



百济神州公司介绍

2024年11月12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百济神州实体瘤管线及未来进入临床的分子的进展；百济神州未来增长的速度和展望的肿瘤学领导地位；有关某类肿瘤预计市场规模的陈述；百泽安®的全球影响力；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；和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。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示文稿发布之日，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在研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。

所有商标、标志和品牌名称均归其各自所有者所有。

本文件为中文译本，仅供参考。

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
15

全球肿瘤治疗公司创新疗法收入 — 并在不断增加¹

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



全球有超140万名患者接受治疗²

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。Cyteline的竞争药物试验。数据分析截至2024年1月。

1. 基于Evaluate Pharma，访问于2024年8月5日。

2. 仅包含百悦泽®和百泽安®（替雷利珠单抗）商业化阶段的患者。

2024年第三季度：实现我们的首要任务

强劲的财务表现



- 总收入达**10亿美元**
- 产品收入同比增长**67%**
- 经营亏损改善
- 非GAAP经营利润达**6,600万美元**
- 产生正现金流
- 2024年第三季度期末现金余额**27亿美元**

CLL治疗领域 领导地位



- 在美国，百悦泽®作为**适应症最广泛**的BTK抑制剂，目前已成为**一线和复发/难治性CLL¹**，以及所有其他已获批的B细胞恶性肿瘤**新增患者**治疗领域的领导者
- 百悦泽®全球销售额达**6.9亿美元**，同比增长**90+%**
- 3期SEQUOIA 研究的5年随访结果显示，用于**TN CLL** 患者的治疗展现出**持续的无进展生存期（PFS）获益**
- 随着 **Sonrotoclax** 和 **BTK 降解剂 BGB-16673** 的快速开发，有潜力在 **CLL** 领域具有**旗舰**特许经营潜力

快速推进 实体肿瘤产品管线



- 凭借“快速概念验证”战略和领先的临床执行速度，**以前所未有的方式推进**众多创新性的新分子实体（NME），第三季度有**4个**进入临床开发阶段
- 今年迄今有**8个**实体瘤**NME**进入临床，年底前有望实现**超过10个**NME进入临床的目标
- 通过多特异性抗体、蛋白降解剂以及抗体偶联药物**三种核心平台技术**，为未来拓展**乳腺癌、肺癌和胃肠道癌**领域奠定基础

百济神州研发进阶之路

在过去13年成就的基础上，不断追求研发卓越，推动变革

创立期

建立自研管线及核心研发能力

2011 ▶ 2016

第1轮 指数增长期

百悦泽®和百泽安®两款基石产品推动增长

2017 ▶ 2021

转型期

扩展血液肿瘤产品组合，开展**3项差异化项目**：其中1项已在全球市场证明其同类最佳实力，另外2项已进入关键开发阶段

丰富实体瘤产品组合，从聚焦肿瘤免疫疗法拓展为**多元化管线**

2022 ▶ 2024

第2轮 指数增长期

已为新一波增长浪潮的到来做好了充分准备

到2030年，将成为肿瘤领域的全球领导者
和免疫/炎症领域新兴领军企业

2025年及以后

全球临床开发管线

临床1期

Sonrotoclax	BCL2抑制剂	BG-C9074 ²	B7H4 ADC
● 101/102 B细胞恶性肿瘤		● 101乳腺癌和实体瘤	
● 103 急性髓系白血病/骨髓异常增生综合征		● Xaluritamig ³ STEAP1 x CD3 双抗	
● 105 携带1 (11;14) 多发性骨髓瘤		● 20180146 转移性去势抵抗性前列腺癌	
BGB-16673	靶向BTK的CDAC	BGB-45035	IRAK4 CDAC
● 102 B细胞恶性肿瘤		● 101免疫治疗与炎症	
● 104 B细胞恶性肿瘤 [†]		BGB-C354	B7H3 ADC
BGB-21447	新一代BCL2抑制剂	● 101实体瘤	
● 101 B细胞恶性肿瘤		BGB-R046	IL-15 前体药物
替雷利珠单抗	抗PD1单抗	● 101实体瘤	
● 103 皮下剂型		BGB-B2033	GPC3 x 4-1BB 双抗
BGB-15025	HPK1抑制剂	● 101实体瘤	
● 101 实体瘤		BGB-B3227	MUC1 x CD16A 双抗
BGB-26808	HPK1抑制剂	● 101实体瘤	
● 101 实体瘤		BG-C477	CEA ADC
BGB-30813	DGK ζ 抑制剂	● 101实体瘤	
● 101 实体瘤		BG-T187	EGFR x MET 三抗
BGB-A3055	抗CCR8单抗	● 101实体瘤	
● 101 实体瘤		BG-C137	FGFR2b ADC
BGB-24714	SMAC模拟物	● 101实体瘤 [†]	
● 101 实体瘤		BGB-53038	泛KRAS抑制剂
BGB-43395	CDK4抑制剂	● 101实体瘤 [†]	
● 101/102 乳腺癌和实体瘤		BG-58067	MTA协同PRMT5抑制剂
BGB-68501 ¹	CDK2抑制剂	● 101实体瘤 [†]	
● 101 乳腺癌和实体瘤			

临床2期

泽布替尼	BTK抑制剂
● 215 B细胞恶性肿瘤	
● 218 CD79B复发/难治性弥漫大B细胞淋巴瘤	
● 217 弥漫性淋巴瘤	
BGB-16673	靶向BTK的CDAC
● 101 复发/难治性套细胞淋巴瘤、复发/难治性慢性淋巴细胞白血病	
Sonrotoclax	BCL2抑制剂
● 201 复发/难治性套细胞淋巴瘤	
● 202 复发/难治性慢性淋巴细胞白血病	
● 203 复发/难治性华氏巨球蛋白血症	
● 204 初治慢性淋巴细胞白血病与小淋巴细胞淋巴瘤 [†]	
倍利妥 ³	抗CD3 x CD19双抗
● 20190359 儿童复发/难治性前体B细胞急性淋巴细胞白血病	
LBL-007 ⁴	抗LAG3单抗
● 201 微卫星稳定型结直肠癌	
● 202 1L 食管鳞状细胞癌	
BGB-A445	抗OX40单抗
● 201 黑色素瘤、尿路上皮癌	
伞状试验	肿瘤免疫联合用药
● LC-201 1L 非小细胞肺癌	
● LC-203 2L+ 非小细胞癌	
● LC-202 新辅助治疗非小细胞癌	
● HNSCC-201 1L 头颈鳞癌	
Tarlatamab ³	抗DLL3 x CD3双抗
● 20230273 3L 小细胞肺癌	

临床3期

泽布替尼	BTK抑制剂
● 306 初治套细胞淋巴瘤	
● 308 复发/难治性边缘区淋巴瘤、复发/难治性滤泡性淋巴瘤	
● 309 原发性膜性肾病	
Sonrotoclax	BCL2抑制剂
● 301 初治慢性淋巴细胞白血病	
替雷利珠单抗	抗PD1单抗
● 310 1L 膀胱尿路上皮癌	
● 311 局部晚期食管鳞状细胞癌	
● 314 复发/难治性经典霍奇金淋巴瘤	
帕米帕利	PARP抑制剂
● 302 2L MTx 胚系BRCA突变敏感卵巢癌	
欧司珀利单抗	抗TIGIT单抗
● 302 1L PDL1高表达非小细胞肺癌	
泽尼达妥单抗 ⁵	抗HER2双抗
● 301 1L HER2阳性胃食管腺癌	
Tarlatamab ³	抗DLL3 x CD3双抗
● 20210004 2L 小细胞肺癌	
● 20200041 1L 广泛期小细胞肺癌	
● 20230016 局限期小细胞肺癌	

