



基石药业
CSTONE
PHARMACEUTICALS

2024年中期业绩演示材料

2024年8月26日

股票代码：2616.HK

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.

具有端到端能力、实现全面整合的生物制药公司

从成立到首个商业化产品上市仅用了5.5年

研究

临床洞察驱动的
模块化研发模式

45+项

新药临床试验申请
获批

10+

早期研发项目

开发

高效、优质及创新的
临床开发引擎

15项

新药上市申请
获批

50+篇

数据报告
/ 学术文章发布

商业化

通过建立合作最大化商业价值

4款* 商业化产品

9项 已获批适应症

4大 区域覆盖

2016

基石药业
成立

2018

创纪录B轮融资
2.60亿美元

2019

在香港联交所
IPO

2020

与辉瑞建立
全球战略伙伴关系

2021

普吉华®、泰吉华®、和
择捷美® 获批和上市
全面整合的生物制药公司

2022

拓舒沃®
获批和上市

2023

择捷美®的5项注册试验均获成功，
且有望在海外上市
(上市许可申请在英国与欧洲获受理)

2024

择捷美® 上市许可申请获
欧盟委员会批准，同时开
启海外市场战略合作

01

业务成就

2024年迄今

2024年迄今为止取得的成就

财务数据

截至2024年6月30日

2024上半年总收入^[1]

2.5
亿元人民币
(与去年同期基本持平)

2024年上半年净盈利^[2]

10.8
百万元人民币
(首次实现盈利, 2023年同期净亏损为
1.8亿元人民币)

现金余额

8.1
亿元人民币

研发进展

截至2024年8月26日

2 项新药上市申请获批

舒格利单抗 一线胃/胃食管结合部腺癌 
舒格利单抗 一线IV期非小细胞肺癌 

5 项数据发表/汇报

CS5001 (ROR1 ADC) I期临床在美国、澳大利亚和中国同步展开, 在HL和DLBCL患者中的ORR为50+%; 剂量递增过程中, 在多个实体瘤瘤种中观察到PR和SD伴肿瘤负荷减小 (**ASCO 2024数据**)

洛拉替尼 (ROS1) ROS1 阳性晚期非小细胞肺癌注册性临床研究数据读出

1 项新药上市申请正在审评中

舒格利单抗 一线IV期非小细胞肺癌 

10+ 项临床前研发项目

商业化及合作

截至2024年8月26日

地产化进展

- 阿伐替尼 地产化药品上市注册申请已获NMPA批准
- 普拉替尼 地产化药品上市注册申请正在CDE审评中

国家医保药品目录

- 阿伐替尼被纳入2023年国家医保药品目录并从2024年1月开始执行

BD

- 与Ewopharma就舒格利单抗在瑞士和18个中东欧国家达成战略合作
- 与恒瑞达成阿伐替尼在中国大陆的独家商业化推广合作

[1] 2024年上半年总收入包括药品销售收入 (2024 H1 1.2亿元人民币 vs. 2023 H1 2.5亿元人民币, -52%)、授权费收入 (2024 H1 1.2亿元人民币 vs. 2023H1 NA)、特许权使用费收入 (2024  中国大陆  英国  欧盟

[2] 净盈利是指不包括某些非现金项目和一次性事件的影响, 即基于股票的支付费用。

缩写: HL, Hodgkin Lymphoma 霍奇金淋巴瘤

02

研发管线近况

1. 商业化阶段项目
2. 关键临床项目
3. 早期创新管线

最大化成熟产品商业价值，并持续推进研发管线2.0，以驱动业务增长

商业化阶段项目

舒格利单抗
(PD-L1)

普拉替尼
(RET)

阿伐替尼
(KIT/PDGFRA)

研发管线2.0中的
关键临床项目

CS5001
(ROR1 ADC)

临床研发进程全球前二
同类最佳潜力

研发管线2.0中的
早期创新项目

CS2009
(PD-1/CTLA4/VEGF三特异性抗体)

CS5005
(SSTR2 ADC)

CS5006
(创新靶点ADC)

CS2011
(EGFR/HER3
双特异性抗体)

CS5007
(EGFR/HER3
ADC)

自免产品
(双特异性/三特异性抗体)
以及其他早期探索项目

02

研发管线近况

1. 商业化阶段项目
2. 关键临床项目
3. 早期创新管线

舒格利单抗（抗PD-L1单抗）（1/2）

五项适应症已全部在中国大陆获批；一线非小细胞肺癌适应症获欧盟委员会批准，英国MHRA审评顺利进行中；海外合作积极探索中



- 合作进展**
- ✓ 与Ewopharma在瑞士及18个中东欧国家达成商业化合作（基石药业将最高获得5130万美元的首付款及后续注册与销售里程碑付款，通过向Ewopharma销售产品来获取国际收入）
 - ✓ 多个其他国家和地区的潜在合作伙伴正在与基石药业深入洽谈中，有望于2024年内达成更多合作

[1] 数据基于EvaluatePharma2021年7月数据和Cowen2019年12月对PD(L)1市场模型的更新

舒格利单抗（抗PD-L1单抗）（2/2）

获欧盟委员会批准一线治疗IV期非小细胞肺癌全人群 (最大的肿瘤适应症); 首次海外合作已达成，下半年有望达成更多合作

随着欧盟上市申请获批，基石成为少数有能力将药物成功推向全球主要市场的中国创新生物制药企业之一

建立全球合作将通过短期的首付款和长期的经常性销售收入为基石带来持续的现金流



EUROPEAN COMMISSION
DIRECTORATE-GENERAL FOR HEALTH AND FOOD SAFETY

Directorate D – Medical products and Innovation
D1 – Medicines – policy, authorisation and monitoring
Head of unit

Brussels, 25 July 2024

NOTE TO THE MEMBERS OF THE STANDING COMMITTEE ON MEDICINAL PRODUCTS FOR HUMAN USE/STANDING COMMITTEE ON VETERINARY MEDICINAL PRODUCTS

Subject: Adoption of COMMISSION IMPLEMENTING DECISION granting marketing authorisation under Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council for "Cejemly - sugemalimab", a medicinal product for human use

- ☑ 继百济神州和黄医药之后，成为**第三家**成功将创新肿瘤药物推向欧盟市场的中国创新药企
- ☑ **首个**在欧盟获批的覆盖IV期非小细胞肺癌**全人群**的PD-L1单抗
- ☑ **首个**成功“出海”的国产 PD-L1单抗
- ☑ 正在加紧筹备向欧洲药品管理局递交舒格利单抗**其他适应症**的上市许可申请

与 ewo pharma⁺
since 1959

达成商业化战略合作

瑞士和18个中欧/东欧国家

2024年5月

2024年下半年

舒格利单抗在海外市场的商业化将为基石带来持续的销售收入：

- 欧盟市场竞争格局利好，目前PD-1/PD-L1赛道中，仅帕博利珠单抗在欧洲获批与化疗方案联用治疗IV期非小细胞肺癌全人群

欧盟获批后，全球其他地区对于舒格利单抗的关注度不断高涨：

- 预计将获得来自西欧、中东和非洲、南美、东南亚以及澳大利亚等国家和地区的可观的首付款

通过建立合作最大化商业价值：普拉替尼和阿伐替尼

借助合作伙伴在商业化方面的优势，最大限度实现产品的价值

商业化进展

普拉替尼

RET抑制剂

普吉华

2023年11月8日

艾力斯

达成中国大陆区域的商业化推广合作

- 基石药业获得一笔首付款
- 基石药业获得中国大陆的销售收入，艾力斯将从基石药业收取服务费
- 基石药业继续拥有中国大陆研发、注册等推广权之外的权益^[1]

向艾力斯顺利交接普拉替尼相关市场活动，且双方积极展开商业化合作

阿伐替尼

KIT/PDGFRΑ抑制剂

泰吉华

2024年7月3日

恒瑞

达成中国大陆区域的商业化推广合作

- 人民币3,500万首付款
- 中国大陆销售收入仍将纳入基石药业财报，恒瑞医药将从基石药业收取服务费
- 基石药业将继续拥有中国大陆的研发、注册、生产、经销等权益^[1]

