

## 百济神州宣布百泽安®针对高度微卫星不稳定型或错配修复缺陷型实体瘤的新适应症上市申请在中国获受理

中国北京和美国麻省剑桥——2021年6月8日——[百济神州](#)（纳斯达克代码：BGNE；香港联交所代码：06160）是一家全球化的生物科技公司，专注于在世界范围内开发和商业化创新药物。公司今日宣布，中国国家药品监督管理局（NMPA）药品审评中心（CDE）已受理其抗PD-1抗体药物百泽安®（替雷利珠单抗注射液）用于治疗既往经治、局部晚期不可切除或转移性高度微卫星不稳定型（MSI-H）或错配修复缺陷型（dMMR）实体瘤患者的新适应症上市申请。

百济神州肿瘤免疫学首席医学官贵勇医学博士表示：“百泽安®针对高度微卫星不稳定型或错配修复缺陷型实体瘤的新适应症上市申请在中国获受理令人十分激动，这印证了我们对于发掘百泽安®这款潜在差异化检查点抑制剂的全部潜能，并提升该药物可及性、满足未被满足的医疗需求的持续承诺。这是公司递交的百泽安®的第七项适应症上市申请，其中有三项已经在国内获批。公司2期临床试验的结果展现出百泽安®在跨瘤种和不同（试验）终点中一致且持久的治疗效果。我们对试验数据感到鼓舞，并计划就该项申请与CDE展开持续交流，期待在不久的将来为更多患者们带来这款药物。”

此项新适应症上市申请基于一项单臂、多中心、开放性的2期临床试验（NCT03736889）结果。该试验旨在评估百泽安®单药治疗既往经治、局部晚期不可切除或转移性MSI-H或dMMR实体瘤患者的有效性和安全性，有80例中国患者入组。患者每三周静脉注射一次百泽安®200 mg，直至疾病进展、出现不可接受的毒性或停药。治疗第一年，放射诊断在第9周进行，然后每6周进行一次；从第二年起每12周进行一次。试验针对接受过任何剂量的百泽安®治疗并患有可根据独立审查委员会（IRC）基线测量的疾病的全部患者进行主要疗效分析。试验的主要终点是基于独立IRC根据RECIST 1.1版评估结果确定的客观缓解率（ORR），次要终点包括基于研究者和IRC评估结果确定的至缓解时间（TTR）、缓解持续时间（DoR）、疾病控制率（DCR）和无进展生存期（PFS），以及总生存期（OS）、安全性和耐受性。百济神州于2021年美国临床肿瘤学会年会上公布了此项临床试验的结果。

### 关于高微卫星不稳定或错配修复缺陷型实体瘤

高微卫星不稳定（MSI-H）癌细胞拥有比正常细胞更多的遗传标记物，被称之为“微卫星”。它们是短的重复性DNA序列。通常当细胞复制DNA时会修复错配的DNA，拥有大量微卫星的癌细胞可能在这一功能上有缺陷（也被称之为错配修复缺陷，或dMMR）。MSI-H及dMMR肿瘤最常见于结直肠癌、其他类型的胃肠癌和子宫内膜癌，也可能出现在乳腺癌、前列腺癌、膀胱癌及胸腺癌患者中。<sup>1</sup>

### 关于百泽安®（替雷利珠单抗注射液）

百泽安®（替雷利珠单抗注射液）是一款人源化IgG4抗程序性死亡受体1（PD-1）单克隆抗体，设计目的是为最大限度地减少与巨噬细胞中的Fcγ受体结合。临床前数据表明，巨噬细胞中的Fcγ受体结合之后会激活抗体依赖细胞介导杀伤T细胞，从而降低了PD-1抗体的抗肿瘤活性。百泽安®是第一款由百济神州的免疫肿瘤生物平台研发的药物，目前正进行单药及联合疗法临床试验，以开发一系列针对实体瘤和血液肿瘤的广泛适应症。

国家药品监督管理局（NMPA）已在三项适应症中批准百泽安®，包括完全批准百泽安®联合化疗用于治疗一线晚期鳞状非小细胞肺癌（NSCLC）患者。百泽安®另获附条件批准用于治疗至少经过二线系统化疗的复发或难治性经典型霍奇金淋巴瘤（cHL）患者以及PD-L1高表达的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（UC）患者。针对上述两项适应症的完全批准将取决于正在

进行的确证性随机对照临床试验的结果。

此外，四项百泽安®新适应症上市申请在中国已获受理且正在审评过程中，包括一项联合化疗用于治疗一线晚期非鳞状 NSCLC 患者，一项用于治疗既往接受铂类化疗后出现疾病进展的二或三线局部晚期或转移性 NSCLC 患者、一项用于治疗至少经过一种全身治疗的肝细胞癌（HCC）患者，以及一项用于治疗既往经治、局部晚期不可切除或转移性高度微卫星不稳定型（MSI-H）或错配修复缺陷型（dMMR）实体瘤患者。

