

新聞稿

**和黃醫藥宣佈索凡替尼獲 FDA 孤兒藥資格認定
用於胰腺神經內分泌瘤治療**

倫敦：2019 年 11 月 25 日，星期一：和黃中國醫藥科技有限公司（簡稱「[和黃醫藥](#)」或「Chi-Med」）（AIM/Nasdaq: HCM）今天宣佈索凡替尼獲美國食品藥品監督管理局（「FDA」）授予孤兒藥資格用於胰腺神經內分泌腫瘤（「NET」）的治療。

和黃醫藥首席執行官賀雋（Christian Hogg）表示：「目前神經內分泌腫瘤的治療中仍存在許多尚未滿足的需求。現時的治療方法非常有限。此次獲得 FDA 授予孤兒藥資格認定，對患者來說是積極的一步，並進一步強調了我們研發工作的重要性，以將索凡替尼帶給更多有需要的患者。」

若孤兒藥資格經 FDA 獲准上市，索凡替尼對此適應症將獲得為期 7 年的市場獨佔權。孤兒藥資格還可在美國帶來一定的開發成本收益。

索凡替尼正在中國及美國作為單藥治療或與其他腫瘤免疫療法聯合治療開展針對多種實體瘤的研究。索凡替尼是和黃醫藥第二款自主研發並成功完成 III 期臨床試驗的創新腫瘤藥物。索凡替尼用於晚期非胰腺 NET 的新藥上市申請已提交，並於 2019 年 11 月 11 日獲中國國家藥品監督管理局（NMPA）受理。

關於 FDA 孤兒藥資格認定

獲得 FDA 孤兒藥資格認定意味著該藥物或生物製劑針對在美國罹病人數低於 20 萬人的疾病或病症提供安全有效的治療、診斷或預防。對某些藥物，若針對疾病的罹病人數超過 20 萬，但預計不會收回開發和銷售成本，也可獲得孤兒藥資格認定。

關於索凡替尼

索凡替尼（surufatinib，亦稱 HMPL-012 或 sulfatinib）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。目前，索凡替尼正在美國開展多項概念驗證研究，同時正在中國開展多項後期臨床試驗及概念驗證研究。

據 Frost & Sullivan 公司估計，中國抗血管生成血管內皮生長因子受體（VEGF/VEGFR）抑制劑的市場已從 2015 年的 5 億美元增長至 2019 年的超過 15 億美元，預計到 2026 年將達到 50 億美元。

和黃醫藥目前擁有索凡替尼在全球範圍內的所有權利。

中國非胰腺神經內分泌瘤研究：2015 年，和黃醫藥啟動了 SANET-ep 研究，這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。

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。主要研究終點為無進展生存期。和黃醫藥計劃於 2020 年上半年開展一項中期分析，並在 2020 年完成患者入組工作 (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02589821](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02589821))。

美國與歐洲神經內分泌瘤研究：和黃醫藥計劃在美國開展索凡替尼在神經內分泌瘤患者中的註冊性研究。由於索凡替尼以神經內分泌瘤為適應症的 II 期及 III 期中國臨床試驗數據令人鼓舞 (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02267967](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02267967))，且美國 Ib 期臨床試驗進展順利 (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT02549937](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT02549937))。

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 OS (clinicaltrials.gov 註冊號 [NCT03873532](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03873532))。

免疫聯合療法：2018 年 11 月及 2019 年 9 月，和黃醫藥達成了**數個合作協定**，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[®]聯合療法的合作協議，及與信達生物製藥在全球共同開發達伯舒[®]聯合療法的合作協議。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¹。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。

¹ 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。

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」）（AIM/納斯達克：HCM）是一家創新型生物醫藥公司，致力於藥品的研究、開發、生產和銷售。和記黃埔醫藥（上海）有限公司是和黃醫藥的創新藥研發平台，現有一支約 470 人的研發團隊，專注於研發和商業開發治療癌症和自身免疫性疾病的靶向創新藥物和免疫療法，目前共有 8 個抗癌類候選藥物進入臨床階段，正在全球開展臨床研究。和黃醫藥的商業平台負責處方藥和健康類消費品在中國的生產和營銷，銷售網絡覆蓋中國廣大地區醫院。

和黃醫藥總部位於中國香港，在倫敦證券交易所（AIM）和美國納斯達克全球精選市場均已上市。了解更多詳情請訪問：www.chi-med.com。

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，包括對索凡替尼的新藥上市申請是否獲批及是否在中國上市以治療非胰腺神經內分泌瘤的預期、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布的預期。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、在美國和歐洲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新聞稿發布當日有效。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

David Dible, Citigate Dewe Rogerson

+44 7967 566 919 (手機)

david.dible@citigatedewerogerson.com

Xuan Yang, Solebury Trout

+1 (415) 971 9412 (手機)

xyang@troutgroup.com

傳媒諮詢

英國及歐洲 – Anthony Carlisle, Citigate Dewe Rogerson

+44 7973 611 888 (手機)

anthony.carlisle@cdrconsultancy.co.uk

美洲 – Brad Miles, Solebury Trout

+1 (917) 570 7340 (手機)

bmiles@troutgroup.com

中國香港及亞洲其他地區（不包括中國大陸）

– 盧志倫, 博然思維集團

+852 9850 5033 (手機)

jlo@brunswickgroup.com

– 周怡, 博然思維集團

+852 9783 6894 (手機)

yzhou@brunswickgroup.com

中國大陸 – 沈雁翎, 愛德曼公關公司

+86 136 7179 1029 (手機)

sam.shen@edelman.com

任命保薦人

Atholl Tweedie, Panmure Gordon (UK) Limited

+44 (20) 7886 2500