

君实生物特瑞普利单抗治疗小细胞肺癌获得美国 FDA 孤儿药资格认定

北京时间 2022 年 4 月 13 日，君实生物（1877.HK，688180.SH）宣布，由公司自主研发的抗 PD-1 单抗药物**特瑞普利单抗用于治疗小细胞肺癌（SCLC）**获得美国食品药品监督管理局（FDA）授予的**孤儿药资格认定（Orphan-drug Designation）**。这是特瑞普利单抗获得的**第五项**孤儿药资格认定，此前特瑞普利单抗治疗黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤及食管癌已分别获得 FDA 孤儿药资格认定。

孤儿药（Orphan-drug）又称为罕见病药，指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。FDA 授予的孤儿药资格认定适用于在美国地区针对少于 20 万患者的罕见病的药物和生物制剂。本次获得 FDA 颁发的孤儿药资格认定，**有助于特瑞普利单抗在美国的后续研发、注册及商业化等方面享受一定的政策支持**，包括但不限于（1）临床试验费用的税收抵免；（2）免除新药申请费；（3）上市后享有 7 年的市场独占权且不受专利的影响。本次认定将在一定程度上降低新药研发投入，加快推进临床试验及上市注册的进度。

肺癌是目前全球发病率第二、死亡率第一的恶性肿瘤¹。根据 GLOBOCAN 2020 发布的数据显示，2020 年全球肺癌死亡病例数近 180 万，占总体癌症死亡的 18%¹。小细胞肺癌（SCLC）是肺癌中侵袭性最强的亚型²，约占所有肺癌病例的 15%-20%³，具有进展迅速、早期转移等特点⁴，约 2/3 的患者初诊时已有明显的转移征象⁵。SCLC 患者的初期化疗效果良好，但耐药、复发率较高，预后较差，五年生存率约为 20%，其中广泛期小细胞肺癌患者的五年生存率低于 5%。对 SCLC 的治疗仍是临床未解决的一大难题。

目前，君实生物正在开展一项针对小细胞肺癌的注册临床研究——JUPITER-08 研究（NCT04012606），并已完成受试者入组。JUPITER-08 是一项随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期研究，旨在评估特瑞普利单抗联合依托泊苷及铂类与安慰剂联合依托泊苷及铂类在一线治疗广泛期小细胞肺癌中的有效性和安全性。

“目前对于肺癌不同亚型的新疗法开发存在明显差异。在化疗基础上联合包括特瑞普利单抗在内的肿瘤免疫药物已在无致癌突变的非小细胞肺癌治疗中显示出生存上的改善，而小细胞肺癌患者的治疗手段仍然十分局限，”**君实生物首席医学官 Patricia Keegan 博士**表示，“非常感谢 FDA 对我们为小细胞肺癌患者开发新疗法所付出的努力给予肯定。我们也期待特瑞普利单抗能够在 JUPITER-08 研究中相比化疗取得更好的进步。”

特瑞普利单抗由君实生物独立研发，具有全球范围内的完全自主知识产权，是我国首个成功上市的国产以 PD-1 为靶点的单抗药物，用于多种恶性肿瘤治疗。截至目前，该药物在中国、美国、东南亚和欧洲等地累计开展了覆盖超过 15 个适应症的 30 多项临床试验。2021 年，特瑞普利单抗作为首个国产抗 PD-1 单抗在美国滚动提交了生物制品许可申请（BLA），目前正在审评中。为加速其在美国的开发和审评程序，FDA 已授予特瑞普

利单抗 2 项突破性疗法认定、1 项快速通道认定、1 项优先审评认定和 5 项孤儿药资格认定。

参考文献

1. 曹毛毛, 陈万青. GLOBOCAN 2020 全球癌症统计数据解读[J].中国医学前沿杂志(电子版), 2021,13(3):63-69.
2. 张爽等.小细胞肺癌个体化治疗进展[J].中国肿瘤临床,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 ——

