

新闻稿

和黄医药宣布美国 FDA 已受理索凡替尼用于治疗 晚期神经内分泌瘤的新药上市申请

- 美国 FDA 拟定的目标审评日期为 2022 年 4 月 30 日 -

- 如果获批，索凡替尼将成为和黄医药首个在海外市场上市的创新抗肿瘤药物 -

中国香港、上海和美国新泽西州：2021 年 7 月 1 日（星期四）：和黄医药（中国）有限公司（简称“[和黄医药](#)”或“HUTCHMED”）（纳斯达克/伦敦证交所：HCM；香港交易所：13）今日宣布美国食品药品监督管理局（“FDA”）已受理索凡替尼用于治疗胰腺和胰腺外（非胰腺）神经内分泌瘤（NET）的新药上市申请。FDA 就该新药上市申请拟定的处方药用户付费法案（PDUFA）目标审评日期为 2022 年 4 月 30 日。

索凡替尼于 2020 年 4 月获授予快速通道资格，用于治疗胰腺和非胰腺神经内分泌瘤，并于 2019 年 11 月获授予“孤儿药”资格，用于治疗胰腺神经内分泌瘤。

和黄医药（国际）董事总经理兼首席医学官 Marek Kania 表示：“此次索凡替尼在美国的新药上市申请获受理，是和黄医药的一项重大成就。我们正不断扩展全球业务版图，致力将创新肿瘤药物带给全球癌症患者。FDA 这次受理索凡替尼的新药上市申请突显该申请的临床价值，以及为美国神经内分泌瘤患者提供更多治疗方案的重要性。”

该新药上市申请是基于索凡替尼两项成功的中国 III 期胰腺和非胰腺神经内分泌瘤临床研究（SANET-p¹ 及 SANET-ep² 研究结果早前均于《柳叶刀·肿瘤学》期刊上刊登）以及美国一项索凡替尼研究的数据。³ 根据欧洲药品管理局（“EMA”）的人用药品委员会（CHMP）的[科学建议](#)，相关研究数据还将用作即将向 EMA 提交上市许可申请（MAA）的依据。

和黄医药已在美国启动一项[扩充疗程方案（Expanded Access Protocol）](#)，确保治疗方案有限的神经内分泌瘤患者能够获得该疗法治疗。该扩充疗程方案已获 FDA 监管批准，项目已开放中心启用（clinicaltrials.gov 注册号：[NCT04814732](#)）。

关于神经内分泌瘤（NET）

神经内分泌瘤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各个部位，最常见于消化道或肺部，可为良性或恶性肿瘤。神经内分泌瘤通常分为胰腺神经内分泌瘤（pNET）和非胰腺神经内分泌瘤（epNET）。

据 Frost & Sullivan 公司估计，2020 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，据估计 2020 年美国神经内分泌瘤患者约 143,000 名。⁴

关于索凡替尼

索凡替尼 (surufatinib) 是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。索凡替尼独特的双重机制能产生协同抗肿瘤活性，使其为与其他免疫疗法的联合使用的理想选择。

和黄医药目前拥有索凡替尼在全球范围内的所有权利。

索凡替尼开发计划

美国与欧洲神经内分泌瘤研究：在美国，索凡替尼于 2020 年 4 月被授予[快速通道资格](#)，用于治疗胰腺和非胰腺神经内分泌瘤，并于 2019 年 11 月被授予“[孤儿药](#)”资格，用于治疗胰腺神经内分泌瘤。索凡替尼的美国新药上市申请已于 [2021 年 4 月向 FDA 提交](#)，并计划其后向欧洲药品管理局 (EMA) 提交欧洲上市许可申请。以上申请均是基于已完成的 SANET-ep 和 SANET-p 研究，以及索凡替尼在美国治疗非胰腺和胰腺神经内分泌瘤患者的现有数据 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02549937](#))。

中国非胰腺神经内分泌瘤研究：索凡替尼于 2020 年 12 月 30 日获国家药品监督管理局 (“国家药监局”) [批准](#) 用于治疗非胰腺神经内分泌瘤。索凡替尼在中国市场以商品名苏泰达® 销售。此获批是基于一项索凡替尼治疗晚期非胰腺神经内分泌瘤患者的中国 III 期临床试验 SANET-ep 的研究结果 (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02588170](#))。该研究在中期分析中成功达到无进展生存期 (“PFS”) 这一预设的主要终点。该研究的[积极结果](#)于 2019 年欧洲肿瘤内科学会 (ESMO) 年会上以口头报告的形式公布，并于 2020 年 9 月在《柳叶刀·肿瘤学》上[发表](#)。⁵索凡替尼治疗组患者的中位 PFS 显著延长为 9.2 个月，安慰剂组患者则为 3.8 个月 (HR 0.334; 95% CI: 0.223 - 0.499; $p < 0.0001$)。索凡替尼具有可接受的安全性特征，最常见的 3 级或以上治疗相关不良事件是高血压 (索凡替尼组患者:36%; 安慰剂组患者:13%)、蛋白尿 (索凡替尼组患者:19%; 安慰剂组患者:0%) 和贫血 (索凡替尼组患者:5%; 安慰剂组患者:3%)。

