



基石药业

CSTONE
PHARMACEUTICALS

HKEX
香港交易所
2616.HK

2021年度业绩报告

2022年6月

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及2022迄今为止业绩亮点

2021及2022迄今为止业绩亮点

公司各项业务取得显著的增长及进展



收入

2.437亿元人民币

2021年全年收入

- **1.628亿元人民币**

产品收入

2款产品¹在不足8个月时间内实现
的商业销售额

- **8,095万元人民币**

合作收入

CTLA-4授权许可

PD-L1里程碑付款



商业化

4 款产品上市



2L NSCLC, 1L MTC/TC
(中国首个且唯一的RET
抑制剂)



PDGFRA 外显子18 GIST
(中国首个KIT/PDGFR
抑制剂)

择捷美[®]

舒格利单抗

1L IV期及III期NSCLC
(在中国大陆和辉瑞合作)



R/R AML (中国首个且
唯一的IDH1抑制剂)



商务拓展

2 项战略伙伴关系



1 项共同开发



通过辉瑞的洛拉替尼进一步
巩固非小细胞肺癌管线



研发

8 项NDA批准

6 项NDA递交

4 项IND批准

CS5001 (ROR1 ADC) 在美国、澳大利亚及
中国的全球研究

CS2006 (PD-L1/4-1BB/HSA) 在中国的研究

10+ 个发现阶段项目

多特异性抗体、ADC、抗体细胞因子融合分
子和平台



生产

试运营

位于苏州的一流生产设施，拥有26,000升
生物制品及10亿片/胶囊小分子药物产能



注：1. 普拉替尼和阿伐替尼

NSCLC = 非小细胞肺癌, MTC = 甲状腺髓样癌, TC = 甲状腺癌, GIST = 胃肠道间质瘤, AML = 急性髓系白血病

2

业务进展

2021年公司成功上市两款产品并在精准医疗领域确立领先地位



以超常规的速度上市普拉替尼和阿伐替尼



针对RET+ NSCLC的同类首创药物, 中国唯一获批的RET抑制剂

- 上市(2021年6月)仅一个月, 在~**100家医院**开具处方
- 上市(2021年6月)仅一个月, 覆盖~**70个城市和80家DTP药房**



针对PDGFRA 外显子 18 GIST的同类首创药物

- 抵达中国后**4天**触达分销商合作伙伴
- 上市(2021年5月)仅一个月, 在~**50家医院**开具处方, 并覆盖**50家DTP药房**

通过成熟的商业平台实现销售快速增长

覆盖

~**300名**全职员工, 覆盖**130+**个城市、**600+**家医院及~**70-80%**的潜在市场

诊断

RET+ /PDGFRA外显子18检测率从**40%**(上市前)提高到**60%**

学术领导地位

被纳入**10+**项国家指南

可及性

在~**100**家医院和DTP药房上市

可支付性

列入**60+**个商业保险计划

通过清晰的战略和持续的商业举措，推动普拉替尼和阿伐替尼在2022年实现业绩稳健增长



诊断

学术领导地位

可及性和
可支付性

长期用药

2022 战略举措

- 纳入RET/PDGFRA 检测指南
- 与PQCC¹和药企合作进行HCP培训
- 通过“大爱无罕”项目免费为患者检测
- 通过临床实验室合作伙伴关系优化检测流程

- 建立学术领导地位并成为标准治疗:
- 普拉替尼: 论坛和研讨会, TC上市会等
 - 阿伐替尼: GIST 精准论坛, SM合作组
 - 强调使用案例分享

- 定价/PAP优化
- 商业/城市保险扩展
- 与创新支付服务平台合作
- 正在规划国家医保战略

- “生命基石”项目用于HCP长期用药教育
- “生命守望”平台用于患者随访和保留

待实现的 增长

持续提升RET+和PDGFRA 外显子 18 **检测率和准确率**

HCP总体推荐率**80-90%**

纳入**80+**项保险计划

平台订阅用户**>4,000**

~150 患者教育课程

>90%覆盖医院开具处方

2022年4月起阿伐替尼
价格调整

~70% 患者纳入患者管理计划

在临床和商业方面做好充分准备，确保艾伏尼布R/R AML适应症成功上市



卓越的临床表现和适应症扩展潜力

- ✓ 拓舒沃®(艾伏尼布) 是中国批准的**第一个也是唯一**一个高选择性IDH1抑制剂，具有优异的疗效和安全性
- ✓ **1月31日NMPA批准**其用于治疗IDH1突变的R/R AML
- ✓ **1L AML和CCA¹** 适应症扩展机会
 - 1L AML 5月在美国获批，III期试验数据结果于2022年4月发布在NEJM²上
 - 自2022年3月起，IDH1+ CCA患者可在博鳌用药

KOL大力支持及行业认可

- ✓ **150+ KOL对艾伏尼布有很高认知度**，并将参加7月的上市会
- ✓ 纳入3项治疗指南，包括针对IDH1突变AML/CCA的**CSCO指南**
- ✓ 建立**国家级的血液瘤平台**，并获得**顶级KOL100%推荐**



王健祥

国家血液系统疾病临床医学研究中心主任

作为国内首个获批的IDH1抑制剂，我们欣喜地看到拓舒沃®在针对IDH1突变的AML患者中展现了良好的疗效与安全性。相信拓舒沃®的获批将会为更多的AML患者带来创新的精准治疗方案...

全面启动艾伏尼布上市及最大化销售



- 通过教育和合作，IDH1检测率从~50% (2021年) 提高到~70%⁴



- 覆盖了>130家医院的>500名血液学家



辉瑞主导舒格利单抗于1月份上市，并获得优异的市场认可度



已上市适应症

- IV期非小细胞肺癌
- III期非小细胞肺癌

管线适应症

- 结外NK/T细胞淋巴瘤
- 胃癌
- 食管癌

产品定位及关键差异化

- 辉瑞优质品牌定位，具有独特的药物作用机制(双重抗癌机制)，同类最优并具有卓越的疗效和安全性

KOL及HCP 认可

- 2022年2月成功召开全国上市会
- 在KOL/HCP中快速观念创建
- 2022年CSCO指南推荐: IV期非小细胞肺癌获得1级推荐, III期非小细胞肺癌获得3级推荐

上市及覆盖速度

- NDA获批后18天内实现首次商业销售
- 500多家医院/DTP药房可提供药物

价格及市场准入

- 与其他跨国药企PD-(L)1相比，PAP方案合理且价格具备竞争力
- 充分结合保险项目(即城市保险、创新项目)，从而最大限度地提高患者的可及性；正在规划NRDL策略
- 由于大量未满足需求，即将取得的III期非小细胞肺癌适应症批准将有望进一步推动进院工作

普拉替尼

同类首创RET抑制剂于2021年在中国大陆上市 (1/2)



2021/2022迄今为止取得的成就

- 2L RET融合阳性的局部晚期或转移性NSCLC适应症在中国大陆商业化上市
- RET突变晚期或转移性MTC和RET融合阳性的晚期或转移性TC获NDA批准，数据发布于2021年ATA¹
- 1L RET融合阳性NSCLC阳性数据公布并以口头报告形式发布于2021 WCLC²
- 在以下地区获得NDA受理
 - 中国台湾：RET融合阳性NSCLC、RET突变型MTC和RET融合阳性TC
 - 中国香港：RET融合阳性NSCLC

