



Efgartigimod新药上市申请获国家药品监督管理局正式受理，用于治疗全身型重症肌无力

2022年 7月 13日

Efgartigimod是中国首款新药上市申请获受理的FcRn拮抗剂，用于治疗全身型重症肌无力

中国上海、美国旧金山和马萨诸塞州剑桥，2022年7月13日 — 再鼎医药（纳斯达克股票代码：ZLAB；香港联交所股份代号：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宣布，国家药品监督管理局已经正式受理了同类首创的FcRn拮抗剂efgartigimod的新药上市申请，用于治疗全身型重症肌无力。

再鼎医药总裁、中枢神经系统、自身免疫及感染性疾病领域全球开发负责人任海睿博士表示：“很高兴国家药品监督管理局受理了efgartigimod静脉注射剂型的新药上市申请。这一重要的里程碑使我们朝着为全身型重症肌无力患者带来创新疗法的目标又迈进了一步。不幸罹患全身型重症肌无力这种复杂的、症状难以控制的自身免疫性疾病，患者面临着很多挑战。作为一家专注于为亟需有效治疗选择的疾病开发创新疗法的公司，我们将积极配合国家药监局工作，尽快惠及中国患者，解决大中华区全身型重症肌无力患者尚未被满足的临床需求。”

复旦大学附属华山医院神经内科副主任、华山罕见病中心工作小组主任赵重波教授表示：“据估计，中国大约有20万重症肌无力患者¹，他们缺少创新的治疗选择，临床上存在巨大的未满足需求。首先，很多难治型的患者和潜在发展为危象的患者，他们对现有治疗方法不敏感，严重情况时会致命。其次，长期使用糖皮质激素和免疫抑制剂会导致诸多副作用，患者难以耐受。此外，挽救治疗手段如静脉注射免疫球蛋白和血浆置换可及性不佳。因此，临床上亟需安全有效的精准治疗方案改善患者的治疗结局和生活质量。我们很高兴看到efgartigimod在中国内地的上市申请已被受理。Efgartigimod是一种通过内源性减少致病性抗体而直接靶向疾病病理生理核心的新型治疗药物。在先前完成的临床研究中，efgartigimod已经证实了其在起效时间、疗效、安全性等方面特点突出。作为临床医生，我们感谢再鼎医药对中国全身型重症肌无力患者的支持。”

2021年12月和2022年1月，efgartigimod静脉注射剂型 (VYVGART®) 先后被美国食品药品监督管理局 (FDA) 和日本厚生劳动省 (MHLW) 批准上市。

Efgartigimod是首个且目前唯一获批的FcRn拮抗剂，在美国使用商品名VYVGART®上市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，在日本获批用于治疗对类固醇或非类固醇免疫抑制疗法 (ISTs) 没有充分应答的全身型重症肌无力成人患者。美国和日本的获批是基于efgartigimod关键性3期ADAPT研究中的药代动力学/药效学 (PK/PD)、疗效和安全性数据的综合结果²。

*本文提及的药物和相关适应证尚未在中国内地获批/上市。

关于efgartigimod (VYVGART®)

Efgartigimod是一款抗体片段，旨在减少致病性免疫球蛋白G (IgG) 抗体并阻断IgG循环。Efgartigimod可与新生儿Fc受体 (FcRn) 结合，FcRn在全身中都有广泛表达，在阻止IgG抗体的降解过程中起着核心作用。阻断FcRn可降低IgG抗体表达水平，可潜在治疗已知由致病性IgG抗体驱动导致的自身免疫性疾病，包括：重症肌无力 (MG)，一种导致肌肉无力的慢性疾病；寻常型天疱疮 (PV)，一种以皮肤严重起疱为特征的慢性皮肤疾病；原发性免疫性血小板减少症 (ITP)，一种表现为瘀斑和出血的慢性疾病；慢性炎性脱髓鞘性多发性神经根神经病 (CIDP)，一种神经系统受损导致运动障碍的疾病。

