



具有竞争优势的新一代
肿瘤学创新者

摩根大通第42届年度医疗健康大会
2024年1月8日

披露声明

本演示文稿中及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。例如关于肿瘤市场及相关行业的预期规模的声明；百济神州的未来收入、盈利能力和增长情况；百济神州的研究、药物发现、临床前和早期临床项目和计划；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；以及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、商业化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）递交的季度报告中的“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。除另有说明外，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。

本演示文稿仅面向投资者；无意推广文稿中提及的产品或以其他方式影响医疗保健处方决策。由于交叉试验比较或预期数据可能会受到各种因素的影响，因此无法从中得出明确的结论，应谨慎解读。本演示文稿中的所有商标均为其各自所有者的财产。

本演示文稿包含美国通用会计准则（GAAP）和非GAAP财务衡量指标。本演示文稿的附录中提供了这两种衡量指标之间的调节信息。



1

致力于以不同的方式提供有影响力的药物，同时通过战略性的成本和时间的优势解决可负担性问题

2

领先的肿瘤药物创新公司，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



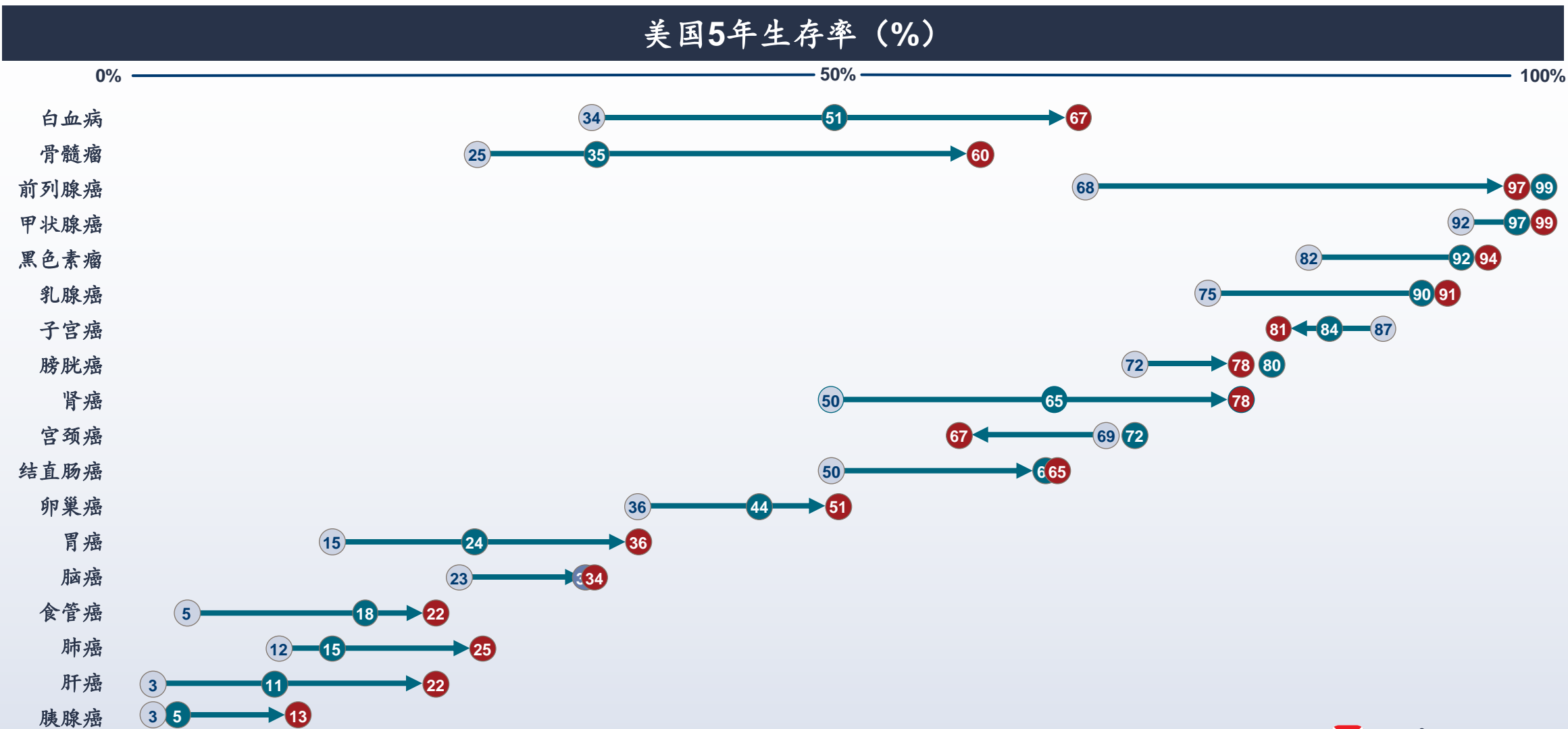
1

致力于以不同的方式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

- 不断变化的环境：
有影响力的科学，但不断攀升的临床成本对可负担性带来了挑战
- 与众不同的设想：
百济神州从成立第一天起就致力于具有成本和时间优势的创新

癌症患者的治疗结果得到显著改善

● 1977年
● 2001年
● 2019年



数据来源: SEER。白血病类型包括急性淋巴细胞白血病 (ALL)、急性髓系白血病 (AML)、慢性淋巴细胞白血病 (CLL)、慢性粒细胞白血病 (CML)

并且不同的分子类型起到了巨大的推动作用

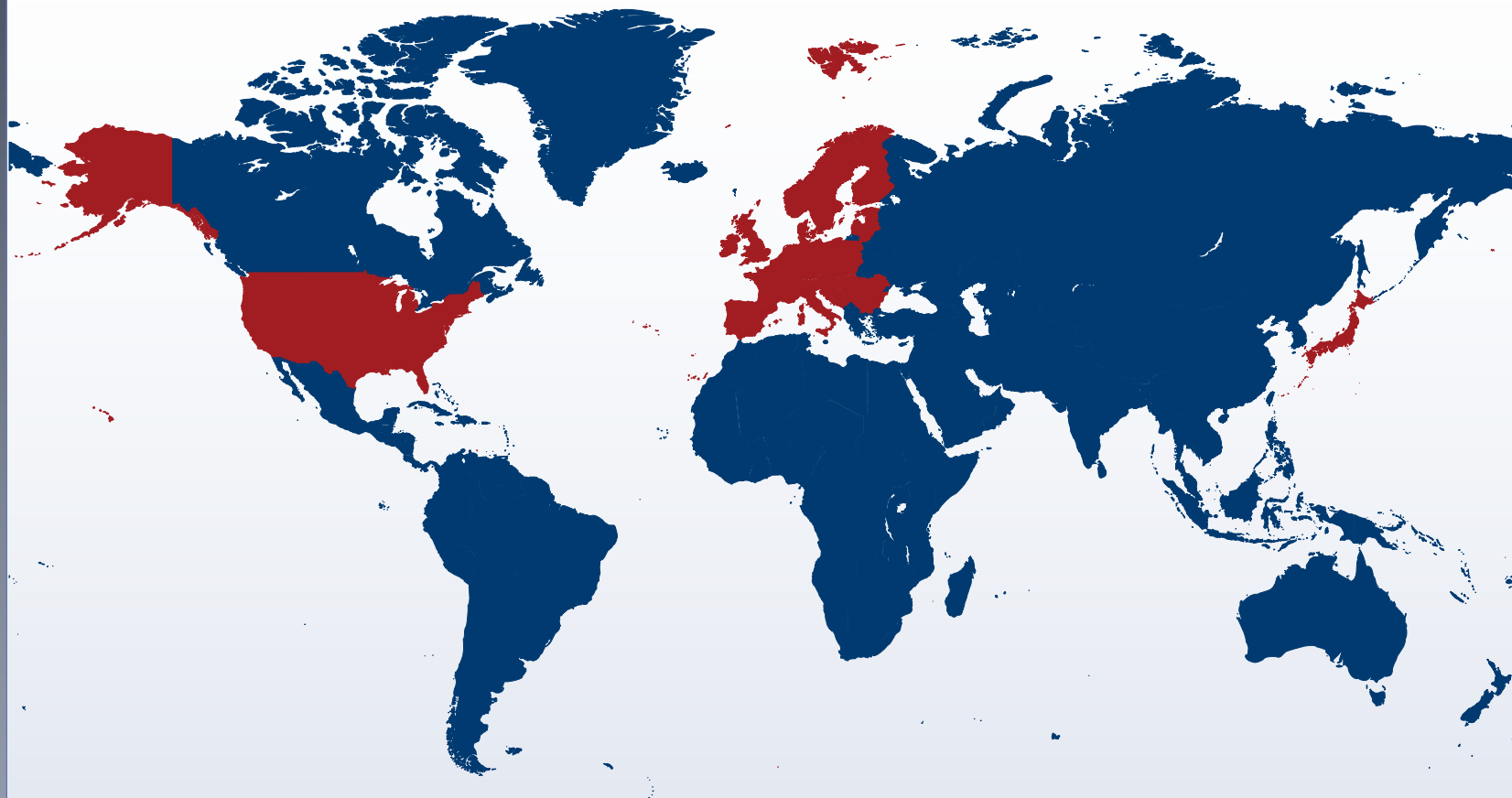
品牌图示

潜在肿瘤市场规模

免疫肿瘤药物	    	1,200+亿美元
共价抑制剂	    	200+亿美元
ADC	   	250+亿美元
mRNA		50+亿美元*
双特异性药物	   	150+亿美元
细胞治疗	  	200+亿美元
蛋白降解剂	BGB-16673	50+亿美元