~7万

2025年新诊断的RET
基因变异中国患者

适应症	地区	临床前	首次人体 试验	概念验证	关键性 验证	新药上市 申请	已上市	合作伙伴
2L RET+ NSCLC		[Progress bar]						
		[Progress bar]						
1L RET+ NSCLC		[Progress bar] 2022						
		[Progress bar]						
1L RET+ MTC / TC		[Progress bar]						
		[Progress bar]						
篮式试验		[Progress bar]						
		[Progress bar]						



广泛的潜在晚期RET+实体瘤适应症，即结直肠癌、胃癌、乳腺癌、肝癌、宫颈癌、卵巢癌、食管癌和胰腺癌

注: 1. ATA= 美国甲状腺协会; 2. WCLC= 世界肺癌大会; NSCLC = 非小细胞肺癌, MTC = 甲状腺髓样癌, TC = 甲状腺癌

来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; 普拉替尼 ASCO 2020演示

基石药业与Blueprint Medicines公司独家合作并签订许可协议, 在大中华区 (包括中国大陆、中国香港、中国澳门和中国台湾) 进行普拉西替尼的开发和商业化

普拉替尼

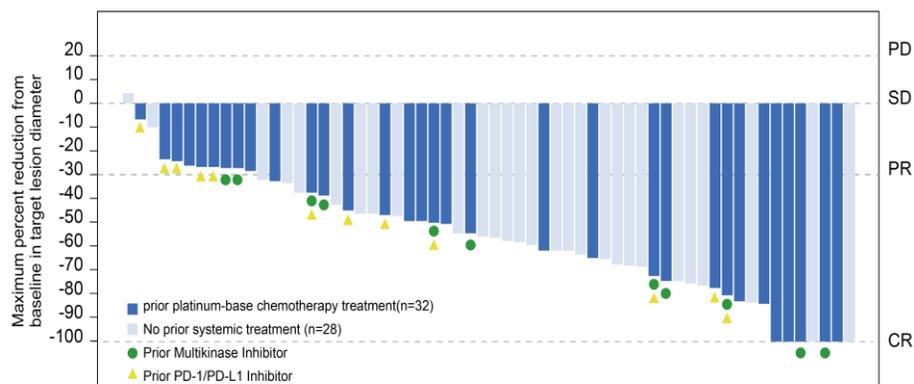
同类首创RET抑制劑于2021年在中国大陆上市 (2/2)



1L/2L NSCLC (2021 WCLC口头报告)

- RET融合阳性NSCLC中国患者均显示强大的抗肿瘤活性，无论患者先前是否接受过治疗
- RET融合阳性NSCLC中国患者总体耐受性良好，未检测到新的安全性问题
- 对于RET融合驱动晚期NSCLC中国患者新的标准疗法

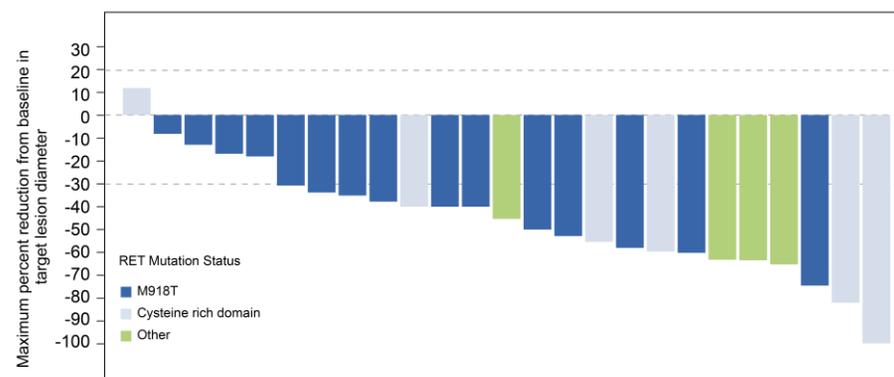
靶病灶的最大肿瘤缩小 (N=60¹)



1L MTC/TC (2021 ATA口头报告)

- 对于晚期或转移性RET突变MTC中国患者产生广泛持久的抗肿瘤活性
- 晚期或转移性RET突变MTC中国患者总体耐受性良好，未检测到新的安全性问题
- 针对RET突变的MTC中国患者有效的靶向治疗

靶病灶的最大肿瘤缩小 (N=25²)



	二线治疗 (N=33)	一线治疗 (N=30)
经确认的ORR*, (95% CI)	66.7% (48.2-82.0)	80.0% (61.4-92.3)
更新的ORR**		83.3% (65.3-94.4)
mPFS** (95% CI)	11.7个月 (8.7-)	12.7个月 (8.9-)

*数据截至2021年4月12日 **数据截至2022年3月4日

	一线治疗 (N=26)
经确认的ORR, (95% CI)	73.1% (52.2-88.4)
mPFS (95% CI)	15.7个月 (15.7-)

数据截至2021年4月12日

注: 1. 3名患者未被纳入, 因为缺乏按照RECIST v1.1标准并由独立中心盲态评估的基线后疾病反应评估
2. 1名患者未被纳入, 因为缺乏按照RECIST v1.1标准并由独立中心盲态评估的基线后疾病反应评估

阿伐替尼

同类首创KIT/PDGFR α 抑制剂于2021年在大中华区上市 (1/2)



2021/2022迄今为止取得的成就

- 在以下地区**商业上市**:
 - 中国大陆**: 不可切除或转移性PDGFR α 外显子18 突变 GIST
 - 中国台湾**: 不可切除或转移性PDGFR α D842V 突变 GIST
 - 中国香港**: 不可切除或转移性PDGFR α D842V 突变 GIST
- 晚期GIST的中国桥接试验更新数据以**口头报告形式**发布于2021 ESMO GI¹
- 其他适应症**
 - 我们的合作伙伴Blueprint Medicines在美国取得了针对**AdvSM适应症**的**NDA批准**
 - 我们与中国NMPA就**AdvSM适应症的加速注册途径**达成一致

~4.5万

2025年新诊断的
PDGFR α 外显子18和/或
KIT²突变的**中国患者**

适应症	地区	临床前	首次人体试验	概念验证	关键性试验	新药上市申请	已上市	合作伙伴	
PDGFR α exon 18 GIST									
AdvSM									
ISM									预计于2022年年中公布数据

注: 1. ESMO GI = 欧洲医学肿瘤学会胃肠道癌症世界大会; 2. KIT外显子9/11/13/14/17 突变; 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生症
来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; 阿伐替尼 ESMO 2020 演示

