

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

基石藥業在二零二零年 CSCO 年會上公佈 GIST 精准靶向藥阿泊替尼在中國患者群的橋接研究初步結果

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)在二零二零年中國臨床腫瘤協會(「CSCO」)學術年會上公佈了抗腫瘤藥物 Avapritinib(「阿泊替尼」)在中國 I/II 期橋接不可切除或轉移性胃腸道間質瘤(「GIST」)研究用於治療患者取得的積極結果。阿泊替尼由基石藥業全球合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation(納斯達克股份代號: BPMC)(「Blueprint Medicines」)開發。

- 此項橋接研究是一項中國開放標籤、多中心的 I/II 期臨床研究，旨在評估口服阿泊替尼治療不可切除或轉移性 GIST 患者的安全性、藥代動力學特徵和抗腫瘤療效。依據 I 期劑量爬坡研究的初步結果確定 II 期臨床研究的推薦劑量(「RP2D」)。
- 截至資料截止日期二零二零年三月三十一日，共計 50 例中國患者納入阿泊替尼的安全性評估，八例攜帶 PDGFRA D842V 突變的 GIST 患者以及 23 例接受過 3 線既往治療(4L+)患者療效可評估，由研究者依據實體瘤療效評價標準 1.1 版(RECIST)進行療效評估。
- 截至資料截止日期，六例患者使用阿泊替尼 200 mg 每日一次治療，44 例患者使用 300 mg 每日一次治療。I 期研究結果顯示，患者在每日一次 200 mg 和 300 mg 劑量下對該

藥均顯示出了良好的耐受性，研究中未觀察到劑量限制性毒性。在中國 GIST 患者中阿泊替尼 II 期研究的 RP2D 確定為每日一次口服，300 mg，這與針對晚期 GIST 全球研究 NAVIGATOR I 期研究中的 RP2D 保持一致。

- 阿泊替尼在具有 PDGFRA D842V 突變的中國 GIST 患者中初步顯示出了顯著的抗腫瘤活性。在每日一次 300 mg 阿泊替尼的劑量下，八例攜帶 PDGFRA D842V 突變的可評估患者中，所有患者靶病灶均有縮小，有五例患者達到部分緩解，總體緩解率（「**ORR**」）為 62.5%，另三例患者的研究者評估結果為疾病穩定。阿泊替尼在 4L+ GIST 患者中也顯示出一定的療效，研究者評估的 ORR 為 26.1%。
- 阿泊替尼總體耐受性良好，研究中報告的治療相關不良事件（「**TRAE**」）大部分為一級或二級。最常見的 TRAE 為貧血和血膽紅素升高。未出現 4 級或 5 級 TRAE，最常見的三級治療後出現的不良事件為貧血。

北京大學腫瘤醫院副院長沈琳教授表示：「由於現有療法的獲益極為有限，PDGFRA D842V 突變的 GIST 患者具有高度未滿足的治療需求。阿泊替尼在 PDGFRA D842V 突變的中國晚期 GIST 患者中表現出了非常好的抗腫瘤活性，且安全性和耐受性良好。作為臨床醫生，我很高興的看到 GIST 的治療進入了精準靶向時代，同時期盼阿泊替尼能早日獲批，成為這部分 GIST 患者新的治療選擇。」

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「我們很高興在二零二零年 CSCO 年會議上公佈 GIST 精準靶向藥物阿泊替尼在中國人群中的 I/II 期初步橋接研究結果。研究顯示阿泊替尼在中國 GIST 患者中耐受性良好，並證明該藥對攜帶 PDGFRA D842V 突變的中國患者具有很強的抗腫瘤活性。基石藥業於二零二零年七月和四月分別向中國臺灣食品藥物管理署（「**TFDA**」）和中國國家藥物監督管理局（「**中國藥監局**」）遞交了這款藥物的新藥上市申請（「**NDA**」），並於二零二零年七月獲得中國藥監局的優先審評資格。我們期待阿泊替尼可以早日造福中國患者。」

關於阿泊替尼

阿泊替尼是一種激酶抑制劑，美國食品藥品監督管理局（「**FDA**」）已批准其以商品名 **AYVAKIT™** 上市銷售，用於治療攜帶 PDGFRA 18 號外顯子突變（包括 PDGFRA D842V 突變）的不可切除性或轉移性 GIST 成人患者。此前，FDA 曾授予阿泊替尼突破性療法認定，用於治療攜帶 PDGFRA D842V 突變的不可切除性或轉移性 GIST 成人患者。

阿泊替尼在美國還未獲 FDA 批准用於其他適應症，無論是在中國，或者其它地區的醫療監管機構均亦還未對阿泊替尼的任何適應症做出批准決定。

Blueprint Medicines 正在全球範圍內針對晚期和惰性系統性肥大細胞增生症（「**SM**」）患者進行阿泊替尼的臨床開發。FDA 已授予阿泊替尼突破性療法認定，用於治療晚期 SM，包括侵襲性 SM 的亞型以及伴有相關血液腫瘤和肥大細胞白血病的 SM。

基石藥業已與 Blueprint Medicines 達成獨家合作和授權合約，獲得阿泊替尼及其它幾款候選藥物在中國大陸、香港、澳門和臺灣地區的開發和商業化權利。Blueprint Medicines 將保留全球其他地區的阿泊替尼開發和商業化權利。

基石藥業已於二零二零年三月和四月分別向（**TFDA**）和中國藥監局遞交了阿泊替尼用於治療患有 PDGFRA 外顯子 18 突變（包括 PDGFRA D842V 突變）不可切除或轉移性 GIST 成年患者的 NDA，並於二零二零年七月獲得中國藥監局的優先審評資格。

關於 GIST

GIST 是發生於胃腸道的肉瘤，肉瘤是發生在骨內或源自結締組織的腫瘤。胃腸間質瘤起源於胃腸道壁中的細胞，並且最常發生在胃或小腸中。大多數患者的確診年齡在 50 至 80 歲之間，通常在胃腸道出血、做手術或醫學影像檢查時發現，極少在腫瘤破裂或胃腸道發生梗阻後確診。

原發 GIST 中，約有 5% 至 6% 的病例由 PDGFRA D842V 突變導致，這種突變是最常見的 PDGFRA 外顯子 18 突變。在 AYVAKIT™ 獲得美國 FDA 的上市批准之前，美國尚無針對 PDGFRA D842V 突變型 GIST 的高效治療方法。已公佈的資料顯示，接受伊馬替尼和其它許可藥物治療的 PDGFRA D842V 突變型 GIST 患者預後較差，中位總生存期為 15 個月，中位無進展生存期為三個月，總緩解率為 0%。

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。

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，二零二零年九月二十四日

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。