

证券代码：688759

证券简称：必贝特

## 广州必贝特医药股份有限公司

### 投资者关系活动记录表

编号：2026-001

投资者关系活动类别	<input checked="" type="checkbox"/> 特定对象调研 <input type="checkbox"/> 分析师会议 <input type="checkbox"/> 媒体采访 <input type="checkbox"/> 业绩说明会 <input type="checkbox"/> 新闻发布会 <input type="checkbox"/> 路演活动 <input type="checkbox"/> 现场参观 <input type="checkbox"/> 其他（_____）
参与单位名称	中信证券、富国基金、广发证券、国信证券、善思投资、信达澳亚、湘禾投资、华福证券、宏利基金、安信基金、国联基金、天风证券、平安资管、信达证券、谢诺辰阳、申万宏源、建信养老、泰康资产、鹏扬基金、南方基金、宝盈基金、西部证券、红土创新基金、华西基金、华源证券、光大证券
时间	2025年12月
地点	公司会议室、线上会议
上市公司接待人员信息	副总经理、首席科学家：刘新建 董事会秘书、财务负责人：张天翼
投资者关系活动主要内容介绍	<p>问题一：公司核心产品管线、最新临床进展及研发策略是什么？</p> <p>回答：公司秉持“小分子药物与小核酸（siRNA）药物”双轮驱动的研发策略，聚焦肿瘤、代谢性疾病等重大疾病领域，优先布局全球首创（First-in-Class）药物，构建了差异化、多层次的核心产品管线。截至目前，公司共有1款产品获批上市，1款产品处于III期临床试验阶段，1款产品已获准开展III期</p>

临床试验，5款产品处于I期临床试验阶段，另有多个产品处于临床前研究阶段；同时，公司搭建了具有全球自主知识产权的小核酸药物研发平台，形成丰富的小核酸管线布局。核心产品管线、最新临床进展及小核酸相关研发情况如下：

1、BEBT-908（通用名：注射用盐酸伊毗诺司他；商品名：贝特琳<sup>®</sup>）：为全球首个 HDAC/PI3K $\alpha$ 双靶点抑制剂，获得CDE“突破性治疗药物品种”认定及优先审评，并于2025年6月30日附条件批准单药用于治疗经≥2线系统治疗后的r/r DLBCL成人。其兼具表观遗传与 PI3K $\alpha$ 信号通路抑制的独特机制，安全性良好，可为CAR-T、CD3/CD20双抗及其他新药治疗失败的患者提供新的治疗选择。《Drugs》(Adis/Springer Nature) 2025年12月刊(85卷12期)刊发〈Ifupinostat: First Approval〉，系统概述了伊毗诺司他的作用机制、关键临床证据、用法用量与安全性，并记录其在华获批这一里程碑进展。二线及以上治疗r/r DLBCL的确证性III期临床试验已于2025年1月启动，三期前探索试验结果已在2025年ASCO会议发布。同时针对其他多种血液瘤的II期临床试验及晚期实体瘤的Ib/II期临床试验亦在推进中。该项目获“十三五”国家“重大新药创制”科技重大专项支持并顺利验收。

([https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16\\_suppl.7050](https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16_suppl.7050))

2、BEBT-209：针对转移性三阴性乳腺癌（mTNBC），其II期临床中期试验结果已在2025年ASCO会议发布，有望填补三阴性乳腺癌治疗领域的未满足临床需求；BEBT-209首个推进的适应症为联合氟维司群用于HR+/HER2-晚期乳腺癌的二线治疗，目前处于III期临床试验阶段。

([https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16\\_suppl.e15144](https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16_suppl.e15144))

3、BEBT-109：广谱突变型EGFR抑制剂。其单药用于既往治疗后的EGFR外显子20插入(Exon20ins)突变NSCLC

的 Ib/II 期临床数据已于 2025 年 ESMO Asia 会议公布。面向既往治疗后 EGFR Exon20ins 突变的局部晚期或转移性 NSCLC 的 III 期临床试验正处于启动准备阶段；联合含铂化疗作为一线治疗的 Ib/II 期研究正在开展中。