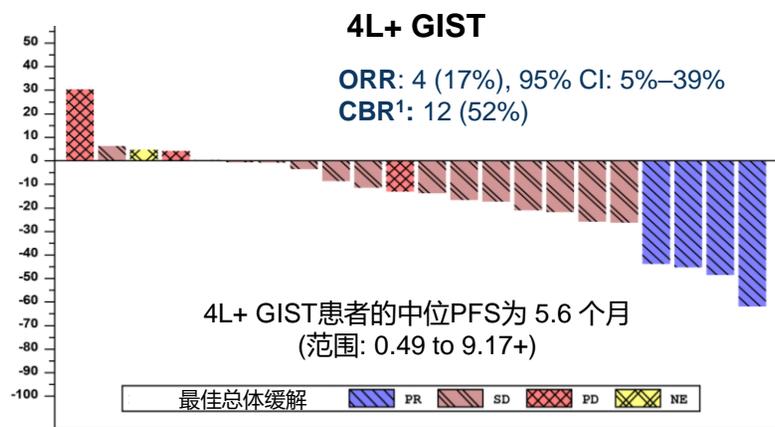
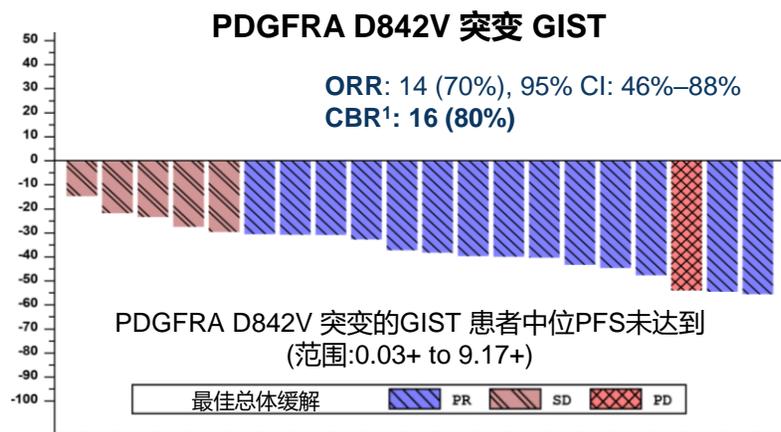
阿伐替尼

同类首创KIT/PDGFR α 抑制剂于2021年在大中华区上市 (2/2)



GIST (2021 ESMO GI口头报告)

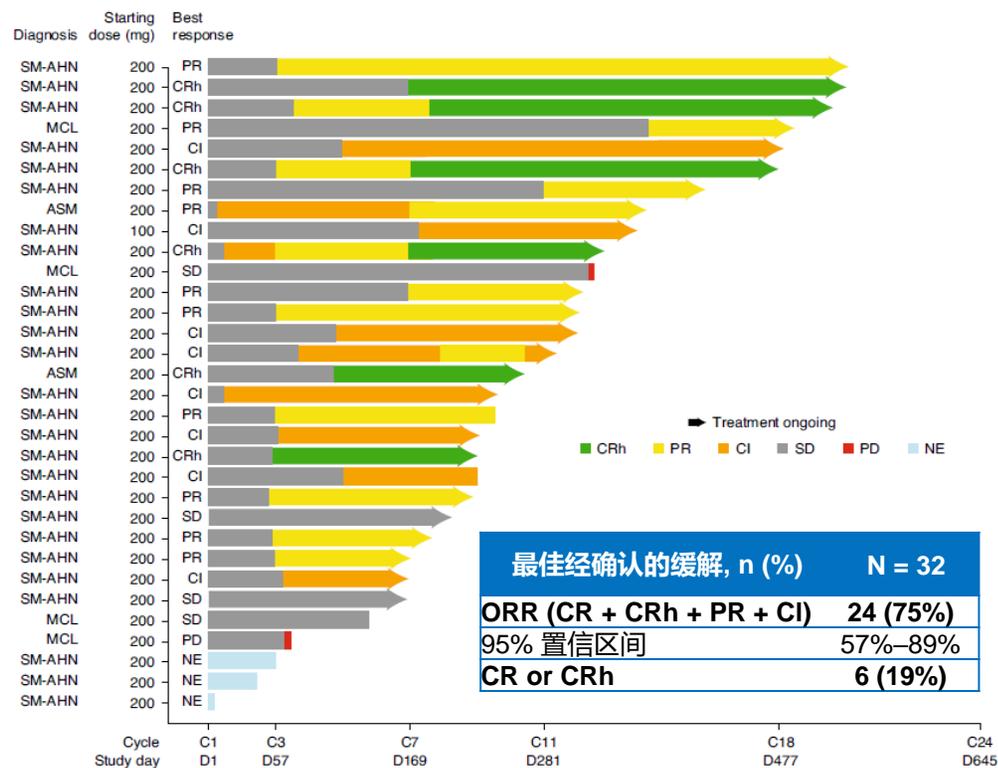
- 在PDGFR α D842V突变GIST中国患者中具有显著的临床疗效，并在4L+GIST治疗中具有**良好的临床效果**
- 与全球研究结果一致的可耐受的安全性



数据截至2020年7月31日

AdvSM² (发表于Nature Medicine³)

- 每天一次服用200毫克阿伐替尼的起始剂量具有总体良好的耐受性，可**持续降低疾病负担并改善患者症状和生活质量**，并引发针对KIT D816V基因的深入分子层面反应



- 中位PFS和中位OS未达到
- 预计 6, 9 和12个月 PFS比率为 : 91% / 87% / 79%, 相应的OS比率为: 94% / 86% / 86%

数据截至2020年6月23日

注: 1. CBR定义为CR/PR或者从治疗开始后SD持续 \geq 4个周期的患者比例; 2. AdvSM = 晚期系统性肥大细胞增多症; ASM = 侵袭性 SM, SM-AHN = 伴相关血液肿瘤的SM, MCL = 肥大细胞白血病; 3. Gotlib, J. et al. Efficacy and safety of avapritinib in advanced systemic mastocytosis: interim analysis of the phase 2 PATHFINDER trial, Nature Medicine 27, 2192–2199 (2021).

艾伏尼布

同类首创IDH1抑制剂在中国大陆上市 (1/2)



2021/2022迄今为止取得的成就

- IDH1 突变的R/R AML已获中国NMPA的NDA批准，并在中国大陆商业化上市
- IDH1突变的R/R AML的中国桥接试验数据在2021 ESMO¹进行口头报告
- 全球III期AGILE试验的联合阿扎胞苷一线治疗不适合强化疗的AML卓越的阳性数据 (mOS: 24.0 个月 vs 7.9 个月) 在2021 ASH²进行报告并发表于《新英格兰医学杂志》
- 1L AML已获美国FDA批准上市，同时我们预计在2022年下半年向NMPA提交上市申请
- 其他适应症：我们的合作伙伴施维雅在美国获得针对胆管癌适应症的NDA批准，中国胆管癌桥接开发策略探索中

~4.5万

2025年新诊断的
IDH1突变中国患者

适应症	地区	临床前	首次人体 试验	概念验证	关键性 试验	新药上市 申请	已上市	合作伙伴	
R/R AML		[Progress bar]							
		[Progress bar]							
1L AML (Combo)		[Progress bar]						2022	
		[Progress bar]							
Cholangio- carcinoma		正在探索中国桥接开发策略							
		[Progress bar]							
Glioma		[Progress bar]							
		[Progress bar]							

注: 1. ESMO = 欧洲医学肿瘤学会; 2. ASH = 美国血液学会;
AML = 急性髓系白血病, CCA = 胆管癌, MDS = 骨髓增生异常综合征, R/R = 复发/难治, IC = 强化化疗
来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; NEJM

艾伏尼布

同类首创IDH1抑制剂在中国大陆上市 (1/2)



R/R AML (2021 ESMO口头报告)

- 该桥接试验研究中观察到的PK、安全性和有效性数据与美国和法国的关键研究中的数据具有可比性

艾伏尼布 500 mg QD (N=30)	
CR 率 n(%) (95% CI)	11 (36.7%) (19.9, 56.1)
CR+CRh 率 n(%) (95% CI)	11 (36.7%) (19.9, 56.1)
估计的 12个月 CR+CRh 持续率 (95% CI)	90.9% (50.81, 98.67)
中位 EFS ¹ (95% CI)	5.52 月 (2.76, -)
中位 OS (95% CI)	9.10 月 (4.80, -)

