

## 概 要

本概要旨在為閣下提供本文件所載資料的概覽。本節內容僅為概要，並未包括可能對閣下而言屬重要的所有資料。閣下決定投資[編纂]前，務請閱畢整份文件。尤其是，我們是一家生物製藥公司，在不能符合上市規則第 8.05 條 (1)、(2) 或 (3)規定的基準下，尋求根據上市規則第十八A章在聯交所主板[編纂]。向類似我們這樣的公司投資存在獨特的挑戰、風險及不確定性。此外，自成立以來，我們已蒙受重大經營虧損，而我們預計短期內將繼續虧損。於往績記錄期內的若干期間，我們經營活動的淨現金流量為負數。我們並無於往績記錄期宣派或派付任何股息，亦無意於近期內派付任何股息。閣下的投資決定應鑒於該等考慮因素。

任何投資均存在風險。投資[編纂]的若干具體風險載於本文件「風險因素」一節。閣下決定投資[編纂]前，務請細閱該節。

## 業務概覽

我們為一間處於臨床階段的生物製藥公司，專注於開發及商業化創新腫瘤藥物，以滿足癌症治療的殷切醫療需求。我們的願景是透過為全球癌症患者帶來創新差異化腫瘤療法，成為全球知名的領先中國生物製藥公司。我們成立於二零一五年，已建立強大的腫瘤科管線，具有單一及聯合療法的重大潛力及協同效益。在經驗豐富的行業高管領導下，我們已建立強大的業務模式，專為高效開發優質創新藥物而設計。與此同時，由內部研究及外部合作關係組成的雙重創新來源將為本公司提供持續的管線產品。

我們已建立以腫瘤學為重點的產品管線，其策略重點為腫瘤免疫治療聯合療法。憑藉14項資產，包括我們三種處於臨床階段的腫瘤免疫治療骨幹候選藥物 (PD-L1、PD-1及CTLA-4抗體)。我們相信我們產品管線無論是規模或組合均足以實現成功的聯合療法策略，在所有中國生物製藥公司中發展成為最大的腫瘤科聯合療法組合之一。我們的核心候選產品是反映自然人源抗體的全人源、全長抗 - PD-L1單克隆抗體，具有降低患者免疫原性及毒性的獨特潛能。我們的PD-L1抗體對人源及鼠源PD-1具有交叉反應，讓我們快捷地評估臨床前動物研究的聯合療法，並對臨床試驗的安全及效用

## 概 要

狀況作出更好預測。為配合免疫治療骨幹候選藥物，我們自AgiOS及Blueprint取得獨家許可可在大中華地區開發及商業化四種分子靶向化合物。所有四種化合物(ivosidenib (CS3010)、avapritinib (CS3007)、CS3008 (FGFR4抑制劑)及CS3009 (RET抑制劑))均有潛力成為美國概念同類首款藥物，我們現正在中國尋求加快批准。美國FDA於二零一八年七月批准Ivosidenib用於治療IDH1m復發或難治性AML，屬全球潛在首款藥物。Avapritinib亦為全球同類首款候選藥物，而CS3008及CS3009亦各自具備潛力成為全球同類首款藥物。

我們設計的業務模式為能夠加速開發創新藥物。我們通過具適應力的臨床設計及優良的臨床實踐能力來進行臨床開發，臨床開發一直是於中國開發創新藥物的瓶頸。我們嚴格控制並監察臨床試驗的主要職能，且與全球著名的第三方CRO組成合作夥伴進行試驗。例如，我們定期對CRO進行關鍵績效評估及質量測試，以確保試驗對象的安全、健康、試驗數據完整性及監管合規性。我們亦指派內部員工監督我們CRO的重要里程碑可交付成果，如患者資格審查、PD列表審查、醫療數據審查及SAE審查。我們亦利用內部轉化醫學研究以發現及驗證預測性生物標誌物，指引患者選擇，監測臨床試驗的治療反應，及分析臨床結果以指引臨床前發現耐藥機制。自本公司成立以來，我們已就九種候選藥物提交了十七份IND/CTA申請並就八種候選藥物取得十三項IND/CTA批准，包括兩項就CS1001 (PD-L1抗體)及CS1003 (PD-1抗體)從美國FDA獲得的批准及三項就CS1002 (CTLA-4抗體)、CS1003 (PD-1抗體)及CS3006 (MEK抑制劑)從TGA獲得的批准。

憑藉強大的內部研究實力，我們持續識別及開發新的候選藥物以推進至臨床階段。富有經驗的研究團隊僅用兩年多就將四項內部開發的候選藥物推進至臨床試驗階段。我們的轉化研究能力使我們能夠利用生物標誌物發現的專有算法，並進行大數據分析以識別新的治療靶點。憑藉自身的內部研究能力及與世界領先的CRO的合作，我們的研究團隊將繼續推動五項臨床前資產進入IND階段。

我們相信管理團隊豐富的本土經驗及國際視野連同我們強勁的臨床發展能力，令我們成為全球生物醫藥公司試圖進入中國市場的理想門戶合作夥伴。我們引進產品的成功往績包括引進了AgiOS及Blueprint的重要產品及候選藥物。我們將繼續探索與全球領先的生物醫藥公司合作的機會，以訂立許可及授權安排，補充我們的內部研發及現有產品管線。

我們已集結了世界級的管理團隊，由本土及海外具有高層管理經驗的跨國醫藥公司行業高管組成。管理團隊推動臨床開發方面獲得重大成就，並在臨床前研究、臨床開發以及商業化方面擁有豐富的經驗。憑藉良好的往績記錄及在腫瘤領域的專業知識，我們頗具科學造詣的管理層將引領我們未來取得更好的成績。

## 概 要

我們獲得知名投資者破紀錄的股本投資金額，A輪融資及B輪融資分別籌得約150百萬美元及約262百萬美元。詳情請參閱「歷史、發展及公司架構－[編纂]投資」。截至二零一六年及二零一七年十二月三十一日止年度及截至二零一七年及二零一八年九月三十日止九個月，我們的研發開支分別為人民幣247.1百萬元、人民幣213.4百萬元、人民幣165.8百萬元及人民幣699.3百萬元。截至最後實際可行日期，我們已根據《專利合作條約》(PCT) 於中國提交兩份及共同提交兩份「重大知識產權」專利申請。

### 我們的候選藥物

我們有14種專注於腫瘤的候選藥物，處於臨床前階段至臨床後期階段。下表概述截至最後實際可行日期我們的在研藥物及各候選藥物的開發狀況：

候選藥物	分子靶點/信號通路	主要適應症及治療 <sup>(1)</sup>	候選藥物類別	商業權利	合作夥伴	臨床前	申請 IND	劑量遞增 Ia期	劑量擴增 Ib期   II期 <sup>(2)</sup>	關鍵性 IIb期   III期	新藥申請
臨床 / IND	ivosidenib (CS3010, AG-120)	IDH1	R/R AML、IL AML、2L/3L 膽管癌	化學藥品1類 (AGILE的MRCT) 化學藥品5.1類 (R/R AML的IND)	大中華	agios	中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況	★美國FDA批准(Agios)	
	CS1001 (核心產品 <sup>(3)</sup> )	PD-L1	R/R cHL、R/R NKTL、NSCLC <sup>(4)</sup> 、實體瘤	生物藥品1類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
	avapritinib (CS3007, BLU-285)	KIT 及 PDGFRα	PRDGRα/2L/3L GIST、AdvSM、ISM	化學藥品1類	大中華	blueprint	中國發售情況	在美國持續進行關鍵性II期試驗(Blueprint)	在美國持續進行II期試驗(Blueprint)		
	CS3009 (BLU-667)	RET	1L/2L NSCLC、1L MTC	化學藥品1類	大中華	blueprint	中國發售情況	在中國持續進行II期試驗(Blueprint)	在美國持續進行II期試驗(Blueprint)		
	CS3008 (BLU-554)	FGFR4	1L/2L HCC	化學藥品1類	大中華	blueprint	中國發售情況	在中國持續進行II期試驗(Blueprint)	在美國持續進行II期試驗(Blueprint)		
	CS1002 <sup>(5)</sup>	CTLA-4	實體瘤	生物藥品2類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
	CS1003 <sup>(6)</sup>	PD-1	實體瘤	生物藥品1類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
	CS3006 <sup>(6)</sup>	MEK	實體瘤	化學藥品1類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
	CS3003	HDAC6	晚期實體瘤、R/R MM	化學藥品1類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
	CS3002	CDK4/6	實體瘤	化學藥品1類	全球		中國發售情況	中國發售情況	中國發售情況		
臨床前	CS3004 <sup>(6)</sup>				全球						
	CS1009 <sup>(6)</sup>				全球						
	CS3005 <sup>(6)</sup>		尚未披露		全球						
	CS2004 <sup>(6)</sup>				全球						

