

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

### 基石藥業宣佈高選擇性RET抑制劑普吉華®(Pralsetinib)在中國台灣獲批用於治療晚期RET融合非小細胞肺癌和RET變異甲狀腺癌

基石藥業（「本公司」或「基石藥業」）欣然宣佈高選擇性RET抑制劑普吉華® (Pralsetinib)在中國台灣獲批，用於治療局部晚期或轉移的轉染重排（「RET」）融合陽性非小細胞肺癌（「NSCLC」）、需接受全身性治療的晚期或轉移的RET突變甲狀腺髓樣癌（「MTC」）以及需接受全身性治療且經放射性碘治療無效（如適用放射性碘治療）的晚期或轉移的RET融合陽性甲狀腺癌成人患者。

普吉華®是一種強效、選擇性RET抑制劑，由基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines公司開發。基石藥業與Blueprint Medicines公司達成了獨家合作和許可協議，獲得普拉替尼在大中華地區的獨家開發和商業化權利。

基石藥業首席執行官兼執行董事楊建新博士表示：「我們非常高興地看到繼泰時維®獲批用於治療晚期攜帶PDGFRA D842V突變的胃腸道間質瘤患者後，又一款重磅精準藥物普吉華®成功在中國台灣獲批上市。普吉華®已經在大中華區的多個地區獲批上市，具有優越和持久的臨床抗腫瘤活性，整體安全可控。此次普吉華®獲批上市，將會為在中國台灣的RET變異的肺癌和甲狀腺癌患者帶來新的治療選擇。一直以來，基石藥業始終致力於研發創新藥物，滿足癌症患者未解決的醫療需求。未來，我們將繼續在腫瘤領域不斷探索，力爭加速為全球患者帶來更多高品質的藥物。」

此次普吉華®在中國台灣的獲批是基於一項全球I/II期ARROW臨床研究，該研究旨在評估普吉華®在RET融合陽性的NSCLC、RET變異甲狀腺癌和其他RET融合的晚期實體瘤患者中的安全性、耐受性和有效性。

2022年9月，歐洲腫瘤內科學會(ESMO)年會上公佈了ARROW研究中全球患者的更新結果。在基綫有可測量病灶的患者中，腫瘤緩解通過盲態獨立中心評審(BICR)採用《實體腫瘤反應評估標準》(RECIST)1.1版進行評估，所有緩解經確認。RET融合陽性NSCLC患者的數據截止日期為2022年3月4日，RET變異甲狀腺癌患者的數據截至日期為2021年10月18日。

接受起始劑量400mg每日一次的患者中，普吉華®具有持久的臨床獲益。在260例RET融合陽性NSCLC患者中，總體緩解率(「ORR」)為70.0%，中位持續緩解時間(「DOR」)為19.1個月(95% CI: 14.5個月，27.9個月)。RET融合陽性NSCLC患者中最常見的治療相關不良事件(「TRAEs」)為天冬氨酸氨基轉移酶升高(44.5%)、貧血(42.3%)、丙氨酸氨基轉移酶升高(32.7%)、中性粒細胞計數降低(31.0%)、便秘(27.0%)、高血壓(26.7%)、白細胞計數降低(26.3%)和中性粒細胞減少(21.4%)。

在62例接受RET突變MTC初治患者中，ORR為77.4%，中位DOR尚未達到(95% CI: 不可評估，不可評估)。在61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55.7%，中位DOR為25.8個月(95% CI: 18.0個月，不可評估)。在22例接受過全身治療的RET融合陽性甲狀腺癌患者中，ORR為90.9%，中位DOR為23.6個月(95% CI: 15.1個月，不可評估)。在RET變異甲狀腺癌患者中，29例患者(16.6%)發生了嚴重的治療相關不良事件，5.7%的患者因TRAEs終止治療。

更新的數據結果顯示，普吉華®在晚期RET融合陽性NSCLC、RET突變MTC、及RET融合甲狀腺癌患者中具有強效和持久的抗腫瘤活性，整體安全可控，且沒有發現新的安全信號。