（[https://oncologypro.esmo.org/congress-resources/esmo-asia-congress-2025?presentation=phase\\_ib\\_ii\\_trials\\_of\\_bebt\\_109\\_in\\_advanced\\_nsclc\\_w](https://oncologypro.esmo.org/congress-resources/esmo-asia-congress-2025?presentation=phase_ib_ii_trials_of_bebt_109_in_advanced_nsclc_w)）

4、BEBT-503：泛 PPAR 激动剂，聚焦代谢性疾病领域，2023 年 10 月在澳大利亚成功完成 I 期临床试验，目前在做国内桥接试验数据读取，拟开展非酒精性脂肪性肝炎和糖尿病等适应症的 II 期临床试验。

5、BEBT-809：潜在 First-in-Class 20-HETE/GPR75 通路抑制剂，促进能量消耗，减少脂肪组织，对肌肉质量具有保护作用，拟用于治疗肥胖症，目前处于临床前阶段，具备海外授权合作（license-out）潜力。

6、小核酸技术平台及管线：公司已构建起具有全球自主知识产权的新一代 siRNA 药物研发平台，核心优势在于突破关键递送技术，搭建了三大递送系统——GalNAc 双靶点寡核苷酸偶联物（GDOC）递送系统、多肽寡核苷酸偶联物（POC）神经元递送系统及肾脏递送系统，可实现药物的靶向递送。截至目前，公司已提交 30 余项小核酸相关发明专利申请，其中 8 项已获授权。核心管线包括：

①BEBT-507（靶向 TMPRSS6）：用于治疗真性红细胞增多症，通过 GalNAc 介导递送至肝细胞，特异性沉默 TMPRSS6 的 mRNA 以调节铁代谢，2024 年 11 月 IND 获批，已于 2025 年 6 月启动 I 期临床试验；

②BEBT-701（靶向 AGT/PCSK9 双靶点）：用于治疗高血压合并高脂血症，为全球首创 AGT/PCSK9 双靶点小核酸药物，IND 申请已于 2025 年 11 月 29 日获 CDE 受理；

③BEBT-720（靶向 CIDEB/HSD17B13 双靶点，原 BEBT-508）：处于新药发现阶段，拟开发用于治疗非酒精性脂肪性肝病；

④其他多款小核酸项目研发按计划推进。

**研发策略（要点）：**以“临床价值为导向”，一方面深化小分子创新药布局，另一方面强化小核酸药物研发，依托自主递送平台，布局肿瘤、代谢性和中枢神经退行性疾病等领域，通过“双轮驱动”丰富管线梯队，同时推进国际多中心临床试验，为产品全球化奠定基础。

**问题二：公司小核酸技术平台的核心技术优势是什么？对应的专利布局情况如何？潜在的专利风险如何规避？**

回答：核心技术优势聚焦“递送系统突破”与“双靶点创新”，具体体现在两方面：

1、递送系统覆盖“肝内+肝外”：

①肝内依托 GDOC 系统：传统 GalNAc-siRNA 多为单靶点设计，GDOC 创新实现双靶点寡核苷酸偶联，在肝脏内可同时作用于两个疾病相关核心靶点，用于复杂代谢性疾病治疗；

②肝外通过 POC 系统：突破肝外递送瓶颈。常规 siRNA 疗法在肝外组织缺乏细胞膜受体介导的特异性靶向递送系统，显著限制了 siRNA 药物的开发。针对上述瓶颈，公司通过科学设计高亲和力多肽与小核酸偶联，利用受体介导的内吞机制，实现对神经元或肾脏近端肾小管上皮细胞等特定细胞类型的精准递送，在靶组织内高效、持久基因沉默，从而为神经退行性疾病和肾脏相关疾病提供新的 RNAi 治疗路径。

