

基石药业公司介绍

2022年1月

免责声明



By attending the meeting where this presentation is made, or by reading the presentation materials, you agree to be bound by the following:

The information in this presentation has been prepared by representatives of CStone Pharmaceuticals (the "Company" and, together with its subsidiaries, the "Group") for use in presentations by the Group for information purpose. No part of this presentation will form the basis of, or be relied on in connection with, any contract or commitment or investment decision.

Certain statements contained in this presentation and in the accompanying oral presentation, may constitute forward-looking statements. Examples of such forward-looking statements include those regarding investigational drug candidates and clinical trials and the status and related results thereto, as well as those regarding continuing and further development and commercialization efforts and transactions with third parties. Such statements, based as they are on the current analysis and expectations of management, inherently involve numerous risks and uncertainties, known and unknown, many of which are beyond the Company's control. Such risks include but are not limited to: the impact of general economic conditions, general conditions in the pharmaceutical industry, changes in the global and regional regulatory environment in the jurisdictions in which the Company's does business, market volatility, fluctuations in costs and changes to the competitive environment. Consequently, actual future results may differ materially from the anticipated results expressed in the forward-looking statements. In the case of forward-looking statements regarding investigational drug candidates and continuing further development efforts, specific risks which could cause actual results to differ materially from the Company's current analysis and expectations include: failure to demonstrate the safety, tolerability and efficacy of the Company's drug candidates, final and quality controlled verification of data and the related analyses, the expense and uncertainty of obtaining regulatory approval, the possibility of having to conduct additional clinical trials and the Company's reliance on third parties to conduct drug development, manufacturing and other services. Further, even if regulatory approval is obtained, pharmaceutical products are generally subject to stringent on-going governmental regulation, challenges in gaining market acceptance and competition. These statements are also subject to a number of material risks and uncertainties that are described in the Company's prospectus published onto the websites of the Company and The Stock Exchange of Hong Kong Limited and the announcements and other disclosures we make from time to time. The reader should not place undue reliance on any forward-looking statements included in this presentation or in the accompanying oral presentation. These statements speak only as of the date made, and the Company is under no obligation and disavows any obligation to update or revise such statements as a result of any event, circumstances or otherwise, unless required by applicable legislation or regulation.

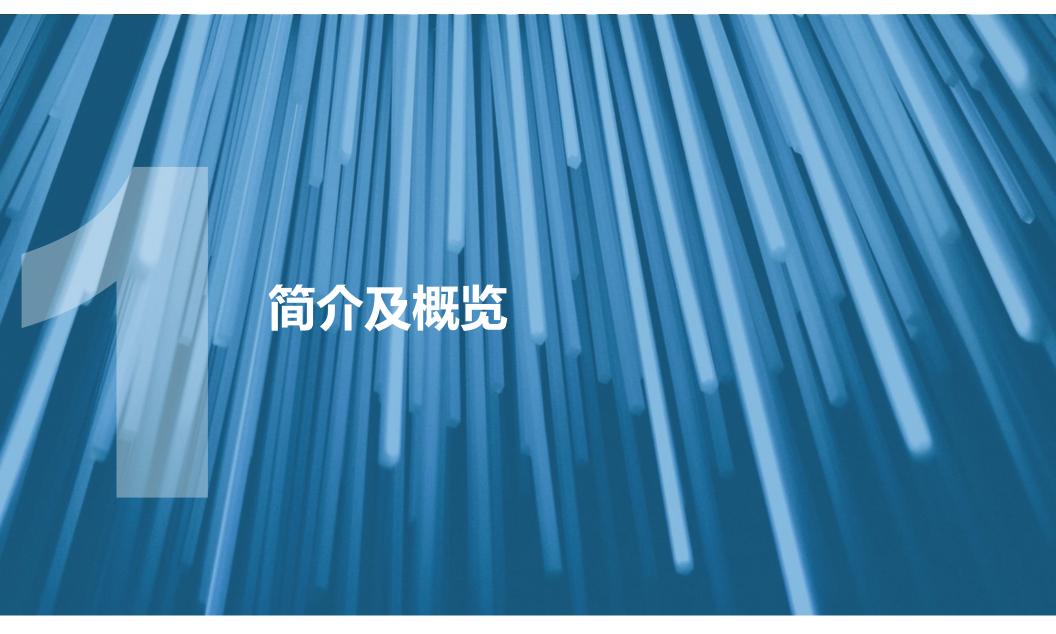
Forward-looking statements are sometimes identified by the use of forward-looking terminology such as "believe," "expects," "may," "will," "could," "should," "shall," "risk," "intends," "estimates," "plans," "predicts," "continues," "assumes," "positioned" or "anticipates" or the negative thereof, other variations thereon or comparable terminology or by discussions of strategy, plans, objectives, goals, future events or intentions.

No representation or warranty, express or implied, is made as to, and no reliance should be placed on, the fairness, accuracy, completeness or correctness of the information, or opinions contained herein. The information set out herein may be subject to updating, revision, verification and amendment and such information may change materially.

This presentation and the information contained herein is highly confidential and being furnished to you solely for your information and may not be reproduced or redistributed in any manner to any other person, in whole or in part. In particular, neither the information contained in this presentation nor any copy hereof may be, directly or indirectly, taken or transmitted into or distributed in any jurisdiction which prohibits the same except in compliance with applicable securities laws. This presentation and the accompanying oral presentation contains data and information obtained from third-party studies and internal company analysis of such data and information. We have not independently verified the data and information obtained from these sources.

By attending this presentation, you acknowledge that you will be solely responsible for your own assessment of the market and the market position of the Group and that you will conduct your own analysis and be solely responsible for forming your own view of the potential future performance of the business of the Group.