被纳入2023年国家医保药品目录并从2024年1月开始执行

地产化进展

地产化上市注册申请目前正在CDE审评中，未来获批后将显著降低生产成本

地产化上市注册申请已获NMPA批准，未来将显著降低生产成本；预计在2024年底或2025年初实现地产化供药

开发和注册进展

	一线非小细胞肺癌	二线非小细胞肺癌	一线甲状腺髓样癌/ 甲状腺癌	泛瘤种 ^[2]
	已获批	已获批	已获批	II期临床中观察到出色疗效 (ORR: 57%)
	已获批	已获批		
	已获批	已获批	已获批	

	GIST-PDGFRΑ 外显子18	GIST-KIT 17/18 突变(2-4线)	晚期SM	ISM	KIT D816或N822 突 变复发难治AML
	已获批	通过回顾性分析看到强大的抗肿瘤活性且疗效优于标准治疗	待与国家药品监督管理局药品审评中心讨论注册途径		在真实世界中观察到确认的疗效。正在进行研究者发起的试验，将被纳入诊疗指南
	已获批		已获批	已获批	
	已获批		已获批	已获批	

市场潜力

~70K

中国每年新确诊的RET突变肿瘤患者^[3]

~45K

中国每年新确诊的PDGFRΑ外显子18或KIT突变肿瘤患者^[3]

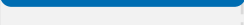
[1]. 基石药业与Blueprint Medicines达成独家合作及授权许可协议，推进阿伐替尼和普拉替尼在中国大陆、香港、澳门和台湾地区的临床开发与商业化；[2]. 广泛适应RET+实体瘤，即结直肠癌、胃癌、乳腺癌、肝癌、宫颈癌、卵巢癌、食道癌和胰腺癌；[3]. Clarivate DRG, 2025；缩写：NMPA，国家药品监督管理局；CDE，药品审评中心；NSCLC，非小细胞肺癌；MTC，甲状腺髓样细胞癌；TC，甲状腺癌；GIST，胃肠道间质细胞瘤；SM，系统性肥大细胞增多症；ISM，惰性系统性肥大细胞增多症；AML，急性髓系白血病

02

研发管线近况

1. 商业化阶段项目
2. 关键临床项目
3. 早期创新管线

研发管线2.0 - 具备全球权益的创新型管线

候选药物	商业权利	适应症	药物发现	临床前开发	新药临床试验申请	首次人体试验	概念验证	合作伙伴
CS5001 ¹ (ROR1 ADC)		实体瘤 血液瘤						
CS2009 (PD-1 x CTLA4 x VEGFa三特异性抗体)		实体瘤						
CS5006 (未披露靶点, ADC)		实体瘤						
CS2011 (EGFRxHER3双特异性抗体)		实体瘤						
CS5005 (SSTR2 ADC)		实体瘤						
CS5007 (EGFRxHER3双特异性ADC)		实体瘤						
CS2012 (SSTR2 TCE双特异性抗体)		实体瘤						
CS2013 (未披露靶点, 双特异性抗体)		自身免疫性疾病						
EX012 (未披露靶点, 双特异性抗体)		实体瘤						
EX018 (未披露靶点, 双特异性抗体)		自身免疫性疾病						

Note: 所示产品的进展为“商业权利”一栏标注地区的进展
1. 基石获得独家主导LCB71/CS5001在韩国境外开发和商业化的全球权利

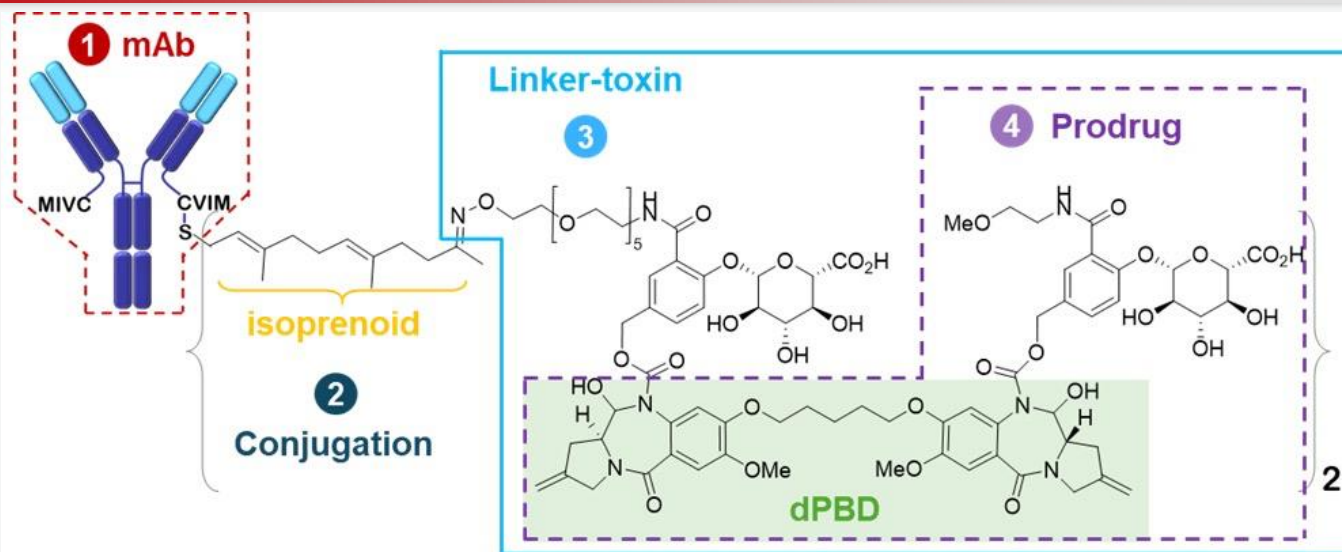
CS5001 (ROR1 ADC)

全球前二，I期临床试验在美国、澳大利亚和中国同步进行中

针对血液恶性肿瘤和实体瘤的 ADC 靶点

- 在正常血液淋巴细胞和成人组织中基本不存在¹⁻³
- 作为胚胎蛋白, 在许多血液恶性肿瘤（尤其是 B 细胞淋巴瘤）中过量表达^{4, 5}
- 在三阴性乳腺癌、卵巢癌和非小细胞肺癌（腺癌）等实体瘤中广泛表达^{2,6-13}
- 同类首创分子在I期临床阶段于 2020年11月被默克以27.5亿美元的价格收购

四项差异化优势支持同类最佳潜力:



