



基石药业

CSTONE
PHARMACEUTICALS

HKEX
香港交易所
2616.HK

2022年中期业绩介绍

2022年8月26日

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.



2022迄今为止取得的成就

2022迄今为止取得的成就

作为一家全方位的生物制药企业，我们在2022年至今保持了强劲的增长势头



收入

2.618亿元人民币

2022上半年总收入

同比增长+229%

• **1.745亿元人民币**

商业化收入¹

同比增长+120%

• **8,727万元人民币**

合作收入



商业化

商业化产品

2 款新产品上市

4 款在售产品

精准治疗药物亮点

患者识别

产品已上市适应症检测率提高到

~70%²

品牌与科学领导力

15 项国家指南推荐

1,300+ HCP处方

可及性和可负担性

纳入 **150+** 医院/DTP药房及 **85** 个保

险项目



研发

4 项NDA批准

2 项NDA递交

3 项主要结果公布

7 项数据汇报/发表

2 项关键临床试验启动

10+ 个早期研发阶段项目



公司发展

商务拓展

辉瑞: 在中国大陆上市舒格利单抗；共同开发洛拉替尼并完成首例患者入组

EQRx: 为舒格利单抗海外注册做准备并预计在未来6个月内进行首个BLA申报

恒瑞: CTLA-4获NMPA的IND批准

生产

技术转移达到关键里程碑；生产基地**试运营**

注: 1. 商业化收入包括精准治疗药物的产品收入1.614亿元人民币 (+103% vs. 2021年上半年7,945万元人民币) 和舒格利单抗的特许权使用费收入1,310万元人民币; 2. 前200家医院

2

业务进展

商业化

持续扩大的在售精准治疗药物数量

在已获批的适应症中取得持续的商业进展



2022年上半年销售收入达1.614亿元人民币 (+103% YoY)



2021年6月上市

8 项国家指南推荐

纳入**80+** 项保险项目



2021年5月上市

2 项国家指南推荐

纳入**60+**项保险项目



2022年6月上市

5 项国家指南推荐

纳入**45+**项保险项目

在商业活动的各维度均取得显著进展



患者识别

- 启动**免费检测**并扩大**患者援助“大爱无罕”**项目 (分别用于 RET/IDH1 突变阳性患者)
- 与**NPQCC¹** 合作为医院提供检测质量评估及认证, 进而提高准确率
- 与睿璟生物和康圣环球建立**合作伙伴关系**, 普及RET/IDH1突变阳性检测



品牌与科学领导力

- 赞助的**RWS/IIT²** 项目支持药物使用:
 - **博鳌RWS项目**达到里程碑, **所有患者均从治疗中获益**并且治疗持续时间超过12个月
 - **R/R C-Kit D816V AML IIT**研究在**3家顶级血液学医院**启动
 - **GIST RWS** 在**2个重要的研究中心**启动
- **RET病例集**已发表, 包括16个使用普拉替尼治疗的RET阳性非小细胞肺癌患者获得部分或完全缓解或延长治疗持续时间的案例
- 举办**80多场有影响力的学术会议**, 覆盖**8万多位HCP**



可及性和可负担性

- 被纳入**85项商业/政府保险项目**
- 更新**定价策略**, 包括阿伐替尼的价格调整和普拉替尼的新PAP方案
- 纳入**150+ 家医院和DTP药房**



患者教育及支持

- 持续通过**数字平台**为患者提供更好的支持和长期用药指导:
 - “生命守望”和“生命基石”订阅用户分别约为**3,500名**和**2,400名**
 - 和水滴合作, 建立**IDH1 AML患者社区**, 进行患者教育和管理

舒格利单抗销售势头显著增长

适应症扩展至III期非小细胞肺癌进一步扩大可及市场



肿瘤销售代表
(覆盖核心和县域市场)

~1,000

医院覆盖

>4,600

(~90% 市场份额)

新适应症上市

- 经NMPA批准，用于治疗**同步或序贯放化疗后无疾病进展的不可切除III期NSCLC患者**，使舒格利单抗成为**全球首个覆盖“全人群”晚期非小细胞癌的PD-(L)1**
- III期NSCLC适应症上市会于2022年7月17日成功举行，覆盖**150名KOL**和**数千名HCP**

KOL和HCP 认可

- 获得**4个国家指南/专家共识**推荐，包括CSCO非小细胞肺癌和CSCO免疫治疗指南
- 医生/KOL互动: 通过**150多项活动**覆盖超过**7,000名KOL和HCP**

价格及市场准入

- 随着III期NSCLC适应症获批，**进院速度**显著加快
- 7月15日更新了**PAP方案**，进一步提高了III期NSCLC患者的可负担性
- 纳入**40项城市/商业保险项目**

临床开发

普拉替尼

同类首创RET抑制剂加速适应症扩展和区域拓展



2022迄今为止取得的成就

适应症扩展

- RET突变晚期或转移性MTC和RET融合阳性的晚期或转移性TC在中国大陆获NDA批准

区域拓展

- RET融合阳性NSCLC在中国香港获得NDA批准
- RET融合阳性NSCLC、RET突变型MTC和RET融合阳性TC在中国台湾获得NDA受理



2025年新诊断的RET基因变异中国肿瘤患者

适应症	中国大陆获批	美国获批	数据亮点	合作伙伴
2L RET+ NSCLC	✓	✓	ORR: 66.7%; mPFS: 11.7月	
1L RET+ NSCLC	预计在2022年Q4递交 NDA申请	✓	ORR: 83.3%; mPFS: 12.7月	
1L RET+ MTC / TC	✓	✓	ORR: 73.1%; mPFS: 15.7月	
泛瘤种试验 (其他实体瘤)	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		ORR: 57% (概念验证)	

注: 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; WCLC 2021; ATA 2021; Nature Medicine; 基石分析

CStone与Blueprint Medicines签订了独家合作和许可协议, 在大中华区(包括中国大陆、中国香港、中国澳门和中国台湾)开发和商业化普拉替尼

艾伏尼布

在中国大陆获批的同类首创且唯一的IDH1抑制剂



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
- 我们的合作伙伴施维雅已获得美国FDA针对艾伏尼布联合阿扎胞苷用于1L AML¹治疗的NDA批准
 - ✓ 联合阿扎胞苷一线治疗不适合强化疗的AML的全球III期AGILE试验的卓越阳性数据 (mOS: 24.0 个月 vs 7.9 个月) 在2021 ASH²进行报告并在2022年发表于《新英格兰医学杂志》
- 我们的合作伙伴已获得美国FDA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
突变中国肿瘤患者

适应症	中国大陆获批	美国获批	数据亮点	合作伙伴
R/R AML ³	✓	✓	CR: 36.7%	
1L AML (Combo)	与监管机构讨论中	✓	EFS ² HR: 0.33 OS HR: 0.44	
胆管癌	桥接开发策略 探索中	✓	mPFS: 2.7月 HR: 0.37	
神经胶质瘤			mPFS: 13.6月 (概念验证)	
R/R MDS		在相当大的患者群体中 具有显著的疗效	CR: 44% ORR: 81% (概念验证)	

