

## 百济神州在第二十三届美国神经肿瘤学会年会及教育日（SNO）上公布 PARP 抑制剂 Pamiparib 的初步临床数据

美国麻省剑桥和中国北京，2018年11月16日电/美通社/ -- 百济神州（纳斯达克代码：BGNE；香港联交所代码：06160），是一家处于商业阶段的生物医药公司，专注于用于癌症治疗的创新型分子靶向和肿瘤免疫药物的开发和商业化。百济神州今天宣布在美国路易斯安那州新奥尔良市举行的第二十三届美国神经肿瘤学会年会及教育日上公布其在研 PARP 抑制剂 pamiparib 联合放疗（RT）及/或替莫唑胺（temozolomide, TMZ）治疗新诊断或复发/难治性（R/R）多形性胶质母细胞瘤（GBM）患者的初步临床数据。Pamiparib 由百济神州自主研发，目前正在全球和中国开展其作为单药的 3 期临床研究和与化疗或免疫疗法联合用药治疗多种实体瘤的 1/2 期临床研究。

百济神州肿瘤免疫学首席医学官，Amy Peterson 医学博士评论道：“对于患有新诊断或复发/难治性胶质母细胞瘤的患者而言来说，现有的治疗方案选择十分有限。在临床前研究中表明，pamiparib 具有穿透血脑屏障及 PARP 蛋白捕捉的潜力。这项临床试验旨在评估 DNA 损伤疗法及/或 DNA 损伤剂与 pamiparib 之间的潜在协同效应。我们很高兴能继续评估 pamiparib 联合用药作为潜在疗法治疗多种在全球范围内有迫切医疗需求的难治性癌症。”

莎拉坎农研究所神经肿瘤项目资深研究员、本次研究报告第一作者 Kent Shih 医学博士评论道：“初步临床数据显示出 pamiparib 联合放疗治疗新诊断胶质母细胞瘤以及 pamiparib 联合低剂量替莫唑胺治疗复发/难治性胶质母细胞瘤包括之前接受替莫唑胺治疗疾病进展的患者都具有抗肿瘤活性。我们认为初步临床数据支持对这种联合疗法的继续开发。”

### 初步临床结果概述

这项开放性、多中心的 pamiparib 联合 RT 及/或 TMZ（NCT03150862）的 1b/2 期多剂量和剂量递增的全球临床研究旨在评估此联合疗法用于治疗新诊断或 R/R GBM 患者的安全性、疗效以及临床活性。新诊断 MGMT 基因未甲基化启动子 GBM 患者（A 组）在递增短期内（两周，四周，六周）接受 pamiparib（每日两次，每次 60mg）联合六到七周的 RT。R/R GBM 患者（C 组）连续接受 pamiparib（每日两次，每次 60mg）联合每 28 天周期中前 21 天给药计划的 TMZ。在评估 A 组和 C 组的安全性和耐受性之后，新诊断 GBM 的患者将进入 B 组接受 RT、pamiparib 以及 TMZ 的三重联合疗法。



截至 2018 年 9 月 14 号，共有 18 位新诊断 GBM 患者进入 A 组（n=3, 6, 9 分别在两周，四周，六周的亚组中）。本组试验的中位随访时间为 19 周（2-54）。三级及以上的不良事件（AE）共有五例（发冷，腹泻、疲劳、恶心、眩晕，n=1，每项 5.6%），被认为与 pamiparib 或 RT 相关。剂量限制性毒性包括疲劳、眩晕及发冷（每项一例）。

截至数据截点为止，18 位患者中 15 位符合改进的神经肿瘤缓解评估（mRANO）标准的评估条件。其中包括两位患者达到部分缓解（PR，一位已确认），六位达到疾病稳定（SD）；疾病控制率为 53.3%（95%CI：26.6-78.7）。

在 C 组中，八位患者在 28 天周期中的 21 天内接受了 40mg 的 TMZ 固定剂量，七位接受了 20mg 的 TMZ 固定剂量。本组试验的中位随访时间为 12.9 周（0.3-31.4）。三级及以上的 AE 包括贫血（20%）、疲劳（13.3%）以及淋巴细胞减少（13.3%），均被认为与 pamiparib 或 TMZ 相关。剂量限制性毒性包括恶心及中性粒细胞减少。21 天 40mg TMZ 与 pamiparib 的联合用药不耐受；对低剂量 20mg TMZ 及 pamiparib 联合用药的评估正在开展。

