

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

### 基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines在2023年美國過敏、哮喘和免疫學會(AAAAI)年會上公佈泰吉華®(阿伐替尼片)治療惰性系統性肥大細胞增多症的PIONEER註冊性研究數據

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈其合作夥伴Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股份代號: BPMC) (「Blueprint Medicines」)近日在2023年美國過敏、哮喘和免疫學會(AAAAI)年會上公佈了泰吉華®(阿伐替尼片)用於治療惰性系統性肥大細胞增多症(ISM)患者中的PIONEER研究的詳細數據。與此前報導的一致，泰吉華在主要和所有關鍵次要終點均具有統計學顯著性與臨床意義的重大改善。更新的結果進一步證實了泰吉華在病理性肥大細胞負荷、疾病症狀——包括總症狀評分(TSS)、最嚴重的症狀和所有類型症狀，以及生活品質方面均具有獲益。泰吉華治療的患者在各個臨床指標上均可見48周內的改善持續加深。泰吉華耐受性良好，安全性優於安慰劑組，泰吉華治療的患者中96%選擇在開放標籤擴展研究中繼續接受該治療。

#### 關鍵亮點

- 泰吉華在總症狀評分方面取得了統計學顯著性與有臨床意義的改善，並隨著時間的推移而加深，所有類型的症狀均有改善。
- 泰吉華在肥大細胞增多症生活品質問卷(MC QoL)顯示出具有統計學顯著性與臨床意義的改善。
- 與安慰劑相比，泰吉華具有良好的安全性，支持ISM長期治療的臨床需求。

基於該研究數據，Blueprint Medicines已經向美國食品藥品監督管理局(FDA)提交了泰吉華的補充新藥申請(sNDA)，並向歐洲藥品管理局(EMA)提交了泰吉華®的二類變更行銷授權申請(MAA)，用於治療ISM患者。FDA已經授予泰吉華該項申請的優先審查資格，處方藥使用者付費法案(PDUFA)規定的行動日期為2023年5月22日，同時，EMA已經確認了泰吉華的MAA。

### PIONEER研究數據亮點

在PIONEER研究的隨機、雙盲、安慰劑對照部分中，共有141名患者在13個國家的49個研究中心接受泰吉華每日25毫克加最佳支持治療，71名患者接受安慰劑加最佳支持治療(安慰劑組)。該研究包括經中心病理學審核確診為ISM的成人患者，同時患者需滿足接受優化的最佳支援治療的情況下，仍然有中度至重度疾病負擔。所有患者在試驗期間能夠繼續進行針對症狀的對症治療，並在24周的治療期結束後有選擇地參加泰吉華的開放標籤擴展研究。治療組和對照組的患者基線人口統計學特徵平衡，並反映了顯著的疾病負擔。使用ISM症狀評估表(ISM-SAF)評估疾病症狀。

在24周時，與安慰劑相比，泰吉華在所有病理性肥大細胞負荷指標上均實現了快速、持久和統計學顯著的降低。

結果測量指標	泰吉華®	安慰劑	P值
血清類胰蛋白酶下降≥50%的患者比例	53.9 %	0 %	p<0.0001
KIT D816V變異等位元基因分數減少≥50%的患者比例	67.8 %	6.3 %	p<0.0001
骨髓肥大細胞聚集灶減少≥50%的患者比例	52.8 %	22.8 %	p<0.0001

在24周時，與安慰劑相比，泰吉華在TSS方面取得了統計學上顯著且臨床上有意義的改善，在ISM-SAF所測量的所有類型的症狀中都有改善，且隨著時間的推移而加深。

結果測量指標	泰吉華®		安慰劑	P值
	24周	48周	24周	24周
TSS平均值變化	-15.6分	-20.2分	-9.2分	p=0.003
TSS減少≥30%的患者比例	45.4 %	60.7 %	29.6 %	p=0.009
TSS減少≥50%的患者比例	24.8 %	39.3 %	9.9 %	p=0.005

- 在24周時，與安慰劑相比，泰吉華在最嚴重症狀評分的平均變化方面取得了統計學上的顯著改善(p=0.015)。

在24周時，與安慰劑相比，泰吉華在肥大細胞增多症生活品質問卷(MC QoL)總分的平均百分比變化方面具有統計學顯著性與臨床意義的改善。

結果測量指標	泰吉華®	安慰劑	P值
MC-QoL總分平均百分比變化	-34.3 %	-17.9 %	p=0.001

與安慰劑相比，泰吉華具有良好的耐受性和安全性，支持ISM長期治療的臨床需求。

- 在所有治療組中，大多數不良事件(AEs)均為輕度至中度，導致停藥的治療相關AEs在兩組中均較低(分別為1.4%)。
- 與泰吉華組(5.0%)相比，安慰劑組報告的嚴重不良事件更高(11.3%)。
- 最常見的治療相關不良事件( $\geq 5\%$ )是頭痛(泰吉華 7.8% vs. 安慰劑 9.9%)、噁心(泰吉華 6.4% vs. 安慰劑 8.5%)、外周水腫(泰吉華 6.4% vs. 安慰劑 1.4%)、眶周水腫(泰吉華 6.4% vs. 安慰劑 2.8%)和頭暈(泰吉華 2.8% vs. 安慰劑 7.0%)。大多數水腫AEs為1級，沒有導致治療中止的情況。