注: 1. 1L AML: 在不符合同类强化疗条件的新诊断AML患者 (年龄不小于75岁或因为其它合并症无法使用强化疗); 2. ASH = 美国血液学会; 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. 此适应症获得中国NMPA附条件获批; 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; CR = 完全缓解

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

阿伐替尼

同类首创KIT/PDGFR α 抑制剂在更广泛的适应症中具有潜力



2022迄今为止取得的成就

- **晚期系统性肥大细胞增多症 (advanced SM)**
 - 我们的合作伙伴Blueprint Medicines在**欧洲**取得针对**advanced SM¹适应症的批准**
 - 我们合作伙伴的新分析数据显示出在**advanced SM适应症**当中的**OS改善**，该结果在**2022 EHA²**进行了展示
- **非晚期系统性肥大细胞增多症 (non-advanced SM)**
 - 我们的合作伙伴宣布取得了关于**non-advanced SM适应症**的PIONEER注册性试验的**主要和所有关键次要终点的阳性数据结果**
 - 我们的合作伙伴预计于2022年第4季度向**美国FDA**递交针对**non-advanced SM适应症的补充NDA申请**

~4.5万

2025年新诊断的
PDGFRA外显子18和/或
KIT³突变的**中国**肿瘤患者

适应症	中国大陆获批	美国获批	数据亮点	合作伙伴
PDGFRA exon 18 GIST	✓	✓	ORR: 70%	
Advanced SM	与NMPA就加速注册途径达成一致	✓	ORR: 75%. 与使用最佳疗法相比显著延长OS	
Non-advanced SM	将与NMPA讨论加速注册途径	预计于2022年Q4递交补充NDA申请	与安慰剂联合最佳现有疗法相比，TSS ⁴ 具有显著提升 (p=0.003); 肥大细胞负荷的所有客观指标的显著降低 确证了阿伐替尼修复疾病的活性	

注: 1. 至少一次全身治疗后的晚期系统性肥大细胞增多症; 2. EHA = 欧洲血液学协会; 3. KIT外显子 9/11/13/14/17 突变; 4. TSS=症状总分
GIST = 胃肠道间质瘤; SM = 系统性肥大细胞增多症

来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; EHA 2022; An observational, retrospective, study indicate that patients with AdvSM who were treated with avapritinib in EXPLORER and PATHFINDER experienced significantly improved survival compared with patients treated with midostaurin or cladribine in real world clinical practice; 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).

洛拉替尼

ROS1阳性非小细胞肺癌注册性试验启动



共同开发 洛拉替尼 (ROS1/ALK)

2022年5月首例患者给药

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难治性患者的靶向疗法数量有限，现有治疗对脑转移患者疗效有限

具有高成功率、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 (1/2)

唯一获批III期NSCLC及IV期NSCLC的PD-1/PD-L1抗体

	已上市 III期NSCLC	<ul style="list-style-type: none"> 2022年5月中国NDA获批，舒格利单抗成为全球首个覆盖“全人群”晚期非小细胞肺癌患者的PD-(L)1 PFS最终分析结果显示出持续获益，数据在2022年WCLC大会展示
	已上市 IV期NSCLC	<ul style="list-style-type: none"> 2021年12月中国NDA获批 方案预设的OS期中分析数据显示，舒格利单抗显著延长患者中位OS，数据展示在2022 ASCO年会（此次公布的OS数据将用于支持大中华区以外多个国家和地区的NDA/BLA）
	R/R ENKTL	<ul style="list-style-type: none"> 2022年1月达到主要研究终点 数据以口头报告形式在2022 ASCO年会公布
	1L GC	<ul style="list-style-type: none"> 2021年12月完成三期临床试验患者入组，预计2022年第四季度/2023年第一季度公布主要结果
	1L ESCC	<ul style="list-style-type: none"> 2021年12月完成三期临床试验患者入组，预计2022年第四季度/2023年第一季度公布主要结果

舒格利单抗 (2/2)

全球扩张的势头强劲



- **市场价值** (非小细胞肺癌、胃癌、食管癌) ~300亿美金¹
- **1.5 亿美元的预付款、最高达 11.5 亿美元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**

与支付方及医疗系统合作

- 与全球范围内的多个支付方和医疗系统展开合作
- **目前已达成的合作覆盖超过2.1亿人**

中国以外地区领先适应症

- 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”)

注册计划

- **IV期非小细胞肺癌：预计在未来6个月内在美国以外的地区递交首项申报；与FDA持续开展积极沟通，获取更清晰的注册路径**
- **R/R ENKTL：计划于2023年在美国递交BLA**

注：1.全球药物支出反映了2026年估计的处方药净销售额；R/R = 复发/难治，ENKTL = 结外自然杀伤T细胞淋巴瘤；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)

Nofazinlimab (PD-1)

Nofazinlimab联合仑伐替尼治疗一线晚期HCC患者的全球注册性试验于2022年上半年完成患者入组



研发状态

- Nofazinlimab联合仑伐替尼治疗1L HCC的**全球III期研究**在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**完成患者入组**，计划在全球范围进行注册
- 2022年6月，我们在**ASCO年会**上发表了nofazinlimab联合仑伐替尼**一线**治疗不可切除HCC患者的Ib期研究的更新数据
- 预计2023年公布主要结果

药物亮点

- 靶向PD-1的人源化重组IgG4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

战略价值

巨大的商业潜力

- 一线治疗晚期不可切除的HCC存在巨大未满足的临床需求
- 临床试验设计反映真实世界的临床实践
- 对比其他联合治疗方式进一步提升可负担性

数据亮点

Nofazinlimab联合仑伐替尼治疗1L HCC的有效性和安全性

- 从Ib期研究中看到**nofazinlimab联合仑伐替尼**一线治疗不可切除的HCC患者**ORR达到45%**，**mPFS为10.4个月**
- 未发现新的安全性信号

