

上海君实生物医药科技股份有限公司 关于特瑞普利单抗获得 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”）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食管癌获得 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四个 FDA 孤儿药资格认定，此前特瑞普利单抗治疗黏膜黑色素瘤、鼻咽癌及软组织肉瘤已分别获得 FDA 孤儿药资格认定。

二、药品相关情况

食管癌是最常见的消化道恶性肿瘤之一。根据 GLOBOCAN 2020 发布的数据显示，2020 年，食管癌是全球第七大常见恶性肿瘤和第六大癌症死亡原因，其中，中国食管癌新发病例约 32 万，约占全球的 50%，死亡病例约 30 万，约占全球的 56%。根据美国癌症协会统计，2021 年美国预计约有食管癌新发病例 19,000 例及死亡病例 15,000 例。晚期食管癌患者的预后较差，以铂类为基础的一线化疗方案，5 年总生存率仍小于 20%。

公司针对食管癌开展了 2 项特瑞普利单抗的 III 期注册临床研究。其中，JUPITER-06 研究（NCT03829969）是一项随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期临床研究，旨在比较特瑞普利单抗联合化疗与安慰剂联合化疗在晚期或转移性食管鳞癌一线治疗中的有效性和安全性。2021 年 9 月，JUPITER-06 研究在 2021 年欧洲肿瘤内科学会（ESMO）年会首次公布结果。该研究达到了复合主要终点，与单纯化疗相比，接受特瑞普利单抗联合化疗治疗的患者在无进展生存期（PFS）和总生存期（OS）方面均获得了具有统计学意义和临床意义的显著改善。

此外，一项围手术期特瑞普利单抗联合新辅助化疗治疗可切除局部晚期胸段食管鳞癌的随机、双盲、安慰剂对照、多中心的 III 期临床研究（NCT04848753）正在开展中。

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，且至今已在中、美等多国开展了覆盖超过 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成功通过国家医保谈判，被纳入新版国家医保目录。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。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 2 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新适应症上市申请获得国家药监局受理。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 10 月，特瑞普利单抗联合吉西他滨/顺铂作为晚期复发或转移性鼻咽癌患者的一线治疗和单药用于复发或转移性鼻咽癌含铂治疗后的二线及以上治疗的两项适应症的生物制品许可申请（Biologics License Application，以下简称“BLA”）获得 FDA 正式受理。根据受理信，FDA 就该 BLA 授予优先审评的认定且表示不计划召开咨询委员会会议审评该 BLA，拟定的处方药用户付费法案（PDUFA）目标审评日期为 2022 年 4 月。

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、软组织肉瘤及食管癌领域获得 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 4 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食管癌的后续临床试验、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食管癌获得 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

2021 年 11 月 16 日