

百济神州宣布美国食品药品监督管理局（FDA）授予 Zanubrutinib 突破性疗法认定 用于治疗套细胞淋巴瘤患者

中国北京和美国麻省剑桥，2019年1月14日电/美通社/——百济神州（纳斯达克代码: BGNE；港交所代码: 06160），是一家处于商业阶段的生物医药公司，专注于用于癌症治疗的创新型分子靶向和肿瘤免疫药物的开发和商业化。公司今天宣布美国食品药品监督管理局（FDA）授予其在研布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）抑制剂 zanubrutinib 突破性疗法认定（Breakthrough Therapy designation），用于治疗先前至少接受过一种治疗的成年套细胞淋巴瘤（MCL）患者。

百济神州高级副总裁、全球药政事务负责人闫小军女士表示：“我们很高兴得知 FDA 授予 zanubrutinib 突破性疗法认定。Zanubrutinib 的特点之一是 BTK 高选择性，其设计旨在最大化 BTK 占有率，最小化脱靶效应。这项认定进一步肯定了 zanubrutinib 成为治疗既往至少接受过一种治疗的 MCL 患者药品的潜力。在全球范围内，已有 1,300 余例患者接受了 zanubrutinib 的治疗；我们也正在开展针对 zanubrutinib 的广泛临床研究，其中包括七项在全球和/或中国进行的 3 期或关键性临床试验。”

关于突破性疗法认定

FDA 突破性疗法认定旨在加速开发及审评治疗严重的或威胁生命的疾病的在研新药，且其初步临床试验表明，在一个或多个有临床意义的终点指标上与现有疗法相比有显著改善。根据 FDA 指导原则，研发中的新药若获得突破性疗法的认定，将享受一系列优惠待遇，包括 FDA 审评人员悉心指导设计有效的药物开发计划，有高级管理人员参与的政策和审评资源支持，以及滚动审评和优先审评的资格。《美国食品药品监督管理局安全与创新法案》（FDASIA）要求根据具体情况开展以下工作，与申办方和审评团队在整个药物开发期间举行会议，就药物的开发向申办方提供及时的建议、与申办方就项目的开发进行互动交流，以保证开发项目以及非临床和临床资料在切实可行的范围内最有效地用于药物批准，采取措施以保证临床试验设计在切实可行的范围内最为有效，在科学适用的情况下，比如尽可能减少接受潜在的、可能较为低效的疗法的患者人数，分派一位跨学科的项目负责人帮助 FDA 审评团队有效地审评开发项目，在审评团队的各学科，即临床、药理及毒理学、化学、生产与控制及合规团队中担任科学联络员，以协调内部交流以及通过注册项目经理与申办方进行沟通，并在需要时调动高级管理人员和经验丰富的审评人员共同合作进行跨学科的审评。若在研新药不再符合突破性疗法的标准，此认定可被撤销。

关于套细胞淋巴瘤

淋巴瘤是一组起源于B、T或NK细胞的含多种亚型的恶性肿瘤。套细胞淋巴瘤（MCL）通常是侵袭性的非霍奇金淋巴瘤（NHL），起源于“套区”的B细胞。2014年，美国预计有70,800起新增NHL病例，其中MCL新增病例为总数的6%（约4,200起）ⁱ。2013年，中国大陆的淋巴瘤的发病率为每10万人中4.2例，死亡率为每10万人中2.2例ⁱⁱ，在最常见癌症中排名第十一位，在癌症死亡主要原因中排名第十ⁱⁱⁱ。虽然偶尔患者病程呈惰性进展，但是MCL通常预后很差，中位生存期为三至四年^{iv}。MCL在诊断时通常已经处于疾病晚期。



关于Zanubrutinib

Zanubrutinib是一款在研的布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）小分子抑制剂，目前正在全球进行广泛的关键性临床试验项目，作为单药和与其他疗法进行联合用药治疗多种淋巴瘤。

百济神州针对zanubrutinib开展广泛的临床研究包括一项已完成患者入组的针对华氏巨球蛋白血症（WM）患者对比伊布替尼的全球3期临床研究；一项针对初治慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者的全球3期临床研究；一项与GAZYVA®（奥比妥珠单抗）联合用药治疗复发/难治性（R/R）滤泡性淋巴瘤的全球关键性2期临床研究；一项针对R/R CLL/ SLL患者对比伊布替尼的全球3期临床研究；一项全球1期临床研究。在中国，百济神州已经完成了两项zanubrutinib的关键性2期临床试验，分别用于治疗MCL患者和CLL/SLL患者；还完成了zanubrutinib用于治疗WM患者的关键2期临床试验患者入组。

美国食品药品监督管理局（FDA）已授予zanubrutinib用于治疗WM患者的快速通道资格（Fast Track designation）以及用于治疗先前至少接受过一种治疗的成年MCL患者的突破性疗法认定（Breakthrough Therapy designation）。中国国家药品监督管理局（NMPA）药品审评中心（CDE）正在对zanubrutinib用于治疗R/R MCL和R/R CLL/SLL的新药上市申请（NDA）进行审评，两者均被纳入优先审评。

关于百济神州

百济神州是一家全球性的、商业阶段的、以研发为基础的生物科技公司，专注于分子靶向和免疫肿瘤疗法的研发。百济神州目前在中国大陆、美国、澳大利亚和瑞士拥有超过1,700名员工，在研产品线包括新型口服小分子类和单克隆抗体类抗癌药物。百济神州目前也正在打造抗癌治疗的药物组合方案，旨在为癌症患者的生活带来持续、深远的影响。在新基公司的授权下，百济神州在华销售ABRAXANE®注射用紫杉醇（纳米白蛋白颗粒结合型）、瑞复美®（来那度胺）和维达莎®（注射用阿扎胞苷）^v。

前瞻性声明

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要求，该新闻稿包含前瞻性声明，包括有关百济神州对zanubrutinib相关的进展计划、预期的临床开发计划、药政注册里程碑及zanubrutinib的商业化等。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、时间表和进展以及产品上市审批；百济神州的上市产品及药物候选物（如能获批）获得商业成功的能力；百济神州对其技术和药物知识产权保护获得和维护的能力；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；百济神州有限的营运历史和获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和商业化



的能力；以及百济神州在最近季度报告的 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 10-5895-8049

media@beigene.com

ⁱ https://www.ils.org/sites/default/files/file_assets/mantlecelllymphoma.pdf

ⁱⁱ Chen W, Zheng R, Baade PD, Zhang S, Zeng H, Bray F, et al. Cancer Statistics in China, 2015. CA Cancer J Clin. 2016;66(2):115–32

ⁱⁱⁱ Chen W, Zheng R, Baade PD, Zhang S, Zeng H, Bray F, et al. Cancer Statistics in China, 2015. CA Cancer J Clin. 2016;66(2):115–32

^{iv} Philip J. Bierman, James O. Armitage, in Goldman's Cecil Medicine (Twenty Fourth Edition), 2012

^v ABRAXANE[®], REVLIMID[®], and VIDAZA[®] are registered trademarks of Celgene Corporation.