

A 股代码：688235

A 股简称：百济神州

港股代码：06160

港股简称：百济神州

美股代码：ONC

百济神州有限公司 投资者关系活动记录表

(2026 年 5 月)

投资者关系 活动类别	<input type="checkbox"/> 特定对象调研 <input type="checkbox"/> 媒体采访 <input type="checkbox"/> 新闻发布会 <input type="checkbox"/> 现场参观 <input type="checkbox"/> 其他（电话会议） <input type="checkbox"/> 分析师会议 <input checked="" type="checkbox"/> 业绩说明会 <input type="checkbox"/> 路演活动 <input type="checkbox"/> 一对一沟通
参与单位 及人员	AJ Asset Management、Ashler Capital、ATG Healthcare Investments AG、Barings、Bellevue、Bernstein、Casdin、Chaos Investment、Citadel、Everbright PGIM Fund、Everwin Asset、Favus Institutional Research, LLC、FENIX Group International、FIL、FMR、Fountaincap、Gaoyi Asset、Goldennest Capital、Greenwoods、Guggenheim Partners、Healthinvest、HHF Partners、Invus、Jennison、Longaeva、Longaeva Partners、Meridian Capital Group、Nuveen、Pinebridge、Point72 Asset Management、Polymer Capital、Prescient、Prescient Healthcare Group、Rosefinch Fund、Santa Rosa Capital、Seven Fleet Capital、Sio Capital、Sirenica Capital、Surveyor Capital、T. Rowe Price、Temasek、Trails Edge、Unicorn Capital、Vestal Point、White Oaks Capital、Woodline、丹羿投资、国泰基金、国证资管、浦银安盛基金、上海九祥资产管理有限公司、上海世诚投资、慎知资产、太平基金、招商基金、中金公司等。
时间	2026 年 5 月 6 日
地点	电话会议
接待人员	公司联合创始人、董事长兼首席执行官：欧雷强 公司总裁兼首席运营官：吴晓滨博士 公司总裁、全球研发负责人：汪来博士

	<p>公司首席财务官：Aaron Rosenberg</p> <p>公司北美地区总经理：Matt Shaulis</p> <p>公司血液肿瘤首席医学官：Amit Agarwal</p> <p>公司实体肿瘤首席医学官：Mark Lanasa</p>
<p>投资者关系 活动主要内容介绍</p>	<p>公司联合创始人、董事长兼首席执行官欧雷强概述业务最新进展：</p> <p>2026年公司开局势头强劲，第一季度业务执行出色，为全年发展奠定良好基础。财务层面，公司实现了显著的产品收入增长以及美国公认会计原则（GAAP）下每股美国存托股份（ADS）收益。上述业绩成果增强了我们的信心，因此公司将2026财年指引的总收入项目上调了1亿美元，详情将由CFO Aaron稍后介绍。以百悦泽®、百悦达®和BTK CDAC为核心的基石性血液肿瘤业务板块正在快速推进，近期有望迎来适应症获批、产品上市和关键性试验里程碑节点。公司血液肿瘤业务板块和实体瘤研发管线的多项成果已入选美国临床肿瘤学会（ASCO）和欧洲血液学协会（EHA）年会，累计入选60多篇摘要。我们将在ASCO年会上公布三项具有潜力的、即将进入后期临床试验阶段的实体瘤项目概念验证数据，具体进展由汪来后续详细介绍。</p> <p>下面首先重点介绍百悦泽®在商业和临床方面取得的卓越进展，该药已稳固确立其作为基石性BTK抑制剂的地位。百悦泽®在不断增长的BTK市场中持续成为该治疗领域的全球营收领导者，一季度销售额达11亿美元，同比增幅38%，在所有已获批的市场和适应症领域均展现出强劲市场表现。百悦泽®已积累规模庞大、高度一致性且持续扩展的临床研究和真实世界证据，大幅提升了慢性淋巴细胞白血病（CLL）的临床治疗标准。我们相信，只有百悦泽®为患者与临床医生提供了符合预期且满足需求的长期临床获益结局。</p> <p>自研发之初，百悦泽®便以实现同类最佳、全天候持续BTK抑制为设计目标。我们的研究假设是，实现完全且持续的BTK抑制将带来更优的治疗获益特征——这一点已在过去7年里得到了印证，我将在接下来的几张幻灯片中展开阐述。</p> <p>在2025年美国血液学会（ASH）年会上，百悦泽®确立了一线CLL治</p>

