

百济神州宣布美国食品药品监督管理局已受理百悦泽®（泽布替尼）针对华氏巨球蛋白血症的新适应症上市申请

美国麻省剑桥和中国北京—2021年2月17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，美国食品药品监督管理局（FDA）已受理百悦泽®（泽布替尼）用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）患者的新适应症上市申请（sNDA），处方药申报者付费法案（PDUFA）日期为2021年10月18日。

百济神州血液学首席医学官黄蔚娟医学博士表示：“WM是一种罕见且十分严重的疾病，我们非常欣慰FDA已受理百悦泽®用于治疗这项疾病的新适应症上市申请。近年来，BTK抑制剂虽然已经改善了WM的整体治疗，但是罹患不同亚型的患者对其产生的缓解还存在差异，同时毒性仍然是个问题。我们会在接下来的几个月中不断与FDA进行沟通，期待百悦泽®能成为美国WM患者的一项全新治疗方案。”

这项sNDA共包括来自351例WM患者的数据，主要基于百悦泽®对比伊布替尼用于治疗WM患者的全球3期ASPEN临床试验（NCT03053440）的安全性和有效性数据；此外，还包括来自两项百悦泽®临床试验的支持性数据，分别为在中国开展的用于治疗复发/难治性WM患者的关键性2期临床试验（NCT03332173）和用于治疗B细胞恶性肿瘤患者的全球1/2期临床试验（NCT02343120）。同时，六项百悦泽®临床试验中779例患者的安全性数据也被包含在该项sNDA中。

除美国以外，欧盟、加拿大、澳大利亚、中国、中国台湾和韩国的药品监管部门均已受理百悦泽®用于治疗WM患者的相关上市申请。

百悦泽®于2019年11月在美国获得加速批准用于治疗既往接受过至少一项疗法的套细胞淋巴瘤（MCL）患者。百悦泽®于2020年6月在中国获得附条件批准，用于治疗既往至少接受过一种疗法的成年慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者、既往至少接受过一种疗法的成年MCL患者的两项适应症。目前，共有20余项百悦泽®相关上市申请已完成递交工作，涵盖包括美国、中国和欧盟在内的全球45个国家和地区。

关于华氏巨球蛋白血症

华氏巨球蛋白血症（WM）是一种罕见惰性淋巴瘤，在不到2%的非霍奇金淋巴瘤（NHL）患者中出现。在美国，每年大约有5000例WM新增病例。该疾病通常出现在年长患者中，主要在骨髓中发现，但也可能累及淋巴结和脾脏。¹

关于百悦泽®（泽布替尼）

百悦泽®（泽布替尼）是一款由百济神州科学家自主研发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B细胞恶性肿瘤。

百悦泽®于2019年11月在美国获得加速批准用于治疗既往接受过至少一项疗法的套细胞淋巴瘤（MCL）患者。该项加速批准是基于总缓解率（ORR）。针对该适应症的持续批准将取决于验证性试验中临床益处的验证和描述。美国食品药品监督管理局（FDA）已受理百悦泽®针对华氏巨球蛋白血症（WM）的新适应症上市申请。

2020年6月，百悦泽[®]在中国获得附条件批准用于治疗既往至少接受过一种治疗的成年套细胞淋巴瘤（MCL）患者、既往至少接受过一种治疗的成年慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者。一项百悦泽[®]用于治疗复发/难治性华氏巨球蛋白血症（WM）患者的新适应症上市申请已被中国国家药品监督管理局（NMPA）药品审评中心（CDE）受理并纳入优先审评行列。

一项百悦泽[®]作为既往接受过至少一项疗法的 WM 患者或作为不适合化学免疫疗法 WM 患者的一线治疗方案的上市许可申请（MAA）已被欧洲药品管理局（EMA）受理。此外，另有 20 项百悦泽[®]的相关上市申请已在全球 16 个国家和地区完成递交工作。

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。百济神州目前在中国大陆、美国、澳大利亚、欧洲和其他地区拥有 5200 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。欲了解更多信息，请访问 www.beigene.com.cn。

百济神州前瞻性声明

本新闻稿包含根据《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中定义的前瞻性声明，包括有关百悦泽[®]用于治疗华氏巨球蛋白血症患者在美国的新适应症上市申请的药政审评和获批，百悦泽[®]在美国和其他新兴市场的未来的开发、药政批准和潜在商业化，以及百悦泽[®]的潜在临床益处和商业机会。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候选药物（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等信息。

百济神州联系人

投资者联系人

ir@beigene.com

周密

媒体联系人

+86 10-5895-8058

吕磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

ⁱ Lymphoma Research Foundation. Available at <https://lymphoma.org/aboutlymphoma/nhl/wm/>. Accessed December 2020.