

证券代码：002294

证券简称：信立泰

编号：2025-024

深圳信立泰药业股份有限公司

关于 YOLT-101

药品临床试验申请获得受理的公告

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，深圳信立泰药业股份有限公司（下称“公司”）收到国家药品监督管理局核准签发的受理通知书，公司引进的创新基因编辑药物 YOLT-101 注射液（下称“YOLT-101”）临床试验申请获得受理。

现就相关信息公告如下：

一、药品基本情况

药品名称：YOLT-101 注射液

申请事项：境内生产药品注册临床试验

注册分类：1 类

药品类型：治疗用生物制品

受理号：CXSL2500313

申请人：尧唐（南京）生物科技有限公司、深圳信立泰药业股份有限公司

受理说明：根据《中华人民共和国行政许可法》第三十二条的规定，经审查，决定予以受理。

自受理之日起 60 日内，未收到药审中心否定或质疑意见的，申请人可以按照提交的方案开展临床试验。

二、其他相关情况

YOLT-101 是公司从尧唐（上海）生物科技有限公司（下称“尧唐生物”）引进的靶向 PCSK9 碱基编辑药物，拟开发适应症包括家族性高胆固醇血症等。

YOLT-101 由包裹在脂质纳米颗粒（LNP）中的 YolBE（碱基编辑器）和引导 RNA（gRNA）组成。YOLT-101 通过 LNP 介导的肝脏靶向作用，经肝脏细胞表面的低密度脂蛋白受体（LDLR）介导的内吞进入肝细胞，释放碱基编辑器和 gRNA，两者形成 YolBE-gRNA 复合体，靶向 PCSK9 基因特定序列，在特定位点进行碱基编辑，从而关闭基因表达，抑制 PCSK9 对 LDLR 的降解，增加 LDLR 与 LDL-C（低密度脂蛋白胆固醇）的结合，从而有效清除血液中 LDL-C，以期最终达到治疗家族性高胆固醇血症的目的。

目前，在临床实践中，主要降胆固醇药物包括他汀类药物、胆固醇吸收抑制剂、PCSK9 抑制剂及其他降脂药。PCSK9 靶点是一个经典的胆固醇代谢相关基因，一小部分人天然 PCSK9 基因具有功能缺失突变，大量人类遗传学研究数据表明，携带 PCSK9 功能缺失突变的个体血液中 LDL-C 含量显著降低，对心血管疾病有明显的保护作用。近年来，临床研究发现 PCSK9 单克隆抗体无论单独应用或与他汀类药物联合应用均明显降低血清 LDL-C 水平，同时可改善其他血脂指标，并明显增加心血管获益。基于多项循证医学研究，多个国内及欧美的血脂指南或共识对 PCSK9 抑制剂进行了推荐。

相比较现有 PCSK9 抗体、siRNA 药物等治疗方法，YOLT-101 作为 PCSK9 碱基编辑药物，可在 DNA 水平编辑 PCSK9 基因的单个碱基，降低靶蛋白表达。如能研发成功，将有望显著提高家族性高胆固醇血症患者服药依从性，为 FH 疾病提供更便捷的全新治疗选择。

（相关内容详见 2024 年 8 月 27 日登载于信息披露媒体《中国证券报》、《证券时报》、巨潮资讯网 www.cninfo.com.cn 的《关于获得碱基编辑药物 YOLT-101 独家许可权益的公告》）

该产品临床申请获得受理后，尚需获得临床试验默示许可、按国家药品注册的相关规定和要求开展临床试验，待临床试验成功后按程序注册申报。根据普遍的行业特点，药品研发周期长、风险较高，从临床到上市受到多方面因素影响，

存在不确定性，短期内对公司业绩不会产生实际影响。公司将按规定对有关后续进展情况及时履行信息披露义务，敬请广大投资者理性投资，注意风险。

特此公告

深圳信立泰药业股份有限公司

董事会

二〇二五年四月十八日