

干货——精选 2016 年度 FDA 批准新药解析（下）

干货下篇如期而至啦！同上篇所述，如果了解某一领域的疾病知识/治疗方法/临床试验，而 Daisy 的文章却没有涉及的话，欢迎大家发邮件给我（daisy@bkg-helper.com）。同时如果大家对 BKGHelper 网站有什么意见的话，也随时可以联系我哦☺ 下面进入正题，为大家详解另外 5 款 2016 年 FDA 在北美批准的新药。

6. 罕见神经内分泌肿瘤的成像诊断：Netspot



主要成分：镓 Ga68 dotatate

批准日期：2016 年 6 月 1 日

公司：Advanced Accelerator Applications

作为 Advanced Accelerator Applications 第二个获得 FDA 批准的药物，Netspot 是一种新型 PET 成像剂，用于诊断神经内分泌肿瘤。神经内分泌肿瘤（NETs）起源于内分泌系统中的激素分泌细胞，在全身各处均可发生。这类肿瘤的可恶之处在于可以在体内隐藏多年，延误诊断和治疗。Netspot 是一种用于制备镓 Ga 68 dotatate 注射液的无菌单剂量试剂盒。在生长抑素受体阳性的 NETs 患者中，Ga 68 dotatate 代替生长抑素与肿瘤表面的生长抑素受体结合，从而精确指示肿瘤位置。

今年 3 月 1 日，Advanced Accelerator Applications 宣布 Netspot 已被纳入国家综合癌症网络（NCCN）肿瘤学临床实践指南 2017.1 版本，为神经内分泌肿瘤诊断提供评估。NCCN 是美国多个顶尖癌症中心的非营利性联盟，旨在为肿瘤医生提供治疗所有主要恶性肿瘤以及检测，预防，降低风险和提供支持性治疗的权威指南。来自洛基山癌症中心神经内分泌研究所的肿瘤外科主任 Eric Liu 医生以及西奈山伊坎医学院核医学和分子成像部主任 Lale Kostakoglu 医生均表示非常欣慰看到这一新兴成像方法被广泛推广。他们相信这项技术将带来患者病情管理方法的重大变化，并为靶向治疗的选择提供指导。

7. 糖尿病：Adlyxin



主要成分：liraglutide（利西拉来）

批准日期：2016 年 7 月 27 日

公司：赛诺菲

在 FDA 收紧对糖尿病药物审查的大环境下，赛诺菲经过漫长的等待，终于在 2016

年 7 月 27 日将治疗 II 型糖尿病的新药利西拉来推向市场。利西拉来属于胰高血糖素样肽-1 受体激活剂家族。激活的胰高血糖素样肽-1 受体通过增加胰岛 Beta 细胞中胰岛素的合成和释放来达到治疗糖尿病的目的。利西拉来的获批是基于包含 5400 名 II 型糖尿病患者的 10 个临床试验结果。在这些试验中，利西拉来被作为独立疗法或与其他 FDA 批准的糖尿病药物（包括二甲双胍，磺酰脲类，吡格列酮以及基础胰岛素）组合来进行疗效评估。试验结果显示，使用利西拉来可以改善血红蛋白 A1c 水平（血红蛋白 A1c 水平代表结合在血红蛋白上血糖水平的高低，与之相对的是游离在血液中的自由血糖分子）。需要注意的是，利西拉来不能被用于治疗 I 型糖尿病患者或血液/尿液中酮类增多的患者。

8. 特定类型的软组织肉瘤：Lartruvo



主要成分：olaratumab

批准日期：2016 年 10 月 19 日

公司：礼来

礼来的 Lartruvo 在早先从 FDA 获得快速审批类别认证、突破性疗法认证、优先审查资格以及孤儿药物认证之后，在 10 月 19 日又获得了 FDA 的加速批准，一时间可谓是占尽了优势。目前 FDA 将该药物作为软组织肉瘤的一线治疗药物，与多柔比星联合使用。这是在多柔比星获批作为治疗软组织肉瘤一线药物的 40 年后，首个在此领域再度获批的药物。

软组织肉瘤是发生在肌肉，脂肪，血管，神经，腱或关节内衬中的一类肿瘤。Lartruvo 通过阻断血小板衍生生长因子（PDGF）受体来延迟肿瘤生长。Lartruvo-多柔比星组合适用于不能通过放射或手术来治疗的软组织肉瘤患者。同时，这些患者的疾病亚型也必须是可以使用蒽环类药物治疗的类型。另一方面，强生公司的新药 Yondelis 也在 2015 年获得了 FDA 批准，用于治疗影响平滑肌和脂肪细胞的两类特定软组织肉瘤。

