

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 **avapritinib PIONEER** 臨床試驗第一部分最新資料：惰性系統性肥大細胞增生症患者皮膚病變症狀顯著減輕

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)之合作夥伴 **Blueprint Medicines Corporation** (納斯達克股份代號: **BPMC**)(「**Blueprint Medicines**」)於六月六日公佈了 **PIONEER** 臨床試驗第一部分最新臨床資料，採用多個皮膚病變相關定性、定量指標評估結果顯示，**avapritinib** 在治療惰性系統性肥大細胞增生症(「**ISM**」)患者中顯示出可靠、持續的臨床有效性。此外，**ISM** 症狀評估表(「**ISM-SAF**」)總症狀評分(「**TSS**」)評估顯示，接受 **avapritinib** 治療組患者總體疾病症狀改善程度顯著，並於 24 周隨訪期間耐受良好。上述資料發表於二零二零年歐洲過敏症和臨床免疫學會(「**EAACI**」)數字年會。

如有需要，可訪問二零二零年 **EAACI** 數字年會官方網站([www.eaaci.org/eaaci-congresses/eaaci-2020](http://www.eaaci.org/eaaci-congresses/eaaci-2020))觀看相關演講內容。

系統性肥大細胞增生症(「**SM**」)是一種罕見疾病，幾乎所有患者具有 **KIT D816V** 突變、以肥大細胞失控增殖和過度活化為特徵。該病可導致患者全身狀況虛弱、胃腸道和神經認知症狀，包括危及生命的過敏反應。瘙癢、潮紅和色素性皮損等其他皮膚表現常見，可明顯影響生活品質。**avapritinib** 是針對 **KIT-D816V** 突變的強效、高選擇性抑制劑。

基石藥業與 Blueprint Medicines 已達成獨家合作和授權協議，推進 pralsetinib、avapritinib 和 fisogatinib 在中國內地及香港特別行政區、澳門特別行政區和台灣地區的臨床開發和商業化進程。Blueprint Medicines 保留對上述三種產品在全球其他國家的開發和商業化權利。

有關重點消息包括：

- 在 ISM 患者中開展的 PIONEER 臨床試驗最新資料顯示，治療 24 周時，avapritinib 組症狀緩解率為 60%，安慰劑組為 0%，症狀緩解定義為總症狀評分降低  $\geq 30\%$ ；
- avapritinib 用於晚期 SM(「AdvSM」) 患者的 EXPLORER 臨床試驗最新資料於六月十二日在歐洲血液學協會網路視頻年會上發表。

### **EAACI 上公佈的 PIONEER 臨床試驗關鍵數據**

既往報告的 PIONEER 臨床試驗第二部分資料顯示，在治療 16 週期間，avapritinib 治療組患者不僅耐受性良好，而且肥大細胞負荷、疾病症狀和患者報告的生活品質等指標呈現顯著、有臨床意義的改善。基於上述資料，選擇 avapritinib 25 mg 每日一次(「QD」)作為臨床試驗第二部分的推薦劑量。在二零二零年度 EAACI 會議上，又報告了治療 24 周疾病症狀和皮膚評估結果的更新資料。

#### ***關於臨床有效性和安全性的更新數據***

截至二零二零年三月三十一日，PIONEER 臨床試驗第一部分更新資料顯示，在 24 周隨訪期間，接受 avapritinib 治療組患者症狀程度日益顯著減輕。avapritinib 25 mg QD 治療組患者(n=10)ISM-SAF TSS 總症狀評分較基線時平均降低 35%，而安慰劑組患者平均降低 4%。此外，avapritinib 25 mg QD 治療組患者 ISM-SAF 皮膚症狀評分較基線平均降低 38%，而安慰劑組反而平均升高 11%。

更新資料還顯示，在治療 24 周時，avapritinib 25 mg QD 治療組患者症狀緩解率為 60%，而安慰劑組患者為 0%(症狀緩解定義為 ISM-SAF TSS 總症狀患者評分降低  $\geq 30\%$ )。基於上述資料和來自美國食品和藥品監督管理局(「USFDA」)的答覆，Blueprint Medicines 選擇 24 周症狀緩解率作為支持註冊的 PIONEER 臨床試驗第二部分的主要研究終點，計畫入組約 200 例患者，並計畫於二零二零年六月啟動 PIONEER 臨床試驗第二部分患者篩查。

截至二零二零年三月三十一日，患者對 avapritinib 25 mg QD 治療耐受性良好，安全性結果與既往報告資料一致，無患者發生  $\geq 3$  級不良事件和因不良事件停藥。

#### ***皮膚病變評估的其他臨床有效性數據***

對於出現明顯皮膚受累且同意拍照的患者，研究者在基線時拍攝高解析度皮膚照片，治療期間每 12 周再拍攝一次。由設盲的獨立審查委員會通過視覺和電腦圖像分析演算法評估皮膚病變化。獨立審查委員會評估的圖像和資料截至二零二零年三月三十一日。

獨立評審委員會基於治療 24 周時或最終可獲得皮膚照片的盲態評估顯示，avapritinib 治療組 (n=17; 所有劑量組)71% 的患者皮膚病變減輕，而安慰劑組(n=8)患者為 25%。此外，基於電腦圖像分析演算法，avapritinib 組(n=18; 所有劑量組)患者受累最嚴重區域表面積較基線時中位減少比例為 35%，而安慰劑組(n=8)減少 8%。

研究者使用基線和治療 12 周時獲取的皮損活檢樣本對皮損中肥大細胞浸潤進行了評估。avapritinib 組(n=18; 所有劑量組)患者肥大細胞浸潤水準較基線時中位減少 46%，反而，安慰劑組(n=7)較基線時中位增加 51%。

## 關於 avapritinib

avapritinib 是一種已獲 USFDA 批准的激酶抑制劑，商品名為 AYVAKIT™，用於治療攜帶 PDGFRA 外顯子 18 突變(包括 PDGFRA D842V 突變)的不可切除或轉移性胃腸道間質瘤(「GIST」)成人患者。

avapritinib 尚未被 USFDA 批准於美國用於治療任何其他適應症，包括 SM，且尚未被其他地區健康監管部門批准用於任何適應症。

Blueprint Medicines 正在全球範圍進行 avapritinib 治療晚期、冒煙型和惰性 SM 的臨床研發。USFDA 授予 avapritinib 治療高危 SM 的「突破性療法認定」，包括侵襲性 SM、伴有血液系統腫瘤的 SM 和肥大細胞白血病三個亞型。

## 關於 PIONEER 臨床試驗第二部分

PIONEER 是一項在惰性 SM 患者中評估 avapritinib 治療有效性和安全性的隨機、雙盲、安慰劑對照、支持註冊的臨床試驗。該臨床試驗包括三部分：劑量探索(第一部分)、註冊支援(第二部分)和長期治療(第三部分)。所有完成第一部分或第二部分研究的患者將有機會在第三部分研究階段繼續接受 avapritinib 治療。關鍵臨床試驗終點包括通過 ISM-SAF TSS 評估的患者報告疾病症狀變化、患者報告生活品質、肥大細胞負荷定量評估和安全性。此研究第一部分已完成患者入組。Blueprint Medicines 計畫於二零二零年六月在美國、加拿大和歐盟的臨床研究中心啟動研究第二部分的患者篩查。

## 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](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，二零二零年六月十七日

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。