



# 百济神州公司介绍

2024年5月8日

# 披露声明

本演示文稿中及对其口头介绍的某些陈述（在本演示文稿日期可独立验证的事实陈述除外）可能包含前瞻性声明。此类前瞻性陈述的示例包括有关某类肿瘤预计市场规模的陈述；百济神州未来收入增长情况；关于百济神州的研究、药物发现、临床前和早期临床项目和计划的声明；百济神州候选产品的近期临床数据及其产品的批准；晚期临床试验的实施和预期数据的解读；其他计划的商业化产品发布；百济神州产品和候选药物的临床开发、药政里程碑和商业化的进展和预期；以及百济神州在现金创造方面的路径和进展。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、时间安排和进展以及药物上市审批；百济神州的上市药物及候选药物（如能获批）获得商业成功的能力；百济神州获得和维护对其药物和技术的知识产权保护的能力；百济神州依赖第三方进行药物开发、生产、商业化和其他服务的情况；百济神州取得监管审批和商业化医药产品的有限经验，及其获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和实现并保持盈利的能力；百济神州在最近向美国证券交易委员会（SEC）递交的定期报告中的“风险因素”章节里更全面讨论的各类风险；以及百济神州向SEC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。本演示文稿中的所有信息仅及于演讲发表之日，除非法律要求，百济神州并无责任更新该等信息。

本演示文稿中与百济神州试验用候选药物相关的部分临床数据来自临床前研究或早期的单臂临床试验。在演示这些与其他研究药物或已上市药品相关的数据时，演讲和讨论并非基于百济神州的试验用候选药物与其他产品之间的头对头试验，试验方案中预先规定的情况例外。百济神州仍在进行临床前研究和临床试验，随着额外的患者入组和评价，百济神州试验用候选药物的数据可能会发生变化。

本演示文稿及其口头介绍包含第三方研究的数据和信息，以及公司内部对此类数据和信息的分析。百济神州尚未单独核实从这些来源获得的数据和信息。同样来源获得的前瞻性信息受上述相同条件的约束。

本文件为中文译本，仅供参考。



# 百济神州为何与众不同？

## 前提

- 在价格挑战日益严峻的环境中，致力于在解决可负担性问题的同时保证公司的可持续和盈利能力
- 将我们的目标患者定义为世界六分之四的人口 — 是行业传统目标患者的四倍

## 方法

- 始终专注于降低主要成本 — **临床成本**，通过：
  - 扩大当地和全球入组范围
  - 建立不依赖于CRO的自主团队
  - 技术赋能
- 向内部进行投资，从而显著降低：
  - 研究费用
  - 生产成本

## 启示

- 要降低临床试验成本并提高速度，**就必须做到真正的全球化**

# 独特的模式使我们迅速崛起成为全球肿瘤治疗创新领导者

## 全球肿瘤治疗创新领导者

前  
10

血液恶性肿瘤创新疗法的全球收入 — 并在不断增加

前  
5

2017至2023年业内完成3期肿瘤临床试验数量的公司

前  
5

过去4年中行业内肿瘤药物分子进入临床数量的公司



业内最大的专注于肿瘤学的研发团队之一

前  
3

中国肿瘤创新疗法收入

来源：Evaluate Pharma Competitor Analyzer，获取日期：2023年12月18日，涉及癌症、血液和造血恶性肿瘤，不包括仿制药和生物仿制药；及IND数据；公司备案文件、IQVIA和分析师报告。

Citeline的竞争药物试验。数据分析截至2024年1月。

# 存在的误解

## 我们的实力

地缘政治

成本结构

单一产品

法律诉讼

- 全球收入的地域和产品构成日益多元化
- 生产供应链多元化

- 研发投入创造逾70%的价值\*
- 具有研究和生产成本优势
- 过渡到创造现金的清晰路径

- 多款商业化产品
- 包含60余款潜在药物的产品管线\*\*
- 1,100多人组成的研究团队

- 强大的知识产权
- 授权后复审已获批<sup>^</sup>，要求越权专利无效

\*来源和方法：EvaluatePharma 2017年以来产品管线和上市产品的净现值与2017~2022年累计研发支出对比显示，百济神州每项研发支出的净现值比24家肿瘤学和血液肿瘤/肿瘤学领先企业的平均值高出约70%。数据分析截至2024年1月。

\*\*包括临床前药物。

<sup>^</sup>美国专利商标局（USPTO）批准了公司的申请，将对Pharmacocyclics在专利侵权诉讼中指控公司所侵犯的专利进行授权后复审，并表示公司已证明该专利无效的可能性大于百分之五十；预计USPTO将在12个月内就该专利的有效性作出最终裁决。

# 全球自主研发和合作管线

## 临床1期

Sonrotoclax BCL2抑制剂

- B细胞恶性肿瘤
- 急性髓系白血病/骨髓异常增生综合征
- 携带t(11;14)多发性骨髓瘤

BGB-16673 靶向BTK的CDAC

- B细胞恶性肿瘤

BGB-21447 新一代BCL2抑制剂

- B细胞恶性肿瘤

替雷利珠单抗 抗PD1

- 皮下剂型

BGB-15025 / 26808 HPK1抑制剂

- 15025 及 26808 - 实体瘤

BGB-30813 DGK $\zeta$ 抑制剂

- 实体瘤

BGB-A3055 抗CCR8

- 实体瘤

BGB-24714 SMAC模拟物

- 实体瘤

BGB-10188 PI3K $\delta$ 抑制剂

- 实体瘤

BGB-43395 CDK4抑制剂

- 乳腺癌和实体瘤

BGB-68501<sup>1</sup> CDK2抑制剂

- 实体瘤

BG-C9074<sup>2</sup> B7H4 ADC

- 实体瘤

泽尼达妥单抗<sup>3</sup> 抗HER2双抗

- 1L 转移性乳腺癌/胃癌

Xaluritamig<sup>4</sup> 抗STEAP1 x CD3

- 转移性去势抵抗性前列腺癌

## 临床2期

泽布替尼 BTK抑制剂

- B细胞恶性肿瘤
- CD79B复发/难治性DLBCL
- 难治肾炎

BGB-16673 靶向BTK的CDAC

- 复发/难治性MCL、复发/难治性CLL

Sonrotoclax BCL2抑制剂

- 复发/难治性MCL
- 复发/难治性CLL
- 复发/难治性WM

贝利妥<sup>4</sup> 抗CD3 x CD19

- 儿童复发/难治性 前体B细胞急性淋巴细胞白血病 (启动活动)

Surzebiclimab 抗TIM3

- 1L HNSCC

LBL-007<sup>5</sup> 抗LAG3

- 微卫星稳定型结直肠癌
- 1L ESCC

BGB-A445 抗OX40

- 黑色素瘤、肾细胞癌、原路上皮癌

伞状试验 肿瘤免疫联合用药

- 1L NSCLC
- 2L+ NSCLC
- 新辅助治疗 NSCLC
- 1L 头颈鳞癌

泽尼达妥单抗<sup>3</sup> 抗HER2双抗

- HER2阳性2L 乳腺癌

Tarlatamab<sup>4</sup> 抗DLL3 x CD3

- 3L SCLC (启动活动)