已递交上市申请

泽布替尼	BTK抑制剂
● 114片剂新剂型 (美国、欧盟及其他)	
● 304 初治慢性淋巴细胞白血病与小淋巴细胞淋巴瘤 (日本)	
● 305 复发/难治性慢性淋巴细胞白血病与小淋巴细胞淋巴瘤 (日本)	
● 302 初治华氏巨球蛋白血症 (日本)	
替雷利珠单抗	抗PD1单抗
● 305 1L 胃或食管结合部腺癌 (美国、欧盟)	
● 306 1L 食管鳞状细胞癌 (美国、欧盟、日本)	
● 302 2L 食管鳞状细胞癌 (日本)	
● 302 2L 食管鳞状细胞癌替代剂量 (美国)	
泽尼达妥单抗 ⁵	抗HER2双抗
● 203 2L HER2阳性胆道癌 (中国)	

已递交上市申请包括部分已被受理的上市申请递交。

† 试验已显示在 clinicaltrials.gov 网站上，但可能目前没有患者入组。

1. 与昂胜医药合作；2. 与默思生物合作；3. 与安途合作；4. 与南京维立志博合作；5. 与Zymeworks/Jazz合作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
- 肺部肿瘤
- 乳腺/妇科肿瘤
- 消化道肿瘤
- 全瘤种/其他
- 非肿瘤

加速推进新一轮创新

以多种药物模式开发差异化分子



A background image on the left side of the slide featuring a financial candlestick chart overlaid on a globe. The chart shows an upward trend with several peaks and troughs. The globe is partially visible on the right side of the chart area. The overall color scheme is teal and blue.

财务亮点

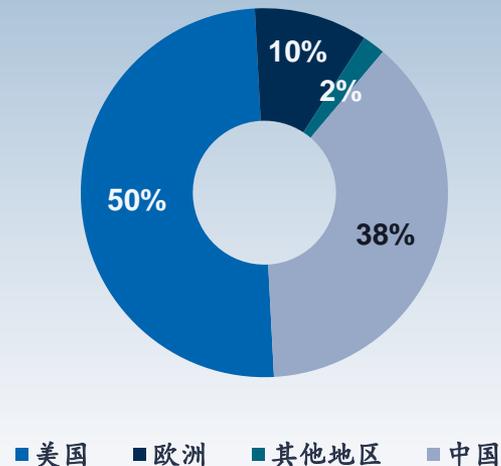
产品收入增长强劲，地域和产品构成多元化

快速的收入增长



全球收入构成

按地区分2024年第三季度总收入



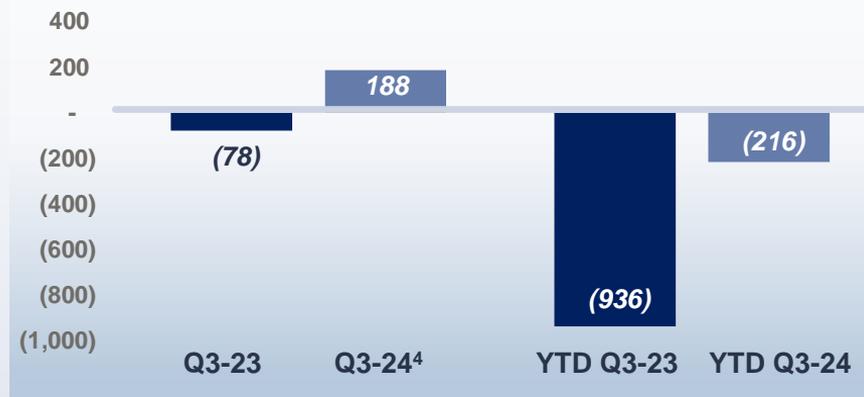
盈利能力和现金流取得重大进展

毛利率 (%)

随着销售构成转向自主研发产品，毛利率在全球肿瘤治疗创新公司¹中名列前茅

经营亏损收窄并实现经调整经营利润盈利²
(百万美元)

经营现金流呈显著改善趋势
(百万美元)

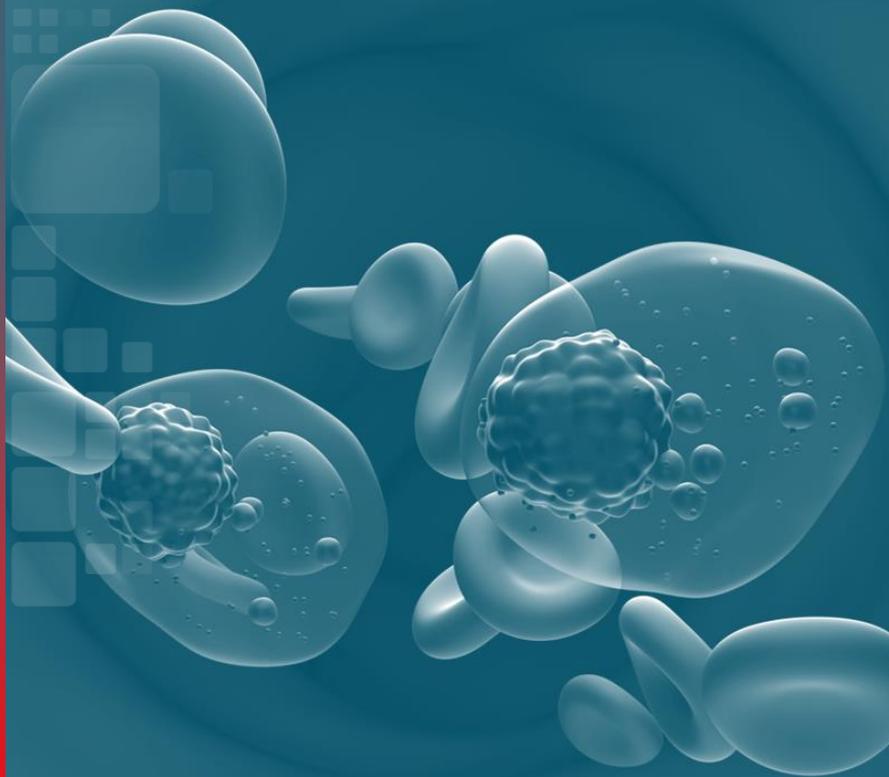


1. 全球肿瘤治疗创新公司的定义为该公司至少40%的收入来自于肿瘤产品且至少15%的收入来自于美国以外。

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。本演示文稿在附录中列出了非GAAP衡量指标与GAAP衡量指标之间的调节信息。

3. 2023年第三季度受益于此前诺华合作项目约1.83亿美元递延收入的确认。

4. 2024年第三季度经营现金流的改善主要得益于经营杠杆的提升，以及营运资本的季节性有利因素。



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“头对头”对比伊布替尼用于治疗R/R CLL展示出优越性的BTK抑制剂