1

全人源抗IgG1抗ROR1抗体

2

位点特异性偶联技术 (“ConjuAll”) 可精确控制药物与抗体的比例均值达到 2

3

专属肿瘤选择性可降解连接子(由 β -葡萄糖醛酸酶裂解), 在血液循环系统中高度稳定

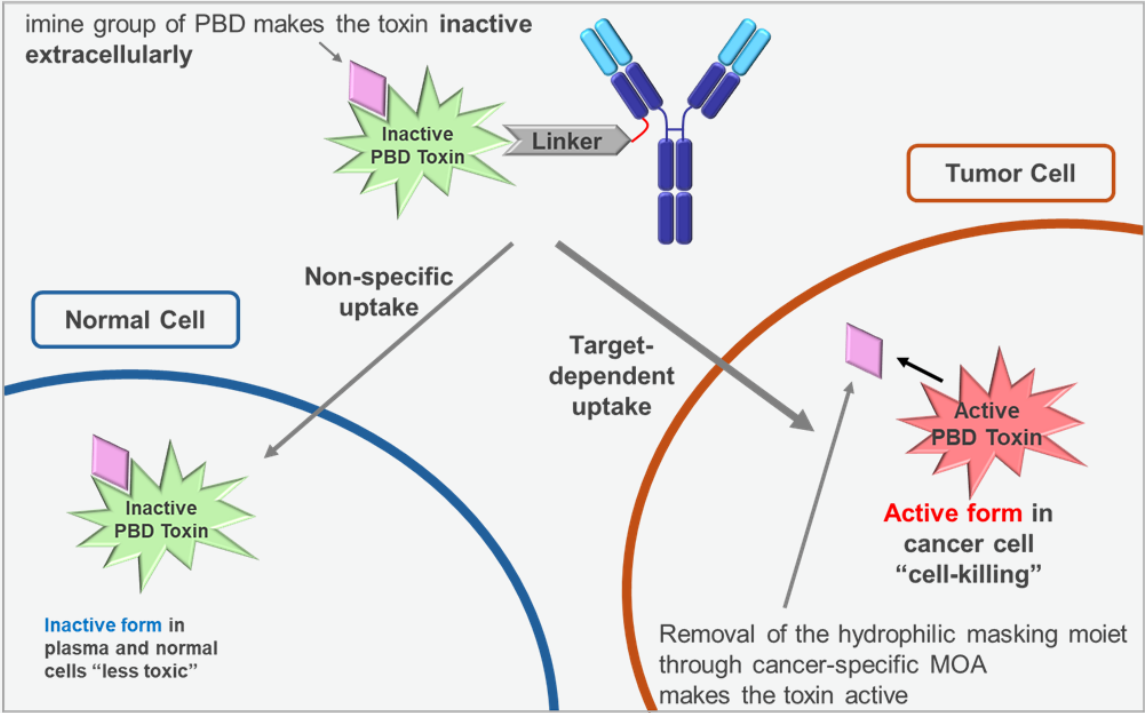
4

肿瘤微环境中特异性激活PBD二聚体毒素前药 (由 β -葡萄糖醛酸酶酶切释放), 通过DNA交联从机制上有效避免肿瘤耐药

1. Baskar et al, Clin Cancer Res 2008,14(2); 2. Balakrishnan et al, Clin Cancer Res 2017 23(12); 3. Uhrmacher et al, Leukemia Research 35 (2011) 1360; 4. Borcherdig et al, Protein Cell 2014, 5(7):496-502; 5. Daneshmanesh et al, Leukemia & Lymphoma 2013,54(4): 843-850; 6. Zhang et al, PLoS ONE 2012 7(3): e31127; 7. Chien et al, Virchows Arch 2016, 468(5):589-95; 8. Henry et al, Transl Oncol. 2017, 10(3):346-356; 9. Zhang et al, Sci Rep. 2014, 24(4):5811; 10. Zheng et al, Sci Rep. 2016, 10(6):36447; 11. Liu et al, PLoS One. 2015,10(5):e0127092; 12. Henry et al, Gynecol Oncol. 2018, 148(3):576-584; 13. Zhou et al, Oncotarget 2017, 8(20):32864-32872

新型前药技术可减小传统PBD毒素的系统性毒性

- 与传统PBD二聚体相比，PBD二聚体前药是没有活性的
- 前药是高度极性的，不能穿透及杀伤正常细胞
- 前药可减小与传统PBD载荷系统性暴露相关的毒性风险
- 偶联PBD前药的ADC与偶联传统PBD毒素的ADC具有相似的IC₅₀，表明PBD前药在肿瘤细胞中的激活并不会损失活性且较为高效



Free toxins tested	IC ₅₀ (nM)	
	Tumor cell line	
	72h	168h
Naked PBD free toxin	1.15	0.04
LCB's proprietary PBD prodrug free toxin	>100	>20

肿瘤选择性激活

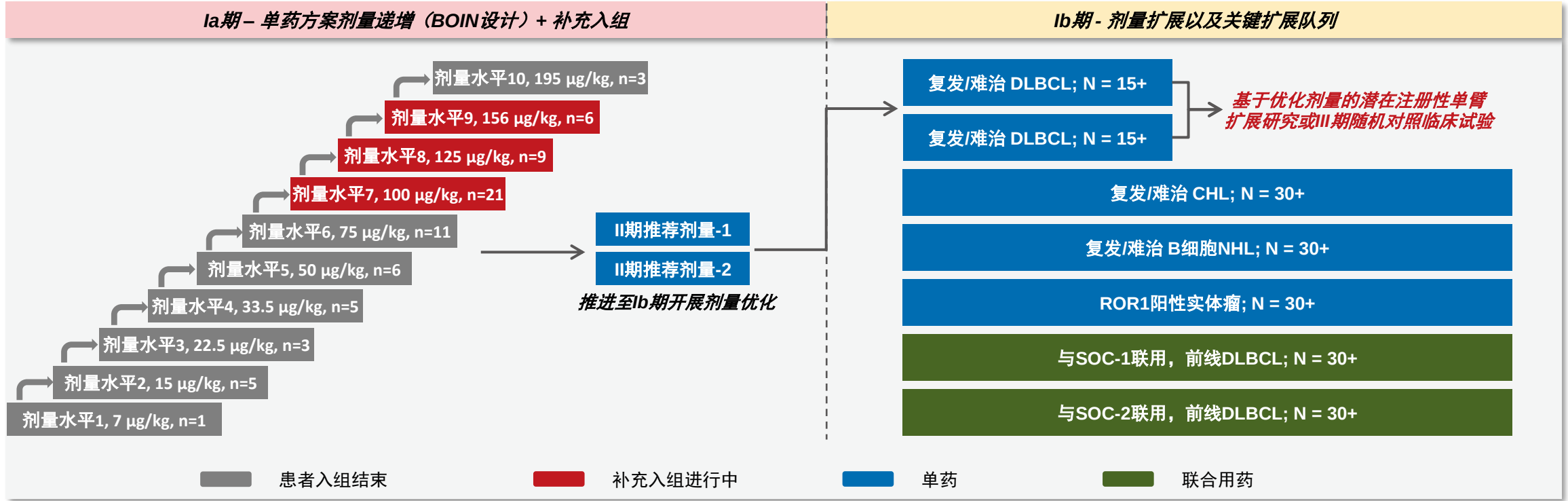
无活性

ADCs tested	IC ₅₀ (nM)	
	Tumor cell line	
	144h	
Naked PBD-ADC	0.23	
PBD prodrug-ADC	0.19	

有活性

CS5001 I期临床试验设计和快速上市注册计划

一项在晚期实体瘤和淋巴瘤患者中评价CS5001（抗-ROR1抗体偶联药物）的安全性、耐受性、药代动力学和抗肿瘤活性的I期、剂量递增和剂量扩展研究



Ia期临床试验主要筛选标准

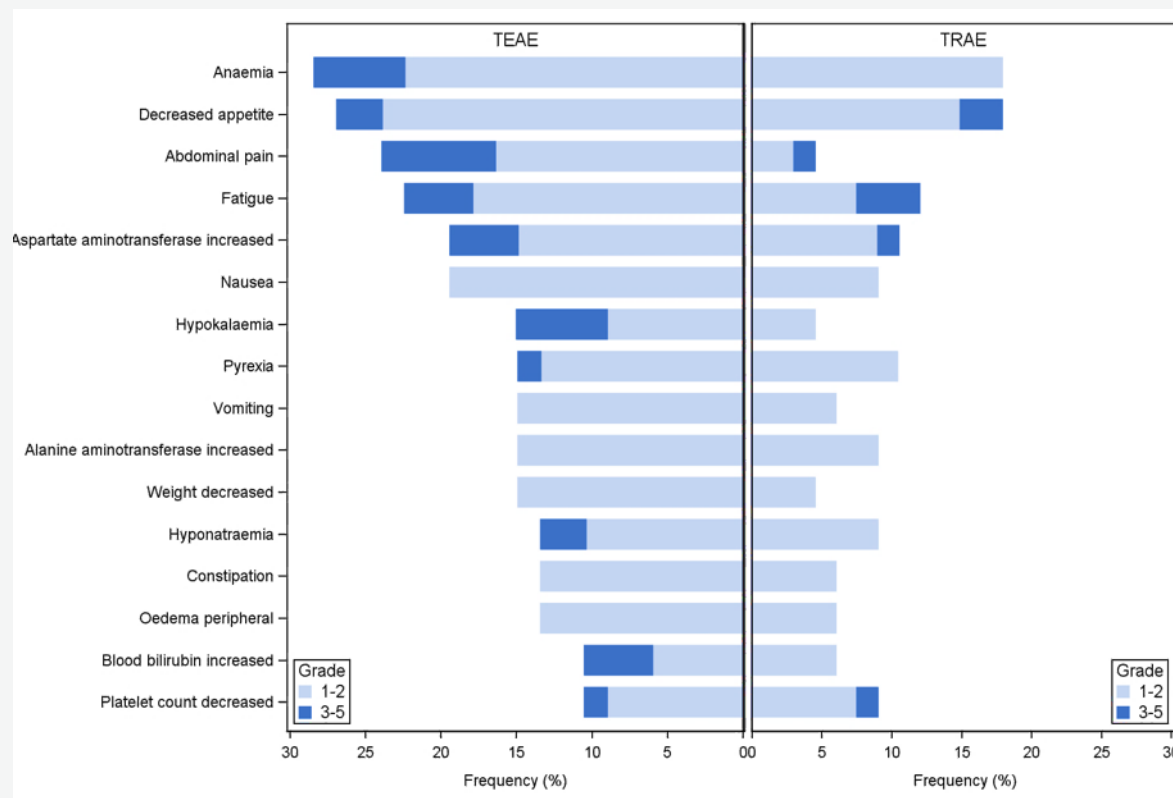
- 年龄 18 岁或以上
- 患有晚期实体肿瘤或淋巴瘤、在接受过所有已知能从中获益的标准治疗手段后进展的或对其不耐受的患者
- ≥ 1 个可评估病灶
- 患者具有足够的器官功能
- 可提供用于生物标记物分析的肿瘤样本

