

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 公佈 pralsetinib 用於治療 RET 基因變異甲狀腺癌的 I/II 期 ARROW 研究關鍵資料並宣佈已向美國 FDA 完成遞交用於 RET 基因融合非小細胞肺癌的新藥上市滾動申請

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)的合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股票代碼: BPMC)(「Blueprint Medicines」)於二零二零年四月一日公佈了 pralsetinib 用於治療 RET 突變甲狀腺髓樣癌(「MTC」)主要研究資料，這些資料將用於支援其在二零二零年第二季度向美國食品藥品監督管理局(「美國 FDA」)提交新藥上市申請。同時，Blueprint Medicine 宣佈已經完成向美國 FDA 提交 pralsetinib 治療 RET 融合非小細胞肺癌(「NSCLC」)的新藥上市滾動申請。

有關重點消息包括：

- ARROW 研究關鍵資料顯示，pralsetinib 在既往接受過治療的 RET 突變甲狀腺髓樣癌患者中，客觀緩解率(「ORR」)達到 60%，其中 90% 的患者達到 18 個月的持續緩解，Blueprint Medicines 計畫在 2020 年第二季度向美國 FDA 提交針對該適應症的新藥上市申請；
- pralsetinib 在既往未接受過治療的 RET 突變 MTC 和 RET 融合甲狀腺癌患者中，ORR 分別達到 74% 和 89%；

- Blueprint Medicines 已向美國 FDA 提交 pralsetinib 用於治療 RET 融合 NSCLC 的新藥上市申請。

基石藥業與 Blueprint Medicines 簽署獨家合作和授權協議，獲得了 pralsetinib、avapritinib 和 fisogatinib 三種藥物在中國大陸、香港、澳門和台灣的獨家開發和商業化授權。Blueprint Medicines 保留在世界其它地區開發及商業化這三種藥物的權利。

目前，作為全球 ARROW 研究的一部分，基石藥業正在中國開展 pralsetinib 的 I/II 期註冊臨床試驗，用於治療 RET 突變的 NSCLC、MTC 和其他晚期實體瘤。此前基石藥業已經完成對既往含鉑化療 RET 融合 NSCLC 試驗組中國患者的招募，預期將於二零二零年下半年在中國針對此適應症提交新藥上市申請。同時，本公司已啟動對既往未經含鉑化療 RET 融合 NSCLC 患者試驗組的研究。

I/II 期 ARROW 研究中 RET 基因變異的甲狀腺癌佇列關鍵資料

此次發佈的主要研究資料將支持 Blueprint Medicines 計畫於二零二零年第二季度向美國 FDA 提交 pralsetinib 的新藥上市申請，用於既往接受過多激酶抑制劑治療的 RET 突變 MTC 患者。註冊終點包括根據 1.1 版實體瘤療效評估標準(「**RECIST 1.1**」)和獨立中心影像學評估確認的 ORR 和緩解持續時間(「**DOR**」)。

主要有效性資料來自經獨立中心盲評，確認符合 RECIST 1.1 標準的可評估患者。所有患者都接受了每日 400 毫克的推薦劑量。資料截止日期為二零二零年二月十三日。

53 例既往接受過卡博替尼或凡德他尼治療的 RET 突變 MTC 患者中，ORR 達到 60% (95% CI: 46-74%)，其中一例患者療效有待確認。98% 患者都出現了腫瘤縮小。中位 DOR 尚未達到(95% CI: 不可估)，90% 患者 DOR 達到 18 個月(95% CI: 77-100%)。

資料還顯示，pralsetinib 對既往未接受過治療的患者臨床療效顯著，預示了 pralsetinib 在多線治療的潛力。在 19 例既往未接受過系統治療的 RET 突變 MTC 患者中，確認的 ORR 達 74%(95% CI: 49-91%)，所有患者腫瘤均縮小。中位 DOR 尚未達到(95% CI: 七個月，不可預估)。至資料截止日，14 例緩解患者中，12 例患者獲得最長 15 個月持續緩解。

九例 RET 融合甲狀腺癌患者中，經確認的 ORR 為 89% (95% CI: 52-100%)，所有患者均腫瘤縮小。中位 DOR 尚未達到(95% CI: 八個月，不可估)。至資料截止日，八例緩解患者中，七例患者獲得最長 20 個月持續緩解。

主要安全性資料與之前公佈的結果一致。pralsetinib 在研究中顯示了良好耐受性，大部分與治療相關的不良事件為一或二級。所有接受了每日 400 毫克推薦劑量的受試患者中 (N=438)，只有 4% 患者因與治療相關不良事件而終止治療。

Blueprint Medicines 計畫在今年的學術會議上公佈該研究全部資料。

向美國 FDA 遞交 pralsetinib 治療 RET 融合 NSCLC 患者的新藥上市申請

Blueprint Medicines 已經完成了向美國 FDA 遞交 pralsetinib 治療 RET 融合 NSCLC 的新藥上市滾動申請，並已提請美國 FDA 對該申請給與優先審評。一旦獲得優先審評資格，上市評審將在六個月內完成。

關於 Pralsetinib

pralsetinib 是一種每日口服、高效和高選擇性的靶向致癌性 RET 變異的在研藥物。Blueprint Medicines 正在進行 pralsetinib 的臨床開發，用於治療 RET 變異的非小細胞肺癌、甲狀腺髓樣癌和其他實體瘤患者。

pralsetinib 是由 Blueprint Medicines 的研究團隊依據其專有化合物文庫所設計的。在臨床前研究中，pralsetinib 針對最常見 RET 基因融合、啟動突變和耐藥突變始終表現出次納摩爾水準的效價。其中，相比 VEGFR2, pralsetinib 對 RET 的選擇性有 90 倍提高。此外，pralsetinib 對 RET 的選擇性與已批准的多激酶抑制劑相比有顯著提高。通過抑制原發和繼發突變，pralsetinib 有望克服和預防臨床耐藥性的發生。這種治療方法預期可以在攜帶不同 RET 變異的患者中實現持久的臨床緩解，且具有良好的安全性。

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。成立於二零一五年底，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。目前五款後期候選藥物正處於關鍵性臨床試驗。憑藉經驗豐富的管理團隊、豐富的管線、專注於臨床開發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，成為全球知名的中國領先生物製藥公司。

欲了解更多有關基石藥業的信息，請瀏覽 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，二零二零年四月二日

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。