

香港交易及結算所有限公司、香港聯合交易所有限公司及香港中央結算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，概不就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。



CARsgen Therapeutics Holdings Limited

科濟藥業控股有限公司

(於開曼群島註冊成立的有限公司)

(股份代號：2171)

內幕消息公告

國家藥品監督管理局批准BCMA CAR-T產品賽愷澤®

(澤沃基奧侖賽注射液)

**新藥上市申請用於治療復發或難治性多發性
骨髓瘤成人患者，既往經過至少3線治療後進展
(至少使用過一種蛋白酶體抑制劑及免疫調節劑)**

本公告由科濟藥業控股有限公司(「本公司」，連同其附屬公司及併表聯屬實體統稱「本集團」或「科濟藥業」)作出，根據《香港聯合交易所有限公司證券上市規則》(「上市規則」)第13.09(2)(a)和《證券期貨條例》(香港法例571章)第XIVA部的內幕消息條款(如上市規則所定義)。

本公司董事會(「董事會」)欣然宣佈，國家藥品監督管理局(「NMPA」)已經正式批准賽愷澤®(澤沃基奧侖賽注射液，產品編號：CT053，一種針對BCMA的自體CAR-T候選產品)的新藥上市申請(「NDA」)，用於治療復發或難治性多發性骨髓瘤成人患者，既往經過至少3線治療後進展(至少使用過一種蛋白酶體抑制劑及免疫調節劑)。

賽愷澤®是一種自體BCMA靶向CAR-T細胞產品，它是通過慢病毒轉導T細胞產生的。慢病毒編碼的CAR包括全人源BCMA特異性單鏈可變片段(「scFv」)，人CD8 α 鉸鏈結構域、CD8 α 跨膜結構域、4-1 BB協同刺激結構域以及CD3 ζ 激活結構域。自研的新全人源scFv具有較高的結合親和力和穩定性。

賽愷澤®的獲批是基於一項在中國進行的開放標籤、單臂、多中心II期的臨床試驗(LUMMICAR STUDY 1, NCT03975907)。根據2022年美國血液學會(「ASH」)公佈的試驗結果，賽愷澤®表現出令人鼓舞的療效和良好的安全性。

多發性骨髓瘤是一種難治性的惡性漿細胞疾病，約佔所有血液腫瘤的10%。¹隨著中國老齡化的加速以及人口平均預期壽命的提高，預計多發性骨髓瘤患病人數將持續增加，根據Frost and Sullivan估計，2023年中國多發性骨髓瘤的患病人數大約為15.3萬人，新發病例數為2.32萬人，預計中國多發性骨髓瘤的患病人數於2030年將增長至26.63萬人。²

關於賽愷澤®

賽愷澤®是一種用於治療復發或難治性多發性骨髓瘤的全人抗自體BCMA CAR-T細胞產品。科濟藥業於2024年3月1日收到國家藥品監督管理局的通知，批准賽愷澤®新藥上市申請(批准日期2024年2月23日)，用於治療復發或難治性多發性骨髓瘤成人患者，既往經過至少3線治療後進展(至少使用過一種蛋白酶體抑制劑及免疫調節劑)。科濟藥業正在北美推進1b/2期臨床試驗(LUMMICAR STUDY 2)，以評估賽愷澤®用於治療復發或難治性多發性骨髓瘤的安全性及療效。

賽愷澤®於2019年獲得美國FDA的再生醫學先進療法(RMAT)及孤兒藥稱號，以及先後於2019年及2020年獲得歐洲藥品管理局(EMA)的優先藥物(PRIME)及孤兒藥產品稱號。賽愷澤®也於2020年獲得國家藥品監督管理局的突破性治療藥物品種。

關於本公司

科濟藥業是一家在中國及美國擁有業務的生物製藥公司，主要專注於治療血液惡性腫瘤和實體瘤的創新CAR-T細胞療法。科濟藥業建立了從靶點發現、創新型CAR-T細胞研製、臨床試驗到商業規模生產的CAR-T細胞研究與開發平台。科濟藥業通過自主研發新技術以及擁有全球權益的產品管線，以解決CAR-T細胞療法的重大挑戰，比如提高安全性，提高治療實體瘤的療效和降低治療成本。科濟藥業的使命是成為能為全球癌症患者帶來創新和差異化的細胞療法，並使癌症可治癒的全球生物製藥領導者。

