

中国国家药品监督管理局批准 PARP 抑制剂百汇泽®（帕米帕利）用于治疗既往接受过治疗的晚期卵巢癌患者

百汇泽®成为中国首款获批涵盖铂敏感及铂耐药复发卵巢癌的 PARP 抑制剂

标志着百汇泽®的首项获批以及百济神州第三款获批的自主研发药物

中国北京和美国麻省剑桥——2021年5月7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）已授予其 PARP 抑制剂百汇泽®（帕米帕利）附条件批准，用于治疗既往接受过至少两线化疗、伴有胚系 BRCA（gBRCA）突变的晚期卵巢癌、输卵管癌或原发性腹膜癌患者。药品审评中心（CDE）于 2020 年 7 月将相关新药上市许可申请纳入优先审评。百济神州正在筹备商业化相关工作，预计将在本月内完成百汇泽®的商业发布。

百济神州总裁、首席运营官兼中国区总经理吴晓滨博士表示：“国家药监局今天批准百汇泽®，使其成为百济神州第三款获得上市许可的自主研发创新药物，这是公司发展进程中的一项重要里程碑事件，也是对我们科学创新的极大认可。公司广泛的商业化产品组合现包含 7 款药物，在恶性血液瘤和实体瘤中覆盖 15 项适应症，帮助我们以科学为主导的中国商业化团队为有需要的患者提供服务。百济神州将继续推进公司广泛多元的产品管线，致力于实现我们的使命——为全球患者提供可及和可负担的高效药物。”

百济神州肿瘤免疫学首席医学官贲勇医学博士表示：“百汇泽®是中国首款获批用于治疗涵盖铂敏感以及铂耐药的复发性卵巢癌患者的 PARP 抑制剂，我们为此十分激动。百汇泽®的设计独特，旨在降低耐药性且提供持续抗肿瘤缓解，正如去年我们在欧洲肿瘤内科学会（ESMO）年会上公布的数据显示，这款高选择性 PARP 抑制剂在患者中产生了颇高的客观缓解率，且总体耐受性良好。我们十分感激参与临床试验的患者和研究者，并期待百汇泽®成为中国复发性卵巢癌患者的一款重要治疗选择。此外，我们正在其他多项试验和适应症中评估百汇泽®，包括正在开展的百汇泽®作为维持疗法用于治疗铂敏感复发性卵巢癌患者的 3 期临床试验。”

复旦大学附属肿瘤医院肿瘤妇科主任吴小华博士兼该试验主要研究者称：“疾病复发在晚期卵巢癌患者中十分常见，由于化疗疗效有限且毒副作用大，PARP 抑制剂在后线治疗中已成为一项常用疗法。这项关键 2 期临床试验数据令人欣喜，展现了帕米帕利能为铂敏感或铂耐药患者带来具有临床意义且持久的缓解。我们相信帕米帕利获批能为这些患者和家属带来新的治疗希望。”

NMPA 附条件批准百汇泽®用于治疗晚期卵巢癌、输卵管癌或原发性腹膜癌患者是基于一项 1/2 期临床试验（NCT03333915）的关键性 2 期部分临床结果。共有 113 例既往接受过至少两项标准化疗、伴有 gBRCA 突变的高级别上皮性卵巢癌（包括输卵管癌或原发性腹膜癌）患者在中国入组该项试验的关键性 2 期部分，包括 90 例晚期铂敏感卵巢癌（PSOC）患者和 23 例晚期铂耐药卵巢癌（PROC）患者。

百汇泽®有效性数据是基于 101 例疗效可评估患者经独立审查委员会（IRC）根据 RECIST v1.1 进行评估，其中包括 82 例 PSOC 患者和 19 例 PROC 患者。PSOC 患者中的中位随访时间为 17.0 个月，客观缓解率（ORR）为 68.3%（95%CI: 57.1, 78.1），中位缓解持续时间（DoR）为 13.8 个月（95% CI: 10.97,

20.73)；PROC 患者中的中位随访时间为 11.6 个月，ORR 为 31.6% (95%CI: 12.6, 56.6)，中位 DoR 为 11.1 个月 (95%CI: 4.21, 16.59)。

百汇泽®总体安全性概况是基于在 3 项临床试验中接受百汇泽®单药治疗的 317 例患者所得。最常见的不良反应 (≥10%) 为贫血、恶心、白细胞减少症、中性粒细胞减少症、呕吐、疲乏、血小板减少症、食欲减退、腹泻、腹痛、天门冬氨酸氨基转移酶 (AST) 升高、丙氨酸氨基转移酶 (ALT) 升高、血胆红素升高和淋巴细胞减少症。55.8% 的患者经历了 3 级及以上的不良反应，最常见 (≥1%) 为贫血、中性粒细胞减少症、白细胞减少症、血小板减少症、淋巴细胞减少症、呕吐、疲乏、腹泻、恶心和 AST 升高。21.5% 的患者经历了严重不良反应，最常见 (≥1%) 为贫血和白细胞减少症。

