

证券代码：300204

证券简称：舒泰神

公告编号：2024-20-01

舒泰神（北京）生物制药股份有限公司

关于注射用 STSP-0601 获得美国 FDA 孤儿药资格认定的公告

本公司及董事会全体成员保证信息披露内容的真实、准确和完整，没有虚假记载、误导性陈述或重大遗漏。

近日，舒泰神（北京）生物制药股份有限公司（以下简称“舒泰神”或“公司”）产品 bemiltenase alfa（STSP-0601）用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病适应症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。孤儿药又称罕见病药，是指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。现将有关情况公告如下：

一、基本情况

1、药品名称：注射用 STSP-0601

2、申请编号：DRU-2024-10074

3、适应症：用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病

4、申请人：舒泰神（北京）生物制药股份有限公司

5、审批结论：根据美国《联邦食品、药品和化妆品法案》（21 U.S.C. 360bb）第 526 条的规定，同意你公司关于 bemiltenase alfa（STSP-0601）用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病的孤儿药认定申请。请注意，所授予的认定比您在认定申请中提出的适应症范围更广，即“伴抑制物血友病 A 或 B 患者的出血治疗”包含在该孤儿药认定范围内。

二、药品的其他情况

血友病是一种 X 染色体连锁的隐性遗传性出血性疾病，其遗传特点是男性发病，女性携带。血友病可分为血友病 A 和血友病 B，前者表现为凝血因子 VIII（FVIII）缺乏，后者表现为凝血因子 IX（FIX）缺乏，均由相应的凝血因子基因突变引起。血友病的临床特征性表现为出血倾向。主要表现为关节、肌肉和深部组

织出血等。若反复出血，不及时治疗可导致关节畸形和（或）假肿瘤形成，严重者可危及生命。

注射用 STSP-0601 是国家 1 类治疗用生物制品，2019 年 07 月 31 日，国家药品监督管理局批准注射用 STSP-0601 开展临床试验，适应症为“伴抑制物的血友病 A 或 B 患者出血按需治疗”，已于 2021 年 08 月完成伴抑制物患者的 I 期临床试验（登记号：CTR20191930），安全性和耐受性良好；2021 年 09 月，启动了注射用 STSP-0601 Ib/II 期临床试验（登记号：CTR20211762）；2022 年 09 月，被纳入突破性治疗品种名单；2023 年 11 月，取得关于伴抑制物的血友病 A 或 B 患者出血按需治疗的 Ib/II 期临床试验临床研究总结报告。

2022 年 09 月，国家药品监督管理局批准注射用 STSP-0601 新增适应症开展临床试验，新增适应症为“不伴抑制物的血友病 A 或 B 患者出血按需治疗”；2023 年 01 月，完成 II 期临床试验的首例受试者给药；2023 年 12 月，取得关于不伴抑制物的血友病 A 或 B 患者出血按需治疗的 II 期临床总结报告。

三、本次获得美国 FDA 孤儿药认定的影响

本次注射用 STSP-0601 用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病适应症获得孤儿药资格认定后，有助于加快推进临床试验及上市注册的进度。同时，可享受一定的政策支持，包括但不限于临床试验费用的税收抵免、免除新药申请费、产品获批后将享受 7 年的市场独占权。

四、风险提示

本次获得孤儿药资格认定后，公司仍需就 STSP-0601 项目用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病适应症的后续临床试验、注册申报方案等与 FDA 进行沟通与协商，能否通过 FDA 的最终批准、获批上市及上市时间具有不确定性。获得 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。

公司本次取得注射用 STSP-0601 用于治疗 A 型血友病和 B 型血友病适应症的孤儿药资格认定后，不会对公司当前业绩产生重大影响。后续临床试验阶段是否顺利、能否获得生产批件、具备上市资格尚存在诸多不确定。公司将积极推进

上述研发项目，并按有关规定对该项目后续进展情况及时履行信息披露义务。

特此公告

舒泰神（北京）生物制药股份有限公司

董事会

2024年06月28日