

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

基石藥業宣佈同類首創艾伏尼布在中國復發或難治性急性髓系白血病患者中的註冊研究達預期，新藥上市申請已獲中國國家藥品監督管理局受理並擬納入優先評審

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈艾伏尼布(TIBSOVO[®], ivosidenib片劑)在中國的註冊研究CS3010-101研究達到預期終點，在攜帶易感異檸檬酸脫氫酶-1(「IDH1」)突變的中國復發或難治性急性髓系白血病(「R/R AML」)患者中，艾伏尼布顯示了明確的療效和可控的安全性，且與之前發佈的全球研究人群中的療效和安全性數據基本一致。基石藥業計劃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。

同時基石藥業宣佈，中國國家藥品監督管理局(「NMPA」)已受理艾伏尼布的新藥上市申請(「NDA」)，用於治療攜帶IDH1易感突變的成人R/R AML患者並擬納入優先評審。

關鍵亮點

- 艾伏尼布(美國品牌名稱TIBSOVO[®])是中國首個在R/R AML患者中療效明確且安全性良好的IDH1抑制劑
- 中國NMPA已受理艾伏尼布用於治療攜帶IDH1易感突變的R/R AML成人患者的NDA並擬納入優先評審

CS3010-101 研究主要研究者、中國醫學科學院血液病醫院王建祥教授表示：“在 AML 治療領域，我們正面臨急迫的臨床治療需求，尤其是對於 IDH1 易感突變的 R/R AML 患者，目前國內尚無靶向治療藥物上市。祝賀艾伏尼布在中國 R/R AML 患者中的註冊研究取得成功，期待其在中國早日獲批上市，為 AML 患者帶來新希望。”

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：“我們高興地看到艾伏尼布治療中國 R/R AML 患者安全有效。艾伏尼布是基石藥業繼普吉華®、泰吉華®和舒格利單抗後第四個遞交新藥上市申請的創新藥，同時此次 NDA 的遞交也是基石藥業遞交的第七項 NDA/擴展適應症(「sNDA」)申請。我們會與中國 NMPA 密切協作，期待儘快把這款創新藥帶給中國患者。”

2020 年，艾伏尼布被中國 NMPA 國家藥品審評中心納入“臨床急需境外新藥名單（第三批）”，獲得快速通道審評審批資格。同時作為全球同類首創的強效、高選擇性口服 IDH1 抑制劑，艾伏尼布以其明確的臨床優勢，入選了 2020 版《CSCO 惡性血液病診療指南》。

艾伏尼布是目前唯一一款在美國獲得美國食品藥品監督管理局(「FDA」)批准的針對攜帶 IDH1 易感突變的 AML 患者的靶向療法。艾伏尼布在美國被批准用於治療攜帶 IDH1 易感突變的 R/R AML 成人患者和新診斷的年齡至少 75 歲或因其它合併症而無法使用強化化療的攜帶 IDH1 易感突變的 AML 成人患者。

施維雅公司擁有艾伏尼布在美國地區的商业化權益。

關於 AML

AML 是成人白血病中最常見的類型，疾病進展迅速，絕大多數患者為老年患者。在美國，每年約有 2 萬新發病例，患者五年生存率約 29%。中國的 AML 發病率為男性 1.4/100,000 和女性 1.2/100,000，其中大約 6~10% 的 AML 患者攜帶 IDH1 突變，體細胞 IDH1 突變會導致腫瘤代謝物 2-HG 的積累，損害造血幹細胞向成熟幹細胞的分化，促進腫瘤發生。伴隨著人口老齡化，中國 AML 發病率呈逐年上升趨勢，其中尤以老年和 R/R AML 患者預後較差。

關於 CS3010-101 中國橋接研究

CS3010-101 是一項正在中國進行的 I 期、多中心、單臂研究。該研究旨在評估 ivosidenib 口服治療攜帶 IDH1 易感突變的 R/R AML 成人患者的藥代動力學(「PK」)特徵、藥效動力學(「PD」)特徵、安全性和臨床療效，並作為全球關鍵性研究 AG120-C-001 的橋接研究，提供中國 R/R AML 患者數據。

關於艾伏尼布(ivosidenib 片劑)

施維雅是一家由非盈利性基金管理的全球性的獨立製藥集團，致力於包括 AML 在內的各種腫瘤疾病治療方案的研究、開發和商業化。施維雅和基石藥業就艾伏尼布在包括中國大陸在內地區的臨床開發與商業化達成獨家合作與授權許可協議。

艾伏尼布自 2018 年作為單藥治療於美國獲得批准，用於治療攜帶 IDH1 易感突變的 R/R AML 成人患者。2019 年，該藥的適應症獲 FDA 批准擴大到治療年齡至少 75 歲或因為其它合併症無法使用強化化療的攜帶 IDH1 易感突變的新診斷 AML 成人患者。

FDA 先後授予艾伏尼布聯合阿扎胞苷方案“突破性療法”認定，用於治療新診斷的年齡至少 75 歲或因其它合併症而無法使用強化化療的攜帶 IDH1 易感突變的 AML 成人患者，以及艾伏尼布“突破性療法”認定，用於治療攜帶 IDH1 易感突變的復發難治骨髓增生異常綜合征(「MDS」)的成人患者。

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。

此次艾伏尼布®(ivosidenib片劑)的NDA遞交是基石藥業繼普吉華®用於轉移性轉染重排(「RET」)突變甲狀腺髓樣癌和RET融合陽性甲狀腺癌、泰吉華®用於攜帶PDGFRA D842V突變胃腸道間質瘤(中國香港地區)新藥上市申請獲受理後，在今年第三個獲受理的新藥上市申請。其中，普吉華®和泰吉華®已獲中國NMPA批准，並已在中國大陸商業化上市。泰吉華®被中國臺灣衛生福利部食品藥物管理署批准以商品名泰時維®上市銷售，用於治療攜帶PDGFRA D842V突變無法切除或轉移性胃腸道間質瘤(「GIST」)成人患者。

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8月3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、林向紅先生及胡正國先生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。