Efgartigimod是首个也是目前唯一在美国和日本获批用于成人全身型重症肌无力治疗的FcRn拮抗剂。Efgartigimod正在ITP和其他IgG抗体介导的自身免疫性疾病成人患者中开展临床研究。

再鼎医药与argenx达成独家授权合作，在大中华区开发和商业化efgartigimod。

关于3期临床研究ADAPT

3期临床研究ADAPT是一项随机、双盲、安慰剂对照的全球性、多中心临床研究，旨在评估efgartigimod在全身型重症肌无力 (gMG) 患者中的安全性和疗效。北美、欧洲和日本共有167名成人gMG患者入组该研究并接受了治疗。无论抗体状态如何，患者均有资格入组ADAPT研究，包括乙酰胆碱受体抗体阳性 (AChR-Ab+) 患者和未检测到AChR抗体的患者。患者以1:1的比例随机分配接受efgartigimod或安慰剂，共治疗26周。ADAPT研究旨在实现个体化治疗方式，包括初始治疗周期和可变数量的后续治疗周期。该研究主要终点是重症肌无力日常活动评分 (MG-ADL) 实现应答 (连续4周或以上至少改善2分) 的AChR-Ab+患者数量。

关于重症肌无力

重症肌无力 (MG) 是一种罕见的慢性自身免疫性疾病，常常会导致人体衰弱和可能危及生命的肌无力。据估计，中国大约有20万重症肌无力患者。超过85%的MG患者在发病18个月内进展为全身型重症肌无力 (gMG)，可能影响全身骨骼肌，进而导致虚弱和早期疲劳。临床医生经常会遇到gMG患者复视和面部表情、言语、吞咽和活动困难。在更危及生命的情况下，MG能够影响控制呼吸的肌肉。在中国，当前的主要治疗方案包括胆碱酯酶抑制

剂、糖皮质激素、免疫抑制剂和静脉注射免疫球蛋白等，但临床上缺少高级别循证医学证据支持的创新治疗手段，存在巨大的未满足需求。

参考资料：

1. Nationwide population-based epidemiological study of myasthenia gravis in Taiwan, 2010.
2. Safety, efficacy, and tolerability of efgartigimod in patients with generalized myasthenia gravis (ADAPT): a multicenter, randomized, placebo-controlled, phase 3 trial, The Lancet Neurology, 2021.

关于再鼎医药

再鼎医药（纳斯达克股票代码：ZLAB；香港联交所股份代号：9688）是一家总部位于中国和美国、以研发为基础、处于商业化阶段的创新型生物制药公司，专注于为中国及全球患者提供肿瘤、自身免疫、感染性疾病和中枢神经系统领域的变革性药物。我们的目标是利用自身能力及资源为全球患者带来健康福祉。

有关再鼎医药的更多信息，包括我们的产品、业务活动和合作伙伴关系、研究或其他事件或发展信息，请访问www.zailaboratory.com或关注微信公众号：再鼎医药。

再鼎医药前瞻性声明

本新闻稿包含有关临床研究、数据结果和展示、我们的临床研发项目（包括在中国开展的重症肌无力治疗研发项目）、商业化业务和管线项目潜力，以及药物研发和商业化相关的风险和不确定性的前瞻性声明。该等前瞻性声明可能包括“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。该等声明构成《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；(6)与在中国经营有关的风险；和(7)我们向美国证券交易委员会备案的最新年报和季报以及其他报告中指出的其他因素。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。

有关我们向美国证券交易委员会提交文件的更多资料，请访问www.zailaboratory.com 和 www.SEC.gov。

有关更多信息，敬请垂询：

投资者关系：章利娜

+86 136 8257 6943

lina.zhang@zailaboratory.com

媒体：Jennifer Chang / Xiaoyu Chen

+1 (917) 446 3140 / +86 185 0015 5011

jennifer.chang@zailaboratory.com / xiaoyu.chen@zailaboratory.com

Zai Lab Limited



Source: Zai Lab Limited