

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)

自願性公告 – 業務發展最新情況

百濟神州宣佈美國食品藥品監督管理局已受理百悅澤®(澤布替尼) 針對華氏巨球蛋白血症的新適應症上市申請

百濟神州有限公司(「百濟神州」或「本公司」)於2021年2月17日(美國東部時間)宣佈，美國食品藥品監督管理局(FDA)已受理百悅澤®(澤布替尼)用於治療華氏巨球蛋白血症(WM)患者的新適應症上市申請(sNDA)，處方藥申報者付費法案(PDUFA)日期為2021年10月18日。

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟醫學博士表示：「WM是一種罕見且十分嚴重的疾病，我們非常欣慰FDA已受理百悅澤®用於治療這項疾病的新適應症上市申請。近年來，BTK抑制劑雖然已經改善了WM的整體治療，但是罹患不同亞型的患者對其產生的緩解還存在差異，同時毒性仍然是個問題。我們會在接下來的幾個月中不斷與FDA進行溝通，期待百悅澤®能成為美國WM患者的一項全新治療方案。」

這項sNDA共包括來自351例WM患者的數據，主要基於百悅澤®對比伊布替尼用於治療WM患者的全球3期ASPEN臨床試驗(NCT03053440)的安全性和有效性數據；此外，還包括來自兩項百悅澤®臨床試驗的支援性數據，分別為在中國開展的用於治療復發／難治性WM患者的關鍵性2期臨床試驗(NCT03332173)和用於治療B細胞惡性腫瘤患者的全球1/2期臨床試驗(NCT02343120)。同時，六項百悅澤®臨床試驗中779例患者的安全性數據也被包含在該項sNDA中。

除美國以外，歐盟、加拿大、澳大利亞、中國、中國臺灣和韓國的藥品監管部門均已受理百悅澤®用於治療WM患者的相關上市申請。

百悅澤®於2019年11月在美國獲得加速批准用於治療既往接受過至少一項療法的套細胞淋巴瘤(MCL)患者。百悅澤®於2020年6月在中國獲得附條件批准，用於治療既往至少接受過一種療法的成年慢性淋巴細胞白血病(CLL)／小淋巴細胞淋巴瘤(SLL)患者、既往至少接受過一種療法的成年MCL患者的兩項適應症。目前，共有20餘項百悅澤®相關上市申請已完成遞交工作，涵蓋包括美國、中國和歐盟在內的全球45個國家和地區。

關於華氏巨球蛋白血症

華氏巨球蛋白血症(WM)是一種罕見惰性淋巴瘤，在不到2%的非霍奇金淋巴瘤(NHL)患者中出現。在美國，每年大約有5000例WM新增病例。該疾病通常出現在年長患者中，主要在骨髓中發現，但也可能累及淋巴結和脾臟。¹

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關鍵性臨床試驗專案，作為單藥和與其他療法進行聯合用藥治療多種B細胞惡性腫瘤。

百悅澤®於2019年11月在美國獲得加速批准用於治療既往接受過至少一項療法的套細胞淋巴瘤(MCL)患者。該項加速批准是基於總緩解率(ORR)。針對該適應症的持續批准將取決於驗證性試驗中臨床益處的驗證和描述。美國食品藥品監督管理局(FDA)已受理百悅澤®針對華氏巨球蛋白血症(WM)的新適應症上市申請。

2020年6月，百悅澤®在中國獲得附條件批准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、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。一項百悅澤®用於治療復發／難治性華氏巨球蛋白血症(WM)患者的新適應症上市申請已被中國國家藥品監督管理局(NMPA)藥品審評中心(CDE)受理並納入優先審評行列。

一項百悅澤®作為既往接受過至少一項療法的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的上市許可申請(MAA)已被歐洲藥品管理局(EMA)受理。此外，另有20項百悅澤®的相關上市申請已在全球16個國家和地區完成遞交工作。

¹ Lymphoma Research Foundation. Available at <https://lymphoma.org/aboutlymphoma/nhl/wm/>. Accessed December 2020.

關於百濟神州

百濟神州是一家全球性、商業階段的生物科技公司，專注於研究、開發、生產以及商業化創新性藥物以為全世界患者提高療效和藥品可及性。百濟神州目前在中國大陸、美國、澳大利亞、歐洲和其他地區擁有5200多名員工，正在加速推動公司多元化的新型癌症療法藥物管線。目前，百濟神州兩款自主研發的藥物，BTK抑制劑百悅澤®(澤布替尼膠囊)正在美國和中國進行銷售、抗PD-1抗體藥物百澤安®(替雷利珠單抗注射液)在中國進行銷售。此外，百濟神州在中國正在或計劃銷售多款由安進公司、新基物流有限公司(隸屬百時美施貴寶公司)以及EUSA Pharma授權的腫瘤藥物。欲瞭解更多信息，請造訪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，包括有關百悅澤®用於治療華氏巨球蛋白血症患者在美國的新適應症上市申請的藥政審評和獲批，百悅澤®在美國和其他新興市場的未來的開發、藥政批准和潛在商業化，以及百悅澤®的潛在臨床益處和商業機會。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、時程表和進展以及產品上市審批；百濟神州的上市產品及藥物候選物(如能獲批)獲得商業成功的能力；百濟神州對其技術和藥物智慧財產權保護獲得和維護的能力；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；百濟神州有限的營運歷史和獲得進一步的營運資金以完成候選藥物開發和商業化的能力；新冠肺炎全球大流行對公司臨床開發、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、不確定性以及其它重要因素的討論。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。

承董事會命
百濟神州有限公司
主席
歐雷強先生

香港，2021年2月18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。