

新闻稿

和黄医药宣布索凡替尼获美国 FDA 授予快速通道资格 用于治疗胰腺和非胰腺神经内分泌瘤

伦敦：2020年4月17日，星期五：和黄中国医药科技有限公司（简称“[和黄医药](#)”或“Chi-Med”）（纳斯达克/伦敦证交所：HCM）今天宣布，美国食品药品监督管理局（“FDA”）已授予索凡替尼两项快速通道资格，用于治疗不适合手术的晚期和进展性胰腺和非胰腺神经内分泌瘤（“NET”）。

美国 FDA [快速通道资格](#)旨在加速针对严重疾病的药物开发和审批，以解决未获满足的医疗需求。获得[快速通道资格](#)的新药可能是针对特定严重疾病的首个疗法，或与现有疗法相比在临床上具有显著优势。除此之外，这类新药有可能拥有独特的作用机制，或者可令对现有疗法效果不佳或不耐受的患者获益，从而解决未满足的医疗需求。获得快速通道资格的项目可以在药物开发计划上与美国 FDA 进行更频繁的互动，并获取加速审批、优先审评和滚动审评资格。¹

关于索凡替尼

索凡替尼（surufatinib）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。

和黄医药目前拥有索凡替尼在全球范围内的所有权利。

美国、欧洲与日本神经内分泌瘤研究：由于索凡替尼以神经内分泌瘤为适应症的两项 III 期中国临床试验数据令人鼓舞，且美国 Ib 期临床试验进展顺利（clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02549937](#)），和黄医药正与美国、欧洲和日本的监管部门进行沟通以确定索凡替尼的临床开发和注册路径。除了上述被授予的两项快速通道资格，索凡替尼亦于 2019 年 11 月被 FDA 授予“孤儿药”资格认证，用于治疗胰腺神经内分泌瘤。

中国非胰腺神经内分泌瘤研究：2019 年 11 月，国家药监局受理了索凡替尼用于治疗非胰腺神经内分泌瘤的[新药上市申请](#)，并于 2019 年 12 月纳入[优先审评](#)。该新药上市申请获成功的 SANET-ep 研究数据支持。SANET-ep 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。该项研究的[积极结果](#)于 2019 年举行的欧洲肿瘤内科学会（ESMO）年会上以口头报告的形式公布（clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02588170](#)）。

¹ 资料来源：美国食品药品监督管理局“Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics”：
<https://www.fda.gov/files/drugs/published/Expedited-Programs-for-Serious-Conditions-Drugs-and-Biologics.pdf>

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级别晚期胰腺神经内分泌瘤患者。2020 年 1 月, 该研究独立数据监察委员会 (IDMC) 评估中期分析已经[成功达到 PFS 这一预设主要疗效终点](#)并建议提前终止研究 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02589821](#))。和黄医药计划提交索凡替尼的第二个新药上市申请 (NDA), 用于治疗晚期胰腺神经内分泌瘤, 并计划于随后的学术会议上提交 SANET-p 研究结果。

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总生存率 (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²。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”) (纳斯达克 / 伦敦证交所: HCM) 是一家创新型生物医药公司, 在过去 20 年间致力于发现和全球开发治疗癌症和自身免疫性疾病的靶向药物和免疫疗法。目前, 和黄医药共有 8 个抗癌类候选药物正在全球开发中, 并在中国本土市场拥有广泛的商业网络。欲了解更多详情, 请访问: www.chi-med.com。

² 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。

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，包括对索凡替尼用于治疗神经内分泌瘤患者的治疗潜力的预期、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胰腺或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、欧洲和日本等其他地区获得快速审批的潜力、索凡替尼的安全性、索凡替尼成为治疗胰腺或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公告发布当日有效。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

传媒咨询

美洲 – Brad Miles, Solebury Trout

+1 (917) 570 7340 (手机)

bmiles@troutgroup.com

欧洲 – Ben Atwell / Alex Shaw, FTI Consulting

+44 20 3727 1030 / +44 7771 913 902

(手机) / +44 7779 545 055 (手机)

Chi-Med@fticonsulting.com

亚洲 – 卢志伦/周怡, 博然思维集团

+852 9850 5033 (手机)

jlo@brunswickgroup.com /

+852 9783 6894 (手机)

yzhou@brunswickgroup.com

任命保荐人

Freddie Crossley / Atholl Tweedie,

+44 (20) 7886 2500

Panmure Gordon (UK) Limited