

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：2026-003

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	申万宏源、东方基金、诺安基金
时间	2026年3月
地点	公司会议室
上市公司 接待人员信息	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：公司肝内递送系统产品的双靶点结构设计逻辑是什么？其优势主要体现在哪里？</p> <p>回答：多种慢性肝脏及代谢相关疾病并非由单一分子异常驱动，而通常涉及脂质代谢、炎症反应、纤维化进展及心血管代谢风险等多个相互关联的通路。基于这一特点，公司在肝内递送小核酸药物开发中，优先选择作用机制协同和互补、且具备显著临床价值的双靶点组合，希望通过单一药物分子实现协同、平衡、持久的双基因沉默，从而更系统地干预复杂疾病网络。</p> <p>在结构设计上，公司建立了自主知识产权的 GalNAc 双寡核苷酸偶联物（GDOC）平台。该平台采用“并联分支式”分</p>

子架构：以单一三天线 GalNAc 配体为肝细胞靶向核心，通过专有连接骨架并联装载两条不同 siRNA，使两个靶点在同一药物、同一暴露窗口、同一递送路径下实现同步沉默。GDOC 的设计目标是兼顾系统循环中的稳定性与内吞后内体环境中的可释放性，从而获得更可预测的 PK/PD 表现、更强的体内药效以及更灵活的双靶点组合能力。

该平台的优势主要体现在五个方面。第一，双靶点协同。以 BEBT-701 为例，AGT 沉默可降低 RAAS 活性、减轻血流动力学负荷，PCSK9 沉默可促进 LDLR 循环、增强 LDL-C 清除，两者共同实现血压与血脂的综合控制。第二，单分子一体化给药，有助于避免两种单药联用在暴露、给药频率和组织分布上的不一致。第三，药效持久且可控。BEBT-701 在 AAV8-hAGT/hPCSK9 原代肝细胞中对 AGT 和 PCSK9 的 IC50 分别为 0.044 nM 和 0.045 nM；在体内模型中，其双基因抑制深度和持续性优于 zilebesiran 与 inclisiran 混合对照，并在相关小鼠模型中维持超过 70 天，在食蟹猴蛋白水平维持超过 12 周。第四，结构稳定性较强。在与同序列串联双 siRNA 设计的比较中，GDOC 在代谢稳定性和体内持续性方面表现更优。第五，已构建涵盖递送平台、配体偶联技术以及 siRNA 修饰技术在内的全球完整自主知识产权体系。

作为该平台的代表项目，BEBT-701 是全球首个进入临床的 AGT/PCSK9 双靶点 siRNA 项目。在高血压合并高脂血症食蟹猴模型中，单次皮下注射 BEBT-701 可显著降低 SBP、DBP 及 LDL-C、TC、TG，相关作用持续超过 3 个月；在 12 周重复给药 GLP 毒理研究中，大鼠 NOAEL 为 400 mg/kg，食蟹猴 NOAEL 为 300 mg/kg，整体耐受性良好。BEBT-701 已获 NMPA 批准开展临床，并已完成首例受试者给药。

问题二：BEBT-701 的临床试验方案是如何设计的？入组

人群是怎样的？主要终点指标是什么？

BEBT-701 目前正在开展一项针对轻中度高血压合并 LDL-C 升高患者的随机、双盲、安慰剂对照 I/II 期临床研究。该研究采用分阶段设计，首先评估不同剂量水平下的安全性、耐受性、PK/PD 特征及初步药效；在完成前期双盲观察后，研究还设置了延长期安排，以进一步评估重复给药条件下的持续疗效和长期安全性。后续队列是否扩展至第三次或更多次给药，将结合第二次给药后 24 周的药效/安全性结果以及长期毒理资料综合判断。

从受试者特征看，BEBT-701 的临床定位非常清晰，即面向同时存在血压管理和 LDL-C 管理需求的人群。这一设计与其双靶点机制高度一致，有望验证单一药物同时改善两类核心心血管危险因素的潜力。现阶段研究的主要观察重点为安全性和耐受性；同时将结合血压、LDL-C 以及相关 PK/PD 指标，对其初步临床有效性进行评价。该项目已实现首例受试者给药，标志着公司 GDOC 平台正式进入临床验证阶段。

问题三、公司当前的研发战略与核心管线布局是如何规划的？

公司坚持以源头创新和差异化布局为导向，围绕“小分子药物+小核酸药物”双平台推进研发战略，重点聚焦肿瘤、代谢性疾病等重大未满足临床需求领域，持续构建“已上市产品、临床阶段重点项目和前沿技术平台储备”相结合的梯队化研发体系。公司当前研发资源进一步向核心项目集中，重点覆盖 BEBT-908、BEBT-209、BEBT-109、BEBT-503、BEBT-507 和 BEBT-701 等在研管线。

在小分子药物方面，公司已形成以肿瘤为核心、兼顾代谢性疾病的重点布局。BEBT-908（伊吡诺司他）是公司自主研发的全球首创 HDAC/PI3K α 双靶点抑制剂，已于 2025 年获批

用于治疗复发或难治性弥漫大 B 细胞淋巴瘤（三线及以上），目前公司正加快推进其在二线及以上 r/r DLBCL 中的确证性 III 期临床研究，并持续拓展外周 T 细胞淋巴瘤等新适应症。BEBT-209 是一款高选择性 CDK4 抑制剂，当前重点开发方向为局部晚期或转移性三阴性乳腺癌联合化疗治疗，相关研究显示其有望提升化疗敏感性并改善疗效，公司正推进后续关键临床开发。BEBT-109 是一款针对 EGFR 20 号外显子插入突变的选择性 EGFR 抑制剂，当前一方面布局二线及以上 NSCLC 治疗，另一方面重点推进初治患者联合化疗方向的临床开发。BEBT-503 则是公司在代谢性疾病领域布局的泛 PPAR 激动剂，已完成健康受试者 I 期研究，为公司向代谢类慢病拓展奠定基础。

在小核酸药物方面，公司依托自主建立的 GDOC 和 POC 递送平台，重点推进肝靶向和组织定向递送产品。BEBT-507 是一款靶向 TMPRSS6 的小核酸药物，主要用于真性红细胞增多症，已进入 I 期临床阶段，是公司小核酸平台的首个临床项目。BEBT-701 则是公司 GDOC 平台的代表性双靶点项目，靶向 AGT/PCSK9，主要用于高血压合并高血脂患者，已于 2026 年获得临床试验批准并已启动 I 期临床研究。该项目通过同步调控血压和血脂两大心血管风险因素，体现了公司双靶点小核酸药物的差异化开发思路。其他小核酸创新管线还包括多个处于临床前或新药发现阶段的项目，如用于 ASCVD 相关治疗的 Lp(a)/PCSK9 双靶点药物 BEBT-706、用于 MASH 治疗的 CIDEB/HSD17B13 双靶点药物 BEBT-720，以及用于帕金森病治疗的靶向 SNCA 药物 BEBT-758 等，体现了公司小核酸平台在多适应症领域的持续拓展潜力。

总体来看，公司当前研发战略已形成“小分子药物强化近期临床转化和商业化能力，小核酸药物培育中长期创新增长点”的双平台布局。公司希望通过持续聚焦核心项目、优化资

	源配置和强化递送平台建设，不断提升研发效率、管线质量和长期竞争力。
附件清单(如有)	无
日期	2026年4月2日