縮略語：AML=急性髓系白血病、AdvSM=晚期系統性肥大細胞增多症、cHL=經典型霍奇金淋巴瘤、GIST=胃腸道間質瘤、HCC=肝細胞癌、ISM=惰性系統性肥大細胞增多症、NKTL=自然殺傷/T細胞淋巴瘤、NSCLC=非小細胞肺癌、MTC=甲狀腺髓樣癌、R/R=復發或難治性、SM=系統性肥大細胞增多症、MM=多發性骨髓瘤。

- 根據弗若斯特沙利文的資料，NSCL及HCC被認為是常見適應症，二零一七年中國的發病率均超過100,000宗，而AML、膽管癌、cHL、NKTL、GIST、SM、MM及MTC被認為是罕見適應症，二零一七年中國的病發率各少於100,000宗。
- 部分適應症在開展關鍵性II期或III期臨床試驗前可能不需要進行非關鍵性II期臨床試驗，以虛線顯示。
- 指我們的核心候選產品CS1001。
- 指取得中國藥監局的IND批准後，我們可憑藉合夥人的外部臨床試驗數據，省略非關鍵性臨床試驗，並於中國開展候選產品的關鍵性試驗。
- 指我們目前正在澳洲進行候選產品的臨床試驗。
- 指我們由於商業敏感性而未有披露這種與腫瘤有關的候選藥物的更多詳情。
- 治療包括1L非小細胞肺癌IV期及非小細胞肺癌III期化放療後的鞏固治療。

## 概 要

### 臨床或IND階段候選藥物

- **Ivosidenib (CS3010, AG-120)** 為一種研究性同類首款、口服、選擇性、有效的突變異檸檬酸脫氫酶-1(IDH1)酶抑制劑，用於治療攜帶易感IDH1突變的癌症（包括AML、膽管癌及神經膠質瘤）。我們於二零一八年六月取得AgiOS獨家許可，在中國、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣開發及商業化ivosidenib。Ivosidenib於二零一八年七月獲美國FDA批准用於治療復發性或難治性急性骨髓性白血病(R/R AML)患者及由FDA批准伴隨診斷測試檢測偵測出的易感IDH1突變患者。其為全球市場上首款IDH1m抑制劑。在與AgiOS的合作中，我們計劃與中國藥監局進行磋商在中國進行R/RIDH1mAML的橋接試驗，以利用從AgiOS取得的美國FDA數據支持在中國提交新藥申請。AgiOS目前正評估ivosidenib用於IDH1m AML的一線治療：(i)研究ivosidenib聯合azacitidine的療效的全球III期試驗（AGILE試驗）及(ii)研究ivosidenib或enasidenib聯合7+3化療方案的療效的全球III期試驗（HOVON試驗）。待獲得中國藥監局的CTA批准後，我們計劃參加該兩項全球試驗，並領導中國部份的研究以及利用來自全球試驗的數據以支持在中國提交新藥申請。我們預計AGILE試驗的中國部份將於二零一九年上半年啟動，而HOVON試驗的中國部份將於二零一九年下半年啟動。AGILE試驗的CTA申請由AgiOS的代理PPD於二零一八年五月提交中國藥監局，並於二零一八年八月獲得批准。我們亦計劃設計一個ivosidenib於IDH1m膽管癌二線及三線治療作為單一療法的中國橋接研究，以支持提交新藥申請。我們亦計劃探索於膽管癌等適應症聯合使用ivosidenib及CS1001或CS1003。
- **CS1001 (PD-L1抗體)** 為全長、全人源IgG4抗程序性死亡配體(PD-L1)單克隆抗體，是我們的核心候選產品，具有潛在的差異化安全性及功效特徵。自進行中的I期試驗所得的初步安全性及有效性數據顯示，CS1001於多類癌症上一般有良好耐受性及有效性。我們現正針對兩項少見適應症cHL及NKTL策略性開發CS1001。cHL及NKTL目前均處於關鍵性II期試驗，分別佔二零一八年中國癌症發病總數的0.13%（5,800名患者）及0.23%（9,800名患者）。儘管許多競爭對手均以患者人數較多的癌症類型為目標，但我們認為，由於患者樣本量較小，中國藥監局往往對相對罕見的疾病進行優先審查，因此我們的方法可能會加快註冊及進運市場。倘該等試驗的數據理想，我們預期將於二零二零年上半年提交cHL的新藥申請及於二零二零年上半年提交NKTL的新藥申請。我們亦正在中國評估多個大型適應症，並已啟動CS1001單藥用於III期非小細胞肺癌患者的III期試驗及聯

## 概 要

合標準護理療法用於治療IV期非小細胞肺癌患者的III期試驗。我們亦計劃於二零一九年上半年在中國啟動聯合標準護理療法用於治療胃癌及HCC患者的III期試驗，二者均已獲得IND批准。根據弗若斯特沙利文報告，二零一七年該等大型適應症於中國的總發病數達1.2百萬宗。我們相信CS1001將成為中國首批針對該等大型適應症的獲批PD-L1抗體之一。截至最後實際可行日期，並無PD-L1抗體收到中國藥監局的上市許可。

為進一步把握CS1001的市場潛力，我們計劃(i)於二零一九年下半年在中國進行CS1001與CS3008 (FGFR4抑制劑) 聯合用於治療HCC患者的I期試驗；(ii)於二零一九年上半年在中國進行CS100與PARP抑制劑聯合用於治療實體瘤患者的Ib期試驗；(iii)於二零一九年下半年在中國及澳洲進行CS1001與CS3002 (CDK4/6抑制劑) 聯合用於治療實體瘤患者的I期試驗；及(iv)於二零一九年下半年在中國及澳洲進行CS1001與CS3003 (HDAC6抑制劑) 聯合用於治療實體瘤或多發性骨髓瘤患者的I期試驗，於各情況下須獲得中國藥監局及TGA的CTA批准。我們亦在考慮評估CS1001與ivosidenib聯合用於膽管癌等適應症、與CS3009 (RET抑制劑) 聯合用於非小細胞肺癌等適應症及與avapritinib (CS3007) 聯合用於GIST等適應症的情況。除中國外，我們已於二零一八年九月獲得美國FDA的IND批准，且首位患者於二零一八年十二月服藥。

我們已諮詢中國藥監局，而中國藥監局於審閱有關Ia期數據後確認，不反對發起CS1001作為cHL及自然殺傷/T細胞淋巴瘤(NTKL)單一療法的II期試驗及CS1001作為III期非小細胞肺癌療程單一療法的III期臨床試驗。