研究數據已在2月24日至27日舉行的2023年美國過敏、哮喘和免疫學學會(AAAAI)年會上進行了發表。

### 關於泰吉華(阿伐替尼片)

泰吉華(阿伐替尼片)是一種激酶抑制劑。中國國家藥品監督管理局(NMPA)批准其上市銷售，用於治療攜帶PDGFRA外顯子18突變(包括PDGFRA D842V突變)的不可切除性或轉移性GIST成人患者。台灣食品藥物管理署批准其上市銷售，用於治療攜帶PDGFRA D842V突變無法切除或轉移性胃腸道間質瘤成人患者。香港衛生署批准其上市銷售，用於治療攜帶PDGFRA D842V突變無法切除或轉移性胃腸道間質瘤成人患者。

美國食品藥品監督管理局(FDA)批准其上市銷售，用於治療攜帶PDGFRA外顯子18突變(包括PDGFRA D842V突變)的不可切除性或轉移性GIST成人患者以及治療晚期系統性肥大細胞增多症(advanced SM)成人患者，包括侵襲性SM(ASM)、伴有血液腫瘤的SM(SM-AHN)和肥大細胞白血病(MCL)。歐盟委員會批准其以商品名AYVAKYT上市銷售，用於治療至少一次全身治療後患有晚期全身性肥大細胞增多症(ASM)、伴有血液腫瘤的SM(SM-AHN)、肥大細胞白血病(MCL)以及攜帶PDGFRA D842V突變無法切除或轉移性胃腸道間質瘤成人患者。

泰吉華在大中華地區、美國、歐盟還未獲批用於其他適應症。美國FDA已授予泰吉華突破性療法認定，用於治療晚期SM，包括侵襲性SM的亞型，以及伴有相關血液腫瘤和肥大細胞白血病的SM，以及中度至重度ISM。

### 關於系統性肥大細胞增多症(SM)

系統性肥大細胞增多症(SM)是一種罕見的疾病，大約95%的患者是由KIT D816V突變引起的。肥大細胞失控性的增殖和啟動導致多器官系統出現各種慢性、嚴重和突發症狀。大多數患者為患有非晚期(即惰性或冒煙型)SM，其中絕大多數患者患有ISM。儘管既往曾採用多種藥物進行對症治療，但通常療效有限，非晚期SM患者的各種症狀，包括過敏反應、斑丘疹、瘙癢、腹瀉、腦霧、疲勞和骨痛等，仍持續存在。疾病負擔對患者的生活品質產生嚴重的負面影響。患者往往存在對嚴重、突發症狀的恐懼，工作能力或日常活動能力受限，並不得不進行自我隔離以避免不可預測的觸發因素。目前，全球範圍內尚無批准的治療非晚期SM的療法。

少部分為晚期SM患者，有三個亞型，包括ASM、SM-AHN和MCL。除了上述肥大細胞啟動症狀外，晚期SM還與肥大細胞浸潤引起的多器官損傷和不良預後有關。

### 關於PIONEER研究

PIONEER是一項隨機、雙盲、安慰劑對照、註冊研究，旨在評估泰吉華治療惰性SM患者。該研究包括三個階段：第1部分為劑量發現研究，第2部分為註冊性研究和第三階段為開放標籤擴展研究。該研究的關鍵研究終點包括通過ISM-SAF TSS評估的患者報告的疾病症狀變化、患者報告的生活品質、肥大細胞負荷的測量和安全性。完成第1部分或第2部分的患者有資格參加第3部分研究。所有患者都在第3部分接受泰吉華治療，包括從安慰劑組交叉的患者。

關於PIONEER研究的更多資訊，請訪問[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)(ClinicalTrials.gov 登記號：NCT03731260)。

### 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年底，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，基石藥業已經獲得了四款創新藥的十個新藥上市申請的批准。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](http://www.cstonepharma.com)。

### 前瞻性陳述

概不保證本公告所載關於本集團業務發展之任何前瞻性聲明，或任何事宜將可達成、將真實發生或將實現或屬完整或準確。本公告所披露有關本集團財務及其他方面的數據亦未經其核數師審核或審閱。本公司股東及／或有意投資者於買賣本公司證券時務請審慎行事，不應過分依賴本公告所披露的資料。如有疑問，股東或有意投資者應諮詢專業顧問的意見。

### 商標

Blueprint Medicines, AYVAKIT, AYVAKYT及其相關商標為Blueprint Medicines Corporation所有。

承董事會命  
基石藥業  
李偉博士  
主席

中華人民共和國，蘇州，2023年3月13日

於本公告刊發日期，本公司董事會包括主席兼非執行董事李偉博士、執行董事楊建新博士、非執行董事Kenneth Walton Hitchner III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。