近期催化剂事件

- 在2024年ASH学术会议上公布I期临床数据
- 针对淋巴瘤适应症启动具备注册性临床潜力的Ib期临床试验
- 针对前线淋巴瘤适应症探索基于ROR1的联合用药方案

CS5001安全性数据 (1/3): 在多线经治的患者中具有良好的耐受性; 治疗相关不良事件大多为 1 级或 2 级

最常见的TEAE (≥10%) 及 TRAE (≥2%) (安全性分析集)



▶ 60 (89.6%) 的患者经历过至少1次TEAE; 32 (47.8%) 的患者发生过3级及以上TEAE

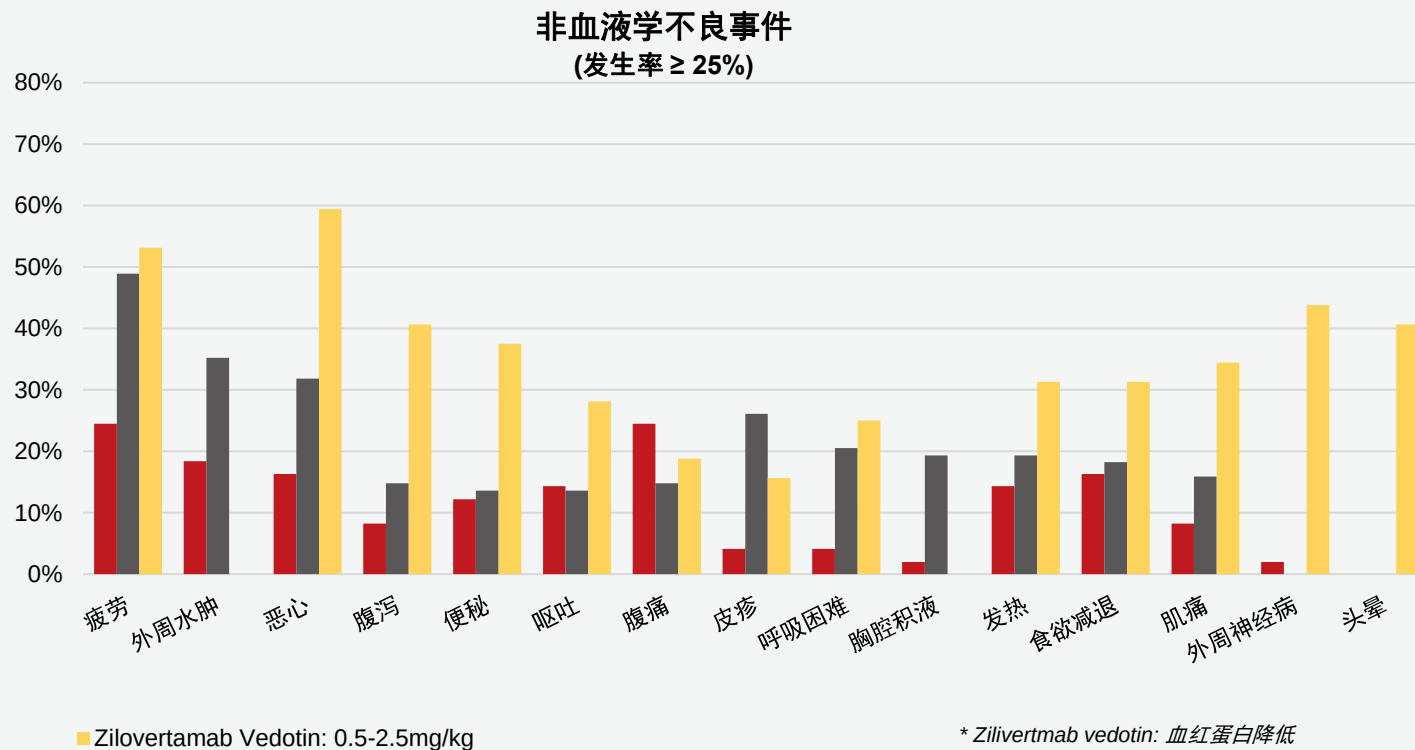
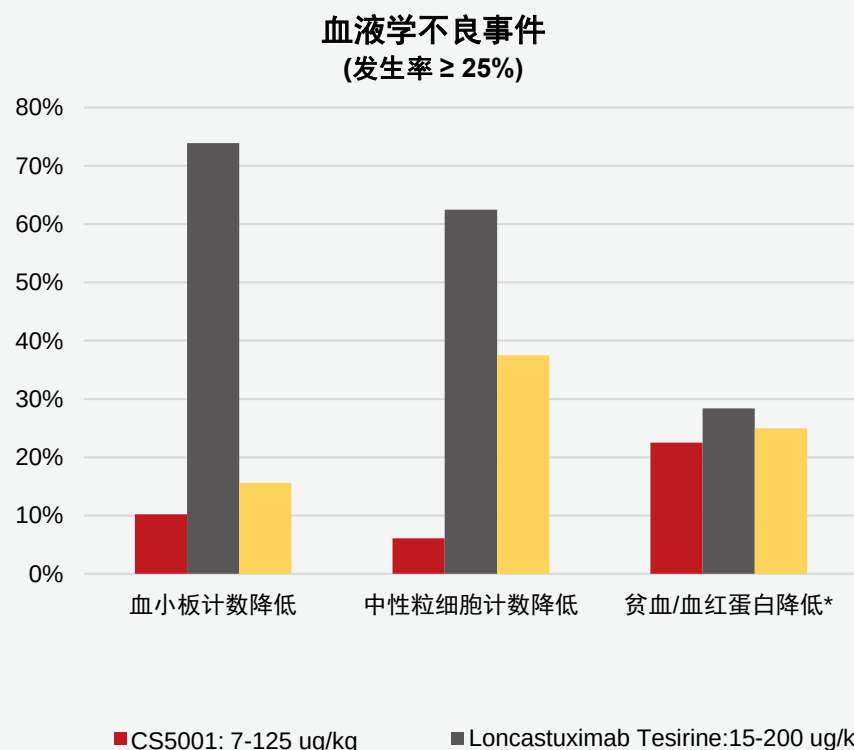
- 最常见的 (≥20%) TEAE 包括贫血 (n=19, 28.4%), 食欲减退 (n=18, 26.9%), 腹痛 (n=16, 23.9%) 以及疲劳 (n=15, 22.4%)

▶ 45 (67.2%) 例患者发生过TRAE; 13 (19.4%) 的患者发生过3级及以上TRAE

- 最常见的 (≥10%) TRAE 包括贫血 (n=12, 17.9%), 食欲减退 (n=12, 17.9%), 疲劳 (n=8, 11.9%), 发热 (n=7, 10.4%) 以及天冬氨酸转氨酶升高 (n=7, 10.4%)