晚期胆管癌

- 美国FDA批准的唯一一款用于IDH1突变胆管癌患者靶向治疗的药物
- 与安慰剂相比, mPFS: 2.7个月 vs 1.4个月, mOS: 10.3个月 vs 7.5个月
- 2025年新增~3,000例IDH1突变中国患者³

1L AML (2021 ASH口头报告)

- 与PBO+AZA相比, IVO+AZA显著改善EFS、OS和临床反应(CR、CR+CRh、ORR); 安全状况良好并可控

	IVO+AZA (n=72)	PBO+AZA (n=74)
CR率 n(%) (95% CI)	34 (47.2%) (35.3, 59.3)	11 (14.9%) (7.7, 25.0)
CR+CRh率 n(%) (95% CI)	38 (52.8%) (40.7, 64.7)	13 (17.6%) (9.7, 28.2)
ORR n(%) (95% CI)	45 (62.5%) (50.3, 73.6)	14 (18.9%) (10.7, 29.7)
EFS ² (95% CI)	HR 0.33 (0.16-0.69)	
中位OS (95% CI)	HR 0.44 (0.27, 0.73)	
	24.0 月	7.9 月

低级别神经胶质瘤

- 1期临床结果显示患者预后显著改善
- 非增强型胶质瘤患者的mPFS: 13.6个月
- 2025年新增~16,000例IDH1突变中国患者

注: CR, 完全缓解; CRh, CR伴随血液学部分恢复; HSCT, 造血干细胞移植; MLFS, 形态无白血病状态; NE, 不可评估; PD, 疾病进展; SD, 疾病稳定; IVO, 艾伏尼布; AZA, 阿扎胞苷; PBO, 安慰剂

1. 3010-101的无事件生存期 (EFS): 第一次用药的日期到缓解、进展或死亡后被证实复发的日期, 以先发生者为准。

2. AGILE的无事件生存期 (EFS): 从随机入组到治疗失败 (TF)、从缓解期复发或因任何原因死亡的时间, 以先发生者为准。TF被定义为到第24周末未能达到CR。3. 肝内和肝外胆管癌

来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; NEJM; ClarIDHy Trial; J Clin Oncol. 2020 Oct 10; 38(29): 3398-3406.

洛拉替尼

启动针对ROS1阳性NSCLC的注册临床研究



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

洛拉替尼 (ROS1/ALK)

于2021年12月获得中国NMPA的IND批准并在
2022年5月实现首例患者入组

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疗效有限

具有高成功概率、已获得概念验证的产品

对 ROS1阳性晚期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

舒格利单抗 (1/3)

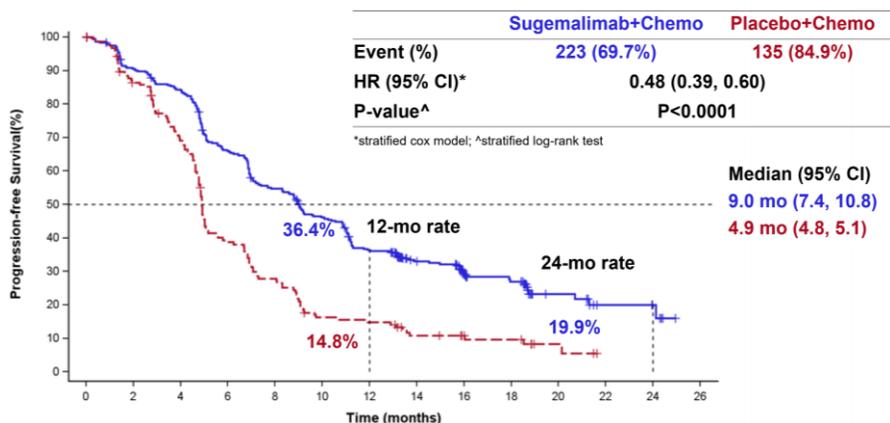
同类最佳PD-L1于2022年在中国大陆上市，用于治疗IV期非小细胞肺癌
(鳞癌/非鳞癌)



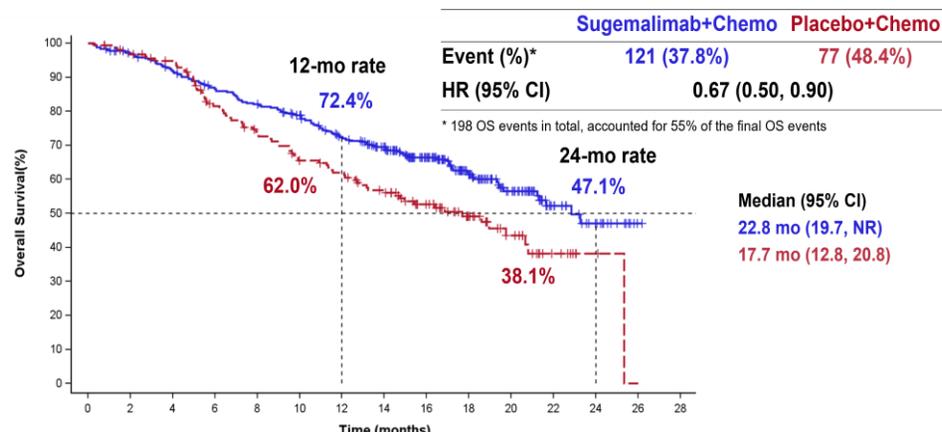
2021 World Conference
on Lung Cancer

SEPTEMBER 8-14, 2021 | WORLDWIDE VIRTUAL EVENT

按照预先设定的总生存期中分析结果的更新数据已在
2022年ASCO年会上展示



主要终点：研究者评估的无进展生存期



初步总生存期*

THE LANCET
Oncology

ARTICLES | ONLINE FIRST

Sugemalimab versus placebo, in combination with platinum-based chemotherapy, as first-line treatment of metastatic non-small-cell lung cancer (GEMSTONE-302): interim and final analyses of a double-blind, randomised, phase 3 clinical trial

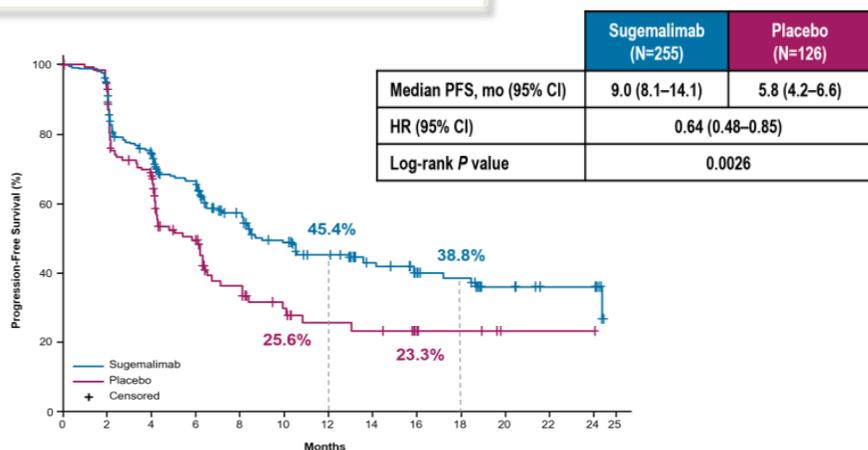
- **中国首个**在**同一个试验**中覆盖一线鳞状与非鳞状IV期非小细胞肺癌患者的**三期试验**
- **全球第一个**显示出，无论病理类型及PDL1表达水平，对一线鳞状与非鳞状四期NSCLC患者的**PFS与OS都有明显改善**的，PD-L1与化疗联用的**三期试验**。