来源: EvaluatePharma technology for 2028, 获取时间: 2024年1月5日。内部估计。
*请注意, mRNA相关数据为预期肿瘤市场规模, 不包括COVID疫苗。

但可负担性和可及性一直是个挑战

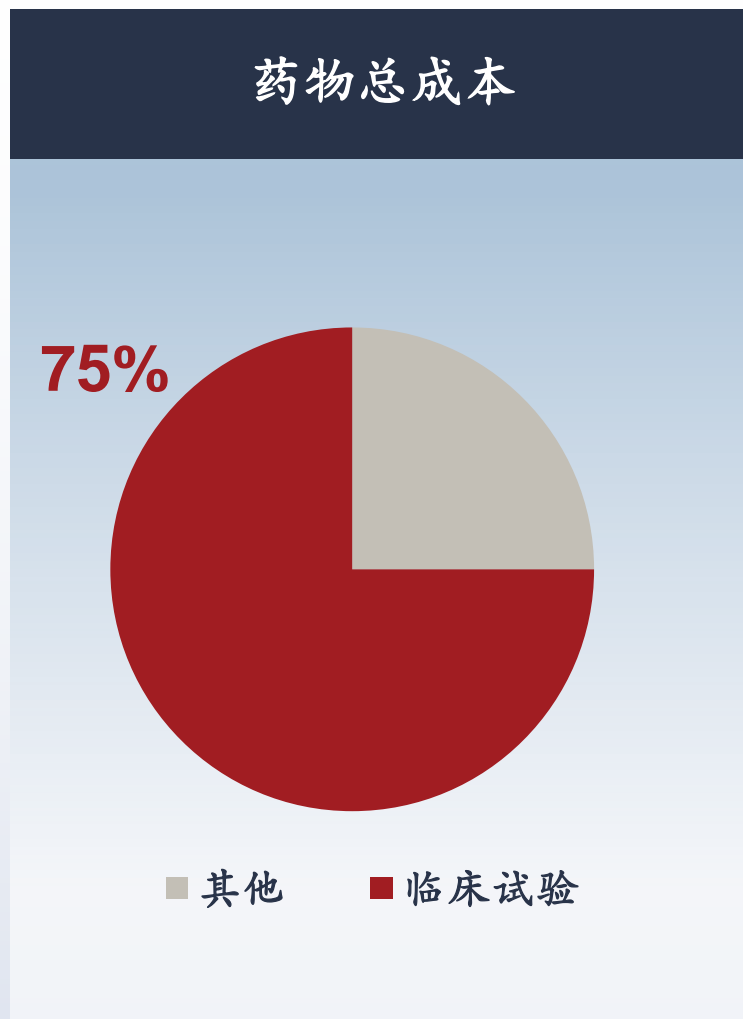
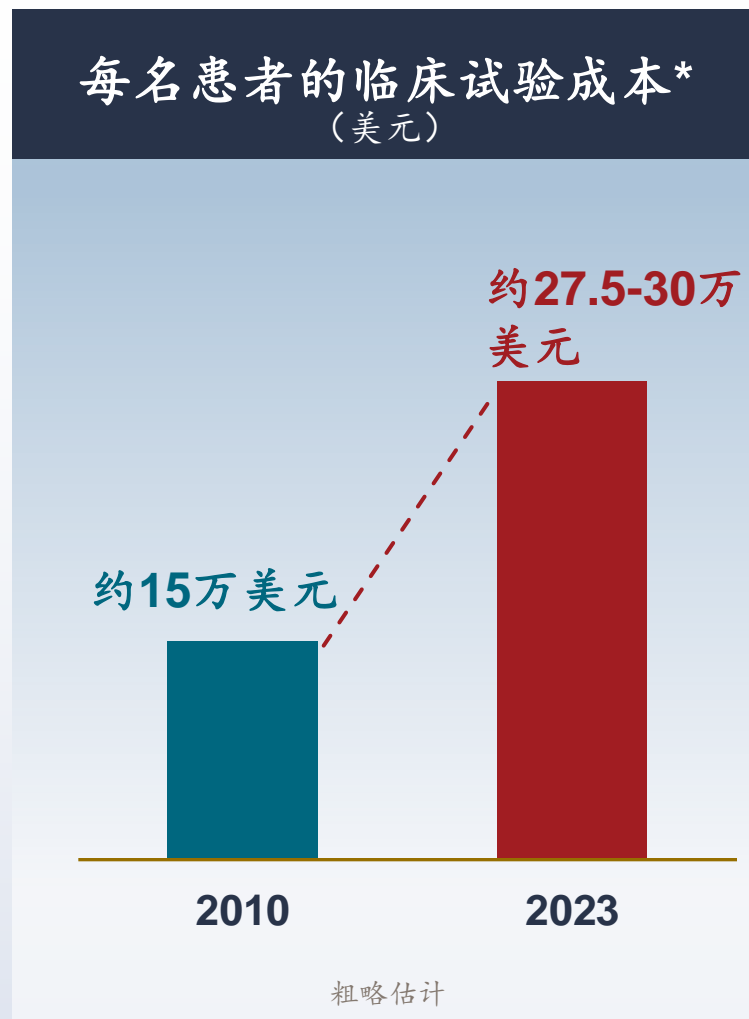


- 大多数创新药物仅提供给世界上最富有的六分之一人口
- 然而，即使在美国几乎有四分之一的人难以负担共同支付或治疗费用¹
- 在药物专利到期之前，世界其他地区通常无法获得这些药物
- 许多医疗保健系统正在竭力为这些具有影响力的药物进行报销

红色表示最富有的1/6人口

¹KFF 2023 Survey on Racism, Discrimination, and Health

临床试验成本增长了约一倍，约占药物总成本的75%，这一数据在传统研究中心更高



*基于轶事访谈的全负担成本
来源：Bruce Booth撰写的“A Billion Here, A Billion There”，见PAREXEL生物制药研发统计资料手册2018/2019。使用肿瘤学临床研究标准假设的Grants Manager数据库

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
- 了解行业不断变化的经济性质，即前期临床成本现已占药物总成本的75%
- 将我们的目标患者定义为世界六分之四的人口，而不是行业传统意义上的六分之一（最后三分之一很重要，但需要非政府组织的帮助）

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

现在的百济神州

18亿美元

2023年前三季度总收入

76%

2023年前三季度收入同比增长

17款

获批产品

32亿美元

2023年第3季度期末现金余额

全球临床开发
具有速度和成本优势
3,000+全球临床团队

22,000+

患者入组45+个国家和地区的
125+个试验

全球顶尖人才

10,000+

全球员工

全球规模生产

美国新泽西州普林斯顿创新中心 - 生物制品
中国广州 - 生物制品和ADC
中国苏州 - 小分子药品

50+

潜在在研药物*



*包括研发资产

投资建立难以复制的内部全球临床开发能力， 创造有意义的成本和速度优势

▼ 30%

成本优势

与行业相比，临床成本降幅高达30%

▲ 30%

速度优势

完全自主实现更快的试验入组
快速、高质量地推进临床PoC

独特的模式使我们迅速崛起成为全球肿瘤学领导者

全球肿瘤学 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

自2017年以来在业内完成3期肿瘤临床试验的公司

前
5

自2017年以来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



2

领先的肿瘤创新公司
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

- 已成为血液肿瘤领域领导者
- 凭借出色的早期管线，打造实体瘤领域的领导地位
- 最出色的肿瘤产品管线之一，拥有50多款潜在药物

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**600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**140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



在**ASH 2023**上展示了**24篇摘要**

*来源：Evaluate Pharma
CDAC - 嵌合式降解激活化合物

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头对头试验中相较伊布替尼展现出持续的PFS优效性¹，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²；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³
- 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⁴

最广泛注册

- **5项获批适应症**
- 唯一一款获批用于治疗FL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