CS5001安全性数据 (2/3): 相比其他两种相关ADC, CS5001在I期试验中展现出更好的安全性

CS5001从起始剂量至第8剂量组 (125 ug/kg) 观察到的血液学及非血液学不良事件发生率均相对较低



靶点
连接子
有效载荷
DAR

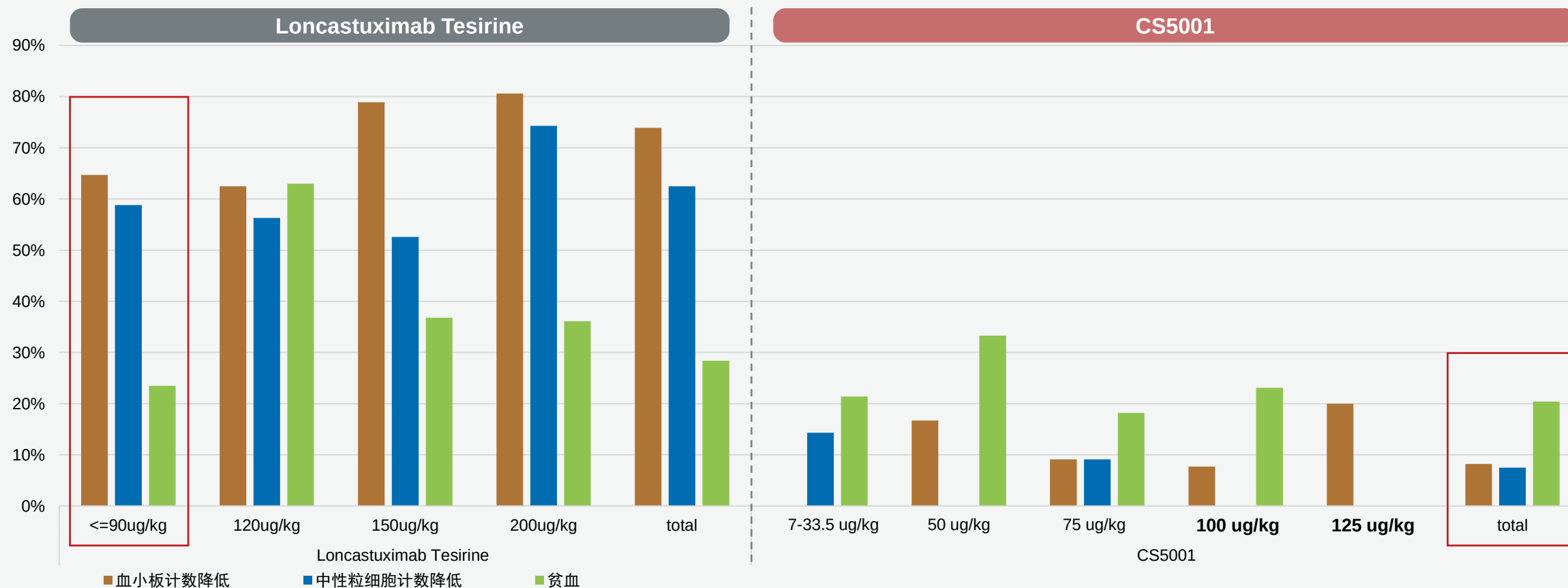
CS5001
ROR1
类异戊二烯-β-葡萄糖苷酸
PBD二聚体 前药
2

Zilovetmab Vedotin
ROR1
Mc-vc-PAB
MMAE
平均值4 (0-8)

Loncastuximab Tesirine
CD19
可被胰蛋白酶降解的缬氨酸-丙氨酸
PBD二聚体
平均值2.3 (0-6)

CS5001安全性数据 (3/3): I期剂量探索研究中, 相比另外一个已经上市的PBD类ADC, CS5001在相近剂量水平均展示出更低的血液学毒性

按剂量组划分的血液学不良事件—Loncastuximab Tesirine vs. CS5001



CS5001有效性数据 (1/2): 在多种淋巴瘤中观察到50%以上ORR

可评估淋巴瘤患者中的最佳客观缓解率（BOR）

BOR	DL1-4 7-33.5 µg/kg (n=2)	DL5 50 µg/kg (n=2)	DL6 75 µg/kg (n=5)	DL7 100 µg/kg (n=8)	DL8 125 µg/kg (n=3)	DL9 156 µg/kg (n=1)	All DLs (n=21)
CR	0	0	0	2 (25%)	0	0	2 (9.5%)
PR	0	1 (50%)	1 (20%)	0	3 (100%)	1 (100%)	6 (28.6%)
SD	0	0	0	0	0	0	0
PD	2 (100%)	1 (50%)	4 (80%)	6 (75%)	0	0	13 (61.9%)

霍奇金淋巴瘤

- 从第5剂量水平（50 µg/kg ）及以上观察到客观缓解
- 在第5至第9剂量水平有9例可评估患者，其中观察到1例CR和4例PR（**ORR: 55.6%**）

弥漫性大B细胞淋巴瘤

- 从第7剂量水平（100 µg/kg ）及以上观察到客观缓解
- 在第7至第9剂量水平有6例可评估患者，其中观察到1例CR和2例PR（**ORR: 50.0%**）

信息来源: 2024 ASCO 壁报
缩写: DL – 剂量水平; ORR – 客观缓解率; CR – 完全缓解; PR – 部分缓解; SD – 疾病稳定; PD – 疾病进展

CS5001有效性数据 (2/2): 在较高剂量组的多种实体瘤中观察到PR和SD伴肿瘤负荷减小

可评估实体瘤患者中的最佳客观缓解率（BOR）

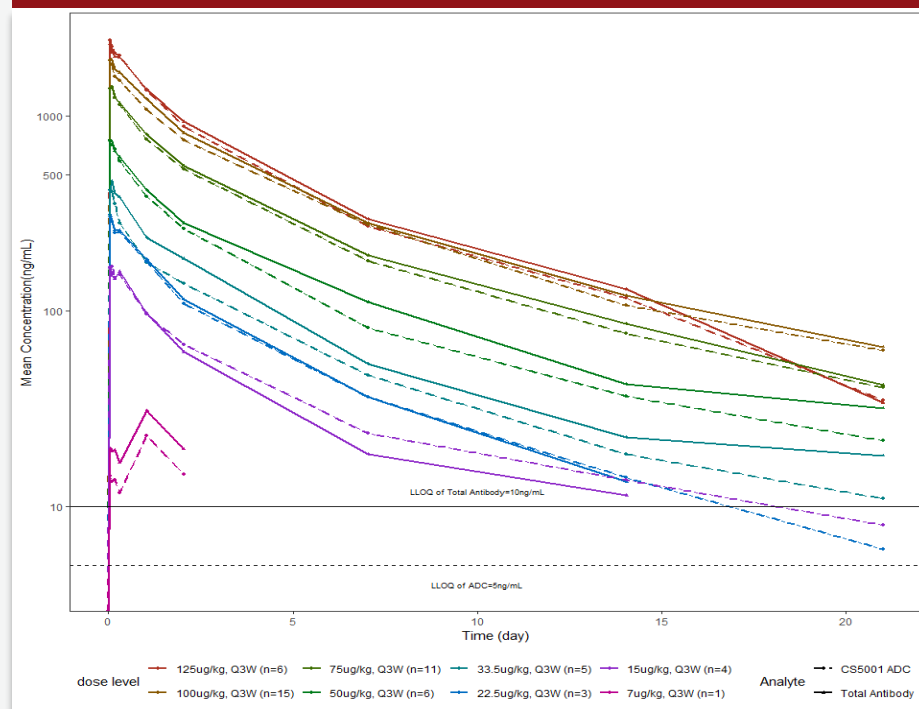
BOR	DL1-4 7-33.5 µg/kg (n=9)	DL5 50 µg/kg (n=4)	DL6 75 µg/kg (n=6)	DL7 100 µg/kg (n=10)	DL8 125 µg/kg (n=6)	DL9 156 µg/kg (n=3)	All DLs (n=38)
CR	0	0	0	0	0	0	0
PR	0	0	0	1 (10%)	1 (16.7%)	0	2 (5.3%)
SD	1 (11.1%)	1 (25%)	1 (16.7%)	2 (20%)	2 (33.3%)	2 (66.7%)	9 (23.7%)
PD	8 (88.9%)	3 (75%)	5 (83.3%)	7 (70%)	3 (50%)	1 (33.3%)	27 (71.1%)

- 在较高剂量组的多种实体瘤中观察到PR和SD伴肿瘤负荷减小
- 尤其是在非小细胞肺癌（1例PR和3例SD），三阴性乳腺癌（1例SD），胰腺癌（1例PR）以及卵巢癌（1例SD）
- 这些患者大部分仍持续在本研究中保持治疗和肿瘤评估

