

干货——精选 2016 年度 FDA 批准新药解析（上）

BKG helper 网站终于在万物复苏的春天完成预上线啦！在此隆重感谢无论在 Daisy 事业上还是生活上都不可或缺的 Cissy 喵（以及喵家的 Benson 先生）~(@^_^@)~ 尽管他们两个最近一段时间为新到来的小生命忙的不可开交，但依然还是百忙之中帮我完成了网站上线相关的一切事项。而这对于我这个编程技术几乎为 0 的菜鸟来说简直是一万分的雪中送炭！

如首页所述，建立 BKG helper 网站是希望将国外一手的疾病治疗以及临床试验等信息分享给国内的朋友们。信息透明并让患者及家属充分认识疾病以及可能的治疗选择是保证高质量医疗的第一步。Daisy 自己的专业是在癌症领域，但希望 BKG helper 在各个领域都能提供一些帮助。所以前两篇提供纯干货，为大家精选 2016 年度 FDA 批准在北美上市的 22 个新药中也能让中国病人受益的药物进行详解。如果大家对某一特别的领域感兴趣也可以发邮件（daisy@bkghelper.com）向我咨询。

2016 年算是 FDA 批准药物数量的一个小寒冬。相比于 2015 年批准的 45 个新药以及 2014 年批准的 41 个新药，2016 年以 22 款新药获得上市资格结束。然而这却并不代表各大药厂与研究人员减缓了新药研发的速度，这一数量减少很大程度上是因为 1）FDA 的加速审批政策让本属于 2016 的药物在 2015 就获批；2）药物制造出现问题，而非临床试验风险。因此我们依然有理由期待 2017 更多获批的新药们！

2016 年 FDA 批准的 22 款新药涵盖类别广泛，除了来自罗氏公司，赚足眼球的肿瘤免疫治疗药物 Tecentriq 外，还有用于治疗丙肝，白血病以及用于复发性前列腺癌诊断的多个药物。

下面我们就来一一看一看。

1. 丙型肝炎：Zepatier



主要成分：丙肝病毒 NS5A 抑制剂 Elbasvir 和 NS3/4A 蛋白酶抑制剂 Grazoprevir

批准日期：2016 年 1 月 28 日

公司：默沙东（Merck & Co.）

作为全球丙肝市场的后起之秀，默沙东的新药 Zepatier 面临着与丙肝界制药巨头——吉利德科学公司（Gilead Sciences）的两款明星产品——**Sovaldi** 以及 **Harvoni**

的直接竞争。患者们需要了解的一点是，并不是所有的丙肝药物都可以治疗所有的丙肝基因型。Sovaldi 可以治疗 1,2,3,4 型，Harvoni 治疗 1,4,5,6 型，而 Zepatier 则是主攻 1,4 型。2016 年六月吉利德科学公司获批的新药 Epclusa 可以有效治疗所有亚型。目前在美国，73.3%的丙肝病人都属于 1 型，因此在美国上市的药物都有治疗 1 型丙肝的功能。就针对 1 型的治愈率来说，Sovaldi 为 90%，Harvoni 为 96%，Zepatier 为 95%。然而也有报道显示，在这三种药物中，Zepatier 带来的副作用最小。Zepatier 更吸引人的一点在于它的价格。相比于 Harvoni 12 周标准流程 94500 美元，Sovaldi 80000 美元的定价，54600 美元的 Zepatier 价格虽然听起来同样离谱，但已是在丙肝领域的最好选择。

2. 局部癫痫：Briviact



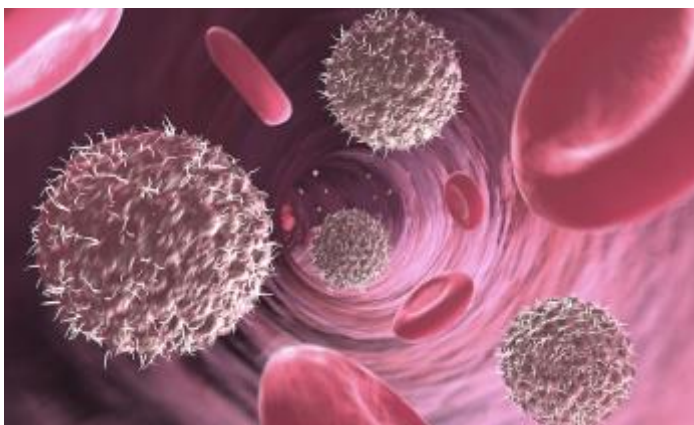
主要成分：brivaracetam

批准日期：2016 年 2 月 19 日

公司：UCB

作为布鲁塞尔 UCB 制药公司的最新款治疗局部癫痫药物，Briviact 与另一类似药物 Vimpat 被看作是该公司明星药物 Keppra 的继任者。FDA 批准 Briviact 用于 16 岁及以上的局部癫痫患者，与其他药物一同使用。与市面上其他更便宜的局部癫痫药物相比，Briviact 具有两个优势：1) 无需剂量调整，患者用药的剂量在整个疗程中保持一致；2) 副作用可控。同时，鉴于不同的癫痫患者对药物的反应不同，Briviact 的问世也为局部癫痫患者提供了另一种可能。