2021年业务亮点



商业化

成功上市两款同类首创产品,在短时间内取得了可观的销量。泰吉华®(阿伐替尼)分别于5月和6月在中国大陆和中国台湾上市。普吉华® (普拉替尼)于6月在中国大陆上市。截至2021年6月30日,它们合计产生了7,940 万元人民币的收入*

临床开发

获得行业领先的4项新药上市申请 (NDA) 批准,为上述产品的上市和即将上市的舒格利单抗治疗IV期非小细胞肺癌奠定了基础。提交了4项NDA,涵盖公司第三个同类首创产品(艾伏尼布)以及普拉替尼、阿伐替尼、舒格利单抗的适应症/市场区域拓展,并在多个国际会议上发布数据。舒格利单抗治疗 III 期非小细胞肺癌(全人群设定)及复发或难治性结外自然杀伤细胞/T 细胞淋巴瘤达到主要终点

商务拓展

选择辉瑞的**洛拉替尼**在中国**共同开发**,深化双方在2020年建立的合作伙伴关系,并获得**新药临床试验申请(IND)批准**。与EQRx合作**加快舒格利单抗**在**中国以外**多个国家的**注册。**与**恒瑞医药**就**CTLA-4大中华区**对外授权达成**战略合作**

管线 2.0

PD-L1x4-1BBxHSA三特异性抗体在中国获得**新药临床试验申请(IND)**批准, ROR1 抗体偶联药物在**美国**获得**新药临床试验申请(IND)**批准,研究数据在2021年国际分子靶标与癌症治疗大会上公布。与**DotBio**达成**全球合作**,加速抗体药物的发现

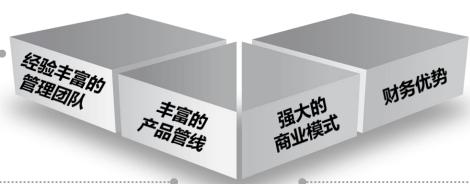
资本市场

已被纳入**恒生综合指数**及**港股通**



全能型生物制药企业 公司成立6年

具备出色业绩和互补专长的行 业领先的管理团队



具备稳健的财务状况和支持 增长项目的能力

布局均衡的肿瘤产品组合,包括15款肿瘤免疫疗 法和精准药物,其中7款处于商业化/晚期研究阶段 全面整合的生物制药企业,聚焦临床开发,生产能力迅速提升,具备全方位的商业化能力

