

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

基石藥業宣佈普吉華<sup>®</sup>一線治療RET融合陽性晚期非小細胞肺癌註冊研究達預期，擬遞交新適應證上市申請

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈選擇性RET抑制劑普吉華<sup>®</sup>在全球I/II期ARROW關鍵性試驗的中國患者註冊研究結果。研究數據顯示，普吉華<sup>®</sup>(普拉替尼膠囊)在一線治療轉染重排(「RET」)融合陽性晚期非小細胞肺癌(「NSCLC」)中國患者中具有優越和持久的臨床抗腫瘤活性，這與全球數量一致。整體安全可控，且沒有發現新的安全信號。普拉替尼是一種強效、選擇性RET抑制劑，由基石藥業合作夥伴Blueprint Medicines Corporation (NASDAQ: BPMC) (「Blueprint Medicines」)開發。

### 關鍵亮點

- 主要療效數據顯示：普吉華<sup>®</sup>在一線治療RET融合陽性NSCLC中國患者中顯示出了優越和持久的臨床抗腫瘤活性，這一振奮人心的結果鞏固了基石藥業在肺癌領域的領先地位
- 基石藥業計劃於近期向中國國家藥品監督管理局(「NMPA」)遞交普吉華<sup>®</sup>一線治療RET融合陽性NSCLC的新適應證上市申請
- 作為國內首個獲批的選擇性RET抑制劑，普吉華<sup>®</sup>已在全國上市，用於二線治療RET融合陽性NSCLC患者。繼免疫治療藥物舒格利單抗在肺癌III和IV期臨床研究取得成功以及攜手輝瑞共同開發ROS1抑制劑勞拉替尼後，基石藥業在肺癌精準治療和免疫治療領域佔據絕對優勢

ARROW 研究中國主要研究者、廣東省人民醫院吳一龍教授表示：“目前，國內臨床上針對RET融合陽性NSCLC患者的一線標準治療方案為含鉑雙藥化療，但仍然亟需新的治療方式。普吉華<sup>®</sup>在國內獲批使得RET融合陽性NSCLC治療步入了RET抑制劑時代。此次普吉華<sup>®</sup>一線

治療 RET 融合陽性 NSCLC 中國患者的註冊研究取得成功，令我們非常期待該藥物的更多、更廣適應證能夠在中國獲批上市。”

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：“我們激動的看到普吉華<sup>®</sup>在中國 RET 融合陽性一線 NSCLC 患者中取得了優異的療效結果，並且安全可控，這一結果進一步夯實了普吉華<sup>®</sup>的循證醫學證據。我們感謝所有參與臨床研究的研究者，患者和家屬。我們很快會啟動與 NMPA 的溝通，期待可以早日造福更多患者。”

基石藥業計畫近期向中國國家藥品監督管理局遞交普吉華<sup>®</sup>一線治療 RET 融合陽性的非小細胞肺癌的新適應證上市申請。具體的研究資料將在近期召開的國際學術會議上公佈。

2021 年 3 月，普吉華<sup>®</sup>作為一類新藥獲得 NMPA 的上市批准，是目前國內首個獲批用於治療接受過含鉑化療的 RET 融合陽性的局部晚期或轉移性 NSCLC 成人患者的選擇性 RET 抑制劑，並於 2021 年 6 月在全國多地開出處方，惠及患者。在近期發表的《2021 NSCLC 分子病理檢測臨床實踐指南》中，RET 檢測被推薦用於識別 RET 融合 NSCLC 患者。此外，普吉華<sup>®</sup>被納入《2021 年中華醫學會肺癌臨床診療指南》，作為 RET 融合陽性的 IV 期 NSCLC 患者鉑類化療進展後二線及後線治療的唯一推薦。普吉華<sup>®</sup>擴展適應證申請也已經於 2021 年 4 月獲得 NMPA 受理並被納入優先審評，該項擴展適應證包括需要系統性治療的晚期或轉移性 RET 突變甲狀腺髓樣癌(「MTC」)，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如放射性碘適用)的晚期或轉移性 RET 融合陽性甲狀腺癌。