最广泛的获批适应症

BTK抑制剂类150亿美元
预计2028年市场规模¹

BCL2
抑制剂

Sonrotoclax

在早期临床试验中具有差异化的有效性和安全性

超过1,300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

BCL2抑制剂类40亿美元
预计2028年市场规模¹

BTK
CDAC

BGB-16673

在早期临床试验中具有临床意义的有效性，以及首次人体试验中具有良好的安全性数据

已入组超过350例患者

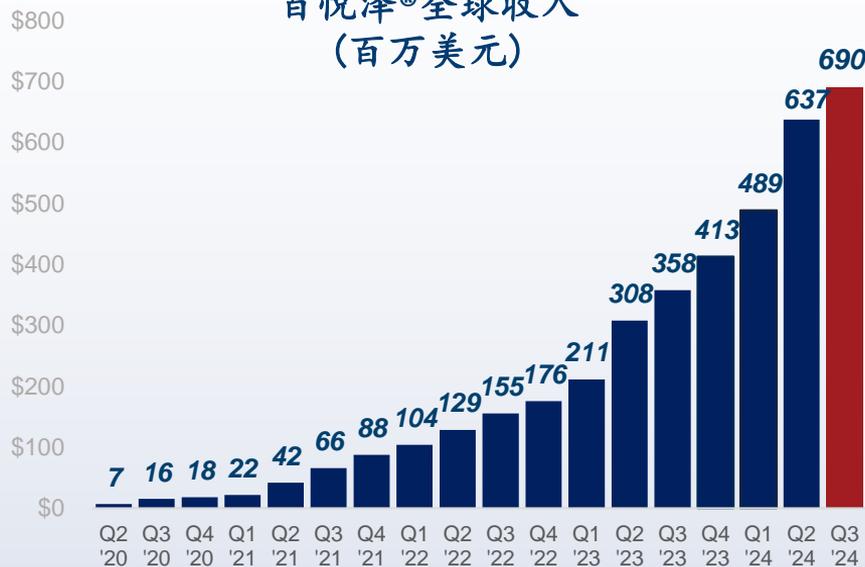
独特的、不受突变状态限制的作用机制

临床进度最快的BTK降解剂，有望解决BTK导致的B细胞恶性肿瘤的未尽需求

正在建立BTK抑制剂治疗领域领导者地位

在美国，百悦泽®作为适应症最广泛的BTK抑制剂，目前已成为一线和复发/难治性CLL¹，以及所有其他已获批的B细胞恶性肿瘤新增患者治疗领域的领导者

百悦泽®全球收入
(百万美元)



- 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
- 2030年CLL市场规模预计将达120亿美元²
- 百悦泽®第三季度美国销售额同比增长87%，欧洲销售额同比增长217%
- 百悦泽®已在70多个市场获批，全球已有超过100,000例患者接受了治疗。

¹来源：基于2024年9月IQVIA LAAD、SHA PTD和Careset的新患初始治疗的索赔数据。

²来源：Evaluate Pharma 2024年7月数据

BTK 抑制剂



同类最佳BTK抑制剂

- 可实现**持久/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
- 经特殊设计，**改善其他BTK抑制剂的局限性**
- 在治疗R/R CLL的头对头试验中，相较伊布替尼展现出持久的**PFS优效性**¹
- **无论是否存在风险因素**（del (17p) / IGHV突变状态），在不同适应症中均获得深度和持久的缓解

安全性特征良好

- 在2项头对头对比伊布替尼的试验中展现出**较伊布替尼改善的安全性特征**，包括心脏安全性
- 在从转为百悦泽®治疗的伊布替尼/阿可替尼不耐受的患者中表现出**良好的耐受性**²
- **具有独特的安全性特征**，与阿可替尼相比，治疗相关感染、房颤、胃肠道症状、头痛、咳嗽和疲乏的发生率均较低⁴

适应症最广

- 在美国**获批5项B细胞恶性肿瘤适应症**
- 唯一一款获批用于治疗滤泡性淋巴瘤/边缘区淋巴瘤的BTK抑制剂
- 唯一一款具有**灵活给药方案**（QD或BID）的BTK抑制剂
- 美国、欧盟和加拿大的**片剂剂型申请正在审评**，预计将于2025年在全球范围获批

首选联合治疗药物

- 与 **sonrotoclax** 以及其他外部药物**联合治疗**，最大程度实现产品生命周期的价值
- 评估 sonrotoclax+ 泽布替尼的 CELESTIAL-TNCLL 3期试验是**唯一一项旨在以固定疗程策略探索相较V+O优效性的试验**
- 多项与维奈克拉/sonrotoclax和奥妥珠单抗联用的IIT正在进行中⁵

¹ Brown et al. Sustained Benefit of Zanubrutinib vs Ibrutinib in Patients With R/R CLL/SLL: Final Comparative Analysis of ALPINE. Blood. 2024.

² Shadman et al. Zanubrutinib in Acabrutinib-Intolerant Patients with B-Cell Malignancies. ASH 2023

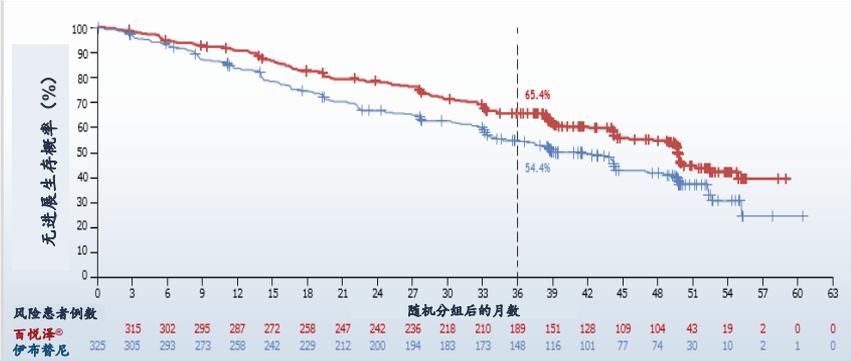
³ Garcia – Sanz et al. Clinical Outcomes in Patients with Waldenström Macroglobulinemia Receiving Ibrutinib on the Phase 3 ASPEN Study ≥1 Year After Transitioning to Zanubrutinib. ASH 2023

⁴ Hwang et al. Comparison of Treatment-Emergent Adverse Events of Acabrutinib and Zanubrutinib: Meta-Analysis by Mayo Clinic. EHA 2023

⁵ IIT: 研究者发起的试验

百悦泽®对比伊布替尼在用于治疗R/R CLL展示出持续的优效获益

42.5个月时，PFS优效性持续存在¹



PFS事件, n (%)

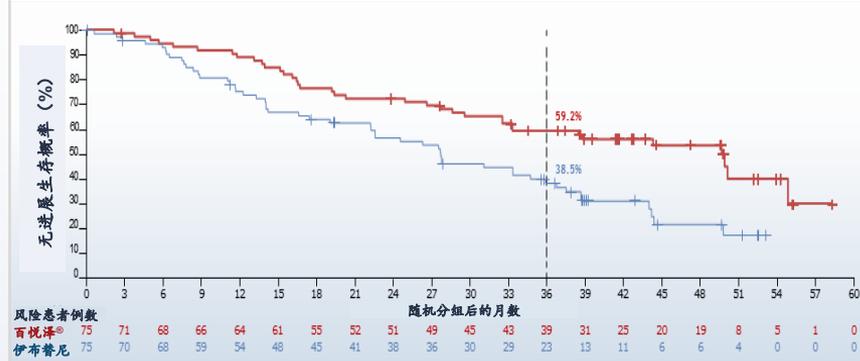
百悦泽® 150 (45.9)

伊布替尼 177 (54.4)

HR (95% CI) 0.68 (0.54-0.84)
P=0.0005

在中位随访时间为42.5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)

17p缺失/TP53突变患者亚组中的PFS与研究者发起的试验 (IIT) 患者人群一致



PFS事件, n (%)