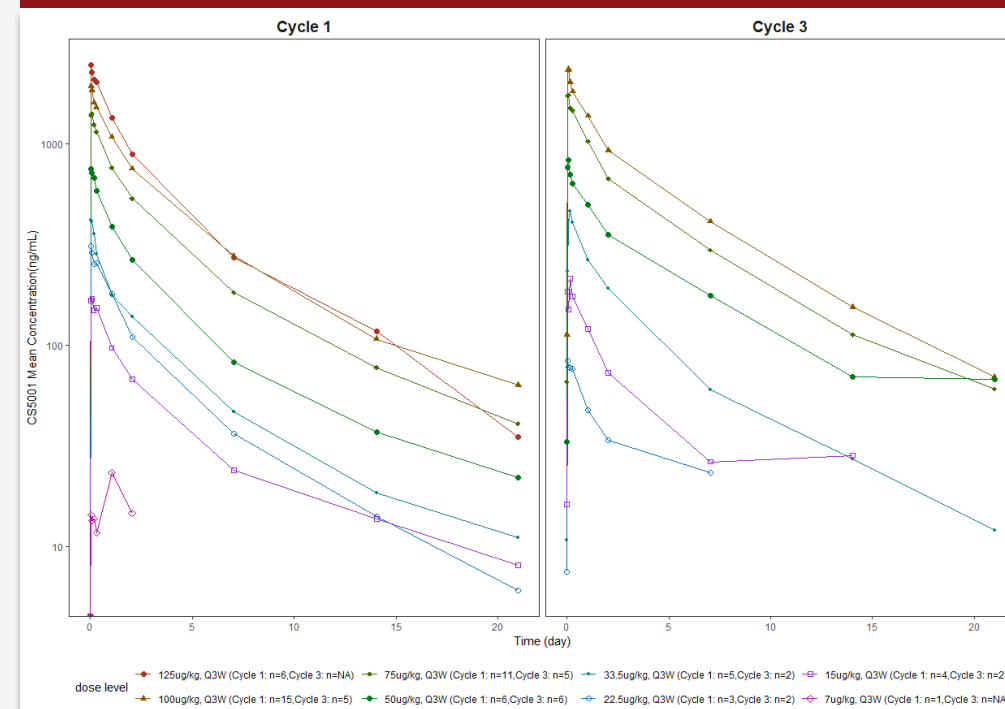
信息来源: 2024 ASCO壁报
缩写: DL – 剂量水平; CR – 完全缓解; PR – 部分缓解; SD – 疾病稳定; PD – 疾病进展

药代动力学数据表明CS5001暴露量与剂量成比例，且连接子具有出色的稳定性

CS5001和总抗体平均血清浓度 vs. 第一个用药周期时间变化
(半对数刻度)



CS5001 平均血清浓度 vs. 第一个和第三个用药周期时间变化
(半对数刻度)



- CS5001的暴露量总体上与剂量成正比，表观半衰期约5天
- CS5001与总抗体的药物动力学特征非常相似
- 尽管可用于评估第三个用药周期药代动力学的患者量较少，第三个用药周期并未观察到显著的蓄积
- 血浆中游离毒素的浓度低于定量下限（定量下限为10pg/mL）

信息来源: 2024 ASCO壁报

注: 在预定时间点采集血样进行PK分析。PK参数来源于CS5001的血清浓度-时间曲线的非房室分析

CS5001临床进展总结

1

CS5001 是一种新型 ROR1 导向的 PBD-ADC，首次人体研究中，多线经治的肿瘤患者在7-195 µg/kg的各个剂量水平下均表现出良好的耐受性

- 未观察到DLT，且MTD未达到
- 与其他相关ADC相比观察到较低的毒性

2

不论ROR1表达水平，在多个瘤种中均观察到令人鼓舞的抗肿瘤活性

- 霍奇金淋巴瘤：ORR 55.6%；DLBCL：ORR 50.0%；实体瘤：较高剂量水平时在多个实体瘤瘤种中观察到PR和SDs伴肿瘤负荷减小
- 抗肿瘤活性与ROR1表达水平之间的关系正在进一步评估中

3

CS5001与总抗体的药代动力学特征非常相似，表明ADC在血液循环中具有出色的稳定性

4

剂量递增和较高剂量水平的补充入组正在进行中，以初步决定II期推荐剂量，后续将在选定适应症中开展Ib期剂量扩展，以进一步优化剂量和寻求注册上市

- 更多最新数据将在后续投资人会议或学术会议（如ASH）上及时公布

5

预计2024年底将启动关键性注册临床研究

02

研发管线近况

1. 商业化阶段项目
2. 关键临床项目
3. 早期创新管线

研发管线2.0中的创新性早期管线： 多项自研管线产品持续驱动未来增长

多个项目取得快速进展，同时积极寻求合作机会

多个项目具备同类首创/同类最佳潜力且已处于/接近PCC阶段

CS2009

PD-1/CTLA-4/VEGFα
三特异性抗体

潜在同类首创，下一代肿瘤免疫骨架产品

✓ 靶向2种关键免疫抑制性通路及肿瘤微环境中的新血管生成

✓ 可在非小细胞肺癌和肝细胞癌等大瘤种中加强基于PD-(L)1治疗的效果

📄

2024 下半年递交IND

CS5005

SSTR2 ADC

潜在同类首创

✓ 在多种实体瘤中具备同类首创潜力

✓ 单克隆抗体具备较高的亲和性和选择性

✓ 专有连接子和毒素

📄

2025 年递交IND

CS5006

创新靶点ADC

潜在同类首创

✓ 通过机器学习多组学算法发现的在多瘤种中表达的新型肿瘤相关抗原

✓ 专有单克隆抗体与经临床验证的连接子和毒素进行偶联

📄

2025 年递交IND

CS2011

EGFR/HER3
双特异性抗体

潜在同类最佳

✓ 靶向2种经临床验证的实体瘤靶点

✓ 特别的结构设计可触发协同效应

📄

2025 年递交IND

CS5007

EGFR/HER3
双特异性ADC

潜在同类最佳

✓ 靶向2种经临床验证的实体瘤靶点

✓ 特别的结构设计可触发协同效应

✓ 专有连接子和毒素

📄

2025 年递交IND

📄 目前状态或进展

Abbr.: PCC = 临床前候选化合物; PoC = 概念验证; IND = 新药临床试验申请

CS2009 (PD-1/CTLA-4/VEGFa三特异性抗体)

具备同类首创潜力，预计于2024年第四季度递交IND

靶向大瘤种的三特异性抗体， 具备同类首创潜力

分子设计

- 结合3个经临床验证的靶点
- 倾向于重新激活接近耗竭状态的肿瘤浸润T细胞.
- 与原anti-VEGFa抗体可比的VEGFa中和能力

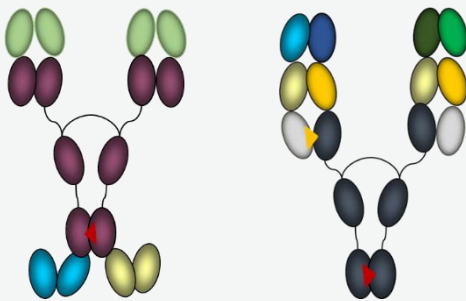
目标适应症

- 疾病覆盖广泛，包括非小细胞肺癌、卵巢癌、肾细胞癌、宫颈癌、肝细胞癌、胃癌等

竞争格局

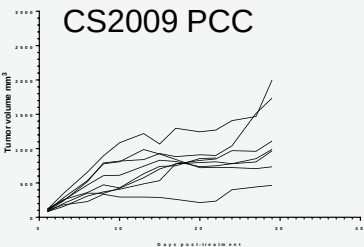
- 潜在同类首创

差异化分子设计

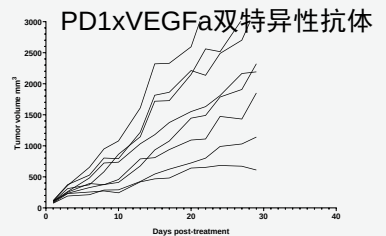
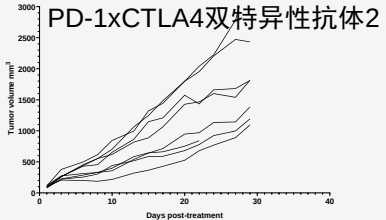
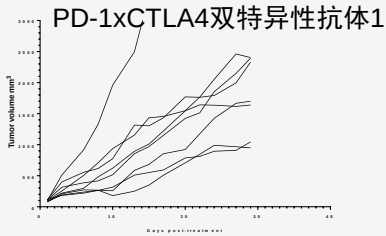


临床前数据

在免疫正常小鼠中, CS2009
展示出优于主要竞品的抗肿瘤
活性



X: 治疗后天数
Y: 肿瘤体积, mm³



初步临床开发计划

- 预计于2024 下半年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗非小细胞肺癌、肾细胞癌、宫颈癌、肝细胞癌、胃癌患者的II期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗非小细胞肺癌、卵巢癌、肾细胞癌、宫颈癌、肝细胞癌、胃癌患者

CS5005 (SSTR2 ADC)

