

## 百濟神州宣佈百澤安®食管鱗狀細胞癌全球 3 期臨床試驗獲得積極主要結果

與化療相比，百澤安®延長既往接受過全身療法的晚期不可切除或轉移性 ESCC 患者的生存期

百澤安®安全性結果與已知風險相符

美國麻省劍橋和中國北京，2021 年 1 月 28 日 -- 百濟神州（納斯達克代碼：BGNE；香港聯交所代碼：06160），是一家處於商業階段的生物科技公司，專注於在全球範圍內開發和商業化創新藥物。公司今日宣佈其用於評估抗 PD-1 抗體百澤安®（替雷利珠單抗）對比研究者選擇的化療用於治療既往接受過全身療法的晚期不可切除或轉移性食管鱗狀細胞癌（ESCC）的 RATIONALE 302 全球 3 期臨床試驗達到總生存期（OS）這一主要終點。試驗結果表明，針對意向治療人群（ITT），百澤安®在總生存期中取得了具有統計和臨床意義的提高。百澤安®的安全性數據與已知風險相符，未出現新的安全警示。

百濟神州腫瘤免疫學首席醫學官賁勇醫學博士評論道：「我們非常興奮在又一項 3 期臨床試驗中觀察到，與標註療法化療相比，百澤安®能為患者帶來總生存期獲益。這是百澤安®公佈的第四項，同時也是首項在包括肝癌、胃癌和食管癌在內的廣泛的胃腸道臨床項目中獲得積極結果的 3 期臨床試驗。百濟神州目前正在多個瘤種中對百澤安®進行評估，也將從中獲得更多臨床證據，我們期待能為全球患者帶來這款具有潛在差異化的抗 PD-1 抗體。」

百濟神州計劃就 RATIONALE 302 試驗結果與全球範圍內多個監管部門開展溝通，並於接下來的一場醫療會議中公佈數據。

北京大學腫瘤醫院副院長兼該試驗主要研究者沈琳教授表示：「食管癌通常疾病進展快、死亡率高，是目前存在高度未被滿足的醫療需求的疾病。近年來，隨著免疫療法逐漸取代化療和放療，針對晚期食管鱗癌的治療也出現了質的變化。RATIONALE 302 試驗取得了陽性結果，也表明百澤安®有望為罹患這一重疾的人群帶來一項新的療法，為這些患者和家屬帶來希望。」

### 百澤安®對比化療針對晚期 ESCC 展開的 RATIONALE 302 臨床試驗

RATIONALE 302 是一項隨機、開放性、多中心的全球 3 期臨床試驗（NCT03430843），旨在評估對比研究者選擇的化療，百澤安®用於治療既往接受過全身療法的晚期不可切除或轉移性 ESCC 患者的有效性和安全性。

該試驗的主要終點為在 ITT 人群中的 OS。在橫跨亞洲、歐洲和北美的 11 個國家中，共有 512 例患者入組了該項試驗，以 1: 1 的比例隨機至百澤安®試驗臂或化療試驗臂（用藥選擇包括研究者選擇的紫杉醇、多西他賽或伊利替康）。

### 關於食管鱗狀細胞癌（ESCC）

食管鱗狀細胞癌（ESCC）是全球最常見的食管癌亞型。食管癌是全球第六大癌症相關死亡癌種<sup>i</sup>；2020 年，全球共有 600000 多起新增食管癌病例，同時約有 550000 起死亡病例<sup>ii</sup>。食管癌是一種進展迅速且致命的疾病，三分之二的患者確診時已罹患晚期或轉移性疾病。食管癌的中位生存在 8 至 10 個月左右，而五年存活率更是不到 5%<sup>iii</sup>。

### 關於百澤安®（替雷利珠單抗注射液）

百澤安®（替雷利珠單抗注射液）是一款人源化 IgG4 抗程序性死亡受體 1（PD-1）單克隆抗體，設計目的是為最大限度地減少與巨噬細胞中的 Fcγ 受體結合。臨床前數據表明，巨噬細胞中的 Fcγ 受體結合之後會啟動抗體依賴細胞介導殺傷 T 細胞，從而降低了 PD-1 抗體的抗腫瘤活性。百澤安®是第一款由百濟神州的免疫腫瘤生物平台研發的藥物，目前正進行單藥及聯合療法臨床試驗，開發一系列針對實體瘤和血液腫瘤的廣泛適應症。

中國國家藥品監督管理局（NMPA）已批准百澤安®聯合化療用於治療一線晚期鱗狀非小細胞肺癌（NSCLC）患者。百澤安®另獲附條件批准用於治療至少經過二線系統化療的復發或難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者以及 PD-L1 高表達的含鉑化療失敗包括新輔助或輔助化療 12 個月內進展的局部晚期或轉移性尿路上皮癌患者。針對上述兩項適應症的完全批准將取決於正在進行的確證性隨機對照臨床試驗結果。

此外，NMPA 藥品審評中心（CDE）已受理百澤安的兩項新適應症上市申請且正在審評過程中，包括一項聯合化療用於治療一線晚期非鱗狀 NSCLC 患者以及一項用於治療既往經治的不可切除肝細胞癌患者。

