

昆药集团股份有限公司

关于药品临床试验申请获得受理的公告

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个别及连带责任。

近日，昆药集团股份有限公司（以下简称“公司”）收到国家药品监督管理局签发的《受理通知书》，公司申请的 KY100001 片（受理号：CXHL2000444 国和 CXHL2000445 国，以下简称“该新药”）的药品临床试验申请已获得国家药品监督管理局（以下简称“NMPA”）受理，具体如下：

一、 该新药基本情况

药品名称：KY100001 片

受理号：CXHL2000444 国和 CXHL2000445 国

剂型：口服片剂

规格：50mg/片和 250mg/片

申请事项：新药申请；

申报阶段：临床

申请人：昆药集团股份有限公司

结论：予以受理

二、 该新药的研究情况

KY100001 是由昆药集团股份有限公司研制的一款针对 IDH1 基因突变的实体瘤的选择性抑制剂，适应症为：IDH1 基因突变的实体瘤，包括但不限于肝内胆管瘤。

目前已上市的小分子 IDH1 抑制剂是由 Agios 制药开发的 Ivosidenib (AG-120)，于 2018 年获得美国 FDA 批准，用于治疗 IDH1 突变的复发性或难治性急性髓性细胞白血病 (AML) 成年患者。2019 年又获美国 FDA 批准增加适应症，用于诊疗年龄≥75 岁或因合并症无法使用强化诱导化疗的新诊断的 IDH1 突变的 AML 成年患者。除 AML 适应症外，Ivosidenib 也在进行 IDH1 基因突变

相关的多个瘤种的探索，包括骨髓增生异常综合征以及实体瘤（包括胆管癌、胶质瘤、软骨肉瘤等）。其它正在临床的选择性 IDH1 抑制剂还有诺华的 IDH-305、FORMA 公司的 Olutasidenib（FT-2102）、拜耳的 BAY-1436032 以及第一三共的 DS-1001。

近年来，全球范围内的肝内胆管瘤发病率呈上升趋势，国内对肝内胆管瘤的流行病学研究尚不够深入，数据表明上海地区的发病率约为 7.55 /10 万人，以此推算全国的发病人数约为 10.57 万人（按总数 14 亿人），其中按 15%左右为 IDH1 突变推算发病人数约为 1.6 万人每年。目前，Ivosidenib 一个月的治疗费用约为 26,115 美元，以此对标，仅肝内胆管瘤单个适应症，直接经济价值就高达 4 亿美元左右。

目前，我国尚没有自主研发的针对 IDH1 基因突变的选择性抑制剂进入临床研究。KY100001 的靶点选择性高，临床前毒理研究中展现了良好的耐受性、安全性风险可控。根据临床方案及长远规划，一旦 KY100001 能够成功上市，首先获益的具有 IDH1 突变的肝内胆管瘤患者，长远来说，随着研究的持续推进，其它 IDH1 突变的肿瘤患者，也可能获益。

截止 2020 年 8 月底，公司对该新药已投入研发费用约 2,083 万元。

三、 对上市公司的影响及风险提示

该新药临床申请获得受理，对公司近期经营业绩不会产生重大影响。

公司目前同时拥有多个抗肿瘤领域药物研发管线，KY100001 片的开发与公司在抗肿瘤药物研发领域的战略布局相吻合。如 KY100001 片在预期市场环境下成功上市，预期可为公司带来一定的经济效益，为公司的持续发展带来新动力。

根据我国相关新药研发的法规要求，自受理缴费之日起 60 个工作日内，如未收到药审中心否定或质疑意见的，申请人可以按照提交的方案开展临床试验。

新药研发具有高投资、高风险的特点，药品的前期研发以及产品从研制、临床试验报批到投产、上市销售的周期长、环节多，容易受到众多不确定因素的影响，项目具有研发失败风险、新用药技术不被临床接受的风险、竞争品种抢占市场先机的风险。敬请广大投资者注意投资风险。

特此公告。

昆药集团股份有限公司董事会

2020 年 9 月 19 日