

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

基石藥業首次遞交中國大陸新藥上市申請且國家藥品監督管理局受理同類首創胃腸道間質瘤精准靶向藥 **avapritinib** 的兩個適應症上市申請

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)宣佈，國家藥品監督管理局(「**NMPA**」)已受理胃腸道間質瘤(「**GIST**」)精准靶向藥物 **avapritinib** 的新藥上市申請(「**新藥上市申請**」)，涵蓋兩個適應症：分別為用於治療攜帶血小板衍生長因數受體 α (「**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，以及四線不可手術切除或轉移性 **GIST** 成人患者。**avapritinib** 是一款強效、高選擇性的、在研口服針對 **KIT** 和 **PDGFRA** 基因突變的抑制劑，由本公司合作夥伴 **Blueprint Medicines Corporation**(納斯達克股票代碼: **BPMC**)(「**Blueprint Medicines**」)開發。這也是基石藥業首個獲 **NMPA** 受理的新藥上市申請，標誌著本公司向商業化轉型邁出重要一步。

有關重點消息包括：

- **NMPA** 已受理同類首創精准靶向藥 **avapritinib** 的新藥上市申請，用於 **GIST** 晚期成人患者的兩個適應症，標誌著基石藥業向商業化轉型邁出重要一步；
- **avapritinib** 獲美國食品藥品監督管理局(「**美國 FDA**」)批准上市後，僅三個月，基石藥業即已在中國台灣和中國大陸分別遞交了 **avapritinib** 新藥上市申請，希望能儘快將這款藥物帶給大中華區患者；

- 已公佈的 NAVIGATOR 研究顯示，avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變(包括 D842V 突變)的晚期 GIST 患者中，總緩解率(「ORR」)達 86%，四線治療的 GIST 患者中，ORR 達 22%；
- 基石藥業開展的中國橋接研究的初步資料顯示，中國患者安全性及藥代動力學特徵資料均與 NAVIGATOR 全球研究資料一致。

中國每年約有 1-1.5/10 萬(1.4 萬-2.1 萬)新診斷 GIST 患者，大概 90% GIST 患者的致病因素與 KIT 或 PDGFRA 基因突變有關。二零二零年一月，美國 FDA 已批准 avapritinib 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獲批的，針對 PDGFRA 外顯子 18 突變治療的精准靶向藥。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：「在 avapritinib 獲美國 FDA 批准上市僅三個月後，基石藥業已分別在中國台灣和中國大陸地區遞交 avapritinib 的新藥上市申請，希望能儘快將這款同類首創的精准靶向藥物帶給大中華地區的晚期 GIST 患者。隨著本公司向商業化轉型的步伐不斷加速，未來幾個月中，基石藥業還將在中國遞交多個重要產品針對多種適應症的新藥上市申請。」

北京大學腫瘤醫院副院長、消化腫瘤內科主任、avapritinib 中國研究的主要研究者，沈琳教授表示：「avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變的晚期 GIST，和在四線治療的 GIST 患者中，均表現出了非常好的抗腫瘤活性，且安全性和耐受性良好。由於現有的療法患者獲益極為有限，所以這兩類 GIST 患者具有高度未滿足的治療需求。作為臨床醫生，我期盼 avapritinib 能早日獲批，成為晚期 GIST 患者新的治療選擇。」

二零二零年十一月，結締組織腫瘤學會年會公佈了 NAVIGATOR I 期臨床試驗中，關於 avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變和接受四線 GIST 患者中的研究結果。截止至二零一八年十一月十六日的資料顯示：

- 入組的 43 例 PDGFRA 外顯子 18 突變患者和 111 例四線治療患者，均接受了每日一次 avapritinib 300 毫克或 400 毫克的起始劑量，療效可評估；
- 在 PDGFRA 外顯子 18 突變患者中，ORR 為 86%(一例患者待確認)，中位緩解持續時間(「DOR」)未達到；
- 在四線治療的 GIST 患者中，ORR 達 22%(一例患者待確認)，中位 DOR 為 10.2 個月。

令人欣喜的是，目前基石藥業開展的中國 I/II 期橋接研究的初步資料顯示，中國 GIST 晚期患者的安全性及藥代動力學特徵資料均與 NAVIGATOR 全球研究資料一致，耐受性良好。

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「目前，中國晚期 GIST 治療方案主要為依次使用酪氨酸激酶抑制劑，但已批准的 TKI 藥物對攜帶 PDGFRA 外顯子 18 D842V 突變的 GIST 患者療效甚微。另一方面，中國四線 GIST 患者正面臨著多種耐藥突變、缺乏有效獲批療法等多

重困境。我很高興看到目前 avapritinib 在中國的橋接研究資料與 NAVIGATOR 全球研究結果一致，期待它能早日讓更多亟待創新療法的晚期 GIST 患者受益。」

基石藥業已與 Blueprint Medicines 達成獨家合作和授權，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、高選擇性的 KIT 和 PDGFRA 突變激酶抑制劑。它是用於治療 GIST 的 1 型激酶構象抑制劑，可直接與 KIT 和 PDGFRA 突變導致下游信號傳導啟動的活躍性激酶構象結合。avapritinib 已經證實了對 GIST 中 KIT 和 PDGFRA 廣泛突變的抑制作用。目前，在大中華區已經獲批的治療方法的主要耐藥機制是活化環突變導致，而 avapritinib 正是抑制這個部位突變，從而產生強效臨床活性。

Blueprint Medicines 正在推進 avapritinib 更廣泛的臨床項目開發，包括針對跨越多線治療的 GIST，和晚期，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 GIST 成人患者。

avapritinib 尚未被美國 FDA 批准用於治療任何其他適應症，且尚未被台灣食品藥物管理署、中國大陸 NMPA 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。

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，二零二零年四月二十三日

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。