百悦泽® 36 (48.0)

伊布替尼 51 (68.0)

HR (95% CI) 0.51 (0.33-0.78)
P=.0047

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)

¹Brown et al. Sustained Benefit of Zanubrutinib vs Ibrutinib in Patients With R/R CLL/SLL: Final Comparative Analysis of ALPINE. Blood, 2024

Sonrotoclax

差异化的BCL2抑制剂，具备同类最佳潜力

BCL2 抑制剂

效力和特异性更高的 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¹
- 对BCL2的高选择性，有望转化为更高耐受性

潜在同类最佳特征

- 已有**1,300**多例患者接受治疗；早期临床试验数据进一步证实了临床前数据及其同类最佳假设
- 单药治疗和联合治疗（包括与百悦泽®联用）均可带来深度和持久的缓解
- 与维奈克拉相比半衰期更短，且无药物蓄积，可改善安全性特征，并降低肿瘤溶解综合征（TLS）发生率

多条注册路径

- 正在进行治疗初治CLL的3期注册性试验，有望成为初治CLL的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，CLL、WM和MCL适应症具有快速注册上市的可能性
- 2025年上半年将启动两项治疗R/R CLL和MCL的3期试验

临床前景广阔

- 力求通过关键性头对头试验证明其相较同类产品的优效性
- 简化剂量递增方案和减少TLS监测可鼓励更多医生用药；基于无TLS事件报告，与FDA就后续试验计划达成一致
- 正在进一步优化剂量递增方案

在血液恶性肿瘤领域 拓展业务覆盖

- 具备治疗CLL及其他B细胞恶性肿瘤的重要作用机制
- 与阿扎胞苷联合治疗AML/MDS获得了令人信服的有效性和安全性数据
- 在治疗携带t(11,14)的MM患者人群中获得了令人鼓舞的数据，有望成为首款获批该适应症的BCL2抑制剂

¹ Liu et al.; Sonrotoclax overcomes BCL2 G101V mutation-induced venetoclax resistance in preclinical models of hematologic malignancy. *Blood* 2024; 143 (18): 1825–1836.

BTK降解剂 (BGB-16673)

目前临床进度最快的BTK降解剂，来自百济神州自主开发的CDAC平台

BTK
CDAC

分子设计力争同类最佳

- 在多种组织学类型的B细胞恶性肿瘤患者中观察到临床缓解，包括既往接受过共价和非共价BTK抑制剂治疗的患者¹
- 随着随访时间的延长，缓解不断加深。在既往接受过多线治疗的患者中观察到完全缓解²/非常好的部分缓解³
- 对野生型和突变型BTK均具有活性²
- 可穿透血脑屏障⁴

差异化的安全性特征

- 与竞品相比缺少IMiD活性，可提高安全性
- 既往接受过多线治疗的患者中，3/4级中性粒细胞减少症发生率较低
- 在350多例接受治疗的患者中展示出安全性和耐受性

稳健的开发计划

- 开设R/R 和BTK抑制剂初治B细胞恶性肿瘤患者的扩展队列
- 开展平台试验，评价**BGB-16673新型联合治疗**用于B细胞恶性肿瘤的疗效
- 预计将于2025年上半年启动治疗R/R CLL的3期试验
- 获美国FDA快速通道认定，用于治疗R/R CLL/SLL患者

提升我们在血液肿瘤领域的领导地位

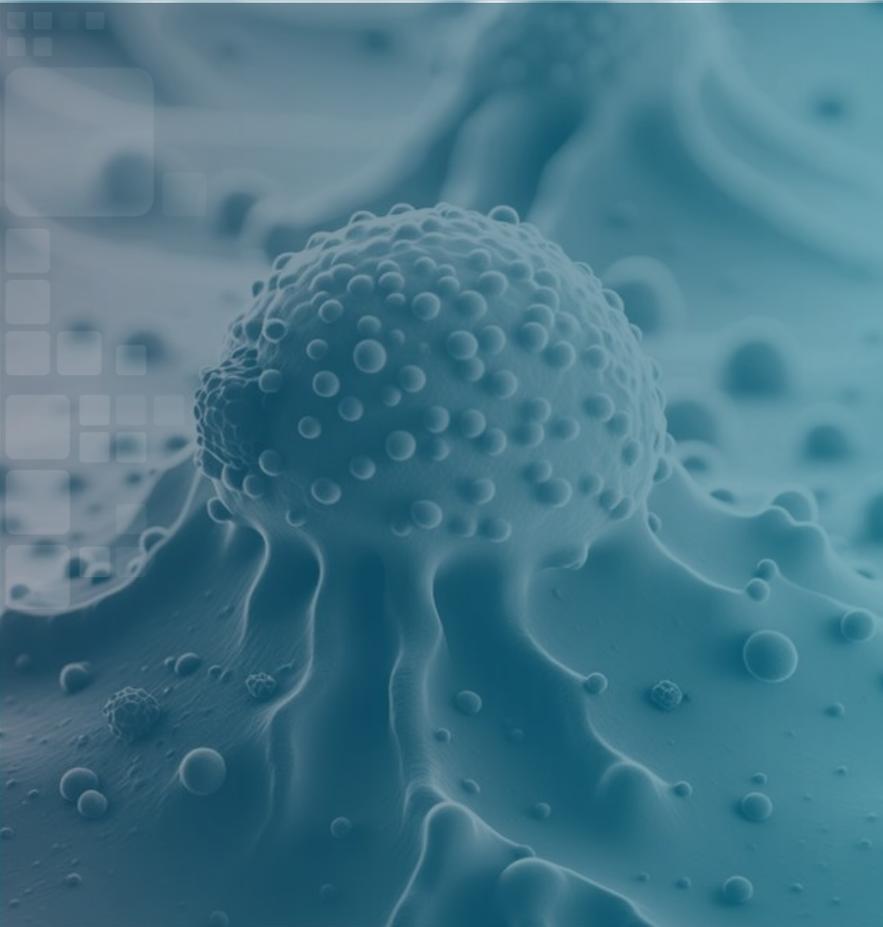
- 初步成为接受BTK抑制剂治疗后出现疾病进展患者的标准治疗方案
- 此后将继续将单药治疗和联合治疗向更早线的治疗推进
- 可作为核心药物与其他药物联用
- 蛋白降解作用机制有望进一步用于其他适应症（弥漫性大B细胞淋巴瘤、Richter转化、滤泡性淋巴瘤）

¹ 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

² Presented at the EHA2024 Congress; June 13-16, Preliminary Efficacy and Safety of the Bruton Tyrosine Kinase Degradator BGB-16673 in patients with R/R CLL: Results from the Phase 1 BGB-16673-101 Study; Ricardo D. Parrando et. al

³ IWWM October 2024; Preliminary Efficacy and Safety of the Bruton Tyrosine Kinase Degradator BGB-16673 in Patients With Relapsed or Refractory Waldenström Macroglobulinemia: Results From the Phase 1 CaDAncE-101 Study; John F. Seymour et. al

⁴ 基于内部临床前数据

A microscopic image showing a large, spherical cluster of cells with a textured, bumpy surface, surrounded by other smaller cell clusters and structures. The image is overlaid with a semi-transparent grid pattern.