### 臨床前研究

自二零一六年二月起，在我們於二零一七年六月在中國及於二零一八年九月在美國獲得CS1001 (PD-L1抗體) 的IND批准前，我們的高級管理層領導一個擁有藥理學、毒理學及癌症生物學相關經驗的內部團隊，並與行業領先的CRO共同就CS1001(PD-L1抗體) 進行以下臨床前研究及監管工作：(1)小鼠腫瘤模型功效的設計及評估、(2)劑量選擇、(3)毒性試驗、(4) PK及PD研究、(5) CMC開發、(6) 準備及修改IND組合、(7)現場檢查、(8)登記樣本提交及(9) CTA前會議準備及參加。

---

## 概 要

---

我們已繼續CS1001 (PD-L1抗體) 的臨床研究以實現下列目標(1)更好地瞭解抗體的藥理性能，包括不同劑量選擇下的藥動學、藥效學及受體佔位、(2)評估CS1001與我們管線的其他候選藥物 (如CDK4/6、HDAC6及FGFR4抑制劑) 或外部合作夥伴的複方的聯用潛力、(3)確定晶體結構以更好地瞭解與PD-L1的相互作用模式、及(4)更好地瞭解作用機制，如CS1001對巨噬細胞的影響。

### 臨床研究

自二零一七年六月從中國藥監局取得IND批准後，我們的高級管理層帶領具備豐富臨床開發經驗的內部團隊，並與業內領先的CRO一同為正在進行及計劃進行的CS1001 (PD-L1抗體) 臨床試驗開展以下活動：(1)在制訂臨床開發計劃時，既考慮到科學原理 (如作用機制、臨床前數據、現有臨床數據及研究機會評估)，亦考慮市場價值評估 (如可醫治的患者人數評估、市場評估分析及競爭概況)，(2)試驗方案及研究人員方案設計、包括研究目標及終點、研究人數 (樣本規模及納入／排除標準)、研究持續時間、隨機方法、不良事件及嚴重不良事件、質量控制及質量保證，以及數據管理，(3)試驗準備，包括選址及造訪實驗室，(4)患者招募，包括根據研究設計進行患者評估以及取得受試者的知情同意，(5)患者給藥，如進行日常測量及不良事件監測，以及(6)結果測量，包括療效及安全終點數據評估。我們的內部臨床開發團隊已履行核心職能，如自主設計臨床開發戰略及方案，以及對臨床試驗管理的關鍵組成部分 (包括數據來源驗證) 實施控制及監督。透過密切監督及控制，我們與領先CRO合作開展日常臨床活動，確保高效及嚴密執行，從而靈活地拓展規模並實現高效經營。CS1001的臨床開發項目由兩名具備豐富臨床開發經驗與知識的項目負責人領導，彼等已制定臨床開發計劃、設計試驗方案、監督試驗執行，並編製NDA文件，所有該等活動均有其他經驗豐富的團隊成員支援。

## 概 要

下表載列我們目前在臨床試驗中評估的CS1001 (PD-L1抗體) 的適應症：

適應症	單一療法/ 聯合療法	狀況	地點	研究 樣本 數量	預期試驗 啟動日期	(預期) 試驗 完成日期	預期NDA 提交日期	主管當局	NCT號碼
實體瘤	聯合 (PARP 抑制劑) <sup>(1)</sup>	Ib	中國	*	二零一九年 上半年	*	*	藥審中心/ 中國藥監局	*
實體瘤及 淋巴瘤	單一	Ib	中國	300	二零一七年 十月	二零二零年	*	藥審中心/ 中國藥監局	NCT03312842
HCC	聯合 (CS3008)	I	中國	*	二零一九年 下半年	*	*	藥審中心/ 中國藥監局	*
實體瘤/多發 性骨腫瘤	聯合 (CS3003)	I	澳洲及 中國	*	二零一九年 下半年	*	*	TGA及 藥審中心/ 中國藥監局	*
實體瘤	聯合 (CS3002)	I	澳洲及 中國	*	二零一九年 下半年	*	*	TGA及 藥審中心/ 中國藥監局	*
實體瘤	單一	I	美國	16	二零一八年 十二月	二零一九年	*	美國FDA	NCT03744403
cHL	單一	II	中國	80	二零一八年 六月	二零一九年	二零二零年 上半年	藥審中心/ 中國藥監局	NCT03505996
NKTL	單一	II	中國	80	二零一八年 六月	二零一九年	二零二零年 上半年	藥審中心/ 中國藥監局	NCT03595657
胃癌	聯合 (標準護理)	III	中國	*	二零一九年 上半年	*	*	藥審中心/ 中國藥監局	*
HCC	聯合 (標準護理)	III	中國	*	二零一九年 上半年	*	*	藥審中心/ 中國藥監局	*
III期NSCLC	單一	III	中國	402	二零一八年 十月	二零二零年	*	藥審中心/ 中國藥監局	NCT03728556
IV期NSCLC	聯合 (標準護理)	III	中國	480	二零一八年 十二月	*	*	藥審中心/ 中國藥監局	NCT03789604

縮略語：cHL= 經典型霍奇金淋巴瘤，NKTL= 自然殺傷/T細胞淋巴瘤，NSCLC= 非小細胞肺癌，HCC= 肝細胞癌，PARP=聚腺苷二磷酸核糖聚合酶。

\* =於此階段不適用

附註：

(1) PARP抑制劑是由獨立第三方合作夥伴開發的產品，目前尚未商業化。

下表載列我們就CS1001 (PD-L1抗體) 的臨床工作流活動及持續試驗目標：

適應症	單一療法/ 聯合療法	狀況	活動	主要目標/終點	次要目標/終點	預期 時間
實體瘤及 淋巴瘤 <sup>(1)</sup>	單一	I	Ia期完成； Ib期持續進行 (患者招募、 療效及 安全性評估)	Ia期：確定CS1001的 安全性、耐受性及 MTD/TP2D； Ib期：評估CS1001的 初步抗腫瘤活性	描述CS1001的藥代動力學(PK)特徵、 評估其初步抗腫瘤活性及 評估其免疫原性。	約3年
實體瘤 <sup>(2)</sup>	單一	I		評估CS1001的 安全性及耐受性。 確定CS1001的 推薦II期劑量(RP2D)。	描述CS1001的PK特徵、評估其初步 抗腫瘤活性及評估其免疫原性。	約1年

## 概 要

適應症	單一療法/ 聯合療法	狀況	活動	主要目標/終點	次要目標/終點	預期 時間
cHL <sup>(3)</sup>	單一	II	患者招募、療效及安全性評估	由獨立放射審查委員會 (IRRC) 評估客觀緩解率(ORR)，即在最佳情況下達到完全緩解(CR)或部分緩解(PR)的受試者比例	由研究者評估ORR，由IRRC及研究者評估CR率及PR率，達到臨床有效時間(TTR)、緩解持續時間(DoR)、6個月無進展生存期(PFS)率；AE的發生頻率及嚴重程度、SAE的發生頻率、血清濃度測定的PK特徵、抗藥物抗體(ADA)的發生率	約1.5年
NKTL <sup>(4)</sup>	單一	II	患者招募、療效及安全性評估	由IRRC評估ORR	由研究者評估ORR，由IRRC及研究者評估CR率及PR率，TTR、DoR、6個月PFS率；AE的發生頻率及嚴重程度，SAE的發生頻率，血清濃度測定的PK特徵、ADA的發生率	約1.5年
III期 NSCLC <sup>(5)</sup>	單一	III	中心啟動、患者招募、療效及安全性評估	由研究者根據 RECIST v1.1 評估PFS	由盲態獨立中心評估(BICR)根據 RECIST 1.1評估總生存期(OS)、PFS；由研究者及BICR評估ORR；由研究者及BICR評估DoR；由研究者及BICR評估遠轉移時間(TTDM)；在腫瘤突變負擔(TMB) $\geq$ 10亞組的上述療效終點；安全性及耐受性；PK及ADA	約2年
IV期 NSCLC <sup>(6)</sup>	聯合 (標準護理)	III	中心啟動、患者招募、療效及安全性評估	由研究者在 PD-L1 $\geq$ 1%的患者及全部患者中根據 RECIST v1.1 評估PFS	由BICR根據RECIST v1.1評估OS、PFS；由研究者根據RECIST v1.1 評估ORR及DoR；安全性及耐受性；PK及ADA；研究者在疾病惡化後交叉患者中評估的ORR、DoR、PFS及OS	約1.8年