具备同类首创潜力，预计于2025年递交IND

全新靶点ADC， 具备同类首创潜力

分子设计

- 基石药业专有抗SSTR2抗体，具备较高的亲和性和选择性
- 基石药业专有连接子和毒素

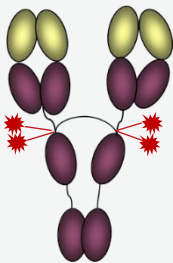
目标适应症

- SSTR2阳性肿瘤，包括小细胞肺癌、神经内分泌癌、神经内分泌瘤等

竞争格局

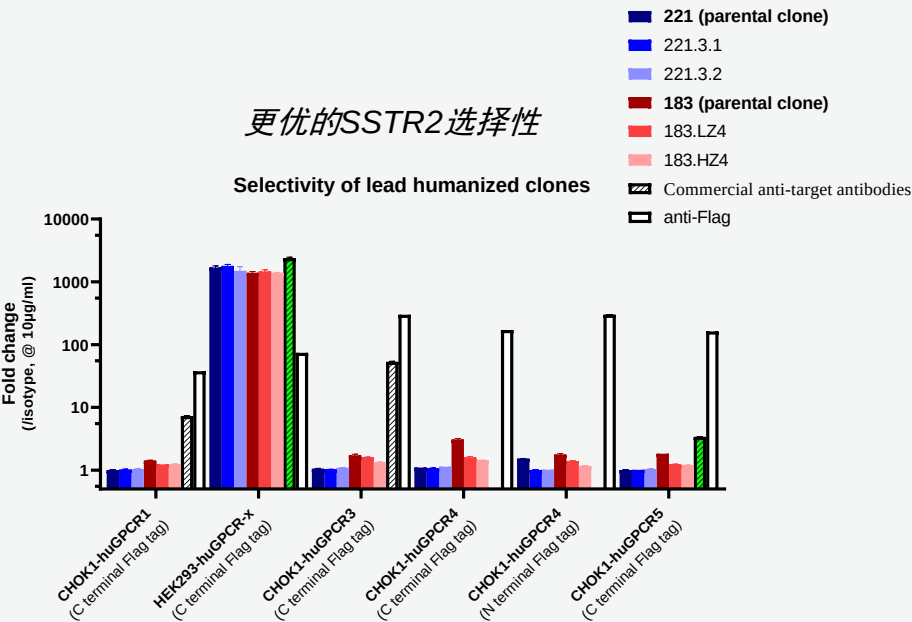
- 潜在同类首创

差异化分子设计



同类首创抗SSTR2
ADC (DAR4 或 8)

临床前数据



初步临床开发计划

- 预计于2025年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗小细胞肺癌、三线治疗三级神经内分泌瘤/癌患者的II期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗小细胞肺癌患者，二线治疗神经内分泌瘤患者

同步在探索其他类型靶向SSTR2的疗法，例如放射性核素偶联药物（RDC），SSTR2/CD3 双抗等等。

CS5006 (全新靶点ADC)

具备同类首创潜力，预计于2025年递交IND

全新靶点ADC， 具备同类首创潜力

分子设计

- 基石药业专有抗体，具备较高的亲和性和选择性
- 经临床验证的连接子和毒素

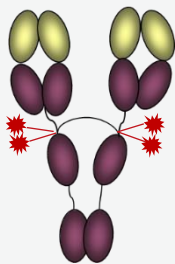
目标适应症

- 疾病覆盖广泛，包括非小细胞肺癌、头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等

竞争格局

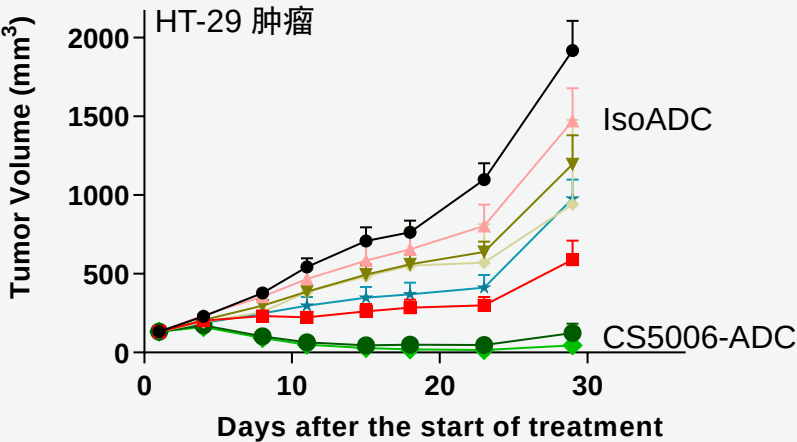
- 潜在同类首创

差异化分子设计



同类首创新靶点
ADC (DAR4 或 8)

临床前数据



初步临床开发计划

- 预计于2025年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等患者的I期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗非小细胞肺癌、头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等患者

CS2011 (EGFR/HER3双特异性抗体) & CS5007 (EGFR/HER3双特异性ADC)

具备同类最佳潜力，预计于2025年递交IND

具备同类最佳潜力

分子设计

- 完全阻断EGFR信号通路和功能性HER3臂
- 可触发协同效应
- 更好的可开发性和更长的半衰期
- 基石专有连接子和毒素

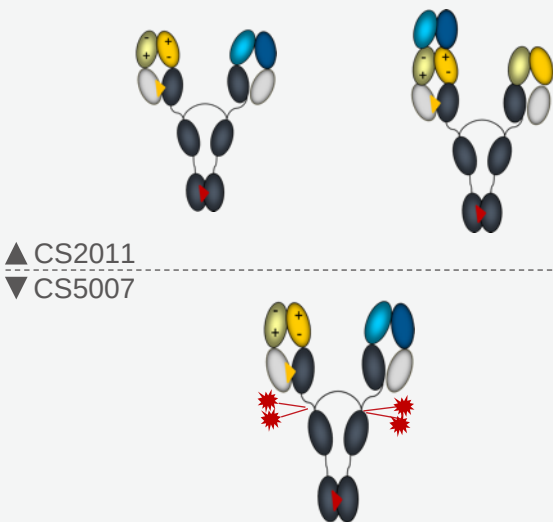
目标适应症

- 包括非小细胞肺癌，头颈鳞状细胞癌，结直肠癌在内的实体瘤

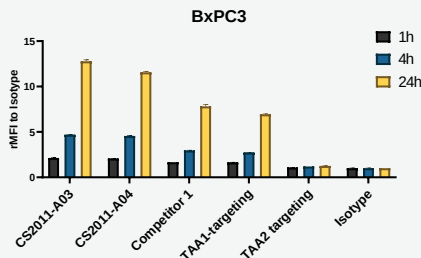
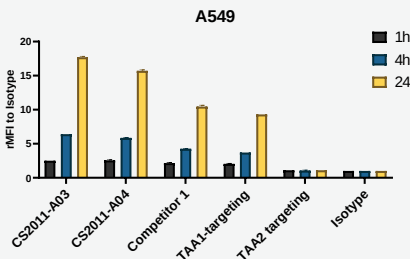
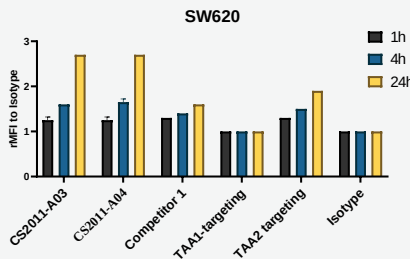
竞争格局

- 目前仅有一个潜在竞争对手正在III期临床阶段

差异化分子设计



临床前数据



A03和04能够比靶向相关靶点的竞争产品和其他抗体触发更高的内化率A (SW620 TAA1-TAA2+, A549 TAA1+TAA2-以及 BxPC3 TAA1+TAA2+)

初步临床开发计划

1. CS2011和CS5007均预计于2025年递交IND
2. 快速上市临床试验：后线治疗非小细胞肺癌，头颈鳞状细胞癌等
3. 全球III期临床试验：一线治疗非小细胞肺癌，头颈鳞状细胞癌，结直肠癌等患者（与目前标准疗法头对头）

基石药业同时拥有成熟的商业化产品以及创新性研发管线，适应症覆盖广泛，具备快速增长的商业价值

~20万例

中国年发病数^[1]

200万例+

全球年发病数^[2]

500万例+

全球年发病数^[3]

