

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

百濟神州宣佈百澤安®針對食管鱗狀細胞癌的新藥上市申請獲美國食品藥品監督管理局(FDA)受理

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13日(美國東部時間)宣佈，美國食品藥品監督管理局(FDA)已受理其抗PD-1抗體藥物百澤安®(替雷利珠單抗注射液)的新藥上市申請(BLA)，用於治療既往經系統治療後不可切除、復發性局部晚期或轉移性食管鱗狀細胞癌(ESCC)患者。根據《處方藥使用者付費法案》(PDUFA)，FDA對百澤安®上市申請做出決議的目標日期為2022年7月12日。

本公告附件一是本公司於2021年9月13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，包括關於在美國提交的百澤安®用於治療ESCC患者的上市許可申請和潛在獲批、百澤安®在美國、中國和其他市場的開發和商業化計劃、百澤安®成為美國和其他市場患者的可及藥物的計劃、百澤安®為患者帶來臨床獲益的潛能，以及在標題「關於百濟神州腫瘤學」和「關於百濟神州」下提及的百濟神州計劃、承諾、願景和目標。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13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

百濟神州宣佈百澤安®針對食管鱗狀細胞癌的新藥上市申請獲美國食品藥品監督管理局(FDA)受理

這是百澤安®在中國境外的首項藥政申報，此前在國內已有五項適應症獲批

此次受理的上市申請由百濟神州和諾華聯合申報，是基於一項百澤安®用於既往經治的晚期或轉移性食管鱗狀細胞癌患者的全球3期臨床試驗RATIONALE 302的積極結果，及百澤安®在廣泛臨床試驗中的安全性數據

隨著第二款自主研發藥物在中國境外的上市申報，百濟神州將進一步兌現其提升全球癌症患者藥物可及性的承諾

中國北京和美國麻省劍橋 – 2021年9月13日 – 百濟神州(納斯達克代碼:BGNE;香港聯交所代碼:06160)是一家立足科學的全球性生物製藥公司，專注於在世界範圍內開發和商業化創新藥物，為全球患者改善治療效果，提高藥物可及性。公司今日宣佈，美國食品藥品監督管理局(FDA)已受理其抗PD-1抗體藥物百澤安®(替雷利珠單抗注射液)的新藥上市申請(BLA)，用於治療既往經系統治療後不可切除、復發性局部晚期或轉移性食管鱗狀細胞癌(ESCC)患者。根據《處方藥使用者付費法案》(PDUFA)，FDA對百澤安®上市申請做出決議的目標日期為2022年7月12日。

百濟神州腫瘤免疫學首席醫學官賁勇醫學博士表示：「百澤安®擁有獨特的差異化產品設計，與化療相比，可有效延長多種實體瘤和惡性血液瘤患者的生存期。局部晚期或轉移性ESCC是一種危害嚴重的惡性腫瘤，患者的五年平均生存率僅為5%。根據先前在2021年美國臨床腫瘤學會(ASCO 2021)年會中公佈的有力臨床結果，對比化療，百澤安®顯著改善了這些患者的生存期且安全性更具優勢。此次百澤安®上市申請獲FDA受理，使得我們離為美國的局部晚期或轉移性ESCC患者帶去一項全新治療選擇的目標更進了一步。在中國，百澤安®已有五項適應症獲批，並有望成為國內免疫療法的優選治療藥物。我們期待通過與諾華的繼續合作，讓百澤安®惠及更多全球患者。」

此次上市申請是基於一項隨機、開放性、多中心的全球3期臨床試驗RATIONALE 302(NCT03430843)的研究結果，該試驗旨在評估百澤安®對比研究者選擇的化療，用於晚期或轉移性ESCC患者二線治療的有效性和安全性。該項試驗結果已在ASCO 2021上公佈。此外，此次申報還基於包括7項臨床試驗中接受百澤安®單藥治療的1972例患者的安全性數據。

除美國外，百澤安®用於治療既往接受過一線標準化療後進展或不可耐受的局部晚期或轉移性ESCC患者的適應症上市申請已在中國獲受理，當前正在審評過程中。

關於食管鱗狀細胞癌

食管癌是消化道領域最常見的惡性腫瘤之一。在美國，每年的確診人數超過18,400人。¹根據對應的惡變細胞，食管癌可分為兩種亞型：食管鱗狀細胞癌(ESCC)和食管腺癌(EAC)。² ESCC佔美國食管癌病例的30%，也是世界範圍內最常見的食管癌亞型。^{2,3,4}由於許多患者確診時已處於疾病晚期，ESCC總體的預後較差，治療極具挑戰性。^{3,4}

關於百澤安®(替雷利珠單抗注射液)

百澤安®(替雷利珠單抗注射液)是一款人源化IgG4抗程序性死亡受體1(PD-1)單克隆抗體，設計目的是為最大限度地減少與巨噬細胞中的Fcγ受體結合。臨床前數據表明，巨噬細胞中的Fcγ受體結合之後會啟動抗體依賴細胞介導殺傷T細胞，從而降低了PD-1抗體的抗腫瘤活性。百澤安®是第一款由百濟神州的免疫腫瘤生物平臺研發的藥物，目前正進行單藥及聯合療法臨床試驗，開發一系列針對實體瘤和血液腫瘤的廣泛適應症。