- (1) 多中心、單臂試驗
- (2) 多中心、單臂試驗
- (3) 多中心、單臂試驗
- (4) 多中心、單臂試驗
- (5) 多中心、雙盲、隨機、安慰劑控制試驗
- (6) 多中心、雙盲、隨機、安慰劑控制試驗



## 概 要

- **Avapritinib (CS3007, BLU-285)** 為一種口服、有效及高選擇性抑制劑，可靶向突變同源激酶KIT及PDGFR  $\alpha$ ，用於治療癌症，包括胃腸道間質瘤(GIST)及系統性肥大細胞增多症(SM)。我們於二零一八年六月取得Blueprint獨家許可，在中國、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣開發及商業化Avapritinib (CS3007)。作為同類首款、經概念驗證的抑制劑，avapritinib (CS3007)於二零一七年六月取得美國FDA的突破性療法認定，用於治療攜帶PDGFR  $\alpha$  D842V突變的不可切除或轉移性GIST患者。Avapritinib (CS3007)目前正由Blueprint在晚期GIST患者的I期臨床試驗的劑量擴增部分進行評估。根據現行數據，我們相信avapritinib (CS3007)對於若干GIST患者為有潛力的有效治療方式。我們已於二零一九年一月獲得中國藥監局關於avapritinib (CS3007)的IND批准，且我們計劃於二零一九年上半年進行針對晚期GIST患者的中國橋接試驗，就此我們或可利用Blueprint將提交予美國FDA的數據支持在中國提交新藥申請。我們預期進行Blueprint針對GIST的兩項avapritinib (CS3007)全球III期試驗的中國部份，而該等試驗將作為GIST三線及二線治療的全球關鍵性試驗。我們亦計劃採用PATHFINDER研究的境外數據就豁免治療晚期SM的avapritinib (CS3007)試驗的可能性與中國藥監局溝通，因為晚期SM的患者人數相對較少且其處於緊急醫療需求之下，這可能會增加試驗豁免的可能性。然而，該試驗豁免的預期時間取決於Blueprint的試驗時間，且概不保證該試驗豁免將會獲授出。此外，我們可能參加由Blueprint啟動針對惰性SM以avapritinib (CS3007)作為單一療法的全球關鍵性研究。
- **CS3009(BLU-667)**為一種口服、有效及高選擇性抑制劑，旨在靶向RET融合及突變，用於治療癌症，包括非小細胞肺癌(NSCLC)及甲狀腺髓樣癌(MTC)。我們於二零一八年六月取得Blueprint獨家許可，在中國、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣開發及商業化CS3009 (RET抑制劑)。CS3009目前正由Blueprint在RET融合的非小細胞肺癌、MTC及其他晚期固體瘤患者的I期臨床試驗的劑量擴增部分進行評估。臨床試驗數據顯示，CS3009的耐受性通常良好，並已在RET融合的非小細胞肺癌及MTC中展示出高反應率及持久的臨床益處。我們計劃參加對RET融合NSCLC，MTC患者的CS3009全球I期研究的劑量擴增部分，以得到PK、安全性及有效性數據用於在中國提交新藥申請。我們已於二零一八年十二月向中國藥監局提交CTA申請。我們正考慮參加CS3009於不同治療線中分別針對RET融合NSCLC，MTC的兩項全球研究，以得到數據用於在中國提交新藥申請。我們亦或探索針對NSCLC等適應症將CS3009與CS1001或CS1003聯合進行治療的可能性。

## 概 要

- **CS3008 (BLU-554)**為一種口服、有效、高選擇性及不可逆的激酶成纖維細胞生長因子受體4 (FGFR4)抑制劑，用於治療肝細胞性肝癌(HCC)。我們於二零一八年六月取得Blueprint獨家許可，在中國、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣開發及商業化CS3008 (FGFR4抑制劑)。CS3008目前正由Blueprint評估在全球I期臨床試驗的劑量擴增部分用於未接受TKI治療的HCC患者的情況。我們已評估試驗初步數據，並相信CS3008為治療若干HCC患者的潛在有效藥物。我們於二零一八年十二月自中國藥監局取得CS3008的CTA批准，並將加入全球I期試驗的劑量擴增部分。倘該I期臨床試驗的數據理想，我們亦考慮加入一項已規劃的針對相同適應症的關鍵性全球試驗。此外，我們計劃於二零一九年下半年在中國進行CS3008與CS1001 (PD-L1抗體)聯合使用治療HCC患者的I期試驗。倘該試驗的數據理想，我們計劃於二零二一年進行治療HCC患者的III期臨床試驗。
- **CS1002 (CTLA-4抗體)**是一種全人源單克隆抗CTLA-4抗體，臨床試驗中用於多種適應症。CS1002具有與伊匹單抗(商品名Yervoy®)相同的氨基酸序列。伊匹單抗並未獲批於中國進行營銷，我們計劃根據中國藥監局規定以新藥途徑(2類生物藥)開發CS1002。根據表明CS1002對CTLA-4具有高親和力的臨床前實驗，預計CS1002可在臨床反應及安全特徵兩個方面匹敵Yervoy®。CTLA-4抗體已顯示潛力作為全球批准適應症(如腎細胞癌)聯合療法的一部分。我們已在澳洲進行CS1002 I期試驗的劑量擴增部分，作為晚期實體瘤患者的單一藥劑，並計劃於二零一九年下半年在澳洲進行CS1002與CS1003 (PD-1抗體)聯合使用治療實體瘤患者的I期臨床試驗的劑量擴增部分。我們已於二零一八年八月取得中國藥監局關於CS1002的IND批准，並計劃於二零一九年在中國進行CS1002用於實體瘤患者的I期試驗。
- **CS1003 (PD-1抗體)**為人源化IgG4抗程序性死亡受體1(PD-L1)單克隆抗體。其對人源及鼠源PD-1具有交叉反應，讓我們快捷地評估臨床前動物研究的聯合療法，並對臨床試驗的安全及效用狀況作出更好預測。我們正在開發CS1003作為罕見及敏感腫瘤類型(如PMBCL及MSI-H)的單一療法以快速進軍市場，並計劃評估CS1003與檢查點抑制劑CS1002、標靶治療CS3006及其他內服／外用藥物等多種療法聯合用於意向適應症。我們已在澳洲進行CS1003 I期試驗的劑量遞增部分，作為晚期實體瘤患者的單一療法，並於二零一八年十月獲得美國FDA的IND批准，將此項試驗擴展至美國。我們已於二零一八年六月獲得中國藥監局有關CS1003的IND批准，並已開始在中國進行晚期腫瘤患者I期試驗的橋接。我們亦計劃(i)於二零一九年下半年在澳洲進行CS1003與CS1002聯合使用治療實體瘤患者的I期試驗，及(ii)於二零一九年下半年在中國及澳洲進行CS1003與CS3006聯合使用治療實體瘤患者的I期試驗。

