

## 百济神州宣布一项百泽安®联合化疗作为复发或转移性鼻咽癌一线疗法的 3 期临床试验获得积极主要结果

中期分析结果表明，百泽安®联合化疗在无进展生存期中取得了具有统计意义的改善

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 5 月 21 日—百济神州（纳斯达克代码：BGNE；香港联交所代码：06160）是一家全球化的生物科技公司，专注于在世界范围内开发和商业化创新药物。公司今日宣布，经独立数据检测委员会推荐，一项用于评估其抗 PD-1 抗体百泽安®（替雷利珠单抗）联合化疗，对比安慰剂联合化疗，作为用于治疗复发或转移性鼻咽癌患者的一线疗法的 3 期 RATIONALE 309 临床试验在中期分析中达到主要终点。根据试验结果，经独立评审委员会（IRC）评估，在意向治疗（ITT）人群中，对比仅用化疗，百泽安®联合化疗在无进展生存期（PFS）中取得了具有统计意义的改善。百泽安®的安全性结果与其已知风险相符，与化疗联用未出现新的安全性警示。

百济神州肿瘤免疫学首席医学官贲勇医学博士评论道：“我们非常兴奋在此项 3 期临床试验中观察到，百泽安®联合化疗能为鼻咽癌患者的无进展生存期带来具有临床意义的改善。这标志着第 5 项获得积极结果的百泽安®3 期临床试验，我们同时也正在一项广泛的临床项目中对这款潜在差异化的抗 PD-1 抗体进行评估。我们十分感激参与该试验的患者和临床医护人员，并期待能为他们提供一项新的治疗选择。”

百济神州计划就该试验结果与多个监管部门开展沟通，并于一场即将举行的医学会议上公布数据。

### 百泽安®联合化疗对比安慰剂联合化疗用于治疗复发或转移性 NPC 患者的 RATIONALE 309 临床试验

RATIONALE 309 是一项随机、双盲、安慰剂对照的 3 期临床试验（NCT03924986），旨在对比百泽安®联合吉西他滨和顺铂与安慰剂联合吉西他滨和顺铂作为复发或转移性 NPC 一线疗法的有效性和安全性。该试验的主要终点是经 IRC 对 ITT 人群评估的 PFS；关键次要终点包括总生存期（OS）、经 IRC 评估的客观缓解率（ORR）和缓解持续时间（DoR），以及经研究者评估的 PFS。共有 263 例亚洲患者入组了该项试验，以 1: 1 的比例随机至百泽安®联合化疗试验臂或安慰剂联合化疗试验臂。

### 关于鼻咽癌

鼻咽癌（NPC）是一种恶性鳞状细胞癌，起源于鼻咽的上皮细胞，最常见于咽隐窝<sup>i</sup>。2018 年，中国有约 60558 例新增 NPC 患者，占全球新发病例的 46.9%<sup>ii</sup>。尽管 NPC 对中国南方和其他疾病流行地区的公共卫生造成了沉重负担，但对 NPC 的病因和预防相对较少<sup>iii</sup>。鼻咽癌的主要风险因素是遗传易感性、Epstein-Barr 病毒（EBV）感染和食用盐腌食物<sup>iv</sup>。晚期 NPC 患者的中位总生存期约为 20 个月，然而据报道，复发或转移性 NPC 患者的预后通常逐渐恶化，3 年生存率降至大约为 7-40%，表明鼻咽癌亟需更有效的治疗方法<sup>v,vi,vii</sup>。

### 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。

国家药品监督管理局（NMPA）已在三项适应症中批准百泽安<sup>®</sup>，包括完全批准百泽安<sup>®</sup>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<sup>®</sup>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（cHL）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（UC）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，三项百泽安<sup>®</sup>新适应症上市申请在中国已获受理且正在审评过程中，包括一项联合化疗用于治疗一线晚期非鳞状 NSCLC 患者，一项用于治疗既往接受铂类化疗后出现疾病进展的二或三线局部晚期或转移性 NSCLC 患者，以及一项用于治疗既往接受过治疗的不可切除肝细胞癌（HCC）患者。

百济神州已在中国和全球范围内开展或完成了 17 项百泽安<sup>®</sup>的注册性临床试验，其中包括 13 项 3 期临床试验和 4 项关键性 2 期临床试验。

2021 年 1 月，百济神州与诺华达成协议，授权诺华在北美、欧洲和日本开发、制造和商业化百泽安<sup>®</sup>。

百泽安<sup>®</sup>在中国以外国家地区尚未获批。

### 关于百泽安<sup>®</sup>（替雷利珠单抗注射液）的临床项目

替雷利珠单抗的临床试验包括：

- 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苷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）
- 替雷利珠单抗用于治疗局部晚期或转移性尿路上皮膀胱癌患者的2期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04004221）
- 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复发难治性经典型霍奇金淋巴瘤患者的2期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT03209973）
- 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）

