

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用于治疗鼻咽癌 获得欧盟委员会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”）自主研发的抗 PD-1 单抗药物特瑞普利单抗用于治疗鼻咽癌获得欧盟委员会（以下简称“EC”）授予的孤儿药资格认定，该决定基于欧洲药品管理局（以下简称“EMA”）的赞成意见。截至本公告披露日，特瑞普利单抗已累计获得欧盟和美国药品监管机构授予的 6 项孤儿药资格认定，涉及黏膜黑色素瘤、鼻咽癌、软组织肉瘤、食管癌及小细胞肺癌治疗领域。

二、药品相关情况

鼻咽癌是一种原发于鼻咽部黏膜上皮的恶性肿瘤，是常见的头颈部肿瘤之一。据世界卫生组织统计，2020 年全球鼻咽癌新发病例数超过 13 万。由于原发肿瘤位置的原因，很少采用手术治疗，局部疾病患者主要采用化疗及放疗治疗。在美国和欧洲，尚无免疫疗法获批用于治疗鼻咽癌。

在鼻咽癌治疗领域，公司已完成两项关键注册临床研究——JUPITER-02 研究（一项随机、双盲、安慰剂对照、国际多中心 III 期临床研究）和 POLARIS-02 研究（一项多中心、开放标签、II 期临床研究），贯穿了复发/转移性鼻咽癌的一线至后线治疗。JUPITER-02 研究成果于 2021 年 6 月以“重磅研究摘要”形式（#LBA2）入选美国临床肿瘤学会年会（ASCO 2021）全体大会，随后作为《自然-医学》杂志（*Nature Medicine*, IF: 87.241）2021 年 9 月刊的封面文章发表。POLARIS-02 研究成果于 2021 年 1 月获得《临床肿瘤学杂志》（*Journal of Clinical Oncology*, IF: 50.717）在线发表。

基于上述两项研究结果，2021 年，特瑞普利单抗的两项鼻咽癌新适应症获得国家药品监督管理局（以下简称“国家药监局”）批准，成为全球首个获批鼻咽癌治疗的免疫检查点抑制剂。美国食品药品监督管理局（以下简称“FDA”）亦针对其鼻咽癌适应症授予 2 项突破性疗法认定和 1 项孤儿药资格认定，并于 2022 年 7 月受理了重新提交的特瑞普利单抗用于治疗鼻咽癌的生物制品许可申请（Biologics License Application，以下简称“BLA”），如获批准，特瑞普利单抗将成为美国首个且唯一用于鼻咽癌治疗的肿瘤免疫药物。

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”，至今已在全球（包括中国、美国、东南亚及欧洲等地）开展了覆盖超过 15 个适应症的 30 多项由公司发起的临床研究。正在进行或已完成的关键注册临床研究在多个瘤种范围内评估特瑞普利单抗的安全性及疗效，包括肺癌、鼻咽癌、食管癌、胃癌、膀胱癌、乳腺癌、肝癌、肾癌及皮肤癌等。

截至本公告披露日，特瑞普利单抗的 5 项适应症已于中国获批：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（2018 年 12 月）；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（2021 年 2 月）；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（2021 年 4 月）；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（2021 年 11 月）；联合紫杉醇和顺铂用于不可切除局部晚期/复发或远处转移性食管鳞癌患者的一线治疗（2022 年 5 月）。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 年版），是国家医保目录中唯一用于治疗黑色素瘤和鼻咽癌的抗 PD-1 单抗药物。此外，特瑞普利单抗联合化疗用于一线治疗无 EGFR 或 ALK 突变的晚期非小细胞肺癌患者的新适应症上市申请目前正在接受国家药监局的审评。

在国际化布局方面，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，并在鼻咽癌领域获得 EC 授予的孤儿药资格认定。2022 年 7 月，FDA 受理了重新提交的

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 BLA，处方药用户付费法案（PDUFA）的目标审评日期定为 2022 年 12 月 23 日。

三、对公司的影响

根据 EC 的定义，孤儿药（Orphan Medicinal Product）被用于诊断、预防或治疗那些危及生命或者非常严重的疾病，并且患者比例不超过欧盟人口总数的万分之五。欧盟《孤儿药法规》确立了孤儿药资格认定的集中审批程序，并为孤儿药的研发和上市制定了激励措施。

获得孤儿药资格认定后，公司可从多项激励措施中获益，包括但不限于：（1）获得方案协助（EMA 为获得认定的孤儿药提供专门的科学建议）；（2）可享受药品集中审批程序（企业可直接向 EMA 提交上市/有条件批准申请，由此获得的 EC 建议或决议在所有欧盟国家均有效）；（3）上市后享有 10 年市场独占权；（4）监管活动费用减免（涉及方案协助、上市许可申请与核查、上市后变更申请和年费）。

四、风险提示

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，最终药品能否在欧盟获得上市及上市时间具有不确定性。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 7 月 22 日