

百济神州公布 zanubrutinib 治疗华氏巨球蛋白血症患者的 1 期临床研究更新数据

美国麻省剑桥及中国北京，2018 年 10 月 12 日电/美通社/——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医药公司，专注于用于癌症治疗的创新型分子靶向和肿瘤免疫药物的开发和商业化。公司今天宣布，在第 10 届华氏巨球蛋白血症国际研讨会（IWWM）上以口头报告形式公布了其在研 BTK 抑制剂 zanubrutinib 的 1 期临床研究更新数据。IWWM 会议于 2018 年 10 月 11 至 13 日在纽约举行。

百济神州血液学首席医学官黄蔚娟医学博士表示：“在我们筹备 2019 年上半年提交 zanubrutinib 治疗华氏巨球蛋白血症（WM）患者的在美国首个新药上市许可申请（NDA）之际，我们很高兴公布治疗 WM 患者的 1 期临床研究的更新数据，以支持我们的监管申请。至今为止已有超过 70 位 WM 患者接受治疗，我们持续观察到携带不同基因型的患者均表现出了较高的缓解深度和持续缓解时间，包括总体缓解率、主要缓解率和非常好的部分缓解（VGPR）。我们相信在治疗多种 B 细胞恶性肿瘤患者的过程中日趋成熟的数据将继续对 zanubrutinib 的多地申报上市策略提供支持，其中包括了目前正在进行的中国国家药品监督管理局（NMPA）对 zanubrutinib 用于治疗复发/难治性套细胞淋巴瘤患者的 NDA 审理。我们对 zanubrutinib 充满希望，一旦获批，它将在全球范围为多种 B 细胞恶性肿瘤患者提供一种有价值的治疗选择。”

Zanubrutinib 治疗 WM 患者的 1 期临床研究更新数据

一项关于 zanubrutinib 作为单药治疗包括 WM 在内的不同亚型 B 细胞恶性肿瘤患者的 1 期临床研究正在澳大利亚、新西兰、美国、意大利和韩国进行。截至 2018 年 7 月 24 日，共有 77 位初治或复发/难治性 WM 患者入组该试验，73 位患者可进行有效性评估，中位随访时间为 22.5 个月（范围 4.1-43.9）。中位达到缓解时间（部分缓解或更高）为 85 天（范围 55-749）。截至数据截点为止，62 位患者仍在接受研究治疗。更新数据包括：

- 总体缓解率（ORR）为 92%（67/73），主要缓解率（MRR）为 82%，其中 41% 的患者达到了 VGPR（定义为基线 IgM 水平下降 90%或以上，且 CT 扫描可见髓外病变改善）。
- 12 个月的无进展生存（PFS）预计为 89%。中位 PFS 尚未达到。
- 中位 IgM 从基线时的 32.7 g/L（范围 5.3-91.9）降至 8.2 g/L（范围 0.3-57.8）。



- 32 例基线血红蛋白低于 10 g/dL 的患者，中位数值从 8.85 g/dL（范围 6.3-9.8）增至 13.4 g/dL（范围 7.7-17.0）。
- 63 位患者的 MYD88 基因型已知。在已知 MYD88^{L265P} 突变的患者中（n=54），ORR 为 94%，主要缓解率为 89%，VGPR 为 46%。在九位已知为 MYD88^{WT} 患者中（一种不太常见的基因型并在过往经验中对 BTK 抑制有次优反应），ORR 89%，主要缓解率为 67%，VGPR 为 22%。
- Zanubrutinib 总体而言耐受性良好，大多数不良事件（AE）的严重程度均为 1-2 级。任何原因造成的最常见 AE 包括瘀点/紫癜/挫伤（43%），上呼吸道感染（42%），咳嗽（17%），腹泻（17%），便秘（16%），背痛（16%）及头痛（16%）。
- 在三例或以上患者中出现的任何原因造成的 3-4 级 AE 包括中性粒细胞减少症（9%），贫血（7%），高血压（5%），基底细胞癌（5%），肾和泌尿性疾病（4%），和肺炎（4%）。严重不良事件（SAE）出现在 32 例患者中（42%），其中五例（7%）被认为可能与 zanubrutinib 治疗有关：发热性中性粒细胞减少，结肠炎，心房颤动，血胸和肺炎（各一例）。
- 九例患者（12%）由于 AE 而中止治疗：腹腔败血症（致命），脓毒症肩周炎，支气管扩张恶化，镰刀菌感染，胃腺癌（致命），前列腺腺癌，转移性神经内分泌癌，急性髓细胞白血病，乳腺癌（各一例，研究者评估均与治疗无关）。
- 四例患者（5%）出现心房颤动/扑动。两例患者（3%）出现大出血。
- 经研究者评估，四例患者（5%）由于疾病进展而中止研究治疗，一例患者在疾病进展后仍继续接受治疗。

澳大利亚 St. Vincent 医院血液学主任，Peter MacCallum 癌症中心顾问血液学家 Constantine Tam 医学博士表示：“我们备受鼓舞，更多的 zanubrutinib 治疗 WM 患者的数据证实了初期公布的治疗经验，持续证明 zanubrutinib 强大的活性和良好的耐受性。我们希望 zanubrutinib 一旦获批，将有望为 WM 和其他恶性血液肿瘤患者提供一个重要的新治疗选择。”

关于 zanubrutinib

Zanubrutinib (BGB-3111) 是一款在研的布鲁顿氏酪氨酸激酶 (BTK) 小分子抑制剂, 目前正在全球及中国进行广泛的关键性临床试验项目, 作为单药和与其他疗法进行联合用药治疗多种淋巴瘤。

关于百济神州

百济神州是一家全球性的、商业阶段的、以研发为基础的生物科技公司, 专注于分子靶向和免疫肿瘤疗法的研发。百济神州目前在中国大陆、美国、澳大利亚和瑞士拥有超过 1,300 名员工, 在研产品线包括新型口服小分子类和单克隆抗体类抗癌药物。百济神州目前也正在打造抗癌治疗的药物组合方案, 旨在为癌症患者的生活带来持续、深远的影响。在新基公司的授权下, 百济神州在华销售 ABRIXANE® 注射用紫杉醇 (纳米白蛋白颗粒结合型)、瑞复美® (来那度胺) 和维达莎® (注射用阿扎胞苷)¹

前瞻性声明

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要求, 该新闻稿包含前瞻性声明, 包括有关百济神州对 zanubrutinib 相关的进展计划、预期的临床开发计划、药政注册里程碑等。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; 以及百济神州在最近季度报告的 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。

投资者联系人

周密
+86 10-5895-8058

媒体联系人

吕磊
+86 10-5895-8049



BeiGene

BeiGene, Ltd.

ir@beigene.com

media@beigene.com

¹ ABRAXANE®、瑞复美®和维达莎®为新基医药公司的注册商标。

ir@beigene.com