

上海君实生物医药科技股份有限公司

自愿披露关于特瑞普利单抗一线治疗黏膜黑色素瘤 获 FDA 快速通道资格及临床试验批准的公告

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。

重要内容提示：

近日，上海君实生物医药科技股份有限公司（以下简称“公司”）产品特瑞普利单抗（商品名：拓益[®]，产品代号：JS001）一线治疗黏膜黑色素瘤获得美国食品药品监督管理局（以下简称“FDA”）授予快速通道资格（Fast Track Designation，以下简称“FTD”）。同时，特瑞普利单抗联合阿昔替尼一线治疗黏膜黑色素瘤患者的临床试验（IND）（以下简称“联合用药临床试验”）申请获得 FDA 批准，同意直接开展 III 期临床研究。

由于药品的研发周期长、审批环节多，容易受到一些不确定性因素的影响，敬请广大投资者谨慎决策，注意防范投资风险。现将相关情况公告如下：

一、药品基本情况

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，并获得 2019 年和 2020 年《中国临床肿瘤学会(CSCO)黑色素瘤诊疗指南》推荐。特瑞普利单抗用于三线治疗复发/转移性鼻咽癌，以及特瑞普利单抗用于二线治疗转移性尿路上皮癌的新适应症上市申请分别于 2020 年 4 月和 2020 年 5 月获得国家药监局受理。2020 年 7 月，上述两项新适应症上市申请已被国家药监局纳入优先审评程序。2020 年 9 月，特瑞普利单抗用于治疗复发/转移

性鼻咽癌获得 FDA 突破性疗法认定。2020 年 12 月，特瑞普利单抗被纳入《国家基本医疗保险、工伤保险和生育保险药品目录（2020 版）》。

二、关于联合用药临床试验

该联合用药临床试验是一项国际多中心、随机、开放标签的 III 期临床试验，旨在评估特瑞普利单抗联合阿昔替尼对比帕博丽珠单抗（商品名：Keytruda®），在不可切除、局部进展或转移性黏膜黑色素瘤患者中作为一线治疗的有效性和安全性。该试验计划入组 220 名患者，以 1:1 比例随机分组。该联合用药临床试验的主要研究终点为无进展生存期（PFS），次要研究终点为客观缓解率（ORR）、总生存期（OS）、缓解持续时间（DOR）、安全性和耐受性等。

黏膜黑色素瘤是黑色素瘤的亚型之一，其对传统化疗不敏感，对单药免疫治疗的反应率也极其有限。特瑞普利单抗是全球最早探索抗 PD-1 单抗联合 VEGFR 抑制剂在黏膜黑色素瘤中应用的 PD-1 抑制剂。2019 年 8 月，特瑞普利单抗联合阿昔替尼治疗晚期黏膜型黑色素瘤的研究（NCT03086174）结果发表于《临床肿瘤学杂志》（Journal of Clinical Oncology），该研究显示特瑞普利单抗联合阿昔替尼治疗未接受过化疗的晚期黏膜黑色素瘤患者可获得 48.3% 的客观缓解率（ORR）及 86.2% 的疾病控制率（DCR），中位无进展生存期（mPFS）达 7.5 个月。

2020 年 3 月，特瑞普利单抗联合阿昔替尼治疗黏膜黑色素瘤获得 FDA 孤儿药资格认定，创造了黏膜黑色素瘤领域中国方案可能解决世界难题的先例。

三、获得 FTD 对公司的影响

FTD 的设立旨在促进或加速用于治疗严重或危及生命的疾病或病情，且显示出有潜力满足当前未满足临床需求的药物开发，使药物能够快速获批上市。根据规定，获得 FTD 资格的候选药物意味着有机会通过各种形式加快审评进程，包括但不限于（1）与 FDA 进行更加频繁地沟通、开展会议等，在药物研发、临床试验设计等方面获得更加密切的指导；（2）符合相关标准后可获得优先审评和加速批准资格；（3）滚动式审评，即分阶段递交生物制品上市申请（BLA）或新药申请（NDA）申报材料，无需待所有资料全部完成后再提交审评。

本次特瑞普利单抗获得 FDA 快速通道资格表明其具有解决现有未被满足临床需求的潜力，能够显著地支持并加速特瑞普利单抗在美国的研发及上市进程，

是特瑞普利单抗获得 FDA 孤儿药认定、突破性疗法认定又一里程碑式进展。公司将与 FDA 密切协作，保障药品开发计划高效实施。

四、风险提示

截至本公告日，该联合用药尚处于临床试验阶段。根据美国相关新药研发的法规要求，该联合用药尚需开展一系列临床研究并经药品审评部门审批通过等，方可上市。根据新药研发经验，新药研发均存在一定风险，例如临床试验可能会因为安全性和/或有效性等问题而终止。

由于医药产品具有高科技、高风险、高附加值的特点，药品的前期研发以及产品从研制、临床试验报批到投产的周期长、环节多，容易受到一些不确定性因素的影响。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 1 月 23 日