

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 avapritinib 針對晚期 GIST 的全球 III 期試驗 完成中國首例受試者給藥**

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)宣佈，avapritinib 在正在進行的全球 III 期臨床試驗 VOYAGER 中實現首例中國受試者給藥。該研究主要評估 avapritinib 作為三線或四線療法，相較於作為目前標準療法的瑞戈非尼對於晚期胃腸道間質瘤(「GIST」)患者的安全性和療效。入組患者必須既往接受過伊馬替尼以及 1 至 2 種其他酪氨酸激酶抑制劑治療。該試驗的主要研究終點是無進展生存期(PFS)。

Avapritinib 是一種口服、強效、高選擇性的 KIT 和 PDGFRA 抑制劑，由基石藥業合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股份代號：BPMC) (「Blueprint」)開發。大約 90% 的 GIST 病例的發生與 KIT 或 PDGFRA 基因突變導致的細胞生長失調有關。此前發表的臨床前資料顯示，avapritinib 對與 KIT 和 PDGFRA 突變有關的 GIST 展示出強效的抑制作用。

二零一九年六月發佈的正在進行的 I 期 NAVIGATOR 試驗數據表明，avapritinib 在 PDGFRA 外顯子 18 突變 GIST 和四線 GIST 患者中顯示出令人鼓舞的抗腫瘤活性和良好的耐受性，而這兩類人群目前均沒有有效的治療方法。Blueprint 近期已經針對這一適應症向美國食藥監局(「FDA」)提交了新藥上市申請。

截止日期為二零一八年十一月十六日(「數據截止日」)的數據表明：

- 在 43 例可評估的 PDGFRA 外顯子 18 突變 GIST 患者中（包括 38 例 PDGFRA $\alpha$  D842V 驅動的 GIST），客觀緩解率（「ORR」）為 86%，中位緩解持續時間（「DOR」）未達到；
- 在 111 例可評估的四線 GIST 患者中，ORR 為 22%，中位 DOR 為 10.2 個月；及
- Avapritinib 安全性良好，截至數據截止日研究者認定的大多數不良事件為 1 級或 2 級。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：“開發腫瘤精準治療藥物是基石藥業核心戰略之一。GIST 是一種罕見疾病，avapritinib 可以為對現有療法耐藥的腫瘤突變患者提供有效的治療。我們的合作夥伴 Blueprint 已向 FDA 提交了這款藥物的新藥上市申請，這讓 avapritinib 有望成為基石藥業第二款在美國獲批上市的产品。隨著我們在 VOYAGER 中國試驗中繼續取得進展，我們希望試驗數據可以儘早支持 avapritinib 在中國獲批，最終惠及目前缺乏有效治療手段的晚期 GIST 患者。”

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：“在針對 PDGFRA 外顯子 18 突變 GIST 和四線 GIST 患者的臨床試驗中，avapritinib 的 ORR 和 DOR 都超過了目前已獲批的二線和三線標準療法。我們很高興看到首位中國受試者成功入組 avapritinib 作為晚期 GIST 三線療法的三期試驗並完成給藥。我們會全力以赴，推進更多中國臨床實驗中心加入這一重要的全球試驗。”

## 關於 GIST

GIST 是發生於胃腸道的肉瘤或骨或結締組織的腫瘤。腫瘤起源於胃腸道壁中的細胞，並且最常發生在胃或小腸中。大多數患者的診斷年齡在 50 至 80 歲之間，診斷通常由胃腸道出血、手術或成像期間的偶然發現以及極少數情況下的腫瘤破裂或胃腸道梗阻引發。

大多數 GIST 病例是由一系列臨床相關突變引起的，這些突變迫使 KIT 或 PDGFRA 蛋白激酶進入日益活化狀態。因為目前可用的療法主要與無活性蛋白質構象結合，所以某些原發性和繼發性突變通常導致治療耐藥性和疾病進展。

在不可切除或轉移性 GIST 中，現有治療的臨床獲益可因突變類型而異。突變檢測對於針對潛在疾病驅動因素量身定制治療至關重要，並在專家指南中建議使用。目前，對於經伊馬替尼、舒尼替尼、瑞戈非尼治療後病程進展的 KIT 驅動的 GIST 患者尚沒有獲批療法。對於轉移性 PDGFRA $\alpha$  D842V 驅動的 GIST 患者，在接受可用的治療後中位疾病進展時間大約在三到四個月。

## 關於 avapritinib

Avapritinib 是一款在研的口服精準藥物，可選擇性地有效抑制 KIT 和 PDGFRA 突變激酶。它是一種靶向於活性激酶構象的 1 型抑制劑，所有的致癌激酶都通過這種構象發出信號。

avapritinib 在 KIT 和 PDGFRA 突變的 GIST 中顯示了廣泛的抑制作用，並對啟動環突變活性最強，而目前批准的 GIST 療法不能抑制啟動環的突變。

Blueprint 率先開發 avapritinib，用於治療晚期 GIST、晚期系統性肥大細胞增多症(「SM」)以及惰性和冒煙型 SM。FDA 已經就兩個適應症授予 avapritinib 突破性療法認證，一個用於治療 PDGFRA $\alpha$  D842V 基因驅動的 GIST，一個治療晚期 SM，包括侵襲性 SM 亞型、伴隨相關血液腫瘤的 SM 和肥大細胞白血病。

基石藥業與 Blueprint 達成獨家合作及授權協議，獲得了包括 avapritinib 在內的多種藥物在中國大陸、香港、澳門及台灣的開發和商業化授權。Blueprint 保留在世界其他地區開發及商業化 avapritinib 的權利。

### 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、臨床研究以及商業化方面擁有豐富經驗的世界級管理團隊。公司以聯合療法為核心，建立了一條包括 15 種腫瘤候選藥物組成的強大腫瘤藥物管線。目前五款後期候選藥物正處於或接近關鍵性試驗。憑藉經驗豐富的團隊、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](http://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，二零一九年七月九日

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。