

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，概不對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。



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 ESLIM-01 III 期研究的結果於《柳葉刀·血液病學 (The Lancet Haematology)》發表

— 文章顯示治療持久緩解率為 48.4%，而安慰劑則為 0% —

— 歐洲血液協會年會上報告的亞組分析顯示，無論既往的治療線數或者既往 TPO/TPO-RA<sup>1</sup> 治療情況如何，均帶來一致的臨床獲益 —

— 數據支持了向中國監管機構提交的上市申請，並已於 2024 年 1 月獲受理 —

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 (sovoleplenic, HMPL-523) 用於成人原發免疫性血小板減少症患者的 ESLIM-01 中國 III 期研究結果於 [《柳葉刀·血液病學 \(The Lancet Haematology\)》](#) 發表。該研究的額外詳情和亞組結果亦已於 6 月 14 日在歐洲血液協會（「EHA」）2024 年年會上以一項口頭報告及兩項海報展示的形式公佈。

索樂匹尼布是一種用於治療血液惡性腫瘤和免疫性疾病的新型、高選擇性的脾酪氨酸激酶（「Syk」）口服抑制劑。Syk 是 Fc 受體和 B 細胞受體信號傳導通路的重要組成部分。免疫性血小板減少症是一種複雜的自身免疫性出血性疾病，導致患者外周血中的血小板水平降低。由於造成疲勞、活動限制和焦慮，免疫性血小板減少症也可能對患者的生活質量造成影響。此次《柳葉刀·血液病學 (The Lancet Haematology)》發表的 ESLIM-01 研究結果表明，索樂匹尼布有潛力成為既往接受過至少一種治療的免疫性血小板減少症患者的治療選擇。

ESLIM-01 研究是一項在中國 188 名既往接受過至少一線標準治療的成人原發免疫性血小板減少症患者中開展的按 2:1 比例隨機、雙盲的 III 期臨床試驗 ([NCT05029635](#))。研究顯示索樂匹尼布在原發免疫性血小板減少症患者中展現出具有臨床意義的快速且持久的持續血小板計數應答，具有可耐受的安全性特徵，並改善了患者的生活質量。研究的主要終點已達到，索樂匹尼布組的持續應答率 (DRR) 為 48.4% (61/126)，而安慰劑組則為零 ( $p<0.0001$ )，且在大部分預設的分組中保持一致。此外，索樂匹尼布組在 0-12 週時的整體應答率 (ORR) 為 68.3%，在 0-24 週時的整體應答率為 70.6%，而安慰劑組的整體應答率則分別為 14.5% 和 16.1% ( $p<0.0001$ )。接受索樂匹尼布治療的患者出現應答的中位時間為 8 天，而安慰劑組則為 30 天。

該研究進一步的事後亞組分析顯示，無論既往的治療線數或者既往 TPO/TPO-RA 治療情況（包括 TPO/TPO-RA 治療類型或治療方案的數量）如何，索樂匹尼布在免疫性血小板減少症患者中均帶來一致的臨床獲益。研究中大部分患者既往都接受過大量治療，中位既往免疫性血小板減少症治療線數為四線。在既往接受過四線或以上治療的患者中，索樂匹尼布組的持續應答率為 47.7%，而安慰劑組則為 0% ( $p<0.0001$ )。此外，大部分患者既往曾接受過 TPO/TPO-RA 治療。索樂匹尼布組的患者中 74.6% 的患者曾接受過 TPO/TPO-RA 治療，對該亞組的分析顯示，索樂匹尼布組的持續應答率為 46.8%，而安慰劑組則為零 ( $p<0.0001$ )。

ESLIM-01 研究中索樂匹尼布的安全性與既往臨床研究保持一致。大多數治療期間不良事件（「TEAE」）的程度為輕度或中度（1 級或 2 級）。在接受索樂匹尼布治療的患者中，25.4% 出現 3 級或以上 TEAE，而安慰劑組則為 24.2%。索樂匹尼布亦顯著改善了患者軀體功能和精力/疲勞方面的生活質量 ( $p<0.05$ )。<sup>2</sup>

