



再鼎医药合作伙伴argenx宣布美国食品药品监督管理局批准VYVGART™(efgartigimod alfa-fcab)上市用于治疗全身型重症肌无力

2021年12月17日

- VYVGART是首个且目前唯一获FDA批准的FcRn拮抗剂

- 在3期临床研究ADAPT中，第一个治疗周期内，68%(n=44/65) 乙酰胆碱受体抗体阳性全身型重症肌无力 (gMG) 患者在接受VYVGART治疗后其重症肌无力日常生活 (MG-ADL) 评分有应答，而安慰剂组应答者仅为30% (n=19/64) (p<0.0001)。

- 再鼎医药拥有在大中华区独家开发和商业化efgartigimod的权益，预计将于2022年中在国内提交新药上市申请

中国上海、美国旧金山和麻省剑桥，2021年12月17日 — 再鼎医药有限公司 (纳斯达克股票代码: ZLAB; 香港联交所股票代码: 9688)，一家以患者为中心的、处于商业化阶段的创新型全球生物制药公司，今日宣布其合作伙伴argenx (泛欧证券交易所和纳斯达克股票代码: ARGX)，一家致力于改善严重自身免疫性疾病及癌症患者生活质量的全球性免疫学公司，其VYVGART™ (efgartigimod alfa-fcab) 已获美国食品药品监督管理局 (FDA) 批准，用于治疗乙酰胆碱受体 (AChR) 抗体阳性的成人全身型重症肌无力 (gMG)，这部分患者约占gMG总体人群的85%[1]。基于此注册里程碑，VYVGART成为首个且目前唯一获FDA批准的FcRn拮抗剂。

argenx首席执行官Tim Van Hauwermeiren表示：“对于argenx公司及gMG患者群体，今天都是一个全新时代的开始，我们成功兑现了承诺，将一种创新的治疗选择带给这些饱受疾病困扰的广大患者。VYVGART的获批标志着我们取得的多项成就：这是我们第一款获批上市的产品；首个且目前唯一获FDA批准的FcRn拮抗剂；首个获批的专门针对减少致病性免疫球蛋白 (IgG) 这一gMG潜在驱动因素的疗法。重要的是，我们要感谢参与ADAPT研究的患者、护理人员、研究者和研究团队，以及我们的合作伙伴和员工，是他们的辛勤工作和合作使这一里程碑成为可能。”

他还表示：“我们的商业化团队已经就位，准备将VYVGART带给尽可能多的gMG患者。我们相信自身免疫领域即将迎来变革，我们希望这仅是VYVGART未来众多疾病领域中的首个获批适应症，期待未来能够帮助改善全球患者的生活。”

再鼎医药创始人、董事长兼首席执行官杜莹博士表示：“祝贺我们的合作伙伴argenx首个产品获批。中国大约有20万名全身型重症肌无力患者，我们希望尽快将efgartigimod带给具有巨大临床需求的这些自身免疫性疾病患者。我们将积极配合国家药品监督管理局工作，加速创新疗法惠及更多患者，满足他们尚未被满足的医疗需求。Efgartigimod有潜力成为中国治疗gMG的同类首创的FcRn疗法。”

全身型重症肌无力是一种罕见的慢性神经肌肉疾病，其特征是使人虚弱和可能危及生命的肌无力。VYVGART是一款人IgG1抗体片段，可与新生儿Fc受体 (FcRn) 结合并降低循环中的IgG抗体。乙酰胆碱受体自身抗体在神经肌肉接头处的作用是gMG的关键驱动因素。

临床研究数据

VYVGART的获批是基于全球3期临床研究ADAPT的结果，该结果已发表于2021年7月出版的《柳叶刀·神经病学》。ADAPT研究达到了主要研究终点，表明与安慰剂相比，VYVGART治疗后，有明显更多的乙酰胆碱受体抗体阳性 (AChR Ab+) 的全身型重症肌无力 (gMG) 患者是重症肌无力日常生活 (MG-ADL) 评分应答者 (68% 对比30%; p < 0.0001)。应答者定义为在第一个治疗周期内MG-ADL 评分至少改善2分且持续时间至少4周。

此外，VYVGART治疗后患者的定量重症肌无力评分 (QMG) 的应答率也明显高于安慰剂(63%对比 14%; p < 0.0001)。应答者定义为第一个治疗周期内QMG评分至少改善3分且持续时间至少4周。