舒格利单抗 (2/3)

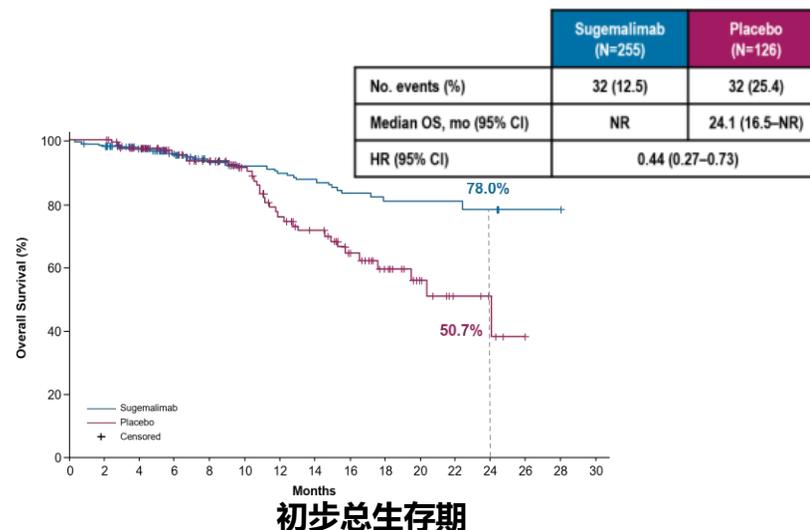
III期非小细胞肺癌适应症已获批，成为全球首个覆盖晚期非小细胞肺癌“全人群”的PD-(L)1



PFS最终分析证明进一步增强PFS与OS获益，详细研究数据将于近期召开的国际学术会议中公布



主要终点：盲态独立中心审阅委员会评估的无进展生存期



初步总生存期

THE LANCET
Oncology

ARTICLES | ONLINE FIRST

Sugemalimab versus placebo after concurrent or sequential chemoradiotherapy in patients with locally advanced, unresectable, stage III non-small-cell lung cancer in China (GEMSTONE-301): interim results of a randomised, double-blind, multicentre, phase 3 trial

- 全球首个在同一个试验中覆盖同步与序贯化疗患者的三期试验，反映了真实世界的临床实践，涵盖了更广泛的人群
- 全球首个显著改善III期非小细胞肺癌患者在同步或序贯化疗后PFS的三期试验

舒格利单抗 (3/3)

广泛的适应症覆盖和全球扩张的强劲势头



R/R ENKTL

- 在2022年1月达到主要终点，预计在2022年提交NDA
- **完整研究结果已在2022年ASCO²年会上进行口头报告**



一线胃癌

- 2021年12月完成III期试验招募，预计2022年第四季度或2023年第一季度完成关键数据读出



一线食管鳞癌

- 2021年12月完成III期试验招募，预计2023年上半年完成关键数据读出



支付方&卫生系统覆盖
超过1.8亿人

市场价值

- ~300亿美元³ (非小细胞肺癌、胃癌、食管癌)

与支付方及医疗系统的合作

- 与多个支付方和医疗系统合作，在全球范围内上市，包括美国、英国、中东、土耳其和非洲。

中国以外地区的领先适应症

- IV期非小细胞肺癌 (鳞癌/非鳞癌)
- III期非小细胞肺癌 (同步/序贯)
- R/R ENKTL (取得FDA“突破性疗法认定”的罕见病)

在多个市场的注册计划

- IV期非小细胞肺癌：与FDA持续开展积极沟通，获取关于注册路径更高的清晰度；**预计在2022年下半年在美国之外地区递交首个关于IV期非小细胞肺癌的NDA**
- ENKTL：取得FDA“突破性疗法认定”，计划在2023年递交BLA

注：1. R/R = 复发/难治，ENKTL = 结外自然杀伤T细胞淋巴瘤；2. ASCO = 美国临床肿瘤学会；3. 全球药物支出反映了2026年估计的处方药净销售额
资料来源：EQRx 路演演示材料，数据基于 EvaluatePharma (2021 年 7 月) 和 Cowen PD(L)1 市场模型 (2019 年 12 月)

CS1003 (PD-1)

完成一线肝癌的全球注册研究的患者入组



- 人源化的IgG4亚型的抗PD-1单克隆抗体
- 具有同时识别人和小鼠的PD-1的独特优势，可在同源肿瘤模型中评估疗效，尤其是与小分子药物的联合疗法

产品亮点

- 三款肿瘤免疫骨干产品之一，多项联合治疗的临床研究进展顺利，包括CS1003联合CS1002和CS1003联合仑伐替尼用于晚期不可切除的肝细胞癌一线治疗的全局随机III期试验

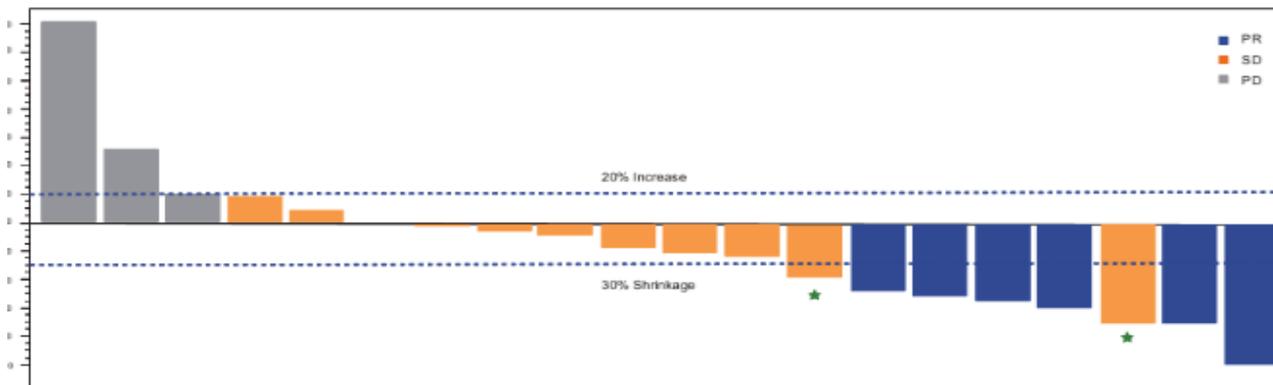
战略价值

- CS1003联合仑伐替尼治疗1L HCC的全球III期研究在试验启动前，已就试验设计与全球监管机构达成一致
- 2022年3月，我们完成全球注册试验的患者入组
- 预计于2023年提交中国NDA申请

研发进展

数据亮点

CS1003联合仑伐替尼针对肝细胞癌的初步疗效



- 中国一期桥接临床研究表明，在60mg和200mg Q3W的剂量组，CS1003单药治疗显示出良好的安全性和耐受性；且未观察到剂量限制性毒性和最大耐受剂量 (N=19)
- Ib期数据*显示，在20例接受CS1003联合仑伐替尼治疗的患者中，**ORR达到40%，中位PFS为8.4月**