精准治疗药物

- 普拉替尼（商业化）
同类首创RET抑制剂
- 阿伐替尼（商业化）
同类首创KIT/PDGFRα抑制剂
- 洛拉替尼（临床试验中）
ROS1/ALK，与辉瑞联合开发

肿瘤免疫

- 舒格利单抗（商业化）
PD-L1，首个获批用于III/IV期非小细胞肺癌“全人群”的PD-(L)1药物
- Nofazinlimab（临床试验中）
PD-1，PD-(L)1联合仑伐替尼一线治疗肝细胞癌的先行者
- CS1002（临床试验中）
CTLA4，与恒瑞医药联合开发，获得一线治疗晚期非鳞状非小细胞肺癌的IND批准

研发管线 2.0

- CS5001（临床试验中）
ROR1抗体偶联药物，在全球处于领先地位
- CS2009（临床试验申请阶段）
PD-1 x CTLA4 x VEGFα三特异性抗体
- CS5005（临床前）
SSTR2 抗体偶联药物
- CS5006（临床前）
全新靶点抗体偶联药物
- CS2011（临床前）
EGFR x HER3双特异性抗体
- CS5007（临床前）
EGFR x HER3双特异性抗体偶联药物
- ... 以及其他早期探索项目

03

财务亮点

2024 H1 财务业绩

公司历史上首次实现盈利，现金储备稳健

(百万元人民币)	2024 H1	2023 H1	变动
公司收入	254.2	261.5	-3%
药品销售收入	118.3	246.9	-52%
授权费收入	122.6	-	NA
特许权使用费收入	13.3	14.6	-9%
运营费用 (非IFRS ^[1] 计量方法)	(180.6)	(381.2)	-53%
研发费用 (非IFRS ^[1] 计量方法)	(71.0)	(198.1)	-64%
行政及销售费用 (非IFRS ^[1] 计量方法)	(109.6)	(183.1)	-40%
其他收入/其他收益及亏损	27.7	50.6	-45%
其他收入	14.8	25.8	-43%
其他收益及亏损	12.9	24.8	-48%
本期盈利(亏损) (非IFRS ^[1] 计量方法)	10.8	(183.0)	NA

- 公司总收入为人民币2.54亿元
- 来自授权费收入的强劲贡献，主要来自于舒格利单抗胃癌获批里程碑以及海外合作收入
 - 药品销售收入由于商业模式转变交接和艾伏尼布售出导致下降

- 首次实现盈利人民币10.8百万元
- 受益于严格的成本控制措施和商业模式调整，各项运营费用均有明显下降，同时优先聚焦于高价值项目

(百万元人民币)	2024年06月30日	2023年12月31日	变动
现金余额 ^[2]	813.9	1,026.7	(212.8)

- 现金余额8.14亿元
- 相比于去年同期营运现金支出减少人民币1.54亿元 (2024 H1：人民币1.87亿元，2023 H1：人民币3.41亿元)

[1] 国际财务报告准则，非IFRS 计量方法剔除某些非现金项目和一次性事件影响后的（即股份支付费用）当期盈利(损失)；[2] 现金余额包括现金及现金等价物，以及原始存期超过三个月的定期存款。

04

业绩展望

近期催化剂事件

产品	催化剂事件	事件
关键临床项目	★ 在2024年ASCO(已达成)、ASH学术会议上公布I期临床数据	2024上半年及2024下半年
	★ 启动具备注册性临床潜力的Ib期临床研究	2024下半年
	★ 全球合作伙伴探索	2024/2025
研发管线2.0	CS2009 (PD1/CTLA4/VEGFα三特异性抗体)	IND递交 2024下半年
	CS5005 (SSTR2 ADC)	IND递交 2025
	CS5006 (全新靶点, ADC)	IND递交 2025
	CS2011 (EGFR/HER3双特异性抗体)	IND递交 2025
	CS5007 (EGFR/HER3双特异性ADC)	IND递交 2025
商业化阶段/晚期临床项目	★ 一线IV期非小细胞肺癌在欧洲上市许可申请或欧盟委员会批准 (已达成) 及海外合作伙伴探索 (已达成与Ewopharma战略合作, 更多合作正在探索中)	2024上半年
	★ 舒格利单抗 (PD-L1)	一线IV期非小细胞肺癌在英国上市许可申请的审评决定及海外合作伙伴探索 2024下半年
		一线胃/胃食管结合部腺癌上市申请在中国大陆获批 (已达成) 2024第一季度
	普拉替尼 (RET)	地产化上市注册申请获批 2025上半年
	阿伐替尼 (KIT/PDGFRα)	地产化上市注册申请获批 (已达成) 2024下半年
	Nofazinlimab (PD-1)	预设OS最终分析数据读出及海外合作伙伴探索 2025上半年

★ 主要价值驱动因素

缩写: IND = 新药临床试验申请; NDA = 新药上市申请; ENKTL = 结外自然杀伤T细胞淋巴瘤; NSCLC = 非小细胞肺癌; MAA = 上市许可申请; GC/GEJ = 胃/胃食管结合部腺癌; ESCC = 食管鳞状细胞癌; HCC = 肝细胞癌



感谢聆听

C1



基石药业
JISHI PHARMACEUTICALS

附录

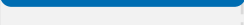
均衡的管线资产包括16项创新产品
- 商业化阶段 / 晚期临床项目

候选药物	商业权利	适应症	概念验证	关键性试验	新药上市申请	已上市	各地获批状态					合作伙伴
							CN	TW	HK	US	EU	
普拉替尼 (RET)		二线NSCLC					✓	✓	✓	✓		
		一线NSCLC					✓	✓	✓	✓		
		一线MTC / TC					✓	✓ (TC)		✓ (TC)		
		多种肿瘤										
阿伐替尼 (KIT/PDGFRα)		PDGFRα外显子18突变GIST					✓	✓	✓	✓		
		SM ¹								✓		
舒格利单抗 (PD-L1)		一线IV期NSCLC					✓					 中国大陆
		一线IV期NSCLC				英国上市许可申请正在审评中					✓	
		III期NSCLC					✓					
		一线GC/GEJ					✓					
		一线ESCC					✓					
		R/R ENKTL					✓					
		R/R ENKTL										
洛拉替尼 (ROS1) --- 辉瑞产品		ROS1阳性晚期NSCLC										²
CS1003 (PD-1)		一线HCC										 中国大陆
CS1002 (CTLA-4)		实体瘤										 大中华区

注：所示产品的进展为“商业权利”一栏标注地区的进展；CN = 中国大陆，TW = 中国台湾，HK = 中国香港，US = 美国，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，SM = 系统性肥大细胞增多症，GC/GEJ = 胃癌/胃食管结合部腺癌，ESCC = 食管鳞癌，R/R = 复发或难治，NKTL = 自然杀伤/T细胞淋巴瘤，AML = 急性髓系白血病，HCC = 肝细胞癌
1. POC在美国进行，在中国尚未开展临床试验；2. 在大中华区共同开发

均衡的管线资产包括16项创新产品

– 研发管线2.0

候选药物	商业权利	适应症	药物发现	临床前开发	新药临床试验申请	首次人体试验	概念验证	合作伙伴
CS5001 ¹ (ROR1 ADC)		实体瘤 血液瘤						
CS2009 (PD-1 x CTLA4 x VEGFa三特异性抗体)		实体瘤						
CS5006 (未披露靶点, ADC)		实体瘤						
CS2011 (EGFRxHER3双特异性抗体)		实体瘤						
CS5005 (SSTR2 ADC)		实体瘤						
CS5007 (EGFRxHER3双特异性ADC)		实体瘤						
CS2012 (SSTR2 TCE双特异性抗体)		实体瘤						
CS2013 (未披露靶点, 双特异性抗体)		自身免疫性疾病						
EX012 (未披露靶点, 双特异性抗体)		实体瘤						
EX018 (未披露靶点, 双特异性抗体)		自身免疫性疾病						

Note: 所示产品的进展为“商业权利”一栏标注地区的进展
1. 基石获得独家主导LCB71/CS5001在韩国境外开发和商业化的全球权利

经验丰富的管理团队



杨建新
M.D., Ph.D.

首席执行官兼研发总裁



Michael Choi
MBA

首席商务官兼首席战略官



史青梅
M.D., Ph.D.

首席医学官



喇玉娟
Ph.D.

产品开发负责人



廖敏
EMBA

商业部负责人



倪维聪
MBA, CFA

首席财务官



张英华

运营负责人





文件结束