

证券代码：603087

证券简称：甘李药业

公告编号：2020-026

甘李药业股份有限公司 关于在研产品获得美国 FDA 孤儿药资格认定的公告

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，甘李药业股份有限公司（以下简称“甘李药业”、“公司”）收到美国食品药品监督管理局（以下简称“美国 FDA”）孤儿药开发办公室的正式书面回函，授予本公司在研创新药细胞周期蛋白依赖性激酶 4/6 (CDK4/6) 抑制剂（以下简称“GLR2007”）孤儿药资格认定，用于治疗包括胶质母细胞瘤（以下简称“GBM”）在内的恶性胶质瘤。美国 FDA 同时在其官方网站上对 GLR2007 的孤儿药认定情况进行了公示，现就相关情况公布如下。

一、药品基本情况

药品名称：细胞周期蛋白依赖性激酶 4/6 (CDK4/6) 抑制剂

英 文 名 称 :

5-fluoro-4-(7'-fluoro-2'-methylspiro[cyclopentane-1,3'-indol]-5'-yl)-N-(5-(1-methylpiperidin-4-yl)pyridin-2-yl)pyrimidin-2-amine fumarate

适应症：恶性胶质瘤

申请编号：DRU-2020-7606

申请人：甘李药业美国公司

药品审批状态：尚未获得美国 FDA 批准上市

审批结论：根据美国《联邦食品、药品和化妆品法案》第 526 条（美国法典第 21 360bb），授予公司研发的细胞周期蛋白依赖性激酶 4/6 (CDK4/6) 抑制剂用以治疗包括胶质母细胞瘤在内的恶性胶质瘤的孤儿药资格。

其他说明：在该药物获得上市批准前，如有相同适应症的其他相同药物已被批准上市，则须证明该药品在临床上优于已批准的药物，以获得市场独占权。否则，将不能获得孤儿药的市场独占权。

自获得孤儿药资格之日起 14 个月内，需向美国 FDA 孤儿药开发办公室提交简要的开发进度报告，此后每年提交一次，直至获得上市批准。

二、GLR2007 项目其他情况

GLR2007 是一款细胞周期蛋白依赖性激酶 4/6 (CDK4/6) 抑制剂，为本公司自主研发的创新型小分子化学药物，周期蛋白依赖性激酶 (CDK) 是一类与细胞周期调控密切相关的关键调节因子，而细胞周期依赖性激酶 4 和 6 (CDK4/6) 是人体细胞分裂增殖周期的关键条件蛋白，在病理条件下，两种激酶过度活跃，表现出显著活性，与细胞周期蛋白 D (CyclinD) 结合，可磷酸化视网膜细胞瘤基因 (Rb)，从而释放转录因子 E2F，促进细胞周期相关基因的转录。CDK4/6 抑制剂可以有效阻断 CDK4/6 激酶的活性，恢复细胞周期控制，阻断肿瘤细胞增殖，进而抑制癌细胞的生长。

本次甘李药业在研创新药 GLR2007 成功获得美国食品和药品监督管理局 (FDA) 授予的孤儿药资格认定，用于治疗包括 GBM 在内的恶性胶质瘤。GBM 作为高级别胶质瘤，恶性程度高，美国国家癌症研究所估计，恶性胶质瘤发病率为每十万人二到三人，占有原发性脑部肿瘤的 52%，占有脑部肿瘤 (包括原发和转移瘤) 的 17%。目前临床上用于脑胶质瘤治疗的手段主要为手术切除结合 DNA 甲基化剂放疗和药物化疗，术后极易复发，患者五年生存率仍不足 5%。根据 GlobalData 2018 年发布的预测，到 2027 年全球 GBM 药物市场规模预计达到 14 亿美元，复合年增长率 (CAGR) 达 7.5%。

截至 2020 年 6 月 30 日，GLR2007 项目三个适应症累计研发投入 3,989 万元人民币。

三、本次取得 FDA 孤儿药认定的影响

根据美国 1983 年颁布的《孤儿药法案》(the Orphan Drug Act, ODA) 及最新修订，本次甘李药业在研产品获 FDA 孤儿药资格认定，项目的后续研发、注册及商业化等方面将享受一定的政策支持：(1) 市场独占权。获得认定的孤儿药经美国 FDA 批准上市后可享有 7 年的市场独占权，且不受专利的影响。(2) 税

收抵免。孤儿药用于后续临床试验费用的 50%可作为税收抵免,并向前延伸 3 年,向后延伸 15 年。(3) 免除新药申请费。

本次甘李药业 GLR2007 项目的 GBM 适应症获得孤儿药资格后,将获得与美国 FDA 直接沟通的通道,就后续项目研发及临床试验、注册申报等与美国 FDA 进行沟通与协商,并选择最佳方案推进,从而尽快实现药品获批上市。

甘李药业作为一家中国生物仿制药企业,正在研发的 GLR2007 项目中用于治疗 GBM 的孤儿药申请获得美国 FDA 的认定,体现出甘李药业在创新型小分子化学药物的平台技术、研发创新能力与水平上获得美国药监部门的进一步认可,将有助于甘李药业进一步推进 GLR2007 项目作为新药在全球的研发进度,并在一定程度上能够降低新药研发成本,加快完成新药临床试验和新药上市工作。

四、风险提示

1、本次获得孤儿药资格后,甘李药业仍需就 GLR2007 项目 GBM 适应症的后续临床试验、注册申报方案等与美国 FDA 进行沟通与协商,能否通过美国 FDA 的最终批准,获得上市尚存在不确定;

2、在 GLR2007 项目用于治疗包括胶质母细胞瘤在内的恶性胶质瘤的药品获得美国 FDA 上市批准之前,如有相同适应症的其他相同药物先行获得批准上市,则甘李药业需进一步证明 GLR2007 项目用于治疗包括胶质母细胞瘤在内的恶性胶质瘤的药品在临床上具有优效性,否则,将失去作为孤儿药享有市场独占权等政策支持,取得孤儿药资格认定后的价值也存在一定的不确定性;

公司将按国内外相关规定积极推进上述在研项目的后续进展,并根据相关法律法规,及时对项目的后续进展情况履行信息披露义务,敬请广大投资者谨慎决策,注意投资风险。

特此公告。

甘李药业股份有限公司董事会

2020 年 9 月 11 日