## 临床3期

泽布替尼 BTK抑制剂

- 初治 MCL
- 复发/难治性 MZL、复发/难治性 FL
- 原发性膜性肾病

Sonrotoclax BCL2抑制剂

- 初治 CLL

替雷利珠单抗 抗PD1

- 新辅助/辅助治疗 NSCLC\*
- 1L 膀胱尿路上皮癌
- 局部晚期 ESCC
- 复发/难治性 cHL

帕米帕利 PARP抑制剂

- 2L MTx 胚系BRCA突变卵巢癌

欧司珀利单抗 抗TIGIT

- 1L PDL1高表达 NSCLC

泽尼达妥单抗<sup>3</sup> 抗HER2双抗

- 1L HER2阳性食管腺癌

Tarlatamab<sup>4</sup> 抗DLL3 x CD3

- 2L SCLC
- 1L 广泛期 SCLC (启动活动)
- 局限期 SCLC (启动活动)

## 已递交上市申请

泽布替尼 BTK抑制剂

- 初治 CLL/SLL (日本)
- 复发/难治性 CLL/SLL (日本)
- 复发/难治性 FL (中国)
- 初治 复发/难治性 WM (日本)

替雷利珠单抗 抗PD1

- 1L 广泛期 SCLC (中国)
- 1L 胃或食管结合部腺癌 (美国、欧盟)
- 1L ESCC (美国、欧盟、日本)
- 2L ESCC (日本)

## 已获批上市\*

泽布替尼 BTK抑制剂

- 初治 CLL/SLL (美国、欧盟、中国和其他)
- 复发/难治性 CLL/SLL (美国、欧盟和其他)
- 复发/难治性 CLL (中国)
- 复发/难治性 MCL (美国、中国和其他)
- 复发/难治性 FL (美国、欧盟和其他)
- 复发/难治性 MZL (美国、欧盟和其他)
- 初治 复发/难治性 WM (美国、欧盟、中国和其他)

替雷利珠单抗 抗PD1

- 1L 非鳞状NSCLC (欧盟、中国)
- 1L 鳞状 NSCLC (欧盟、中国)
- 2/3L NSCLC (欧盟、中国)
- 1L 胃或食管结合部腺癌 (中国)
- 1L 肝细胞癌 (中国)
- 1L 肝癌 (中国)
- 1L ESCC (中国)
- 2L ESCC (美国、欧盟、中国)
- 2L 膀胱尿路上皮癌 (中国)
- 1L 鼻咽癌 (中国)
- 2L 微卫星高度不稳定型/错配修复基因缺陷型 (中国)
- 复发/难治性 cHL (中国)

帕米帕利 PARP抑制剂

- 2L 胚系BRCA突变卵巢癌 (中国)

戈舍瑞林微球<sup>6</sup> GnRH

- 前列腺癌 (中国)
- 乳腺癌 (中国)

- 血液肿瘤
- 实体瘤
- 非肿瘤

已递交上市申请包括部分已被受理的上市申请递交

\*达到主要终点

GnRH: 促性腺激素释放激素

1. 与昂胜医药合作, 百济神州拥有全球权利
  2. 与映恩生物合作, 百济神州拥有全球权利
  3. 与Zymeworks/Jazz合作, 百济神州拥有日本外亚太地区、澳大利亚、新西兰商业化权利
  4. 与安进合作, 百济神州拥有中国商业化权利, 并有权利从中国以外的净销售额中获得中个位数的分级特许权使用费。“启动活动”指在中国已获批启动的临床研究。
  5. 与南京维立达合作, 百济神州拥有中国以外商业化权利
  6. 与绿叶制药合作, 百济神州拥有在中国大陆研究、开发和商业化LY01005的独家权利
- \*有关我们商业化产品的完整列表, 包括授权产品, 请参阅我们最近的年度报告10-K表格



血液肿瘤领域的领导者

# 出色且领先的血液肿瘤产品组合

**BTK**  
抑制剂

百悦泽®

同类最佳BTK抑制剂

唯一一款展示头对头优效性的  
BTK抑制剂

最广泛的获批适应症

预计2028年BTK抑制剂类产品  
市场规模将达到150亿美元\*

**BCL2**  
抑制剂

Sonrotoclax

具有差异化的有效性和安全性

超过850例患者入组

已处于关键性临床阶段

具备同类最佳潜力，有望被更多医  
生更广泛使用

预计2028年BCL2抑制剂类产品  
市场规模将达到40亿美元\*

**BTK**  
CDAC

BGB-16673

具有临床意义的有效性和  
良好的安全性数据

已入组超过220例患者

独特的、不受突变状态限制  
的作用机制

临床进度最快的BTK降解剂，有望  
解决患者对BTK抑制剂的耐药性问  
题

**PD-1**  
抑制剂

百泽安®

百泽安®+百悦泽®联合治疗Richter  
转化，获得令人信服的数据

nature medicine<sup>^</sup>

\*来源：Evaluate Pharma

CDAC -嵌合式降解激活化合物

<sup>^</sup>Al-Sawaf *et al.*; Tislelizumab plus zanubrutinib for Richter transformation: the phase 2 RT1 trial. *Nat Med* 30, 240-248 (2024).



在ASH 2023上展示了25篇摘要

# 百悦泽®

血液肿瘤产品组合核心药物，唯一一款在安全性和有效性方面展示优效性的BTK抑制剂

## BTK 抑制剂



### 同类最佳BTK抑制剂

- 可实现持续/完全靶点抑制的分子设计；暴露时间显著长于阿可替尼和伊布替尼
- 在R/R CLL头对头试验中相较展现出持续的PFS优效性<sup>1</sup>，而阿可替尼展现出非劣效性
- 在BTK抑制剂中针对不同适应症展示出更有利的ORR/CR/PFS

### 有利的安全性特征

- 在2项头对头伊布替尼的试验中，包括心脏安全性在内的安全性特征更具优势
- 在阿可替尼不耐受的患者中表现出良好的耐受性<sup>2</sup>；在从伊布替尼转为接受百悦泽®治疗的患者中，缓解程度加深，安全性得到改善<sup>3</sup>
- 与阿可替尼相比，治疗引起的感染、房颤、胃肠道症状、头痛、咳嗽和疲乏极少<sup>4</sup>

### 最广泛注册

- 5项获批适应症
- 唯一一款获批用于治疗滤泡性淋巴瘤的BTK抑制剂

### 首选联合治疗药物

- 与sonrotoclax、百泽安®以及外部药物联合治疗，最大化地实现产品生命周期的价值

<sup>1</sup> Brown et al. Extended Follow-up of ALPINE Randomized Phase 3 Study Confirms Sustained Superior Progression-Free Survival of Zanubrutinib Vs. Ibrutinib for Treatment of R/R CLL/SLL. ASH 2023