如今,基石药业已实现多款产品的商业化,同时在全球范围内拓展业务,确立了自身在中国领先的生物制药企业中的地位。

行业领先的管理团队 具备出色业绩和互补专长





江宁军 MD, PhD 董事长兼首席执行官

SANOFI 🧳



赵萍 MD, MBA 大中华区总经理







杨建新 MD, PhD 首席医学官









谢毅钊 MD, PhD 首席科学官











王三虎 MPH 政府及注册事务高级副总裁



○選了 mindray 迈瑞



Michael Choi, MBA 首席商务官

■IQVIA **Huron ₹**Pfizer sparc



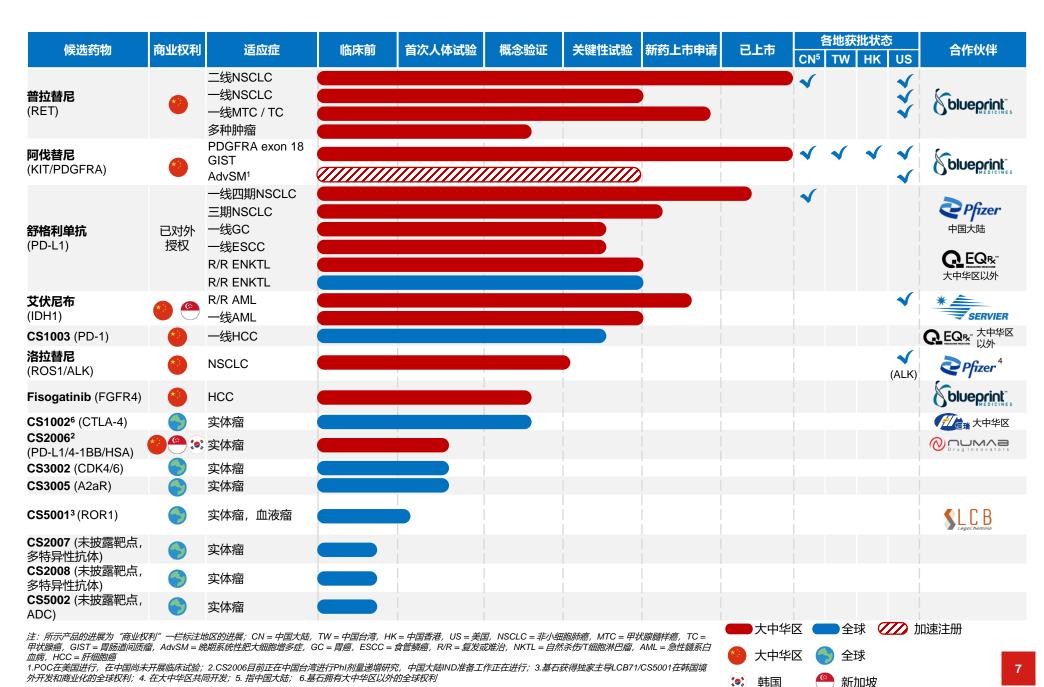
张英华 运营高级副总裁



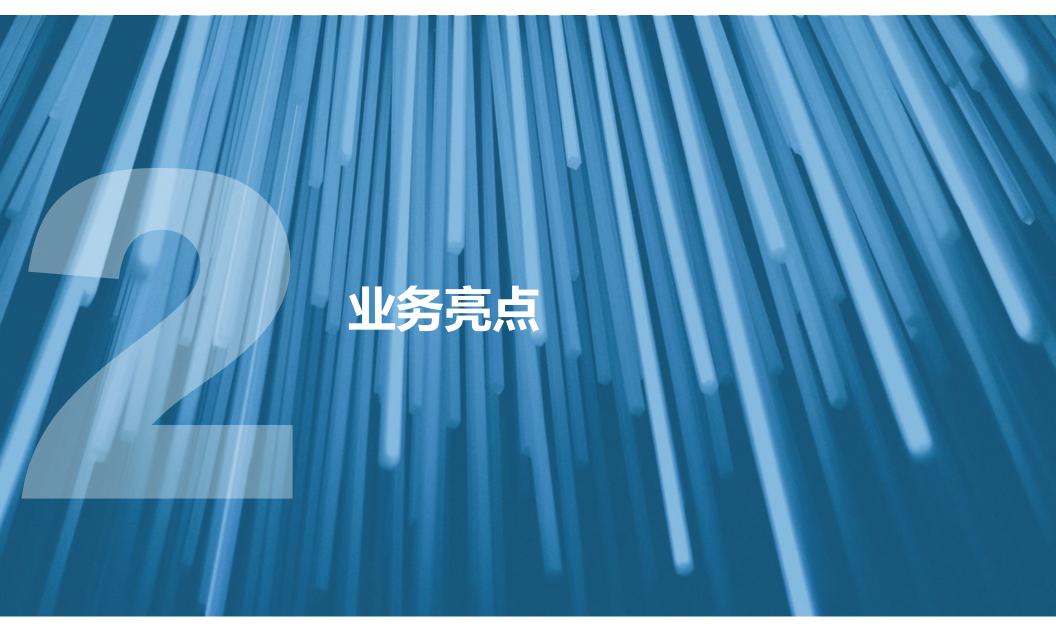


均衡的肿瘤资产包括15项创新产品 专注于肿瘤免疫及精准治疗领域









组建强大商业团队,由经验丰富的行业领导者组成 通过产品成功上市,巩固基石在肿瘤领域的领导地位





赵萍, MD, MBA 大中华区总经理

- 拥有超过25年的行业经历(前百时美施贵宝、艾尔建、健赞大中华区总经理)
- 塑造多家企业成为行业领导者
- 经验丰富, 曾领导30多个产品的上市, 多次打造肿瘤、罕见病和医美领域的领先品牌和公司











基石商业平台的临界规模: > 300名全职员工 (2021年底)



Sophia Lee 台湾 & 香港



Zezhou Wang 销售



Philip Chen 广义市场准入



Arthur Wu 市场

- 出众的领导团队,在跨国公司和创新生物技术公司 拥有丰富的经验
- 业绩表现优异,在肿瘤和血液疾病领域成功上市30多款产品
- 覆盖精准治疗药物潜在市场规模的约70%-80%

商业

3 | 4 | 5

上市速度创下业内标杆 上市策略快速广泛地推动首日销售





GAVRETO[®] 普吉华▼

AYVAKIT®

泰吉华

6.5 个月

在比通常要求更短的时间内,实现了 NMPA的快速批准

4天

从运抵中国到送至分销伙伴的时间

64 个城市

首日 在30个省64个城市的DTP药房上市

52 个城市 首日 在30个省52个城市的DTP药房上市





自2021年6月在中国大陆上市后,产品销售收入* 达到人民币4,580万元 自2021年5月在中国大陆/2021年6月在中国台湾 上市后,产品销售收入*达到人民币3,360万元

拓展产品在市场上的可及性 商业团队采取更多举措促进销售增长



医保覆盖

- 自上市以来,超过50个主要的政府和商业医保计划 已将阿伐替尼和普拉替尼纳入其中
- 已覆盖约6000万城市人口,后续将被纳入更多医保 项目

科学影响

>7个全国诊疗指南已将阿伐替尼、普拉替尼及艾 伏尼布和/或相关测试纳入其中

















◆素康

〈

























DOI,16.37666mm.jcml21515-20216411-00273 核議日第 2021-04-11 本文稿報 王宣彦 刘斯本文·中南北部会分計畫商店市主委员会分子病理协作证、中华高学会常歷学分会分 张家務古董校中心、中高生小场运动的推订。基页股份张原检赛专家共享33,中导航程学



增强管线开发的商业潜力 为即将到来的产品上市和适应症扩展做好准备



产品上市后适应症拓展

新产品上市准备

GAVRETO® 普吉华

• NSCLC – 一线RET融合

预计将在2022年向NMPA提交NDA 申请

• MTC – RET突变

NMPA在2021年4月受理NDA申请

in

中国大陆

• TC – RET融合 NMPA在2021年4月受理NDA申请

舒格利单抗

・NSCLC - III期 (同 步 & 序贯放化疗)

2021年9月NMPA受理NDA申请

in

· NSCLC – 一线IV期 (鳞状 & 非鳞状)

2021年12月获得NMPA的NDA批准

中国大陆

与辉瑞合作

大中华区以外 与EQRx合作

AYVAKIT®

泰吉华

・GIST – PDGFRA D842V 突变

2021年12月获得HK DoH的NDA批准



中国香港

TIBSOVO®

• r/r AML – IDH1+

NMPA在2021年8月受理NDA申请



中国大陆

为舒格利单抗的全面商业上市做好准备 NMPA于2021年12月批准治疗IV期非小细胞癌的新药上市申请





2亿美元 股权投资,从以下三个途径展开合作

1 舒格利单抗的商业化

2 合作开发辉瑞的产品

3 共同授权引入全球创新药物

- 最高达到2.8亿美元的里程碑付款
- 中至高十位数比例的分级特许权使用费
- 两款已获得概念验证的肿瘤产品
- 基石将获得**两位数**比例的特许权使用费
- · 联合将产品授权引入大中华地区
- 基石保留联合推广的选择权

