

证券代码：600276

证券简称：恒瑞医药

公告编号：临 2024-124

江苏恒瑞医药股份有限公司

关于药品上市许可申请获受理的提示性公告

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”）收到国家药品监督管理局（以下简称“国家药监局”）下发的《受理通知书》，公司海曲泊帕乙醇胺片的药品上市许可申请获国家药监局受理，适应症为：本品联合免疫抑制治疗，适用于 15 岁及以上初治重型再生障碍性贫血患者。现将相关情况公告如下：

一、药品的基本情况

药品名称：海曲泊帕乙醇胺片

剂型：片剂

受理号：CXHS2400104、CXHS2400105

申报阶段：上市

申请人：江苏恒瑞医药股份有限公司

拟定适应症（或功能主治）：本品联合免疫抑制治疗，适用于 15 岁及以上初治重型再生障碍性贫血（SAA）患者。

二、药品的临床试验情况

2024 年 5 月，海曲泊帕乙醇胺片 III 期临床试验（HR-TPO-SAA-III）达到了方案预设的主要研究终点。该研究是一项在初治重型再生障碍性贫血患者中评价海曲泊帕乙醇胺片联合标准免疫抑制治疗的有效性和安全性的多中心、随机、双盲、安慰剂对照 III 期研究，由中国医学科学院血液病医院张凤奎教授担任主要研究者，共入组 240 例 15 岁及以上初治重型再生障碍性贫血患者。试验组在主要终点上显著优于对照组，且长期治疗的安全性、有效性良好，与其他 TPO 受体激动剂相比未发现新的安全性信号。

三、药品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月获得国家药监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、药品的其他情况

再生障碍性贫血（AA）是一种骨髓造血衰竭综合征，以骨髓造血细胞增生减低和外周血全血细胞减少为特征，临床上以贫血、出血和感染为主要表现。再生障碍性贫血的年发病率在我国为0.74/10万人口，高发年龄为15~25岁的青壮年和65~69岁的老年人^[1]。再生障碍性贫血根据疾病严重程度可分为重型再生障碍性贫血（SAA）和非重型再生障碍性贫血（NSAA）。重型再生障碍性贫血发病急，全血细胞减少程度重，严重影响患者生活质量，且内脏、颅内出血及严重感染等并发症易造成患者死亡。既往重型再生障碍性贫血患者的一线治疗方法为造血干细胞移植和免疫抑制治疗。对于年龄较大或不能进行造血干细胞移植的重型再生障碍性贫血患者，其首选的治疗方式为免疫抑制治疗，但有效率仅为60%~70%^[1,2]。改善重型再生障碍性贫血的治疗效果已成为迫切的临床需求。近年来，国内外专家基于国际临床研究结果^[3]，推荐免疫抑制治疗联合血小板生成素受体（TPO-R）激动剂促造血治疗作为不适合移植的重型再生障碍性贫血患者的一线治疗^[1,4]，但其用于我国初治重型再生障碍性贫血患者仍处于临床探索阶段，缺乏足够的支持性证据。

海曲泊帕乙醇胺是一种口服非肽类血小板生成素受体激动剂，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）和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；Avatrombopag于2020年获批上市，产品名称为马来酸阿伐曲泊帕片；Lusutrombopag于2023年获批上市，产品名称为芦曲泊帕片。经查询EvaluatePharma数据库，2023年上述同类

- [1]. 中华医学会血液学分会红细胞疾病（贫血）学组. 再生障碍性贫血诊断与治疗中国指南（2022年版）[J]. 中华血液学杂志, 2022, 43(11): 881-888.
- [2]. Scheinberg P, Nunez O, Wu C, Young NS. Treatment of severe aplastic anaemia with combined immunosuppression: anti-thymocyte globulin, ciclosporin and mycophenolate mofetil. *British journal of haematology*. 2006 Jun; 133(6): 606-11.
- [3]. Peffault de Latour R, Kulasekararaj A, Iacobelli S, Terwel SR, Cook R, Griffin M, Halkes CJ, Recher C, Barraco F, Forcade E, Vallejo JC. Eltrombopag added to immunosuppression in severe aplastic anemia. *New England Journal of Medicine*. 2022 Jan 6; 386(1): 11-23.
- [4]. Kulasekararaj A, Cavenagh J, Dokal I, Foukaneli T, Gandhi S, Garg M, Griffin M, Hillmen P, Ireland R, Killick S, Mansour S, Mufti G, Potter V, Snowden J, Stanworth S, Zuha R, Marsh J; BSH Committee. Guidelines for the diagnosis and management of adult aplastic anaemia: A British Society for Haematology Guideline. *Br J Haematol*. 2024 Mar; 204(3): 784-804.

产品全球销售额合计约为 25.51 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 40,775 万元。

五、风险提示

药品从研制、临床试验报批到投产的周期长、环节多，药品研发及至上市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。公司将按国家有关规定积极推进上述研发项目，并及时对项目后续进展情况履行信息披露义务。

特此公告。

江苏恒瑞医药股份有限公司董事会

2024 年 10 月 15 日