<sup>2</sup> Shadman et al. Zanubrutinib in Acalabrutinib-Intolerant Patients with B-Cell Malignancies. ASH 2023

<sup>3</sup> Garcia – Sanz et al. Clinical Outcomes in Patients with Waldenström Macroglobulinemia Receiving Ibrutinib on the Phase 3 ASPEN Study ≥1 Year After Transitioning to Zanubrutinib. ASH 2023

<sup>4</sup> Hwang et al. Comparison of Treatment-Emergent Adverse Events of Acalabrutinib and Zanubrutinib: Meta-Analysis by Mayo Clinic. EHA 2023

# 百悦泽®2023年12月美国说明书更新

新增在R/R CLL中的PFS优效性 (HR 0.65, p = 0.0024)<sup>1</sup>; 在长期随访中持续<sup>2</sup>

## 39个月时，PFS优效性持续存在

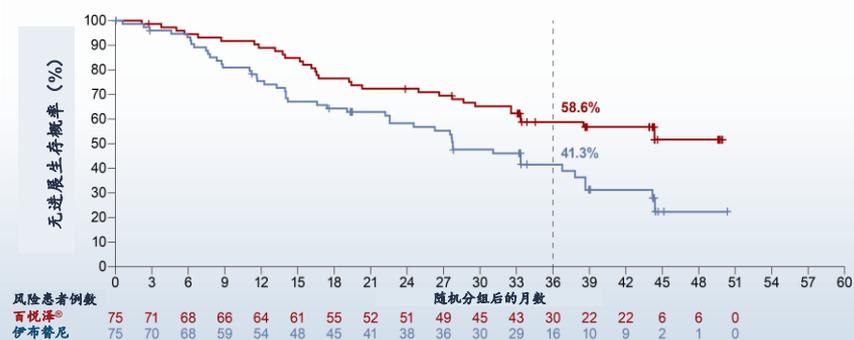


### PFS事件, n (%)

在中位随访时间为39个月时，百悦泽®与伊布替尼的PFS曲线持续分离，而在ELEVATE-RR研究中，阿可替尼与伊布替尼的PFS曲线交叉，展示为非劣效性 (HR=1)

百悦泽®	130 (39.8)
伊布替尼	159 (48.9)
HR (95% CI) 0.68 (0.53-0.86) P=0.0011	

## 在17p缺失/TP53突变患者中的PFS优效性



### PFS事件, n (%)

在17p缺失/TP53突变患者中，百悦泽®的PFS优于伊布替尼；在该亚组中，阿可替尼仅展示出非劣效于伊布替尼 (HR=1)

百悦泽®	31 (41.3)
伊布替尼	46 (61.3)
HR (95% CI) 0.52 (0.33-0.83) P=0.0047	

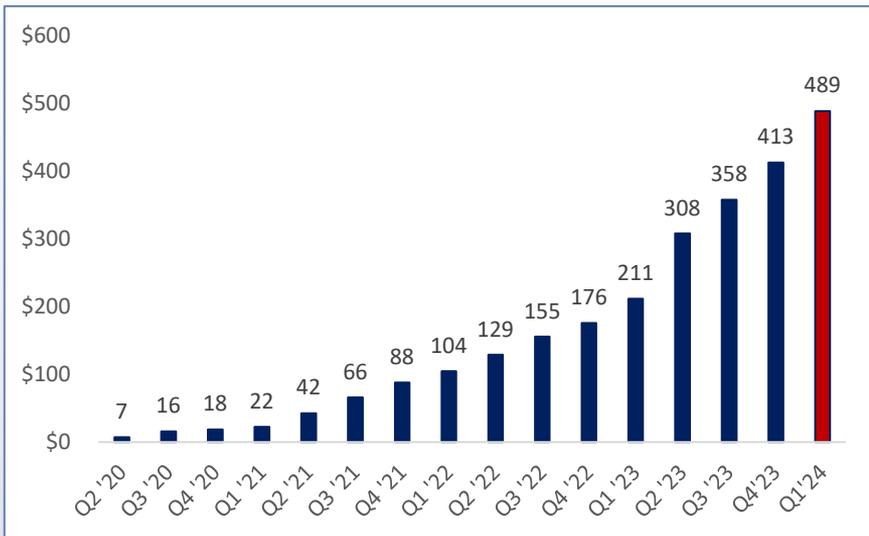
<sup>1</sup> USPI优效性说明书基于2022年ASH大会上公布的中位随访时间为29.6个月的数据

<sup>2</sup> Brown et al. Extended Follow-up of ALPINE Randomized Phase 3 Study Confirms Sustained Superior Progression-Free Survival of Zanubrutinib Vs. Ibrutinib for Treatment of R/R CLL/SLL ASH 2023

百悦泽®针对CLL适应症的成功上市正在全球范围内释放产品价值，  
将推动收入增长

## 百悦泽®全球收入

单位：百万美元



- BTK抑制剂是非霍奇金淋巴瘤的标准治疗药物的基石
- 2023年BTK抑制剂全球市场规模为88亿美元
- CLL是BTK抑制剂的最大适应症市场，占80%的份额
- 百悦泽®在CLL的头对头临床试验中证明了其在同类产品中的佼佼者地位，完全有能力成为BTK抑制剂治疗领域的领导者

# Sonrotoclax

具有差异化特征的潜在同类最佳BCL2抑制剂

## BCL2 抑制剂

### 具有更高效和特异性的BCL2抑制剂

- 临床前模型中的效力高于维奈克拉
- 对G101V BCL2突变（已知的维奈克拉耐药机制）有活性\*
- 对BCL2更高的选择性，有望转化为改善的耐受性

### 拓宽临床使用范围

- 与维奈克拉相比，半衰期更短且无药物蓄积，可带来更好的安全性
- 简化的剂量递增方案和减少监测，可以促进更多医生的使用

### 改善的临床特征

- 850多例患者接受治疗；临床试验数据进一步证实了临床前数据，并支持其潜在同类最佳地位
- 与百悦泽®联合用药时安全且耐受；在初治CLL患者中深度和持久的缓解，优于维奈克拉组合V+O和V+I在同一时间点的报告数

### 广泛的开发计划

- 已启动初治CLL3期注册性试验 - 有望成为最佳固定疗程联合用药方案和全球标准疗法
- 有望成为BTK抑制剂治疗后的单药治疗选择；具有CLL、WM和MCL适应症在主要国家快速注册上市的可能性

### 扩展我们的足迹至更多的血液恶性肿瘤领域

- 与氮胞苷联合治疗AML/MDS获得了亮眼的有效性和安全性数据
- 在携带t(11,14)的MM中数据令人鼓舞，有望成为第一个在该适应症获批的BCL2抑制剂

CLL -慢性淋巴细胞白血病； WM -华氏巨球蛋白血症； MCL -套细胞淋巴瘤  
AML -急性髓系白血病； MDS -骨髓增生异常综合征； MM -多发性骨髓瘤

