

新聞稿

和黃醫藥宣佈美國 FDA 已受理索凡替尼用於治療 晚期神經內分泌瘤的新藥上市申請

– 美國 FDA 擬定的目標審評日期為 2022 年 4 月 30 日 –

– 如果獲批，索凡替尼將成為和黃醫藥首個在海外市場上市的新創抗腫瘤藥物 –

中國香港、上海和美國新澤西州：2021 年 7 月 1 日（星期四）：和黃醫藥（中國）有限公司（簡稱「[和黃醫藥](#)」或「HUTCHMED」）（納斯達克/倫敦證交所：HCM；香港交易所：13）今日宣佈美國食品藥品監督管理局（「FDA」）已受理索凡替尼用於治療胰腺和胰腺外（非胰腺）神經內分泌瘤（NET）的新藥上市申請。FDA 就該新藥上市申請擬定的處方藥用戶付費法案（PDUFA）目標審評日期為 2022 年 4 月 30 日。

索凡替尼於 2020 年 4 月獲授予快速通道資格，用於治療胰腺和非胰腺神經內分泌瘤，並於 2019 年 11 月獲授予「孤兒藥」資格，用於治療胰腺神經內分泌瘤。

和黃醫藥（國際）董事總經理兼首席醫學官 Marek Kania 表示：「此次索凡替尼在美國的新藥上市申請獲受理，是和黃醫藥的一項重大成就。我們正不斷擴展全球業務版圖，致力將創新腫瘤藥物帶給全球癌症患者。FDA 這次受理索凡替尼的新藥上市申請突顯該申請的臨床價值，以及為美國神經內分泌瘤患者提供更多治療方案的重要性。」

該新藥上市申請是基於索凡替尼兩項成功的中國 III 期胰腺和非胰腺神經內分泌瘤臨床研究（SANET-p¹ 及 SANET-ep² 研究結果早前均於《刺針·腫瘤學》期刊上刊登）以及美國一項索凡替尼研究的數據。³ 根據歐洲藥品管理局（「EMA」）的人用藥品委員會（CHMP）的[科學建議](#)，相關研究數據還將用作即將向 EMA 提交上市許可申請（MAA）的依據。

和黃醫藥已在美國啟動一項[擴充療程方案（Expanded Access Protocol）](#)，確保治療方案有限的神經內分泌瘤患者能夠獲得該療法治療。該擴充療程方案已獲 FDA 監管批准，項目已開放中心啟用（clinicaltrials.gov 註冊號：[NCT04814732](#)）。

關於神經內分泌瘤（NET）

神經內分泌瘤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各個部位，最常見於消化道或肺部，可為良性或惡性腫瘤。神經內分泌瘤通常分為胰腺神經內分泌瘤（pNET）和非胰腺神經內分泌瘤（epNET）。

據 Frost & Sullivan 公司估計，2020 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，據估計 2020 年美國神經內分泌瘤患者約 143,000 名。⁴

關於索凡替尼

索凡替尼 (surufatinib) 是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數受體 (VEGFR) 和成纖維細胞生長因數受體 (FGFR) 以阻斷腫瘤血管生成，並可抑制集落刺激因數 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。索凡替尼獨特的雙重機制能產生協同抗腫瘤活性，使其為與其他免疫療法的聯合使用的理想選擇。

和黃醫藥目前擁有索凡替尼在全球範圍內的所有權利。

索凡替尼開發計畫

美國與歐洲神經內分泌瘤研究：在美國，索凡替尼於 2020 年 4 月被授予[快速通道資格](#)，用於治療胰腺和非胰腺神經內分泌瘤，並於 2019 年 11 月被授予「[孤兒藥](#)」資格，用於治療胰腺神經內分泌瘤。索凡替尼的美國新藥上市申請已於 [2021 年 4 月向 FDA 提交](#)，並計劃其後向歐洲藥品管理局 (EMA) 提交歐洲上市許可申請。以上申請均是基於已完成的 SANET-ep 和 SANET-p 研究，以及索凡替尼在美國治療非胰腺和胰腺神經內分泌瘤患者的現有數據 (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02549937](#))。

