

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示，概不對因本公告全部或任何部分內容而產生或因倚賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。

本公告所作出的前瞻性陳述僅與本文作出該陳述當日的事件或資料有關。除法律規定外，於作出前瞻性陳述當日之後，無論是否出現新資料、未來事件或其他情況，我們並無責任更新或公開修改任何前瞻性陳述及預料之外的事件。請細閱本公告，並理解我們的實際未來業績或表現可能與預期有重大差異。本公告中有關我們或任何董事及／或本公司的意向的陳述或提述乃於本公告刊發日期作出。任何該等意向均可能因未來發展而出現變動。



CStone Pharmaceuticals

基石藥業

(於開曼群島註冊成立的有限公司)

(股份代號: 2616)

自願公告

**選擇性RET抑制劑普吉華®(普拉替尼膠囊)擴展適應症申請
已獲國家藥品監督管理局受理並被納入優先審評**

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈選擇性RET抑制劑普吉華®(普拉替尼膠囊)擴展適應症申請已獲中國國家藥品監督管理局(「NMPA」)受理並被納入優先審評，該項擴展適應症包括需要系統性治療的晚期或轉移性轉染重排(「RET」)基因突變甲狀腺髓樣癌(「MTC」)，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如放射性碘適用)的晚期或轉移性RET融合陽性甲狀腺癌。

2021年3月，NMPA批准普拉替尼以商品名普吉華®上市銷售，用於既往接受過含鉑化療的RET基因融合陽性的局部晚期或轉移性非小細胞肺癌(「NSCLC」)成人患者的治療。普吉華®是中國首個獲批的選擇性RET抑制劑，由基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines公司(NASDAQ: BPMC)開發。

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「我們很高興看到普吉華®針對甲狀腺癌的適應症獲得NMPA受理，這比原計劃提前了6個月。在中國，RET變異的甲狀腺癌尚無精準靶向藥物，患者只能接受多靶點非選擇性藥物的治療，療效有限且安全性差。研究資料顯示在RET突變的甲狀腺髓樣癌和RET融合陽性的甲狀腺癌患者中，普吉華®表現出優異且持久的療效以及良好的耐受性。我們感謝NMPA將該適應症申請納入優先審評，期待普吉華®新適應症能夠早日獲批，惠及更多中國患者。」

此次普吉華®擴展適應症的受理是基於一項全球I/II期ARROW臨床研究，該研究旨在評估普拉替尼在RET融合陽性的NSCLC、甲狀腺癌以及其它攜帶RET變異的晚期實體瘤患者中的安全性、耐受性和有效性。

2020年9月，歐洲醫學腫瘤學會(「ESMO」)虛擬大會上公佈了ARROW研究RET突變MTC患者的資料。截至2020年2月13日資料截止日的結果顯示，在接受400mg每日一次的起始劑量的療

效可評估的患者中，普拉替尼具有強效而持久的抗腫瘤活性。在53名既往接受卡博替尼或凡德他尼治療的患者中，客觀緩解率(「**ORR**」)為60%(95% CI: 46%, 74%)，一例緩解待確認，中位持續緩解時間(「**DOR**」)尚未達到(95% CI: 不可評估)。在19名未經系統性治療的患者中，確認的ORR為74%(95%CI: 49%, 91%)，中位DOR尚未達到(95%CI: 7個月，不可評估)。在ARROW研究包括RET變異的438名腫瘤患者中，研究者報告的最常見的治療相關不良事件(≥15%)是天門冬氨酸轉氨酶升高、貧血、丙氨酸轉氨酶升高、高血壓、便秘、白細胞計數降低、中性粒細胞減少症、中性粒細胞計數降低和高磷血症。

基石藥業與Blueprint Medicines公司達成了獨家合作和授權合約，獲得普吉華®在中國大陸、香港、澳門和臺灣地區(「**大中華地區**」)的獨家開發和商業化權利。