疗的新标准，其6年无进展生存期为74%，总生存期为84%。经COVID因素调整后，PFS为77%，OS为87%。

CLL是一种惰性疾病，诚然，各种药物在前三年的治疗效果数据看起来颇为相似，然而，对患者而言，真正至关重要的，是三年之后的长期结局。因此，本幻灯片基于散点图展开分析，聚焦一线CLL各项3期试验中，第3至第6年的里程碑无进展生存期数据。左侧展示了百悦泽®和其他两款持续用药型BTK抑制剂的对比数据。尽管存在跨试验比较的局限性，但百悦泽®早期的PFS率更高，且随时间推移差异持续扩大。在第6年，这一差异达到12%，相当于每8名患者中就有1名未发生疾病进展。图示右侧可见，百悦泽®的PFS与例如维奈克拉+奥妥珠单抗（VO）等固定疗程方案之间存在更为显著的差异。在第6年，PFS差异为21%，约等于每5名患者中有1名获益。在占CLL患者主体的未突变人群中，持续使用百悦泽®的PFS相较于VO方案的差异为27%，相当于入组患者中逾四分之一可避免疾病进展。阿可替尼+维奈克拉（AV）方案目前尚无完整的长期里程碑无进展生存期数据，暂无法在本图表中完整呈现，但需要指出，尽管AMPLIFY研究纳入的是更年轻、体能状况更好的受试者人群（中位年龄61岁，而SEQUOIA为70岁），其3年PFS仍是所有治疗方案中最低的。AMPLIFY最近一次数据截止日期为2024年4月30日——距今已超过两年——尽管后续随访数据显然已经存在，但至今尚未披露进一步的随访结果。

百悦泽®是唯一在头对头试验中，有效性优于伊布替尼的BTK抑制剂。本页展示了百悦泽®和其他BTK抑制剂在各自与伊布替尼的头对头试验中，用于治疗复发/难治性且未接受过BTK治疗的CLL患者的Kaplan-Meier生存曲线。百悦泽®表现出优效性，风险比为0.69，p值为0.001。当我们向CLL领域专家公布这些数据的初步、早期分析结果时，业界普遍的反馈是“本病属于惰性疾病，需要更长时间的随访数据。”这背后有一个重要的科学原因。伊布替尼存在已知的耐受性问题，可能会影响患者在初始治疗阶段的持续用药依从性。在Elevate RR研究中，阿可替尼的PFS曲线相较于伊布替尼在早期即出现分离，但这种早期分离并未持续。

如中间图中所示，阿可替尼的曲线在大约33个月时与伊布替尼交叉，数值上反而劣于伊布替尼，报告的风险比为1。而且，尽管早期的曲线分离是一个令人鼓舞的信号，但CLL处方医生仍希望看到更长随访下的持续曲线分离，才能最终认可其临床价值。可以看到，在ALPINE研究中，百悦泽®恰恰显示出这种持续的曲线分离。该研究数据公布之后，百悦泽®进入全临床应用。匹妥布替尼的随访周期仅为较短的18个月，其与伊布替尼相比的早期曲线分离程度最弱，风险比为0.845，p值为0.4102。CLL领域需更长期的匹妥布替尼随访数据，但从现有曲线趋势来看，该药物想要在无进展生存期上取得统计学优效性结果或将面临较大挑战。

匹妥布替尼耐受性表现如何？匹妥布替尼自称为第三代BTK抑制剂，业界原本预期其耐受性会优于第二代共价BTK抑制剂。但实际在BRUIN-314研究中，匹妥布替尼因不良事件导致停药的事件数多于伊布替尼。这一点很重要，因为这可能对老年患者等特定人群的临床用药产生影响。值得注意的是，在针对一线CLL的BRUIN-313研究中，随机分入匹妥布替尼组的患者平均年龄为65岁，比第二代共价BTK抑制剂对应的一线试验入组患者年轻约5岁。综上所述，匹妥布替尼随访时间有限、在有效性或耐受性上相较伊布替尼无差异化优势，且其机制初衷仅针对共价BTK抑制剂耐药人群，以上因素均不支持将其向前线治疗推进。

百悦泽®的完整证据体系仍在不断丰富，始终印证其为基石性、同类最佳的BTK抑制剂。上个季度，公司重点介绍了三项已发表的研究，结果证实百悦泽®在有效性和安全性方面均优于现有固定疗程方案，包括VO、IV和AV方案。在ASCO年会上，我们将公布超58,000例真实世界患者数据集的新证据，每一项数据均印证了百悦泽®具有显著的真实世界获益。

在百悦泽®持续巩固其BTK基石性治疗药物地位的同时，公司正积极布局，依托新一代基石性BCL2抑制剂百悦达®重新定义固定疗程治疗格局。通过精准设计，百悦达®比维奈克拉效力强14倍、选择性高6倍，同时大幅缩短半衰期以最大程度减少药物蓄积风险。凭借这一差异化特质，其剂量爬坡方案可更为简便，无需像第一代药物那样开展繁琐的监测。

目前，针对该优化剂量爬坡方案的临床试验进展顺利。百悦达®的首次获批适应症为单药治疗，但其真正的变革性潜力在于与百悦泽®的联合用药。

百悦泽®和百悦达®联合用药的临床数据表现亮眼、前景可期。如所示的101试验中，ZS方案显示出超过90%的不可检测微小残留病（uMRD）率，无进展生存期曲线表现出极佳的平稳态势，且整体安全性特征良好。反观右侧AV方案，即便入组人群体质更佳、年龄更小，其MRD阴性率也仅有34%，相较之下ZS方案优势显著。我们期待在ASCO年会上分享该研究的更新数据。随着四项3期研究的推进，ZS联合方案有望改写一线CLL的治疗模式，并助力公司进入我们目前尚未涉足的半数市场。