Lartruvo 的获批是基于一项包含 133 例，罹患 25 种不同亚型转移性软组织肉瘤患者的随机临床试验。该试验测量了患者在接受 Lartruvo-多柔比星或单独多柔比星治疗后存活的时间长度（总生存），治疗后肿瘤大小有无增长（无进展生存）和明显观察到肿瘤有缩小患者的百分比（总反应率）。结果显示，与只接受多柔比星的患者相比，接受了 Lartruvo-多柔比星组合治疗的患者，总生存率（26.5 个月 VS. 14.7 个月），中位无进展生存期（8.2 个月 VS. 4.4 个月）以及肿瘤缩小患者百分比（18.2% VS. 7.5%）均有显著统计学意义的改善。

9. 卵巢瘤：Rubraca

主要成分：rucaparib

批准日期：2016 年 12 月 19 日

公司：Clovis Oncology



来自 Clovis Oncology 的 Rubraca 在 12 月 19 日被 FDA 批准，作为三线疗法用于治疗带有特异性 BRCA 基因突变，并已使用两种或多种化疗药物进行过治疗的晚期卵巢癌患者。同时，FDA 还批准了来自 Foundation Medicine 公司的 Focus CDxBRCA 基因诊断盒伴随 Rubraca 使用。Focus CDxBRCA 利用下一代基因测序技术来检测卵巢癌患者肿瘤组织中是否存在有害的 BRCA 基因突变。如果检测到一个或多个突变，则患者有可能可以使用 Rubraca 进行治疗。Rubraca 的获批是基于包含 106 例晚期卵巢癌患者的临床实验。在单臂试验中接受 Rubraca 治疗的患者里，有 44% 患者的肿瘤完全或部分收缩，持续时间为 9.2 个月。

而在 3 月 12 日刚刚过去的 2017 年妇科肿瘤学会（SGO）全国妇女癌症年会中，Clovis Oncology 报告了来自 Rubraca 二期临床试验的最新数据。此次二期临床试验招募了 493 例带有 BRCA1 或 BRCA2 突变的复发性卵巢癌患者。这些患者分为两类，第一类患者接受过一种或多种化疗药物治疗，铂为最后使用的药物，患者对铂敏感；第二类患者接受过三种或四种化疗药物治疗，对铂敏感，产生了耐药性或完全耐受。试验证明，带有 BRCA 突变，并且对铂敏感的患者使用 Rubraca 后客观缓解率，疾病控制率以及中位无进展生存期最高。

10. 脊髓性肌萎缩：Spinraza



主要成分：Nusinersen

批准日期：2016 年 12 月 23 日

公司：Biogen/Ionis

尽管制药领域分析师们认为 Spinraza 在 2017 年中才会获得批准，就在 2016 年即将结束之时，FDA 批准 Spinraza 上市用于治疗儿童及成人脊髓性肌肉萎缩。此前 Spinraza 已从 FDA 获得孤儿药认证，快速审批类别认证以及优先审查权，而此番更是好风凭借力，成为首个用于治疗脊髓性肌肉萎缩的药物。

脊髓性肌肉萎缩作为罕见疾病的一种，在婴儿中的患病率是 1/10000。然而一旦患病，结果往往致命，会导致身体极度虚弱以及肌肉萎缩。该疾病是由发生在运动神经元基因 1（SMN1）中的突变引起的。该类突变抑制了 SMN 蛋白的产生，而 SMN 蛋白对于维持运动神经元以及调控负责肌肉运动的神经细胞至关重要。Spinraza 通过扩增 SMN2 基因来促进 SMN 蛋白的产生。在此前的一项 III 期临床试验中，与未治疗的患者相比，经过 Spinraza 治疗患者的运动功能得到了显著改善。

目前 Biogen 已经在欧盟，加拿大，澳大利亚和日本申请了 Spinraza 的营销授权。

同时两项新的，分别包含儿童与婴儿患者样本的 III 期临床试验正在进行中，中期分析显示出非常积极的数据。

好啦，这就是 Daisy 为大家精选的十个药物，希望这两篇文章能或多或少帮助大家了解到一些感兴趣的消息。之后 Daisy 会持续关注最近被批准上市或有积极临床数据的药物为大家进行科普。我们下次见！

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.nasdaq.com/press-release/advanced-accelerator-applications-announces-addition-of-netspot-to-national-comprehensive-cancer-20170301-00434>
3. https://en.wikipedia.org/wiki/Glucagon-like_peptide_1_receptor
4. <https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm513602.htm>
5. <https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm525878.htm>
6. <https://www.fda.gov/NewsEvents/Newsroom/PressAnnouncements/ucm533873.htm>
7. <https://www.thepharmaletter.com/article/clovis-oncology-presents-new-mid-stage-data-for-rubraca-in-ovarian-cancer>
8. <http://marketrealist.com/2017/03/a-look-at-ionis-pharmaceuticals-spinraza/>