15 位患者中 10 位符合 mRANO 标准的评估条件，两位患者达到部分缓解(一位未确认，一位数据截点之后得到确认) 及三位患者达到疾病稳定。

### 关于多形性胶质母细胞瘤

多形性胶质母细胞瘤（GBM），也称作胶质母细胞瘤，是一种四级发生于脑或脊髓中的侵袭性癌症<sup>2</sup>。GBM 也是成人中最常见的恶性脑肿瘤类型<sup>3</sup>。一开始的症状包括加重的头痛、恶心、呕吐和中风发作。患者还可能出现基于肿瘤位置的神经症状（例如，面部，手臂或腿部的虚弱或感觉变化，平衡困难和神经认知/记忆问题）<sup>4</sup>。胶质母细胞瘤可以在任何年龄发生，但往往在老年人中更常见。胶质母细胞瘤患者的 5 年相对存活率为：19%（20-44 岁）；8%（44-54 岁）；和百分之五（55-64 岁）<sup>5</sup>。

### 关于 Pamiparib

Pamiparib (BGB-290) 是一款在研 PARP1 和 PARP2 抑制剂，临床前模型显示其具有穿透血脑屏障和 PARP-DNA 复合物捕捉等药理学特性。由百济神州的科学家在北京研发中心自主研发，pamiparib 目前正作为单一疗法或与其他药物联用治疗多种恶性实体瘤进行全球临床开发。

### 关于百济神州

百济神州是一家全球性的、商业阶段的、以研发为基础的生物科技公司，专注于分子靶向和免疫肿瘤疗法的研发。百济神州目前在中国大陆、美国、澳大利亚和瑞士拥有超过 1,700 名员工，在研产品线包括新型口服小分子类和单克隆抗体类抗癌药物。百济神州目前也正在打造抗癌治疗的药物组合方案，旨在为癌症患者的生活带来持续、深远的影响。在新基公司的授权下，百济神州在华销售 ABRAXANE®注射用紫杉醇（纳米白蛋白颗粒结合型）、瑞复美®（来那度胺）和维达莎®（注射用阿扎胞苷）

1。



## 前瞻性声明

根据《1995年私人证券诉讼改革法案》（Private Securities Litigation Reform Act of 1995）以及其他联邦证券法律要求，该新闻稿包含前瞻性声明，包括 pamiparib 令人鼓舞的临床数据，有关百济神州对 pamiparib 相关的进展计划、预期的临床开发计划、药政注册里程碑等。由于各种重要因素的影响，实际结果可能与前瞻性声明有重大差异。这些因素包括了以下事项的风险：百济神州证明其候选药物功效和安全性的能力；候选药物的临床结果可能不支持进一步开发或上市审批；药政部门的行动可能会影响到临床试验的启动、时间表和进展以及产品上市审批；百济神州的上市产品及药物候选物（如能获批）获得商业成功的能力；百济神州对其技术和药物知识产权保护获得和维护的能力；百济神州依赖第三方进行药物开发、生产和其他服务的情况；百济神州有限的营运历史和获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和商业化的能力；以及百济神州在最近季度报告的 10-Q 表格中“风险因素”章节里更全面讨论的各类风险；以及百济神州向美国证券交易委员会期后呈报中关于潜在风险、不确定性以及其他重要因素的讨论。本新闻稿中的所有信息仅及于新闻稿发布之日，除非法律要求，百济神州并无责任更新该些信息。

## 投资者联系人

周密

+86 10-5895-8058

ir@beigene.com

## 媒体联系人

吕磊

+86 10-5895-8049

media@beigene.com

<sup>1</sup> ABRAXANE®, REVLIMID®, and VIDAZA® are registered trademarks of Celgene Corporation.

<sup>2</sup> “Glioblastoma.” Mayo Clinic. Accessed Online at <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/glioblastoma/cdc-20350148> on November 5, 2018.

<sup>3</sup> “What Is Glioblastoma?” WebMD. Accessed online at <https://www.webmd.com/cancer/brain-cancer/what-is-glioblastoma#1> on November 5, 2018.

<sup>4</sup> “Glioblastoma (GBM).” American Brain Tumor Association. Accessed online at [https://www.abta.org/tumor\\_types/glioblastoma-gbm/](https://www.abta.org/tumor_types/glioblastoma-gbm/) on November 5, 2018.

<sup>5</sup> <https://www.cancer.org/cancer/brain-spinal-cord-tumors-adults/detection-diagnosis-staging/survival-rates.html>