产品定位

中国同类最佳的PD-(L)1,以独特的双重 抗癌机制提供更强 大的疗效/安全数据

定价 & 市场准入

具备竞争力的定价; 充分利用NRDL以及其 他项目以最大化患者 用药可及性

市场进入模式

辉瑞的商业团队广泛 **覆盖超过 4600 家医** 院(约占市场的90%)

关键差异化

唯一对 III 期和 IV 期 NSCLC 患者均具有 卓越疗效和安全性的 PD-(L)1产品

无与伦比的临床开发团队 强劲战略、创新试验设计和快速执行力



业务亮点



杨建新 MD, PhD, 首席医学官



Pizer AMGEN COVANCE



- 临床科学家和企业高管,具有 25 年以上肿瘤领域的生物医学研究和生物制药研发经验
- 领导60+项全球和中国试验,成功推动超过5款产品上市(替雷利珠单抗,泽布替尼,帕米帕利,阿伐替尼和普拉替尼),包括在 全球上市的泽布替尼,以及2个有待批准的药物(舒格利单抗和艾伏尼布)
- 组建百济神州和基石的临床开发团队,建立高效的以项目为中心工作模式
- 德克萨斯大学西南医学中心博士,师从诺贝尔奖得主Mike Brown和Joseph Goldstein博士,哈佛大学博士后,师从Stuart Schreiber博士

创新临床发展战略,开创中国临床发展新纪录

适应症策略:聚焦 中国 未满足的 最大适应症	覆盖肺癌、胃癌、肝癌和食管癌,占癌症 总发病率 的50%以上
适应性I/II期临床设计:从剂量递增到多个POC研究的无缝过渡	舒格利单抗从I期临床首次人体试验到提交首个 NDA申请用时 三年
创新的Ⅲ期临床试验设计 加速大适应症的	2种病理在一项临床试验中 – 鳞状及非鳞状
NDA递交	2种治疗模式在一项临床试验中 – 同步与序贯
高效的桥接策略 加快引进资产在大中华地区	阿伐替尼和普拉替尼在 获得IND批准两年后 在中国
的审批	获批上市

临床

业务亮点

凭借众多的临床成功案例,有望实现快速增长 在NDA提交、获批和数据发布方面均保持行业领先数量



新产品路线图

已上市产品的适应症和市场拓展

普拉替尼

NSCLC (1L/2L)

1L RET 融合阳性NSCLC注册研究获得 阳性数据, 1L/2L NSCLC 数据已在2021 年WCLC上呈报

MTC (RET突变)

- RET 突变 MTC注册研究获得阳性数据
- RET 突变 MTC的NDA在中国大陆获得 受理,并被授予BTD和优先审评资格

TC (RET融合阳性)

RET 融合阳性TC的NDA在中国大陆获 得受理,被授予优先审评资格

篮式试验

正在开展具备注册潜力临床试验

阿伐替尼

GIST

- PDGFRA D842V 突变GIST的NDA在 香港获得批准
- GIST研究结果在2021年ESMO世界胃 肠道肿瘤大会进行口头报告

AdvSM

- 与CDE讨论AdvSM的加速注册途径
- 上市申请在美国获批

ISM

- 被美国FDA授予**突破性疗法认定**,用 于治疗中度至重度ISM
- 预计将在2022年获得注册试验数据

其他

由合作伙伴探索其他适应症, 如急性 髓系白血病

艾伏尼布

AML (R/R)

- R/R AML的NDA 在中国大陆获 得受理,并被授予优先审评资格
- 中国R/R AML患者阳性数据已在 2021年ESMO大会上进行口头 报告

AML (1L)

与阿扎胞苷联合治疗携带IDH1 突变初治AML患者的全球III期研 究的阳性数据已在2021年ASH 大会上进行口头报告

胆管癌

- 上市申请在美国获批
- 探索中国桥接战略

卓越的疗效数据和耐受良好的安全性 在2021年WCLC和ESMO大会展示4项口头报告和1项海报



普拉替尼 (1L/2L NSCLC)

有效性

在既往接受过铂类化疗的中国患者中 (n=33):

• 确认的 ORR: 66.7% (1 CR, 21 PRs)

• DCR: 93.9%

■ 至首次缓解的中位时间: 1.89 月

未接受过系统性治疗的中国患者 (n=30):

• 确认的 ORR: 80% (2 CRs, 22 PRs).

■ DCR: 86.7%

■ 至首次缓解的中位时间: 1.87 月

安全性

在中国患者中整体安全可控,且没有发现新的安全信号

阿伐替尼(晚期GIST)

有效性

携带PDGFRA D842V突变的中国GIST患者:

• ORR: 70%

• CBR: 80%

■ 中位PFS: 尚未达到

对四线及以上的中国GIST患者:

ORR: 17%

CBR: 52%

■ 中位PFS: 5.6 月

安全性

研究进一步显示出治疗中国GIST患者的良好安全性和耐受性,该结果与全球其他相关研究结果一致

艾伏尼布 (R/R AML)

有效性

 CR+CRh率: 36.7% (11/30, 11例 患者均达到了CR)