# BTK降解剂 (BGB-16673)

目前临床进度最快，来自百济神州自主开发CDAC平台

## BTK CDAC

### 具有临床意义的 有效性数据

- 自最低剂量开始即显示出对BTK蛋白的降解，包括临床试验中的BTK突变的患者和临床前研究<sup>1</sup>
- 可穿透血脑屏障\*
- 在跨组织学包括既往接受过共价BTK抑制剂和非共价BTK抑制剂（如吡托布鲁替尼）治疗的患者中观察到的临床缓解<sup>1</sup>
- 快速实现缓解

### 有利的安全性特征

- 与竞争产品相比缺少IMiD活性，可改善安全性。在既往接受过多线治疗的患者中较少发生3/4级中性粒细胞减少症
- 在**220多例入组接受治疗的患者**中展示出安全性和耐受性

### 稳健的注册计划

- R/R CLL和R/R MCL扩展队列目前正在入组
- 预计将于2024年底前启动R/R CLL的3期临床试验

### 扩大我们在 血液肿瘤的领导地位

- 有望成为接受BTK抑制剂治疗后出现疾病进展患者的核心治疗方案
- 有潜力推进至更前线的治疗
- 蛋白降解机制有望进一步用于其他适应症（大B细胞淋巴瘤、Richter转化以及滤泡性淋巴瘤）

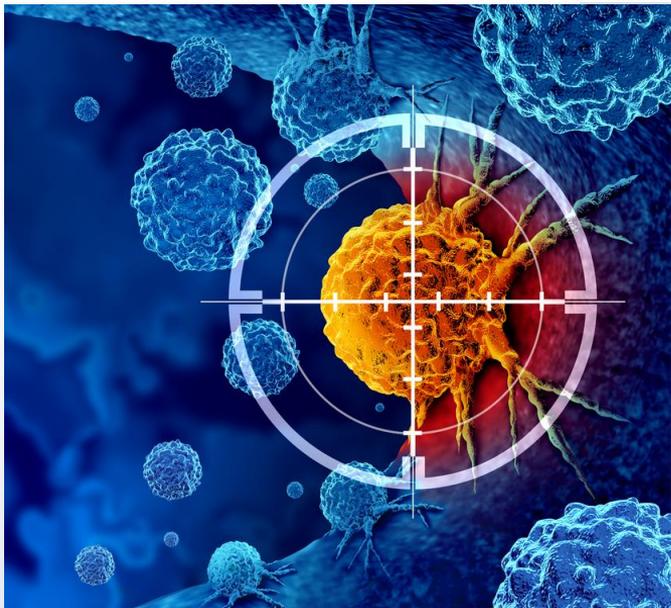
<sup>1</sup> Seymour et al. First Results from a Phase 1, First-in-Human Study of the Bruton's Tyrosine Kinase (BTK) Degradator BGB-16673 in Patients (Pts) with Relapsed or Refractory (R/R) B-Cell Malignancies. ASH 2023

\*基于内部临床前数据



丰富的实体瘤产品组合

## 逐步建立实体瘤领域领导地位，改善多种癌症患者的治疗结果



通过拓展包括在美国和欧盟的全球药政审批，探索与创新产品管线的联合治疗方案，持续开发百泽安®

推进行业内最令人振奋的早期实体瘤产品组合之一的开发

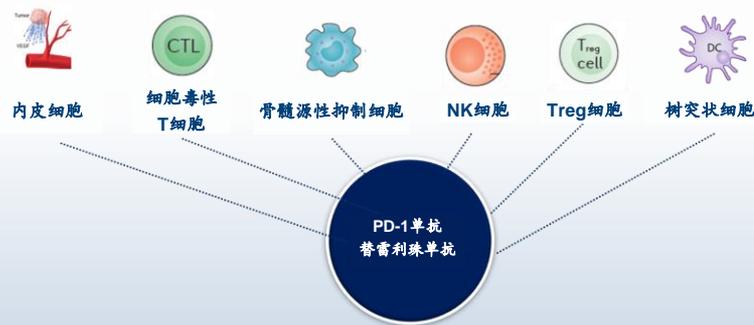
持续推进多款产品和分子类型，将有多个数据读出和决策点

# 以百泽安®为核心的泛肿瘤产品管线 有望惠及全球患者

## 百泽安® 成就

- 在中国获批用于治疗12项适应症，包括于近期获批的用于一线治疗胃癌（基于意向性治疗人群分析）
- 近期已获得欧盟批准用于一线及二线治疗NSCLC，并在美国获批用于二线治疗ESCC。预计2024年将获得多项全球批准
- 美国和欧洲正在评审用于一线治疗ESCC和一线治疗胃癌的新适应症上市申请。澳大利亚、日本和巴西正在评审新适应症上市申请
- 全球有超过 110 万患者接受治疗
- 2024年第一季度收入为1.45亿美元
- 准备在5大洲针对多项适应症上市