¹ 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

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

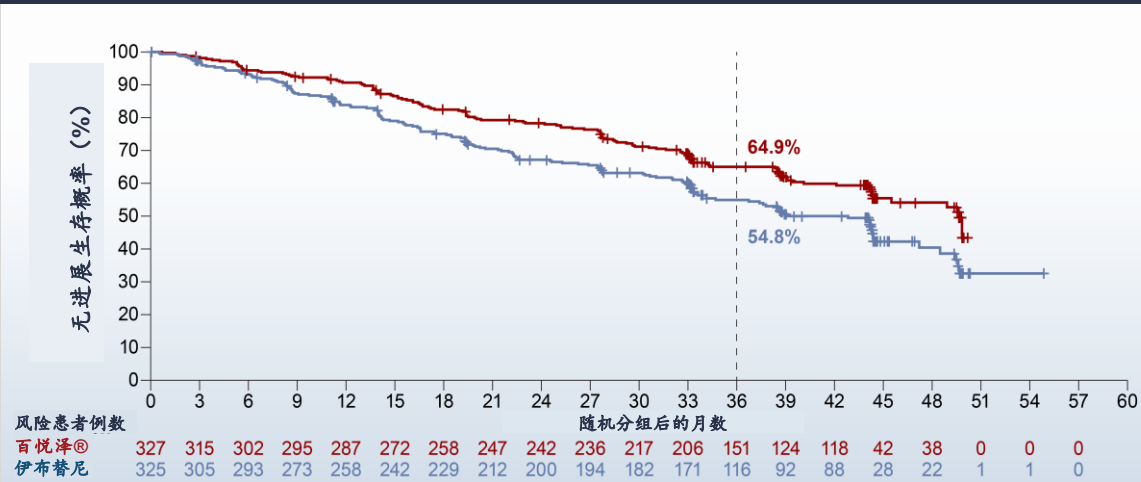
³ Garcia – Sanz et al. Clinical Outcomes in Patients with Waldenström Macroglobulinemia Receiving Ibrutinib on the Phase 3 ASPEN Study ≥1 Year After Transitioning to Zanubrutinib. ASH 2023

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

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)¹; 在长期随访中持续²

39个月时，PFS优效性持续存在



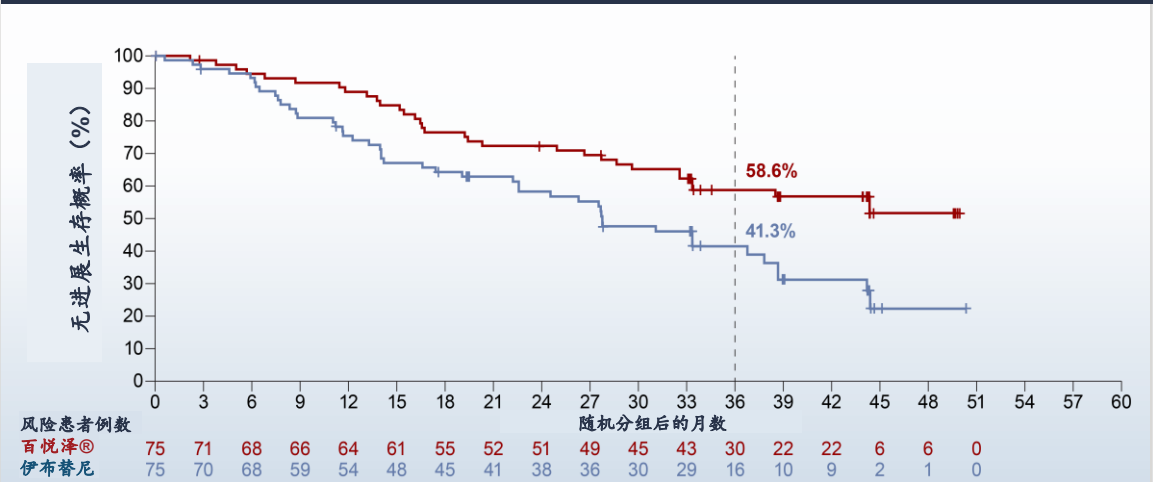
PFS事件, n (%)

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)

在17p缺失/TP53突变患者中的PFS优效性



PFS事件, n (%)

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

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)

¹ 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

² 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

Sonrotoclax

600多例患者数据展现同类最佳潜力，拓宽血液肿瘤领导地位

BCL2 抑制剂

同类最佳的有效性潜力

- 与维奈克拉相比，更强效的BCL2抑制剂
- BCL2抑制剂与BTK抑制剂治疗初治CLL患者，获得最佳联用数据¹
- 对比维奈克拉，在其他适应症中展现的令人鼓舞的有效性数据
 - 在MZL²、t(11;14)MM³中达到深度、持久的缓解
 - 在AML中达到深度缓解

同类最佳的安全性和便利性潜力

- 对比维奈克拉，更高的选择性带来更好的安全性，便于在不同适应症中联合用药，已入组超过600例患者
- 更短的半衰期且无药物蓄积
 - 未观察到临床TLS
 - 可带来更少的监测及更高的临床使用率
 - 总体安全性改善

多项注册性机会

- 基于目前看到的具有优势的有效性数据¹，已启动联合百悦泽®治疗初治CLL的3期临床试验
- 多项快速上市试验正在进行中
- 已计划在针对更前线治疗和AML适应症中的注册性临床试验
- 维奈克拉最近在t(11;14)多发性骨髓瘤(CANOVA)研究失败，但也给予了sonrotoclax在此适应症中的重大机遇

血液肿瘤领导地位

- 疾病的最佳联合治疗方案
- 固定疗程治疗
- 扩展至新适应症的机会

¹ Tam et al. Combination Treatment with Second-Generation BCL2/Bruton Tyrosine Kinase Inhibitors Sonrotoclax (BGB-11417) and Zanubrutinib is Well Tolerated and Achieves Deep Responses in Patients With Treatment-Naïve CLL/SLL. ASH 2023

² Tedeschi et al. Monotherapy With Second-Generation BCL2 Inhibitor Sonrotoclax (BGB-11417) is Well Tolerated with High Response Rates in Patients with Relapsed/Refractory Marginal Zone Lymphoma. ASH 2023

³ Quach et al. Sonrotoclax (BGB-11417) in Combination With Dexamethasone for the Treatment of Relapsed/Refractory Multiple Myeloma With t(11;14): Safety, Efficacy, and Determination of Recommended Phase 2 Dose. ASH 2023

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

- 自最低剂量开始即展示出对BTK蛋白的降解，包括BTK突变的患者¹
- 在既往接受过共价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临床缓解¹
- 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**140**多例入组接受治疗的患者中展示出安全性和耐受性
- 无房颤和/或高血压；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

稳健的注册计划

- 已经于R/R MCL中启动扩展队列，具备快速上市潜力
- 2024年启动针对MCL、CLL以及其他联合治疗的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）

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

百泽安[®]+百悦泽[®]

在Richter转化患者中展现出最佳疾病联合治疗数据

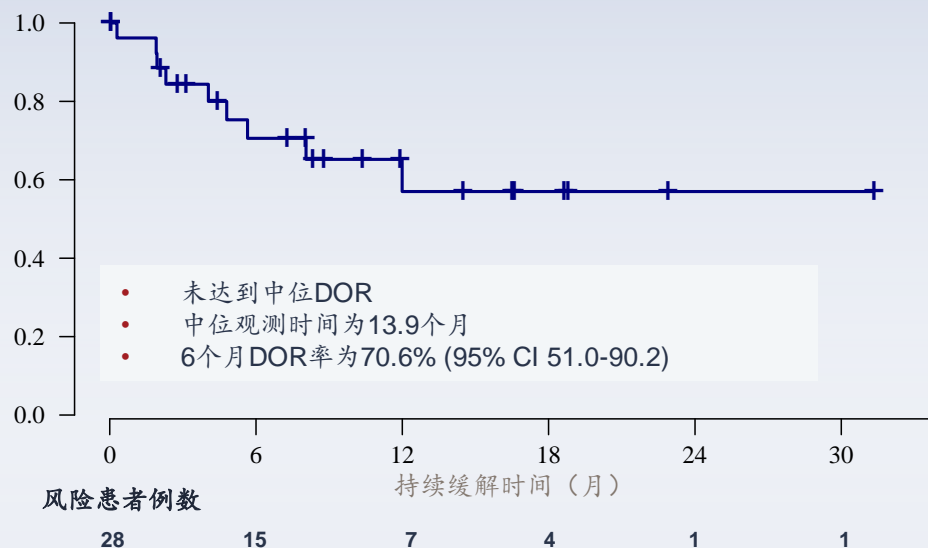
PD-1
抑制剂

naturemedicine

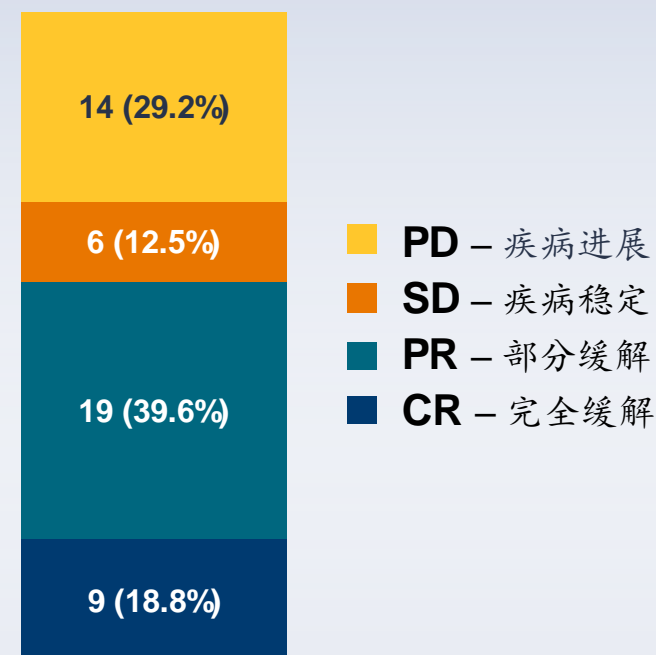
UNIKLINIK KÖLN | Department I of Internal Medicine | University Hospital of Cologne

