

A 股代码：688235 A 股简称：百济神州 公告编号：2025-034

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

自愿披露关于索托克拉临床试验进展的公告

本公司董事会及全体董事保证本公告内容不存在任何虚假记载、误导性陈述或者重大遗漏，并对其内容的真实性、准确性和完整性依法承担法律责任。

重要内容提示：

1、百济神州有限公司（以下简称“公司”）公告在研 BCL2 抑制剂索托克拉用于治疗既往接受过布鲁顿氏酪氨酸激酶（BTK）抑制剂和抗 CD20 治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）成人患者的 1/2 期临床研究（BGB-11417-201）取得积极结果，并计划在即将召开的学术大会上公布全部数据。

2、临床试验结果能否支持药品递交上市申请、能否最终获得上市批准以及何时获得上市批准尚存在不确定性。敬请广大投资者注意潜在的投资风险，公司将按有关规定及时对后续进展情况履行信息披露义务。

一、药品基本情况

药品通用名：索托克拉片

剂型：片剂

注册分类：化学药品 1 类

索托克拉（Sonrotoclax）是一款新一代且具有同类最优潜力的在研 B 细胞淋巴瘤 2（BCL2）抑制剂，BCL2 是帮助肿瘤细胞存活的几种蛋白质之一。索托克拉类属 BH3 类似物，可模拟自然细胞死亡信号。实验室和早期药物开发研究结果表明，索托克拉是一种具有强效性和特异性的 BCL2 抑制剂，半衰期短且无蓄积。索托克拉在多种 B 细胞恶性肿瘤中表现出良好的临床活性。

二、临床试验进展情况

BGB-11417-201（NCT05471843）研究是一项全球、多中心、单臂、开放性 1/2 期临床研究。该研究已入组 125 例既往接受过 BTK 抑制剂和抗 CD20 治疗的套细胞淋巴瘤（MCL）成人患者。在研究的第 1 部分中，22 例患者每日接受 160 毫克或 320 毫克索托克拉治疗，以评估索托克拉的安全性和耐受性，并确定第 2 部分的推荐剂量。在研究的第 2 部分中，103 例患者入组接受索托克拉每日推荐剂量（320 毫克）治疗，以评估索托克拉的有效性和安全性。

该研究达到了由独立审查委员会（IRC）评估的总缓解率（ORR）主要终点，表明索托克拉用于治疗该患者群体取得具有临床意义的缓解。多个次要有效性终点，包括完全缓解率（CRR）、缓解持续时间（DOR）和无进展生存期（PFS）均呈现积极结果。该研究安全性特征总体耐受性良好，且毒性可控。

公司正在向美国食品药品监督管理局（FDA）及全球各地监管机构递交数据，以寻求对索托克拉在套细胞淋巴瘤（MCL）适应症的潜在批准。目前，索托克拉用于治疗套细胞淋巴瘤（MCL）和慢性淋巴细胞白血病（CLL）/小淋巴细胞淋巴瘤（SLL）患者的新药上市申请已获中国国家药品监督管理局（NMPA）药品审评中心（CDE）受理，并纳入优先审评审批程序，目前正在审评过程中。3

期确证性 CELESTIAL-RR MCL 研究（BGB-11417-302；NCT06742996）正在进行中，首例患者已于今年早些时候入组。此前美国食品药品监督管理局（FDA）已授予索托克拉“孤儿药”资格认定，用于治疗套细胞淋巴瘤（MCL）患者。

三、风险提示

由于生物医药行业具有研发周期长、投入大、风险高的特点，公司的药物产品需完成药物早期发现、临床前研究、临床开发、监管审查、生产、商业化推广等多个环节，容易受到一些不确定性因素的影响，包括但不限于公司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、药监部门审查流程对临床试验的启动、时间表和进展的影响、药物或新适应症上市许可申请技术审评及审批的进展、公司上市药物及候选药物（如能获批）获得商业成功的能力、公司获得和维护其药物和技术的知识产权的能力、公司依赖第三方进行药物开发、生产、商业化和其他服务的情况、公司取得监管审批和商业化药品的有限经验以及公司获得进一步的营运资金以完成候选药物开发和保持盈利的能力等。因此，临床试验结果能否支持药品上市申请、能否最终获得上市批准以及何时获批均具有不确定性，药品获批后能否最终实现商业目的也存在一定的不确定性。

敬请广大投资者注意潜在的投资风险，公司将按有关规定及时对后续进展情况履行信息披露义务。

特此公告。

百济神州有限公司董事会

2025 年 8 月 30 日