

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

基石藥業在臺灣遞交 TIBSOVO® 治療復發/難治性急性髓系白血病的 新藥上市申請

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)宣佈，已通過第三方向臺灣食品藥物管理署(「TFDA」)提交首款用於治療攜帶易感性異檸檬酸脫氫酶 1(「IDH1」)突變的成人復發/難治性急性髓系白血病(「AML」)新藥，TIBSOVO® (ivosidenib)的上市申請。這也是基石藥業自 2015 年創立以來第一個新藥上市申請。TIBSOVO®是同類首創的強效、高選擇性口服突變型 IDH1 酶抑制劑。TIBSOVO®已於 2019 年 4 月 24 日獲得 TFDA 新藥申請優先審查資格認定。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：「在臺灣遞交 TIBSOVO®的新藥上市申請對本公司來說是一個意義深遠的里程碑。TIBSOVO®不僅可能成為本公司第一個商業化的產品，也意味著基石藥業向著成為一家進入商業化階段的公司邁出了第一步。目前在大中華區，針對 IDH1 基因突變的 AML 患者目前尚無獲批療法。公司已在積極建立商業化團隊，全力以赴以儘早在大中華區引入這一產品，使無助的患者群體獲益。」

AML 是成人白血病中最常見的類型，且疾病進展迅速。在美國，每年約有 2 萬例 AML 新發病例，患者五年生存率約為 27%。相比之下中國每年新發病例超過 3 萬例，五年生存率低於 20%。在臺灣，發病率為 10 萬分之 4，約合 800 例每年，五年生存率約為 26%。老年和復發/

難治性 AML 患者在接受了目前可用的療法后預後較差，大約 6 至 10% 的 AML 患者攜帶有 IDH1 突變。

TIBSOVO®由基石藥業的合作夥伴 Agios Pharmaceuticals, Inc. (納斯達克股份代號：AGIO) (「Agios」)開發，已於 2018 年自美國食藥監局(「FDA」)獲得首個上市批准，用於治療攜帶易感性 IDH1 基因突變的復發/難治性 AML 成人患者。2019 年，該藥的補充新藥申請獲 FDA 批准，適應症擴大到治療年齡 ≥75 歲或因為其它合併症無法使用強化化療的攜帶 IDH 突變的新診斷 AML 患者。針對這一補充適應症，FDA 還就 TIBSOVO®聯用阿紮胞苷方案的適應症擴大到治療年齡 ≥75 歲或因為其它合併症無法使用強化化療的攜帶 IDH 突變的新診斷 AML 患者授予突破性療法認定。

TIBSOVO®的療效通過 174 例攜帶 IDH1 突變的復發/難治性成年 AML 患者進行了評估。TIBSOVO®起始劑量為每日 500mg 口服，直到疾病進展、出現不可接受的毒性或進行造血幹細胞移植。TIBSOVO®在美國申請上市的數據顯示，TIBSOVO®單藥治療攜帶 IDH1 突變的復發/難治性 AML 患者，獲得完全緩解(CR)或完全緩解伴部分血液學恢復(CRh)的比例為 32.8% (57/174) (95% CI: 25.8, 40.3)。CR+CRh 的中位持續時間為 8.2 個月(95% CI:範圍 5.6, 12 個月)。

TIBSOVO®的安全性通過 179 例攜帶 IDH1 突變的復發/難治性 AML 患者每日服用 500mg TIBSOVO®單藥進行了評估。TIBSOVO®的中位暴露時間為 3.9 個月(範圍：0.1-39.5 個月)。在臨床試驗中，19% (34 /179)接受 TIBSOVO®治療的患者出現了分化綜合征(如果不治療，分化綜合征可能致命)。使用 TIBSOVO®治療的患者還出現了 QTc 間期延長和格林-巴厘綜合征。任何級別的最常見的不良反應(≥20%)為疲勞、白細胞增多、關節痛、腹瀉、呼吸困難、水腫、噁心、黏膜炎、心電圖 QT 期間延長、皮疹、發熱、咳嗽和便秘。最常見的嚴重不良反應(≥5%)為分化綜合征(10%)、白細胞增多(10%)、心電圖 QT 間期延長(7%)。

2018 年 6 月，基石藥業與 Agios 宣佈就 TIBSOVO®在中國大陸、香港、澳門及臺灣地區(大中華區)的開發與商業化達成獨家合作與授權協議。

關於 TIBSOVO® (ivosidenib)

TIBSOVO® (ivosidenib)是一種 IDH1 抑制劑，在美國適用於治療符合下列狀況的攜帶易感 IDH1 突變的 AML 患者：

- 年齡 ≥75 歲或因為其它合併症無法使用強化化療的新診斷 IDH1 易感的 AML 患者；及
- 經美國食藥監局批准的測試檢測，攜帶有易感性 IDH1 突變的復發/難治性 AML 的成人患者。

欲了解更多有關 TIBSOVO® (ivosidenib)的資訊，請瀏覽 www.tibsovo.com。

關於基石藥業

基石藥業是一家生物製藥公司，專注於開發及商業化創新腫瘤免疫治療及精准治療藥物，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、臨床研究以及商業化方面擁有豐富經驗的世界級管理團隊。本公司以腫瘤免疫聯合療法為核心，建立了一條強大腫瘤藥物管線。目前四款後期候選藥物正處於或接近關鍵性試驗。憑借經驗豐富的團隊、豐富的管線、強大的臨床開發驅動的業務模式和充裕資金，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，成為全球知名的領先中國生物製藥公司。

欲了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

香港，二零一九年六月三日

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、張國斌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。