最后，我想重点介绍公司BTK CDAC的进展，这将为经其他治疗后出现疾病进展的患者带来全新潜在治疗选择。公司的BTK CDAC是同类首创，可实现BTK完全降解，并且在BTK突变覆盖方面具有明显的机制优势。在2025年ASH年会上展示的数据显示，该药在既往接受过多线治疗患者中具有显著的有效性，其中包括对共价和非共价BTK抑制剂产生耐药性突变的患者。在1/2期研究中，接受推荐剂量200 mg患者的总缓解率高达94.4%，且缓解随着时间的推移持续加深。基于该药物强大的有效性和良好的安全性特征，公司正在推进一项布局广泛的临床开发计划，其中多项3期试验均已顺利开展。公司预期，将于今年下半年在美国递交用于复发/难治性CLL的加速批准申请。

总而言之，公司血液肿瘤核心业务板块正迎来前所未有的强劲发展态势。百悦泽®正在推动全球收入持续增长，百悦达®有望为固定疗程治疗提供新的治疗选择，而公司的BTK CDAC正在推动CLL领域的新一轮创新。放眼行业，只有百济神州独具优势，能够为疾病不同阶段的每一位CLL患者提供同类最佳的疗法。

公司对今年的ASCO和EHA年会满怀期待，届时公司将重点展示血液学领域的基石性核心药物以及实体瘤产品组合中的三款潜力新锐在研药物，相关详细进展稍后由汪来总裁进行介绍。我的分享告一段落，接下来交由首席财务官Aaron，为各位介绍财务最新情况。

公司首席财务官Aaron Rosenberg介绍公司财务业绩及2026年指引：

2026年第一季度，公司产品组合发展势头持续强劲。本季度产品收入达到15亿美元，同比增长34%。百悦泽®全球收入总计11亿美元，在所有获批市场和适应症中均保持强劲增长与良好市场表现。百悦泽®第一季度美国市场销售额为7.61亿美元，主要得益于销量相较于2025年第一季度增长约28%。美国市场价格同比实现了中个位数增长，并且本季度存在约2000万美元的非经常性价格总额至净额的有利调整。排除这些项目，我们仍预计2026年的定价将保持相对稳定，与此前所述一致。第一季度的业绩反映了整个BTK抑制剂品类中典型的季节性特征，包括库存波动及本季度发货周数减少一周等因素。本季度业务表现符合公司预计范围，且3月需求呈现持续向好态势，这一势头也延续到了4月。公司对今年在美国的业绩表现充满信心，本次上调全年营收指引亦充分体现这一判断。与此同时，百泽安®销售额增长20%，在中国竞争加剧的环境下依旧稳居行业领先地位。我们满意地看到药物上市带来的贡献，百泽安®约半数营收增量来自中国以外的市场。公司授权引进及其他产品同样表现出持续的强劲势头，同比增长27%，其中公司从安进授权引进的产品组合表现强劲。安加维®本季度业绩延续亮眼表现，收入达9000万美元。值得注意的是，几家生物类似药公司在4月份提交了新药上市申请，预计安加维®或将面临更为激烈的市场竞争。我们对百悦达®在市场上的初期反响感到满意。百悦达®是一款基石性的新一代BCL2 抑制剂，已在中国获得批准用于BTK抑制剂后治疗CLL/SLL和R/R MCL。

公司在全球各区域市场均保持稳健的执行力。美国仍然是公司最大的市场，创造了7.66亿美元的收入，同比增长36%。中国区收入总计4.65亿美元，与2025年第一季度相比增长17%，其中5%的增幅由汇率因素影响。百泽安®和百悦泽®销售表现依旧稳健，持续维持市场领先地位。欧洲市场营收1.91亿美元，增长率为64%。由于欧元同比走强，汇率因素贡献了约11%的增幅。公司将继续在欧洲所有主要市场推动百悦泽®需求的

增长。鉴于百悦泽®在各类患者人群中差异化的长期数据，品牌市场份额仍有充足提升空间。虽然AV联合方案尚未获得大范围医保准入，但BCL2/BTKi固定疗程治疗已在部分早期市场逐步获得临床推广。正如此前沟通所述，由于维奈克拉联合伊布替尼治疗早已在当地上市应用，因此欧洲市场在这类固定疗程治疗领域的发展更为成熟。百悦泽®针对各类风险分层患者的有效性与长期获益数据已十分明确，特别是对于庞大的未突变人群，有望支撑业务持续增长。其他地区市场增长了104%，这得益于在日本和巴西等关键区域的市场拓展和新产品上市。