注：Q3W：每3周一次；PR：部分反应；SD：疾病稳定；PD：疾病进展
*Ib期研究的更新数据已在2022年ASCO年会上以线上发表形式展示

CS5001 (ROR1 ADC) (1/2)

潜在全球同类最佳药物，美国/澳大利亚首次人体研究已经启动，中国IND申请已经获批



领导地位：全球排名前三位

美国与澳大利亚正在进行首次人体实验

中国IND申请于2022年5月获批

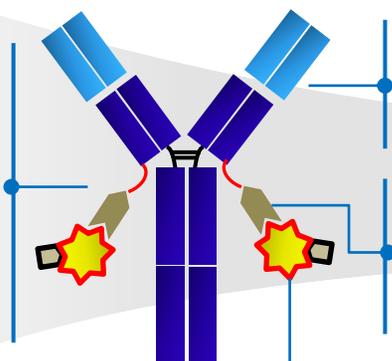
潜在加速注册路径
快速上市和具有成本效益的开发

有限的定价压力
能够最大化产品的潜在商业回报

差异化设计

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)



相比传统ADC有望具备更宽的治疗窗口

全人源单克隆抗体 vs. VLS-101 和 NBE-002 等人源化单克隆抗体

专属肿瘤选择性可降解连接子，在血清中高度稳定

肿瘤激活的吡咯并苯二氮卓 (PBD) 二聚体毒素前药

临床与商业价值

- 有潜力应用于广泛的癌症类型
 - 非小细胞肺癌、三阴性乳腺癌、卵巢癌、白血病、非霍奇金淋巴瘤
 - 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对价
 - 默克以27.5 亿美元收购 VelosBio，其主要产品为 VLS-101 (I/II 期)
 - 勃林格殷格翰以14 亿美元收购 NBE，其主要产品为 NBE-002 (I期)

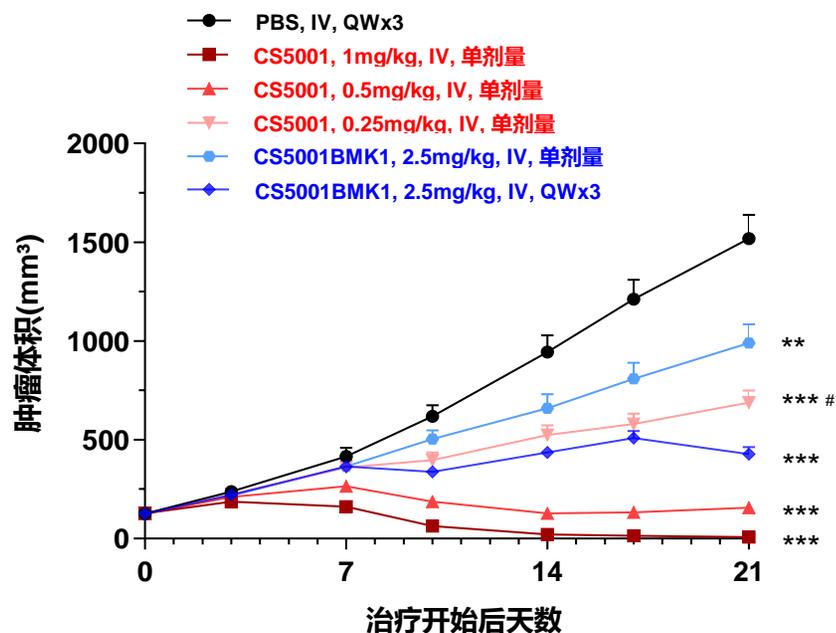
CS5001 (ROR1 ADC) (2/2)

在实体癌和血液瘤中均取得出色的临床前数据

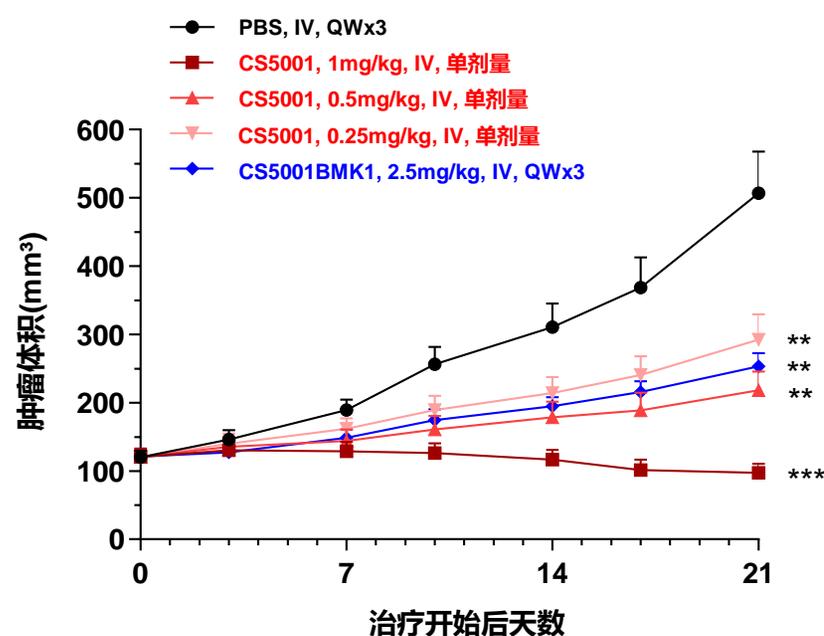


- CS5001在两个不同的异种移植模型中以单剂量给药，即使在更高和更频繁的给药计划中，也显示出相比**基于MMAE毒素分子的ROR1 ADC更好的疗效**，显示出其同类最优潜力
- CS5001是一个很有潜力的治疗候选药物，适用于表达ROR1的**血液和实体恶性肿瘤**，具备精准治疗药物的潜力

在MCL异种移植体的体内疗效



在TNBC异种移植中的体内疗效



注: $p < 0.01$, $***, p < 0.001$ vs PBS; #, $p < 0.05$, vs CS5001BMK1 (对照为基于MMAE的ROR1 ADC) 单剂量;
MCL = 套细胞淋巴瘤; TGI = 肿瘤生长抑制; CR = 完全缓解被定义为连续3次测量结果小于等于 13.5 mm^3 .
资料来源: 2021年第33届国际分子靶标与癌症治疗大会报告

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，2021年在中国获批IND，I期研究即将启动



产品亮点

下一代PD-(L)1

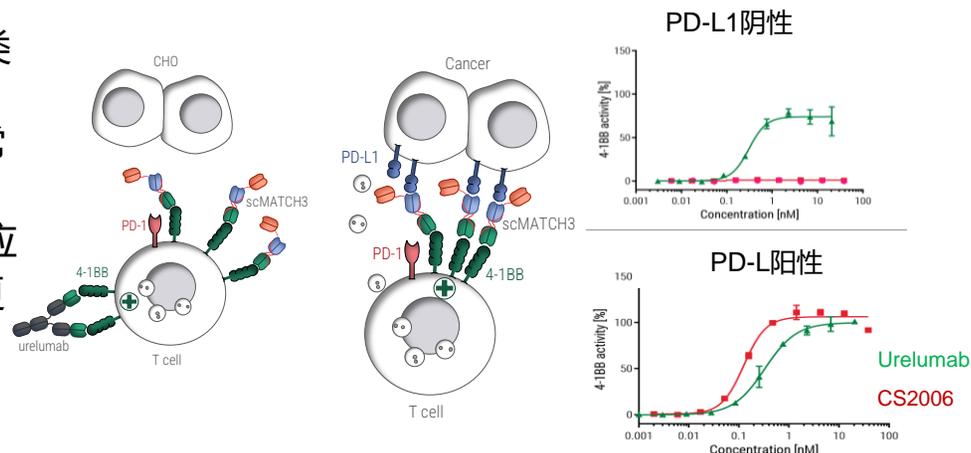
- 潜在**同类最佳**药物，拥有独特的设计以减少不必要的毒性反应并提高疗效
 - 独特的4-1BB单价连结在PD-L1接触后才被激活
 - 精巧且平衡的PD-L1与4-1BB的亲合性
- 对于**冷热肿瘤**都有效，克服内外部因素介导的PD-(L)1耐药
- 作为**新型肿瘤免疫骨架产品**潜在提供了多种联合治疗选择

