不良事件或安全性問題；索樂匹尼布達到研究的主要或次要終點的療效；獲得不同司法管轄區的監管批准及獲得監管批准後取得市場認可；索樂匹尼布用於目標適應症的潛在市場；資金充足性；和黃醫藥成功開發和商業化索樂匹尼布的能力。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、香港聯合交易所有限公司以及AIM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。

醫療信息

本公告所提到的產品可能並未在所有國家上市，或可能以不同的商標進行銷售，或用於不同的病症，或採用不同的劑量，或擁有不同的效力。本文中所包含的任何信息都不應被看作是任何處方藥的推銷、推廣或廣告，包括那些正在研發的藥物。

-
- ¹ Zufferey A, et al. Pathogenesis and Therapeutic Mechanisms in Immune Thrombocytopenia (ITP). *J. Clin. Med.* 2017, 6(2), 16.
 - ² McMillan R, 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, 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, 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, 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, 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, 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, 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，2026年10月29日

於本公告日期，本公司之董事為：

主席兼非執行董事：

艾樂德博士

非執行董事：

施熙德女士

楊凌女士

執行董事：

蘇慰國博士

(首席執行官兼首席科學官)

鄭澤鋒先生

(代理首席執行官兼首席財務官)

獨立非執行董事：

言思雅醫生

(高級兼首席獨立非執行董事)

胡朝紅博士

陳邵文教授

黃德偉先生