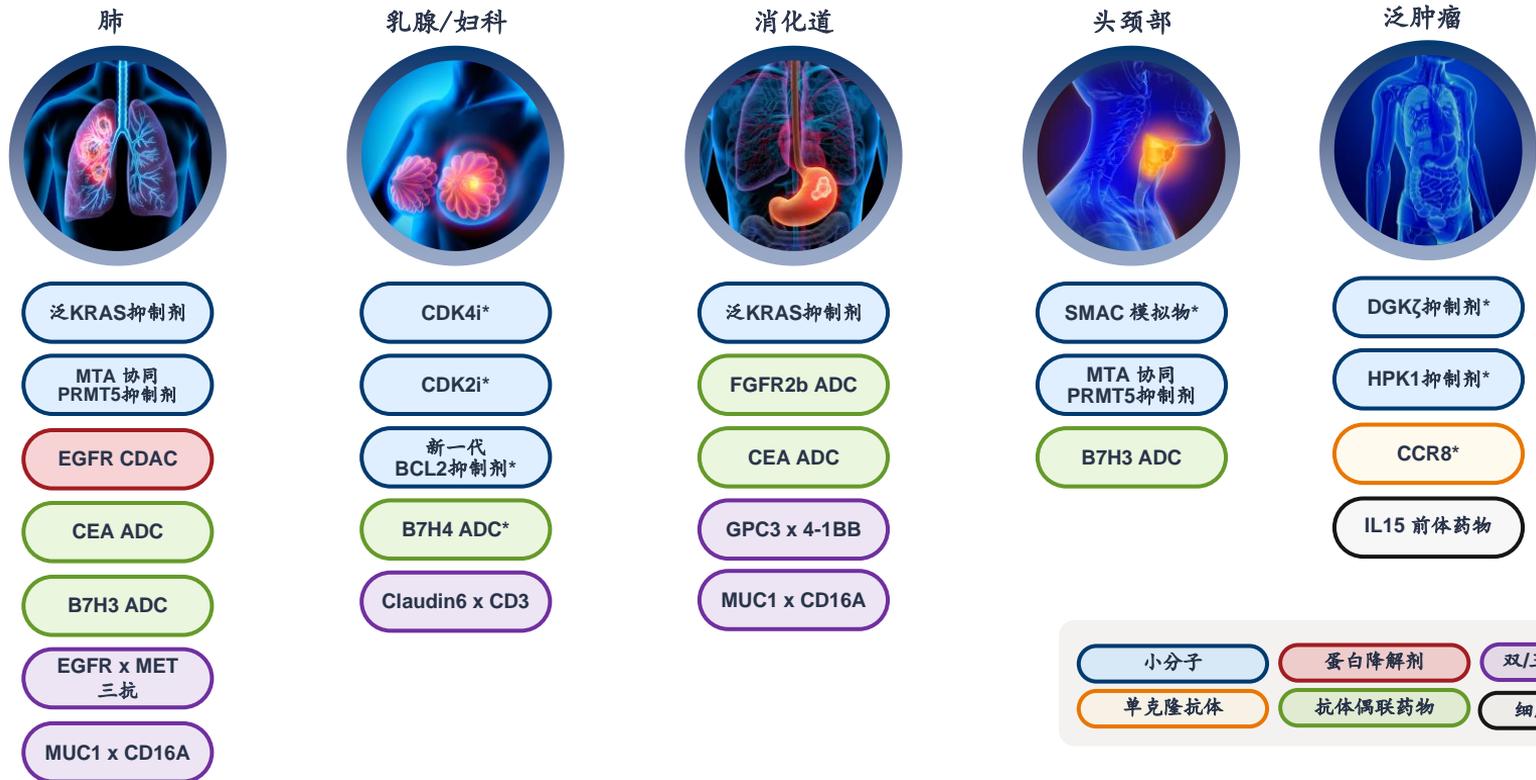
## 百泽安®是最佳的联用药物



- 在广泛适应症中获得强有力的数据
- 40多项内部和外部联合治疗研究正在进行中
- 多样化的产品管线组合使多种免疫调节策略成为可能

# 创新实体瘤新分子实体早期产品管线

在重点肿瘤类型中布局分子类型多样且差异化的分子



百济神州拥有 CDK2 (与昂胜医药合作) 和B7H4 ADC (与映恩生物合作)的全球权利  
\*已进入临床阶段

# 实体瘤产品组合：临床阶段产品

新一轮肿瘤免疫疗法项目将与百泽安®联用并形成协同

- PD-L1阳性NSCLC 3期临床试验已经于2024年第一季度完成入组

- 在NSCLC、CRC、ESCC和HNSCC中，即将有概念验证数据读出

- 1L HNSCC 2期临床试验正在进行中

- 在NSCLC 和 RCC中即将有2期数据读出

- 1L NSCLC 2期临床试验正在进行中（一代）
- 2期剂量已确定；在NSCLC、GC和ESCC中剂量扩展（二代）

- 已于2023年8月完成首例患者入组
- 单药治疗和与替雷利珠单抗联用的1期临床试验正在进行剂量递增

- 已于2023年8月完成首例患者入组
- 单药治疗和与替雷利珠单抗联用的1期临床试验正在进行剂量递增

TIGIT

LAG3

TIM3

OX40

HPK1

CCR8

DGK $\zeta$

新一轮免疫疗法产品

首例患者入组

概念验证

关键性临床

# 令人振奋的早期实体瘤项目助力同类首创/同类最佳分子发展



★ 在后续幻灯片中详细描述

# CDK4 抑制剂

追求更优有效性、更低毒性的新一代CDK4抑制剂

- 尽管CDK4/6抑制剂类别已获得成功（预计峰值销售额将超过180亿美元），未被满足的医疗需求仍然存在，所有这些需求都与剂量限制毒性和耐药突变的发展相关
- BGB-43395为潜在同类最佳CDK4抑制剂，不产生CDK6介导的、脱靶毒性
- 目前处于1期开发阶段
  - 与所有已获批和在研CDK4/(6)抑制剂相比，疗效和选择性较高
  - 在GLP毒性研究中表现出良好的耐受性，未出现中性粒细胞减少症或胃肠道毒性问题
  - 队列1研究已完成，PK结果符合预期
- 在其他肿瘤类型（包括肺癌、前列腺癌、卵巢癌和子宫内膜癌）中为潜在的同类首创

## 最强CDK4抑制剂效力

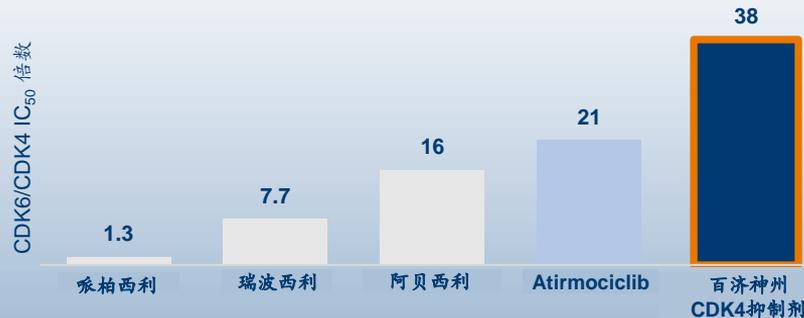
百济神州  
CDK4抑制剂

MCF-7增殖试验中的CDK4抑制效力



## 最高的CDK4抑制剂/CDK6抑制剂选择性\*

百济神州  
CDK4抑制剂



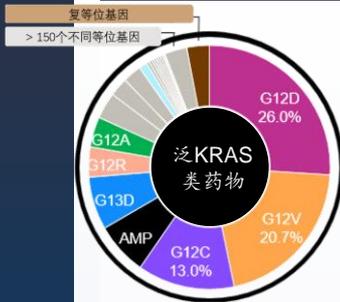
Atirmociclib (PF-07220060) 是来自拜耳的CDK4抑制剂；\*在Jeko-1中通过pRB测定CDK4细胞IC<sub>50</sub>；在敲除CDK4基因的Pfeiffer中通过pRB测定CDK6细胞IC<sub>50</sub>

# 泛KRAS抑制剂

具有差异化特征，可针对多种肿瘤类型中广泛的KRAS突变

- 在所有肿瘤类型中，约19%具有KRAS突变\*
  - 肿瘤细胞对KRAS突变的依赖性最强
  - 目前尚无针对非G12C KRAS突变型肿瘤的有效治疗
- 与突变选择性KRAS抑制剂相比，泛KRAS抑制剂具有差异化特征
  - 针对的KRAS突变类型更加广泛
  - 可产生N/HRAS补偿，对正常组织的影响极小
- **BGB-53038**在临床前研究中展现出极佳潜力
  - 对多种KRAS突变具有强效作用
  - 具有高选择性，对N/HRAS影响较小
  - 在多种KRAS驱动的肿瘤模型中显示出稳健的有效性
- 按计划将于**2024年**进入临床阶段