中国胰腺神经内分泌瘤研究：索凡替尼于 2021 年 6 月 18 日获国家药监局[批准](#) 用于治疗胰腺神经内分泌瘤。此获批是基于一项索凡替尼治疗晚期胰腺神经内分泌瘤患者的中国 III 期临床试验 SANET-p 的研究结果。该研究在预设的中期分析中[成功达到 PFS 这一预设主要疗效终点](#) (clinicaltrials.gov 注册号 [NCT02589821](#))，并以此为基础于 2020 年 9 月获国家药监局[受理](#)其第二项新药上市申请。该项研究的结果已于 2020 年 ESMO 在线年会上[公布](#)，并同步[发表于](#)《柳叶刀·肿瘤学》⁶，证明索凡替尼将患者疾病进展或死亡风险降低了 51%，中位 PFS 为 10.9 个月，而安慰剂组患者则为 3.7 个月 (HR 0.491; 95%CI: 0.391-0.755; $p = 0.0011$)。索凡替尼展示可控的安全性，并与先前研究中的观察结果一致。

中国胆道癌研究：和黄医药于 2019 年 3 月启动了一项 IIb/III 期临床试验，旨在对比绍凡替尼和卡培他滨治疗一线化疗后进展的晚期胆道癌患者。该研究的主要终点为总生存期（OS）（clinicaltrials.gov 注册号：[NCT03873532](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03873532)）。

免疫联合疗法：和黄医药达成了数个合作协议，以评估索凡替尼与 PD-1 单克隆抗体联合疗法的安全性、耐受性和疗效，包括已于中国获批单药疗法的**替雷利珠单抗**（BGB-A317）、**拓益[®]**（特瑞普利单抗）和**达伯舒[®]**（信迪利单抗）。

关于和黄医药

和黄医药（纳斯达克/伦敦证交所：HCM；香港交易所：13）（前称：和黄中国医药科技）是一家处于商业化阶段的创新型生物医药公司，致力于发现、全球开发和商业化治疗癌症和免疫性疾病的靶向药物和免疫疗法。超过 1,300 人的专业团队已将自主发现的 10 个候选癌症药物推进到在全球开展临床研究，其中首三个创新肿瘤药物现已获批。欲了解更多详情，请访问：www.hutch-med.com 或关注我们的[领英](#)专页。

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，包括对向 FDA 提交索凡替尼用于治疗神经内分泌瘤的新药上市申请以及提交时间的预期，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，以及和黄医药的扩张国际运营计划的预期。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美国、中国及其他地区（如欧洲）治疗神经内分泌瘤的新药上市申请的数据充足性、获得监管部门快速审批的潜力，索凡替尼的安全性。和黄医药为索凡替尼进一步临床开发计划及商业化提供资金并实现及完成的能力，此类事件发生的时间，以及新冠肺炎全球大流行对整体经济、监管及政治状况带来的影响等。此外，由于部分研究依赖于将卡培他滨、替雷利珠单抗、拓益[®]、达伯舒[®]与索凡替尼联合使用，因此此类风险和不确定性包括有关这些治疗药物的安全性、疗效、供应和监管批准的假设。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、AIM 以及香港联合交易所提交的文件。无论是否出现新讯息、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讯息的义务。

联系方法

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)

HUTCHMED@fticonsulting.com

亚洲 – 卢志伦 / 周怡, 博然思维集团

+852 9850 5033 (手机) / +852 9783 6894 (手机)

HUTCHMED@brunswickgroup.com

任命保荐人

Atholl Tweedie/ Freddy Crossley,
Panmure Gordon (UK) Limited

+44 (20) 7886 2500

¹ Surufatinib in advanced neuroendocrine tumors – pancreatic.

² Surufatinib in advanced neuroendocrine tumors – extra-pancreatic (non-pancreatic).

³ ASCO 2021 J Clin Oncol 39, 2021 (suppl 15; abstr 4114)

⁴ According to Frost & Sullivan, in 2020, there were 19,000 newly diagnosed cases of NETs in the U.S. and an estimated 143,000 patients living with NETs. The current incidence to prevalence ratio in China is estimated at 4.4, lower than the 7.4 ratio in the U.S. due to lower access to treatment options.

⁵ Xu J, Shen L, Zhou Z, et al. Surufatinib in advanced extrapancreatic neuroendocrine tumours (SANET-ep): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 study [published online ahead of print, 2020 Sep 20]. *Lancet Oncol.* 2020; S1470-2045(20)30496-4. DOI: [10.1016/S1470-2045\(20\)30496-4](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(20)30496-4).

⁶ Xu J, Shen L, Bai C, et al. Surufatinib in advanced pancreatic neuroendocrine tumours (SANET-p): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 study [published online ahead of print, 2020 Sep 20]. *Lancet Oncol.* 2020; S1470-2045(20)30493-9. DOI: [10.1016/S1470-2045\(20\)30493-9](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(20)30493-9).