2022年8月發表在國際頂尖醫學雜誌《Nature Medicine》的ARROW研究結果進一步證明，普吉華®在包括胰腺癌、膽管癌在內的RET融合陽性的多種實體腫瘤患者中，均顯示出廣泛且持久的抗腫瘤活性以及良好的安全性(ORR為57%，中位DOR 11.7個月95% CI: 5.5, 19.0)。最常見的TRAE為天冬氨酸轉氨酶升高(38%)、丙氨酸轉氨酶升高(34%)和中性粒細胞減少(34%)。

## 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，非小細胞肺癌佔肺癌的大多數。

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，在非小細胞肺癌中RET融合患者約佔1-2%，常見於不吸煙的年輕人群。

## 關於RET變異甲狀腺癌

甲狀腺癌是最常見的內分泌惡性腫瘤，近幾年發病率顯著上升。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22萬新發甲狀腺癌病例數，其中女性新發病例數約為17萬。甲狀腺癌發病率位居中國城市地區女性所有惡性腫瘤的第4位。

甲狀腺癌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，不同類型的甲狀腺癌根據其腫瘤特點，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和多種類型的甲狀腺癌)中的關鍵疾病驅動因素。大約10-20%的甲狀腺乳頭狀癌(最常見的甲狀腺癌)患者攜帶RET融合，大約90%的晚期甲狀腺髓樣癌(約佔甲狀腺癌的2-5%)患者攜帶RET突變。

## 關於普吉華®

普吉華®是一種口服、每日一次、強效高選擇性RET抑制劑。中國國家藥品監督管理局已批准普吉華®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非小細胞肺癌成人患者，需要系統性治療的晚期或轉移性RET突變型甲狀腺髓樣癌成人和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(如果放射性碘適用)的晚期或轉移性RET融合陽性甲狀腺癌成人和12歲及以上兒童患者。普吉華®已在中國香港獲批，用於治療RET基因融合陽性的轉移性非小細胞肺癌成人患者。普吉華®已在中國台灣獲批，用於治療局部晚期或轉移的RET融合陽性非小細胞肺癌、需接受全身性治療的晚期或轉移的RET突變甲狀腺髓樣癌以及需接受全身性治療且經放射性碘治療無效(如適用放射性碘治療)的晚期或轉移的RET融合陽性甲狀腺癌成人患者。

美國食品藥品監督管理局（「**FDA**」）批准其以商品名為**GAVRETO**<sup>®</sup>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**融合陽性非小細胞肺癌的成人患者、需要系統性治療的晚期或轉移性**RET**突變甲狀腺髓樣癌成人和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**融合陽性甲狀腺癌成人和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**<sup>®</sup>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**融合陽性晚期非小細胞肺癌成人患者。除上述適應症外，普吉華<sup>®</sup>在大中華區、美國、歐洲還未獲批用於其他適應症。

**Blueprint Medicines**和羅氏正在全球（不包括大中華地區）共同開發普吉華<sup>®</sup>，用於治療**RET**突變的**NSCLC**、甲狀腺癌和其他實體瘤患者。**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**突變陽性甲狀腺髓樣癌。

## 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。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綫。目前，基石藥業已經獲得了十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)。

## 商標

**Blueprint Medicines**, **AYVAKIT**, **GAVRETO**及其相關商標為**Blueprint Medicines**所有。

## 前瞻性陳述

概不保證本公告所載關於本集團業務發展之任何前瞻性聲明，或任何事宜將可達成、將真實發生或將實現或屬完整或準確。本公告所披露有關本集團財務及其他方面的數據亦未經其核數師審核或審閱。本公司股東及／或有意投資者於買賣本公司證券時務請審慎行事，不應過分依賴本公告所披露的資料。如有疑問，股東或有意投資者應諮詢專業顧問的意見。

承董事會命  
基石藥業  
李偉博士  
主席

中華人民共和國，蘇州，2023年1月17日

於本公告刊發日期，本公司董事會包括主席兼非執行董事李偉博士、執行董事楊建新博士、非執行董事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。