

百澤安[®](替雷利珠單抗注射液)獲得國家藥品監督管理局批准用於治療既往接受過治療的局部晚期或轉移性尿路上皮癌

- 百澤安在中國獲批的第二項適應症,也是首項獲批的實體瘤適應症

中國北京和美國麻省劍橋,2020年4月10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,專注於用於癌症治療的創新型分子靶向和免疫腫瘤藥物的開發和商業化。公司今天宣佈抗PD-1抗體藥物百澤安[®](通用名:替雷利珠單抗注射液)獲得國家藥品監督管理局(NMPA)批准用於治療接受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PD-L1高表達的尿路上皮癌(UC)患者。百澤安[®]於2019年12月首次獲得NMPA批准用於治療經典型霍奇金淋巴瘤患者,此項批准中的UC是百澤安[®]獲批的第二項適應症,也是首項獲批的實體瘤適應症。此前,該項新適應症上市申請(sNDA)已被國家藥品監督管理局藥品審評中心(CDE)納入優先審評。

百濟神州中國區總經理兼公司總裁吳曉濱博士表示:「百濟神州一直以來致力於為全球患者帶來有影響力、高品質的創新性藥物。這是我們自主研發產品在過去五個月內獲得的第三項上市批准,對百濟神州這樣一家年輕的生物科技公司來說是一項巨大的成就,也是對我們團隊努力工作的肯定。公司針對百澤安[®]制定的長期戰略計劃是獲得廣泛適應症批准,以說明與不同癌症作鬥爭的患者。這是百澤安[®]首項獲批的實體瘤適應症,我們也因此對這款免疫腫瘤藥物的前景倍感激動。」

復旦大學附屬腫瘤醫院副院長葉定偉教授評論道:「對國內晚期尿路上皮癌患者來說,現有的治療方案十分有限。替雷利珠單抗注射液作為一款全新的免疫腫瘤治療藥物,在臨床上獲得了令人欣喜的有效性和安全性,客觀緩解率高達24.8%,我們期待它能夠為國內腫瘤患者帶來更深遠的臨床獲益。」

百濟神州高級副總裁、全球藥政事務負責人閔小軍女士表示:「我們很欣喜地看到百澤安[®]針對UC適應症的上市申請獲得批准。今天的成果離不開參與這項試驗的臨床專家、那些將自己的抗癌治療託付給我們的患者以及我們團隊的付出。目前,百澤安[®]廣泛的開發項目包括15項潛在的註冊性臨床試驗,除了已經獲批的經典型霍奇金淋巴瘤和UC以外,覆蓋肺癌、肝癌、食道癌、胃癌、鼻咽癌以及高位衛星不穩定(MSI-H)或錯配修復缺陷性(dMMR)實體瘤在內的多項癌種。我們希望百澤安[®]能夠再接再厲,為更多患者帶來福音。」

此次百澤安[®]獲得NMPA批准是基於一項在中國和韓國開展的用於治療既往接受過含鉑化療且PD-L1高表達的局部晚期或轉移性UC患者的單臂、多中心、關鍵性2期臨床試驗(clinicaltrials.gov登記號:NCT04004221;藥物臨床試驗登記號:CRT20170071)。符合療效評估的患者中,在隨訪時間至少為12個月、中位隨訪時間為14個月的情況下,經獨立評審委員

會（IRC）根據 RECIST 實體瘤療效評估標準 1.1 版評估的客觀緩解率（ORR）為 24.8%，完全緩解（CR）率為 9.9%。

百澤安[®]說明書中的安全性數據來自參與四項百澤安[®]單藥臨床試驗的 934 位患者，包括前文提及的針對 UC 的關鍵性 2 期臨床試驗。最常見的不良反應（≥10%）為皮疹、疲乏及丙氨酸氨基轉移酶升高。在至少 1% 患者中出現的三級或以上的不良反應包括 γ -谷氨酰轉移酶升高、貧血、天門冬氨酸氨基轉移酶升高、丙氨酸氨基轉移酶升高、肺炎（非感染性）、重度皮膚反應、低鉀血症。

