

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

**基石藥業宣佈普拉替尼用於治療RET融合非小細胞肺癌和RET變異甲狀腺癌的新藥上市申請在中國台灣獲受理**

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈選擇性RET抑制劑普拉替尼用於治療轉染重排(「RET」)基因融合陽性的局部晚期或轉移性非小細胞肺癌(「NSCLC」)、RET突變的晚期或轉移性甲狀腺髓樣癌(「MTC」)以及放射性碘難治(如放射性碘適用)的RET融合陽性的晚期或轉移性甲狀腺癌(「TC」)的新藥上市申請(「新藥上市申請」)已獲得台灣衛生福利部食品藥物管理署(「TFDA」)受理。

普拉替尼是一種強效、選擇性RET抑制劑，由基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股份代號：BPMC) (「Blueprint Medicines」)開發。基石藥業與Blueprint Medicines達成了獨家合作和許可協議，獲得普拉替尼在大中華地區，包括中國大陸、香港、澳門和台灣地區的獨家開發和商業化權利。

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「我們高興的看到繼去年泰時維®(阿伐替尼片)獲批用於攜帶不可切除或轉移性PDGFRAD842V突變的胃腸道間質瘤患者後，又一款重磅精準藥物普拉替尼成功在中國台灣遞交NSCLC和TC的上市申請。在全球I/II期ARROW臨床研究中，普拉替尼在RET融合陽性的局部晚期或轉移性NSCLC和RET突變的晚期或轉移性MTC患者中，表現出優異且持久的療效以及良好的耐受性。我們期待普拉替尼能夠早日在中國台灣獲批上市，惠及更多患者。」

此次普拉替尼在中國台灣的新藥上市申請獲受理是基於一項全球I/II期ARROW臨床研究，該研究旨在評估普拉替尼在RET融合陽性的NSCLC、RET突變MTC以及其它攜帶RET變異的晚期實體瘤患者中的安全性、耐受性和有效性。

2021年6月美國臨床腫瘤學會(ASCO)年會上公佈了ARROW研究中全球RET融合陽性NSCLC患者的試驗結果。截至2020年11月6日的數據，在接受起始劑量400mg每日一次的療效可評估的RET融合陽性NSCLC患者中，普拉替尼具有持久的臨床獲益。在68例未經系統性治療的患者中，總體緩解率(「ORR」)為79%(95% CI: 68%、88%)。完全緩解率(「CR」)為6%，10%患者的靶病灶完全消失，74%的患者為部分緩解(「PR」)。中位緩解持續時間(「DOR」)尚未達到(95% CI: 9.0個月，未達到)。在126例既往接受過含鉑化療的患者中，ORR為62%(95% CI: 53%、70%)。CR率為4%，12%患者的靶病灶完全消失，58%的患者達到PR。中位DOR為22.3個月(95% CI: 15.1個月，未達到)。截至數據截止日期，共有471例接受起始劑量400mg每日一次的不同瘤種患者入組，最常見的不良事件(「AE」)是中性粒細胞減少、天冬氨酸氨基轉移酶升高、貧血、白細胞計數減少、丙氨酸氨基轉移酶升高、高血壓、便秘和乏力。

2021年8月《柳葉刀糖尿病與內分泌學》上發表了ARROW研究中全球RET變異TC患者的試驗結果。截至2020年5月22日的數據，普拉替尼在RET突變的TC患者中顯示出強效而持久的抗腫瘤活性。所有患者接受的起始劑量為400毫克每日一次。在55例既往接受過卡博替尼或凡德他尼治療的RET突變MTC患者中，ORR為60%(95% CI: 46%，73%)，中位DOR尚未達到(95% CI: 15.1個月，不可評估)。在21例未經系統性治療的RET突變MTC患者中，ORR為71%(95% CI: 48%，89%)，中位DOR尚未達到(95% CI: 不可評估，不可評估)。在9例RET融合陽性TC患者中，ORR為89%(95% CI: 52%，100%)，中位DOR尚未達到(95% CI: 不可評估，不可評估)。在142例RET變異的TC患者中，最常見的AE是貧血、肌肉骨骼疼痛、便秘、天門冬氨酸轉氨酶升高和高血壓。