下面介绍公司GAAP损益表的其他组成部分。毛利率从上一年约85%提高到89%。这一增长主要受益于产品结构优化、定价利好及成本管控效率提升。经营费用增长了16%，总计11亿美元，主要系公司持续投入支持商业增长并快速推进创新管线研发。销售及管理费用（SG&A）与研发（R&D）之间的增长权重预计将在年内趋于正常，两项费用增速将趋近于全年营收指引所对应的整体运营费用增速。经营利润总计2.5亿美元，较上年同期的1100万美元有所增加。第一季度的所得税费用总计3200万美元，主要为特定地区的现金税支出。综合来看，公司净利润为2.27亿美元，GAAP稀释后每股ADS收益为1.96美元。

公司非GAAP损益表包括对典型项目的调整，完整的调节信息见第一季度投资者关系演示材料附录。第一季度经调整经营利润总计4.14亿美元，上年同期为1.39亿美元。第一季度经调整净利润为3.75亿美元，折合稀释后经调整每股ADS收益为3.24美元。公司第一季度自由现金流为1.61亿美元，比去年同期增加1.73亿美元。需要注意的是，由于营运资本季节性波动影响，第一季度的经营和自由现金流通常处于年内相对低位。

现在介绍公司2026年的最新财务指引。目前美国市场需求增长强劲、净定价水平保持相对稳定，公司对此感到满意。预计所有市场均将实现增长，全球市场的持续拓展也将进一步贡献增量。公司预计，百赫安®和百悦达®的上市将在2026年全年实现初步小幅营收贡献。公司的业绩指引充分考量了所有当前和预期的市场竞争格局变化。鉴于第一季度的业绩和对近期趋势的评估，公司现在预计2026年的收入将在63亿至65亿美元

之间，全年营收预期区间上调1亿美元。GAAP毛利率预计将位于80%区间的高位，其中包括产品组合以及去年实施的改进措施所带来的全年效率提升的影响。GAAP经营费用的预期保持不变，仍在47亿至49亿美元之间。伴随营收预期上调，GAAP经营利润估计更新为7.5亿至8.5亿美元，非GAAP经营利润也随之相应改变。总而言之，公司对2026年的开局感到满意，对全年整体经营走势保持充足信心。

接下来，交由汪来先生继续发言。

公司总裁、全球研发负责人汪来博士介绍公司研发及管线进展：

这张幻灯片重点展示百济神州管线的近期研发进展。在血液肿瘤领域，百悦泽®针对初治套细胞淋巴瘤的MANGROVE 3期研究按计划进展顺利，预计将于下个月公布中期PFS结果，有望为该领域带来首个无化疗治疗方案。百悦达®即将迎来关键里程碑，美国PDUFA的审评决定预计将于近期揭晓，以及已在欧盟递交上市申请并获纳入ESMO指南。公司BTK CDAC项目持续稳步推进，针对复发/难治性CLL和WM的潜在关键性2期项目正在开展；与匹妥布替尼的头对头3期研究有望在2027年初完成入组。在实体瘤领域，百泽安®用于治疗HER2阳性胃癌适应症已获得美国优先审评资格。与此同时，CDK4抑制剂的首个3期临床研究中心已启动，GPC3×4-1BB双特异性抗体正在一项潜在的关键性HCC研究中进行招募受试者。此外，公司获得了一款新型PD-1×VEGF×CTLA-4三特异性抗体的独家选择权，该药物预计于6月进入临床阶段。在免疫治疗领域，公司基于数据做出了终止IRAK4类风湿关节炎适应症研发的决定，而BTK CDAC CSU 2期研究，将按计划于年底启动。

刚才向各位展示的各项进展，反映了公司构建管线时的审慎思路。我们的研发战略始于专注，精选少数有能力做到行业领先的疾病领域，继而深度布局，而不仅仅局限于单一产品。支撑这一战略布局的是公司内部的技术平台，涵盖了CDAC、新型有效载荷ADC、细胞疗法以及T细胞衔接器等前沿技术平台。公司不局限于单一的靶点或技术平台，而是将合适的生物学机制与正确的分子类型进行系统性匹配，构建具备深度

且可持续发展的管线。

公司的创新步伐已明显加速。2011年至2020年间，公司累计推进了11个新分子实体（NME），依托百悦泽®和百泽安®等资产奠定了基础。2021年至2023年，公司再新增10个NME，展示了持续的研发产出和执行力。在过去两年中，这一势头再次增强，在小分子、CDAC、ADC以及双特异性和三特异性抗体领域共推进18个NME进入临床阶段，反映了公司内部技术平台已趋于成熟。展望未来，我们预计从2026年起，每年将保持大约8到10个NME的产出节奏。百济神州的创新能力正在加速提升、体系化布局成型，并具备规模化发展的坚实基础。

随着创新引擎持续提速，公司已打造出布局广泛且高度聚焦的管线。在关键疾病领域，公司已实现深度布局，在同一适应症内拥有多种机制和治疗模式。这种布局意义重大，为公司利用自主产品组合开发独家联合疗法创造了独特机遇，而无需依赖外部资产，进而提升投资回报率。

