

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

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)

內幕消息

美國FDA批准百悅澤®(澤布替尼)用於治療華氏巨球蛋白血症患者

本公告乃根據香港聯合交易所有限公司證券上市規則第13.09條及根據證券及期貨條例(香港法例第571章)第XIVA部而刊發。

百濟神州有限公司(「本公司」或「百濟神州」)於2021年9月1日(美國東部時間)宣佈，百悅澤®(BRUKINSA®, 澤布替尼)獲得美國食品藥品監督管理局(FDA)批准用於治療成年華氏巨球蛋白血症(WM)患者。

本公告附件一是本公司於2021年9月1日就上述業務最新情況發佈的新聞稿的全文。

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®為患者提供更好臨床獲益的潛力以及在「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。這些因素包括了以下事項的風險：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；藥政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候選藥物(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、商業化運營以及其他業務帶來的影響；以及百濟神州在最近季度報告的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有限公司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本公告發佈之日，除非法律要求，百濟神州並無責任更新該些信息。

本公司的股東及潛在投資者務請不應過份依賴本公告，並請於買賣本公司證券時審慎行事。

承董事會命
百濟神州有限公司
主席
歐雷強先生

香港，2021年9月2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。

附件一

美國FDA批准百悅澤®(澤布替尼)用於治療華氏巨球蛋白血症患者

此為百悅澤®在FDA獲得的第二項批准，也是其在全球範圍華氏巨球蛋白血症中第三項獲批

此項批准基於百悅澤®對比伊布替尼的3期ASPEN臨床試驗結果

美國麻省劍橋和中國北京 – 2021年9月2日 – 百濟神州(納斯達克代碼: BGNE; 香港聯交所代碼: 06160) 是一家全球性的生物製藥公司, 專注於在世界範圍內開發和商業化創新藥物。公司今日宣佈, 百悅澤®(BRUKINSA®, 澤布替尼) 獲得美國食品藥品監督管理局(FDA)批准用於治療成年華氏巨球蛋白血症(WM)患者。

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟博士表示:「我們十分高興FDA今天批准了百悅澤®在美國的第二項適應症。此次獲批使得百悅澤®能夠為華氏巨球蛋白血症患者帶來一種安全、有效的治療新選擇。正如我們從ASPEN試驗中所看到的, 百悅澤®能夠提升這些患者的治療效果, 改善他們的生活。」

黃蔚娟博士繼續評論道:「不到兩年的時間, 百悅澤®在已在全球範圍取得11項監管機構的批准, 其中包括2項在美國的批准, 這表明百悅澤®正逐漸成為針對B細胞惡性腫瘤的一項卓有成效的治療選擇, 並拓展其全球足跡, 將有望惠及更多患者。我們將繼續通過廣泛的臨床開發項目對百悅澤®進行評估, 以獲取更多臨床證據, 進一步確立其潛在的「同類最優」地位。」

美國丹娜法博癌症研究院(Dana-Farber Cancer Institute)華氏巨球蛋白血症研究Bing中心主任、哈佛醫學院醫學教授Steven Treon博士評論道:「ASPEN試驗充分表明, 百悅澤®是用於治療華氏巨球蛋白血症患者的一款具有高度活性的抑制劑, 相較第一代BTK抑制劑, 在一系列具有臨床重要性的副作用中顯示出了更佳的耐受性。百悅澤®獲批能為華氏巨球蛋白血症患者帶來一款全新的重要靶向治療選擇。」

國際華氏巨球蛋白血症基金會(IWMF)主席Pete DeNardis表示:「百悅澤®獲批用於治療華氏巨球蛋白血症, 為這種罕見類型的淋巴瘤帶來了第二款獲批的治療藥物, 對患者來說是一個福音, 這意味著華氏巨球蛋白血症患者有了更多治療選擇, 特別是百悅澤®這類藥物可通過口服給藥、採用單藥治療, 從而能夠改善患者的治療體驗。」

此次FDA對百悅澤®在WM中的批准主要是基於對比百悅澤®和伊布替尼治療WM患者的多中心、開放性的3期ASPEN試驗(NCT03053440)的有效性結果。該研究的佇列1隨機入組了201例攜帶MYD88突變(*MYD88^{MUT}*)的患者。

ASPEN試驗的主要有效性終點是獨立審查委員會(IRC)在總體意向性治療(ITT)人群中評估的非常好的部分緩解(VGPR)率。根據修訂版第六屆華氏巨球蛋白血症國際工作組(IWWM-6)緩解標準(Treon 2015)，百悅澤®組中非常好的部分緩解(VGPR)率為28%，而伊布替尼組則為19%。根據IWWM-6緩解標準(Owen et al 2013)，百悅澤®組VGPR率為16%，而伊布替尼組則為7%。

在FDA批准的百悅澤®說明書中，主要有效性結果體現為IRC評估的部分緩解(PR)或更佳緩解率。而基於任一版本的IWWM-6緩解標準，百悅澤®組的部分緩解(PR)或更佳緩解率達到了78% (95% CI：68，85)，伊布替尼組的數據為78% (95% CI：68，86)；在12個月時，百悅澤®組有94%的患者仍在進行無事件持續緩解 (95% CI：86，98)，伊布替尼組為88% (95% CI：77，94)。

百悅澤®最常見（見於≥20%的患者）的不良反應是基於779例患者的安全性數據，包括中性粒細胞減少、上呼吸道感染、血小板減少、皮疹、出血、肌肉骨骼疼痛、血紅蛋白降低、瘀青、腹瀉、感染性肺炎和咳嗽。

百悅澤®的推薦使用劑量為160 mg每日兩次或320 mg每日一次，空腹或飯後服用均可。可根據不良反應調整劑量，存在重度肝損害和正服用可能與百悅澤®產生相互作用的特定藥物的患者，可降低劑量。

關於百悅澤®

百悅澤® (BRUKINSA®，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成年WM患者
- 2021年4月，百悅澤®在以色列註冊並納入了當地醫保報銷名單，用於治療既往至少接受過一種治療的成年MCL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成年WM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成年MCL患者
- 2021年8月，百悅澤®在美國獲批用於治療成年WM患者

迄今為止，已遞交超過30項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。針對該適應症的後續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，不斷推動同類最優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達約2,300人，團隊規模還在不斷擴大。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持和指導。公司特別關注血液腫瘤和實體腫瘤的靶向治療及腫瘤免疫治療，並重點研究單藥和聯合療法。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® (PARP抑制劑，已在中國獲批上市)。

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®。

關於百濟神州

百濟神州是一家立足科學的全球性生物製藥公司，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7,000人的團隊。欲瞭解更多信息，請訪問www.beigene.com.cn。

前瞻性聲明

本新聞稿包含根據《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下定義的前瞻性聲明，包括關於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®為患者提供更好臨床獲益的潛力以及在「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援進一步開發或上市審批；葯監部門的行動可能會影響到臨床試驗的啟動、時程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」章節里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期後呈報中關於潛在風險、不確定性以及其它重要因素的討論。本新聞稿中的所有信息僅及於新聞稿發佈之日，除非法律要求，百濟神州並無責任更新該些信息。

百濟神州聯繫人

投資者聯繫人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

媒體聯繫人

呂磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com