■ 中位达CR+CRh的时间: 3.68 月

12个月的CR+CRh的持续缓解率: 90.9%

■ 中位EFS: 5.52 月

■ 中位OS: 9.10 月

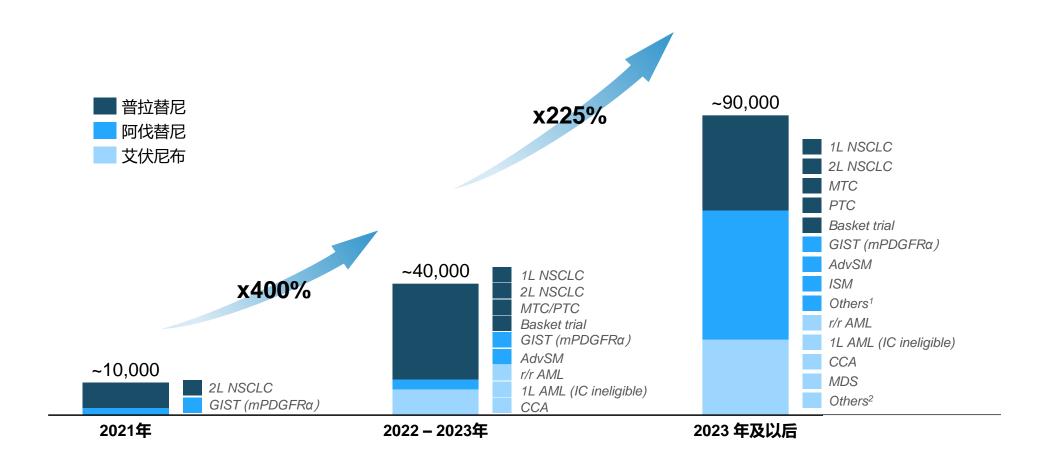
安全性

安全性良好,未发现新的安全性信号

业务亮点

拓展关键产品的潜在患者群体 通过更多适应症释放产品全部商业潜力





资料来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; NEJM

NSCLC = 非小细胞肺癌,MTC = 髓样甲状腺癌,PTC = 甲状腺乳头状癌,GIST = 胃肠道间质瘤,AdvSM = 晚期系统性肥大细胞增多症,ISM = 惰性系统性肥 大细胞增多症,R/R = 复发或难治性,AML = 急性髓性白血病,CCA = 胆管癌; MDS = 骨髓增生异常综合征;Basket trial = 篮式试验;IC ineligible = 不适合 强化治疗

^{1.}食管癌、肝细胞癌、非小细胞肺癌、宫颈癌等; 2. 大肠癌、前列腺癌、胶质母细胞瘤、黑色素瘤等。

临床 3 | 4 | 5 |

业务亮点

舒格利单抗有望重塑肺癌治疗格局 唯一对Ⅲ期和Ⅳ期 NSCLC全人群均具有疗效的PD-(L)1单抗



通过创新的试验设计,基石药业成为 首家覆盖晚期NSCLC全人群的公司

鉴于其广泛的适用性和安全性, 有望成为医师首选的PD-(L)1

GEMSTONE-301研究

- 首个在一个临床试验中覆盖同步或序贯放化疗患者的III期临床试验,更好地反映真实世界的临床实践,并覆盖更广泛的人群
- 详细数据已于**2021年ESMO**公布



GEMSTONE-302研究

- 中国首个同时覆盖鳞状和非鳞状一线非小细胞肺癌患者的III期临床试验,而非开展两个独立临床试验,风险比在最终分析中进一步提高
 - PFS (HR: 0.48; mPFS: 9.0 vs. 4.9 月)
 - OS (HR: 0.67; mOS: 22.8 vs. 17.7 月)
- 详细数据已于2021年WCLC公布

■ **差异化设计**:源自Ligand的OmniRat®平台的**全人源全长 IgG4** — 最大限度地减少抗药抗体(ADA)的产生;保留抗体依赖性细胞介导的吞噬作用(ADCP)活性以提高疗效

■ 出色的疗效:

- **首个**联合化疗在鳞状和非鳞状IV期 NSCLC 患者中展示出临床疗效的PD-L1单抗,**PFS风险比(HR)为 0.48**,在所有PD-(L)1竞品中最优
- **首个**显著改善同步或序贯放化疗后III期NSCLC患者无进展生存期的PD-(L)1单抗
- · 在食管鳞癌、胃癌和复发/难治自然杀伤T细胞淋巴瘤等患者中也观察到了卓越的临床疗效。FDA 和 CDE 授予其"突破性疗法认定"

■ 商业机会:

- 晚期NSCLC的首选 I/O 药物
- 中国/美国/欧盟五国/日本约85万III期和IV期非小细胞肺癌目标患者
- 针对**食管鳞癌、胃癌和复发/难治自然杀伤T细胞淋巴瘤**正在进行注册试验,拥有大量目标患者人群
- IV 期非小细胞肺癌:2021年12月获得中国新药上市批准
- III 期非小细胞肺癌:2021年9月新药上市申请获NMPA受理
- 与EQRx紧密合作,为全球范围内的新药上市申请进行准备,有望于2022年递交生物制品申请