中國國家藥品監督管理局(NMPA)已在五項適應症中批准百澤安®，包括完全批准百澤安®聯合化療用於治療一線晚期鱗狀非小細胞肺癌(NSCLC)患者和一線晚期非鱗狀NSCLC患者。百澤安®另獲附條件批准用於治療至少經過二線系統化療的復發或難治性經典型霍奇金淋巴瘤(cHL)患者、PD-L1高表達的含鉑化療失敗包括新輔助或輔助化療12個月內進展的局部晚期或轉移性尿路上皮癌(UC)患者，以及至少經過一種全身治療的肝細胞癌(HCC)患者。針對上述三項適應症的完全批准將取決於正在進行的確證性隨機對照臨床試驗的結果。

此外，NMPA藥品審評中心(CDE)已受理百澤安®的四項新適應症上市申請且正在審評過程中，包括一項用於治療既往接受鉑類化療後出現疾病進展的二線或三線局部晚期或轉移性NSCLC患者、一項用於治療既往經治、局部晚期不可切除或轉移性高度微衛星不穩定型(MSI-H)或錯配修復缺陷型(dMMR)實體瘤患者、一項用於治療既往接受過一線標準化療後進展或不可耐受的局部晚期或轉移性食管鱗狀細胞癌(ESCC)患者和一項用於一線治療復發或轉移性鼻咽癌(NPC)患者的新適應症上市申請。

美國食品藥品監督管理局(FDA)已受理百澤安®的上市許可申請用於治療既往經系統治療後不可切除、復發性局部晚期或轉移性ESCC患者。根據《處方藥使用者付費法案》(PDUFA)，FDA對百澤安®上市申請做出決議的目標日期為2022年7月12日。

百濟神州已在中國和全球範圍內開展或完成了17項百澤安®的註冊性臨床試驗，其中包括13項3期臨床試驗和4項關鍵性2期臨床試驗。

2021年1月，百濟神州和諾華達成一項合作與授權協定，授權諾華在北美、歐洲和日本開發、生產和商業化百澤安®。

百澤安®在中國以外國家地區尚未獲批。

關於百澤安®(替雷利珠單抗注射液)的臨床研發項目

百澤安®(替雷利珠單抗)的臨床試驗包括：

- 替雷利珠單抗對比多西他賽用於二線或三線治療非小細胞肺癌患者安全性有效性的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03358875)
- 替雷利珠單抗對比救援性化療用於治療復發或難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT04486391)
- 替雷利珠單抗用於治療局部晚期或轉移性尿路上皮癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03967977)
- 替雷利珠單抗聯合化療對比化療用於一線治療晚期鱗狀非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03594747)
- 替雷利珠單抗聯合化療對比化療用於一線治療晚期非鱗狀非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03663205)
- 替雷利珠單抗聯合含鉑雙藥化療用於治療非小細胞肺癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT04379635)
- 替雷利珠單抗／安慰劑聯合鉑類藥物和依托泊苷用於治療廣泛期小細胞肺癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT04005716)
- 替雷利珠單抗對比索拉非尼用於一線治療肝細胞癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03412773)
- 替雷利珠單抗用於治療不可切除的肝細胞癌經治患者的2期臨床試驗 (clinicaltrials.gov 登記號：NCT03419897)

- 替雷利珠單抗用於治療局部晚期或轉移性尿路上皮膀胱癌患者的2期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT04004221)
- 替雷利珠單抗對比化療用於二線治療食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03430843)
- 替雷利珠單抗聯合化療用於一線治療食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03783442)
- 替雷利珠單抗對比安慰劑聯合同步放化療用於治療局限性食管鱗狀細胞癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03957590)
- 替雷利珠單抗聯合化療對比安慰劑聯合化療用於一線治療胃癌的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03777657)
- 替雷利珠單抗用於治療復發難治性經典型霍奇金淋巴瘤患者的2期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03209973)
- 替雷利珠單抗用於治療MSI-H或dMMR實體瘤患者中的2期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03736889)
- 替雷利珠單抗聯合化療對比安慰劑聯合化療用於一線治療鼻咽癌患者的3期臨床試驗 (clinicaltrials.gov登記號：NCT03924986)

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，旨在為全球患者改善治療效果，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年之前為全球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

該新聞稿包含根據《1995年私人證券訴訟改革法案》以及其他聯邦證券法律下定義的前瞻性聲明，包括該新聞稿中提及的在美國提交的百澤安®用於治療ESCC患者的上市許可申請和潛在獲批、百澤安®在美國、中國和其他市場的開發和商業化計劃、百澤安®成為美國和其他市場患者的可及藥物的計劃、百澤安®為患者帶來臨床獲益的潛能，以及在標題「關於百濟神州腫瘤學」和「關於百濟神州」下提及的百濟神州計劃、承諾、願景和目標。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援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；新冠肺炎全球疫情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。

投資者聯繫人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

參考文獻：

1. Siegel RL et al. CA Cancer J Clin 2020 Jan;70(1):7-30
2. American Cancer Society. What is Esophageal Cancer? Available at <https://www.cancer.org/cancer/esophagus-cancer/about/what-is-cancer-of-the-esophagus.html> Accessed August 2021.
3. Codipilly DC et al. Gastrointest Endosc. 2018 Sep; 88(3): 413-426.
4. Abnet CC et al. Gastroenterology. 2018 Jan; 154(2): 360–373.

媒體聯繫人

呂磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com