

## 百濟神州公佈 zanubrutinib 治療華氏巨球蛋白血症患者的 1 期臨床研究更新數據

美國麻省劍橋和中國北京 2018 年 10 月 12 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。公司今天宣佈，在第 10 屆華氏巨球蛋白血症國際研討會（IWWM）上以口頭報告形式公佈了其在研 BTK 抑制劑 zanubrutinib 的 1 期臨床研究更新數據。IWWM 會議於 2018 年 10 月 11 至 13 日在紐約舉行。

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟醫學博士表示：「在我們籌備 2019 年上半年提交 zanubrutinib 治療華氏巨球蛋白血症（WM）患者的在美國首個新藥上市許可申請（NDA）之際，我們很高興公佈治療 WM 患者的 1 期臨床研究的更新數據，以支持我們的監管申請。至今為止已有超過 70 位 WM 患者接受治療，我們持續觀察到攜帶不同基因型的患者均表現出了較高的緩解深度和持續緩解時間，包括總體緩解率、主要緩解率和非常好的部分緩解（VGPR）。我們相信在治療多種 B 細胞惡性腫瘤患者的過程中日趨成熟的數據將繼續對 zanubrutinib 的多地申報上市策略提供支持，其中包括了目前正在進行的中國國家藥品監督管理局（NMPA）對 zanubrutinib 用於治療復發/難治性套細胞淋巴瘤患者的 NDA 審理。我們對 zanubrutinib 充滿希望，一旦獲批，它將在全球範圍為多種 B 細胞惡性腫瘤患者提供一種有價值的治療選擇。」

### Zanubrutinib 治療 WM 患者的 1 期臨床研究更新數據

一項關於 zanubrutinib 作為單藥治療包括 WM 在內的不同亞型 B 細胞惡性腫瘤患者的 1 期臨床研究正在澳大利亞、新西蘭、美國、意大利和韓國進行。截至 2018 年 7 月 24 日，共有 77 位初治或復發/難治性 WM 患者入組該試驗，73 位患者可進行有效性評估，中位隨訪時間為 22.5 個月（範圍 4.1-43.9）。中位達到緩解時間（部分緩解或更高）為 85 天（範圍 55-749）。截至數據截點為止，62 位患者仍在接受研究治療。更新數據包括：

- 總體緩解率（ORR）為 92%（67/73），主要緩解率（MRR）為 82%，其中 41% 的患者達到了 VGPR（定義為基線 IgM 水平下降 90% 或以上，且 CT 掃描可見髓外病變改善）。
- 12 個月的無進展生存（PFS）預計為 89%。中位 PFS 尚未達到。
- 中位 IgM 從基線時的 32.7 g/L（範圍 5.3-91.9）降至 8.2 g/L（範圍 0.3-57.8）。
- 32 例基線血紅蛋白低於 10 g/dL 的患者，中位數值從 8.85 g/dL（範圍 6.3-9.8）增至 13.4 g/dL（範圍 7.7-17.0）。



- 63 位患者的 MYD88 基因型已知。在已知 MYD88<sup>L265P</sup> 突變的患者中 (n=54)，ORR 為 94%，主要緩解率為 89%，VGPR 為 46%。在九位已知為 MYD88<sup>WT</sup> 患者中（一種不太常見的基因型並在過往經驗中對 BTK 抑制有次優反應），ORR 89%，主要緩解率為 67%，VGPR 為 22%。
- Zanubrutinib 總體而言耐受性良好，大多數不良事件 (AE) 的嚴重程度均為 1-2 級。任何原因造成的最常見 AE 包括瘀點/紫癍/挫傷 (43%)，上呼吸道感染 (42%)，咳嗽 (17%)，腹瀉 (17%)，便秘 (16%)，背痛 (16%) 及頭痛 (16%)。
- 在三例或以上患者中出現的任何原因造成的 3-4 級 AE 包括中性粒細胞減少症 (9%)，貧血 (7%)，高血壓 (5%)，基底細胞癌 (5%)，腎和泌尿性疾病 (4%)，和肺炎 (4%)。嚴重不良事件 (SAE) 出現在 32 例患者中 (42%)，其中五例 (7%) 被認為可能與 zanubrutinib 治療有關：發熱性中性粒細胞減少，結腸炎，心房顫動，血胸和肺炎 (各一例)。
- 九例患者 (12%) 由於 AE 而中止治療：腹腔敗血症 (致命)，膿毒症肩周炎，支氣管擴張惡化，鐮刀菌感染，胃腺癌 (致命)，前列腺腺癌，轉移性神經內分泌癌，急性髓細胞白血病，乳腺癌 (各一例，研究者評估均與治療無關)。
- 四例患者 (5%) 出現心房顫動/撲動。兩例患者 (3%) 出現大出血。
- 經研究者評估，四例患者 (5%) 由於疾病進展而中止研究治療，一例患者在疾病進展後仍繼續接受治療。

澳大利亞 St. Vincent 醫院血液學主任，Peter MacCallum 癌症中心顧問血液學家 Constantine Tam 醫學博士表示：“我們備受鼓舞，更多的 zanubrutinib 治療 WM 患者的數據證實了初期公佈的治療經驗，持續證明 zanubrutinib 強大的活性和良好的耐受性。我們希望 zanubrutinib 一旦獲批，將有望為 WM 和其他惡性血液腫瘤患者提供一個重要的新治療選擇。

## 關於 zanubrutinib

Zanubrutinib (BGB-3111) 是一款在研的布魯頓氏酪氨酸激酶 (BTK) 小分子抑制劑，目前正在全球及中國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淋巴瘤。

## 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）。<sup>1</sup>

## 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zanubrutinib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

---

<sup>i</sup> ABRAXANE®、瑞復美®和維達莎®為新基醫藥公司的註冊商標。