

百济神州宣布百悦泽®（泽布替尼）针对华氏巨球蛋白血症的新药上市申请已被加拿大药监部门受理并纳入优先审评

美国麻省剑桥和中国北京 -- 2020年9月9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。公司今日宣布加拿大药监部门已受理百悦泽®（泽布替尼）用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）患者的新药上市申请（NDS）并将其纳入优先审评。

百济神州血液学首席医学官黄蔚娟医学博士表示：“我们很骄傲能够看到百悦泽®在加拿大的上市申请获得受理，这是继近期在欧洲和澳大利亚递交相关上市申请以来，该项目全球药政注册的又一大进展。百悦泽®目前在美国和中国已经获批，我们希望将百悦泽®带给全世界各地有需求并且能够受益于这款药物的患者，这也是我们对其进行开发的目的。百悦泽®在治疗 WM 患者中展示了有效性，并在安全性及耐受性上为患者带来了具有临床意义的改善。正如在 ASPEN 头对头临床试验中所证明，百悦泽®相比伊布替尼更具安全性优势，包括在降低特定心血管病风险上，我们希望这能够帮助百悦泽®成为加拿大乃至全球 WM 患者的首选治疗方案。”

百济神州高级副总裁、全球药政事务负责人闫小军女士表示：“我们很高兴能够完成公司自主研发的 BTK 抑制剂百悦泽®在加拿大的首项新药上市申请，这也是百济神州在全球第六个国家及地区递交该产品的上市申请。我们期待在这项针对华氏巨球蛋白血症的新药上市申请审评过程中与加拿大药监部门进行沟通交流。我们要感谢参与临床试验的众多患者和研究人员，以及致力于将这款潜在新一代治疗方案带给广大患者的百济神州团队。”

该项在加拿大递交的 NDS 中的临床数据包括来自随机、开放、多中心的 ASPEN 3 期临床试验（NCT03053440），用于评估百悦泽®对比伊布替尼用于治疗复发/难治性（R/R）或初治（TN）WM 患者，数据先于 2020 年美国临床肿瘤学会（ASCO）线上会议及第 25 届欧洲血液学协会（EHA）线上年会中公布。在该试验中，百悦泽®与伊布替尼相比，产生了更高的非常好的部分缓解（VGPR）率，在总体患者人群中高达 28.4%（对比伊布替尼的 19.2%），尽管此项临床研究结果未能达到主要终点，即在深度缓解率（VGPR 或更好）上达到统计学意义的优效性。同时，相比伊布替尼，百悦泽®在安全性和耐受性上更具优势。该项 NDS 的安全性数据来自在 6 项临床试验中接受百悦泽®治疗的 779 例 B 细胞恶性肿瘤患者。

关于华氏巨球蛋白血症

华氏巨球蛋白血症（WM）是一类罕见淋巴瘤，约占所有非霍奇淋巴瘤的 1%，通常在确诊后进展缓慢¹。在加拿大和美国，WM 每年的发病率在每 100 万人中约有 5 例²。

关于泽布替尼的临床项目

泽布替尼临床试验包括：

- 泽布替尼对比伊布替尼（唯一获批用于治疗该适应症的 BTK 抑制剂）用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）患者的 ASPEN 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03053440；已完成患者入组）
- 泽布替尼对比苯达莫司汀联合利妥昔单抗用于治疗初治（TN）慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者的 SEQUOIA 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03336333）
- 泽布替尼对比伊布替尼用于治疗复发/难治性（R/R）CLL 或 SLL 患者的 ALPINE 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03734016）
- 泽布替尼联合利妥昔单抗对比苯达莫司汀联合利妥昔单抗用于治疗未经治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）患者的 MANGROVE 3 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04002297）
- 泽布替尼用于治疗 R/R 边缘区淋巴瘤（MZL）患者的 MAGNOLIA 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03846427）
- 泽布替尼联合奥比妥珠单抗对比奥比妥珠单抗用于治疗 R/R FL 患者的 ROSEWOOD 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03332017）
- 泽布替尼联合维持疗法对比安慰剂联合维持疗法用于治疗 COVID-19 新冠肺炎及肺部窘迫患者在美国开展的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04382586）
- 泽布替尼用于治疗对伊布替尼或阿卡替尼不耐受的 B 细胞恶性肿瘤患者在美国开展的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04116437）
- 泽布替尼用于治疗 R/R WM 患者在中国开展的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03332173）
- 泽布替尼用于治疗 R/R MCL 患者在中国开展的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03206970；已完成）以及治疗 R/R CLL 或 SLL 患者的 2 期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03206918；已完成）

关于百悦泽®（泽布替尼）

百悦泽®（泽布替尼）是一款由百济神州科学家自主研发的布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）小分子抑制剂，目前正在全球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 B 细胞恶性肿瘤。

百悦泽®于 2019 年 11 月 14 日获得美国食品药品监督管理局（FDA）加速批准用于治疗既往接受过至少一项疗法的套细胞淋巴瘤（MCL）患者。该项加速批准是基于总缓解率（ORR）。针对该适应症的持续批准将取决于验证性试验中临床益处的验证和描述。

2020年5月，百悦泽®在中国获批用于治疗既往至少接受过一种治疗的成年套细胞淋巴瘤（MCL）患者、既往至少接受过一种治疗的成年慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者。

百悦泽®在美国和中国以外国家地区尚未获批。

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、澳大利亚和欧洲拥有 4200 多名员工，正在加速推动公司多元化的新型疗法药物管线。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.cn。

百济神州前瞻性声明

本新闻稿包含 1995 年《私人证券诉讼改革法案》和其他联邦证券法所定义的前瞻性声明，包括有关百悦泽®在加拿大以及其他市场未来的开发和潜在的商业化，在全球范围内提高百悦泽®可及性的计划，以及百悦泽®潜在的商业化机会的声明。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（如能获得）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。

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

-
- ¹ Lymphoma Research Foundation. Getting the Facts: Waldenström Macroglobulinemia. Accessed May 2020. Available at <https://lymphoma.org/wp-content/uploads/2018/04/LRF_FACTSHEET_WALDENSTR%C3%96M_MACROGLOBULINEMIA.pdf>.
- ² Waldenstrom's Macroglobulinemia Foundation of Canada. <https://wmfc.ca/what-we-do/what-is-wm/>