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

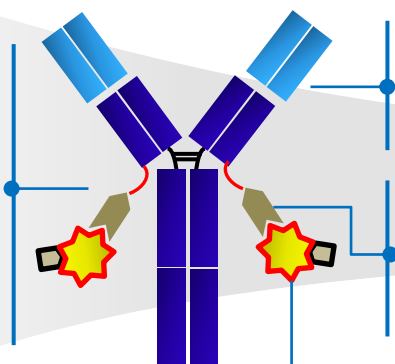
潜在加速注册路径
快速上市和具有成本效益的开发

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

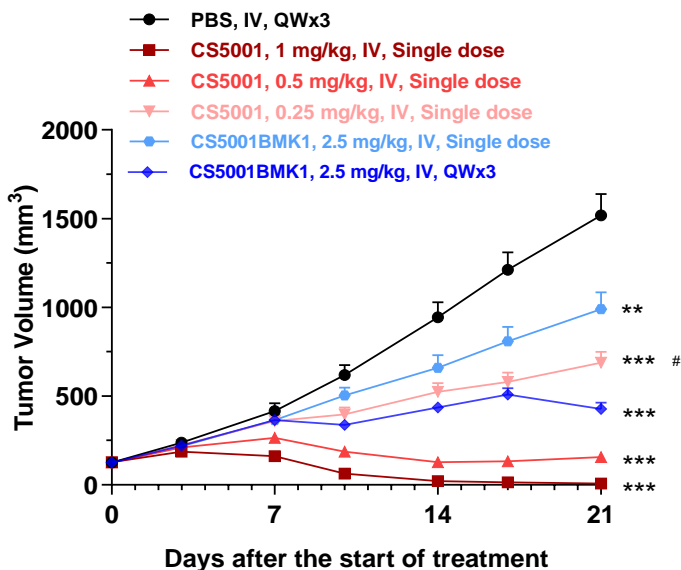
- 有潜力应用于广泛的癌症类型
 - 非小细胞肺癌、三阴性乳腺癌、卵巢癌、白血病、非霍奇金淋巴瘤
 - 全球每年发病超过 300 万例
- 基于早期研究的积极数据，ROR1相关交易获得了极高的交易对价
 - 默克以27.5 亿美元收购 VelosBio，其主要产品为 VLS-101 (I/II 期)
 - 勃林格殷格翰以14 亿美元收购 NBE，其主要产品为 NBE-002 (I期)

CS5001 (ROR1 ADC) (1/2)

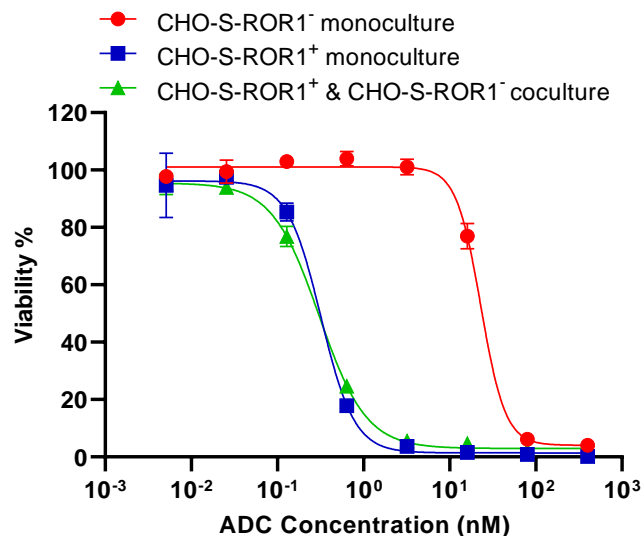
潜在全球同类最佳药物，美国/澳大利亚首次人体研究已经启动，中国IND申请已经获批

- CS5001在MCL (套细胞淋巴瘤) 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在体外细胞共培养系统中显示出**旁观者效应**，这表明ROR1异质性/低表达的实体瘤也可能受益
- 由于抗ROR1抗体克隆在免疫组化 (IHC) 检测中具有良好的敏感性和选择性，支持了**伴随诊断**的发展，使得由生物标志物驱动的患者选择成为可能

体内疗效

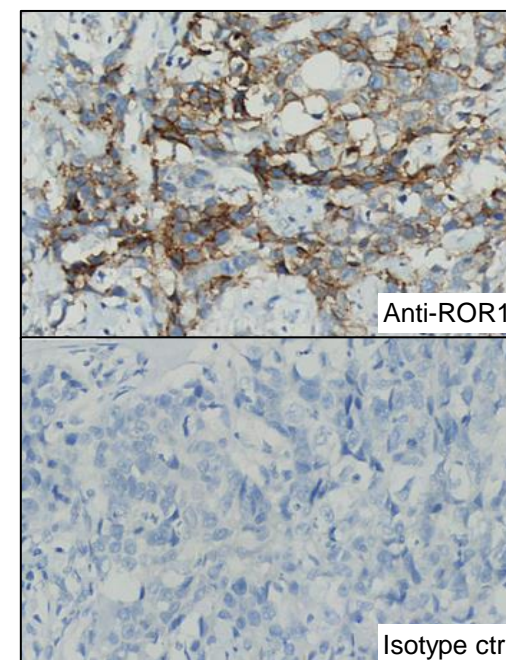


旁观者效应



伴随诊断

Human TNBC (IHC 2+)



CS2006 (PD-L1 x 4-1BB x HSA)

潜在同类最佳4-1BB激动剂以及下一代PD-(L)1抑制剂，2022年下半年启动概念验证临床研究



产品亮点

下一代 PD-(L)1

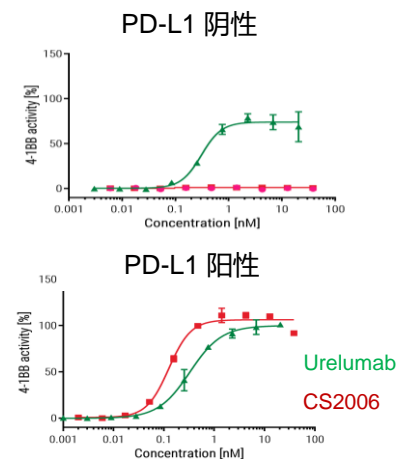
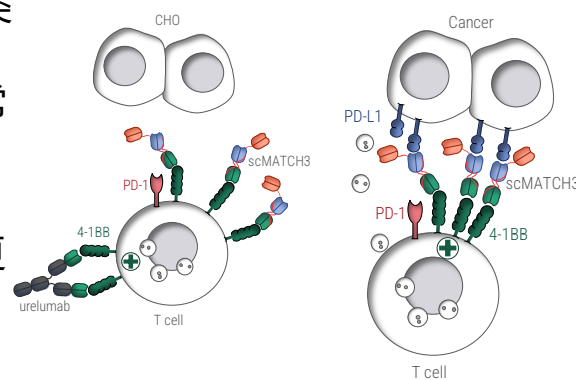
- 潜在**同类最佳**药物，拥有独特的设计以减少不必要的毒性反应并提高疗效
 - 独特的4-1BB单价连结在PD-L1接触后才被激活
 - 精巧且平衡的PD-L1与4-1BB的亲合性
- 对于**冷热肿瘤**都有效，克服内外部因素介导的PD-(L)1耐药，实现同时最大限度地阻断PD-L1和4-1BB的激活
- 作为**新型肿瘤免疫骨架产品**潜在提供了多种联合治疗选择

推进临床开发

- 美国/全球的**首次人体试验剂量递增研究已完成**，2022年下半年在选定瘤种中**启动PoC研究**
- 剂量递增研究数据**计划于**2022年下半年**公布
- NMPA于2021年9月批准IND申请
- 临床前数据**已在**2022年AACR会议**上公布