DEUTSCHE STUDIENGRUPPE 

6个月持续缓解率为70.6%



ORR为58.3%，达到主要终点



1年PFS为47%，1年OS为75%
有限的心脏毒性和免疫相关不良事件

加速开发差异化血液肿瘤药物，满足所有治疗线的需求



巩固我们的领导地位，以百悦泽®作为同类最佳产品，ALPINE试验延长随访的PFS数据再次证实了其相对于伊布替尼持久、优效的疗效和安全性
全球最广泛的获批适应症和令人兴奋的生命周期策略

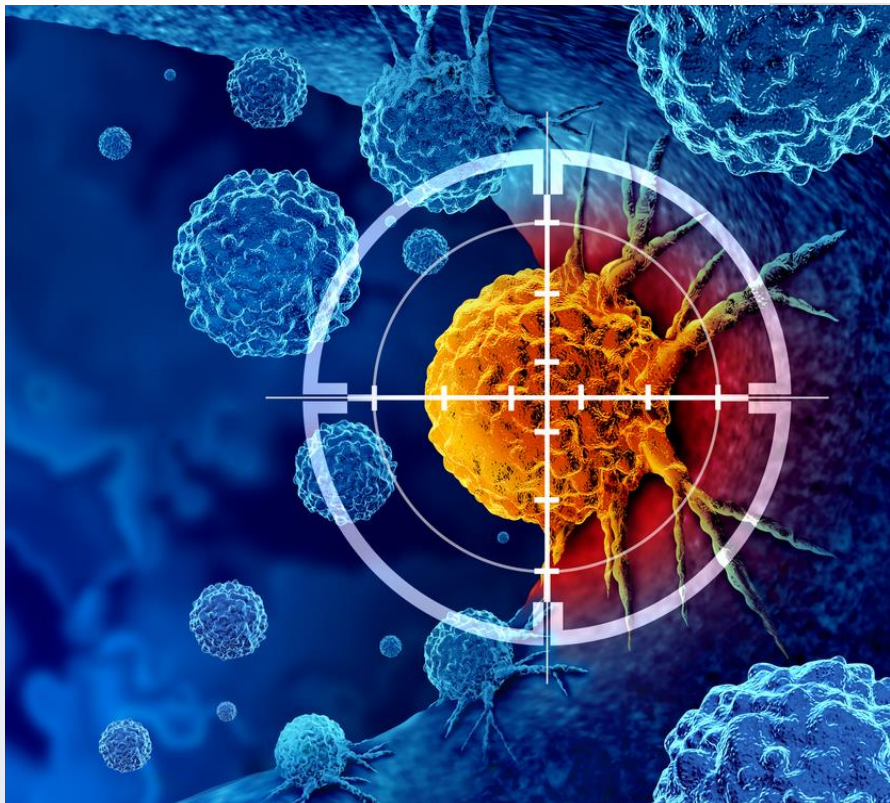
扩大我们的领导地位，推进sonrotoclax作为潜在同类最佳且具有差异化的BCL2抑制剂的注册

快速开发BTK CDAC（一种蛋白降解剂），其具有新型、不受突变状态限制的作用机制

拓展我们的足迹至具有重大未被满足医疗需求的新的适应症：急性髓系白血病/骨髓增生异常综合症、多发性骨髓瘤、Richter转化以及大B细胞淋巴瘤
利用所有管线产品开发疾病最佳联合治疗方案

对患者的治疗结果产生更深远的影响，能够利用我们自有的产品组合满足包括CLL在内的多种恶性血液肿瘤所有治疗线的需求

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



通过拓展在中国、欧盟、美国（待批准）以及全球市场的足迹，探索联合治疗方案，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

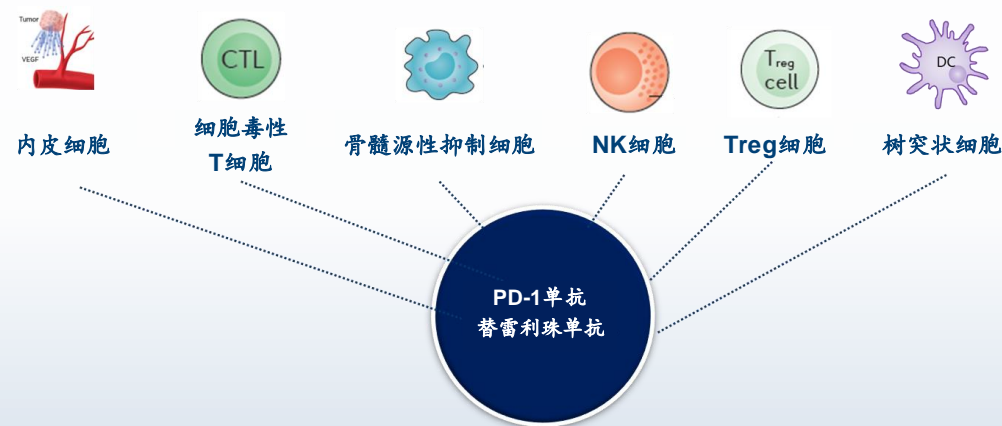
持续推进50余款其他产品，将有多数据读出和决策点*

以百泽安®为核心的泛肿瘤产品管线有望惠及全球患者

2023年百泽安®成就

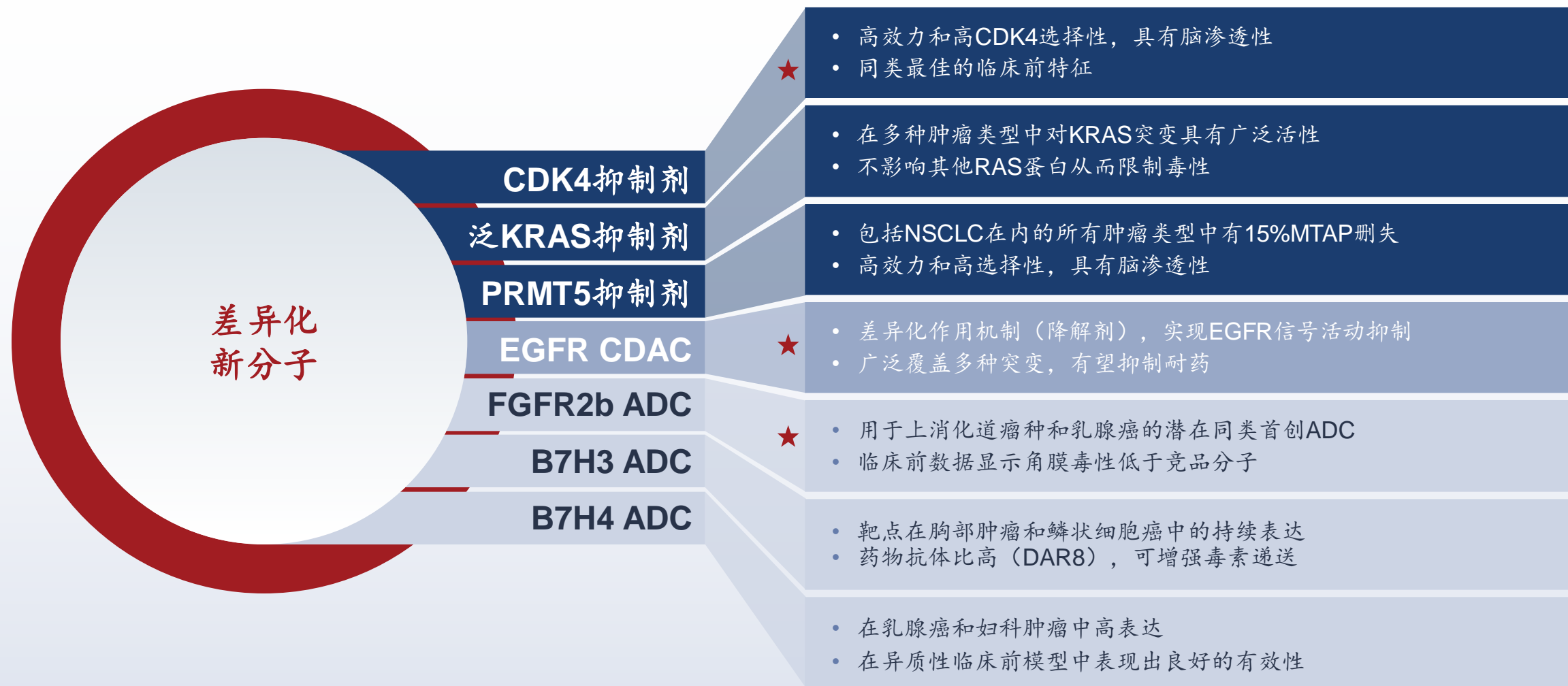
- 全球治疗患者超过750,000例
- 第3季度收入为1.44亿美元
- 在包括NSCLC、SCLC和胃癌中获得积极的3期数据集
- 从诺华重获全球商业化和开发的权利
- 准备在5大洲针对多项适应症上市
- 在中国获批用于治疗12项适应症，预计2024年将获得多项全球批准
- 内部优化（包括单个生产线产能扩大至5,000 L）使产品成本降低至初始值的20%