關於甲狀腺癌

甲狀腺癌是最常見的內分泌惡性腫瘤，近幾年發病率顯著上升。根據 2019 年國家癌症中心公佈的資料，甲狀腺癌發病率位居我國城市地區女性所有惡性腫瘤的第 4 位，總體癌種發病率的第 7 位。中國甲狀腺癌每年的新發病例約有 9 萬例，死亡病例約有 6800 例。甲狀腺癌在臨床上分為乳頭狀癌、濾泡癌、未分化癌和髓樣癌等病理類型，不同類型的甲狀腺癌根據其腫瘤特點，治療手段及預後均不相同。

RET 融合和啟動突變是許多癌症類型(包括 NSCLC 和多種類型的甲狀腺癌)中的關鍵疾病驅動因素。大約 10-20%的甲狀腺乳頭狀癌(最常見的甲狀腺癌)患者攜帶 RET 融合，大約 50-90%的晚期 MTC(約占甲狀腺癌的 2-5%)患者攜帶 RET 突變。中國 RET 突變型 MTC 患者目前尚無有效的獲批標準治療方案。

關於普吉華®(普拉替尼膠囊)

普吉華® (普拉替尼)是一種口服、每日一次、強效高選擇性 RET 抑制劑，已獲中國國家藥品監督管理局批准，用於治療既往接受過含鉑化療的轉染重排(「**RET**」)基因融合陽性的局部晚期或轉移性 NSCLC 成人患者。

美國食品藥品監督管理局(「**FDA**」)批准其以商品名為 GAVRETO™上市銷售，分別用於治療經 FDA 批准的檢測方法檢測證實為轉移性 RET 融合陽性 NSCLC 的成人患者、需要系統性治療的晚期或轉移性 RET 突變甲狀腺髓樣癌成人和 12 歲及以上兒童患者，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如適用)的晚期或轉移性 RET 融合陽性甲狀腺癌成人和 12 歲及以上兒童患者。

普吉華®在中國、美國還未獲批用於其他適應症，或者其他地區的醫療監管機構均未對普吉華®的任何適應症做出批准決定。

普吉華®旨在選擇性地和有效地靶向致癌性 RET 突變，包括可能導致治療耐藥的繼發性 RET 突變。在臨床前研究中，普吉華®抑制 RET 的濃度低於其他藥物相關激酶，包括 VEGFR2、FGFR2 和 JAK2。

Blueprint Medicines公司和羅氏正在全球(不包括大中華地區)共同開發普吉華®，用於治療 RET 突變的 NSCLC、各類甲狀腺癌以及其他實體瘤患者。歐洲藥品管理局受理了普吉華®的上市許可申請，用於治療 RET 融合陽性 NSCLC。FDA 授予普吉華®突破性療法認定，用於治療 鉑類化療後進展的 RET 融合陽性 NSCLC，以及需要全身治療且尚無替代療法的 RET 突變陽性甲狀腺髓樣癌。

關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注于開發及商業化創新腫瘤免疫治療及精準治療藥物，以滿足中國和全球癌症患者的殷切醫療需求。目前，基石藥業已集結了一支在新藥研發、臨床研究以及商業化方面擁有豐富經驗的世界級管理團隊。公司以腫瘤免疫治療聯合療法為核心，建立了一條14種腫瘤候選藥物組成的豐富產品管線。目前公司已經有兩款藥物獲批。多款後期候選藥物正處於關鍵性臨床試驗或註冊階段。基石藥業的願景是通過為全球癌症患者帶來創新腫瘤療法，成為全球知名的中國領先生物製藥公司。

欲瞭解更多有關基石藥業的資訊，請瀏覽：www.cstonepharma.com。

承董事會命
基石藥業
江寧軍博士
主席

中華人民共和國，蘇州，2021年4月26日

於本公告刊發日期，本公司董事會包括主席兼執行董事江寧軍博士、非執行董事李偉博士、趙群先生、曹彥凌先生、林向紅先生及陳連勇博士以及獨立非執行董事Paul Herbert Chew博士、胡定旭先生及孫洪斌先生。