

君实生物特瑞普利单抗治疗食管癌获得美国 FDA 孤儿药资格认定

北京时间 2021 年 11 月 15 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食管癌（EC）**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**第四个孤儿药资格认定**，此前特瑞普利单抗治疗黏膜黑色素瘤、鼻咽癌及软组织肉瘤已分别获得 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。

食管癌是最常见的消化道恶性肿瘤之一。据统计 2020 年，食管癌是全球第七大常见恶性肿瘤和第六大癌症死亡原因¹。其中，中国食管癌新发病例数高达 32 万，约占全球的 50%，而死亡病例数也高达 30 万，约占全球的 56%²³。根据美国癌症协会统计，2021 年美国预计约有食管癌新发病例 19,000 例及死亡病例 15,000 例⁴。晚期食管癌患者的预后较差，以铂类为基础的一线化疗方案，5 年总生存率仍小于 20%⁵。

目前，**君实生物针对食管癌开展了 2 项特瑞普利单抗的 III 期注册临床研究**。其中，JUPITER-06 研究（NCT03829969）是一项随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期研究，旨在比较特瑞普利单抗联合紫杉醇/顺铂（TP 化疗）与安慰剂联合 TP 化疗在晚期或转移性食管鳞癌一线治疗中的有效性和安全性。2021 年 9 月，JUPITER-06 研究在 2021 年欧洲肿瘤内科学会（ESMO）年会首次公布结果（[相关阅读](#)）。该研究达到了复合主要终点，与单纯化疗相比，**接受特瑞普利单抗联合化疗治疗的患者在无进展生存期（PFS）和总生存期（OS）方面均获得了具有统计学意义和临床意义的显著改善**。基于 JUPITER-06 研究，国家药品监督管理局（NMPA）已于 2021 年 7 月受理了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（[相关阅读](#)）。君实生物也计划与海外合作伙伴 Coherus 于 2022 年向美国 FDA 提交特瑞普利单抗联合含铂化疗一线治疗晚期或转移性食管鳞癌适应症的生物制品许可申请（BLA）。

此外，一项**围手术期特瑞普利单抗联合新辅助化疗治疗可切除局部晚期胸段食管鳞癌**

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>

的随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期临床研究 (NCT04848753) 正在开展中。

—— 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。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, 特瑞普利单抗成功通过国家医保谈判, 被纳入新版目录。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。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 2 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新适应症上市申请获得 NMPA 受理。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国家药监局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。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 4 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 45 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 单克隆抗体 NMPA 上市批准、国产抗 PCSK9 单克隆抗体 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, 在

新闻稿



中美两地进行 I 期临床研究。2020 年，君实生物还与国内科研机构携手抗疫，共同开发的 JS016 已作为国内首个抗新冠病毒单克隆中和抗体进入临床试验，目前已在全球 15 个国家和地区获得紧急使用授权，用本土创新为中国和世界疾病预防控制贡献力量。目前君实生物在全球拥有两千五百多名员工，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

官方微信：君实生物