目前共有 15 項百澤安®的註冊性臨床試驗在中國和全球範圍內開展，其中包括 13 項 3 期臨床試驗，2 項關鍵性 2 期臨床試驗。

2020 年 1 月，百濟神州和諾華達成一項合作與授權協定，在北美、歐洲和日本開發、生產和商業化百澤安®。在滿足《哈特-斯科特-羅迪諾反壟斷改進法案》項下的等待期到期或提前終止的前提下，該交易預計將於 2021 年第一季度正式生效。

百澤安®在中國以外國家地區尚未獲批。

### 關於百澤安®（替雷利珠單抗注射液）的臨床研發項目

替雷利珠單抗的臨床試驗包括：

- 替雷利珠單抗對比救援性化療用於治療復發或難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04486391）
- 替雷利珠單抗用於治療局部晚期或轉移性尿路上皮癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03967977）
- 替雷利珠單抗對比多西他賽用於二線或三線治療非小細胞肺癌患者安全性有效性的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03358875）
- 替雷利珠單抗聯合化療對比化療用於一線治療晚期鱗狀非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03594747）
- 替雷利珠單抗聯合化療對比化療用於一線治療晚期非鱗狀非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03663205）
- 替雷利珠單抗聯合含鉑雙藥化療用於治療非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04379635）

- 替雷利珠單抗/安慰劑聯合鉑類藥物和依託泊昔用於治療廣泛期小細胞肺癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04005716）
- 替雷利珠單抗對比索拉非尼用於一線治療肝細胞癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03412773）
- 替雷利珠單抗用於治療不可切除的肝細胞癌經治患者的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03419897）
- 替雷利珠單抗對比化療用於二線治療食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03430843）
- 替雷利珠單抗聯合化療用於一線治療食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03783442）
- 替雷利珠單抗對比安慰劑聯合同步放化療用於治療局限性食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03957590）
- 替雷利珠單抗聯合化療對比安慰劑聯合化療用於一線治療胃癌的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03777657）
- 替雷利珠單抗用於治療MSI-H或dMMR實體瘤患者中的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03736889）
- 替雷利珠單抗聯合化療對比安慰劑聯合化療用於一線治療鼻咽癌患者的3期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03924986）

## 關於百濟神州

百濟神州是一家全球性、商業階段的生物科技公司，專注於研究、開發、生產以及商業化創新性藥物以為全世界患者提高療效和藥品可及性。百濟神州目前在中國大陸、美國、澳大利亞、歐洲和其他地區擁有 5200 多名員工，正在加速推動公司多元化的新型癌症療法藥物管線。目前，百濟神州兩款自主研發的藥物，BTK 抑制劑百悅澤®（澤布替尼膠囊）正在美國和中國進行銷售、抗 PD-1 抗體藥物百澤安®（替雷利珠單抗注射液）在中國進行銷售。此外，百濟神州在中國正在或計劃銷售多款由安進公司、新基物流有限公司（隸屬百時美施貴寶公司）以及 EUSA Pharma 授權的腫瘤藥物。欲瞭解更多信息，請造訪 [www.beigene.com.cn](http://www.beigene.com.cn)。

## 前瞻性聲明

該新聞稿包含根據《1995 年私人證券訴訟改革法案》（Private Securities Litigation Reform Act of 1995）以及其他聯邦證券法律下定義的前瞻性聲明，包括有關百澤安®對比化療作為二線晚期不可切除或轉移性食管鱗狀細胞癌患者的 RATIONALE 302 全球 3 期臨床試驗，臨床試驗對患者的潛在意義，百濟神州在未來一場醫學會議上公佈數據的計劃，百濟神州對百澤安®預期的臨床開發、藥政里程碑和商業化進程，以及與諾華達成合作生效的預期。由於各種重要因素的影響，實際結果可能與前瞻性聲明有重大差異。這些因素包括了以下事項的風險：百濟神州證明其候選藥物功效和安全性的能力；候選藥物的臨床結果可能不支援

進一步開發或上市審批；藥政部門的行動可能會影響到臨床試驗的啟動、時程表和進展以及產品上市審批；百濟神州的上市產品及藥物候選物（如能獲批）獲得商業成功的能力；百濟神州對其技術和藥物智慧財產權保護獲得和維護的能力；百濟神州依賴第三方進行藥物開發、生產和其他服務的情況；百濟神州有限的營運歷史和獲得進一步的營運資金以完成候選藥物開發和商業化的能力；新冠肺炎全球大流行對公司臨床開發、商業化運營以及其他業務帶來的影響；百濟神州在最近季度報告 10-Q 表格中「風險因素」章節里更全面討論的各類風險；以及百濟神州向美國證券交易委員會期後呈報中關於潛在風險、不確定性以及其它重要因素的討論。本新聞稿中的所有信息僅及於新聞稿發佈之日，除非法律要求，百濟神州並無責任更新該些信息。

### 百濟神州聯繫人

#### 投資者聯繫人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

#### 媒體聯繫人

呂磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

<sup>i</sup> Abbas, G., & Krasna, M. (2017). Overview of esophageal cancer. *Annals of cardiothoracic surgery*, 6(2), 131–136. <https://doi.org/10.21037/acs.2017.03.03>

<sup>ii</sup> Globocan 2020. Available at <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/6-Oesophagus-fact-sheet.pdf>. Accessed in January 2021.

<sup>iii</sup> Parkin, 1999; Lin M, 2016; Drahos J, 2013.