中國非胰腺神經內分泌瘤研究：索凡替尼於 2020 年 12 月 30 日獲國家藥品監督管理總局（「國家藥監局」）[批准](#)用於治療非胰腺神經內分泌瘤。索凡替尼在中國市場以商品名蘇泰達[®]銷售。此獲批是基於一項索凡替尼治療晚期非胰腺神經內分泌瘤患者的中國 III 期臨床試驗 SANET-ep 的研究結果 (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02588170](#))。該研究在中期分析中成功達到無進展生存期（「PFS」）這一預設的主要終點。該研究的[積極結果](#)於 2019 年歐洲腫瘤內科學會(ESMO)年會上以口頭報告的形式公布，並於 2020 年 9 月在《刺針·腫瘤學》上[發表](#)。⁵索凡替尼治療組患者的中位 PFS 顯著延長為 9.2 個月，安慰劑組患者則為 3.8 個月 (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徵，最常見的 3 級或以上治療相關不良事件是高血壓 (索凡替尼組患者:36%; 安慰劑組患者:13%)、蛋白尿 (索凡替尼組患者:19%; 安慰劑組患者:0%) 和貧血 (索凡替尼組患者:5%; 安慰劑組患者:3%)。

中國胰腺神經內分泌瘤研究：索凡替尼於 2021 年 6 月 18 日獲國家藥監局[批准](#)用於治療胰腺神經內分泌瘤。此獲批是基於一項索凡替尼治療晚期胰腺神經內分泌瘤患者的中國 III 期臨床試驗 SANET-p 的研究結果。該研究在預設的中期分析中[成功達到 PFS 這一預設主要療效終點](#) (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02589821](#))，並以此為基礎於 2020 年 9 月獲國家藥監局[受理](#)其第二項新藥上市申請。該項研究的結果已於 2020 年 ESMO 線上年會上[公佈](#)，並同步[發表](#)於《刺針·腫瘤學》⁶，證明索凡替尼將患者疾病進展或死亡風險降低了 51%，中位 PFS 為 10.9 個月，而安慰劑組患者則為 3.7 個月 (HR 0.491；95%CI: 0.391-0.755； $p = 0.0011$)。索凡替尼展示可控的安全性，並與先前研究中的觀察結果一致。

中國膽道癌研究：和黃醫藥於 2019 年 3 月啓動了一項 IIb/III 期臨床試驗，旨在對比索凡替尼和卡培他濱治療一綫化療後進展的晚期膽道癌患者。該研究的主要終點為總生存期（OS）（clinicaltrials.gov 註冊號：[NCT03873532](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03873532)）。

免疫聯合療法：和黃醫藥達成了數個合作協議，以評估索凡替尼與 PD-1 單克隆抗體聯合療法的安全性、耐受性和療效，包括已於中國獲批單藥療法的替雷利珠單抗（BGB-A317）、拓益®（特瑞普利單抗）和達伯舒®（信迪利單抗）。

關於和黃醫藥

和黃醫藥（納斯達克/倫敦證交所：HCM；香港交易所：13）（前稱：和黃中國醫藥科技）是一家處於商業化階段的創新型生物醫藥公司，致力於發現、全球開發和商業化治療癌症和免疫性疾病的靶向藥物和免疫療法。超過 1,300 人的專業團隊已將自主發現的 10 個候選癌症藥物推進到在全球開展臨床研究，其中首三個創新腫瘤藥物現已獲批。欲瞭解更多詳情，請訪問：www.hutch-med.com 或關注我們的 [LinkedIn 專頁](#)。

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，包括對向 FDA 提交索凡替尼用於治療神經內分泌瘤的新藥上市申請以及提交時間的預期，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畫，以及和黃醫藥的擴張國際運營計畫的預期。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美國、中國及其他地區（如歐洲）治療神經內分泌瘤的新藥上市申請的數據充足性、獲得監管部門快速審批的潛力，索凡替尼的安全性。和黃醫藥為索凡替尼進一步臨床開發計畫及商業化提供資金並實現及完成的能力，此類事件發生的時間，以及新冠肺炎全球大流行對整體經濟、監管及政治狀況帶來的影響等。此外，由於部分研究賴於將卡培他濱、替雷利珠單抗、拓益®、達伯舒®與索凡替尼聯合使用，因此此類風險和不確定性包括有關這些治療藥物的安全性、療效、供應和監管批准的假設。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、AIM 以及香港聯合交易所提交的文件。無論是否出現新訊息、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訊息的義務。

聯繫方式

投資者查詢

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) HUTCHMED@fticonsulting.com
亞洲 – 盧志倫 / 周怡，博然思維集團	+852 9850 5033 (手機) / +852 9783 6894 (手機) HUTCHMED@brunswickgroup.com

任命保薦人

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).