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

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

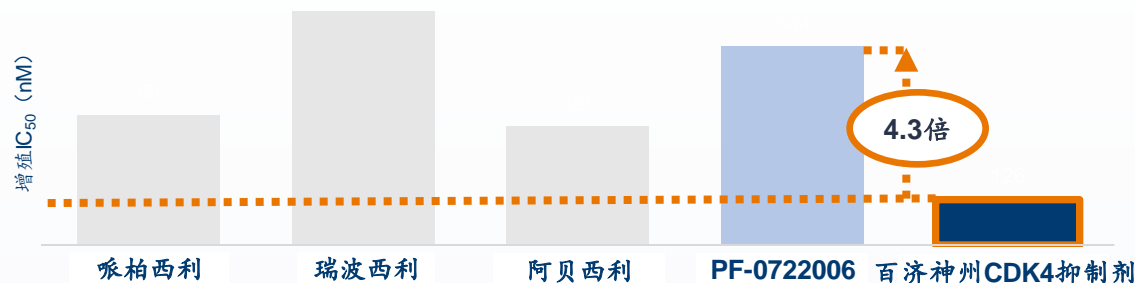
追求更优有效性、更低毒性的新一代CDK4抑制剂

- CDK4/6抑制剂类别在HR+/HER2-乳腺癌中获得巨大且成功的商业化，预计全球峰值销售额将超过180亿美元
 - FDA已批准3款CDK4/6抑制剂，但均具有毒性问题
- 选择性CDK4抑制剂不产生CDK6介导的、脱靶毒性
- 主要竞品：PF-0722006；最近在2L+HR+晚期乳腺癌患者中启动了3期临床试验
- 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

最强CDK4抑制剂效力

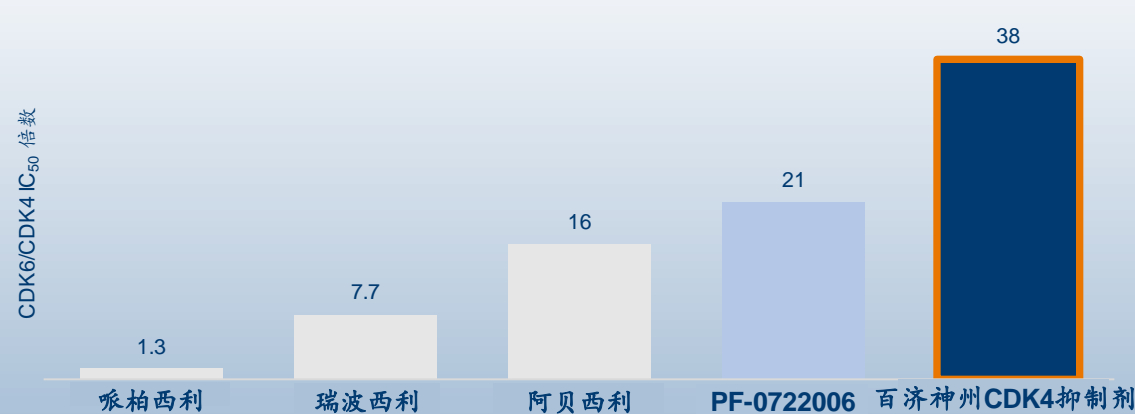
百济神州
CDK4抑制剂

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



PF-07220060是来自拜耳的CDK4抑制剂；*在Jeko-1中通过pRB测定CDK4细胞IC₅₀；在敲除CDK4基因的Pfeiffer中通过pRB测定CDK6细胞IC₅₀

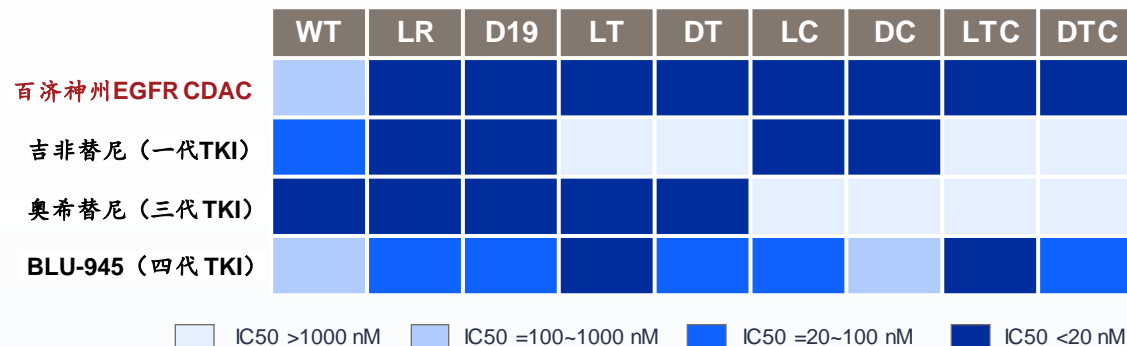
与Ensem Therapeutics合作推进CDK2抑制剂的开发：2023年预付款3,000万美元、辅助费用185万美元，预计2024年第1季度美国IND批准后支付里程碑付款1,000万美元

EGFR CDAC

真正具有差异化的作用机制，实现EGFR信号完全抑制

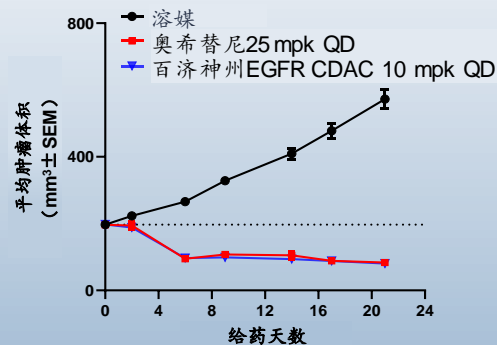
- EGFR突变型NSCLC是一个庞大的致癌基因驱动亚组，预计同类药物峰值销售额为120亿美元
 - 约50%的亚洲肺腺癌患者以及15%的白种人肺腺癌患者*
- 新型、潜在同类最佳策略 - 降解
 - 广泛覆盖多种EGFR突变，破坏EGFR支架功能，产生持久的信号抑制作用
 - 当用于前期治疗线时，非冗余机制有望防止发生耐药
- 良好的临床前候选药物特征
 - 对奥希替尼敏感和耐药EGFR突变有效性较高
 - 不影响野生型EGFR，蛋白质组选择性良好
 - 每日口服给药表现出较强的有效性
- 计划于2024年进入临床阶段

在不影响野生型EGFR的同时，最广泛覆盖多种EGFR突变

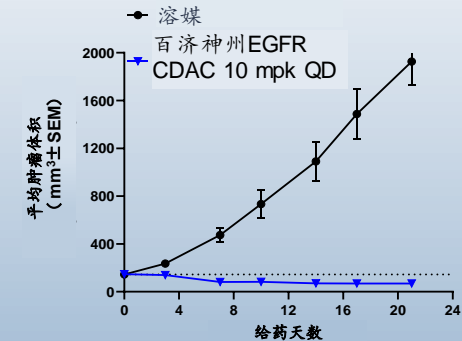


在奥希替尼敏感和耐药异种移植模型中具有较高的有效性

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 Thorac Dis. 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

