

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示概不就因本公告全部或任何部分內容而產生或因依賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。



BeiGene, Ltd.
百濟神州有限公司
(於開曼群島註冊成立的有限公司)
(股份代號：06160)

自願性公告 – 業務發展最新情況

百濟神州宣佈百悅澤®(澤布替尼)用於初治華氏巨球蛋白血症的 新適應症上市申請在中國獲得受理

百濟神州有限公司(「百濟神州」或「本公司」)於2022年1月20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BTK抑制劑百悅澤®(澤布替尼)用於治療華氏巨球蛋白血症(WM)成人患者的新適應症上市申請(sNDA)。

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟醫學博士表示：「百悅澤®繼獲批用於治療復發或難治性華氏巨球蛋白血症(WM)患者後，此次sNDA申請也獲得NMPA受理，這對我們來說是一個好消息。這意味著一旦取得批准，更多中國的華氏巨球蛋白血症患者將有機會用上這款藥物。ASPEN試驗表明，百悅澤®對WM患者而言是一項安全有效的治療選擇，引起房顫等心血管事件的風險更低。在ASPEN試驗數據的支援下，百悅澤®已經在美國、加拿大、澳大利亞和歐盟獲批用於WM患者的治療我們期待與CDE繼續探討，爭取將這一具備「同類最優」潛力的藥物提供給更多中國WM患者的機會。」

此次sNDA申請基於ASPEN試驗數據，這是一項隨機、開放標籤、多中心的3期臨床試驗(NCT03053400)，對比了百悅澤®與伊布替尼用於治療復發／難治性(R/R)或初治(TN)WM患者的數據。

經獨立審查委員會(IRC)根據第六屆華氏巨球蛋白血症國際研討會(IWWM-6)修訂版緩解標準(Treon 2015)評估，百悅澤®治療組在總體意向性治療(ITT)人群中的完全緩解(CR)和非常好的部分緩解(VGPR)率的綜合為28% (95% CI：20, 38)，而伊布替尼組為19% (95% CI：12, 28)。儘管兩組資料的差異未達到統計學顯著性(p=0.09)，但百悅澤®展現了更高的VGPR率數據，且緩解品質呈現出改善趨勢。¹

在ASPEN試驗中，與伊布替尼相比，百悅澤®取得了更具優勢的安全性數據，特定不良事件的發生率較更低，包括房顫／房撲(2% vs. 15%)和大出血(6% vs. 9%)。在101例接受百悅澤®治療的WM患者中，4%的患者因不良事件而終止治療，14%的患者因不良事件降低用藥劑量。⁴

關於華氏巨球蛋白血症

華氏巨球蛋白血症是一種罕見惰性淋巴瘤，在非霍奇金淋巴瘤(NHL)患者中佔比不到2%。¹該疾病通常在老年人中多發，主要在骨髓中發現，但也可能累及淋巴結和脾臟。²在中國，每年大約有88,200例淋巴瘤新增病例，其中約有91%為NHL，這意味著我國每年約有1,000例WM新增病例。³

關於百悅澤®(澤布替尼)

百悅澤®(澤布替尼)是一款由百濟神州科學家自主研發的布魯頓氏酪氨酸激酶(BTK)小分子抑制劑，目前正在全球進行廣泛的臨床試驗項目，作為單藥和與其他療法聯合用藥治療多種B細胞惡性腫瘤。由於新的BTK會在人體內不斷合成，百悅澤®的設計通過優化生物利用度、半衰期和選擇性，實現對BTK蛋白完全、持續的抑制。憑藉與其他獲批BTK抑制劑存在差異化的藥代動力學，百悅澤®能在多個疾病相關組織中抑制惡性B細胞增殖。

百悅澤®已在以下地區中獲批如下適應症：

- 2019年11月，百悅澤®在美國獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年套細胞淋巴瘤(MCL)患者*
- 2020年6月，百悅澤®在中國獲批用於治療既往至少接受過一種治療的MCL患者**
- 2020年6月，百悅澤®在中國獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年慢性淋巴細胞白血病(CLL)／小淋巴細胞淋巴瘤(SLL)患者**
- 2021年2月，百悅澤®在阿拉伯聯合大公國獲批用於治療復發或難治性MCL患者
- 2021年3月，百悅澤®在加拿大獲批用於治療華氏巨球蛋白血症(WM)成年患者
- 2021年6月，百悅澤®在中國獲批用於治療既往至少接受過一種治療的WM成年患者**

