

百济神州宣布百泽安®食管鳞状细胞癌全球 3 期临床试验获得积极主要结果

与化疗相比，百泽安®延长既往接受过全身疗法的晚期不可切除或转移性 ESCC 患者的生存期

百泽安®安全性结果与已知风险相符

美国麻省剑桥和中国北京，2021 年 1 月 28 日-- 百济神州（纳斯达克代码：BGNE；香港联交所代码：06160），是一家处于商业阶段的生物科技公司，专注于在全球范围内开发和商业化创新药物。公司今日宣布其用于评估抗 PD-1 抗体百泽安®（替雷利珠单抗）对比研究者选择的化疗用于治疗既往接受过全身疗法的晚期不可切除或转移性食管鳞状细胞癌（ESCC）的 RATIONALE 302 全球 3 期临床试验达到总生存期（OS）这一主要终点。试验结果表明，针对意向治疗人群（ITT），百泽安®在总生存期中取得了具有统计和临床意义的提高。百泽安®的安全性数据与已知风险相符，未出现新的安全警示。

百济神州肿瘤免疫学首席医学官贵勇医学博士评论道：“我们非常兴奋在又一项 3 期临床试验中观察到，与标注疗法化疗相比，百泽安®能为患者带来总生存期获益。这是百泽安®公布的第四项，同时也是首项在包括肝癌、胃癌和食管癌在内的广泛的胃肠道临床项目中获得积极结果的 3 期临床试验。百济神州目前正在多个瘤种中对百泽安®进行评估，也将从中获得更多临床证据，我们期待能为全球患者带来这款具有潜在差异化的抗 PD-1 抗体。”

百济神州计划就 RATIONALE 302 试验结果与全球范围内多个监管部门开展沟通，并于接下来的一场医疗会议中公布数据。

北京大学肿瘤医院副院长兼该试验主要研究者沈琳教授表示：“食管癌通常疾病进展快、死亡率高，是目前存在高度未被满足的医疗需求的疾病。近年来，随着免疫疗法逐渐取代化疗和放疗，针对晚期食管鳞癌的治疗也出现了质的变化。RATIONALE 302 试验取得了阳性结果，也表明百泽安®有望为罹患这一重疾的人群带来一项新的疗法，为这些患者和家属带来希望。”

百泽安®对比化疗针对晚期 ESCC 展开的 RATIONALE 302 临床试验

RATIONALE 302 是一项随机、开放性、多中心的全球 3 期临床试验（NCT03430843），旨在评估对比研究者选择的化疗，百泽安®用于治疗既往接受过全身疗法的晚期不可切除或转移性 ESCC 患者的有效性和安全性。

该试验的主要终点为在 ITT 人群中的 OS。在横跨亚洲、欧洲和北美的 11 个国家中，共有 512 例患者入组了该项试验，以 1: 1 的比例随机至百泽安®试验臂或化疗试验臂（用药选择包括研究者选择的紫杉醇、多西他赛或伊利替康）。

关于食管鳞状细胞癌（ESCC）

食管鳞状细胞癌（ESCC）是全球最常见的食管癌亚型ⁱ。食管癌是全球第六大癌症相关死亡癌种；2020 年，全球共有 600000 多起新增食管癌病例，同时约有 550000 起死亡病例ⁱⁱ。食管癌是一种进展迅速且致命的疾病，三分之二的患者确诊时已罹患晚期或转移性疾病。食管癌的中位生存在 8 至 10 个月左右，而五年存活率更是不到 5%ⁱⁱⁱ。

关于百泽安®（替雷利珠单抗注射液）

百泽安®（替雷利珠单抗注射液）是一款人源化 IgG4 抗程序性死亡受体 1（PD-1）单克隆抗体，设计目的是为最大限度地减少与巨噬细胞中的 Fcγ 受体结合。临床前数据表明，巨噬细胞中的 Fcγ 受体结合之后会激活抗体依赖细胞介导杀伤 T 细胞，从而降低了 PD-1 抗体的抗肿瘤活性。百泽安®是第一款由百济神州的免疫肿瘤生物平台研发的药物，目前正进行单药及联合疗法临床试验，开发一系列针对实体瘤和血液肿瘤的广泛适应症。

中国国家药品监督管理局（NMPA）已批准百泽安®联合化疗用于治疗一线晚期鳞状非小细胞肺癌（NSCLC）患者。百泽安®另获附条件批准用于治疗至少经过二线系统化疗的复发或难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者以及 PD-L1 高表达的含铂化疗失败包括新辅助或辅助化疗 12 个月内进展的局部晚期或转移性尿路上皮癌患者。针对上述两项适应症的完全批准将取决于正在进行的确证性随机对照临床试验结果。

此外，NMPA 药品审评中心（CDE）已受理百泽安的两项新适应症上市申请且正在审评过程中，包括一项联合化疗用于治疗一线晚期非鳞状 NSCLC 患者以及一项用于治疗既往经治的不可切除肝细胞癌患者。