丰富的实体瘤产品组合

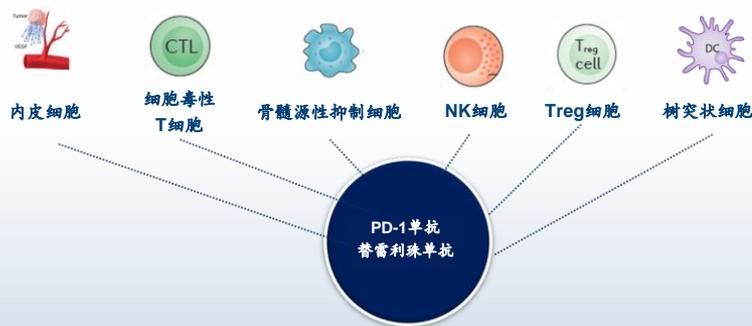
以百泽安®为核心的泛肿瘤产品管线有望惠及全球患者

百泽安® 成就

- 百泽安® (替雷利珠单抗) 已在中国、奥地利、德国、挪威、瑞士、韩国和美国实现销售
- FDA肿瘤药物咨询委员会 (ODAC) 建议统一PD-1 抑制剂类药物用于1L GC和1L ESCC患者治疗的PD-L1表达水平界定值, 百泽安®包含在内。
- 获得欧洲药品管理局人用药品委员会 (CHMP) 积极意见, 支持其1L ESCC和1L GC的上市许可申请 (BLA)
- 全球范围的新获批包括在中国获批新辅助/辅助NSCLC、在巴西、新加坡、泰国获批 2L NSCLC、在英国获批1/2L NSCLC 并在香港、巴西、新加坡、以色列和泰国获批2L ESCC
- 在中国获批用于治疗14项适应症, 1L GC、1 L SCLC 和 1 L HCC适应症待纳入国家医保目录
- 全球有超130万患者接受治疗, 包括百泽安®在奥地利上市后接受治疗的第一位欧洲患者
- 2024年第三季度销售额达1.63亿美元, 同比增长13%

*不包括研究者发起的试验
请参阅附录的术语表缩写

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
- 20多项内部和超过25项*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

实体瘤产品组合：临床阶段产品

新一轮肿瘤免疫疗法项目与百泽安®联用

三期

二期

一期

- PD-L1阳性NSCLC 3期临床试验已于2024年第一季度完成入组

- 在NSCLC、CRC和HNSCC中，即将有概念验证数据读出

- 1L HNSCC 中即将有概念验证数据读出

- 1L NSCLC 中即将有概念验证数据读出

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

- 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

新一轮免疫疗法产品

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

肺



泛KRAS抑制剂

MTA 协同
PRMT5抑制剂

SMAC模拟物*

CEA ADC*

B7H3 ADC*

EGFR CDAC

EGFR x MET三抗*

乳腺/妇科



CDK4抑制剂*

CDK2抑制剂*

新一代
BCL2抑制剂*

SMAC模拟物*

B7H4 ADC*

Claudin6 x CD3

胃肠道



泛KRAS抑制剂

FGFR2b ADC

CEA ADC*

GPC3 x 4-1BB*

MUC1 x CD16A*

泛肿瘤



DGKζ抑制剂*

HPK1抑制剂*

CCR8*

IL-15前体药物*

小分子

蛋白降解剂

双/三特异性抗体

单克隆抗体

抗体偶联药物

细胞因子疗法

令人振奋的早期项目旨在开发同类首创/同类最佳分子



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

IMDELLTRA™ (tarlatamab-dlle), 同类首创 (DLL3 x CD3)

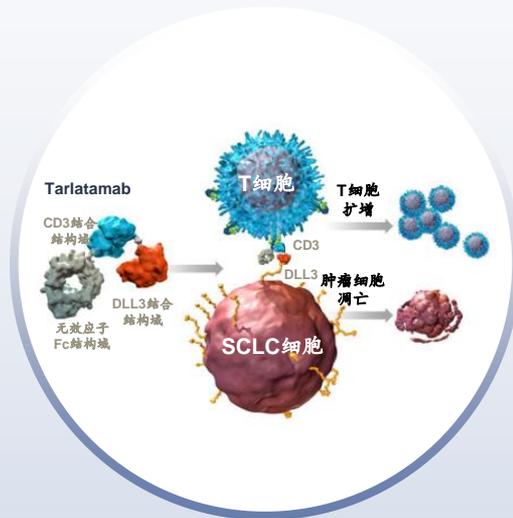
首个在小细胞肺癌中显示活性的T细胞接合器。美国接受药物治疗的患者人群约为3.5万，涵盖疾病的所有线治疗

- 于2024年5月，FDA已批准¹用于治疗ES-SCLC的成人患者
- 在SCLC中，10 mg剂量下的持久ORR为40%，9个月时的估计OS为68%²
- 已启动1L ES-SCLC全球3期试验；2L SCLC和局限期SCLC全球3期试验入组正在进行中

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³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²
- 剂量≥0.75 mg时，RECIST ORR为41%³



1. 加速批准, 后续正式批准或将取决于确证性试验

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

3. 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

已完成对先进生产能力的资本投资，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
- 广州南园区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

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
- 该基地已于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

美国新泽西州霍普韦尔全球顶尖生产基地概览

首个美国生产基地



已于**2024年7月**启用



位于普林斯顿西部创新园区占地**42英亩**的新建项目（约17万平方米）



1期工程完成，占地150,000平方英尺（约1.4万平方米）



可拓展用于生产小分子和ADC药物



标准化平台可实现高效技术转移和全球资源共享



主要催化事件

已获批产品✓

百悦泽®

- 2024年下半年：在日本获批用于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✓
- 2025年上半年：在美国获批片剂新剂型
- 2025年下半年：在欧盟获批片剂新剂型

百泽安®

- 2024年上半年：在中国获批用于一线治疗ES-SCLC✓
- 2024年下半年：在美国递交Q2W二线治疗ESCC的申请✓
- 2024年下半年：在中国获批用于新辅助/辅助治疗NSCLC✓
- 2024年下半年：在欧盟递交用于一线治疗ES-SCLC的申请✓
- 2024年下半年：在欧盟递交用于一线治疗NPC的申请✓
- 2024年下半年：在欧盟递交用于新辅助/辅助治疗NSCLC的申请
- 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
- 2025年上半年：在美国获批Q2W二线治疗ESCC
- 2025年上半年：在欧盟获批用于一线治疗GC/GEJC的申请
- 2025年上半年：在欧盟获批用于一线治疗ESCC
- 2025年上半年：在日本获批用于一线和二线治疗ESCC

产品管线▶▶▶

Sonrotoclax

- 正在进行初治CLL患者的3期临床试验
- 于2025年上半年启动复发/难治性CLL患者的3期临床试验
- 于2025年上半年启动复发/难治性MCL患者的3期临床试验
- 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2025年上半年启动R/R CLL的3期临床试验
- 正在进行复发/难治性CLL患者的潜在注册可用扩展队列研究
- 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单抗）和LBL-007（抗LAG-3单抗）联用治疗肺癌的队列，预计将于2025年第一季度进行数据读出并于2025年上半年公布
- 与LBL-007（抗LAG-3单抗）联合用药治疗胃肠道癌的多个队列预计将于2025年进行数据读出

泽尼达妥单抗¹

- 二线治疗HER2阳性胆道癌预计将于2025年下半年在中国获批

早期临床开发

- 针对CCR8、CDK4抑制剂的2期剂量确定
- 推动超过10个新分子实体²进入临床试验，包括EGFR CDAC、PRMT5抑制剂、泛KRAS抑制剂、多个ADC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