## 概 要

- **CS3006 (MEK抑制劑)** 為一種口服的小分子絲裂原激活的細胞外信號調節激酶1及2 (MEK1及MEK2) 抑制劑，MEK1及MEK2為絲裂原激活蛋白激酶(MAPK)通路中激酶級聯的重要組成部分，MAPK經常在惡性腫瘤患者發生突變。我們已在澳洲進行CS3006 I期試驗的劑量遞增部分，作為晚期實體瘤患者的單一療法。我們已於二零一八年七月獲得中國藥監局有關CS3006的IND批准，並於中國啟動CS3006的I期臨床試驗，作為晚期實體瘤患者的單一藥劑，並於二零一八年十月登記首名患者。倘該等I期試驗的數據呈陽性，我們計劃於二零一九年下半年在中國及澳洲就治療實體瘤患者啟動CS3006連同CS1003 (PD-1抗體) I期試驗。
- **CS3003 (HDAC4/6抑制劑)** 為一種選擇性靶向組蛋白去乙酰化酶6(HDAC6)的小分子抑制劑。HDAC6的選擇性抑制可以在多發性骨髓瘤中產生更好的療效，並且具有改善的安全性。CS3003亦具有與PD-(L)1抗體結合的潛力，以擴展免疫檢查點抑制劑的臨床活性。我們計劃於二零一九年下半年在中國及澳洲啟動CS3003單藥及與CS1001 (PD-L1抗體) 聯合用藥的實體瘤或多發性骨髓瘤患者的I期試驗。我們已分別於二零一八年十二月於中國及澳洲提交IND申請。

### 選定的臨床前候選藥物

- **CS3002 (CDK4/6抑制劑)** 為一種靶向細胞週期蛋白依賴性激酶4和6(CDK4/6)的小分子抑制劑。CDK4/6抑制劑阻止G1-S相轉變並誘導腫瘤細胞的細胞週期停滯，而CDK4/6的小分子抑制劑已成為若干實體瘤的標準治療。我們計劃於二零一九年下半年在澳洲及中國啟動CS3002單藥及與CS1001 (PD-L1抗體) 聯合用藥的實體瘤患者試驗。

### 我們的競爭優勢

我們相信，以下優勢促成我們的成功：

- 豐富且精心設計的以腫瘤藥物為主的產品組合，在策略上專注腫瘤免疫聯合療法
- 經概念驗證的分子靶向製劑
- 早期管線專注於單一療法或腫瘤免疫治療骨幹聯合療法

---

## 概 要

---

- 具有驕人往績記錄的無與倫比的臨床開發工具
- 內部開發與外部合作為創新的雙重來源
- 世界一流的傑出管理團隊，在藥物發現、開發及商業化方面擁有豐富的經驗

### 我們的策略

我們的願景是成為全球知名的領先中國生物製藥公司。為實現此願景，我們計劃進行以下策略：

- 快速推進後期藥物資產商業化
- 拖進其他臨床或IND階段候選藥物度過開發階段
- 繼續依託我們的產品管線規模及組合在中國和全球加強聯合治療策略
- 鞏固研發實力，打造世界一流的創新型腫瘤產品管線
- 為小分子及生物製劑尋求混合生產策略
- 在中國建立商業化能力以籌備產品上市

### 研發

我們專注於就治療癌症研發創新免疫腫瘤及分子靶向藥物。我們的藥物發現及臨床前研究團隊就新候選藥物進行藥物發現、配方研製、工藝開發及臨床前研究。自我們成立以來，我們已就九種候選藥物遞交十七項IND/CTA申請，並就八種候選藥物取得十三項IND/CTA批准，包括兩項來自美國FDA，CS1001（PD-L1抗體）及CS1003（PD-1抗體）及三項就CS1002（CTLA-4抗體）、CS1003（PD-1抗體）及CS3006（MEK抑制劑）從TGA獲得的批准。我們的研究團隊將繼續推動管線中的五種臨床前候選藥物至IND。

## 概 要

我們認為，臨床開發實力是我們行業成功的關鍵。我們已建立內部臨床開發實力，我們相信這提供一項相比中國同類公司的競爭優勢。截至最後實際可行日期，我們在中國有80名臨床開發人員，大多數成員擁有跨國公司臨床開發經驗。我們目前的臨床開發活動主要與九種臨床及IND階段候選藥物的臨床進步有關。於最近兩年，我們已啟動十一項臨床試驗，包括就我們的核心候選產品CS1001 (PD-L1抗體) 進行的四項關鍵臨床試驗。於二零一九年底前，我們預計在中國及全球有約28項正在進行及／或已完成的試驗，包括用化學療法、靶向治療及腫瘤免疫治療藥物約12項聯合治療試驗。

### 合作、許可及CRO協議

#### 藥明生物協議

我們與藥明生物訂立兩份主要協議：(i)藥明生物合約(定義見下文)，該合約為一份CRO及許可協議；及(ii)藥明生物的中國以外地區協議(定義見下文)，該協議為中國以外地區(定義見下文)的CS1001 (PD-L1抗體) 許可協議。由於商業原因以及我們最初在中國大陸的策略重心，我們與藥明生物就CS1001 (PD-L1抗體) 訂立單獨協議。對於CS1001 (PD-L1抗體)，藥明生物合約規管CS1001 (PD-L1抗體) 在中國大陸、香港特區、澳門特區以及台灣的權利，藥明生物的中國以外地區協議則規管其在中國以外地區的權利。

#### 藥明生物合約

我們於二零一六年二月與藥明生物訂立一份CRO及許可合約，其內容有關13種生物候選藥物的藥物發現及臨床前開發服務(「藥明生物合約」)。根據藥明生物合約，藥明生物將在我們根據該合約履行付款責任之後向我們轉讓13種候選藥物的全球權利，惟PD-L1及CTLA-4抗體及凝血因子VIII(一種生物類似候選藥物)除外。我們於二零一八年十一月終止凝血因子VIII的開發。我們仍在根據藥明生物合約尋求PD-L1 (CS1001)、CTLA-4 (CS1002)及PD-1 (CS1003)抑制劑以及一種臨床前候選藥物。以下為與我們仍然根據藥明生物合約尋求的候選藥物有關的專利權的狀況概要：

- PD-L1抗體(CS1001)：
  - 藥明生物於二零一七年三月把日後將在中國大陸、香港特區、澳門特區及台灣頒發的相關專利的權利轉讓予我們；及
  - 我們根據藥明生物的中國以外地區協議取得獨家許可，以在中國大陸、香港特區、澳門特區及台灣境外(「中國以外地區」)開發、製造及商業化CS1001。

## 概 要

- CTLA-4抗體(CS1002)：
  - 目前並無有關CTLA-4抗體（與獲美國FDA批准的CTLA-4抗體的伊匹單抗（Yervoy®）具有相同的氨基酸序列）的已發出專利或待批專利申請。
- PD-1抗體(CS1003)：
  - 藥明生物於二零一七年八月把日後將在中國大陸、香港特區、澳門特區及台灣頒發的相關專利的權利轉讓予我們；及
  - 中國以外地區的全球權利尚未達到可供轉讓的開發階段。
- 臨床前階段候選藥物：
  - 一旦開發達到轉讓階段，藥明生物將把中國大陸、香港特區、澳門特區及台灣以及中國以外地區的專利或專利申請轉讓予我們。

我們須於簽署藥明生物合約時支付不可退還進度費用10.65百萬美元，並在13種生物製品中的任何一種已經商業化後支付至少10年的個位數字特許權費。我們有權享用藥明生物合約產生的技術知識。

### 藥明生物的中國以外地區協議

於二零一八年二月二十七日，我們與藥明生物就CS1001（PD-L1抗體）（「該等化合物」）訂立一項獨家許可協議（「藥明生物的中國以外地區協議」），據此，我們取得於中國以外地區商業化、開發及製造該等化合物及含有該等化合物的任何產品（「該等產品」）作為單一療法或與其他療法合併的獨家、可分許可、不可轉讓的許可。

