

新聞稿

**和黃醫藥宣佈索凡替尼獲美國 FDA 授予快速通道資格
用於治療胰腺和非胰腺神經內分泌瘤**

倫敦：2020年4月17日，星期五：和黃中國醫藥科技有限公司（簡稱「[和黃醫藥](#)」或「Chi-Med」）（納斯達克/倫敦證交所：HCM）今天宣佈，美國食品藥品監督管理局（「FDA」）已授予索凡替尼兩項快速通道資格，用於治療不適合手術的晚期和進展性胰腺和非胰腺神經內分泌瘤（「NET」）。

美國 FDA [快速通道資格](#)旨在加速針對嚴重疾病的藥物開發和審批，以解決未獲滿足的醫療需求。獲得[快速通道資格](#)的新藥可能是針對特定嚴重疾病的首個療法，或與現有療法相比在臨床上具有顯著優勢。除此之外，這類新藥有可能擁有獨特的作用機制，或者可令對現有療法效果不佳或不耐受的患者獲益，從而解決未滿足的醫療需求。獲得快速通道資格的項目可以在藥物開發計劃上與美國 FDA 進行更頻繁的互動，並獲取加速審批、優先審評和滾動審評資格。¹

關於索凡替尼

索凡替尼（surufatinib）是由和黃醫藥自主研發的一種新型的口服酪氨酸激酶抑制劑，具有抗血管生成和免疫調節雙重活性。索凡替尼可通過抑制血管內皮生長因子受體（VEGFR）和成纖維細胞生長因子受體（FGFR）以阻斷腫瘤血管生成，並可抑制集落刺激因子-1 受體（CSF-1R），通過調節腫瘤相關巨噬細胞，促進機體對腫瘤細胞的免疫應答。因為具有抗腫瘤血管生成和免疫調節的雙重機制，索凡替尼可能非常適合與其他免疫療法聯合使用。

和黃醫藥目前擁有索凡替尼在全球範圍內的所有權利。

美國、歐洲與日本神經內分泌瘤研究：由於索凡替尼以神經內分泌瘤為適應症的兩項 III 期中國臨床試驗數據令人鼓舞，且美國 Ib 期臨床試驗進展順利（clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02549937](#)），和黃醫藥正與美國、歐洲和日本的監管部門進行溝通以確定索凡替尼的臨床開發和註冊路徑。除了上述被授予的兩項快速通道資格，索凡替尼亦於 2019 年 11 月被 FDA 授予「孤兒藥」資格認證，用於治療胰腺神經內分泌瘤。

中國非胰腺神經內分泌瘤研究：2019 年 11 月，國家藥監局受理了索凡替尼用於治療非胰腺神經內分泌瘤的[新藥上市申請](#)，並於 2019 年 12 月納入[優先審評](#)。該新藥上市申請獲成功的 SANET-ep 研究數據支持。SANET-ep 是一項關於索凡替尼以晚期非胰腺神經內分泌瘤為適應症的中國 III 期臨床試驗，而這些患者目前尚無有效治療方法。2019 年 6 月，該研究獨立數據監察委員會（IDMC）評估認為，共 198 名患者參與的中期分析成功達到無進展生存期（「PFS」）這一預設主要療效終點並提前終止研究。該項研究的[積極結果](#)於 2019 年舉行的歐洲腫瘤內科學會（ESMO）年會上以口頭報告的形式公佈（clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02588170](#)）。

¹ 資料來源：美國食品藥品監督管理局《Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics》：
<https://www.fda.gov/files/drugs/published/Expedited-Programs-for-Serious-Conditions-Drugs-and-Biologics.pdf>

中國胰腺神經內分泌瘤研究：2016 年，和黃醫藥在中國啟動了一項關鍵性 III 期註冊研究 SANET-p，入組患者為低級別或中級別晚期胰腺神經內分泌瘤患者。2020 年 1 月，該研究獨立數據監察委員會（IDMC）評估中期分析已經成功達到 PFS 這一預設主要療效終點並建議提前終止研究（clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02589821](#)）。和黃醫藥計劃提交索凡替尼的第二個新藥上市申請（NDA），用於治療晚期胰腺神經內分泌瘤，併計劃於隨後的學術會議上提交 SANET-p 研究結果。

中國膽道癌研究：2019 年 3 月，和黃醫藥啟動了一項 IIb/III 期臨床試驗，旨在對比索凡替尼和卡培他濱治療一線化療失敗晚期膽道癌患者的療效和安全性。該研究的主要終點為總生存率（OS）（clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT03873532](#)）。

免疫聯合療法：2018 年 11 月及 2019 年 9 月，和黃醫藥達成了數個合作協議，以評估索凡替尼聯合 PD-1 單克隆抗體的安全性、耐受性和療效。其中包括與上海君實生物醫藥科技股份有限公司在全球共同開發索凡替尼與拓益[®]聯合療法合作協議，及與信達生物製藥在全球共同開發達伯舒[®]聯合療法合作協議。拓益[®]及達伯舒[®]均已在中國獲批。