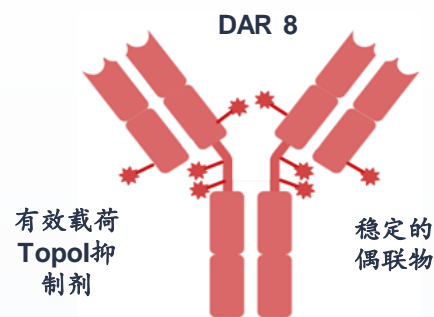
- 靶点在上消化道肿瘤中经过临床验证，在乳腺癌领域有额外机会
 - 约24%的胃癌患者呈FGFR2b阳性 (IHC 2+/3+) ¹
 - 贝玛妥珠单抗联合化疗显示出良好的有效性
 - 有望提高有效性，同时降低眼毒性*
- 具有差异化抗体骨架的潜在同类首创ADC，可降低毒性
 - 肿瘤靶向毒素递送
 - 具有旁观者效应，可解决肿瘤异质性问题
 - 配体阻断作用较弱，不会产生靶向角膜毒性
- 计划于**2024年**进入临床阶段

¹ 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

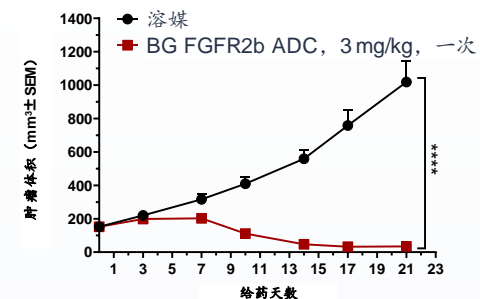
*贝玛妥珠单抗导致26%的患者因靶向角膜毒性而终止治疗

百济神州 FGFR2b ADC具有强效



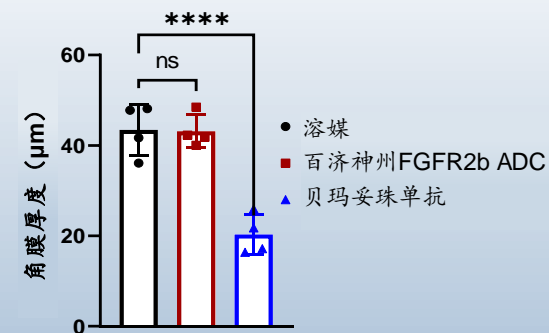
Topol, 拓扑异构酶I

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

全球自主和合作产品管线中的50余款产品

● 血液肿瘤 ● 实体瘤 ● 非肿瘤

临床1期

Sonrotoclax BCL2

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

BGB-16673 BTK CDAC

- B细胞恶性肿瘤

BGB-21447 新一代BCL2

- B细胞恶性肿瘤

BGB-A445 OX40

- 实体瘤

Surzebiclimab TIM3

- 实体瘤

BGB-15025/26808 HPK1

- 15025 - 实体瘤
- 26808 - 实体瘤

BGB-B167 CEA x 41BB

- 结直肠癌、非小细胞肺癌、胃癌

BGB-30813 DGKζ

- 实体瘤

BGB-A3055 CCR8

- 实体瘤

BGB-24714 SMAC类似物

- 实体瘤

BGB-10188 PI3Kδ

- 实体瘤

BGB-43395 CDK4

- 乳腺癌和实体瘤

Zanidatamab¹ HER2双抗

- 1L 转移性乳腺癌/胃癌

Xaluritamig² STEAP1 x CD3

- 转移性去势抵抗性前列腺癌 (正在启动)

AMG 176² MUC1

- 血液恶性肿瘤

临床2期

泽布替尼 BTK

- B细胞淋巴瘤
- CD79B复发/难治性DLBCL
- 狼疮肾炎

Sonrotoclax BCL2

- 复发/难治性MCL
- 复发/难治性CLL
- 复发/难治性WM

欧司珀利单抗 TIGIT

- 1L NSCLC

LBL-007³ LAG3

- 转移性微卫星稳定型结直肠癌
- 1L ESCC

BGB-A445 OX40

- 黑色素瘤、肾细胞癌、尿路上皮癌

伞式研究 多种

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

Zanidatamab¹ HER2双抗

- HER2+ 2L 胆道癌

临床3期

泽布替尼 BTK

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

Sonrotoclax BCL2

- 初治 CLL

替雷利珠单抗 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

- 2L MTx BRCA突变铂敏感卵巢癌

欧司珀利单抗 TIGIT

- 1L PDL1高表达 NSCLC

Zanidatamab¹ HER2双抗

- 1L HER2+胃食管腺癌

Tarlatamab² DLL3 x CD3

- 2L SCLC

已递交上市申请

泽布替尼 BTK

- 初治 CLL/SLL (日本)
- 复发/难治性 CLL/SLL (美国-PFS、日本)
- 复发/难治性 FL (美国、欧盟、中国)
- 初治 复发/难治性 WM (日本)

替雷利珠单抗 PD1

- 1L NSCLC (欧盟)
- 2/3L NSCLC (欧盟)
- 1L 鳞状 NSCLC (欧盟)
- 1L 广泛期 SCLC (中国)
- 1L 胃或胃食管结合部腺癌 (中国)
- 1L HCC (中国)
- 1L ESCC (美国)
- 2L ESCC (美国)

已获批上市

泽布替尼 BTK

- 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 FL (欧盟)
- 复发/难治性 MCL (美国、中国和其他)
- 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 PD1

- 1L 非鳞状 NSCLC (中国)
- 1L 鳞状 NSCLC (中国)
- 2/3L NSCLC (中国)
- 1L 胃癌 (中国)
- 2/3L 肝细胞癌 (中国)
- 1L ESCC (中国)
- 2L ESCC (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/错配修复缺陷实体瘤 (中国)
- 复发/难治性cHL (中国)

帕米帕利 PARP

- 2L gBRCA突变卵巢癌 (中国)

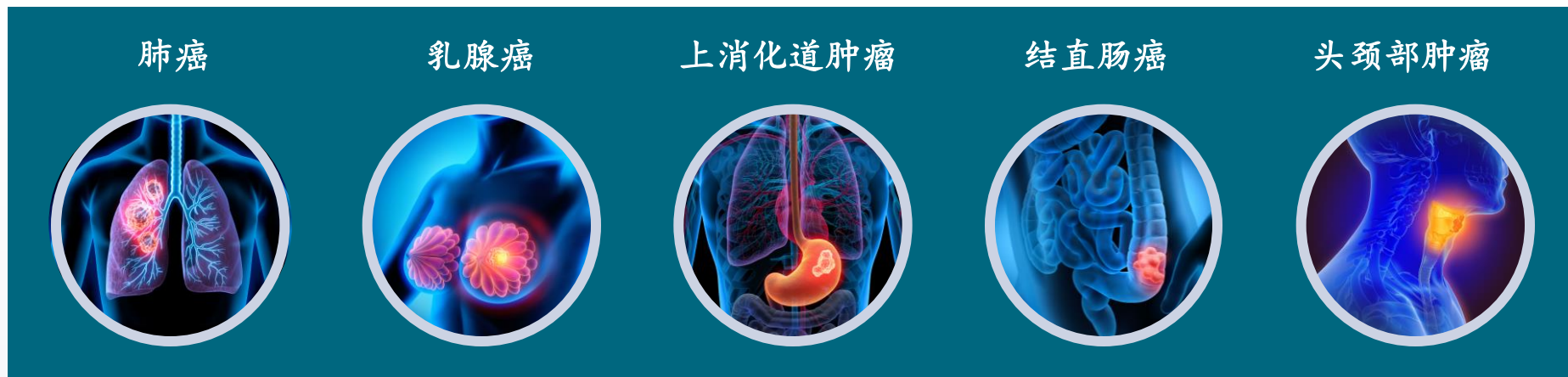
已递交上市申请包括部分已被受理的上市申请递交:

*达到主要终点

- 1.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
- 2.与安进合作, 百济神州拥有中国商业化权利
- 3.与南京维立志博合作, 百济神州拥有中国以外商业化权利

科学驱动，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

530亿美元

420亿美元

120亿美元

80亿美元

50亿美元



丰富的治疗分子类型

小分子

CDAC

单抗

ADC

双/三特异性抗体

mRNA

细胞治疗

未来核心项目

EGFR CDAC

CDK4抑制剂

FGFR2b ADC

泛KRAS抑制剂

PRMT5抑制剂



3

令人振奋和充满变革的2024年

- 阐明误解
- 已展现成本和时间优势
- 更加清晰的路径从消耗现金转变为产生现金
- 迅速转型为领先的肿瘤公司

存在的误解

地缘政治

成本结构

单一产品

法律诉讼

实力



- 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50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
- 提出授权后复审，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%

