

证券代码：600645

证券简称：中源协和

公告编号：2024-049

中源协和细胞基因工程股份有限公司 关于全资子公司药物临床试验及获得美国 FDA 孤儿 药资格认定的进展公告

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。

中源协和细胞基因工程股份有限公司（以下简称“公司”）全资子公司武汉光谷中源药业有限公司（以下简称“武汉光谷中源药业”）近日收到国家药品监督管理局核准签发的关于 VUM02 注射液用于治疗失代偿期肝硬化的《药物临床试验补充申请批准通知书》，同意本品按照变更后的临床试验方案开展 Ib/II 期临床研究。

此外，武汉光谷中源药业 VUM02 注射液用于治疗急性移植物抗宿主病（aGvHD）近日获得美国食品药品监督管理局（以下简称“美国 FDA”）授予的孤儿药资格认定，这是国内首款针对治疗急性移植物抗宿主病获批美国 FDA 孤儿药认定的间充质干细胞产品。同时也是 VUM02 注射液获批的第二项美国 FDA 孤儿药认定，第一项适应症为特发性肺纤维化（具体详见公司公告：2023-028）。

现将有关信息公告如下：

一、药物基本信息

（一）药物名称：VUM02 注射液（人脐带源间充质干/基质细胞注射液）

申请人：武汉光谷中源药业有限公司

适应症：失代偿期肝硬化

剂型：注射剂

规格：5E7 个细胞（10 mL）/袋

注册分类：治疗用生物制品 1 类

申请内容：临床试验期间方案变更

受理号：CXSB2400108

通知书编号：2024LB00722

审批结论：

根据《中华人民共和国药品管理法》及有关规定，经审查，2024年9月18日受理 VUM02 注射液为已获得批准的药物临床试验申请（受理号：CXSL2200586，临床通知书编号：2023LP00239）的补充申请，此次药物临床试验补充申请符合药品注册的有关要求，同意本品按照批准内容继续开展临床试验。批准内容如下：一项以标准疗法为基础治疗评价 VUM02 注射液治疗失代偿期肝硬化患者的有效性和安全性的 Ib/II 期临床研究。

（二）药物名称：VUM02 注射液（人脐带源间充质干/基质细胞注射液）

申请人：武汉光谷中源药业有限公司

适应症：急性移植物抗宿主病（aGvHD）

申请编号：DRU-2024-10223

审批结论：根据美国《联邦食品、药品和化妆品法案》第 526 条，授予武汉光谷中源药业有限公司人脐带源间充质干细胞（human umbilical cord-derived mesenchymal stem cells）用于治疗急性移植物抗宿主病（treatment of acute graft-versus-host disease）的孤儿药资格。

二、药物研发等情况

（一）失代偿期肝硬化

VUM02 注射液（人脐带源间充质干/基质细胞注射液）是我司拥有自主知识产权的现货型细胞新药，由经筛选的健康新生儿脐带组织通过体外分离、扩增、收获、冻存后制备，在液氮条件下保存，有效期长。该产品临床拟用于治疗失代偿期肝硬化等疾病。本品治疗失代偿期肝硬化患者的前期临床研究结果显示，本品安全性、耐受性好，并展示了一定的有效性趋势。此外，国内外已报道的间充质干细胞治疗肝硬化的相关研究也显示，该疗法安全性、耐受性良好，且可改善患者的长期生存率和肝功能，可能是一种潜在有效的失代偿期肝硬化新疗法。（失代偿期肝硬化等具体情况详见公司公告：2023-004）

截至本公告日，全球尚未有用于治疗失代偿期肝硬化的同类细胞药物上市，研发进展最快的同类药物仍处于临床试验阶段。

截至 2024 年 10 月，公司对该项目的累计研发投入为人民币 1,902.03 万元。

（二）急性移植物抗宿主病（aGvHD）

VUM02 注射液（人脐带源间充质干/基质细胞注射液）是我公司自主研发的冷冻保存型干细胞制剂，是由筛选的健康新生儿脐带组织经体外分离、扩增、收获、冻存后制备的人脐带源间充质干细胞（UC-MSK）现货型制剂。2023 年 10 月 23 日，VUM02 注射液用于激素治疗失败的 II 度至 IV 度急性移植物抗宿主病（SR-aGvHD）适应症获得国家药品监督管理局批准进入临床试验（急性移植物抗宿主病等具体情况详见公司公告：2023-038）。

国内外已报道的间充质干细胞治疗急性移植物抗宿主病的相关研究显示，该疗法安全性、耐受性良好，可从免疫调节、促进组织修复等方面改善患者临床症状和生存率，有望成为 aGvHD 患者一种潜在有效的治疗方案。

截至本公告日，全球共两款间充质干细胞（MSC）产品获批治疗急性移植物抗宿主病，均为骨髓来源，分别为 Prochymal®（2012 年在加拿大和新西兰获批）和 Temcell®（2015 年在日本获批）；国内尚未有用于治疗该适应症的同类药物上市。

三、影响和风险提示

孤儿药（Orphan drug）又称罕见病药，是指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。美国 FDA 授予的孤儿药资格认定适用于在美国每年患病人数低于 20 万人的罕见病的药物和生物制剂。本次 VUM02 注射液治疗急性移植物抗宿主病获得美国 FDA 授予的孤儿药资格认定，将有机会在产品研发、注册及商业化等方面享受美国的政策支持，包括但不限于（1）临床试验费用的税收抵免；（2）免除新药申请费；（3）产品获批上市后将享有 7 年的市场独占权。

根据国内外相关药品的法律法规要求，药物尚需开展临床试验，进行药品上市许可/药政申请，能否获得上市批准及上市时间具有不确定性。并且获得美国 FDA 上市批准前，如有相同适应症的其他相同药物率先获批上市，则需进一步证明该药物在临床上具有优效性，否则将失去作为孤儿药享有的政策支持。

生物药品具有高科技、高风险、高附加值的特点。药品的前期研发以及产品从研制、临床试验、上市审批到产业化生产的周期长、环节多，容易受多种

不确定因素的影响。公司将按照相关规定积极推进上述研发项目，并对项目进展情况及时履行信息披露义务。

敬请广大投资者谨慎决策，注意防范投资风险。

特此公告。

中源协和细胞基因工程股份有限公司

二〇二四年十二月十七日