CS2006的其他亮点

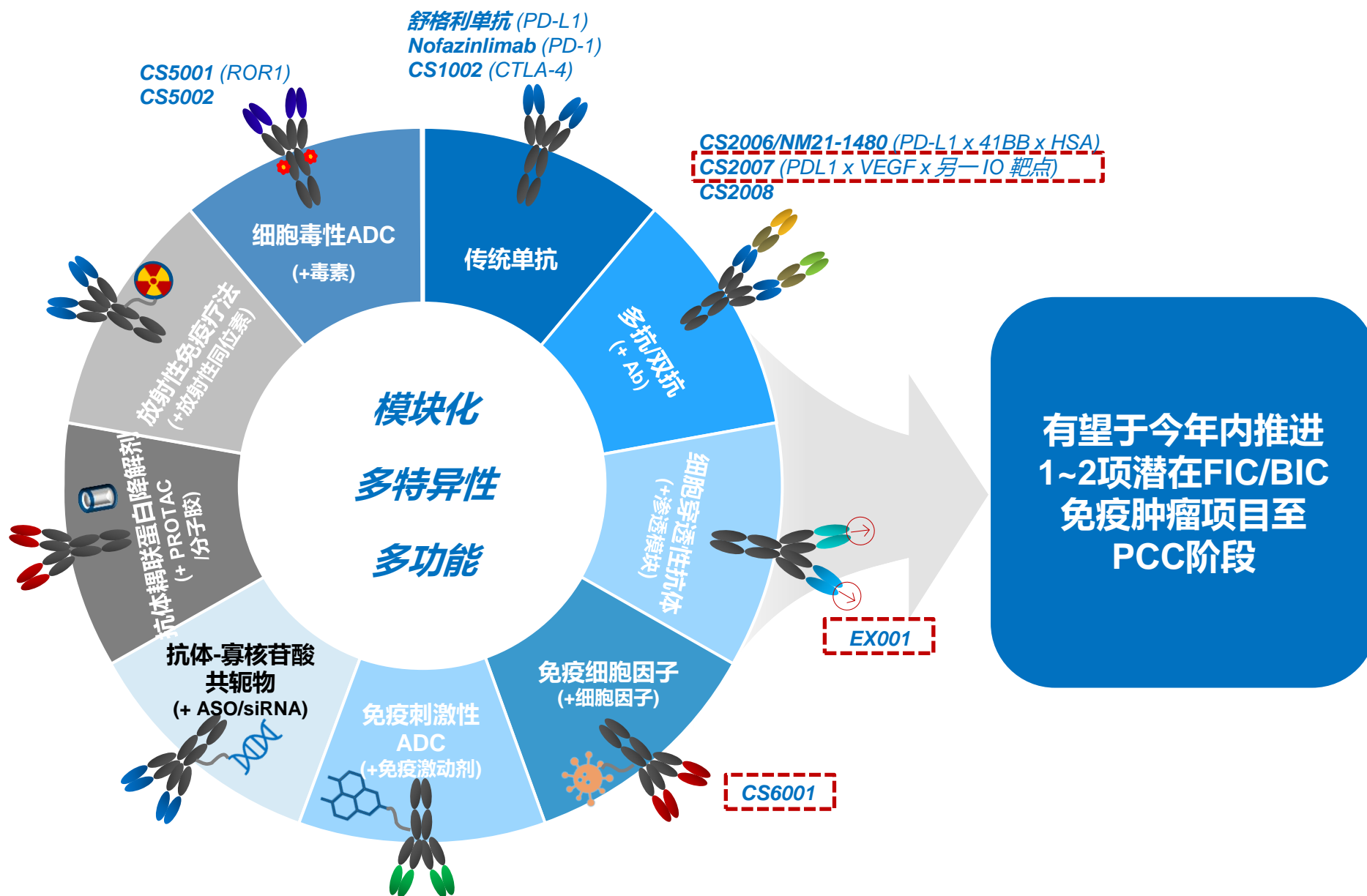
- 极高的和 α PD-L1的亲合性可增大PD-L1连结的肿瘤类型并减少需要的剂量
- 对内源性4-1BB与4-1BBL的连结无影响，保留了正常的抗原表达
- HSA结合加长了半衰期并且避免了Fc-Fc γ R介导效应
- 分子量约为~80 KD (vs. mAb ~150KD)，对肿瘤有更好的渗透作用



早期研发管线

全新研发战略产出超过10个早期研发阶段项目 (1/2)

通过“即装即用”模式无缝整合多种创新来源



有望于今年内推进
1~2项潜在FIC/BIC
免疫肿瘤项目至
PCC阶段

注: CPA = 细胞穿透性抗体; ASO = 反义寡核苷酸; PROTAC = 蛋白质降解靶向嵌合体; FIC = 同类首创; BIC = 同类最优; PCC = 临床前候选化合物

全新研发战略产出超过10个早期研发阶段项目 (2/2)

“即装即用”模式下的多个项目取得显著进展

CS2007

PD-L1 x VEGF x 另一项 IO 靶点

- 潜在**FIC**下一代免疫肿瘤骨架产品，靶向肿瘤微环境的**3个关键免疫抑制途径**
- 可**加深**基于PD(L)1疗法在治疗高发肿瘤类型中的**疗效**，包括NSCLC和HCC
- **克服肿瘤**对化疗、靶向治疗和PD-(L)1治疗的**耐药性**
- 通过抗血管内皮生长因子的肿瘤靶向递送**减少全身毒性**
- **预计于2022年下半年达到PCC**

CS6001

免疫细胞因子

- 具有全球权利的潜在**FIC/BIC**
- 对经过抗原刺激的T细胞进行**选择性激活**
- 通过**拓宽治疗指数(TI)**实现充分的差异化
- 在各种肿瘤适应症中具备巨大的市场潜力
- 与各种免疫肿瘤疗法、细胞诱导剂和细胞疗法**进行联用的潜力**
- **预计于2022年第四季度/2023年第一季度达到PCC**

EX001

细胞穿透治疗平台

- 一个潜在的**创新型药物开发平台**
- 靶向不可成药的**细胞内靶点**
- 允许各种药物模式下的细胞内递送
- 具有类似药物体内PK特性的细胞穿透治疗模块
- PoC研究显示在体外有持久的目标蛋白调节作用

公司发展

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



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：持续关注具有良好价值的资产（例如：广泛的患者覆盖或在定价方面具备溢价潜力）

全球：具备改变治疗模式潜力的临床前资产（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

通过与跨国企业合作建立全球网络，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

通过技术转移提高盈利能力；生产基地试运营



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
 - 2022年7月向CDE递交了阿伐替尼的技术转移申请
 - 普拉替尼的技术转移工作正在进行中

