

新闻稿

**和黄医药宣布索凡替尼获 FDA 孤儿药资格认定
用于胰腺神经内分泌瘤治疗**

伦敦：2019 年 11 月 25 日，星期一：和黄中国医药科技有限公司（简称“[和黄医药](#)”或“Chi-Med”）（AIM/Nasdaq: HCM）今天宣布索凡替尼获美国食品药品监督管理局（“FDA”）授予孤儿药资格用于胰腺神经内分泌肿瘤（“NET”）的治疗。

和黄医药首席执行官贺隽（Christian Hogg）表示：“目前神经内分泌肿瘤的治疗中仍存在许多尚未满足的需求。现时的治疗方法非常有限。此次获得 FDA 授予孤儿药资格认定，对患者来说是积极的一步，并进一步强调了我们的研发工作的重要性，以将索凡替尼带给更多有需要的患者。”

若孤儿药资格经 FDA 获准上市，索凡替尼对此适应症将获得为期 7 年的市场独占权。孤儿药资格还可在美国带来一定的开发成本收益。

索凡替尼正在中国及美国作为单药治疗或与其他肿瘤免疫疗法联合治疗开展针对多种实体瘤的研究。索凡替尼是和黄医药第二款自主研发并成功完成 III 期临床试验的创新肿瘤药物。索凡替尼用于晚期非胰腺 NET 的新药上市申请已提交，并于 2019 年 11 月 11 日获中国国家药品监督管理局（NMPA）受理。

关于 FDA 孤儿药资格认定

获得 FDA 孤儿药资格认定意味着该药物或生物制剂针对在美国罹病人数低于 20 万人的疾病或病症提供安全有效的治疗、诊断或预防。对某些药物，若针对疾病的罹病人数超过 20 万，但预计不会收回开发和销售成本，也可获得孤儿药资格认定。

关于索凡替尼

索凡替尼（surufatinib，亦称 HMPL-012 或 sulfatinib）是由和黄医药自主研发的一种新型的口服酪氨酸激酶抑制剂，具有抗血管生成和免疫调节双重活性。索凡替尼可通过抑制血管内皮生长因子受体（VEGFR）和成纤维细胞生长因子受体（FGFR）以阻断肿瘤血管生成，并可抑制集落刺激因子-1 受体（CSF-1R），通过调节肿瘤相关巨噬细胞，促进机体对肿瘤细胞的免疫应答。因为具有抗肿瘤血管生成和免疫调节的双重机制，索凡替尼可能非常适合与其他免疫疗法联合使用。目前，索凡替尼正在美国开展多项概念验证研究，同时正在中国开展多项后期临床试验及概念验证研究。

据 Frost & Sullivan 公司估计，中国抗血管生成血管内皮生长因子受体（VEGF/VEGFR）抑制剂的市场已从 2015 年的 5 亿美元增长至 2019 年的超过 15 亿美元，预计到 2026 年将达到 50 亿美元。

和黄医药目前拥有索凡替尼在全球范围内的所有权利。

*中国非胰腺神经内分泌瘤研究：*2015 年，和黄医药启动了 SANET-ep 研究，这是一项关于索凡替尼以晚期非胰腺神经内分泌瘤为适应症的中国 III 期临床试验，而这些患者目前尚无有效治疗方法。2019 年 6 月，该研究

独立数据监察委员会 (IDMC) 评估认为, 共 198 名患者参与的中期分析成功达到无进展生存期 (PFS) 这一预设主要疗效终点并提前终止研究。

中国胰腺神经内分泌瘤研究: 2016 年, 和黄医药在中国启动了一项关键性 III 期注册研究 SANET-p, 入组患者为低级别或中高级别晚期胰腺神经内分泌瘤患者。主要研究终点为无进展生存期。和黄医药计划于 2020 年上半年开展一项中期分析, 并在 2020 年完成患者入组工作 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02589821](#))。

美国与欧洲神经内分泌瘤研究: 和黄医药计划在美国开展索凡替尼在神经内分泌瘤患者中的注册性研究。由于索凡替尼以神经内分泌瘤为适应症的 II 期及 III 期中国临床试验数据令人鼓舞 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02267967](#)), 且美国 Ib 期临床试验进展顺利 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02549937](#))。

中国胆道癌研究: 2019 年 3 月, 和黄医药启动了一项 IIb/III 期临床试验, 旨在对比索凡替尼和卡培他滨治疗一线化疗失败晚期胆道癌患者的疗效和安全性。该研究的主要终点为 OS (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT03873532](#))。

免疫联合疗法: 2018 年 11 月及 2019 年 9 月, 和黄医药达成了[数个合作协议](#), 以评估索凡替尼联合 PD-1 单克隆抗体的安全性、耐受性和疗效。其中包括与上海君实生物医药科技股份有限公司在全球共同开发索凡替尼与拓益®联合疗法的合作协议, 及与信达生物制药在全球共同开发达伯舒®联合疗法的合作协议。拓益®及达伯舒®均已在中国获批。

