

中国国家药品监督管理局批准百悦泽®（泽布替尼）用于治疗复发或难治性华氏巨球蛋白血症患者
标志着百悦泽®在中国取得第三项适应症的批准，以及针对华氏巨球蛋白血症在全球的第二项批准

中国北京和美国麻省剑桥——2021年6月19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）已授予百悦泽®（泽布替尼）附条件批准，用于治疗既往至少接受过一种治疗的成人华氏巨球蛋白血症（WM）患者。NMPA药品审评中心（CDE）于2020年10月将这项新适应症上市许可申请纳入优先审评。

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：“WM是一种目前仍无法治愈的血液恶性肿瘤，可能对患者的生命和生活质量带来严重威胁。国家药监局批准我们的新型BTK抑制剂百悦泽®在该适应症中的上市许可，使得我们能够为患者、他们的家人与广大临床医生带来一项治疗WM的新选择，这让我们倍感自豪。此次获批也标志着百悦泽®在中国取得第三项针对B细胞恶性肿瘤的批准，我们相信，它将在满足全球血液肿瘤患者尚未被满足的医疗需求中，发挥重要作用。”

中国医学科学院血液病医院淋巴瘤诊疗中心主任，同时也是百悦泽®在WM的关键性临床试验BGB-3111-210研究的主要研究者邱录贵教授表示：“罹患WM的多为老年患者，对于这类疾病，维持较长时间的治疗可能有助于改善预后效果，但这同时也使得耐受性与安全性成为临床上需要格外重视的问题。此前公布的研究结果表明，百悦泽®能够降低患者发生心血管相关不良反应的风险，并产生深度和持久的疾病缓解，我很欣慰百悦泽®在WM中取得批准，将为更多中国患者带来获益。”

百济神州血液学首席医学官黄蔚娟医学博士表示：“百悦泽®由百济神州的科学家们进行了特殊设计，经过优化，减少了过去在第一代BTK抑制剂中观察到的脱靶效应。公司已经开展了广泛的临床开发项目来评估百悦泽®的临床获益，包括ASPEN研究这项头对头临床试验。我们衷心感谢所有参与试验的患者和临床医生，并希望随着百悦泽®全球注册的推进，能够进一步提升这款药物对于WM和其他血液系统恶性肿瘤患者的可及性。”

此次NMPA附条件批准百悦泽®用于治疗既往至少接受过一种治疗的WM患者，是基于一项单臂关键性2期临床试验（NCT03332173）的安全性和有效性结果。该试验的中位随访时间为14.9个月，经独立评审委员会（IRC）评估，试验的主要终点——主要缓解率（MRR）为72.1%（95% CI: 56.3, 84.7）。MRR指的是完全缓解、非常好的部分缓解和部分缓解的总和。该试验的安全性数据与先前观察到的情况相符。

百悦泽®在中国用于治疗WM患者的推荐每日总剂量为320毫克。

关于华氏巨球蛋白血症

华氏巨球蛋白血症是一种罕见惰性淋巴瘤，在非霍奇金淋巴瘤（NHL）患者中占比不到2%¹。该疾病通常发生在老年患者中，主要在骨髓中发现，但也可能累及淋巴结和脾脏²。在中国，每年大约有88200例淋巴瘤新增病例，这些病例中约有91%被归类为NHL，意味着中国每年约有1000例WM新增病例³。

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临床试验项目，作为单药和与其他疗法进行联合药物治疗多种B细胞恶性肿瘤。由于新的BTK会在人体内不断合成，百悦泽®的设计通过优化生物利用度、半衰期和选择性，实现对BTK蛋

白完全、持续的抑制。凭借与其他获批 BTK 抑制剂存在差异化的药代动力学，百悦泽®能在多个疾病相关组织中抑制恶性 B 细胞增殖。

百悦泽®已在以下地区中获批如下适应症：

- 2019年11月，百悦泽®在美国获批用于治疗既往接受过至少一种治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）患者*
- 2020年6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人套细胞淋巴瘤（MCL）患者**
- 2020年6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人慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者
- 2021年6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人华氏巨球蛋白血症（WM）患者**
- 2021年2月，百悦泽®在阿拉伯联合酋长国获批用于治疗复发或难治性MCL患者
- 2021年3月，百悦泽®在加拿大获批用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）成年患者

目前，除美国和中国以外，共有30多项百悦泽®针对多项适应症的相关上市申请完成递交工作，覆盖欧盟以及其他20多个国家。

*该项适应症基于总缓解率（ORR）获得加速批准。针对该适应症的完全批准将取决于验证性试验中临床益处的验证和描述。

**该项适应症获附条件批准。针对该适应症的完全批准将取决于正在开展的确定性随机、对照临床试验结果。

关于百济神州肿瘤学

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 90 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 and 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三款药物已获批上市：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）、百泽安®（可有效避免 Fcγ 受体结合的抗 PD-1 抗体，已在中国获批上市）以及百汇泽®（PARP 抑制剂，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

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约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，包括关于与其他 BTK 抑制剂相比，百悦泽®的潜在临床益处和优势的声明，百济神州计划的进展、百济神州对百悦泽®预期的临床开发、药政里程碑和商业化进程，在“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：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；药监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药物候选物（如能获批）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、商业化运营及其他业务带来的影响；百济神州在最近季度报告 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截止于新闻稿发布之日，除非法律要求，百济神州并无责任更新这些信息。

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

References:

1. Tam, et al. A randomized phase 3 trial of zanubrutinib vs ibrutinib in symptomatic Waldenström macroglobulinemia: the ASPEN study. *Blood*. October 2020. 136(18): 2038-2050.
2. Lymphoma Research Foundation. Available at <https://lymphoma.org/aboutlymphoma/nhl/wm/>. Accessed December 2020.
3. Chen, et al. Cancer statistics in China, 2015 [J]. *CA: A Cancer Journal for Clinicians*, 2016, 66(2):115-132.