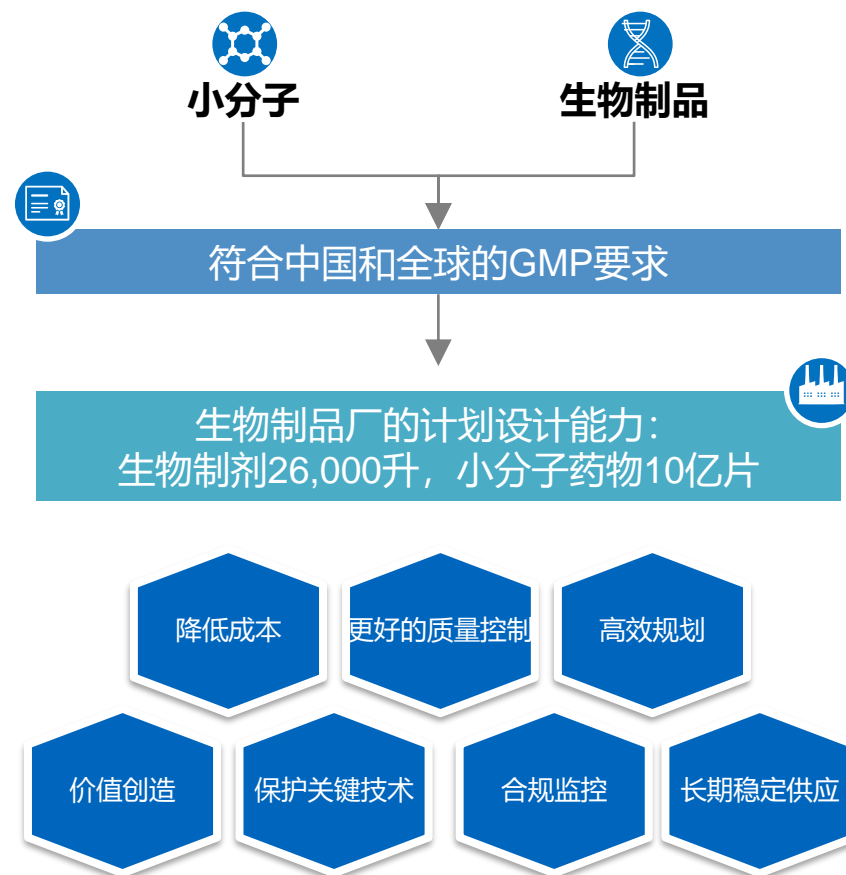


研发中心

- 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
 - 结构生物学
 - 生物信息学

全球标准的生产设施

- 2021年完成建设
- 2021年12月启动试运营
- 满足研发、中试和全面商业化生产的综合能力



3

财务概述

财务概述

通过强有力的执行确保健康的财务状况



关键损益表指标

- **收入**：2.618亿人民币（2021年上半年：0.794亿人民币）
 - **产品收入**：1.745亿人民币（精准治疗药物的商业销售额以及舒格利单抗的特许权使用费收入）
 - **合作收入**：0.873亿人民币
- **研发费用**（非国际会计准则口径*）：2.189亿元人民币（2021年上半年：4.448亿人民币）
 - *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*）：2.244亿元人民币（2021年上半年：2.143亿人民币）
- **期内亏损**（非国际会计准则口径*）：2.571亿元人民币（2021年上半年：6.325亿人民币）

现金头寸及 资金周转年限

- 截至2022年6月30日，**现金及现金等价物和定期存款为人民币11.006亿元**
- **现金储备足够支持公司两年的经营**
 - *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*
 - *有效的成本节约措施和动态财务控制*

资本市场

- **本报告期内，公司市值和股票流动性持续满足恒生综合指数/港股通相关要求**

4

业务展望

未来12个月业务展望 (1/2)

专注战略优先事项，开启基石发展的新篇章



加强基石内部研究阶段管线

- 多项资产正在开发中，包括一个用于解决不可成药靶点的创新平台。两项资产不久将达到临床前候选药物 (PCC)阶段。所有这些资产均具有全球权利，并对合作持开放态度
 - ✓ CS2007 (PD-L1 x VEGF x 另一个免疫肿瘤靶点): 约年底达到PCC阶段
 - ✓ CS6001 (免疫细胞因子):约年底达到PCC阶段
 - ✓ **细胞穿透治疗平台: 1个或多个分子达到体外/体内PoC阶段以解决极具潜力及传统意义不可成药靶点**



探索临床战略合作

- 利用广泛认可的临床开发能力，探索与早期生物技术公司和成熟制药公司的临床战略合作，以创造额外的收入来源以及潜在获取未来的商业化价值



加快商业增长步伐

- 通过商业和临床团队线上/线下的活动以及与KOL的深入合作，持续为我们同类首创的精准治疗药物建立科学领导力
- 通过与诊断公司的密切合作，进一步提高患者检出率
- 通过患者管理平台促进长期用药



加强财务实力

- 确保公司拥有足够的现金储备，在两年内无需融资
 - ✓ 增加商业和合作收入，加快技术转移，以减少成本并提高收入/利润
 - ✓ 预期研发支出将减少，主要由于多项大型三期试验的完成
 - ✓ 有效的成本节约措施和动态财务控制

未来12个月业务展望 (2/2)

充分释放我们业务和产品组合的全球潜力

3 项NDA批准

- **普拉替尼**: RET突变MTC & RET 融合阳性TC & NSCLC (中国台湾; 2022年第四季度/2023年第一季度)
- **普拉替尼**: 1L 融合阳性 NSCLC (中国大陆; 2023年)
- **舒格利单抗**: R/R ENKTL (中国大陆; 2023年上半年)

6 项NDA申请

- **普拉替尼**: 1L 融合阳性 NSCLC (中国大陆; 2022年下半年)
- **舒格利单抗**: R/R ENKTL (中国大陆; 2022年下半年)
- **舒格利单抗**: IV期NSCLC (美国以外地区; 未来6个月内)
- **舒格利单抗**: R/R ENKTL (美国; 2023年)
- **舒格利单抗**: 一线GC/GEJ (2023年上半年)
- **舒格利单抗**: 一线ESCC (2023年上半年)

4 项主要结果公布

- **舒格利单抗**: 一线GC/GEJ (2022年第四季度 / 2023年第一季度)
- **舒格利单抗**: 一线ESCC (2022年第四季度 / 2023年第一季度)
- **舒格利单抗**: III期NSCLC (中期OS分析; 2023年上半年)
- **Nofazinlimab**: 联合仑伐替尼治疗1L HCC (2023年上半年)

谢谢



基石药业
CSTONE
PHARMACEUTICALS

HKEX
香港交易所
2616.HK

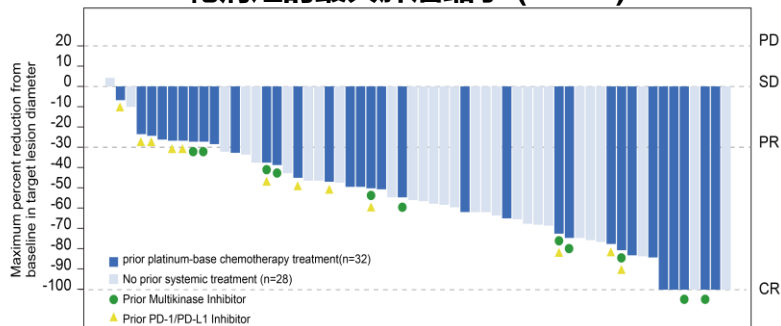
附录：普拉替尼

同类首创RET抑制剂加速适应症扩增和区域拓展

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，未检测到新的安全信号
- 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)