关于神经内分泌瘤

神经内分泌瘤 (NET) 起源于与神经系统相互作用的细胞或产生激素的腺体。神经内分泌瘤可起源于体内很多部位, 最常见于消化道或肺部, 可为良性或恶性肿瘤。按照起源, 神经内分泌瘤通常分为胰腺神经内分泌瘤和非胰腺神经内分泌瘤。获批的靶向治疗包括索坦® (苹果酸舒尼替尼) 和飞尼妥® (依维莫司), 用于治疗胰腺神经内分泌瘤或高度分化的非功能性胃肠道或肺神经内分泌瘤。

据 Frost & Sullivan 公司估计, 2018 年美国神经内分泌瘤新诊断病例为 19,000 例。值得关注的是, 与其他肿瘤相比, 神经内分泌瘤患者的生存期相对较长, 因此, 虽然神经内分泌瘤发病率相对不高, 但患者人群相对较大。此外, 据估计 2018 年美国神经内分泌瘤患者约 141,000 名, 其中约有超九成, 即 132,000 名患者, 为非胰腺神经内分泌瘤患者。

在中国, 2018 年约有 67,600 例神经内分泌瘤新诊断病例。按照中国的发病率与流行率比例 (incidence to prevalence ratio) 估算, 中国总共或有高达 300,000 名神经内分泌瘤患者¹。据估计在中国患有神经内分泌瘤的患者中约有八成是非胰腺神经内分泌瘤患者。

关于和黄医药

和黄中国医药科技有限公司 (简称“和黄医药”或“Chi-Med”) (AIM/纳斯达克: HCM) 是一家创新型生物医药公司, 致力于药品的研究、开发、生产和销售。和记黄埔医药 (上海) 有限公司是和黄医药的创新药研发平台, 现有一支约 470 人的研发团队, 专注于研发和商业开发治疗癌症和自身免疫性疾病的靶向创新药物和免疫疗法, 目前共有 8 个抗癌类候选药物进入临床阶段, 正在全球开展临床研究。和黄医药的商业平台负责处方药和健康类消费品在中国的生产和营销, 销售网络覆盖中国广大地区医院。

¹ 据 Frost & Sullivan 公司的数据, 2018 年美国神经内分泌瘤新诊断病例为 19,000 例, 美国的神经内分泌瘤患者总数约为 141,000 名。在中国由于治疗手段缺乏, 神经内分泌瘤的发病率与流行率比例估计为 4.4, 较美国的 7.4 为低。

和黄医药总部位于中国香港，在伦敦证券交易所（AIM）和美国纳斯达克全球精选市场均已上市。了解更多详情请访问：www.chi-med.com。

前瞻性陈述

本新闻稿包含 1995 年《美国私人证券诉讼改革法案》“安全港”条款中定义的前瞻性陈述。这些前瞻性陈述反映了和黄医药目前对未来事件的预期，包括对索凡替尼的新药上市申请是否获批及是否在中国上市以治疗非胰腺神经内分泌瘤的预期、索凡替尼针对此适应症及其他适应症的进一步临床研究计划、对此类研究是否能达到其主要或次要终点的预期，以及对此类研究完成时间和结果发布的预期。前瞻性陈述涉及风险和不确定性。此类风险和不确定性包括下列假设：支持索凡替尼获批用于在中国治疗非胰腺神经内分泌瘤的新药上市申请的数据充足性、在美国和欧洲等其他地区获得快速审批的潜力、索凡替尼的安全性、索凡替尼成为治疗非胰腺神经内分泌瘤患者治疗新标准的潜力、实现及完成索凡替尼进一步临床开发计划的能力、在中国或其他地区推出上市的可能性及上市时间等。当前和潜在投资者请勿过度依赖这些前瞻性陈述，这些陈述仅在截至本新闻稿发布当日有效。有关这些风险和其他风险的进一步讨论，请查阅和黄医药向美国证券交易委员会和 AIM 提交的文件。无论是否出现新信息、未来事件或情况或其他因素，和黄医药均不承担更新或修订本新闻稿所含信息的义务。

联络方法

投资者咨询

李健鸿，高级副总裁	+852 2121 8200
郑嘉惠，副总裁	+1 (973) 567 3786
David Dible, Citigate Dewe Rogerson	+44 7967 566 919 (手机) david.dible@citigatedewerogerson.com
Xuan Yang, Solebury Trout	+1 (415) 971 9412 (手机) xyang@troutgroup.com

传媒咨询

英国及欧洲 – Anthony Carlisle, Citigate Dewe Rogerson	+44 7973 611 888 (手机) anthony.carlisle@cdrconsultancy.co.uk
美洲 – Brad Miles, Solebury Trout	+1 (917) 570 7340 (手机) bmiles@troutgroup.com
中国香港及亚洲其他地区（不包括中国大陆） – 卢志伦, 博然思维集团	+852 9850 5033 (手机) jlo@brunswickgroup.com
– 周怡, 博然思维集团	+852 9783 6894 (手机) yzhou@brunswickgroup.com
中国大陆 – 沈雁翎, 爱德曼公关公司	+86 136 7179 1029 (手机) sam.shen@edelman.com

任命保荐人

Atholl Tweedie, Panmure Gordon (UK) Limited	+44 (20) 7886 2500
---	--------------------