

百济神州宣布欧洲药品管理局已受理百悦泽[®]（泽布替尼）用于治疗华氏巨球蛋白血症患者的上市许可申请

美国麻省剑桥和中国北京 - 2020年6月18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。公司今日宣布欧洲药品管理局（EMA）已确认受理百悦泽[®]（泽布替尼）的上市许可申请（MAA），适用于既往接受过至少一项疗法的华氏巨球蛋白血症（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。

百济神州血液学首席医学官黄蔚娟医学博士表示：“这是我们向 EMA 递交的首项申请，也是针对 WM 适应症的首项药品注册申请，在百悦泽[®]的开发历程中具有重要意义。在公司开展的头对头 ASPEN 临床试验中，百悦泽[®]对比第一代 BTK 抑制剂伊布替尼，在 WM 患者中证实有效并在安全性及耐受性上产生了具有临床意义的改善。在中国和美国，百悦泽[®]已在其他适应症中获批，我们也很高兴能够继续推动这项广泛的全球开发项目以帮助 B 细胞淋巴瘤患者。”

黄蔚娟医学博士补充道：“WM 通常出现在年龄较大的患者中，百悦泽[®]对比伊布替尼在心血管疾病安全性上更有优势，我们希望这一点能够帮助百悦泽[®]成为欧洲 WM 患者的首选治疗方案。”

百济神州高级副总裁、全球药政事务负责人闫小军女士评论道：“我们很高兴能够完成公司自主研发的 BTK 抑制剂百悦泽[®]的首项 EMA 注册申请，也期待在这项针对华氏巨球蛋白血症的上市申请审评过程中与 EMA 进行沟通交流。我们要感谢参与临床试验的众多患者和研究人员，以及致力于将这款潜在的新一代治疗方案带给广大患者的百济神州团队。”

该项 MAA 中的临床数据包括在 2020 年美国临床肿瘤学会（ASCO）线上会议以及第 25 届欧洲血液学协会（EHA）线上年会中公布的用于评估泽布替尼对比伊布替尼用于治疗复发/难治性（R/R）或初治（TN）WM 患者的随机、开放性、多中心的 ASPEN 3 期临床试验（NCT03053440）。MAA 的安全性数据来自在 6 项临床试验中接受百悦泽[®] 治疗的 779 例 B 细胞恶性肿瘤患者。

关于华氏巨球蛋白血症

华氏巨球蛋白血症（WM）是一类罕见淋巴瘤，约占所有非霍奇淋巴瘤的 1%，通常在确诊后进展缓慢¹。在欧洲，每 100 万男性中约有 7 例 WM 患者、每 100 万女性中约有 4 例患者²。

关于泽布替尼的临床项目

泽布替尼临床试验包括：



- 泽布替尼对比伊布替尼（唯一获批用于治疗该适应症的BTK抑制剂）用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）患者的ASPEN 3期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03053440；已完成患者入组）
- 泽布替尼对比苯达莫司汀联合利妥昔单抗用于治疗初治（TN）慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者的SEQUOIA 3期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03336333）
- 泽布替尼对比伊布替尼用于治疗复发/难治性（R/R）CLL或SLL患者的ALPINE 3期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03734016）
- 泽布替尼联合利妥昔单抗对比苯达莫司汀联合利妥昔单抗用于治疗未经治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）患者的MANGROVE 3期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT04002297）
- 泽布替尼用于治疗R/R边缘区淋巴瘤（MZL）患者的MAGNOLIA 2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03846427）
- 泽布替尼联合奥比妥珠单抗对比奥比妥珠单抗用于治疗R/R FL患者的ROSEWOOD 2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03332017）
- 泽布替尼联合维持疗法对比安慰剂联合维持疗法用于治疗COVID-19新冠肺炎及肺部窘迫患者在美国开展的2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT04382586）
- 泽布替尼用于治疗对伊布替尼或阿卡替尼不耐受的B细胞恶性肿瘤患者在美国开展的2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT04116437）
- 泽布替尼用于治疗 R/R WM患者在中国开展的2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03332173）
- 泽布替尼用于治疗R/R MCL患者在中国开展的2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03206970；已完成）以及治疗R/R CLL或SLL患者的2期临床试验（clinicaltrials.gov登记号：NCT03206918；已完成）

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14日获得美国食品药品监督管理局（FDA）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

症状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。2020年5月，百悦泽®在中国获批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。

百悦泽®在美国和中国以外国家地区尚未获批。

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、澳大利亚和欧洲拥有 3800 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 PD1 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.cn。

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。包括参与 ASPEN 临床试验患者的临床数据以及对比伊布替尼的优势以及百济神州对其产品和候选产品的进一步推进和预期的临床开发、监管里程碑和商业化的声明。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



¹ Lymphoma Research Foundation. Getting the Facts: Waldenström Macroglobulinemia. Accessed May 2020.

Available at [https://lymphoma.org/wp-](https://lymphoma.org/wp-content/uploads/2018/04/LRF_FACTSHEET_WALDENSTR%C3%96M_MACROGLOBULINEMIA.pdf)

[content/uploads/2018/04/LRF_FACTSHEET_WALDENSTR%C3%96M_MACROGLOBULINEMIA.pdf](https://lymphoma.org/wp-content/uploads/2018/04/LRF_FACTSHEET_WALDENSTR%C3%96M_MACROGLOBULINEMIA.pdf)

² Buske, S, et al. Treatment and outcome patterns in European patients with Waldenström’s macroglobulinaemia: a large, observational, retrospective chart review. The Lancet Haematology 2018; 5: e0299-309.