该项关键二期临床试验在中国报告的最常见不良反应 (≥10%) 为贫血、白细胞减少、恶心、中性粒细胞减少症、呕吐、血小板减少症、食欲减退、疲乏、腹痛、ALT 升高、腹泻、AST 升高、淋巴细胞减少症、 γ -谷氨酰转移酶增加、上呼吸道感染、血胆红素增加、不适、体重下降和头晕。71.7% 的患者经历了三级及以上不良反应，最常见 (≥1%) 为贫血、中性粒细胞减少症、白细胞减少症、血小板减少症、淋巴细胞减少症、呕吐、腹泻、 γ -谷氨酰转移酶升高、低血钾、腹痛、疲乏、上呼吸道感染、全血细胞减少症和高血压。

百汇泽®推荐剂量为每次 60 毫克、每日两次口服治疗。

关于卵巢癌

卵巢癌在女性常见癌症排名中位列第七名，2018 年有 295525 名新增病例ⁱ。由于超过六成的卵巢癌患者在确诊时已为晚期，加上约七成患者由于化疗耐药导致疾病复发，卵巢癌死亡率普遍偏高^{ii,iii}。在中国，卵巢癌是死亡率最高的妇科癌症，每年约有 22500 起死亡病例。中国卵巢癌患者的五年生存率约为 40%^{iv,v}。

关于百汇泽® (帕米帕利)

百汇泽® (帕米帕利) 是一款 PARP1 和 PARP2 抑制剂，临床前模型显示其具有穿透血脑屏障和 PARP-DNA 复合物捕捉等药理学特性。由百济神州的科学家在北京研发中心自主研发，百汇泽®目前正作为单一疗法或与其他药物联用治疗多种恶性实体瘤进行全球临床开发。迄今为止，已有 1200 多例患者入组百汇泽®临床试验。

2021 年 5 月，中国国家药品监督管理局 (NMPA) 附条件批准百汇泽®用于治疗既往接受过至少两线化疗、携带胚系 BRCA (*gBRCA*) 突变的晚期卵巢癌、输卵管癌或原发性腹膜癌患者。针对该适应症的完全批准将取决于正在开展中的确证性临床试验结果。

关于帕米帕利的临床项目

帕米帕利的临床试验包括：

- 在中国开展的帕米帕利对比安慰剂用于铂敏感的复发性卵巢癌患者维持治疗的 3 期临床试验 (NCT03519230)

- 帕米帕利用于治疗携有同源重组缺陷转移性去势抵抗性前列腺癌患者的 2 期临床试验 (NCT03712930)
- 在中国开展的帕米帕利用于治疗携有 BRCA 突变的转移性 HER2 阴性乳腺癌患者的 2 期临床试验 (NCT03575065)
- 帕米帕利用于治疗晚期或不可手术的胃癌患者的 2 期临床试验 (NCT03427814)
- 在中国开展的帕米帕利用于治疗晚期卵巢癌、输卵管癌、原发性腹膜癌或晚期三阴乳腺癌患者的 1/2 期临床试验 (NCT03333915)
- 帕米帕利联合放疗及/或替莫唑胺用于治疗新诊断或复发/难治性多形性胶质母细胞瘤患者的 1b/2 期临床试验 (NCT03150862)
- 帕米帕利联合替莫唑胺用于治疗局部晚期或转移性实体瘤患者的 1b 期临床试验 (NCT03150810)
- 帕米帕利联合百泽安用于治疗多项恶性实体瘤的 1b 期临床试验 (NCT02660034)

关于百济神州肿瘤

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 80 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两款药物已获批上市：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) 及百泽安® (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)。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。

前瞻性声明

本新闻稿包含 1995 年《私人证券诉讼改革法案》（Private Securities Litigation Reform Act of 1995）和其他联邦证券法所定义的前瞻性声明，包括百汇泽®用于治疗晚期实体瘤患者的 1/2 期临床试验中关键性 2 期部分临床结果，百汇泽®为患者带来临床获益的潜能，百济神州有关百汇泽®的进展计划、预期的临床开发计划、药政里程碑及商业化，以及在“关于百济神州肿瘤学”和“关于百济神州”副标题下提及的百济神州计划、承诺、抱负和目标。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候选药物（如能获得）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；新冠肺炎全球大流行对百济神州的临床开发、监管、商业化运营以及其他业务带来的影响；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会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

ⁱ Bray F, Ferlay J, Soerjomataram I, Siegel RL, Torre LA, Jemal A. Global cancer statistics 2018: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries. *CA Cancer J Clin.* 2018;68(6):394–424.

ⁱⁱ Torre LA, Trabert B, DeSantis CE, et al. Ovarian cancer statistics, 2018. *CA Cancer J Clin.* 2018;68(4):284-296.

ⁱⁱⁱ Ovarian Cancer Research Alliance. Available at: <https://ocrahope.org/patients/about-ovarian-cancer/recurrence/>. Accessed April 2021.

^{iv} Chen W, Zheng R, Baade PD, et al. Cancer statistics in China, 2015[J]. *CA Cancer J Clin.* 2016;66(2):115-132.

^v Jiang X, Tang H, Chen T. Epidemiology of gynecologic cancers in China. *J Gynecol Oncol.* 2018;29(1):e7.