

百濟神州宣布歐洲藥品管理局已受理百悅澤[®]（澤布替尼）用於治療華氏巨球蛋白血症患者的上市許可申請

美國麻省劍橋和中國北京 – 2020年6月18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腫瘤免疫藥物的開發和商業化。公司今日宣佈 歐洲藥品管理局（EMA）已確認受理百悅澤[®]（澤布替尼）的上市許可申請（MAA），適用於既往接受過至少一項療法的華氏巨球蛋白血症（WM）患者或作為不適合化學免疫療法 WM 患者的一線治療方案。

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟醫學博士表示：「這是我們向 EMA 遞交的首項申請，也是針對 WM 適應症的首項藥品註冊申請，在百悅澤[®]的開發歷程中具有重要意義。在公司開展的頭對頭 ASPEN 臨床試驗中，百悅澤[®]對比第一代 BTK 抑制劑伊布替尼，在 WM 患者中證實有效並在安全性及耐受性上產生了具有臨床意義的改善。在中國和美國，百悅澤[®]已在其他適應症中獲批，我們也很高興能夠繼續推動這項廣泛的全球開發項目以說明 B 細胞淋巴瘤患者。」

黃蔚娟醫學博士補充道：「WM 通常出現在年齡較大的患者中，百悅澤[®]對比伊布替尼在心血管疾病安全性上更有優勢，我們希望這一點能夠說明百悅澤[®]成為歐洲 WM 患者的首選治療方案。」

百濟神州高級副總裁、全球藥政事務負責人閔小軍女士評論道：「我們很高興能夠完成公司自主研發的 BTK 抑制劑百悅澤[®]的首項 EMA 註冊申請，也期待在這項針對華氏巨球蛋白血症的上市申請審評過程中與 EMA 進行溝通交流。我們要感謝參與臨床試驗的眾多患者和研究人員，以及致力於將這款潛在的新一代治療方案帶給廣大患者的百濟神州團隊。」

該項 MAA 中的臨床數據包括在 2020 年美國臨床腫瘤學會（ASCO）線上會議以及第 25 屆歐洲血液學協會（EHA）線上年會中公佈的用於評估澤布替尼對比伊布替尼用於治療復發/難治性（R/R）或初治（TN）WM 患者的隨機、開放性、多中心的 ASPEN 3 期臨床試驗（NCT03053440）。MAA 的安全性數據來自在 6 項臨床試驗中接受百悅澤[®] 治療的 779 例 B 細胞惡性腫瘤患者。

關於華氏巨球蛋白血症

華氏巨球蛋白血症（WM）是一類罕見淋巴瘤，約佔所有非霍奇淋巴瘤的 1%，通常在確診後進展緩慢¹。在歐洲，每 100 萬男性中約有 7 例 WM 患者、每 100 萬女性中約有 4 例患者²。

關於澤布替尼的臨床項目

澤布替尼臨床試驗包括：

- 澤布替尼對比伊布替尼（唯一獲批用於治療該適應症的BTK抑制劑）用於治療華氏巨球蛋白血症（WM）患者的ASPEN 3期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03053440；已完成患者入組）
- 澤布替尼對比苯達莫司汀聯合利妥昔單抗用於治療初治（TN）慢性淋巴細胞白血病（CLL）或小淋巴細胞淋巴瘤（SLL）患者的SEQUOIA 3期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03336333）
- 澤布替尼對比伊布替尼用於治療復發/難治性（R/R）CLL或SLL患者的ALPINE 3期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03734016）
- 澤布替尼聯合利妥昔單抗對比苯達莫司汀聯合利妥昔單抗用於治療未經治療的套細胞淋巴瘤（MCL）患者的MANGROVE 3期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT04002297）
- 澤布替尼用於治療R/R邊緣區淋巴瘤（MZL）患者的MAGNOLIA 2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03846427）
- 澤布替尼聯合奧比妥珠單抗對比奧比妥珠單抗用於治療R/R FL患者的ROSEWOOD 2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03332017）
- 澤布替尼聯合維持療法對比安慰劑聯合維持療法用於治療COVID-19新冠肺炎及肺部窘迫患者在美國開展的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT04382586）
- 澤布替尼用於治療對伊布替尼或阿卡替尼不耐受的B細胞惡性腫瘤患者在美國開展的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT04116437）
- 澤布替尼用於治療R/R WM患者在中國開展的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03332173）
- 澤布替尼用於治療R/R MCL患者在中國開展的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03206970；已完成）以及治療R/R CLL或SLL患者的2期臨床試驗（clinicaltrials.gov登記號：NCT03206918；已完成）

關於百悅澤®（澤布替尼）

百悅澤®（澤布替尼）是一款由百濟神州科學家自主研發的布魯頓氏酪氨酸激酶（BTK）小分子抑制劑，目前正在全球進行廣泛的關鍵性臨床試驗項目，作為單藥和與其他療法進行聯合用藥治療多種B細胞惡性腫瘤。

百悅澤®於2019年11月14日獲得美國食品藥品監督管理局（FDA）加速批准用於治療既往接受過至少一項療法的套細胞淋巴瘤（MCL）患者。該項加速批准是基於總緩解率（ORR）。針對該適

應症的持續批准將取決於驗證性試驗中臨床益處的驗證和描述。2020年5月，百悅澤[®]在中國獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年套細胞淋巴瘤（MCL）患者、既往至少接受過一種治療的成年慢性淋巴細胞白血病（CLL）/小淋巴細胞淋巴瘤（SLL）患者。

百悅澤[®]在美國和中國以外國家地區尚未獲批。

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 3800 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 PD1 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.cn。

前瞻性聲明

本新聞稿包含根據《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中定義的前瞻性聲明。包括參與 ASPEN 臨床試驗患者的臨床數據以及對比伊布替尼的優勢以及百濟神州對其產品和候選產品的進一步推進和預期的臨床開發、監管里程碑和商業化的聲明。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；以及百濟神州在最近季度報告的 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。

投資者連絡人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

媒體連絡人

呂磊

+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.