## 關於RET融合陽性NSCLC

近年來肺癌發病率在中國持續增長。根據世界衛生組織國際癌症研究機構(「IARC」)發佈的2020年全球最新癌症負擔數據，中國在2020年約有82萬新發肺癌病例數，約有71萬肺癌導致的死亡人數。在男性和女性癌症患者中，肺癌均為癌症相關死亡的主要原因。其中，NSCLC占肺癌的大多數。

在肺癌領域，EGFR、ALK、ROS1等驅動基因突變已廣泛普及，針對這些驅動基因的靶向藥物均已獲批上市。RET融合是新近發現的肺癌驅動基因，在NSCLC中RET融合患者約占1-2%，常見於不吸煙的年輕人群。

## 關於RET變異TC

TC是最常見的內分泌惡性腫瘤，近幾年發病率顯著上升。根據IARC發佈的2020年全球最新癌症負擔數據，中國在2020年約有22萬新發TC病例數，其中女性新發病例數約為17萬。TC發病率位居我國城市地區女性所有惡性腫瘤的第4位。

TC在臨床上分為乳頭狀癌、濾泡癌、未分化癌和髓樣癌等多個亞型，不同類型的TC根據其腫瘤特點，治療手段及預後均不相同。

RET融合和激活突變是許多癌症類型(包括NSCLC和多種類型的TC)中的關鍵疾病驅動因素。大約10 - 20%的甲狀腺乳頭狀癌(最常見的TC)患者攜帶RET融合，大約90%的晚期MTC(約占TC的2 - 5%)患者攜帶RET突變。中國RET突變型MTC患者目前尚無有效的獲批標準治療方案。

## 關於普拉替尼

普拉替尼是一種口服、每日一次、強效高選擇性RET抑制劑，已獲中國國家藥品監督管理局

(「NMPA」)批准，用於治療既往接受過含鉑化療的RET基因融合陽性的局部晚期或轉移性NSCLC成人患者。

普拉替尼針對需要系統性治療的晚期或轉移性RET突變MTC，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如放射性碘適用)的晚期或轉移性RET融合陽性TC的新適應症申請也已經於2021年4月獲得NMPA受理並被納入優先審評。

美國食品藥品監督管理局(「FDA」)批准其以商品名為GAVRETO上市銷售，三項適應症分別為：用於治療經FDA批准的檢測方法檢測證實為轉移性RET融合陽性NSCLC的成人患者、需要系統性治療的晚期或轉移性RET突變MTC成人和12歲及以上兒童患者，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如適用)的晚期或轉移性RET融合陽性TC成人和12歲及以上兒童患者。這些適應症基於ORR和DOR數據在加速審批途徑下獲得批准。針對這些適應症的持續批准可能取決於確證性試驗中臨床獲益的驗證和描述。

歐盟委員會已授予GAVRETO有條件上市許可，作為一種單一療法，用於治療未接受過RET抑制劑治療的RET融合陽性晚期NSCLC成人患者。

普拉替尼在中國、美國、歐洲還未獲批用於其他適應症。

普拉替尼旨在選擇性地和有效地靶向致癌性RET突變，包括可能導致治療耐藥的繼發性RET突變。在臨床前研究中，普拉替尼抑制RET的濃度低於其他藥物相關激酶，包括VEGFR2、FGFR2和JAK2。

Blueprint Medicines和羅氏正在全球(不包括大中華地區)共同開發GAVRETO，用於治療RET突變的NSCLC、TC和其他實體瘤患者。Blueprint Medicines和羅氏集團成員公司基因泰克正在美國共同商業化GAVRETO，羅氏擁有GAVRETO在美國以外(不包括大中華地區)的獨家商業化權利。FDA授予GAVRETO突破性療法認定，用於治療鉑類化療後進展的RET融合陽性NSCLC，以及需要全身治療且尚無替代療法的RET突變陽性MTC。

## 關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注於研究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、臨床研究以及商業運營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，基石藥業已經獲得了六個新藥上市申請的批准。多款後期候選藥物正處於關鍵性臨床試驗或註冊階段。基石藥業的願景是成為享譽全球的生物製藥公司，引領攻克癌症之路。

如需瞭解有關基石藥業的更多資訊，請訪問：[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，2022年2月17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、Kenneth Walton Hitchner III 先生、曹彥凌先生、林向紅先生及胡正國先生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。