关于特瑞普利单抗注射液（拓益®）

特瑞普利单抗注射液（拓益®）作为我国批准上市的首个国产以 PD-1 为靶点的单抗药物，获得国家科技重大专项项目支持，并荣膺国家专利领域最高奖项“中国专利金奖”。本品获批的第一个适应症为用于既往接受全身系统治疗失败的不可切除或转移性黑色素瘤的治疗。2020 年 12 月，特瑞普利单抗首次通过国家医保谈判，目前已有 3 项适应症纳入《2021 年药品目录》。2021 年 2 月，特瑞普利单抗获得国家药品监督管理局（NMPA）批准，用于既往接受过二线及以上系统治疗失败的复发/转移性鼻咽癌患者的治疗。2021 年 4 月，特瑞普利单抗获得 NMPA 批准，用于含铂化疗失败包括新辅助或辅助化疗 12 个月内进展的局部晚期或转移性尿路上皮癌的治疗。2021 年 11 月，特瑞普利单抗联合顺铂和吉西他滨用于局部复发或转移性鼻咽癌患者的一线治疗的新适应症获得 NMPA 批准。此外，特瑞普利单抗还获得了《中国临床肿瘤学会（CSCO）黑色素瘤诊疗指南》、《CSCO 头颈部肿瘤诊疗指南》、《CSCO 鼻咽癌诊疗指南》、《CSCO 尿路上皮癌诊疗指南》及《CSCO 免疫检查点抑制剂临床应用指南》推荐。

2021 年 3 月，特瑞普利单抗用于晚期黏膜黑色素瘤的一线治疗被 NMPA 纳入突破性治疗药物程序。2021 年 7 月，特瑞普利单抗联合含铂化疗一线治疗局部晚期或转移性食管鳞癌的新适应症上市申请获得 NMPA 受理。2021 年 12 月，特瑞普利单抗联合标准一线化

新闻稿



疗用于未经治疗、驱动基因阴性的晚期非小细胞肺癌的新适应症上市申请获得 NMPA 受理。在国际化布局方面，特瑞普利单抗在美国食品药品监督管理局（FDA）的首个上市申请（BLA）已获受理并被授予优先审评，特瑞普利单抗也是首个向 FDA 提交 BLA 的国产抗 PD-1 单抗。目前，特瑞普利单抗已在黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤、食管癌、小细胞肺癌领域获得 FDA 授予 2 项突破性疗法认定、1 项快速通道认定、1 项优先审评认定和 5 项孤儿药资格认定。

特瑞普利单抗自 2016 年初开始临床研发，至今已在全球开展了覆盖超过 15 个适应症的 30 多项临床研究，积极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、胆管癌、乳腺癌、肾癌等适应症的疗效和安全性，与国内外领先创新药企的联合疗法合作也在进行当中，期待让更多中国以及其它国家的患者获得国际先进水平的肿瘤免疫治疗。

关于君实生物

君实生物 (688180.SH, 1877.HK) 成立于 2012 年 12 月，是一家以创新为驱动，致力于创新疗法的发现、开发和商业化的生物制药公司。公司具有由超过 50 项在研产品组成的丰富的研发管线，覆盖五大治疗领域，包括恶性肿瘤、自身免疫系统疾病、慢性代谢类疾病、神经系统类疾病以及感染性疾病。

凭借蛋白质工程核心平台技术，君实生物身处国际大分子药物研发前沿，获得了首个国产抗 PD-1 单抗 NMPA 上市批准、国产抗 PCSK9 单抗 NMPA 临床申请批准、全球首个治疗肿瘤抗 BTLA 阻断抗体在中国 NMPA 和美国 FDA 的临床申请批准，目前正在中美两地开展多项 Ib/II 期临床试验。

自 2020 年疫情爆发之初，君实生物迅速反应，与国内外科研机构及企业携手抗疫，利用技术积累快速开发了多款治疗 COVID-19 的创新药物，积极承担中国制药企业的社会责任。其中包括：国内首个进入临床阶段并参与全球抗疫的新冠病毒中和抗体埃特司韦单抗 (JS016) 于 2021 年在超过 15 个国家和地区获得紧急使用授权，新型口服核苷类抗新冠病毒药物 VV116 (JT001) 已进入国际多中心 III 期注册临床研究阶段，以及其他多种类型药物，持续为全球抗疫贡献中国力量。

目前君实生物在全球拥有两千八百多名员工，分布在美国旧金山和马里兰，中国上海、苏州、北京和广州。

官方网站：www.junshipharma.com

新闻稿

官方微信：君实生物

