

## 百濟神州宣佈百澤安®針對高度微衛星不穩定型或錯配修復缺陷型實體瘤的新適應症上市申請在中國獲受理

中國北京和美國麻省劍橋——2021年6月8日——[百濟神州](#)（納斯達克代碼：BGNE；香港聯交所代碼：06160）是一家全球化的生物科技公司，專注於在世界範圍內開發和商業化創新藥物。公司今日宣佈，中國國家藥品監督管理局（NMPA）藥品審評中心（CDE）已受理其抗PD-1抗體藥物百澤安®（替雷利珠單抗注射液）用於治療既往經治、局部晚期不可切除或轉移性高度微衛星不穩定型（MSI-H）或錯配修復缺陷型（dMMR）實體瘤患者的新適應症上市申請。

百濟神州腫瘤免疫學首席醫學官賁勇醫學博士表示：「百澤安®針對高度微衛星不穩定型或錯配修復缺陷型實體瘤的新適應症上市申請在中國獲受理令人十分激動，這印證了我們對於發掘百澤安®這款潛在差異化檢查點抑制劑的全部潛能，並提升該藥物可及性、滿足未被滿足的醫療需求的持續承諾。這是公司遞交的百澤安®的第七項適應症上市申請，其中有三項已經在國內獲批。公司2期臨床試驗的結果展現出百澤安®在跨瘤種和不同（試驗）終點中一致且持久的治療效果。我們對試驗數據感到鼓舞，並計劃就該項申請與CDE展開持續交流，期待在不久的將來為更多患者們帶來這款藥物。」

此項新適應症上市申請基於一項單臂、多中心、開放性的2期臨床試驗（NCT03736889）結果。該試驗旨在評估百澤安®單藥治療既往經治、局部晚期不可切除或轉移性MSI-H或dMMR實體瘤患者的有效性和安全性，有80例中國患者入組。患者每三周靜脈注射一次百澤安®200 mg，直至疾病進展、出現不可接受的毒性或停藥。治療第一年，放射診斷在第9周進行，然後每6周進行一次；從第二年起每12周進行一次。試著針對接受任何劑量的百澤安®治療並患有可根據獨立審查委員會（IRC）基線測量的疾病的全部患者進行主要療效分析。試驗的主要終點是基於獨立IRC根據RECIST 1.1版評估結果確定的客觀緩解率（ORR），次要終點包括基於研究者和IRC評估結果確定的至緩解時間（TTR）、緩解持續時間（DoR）、疾病控制率（DCR）和無進展生存期（PFS），以及總生存期（OS）、安全性和耐受性。百濟神州於2021年美國臨床腫瘤學會年會上公佈了此項臨床試驗的結果。

### 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，也可能出現在乳腺癌、前列腺癌、膀胱癌及胸腺癌患者中。<sup>1</sup>

### 關於百澤安®（替雷利珠單抗注射液）

百澤安®（替雷利珠單抗注射液）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Fcγ受體結合。臨床前數據表明，巨噬細胞中的Fcγ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。百澤安®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，以開發一系列針對實體瘤和血液腫瘤的廣泛適應症。

國家藥品監督管理局（NMPA）已在三項適應症中批准百澤安®，包括完全批准百澤安®聯合化療用於治療一線晚期鱗狀非小細胞肺癌（NSCLC）患者。百澤安®另獲附條件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（cHL）患者以及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（UC）患者。針對上述兩項適應症的完全批准將取決於正在

進行的確證性隨機對照臨床試驗的結果。

此外，四項百澤安®新適應症上市申請在中國已獲受理且正在審評過程中，包括一項聯合化療用於治療一線晚期非鱗狀 NSCLC 患者，一項用於治療既往接受鉑類化療後出現疾病進展的二或三線局部晚期或轉移性 NSCLC 患者、一項用於治療至少經過一種全身治療的肝細胞癌（HCC）患者，以及一項用於治療既往經治、部份晚期不可切除或轉移性高度微衛星不穩定型（MSI-H）或錯配修復缺陷型（dMMR）實體瘤患者。