根據藥明生物的中國以外地區協議的條款，我們同意按照申索CS1001的PCT申請的第三方聯合申請人（「聯合申請人」）與藥明生物訂立的若干合作協議所載，按相同比例分佔藥明生物對聯合申請人的若干特許權使用費及里程碑付款責任的負債。我們亦需要與藥明生物分佔我們在中國以外地區的利潤，計算方法是以我們就該等化合物及該等產品在中國以外地區賺取的銷售收益及任何其他直接經濟利益中扣除成本（包括來自任何第三方子許可公司的任何預付、里程碑及特許權使用費）。成本包括聯合申請人的特許權使用費及里程碑付款、臨床開發成本、監管備案成本以及中國以外地區的銷售及營銷成本以及我們與藥明生物之間協定的任何其他成本。我們需要與藥明生

## 概 要

物分佔我們在中國以外地區的利潤，這隨著藥物開發階段推進而減少。在臨床前研究階段分佔最高利潤百分比，此後，隨著藥物開發進入I/II期試驗階段、關鍵試驗階段、監管備案階段以及後續營銷及銷售階段，分佔利潤百分比減少。於藥物開發階段，我們可透過將CS1001分許可予第三方來產生利潤。將於產品營銷及銷售後分佔利潤的40%。該等利潤分佔將在相關專利到期時終止。其僅適用於在中國以外地區產生的利潤，故並不包括我們在中國大陸、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣產生的利潤。根據藥明生物的中國以外地區協議，我們毋需支付任何預付費或特許權使用費。

除非提早終止，否則藥明生物的中國以外地區協議將於以下較後者終止：(i)根據涉及中國以外地區的該等化合物或該等產品的PCT申請，沒有提交及／或取得專利的有效申索日期；或(ii)倘按上述基準作出的專利申請待決，則為專利申請接獲相關政府機關正式最終拒絕的日期。

### Agios協議

於二零一八年六月二十五日，我們與Agios訂立一份獨家許可協議（「**Agios協議**」），內容有關在中國內地、香港特別行政區、澳門特別行政區及台灣（統稱「**該地區**」）商業化含Agios專利ivosidenib（以Agios臨床開發的形式）的產品（「**許可產品**」）（不論作為單一療法或與其他療法聯用）。Agios授予我們在該地區(i)商業化許可產品的獨家許可，(ii)與Agios或Agios再許可的任何第三方開發許可產品的聯合獨家許可（純粹為商業化ivosidenib），及(iii)以Agios的技術生產ivosidenib的非獨家許可。根據Agios協議的條款，Agios已向我們收取前期付款12百萬美元，並將可收取最多為407百萬美元的開發、監管及商業里程碑付款。各方可在協議年內協定增加適應症，對於新增適應症，應就在中國取得的每項監管批准支付里程碑付款5百萬美元。約50%的開發里程碑付款與AML及CCA許可產品的開發及商業化有關。其餘費用僅應在Agios於較後日期酌情要求進行腦癌適應症（包括神經膠質瘤）許可產品的開發及商業化作為合作的一部分的情況下支付。此外，我們將向Agios支付分級許可費，費率為許可產品在該地區年度銷售淨額的15%至19%。除非被提早終止，否則Agios協議將於Agios協議範圍內最後一項許可產品的許可年期屆滿時到期。

## 概 要

### Blueprint協議

於二零一八年六月一日，我們與Blueprint訂立一項獨家許可及合作協議（「**Blueprint協議**」），內容有關在該地區開發及商業化avapritinib、CS3008（BLU-554）及CS3009（BLU-667）（統稱「**Blueprint許可產品**」）（不論作為單一療法或與其他療法聯用）。Blueprint將保留在全球其他地方對Blueprint許可產品的所有權利。在Blueprint協議條款的規限下，Blueprint向我們收取前期現金付款40.0百萬美元，並將可收取最多約346.0百萬美元的潛在里程碑付款。此外，我們將有責任就許可產品按逐項基準向Blueprint支付分級許可費，費率為每項Blueprint許可產品在該地區的年度銷售淨額的15%至23%，可在指定情況下作出若干調整。除非被提早終止，否則Blueprint協議將基於產品及地區按逐項基準持續生效，直至下列時間的較後者：(i)Blueprint許可產品在該地區的某個地區進行首次商業銷售後十二年；及(ii)與Blueprint的專利權或Blueprint許可產品的任何共同合作專利權（涵蓋有關Blueprint許可產品的物質組合、使用方法或生產方法）有關的最後一項有效專利權限在該地區到期之日。

### 藥明康德協議

我們與藥明康德的附屬公司上海藥明康德新藥開發有限公司（「**藥明康德上海**」）訂立了研發CRO合約，據此，藥明康德上海負責進行臨床前研發活動。我們將向藥明康德上海支付研發服務款，而在達致相關合約中的若干研發里程碑後，藥明康德上海將向我們轉讓研發過程中產生的知識產權。作為藥明康德上海在研發過程中所作貢獻的代價，藥明康德上海將就所產生每種與有關知識產權有關的產品的國內外銷售收益收取單位數的專利權費。我們向藥明康德上海支付專利權費的義務將於研發過程中產生的知識產權期滿後終止。我們現仍在根據與藥明康德的相關研發CRO合約尋求MEK（CS3006）、CDK4/6（CS3002）、HDAC6（CS3003）抑制劑及若干其他臨床前候選藥物。

### 服務提供商及供應商

我們的服務提供商及供應商主要為位於中國及澳大利亞的行業領先CRO及CMO，彼等向我們提供各種服務，如藥物發現、開發、臨床試驗及臨床生產。為監督及評估我們CRO所執行的服務，我們指派內部員工監督我們CRO的重要臨床活動，如患者資格審查、PD列表審查、醫療數據審查及SAE審查。研究小組由我們及CRO的成員組成，定期舉行會議，通過跟進研究進展及討論潛在問題與風險來評估CRO的表



## 概 要

現。我們已實施標準化指標，以監控關鍵的定性及定量指標，包括培訓合規性、可交付成果的質量問題、數據錄入的及時性和監控訪問報告的完成情況，以及分配予研究的主要團隊成員的流動率。我們的項目經理及高級管理層亦進行實地考察，以監督現場啟動及患者招募並監控數據質量。通過內部數據審查進一步評估數據質量，包括醫療審查、研究文件審查及監測報告審查。為監督及評估我們CMO所執行的服務，我們設定一系列過程控制及發佈測試的預定規格及審查製造相關文件（如批次記錄及質量控制測試結果）以確保符合規格。此外，我們進行年度審計，並在過程協議有偏差時對我們的CMO進行特別審計。除各職能部門進行的控制測量外，我們亦從企業層面遵從質量保證及管治的行業慣例，並已制定質量保證框架以識別過程、程序及供應商方面的重大質量問題，管理項目管理團隊報告或加劇的質量問題及風險及進行質量測試及趨勢分析。我們亦定期進行管理監管，以確保安全、數據完整及監管合規。我們目前並無購買大量原材料或設備。

### 主要股東

緊隨[編纂]及[編纂]完成後，主要股東包括(i) 我們的控股股東 WuXi Healthcare Ventures及其普通合夥人WuXi Healthcare Management, LLC（持有本公司已發行股本總額約[編纂]%）、(ii) Graceful Beauty Limited及被視為透過Graceful Beauty Limited擁有權益的實體（持有本公司已發行股本總額約[編纂]%）及(iii)正則原石及被視為透過正則原石擁有權益的實體（持有本公司已發行股本總額約[編纂]%）（假設[編纂]未獲行使，且概無根據股份激勵計劃發行任何股份）。有關主要股東的更多資料，請參閱本文件「主要股東」及「與控股股東的關係」。

### [編纂]投資者

自本公司成立以來，本公司已與[編纂]投資者訂立多項融資協議。我們廣泛及多元化的[編纂]投資者包括資深投資者，專注於生物科技及／或醫療行業。有關[編纂]投資者身份及背景的進一步詳情，請參閱本文件「歷史、發展及公司架構－[編纂]投資－5.有關[編纂]投資者的資料」一節。