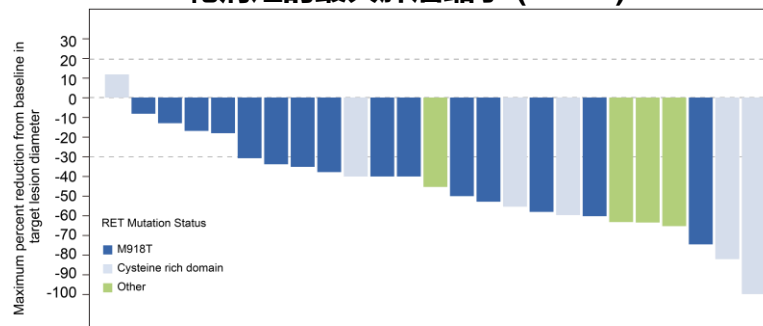


	二线治疗 (N=33)	一线治疗 (N=30)
经确认的ORR ³ , (95% CI)	66.7% (48.2-82.0)	80.0% (61.4, 92.3)
更新的ORR ⁴		83.3% (65.3-94.4)
mPFS ⁴ (95% CI)	11.7月 (8.7-)	12.7月 (8.9, -)

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，未检测到新的安全信号
- 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)

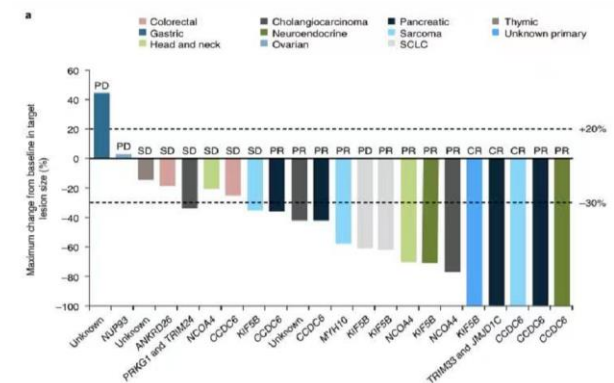


	一线治疗 (N=26) ⁵
经确认的ORR, (95% CI)	73.1% (52.2-88.4)
mPFS (95% CI)	15.7月 (15.7-)

泛瘤种试验 (发表于Nature Medicine⁶)

- 在其他实体瘤中(非小细胞肺癌和甲状腺癌除外)均显示出强大抗肿瘤活性
- 这些患者的总体耐受性良好

	RET融合阳性的其他实体瘤 (N=23) ⁷
ORR, % (95% CI)	57% (35-77)
CBR ⁸ , % (95% CI)	70% (47-87)
DCR, % (95% CI)	83% (61-95)



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; 3. 数据来源: 2021 WCLC; 数据截至2021年4月12日; 4. 数据来源: 基石药业2021年全年业绩介绍; 数据截至2022年3月4日; 5. 数据截至2021年4月12日; 6. Pan-cancer efficacy of pralsetinib in patients with RET fusion-positive solid tumors from the phase 1/2 ARROW trial. Nature medicine, 2022年8月12日; 7. 由于其他驱动基因突变(KRAS、PIK3CB)的原因, 两名结肠癌患者被排除在疗效分析之外; 8. 经确认的CR, PR, or SD >=16周

附录：艾伏尼布

同类首创且唯一的IDH1抑制剂在中国大陆获批

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	11 (36.7%)
n(%) (95% CI)	(19.9, 56.1)
CR+CRh 率	11 (36.7%)
n(%) (95% CI)	(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 EFS¹ (95% CI)	5.52 月 (2.76, -)
中位 OS (95% CI)	9.10 月 (4.80, -)

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	34 (47.2%)	11 (14.9%)
n(%) (95% CI)	(35.3, 59.3)	(7.7, 25.0)
CR+CRh 率	38 (52.8%)	13 (17.6%)
n(%) (95% CI)	(40.7, 64.7)	(9.7, 28.2)
ORR	45 (62.5%)	14 (18.9%)
n(%) (95% CI)	(50.3, 73.6)	(10.7, 29.7)
EFS²	HR 0.33	
(95% CI)	(0.16-0.69)	
OS	HR 0.44	
(95% CI)	(0.27, 0.73)	
中位OS	24.0 月	7.9 月

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
- 经IRC评估的PFS: 与安慰剂对照, HR=0.37; 95% CI (0.25, 0.54); mPFS:**2.7个月** vs 1.4个月
- 2025年新诊断IDH1突变中国患者达到**~3,000例³**

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年新诊断IDH1突变中国患者达到**16,000例**

骨髓增生异常综合征

- 1期临床结果显示**患者预后显著改善**
- 复发/难治骨髓增生异常综合症患者的**ORR和CR率为81%和44%**
- 2025年新诊断IDH1突变中国患者达到**~4,000例**

注: CR, 完全缓解; CRh, CR伴随血液学部分恢复; 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