## KRAS突变广泛存在于各种肿瘤类型中



美国一年新增的KRAS突变型癌症患者数量

适应症	非G12C	G12C
PDAC	50,658	659
CRC	70,486	4,065
LUAD	19,291	12,492

## 正常组织中N/HRAS的补偿作用

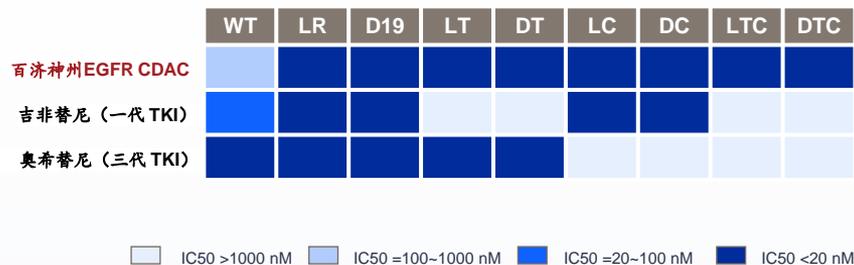


# EGFR CDAC

真正具有差异化的作用机制，实现EGFR信号完全抑制

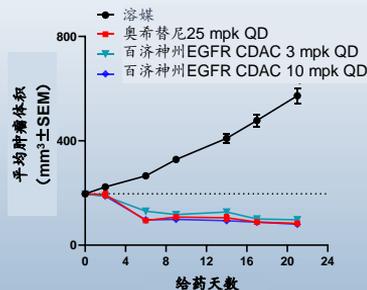
- **EGFR 突变型NSCLC**是一个庞大的致癌基因驱动亚组，预计同类药物峰值销售额为**120亿美元**
  - 约50%的亚洲肺腺癌患者以及15%的白人肺腺癌患者\*
- **BG-60366**是一款新型、潜在同类最佳EGFR降解剂
  - 广泛覆盖多种EGFR突变，破坏EGFR支架功能，产生持久的信号抑制作用
  - 当用于前期治疗线时，非冗余机制有望防止发生耐药
- **良好的临床前候选药物特征**
  - 对奥希替尼敏感和耐药EGFR突变有效性较高
  - 不影响野生型EGFR，蛋白质组选择性良好
  - 每日口服给药表现出较强的有效性
- **按计划将于2024年进入临床阶段**

## 最广泛的EGFR突变覆盖范围和最佳的野生型EGFR选择性

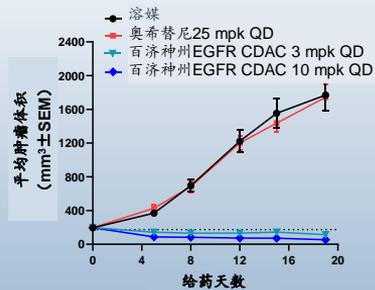


## 在奥希替尼敏感和耐药异种移植模型中都具有强劲的有效性

奥希替尼敏感HCC-827-D19模型



奥希替尼耐药H1975-L858R/C797S模型



WT: 野生型; LR: L858R; D19: 外显子19缺失; DT: 外显子19缺失/T790M; LT: L858R/T790M; DC: 外显子19缺失/C797S; LC: L858R/C797S; DTC: 外显子19缺失/T790M/C797S; LTC: L858R/T790M/C797S

\* 2020 Globocan; Wang P, et al. J ThoracDis. 2017, 9(7): 1973-1979; Wen S, et al. Oncologist. 2019, 24(11):e1070-e1081; J Clin Oncol . 2022 Feb 20;40(6):611-625.

# FGFR2b ADC

差异化分子类型，寻求同类最佳机会

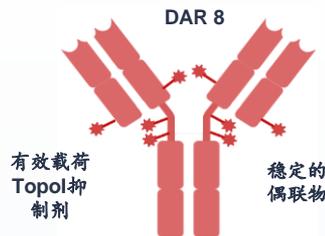
- 靶点在上消化道肿瘤中经过临床验证，在乳腺癌领域有额外机会
  - 约24%的胃癌患者呈FGFR2b阳性 (IHC 2+/3+) <sup>1</sup>
  - 贝玛妥珠单抗联合化疗显示出良好的有效性
  - 有望提高有效性，同时降低眼毒性\*
- 具有差异化抗体骨架的潜在同类首创ADC，可降低毒性
  - 肿瘤靶向毒素递送
  - 具有旁观者效应，可解决肿瘤异质性问题
  - 配体阻断作用较弱，不会产生靶向角膜毒性
- 按计划将于2024年进入临床阶段

<sup>1</sup> Lancet Oncol 2022; 23: 1430-40

\*贝玛妥珠单抗仅使FGFR2b表达水平相对较高的患者亚组获益

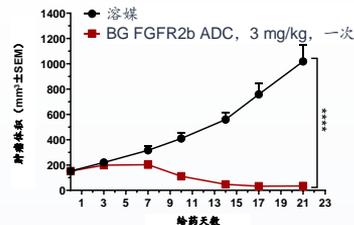
\*贝玛妥珠单抗导致26%的患者因靶向角膜毒性而终止治疗

## 百济神州 FGFR2b ADC具有强效



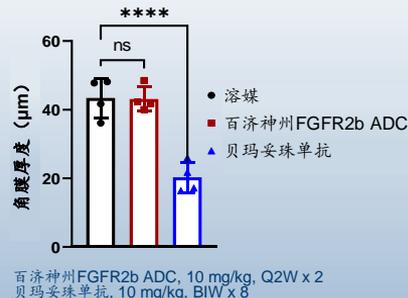
Topol, 拓扑异构酶I

### FGFR2b培养基GC PDX



## 百济神州 FGFR2b ADC在小鼠中不产生角膜毒性

抗体	FGF7-FGFR2b	FGF10-FGFR2b
百济神州FGFR2b ADC	弱效阻滞剂	非阻滞剂
贝玛妥珠单抗	强效阻滞剂	强效阻滞剂



# Amgen开发合作进展

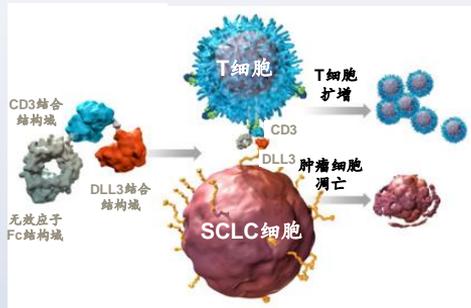
## Amgen肿瘤学产品管线中的两个重点项目

百济神州有权利从潜在重磅产品的全球销售净额中获得中个位数的分级特许权使用费；  
开发这些产品并将拥有在中国商业化的权利

### Tarlatamab, 同类首创 (DLL3 x CD3)

首个在小细胞肺癌中显示活性的T细胞接合器。美国接受药物治疗的患者人群约为3.5万，涵盖疾病的所有线治疗

- 在晚期SCLC适应症取得FDA的优先审评资格，根据 **PDUFA**，预计于**2024年6月**对该项申请做出决议
- 在SCLC中，10 mg剂量下的持久ORR为40%，9个月时的估计OS为68%<sup>1</sup>
- 已启动1L ES-SCLC全球3期试验；2L SCLC和局限性SCLC全球3期试验入组正在进行中
- 百济神州加入全球3期试验