關於神經內分泌瘤

神經內分泌瘤（NET）起源於與神經系統相互作用的細胞或產生激素的腺體。神經內分泌瘤可起源於體內很多部位，最常見於消化道或肺部，可為良性或惡性腫瘤。按照起源，神經內分泌瘤通常分為胰腺神經內分泌瘤和非胰腺神經內分泌瘤。獲批的靶向治療包括索坦[®]（蘋果酸舒尼替尼）和飛尼妥[®]（依維莫司），用於治療胰腺神經內分泌瘤或高度分化的非功能性胃腸道或肺神經內分泌瘤。

據 Frost & Sullivan 公司估計，2018 年美國神經內分泌瘤新診斷病例為 19,000 例。值得關注的是，與其他腫瘤相比，神經內分泌瘤患者的生存期相對較長，因此，雖然神經內分泌瘤發病率相對不高，但患者人群相對較大。此外，據估計 2018 年美國神經內分泌瘤患者約 141,000 名，其中約有超九成，即 132,000 名患者，為非胰腺神經內分泌瘤患者。

在中國，2018 年約有 67,600 例神經內分泌瘤新診斷病例。按照中國的發病率與流行率比例（incidence to prevalence ratio）估算，中國總共或有高達 300,000 名神經內分泌瘤患者²。據估計在中國患有神經內分泌瘤的患者中約有八成是非胰腺神經內分泌瘤患者。

關於和黃醫藥

和黃中國醫藥科技有限公司（簡稱「和黃醫藥」或「Chi-Med」）（納斯達克/倫敦證交所：HCM）是一家創新型生物醫藥公司，在過去 20 年間致力於發現和全球開發治療癌症和自身免疫性疾病的靶向藥物和免疫療法。目前，和黃醫藥共有 8 個抗癌類候選藥物正在全球開發中，並在中國本土市場擁有廣泛的商業網絡。欲了解更多詳情，請瀏覽：www.chi-med.com。

² 據 Frost & Sullivan 公司的數據，2018 年美國神經內分泌瘤新診斷病例為 19,000 例，美國的神經內分泌瘤患者總數約為 141,000 名。在中國由於治療手段缺乏，神經內分泌瘤的發病率與流行率比例估計為 4.4，較美國的 7.4 為低。

前瞻性陳述

本新聞稿包含 1995 年《美國私人證券訴訟改革法案》「安全港」條款中定義的前瞻性陳述。這些前瞻性陳述反映了和黃醫藥目前對未來事件的預期，包括對索凡替尼用於治療神經內分泌瘤患者的治療潛力的預期、索凡替尼針對此適應症及其他適應症的進一步臨床研究計劃、對此類研究是否能達到其主要或次要終點的預期，以及對此類研究完成時間和結果發佈的預期。前瞻性陳述涉及風險和不確定性。此類風險和不確定性包括下列假設：支持索凡替尼獲批用於在中國治療胰腺或非胰腺神經內分泌瘤的新藥上市申請的數據充足性、在美國、歐洲和日本等其他地區獲得快速審批的潛力、索凡替尼的安全性、索凡替尼成為治療胰腺或非胰腺神經內分泌瘤患者治療新標準的潛力、實現及完成索凡替尼進一步臨床開發計劃的能力、在中國或其他地區推出上市的可能性及上市時間等。當前和潛在投資者請勿過度依賴這些前瞻性陳述，這些陳述僅在截至本公告發佈當日有效。有關這些風險和其他風險的進一步討論，請查閱和黃醫藥向美國證券交易委員會和 AIM 提交的文件。無論是否出現新信息、未來事件或情況或其他因素，和黃醫藥均不承擔更新或修訂本新聞稿所含信息的義務。

聯絡方法

投資者諮詢

李健鴻，高級副總裁

+852 2121 8200

鄭嘉惠，副總裁

+1 (973) 567 3786

傳媒諮詢

美洲 – Brad Miles, Solebury Trout

+1 (917) 570 7340 (手機)

bmiles@troutgroup.com

歐洲 – Ben Atwell / Alex Shaw, FTI Consulting

+44 20 3727 1030 / +44 7771 913 902

(手機) / +44 7779 545 055 (手機)

Chi-Med@fticonsulting.com

亞洲 – 盧志倫/周怡, 博然思維集團

+852 9850 5033 (手機)

jlo@brunswickgroup.com /

+852 9783 6894 (手機)

yzhou@brunswickgroup.com

任命保薦人

Freddie Crossley / Atholl Tweedie,

+44 (20) 7886 2500

Panmure Gordon (UK) Limited