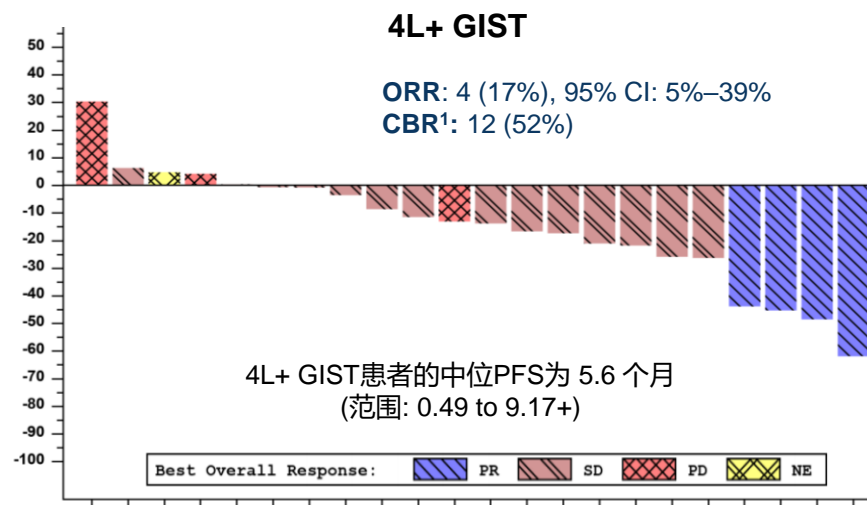
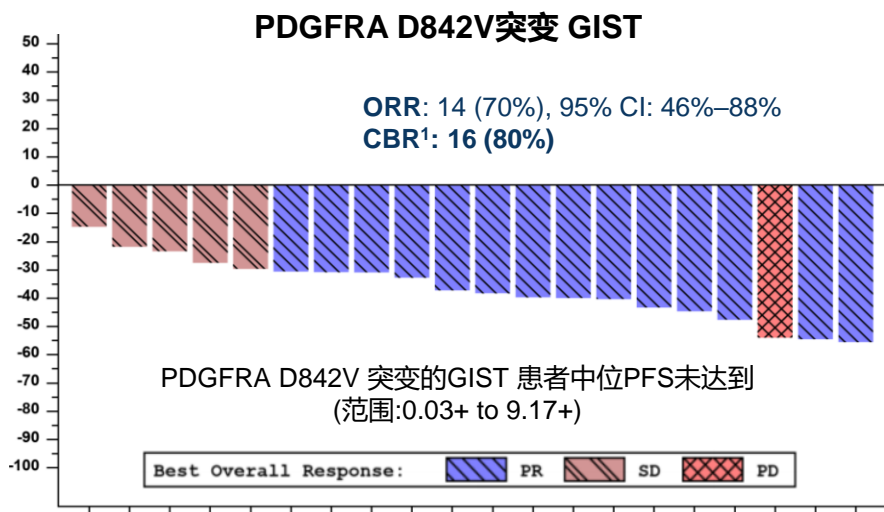
来源: Clarivate DRG; Globocan 2020; 基石分析; NEJM; ClarIDHy Trial; J Clin Oncol. 2020 Oct 10; 38(29): 3398-3406. Ivosidenib in patients with IDH1-mutant relapsed/refractory myelodysplastic syndrome (R/R MDS): Updated enrollment and results of a phase 1 dose-escalation and expansion substudy. Journal of Clinical Oncology 40, no. 16_suppl (June 01, 2022) 7053-7053.

附录：阿伐替尼 (1/2)

同类首创KIT/PDGFR α 抑制剂在GIST适应症中具有显著疗效

GIST¹ (2021 ESMO GI口头报告)

- 在PDGFRA 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

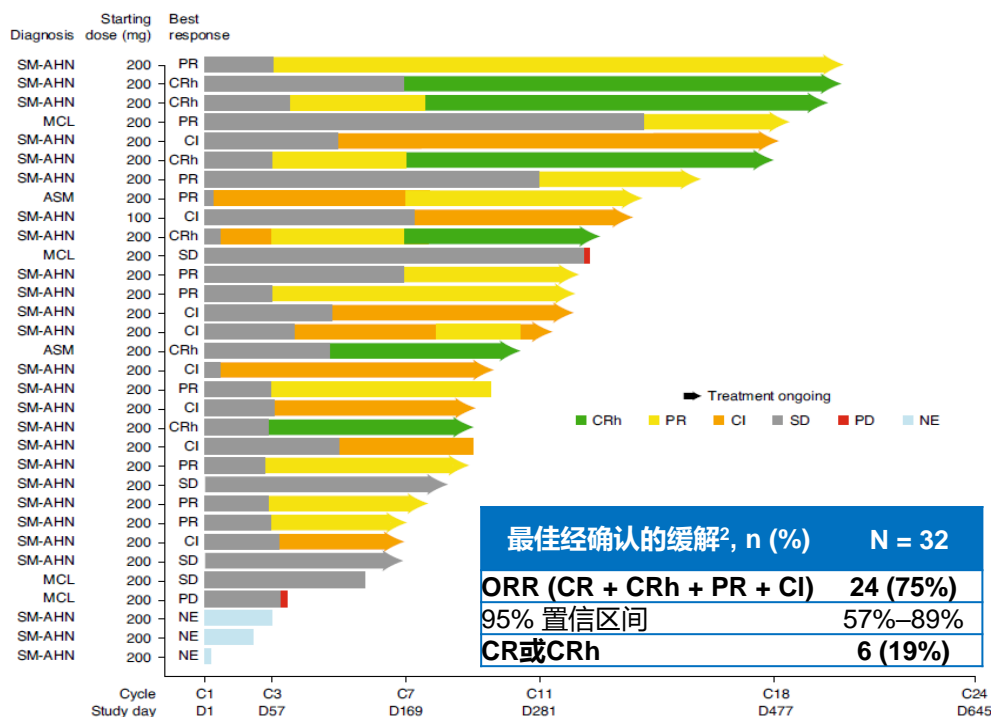
注: 1. CBR定义为CR/PR或者从治疗开始后SD持续≥4个周期的患者比例;
来源: ESMO GI 2021

附录：阿伐替尼 (2/2)

同类首创KIT/PDGFRα抑制剂在更广泛的适应症中具有潜力

Advanced SM¹ (Nature Medicine及EHA 2022)

- 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



数据来源：Nature Medicine, 截至2020年6月23日

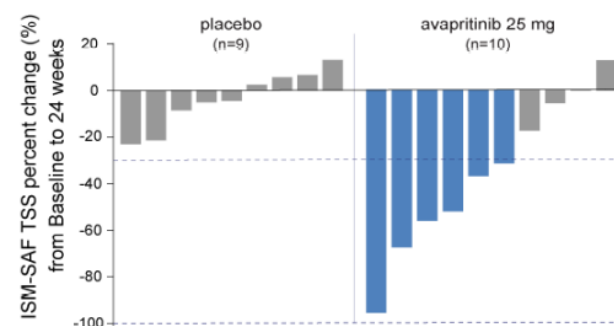
总生存期	阿伐替尼 队列	米哌妥林 队列	克拉屈滨 队列
中位OS, 未加权样本 (月) (95% CI)	NR (46.9, NE)	28.6 (18.2, 44.6)	23.4 (14.8, 40.6)

数据来源：EHA 2022, 截至2021年4月20日

ISM¹ (EAACI 2020³)

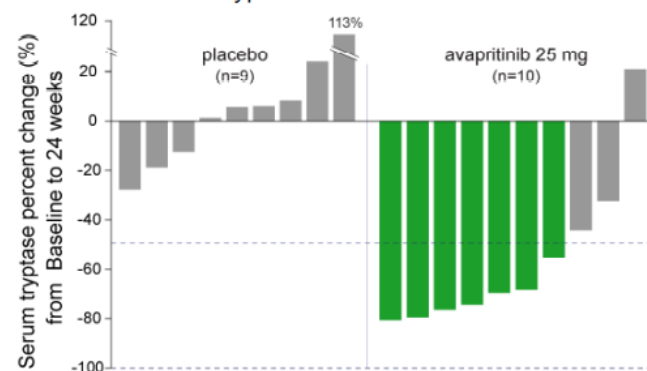
- 阿伐替尼对总体症状和血清类胰蛋白酶缓解方面具有显著的效果

Part 2 Primary endpoint ≥30% reduction in ISM-SAF Total Symptom Score at 24 weeks



