

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

中國國家藥品監督管理局批准百悅澤®(澤布替尼) 用於治療復發或難治性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(「百濟神州」或「本公司」)於2021年6月18日(美國東部時間)宣佈，中國國家藥品監督管理局(NMPA)已授予百悅澤®(澤布替尼)附條件批准，用於治療既往至少接受過一種治療的成人華氏巨球蛋白血症(WM)患者。NMPA藥品審評中心(CDE)於2020年10月將這項新適應症上市許可申請納入優先審評。

本公告附件一是本公司於2021年6月18日(美國東部時間)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，百濟神州計畫的進展、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，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畫、承諾、抱負和目標。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。

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6月21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

中國國家藥品監督管理局批准百悅澤®(澤布替尼) 用於治療復發或難治性華氏巨球蛋白血症患者

標誌著百悅澤®在中國取得第三項適應症的批准，
以及針對華氏巨球蛋白血症在全球的第二項批准

中國北京和美國麻省劍橋——2021年6月19日——百濟神州(納斯達克代碼：BGNE；香港聯交所代碼：06160)是一家全球化生物科技公司，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，中國國家藥品監督管理局(NMPA)已授予百悅澤®(澤布替尼)附條件批准，用於治療既往至少接受過一種治療的成人華氏巨球蛋白血症(WM)患者。NMPA藥品審評中心(CDE)於2020年10月將這項新適應症上市許可申請納入優先審評。

百濟神州總裁、首席運營官兼中國區總經理吳曉濱博士表示：「WM是一種目前仍無法治癒的血液惡性腫瘤，可能對患者的生命和生活品質帶來嚴重威脅。國家藥監局批准我們的新型BTK抑制劑百悅澤®在該適應症中的上市許可，使得我們能夠為患者、他們的家人與廣大臨床醫生帶來一項治療WM的新選擇，這讓我們倍感自豪。此次獲批也標誌著百悅澤®在中國取得第三項針對B細胞惡性腫瘤的批准，我們相信，它將在滿足全球血液腫瘤患者尚未被滿足的醫療需求中，發揮重要作用。」

中國醫學科學院血液病醫院淋巴瘤診療中心主任，同時也是百悅澤®在WM的關鍵性臨床試驗BGB-3111-210研究的主要研究者邱錄貴教授表示：「罹患WM的多為老年患者，對於這類疾病，維持較長時間的治療可能有助於改善預後效果，但這同時也使得耐受性與安全性成為臨床上需要格外重視的問題。此前公佈的研究結果表明，百悅澤®能夠降低患者發生心血管相關不良反應的風險，並產生深度和持久的疾病緩解，我很欣慰百悅澤®在WM中取得批准，將為更多中國患者帶來獲益。」

百濟神州血液學首席醫學官黃蔚娟醫學博士表示：「百悅澤®由百濟神州的科學家們進行了特殊設計，經過優化，減少了過去在第一代BTK抑制劑中觀察到的脫靶效應。公司已經開展了廣泛的臨床開發專案來評估百悅澤®的臨床獲益，包括ASPEN研究這項頭對頭臨床試驗。我們衷心感謝所有參與試驗的患者和臨床醫生，並希望隨著百悅澤®全球註冊的推進，能夠進一步提升這款藥物對於WM和其他血液系統惡性腫瘤患者的可及性。」

此次NMPA附條件批准百悅澤®用於治療既往至少接受過一種治療的WM患者，是基於一項單臂關鍵性2期臨床試驗(NCT03332173)的安全性和有效性結果。該試驗的中位隨訪時間為14.9個月，經獨立評審委員會(IRC)評估，試驗的主要終點——主要緩解率(MRR)為72.1% (95% CI：56.3，84.7)。MRR指的是完全緩解、非常好的部分緩解和部分緩解的總和。該試驗的安全性資料與先前觀察到的情況相符。

百悅澤®在中國用於治療WM患者的推薦每日總劑量為320毫克。

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。該疾病通常發生在老年患者中，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，這些病例中約有91%被歸類為NHL，意味著中國每年約有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進行聯合用藥治療多種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接受過至少一種治療的套細胞淋巴瘤(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人套細胞淋巴瘤(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人慢性淋巴細胞白血病(CLL)／小淋巴細胞淋巴瘤(SLL)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人華氏巨球蛋白血症(WM)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

目前，除美國和中國以外，共有30多項百悅澤®針對多項適應症的相關上市申請完成遞交工作，覆蓋歐盟以及其他20多個國家。

- * 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益處的驗證和描述。
- ** 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。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Fcγ受體結合的抗PD-1抗體，已在中國獲批上市)以及百匯澤®(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。公司廣泛的藥物組合目前包括40多款臨床候選藥物，通過強化公司自主競爭力以及與其他公司開展合作，我們致力於加速現有多元、創新藥物管線的開發進程，希望能在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約6,000人的團隊。欲瞭解更多資訊，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，百濟神州計畫的進展、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，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畫、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智慧財產權保護的能力；百濟神州依賴協力廠商進行藥物開發、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。本新聞稿中的所有資訊僅截止於新聞稿發佈之日，除非法律要求，百濟神州並無責任更新這些資訊。

投資者連絡人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

媒體連絡人

呂磊

+86 10-6844-5311

media@beigene.com

References:

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.