为实现增长和财务拐点奠定基础



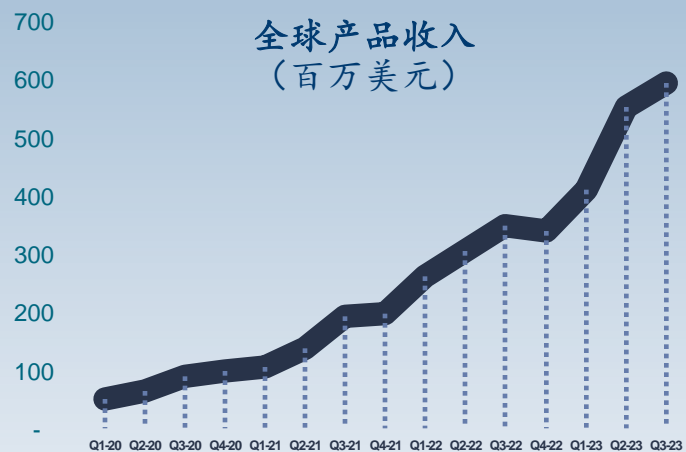
市场对百悦泽®的认可帮助推动了产品收入的大幅增长，实现了地域和产品的多元化组合

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

进入2024年，我们将继续推进我们下一波50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

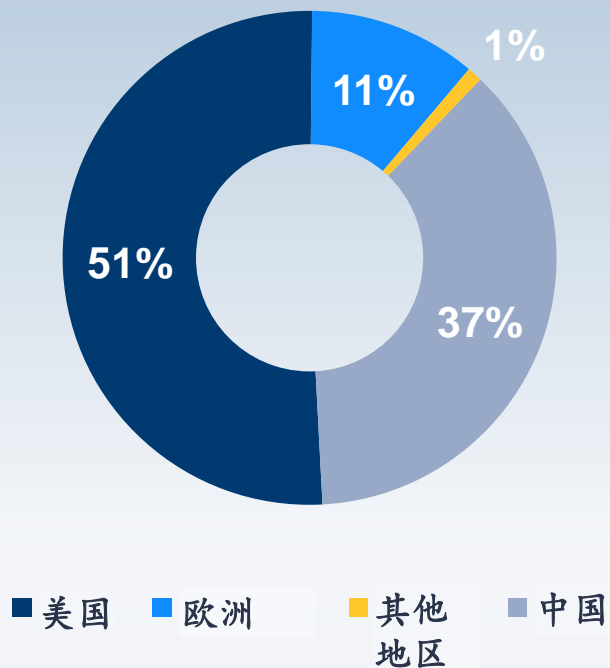


全球产品收入增长显著

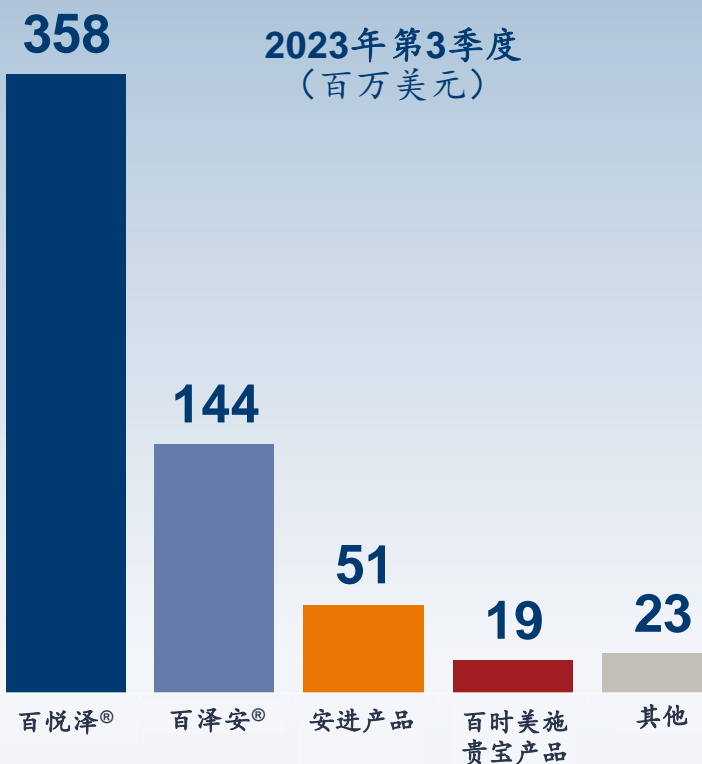
- 1年CAGR为70%
- 3年CAGR为87%

全球收入构成

按地区分2023年第3季度总收入



各产品收入



注：与安进的合作包括tarlatamab(DLL3)和xaluritamig(STEAP1)的中国权益和全球特许使用费

在现金创造方面取得实质性进展

毛利率 (%)



调整后的经营亏损¹



(1) 调整后的经营亏损是一种非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。本演示文稿的附录中列出了非GAAP衡量指标与GAAP衡量指标之间的调节信息。

扩大适应症并推动新的创新，助力2024年的增长

产品

百悦泽®

- 在美国获批用于治疗FL（根据《处方药使用者付费法案》，预计于2024第1季度）
- 继续在欧洲范围内扩大报销和准入范围

百泽安®

- 2024年上半年在欧盟获批用于一线和二线治疗 NSCLC
- 在美国获批用于二线治疗ESCC，和一线治疗ESCC（根据《处方药使用者付费法案》，预计于2024年7月）
- 2024年上半年在欧盟提交用于一线治疗ESCC和一线治疗胃癌的申请*

产品管线

Sonrotoclax

- 正在进行初治CLL患者的3期研究
- 启动复发/难治性CLL患者的3期研究
- 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

- 启动复发/难治性MCL和复发/难治性CLL患者的3期研究
- 正在进行复发/难治性MCL（有望成为关键性试验）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OX40、HPK1和LAG3联用治疗NSCLC患者的随机2期试验数据
- 与LAG3和TIM3联用治疗头颈部癌症患者的随机2期试验数据

早期临床开发

- 针对SMAC类似物、CCR8、DGK ζ 、CDK4的2期剂量确定
- 启动新的试验，包括4项ADC项目、EGFR-CDAC、PRMT5、泛KRAS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



1

致力于以不同的方式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



BeiGene

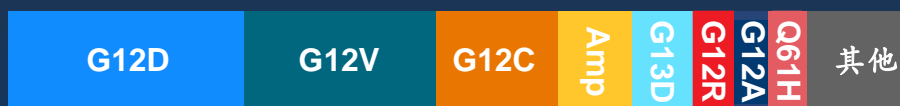
附录

泛KRAS抑制剂

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%**可见KRAS突变*
 - 20% ~ 25%的NSCLC；43%的结直肠癌；87%的胰腺腺癌
- 针对广泛的**KRAS**突变

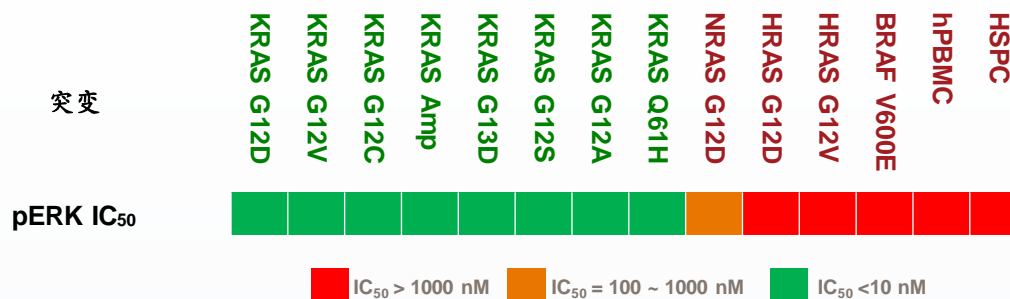
泛KRAS抑制剂



KRAS G12C抑制剂

- 具有**诱导型KRAS**敲除的成年小鼠表现正常且健康，表明对野生型KRAS抑制的风险较低
- 对不同**KRAS**突变具有很强的效力，对N/HRAS具有良好的选择性
- 按计划将于**2024年**进入临床阶段

在**KRAS**依赖性细胞系中具有强大的活性，而不影响**KRAS**非依赖性细胞

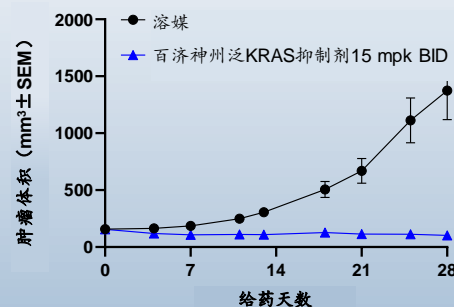


hPBMC: 人外周血单个核细胞; HSPC: 人造血干细胞/祖细胞

在**KRAS**驱动的异种移植模型中具有很强的抗肿瘤有效性

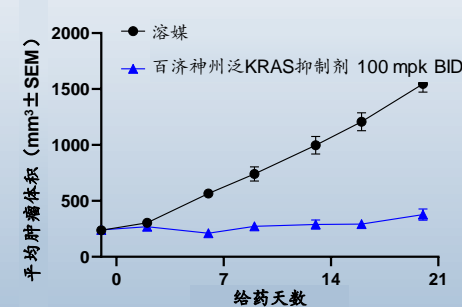
RKN CDX模型

(KRAS G12V驱动的平滑肌肉瘤模型)