釋義及科技詞彙

「BCMA」	指	B細胞成熟抗原，多種血液惡性腫瘤過度表達的蛋白質
「CAR」	指	嵌合抗原受體
「CAR-T」	指	嵌合抗原受體T細胞
「CD3」	指	一種蛋白質複合物及T細胞共受體，可同時激活細胞毒性T細胞及T輔助細胞
「CD8」	指	一種跨膜糖蛋白，作為T細胞受體(TCR)的共受體，在T細胞信號傳導和協助細胞毒性T細胞－抗原相互作用中起作用

「確證性試驗」 或「關鍵試驗」	指	為證明申報藥物上市批准之前所需臨床效果及安全性證據而進行的試驗或研究
「EMA」	指	歐洲藥品管理局
「FDA」或 「美國FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「MM」或 「R/R MM」	指	多發性骨髓瘤，一種於漿細胞中形成的癌症；出現復發或治療無效的多發性骨髓瘤稱為復發或難治性多發性骨髓瘤
「國家藥品 監督管理局」	指	國家藥品監督管理局，即國家食品藥品監督管理總局（國家食品藥品監管總局）、國家食品藥品監督管理局（國家食品藥品監管局）及國家藥品監督管理局(SDA)的繼任部門
「Ib期」	指	II期臨床試驗或III期臨床試驗開始前的一個臨床試驗階段，此階段主要評估不同劑量水平的安全性、耐受性及藥代動力學／藥效學
「II期臨床試驗」	指	對有限數量的患者群體給藥的研究，以確定可能的不良反應及安全風險，初步評價該藥物對特定目標疾病的療效，並確定劑量耐受性及最佳劑量
「優先藥品」	指	一項由歐洲藥品管理局發起的計劃，旨在為醫藥研究者提供早期支持，以優化藥品效益和風險數據的生成，並加快對藥品申請的評估，且這種藥品旨在解決未被滿足的醫療需求，並具有優於現有治療的優勢
「再生醫學先進 療法」或 「RMAT」	指	FDA授予包括細胞治療在內的再生醫學療法的特殊狀態，有初步的臨床證據表明該治療具有潛力治療嚴重或威脅生命的疾病或狀態，以解決未被滿足的醫療需求
「美國」	指	美利堅合眾國、其領土、屬地及受其司法管轄的所有地區
「4-1 BB」	指	一種共刺激分子，具有刺激T細胞增殖、樹突狀細胞成熟和促進B細胞抗體分泌的作用

參考文獻

1. Kyle RA, Rajkumar SV. Multiple myeloma. N Engl J Med. 2004;351:1860-1873.
2. Frost and Sullivan. Cellular Immunotherapy Market. Independent Market Research version March, 2021. Data on file.

香港聯合交易所有限公司證券上市規則第18A.05條規定的警示聲明：本公司無法確保其將能成功開發或最終成功銷售賽愷澤®。本公司股東及潛在投資者在買賣本公司股份時務請審慎行事。

關於前瞻性聲明的警示說明

本公告中所有不屬於歷史事實或與當前事實或當前條件無關的陳述都是前瞻性陳述。此類前瞻性聲明表達了本集團截至本公告發佈之日對未來事件的當前觀點、預測、信念和預期。此類前瞻性聲明是基於本集團無法控制的一些假設和因素。因此，它們受到重大風險和不確定性的影響，實際事件或結果可能與這些前瞻性聲明有重大差異，本公告中討論的前瞻性事件可能不會發生。這些風險和不確定性包括但不限於我們最近的年度報告和中期報告以及在我們公司網站<https://www.carsgen.com>上發佈的其他公告和報告中「主要風險和不確定性」標題下的詳細內容。對於本公告中的任何預測、目標、估計或預測的實現或合理性，我們不作任何陳述或保證，也不應依賴這些預測。

承董事會命
科濟藥業控股有限公司
董事長
李宗海博士

香港，2024年3月1日

於本公告日期，本公司董事會包括執行董事李宗海博士、王華茂博士及蔣華博士；非執行董事郭炳森先生、郭華清先生及謝榕剛先生；獨立非執行董事顏光美博士、李華兵博士及趙向可女士。

本公告之中英文版本如有任何歧義，概以英文版本為準。