

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全部內容概不負責，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而產生或因倚賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。



ASCENTAGE PHARMA GROUP INTERNATIONAL

亞盛醫藥集團

(在開曼群島註冊成立的有限公司)

(股份代號：6855)

自願公告

亞盛醫藥MDM2-p53抑制劑APG-115獲得 美國FDA兒童罕見病資格認證，用於治療神經母細胞瘤

亞盛醫藥集團(「本公司」或「亞盛醫藥」)欣然宣佈，公司在研原創新藥MDM2-p53抑制劑APG-115 (alrizomadlin)獲得美國食品和藥品監督管理局(FDA)授予的兒童罕見病資格認證(Rare Pediatric Disease, RPD)，用於治療神經母細胞瘤。截止本公告日期，APG-115已獲得FDA授予的六項孤兒藥資格認證(ODD)、兩項RPD。

2012年開始實施的FDA安全和創新法案(FDASIA)確立了RPD計劃以及與其相關的優先審評券(Priority Review Voucher, PRV)制度，旨在鼓勵針對治療兒童罕見病的創新療法的開發。FDASIA對兒童罕見病的定義包括：指主要影響從出生到18歲年齡段間的個體，包括新生兒、嬰兒、兒童及青少年，同時是罕見病(在美國受影響人群不超過20萬)。有資格獲得PRV，是通過RPD認定最為突出的優勢。申辦方可以通過兌換PRV以加速其他產品的後續新藥申請或生物製品許可申請的審評；也可以將PRV轉讓給其他申辦方使用。

神經母細胞瘤是一種起源於外周交感神經系統的胚胎腫瘤。該疾病是兒童最常見的顱外實體瘤，也是兒童第三常見的癌症¹。美國癌症協會(ACS)公佈的數據顯示，美國每年新增約700至800例神經母細胞瘤患者，其發病率近年來一致維持在這個水平。由於其侵襲性和轉移的高風險，神經母細胞瘤佔兒童癌症死亡總數的15%²。神經母細胞瘤大多在嬰兒期診斷，41%的患者在出生前3個月確診，大多數患者在5歲時確診，中位年齡約為18個月³。

同時，神經母細胞瘤是一種高危的疾病，嚴重威脅著兒童患者的生命。診斷為低風險疾病的患者預後良好。然而，高危疾病患者可能難以治愈，這些患者中有很高比例出現疾病復發。儘管進行了高強度的多模式治療，但高危疾病患者的無病生存期(EFS)低於50%，預後較差。復發或難治性神經母細胞瘤極其難以治愈，而且對於這些患者沒有標準的治療方法。

APG-115是亞盛醫藥自主研發的一種口服、高選擇性的MDM2-p53抑制劑，對MDM2具有高度結合親和力，通過阻斷MDM2-p53相互作用從而恢復p53腫瘤抑制活性。目前，APG-115已經在體外和體內神經母細胞瘤模型中證明了單藥治療的抗腫瘤活性，該作用機制的明確為該藥物治療神經母細胞瘤的臨床探索提供了良好的基礎。

關於亞盛醫藥

亞盛醫藥是一家立足中國、面向全球的生物醫藥企業，致力於在腫瘤、乙肝及與衰老相關的疾病等治療領域開發創新藥物。2019年10月28日，亞盛醫藥在香港聯交所主板掛牌上市，股票代碼：6855.HK。

亞盛醫藥擁有自主構建的蛋白-蛋白相互作用靶向藥物設計平台，處於細胞凋亡通路新藥研發的全球最前沿。公司已建立擁有8個已進入臨床開發階段的1類小分子新藥產品管綫，包括抑制Bcl-2、IAP或MDM2-p53等細胞凋亡通路關鍵蛋白的抑制劑；新一代針對癌症治療中出現的激酶突變體的抑制劑等，為全球唯一在細胞凋亡通路關鍵蛋白領域均有臨床開發品種的創新公司。目前公司正在中國、美國、澳大利亞及歐洲開展50多項I/II期臨床試驗。用於治療耐藥性慢性髓細胞白血病的核心品種奧雷巴替尼(商品名：耐立克)曾獲中國國家藥品監督管理局新藥審評中心(CDE)納入優先審評和突破性治療品種，並已在中國獲批，是公司的首個上市品種。該品種還獲得了美國FDA快速通道資格、孤兒藥資格認定、以及歐盟孤兒藥資格認定。截至目前，公司共有4個在研新藥獲得15項FDA和1項歐盟孤兒藥資格認定。公司先後承擔多項國家科技重大專項，其中「重大新藥創製」專項5項，包括1項「企業創新藥物孵化基地」及4項「創新藥物研發」，另外承擔「重大傳染病防治」專項1項。

憑藉強大的研發能力，亞盛醫藥已在全球範圍內進行知識產權佈局，並與UNITY Biotechnology、MD Anderson癌症中心、梅奧醫學中心和Dana-Farber癌症研究所、默沙東、阿斯利康、輝瑞等領先的生物技術及醫藥公司、學術機構達成全球合作關係。公司已建立一支具有豐富的原創新藥研發與臨床開發經驗的國際化人才團隊，同時，公司正在高標準打造後期的商業化生產及市場營銷團隊。亞盛醫藥將不斷提高研發能力，加速推進公司產品管綫的臨床開發進度，真正踐行「解決中國乃至全球患者尚未滿足的臨床需求」的使命，以造福更多患者。

香港聯合交易所有限公司證券上市規則第18A.05條規定的警示聲明：我們無法保證APG-115能夠成功獲得進一步批准或最終成功地營銷APG-115。

承董事會命
亞盛醫藥集團
主席兼執行董事
楊大俊博士

中華人民共和國蘇州，2022年3月22日

於本公告日期，本公司董事會包括主席兼執行董事楊大俊博士；非執行董事王少萌博士、田源博士、呂大忠博士及劉騫先生；以及獨立非執行董事葉長青先生、尹正博士、任為先生及David Sidransky博士。

參考資料

1. American Cancer Society. Cancer Facts & Figures 2014. Atlanta, Ga: American Cancer
2. Ward E, DeSantis C, et al. Childhood and adolescent cancer statistics, 2014. CA Cancer J Clin. Mar-Apr 2014;64(2):83-103.
3. Shohet J, Foster J. Neuroblastoma. BMJ. 2017 May 3;357:j1863.