中國國家藥品監督管理局（「國家藥監局」）已將索樂匹尼布用於此適應症納入突破性治療品種，並於 2024 年 1 月 [受理其新藥上市申請並納入優先審評](#)。一項於美國開展的劑量探索研究正在計劃中 ([NCT06291415](#))。和黃醫藥亦已於 2024 年 3 月在中國啟動索樂匹尼布用於治療溫抗體型自身免疫性溶血性貧血 (wAIHA) 成人患者的 II/III 期研究的註冊階段 ([NCT05535933](#))。和黃醫藥目前保留索樂匹尼布在全球的所有權利。

## 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。<sup>3</sup> 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。<sup>4,5,6,7,8</sup> 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。<sup>9</sup> 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。<sup>10</sup>

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。<sup>11</sup> 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。<sup>12</sup>

## 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。

索樂匹尼布目前正在臨床研究中，其安全性和療效尚未得到任何監管機構的評估。

和黃醫藥目前擁有索樂匹尼布在全球範圍內的所有權利。除了免疫性血小板減少症外，索樂匹尼布用於治療溫抗體性自身免疫性溶血性貧血（[NCT05535933](#)）和惰性非霍奇金淋巴瘤（[NCT03779113](#)）的研究亦在進行中。

## 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。集團旗下公司共有約 5,000 名員工，其中核心的腫瘤/免疫業務擁有約 1,800 人的團隊。自成立以來，和黃醫藥致力於將自主發現的抗腫瘤候選藥物帶向全球患者，首三個藥物現已在中國上市，其中首個藥物亦於美國上市。欲了解更多詳情，請訪問：[www.hutch-med.com](http://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，包括對索樂匹尼布用於治療免疫性血小板減少症的治療潛力的預期，以及索樂匹尼布針對此適應症及其他適應症的進一步臨床研究計劃。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免疫性血小板減少症的新藥上市申請的數據充足性、獲得監管部門快速審批或審批的潛力，索樂匹尼布的安全性、和黃醫藥為索樂匹尼布進一步臨床開發計劃及商業化提供資金並實現及完成的能力，以及此類事件發生的時間等。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申請、推廣或廣告，包括那些正在研發的藥物。

<sup>1</sup> TPO = 血小板生成素 (thrombopoietin)；TPO-RA = 血小板生成素受體激動劑 (thrombopoietin receptor agonists)

- <sup>2</sup> Hu Y, et al. Efficacy and safety of the Syk inhibitor sovleplenib (HMPL-523) in adult patients with primary immune thrombocytopenia in China (ESLIM-01): a randomized, double-blind, placebo-controlled phase 3 study [published online ahead of print, 2024 Jun 14]. *Lancet Haematol.* 2024.
- <sup>3</sup> Zufferey A, et al. Pathogenesis and Therapeutic Mechanisms in Immune Thrombocytopenia (ITP). *J. Clin. Med.* 2017, 6(2), 16.
- <sup>4</sup> 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.
- <sup>5</sup> 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.
- <sup>6</sup> 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.
- <sup>7</sup> 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.
- <sup>8</sup> 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.
- <sup>9</sup> Lambert MP, Gernsheimer TB. Clinical updates in adult immune thrombocytopenia. *Blood.* 2017 May 25;129(21):2829-2835.
- <sup>10</sup> Clarivate Landscape & Forecast for Immune Thrombocytopenic Purpura, 2018.
- <sup>11</sup> Provan D, et al. Updated international consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia. *Blood Adv.* 2019;3(22):3780-3817.
- <sup>12</sup> 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，2024 年 6 月 17 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

(首席財務官)

### 獨立非執行董事：

卡博樂先生

(高級獨立董事)

言思雅醫生

蔭紀倫先生

莫樹錦教授