*由于临床研究中心检查的时间推迟，原定2024年7月的PDUFA目标时间被延迟

1. 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。

2. 2024年至今，已有9个新分子实体进入临床，包括CDK2抑制剂、B7H4 ADC、IRAK4 CDAC、B7H3 ADC、IL-15 前体药物、GPC3 x 4-1BB、MUC1 x CD16A、CEA ADC、EGFRxMET 三抗

我们对负责任商业和可持续发展的承诺

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



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



Thank you



附录

CDK4抑制剂

追求更高有效性、更低毒性的新一代CDK4抑制剂

虽然CDK4/6抑制剂类药物在市场上取得了很大成功（预计峰值销售额超过180亿美元），但仍有许多医疗需求尚未得到满足，主要因为该类需求都与剂量限制性毒性和耐药突变发展相关

BGB-43395有潜力成为同类最佳CDK4抑制剂，不会产生CDK6介导及脱靶毒性

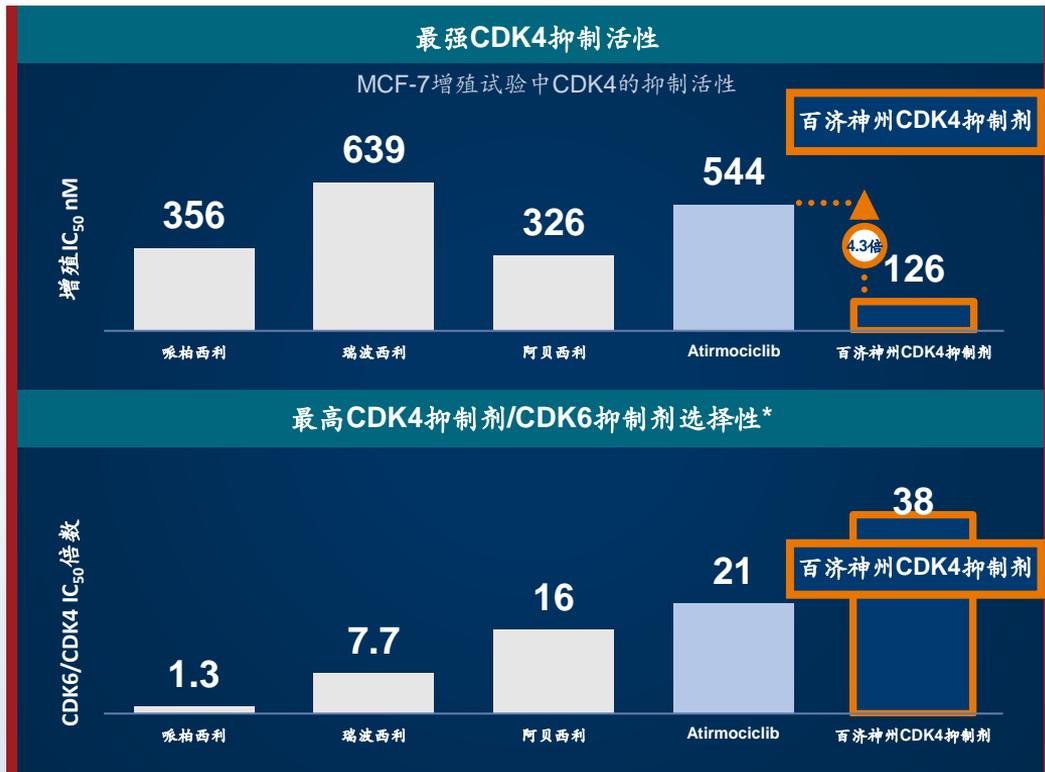
- 与所有已获批及在研CDK4/（6）抑制剂相比，其药效强、选择性强
- 在GLP毒性研究中耐受性良好，未出现中性粒细胞减少或胃肠道毒性问题

在卵巢癌、子宫内膜癌、肺癌和前列腺癌等其他肿瘤类型中有潜力成为同类首创药物

目前处于1期开发阶段

- 已入组超过100例患者
- 完成了7个单药和3个氟维司群/来曲唑联合用药剂量递增队列，PK符合预期
- 2024年圣安东尼奥乳腺癌研讨会首次临床数据

在Jeko-1细胞系中通过pRB测定CDK4 IC₅₀
在敲除CDK4基因的Pfeiffer中通过pRB测定CDK6 IC₅₀



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¹

- 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

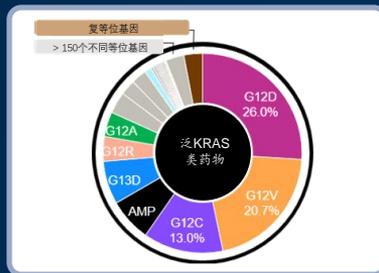
BGB-53038在临床前研究中展现出极佳潜力

- 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

2024年第四季度可按期进入临床

1. Pharmacol Res. 2019 Jan; 139:503-511
Zhu, C. et al. Mol Cancer 21, 159 (2022)
J Thorac Dis 2020;12(7):3776-3784

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

BGB-53038不具有N/HRAS活性，因此不影响正常组织

上游信号



MTA协同PRMT5抑制剂

避免血液毒性的新一代PRMT5抑制剂

BGB-58067是第二代MTA协同PRMT5抑制剂 选择性杀伤MTAP缺失肿瘤细胞，同时避免影响正常血液细胞

MTAP缺失在所有肿瘤类型中发现率达到15%*

- 肺腺癌中占8%，肺鳞状细胞癌中占19%
- 胃腺癌中占10%，食管癌中占28%

具有前景的药理学特性

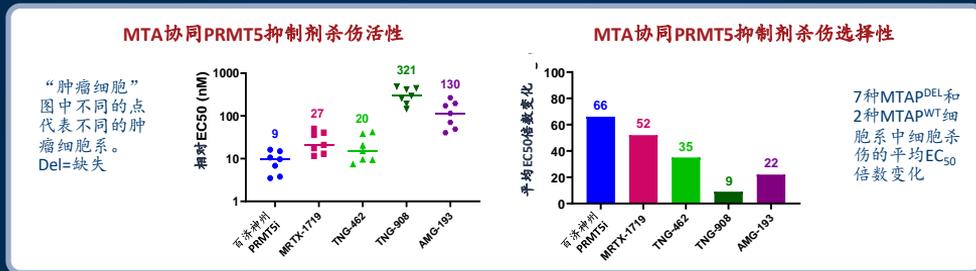
- 在MTAP缺失细胞中极具活性和选择性
- 良好的血脑屏障穿透力和颅内药效
- 拥有理想的半衰期，可以实现每日给药

2024年第四季度可按期进入临床

PRMT5=蛋白质精氨酸甲基转移酶5
MTA=甲硫腺苷
MTAP=甲硫腺苷磷酸化酶

*2020 Globocan; Konstantinos. M et al. Science. 2016, 351(6278): 1208-1213.