1 N Engl J Med 2023; 389:2063-2075, DOI: 10.1056/NEJMoa2307980

2 Cancer Discov. 2024 Jan 12;14(1):76-89. doi: 10.1158/2159-8290.CD-23-0964.

SCLC=小细胞肺癌；ES=广泛期；mCRPC=转移性去势抵抗性前列腺癌

### Xaluritamig, 同类首创 (STEAP1 x CD3)

前列腺癌1期剂量扩展研究正在入组。STEAP1在>80%的前列腺癌患者中表达

- 2024年1月的数据<sup>2</sup>提供了令人信服的概念验证
- 来自mCRPC患者的剂量探索数据，其大多数受试者既往接受过≥3线治疗<sup>2</sup>
- 剂量≥0.75 mg时，RECIST ORR为41%<sup>2</sup>
- 百济神州正在进行1期中国队列研究，并计划加入全球关键试验

# 投入打造先进的生产能力以支持全球增长和广泛的产品组合

世界一流的广州  
生物药生产基地



- 目前总产能已达65,000升
- 广州南工厂ADC生产设施已于2024年4月启用

苏州  
多功能工厂



- 商业化规模的小分子药物生产设施
- 符合美国、欧盟和中国的设计标准
- 新建的小分子创新药物产业化基地已于2023年11月启用，将总产能提升了5倍以上
- 试验规模的生物药生产设施

美国新泽西州普林斯顿  
西部创新园区新的生产基地



- 占地42英亩的先进的生物制品生产基地
- 预计将于2024年7月启用
- 预留超100万平方英尺（约9.3万平方米）的空间供未来扩建

经验丰富、质量顶尖的  
生产合作伙伴



- 与领先的生物药和小分子药制造商合作

# 主要催化事件

## 已获批产品

### 百悦泽®

- 2024年3月获得美国批准用于治疗复发/难治性 FL✓
- 2024年下半年获得日本批准用于WM和CLL/SLL
- 2024年下半年在美国和欧盟递交片剂新剂型的申请

### 百泽安®

- 2024年第一季度在欧盟递交用于一线治疗GC/GEJC的申请✓
- 2024年第一季度在欧盟递交用于一线治疗ESCC的申请✓
- 2024年上半年在日本递交一线和二线治疗ESCC患者的申请✓
- 2024年第一季度获得美国批准用于二线治疗ESCC✓
- 2024年第二季度在欧盟获批用于一线和二线治疗NSCLC✓
- 2024年下半年在澳大利亚获批用于二线治疗ESCC
- 2024年下半年在美国获批用于一线治疗ESCC\*
- 2024年下半年在美国获批用于一线治疗GC/GEJC
- 在巴西获批用于二线治疗ESCC
- 在巴西获批用于二线治疗NSCLC
- 2024年下半年在澳大利亚获批用于一线治疗ESCC

<sup>1</sup> Jazz/Zymeworks合作产品; 百济神州拥有在亚洲 (除日本外)、澳大利亚和新西兰的商业化权利。

\*由于临床研究中心核查的时间安排可能出现延误, 2024年7月的PDUFA目标时间可能会被推迟

## 产品管线

### Sonrotoclax

- 正在进行初治CLL患者的3期临床试验
- 启动复发/难治性CLL患者的3期临床试验
- 2024年完成一项潜在注册可用2期临床试验的入组工作, 用于治疗复发/难治性MCL
- 在B细胞恶性肿瘤、MM、MDS和AML患者中取得更多数据读出

### BTK CDAC

- 于2024年底前启动R/R CLL的3期临床试验
- 正在进行复发/难治性MCL (潜在注册可用) 和复发/难治性CLL患者的扩展队列研究
- 在B细胞恶性肿瘤患者中取得更多数据读出

### 替雷利珠单抗联合治疗

- 与BGB-A445 (抗OX40抗体)、LBL-007 (抗LAG-3抗体) 和BGB-15025 (HPK1抑制剂) 联用治疗肺癌的多个队列, 预计将于2024年内进行数据读出
- 与LBL-007 (抗LAG-3抗体) 和BGB-A445 (抗OX40抗体) 联合用药治疗胃肠癌的多个队列预计将于2024年进行数据读出

### 泽尼达妥单抗<sup>1</sup>

- 2024年下半年在中国递交二线治疗HER2阳性胆管癌的申请

### 早期临床开发

- 针对SMAC模拟物、CCR8、DGKζ、CDK4抑制剂的2期剂量确定
- 推动10个新分进入临床试验, 包括泛EGFR CDAC、PRMT5抑制剂、泛KRAS抑制剂、4个ADC项目和双特异性抗体
- 自主ADC平台的临床验证 - 有效载荷、连接子和靶点



财务亮点

# 为实现增长和财务拐点奠定基础



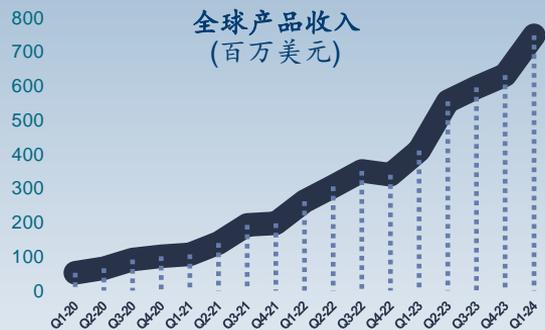
市场对百悦泽®的认可帮助推动了产品收入的大幅增长，实现了地域和产品的多元化组合

在商业化、研发和生产领域建立了强大的内部能力后，经营费用增长已经放缓，经营利润率正在不断提高

今年我们将继续推进新一波**60**余款\*潜在同类首创和同类最佳药物的开发

# 产品收入增长显著，地域和产品构成多元化

## 收入增速

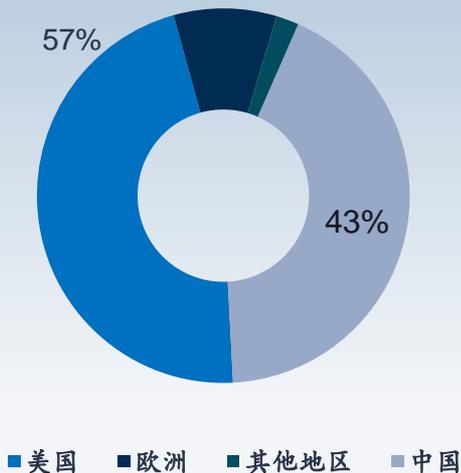


全球产品收入增长显著

- 1年CAGR为82%
- 3年CAGR为92%

## 全球收入构成

按地区分2024年第1季度总收入



## 各产品收入

2024年第1季度 (百万美元)