本公司的[編纂]投資者於[編纂]時受限於[編纂]安排。根據現行安排，[編纂]投資者持有的本公司股份受限於[編纂]安排，於本文件日期佔本公司已發行股本約[編纂]%，而緊隨[編纂]及[編纂]完成後佔本公司已發行股本約[編纂]%（假設[編纂]未獲

## 概 要

行使，且概無根據股份激勵計劃發行任何股份)。有關[編纂]安排主要條款的進一步詳情，請參閱本文件「歷史、發展及公司架構－[編纂]前投資」一節。

### 財務資料概要

下文所載歷史財務資料數據概要乃摘錄自本文件附錄一會計師報告所載綜合財務報表(包括相關附註)以及本文件「財務資料」所載資料並應與該等資料一併閱讀。我們的財務資料乃根據國際財務報告準則編製。

### 綜合損益表數據概要

於往績記錄期，我們的大部分虧損來自於研發及行政開支。截至二零一七年十二月三十一日止年度及截至二零一八年九月三十日止九個月，其他收益及虧損項下的衍生金融負債公平值變動虧損增加，乃因與優先股有關的換股權公平值變動所致。我們預期至少會於未來數年產生巨額開支及經營虧損，乃因我們加大臨床前研發力度，繼續進行在研藥物的臨床開發並尋求監管批准，推出商業化管線產品以及增加業務營運所需人力。下表載列於所示期間我們的綜合損益表數據概要。

	截至十二月三十一日 止年度		截至九月三十日 止九個月	
	二零一六年	二零一七年	二零一七年	二零一八年
	(人民幣千元)			
	(未經審核)			
其他收入	187	13,954	2,533	12,824
其他收益及虧損	9,185	(103,665)	(82,694)	(351,751)
研發開支	(247,121)	(213,441)	(165,832)	(699,293)
行政開支	(15,050)	(39,335)	(27,468)	(118,557)
財務成本	(240)	(60)	(60)	–
[編纂]開支	–	–	–	(5,623)
年／期內虧損	<u>(253,039)</u>	<u>(342,547)</u>	<u>(273,521)</u>	<u>(1,162,400)</u>
年／期內 全面開支總額	<u><u>(253,072)</u></u>	<u><u>(343,991)</u></u>	<u><u>(275,129)</u></u>	<u><u>(1,160,595)</u></u>

## 概 要

### 綜合財務狀況表數據概要

下表載列截至所示日期我們的綜合財務狀況表數據概要。

	截至十二月三十一日		截至 九月三十日
	二零一六年	二零一七年	二零一八年
	(人民幣千元)		
流動資產總值	824,816	545,260	1,742,711
非流動資產總值	1,323	19,020	22,303
<b>資產總值</b>	<b>826,139</b>	<b>564,280</b>	<b>1,765,014</b>
流動負債總額	59,184	113,228	680,816
非流動負債總額	—	—	1,937
<b>負債總額</b>	<b>59,184</b>	<b>113,228</b>	<b>682,753</b>
流動資產淨值	765,632	432,032	1,061,895
股本	26	26	28
優先股股本	49	49	94
儲備	712,613	426,263	1,082,139
本公司擁有人應佔權益	712,688	426,338	1,082,261
非控股權益	54,267	24,714	—
<b>權益總額</b>	<b>766,955</b>	<b>451,052</b>	<b>1,082,261</b>

## 概 要

### 綜合現金流量表數據概要

下表載列於所示期間我們的綜合現金流量表數據概要：

	截至十二月三十一日 止年度		截至九月三十日 止九個月	
	二零一六年	二零一七年	二零一七年	二零一八年
	(人民幣千元)			
	(未經審核)			
經營活動所用				
現金淨額	(213,006)	(240,186)	(190,253)	(628,801)
投資活動(所用)				
所得現金淨額	(753,469)	268,300	182,892	(504,746)
融資活動所得(所用)				
現金淨額	1,010,503	(300)	(300)	1,661,843
現金及現金等價物				
增加(減少)淨額	<u>44,024</u>	<u>27,814</u>	<u>(7,661)</u>	<u>528,296</u>
營運資金變動前的				
經營現金流量	<u>(252,734)</u>	<u>(213,567)</u>	<u>(172,064)</u>	<u>(643,911)</u>

### 主要財務比率

下表載列於所示期間我們的主要財務比率：

	截至十二月三十一日		截至
	二零一六年	二零一七年	九月三十日 二零一八年
流動比率 <sup>(1)</sup>	13.9	4.8	2.6

(1) 流動比率是按截至同一日期流動資產除以流動負債計算。

## 概 要

### 全球發售統計數據

下表載列的所有統計數據均基於以下假設：(i)[編纂]已完成且根據[編纂]發行[編纂]股新股份；(ii)根據[編纂]發行[編纂]股新股份；(iii)於[編纂]完成後[編纂]股股份已發行及發行在外；及(iv)概無根據[編纂]及股份激勵計劃發行任何股份。

	按[編纂] [編纂]港元 計算	按[編纂] [編纂]港元 計算
我們股份的市值 <sup>(1)</sup>	[編纂]百萬港元	[編纂]百萬港元
未經審核[編纂]經調整 每股有形資產淨值 <sup>(2)</sup>	[編纂]港元	[編纂]港元

附註：

- (1) 市值乃基於假設緊隨[編纂]及[編纂]完成後[編纂]股股份已發行及發行在外（假設概無根據股份激勵計劃發行的任何股份）計算。
- (2) 本公司股權持有人應佔每股未經審核[編纂]經調整綜合有形資產淨值乃基於截至二零一八年九月三十日的綜合財務狀況表。本公司已作出調整以反映於二零一八年十一月九日購回37,500股優先股、將優先股轉換為普通股及於二零一八年十一月二十五日加速歸屬458,335股受限制股份的影響。註銷優先股、轉換優先股及加速歸屬受限制股份後已發行股份總數將增至[編纂]股。有關進一步詳情，請參閱本文件「附錄二－未經審核[編纂]經調整有形資產淨值」一節。

### 股息政策

我們從未就普通股宣派或派付定期現金股息。我們現時預期保留所有未來盈利供營運及擴展業務之用，且預計於可預見未來不會派付現金股息。宣派及派付任何股息及股息金額須遵守我們的章程文件及開曼公司法。日後宣派及派付股息將由董事會酌情決定，並視乎多項因素而定，包括我們的盈利、資本需求、整體財務狀況及合約限制。股東在股東大會上可批准任何股息宣派，惟股息不得超過董事會建議的金額。如我們開曼律師的建議，根據公司法，在任何情況下都不可派付股息的前提下，倘這會

## 概 要

導致公司無法償付其在正常業務過程中到期的債務，則開曼群島公司可以從利潤或股份溢價賬中派付股息。鑒於本文件所披露的累計虧損，我們不大可能於可預見未來有資格從我們的利潤中派付股息。然而，我們或會從股份溢價賬中派付股息，除非派付該股息將導致本公司無法償付日常業務中到期的債務。我們無法保證何年會宣派並派付任何數額的股息。

倘我們在未來支付股息，為了讓我們向股東分派股息，我們將在一定程度上參照中國附屬公司分派的股息。中國附屬公司向我們分派的任何股息將須繳納中國預扣稅。此外，中國法規目前僅允許根據其組織章程細則和中國會計準則及規定確定的累計可分派除稅後溢利支付中國公司的股息。請參閱本文件「風險因素－與我們在中國開展業務有關的風險」。

### 未來計劃及[編纂]用途

我們估計，經扣除我們就[編纂]應付的[編纂]費用及開支，假設並無行使[編纂]及假設[編纂]為每股[編纂][編纂]港元（即本文件所述指示性[編纂]每股[編纂][編纂]港元至[編纂]港元的中位數），我們將收取[編纂]淨額約[編纂]百萬港元。倘[編纂]定為每股股份[編纂]港元（即指示性[編纂]的上限），[編纂][編纂]淨額將增加約[編纂]百萬港元。倘[編纂]定為每股股份[編纂]港元（即指示性[編纂]的下限），[編纂][編纂]淨額將減少約[編纂]百萬港元。

