

百泽安®（替雷利珠单抗注射液）获得国家药品监督管理局批准用于治疗既往接受过治疗的局部晚期或转移性尿路上皮癌

- 百泽安在中国获批的第二项适应症，也是首项获批的实体瘤适应症

中国北京和美国麻省剑桥，2020年4月10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，专注于用于癌症治疗的创新型分子靶向和免疫肿瘤药物的开发和商业化。公司今天宣布抗PD-1抗体药物百泽安®（通用名：替雷利珠单抗注射液）获得国家药品监督管理局（NMPA）批准用于治疗接受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PD-L1高表达的尿路上皮癌（UC）患者。百泽安®于2019年12月首次获得NMPA批准用于治疗经典型霍奇金淋巴瘤患者，此项批准中的UC是百泽安®获批的第二项适应症，也是首项获批的实体瘤适应症。此前，该项新适应症上市申请（sNDA）已被国家药品监督管理局药品审评中心（CDE）纳入优先审评。

百济神州中国区总经理兼公司总裁吴晓滨博士表示：“百济神州一直以来致力于为全球患者带来有影响力、高质量的创新性药物。这是我们自主研发产品在过去五个月内获得的第三项上市批准，对百济神州这样一家年轻的生物科技公司来说是一项巨大的成就，也是对我们团队努力工作的肯定。公司针对百泽安®制定的长期战略计划是获得广泛适应症批准，以帮助与不同癌症作斗争的患者。这是百泽安®首项获批的实体瘤适应症，我们也因此对这款免疫肿瘤药物的前景倍感激动。”

复旦大学附属肿瘤医院副院长叶定伟教授评论道：“对国内晚期尿路上皮癌患者来说，现有的治疗方案十分有限。替雷利珠单抗注射液作为一款全新的免疫肿瘤治疗药物，在临床上获得了令人欣喜的有效性和安全性，客观缓解率高达24.8%，我们期待它能为国内肿瘤患者带来更深远的临床获益。”

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：“我们很欣喜地看到百泽安®针对UC适应症的上市申请获得批准。今天的成果离不开参与这项试验的临床专家、那些将自己的抗癌治疗托付给我们的患者以及我们团队的付出。目前，百泽安®广泛的开发项目包括15项潜在的注册性临床试验，除了已经获批的经典型霍奇金淋巴瘤和UC以外，覆盖肺癌、肝癌、食道癌、胃癌、鼻咽癌以及高位卫星不稳定（MSI-H）或错配修复缺陷性（dMMR）实体瘤在内的多项癌种。我们希望百泽安®能够再接再厉，为更多患者带来福音。”

此次百泽安®获得NMPA批准是基于一项在中国和韩国开展的用于治疗既往接受过含铂化疗且PD-L1高表达的局部晚期或转移性UC患者的单臂、多中心、关键性2期临床试验（clinicaltrials.gov 登记号：NCT04004221；药物临床试验登记号：CRT20170071）。符合疗效评估的患者中，在随访时间至少为12个月、中位随访时间为14个月的情况下，经独立评审委员

会（IRC）根据 RECIST 实体瘤疗效评估标准 1.1 版评估的客观缓解率（ORR）为 24.8%，完全缓解（CR）率为 9.9%。

百泽安[®]说明书中的安全性数据来自参与四项百泽安[®]单药临床试验的 934 位患者，包括前文提及的针对 UC 的关键性 2 期临床试验。最常见的不良反应（≥10%）为皮疹、疲乏及丙氨酸氨基转移酶升高。在至少 1% 患者中出现的三级或以上的不良反应包括 γ -谷氨酰转移酶升高、贫血、天门冬氨酸氨基转移酶升高、丙氨酸氨基转移酶升高、肺炎（非感染性）、重度皮肤反应、低钾血症。

百泽安[®]与同类产品相似，可能会发生免疫相关不良反应，主要包括肺炎、腹泻及结肠炎、肝炎、内分泌疾病（甲状腺功能减退、亢进和甲状腺炎、肾上腺皮质功能不全、高血糖症及 I 型糖尿病）和皮肤不良反应，另外肾炎、胰腺炎、心肌炎、肌炎与其他免疫相关性不良反应也偶见发生。

百泽安[®]采用静脉输注的方式给药，推荐剂量为 200 mg，每 3 周给药一次。用药直至疾病进展或出现不可耐受的毒性。

百泽安[®]作为药品上市许可持有人制度（MAH）试点项目下进入商业化阶段的生物制剂，获批后由勃林格殷格翰生物药业（中国）有限公司进行生产，以确保产品的商业供应。成立于 1885 年的勃林格殷格翰公司拥有超过 35 年的生物药生产经验，迄今为止，其在全球范围超过 3600 名员工提供的生物药生产代工业务，已经帮助 30 多款药物推向世界各地的市场。

关于尿路上皮癌

尿路上皮癌（UC），又称移行细胞癌（TCC），是目前最常见的一种膀胱癌¹，占有膀胱癌病例的 90% 以上²。膀胱癌是世界第十大最常见癌种，在 2018 年约有 55 万例新增病例³。在中国，膀胱癌是男性中第八大最常见癌种，在 2019 年约有 62000 例新增病例⁴。尽管 UC 最常见于膀胱中，但也可发生在泌尿系统的其他部位。

关于百泽安[®]（替雷利珠单抗注射液）

百泽安[®]（替雷利珠单抗）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 Fc γ R 受体结合。临床前数据表明，巨噬细胞中的 Fc γ R 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。替雷利珠单抗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。

百泽安[®]已获得中国国家药品监督管理局（NMPA）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患者，以及获批用于治疗 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患者。

百泽安[®]上市后由勃林格殷格翰生物药业进行生产。此外，总投资预计超过 23 亿元人民币、占地面积达 10 万平方米、专注于商业规模的大分子生物药工艺开发和生产的百济神州广州生物药生产基地已于 2019 年 9 月完成一期项目建设，在通过相关资格验证和批准后将 为百泽安[®]后续大规模的应用提供额外的商业供应，以确保充足的产能。

目前共有 15 项百泽安[®]注册性临床试验在中国和全球范围内开展，其中包括 11 项 3 期临床试验，四项关键性 2 期临床试验。

百泽安[®]在中国以外国家地区尚未获批。

关于替雷利珠单抗的临床项目

替雷利珠单抗的临床试验包括:

- 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/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 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

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 3500 多名员工，正在加速推动公司多元化的新型癌症疗法药物管线。目前，百济神州两款自主研发的药物，BTK 抑制剂 BRUKINSA™（泽布替尼）和抗 PD1 抗体药物百泽安®（替雷利珠单抗）分别在美国和中国进行销售。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。

前瞻性声明

该新闻稿包含根据《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下定义的前瞻性声明，包括百济神州有关百泽安®商业化的计划和预期、临床数据对患者的潜在影响，以及百济神州有关百泽安®临床开发、药政审评与商业化的进一步开发以及预估。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；新冠病毒对公司临床开发、商业以及其他业务运营带来的影响；以及百济神州在最近年度报告的 10-K 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会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

媒体联系人

周密

吕磊

+86 10-5895-8058

+86 10-6844-5311

ir@beigene.com

media@beigene.com

¹ American Cancer Society <https://www.cancer.org/cancer/bladder-cancer/about/what-is-bladder-cancer.html>

² ASCO cancer.net <https://www.cancer.net/cancer-types/bladder-cancer/introduction>

³ Global Cancer Observatory <https://gco.iarc.fr/today/data/factsheets/cancers/30-Bladder-fact-sheet.pdf>

⁴ Zheng, et al. China Journal of Oncology, 2019,41(1): 19-28.