相比主要竞品，在MTAP缺失细胞中具有更强效力

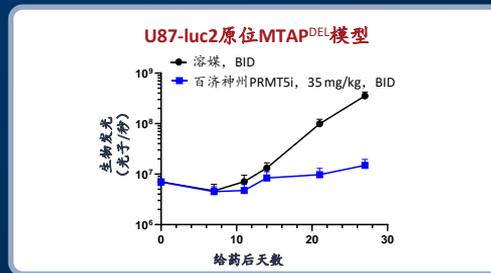


血脑屏障穿透力高于大多数主要竞品，具有良好的颅内药效，有望解决脑转移和胶质母细胞瘤

脑Kpau (小鼠)

百济神州PRMT5i	18%
AMG-193	17.1%
TNG-908	6.8%

MRTX-1719和TNG-462无血脑屏障穿透力
PRMT5i=PRMT5抑制剂; DEL=缺失



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%的白种人肺腺癌患者*

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

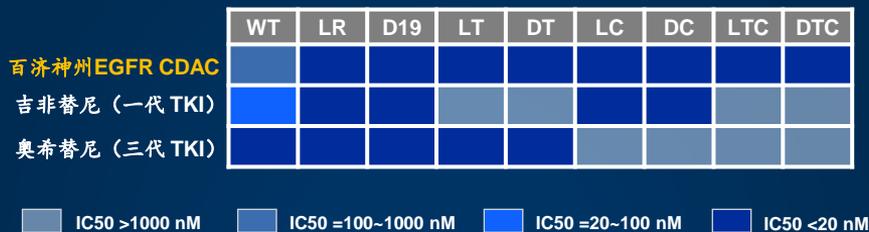
良好的临床前候选药物特征

- 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

2024年第四季度可按期进入临床

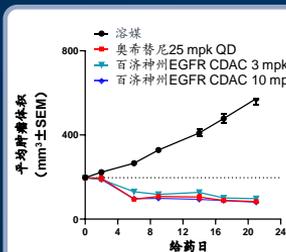
WT: wild-type; LR: L858R; D19: exon 19 deletion; DT: exon 19 deletion/T790M; LT: L858R/T790M; DC: exon 19 deletion/C797S; LC: L858R/C797S; DTC: exon 19 deletion/T790M/C797S
 * 2020 Globocan; Wang P, et al. J ThoracDis. 2017; 9(7): 1973-1979; Wen S, et al. Oncologist. 2019; 24(11):e1070-e1081; J Clin Oncol. 2022 Feb 20;40(6):611-625.

最广泛的EGFR突变覆盖范围同时不影响野生型EGFR

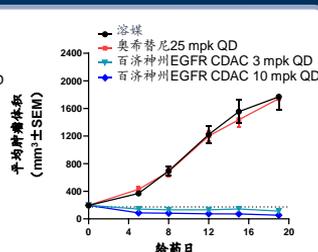


在奥希替尼敏感和耐药异种移植模型中都具有强劲的有效性

奥希替尼敏感
HCC-827-D19
模型



奥希替尼耐药
H1975-
L858R/C797S
模型



百济神州ADC平台

整合多项重要ADC成分创新性，获得同类最佳/同类首创ADC

强大的发现引擎以高质量和高效率产生适用的抗体

- 单克隆抗体
- 多特异性抗体



偶联

均匀和稳定的偶联可实现更均一的DAR/更好的稳定性

- 稳定的偶联物
- 特定位点
- DAR优化的灵活性

多种有效载荷作用机制全面释放ADC技术潜力

- **当前产品组合重点：**利用专有和差异化Topo1i平台把握短期机遇
- 对多种作用机制和治疗模式创新概念（小分子抑制剂、降解剂、免疫调节剂等）进行持续投入

有效载荷

专有亲水性连接子平台

- 微调亲水性，减少聚集
- 稳定性高，可最大限度地减少“弹头”在体内循环中过早释放

连接子

CEA ADC

差异化ADC设计以提升CEA+肺癌和胃肠道癌患者疗效

CEACAM5 (CEA) 是一种成熟的肿瘤相关抗原 (TAA)，在肺癌和胃肠道癌中有高表达¹

癌症类型	CEA高表达	CEA中/低表达
肺腺癌	7%	31%
胃癌	26%	22%
结直肠癌	51%	36%

SAR701在CEA高表达肺癌中证明了临床活性 (客观缓解率20%)，对患者的影响还有提升空间

BG-C477差异化的设计以增强疗效获益

- 差异化的有效载荷策略：拓扑异构酶II抑制剂
- 高DAR (8)、稳定的偶联物和亲水性连接子设计

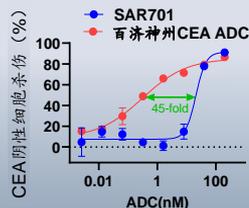
2024年10月已完成首例患者入组

百济神州CEA ADC拥有差异化ADC设计

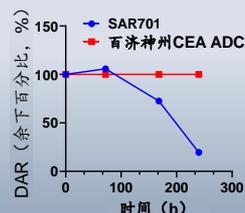
项目	Tusamitumab	百济神州CEA ADC	百济神州产品优势
有效载荷	DM4	专用TopoII抑制剂	• 有效载荷作用机制更适合目标适应症 • 旁观者效应更强
DAR	4	8	• DAR更高
连接子	SPDB二硫键	亲水性连接子	• ADC更稳定
偶联	赖氨酸	半胱氨酸 (含稳定的偶联物)	• ADC均一性和稳定性更好

更优异的ADC—更好的旁观者效应、稳定性和药效

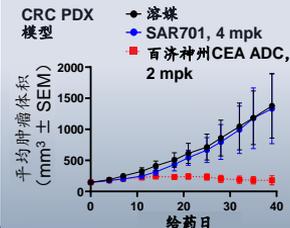
更强的旁观者杀伤作用



小鼠PK展现更好的DAR稳定性



更优异的有效性



TopoII=拓扑异构酶II；以SAR701生物类似物作为基准；CRC=结直肠癌

1. Stéphanie Decary et al., Clin Cancer Res, 2020 Dec 15;26(24): 6589-6599

SAR701是赛诺菲CEA ADC SAR408701的简称

B7-H3 ADC

具备成为同类最佳的潜力，DAR8稳定且旁观者效应强

在包括肺癌、胃肠道癌、头颈部癌和妇科癌症在内的多种肿瘤类型中有高表达¹

B7-H3表达	LUSC	LUAD	ESCC	CPRC	HNSCC	EC	OC
中/高表达 (H评分101 ~300)	84%	39%	80%	74%	74%	89%	25%

ifinatamab deruxtecan在小细胞肺癌患者中已完成临床验证

BGB-C345差异化的药物设计，具有同类最佳潜力

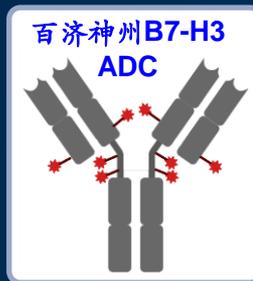
- 高DAR (DAR8) 能够增强有效载荷递送
- 强旁观者效应的专有药物连接子可解决肿瘤异质性问题
- 稳定的偶联物可提高稳定性及与肿瘤的联接

目前单药治疗剂量递增正在招募患者

¹Michiko Yamato et al., Mol Cancer Ther, 2022

LUSC=肺鳞状细胞癌; LUAD=肺腺癌; ESCC=食管鳞状细胞癌; CPRC=去势抵抗性前列腺癌; HNSCC=头颈部鳞状细胞癌; EC=子宫内膜癌; OC=卵巢癌

DS-7300是来自第一三共的B7-H3 ADC主要竞品



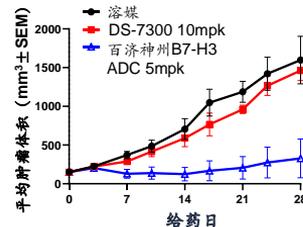
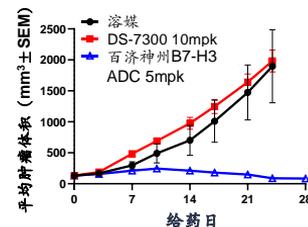
百济神州B7-H3 ADC：差异化分子设计