注: 数据截止: 2021年3月15日

在2021年WCLC以及ESMO上展示两项研究卓越的疗效及安全性数据, 并获得《柳叶刀·肿瘤学》接收



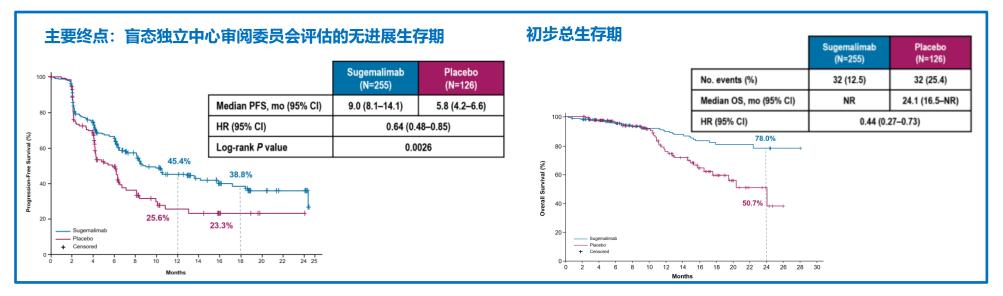




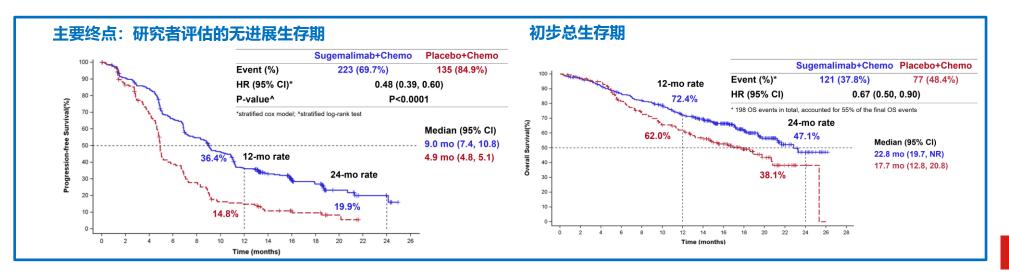


THE LANCET Oncology

GEMSTONE-301



GEMSTONE-302



舒格利单抗加速临床开发 从第12位上升至NSCLC第一梯队,创造"基石速度"



从 IND到 IV期 NSCLC NDA批准

覆盖 III 期和 IV 期非小细胞肺癌



覆盖III期和IV期 NSCLC全人群的 **PD-(L)1**

预计2022年Q4

提前约两年让III期 NSCLC 患者用上肿瘤免疫疗法

鳞状和非鳞状IV期 NSCLC的PD-(L)1 单抗,具备同类最 优潜力

预计2021年Q4

治疗IV期 NSCLC患者, 具有疗效和安全性优势

第12位中国 临床PD-(L)1单抗

2017年Q4

商务拓展团队不断壮大,拓展全球合作伙伴网络 强化能力,为管线和商业化提供支持



业务亮点



Michael Choi, 首席商务官

≣IQVIA"

Huron Pfizer



- 拥有超过23 年的生物制药战略和商务拓展经验
- ➢ 曾任辉瑞和SPARC高级管理人员
- > 完成跨越6大洲的40多笔交易, 总交易额达数十亿美元



推动短期现金流和投资回报率 解决临床未满足的需求 / 产生临床催化剂

- 商业化的伙伴
- 临近上市阶段的增值资产
- **广至临床框化**。 **中国**:临床概念验证后资产
- 全球:可改变当前治疗范式的临床前资产 (如FIC/BIC/FW、多特异性抗体、ADC等)

14年1八十八次

强化公司能力/ 发展成为一个全球性的参与者

- 多特异性抗体、ADC、AI发现平台
- 生物医药孵化器项目

进一步深化与辉瑞之间的战略合作伙伴关系 达成共同开发洛拉替尼的协议,进一步强化肺癌产品线





2亿美元 股权投资,从以下三个途径展开合作

舒格利单抗的商业化

合作开发辉瑞的产品

3 共同授权引入全球创新药物

- **最高达到2.8亿美元**的里程碑付款
- 中至高十位数比例的分级特许权使用费
- 两款已获得概念验证的肿瘤产品
- 基石将获得两位数比例的特许权使用费
- 联合将产品授权引入大中华地区
- 基石保留联合推广的选择权

洛拉替尼 (ROS1/ALK)

庞大的患者群体

中国NSCLC每年确诊 病例超过67万,其中 2-3%为ROS1阳性

巨大的临床需求

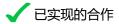
针对TKI难治性患者尚 无获批的靶向疗法。 现有治疗对脑转移患 者的疗效有限

具有高PoS、已获得 概念验证的产品

对 ROS1阳件晚期 NSCLC患者显示出强 效、选择性的抑制活性

开创性的临床项目

全球首个洛拉替尼用 于 TKI 难治性、 ROS1 阳性患者的关 键研究,**IND申请获** 国家药监局批准





为舒格利单抗全球上市做好准备 借助EQRx的商业模式渗透PD-L1市场





<u>1.5 亿美元</u>的预付款、<u>最高达 11.5 亿美元</u>的里程碑付款以及净销售额的 两位数比例的分级特许权使用费

~300亿美元市场价值1

(非小细胞肺癌,胃癌,食管癌)



与EQRx紧密合作,为全球范围内的新药上市申请进行准备, 有望于2022年递交生物制品申请

与领先民族制药企业恒瑞医药达成战略合作 CS1002 (CTLA-4) 大中华区对外授权



恒瑞医药

获得CS1002 (抗CTLA-4单抗) 在大中华 地区研发、注册、生产和商业化的独占授权

- CS1002是抗肿瘤药物管线布局的重要补充, 与管线内多款产品有联合用药潜力
- 强大的商业化综合能力支持
- 成为新的业务增长点

基石药业

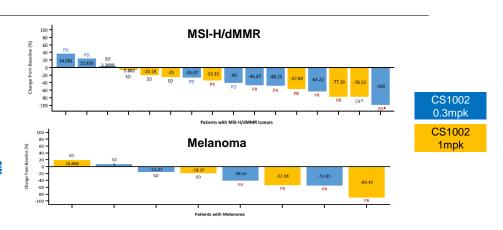
获得总计**约两亿美元**的首付款、潜在里程碑 付款和两位数的特许权使用费

- 优异的早期临床数据
- 差异化给药方案
- 在多个适应症中取得概念验证

最大化发挥肿瘤免疫骨架产品CS1002市场价值

CS1002 (抗CTLA-4单抗)