Response rate: 0% (placebo) vs 60% (avapritinib 25 mg)

Part 2 First key secondary endpoint ≥50% tryptase reduction at 24 weeks*



Response rate: 0% (placebo) vs 70% (avapritinib 25 mg)

数据来源：EAACI 2020, 截至2020年3月31日

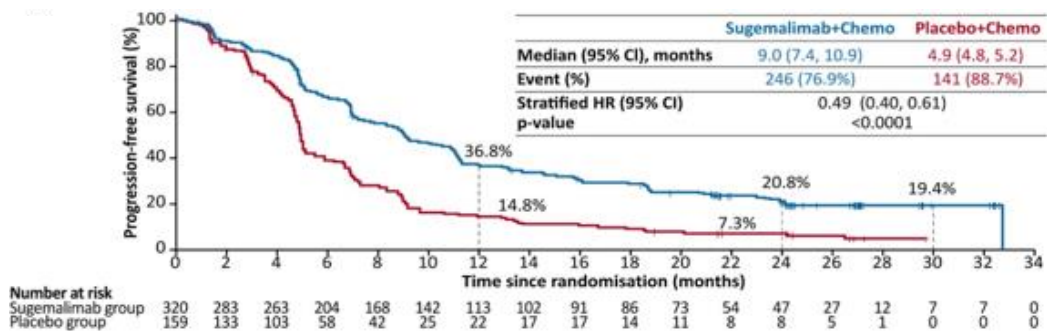
注：1. SM = 系统性肥大细胞增多症, SM-AHN = 伴相关血液肿瘤的SM, ISM = 惰性系统性肥大细胞增多症, MCL = 肥大细胞白血病; 2. Gotlib, J. et al. Efficacy and safety of avapritinib in advanced systemic mastocytosis: interim analysis of the phase 2 PATHFINDER trial, Nature Medicine 27, 2192–2199 (2021); 3. EAACI = European Academy of Allergy and Clinical Immunology
来源: EHA 2022. EAACI 2020. Overall Survival in Patients with Advanced Systemic Mastocytosis Receiving Avapritinib Versus Midostaurin or Cladribine

附录：舒格利单抗 (1/2)

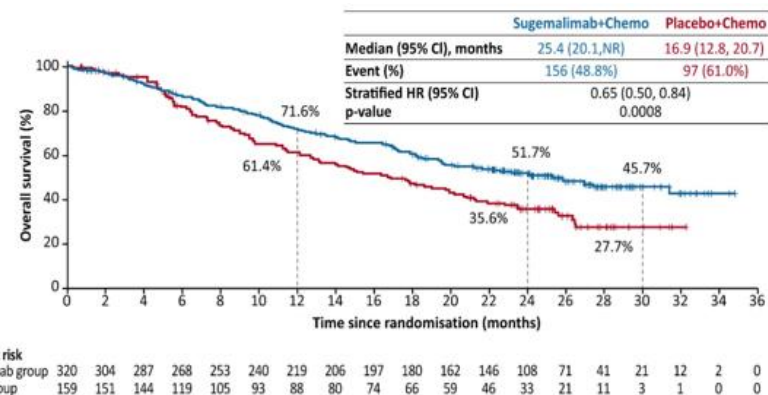
同类最佳PD-L1于2022年在中国大陆上市，用于治疗IV期非小细胞肺癌
(鳞癌/非鳞癌)

2022 ASCO[®]
ANNUAL MEETING

主要终点：研究者评估的无进展生存期



总生存期中分析



THE LANCET
Oncology

ARTICLES | ONLINE FIRST

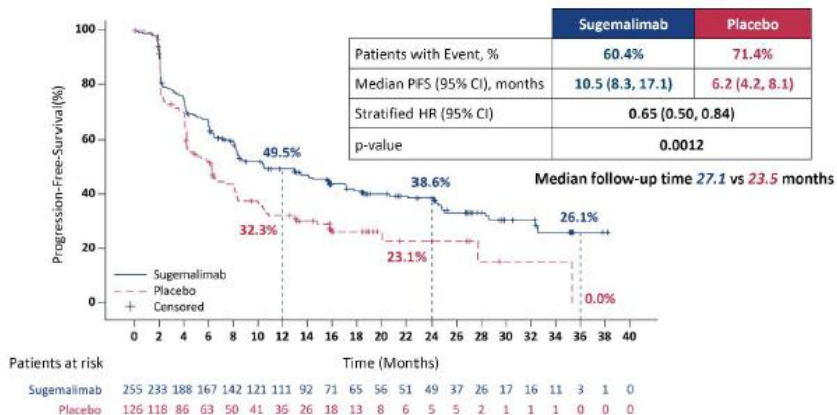
Sugemalimab versus placebo, in combination with platinum-based chemotherapy, as first-line treatment of metastatic non-small-cell lung cancer (GEMSTONE-302): interim and final analyses of a double-blind, randomised, phase 3 clinical trial

- **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IV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**。

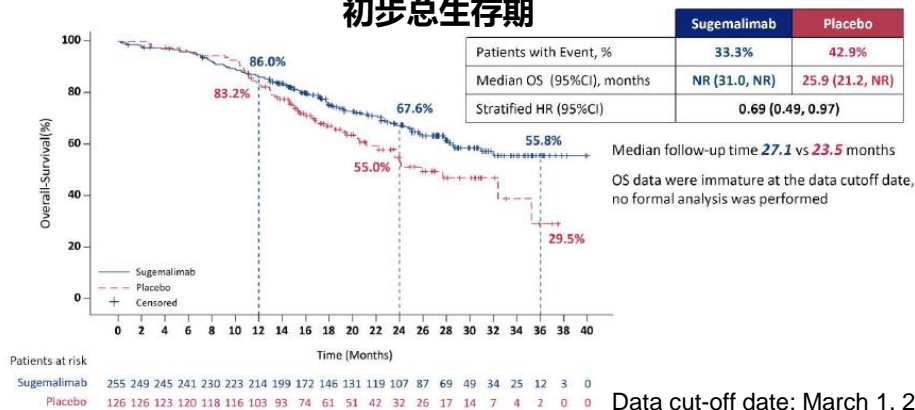
附录：舒格利单抗 (2/2)

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

主要终点：研究者评估的无进展生存期



初步总生存期



	GEMSTONE 301	PACIFIC	
Population	sCRT ¹ + cCRT ²	cCRT	cCRT
Sample size	255	169	476
Follow up	27.1 m	22.4 m	34.2 m
mPFS	10.5 m	15.7 m	17.2 m
mOS	Not reached	Not reached	47.1 m
24m OS rate	67.6%	66.3%	66.3%
36m OS rate	55.8%	57.6%	56.7%

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放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放化疗后PFS的三期试验

注：sCRT = 同步放化疗；2. cCRT = 序贯放化疗；3. CRT = 放化疗
 资料来源：WCLC 2022；柳叶刀肿瘤学；J Thorac Oncol. 2021 May;16(5):860-867