百澤安[®]與同類產品相似，可能會發生免疫相關不良反應，主要包括肺炎、腹瀉及結腸炎、肝炎、內分泌疾病（甲狀腺功能減退、亢進和甲狀腺炎、腎上腺皮質功能不全、高血糖症及 I 型糖尿病）和皮膚不良反應，另外腎炎、胰腺炎、心肌炎、肌炎與其他免疫相關性不良反應也偶見發生。

百澤安[®]採用靜脈輸注的方式給藥，推薦劑量為 200 mg，每 3 周給藥一次。用藥直至疾病進展或出現不可耐受的毒性。

百澤安[®]作為藥品上市許可持有人制度（MAH）試點項目下進入商業化階段的生物製劑，獲批後由勃林格殷格翰生物藥業（中國）有限公司進行生產，以確保產品的商業供應。成立於 1885 年的勃林格殷格翰公司擁有超過 35 年的生物藥生產經驗，迄今為止，其在全球範圍超過 3600 名員工提供的生物藥生產代工業務，已經說明 30 多款藥物推向世界各地的市場。

關於尿路上皮癌

尿路上皮癌（UC），又稱移行細胞癌（TCC），是目前最常見的一種膀胱癌¹，佔所有膀胱癌病例的 90% 以上²。膀胱癌是世界第十大最常見癌種，在 2018 年約有 55 萬例新增病例在中國³。膀胱癌是男性中第八大最常見癌種，在 2019 年約有 62000 例新增病例⁴。儘管 UC 最常見於膀胱中，但也可發生在泌尿系統的其他部位。

關於百澤安[®]（替雷利珠單抗注射液）

百澤安[®]（替雷利珠單抗）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 Fc γ R 受體結合。臨床前數據表明，巨噬細胞中的 Fc γ R 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。替雷利珠單抗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。

百澤安[®]已獲得中國國家藥品監督管理局（NMPA）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，以及獲批用於治療 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。

百澤安[®]上市後由勃林格殷格翰生物藥業進行生產。此外,總投資預計超過 23 億元人民幣、佔地面積達 10 萬平方米、專注於商業規模的大分子生物葯工藝開發和生產的百濟神州廣州生物葯生產基地已於 2019 年 9 月完成一期項目建設，在通過相關資格驗證和批准後將為百澤安[®]後續大規模的應用提供額外的商業供應，以確保充足的產能。

目前共有 15 項百澤安[®]註冊性臨床試驗在中國和全球範圍內開展，其中包括 11 項 3 期臨床試驗，四項關鍵性 2 期臨床試驗。

百澤安[®]在中國以外國家地區尚未獲批。

關於替雷利珠單抗的臨床項目

替雷利珠單抗的臨床試驗包括:

- 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/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、澳大利亞和歐洲擁有 3500 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 BRUKINSA™（澤布替尼）和抗 PD1 抗體藥物百澤安®（替雷利珠單抗）分別在美國和中國進行銷售。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.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，包括百濟神州有關百澤安®商業化的計劃和預期、臨床數據對患者的潛在影響，以及百濟神州有關百澤安®臨床開發、藥政審評與商業化的進一步開發以及預估。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；新冠病毒對公司臨床開發、商業以及其他業務運營帶來的影響；以及百濟神州在最近年度報告的 10-K 表格中「風險因素」章節裡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。

投資者聯絡人

媒體聯絡人

周密

呂磊

+86 10-5895-8058

+86 10-6844-5311

ir@beigene.com

media@beigene.com

¹ American Cancer Society <https://www.cancer.org/cancer/bladder-cancer/about/what-is-bladder-cancer.html>

² ASCO cancer.net <https://www.cancer.net/cancer-types/bladder-cancer/introduction>

³ Global Cancer Observatory <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/30-Bladder-fact-sheet.pdf>

⁴ Zheng, et al. China Journal of Oncology, 2019,41(1): 19-28.