- 2021年7月，百悅澤®在加拿大獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年MCL患者**
- 2021年7月，百悅澤®在智利獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年MCL患者**
- 2021年8月，百悅澤®在巴西獲批用於治療既往至少接受過一種治療的MCL成年患者
- 2021年8月，百悅澤®在美國獲批用於治療成年WM患者
- 2021年9月，百悅澤®在美國獲批用於治療既往至少接受過一項抗CD20療法的成年邊緣區淋巴瘤(MZL)患者*
- 2021年10月，百悅澤®在新加坡獲批用於治療既往至少接受過一種治療的MCL成年患者
- 2021年10月，百悅澤®在以色列獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年MCL患者
- 2021年10月，百悅澤®在澳大利亞獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成年WM患者或作為不適合化學免疫療法WM患者的一線治療方案
- 2021年10月，百悅澤®在澳大利亞獲批用於治療既往接受過至少一種治療的MCL成年患者，
- 2021年10月，百悅澤®在俄羅斯獲批用於治療既往至少接受過一種治療的MCL成年患者
- 2021年11月，百悅澤®在沙烏地阿拉伯獲批用於治療既往至少接受過一種治療的成人套細胞淋巴瘤(MCL)患者；
- 2021年11月，百悅澤®在歐盟、冰島、列支敦士登和挪威獲批用於治療既往接受過至少一種療法的華氏巨球蛋白血症(WM)成人患者，或作為一線療法用於治療不適合化學免疫治療的患者；
- 2021年12月，百悅澤®在英國獲批用於治療既往接受過至少一種療法的華氏巨球蛋白血症(WM)成人患者，或作為一線療法用於治療不適合化學免疫治療的患者；

- 2021年12月，百悅澤®在厄瓜多爾獲批用於治療既往接受過至少一種療法的成人套細胞淋巴瘤患者。

迄今為止，已遞交超過30個針對多項適應症的上市申請，覆蓋美國、中國、歐盟和其他20多個國家或地區。

- * 該項適應症基於總緩解率(ORR)獲得加速批准。針對該適應症的完全批准將取決於驗證性試驗中臨床獲益的驗證和描述。
- ** 該項適應症獲附條件批准。針對該適應症的完全批准將取決於正在開展的確證性隨機、對照臨床試驗結果。

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2,300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13,000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援和指導。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)。百濟神州擁有一支追求高品質與創新、立足科學與醫學的團隊，並在中國建立了領先地位，打造了一支規模龐大、聚焦於腫瘤學的商业團隊。

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®。

參考文獻

1. Tam, et al. A randomized phase 3 trial of zanubrutinib vs ibrutinib in symptomatic Waldenström macroglobulinemia: the ASPEN study. *Blood*. October 2020.136(18): 2038-2050.
2. Lymphoma Research Foundation. Available at <https://lymphoma.org/aboutlymphoma/nhl/wm/>. Accessed December 2020.
3. Chen, et al. Cancer statistics in China, 2015[J]. *CA: A Cancer Journal for Clinicians*, 2016, 66(2):115-132.
4. Tam, et al. ASPEN: Results of a Phase 3 randomized trial of zanubrutinib versus ibrutinib for patients with Waldenström macroglobulinemia (WM). DOI: 10.1200/JCO.2020.38.15_suppl.8007 *Journal of Clinical Oncology* 38, no. 15_suppl (May 20, 2020) 8007-8007.

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提高藥物可及性。目前公司廣泛的藥物組合包括40多款臨床候選藥物。公司通過加強自主研發能力和合作，加速推進多元、創新的藥物管線開發。我們致力於在2030年前為全球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超過8,000人的團隊。欲瞭解更多信息，請訪問www.beigene.com.cn。

前瞻性聲明

本公告包含根據《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中定義的前瞻性聲明，包括關於與其他BTK抑制劑相比，百悅澤®的潛在臨床益處和優勢的聲明，百濟神州計劃的進展，百濟神州對百悅澤®預期的臨床開發、藥政里程碑和商業化進程，百悅澤®潛在商業機會，在中國提高百悅澤®可及性的計劃，百悅澤®為潛在同類最優BTK抑制劑，百悅澤®對患者的潛在臨床獲益以及在「百濟神州腫瘤學」和「關於百濟神州」副標題下提及的百濟神州計劃、承諾、抱負和目標。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：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；藥監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知識產權保護的能力；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；新冠肺炎全球大流行對百濟神州的臨床開發、監管、商業化運營及其他業務帶來的影響；百濟神州在最近季度報告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及香港聯合交易所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。本公告中的所有信息僅及於公告發佈之日，除非法律要求，百濟神州並無責任更新該些信息。

承董事會命
百濟神州有限公司
主席
歐雷強先生

香港，2022年1月20日

於本公告日期，本公司董事會包括主席兼執行董事歐雷強先生、非執行董事王曉東博士及Anthony C. Hooper先生，以及獨立非執行董事陳永正先生、Donald W. Glazer先生、Michael Goller先生、Ranjeev Krishana先生、Thomas Malley先生、Corazon (Corsee) D. Sanders博士、蘇敬軾先生及易清清先生。