- 全长全人源IgG1亚型的抗CTLA-4单克隆抗体
- 正在进行的Ia/Ib期研究结果表明, CS1002联合CS1003 (抗PD-1单抗) 在多个剂量级别的多瘤种中安全性可控, 耐受性佳
 - CS1002 1mpk级别中,三度及以上治疗相关性不良事件 17.6%,优于同剂量级同类药物联合治疗(lpi +Nivo) 29%-32%;
 - 联合治疗在MSI-H实体瘤,PD1耐药的黑色素瘤中,无论是低剂量还是标准剂量,均呈现出卓越的客观缓解率,展示出优越的抗肿瘤活性(两瘤种中,ORR均为50%);客观缓解率均明显高于同类药物单药治疗的客观缓解率。
- 0.3mpk持续给药和1mpk 4次给药均可作为推荐剂量进入多瘤 种确证性阶段的临床开发,在双药或多药联合的情景下使用, 最大化地拓宽临床开发的可能性。



* 更新数据将在2021年12月ESMO-IO会议上公布

将创新转化为安全有效的疗法 优秀的内部团队,显著的研究与转化差异化





谢毅钊, MD, PhD, 首席科学官







- ▶ 20多年**转化肿瘤学研究**经验,涵盖细胞毒性、靶向药物和免疫疗法等领域。
- ▶ 第一三共**肿瘤治疗领域负责人**,领导了 pexidartinib 的III期研究,pexidartinib是腱鞘巨细胞瘤首个获批的系统性疗法
- 在默沙东负责10多个不同作用机制和模式的肿瘤免疫产品的早期开发
- 南加州大学MD-PhD;纪念斯隆-凯特琳癌症中心教授

具有显著差异化的杰出的内部团队和基础设施

无与伦比的团队

研究

首席科学官 转化医学 & 早期开发 (TMED)

- 全能的发现、转化和早期临床开发团队
- 提供从发现到临床PoC的统一管理
- 团队成员70%拥有Ph.D.学位, 25%拥有M.S.学位
- 平均超过15年的学术机构和产业内的药物发现和开发相关经验

显著的差异化



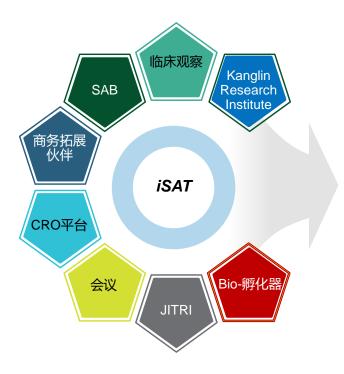
将创新转化为安全有效的疗法 加速从发现到POC阶段资产的开发



丰富资源带来前沿药物开发思路

内部基础设施就位推动执行

可持续地推出创新药物





管线 2.0

FIC/BIC/FW

全球权益

每年提交1~2项 IND

业务亮点

充分发挥下一代候选药物的潜力 FIC/BIC/FW 产品组合取得重大开发进展





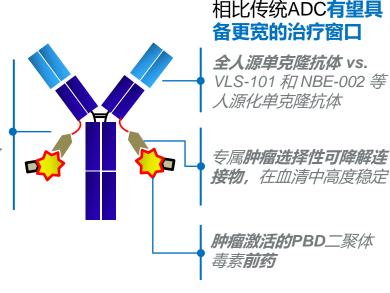
CS5001 (ROR1 ADC) 差异化设计的新模式FIC/BIC潜在产品



设计领域的差异化

可控的品质和生产

通过位点特异性偶联实 现同质的药物/抗体比率 ("DAR") (DAR=2)



临床与商业价值

- ▶ 有潜力应用于广泛的癌症类型
 - · NSCLC、TNBC、卵巢癌、白血病、NHL
 - 全球每年**发病超过 300 万例**
- ➤ 基于早期研究的积极数据, ROR1 相关交易获得了极高的交易额
 - 默克以27.5 亿美元收购 VelosBio, 其主要产 品为 VLS-101 (I/II 期)
 - BI 以14 亿美元收购 NBE,其主要产品为 NBE-002 (I期)

领导地位

全球排名前三的ADC, 中国首个ADC

美国IND申请于 2021年12月获批 预计2022年1H在 中国完成 IND申请 潜在加速注册路径 快速上市和具有成本效益 的开发

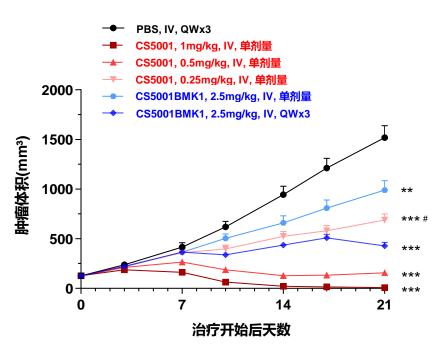
有限的定价压力 能够最大化产品的潜在商 业回报

CS5001 (ROR1 ADC)