2026年将成为公司实体瘤产品组合真正的转折之年。经过数年审慎的布局，公司现已迎来新一批项目向注册申报推进。在乳腺癌领域，CDK4抑制剂正在大型、成熟的环境下进入后期开发，而B7-H4 ADC也持续取得积极进展，在妇科肿瘤与乳腺癌领域展现出令人鼓舞的信号。在肝癌领域，GPC3×4-1BB双特异性抗体代表了精准的同类首创疗法，专注于HCC适应症，目前潜在的关键性临床试验正在积极招募患者。PRMT5抑制剂也在稳步推进，该药物已在一线治疗环境下进行评估，凸显了其在更早线治疗中的潜在应用价值。最后，基于亮眼的早期数据，公司正计划为CEA ADC启动关键性临床试验，进一步加强实体瘤产品组合布局。综上所述，公司的实体瘤管线正清晰地从早期潜力阶段迈向后期执行阶段，多个项目持续朝着关键后期里程碑稳步迈进。

我们重点介绍的多个项目都聚焦于患者人群多、已存在较多研究的癌症，例如CDK4在乳腺癌中的应用，但肝细胞癌领域的潜在机遇仍未获得足够重视。正如我们在JPM大会上所言，肿瘤治疗领域仍有大量待突破的难题，HCC就是典型代表。HCC为全球第6大常见癌症，同时是癌症死亡的第3大原因，其五年生存率远低于许多其他主要癌症。在这一领域，

一款具备真正差异化、有望改写临床治疗格局的创新疗法，不仅能显著改善患者预后，更可进一步扩大已达数十亿美元规模的市场。

上述在HCC领域存在的未满足医疗需求，不仅需要创新，还需要迫切的执行力。公司的同类首创项目GPC3×4-1BB，正是我们前所未有的临床执行能力的有力体现。从首次人体给药推进到在潜在的注册性研究完成首例患者入组，仅用时19个月，对于实体瘤的新型双特异性抗体而言，这一推进速度实属罕见。每个队列的剂量递增均在6周内完成。项目在20个月内招募了超过200名患者，其中包括超过45例接受百泽安®和贝伐珠单抗联合治疗的一线HCC患者，使我们在有临床意义的环境中积累了早期经验。与此同时，该项目已获得美国FDA快速通道资格和孤儿药资格认定。本页（2026年第一季度投资者关系演示材料第31页）底部是潜在关键性临床试验设计的简要视图，主要终点是IRC评估的ORR。

2026年的ASCO年会将是公司的重要时刻。公司有24篇摘要入选，包括三项口头报告，突显了公司管线的研发广度与强劲推进势头。您将看到我们关键项目的临床最新进展，包括我们的CDK4抑制剂、B7-H4 ADC以及GPC3×4-1BB双抗。诚邀各位参加6月1日举办的ASCO投资者沟通会，深入了解最新临床数据，以及公司对这些资产高度看好的核心逻辑。

百济神州坚持快速推进项目至临床概念验证阶段，仅将临床数据最优的项目推进至后期研发。从公司今年采取的行动中，可以清晰地了解到这套严谨的机制在整个产品组合中的应用。今年公司还将披露PRMT5和CEA ADC等项目的更多数据，而像ADAM9 ADC和KLRG1等新资产最近也已进入临床阶段。与此同时，基于已有数据，公司对CDK2抑制剂、EGFR CDAC、MAT2A抑制剂和泛KRAS抑制剂等项目做出了降低优先级别的决策，从而将资源重新分配给潜在影响最大的机会。这正是公司战略的设计初衷：快速完成概念验证，筛选最有潜力的候选药物，并集中加大投入以最大化患者的获益。

除了专注于内部突破，公司还通过选择性外部创新进一步加强管线布局。BON-110正是这一策略的典型代表，它代表了公司实体瘤产品组合的一款潜在IO核心药物。相较于PD-(L)1×VEGF双特异性抗体，这款

三特异性抗体增加了CTLA-4臂,使其有望实现更深、更持久的免疫激活。重要的是,这在我们整个管线内部创造了广阔的自研药物联合用药机会,包括ADC和基于4-1BB的项目。该项目有望在下个月进入临床。

前面已经介绍了大部分的里程碑事件,这里我再补充余下三项2026年关键催化剂。首先,我们预计今年早些时候启动百悦达®在2L+多发性骨髓瘤中的3期研究,将公司的BCL-2策略扩展到又一重要患者群体。其次,如果数据支持,公司预计在今年下半年为BTK CDAC用于治疗R/R CLL递交加速批准申请。最后,公司预计百泽安®将在美国获批用于一线HER2阳性胃癌,这标志着实体瘤领域一个有意义的监管里程碑。

公司联合创始人、董事长兼首席执行官欧雷强进行会议总结:

