

【新闻稿】

赛生药业宣布达佑泽[®]（那西妥单抗）在中国获批 神经母细胞瘤患者迎来新的治疗选择

【中国，香港，2022年12月8日】赛生药业控股有限公司（“赛生药业”或“公司”，连同其附属公司，统称“集团”，股份代号：6600.HK）宣布达佑泽[®]（通用名：那西妥单抗注射液，Naxitamab Injection）在中国获得国家药品监督管理局（NMPA）批准与粒细胞-巨噬细胞集落刺激因子（GM-CSF）联合给药，用于治疗伴有骨或骨髓病变，对既往治疗表现为部分缓解、轻微缓解或疾病稳定的复发性或难治性高危神经母细胞瘤的儿童（1岁及以上）或成人患者。

赛生药业根据2020年12月与Y-mAbs Therapeutics（“Y-mAbs”，NASDAQ：YMAB）签订的独家无限期授权许可协议，在大中华地区（包括中国大陆、中国香港、中国澳门和中国台湾）对达佑泽[®]进行开发与商业化。

达佑泽[®]在美国被美国食品药品监督管理局（FDA）授予突破性疗法资格（BTB），以及孤儿药（ODD）和罕见儿科疾病（RPDD）等资格认定。2020年11月，根据总缓解率（ORR）和缓解持续时间（DoR），达佑泽[®]获得美国FDA加速批准。为解决临床未满足需求，根据国家鼓励儿童用药等创新药开发的有关政策与规定，NMPA药品审评中心（CDE）同意豁免达佑泽[®]在中国的关键性临床研究，并于2021年9月将其上市许可申请（BLA）纳入优先审评。

在中国大陆正式获批之前，得益于“先行先试”有关政策与规定并经由国家批准，达佑泽[®]于2021年6月落地海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区，于2021年12月落地中国（天津）自由贸易试验区。2021年9月，赛生药业在中国澳门递交达佑泽[®]的上市申请。2022年1月起，赛生药业根据当地特殊进口政策在中国台湾销售达佑泽[®]。

赛生药业总裁、首席执行官赵宏先生表示：“神经母细胞瘤是儿童中最常见的颅外实体瘤，复发性或难治性高危神经母细胞瘤患者预后极差，目前国内尚无标准治疗。现有临床研究表明，达佑泽[®]在复发性或难治性高危神经母细胞瘤的治疗中具有显著的疗效和良好的安全性。同时，达佑泽[®]还具有给药便捷和患者依从性高的潜在优势。达佑泽[®]在中国正式获批，将为国内神经母细胞瘤患儿带来全新有效的治疗选择，为他们的家庭带来更多希望。与此同时，我们还在积极探索达佑泽[®]的其他适应症，如针对其他GD2高表达的实体肿瘤的探索研究。未来，赛生药业将继续以患者健康为己任，聚焦未被满足的临床需求持续创新，为提升广大患者的健康福祉而不懈努力。”

关于神经母细胞瘤

神经母细胞瘤是婴幼儿最常见的颅外实体肿瘤，占儿童恶性肿瘤的8%~10%。^[1]根据国际神经母细胞瘤危险度分组（INRG）方案，将患儿分为极低危、低危、中危和高危组。值得注意的是，高危患儿占比超50%^[2]。即使经过化疗、手术、放疗、移植等综合治疗，高危神经母细胞瘤患儿的预后仍较差，长期生存率不足50%^[3]。

我国报道的神经母细胞瘤总体预后较国外观察到的差，确诊时大部分患者已经存在广泛转移，属于晚期高危神经母细胞瘤，是导致治疗难度加大、易复发、预后差的关键问题^[4]。北京儿童医院于 2020 年公布的 1041 例中国神经母细胞瘤患者的研究提示，高危患儿的 5 年生存率显著降低，中国迫切需要新的治疗方法来改善高危神经母细胞瘤患者的预后^[2]。

关于达佑泽®(那西妥单抗)

达佑泽®(那西妥单抗)是目前全球唯一一款获批的靶向双唾液酸神经节苷脂 GD2 的人源化单克隆抗体，通过与肿瘤细胞表面的GD2结合，触发抗体依赖性细胞介导的细胞毒性作用(ADCC)和补体依赖的细胞毒性效应(CDC)，从而达到杀伤肿瘤的效果。根据总缓解率(ORR)和缓解持续时间(DoR)，于2020年11月，达佑泽®获得美国FDA加速批准。

达佑泽®免疫原性低，输注诱导的抗药抗体(ADA)阳性率低，在“201 研究”中，仅有 8%的患者 ADA 检测呈阳性^[5]。一次那西妥单抗的静脉输注时间约为 30-60 分钟，有望实现门诊用药，减轻患者及其家庭的负担。

2020 年 12 月，赛生药业与 Y-mAbs 达成独家无限期授权许可协议，获得达佑泽®在大中华地区(包括中国大陆、中国香港、中国澳门和中国台湾)的独家合作开发和商业化权利。

2021 年 7 月，达佑泽®在美国获批上市仅七个多月后，赛生药业即向 NMPA 递到达佑泽®的 BLA 并获受理。2021 年 9 月，NMPA 将达佑泽®的 BLA 纳入优先审评，该月赛生药业在中国澳门递到达佑泽®的上市申请。

2021 年 6 月，得益于“先行先试”的有关政策与规定并经由国家批准，达佑泽®落地海南博鳌乐城国际医疗旅游先行区，2021 年 12 月，达佑泽®落地中国(天津)自由贸易试验区，为国内急需用药的患者提供便捷、可信赖的治疗途径。

2022 年 1 月，赛生药业根据当地特殊进口政策在中国台湾销售达佑泽®，进一步扩大其在大中华地区的可及性。

参考资料:

- [1] 国家卫生健康委办公厅关于印发儿童血液病、恶性肿瘤相关 10 个病种诊疗规范(2019 年版)的通知. 附件 6. 儿童神经母细胞瘤诊疗规范(2019 年版). 2019-09-04.
- [2] Su Y, et al. Treatment and outcomes of 1041 pediatric patients with neuroblastoma who received multidisciplinary care in China. *Pediatr Investig*, 2020, 4(3): 157-167.
- [3] Pinto NR, et al. Advances in Risk Classification and Treatment Strategies for Neuroblastoma. *J Clin Oncol*. 2015; 33(27): 3008-3017.
- [4] 李思慧, 聂晓璐, 段超等. 神经母细胞瘤高危儿童筛查及其方案研究进展. *中国小儿血液与肿瘤杂志*, 2016; 21 (1):47-50
- [5] DANYELZA®(naxitamab-gqgk). Full Prescribing Information

关于赛生药业控股有限公司

赛生药业控股有限公司（港交所上市公司，股份代号 6600）是一家专注于肿瘤及重症感染疾病治疗领域并拥有产品开发和商业化集成平台的国际生物制药公司。以创新引领转型，公司已建立起了具有差异化优势的产品组合，包括多款 First-in-class 与 Best-in-class 潜质产品。秉承“给生命以希望”的初心，赛生药业坚持以患者健康为己任，不断践行提供国际品质的医疗产品及服务的使命，造福广大患者。

欲了解更多有关赛生药业的信息，请浏览：

www.sciclone.com