百济神州已在中国和全球范围内开展或完成了 17 项百泽安®的注册性临床试验，其中包括 13 项 3 期临床试验和 4 项关键性 2 期临床试验。

2021年1月，百济神州与诺华达成协议，授权诺华在北美、欧洲和日本开发、生产和商业化百泽安®。百泽安®在中国以外国家地区尚未获批。

### 关于百泽安®（替雷利珠单抗注射液）的临床项目

百泽安®开展的临床试验包括：

- 替雷利珠单抗对比多西他赛用于二线或三线治疗非小细胞肺癌患者安全性有效性的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03358875）
- 替雷利珠单抗对比救援性化疗用于治疗复发或难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04486391）
- 替雷利珠单抗用于治疗局部晚期或转移性尿路上皮癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03967977）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比化疗用于一线治疗晚期鳞状非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03594747）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比化疗用于一线治疗晚期非鳞状非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03663205）
- 替雷利珠单抗联合含铂双药化疗用于治疗非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04379635）
- 替雷利珠单抗/安慰剂联合铂类药物和依托泊苷用于治疗广泛期小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04005716）
- 替雷利珠单抗对比索拉非尼用于一线治疗肝细胞癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03412773）
- 替雷利珠单抗用于治疗不可切除的肝细胞癌经治患者的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03419897）
- 替雷利珠单抗用于治疗局部晚期或转移性尿路上皮膀胱癌患者的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04004221）

- 替雷利珠单抗对比化疗用于二线治疗食管鳞状细胞癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03430843）
- 替雷利珠单抗联合化疗用于一线治疗食管鳞状细胞癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03783442）
- 替雷利珠单抗对比安慰剂联合同步放化疗用于治疗局限性食管鳞状细胞癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03957590）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比安慰剂联合化疗用于一线治疗胃癌的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03777657）
- 替雷利珠单抗用于治疗复发难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03209973）
- 替雷利珠单抗用于治疗 MSI-H 或 dMMR 实体瘤患者中的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03736889）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比安慰剂联合化疗用于一线治疗鼻咽癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03924986）

## 关于百济神州肿瘤学

百济神州通过自主研发或与志同道合的合作伙伴携手，不断推动同类最佳或同类第一的临床候选药物研发，致力于为全球患者提供有影响力、可及且可负担的药物。公司全球临床研究和开发团队已有约 2300 人，团队规模还在不断扩大。这支团队目前正在全球范围支持开展 90 多项临床研究，已招募患者和健康受试者超过 13000 人。百济神州自有的临床开发团队规划并主导公司产品管线的研发和扩充，为覆盖全球 40 多个国家/地区的临床试验提供支持和指导。公司特别关注血液肿瘤和实体肿瘤的靶向治疗及肿瘤免疫治疗，并重点研究单药和联合疗法。目前，百济神州自主研发的三款药物已获批上市：百悦泽®（BTK 抑制剂，已在美国、中国、加拿大及其他国际市场获批上市）、百泽安®（可有效避免 Fc-γ 受体结合的抗 PD-1 抗体，已在中国获批上市）及百汇泽®（已在中国获批上市）。

同时，百济神州还与其他创新公司合作，共同携手推进创新疗法的研发，以满足全球健康需求。在中国，百济神州正在销售多款由安进和百时美施贵宝授权的肿瘤药物。公司也通过与包括安进、百奥泰、EUSA Pharma、Mirati Therapeutics、Seagen 以及 Zymeworks 在内的多家公司合作，更大程度满足当前全球范围尚未被满足的医疗需求。百济神州还与诺华公司（Novartis Pharma AG）达成合作，授权诺华在北美、欧洲和日本开发、生产和商业化百泽安®。

## 关于百济神州

百济神州是一家立足科学的全球生物科技公司，专注于开发创新、可负担的药物，以为全球患者改善治疗效果和提高药物可及性。公司广泛的药物组合目前包括 40 多款临床候选药物，通过强化公司自主竞争力以及与其他公司开展合作，我们致力于加速现有多元、创新药物管线的开发进程，希望能在 2030 年之前为全球 20 多亿人全面改善药物可及性。百济神州在全球五大洲打造了一支近 6000 人的团队。欲了解更多信息，请访问 [www.beigene.com.cn](http://www.beigene.com.cn)。

## 前瞻性声明

该新闻稿包含根据《1995年私人证券诉讼改革法案》(Private Securities Litigation Reform Act of 1995) 以及其他联邦证券法律下定义的前瞻性声明, 包括该新闻稿中提及的百泽安®用于治疗既往经治、局部晚期不可切除或转移性高度微卫星不稳定型 (MSI-H) 或错配修复缺陷型 (dMMR) 实体瘤患者 2 期临床试验数据、基于此试验数据在中国提交的新适应症上市申请和潜在获批、百济神州对百泽安®的推进、预期的临床开发、药政里程碑和商业化进程百济神州以及在标题“关于百济神州肿瘤学”和“关于百济神州”下提及的百济神州的计划、承诺、愿景和目标。由于各种重要因素的影响, 实际结果可能与前瞻性声明有重大差异。这些因素包括了以下事项的风险: 百济神州证明其候选药物功效和安全性的能力; 候选药物的临床结果可能不支持进一步开发或上市审批; 药政部门的行动可能会影响到临床试验的启动、时间表和进展以及药物上市审批; 百济神州的上市药物及药物候选物 (如能获批) 获得商业成功的能力; 百济神州获得和维护对其药物和技术的知识产权保护的能力; 百济神州依赖第三方进行药物开发、生产和其他服务的情况; 百济神州取得监管审批和商业化医药产品的有限经验, 及其获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和实现并保持盈利的能力; 新冠肺炎全球疫情对百济神州的临床开发、监管、商业化运营、监管以及其他业务带来的影响; 百济神州在最近年度报告 10-Q 表格中“风险因素”章节里更全面讨论的各类风险; 以及百济神州向美国证券交易委员会期后呈报中关于潜在风险、不确定性以及其他重要因素的讨论。本新闻稿中的所有信息仅及于新闻稿发布之日, 除非法律要求, 百济神州并无责任更新该些信息。

#### 投资者联系人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

#### 媒体联系人

吕磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

<sup>1</sup> National Cancer Institute. Available at <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/mismatch-repair-deficiency>. Accessed June 2021.