ADAPT临床研究证实了VYVGART在gMG中具有良好的安全性。最常见的不良反应是呼吸道感染 (33%对比 29%安慰剂)、头痛 (32% 对比 29%安慰剂) 和尿路感染 (10% 对比5%安慰剂)。

目前，efgartigimod 用于治疗 gMG 的上市许可申请正在接受日本药品和医疗器械管理局 (PMDA) 和欧洲药品管理局 (EMA) 的审评，预计将分别在2022年第一季度和下半年做出决定。

参考资料：

[1] Behn et al. New Pathways and Therapeutics Targets in Autoimmune Myasthenia Gravis. J Neuromusc Dis 5. 2018. 265-277

关于VYVGART

VYVGART (efgartigimod alfa-fcab) 是一款人IgG1抗体片段，可与新生儿Fc受体 (FcRn) 结合并降低循环中的免疫球蛋白 (IgG) 抗体。VYVGART是首个且目前唯一获批的FcRn拮抗剂。VYVGART在美国获批用于治疗乙酰胆碱受体抗体阳性的成人全身型重症肌无力。

关于全身型重症肌无力

全身型重症肌无力（MG）是一种罕见的慢性自身免疫性疾病，其中免疫球蛋白G（IgG）抗体会破坏神经与肌肉之间的沟通，导致人体衰弱和可能危及生命的肌无力。超过85%的MG患者在发病24个月内进展为全身型重症肌无力（gMG），可能影响全身肌肉。确认有乙酰胆碱受体（AChR）抗体的患者约占gMG总人群的85%。

关于再鼎医药

再鼎医药（纳斯达克股票代码：ZLAB；香港联交所股票代码：9688）是一家以患者为中心的、处于商业化阶段的创新型全球生物制药公司，致力于通过创新疗法的开发和商业化解决肿瘤、自身免疫、感染性疾病和中枢神经系统领域未被满足的医疗需求。为达到这一目标，公司经验丰富的团队已与全球领先的生物制药公司建立了战略合作，打造起由创新的已上市和候选产品组成的丰富的产品管线。再鼎医药已建立起具有强大药物研发和转化研究能力的内部团队，正在打造拥有国际知识产权的候选药物管线。我们的愿景是成为一家领先的全球生物制药公司，研发、生产并销售创新产品，为促进全世界人类的健康福祉而努力。

再鼎医药前瞻性声明

本新闻稿包含关于未来预期、计划和展望的陈述，包括但不限于与在大中华区商业化efgartigimod的前景和计划相关的陈述。该等前瞻性陈述可能包括“旨在”、“预计”、“相信”、“有可能”、“估计”、“预期”、“预测”、“目标”、“打算”、“可能”、“计划”、“可能的”、“潜在”、“将”、“会”等词汇和其他类似表述。该等陈述构成《1995年美国私人证券诉讼改革法案》中定义的“前瞻性声明”。前瞻性声明并非对过往事实的陈述，亦非对未来表现的担保或保证。前瞻性声明基于我们截至本新闻稿发布之日的预期和假设，并且受到固有不确定性、风险以及可能与前瞻性声明所预期的情况存在重大差异的情势变更的影响。实际结果可能受各种重要因素的影响而与前瞻性声明所示存在重大差异，该等因素包括但不限于：(1)我们成功商业化自身已获批准上市产品并从中产生收入的能力；(2)我们为自身的运营和业务计划提供资金并为该等活动获取资金的能力；(3)我们候选产品的临床开发和临床前开发的结果；(4)相关监管机构对我们的候选产品作出审批决定的内容和时间；(5)新型冠状病毒（COVID-19）疫情对我们的业务和整体经济、监管和政治状况的影响；和(6)我们向美国证券交易委员会备案的最新年报或季报和其他报告中指出的风险因素。我们预计后续事件和发展将导致我们的预期和假设改变，但除法律要求之外，不论是出于新信息、未来事件或其他原因，我们均无义务更新或修订任何前瞻性声明。该等前瞻性声明不应被视为我们在本新闻稿发布之日后任何日期的意见而加以信赖。

关于再鼎医药的更多投资者相关信息，请登录www.SEC.gov或访问 www.zailaboratory.com。