

百济神州宣布百泽安®针对二或三线非小细胞肺癌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3月5日—百济神州（纳斯达克代码：BGNE；香港联交所代码：06160）是一家处于商业阶段的生物科技公司，专注于在全球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PD1抗体百泽安®（替雷利珠单抗）用于治疗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非小细胞肺癌（NSCLC）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®针对肺癌的广泛临床开发项目共包括5项已完成或正在开展的3期临床试验，而我们也很高兴能递交该肺癌项目的第三项上市申请。3期临床试验RATIONALE 303的中期分析结果证明，百泽安®对比化疗能够改善那些接受化疗后出现疾病进展的晚期NSCLC患者的总生存期，我们也因此能够快速向CDE递交新适应症注册申请并获受理。在中国，百泽安®已有3项适应症获批，并有3项新适应症申请正在审评中。我们很高兴能够继续推动这款具有潜在差异化的检查点抑制剂的广泛临床开发项目，并与我们的新晋合作伙伴诺华探索更多发展机会。”

百济神州高级副总裁，全球药政事务负责人闫小军表示：“此项新适应症上市申请基于全球关键3期临床试验的研究数据，是百泽安®临床开发历程中又一新的里程碑事件。我们期待就该项申请与CDE密切合作，将这一新的免疫疗法带给中国二或三线非小细胞肺癌患者。”

RATIONALE 303：百泽安®对比多西他赛针对接受铂类化疗后出现疾病进展的局部晚期或转移性 NSCLC 患者的 3 期临床试验

此项 sBLA 是基于 RATIONALE 303 的中期分析结果。RATIONALE 303 是一项随机、开放性、多中心的全球 3 期临床试验（NCT03358875），旨在评估百泽安®对比多西他赛用于治疗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 患者的有效性和安全性。该试验的主要终点为在全部患者（意向治疗患者人群）中以及在 PD-L1 高表达患者中的 OS；关键次要终点包括客观缓解率（ORR）、缓解持续时间（DoR）、无进展生存期（PFS）及安全性。该试验共在亚洲、欧洲、美洲和大洋洲的 10 个国家入组了 805 例患者，以 2: 1 的比例随机至百泽安®试验臂或多西他赛试验臂。

百济神州于 2020 年 11 月宣布，经独立数据监查委员会（DMC）评估判断，RATIONALE 303 临床试验在事先计划的中期分析中达到了 OS 这一主要终点。百泽安®的安全性数据与已知风险相符，未出现新的安全警示。百济神州预计在 2021 年上半年即将举行的一场医学会议上公布 RATIONALE 303 试验结果。

关于非小细胞肺癌

在中国，肺癌发病率持续增长ⁱ。2020 年，中国约有 815563 起新增肺癌病例。肺癌在男性和女性癌症患者中均为癌症相关死亡的主要原因，2020 年在中国约有 714699 起死亡病例ⁱⁱ。非小细胞肺癌（NSCLC）是最常见的一类肺癌，约占全部肺癌病例的 80-85%ⁱⁱⁱ。

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，开发一系列针对实体瘤和血液肿瘤的广泛适应症。

中国国家药品监督管理局（NMPA）已批准百泽安®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结果。

此外，NMPA 药品审评中心（CDE）已受理百泽安的三项新适应症上市申请且正在审评过程中，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，以及一项用于治疗既往经治的不可切除肝细胞癌患者。

目前共有 15 项百泽安®的注册性临床试验在中国和全球范围内开展，其中包括 13 项 3 期临床试验和 2 项关键性 2 期临床试验。

2020 年 1 月，百济神州与诺华达成合作将在北美、欧洲和日本开发、制造和商业化百泽安®。

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）的临床研发项目

替雷利珠单抗的临床试验包括：

- 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 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

百济神州是一家全球性、商业阶段的生物科技公司，专注于研究、开发、生产以及商业化创新性药物以为全世界患者提高疗效和药品可及性。百济神州目前在全球拥有 5400 多名员工，正在加速推动公司多元化的新型癌症疗法药物管线。目前，百济神州两款自主研发的药物，BTK 抑制剂百悦泽®（泽布替尼胶囊）正在美国和中国进行销售、抗 PD-1 抗体药物百泽安®（替雷利珠单抗注射液）在中国进行销售。此外，百济神州在中国正在或计划销售多款由安进公司、新基物流有限公司（隶属百时美施贵宝公司）以及 EUSA Pharma 授权的肿瘤药物，并与诺华达成合作以在北美、欧洲和日本开发和商业化抗 PD-1 抗体百泽安®。欲了解更多信息，请访问 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，包括百泽安®对比多西他赛针对接受铂类化疗后出现疾病进展的局部晚期或转移性 NSCLC 患者的 RATIONALE-303 全球 3 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、百济神州预计在即将举行的医学会议上公布该试验结果，以及百济神州对百泽安®预期的临床开发、药政里程碑和商业化进程。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；新冠肺炎全球大流行对公司临床开发、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-K 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。

百济神州联系人

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 She J, Yang P, Hong Q, et al. Lung cancer in China: challenges and interventions. Chest 2013;143:1117-26.

ⁱⁱ The Global Cancer Observatory. Available at <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/populations/160-china-factsheets.pdf>. Accessed March 2021.

ⁱⁱⁱ American Cancer Society. Available at [https://www.cancer.org/cancer/lung-cancer/about/what-is.html#:~:text=About%2080%25%20to%2085%25%20of,\(outlook\)%20are%20often%20similar](https://www.cancer.org/cancer/lung-cancer/about/what-is.html#:~:text=About%2080%25%20to%2085%25%20of,(outlook)%20are%20often%20similar). Accessed December 2020.