3. 带有某种特定染色体变异的慢性淋巴性白血病：Venclexta



主要成分：venetoclax

批准日期：2016 年 4 月 11 日

公司：艾伯维，罗氏

与其他获批药物相比，Venclexta 的上市路线可谓一帆风顺。在 2016 年 4 月份获得加速批准前，它就已拿下了 FDA 三个突破性药物认定，孤儿药认定，以及优先审查资格。它是 FDA 批准的第一个靶向 B 细胞淋巴瘤 2 蛋白的药物。该蛋白具有促进癌症生长的功能并在许多慢性淋巴细胞白血病（CLL）患者体内过度表达。具体来说，该药物尤其适用于 17p 染色体缺失的 CLL 患者。17 号染色体缺失的部分原本具有抑制肿瘤生长的功能。

Venclexta 的获批是基于了一项涉及 106 名患者的单臂研究（单臂研究：所有患者均使用试验药物，不存在安慰剂组），其中五分之四患者的癌症得到完全或部分缓解。艾伯维在一份声明中提到，该药一年的花费约 11 万美元。尽管 FDA 的批准仅针对 CLL，Venclexta 对于复发性/难治性 CLL 患者同样具有突破性药物认定，同时还可以与低甲基化剂组合用于治疗未使用过其他药物的急性髓性白血病患者。

4. 转移性非小细胞肺癌，尿路上皮癌以及肾细胞癌：Tecentriq



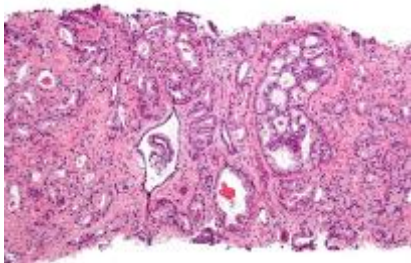
主要成分：atezolizumab (阿替唑单抗)

批准日期：2016 年 5 月 18 日

公司：罗氏

在默克和百时美施贵宝的 PD-1 检查点抑制剂获批几年之后，来自罗氏的 Tecentriq 成为了第一个获得 FDA 快速批准的 PD-L1 抑制剂。在 5 月 18 日获批将 Tecentriq 用于尿路上皮癌（膀胱癌的一种）的治疗后，罗氏再接再厉，在 10 月 18 日进一步获批将 Tecentriq 用于转移性非小细胞肺癌的治疗。这一获批是基于两个涉及 1137 名非小细胞肺癌患者的国际临床试验。与单独使用多西紫杉醇相比，在两个试验中 Tecentriq 将患者的总生存期分别延长了 4.2 和 2.9 个月。而在 2017 年 2 月 16 日举行的最新一届泌尿系统癌症研讨会上来自基因泰克的临床 2 期试验数据显示，患有局部晚期或转移性肾细胞癌，并在肿瘤浸润免疫组织中表达 PD-L1 蛋白的患者，使用 Tecentriq 与贝伐单抗的联合治疗与单独使用舒尼替尼相比，中位无进展生存期提高了近两倍（14.7 个月 vs. 7.8 个月）。

5. 复发性前列腺癌诊断：Axumin



主要成分: fluciclovine F 18

批准日期: 2016 年 5 月 27 日

公司: Blue Earth Diagnostics

Blue Earth Diagnostics 研发的 Axumin 是一种新型的分子显像剂, 用于 PET 成像来鉴定复发性前列腺癌的可疑部位。这是第一个被批准用于此用途的 F18 PET 显像剂。虽然复发性前列腺癌通常可以通过 PSA(前列腺特殊抗原)水平的升高来检测, 但疾病的位置和进展程度无法通过常规成像检测到, 而这就是 Axumin 致力解决的方向。Axumin 用放射性同位素 F18 标记在前列腺癌及其他多种癌症中显著增加的氨基酸转运活动。被标记的 Axumin 人工合成氨基酸将被前列腺癌细胞特异性的吸收, 继而在 PET 扫描中被显示出来。

世界范围内, 前列腺癌是男性癌症死亡的第二大原因。虽然大多数原发性前列腺癌可以被成功治疗, 但其中多达三分之一的患者面临着疾病复发的问题。而约三分之一的疾病复发患者将最终发展成转移性前列腺癌。目前位于英国牛津大学的私有 Blue Earth Diagnostics 公司已与西门子的 PETNET 解决方案签订合同, 授权 PETNET 为 Axumin 美国的独家经销商。现在在美国已有 12 个城市可以提供 Axumin 检测。

这一期的科普就到这里, 我们下期见!

参考资料:

1. <http://www.fiercebiotech.com/special-report/new-drug-approvals-took-a-nosedive-2016-here-are-22-made-grade>
2. <http://www.fiercepharma.com/regulatory/updated-zepatier-beats-harvoni-sovaldi-hep-c-clinical-data-safety-showdown-advera-health>
3. <http://esofosbuvir.com/hepc-drugs-comparison-harvoni-vs-sovaldi-vs-viekirapak-vs-zepatier/>
4. <https://www.briviact.com/taking-briviact>
5. <https://www.fda.gov/Drugs/InformationOnDrugs/ApprovedDrugs/ucm525780.htm>
6. <https://immuno-oncologynews.com/2017/02/21/tecentriq-avastin-combo-shows-promise-untreated-advanced-renal-cell-cancers/>
7. <http://finance.yahoo.com/news/blue-earth-diagnostics-siemens-petnet-130000537.html>