我們擬將從[編纂]中收取的[編纂]淨額用於以下用途：

- 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將分配至以下我們的核心候選產品：
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用於為正在進行及計劃的CS1001臨床試驗提供資金（如本文件「業務」一節所述），
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用於為CS1001編製登記備案，及
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將為CS1001的推出及（待監管部門批准後）的商業化（包括銷售和營銷）提供資金；

## 概 要

- 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將分配至以下管線中其餘八種臨床及IND階段候選藥物：
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用於為正在進行及計劃的管線中其餘臨床及IND階段候選藥物的臨床試驗提供資金（如本文件「業務」一節所述），
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用於為管線中其餘臨床及IND階段候選藥物編製登記備案，及
  - 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將為管線中其餘臨床及IND階段候選藥物的推出及（待監管部門批准後）的商業化（包括銷售和營銷）提供資金；
- 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用於為研發管線中其餘五種候選藥物以及研發及尋求新候選藥物的許可提供資金；及
- 預計約[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）將用作營運資金及其他一般公司用途。

如上文所述，分配至我們管線中其他臨床及IND階段候選藥物的[編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付我們其他八種臨床或IND階段藥物正在進行及計劃的臨床試驗、編製登記備案及計劃商業發佈（包括銷售及營銷）：

- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付ivosidenib (CS3010, AG-120)；
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付avapritinib (CS3007, BLU-285)；
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS3009 (BLU-667)；
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS3008 (BLU-554)；
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS1002；

## 概 要

- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS1003；
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS3006；及
- [編纂]百萬港元（相當於[編纂]淨額的[編纂]%）預計撥付CS3003。

基於我們持續臨床試驗的估計，大中華CS1001 Ia期臨床試驗的每名患者成本基準預計將介乎100,000美元至120,000美元；大中華CS1001 Ib期、II期及III期臨床試驗的每名患者成本預計將介乎50,000美元至70,000美元。美國CS1001 I期臨床試驗的每名患者成本預計將約為150,000美元。我們並無在澳洲啟動任何CS1001臨床試驗，而根據MEK及PD-1試驗的每名患者成本，我們估計澳洲CS1001 I期臨床試驗的每名患者成本將介乎70,000美元至100,000美元。該等估計反映我們目前的觀點，並不能保證我們未來的臨床試驗成本。由於多項因素（包括但不限於適應症、試驗設計、數據要求、試驗時間表、患者登記及試驗地點）的影響，CS1001臨床試驗的實際每名患者成本可能與該等估計有重大差異。

有關進一步詳情，請參閱「未來計劃及[編纂]用途」。

## 風險因素

我們相信，我們的業務涉及若干風險，其中多項風險並非我們所能控制。該等風險載於本文件「風險因素」。我們面對的部分主要風險包括：

- 倘我們無法成功完成臨床開發、取得監管批准及實現候選藥物商業化，或上述事項遭遇重大推遲，我們的業務將嚴重受損。
- 臨床藥物開發過程漫長、成本高昂，且結果充滿不確定性，而前期研究的結果未必能預示未來的試驗結果。
- 倘我們候選藥物的臨床試驗未能展示令監管機構滿意的安全性及功效或未能產生滿意的結果，我們可能會產生額外成本或推遲完成或最終無法完成候選藥物的開發及商業化。
- 倘我們未能遵守現行法規及行業標準或藥品審批機構對我們採取任何不利行動，可能會對我們的聲譽以及業務、財務狀況、經營業績及前景產生不利影響。



## 概 要

- 倘我們未能遵守我們在第三方授權知識產權許可協議中的義務，或我們與許可人之間的業務關係中斷，我們可能須支付經濟損失或可能喪失對我們的業務而言重要的許可權。
- 倘任何與我們的候選藥物一起使用的醫療產品產生安全效或其他問題，我們可能無法銷售有關候選藥物或可能遭遇嚴重的監管延遲。
- 我們未來的獲准候選藥物可能無法獲得商業成功所需的來自醫生、患者、第三方付款人及醫學界其他各方的市場認可度。
- 倘我們無法發展市場推廣及銷售能力或與第三方訂立協議推廣及銷售我們的候選藥物，我們可能無法產生產品銷售收入。
- 我們面臨激烈競爭，可能有其他公司比我們先發現、開發或商業化競爭藥物或較我們更為成功。
- 倘我們無法透過知識產權為我們的候選藥物取得及維持專利保護，或倘所取得的該知識產權範圍不夠廣泛，第三方可能開發及商業化與我們相似或相同的產品及技術，並直接與我們競爭。
- 倘我們因侵權、盜用或以其他方式侵犯第三方知識產權或參與不正當競爭而被起訴，有關訴訟可能成本高昂或須耗費大量時間，且可能阻止或延遲我們開發或商業化我們的候選藥物。
- 我們倚賴第三方進行臨床前研究及臨床試驗，且我們必須與合作者有效合作開發我們的候選藥物。倘該等第三方並無成功履行合約義務或未能達到預期期限，我們可能無法就候選藥物獲得監管部門的批准或將我們的候選藥物商業化，因此我們的業務可能受到嚴重損害。
- 我們已達成合作協議，並可能在未來形成或尋求合作或戰略聯盟，或訂立進一步許可安排，且我們可能無法變現上述聯盟或許可安排的收益。
- 我們未來的成功取決於我們挽留關鍵管理人員以及吸引、培訓挽留及激勵合資格且高技術人員的能力。
- 我們的經營歷史有限，可能難以評估我們目前的業務及預測我們的未來表現。
- 我們自成立以來已產生大量虧損淨額，且預測我們於可見未來將繼續產生虧損淨額，也可能始終無法盈利。

## 概 要

### [編纂]開支

假設並無根據[編纂]及股份獎勵計劃發行股份，我們將承擔的[編纂]開支估計約為〔[編纂]百萬〕港元（包括[編纂]佣金，假設[編纂]為每股股份[編纂]港元，即指示性[編纂]範圍每股股份[編纂]港元至[編纂]港元的中位數）。截至二零一六年及二零一七年十二月三十一日止年度，我們的綜合損益表內並無確認及扣除有關開支。截至二零一八年九月三十日止九個月，於損益扣除的[編纂]開支為[編纂]港元，及[編纂]開支資本化為遞延發行成本[編纂]港元。於二零一八年九月三十日後，預期約[編纂]百萬港元將於我們的綜合損益表扣除，而約[編纂]百萬港元預期將於[編纂]後作為權益扣減入賬。上述[編纂]開支為最新的實際可行估計，僅供參考，實際金額可能與此估計有所不同。

### 近期發展

我們預計本集團截至二零一八年十二月三十一日止三個月的估計綜合虧損將不超過人民幣638百萬元，並預計本集團截至二零一八年十二月三十一日止年度的估計綜合虧損較截至二零一七年十二月三十一日止年度有所增加。更多詳情請參閱「財務資料－截至二零一八年十二月三十一日止年度的虧損估計」。估計虧損增加主要是由於衍生金融負債公平值變動虧損及為推進本公司管線的研發開支。

除附錄一會計師報告附註34所述的期後事項外，董事確認，截至本文件日期，本集團的財務或貿易狀況、債務、按揭、或然負債、擔保或前景自二零一八年九月三十日（即本文件附錄一所載會計師報告呈報之期末日）起並無重大不利變動。

### 截至二零一八年十二月三十一日止年度的虧損估計

董事估計，基於本文件附錄三所載基準及排除不可預見情況，截至二零一八年十二月三十一日止年度本集團的估計綜合虧損將不超過人民幣1,800百萬元。更多詳情請參閱「財務資料－截至二零一八年十二月三十一日止年度的虧損估計」。