2、技术兼容性强，可支撑多疾病领域布局，包括代谢性疾病、中枢神经系统疾病（如阿尔兹海默病、帕金森病）、罕见病等。

3、专利布局覆盖广，公司已构建小核酸领域专利矩阵，累计提交 30 余项小核酸相关发明专利申请，其中 8 项已获得授权，覆盖 GDOC/POC 递送、siRNA 序列设计、双靶点偶联方法等关键环节，地域涵盖中国大陆、港澳台及 PCT 国家阶段，为平台化转化与管线商业化提供核心 IP 护城河。

**问题三：公司小核酸项目的布局是怎样的？涵盖哪些管线与适应症？有数据验证吗？**

回答：公司小核酸项目总体布局包括三大递送平台：GDOC（GalNAc Dual-寡核苷酸偶联）肝脏递送平台，用于治疗代谢/心血管等肝脏靶点疾病；POC（多肽-寡核苷酸偶联）肾脏递送平台和 POC 神经元递送平台。在研管线主要包括：

1、肝脏靶点 siRNA（名称、靶点、适应症）：

BEBT-507、TMPRSS6、铁紊乱（HH, PV）

BEBT-701、AGT/PCSK9、高血压合并高脂血症：在AAV8-hAGT/hPCSK9 肝细胞中，BEBT-701 显示出亚纳摩尔级的 AGT 和 PCSK9 抑制效力。在体外和体内，与 zilebesiran + inclisiran 混合对照相比实现了更强、更持久的双基因抑制，在人 AGT/PCSK9 过表达小鼠中的疗效持续>12 周。与两种串联 siRNA（共价连接，+GalNAc）相比，GDOC 设计显示出优越的代谢稳定性以及更高的体内效力和持续时间。在患有高血压和高血脂的食蟹猴中，单次皮下注射产生了强效的降压和降脂作用，持续时间>12 周。两项符合 GLP 标准的重复给药毒性和药代动力学研究表明，BEBT-701 在 SD 大鼠（50,200,400mg/kg）和食蟹猴（30,100,300mg/kg）中耐受性良好（共给药四次，持续 12 周），大鼠的 NOAEL 确定为 400mg/kg，猴子的 NOAEL 为 300mg/kg。

BEBT-706、Lp(a)/PCSK9、ASCVD 和高脂血症：在原代人肝细胞和 AAV8-hLp(a)/hPCSK9 小鼠模型中，BEBT-706 与

olpasiran+inclisiran 对照相比实现了对两个靶点更强、更持久的沉默，5mg/kg 剂量产生了>95%的 Lp(a)和 PCSK9 抑制。

BEBT-706 表现出对 hLp(a)和 hPCSK9 持久且平衡的沉默。大鼠（200mg/kg/次×4 次）的非 GLP 毒性研究显示安全性结果良好。计划开展 NHP 疗效和 GLP 毒理研究。

BEBT-720、CIDEB/HSD17b13、代谢性肝病：体外强效双基因敲低（≈1nM）在 HFD+CCL4MASH 小鼠中转化为脂肪变性和纤维化的减少，同时伴有 CIDEB/HSD17B13 抑制。

## 2、脑神经元 siRNA（名称、靶点、适应症）：

BEBT-756、APP/Tau、阿尔茨海默病：单次小脑延髓池（ICM）注射 0.3mg/小鼠可产生平衡的、全脑区的 APP 和 MAPT 沉默，在大脑皮层、脑干、下丘脑和颈脊髓中持续>60 天。IND 路径优先考虑 NHPPK/PD 和 GLP 毒理，以确定在高等物种中的剂量和持久性。

BEBT-758、SNCA、帕金森病：在小鼠和大鼠中，该 siRNA 在多个脑区产生了强效、持续的 SNCA 敲低。在 NHP（鞘内注射 60mg 和 10mg）中，CSFa-突触核蛋白减少 70%-90%，效应持续>30 周；初步大鼠毒理研究显示无行为、神经炎症或临床化学风险，外周暴露极低。

## 3、肾 PTEC（名称、靶点、适应症）

BEBT-730、URAT1、高尿酸血症、痛风：在 293T-hURAT1 细胞中，10nM 实现了 93%的 URAT1mRNA 减少。在小鼠高尿酸血症模型中，单次 5mg/kg 给药使血清尿酸正常化，与每日服用苯溴马隆相当。为期 4 周的小鼠毒理研究（200mg/kg/次×3 次）显示无临床或临床化学风险；后续将开展包括用于 IND 的 NHPPK/PD、GLP 毒理和 CMC 研究。

