

百濟神州在中國臨床腫瘤學會年會上公佈抗 PD-1 抗體替雷利珠單抗治療高微衛星不穩定或錯配修復缺陷型實體瘤的初步結果

中國北京和美國麻省劍橋 2018 年 9 月 20 日電 /美通社/ -- 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醫藥公司，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。百濟神州今天在中國廈門舉行的第 21 屆中國臨床腫瘤學會（CSCO）年會上公佈在研抗 PD-1 抗體替雷利珠單抗正在進行的 1/2 期臨床研究治療中國高微衛星不穩定（MSI-H）或錯配修復缺陷型（dMMR）實體瘤患者的初步臨床資料。

百濟神州免疫腫瘤學首席醫學官 Amy Peterson 醫學博士表示：「替雷利珠單抗目前正在廣泛開展的臨床項目中作為單藥或與其他療法聯合治療一系列潛在臨床適應症進行開發。今天所展示的替雷利珠單抗治療 MSI-H 或 dMMR 實體瘤患者的初步結果讓我們備受鼓舞。我們為即將開展的一項替雷利珠單抗治療中國晚期 MSI-H 或 dMMR 實體瘤患者的 2 期臨床研究感到興奮。這項臨床研究將驗證我們認為這類腫瘤對免疫檢查點抑制劑敏感的想法。我們希望能進一步為患者提供新的治療選擇。這樣的醫療需求十分迫切，尤其是在中國。」

北京大學腫瘤醫院副院長、本次研究報告人沈琳醫學博士表示：「這是我們第一次公佈替雷利珠單抗治療 MSI-H 或 dMMR 實體瘤患者群體的資料。替雷利珠單抗在難治患者群體中達到 29% 的客觀緩解率讓我們感到鼓舞。同時替雷利珠單抗在這些患者中總體而言有良好的耐受性。我們希望替雷利珠單抗的進一步臨床研究能為這類腫瘤患者帶來新的治療方案。」

關於 MSI-H 和 dMMR 患者群體的 1/2 期臨床研究結果概要

這項多中心、開放的替雷利珠單抗作為單藥治療中國晚期實體瘤患者的 1/2 期臨床研究（CTR20160872）由臨床 1 期劑量驗證部分和臨床 2 期適應症擴展部分組成。其中適應症擴展部分的特定疾病亞組中包括 MSI-H 和 dMMR 實體瘤。

今天在 CSCO 上公佈的資料來自 22 位在亞組中入組的患者，其中根據 RECIST v1.1 標準，14 位中心確認為 MSI-H/dMMR 腫瘤的患者符合抗腫瘤活性評估條件。患者接受劑量為每次 200mg、每三週一次的替雷利珠單抗治療。結直腸癌是最常見的原發性腫瘤類型，研究中 82% 的患者群體之前接受過一次或多次全身治療。截至 2018 年 5 月 11 日資料截點為止，中位治療持續時間為 2.2 個月（0.69 至 11.1 個月），中位隨訪時間為 4.4 個月（0.10 至 10.7 個月），十位患者仍繼續接受治療。

根據研究者評估與治療相關的不良事件（AE）在 18 位患者（82%）中出現。其中最常見的與治療相關的 AE（TRAEs）（在多於 15% 的患者中出現）為膽紅素升高（36%），轉氨酶升高（27%），血肌酸激酶升高（23%），貧血（23%）和白細胞及/或中性粒細胞減少（18%）。所

有 TRAEs 均為一或二級。免疫相關的 AE (irAEs) 在 13 位患者 (59%) 中出現，大部分與 TRAE 病例重合。所有 irAEs 也均為一或二級。

截至資料截點為止，療效評估仍為早期，14 位中心確認為 MSI-H/dMMR 腫瘤的患者，其中包括 12 位結直腸癌患者可進行療效評估。客觀緩解率為 29% (在四位直腸癌患者中)，中位緩解持續時間仍在成熟中。此外，三位元中心確認為 MSI-H/dMMR 陰性的實體瘤患者也符合療效評估。在這三位患者中，最佳應答均為疾病進展。

除了這項 1/2 期臨床研究外，替雷利珠單抗還在兩項中國關鍵性 2 期臨床研究分別治療復發/難治性 (R/R) 經典型霍奇金淋巴瘤患者和尿路上皮癌患者進行評估。全球和中國的 3 期臨床研究針對治療一系列惡性腫瘤，包括非小細胞肺癌、肝細胞癌和食管鱗狀細胞癌，以及兩項全球 2 期臨床研究分別治療經治肝細胞癌和 R/R 成熟 T 細胞及 NK 細胞淋巴瘤。

關於高微衛星不穩定或錯配修復缺陷型實體瘤

高微衛星不穩定 (MSI-H) 癌細胞擁有比正常細胞更多的遺傳標記物，被稱之為「微衛星」。它們是短的重複性 DNA 序列。通常當細胞複製 DNA 時會修復錯配的 DNA，擁有大量微衛星的癌細胞可能在這一功能上有缺陷 (也被稱之為錯配修復缺陷，或 dMMR)。MSI-H 及 dMMR 腫瘤最常見於結直腸癌、其他類型的胃腸癌和子宮內膜癌。然而也可能出現在乳腺癌、前列腺癌、膀胱癌及胸腺癌患者中。

關於替雷利珠單抗

替雷利珠單抗 (BGB-A317) 是一種在研的人源性單克隆抗體，它屬於一類被稱為免疫檢查點抑制劑的腫瘤免疫藥物。替雷利珠單抗由百濟神州位於中國北京的研發中心自主研發，本品能與細胞表面 PD-1 受體結合，該受體通過防止 T-細胞激活而在下調免疫系統中起到重要作用。替雷利珠單抗展示出了對 PD-1 的高親和性和特異性，通過 Fc 段改造而與目前已獲批的 PD-1 抗體存在潛在的區別。根據臨床前數據，此項針對 Fc 段的改造可最大限度地減少與其他免疫細胞潛在的負面相互作用。替雷利珠單抗正作為單藥療法及聯合療法開發針對一系列實體瘤和血液腫瘤治療適應症。百濟神州與新基公司達成全球戰略合作關係，在亞洲 (除日本) 以外開發替雷利珠單抗治療實體瘤。替雷利珠單抗作為治療復發/難治性經典型霍奇金淋巴瘤 (R/R cHL) 患者的新藥上市申請 (NDA) 已獲中國國家藥品監督管理局 (NMPA) 受理並正在審評中。

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，專注於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 1,300 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)、瑞復美® (來那度胺) 和維達莎® (注射用阿扎胞苷)¹

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，該新聞稿包含前瞻性聲明，包括有關百濟神州對替雷利珠單抗相關的進展計劃、預期的臨床開發計劃、藥政註冊里程碑等。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持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、時間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知識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；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。

投資者聯繫人

周密
+86 10-5895-8058
ir@beigene.com

媒體聯繫人

呂磊
+86 10-5895-8049
media@beigene.com

¹ ABRAXANE®、瑞復美®和維達莎®為新基醫藥公司的註冊商標。