

君實生物特瑞普利單抗治療軟組織肉瘤獲得美國 FDA 孤兒藥資格認定

北京時間 2020 年 9 月 17 日，君實生物（1877.HK，688180.SH）宣佈，由公司自主研發的抗 PD-1 單抗特瑞普利單抗（拓益[®]）用於治療軟組織肉瘤獲得美國食品藥品監督管理局（FDA）授予的孤兒藥資格認定（Orphan-drug Designation）。這是特瑞普利單抗獲得的第三個孤兒藥資格認定，此前特瑞普利單抗治療黏膜黑色素瘤及鼻咽癌已分別獲得 FDA 孤兒藥資格認定。

孤兒藥（Orphan-drug）又稱為罕見病藥，指用於預防、治療、診斷罕見病的藥品。本次獲得 FDA 頒發的孤兒藥資格認定，有助於特瑞普利單抗在美國的後續研發、註冊及商業化等方面享受一定的政策支援，一般情況下包括但不限於（1）臨床試驗費用相應的稅收抵免；（2）免除新藥申請費；（3）享有 7 年的市場獨佔權且不受專利的影響。本次認定將在一定程度上降低新藥研發投入，加快推進臨床試驗及上市註冊的進度。

軟組織肉瘤為罕見的異質性腫瘤，其病理類型複雜、腫瘤異質性明顯，目前臨床治療軟組織肉瘤的藥物主要為細胞毒類抗腫瘤藥物，其不良反應相對較大，而免疫治療藥物則較為缺乏，因此對免疫治療藥物的開發具有重要的臨床意義和價值。

特瑞普利單抗是中國首個成功上市的自主研發抗 PD-1 單抗藥物，自 2016 年初開始臨床研發，至今已在中、美等多國開展了覆蓋十餘個瘤種的 30 多項臨床研究。其獲批的第一個適應症為既往接受全身系統治療失敗的不可切除或轉移性黑色素瘤的治療，另有鼻咽癌和尿路上皮癌兩項新適應症上市申請已被國家藥品監督管理局（NMPA）受理並納入優先審評程式。

2020 年 3 月和 5 月，美國 FDA 先後向特瑞普利單抗頒發了黏膜黑色素瘤和鼻咽癌兩項適應症的孤兒藥資格認定。2020 年 9 月，特瑞普利單抗憑藉其在鼻咽癌治療領域已展示出的臨床療效，在美國“再下一城”，獲得 FDA 授予的突破性療法認定，成為首個獲得 FDA 突破性療法認定的國產抗 PD-1 單抗藥物。

—— 完 ——

關於特瑞普利單抗注射液（拓益[®]）

特瑞普利單抗注射液（拓益[®]）作為我國批准上市的首個國產以 PD-1 為靶點的單抗藥物，獲得國家科技重大專項專案支持。本品獲批的第一個適應症為既往接受全身系統治療失敗的不可切除或轉移性黑色素瘤的治療，並獲得 2019 年版《中國臨床腫瘤學會（CSCO）黑色素瘤診療指南》推薦。本品的上市批准對解決我國腫瘤患者臨床用藥選擇具有積極意義。

拓益[®]自 2016 年初開始臨床研發，至今已在全球開展了 30 多項臨床研究，積極探索本品在鼻咽癌、尿路上皮癌、肺癌、胃癌、食管癌、肝癌、乳腺癌、腎癌等適應證的療效，與國內外領先創新藥企的聯合療法合作也在進行當中，期待讓更多中國以及其它國家的患者獲得國際先進水準的腫瘤免疫治療。

關於君實生物

君實生物（1877.HK, 688180.SH）成立於 2012 年 12 月，是一家以創新為驅動，致力於創新療法的發現、開發和商業化的生物製藥公司。公司具有豐富的在研產品管線，包括 26 個創新藥，2 個生物類似物，覆蓋五大治療領域，包括惡性腫瘤、自身免疫系統疾病、慢性代謝類疾病、神經系統類疾病以及感染性疾病。

憑藉蛋白質工程核心平臺技術，君實生物身處國際大分子藥物研發前沿，獲得了首個國產抗 PD-1 單克隆抗體 NMPA 上市批准、國產抗 PCSK9 單克隆抗體 NMPA 臨床申請批准、全球首個治療腫瘤抗 BTLA 阻斷抗體在中國 NMPA 和美國 FDA 的臨床申請批准。今年，君實生物還與國內科研機構攜手抗疫，共同開發的 JS016 已作為國內首個抗新冠病毒單克隆中和抗體進入臨床試驗，用本土創新為中國和世界疾病預防控制貢獻力量。目前君實生物在全球擁有近兩千名員工，分佈在美國三藩市和馬里蘭，中國上海、蘇州、北京和廣州。

官方網站：www.junshipharma.com

官方微信：君實生物

新聞稿