对表达ROR1的血液和实体恶性肿瘤具有显著的体内抗肿瘤活性

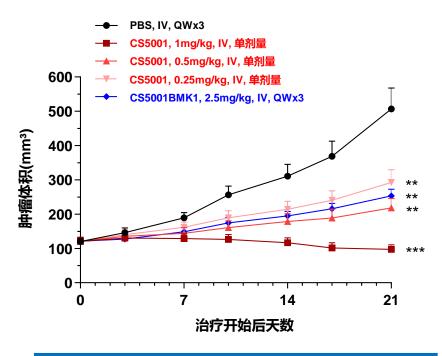


在MCL异种移植体的体内疗效



治疗方案	TGI %	CR
CS5001, 1 mg/kg, 单剂量	109	2/8
CS5001, 0.5 mg/kg, 单剂量	98	0/8
CS5001, 0.25 mg/kg, 单剂量	60	0/8
CS5001BMK1, 2.5 mg/kg, 单剂量	38	0/8
CS5001BMK1, 2.5 mg/kg, QWx3	78	0/8

在TNBC异种移植中的体内疗效



治疗方案	TGI %
CS5001, 1 mg/kg, 单剂量	106
CS5001, 0.5 mg/kg, 单剂量	75
CS5001, 0.25 mg/kg, 单剂量	55
CS5001BMK1, 2.5 mg/kg, QWx3	68

CS2006 (PD-L1x4-1BBxHSA) 潜在同类最佳4-1BB激动剂以及下一代PD-(L)1抑制剂



产品亮点

下一代 **PD-(L)1**

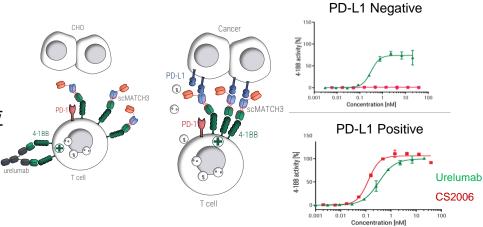
- 潜在同类最佳药物,拥有独特的设计以减少不必要的毒性反应并提高疗效
 - 独特的4-1BB单价连结在PD-L1接触后才被激活
 - 精巧且平衡的PD-L1与4-1BB的亲和性
- 对于冷热肿瘤都有效,克服内外部因素介导的PD-(L)1耐药
- 作为新型肿瘤免疫骨干产品潜在提供了多种联合治疗选择

加速的开发时间表

- 美国/全球的首次人体试验剂量递增研究进行中
- 台湾地区研究于**2021年第一季度**启动
- 中国IND申请已于2021年9月获得NMPA批准

CS2006的其他亮点

- 极高的和αPD-L1的亲和性可增大PD-L1连结的肿瘤类 型并减少需要的剂量
- 对内源性4-1BB与4-1BBL的连结无影响,保留了正常 的抗原表达
- αHSA区域加长了半衰期并且避免了Fc-FcγR介导效应
- 分子量约为~80 KD (vs. mAb ~150KD), 对肿瘤有更 好的渗透作用



充分发挥下一代抗体疗法的潜力 通过与DotBio的全球合作加速抗体药物的发现





合作伙伴简介

主要合作条款



分拆于卡罗林斯卡学院 (瑞典) 和南洋理工大学 (新加坡)

• 实验室位于新加坡和香港



联合开发多达3种临床前阶段FIC/BIC的下一代 抗体疗法

- 多功能抗体和抗体偶联药物
- 基石将根据期望达到的作用机制主导设计靶点并组合,DotBio将主导分子的设计和构建
- 基石可选择以预先确定的条件取得全球权利



专注于下一代抗体的发现和工程设计

• 多特异性抗体,抗体偶联药物,细胞内抗体



借助合作环境促进药物开发

- 基石将在公司的全球研发总部为DotBio提供 一个功能齐全的实验室空间和实物资源共享
- 为基石的自主创新研发引擎增添来源



基于模块化概念设计的专有DotBody技术平台

- 预制具有特定功能的抗体模块,并根据需要将其快速有效组合起来以构建多功能抗体
- 通过高通量工艺加快多特异性抗体、抗体偶联药物和细胞内抗体的构建



通过创新交易模式实现互利共赢

- 基石将持有DotBio股份
- 随着候选药物在开发过程中的进展,DotBio 有资格获得里程碑式付款;如果候选药物获 得批准,则其有资格获得特许权使用费

拓展资本市场机遇 被纳入关键指数,有利于股票交易和投资者群体多元化







- 于2021年8月20日被纳入恒生综合指数, 并于2021年9月6日起生效
- 于2021年9月6日被纳入港股通

流动性有望得到改善,价格发现效率更高,投资者基础更加多元化, 尤其是将会有更多中国大陆的在岸机构投资者





2022年业务展望 释放我们业务和产品组合的全球潜力



商业化

通过新产品上市以及在售产品的市场扩张和渗透,实现商业潜力最大化

取得 4 项NDA批准,为舒格利单抗和艾伏尼布上市,以及在售产品的适应症/区域拓展奠定基础

临床开发

全面加快临床开发计划

预计将提交 5+ 项NDA 申请,公布3项研究的数据;加强针对**其他高发癌症**的研发,同时**巩固肺癌产品组合的优势**

管线 2.0

进一步提升创新药物研发, 充分发挥管线 2.0 的潜力

推进ROR1 ADC (美国/澳大利亚/中国大陆) 和 PD-L1/4-1BB/HSA三特异性抗体 (中国大陆) 的临床开发,预计于2021年底获得ROR1 ADC的美国IND和澳大利亚CTA申请受理; 平均每年提交 1~2 个具有 FIC/BIC/FW 潜力和全球权益的高度差异化的新分子IND申请

商务拓展

通过多维度伙伴关系实现全球目标

针对授权引入和其他合作伙伴关系,寻求灵活的交易结构,支持**中国和海外市场**的**管线开发**和 **商业化工作**

生产基地

为试生产运营做好准备 针对**生产场地和物料变更**提出申报,**完成**多款产品的**技术转移**

谢谢

