

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示，概不對因本公告全部或任何部分內容而產生或因倚賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。

本公告所作出的前瞻性陳述僅與本文作出該陳述當日的事件或資料有關。除法律規定外，於作出前瞻性陳述當日之後，無論是否出現新資料、未來事件或其他情況，我們並無責任更新或公開修改任何前瞻性陳述及預料之外的事件。請細閱本公告，並理解我們的實際未來業績或表現可能與預期有重大差異。本公告中有關我們或任何董事及／或本公司的意向的陳述或提述乃於本公告刊發日期作出。任何該等意向均可能因未來發展而出現變動。



**CStone Pharmaceuticals**

**基石藥業**

(於開曼群島註冊成立的有限公司)

(股份代號: 2616)

**自願公告**

## **基石藥業宣佈 avapritinib 針對中國三線 GIST 患者的 全球 III 期 VOYAGER 試驗完成入組目標**

基石藥業（「本公司」或「基石藥業」）宣佈，由基石藥業合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股份代號: BPMC) (「Blueprint」) 開發的在研產品 avapritinib，在一項正在進行的全球 III 期 VOYAGER 臨床研究中完成了中國患者入組目標。此外，VOYAGER 研究的全球患者入組目標也已達成。該研究旨在評估相較於目前三線胃腸道間質瘤（「GIST」）的標準治療藥物瑞戈非尼，avapritinib 作為晚期 GIST 患者三線或四線治療的安全性和療效。於 2019 年 7 月 10 日，基石藥業宣佈 VOYAGER 研究實現首例中國患者給藥。

Blueprint 預計將於 2020 年第二季度公佈 VOYAGER 研究的主要試驗數據。2019 年 8 月，美國食品藥品監督管理局（「FDA」）已接受 Blueprint 關於 avapritinib 用於無論之前是否接受過治療的、攜帶 PDGFRA 外顯子 18 突變的 GIST 以及四線 GIST 成人患者的新藥上市申請。根據初步審批情況，Blueprint 計劃於 2020 年下半年向 FDA 遞交 avapritinib 用於三線 GIST 治療的補充上市申請。基石藥業也計劃在 2020 年下半年向國家藥品監督管理局遞交 avapritinib 用於三線 GIST 治療的新藥上市申請。

GIST 是最常見的腸胃道間質腫瘤，在 50 至 80 歲之間的患者中最為普遍。大約 90% 的 GIST 病例與 KIT 或 PDGFRA 酪氨酸激酶基因突變導致的細胞生長失調有關。現有數據顯示，目前 GIST 的三線標準治療藥物瑞戈非尼的中位無進展生存期為 4.8 個月，客觀緩解率僅為 5% 左

右。而經三線治療失敗的 GIST 患者目前尚無已獲批的治療。因此對於三線及以後的 GIST 患者仍存在極大的未滿足臨床需求。

Avapritinib 是一款在研的口服、強效、高選擇性的 KIT 和 PDGFRA 抑制劑。臨床試驗數據顯示，avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變 (主要包括 D842V 突變) GIST 和四線 GIST 患者中均顯示出令人鼓舞的抗腫瘤活性和良好的耐受性，目前針對這兩類患者尚無有效治療方法。

正在進行的 I 期 NAVIGATOR 試驗數據於 2019 年 11 月在結締組織腫瘤學會 (Connective Tissue Oncology Society) 年會上發佈。截至數據截止日 2018 年 11 月 16 日，研究結果顯示：

- 在 43 例可評估的 PDGFRA 外顯子 18 突變 GIST 患者中 (包括 38 例 PDGFRA D842V 驅動的 GIST 患者)，總緩解率為 86% (1 例患者待確認)，中位緩解持續時間未達到。
- 在 111 例可評估的四線 GIST 患者中，總緩解率為 22% (1 例患者待確認)，中位緩解持續時間為 10.2 個月。
- Avapritinib 耐受性良好，大多數不良事件經研究者評估為 1 級或 2 級。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：「很高興看到全球 III 期 VOYAGER 研究中國患者入組目標比我們預期的更快達成，這也讓我們感受到了中國 GIST 患者急切的臨床需求。隨著趙萍女士正式加盟基石藥業，出任大中華區總經理兼商業化負責人，相信這位曾成功主導過多款知名藥物上市的資深醫藥行業經理人將進一步助推基石藥業商業化進程。我們對包括 avapritinib 在內的多款藥物在中國成功上市充滿了信心。」

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「GIST 是一種罕見病，能夠在不到 4 個月的時間內完成中國患者入組目標，離不開基石藥業、研究者及合作夥伴等多方的通力合作。作為一款針對 KIT 及 PDGFRA 突變激酶的高選擇性抑制劑，目前公佈的臨床試驗數據已顯示出它的治療潛力。目前，avapritinib 還有一項針對晚期 GIST 患者的 I/II 期橋接註冊性試驗也正在中國開展。」

## 關於 avapritinib

Avapritinib 是一款在研的口服精準療法，可選擇性地有效抑制 KIT 和 PDGFRA 突變激酶。它是一種靶向於激酶活化構象的 I 型抑制劑。Avapritinib 在 KIT 和 PDGFRA 突變的 GIST 中顯示了廣泛的抑制作用，並對啟動環突變活性最強，而目前批准的 GIST 療法不能抑制啟動環的突變。與現有的其他酪氨酸激酶抑制劑相比，avapritinib 對 KIT 和 PDGFRA 的選擇性明顯高於其他激酶抑制劑。

Blueprint 率先開發 avapritinib，用於治療晚期 GIST、晚期系統性肥大細胞增多症 (「SM」) 以及惰性和冒煙型 SM。FDA 已經就兩個適應症授予 avapritinib 突破性療法認證，一個用於治療 PDGFRA D842V 基因驅動的 GIST，一個治療晚期 SM，包括侵襲性 SM 亞型、伴隨相關血液腫瘤的 SM 和肥大細胞白血病。

基石藥業與 Blueprint 達成獨家合作及授權協議，獲得了包括 avapritinib 在內的藥物在中國大陸、香港、澳門及台灣的開發和商業化授權。Blueprint 保留在世界其他地區開發及商業化 avapritinib 的權利。

## 關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注于開發及商業化創新腫瘤免疫治療及精準治療藥物，以滿足中國和全球癌症患者的殷切醫療需求。成立於 2015 年底，基石藥業已集結了一支在新藥研發、臨床研究以及商業化方面擁有豐富經驗的世界級管理團隊。公司以聯合療法為核心，建立了一條包括 15 種腫瘤候選藥物組成的強大腫瘤藥物管線。目前五款後期候選藥物正處於或接近關鍵性試驗。憑藉經驗豐富的團隊、豐富的管線、強大的臨床開發驅動的業務模式和充裕資金，基石藥業的願景是通過為全球癌症患者帶來創新腫瘤療法，成為全球知名的領先中國生物製藥公司。

欲了解更多有關基石藥業的資訊，請瀏覽 [www.cstonepharma.com](http://www.cstonepharma.com)。

承董事會命  
基石藥業  
江寧軍博士  
主席

中華人民共和國，蘇州，二零一九年十二月十日

於本公告刊發日期，本公司董事會包括主席兼執行董事江寧軍博士、非執行董事李偉博士、趙群先生、曹彥凌先生、張國斌先生及陳連勇博士以及獨立非執行董事 Paul Herbert Chew 博士、胡定旭先生及孫洪斌先生。