

## 君实生物特瑞普利单抗治疗鼻咽癌再获欧盟孤儿药资格认定

- 截至目前，特瑞普利单抗已累计获得欧盟和美国药品监管机构授予的 6 项孤儿药资格认定

北京时间 2022 年 7 月 21 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鼻咽癌 (NPC)** 获得**欧盟委员会 (EC)** 授予的**孤儿药资格认定**，该决定基于欧洲药品管理局 (EMA) 的赞成意见。截至目前，特瑞普利单抗已累计获得欧盟和美国药品监管机构授予的 **6 项**孤儿药资格认定，涉及黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤、食管癌和小细胞肺癌治疗领域。

君实生物首席医学官 **Patricia Keegan** 博士表示：“继美国 FDA 授予突破性疗法和孤儿药资格认定之后，欧盟委员会也对特瑞普利单抗用于治疗鼻咽癌授予孤儿药资格认定，这让我们备受鼓舞。鼻咽癌是一种侵袭性极强的恶性肿瘤，因其亚洲区域高发的特点，欧美国家在鼻咽癌创新疗法开发方面较为缓慢。尽管新兴的肿瘤免疫疗法已在多个瘤种当中取得了确证性的疗效，但尚未有任何免疫检查点抑制剂在欧美获批用于鼻咽癌的治疗。遵循‘立足中国，布局全球’的国际化战略，君实生物已率先将免疫疗法引入中国晚期鼻咽癌患者的治疗，期待在不远的未来，这一创新疗法也能让欧美乃至全球患者获益！”

根据欧盟委员会的定义，孤儿药 (Orphan Medicinal Product) 被用于诊断、预防或治疗那些危及生命或者非常严重的疾病，并且患者比例不超过欧盟人口总数万分之五。欧盟《孤儿药法规》确立了孤儿药资格认定的集中审批程序，并为孤儿药的研发和上市制定了激励措施。

获得孤儿药资格认定后，君实生物可从多项激励措施中获益，包括但不限于：(1) 获得方案协助 (EMA 为获得认定的孤儿药提供专门的科学建议)；(2) 可享受药品集中审批程序 (企业可直接向 EMA 提交上市/有条件批准申请，由此获得的欧盟委员会建议或决议在所有欧盟国家均有效)；(3) 上市后享有 10 年市场独占权；(4) 监管活动费用减免 (涉及方案协助、上市许可申请与核查、上市后变更申请和年费)。

在鼻咽癌治疗领域，君实生物已完成两项关键注册临床试验 JUPITER-02 (一项随机、双盲、安慰剂对照、国际多中心 III 期临床研究) 和 POLARIS-02 (一项多中心、开放标签、II 期临床研究)，贯穿了复发/转移性鼻咽癌的一线至后线治疗。相关研究结果多次获得国际学界高度关注，曾以“重磅研究摘要”形式 (#LBA2) 入选美国临床肿瘤学会年会 (ASCO 2021) 全体大会，荣登国际顶尖期刊《自然-医学》杂志封面 (*Nature Medicine*, 影响因子: 87.241)，获得《临床肿瘤学杂志》(*Journal of Clinical Oncology*, 影响因子: 50.717) 在线发表。

基于上述两项研究结果，特瑞普利单抗陆续受到中国和海外药品监管机构认可。2021年，特瑞普利单抗的两项鼻咽癌新适应症获得国家药品监督管理局（NMPA）批准，成为全球首个获批鼻咽癌治疗的免疫检查点抑制剂。美国食品药品监督管理局（FDA）也针对其鼻咽癌适应症授予 2 项突破性疗法认定和 1 项孤儿药资格认定，并于近期受理了该药物重新提交的生物制品许可申请（BLA）。如若批准，特瑞普利单抗也将成为美国首个且唯一用于鼻咽癌治疗的肿瘤免疫药物。

—— 完 ——

## 关于鼻咽癌

鼻咽癌是一种原发于鼻咽部黏膜上皮的恶性肿瘤，是常见的头颈部肿瘤之一。据世界卫生组织统计，2020 年全球鼻咽癌新发病例数超过 13 万<sup>1</sup>。由于原发肿瘤位置的原因，很少采用手术治疗，局部疾病患者主要采用化疗及放疗治疗。在美国和欧洲，尚无免疫疗法获批用于治疗鼻咽癌。

## 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”。

特瑞普利单抗至今已在全球（包括中国、美国、东南亚及欧洲等地）开展了覆盖超过 15 个适应症的 30 多项由公司发起的临床研究。正在进行或已完成的关键注册临床研究在多个瘤种范围内评估特瑞普利单抗的安全性及疗效，包括肺癌、鼻咽癌、食管癌、胃癌、膀胱癌、乳腺癌、肝癌、肾癌及皮肤癌等。

截至目前，特瑞普利单抗已在中国获批 5 项适应症：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（2018 年 12 月）；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 2 月）；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 4 月）；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（2021 年 11 月）；联合紫杉醇和顺铂用于不可切除局部晚期/复发或远处转移性食管鳞癌患者的一线治疗（2022 年 5 月）。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》，是国家医保目录中唯一用于治疗黑色素瘤和鼻咽癌的抗 PD-1 单抗药物。此外，特瑞普利单抗联合化疗用于一线治疗无 EGFR 或 ALK 突变的晚期非小细胞肺癌患者的新适应症上市申请目前正在接受国家药品监督管理局（NMPA）的审评。

<sup>1</sup> <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/4-Nasopharynx-fact-sheet.pdf>

# 新闻稿



在国际化布局方面，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，并在鼻咽癌领域获得欧盟委员会授予的孤儿药资格认定。2022 年 7 月，FDA 受理了重新提交的特瑞普利单抗联合吉西他滨/顺铂作为晚期复发或转移性鼻咽癌患者的一线治疗和单药用于复发或转移性鼻咽癌含铂治疗后的二线及以上治疗的生物制品许可申请 (BLA)，处方药用户付费法案 (PDUFA) 的目标审评日期定为 2022 年 12 月 23 日。

## 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](http://www.junshipharma.com)

官方微信: 君实生物

