

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

## 基石藥業在台灣遞交胃腸道間質瘤(GIST)精准靶向新藥 avapritinib 的上市申請用於治療攜帶 PDGFRA 外顯子 18 突變的晚期 GIST 成人患者

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)於今日宣佈，本公司已向台灣衛生福利部食品藥物管理署(「TFDA」)提交胃腸道間質瘤(「GIST」)精准靶向藥物 avapritinib 的上市申請，且該藥物已於二零二零年三月九日獲 TFDA 新藥優先審查資格認定。該藥物將用於治療攜帶血小板衍生生長因數受體 $\alpha$ (「PDGFRA」)外顯子 18 突變(包括 PDGFRA D842V 突變)的、不可手術切除或轉移性 GIST 成人患者。avapritinib 由本公司合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股票代碼: BPMC)(「Blueprint Medicines」)開發，也是基石藥業第二款遞交上市申請的藥物。

有關重點消息包括：

- 已遞交 TFDA 的臨床資料顯示，avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變(包括 PDGFRA D842V 突變)的晚期 GIST 患者中客觀緩解率(「ORR」)達 84%，且不良反應大多為一級或二級；
- avapritinib 已於二零二零年一月獲美國食品藥品監督管理局(「美國 FDA」)批准，是目前首個且唯一上市的 GIST 精准靶向藥物，用於治療 PDGFRA 外顯子 18 突變的、不可手術切除或轉移性 GIST 患者。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：「一年內，基石藥業已先後遞交了兩個同類首創精準靶向藥物的上市申請，這不僅體現本公司對於臨床迫切需求的關注和回應，也顯示了本公司正順利向商業化轉型。GIST 是一種罕見的腫瘤，且目前大中華區已獲批的療法針對 PDGFRA D842V 突變均無療效。除台灣地區外，今年上半年我們計畫針對同一適應症在中國大陸遞交 avapritinib 的上市申請，以滿足更多患者之需。」

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「avapritinib 是一種強效、高選擇性的在研口服 KIT 和 PDGFRA 抑制劑。今年一月，美國 FDA 已批准其用於治療攜帶 PDGFRA 外顯子 18 突變的不可手術切除或轉移性 GIST 成人患者，成為目前首個且唯一在美國上市的 GIST 精準靶向藥物。目前向 TFDA 遞交的臨床資料顯示，avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變(包括 D842V 突變)的晚期 GIST 患者中顯示出前所未有的顯著抗腫瘤活性，客觀緩解率達 84%，且大多數不良反應均為一級或二級，中位緩解持續時間(「DOR」)尚未達到，61% 的患者 DOR 超過六個月。」

GIST 為發生於胃壁或小腸中的肉瘤，高發年齡為 50 至 80 歲。大約 90% 的 GIST 的發生與 KIT 或 PDGFRA 基因的突變導致的細胞生長失調有關。由於 GIST 患者對化療和放療不敏感，目前晚期 GIST 的治療方案主要為依次使用酪氨酸激酶抑制劑(「TKI」)。然而，攜帶 PDGFRA 外顯子 18 D842V 突變的患者對現有大中華區已批准的 TKI 藥物均不敏感，研究顯示 ORR 為 0%，中位無進展生存期僅三至五個月，總生存期約 15 個月。除了 D842V 之外，既往已批准的 GIST 治療藥物對於其它罕見的 PDGFRA 外顯子 18 突變療效也並不理想。

基石藥業已與 Blueprint Medicines 達成獨家合作和授權協議，獲得了包括 avapritinib 在內的多款藥物在中國大陸、香港、澳門和台灣地區的獨家開發和商業化授權。Blueprint Medicines 保留在世界其他地區開發及商業化相關藥物的權利。

## 關於 avapritinib

avapritinib 是一款在研、強效、選擇性的 KIT 和 PDGFRA 突變激酶抑制劑。它是用於治療 GIST 的 1 型抑制劑，可直接與導致突變 KIT 和 PDGFRA 信號傳導的活性激酶構象結合。avapritinib 在 KIT 和 PDGFRA 突變的 GIST 中顯示了廣泛的抑制作用，強效抑制包括針對目前大中華區獲批療法耐藥的啟動環突變。

Blueprint Medicines 正在推進 avapritinib 更廣泛的臨床開發，用於治療多線 GIST、晚期、惰性和冒煙型系統性肥大細胞增多症。

avapritinib 是一款以 AYVAKIT™ 為產品名獲美國 FDA 批准的激酶抑制劑，用於治療攜帶 PDGFRA 外顯子 18 突變(包括 PDGFRA D842V 突變)的不可手術切除或轉移性胃腸道間質瘤成人患者。

avapritinib 尚未被美國 FDA 批准用於治療任何其他適應症，且尚未被 TFDA、國家藥品監督管理局或其它地區健康監管部門批准用於任何適應症。

## 關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注於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。成立於二零一五年底，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。本公司以腫瘤免疫治療聯合療法為核心，建立了一條 15 種腫瘤候選藥物組成的豐富產品管線。目前五款後期候選藥物正處於關鍵性臨床試驗。憑藉經驗豐富的管理團隊、豐富的管線、專注於臨床開發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，成為全球知名的中國領先生物製藥公司。

欲了解更多有關基石藥業的信息，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，二零二零年三月二十七日

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。