

君實生物特瑞普利單抗治療小細胞肺癌獲得美國 FDA 孤兒藥資格認定

北京時間 2022 年 4 月 13 日，君實生物（1877.HK，688180.SH）宣佈，由公司自主研發的抗 PD-1 單抗藥物特瑞普利單抗用於治療小細胞肺癌（SCLC）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五項孤兒藥資格認定，此前特瑞普利單抗治療黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、軟組織肉瘤及食管癌已分別獲得 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。FDA 授予的孤兒藥資格認定適用於在美國地區針對少於 20 萬患者的罕見病的藥物和生物製劑。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持，包括但不限於（1）臨床試驗費用的稅收抵免；（2）免除新藥申請費；（3）上市後享有 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。

肺癌是目前全球發病率第二、死亡率第一的惡性腫瘤¹。根據 GLOBOCAN 2020 發佈的資料顯示，2020 年全球肺癌死亡病例數近 180 萬，占總體癌症死亡的 18%¹。小細胞肺癌（SCLC）是肺癌中侵襲性最強的亞型²，約占所有肺癌病例的 15%-20%³，具有進展迅速、早期轉移等特點⁴，約 2/3 的患者初診時已有明顯的轉移徵象⁵。SCLC 患者的初期化療效果良好，但耐藥、復發率較高，預後較差，五年生存率約為 20%，其中廣泛期小細胞肺癌患者的五年生存率低於 5%。對 SCLC 的治療仍是臨床未解決的一大難題。

目前，君實生物正在開展一項針對小細胞肺癌的註冊臨床研究——JUPITER-08 研究（NCT04012606），並已完成受試者入組。JUPITER-08 是一項隨機、雙盲、安慰劑對照、多中心的 III 期研究，旨在評估特瑞普利單抗聯合依託泊苷及鉑類與安慰劑聯合依託泊苷及鉑類在一線治療廣泛期小細胞肺癌中的有效性和安全性。

“目前對於肺癌不同亞型的新療法開發存在明顯差異。在化療基礎上聯合包括特瑞普利單抗在內的腫瘤免疫藥物已在無致癌突變的非小細胞肺癌治療中顯示出生存上的改善，而小細胞肺癌患者的治療手段仍然十分局限，”君實生物首席醫學官 Patricia Keegan 博士表示，“非常感謝 FDA 對我們為小細胞肺癌患者開發新療法所付出的努力給予肯定。我們也期待特瑞普利單抗能夠在 JUPITER-08 研究中相比化療取得更好的進步。”

特瑞普利單抗由君實生物獨立研發，具有全球範圍內的完全自主智慧財產權，是我國首個成功上市的國產以 PD-1 為靶點的單抗藥物，用於多種惡性腫瘤治療。截至目前，該藥物在中國、美國、東南亞和歐洲等地累計開展了覆蓋超過 15 個適應症的 30 多項臨床試驗。2021 年，特瑞普利單抗作為首個國產抗 PD-1 單抗在美國滾動提交了生物製品許可申請（BLA），目前正在審評中。為加速其在美國的開發和審評程式，FDA 已授予特瑞普利單抗 2 項突破性療法認定、1 項快速通道認定、1 項優先審評認定和 5 項孤兒藥資格認定。

參考文獻

1. 曹毛毛, 陳萬青. GLOBOCAN 2020 全球癌症統計資料解讀[J].中國醫學前沿雜誌(電子版), 2021,13(3):63-69.
2. 張爽等.小細胞肺癌個體化治療進展[J].中國腫瘤臨床,2017,44(12):571-576.
3. Gaspar LE, et al. Small-cell lung cancer: prognostic factors and changing treatment over 15 years. Clin Lung Cancer. 2012 Mar;13(2):115-22.
4. Pesch B, et al. Cigarette smoking and lung cancer--relative risk estimates for the major histological types from a pooled analysis of case-control studies. Int J Cancer. 2012 Sep 1;131(5):1210-9.
5. Thatcher N, et al. Management of small-cell lung cancer. Ann Oncol. 2005;16 Suppl 2:ii235-9.

—— 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，並榮膺國家專利領域最高獎項“中國專利金獎”。本品獲批的第一個適應症為用於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。2020 年 12 月，特瑞普利單抗首次通過國家醫保談判，目前已有 3 項適應症納入《2021 年藥品目錄》。2021 年 2 月，特瑞普利單抗獲得國家藥品監督管理局（NMPA）批准，用於既往接受過二線及以上系統治療失敗的復發/轉移性鼻咽癌患者的治療。2021 年 4 月，特瑞普利單抗獲得 NMPA 批准，用於含鉑化療失敗包括新輔助或輔助化療 12 個月內進展的局部晚期或轉移性尿路上皮癌的治療。2021 年 11 月，特瑞普利單抗聯合順鉑和吉西他濱用於局部復發或轉移性鼻咽癌患者的一線治療的新適應症獲得 NMPA 批准。此外，特瑞普利單抗還獲得了《中國臨床腫瘤學會（CSCO）黑色素瘤診療指南》、《CSCO 頭頸部腫瘤診療指南》、《CSCO 鼻咽癌診療指南》、《CSCO 尿路上皮癌診療指南》及《CSCO 免疫檢查點抑制劑臨床應用指南》推薦。

2021 年 3 月，特瑞普利單抗用於晚期黏膜黑色素瘤的一線治療被 NMPA 納入突破性治療藥物程式。2021 年 7 月，特瑞普利單抗聯合含鉑化療一線治療局部晚期或轉移性食管鱗癌的新適應症上市申請獲得 NMPA 受理。2021 年 12 月，特瑞普利單抗聯合標準一線化療用於未經治療、驅動基因陰性的晚期非小細胞肺癌的新適應症上市申請獲得 NMPA 受理。在國際化佈局方面，特瑞普利單抗在美國食品藥品監督管理局（FDA）的首個上市申請（BLA）已獲受理並被授予優先審評，特瑞普利單抗也是首個向 FDA 提交 BLA 的國產抗 PD-1 單抗。目前，特瑞普利單抗已在黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、軟組織肉瘤、食管癌、

小細胞肺癌領域獲得 FDA 授予 2 項突破性療法認定、1 項快速通道認定、1 項優先審評認定和 5 項孤兒藥資格認定。

特瑞普利單抗自 2016 年初開始臨床研發，至今已在全球開展了覆蓋超過 15 個適應症的 30 多項臨床研究，積極探索本品在黑色素瘤、鼻咽癌、尿路上皮癌、肺癌、胃癌、食管癌、肝癌、膽管癌、乳腺癌、腎癌等適應症的療效和安全性，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（688180.SH, 1877.HK）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。公司具有由超過 50 項在研產品組成的豐富的研發管線，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 單抗 NMPA 上市批准、國產抗 PCSK9 單抗 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，目前正在中美兩地開展多項 Ib/II 期臨床試驗。

自 2020 年疫情爆發之初，君實生物迅速反應，與國內外科研機構及企業攜手抗疫，利用技術積累快速開發了多款治療 COVID-19 的創新藥物，積極承擔中國製藥企業的社會責任。其中包括：國內首個進入臨床階段並參與全球抗疫的新冠病毒中和抗體埃特司韋單抗（JS016）於 2021 年在超過 15 個國家和地區獲得緊急使用授權，新型口服核苷類抗新冠病毒藥物 VV116（JT001）已進入國際多中心 III 期註冊臨床研究階段，以及其他多種類型藥物，持續為全球抗疫貢獻中國力量。

目前君實生物在全球擁有兩千八百多名員工，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