BEBT-733、EGLN1、贫血、CKD：在 293T-hEGLN1 和原代小鼠肾小管细胞中敲低率约达 78%，体内约达 67%。在腺嘌呤诱导的 CKD 小鼠中，该候选药物改善贫血指标并降低

血清肌酐，具有显著的抗纤维化益处，疗效与罗沙司他相当；IND 研究将利用肾脏靶向递送来减轻全身 HIF-PHI 风险。

**BEBT-738、SGLT2、糖尿病：**BEBT-738 是一款靶向 SGLT2 的 siRNA 候选药物，拟用于治疗糖尿病及糖尿病肾病；该候选药物在体内表现出在肾皮质的高度分布，并驱动强效、剂量依赖性的 SGLT2 敲低：在小鼠单次给药后第 24 天与第 42 天，SGLT2mRNA 静默率分别为 87% 与 75%，同时蛋白水平亦显著降低。

**问题四：公司小核酸药物 BEBT-701 的 AGT/PCSK9 双靶点协同机制有何差异化优势？临床前验证情况如何？预计什么时候能获批开展临床实验？大概什么时候有数据读出？有 BD 的可能性吗？**

回答：全球心血管疾病负担沉重。在中国，高血压合并高脂血症的“双高”人群基数庞大且达标率极低。现有的单药或多片联合口服疗法面临依从性差、血药浓度波动大等临床痛点。小核酸药物凭借其长效机制（半年或一年给药一次）和肝脏靶向特异性，正引领慢病管理模式的革新。BEBT-701 作为全球第二款申报 IND 治疗代谢性疾病的双靶点 siRNA 药物（仅比 Arrowhead 的 PCSK9/APOC3 双靶点 siRNA 晚一个月提交临床试验申请），BEBT-701 不仅在开发进度上处于国际第一梯队，更在靶点选择上实现了“跨系统协同”（血压调节+脂质代谢），具备差异化的临床价值。

BEBT-701 差异化优势核心在于以单一药同时解决高血压合并高脂血症的关键临床痛点。临幊上，高血压和高脂血症常相互伴随，传统治疗需联合使用降脂药（如 PCSK9 抑制剂）和降压药（如 ACEI/ARB 类），存在用药方案复杂、长期依从性不足等问题。BEBT-701 通过抑制 AGT 与 PCSK9 的表达，实现“降脂+降压”协同治疗效果：

1、靶向 PCSK9：沉默 PCSK9 mRNA 可减少肝脏细胞表面 LDL 受体降解，增强 LDL-C 清除能力，从而有效降低血脂水平；

2、靶向 AGT：AGT 是血管紧张素 II 生成的前体，沉默 AGT mRNA 可减少血管紧张素 II 生成，抑制血管收缩，从而降低血压。

通过双靶点同时干预，BEBT-701 可同步改善两项血脂和血压两项核心指标，精准契合高血压合并高脂血症患者的未满足临床需求。作为全球首创的 AGT/PCSK9 双靶点小核酸药物，该项目具备显著的先发优势。

目前 BEBT-701 IND 申请已于 2025 年 11 月 29 日获 CDE 受理。获批后，公司将立即启动临床试验。在海外申报方面，相关工作正稳步推进中，后续将结合整体资源配置与项目进展情况，对全球申报策略进行统筹规划与有序实施。

作为全球首创用于治疗高血压合并高脂血症的双靶点小核酸药物，BEBT-701 在作用机制与靶点组合设计方面具备显著的差异化优势，具备开展对外授权与合作开发的潜在价值。公司拟在完成 I 期临床试验并获得初步临床概念验证数据后，对合作模式与路径进行系统评估，以充分释放该产品的技术与商业潜力，实现整体价值的最大化。