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**，临床前数据已在**2022年AACR会议**上公布
- NMPA于2021年9月批准IND申请，**I期研究预计于2022年下半年启动**

CS2006的其他亮点

- 极高的和 α PD-L1的亲合性可增大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
- α HSA区域加长了半衰期并且避免了Fc-Fc γ R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



全新研发战略产出超过10个发现阶段项目

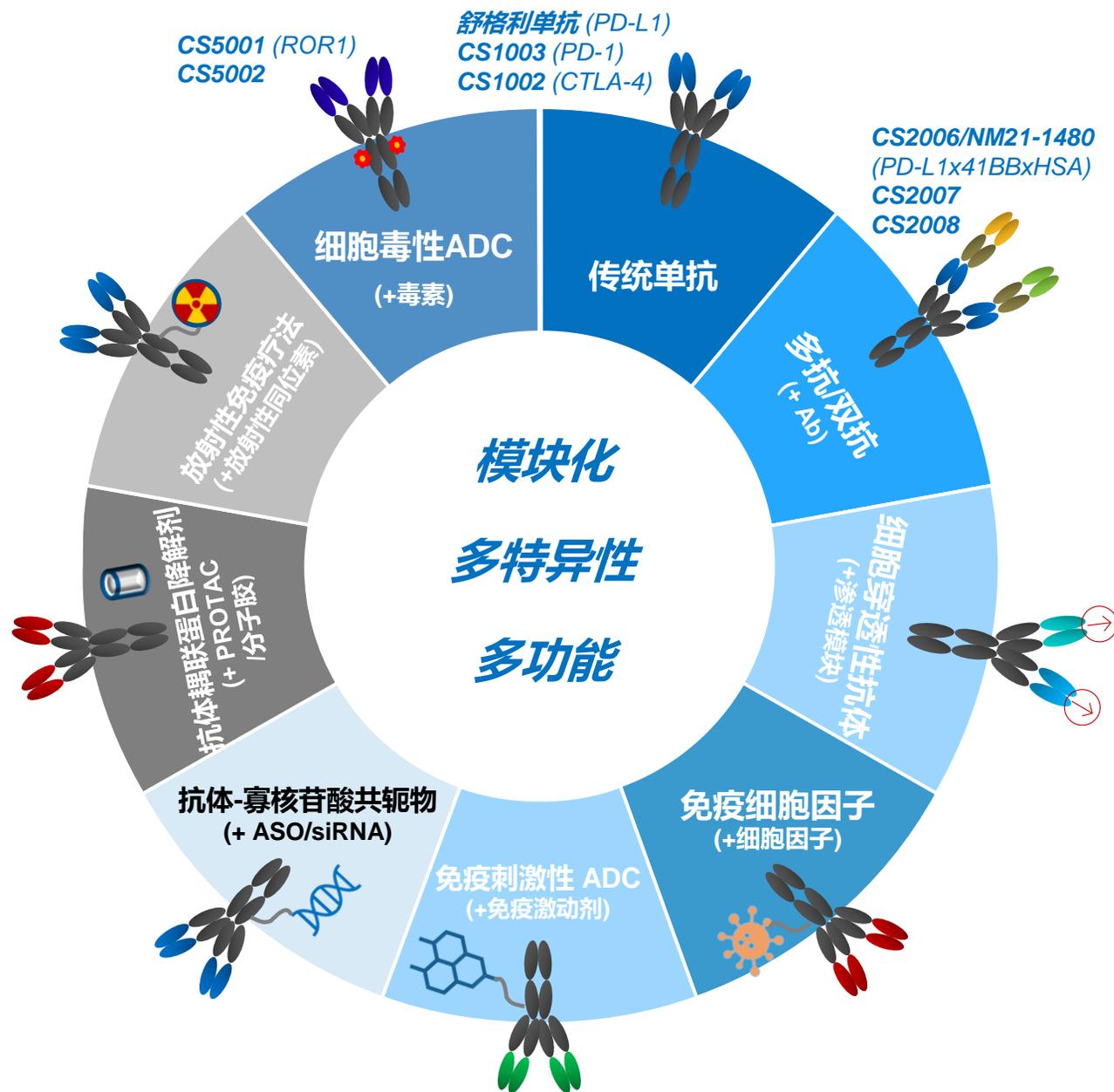
通过“即装即用”模式无缝整合多种创新来源

“即装即用”模式

利用生物制品的
模块化性质

与平台公司合作

决定如何组装这些模块
以满足我们的生物学和
临床需求



商务拓展仍是实现基石战略目标的关键

专注于创新的、改变治疗模式的更早期的资产，针对较大患者群体和未满足需求



与恒瑞合作，最大限度地发挥CS1002 (CTLA-4) 在大中华区的市场潜力

通过与DotBio的全球合作加速抗体药物的发现



基石药业
CSTONE
PHARMACEUTICALS



WuXi Biologics
Global Solution Provider

从东西方生物技术公司寻找拥有中国权利及处于早期研发阶段的创新成果

基石药业作为桥梁：

- 从东方到西方，反之亦然
- 从实验室到患者

与跨国公司和国内制药公司建立战略合作关系，扩展商业覆盖

2022年商务拓展的重点工作

➤ 管线聚焦

- **中国**：具有良好价值的机会性（例如：广泛的患者覆盖或溢价潜力）
- **全球**：模式转变的临床前资产（如同类首创/同类最佳/第一梯队产品、多抗、ADC等）

➤ 战略伙伴关系

- 通过与跨国公司合作建立全球网络，将触角延伸至中国以外的市场
- 寻求多维度的合作关系，而非单一的资产交易
- 通过其他技术平台进一步夯实管线2.0

生产基地试运营，技术转移进行中；研究总部即将投入运营



全球标准的生产设施

- 2021年完成建设
- 2021年12月开始试运营
- 满足研发、中试和全面商业化生产的**综合能力**



研究总部

- 作为整个项目的一部分，**新的转化医学中心和研究大楼**将增加丰富的资源和新的能力，以支持前沿的内部研究活动
 - 抗体发现和开发
 - 系统药理学
 - 生物信息学
 - 其他