我们第一季度业绩强劲,为2026年奠定了稳健开局。公司各项优先事项执行顺畅,营收实现实质性增长,并上调了全年业绩指引。

与此同时,公司的研发管线也步入关键的执行阶段,在血液学领域拥有坚实的基础,而在实体瘤领域,随着项目推进至后期开发阶段,已显现出明显的转折点。

谨向我们服务的患者及家属、临床医生与业务伙伴,以及公司逾12,000名同事致以感谢,正是大家的专注投入与紧迫感,才有了如今的稳步进展。我们对公司发展势头倍感鼓舞,也对未来前行之路充满信心。

Q: 公司一直强调百悦泽®是唯一在ALPINE研究中对伊布替尼展现出优效性的BTK抑制剂,并在第10页幻灯片中也刚提到这一点。公司的竞争对手之一礼来在最近财报电话会议的材料中,也在强调其“纯剂量”表现,声称与伊布替尼相比,匹妥布替尼在初治患者中风险降低76%,在复发/难治性BTK初治患者中无进展生存期风险降低27%。所以想请教公司,能否解读一下这些数据的背景,并厘清这种明显的差异?

A: 首先明确一点:公司的表述是完全准确的,百悦泽®是唯一在头对头研究中证实了相较于伊布替尼具有优效性的BTK抑制剂。在说明匹妥布替尼相关说法存在的若干问题之前,先说明几项重要的研究实施原

则。

在开放性研究中，当进行两个治疗组间比较时，基于监管指导原则的行业标准做法是，应以独立审查委员会（IRC）评估的数据为准，而非依赖于研究者的评估。原因显而易见，研究者的评估可能会偏向于试验组而非对照组。此外，确保研究者和IRC的结果之间没有结论不一致也很重要。

第二点重要原则是对于要检验的各个亚组以及检验顺序，本应预先设定并分配alpha值。因此，所有结论都必须建立在已进行alpha分配、且预先设定的亚组基础之上，而不是基于探索性亚组。基于以上两点原则，来更具体地谈谈BRUIN-314研究相关的数据表述。大家可能在一些演示文稿中看到，该药物声称在治疗复发性疾病中，与伊布替尼相比，风险降低了约26%。但如果仔细看IRC的数据，你会发现两组之间只有两例不良事件的差异。匹妥布替尼组报告了48例事件，而伊布替尼组记录了50起事件。

因此，如果将该数据与研究者的评估的曲线进行比较，二者存在明显的不一致。这充分凸显了IRC曲线的重要性。现在，由于这里只有两例事件的差异，即使进行更长时间的随访，该对比达到统计学显著性的可能性也极低。特别是对于伊布替尼而言，在患者可耐受治疗的前提下，两例事件的差异难以通过时间推移达到统计学显著。我们在ELEVATE-RR研究中也看到了类似的情况。

再来看初治组，相关说法更值得商榷，因为这只是整个试验人群中占比非常小的亚组，而且根据《临床肿瘤学杂志（JCO）》刊载的论文，该亚组甚至没有被列入检验的层级中。也就是说，这并非预先设定的亚组。此外，即使在这个亚组中，从IRC评估结果来看，组间差异也不具备统计学显著性。最后，对于初治人群，鉴于BRUIN研究的随访时间极短，围绕长期安全性、治疗顺序以及相对于其他BTK抑制剂的总体获益等问题，目前仍存在疑问。

综上可以明确总结，基于所有现有数据，百悦泽®仍然是唯一具有明确优效性的BTK抑制剂。

Q: 关于百悦泽®的CELESTIAL-TN-CLL试验。我们此前预期会看到uMRD结果，但在本次演示文稿中并未披露。所以想了解这方面的最新进展。然后第二个问题是关于BTK CDAC。贵司设定的关键研发里程碑是什么？申请加速批准需要达到怎样的有效性门槛？

A: 关于 CELESTIAL 的 uMRD 问题,我先简单介绍一下这项研究的设计。提醒大家一下, CELESTIAL-301研究实际上有两个主要终点。一个是两组治疗结束时的uMRD, 另一个是无进展生存期, 也就是PFS。就本项研究而言, 无进展生存期是传统的监管终点, 也是公司提交申请的基础。

所以公司预计无进展生存期将是支持该方案获得监管批准的终点。uMRD目前尚未被监管机构接受作为注册终点, 但从科学研究角度仍然非常有意义, 同时从监管角度也有相关工作在推进。

因此, 在今年第三季度, 独立数据监察委员会 (IDMC) 将审查各组的uMRD数据, 判定是否达到统计学显著性。无论uMRD的结果如何, 公司都会在合适的时机对外披露, 并且研究将继续推进至PFS结果读出, 研究实施保持不变。

值得注意的是, 要证明与VO相比具有统计学意义, 是一个非常高的门槛。如果结果为阳性, CELESTIAL-301研究将是首个证实BTK抑制剂和BCL2抑制剂联合用药相较于VO方案具有uMRD优效性的研究。在以往的大型研究中, VO方案一直保持着最高的uMRD基准水平。