**问题五：BEBT-809 的核心研发进展如何？作用机制原理能说明一下吗？相对 GLP-1 靶点的有哪些区别？何时申报 IND？临床前有可能 BD 出去吗？**

回答：BEBT-809 是公司自主研发的 First-in-Class 20-HETE/GPR75 通路抑制剂，目前处于临床前研究，拟用于治疗肥胖症。

GPR75 是 G 蛋白偶联受体（GPCR）家族中的一员。尽管 GPCR 是经典的药物靶点，但针对该家族的小分子药物开

发往往面临巨大的技术挑战。目前已知，GPR75 与其内源性配体 20-HETE 结合后，会触发一系列下游信号，这些信号通路与肥胖及胰岛素抵抗等代谢问题紧密相关。GPR75 通路抑制剂的核心作用机制在于：通过抑制 20-HETE 的生物合成，从而降低 GPR75 信号通路的激活。

BEBT-809 的作用机制与 GLP-1 类药物有本质区别：它并非通过抑制食欲来减少能量摄入，而是通过调控能量代谢通路直接增加机体的能量消耗。这一机制差异带来了重要的治疗优势：减少脂肪的同时，避免肌肉流失，实现“减脂保肌”的高质量减重。BEBT-809 既可以作为对 GLP-1 不耐受或肌肉流失风险高的患者的单药疗法，更有潜力与 GLP-1 类药物联用，共同实现高质量减重的目标。

基于药物开发的客观规律及全球首创药物（FIC）在临床转化中面临的挑战与高难度，公司正深入研究相关作用机制。公司对该项目的合作持开放态度，未来不排除通过对外授权（BD）等方式开展合作等方式推进国际化布局。

#### 问题六：BEBT-908 的二线数据什么时候能读出？

回答：BEBT-908 针对复发/难治性弥漫大 B 细胞淋巴瘤（r/r DLBCL）二线治疗的确证性 III 期临床试验已于 2025 年 1 月启动。III 期前探索性试验评估了 BEBT-908 联合利妥昔单抗作为 r/r DLBCL 二线治疗方案的疗效和安全性，该项试验数据已在 2025 年 ASCO 会议发布。在 24 例入组患者中，21 例完成了至少一次治疗并接受了肿瘤评估。客观缓解率（ORR）为 76.2%，其中 10 例（47.6%）达到完全缓解（CR），6 例（28.6%）达到部分缓解（PR）。疾病控制率（DCR）为 85.7%。中位无进展生存期（PFS）尚未达到（>7.7 个月）。治疗期间观察到的常见 3-4 级血液学毒性包括血小板减少症（34.8%）、白细胞减少症（17.4%）和淋巴细胞减少症（13.0%）。未观察

	<p>到其他不良反应，安全性良好。</p> <p>(<a href="https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16_suppl.7050">https://ascopubs.org/doi/10.1200/JCO.2025.43.16_suppl.7050</a>)</p> <p><b>问题七：核心产品 BEBT-908 的商业化规划是什么？</b></p> <p>回答：BEBT-908 已于 2025 年 6 月 30 日获国家药监局附条件批准上市，已参与 2025 年国家医保目录调整形式审查，尽管最终未能纳入医保，公司将持续积极准备后续的医保准入工作，并同步推进与各类商业保险及地方普惠型保险（如“惠民保”）的合作，以构建多层次支付体系，减轻患者负担。</p> <p>在销售体系建设上，公司正采用“自主团队+合同销售组织（CSO）合作”的模式。当前工作重点在于快速组建高素质的自有销售团队，初期将聚焦于核心城市的重点医院以及原有的临床研究中心，通过高频次的学术会议和专业推广，快速建立关键意见领袖（KOL）网络并深化临床医生的认可。短期目标是依托现有模式高效启动市场教育，夯实重点医院的进药基础。中长期，公司将通过成功实现医保准入、完成自有 GMP 产业化基地的建设以保障供应链稳定，并不断拓展多元支付渠道，最终实现 BEBT-908 商业价值的最大化，并为后续管线产品的商业化积累宝贵经验。</p>
附件清单（如有）	无
日期	2026 年 1 月 6 日