

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告之內容概不負責，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。



**Grand Pharmaceutical Group Limited**

**遠大醫藥集團有限公司\***

(於百慕達註冊成立之有限公司)

(股份代號: 00512)

自願性公告

### 卡谷氨酸分散片獲頒發藥品註冊證書

本公告乃遠大醫藥集團有限公司（「本公司」，連同其附屬公司統稱「本集團」）之董事會（「董事會」）自願刊發。

董事會欣然公告，本集團自主研發的用於治療成人或兒童由 N-乙酰谷氨酸合成酶（「NAGS」）缺乏症、異戊酸血症（IVA）、甲基丙二酸血症（「MMA」）或丙酸血症（「PA」）所引起的高氨血症的卡谷氨酸分散片，近日獲得中華人民共和國國家藥品監督管理局頒發藥品註冊證書，該產品為中國首仿上市產品，這是本集團在心腦血管急救領域罕見病方向的重大研發進展。

先天遺傳性高氨血症是由尿素循環或尿素循環以外的代謝旁路特異性酶缺陷所引起的以血氨水平異常升高、中樞神經系統功能障礙為主要表現的代謝障礙綜合症。高氨血症是臨床上的危重症，過高的血氨濃度對神經系統具有很強的毒性，可影響神經系統能量代謝、抑制神經傳導進而引發神經功能障礙，同時亦可導致腦水腫甚至腦疝，對大腦造成不可逆轉的損害，嚴重者可出現昏迷、呼吸困難甚至死亡。引起先天遺傳性高氨血症的原因主要有兩方面，一是尿素循環系統的關鍵酶缺失導致的尿素循環障礙，如 NAGS 缺乏症；二是其他代謝旁路關鍵酶缺陷引發的有機酸血症抑制 NAGS 等尿素循環關鍵酶活性所導致的尿素循環障礙。目前臨床上主要採用藥物降低血氨濃度來緩解病情，大多數患者需要長期用藥。由於此類疾病屬於罕見病，針對性的治療藥物較少，日均治療費用上千元人民幣，患者的醫療負擔較重。

卡谷氨酸是 N-乙酰谷氨酸(「NAG」)結構類似物，是氨甲酰磷酸合成酶 1(CPS1)的變構激活劑，可以與未合成的碳酸氫銨結合，生成 NAG，從而刺激尿素循環，幫助氨轉化為尿素，降低血氨濃度，改善或防止由於高氨血症引發的腦損傷。臨床試驗表明，卡谷氨酸分散片對 NAGS 缺乏症高氨血症患者具有顯著的療效和良好的安全性，能夠快速降低血氨水平，在 24 小時內使血氨水平降至正常範圍，並能夠長期維持血氨水平的穩定。目前，卡谷氨酸分散片已經在歐美等多個國家和地區上市，並被納入美國食品藥品監督管理局(「FDA」)的孤兒藥品目錄，是 FDA 批准的第一種也是唯一一種用於治療由 PA 和 MMA 引發的高氨血症的藥物。本集團的卡谷氨酸分散片在中國首仿上市，不僅為臨床提供了安全有效的治療手段，同時也有望降低先天遺傳性高氨血症患者的醫療負擔。

心腦血管急救板塊是本集團製藥科技領域重點佈局的方向之一，作為「國家基本用藥生產基地」、「國家戰備儲備急救用藥生產企業」、「國家小品種藥(短缺藥)集中生產基地建設單位」，本集團心腦血管急救板塊擁有近 30 個品種，其中 14 個品種納入了國家急搶救藥品目錄，16 個品種納入了短缺藥品目錄，產品管線數量位居行業前列。目前心腦血管急救板塊在研產品超過 20 款，其中罕見病方面除了此次卡谷氨酸分散片獲批上市外，用於治療韋斯特綜合症的氨己烯酸口服溶液散已遞交了上市申請，其他多款罕見病藥物的研發也在順利推進中。作為人類面臨的最大醫學挑戰之一，與其他疾病相比，罕見病患者的臨床診療更為複雜和困難，全球目前僅有 5%的罕見病存在有效的治療手段且治療費用昂貴，大部分罕見病患者依然面臨著「無藥可用」或是「天價藥費」的困境，為了滿足罕見病領域的臨床需求，響應政府和社會的號召，承擔醫藥企業的社會責任，本集團將會繼續加大罕見病藥物的開發，為罕見病患者帶來更多的安全有效的治療手段，並持續為減輕患者負擔貢獻力量。

本集團一直高度重視創新產品和先進技術的研發，以患者需求為核心，以科技創新為驅動，針對尚未滿足的臨床需求，加大對全球創新產品和先進技術的投入，豐富和完善產品管線及產業佈局，採用「全球化運營佈局，雙循環經營發展」策略，形成國內國際雙循環聯動發展並相互促進的新格局，充分發揮本集團的產業優勢和研發實力，快速將科技創新產品落地上市，為全球患者提供更先進更多樣的治療方案。

**警告：**

上述產品的生產和銷售，以及所帶來的收益均會受到市場變化等諸多因素影響。本公司股東及潛在投資者在買賣本公司證券時務請小心謹慎。

註：於本公告中，機構及產品之中文譯名為非官方翻譯，僅為作展示用途。

承董事會命  
遠大醫藥集團有限公司  
主席  
唐緯坤博士

香港，二零二三年九月十二日

於本公告日期，董事會由四名執行董事唐緯坤博士、周超先生、史琳博士及楊光先生，及三名獨立非執行董事蘇彩雲女士、裴更博士及胡野碧先生組成。

\* 僅供識別