百濟神州已在中國和全球範圍內開展或完成了 17 項百澤安®的註冊性臨床試驗，其中包括 13 項 3 期臨床試驗和 4 項關鍵性 2 期臨床試驗。

2021年1月，百濟神州與諾華達成合作協議，授權諾華在北美、歐洲和日本開發、生產和商業化百澤安®。百澤安®在中國以外國家地區尚未獲批。

### 關於百澤安®（替雷利珠單抗注射液）的臨床項目

百澤安®開展的臨床試驗包括：

- 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）
- 替雷利珠單抗對比救援性化療用於治療復發或難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者的 3 期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04486391）
- 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）
- 替雷利珠單抗聯合含鉑雙藥化療用於治療非小細胞肺癌患者的 3 期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04379635）
- 替雷利珠單抗/安慰劑聯合鉑類藥物和依託泊苷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）
- 替雷利珠單抗用於治療局部晚期或轉移性尿路上皮膀胱癌患者的 2 期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT04004221）

- 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復發難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者的 2 期臨床試驗（clinicaltrials.gov 登記號：NCT03209973）
- 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）

## 關於百濟神州腫瘤學

百濟神州通過自主研發或與志同道合的合作夥伴攜手，不斷推動同類最佳或同類第一的臨床候選藥物研發，致力於為全球患者提供有影響力、可及且可負擔的藥物。公司全球臨床研究和開發團隊已有約 2300 人，團隊規模還在不斷擴大。這支團隊目前正在全球範圍支持開展 90 多項臨床研究，已招募患者和健康受試者超過 13000 人。百濟神州自有的臨床開發團隊規劃並主導公司產品管線的研發和擴充，為覆蓋全球 40 多個國家/地區的臨床試驗提供支持和指導。公司特別關注血液腫瘤和實體腫瘤的靶向治療及腫瘤免疫治療，並重點研究單藥和聯合療法。目前，百濟神州自主研發的三款藥物已獲批上市：百悅澤®（BTK 抑制劑，已在美國、中國、加拿大及其他國際市場獲批上市）、百澤安®（可有效避免 Fc-γ 受體結合的抗 PD-1 抗體，已在中國獲批上市）及百匯澤®（已在中國獲批上市）。

同時，百濟神州還與其他創新公司合作，共同攜手推進創新療法的研發，以滿足全球健康需求。在中國，百濟神州正在銷售多款由安進和百時美施貴寶授權的腫瘤藥物。公司也通過與包括安進、百奧泰、EUSA Pharma、Mirati Therapeutics、Seagen 以及 Zymeworks 在內的多家公司合作，更大程度滿足當前全球範圍尚未被滿足的醫療需求。百濟神州還與諾華公司（Novartis Pharma AG）達成合作，授權諾華在北美、歐洲和日本開發、生產和商業化百澤安®。

## 關於百濟神州

百濟神州是一家立足科學的全球生物科技公司，專注於開發創新、可負擔的藥物，以為全球患者改善治療效果和藥物可及性。公司廣泛的藥物組合目前包括 40 多款臨床候選藥物，通過強化公司自主競爭力以及與其他公司開展合作，我們致力於加速現有多元、創新藥物管線的開發進程，希望能在 2030 年之前為全球 20 多億人全面改善藥物可及性。百濟神州在全球五大洲打造了一支近 6000 人的團隊。欲瞭解更多信息，請訪問 [www.beigene.com.cn](http://www.beigene.com.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, 包括該新聞稿中提及的百澤安®用於治療既往經治、局部晚期不可切除或轉移性高度微衛星不穩定型 (MSI-H) 或錯配修復缺陷型 (dMMR) 實體瘤患者 2 期臨床試驗數據、基於此試驗數據在中國提交的新適應症上市申請和潛在獲批、百濟神州對百澤安®的推進、預期的臨床開發、藥政里程碑和商業化進程百濟神州以及在標題「關於百濟神州腫瘤學」和「關於百濟神州」下提及的百濟神州的計劃、承諾、願景和目標。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、時程表和進展以及藥物上市審批; 百濟神州的上市藥物及藥物候選物 (如能獲批) 獲得商業成功的能力; 百濟神州獲得和維護對其藥物和技術的智慧財產權保護的能力; 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; 百濟神州取得監管審批和商業化醫藥產品的有限經驗, 及其獲得進一步的營運資金以完成候選藥物開發和實現並保持盈利的能力; 新冠肺炎全球疫情對百濟神州的臨床開發、監管、商業化運營、監管以及其他業務帶來的影響; 百濟神州在最近年度報告 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后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。

#### 投資者聯繫人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

#### 媒體聯繫人

呂磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

<sup>1</sup> National Cancer Institute. Available at <https://www.cancer.gov/publications/dictionaries/cancer-terms/def/mismatch-repair-deficiency>. Accessed June 2021.