举个例子, 最近公布的CLL17试验数据显示, VO方案的uMRD率为73.3%, 而维奈克拉+伊布替尼 (VI) 方案的uMRD率为47.2%。即使两组的uMRD率相差25%, VO和VI方案的PFS曲线也基本重合。由此可以想见, 即使百悦泽®联合百悦达® (ZS) 方案的uMRD率与VO 的水平相当, 公司对其能展现出PFS获益的可能性依然感到非常乐观。基于这些数据以及公司迄今为止在索托克拉101研究中获得的数据, 公司仍然非常有信心达到PFS终点, 即使uMRD不具有统计学显著性。

此外, 公司还有一项正在进行的、与阿可替尼+维奈克拉 (AV) 方案头对头比较的3期研究, 公司认为, 根据目前的数据, 在MRD率方面,

该研究对uMRD的门槛显著低于VO。这两项试验中的任何一项都可以支持该方案在一线治疗领域的全球注册。因此，公司期待基于这两项研究，让ZS方案惠及患者。

最后快速回应一下BTK CDAC的问题。公司正在2期研究中入组复发/难治性患者。就基准而言，该领域标准仍在不断演进，取决于美国当前已获批、可获得的治疗方案选择。但可以肯定的是，结合本项研究以及使用匹妥布替尼作为单药治疗的研究，公司所关注的基准大约在50%到70%之间，具体数值取决于患者人群。

Q: 请公司介绍百悦泽®在欧洲的商业化进程。此外，关于BTK CDAC，公司计划今年年底递交复发/难治性CLL的上市申请，预计明年获批上市。公司能否谈谈这款药物上市初期的预期增长情况？

A: 众所周知，欧洲市场的新品上市和医保准入流程本身耗时较长。而且，相较于美国市场，公司在欧洲市场仍处于快速发展状态。公司对目前的情况感到非常鼓舞，但整体仍处在早期阶段，百悦泽®作为单药治疗，未来还有很大的增长空间。当然，百悦泽®与百悦达®联合疗法上市后将有望带来颠覆性的改变，在全球各个国家都具备巨大的市场潜力。

公司预计BTK CDAC的临床数据会非常亮眼，尤其要指出的是，在后线治疗中公司采取了与匹妥布替尼进行头对头比较的试验设计。公司预计BTK CDAC会在上市初期整体表现强劲，预计会出现典型的S形增长曲线，同时公司认为目前市场已有充分准备，公司对该款药物的前景充满信心。

BTK CDAC项目和百悦达®的优势在于可充分利用公司现有的基础设施，从而提升开发效率并带来显著的经济效益。所以，当多个项目共享同一临床专家群体时，这构成了重要的优势。

Q: BTK CDAC用于治疗慢性自发性荨麻疹（CSU）有望推进至2期，这是否意味着1b期研究的结果令人鼓舞？另外，能否解释一下IRAK4 CDAC针对类风湿关节炎（RA）适应症研究终止的原因。

A: 公司计划在年底前启动BTK CDAC项目针对CSU的2期研究，该决策是基于肿瘤适应症1期临床已取得的现有数据做出的。关于IRAK4

CDAC针对类风湿关节炎的研究，公司根据最新获得的数据，决定不再继续进行RA试验，公司正在分析数据并决定该项目的下一步计划。

Q：关于最近达成的交易，即BON-110：PD-1xVEGF-xCTLA-4三特异性抗体。能否分享更多关于这款产品的看法，特别是在当前PD-1xVEGF双特异性抗体不断涌现的情况，以及针对三特异性抗体是否有不同的策略？另外，Fc沉默设计虽然可以降低CTLA-4的毒性，但也可能削弱潜在的Treg耗竭作用，公司对此有何看法？

A：这款分子其设计初衷是同时阻断行业内已得到充分验证的通路。当然，市场上已经有PD-1和VEGF以及PD-1和CTLA-4的双特异性抗体，并且展示了临床活性。公司相信，通过增加CTLA-4臂，可以形成与当前生态系统中的双特异性抗体的潜在差异化优势。关于Fc功能沉默的设计，目的是试图缓解毒性隐患。根据大量数据，公司认为这种工程设计可在消除部分安全隐患的同时，仍能大部分保留其有效性。

Q：管理层提到对当前市场增长态势持乐观态度，同时也评估了近期行业趋势。能否进一步详细说明，是哪些驱动因素让公司对今年剩余时间的收入表现充满信心？再问一下关于净定价方面需要考虑的一些因素。公司此前提到定价具备稳定性，也想请管理层进一步展开说明：目前面临哪些阻力与成本压力，以及这些因素现阶段是否已基本纳入公司业绩指引当中。

A：公司看好当前经营局面以及全年业务布局。第一季度的业绩符合预期，但尤其让公司感到鼓舞的是美国市场在3月和4月的表现。

公司在发布上一版业绩指引时，就提到净定价水平整体保持相对稳定。结合目前各项合约谈判进展，公司对全年定价走势信心十足，对2026年剩余时间的定价前景保持乐观。一季度产生了约2,000万美元的非经常性净额，仅发生在一季度，公司预计其影响将贯穿全年。