## 关于百济神州肿瘤

百济神州通过自主研发或与志同道合的合作伙伴携手，不断推动同类最佳或同类第一的临床候选药物研发，致力于为全球患者提供有影响力、可及且可负担的药物。公司全球临床研究和开发团队已有约 2300 人，团队规模还在不断扩大。这支团队目前正在全球范围支持开展 80 多项临床研究，已招募患者和健康受试者超过 13000 人。百济神州自有的临床开发团队规划并主导公司产品管线的研发和扩充，为覆盖全球 40 多个国家/地区的临床试验提供支持和指导。公司特别关注血液肿瘤和实体肿瘤的靶向治疗及肿瘤免疫治疗，并重点研究单药和联合疗法。目前，百济神州自主研发的两款药物已获批上市：百悦泽®（BTK 抑制剂，已在美国、中国、加拿大及其他国际市场获批上市）及百泽安®（可有效避免 Fc- $\gamma$  受体结合的抗 PD-1 抗体，已在中国获批上市）。同时，百济神州还与其他创新公司合作，共同携手推进创新疗法的研发，以满足全球健康需求。在中国，百济神州正在销售多款由安进和百时美施贵宝授权的肿瘤药物。公司也通过与包括安进、百奥泰、EUSA Pharma、Mirati Therapeutics、Seagen 以及 Zymeworks 在内的多家公司合作，更大程度满足当前全球范围尚未被满足的医疗需求。百济神州还与诺华公司（Novartis Pharma AG）达成合作，授权诺华在北美、欧洲和日本开发、生产和商业化百泽安®。

## 关于百济神州

百济神州是一家立足科学的全球生物科技公司，专注于开发创新、可负担的药物，以为全球患者改善治疗效果和提高药物可及性。公司广泛的药物组合目前包括 40 多款临床候选药物，通过强化公司自主竞争力以及与其他公司开展合作，我们致力于加速现有多元、创新药物管线的开发进程，希望能在 2030 年之前

为全球 20 多亿人全面改善药物可及性。百济神州在全球五大洲打造了一支近 6000 人的团队。欲了解更多信息，请访问 [www.beigene.com.cn](http://www.beigene.com.cn)。

## 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，包括百济神州有关百泽安®联合化疗对比安慰剂联合化疗用于一线治疗 NPC 患者的 3 期临床试验数据，临床试验数据对患者的潜在影响，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，以及在“关于百济神州”和“关于百济神州肿瘤学”标题下所述的百济神州的计划、承诺、抱负和目标。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、时间表和进展以及药物上市审批；百济神州的上市药物及候选药物（如能获批）获得商业成功的能力；百济神州获得和维护对其药物和技术的知识产权保护的能力；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；百济神州取得监管审批和商业化医药产品的有限经验，及其获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和实现并保持盈利的能力；新冠肺炎全球大流行对百济神州的临床开发、监管、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。

## 投资者联系人

周密

+86 10-5895-8058

[ir@beigene.com](mailto:ir@beigene.com)

## 媒体联系人

吕磊

+86 10-6844-5311

[media@beigene.com](mailto:media@beigene.com)

<sup>i</sup> Yu, M. C., & Yuan, J.-M. (2002). Epidemiology of nasopharyngeal carcinoma. *Seminars in Cancer Biology*, 12(6), 421–429. <https://doi.org/10.1016/s1044579x02000858>

<sup>ii</sup> Globocan

<sup>iii</sup> Wu, L., Li, C., & Pan, L. (2018). Nasopharyngeal carcinoma: A review of current updates. *Experimental and Therapeutic Medicine*, 15(4), 3687–3692. <https://doi.org/10.3892/etm.2018.5878>

<sup>iv</sup> Liu, Y.-T., Dai, J.-J., Xu, C.-H., Lu, Y.-K., Fan, Y.-Y., Zhang, X.-L., Zhang, C.-X., & Chen, Y.-M. (2012). Greater intake of fruit and vegetables is associated with lower risk of nasopharyngeal carcinoma in Chinese adults: A case-control study. *Cancer Causes & Control: CCC*, 23(4), 589–599. <https://doi.org/10.1007/s10552-012-9923-z>

<sup>v</sup> Li, J.-X., Huang, S.-M., Wen, B.-X., & Lu, T.-X. (2014). Prognostic factors on overall survival of newly diagnosed metastatic nasopharyngeal carcinoma. *Asian Pacific Journal of Cancer Prevention: APJCP*, 15(7), 3169–3173. <https://doi.org/10.7314/apjcp.2014.15.7.3169>

<sup>vi</sup> Toumi, N., Ennouri, S., Charfeddine, I., Daoud, J., & Khanfir, A. (2020). Prognostic factors in metastatic nasopharyngeal carcinoma. *Brazilian Journal of Otorhinolaryngology*. <https://doi.org/10.1016/j.bjorl.2020.05.022>

<sup>vii</sup> Xu, Y., Huang, T., Mao, M., Zhai, J., & Chen, J. (2020). Metastatic Patterns and Prognosis of de novo Metastatic Nasopharyngeal Carcinoma in the United States. *The Laryngoscope*. <https://doi.org/10.1002/lary.28983>