BeiGene

百濟神州宣佈美國食品藥品監督管理局（FDA）授予 Zanubrutinib 突破性療法認定用於治療套細胞淋巴瘤患者

中國北京和美國麻省劍橋，2019 年 1 月 14 日電/美通社/ ——百濟神州（納斯達克代碼: BGNE；港交所代碼：06160），是一家處於商業階段的生物醫藥公司，專注于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。公司今天宣佈美國食品藥品監督管理局（FDA）授予其在研布魯頓氏酪氨酸激酶（BTK）抑制劑 zanubrutinib 突破性療法認定（Breakthrough Therapy designation），用於治療先前至少接受過一種治療的成年套細胞淋巴瘤（MCL）患者。

百濟神州高級副總裁、全球藥政事務負責人閆小軍女士表示：「我們很高興得知 FDA 授予 zanubrutinib 突破性療法認定。Zanubrutinib 的特點之一是 BTK 高選擇性，其設計旨在最大化 BTK 佔有率，最小化脫靶效應。這項認定進一步肯定了 zanubrutinib 成為治療既往至少接受过一种治療的 MCL 患者藥品的潛力。在全球範圍內，已有 1,300 余例患者接受了 zanubrutinib 的治療；我們也正在開展針對 zanubrutinib 的廣泛臨床研究，其中包括七項在全球和/或中國進行的 3 期或關鍵性臨床試驗。」

關於突破性療法認定

FDA 突破性療法認定旨在加速開發及審评治療嚴重的或威脅生命的疾病的在研新藥，且其初步臨床試驗表明，在一個或多個有臨床意義的終點指標上與現有療法相比有顯著改善。根據 FDA 指導原則，研發中的新藥若獲得突破性療法的認定，将享受一系列優惠待遇，包括 FDA 審評人員悉心指导設計有效的藥物開發計畫，有高級管理人員參與的政策和審評資源支援，以及滾動審評和優先審評的資格。《美國食品藥品監督管理局安全與創新法案》（FDASIA）要求根據具體情況開展以下工作，與申辦方和審評團隊在整個藥物開發期間舉行會議，就藥物的開發向申辦方提供及時的建議、與申辦方就專案的開發進行互動交流，以保證開發專案以及非臨床和臨床資料在切實可行的範圍內最有效地用於藥物批准，採取措施以保證臨床試驗設計在切實可行的範圍內最為有效，在科學適用的情況下，比如盡可能減少接受潛在的可能較為低效的療法的患者人數，分派一位跨學科的專案負責人説明 FDA 審評團隊有效地審評開發專案，在審評團隊的各學科，即臨床、藥理及毒理學、化學、生產與控制及合規團隊中擔任科學聯絡員，以協調內部交流以及通過註冊專案經理與申辦方進行溝通，并在需要時調動高級管理人員和經驗豐富的審評人員共同合作進行跨學科的審評。若在研新藥不再符合突破性療法的標準，此認定可被撤銷。

關於套細胞淋巴瘤

淋巴瘤是一組起源于B、T或NK細胞的含多種亞型的惡性腫瘤。套細胞淋巴瘤（MCL）通常是侵襲性的非霍奇金淋巴瘤（NHL），起源于「套區」的B細胞。2014年，美國預計有70,800起新增NHL病例，其中MCL新增病例為總數的6%（約4,200起）[i]。2013年，中國大陸的淋巴瘤的發病率為每10萬人中4.2例，死亡率為每10萬人中2.2例[ii]，在最常見癌症中排名第十一位，在癌症死亡主要原因中排名第十[iii]。 雖然偶爾患者病程呈惰性進展，但是MCL通常預後很差，中位存留期為三至四年[iv]。MCL在診斷時通常已經處於疾病晚期。

關於Zanubrutinib

Zanubrutinib是一款在研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專案，作為單藥和與其他療法進行聯合用藥治療多種淋巴瘤。

百濟神州針對zanubrutinib開展廣泛的臨床研究包括一項已完成患者入組的針對華氏巨球蛋白血症（WM）患者對比伊布替尼的全球3期臨床研究；一項針對初治慢性淋巴細胞白血病（CLL）/小淋巴細胞淋巴瘤（SLL）患者的全球3期臨床研究；一項與GAZYVA®（奧比妥珠單抗）聯合用藥治療復發/難治性（R/R）濾泡性淋巴瘤的全球關鍵性2期臨床研究；一項針對R/R CLL/ SLL患者對比伊布替尼的全球3期臨床研究; 一項全球1期臨床研究。在中國，百濟神州已經完成了兩項zanubrutinib的關鍵性2期臨床試驗，分別用於治療MCL患者和CLL/SLL患者；還完成了zanubrutinib用於治療WM患者的關鍵2期臨床試驗患者入組。

美國食品藥品監督管理局（FDA）已授予zanubrutinib用於治療WM患者的快速通道資格（Fast Track designation）以及用於治療先前至少接受過一種治療的成年MCL患者的突破性療法認定（Breakthrough Therapy designation）。中國國家藥品監督管理局（NMPA）藥品審評中心（CDE）正在对zanubrutinib用於治療R/R MCL和R/R CLL/SLL的新藥上市申請（NDA）進行審評，兩者均被納入優先審評。

關於百濟神州

百濟神州是一家全球性的、商業階段的、以研發為基礎的生物科技公司，專注于分子靶向和免疫腫瘤療法的研發。 百濟神州目前在中國大陸、美國、澳大利亞和瑞士擁有超過1,700 名員工，在研產品線包括新型口服小分子類和單克隆抗體類抗癌藥物。 百濟神州目前也正在打造抗癌治療的藥物組合方案，旨在為癌症患者的生活帶來持續、深遠的影響。 在新基公司的授權下，百濟神州在華銷售ABRAXANE®注射用紫杉醇（納米白蛋白顆粒結合型）、瑞複美®（來那度胺）和維達莎®（注射用阿紮胞苷）ᵛ。

前瞻性聲明

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要求，該電子報包含前瞻性聲明，包括有關百濟神州對zanubrutinib 相關的進展計畫、預期的臨床開發計畫、藥政註冊里程碑及zanubrutinib 的商業化等。 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；百濟神州依賴協力廠商進行藥物開發、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；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、不確定性以及其他重要因素的討論。 本新聞稿中的所有信息僅及于新聞稿發佈之日，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 10-5895-8049
media@beigene.com

[i] HTTPs://www.lls.org/sites/default/files/file_assets/mantlecelllymphoma.pdf

[ii] Chen W, Zheng R, Baade PD, Zhang S, Zeng H, Bray F, et al. Cancer Statistics in China, 2015. CA Cancer J Clin. 2016;66(2):115–32

[iii] Chen W, Zheng R, Baade PD, Zhang S, Zeng H, Bray F, et al. Cancer Statistics in China, 2015. CA Cancer J Clin. 2016;66(2):115–32

[iv] Philip J. Bierman, James O. Armitage, in Goldman's Cecil Medicine (Twenty Fourth Edition), 2012

[v] ABRAXANE®, REVLIMID®, and VIDAZA® are registered trademarks of Celgene Corporation.