整体来看，我们对公司当前业务基本面十分看好：美国市场根基稳固，全球各区域市场均表现强劲。欧洲市场业务实现高增长，中国市场持续稳健运营并保持行业领先地位。其他市场仍处于发展初期，一季度业务规模再度实现翻倍增长。整体业务布局态势良好。这也是公司上调

业绩指引、将全年收入区间上调1亿美元的信心来源。

Q: GPC3×4-1BB双特异性抗体针对肝细胞癌（HCC）的关键性临床试验的疗效终点标准是什么？另外，从长期来看，如何评估这款产品的整体市场潜力？包括HCC一线治疗以及其他机会。

A: 公司目前正与药监机构沟通，以确定该适应症的疗效标准。公司将于今年ASCO年会公布1期临床数据，相关摘要即将发布。同时公司也将在ASCO年会口头报告及投资者交流活动中披露更多更新数据。基于现有早期数据，公司对该候选药物的前景充满信心。

在联合替雷利珠单抗 + 贝伐珠单抗一线治疗HCC的临床试验中，目前已入组超 40例患者。早期临床结果令人鼓舞。公司期待该创新药物未来能惠及全球肝细胞癌患者。

Q: 公司能否介绍一下目前百悦达®在中国上市推进情况？此外，若百悦达®在美国获批，即便获批的适应症仅限于MCL，公司预期获批后市场竞争格局会如何演变？对百悦泽®乃至整个CLL市场可能造成什么影响？

A: 目前百悦达®上市开局表现十分亮眼。百悦达®于今年1月在中国获批，获批后仅8天便正式商业化上市。年初至今，国内已有超300家医院开始使用该药物开展患者治疗。而且，百悦达®也已被纳入中国临床肿瘤学会（CSCO）指南，用于一线CLL、二线CLL以及二线MCL。整体上市进展非常理想。目前来自医院端的初期临床反馈也十分积极。

百悦达®在美国上市准备工作的各项进展都令公司倍感鼓舞。正如此前所述，百悦达®的药效更强、选择性更高，且经过专门的药代动力学参数设计，具备高度差异化优势，疗效也更优。公司相信，上述优势将在其作为单药治疗获批的首个适应症中得到充分体现；而联合用药的临床数据，公司看来更具潜在颠覆性价值。

一款药物在正式商业化上市前，必须按流程完成各项审批环节，目前公司正稳步推进相关审批流程。与此同时，公司会将现有临床数据提交给全球各地的指南制定委员会，争取纳入相关诊疗指南。现有临床数据表现优异，有希望实现指南收录。基于现有数据，公司对百悦达®的前

	<p>景持乐观态度，认为其属于颠覆性创新药物，未来有望拓展至多个适应症领域。</p> <p>Q: 公司提到AV方案在部分市场势头渐起，是否指美国以外市场？此外，CDK4抑制剂将在ASCO公布数据，有哪些看点？届时疗效和缓解持续时间数据的成熟度如何？</p> <p>A: 公司此前提到该方案在某些国际市场已取得进展，在公司看来，其在美国尚未形成广泛影响力，公司难以精准追踪其具体表现。</p> <p>公司非常期待在ASCO年会上公布CDK4项目的更新数据。本次将公布约60例IV期疾病一线患者、联合来曲唑治疗的临床数据。数据将显示：公司的CDK4抑制剂在多个受试剂量组中均展现出较高的应答率，也为我们3期临床剂量选择提供了依据。</p> <p>同时公司还将披露早期但极具价值的临床数据：进食可改善胃肠道耐受性，带来明显获益。由于晚期乳腺癌一线治疗的预期无进展生存期超过两年，因此现阶段数据成熟度仍然偏低。即便如此，公司依然非常期待对外公布这批早期有效性与安全性数据。</p> <p>Q: 公司目前展现出非常强劲的经营杠杆效应，经营利润和净利润现已实现显著正增长。展望未来，管理层如何看待经营费用增速与收入增速之间的匹配关系，以及研发投入上的效率？</p> <p>A: 公司的研发管线潜力巨大，未来有望为患者带来极大临床获益。归根结底，这也是医药行业创造价值的核心所在。</p> <p>公司不提供长期业绩指引。公司在财务经营管理方面围绕两大目标展开。第一，公司无疑是一家成长型企业，这一点从公司业绩表现和业绩指引中得到充分体现。第二，公司致力于以可持续方式实现增长，关键在于持续提升经营杠杆。公司始终强调持续推进利润率的提升，并保持与当前业务机遇契合的稳健节奏。目前整体格局积极向好，公司完全有能力同时实现上述两大目标，并期待在业务运营中取得长足进展，从而实现长期愿景。</p>
附件清单 (如有)	无
日期	2026年5月6日