SW1990 CDX模型

(KRAS G12D驱动的PDAC模型)

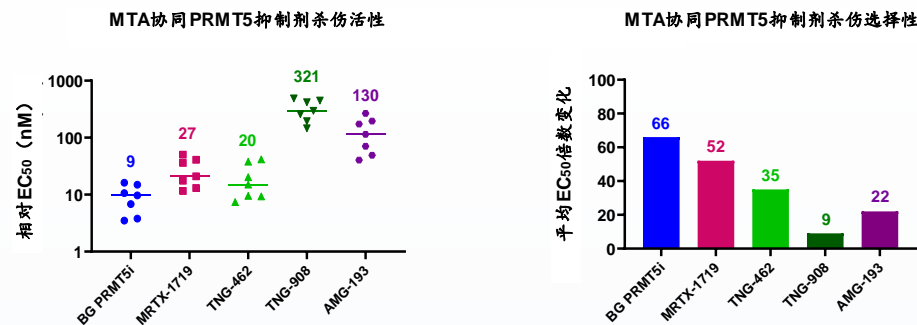


MTA协同PRMT5抑制剂

可避免血液毒性的第二代PRMT5抑制剂

- 第二代MTA协同PRMT5抑制剂选择性杀伤MTAP删失的肿瘤细胞，同时避免影响正常血液细胞
- **MTAP删失在所有肿瘤类型中发现率达15%***
 - 8%的肺腺癌，19%的肺鳞状细胞癌
 - 10%的胃腺癌
 - 28%的食管腺癌
- 出色的药理学特性
 - 对MTAP删失的细胞具有较高的效力和选择性
 - 具有血脑屏障穿透性，颅内有效性良好
 - 理想的半衰期可支持每日给药
- 按计划将于**2024年**进入临床阶段

在MTAP删失细胞中的效力强于主要竞品药物



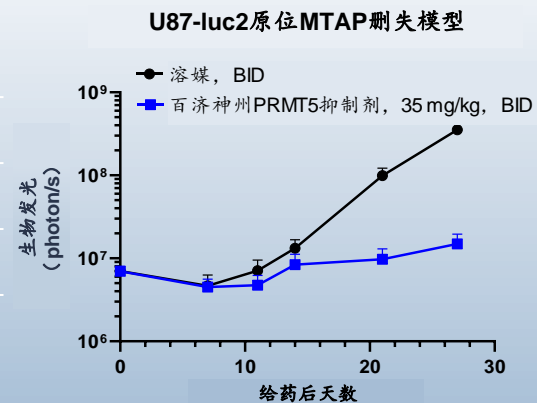
“肿瘤细胞”图中的不同点表示不同的肿瘤细胞系

7个MTAP删失和2个MTAP野生细胞系中细胞杀伤的平均EC₅₀倍数变化

血脑屏障穿透性高于大多数主要竞品药物，且颅内有效性良好

	Kp _{uu} , 脑 (小鼠)
百济神州PRMT5抑制剂	18%
AMG-193	17.1%
TNG-908	6.8%

MRTX-1719和TNG-462报告为非脑穿透性



B7-H3 ADC

具备同类最佳潜力、DAR8稳定、旁观者效应强

- 在包括肺癌、胃肠道癌、头颈部癌以及妇科肿瘤在内的多种肿瘤类型中高表达*

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

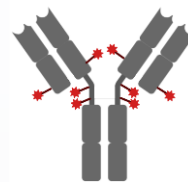
- DS-7300在小细胞肺癌患者中进行了临床验证
- 具备同类最佳潜力的差异化药物设计
 - 高DAR (DAR8) 可增强有效载荷递送
 - 强旁观者效应的专用药物连接子可解决肿瘤异质性问题
 - 稳定的偶联物可提高稳定性及与肿瘤的联接
- 计划于2024年进入临床阶段

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

LUSC: 肺鳞状细胞癌; LUAD: 肺腺癌; ESCC: 食道鳞癌; 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由第一三共开发, 是B7-H3 ADC的主要竞品

百济神州 B7-H3 ADC: 差异化分子设计

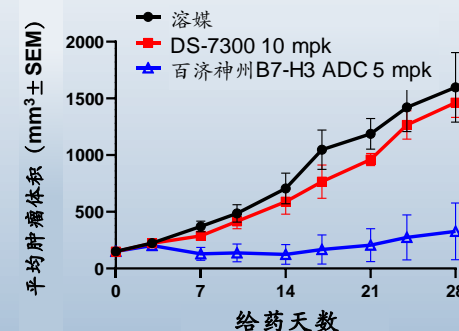
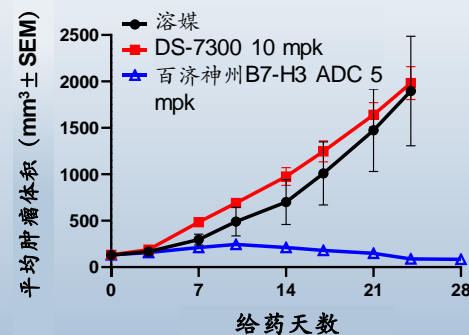
百济神州
B7-H3 ADC



参数	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	Topo1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

Topo1, 拓扑异构酶I

在DS-7300耐药PDX模型中的稳健有效性



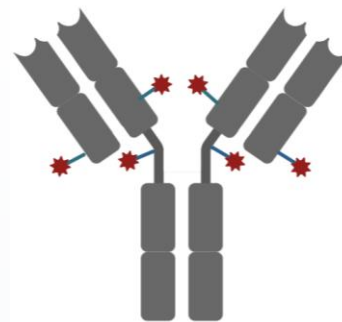
以主要竞品生物类似物作为基准

B7-H4 ADC

增强乳腺癌和妇科癌症ADC产品管线的重要资产

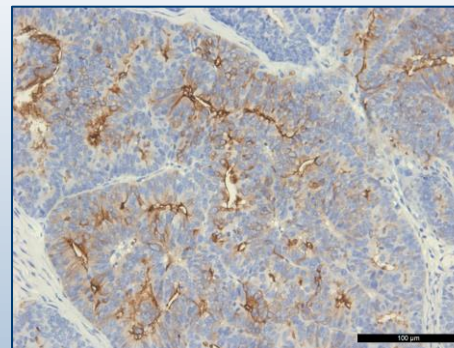
- 具有吸引力的ADC靶点，在乳腺癌和妇科癌症中广泛表达
 - 三阴性乳腺癌中约45%
 - 子宫内膜癌中约60%
 - 卵巢癌中约50%
- 成功开发的良机
 - 采用HS-20089和SGN-B7H4V在乳腺癌患者中进行早期临床POC
 - 利用经临床验证的映恩生物的ADC平台技术实现稳健的ADC设计
 - 在PDX模型中具有较强的杀伤活性和良好的有效性
- 计划于2024年上半年进入临床阶段

百济神州 B7-H4 ADC分子设计

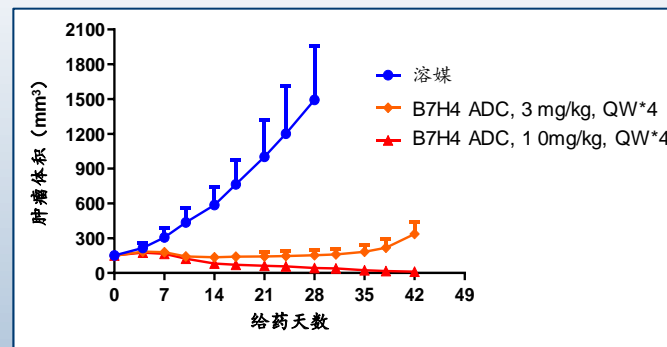


- 经临床验证的药物连接子设计
- 非Pgp底物有效载荷
- 强大旁观者效应
- DAR6可平衡有效性和毒性

在B7-H4低/异质性PDX模型中表现出稳健的有效性



子宫内膜癌
(IHC 2+)



非GAAP财务指标的调节与计算

调整后的经营亏损

(千美元)	截至2023年9月30日止 9个月	截至2022年9月30日止 9个月
GAAP 经营亏损	(823,941)	(1,321,043)
<i>对GAAP 经营亏损进行调节</i>		
加：股权激励	274,836	225,036
加：折旧费用	59,574	45,255
加：摊销费用	4,282	3,007
调整后的经营亏损	(485,249)	(1,047,745)



BeiGene