项目	DS-7300	百济神州B7-H3 ADC	百济神州产品优势
DAR	4	8	DAR更高
有效载荷-连接子	DXd-GGFG	Topol抑制剂-亲水性连接子	旁观者效应更强
偶联	传统的半胱氨酸偶联	稳定的偶联物	稳定性更好

Topol=拓扑异构酶I

在DS-7300耐药PDX模型中具有稳健药效

以主要竞品生物类似物作为基准



B7-H4 ADC

有望在乳腺癌和妇科癌症疾病中大幅提升ADC管线

ADC靶点在乳腺癌和妇科肿瘤中广泛表达

- 三阴性乳腺癌中约占45%
- 子宫内膜癌中约占60%
- 卵巢癌中约占50%

BG-C9074提高了成功率

- HS-20089和SGN-B7H4V在乳腺癌中已完成早期临床概念验证
- 采用映恩生物公司技术（经过临床验证的ADC平台）完成稳定的ADC设计
- 在PDX模型中显示出稳健药效

目前单药治疗剂量递增和安全性扩展正在招募患者

HS-20089和SGN-B7H4V分别为GSK/Hansoh和辉瑞/Seagen的B7H4 ADC

DAR=药物抗体偶联比

IHC=免疫组化

PDX=患者来源的异种移植

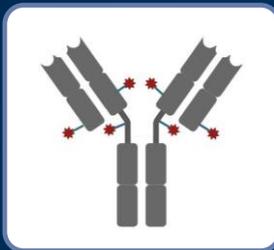
1-P-糖蛋白 (Pgp) 是一种蛋白质, 可通过阻止包括抗癌药物在内的许多药物 (底物) 的摄取在癌细胞中引起多药耐药 (MDR)。非Pgp 底物可降低耐药性

2024年1月8日摩根大通第42届年度医疗健康大会

参见: <https://hkexir.beigene.com/>; <https://sseir.beigene.com>

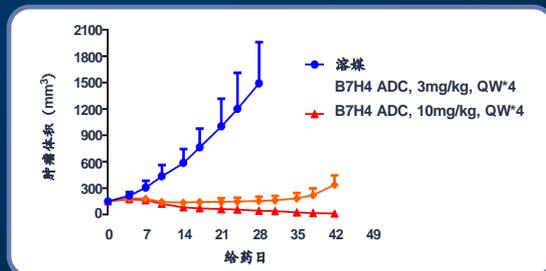
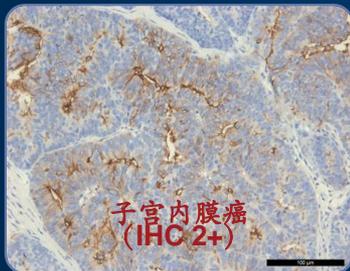
访问于2024年1月15日

百济神州B7-H4 ADC分子设计



- 药物连接子设计经临床验证
- 非Pgp底物有效载荷¹
- 旁观者效应强
- DAR6可在药效和毒性之间取得平衡

在B7-H4低/异质性PDX模型中显示出稳健药效



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+) ¹
- 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²

具有差异化抗体骨架的潜在同类首创ADC，可降低毒性

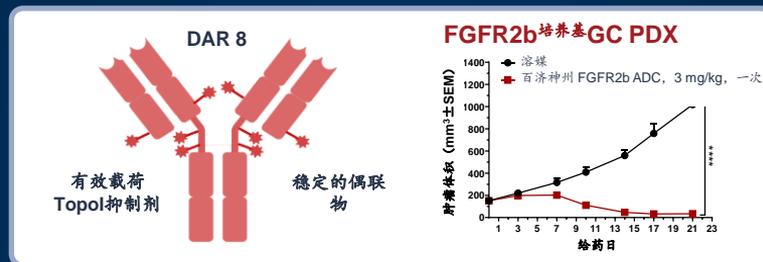
- 肿瘤靶向毒素递送
- 具有旁观者效应，可解决肿瘤异质性问题
- 配体阻断作用较弱，不会产生靶向角膜毒性

2024年第四季度可按期进入临床

¹ Lancet Oncol 2022; 23: 1430–40

² 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

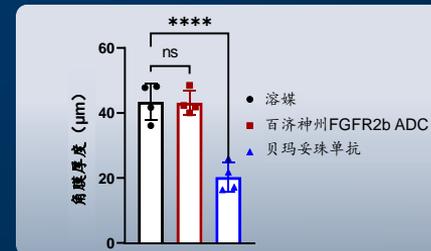
百济神州 FGFR2b ADC在临床前模型中具有强效



Topol, 拓扑异构酶I

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



百济神州FGFR2b ADC, 10 mg/kg, Q2W x 2 / 贝玛妥珠单抗, 10 mg/kg, BIW x 8

非GAAP财务指标的调节与计算

调节至经调整经营利润（亏损）

（千美元）	2024年第三季度	2023年第三季度
GAAP 经营亏损	(120,265)	(133,968)
加：股权激励成本	114,603	96,119
加：折旧	70,028	19,242
加：无形资产摊销	1,264	2,268
经调整经营利润（亏损）	65,630	(16,339)

术语表

疾病缩略语

AML	急性髓系白血病	mCRPC	转移性去势抵抗性前列腺癌
BP-ALL	前体B细胞急性淋巴细胞白血病	MDS	骨髓增生异常综合征
BTC	胆道癌	MM	多发性骨髓瘤
CHL	经典型霍奇金淋巴瘤	MSI-H	微卫星高度不稳定
CLL	慢性淋巴细胞白血病	MSS CRC	微卫星稳定型结肠直肠癌
dMMR	DNA错配修复缺陷	MZL	边缘区淋巴瘤
DLBCL	弥漫性大B细胞淋巴瘤	Neo/adj	新辅助/辅助
ES-SCLC	广泛期小细胞肺癌	NSCLC	非小细胞肺癌
ESCC	食管鳞状细胞癌	NPC	鼻咽癌
FL	滤泡性淋巴瘤	OC	卵巢癌
GEA	胃食管腺癌	PMN	原发性膜性肾病
GC	胃癌	R/R	复发或难治性
HCC	肝细胞癌	SCLC	小细胞肺癌
HNSCC	头颈部鳞状细胞癌	SLL	小淋巴细胞淋巴瘤
LS-SCLC	局限期小细胞肺癌	UC / UBC	泌尿系统癌症/膀胱癌
MCL	套细胞淋巴瘤	WM	华氏巨球蛋白血症

其他缩略语

ADC	抗体偶联药物
AE	不良事件
CDAC	嵌合式降解激活化合物
CR	完全缓解
DCR	疾病控制率
DLT	剂量限制性毒性
DOR	缓解持续时间
EFS	无事件生存期
LCM	生命周期管理
LTE	长期扩展
mAb	单克隆抗体
mOR	经调整总体缓解
MPR	主要病理学缓解
MTD	最大耐受剂量
MTx	维持治疗
ORR	客观缓解率
OS	总生存期
PCR	病理学完全缓解
PFS	无进展生存期
RDFE	扩展期推荐剂量
RP2D	2期推荐剂量
SAE	严重不良事件
TEAE	治疗中出现的不良事件
TN	初治
Tsp	三特异性抗体
VGPR	非常好的部分缓解