目前共有 15 项百泽安®的注册性临床试验在中国和全球范围内开展，其中包括 13 项 3 期临床试验，2 项关键性 2 期临床试验。

2020 年 1 月，百济神州和诺华达成一项合作与授权协议，在北美、欧洲和日本开发、生产和商业化百泽安®。在满足《哈特-斯科特-罗迪诺反垄断改进法案》项下的等待期到期或提前终止的前提下，该交易预计将于 2021 年第一季度正式生效。

百泽安®在中国以外国家地区尚未获批。

关于百泽安®（替雷利珠单抗注射液）的临床研发项目

替雷利珠单抗的临床试验包括：

- 替雷利珠单抗对比救援性化疗用于治疗复发或难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04486391）
- 替雷利珠单抗用于治疗局部晚期或转移性尿路上皮癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03967977）
- 替雷利珠单抗对比多西他赛用于二线或三线治疗非小细胞肺癌患者安全性有效性的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03358875）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比化疗用于一线治疗晚期鳞状非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03594747）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比化疗用于一线治疗晚期非鳞状非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03663205）
- 替雷利珠单抗联合含铂双药化疗用于治疗非小细胞肺癌患者的 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04379635）

- 替雷利珠单抗/安慰剂联合铂类药物和依托泊昔用于治疗广泛期小细胞肺癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04005716）
- 替雷利珠单抗对比索拉非尼用于一线治疗肝细胞癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03412773）
- 替雷利珠单抗用于治疗不可切除的肝细胞癌经治患者的2期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03419897）
- 替雷利珠单抗对比化疗用于二线治疗食管鳞状细胞癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03430843）
- 替雷利珠单抗联合化疗用于一线治疗食管鳞状细胞癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03783442）
- 替雷利珠单抗对比安慰剂联合同步放化疗用于治疗局限性食管鳞状细胞癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03957590）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比安慰剂联合化疗用于一线治疗胃癌的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03777657）
- 替雷利珠单抗用于治疗MSI-H或dMMR实体瘤患者中的2期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03736889）
- 替雷利珠单抗联合化疗对比安慰剂联合化疗用于一线治疗鼻咽癌患者的3期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03924986）

关于百济神州

百济神州是一家全球性、商业阶段的生物科技公司，专注于研究、开发、生产以及商业化创新性药物以为全世界患者提高疗效和药品可及性。百济神州目前在中国大陆、美国、澳大利亚、欧洲和其他地区拥有 5200 多名员工，正在加速推动公司多元化的新型癌症疗法药物管线。目前，百济神州两款自主研发的药物，BTK 抑制剂百悦泽®（泽布替尼胶囊）正在美国和中国进行销售、抗 PD-1 抗体药物百泽安®（替雷利珠单抗注射液）在中国进行销售。此外，百济神州在中国正在或计划销售多款由安进公司、新基物流有限公司（隶属百时美施贵宝公司）以及 EUSA Pharma 授权的肿瘤药物。欲了解更多信息，请访问 www.beigene.com.cn。

前瞻性声明

该新闻稿包含根据《1995 年私人证券诉讼改革法案》（Private Securities Litigation Reform Act of 1995）以及其他联邦证券法律下定义的前瞻性声明，包括有关百泽安®对比化疗作为二线晚期不可切除或转移性食管鳞状细胞癌患者的 RATIONALE 302 全球 3 期临床试验，临床试验对患者的潜在意义，百济神州在未来一场医学会议上公布数据的计划，百济神州对百泽安®预期的临床开发、药政里程碑和商业化进程，以及与诺华达成合作生效的预期。由于各种重要因素的影响，实际结果可能与前瞻性声明有重大差异。这些因素包括了以下事项的风险：百济神州证明其候选药物功效和安全性的能力；候选药物的临床结果可能不支持

进一步开发或上市审批；药政部门的行动可能会影响到临床试验的启动、时间表和进展以及产品上市审批；百济神州的上市产品及药物候选物（如能获批）获得商业成功的能力；百济神州对其技术和药物知识产权保护获得和维护的能力；百济神州依赖第三方进行药物开发、生产和其他服务的情况；百济神州有限的营运历史和获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和商业化的能力；新冠肺炎全球大流行对公司临床开发、商业化运营以及其他业务带来的影响；百济神州在最近季度报告 10-Q 表格中“风险因素”章节里更全面讨论的各类风险；以及百济神州向美国证券交易委员会期后呈报中关于潜在风险、不确定性以及其他重要因素的讨论。本新闻稿中的所有信息仅及于新闻稿发布之日，除非法律要求，百济神州并无责任更新该些信息。

百济神州联系人

投资者联系人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

媒体联系人

吕磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

ⁱ 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>

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

ⁱⁱⁱ Parkin, 1999; Lin M, 2016; Drahos J, 2013.