

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

基石藥業宣佈普吉華®(普拉替尼膠囊)在RET突變甲狀腺髓樣癌中國患者註冊研究達預期

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈療轉染重排(「RET」)抑制劑普吉華®在全球I/II期ARROW關鍵性試驗的中國患者註冊研究結果。研究數據顯示，普吉華®(普拉替尼膠囊)在晚期或轉移性RET突變甲狀腺髓樣癌(「MTC」)中國患者中，顯示出了優越和持久的抗腫瘤活性，與先前報導的ARROW全球人群中一致，整體安全性與全球人群相似。這是繼今年3月在中國獲批用於治療既往接受過含鉑化療的RET融合陽性的局部晚期或轉移性非小細胞肺癌(「NSCLC」)患者後，普吉華®在甲狀腺癌領域取得的又一重磅進展。普吉華是一種強效、選擇性RET抑制劑，由基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines Corporation (NASDAQ: BPMC) (「Blueprint Medicines」)開發。

關鍵亮點

- 主要療效數據顯示：普吉華®在晚期或轉移性RET突變MTC中國患者中顯示出了優越和持久的抗腫瘤活性
- 今年3月，中國國家藥品監督管理局(「NMPA」)批准普吉華®作為國家一類新藥上市申請，用於既往接受過含鉑化療的RET融合陽性的局部晚期或轉移性非小細胞肺癌(「NSCLC」)成人患者
- 繼針對肺癌領域適應證獲批後，這是普吉華®在甲狀腺癌領域取得的重大進展。此前，普吉華®針對晚期或轉移性RET突變MTC和晚期或轉移性RET融合陽性甲狀腺癌的擴展適應症申請已滾動遞交獲NMPA受理並被納入優先審評

ARROW 研究主要研究者、天津市人民醫院院長高明教授表示：“近年來，甲狀腺癌發病率持續上升，但臨床上用於 RET 突變 MTC 的治療方案極為有限。針對 RET 變異的精准靶向藥物在甲狀腺

癌適應證還均未在國內獲批。我們很高興看到普吉華®在 RET 突變 MTC 中國患者的關鍵性臨床研究達到預期的結果，期待普吉華®能夠滿足更多甲狀腺癌患者亟待解決的臨床需求。”

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 RET 突變的中國甲狀腺癌患者取得了優異的療效，並且安全性良好。基石藥業已於今年 4 月向 NMPA 滾動遞交了普吉華®用於晚期或轉移性 RET 突變 MTC 和晚期或轉移性 RET 融合陽性甲狀腺癌的擴展適應症申請，並被 NMPA 納入優先審評。我們期待普吉華®用於甲狀腺癌的適應證早日獲批，惠及中國甲狀腺癌患者。”

基石藥業計畫在近期召開的國際學術會議上公佈該註冊研究的具體數據。此前，普吉華®針對晚期或轉移性 RET 突變 MTC 的擬定適應證已被 NMPA 藥品審評中心納入突破性治療品種。此前，普吉華®針對晚期或轉移性 RET 突變 MTC 和晚期或轉移性 RET 融合陽性甲狀腺癌的擴展適應症申請已滾動遞交獲 NMPA 受理並被納入優先審評。

普吉華®是一種強效、選擇性 RET 抑制劑，由基石藥業合作夥伴 Blueprint Medicines 開發。基石藥業與 Blueprint Medicines 達成了獨家合作和授權合約，獲得普吉華®在大中華地區，包括中國大陸、香港、澳門和臺灣地區的獨家開發和商業化權利。

關於 ARROW 研究

ARROW 研究是一項旨在評估普吉華®在 RET 融合陽性 NSCLC、RET 突變型 MTC 和其他 RET 融合的晚期實體瘤患者中的安全性、耐受性和有效性的全球 I/II 期臨床研究。

2020 年 9 月，歐洲腫瘤內科學會(「ESMO」)虛擬大會上公佈了 ARROW 研究 RET 突變 MTC 全球患者的數據。截至數據截止日期 2020 年 2 月 13 日，在接受 400mg 每日一次的起始劑量的療效可評估的患者中，普吉華®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。

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。根據世界衛生組織國際癌症研究機構(「IARC」)發佈的 2020 年全球最新癌症負擔數據，中國在 2020 年約有 22 萬新發甲狀腺癌病例數，其中女性新發病例數約為 17 萬。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。

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多個亞型，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 90%的晚期甲狀腺髓樣癌(約占甲狀腺癌的 2-5%)患者攜帶 RET 突變。中國 RET 突變型甲狀腺髓樣癌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®(普拉替尼膠囊)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 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批准其以商品名為 GAVRETO™上市銷售，三項適應症分別為：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 MTC 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。這些適應症基於 ORR 和 DOR 資料在加速審批途徑下獲得批准。針對這些適應症的持續批准可能取決於確證性試驗中臨床獲益的驗證和描述。

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。

全球範圍內(不包括大中華地區)，Blueprint Medicines 和 Roche 共同開發普吉華®用於治療 RET 融合陽性的 NSCLC、各類甲狀腺癌以及其他實體瘤的患者。Blueprint Medicines 和 Genentech (Roche 集團的成員)在美國共同開發 GAVRETO®，並且 Roche 有美國外(不包括大中華地區)針對 GAVRETO®的獨家商業化權利。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，評審在進行中。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 MTC。

關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注於研究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。成立於2015年，基石藥業已集結了一支在新藥研發、臨床研究以及商業運營方面擁有豐富經驗的世界級管理團隊。本公司以腫瘤免疫治療聯合療法為核心，建立了一條15種腫瘤候選藥物組成的豐富產品管線。目前，基石藥業在大中華地區範圍內已經獲得了三個新藥上市申請的批准，分別在中國大陸獲得兩個新藥上市批准、在臺灣地區獲得一個新藥上市批准。多款後期候選藥物正處於關鍵性臨床試驗或註冊階段。基石藥業的願景是成為享譽全球的生物製藥公司，引領攻克癌症之路。

如需瞭解有關基石藥業的更多資訊，請訪問：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6月28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。