

A股代码：688235 A股简称：百济神州 公告编号：2023-002

港股代码：06160 港股简称：百济神州

美股代码：BGNE

百济神州有限公司

自愿披露关于美国食品药品监督管理局批准百悦泽® (泽布替尼胶囊) 用于治疗慢性淋巴细胞白血病或小 淋巴细胞淋巴瘤成人患者的公告

本公司董事会及全体董事保证本公告内容不存在任何虚假记载、误导性陈述或者重大遗漏，并对其内容的真实性、准确性和完整性依法承担法律责任。

重要内容提示：

1、百济神州有限公司（以下简称“公司”）近日获悉，美国食品药品监督管理局（FDA）已批准其布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）抑制剂百悦泽®（泽布替尼胶囊）用于治疗慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）成人患者。

2、药品获批后能否最终实现商业目的存在一定的不确定性，敬请广大投资者注意潜在的投资风险，公司将按有关规定及时对后续进展情况履行信息披露义务。

美国食品药品监督管理局（FDA）已批准公司布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）抑制剂百悦泽®（泽布替尼胶囊）用于治疗慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）成人患者。

一、药品基本情况

药品通用名：泽布替尼胶囊

中文商品名：百悦泽®

英文商品名：BRUKINSA®

已于美国获批适应症：百悦泽®适用于治疗慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）成人患者；百悦泽®适用于治疗华氏巨球蛋白血症（WM）成人患者；百悦泽®适用于治疗既往至少接受过一种治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）成人患者（该项适应症基于总缓解率获得加速批准，针对该适应症的后续正式批准将取决于确证性试验中临床获益的验证和描述）；百悦泽®适用于治疗既往至少接受过一种包含抗CD20治疗的边缘区淋巴瘤（MZL）成人患者（该项适应症基于总缓解率获得加速批准，针对该适应症的后续正式批准将取决于确证性试验中临床获益的验证和描述）。

百悦泽®是一款由公司科学家自主研发的布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）小分子抑制剂，目前正在全球进行广泛的临床试验项目，作为单药和与其他疗法进行联合用药治疗多种 B 细胞恶性肿瘤。百悦泽®的设计通过优化生物利用度、半衰期和选择性，实现对 BTK 蛋白靶向、持续的抑制。凭借与其他获批 BTK 抑制剂存在差异化的药代动力学特征，百悦泽®已被证明能在多个疾病相关组织中抑制恶性 B 细胞增殖。

二、获得 FDA 批准情况

FDA 已批准百悦泽®用于治疗慢性淋巴细胞白血病（CLL）或小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）成人患者。

本次在美国的获批基于两项全球 3 期临床试验，这两项试验证明了百悦泽®在 CLL 患者中的优效性及其良好的安全性特征。在 SEQUOIA 试验中，中位随访时间为 26.2 个月，经独立审查委员会（IRC）评估，百悦泽®对比苯达莫司汀联合利妥昔单抗在一线 CLL 患者治疗中呈现出显著的无进展生存期（PFS）优势（风险比（HR）=0.42，[95%置信区间（CI）：0.28, 0.63]， p 值<0.0001）。在 ALPINE 试验中，经 IRC 评估，

百悦泽®对比伊布替尼在复发/难治性（R/R）CLL 患者中获得更优效的总缓解率（ORR 80.4% vs. 72.9%， p 值=0.0264）。百悦泽®在 ALPINE 和 SEQUOIA 试验中的整体安全性特征与既往研究一致。在接受百悦泽®治疗的 CLL 患者汇总安全性人群（包括全部临床开发项目，N=1,550）中，最常见的不良反应（ $\geq 30\%$ ）包括中性粒细胞计数降低（42%）、上呼吸道感染（39%）、血小板计数降低（34%）、出血（30%），以及肌肉骨骼疼痛（30%）。

ALPINE 试验预先设定的最终 PFS 分析结果证明了百悦泽®对比亿珂®在 R/R CLL 患者中的优效性和更好的心脏安全性特征。该结果在第 64 届美国血液学学会年会的最新突破摘要环节上进行了口头报告，并同时发表于《新英格兰医学杂志》。中位随访时间为 29.6 个月，百悦泽®在 R/R CLL 患者中呈现出优于伊布替尼的 PFS（经研究者和 IRC 评估：HR: 0.65, [95% CI, 0.49 ~ 0.86], p 值=0.0024）。此外，百悦泽®呈现出良好的心脏安全性特征，百悦泽®组的房颤/房扑发生率显著低于伊布替尼组（5.2% vs. 13.3%），百悦泽®组因心脏疾病导致的死亡率为 0，而伊布替尼组为 6 例（0% vs. 1.9%）。

三、对公司的影响

百济神州的愿景是致力于提供可负担的创新药物。此次获批使得百悦泽®为 CLL/SLL 患者带来新的治疗选择，有助于进一步提升该药物的可及性。

四、风险提示

由于生物医药行业具有研发周期长、投入大、风险高的特点，公司的药物产品需完成药物早期发现、临床前研究、临床开发、监管审查、生产、商业化推广等多个环节，容易受到一些不确定性因素的影响，包括但不限于公司证明其候选药物功效和安全性的能力、药物的临床结果、药监部门审查流程对临床试验的启动、时间表和进展的影响以及药物或

新适应症上市许可申请技术审评及审批的进展、公司获得和维护其药物和技术的知识产权的能力、公司依赖第三方进行药物开发、生产和其他服务的情况、公司取得监管审批和商业化药品的有限经验、公司获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和实现盈利的能力、新冠肺炎对公司生产经营活动带来的影响等。因此药品获批后能否最终实现商业目的存在一定的不确定性。

敬请广大投资者注意潜在的投资风险，公司将按有关规定及时对后续进展情况履行信息披露义务。

特此公告。

百济神州有限公司董事会

2023年1月20日