

万邦德医药控股集团股份有限公司 关于子公司产品获得美国FDA孤儿药认定的公告

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

万邦德医药控股集团股份有限公司（以下简称“公司”）全资子公司万邦德制药集团有限公司于2025年2月13日收到美国食品药品监督管理局（以下简称“FDA”）的认定函，甲钴胺用于治疗肌萎缩侧索硬化（ALS，也称渐冻症）获得FDA授予的孤儿药资格认定。

一、资格认定的情况

公司于2024年11月向FDA提交关于甲钴胺用于治疗肌萎缩侧索硬化孤儿药资格认定的相关申请，申请号RU-2024-10575，获得FDA回函确认：“根据《联邦食品、药品和化妆品法》(21U.S.C. 360bb)第526条，贵司提交的甲钴胺治疗肌萎缩性侧索硬化症的孤儿药认定申请获得批准。”

二、药物的基本情况

肌萎缩侧索硬化症(Amyotrophic Lateral Sclerosis, ALS)，也称渐冻症，是一种因运动神经元受损而引起的神经系统疾病，常见症状包括肌肉无力、肌肉萎缩、肌束颤动、肌肉痉挛抽搐、运动功能丧失、言语及吞咽困难、呼吸功能障碍、情绪及认知改变等。肌萎缩侧索硬化是一种致命疾病，目前尚无已知的治疗方法可以阻止或逆转ALS的发展，确诊后平均生存期为2-5年。根据美国国家ALS登记数据(National ALS Registry)，美国平均患病率估计为每10万人中4.4例；根据《神经病学杂志(Journal of Neurology)》的相关数据，全球平均患病率估计为每10万人中4.42例。

甲钴胺是甲硫氨酸合成酶的辅酶，催化同型半胱氨酸转化为甲硫氨酸，从而维持甲基化循环平衡并降低同型半胱氨酸的神经毒性。临床证据显示ALS患者脑

脊液中同型半胱氨酸水平显著升高。甲钴胺通过代谢调控减少同型半胱氨酸蓄积，同时直接保护神经元免受谷氨酸毒性，并在动物模型中促进神经再生与修复，如改善坐骨神经损伤和糖尿病神经病变中的传导功能，突显其双重神经保护机制及在治疗神经退行性疾病中的潜在价值。

甲钴胺冻干粉针剂于 2024 年 9 月在日本获批用于渐冻症的治疗。美国尚无甲钴胺药品上市。

三、本次获得美国 FDA 孤儿药认定的影响

本次甲钴胺治疗肌萎缩侧索硬化适应症获得 FDA 孤儿药资格认定，加快公司产品国际化战略布局。FDA 为鼓励罕见病治疗药物的开发而设立的孤儿药资格认定，为新药开发提供一系列的激励，公司将有机会在产品研发、注册及商业化等方面享受美国的政策支持，包括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 年的市场独占权等。

四、风险提示

本次获得孤儿药资格认定，公司还需按照 FDA 的规范要求进行甲钴胺用于肌萎缩侧索硬化适应症临床试验申请，临床试验批准、临床试验结果及上市申请均具有不确定性。

由于药品研发具有高风险、高附加值的特点，药品的前期研发、临床试验报批到投产的周期长、环节多，容易受到一些不确定性因素的影响，敬请广大投资者谨慎决策，注意防范投资风险。

特此公告。

万邦德医药控股集团股份有限公司

董 事 会

二〇二五年二月十八日