



Deciphera Pharmaceuticals宣布已向美国FDA提交Ripretinib用于治疗晚期胃肠道间质瘤患者的新药上市申请

2019年 12月 17日

- 该项申请正在按照FDA的实时肿瘤审评试点项目 (RTOR) 接受审评;

- 此次上市申请基于此前的关键性III期临床研究INVICTUS的阳性结果, 该研究用于评估Ripretinib在晚期胃肠道间质瘤 (GIST) 患者中的疗效和安全性

Deciphera Pharmaceuticals公司 (纳斯达克代码: DCPH) 今日宣布, 已向美国食品药品监督管理局 (FDA) 提交Ripretinib的新药上市申请 (NDA)。Ripretinib为该公司的一款处于开发阶段的广谱KIT和PDGFR α 抑制剂, 用于治疗既往接受过伊马替尼、舒尼替尼和瑞戈非尼治疗的晚期胃肠道间质瘤 (GIST) 患者。

Deciphera公司总裁兼首席执行官Steve Hoerter表示: “我们致力于为晚期GIST患者提供潜在的新治疗选择, 而Ripretinib上市申请的提交则是一个令人激动的里程碑。我们期待与FDA合作, 并积极做好该产品获批后在美国上市的准备工作。

Ripretinib的上市申请目前根据FDA下属的肿瘤学卓越中心 (OCE) 的实时肿瘤审评试点项目 (RTOR) 进行审评。这一试点项目旨在探索更有效的评审程序, 以确保在保持和提高审评质量的同时, 尽早为患者提供安全有效的治疗。有关RTOR的更多信息, 请访问: <https://www.fda.gov/about-fda/oncology-center-excellence/real-time-oncology-review-pilot-program>。

2019年10月, FDA授予Ripretinib突破性疗法认定 (BTD), 用于治疗既往接受过伊马替尼、舒尼替尼和瑞戈非尼治疗的晚期GIST患者。突破性疗法旨在加快那些治疗严重疾病且初步临床证据表明可能比现有疗法有重大改善的药物的开发和审评进度。

本次上市申请是基于Deciphera公司开展的评估Ripretinib用于治疗GIST的关键性III期研究INVICTUS的阳性结果。INVICTUS III期临床研究是一项随机 (2:1)、双盲、安慰剂对照的国际多中心研究, 目的是评估Ripretinib与安慰剂相比的安全性和有效性。该研究共入组129名晚期GIST患者, 他们之前接受过至少包括伊马替尼、舒尼替尼和瑞戈非尼在内的治疗。如此前所报道的, 该研究达到了改善无进展生存期 (PFS) 的主要终点, 与安慰剂相比, Ripretinib能够改善四线及四线以上GIST患者的无进展生存期, 研究的疗效数据由独立盲法评审中心根据改良的实体瘤疗效评价标准 (RECIST) 1.1版进行评估确定。

关于胃肠道间质瘤

胃肠道间质瘤是一种影响腹部消化道及其周边结构的肿瘤, 多发于胃及小肠。胃肠道间质瘤是胃肠道最常见的肉瘤, 在美国每年约有4000到6000名新发病例, 欧洲及其他国家的发病率与美国相近。大部分的胃肠道间质瘤由一系列突变驱动, 其中最常见原发突变的为KIT激酶突变, 约占病例中的75%-80%, 或是PDGFR α 激酶, 约占病例中的5%-10%。目前的治疗无法抑制造成耐药及疾病进展的原发和继发的广谱突变。根据疾病诊断时的分期情况, 该疾病的五年生存率约为48%-90%。

关于Ripretinib

Ripretinib是一种被设计成广谱抑制KIT和PDGFR α 突变的研究性酪氨酸激酶开关控制抑制剂, 通过独特的双重作用机制, 调节激酶开关口袋和激活环。Ripretinib目前正在进行临床开发用于治疗KIT/PDGFR α 驱动的肿瘤, 包括胃肠道间质瘤 (GIST)、系统性肥大细胞增多症 (SM) 以及其他肿瘤。Ripretinib可抑制胃肠道间质瘤中原发和继发的KIT第9、11、13、14、17和18外显子突变以及SM中原发17号外显子D816V突变。Ripretinib还抑制PDGFR α 第12、14和18外显子中的原发突变, 包括18外显子D842V突变的胃肠道间质瘤。Ripretinib已经被FDA授予快速审批和突破性疗法资格认定, 用于治疗先前已接受伊马替尼、舒尼替尼和瑞戈非尼治疗的晚期胃肠道间质瘤患者。Ripretinib还被美国FDA和欧洲药品管理局 (EMA) 授予治疗GIST的孤儿药的资格认定。有关公司开展的Ripretinib临床试验的更多信息, 请访问www.clinicaltrials.gov。

Deciphera公司与再鼎医药达成独家授权合作, 以推进Ripretinib在大中华区 (中国大陆、中国香港、中国澳门和中国台湾地区) 的开发和商业化。Deciphera公司将保留在其它地区开发和商业化Ripretinib的权利。