技术转移

- **持续进行多款产品的技术转移，以降低成本，提高长期盈利能力**



小分子



生物制品



符合中国和全球的GMP要求



生物制品厂的计划设计能力：
生物制剂26,000升，小分子药物10亿片

降低成本

更好的质量控制

高效规划

价值创造

保护关键技术

合规监控

长期稳定供应

3

财务概述

财务亮点

扎实的执行力支撑健康的财务状况

关键损益表指标

- **收入**：2.437亿人民币
 - **产品收入**：1.628亿人民币（普拉替尼与阿伐替尼在不到8个月时间内的商业销售额）
 - **合作收入**：0.809亿人民币（CTLA-4对外授权以及PD-L1里程碑）
- **研发费用**（非国际会计准则口径*）：11.821亿元人民币
 - 在未来两年内，随着一些大型适应症的注册试验的完成，以及成本较低的管线2.0资产的早期开发项目的启动，预计将显著降低
 - **行政、销售和营销费用**（非国际会计准则口径*）：5.615亿元人民币
- **期内亏损**（非国际会计准则口径*）：人民币16.974亿元

现金头寸及 资金周转年限

- 截至2021年12月31日**现金及现金等价物和定期存款人民币16.034亿元**
- **预计资金够两年的周转**
 - 多种驱动收入因素，即产品收入、里程碑和特许权使用费以及商务拓展交易
 - 未来两年的支出减少，主要是由于研发费用的减少
- 如若需要会采用非稀释性融资方式,进一步延长资金周转年限

审计发现/调查总结 (1/2)

背景

- 2021年7月, 约人民币1.89亿的公司资金投资于基金关联的票据, 该票据由招银国际集团发行, 收益对接一个分离投资组合。
- 根据会计师的要求, 审计委员会任命了独立顾问对这笔投资开展法证审阅 (“该调查”)。
- 独立顾问在2022年5月22号发出报告, 并在5月28号进行了补充。

重大调查结果

- 该投资对于基石香港子公司是有效和可予强制执行的。该投资被认定不是现金等价的或者不是保本的。
- 该投资是可以赎回的, 虽然公司可能在赎回时发生亏损。在2021年12月31日, 未实现的亏损约为名义本金的34%(等于人民币6,400万元)。在2022年3月31日, 未实现的亏损约为名义本金的29%(等于人民币5,500万元)。预计的未实现亏损会根据管理层的提前赎回计划而发生变化。
- 这里发现有内控的薄弱, 以及违反了公司的投资政策。
- 当时的财务副总裁似乎发挥了核心作用, 导致在董事会不知情或批准的情况下进行了投资。
- 该投资根据《上市规则》第14章构成一项披露交易。

审计发现/调查总结 (2/2)

重要补救措施

组建投资委员会监督公司投资项目

- i. 提前赎回投资。
- ii. 指示管理层审查2021年度业绩和重大事项。
- iii. 根据公司的投资策略和风险偏好，改进公司的投资政策和程序。
- iv. 需要维护良好的文档管理，包括投资的支持文件。
- v. 对财务人员和公司管理层再次强调公司投资政策的使用。
- vi. 对外支付的签字授权门槛由5,000万美元降至300万美元。
- vii. 检讨和加强对投资和支付政策和程序，并充分划分职责和相互制衡。
- viii. 加强对员工离职程序的内部控制。
- ix. 为高级管理人员和会计/财务人员提供培训，进一步加强内部财务和会计政策，编制全面的会计备忘录，以支持复杂或重大交易的会计基础。
- x. 采纳及传阅有关《上市规则》下须呈报及关联交易的详细指引，并为董事、高级管理人员及会计及财务人员安排培训。
- xi. 即日起，在未来进行任何相关潜在交易之前，会计和财务人员应与法律部门和外部顾问协商，进行规模测试分析，以确保符合《上市规则》。
- xii. 由即日起，在子公司中加强须呈报的交易及关联交易的协调及报告安排。
- xiii. 加强重要账户的对账工作，包括银行存款，货币基金和其他基金。
- xiv. 进一步加强银行转账支付双重审批控制的实施。
- xv. 就投资的经济损失的补救措施以及未来任何拟议的重大交易和公司行为寻求外部法律或其他专业意见。

公司已聘请外部内部控制顾问，以期在合理可行的范围内尽快实施这些措施

4

业务展望

2022年业务展望

释放我们业务和产品组合的全球潜力 (1/2)



商业

通过新产品/适应症的上市以及市场渗透和扩张方面的持续努力，实现商业潜力的最大化

- 通过最大化部署效率及利用数字平台提高市场覆盖率
- 通过推进与NGS公司及国家病理质量控制中心的合作，提高诊断率及精准度
- 加强医生教育，聚焦临床差异化和安全性
- 持续推进在医院和DTP药房列名来增强可及性
- 通过优化定价策略以及商业保险、创新支付计划和战略性考量NRDL潜力来提高可负担性



商务拓展

在中国和海外寻求管线开发和商业化工作的多维合作伙伴关系



研发

加快推进临床开发项目

- 预计将有**3项NDA**获批、**6项NDA**提交和**4项数据读出**，在已建立的肺癌产品组合之外，拓展我们在其他高发癌种的布局
- 进一步推进同类最优的ROR1 ADC（美国/澳大利亚/中国大陆）和PD-L1 / 4-1BB / HSA 三抗（中国大陆）的临床开发

推动创新药物的发现，充分挖掘管线2.0的潜力

- 将我们**发现阶段项目**当中的2种化合物推进至临床前开发阶段
- 完成实验室相关工作向新的**全球研发中心**转移
- 启动**生物科技孵化器**并选择首批**创业企业**入驻



生产

继续推进多款产品技术转移，并为生产场地和物料变更提出申请

2022年业务展望

释放我们业务和产品组合的全球潜力 (2/2)

3 项NDA批准

- ✓ **艾伏尼布**: IDH1突变R/R AML (中国大陆; 上半年)
- ✓ **普拉替尼**: RET突变MTC & RET融合阳性TC (中国大陆; 上半年)
- ✓ **舒格利单抗**: III期NSCLC (中国大陆; 上半年)

6 项NDA申请

- ✓ **普拉替尼**: RET突变MTC & RET融合阳性TC & NSCLC (中国台湾; 上半年)
- ✓ **普拉替尼**: RET融合阳性NSCLC (中国香港; 上半年)
- **舒格利单抗**: R/R ENKTL (中国大陆; 上半年)
- **艾伏尼布**: IDH1突变1L AML (中国大陆; 下半年)
- **普拉替尼**: 1L 融合阳性NSCLC (中国大陆; 下半年)
- **舒格利单抗**: 中国以外首个NDA申请 (下半年)

4 项数据读出

- ✓ **舒格利单抗**: R/R ENKTL (上半年)
- ✓ **舒格利单抗**: 一线IV期NSCLC (中期OS分析; 上半年)
- ✓ **舒格利单抗**: III期NSCLC (终期PFS分析; 上半年)
- **舒格利单抗**: 一线GC/GEJ (2022年第四季度 / 2023年第一季度)

启动关键性研究

- ✓ **洛拉替尼**: ROS1阳性晚期NSCLC (中国大陆; 上半年)

启动首次人体试验

- ✓ **CS5001 (ROR1 ADC)**: 美国/澳大利亚 (上半年)
- **CS2006 (PD-L1x4-1BBxHSA)**: 中国大陆 (下半年)

IND申请

- ✓ **CS5001 (ROR1 ADC)**: 中国大陆 (上半年)

谢谢



基石药业
CSTONE
PHARMACEUTICALS

HKEX
香港交易所
2616.HK