

君實生物特瑞普利單抗治療食管癌獲得美國 FDA 孤兒藥資格認定

北京時間 2021 年 11 月 15 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食管癌（EC）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四個孤兒藥資格認定，此前特瑞普利單抗治療黏膜黑色素瘤、鼻咽癌及軟組織肉瘤已分別獲得 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。

食管癌是最常見的消化道惡性腫瘤之一。據統計 2020 年，食管癌是全球第七大常見惡性腫瘤和第六大癌症死亡原因¹。其中，中國食管癌新發病例數高達 32 萬，約占全球的 50%，而死亡病例數也高達 30 萬，約占全球的 56%²³。根據美國癌症協會統計，2021 年美國預計約有食管癌新發病例 19,000 例及死亡病例 15,000 例⁴。晚期食管癌患者的預後較差，以鉑類為基礎的一線化療方案，5 年總生存率仍小於 20%⁵。

目前，君實生物針對食管癌開展了 2 項特瑞普利單抗的 III 期註冊臨床研究。其中，JUPITER-06 研究（NCT03829969）是一項隨機、雙盲、安慰劑對照、多中心的 III 期研究，旨在比較特瑞普利單抗聯合紫杉醇/順鉑（TP 化療）與安慰劑聯合 TP 化療在晚期或轉移性食管鱗癌一線治療中的有效性和安全性。2021 年 9 月，JUPITER-06 研究在 2021 年歐洲腫瘤內科學會（ESMO）年會首次公佈結果（[相關閱讀](#)）。該研究達到了複合主要終點，與單純化療相比，接受特瑞普利單抗聯合化療治療的患者在無進展生存期（PFS）和總生存期（OS）方面均獲得了具有統計學意義和臨床意義的顯著改善。基於 JUPITER-06 研究，國家藥品監督管理局（NMPA）已於 2021 年 7 月受理了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（[相關閱讀](#)）。君實生物也計畫與海外合作夥伴 Coherus 于 2022 年向美國 FDA 提交特瑞普利單抗聯合含鉑化療一線治療晚期或轉移性食管鱗癌適應症的生物製品許可申請（BLA）。

此外，一項圍手術期特瑞普利單抗聯合新輔助化療治療可切除局部晚期胸段食管鱗癌的隨機、雙盲、安慰劑對照、多中心的 III 期臨床研究（NCT04848753）正在開展中。

¹ <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/6-Oesophagus-fact-sheet.pdf>

² <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/6-Oesophagus-fact-sheet.pdf>

³ <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/populations/160-china-fact-sheets.pdf>

⁴ <https://www.cancer.org/cancer/esophagus-cancer/about/key-statistics.html>

⁵ <https://www.cancer.org/cancer/esophagus-cancer/detection-diagnosis-staging/survival-rates.html>

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，特瑞普利單抗成功通過國家醫保談判，被納入新版目錄。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。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 2 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新適應症上市申請獲得 NMPA 受理。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國家藥監局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。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 4 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 45 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，在中美兩地進行 I 期臨床研究。2020 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，目前已在全球 15 個國家和地區獲得緊急使用授權，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兩千五百多名員工，分佈在美國三藩市和馬里蘭，中國上海、蘇州、北京和廣州。

新聞稿



官方網站：www.junshipharma.com

官方微信：君實生物

