

# 上海君实生物医药科技股份有限公司

## 关于特瑞普利单抗用于治疗小细胞肺癌 获得 FDA 孤儿药资格认定的公告

本公司董事会及全体董事保证本公告内容不存在任何虚假记载、误导性陈述或者重大遗漏，并对其内容的真实性、准确性和完整性依法承担法律责任。

### 一、相关情况概述

近日，上海君实生物医药科技股份有限公司（以下简称“公司”）全资子公司 TopAlliance Biosciences, Inc. 收到美国食品药品监督管理局（以下简称“FDA”）的正式回函，特瑞普利单抗用于治疗小细胞肺癌获得 FDA 颁发孤儿药资格认定（Orphan-drug Designation），这是特瑞普利单抗获得的第五个 FDA 孤儿药资格认定，此前特瑞普利单抗治疗黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤及食管癌已分别获得 FDA 孤儿药资格认定。

### 二、药品相关情况

肺癌是目前全球发病率第二、死亡率第一的恶性肿瘤。根据 GLOBOCAN 2020 发布的数据显示，2020 年全球肺癌死亡病例数近 180 万，占全球癌症死亡病例数的 18%。小细胞肺癌是肺癌中侵袭性最强的亚型，约占所有肺癌病例的 15%-20%，具有进展迅速、早期转移等特点，约 2/3 的患者初诊时已有明显的转移征象。小细胞肺癌患者的初期化疗效果良好，但耐药、复发率较高，预后较差，五年生存率约为 20%，其中广泛期小细胞肺癌患者的五年生存率低于 5%。对小细胞肺癌的治疗仍是临床未解决的一大难题。

目前，公司正在开展一项针对小细胞肺癌的注册临床研究——JUPITER-08 研究（NCT04012606），并已完成受试者入组。JUPITER-08 研究是一项随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期临床研究，旨在评估特瑞普利单抗联合依托泊苷及铂类与安慰剂联合依托泊苷及铂类在一线治疗广泛期小细胞肺癌中的有效性和安全性。

特瑞普利单抗是中国首个批准上市的以 PD-1 为靶点的国产单抗药物，曾荣膺国家专利领域最高奖项“中国专利金奖”，至今已在中国、美国、东南亚和欧洲等地累计开展了覆盖超过 15 个适应症的 30 多项临床研究。2018 年 12 月 17 日，特瑞普利单抗获得国家药品监督管理局（以下简称“国家药监局”）有条件批准上市，用于既往接受全身系统治疗失败的不可切除或转移性黑色素瘤的治疗。2020 年 12 月，特瑞普利单抗注射液首次通过国家医保谈判，目前已有 3 项适应症纳入国家医保目录。2021 年 2 月，特瑞普利单抗用于既往接受过二线及以上系统治疗失败的复发/转移性鼻咽癌患者的治疗获得国家药监局附条件批准。2021 年 4 月，特瑞普利单抗用于含铂化疗失败包括新辅助或辅助化疗 12 个月内进展的局部晚期或转移性尿路上皮癌的治疗获得国家药监局附条件批准。2021 年 11 月，特瑞普利单抗联合顺铂和吉西他滨用于局部复发或转移性鼻咽癌患者的一线治疗获得国家药监局批准。此外，特瑞普利单抗还获得了《中国临床肿瘤学会（CSCO）黑色素瘤诊疗指南》《CSCO 头颈部肿瘤诊疗指南》《CSCO 鼻咽癌诊疗指南》《CSCO 尿路上皮癌诊疗指南》及《CSCO 免疫检查点抑制剂临床应用指南》推荐。

2021 年 3 月，特瑞普利单抗用于晚期黏膜黑色素瘤的一线治疗被国家药监局纳入突破性治疗药物程序。2021 年 7 月，特瑞普利单抗联合含铂化疗一线治疗局部晚期或转移性食管鳞癌的新适应症上市申请获得国家药监局受理。2021 年 12 月，特瑞普利单抗联合标准一线化疗用于未经治疗、驱动基因阴性的晚期非小细胞肺癌的新适应症上市申请获得国家药监局受理。在国际化布局方面，特瑞普利单抗在 FDA 的首个生物制品许可申请（Biologics License Application，以下简称“BLA”）已获正式受理并被授予优先审评，特瑞普利单抗也是首个向 FDA 提交 BLA 的国产抗 PD-1 单抗。截至本公告披露日，特瑞普利单抗已在黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤、食管癌及小细胞肺癌领域获得 FDA 授予 2 项突破性疗法认定、1 项快速通道认定、1 项优先审评认定和 5 项孤儿药资格认定。

### 三、对公司的影响

孤儿药（Orphan-drug）又称为罕见病药，指用于预防、治疗、诊断罕见病的药品。FDA 授予的孤儿药资格认定适用于在美国地区针对少于 20 万患者的罕见病的药物和生物制剂。本次获得 FDA 颁发的孤儿药资格认定，有助于特瑞普利

单抗在美国的后续研发、注册及商业化等方面享受一定的政策支持，包括但不限于（1）临床试验费用的税收抵免；（2）免除新药申请费；（3）上市后享有 7 年的市场独占权且不受专利的影响。本次认定将在一定程度上降低新药研发投入，加快推进临床试验及上市注册的进度。

#### 四、风险提示

本次获得孤儿药资格认定后，公司仍需就特瑞普利单抗用于治疗小细胞肺癌的后续临床试验、注册申报方案等与 FDA 进行沟通与协商，能否通过 FDA 的最终批准，获得上市及上市时间具有不确定性。

在特瑞普利单抗用于治疗小细胞肺癌获得 FDA 上市批准前，如有相同适应症的其他相同药物率先获批上市，则需进一步证明该药物在临床上具有优效性，否则将失去作为孤儿药享有的市场独占权等政策支持。因此，获得孤儿药认定后的价值存在不确定性。

由于医药产品具有高科技、高风险、高附加值的特点，药品研发容易受到技术、审批、政策等多方面因素的影响，审评政策及未来产品市场竞争形势等存在诸多不确定性风险，敬请广大投资者谨慎决策，注意防范投资风险。

公司将积极推进上述研发项目，并严格按照有关规定及时对项目后续进展情况履行信息披露义务。有关公司信息以公司指定披露媒体《中国证券报》《上海证券报》《证券时报》《证券日报》以及上海证券交易所网站刊登的公告为准。

特此公告。

上海君实生物医药科技股份有限公司

董事会

2022 年 4 月 14 日