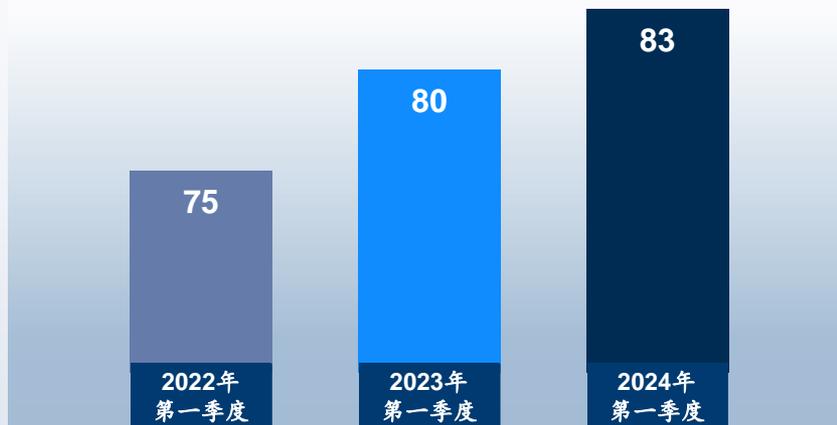


\*与安进的合作包括tarlatamab(DLL3)和xaluritamig(STEAP1)的中国权益和未来的全球特许使用费

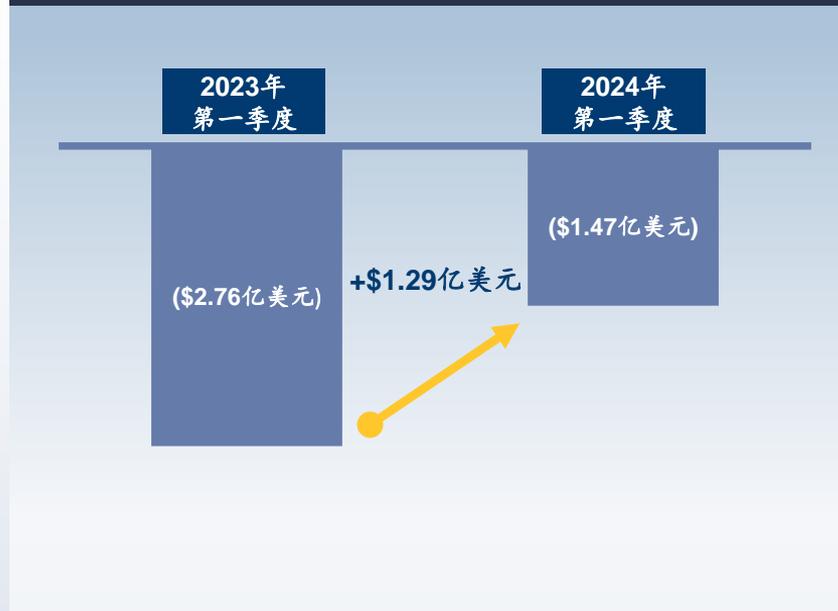
# 在现金创造方面取得实质性进展

## 毛利率 (%)

随着销售构成转向自主研发产品，产品毛利率目前在全球肿瘤治疗创新公司<sup>1</sup>中名列前茅



## 经调整经营亏损<sup>2</sup>



1. 全球肿瘤治疗创新公司的定义为该公司至少40%的收入来自于肿瘤产品且至少15%的收入来自于美国以外。

2. 经调整经营亏损是一种非GAAP财务衡量指标，不包括相应的GAAP衡量指标中与股权激励、折旧和摊销费用相关的成本。本演示文稿在后续幻灯片中列出了非GAAP衡量指标与GAAP衡量指标之间的调节信息。

# 到2025年，我们预计将变革为一家截然不同的公司，成为具有盈利路径和战略优势的当之无愧的领导者

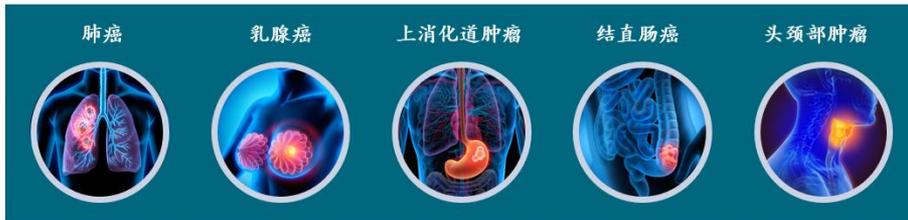
## 现在

- 成本和速度优势
- 过渡到创造现金的清晰路径
- 60余款\*潜在药物的产品管线
- 多元化的全球收入构成
- 具有长期投资价值

## 2025-2030年

目标是以丰富的分子类型靶向重点瘤种

重点实体瘤类型



预计2028年市场规模

• 来源: Evaluate Pharma

丰富的治疗分子类型



未来核心项目



\*包括临床前药物

# 非GAAP财务指标的调节与计算

调节至经调整经营亏损

(千美元)	2024年第一季度	2023年第一季度
<b>GAAP 经营亏损</b>	<b>(261,348)</b>	<b>(371,258)</b>
加：股权激励费用	88,714	75,388
加：折旧	24,110	19,025
加：无形资产摊销	1,183	986
<b>经调整经营亏损</b>	<b>(147,341)</b>	<b>(275,859)</b>

# 我们对负责任商业和可持续发展的承诺

我们的目标是成为领先的企业公民，以勇气、创新和规范行事，为我们的患者、企业和社会提供公平获益。我们未来几年的战略聚焦于与百济神州的使命、愿景和价值观一致的四大领域。这些重点领域由关键战略要务支撑。

我们于2024年4月发布的《2023年负责任商业和可持续发展报告》详细介绍了我们在这些领域所做的努力，并描述了我们近期取得的进展。

## 推进全球健康

- 创新药物
- 患者可及、参与和权益



## 赋能员工

- 多元、平等、包容和归属感
- 参与、福祉和志愿服务



## 可持续创新

- 气候和环境影响
- 产品管理



## 负责任运营

- 诚信、治理和风险管理
- 负责任采购





1

公司生而不同，自成立起致力于提供有影响力的药物，同时通过战略性的成本和时间优势解决可负担性问题

2

领先的肿瘤治疗创新公司，在血液肿瘤和实体肿瘤领域拥有优秀成果和差异化的产品组合

3

令人振奋和充满变革的2024年



联系邮箱: [IR@beigene.com](mailto:IR@beigene.com)

谢 谢