基石藥業與 Blueprint Medicines 達成了獨家合作和授權合約，獲得普拉替尼在大中華地區，包括中國大陸、香港、澳門和臺灣地區的獨家開發和商業化權利。

## 關於 ARROW 研究

ARROW 研究是一項旨在評估普拉替尼在 RET 融合陽性 NSCLC、RET 突變型 MTC 和其他 RET 融合的晚期實體瘤患者中的安全性、耐受性和有效性的全球 I/II 期臨床研究。

ARROW 研究數據於 IASLC 2020 年世界肺癌大會(「WCLC」)上公佈。截至資料截止日期(2020 年 5 月 22 日)，普拉替尼在經含鉑化療的 RET 融合陽性的 NSCLC 中國患者中顯示出了優越和持久的抗腫瘤活性。32 例基線有可評估病灶的患者中，總體緩解率(「ORR」)為 56%，中位緩解持續時間(「DOR」)未達到，6 個月的 DOR 率為 83%，普拉替尼的安全性及耐受性良好，未出現與普拉替尼相關的不良事件導致的終止治療或死亡。

## 關於 RET 融合陽性 NSCLC

近年來肺癌發病率在中國持續增長。根據世界衛生組織國際癌症研究機構(「IARC」)發佈的 2020 年全球最新癌症負擔數據，中國在 2020 年約有 82 萬新發肺癌病例數，約有 71 萬肺癌導致的死亡人數。在所有中國癌症患者中，肺癌均為癌症相關死亡的主要原因。其中，NSCLC 占肺癌的大多數。

在肺癌領域，EGFR、ALK、ROS1 等驅動基因突變已廣泛普及，針對這些驅動基因的靶向藥物均已獲批上市。在 NSCLC 中 RET 融合患者約占 1-2%，常見於不吸煙的年輕人群。

## 關於普吉華<sup>®</sup>(普拉替尼膠囊)

普吉華<sup>®</sup>(普拉替尼膠囊)是一種口服、每日一次、強效高選擇性 RET 抑制劑，已獲 NMPA 批准，用於治療既往接受過含鉑化療的 RET 基因融合陽性的局部晚期或轉移性 NSCLC 成人患者。

美國食品藥品監督管理局(「**FDA**」)批准其以商品名為 **GAVRETO™**上市銷售，三項適應證分別為：用於治療經 **FDA** 批准的檢測方法檢測證實為轉移性 **RET** 融合陽性 **NSCLC** 的成人患者、需要系統性治療的晚期或轉移性 **RET** 突變 **MTC** 成人和 12 歲及以上兒童患者，以及需要系統性治療且放射性碘難治(如適用)的晚期或轉移性 **RET** 融合陽性甲狀腺癌成人和 12 歲及以上兒童患者。這些適應證基於 **ORR** 和 **DOR** 資料在加速審批途徑下獲得批准。針對這些適應症的持續批准可能取決於確證性試驗中臨床獲益的驗證和描述。

普拉替尼在中國 **NMPA**、美國 **FDA** 還未獲批用於其他適應證，或者其他地區的醫療監管機構均未對普拉替尼的任何適應證做出批准決定。

普拉替尼旨在選擇性地和有效地靶向致癌性 **RET** 突變，包括可能導致治療耐藥的繼發性 **RET** 突變。在臨床前研究中，普拉替尼抑制 **RET** 的濃度低於其他藥物相關激酶，包括 **VEGFR2**、**FGFR2** 和 **JAK2**。

全球範圍內(不包括大中華地區)，**Blueprint Medicines** 和 **Roche** 共同開發普拉替尼用於治療 **RET** 融合陽性的 **NSCLC**、各類甲狀腺癌以及其他實體瘤的患者。**Blueprint Medicines** 和 **Genentech** (**Roche** 集團的成員)在美國共同開發 **GAVRETO®**，並且 **Roche** 有美國外(不包括大中華地區)針對 **GAVRETO®**的獨家商業化權利。歐洲藥品管理局受理了普拉替尼的上市許可申請，用於治療 **RET** 融合陽性 **NSCLC**，評審在進行中。**FDA** 授予普拉替尼突破性療法認定，用於治療鉑類化療後進展的 **RET** 融合陽性 **NSCLC**，以及需要全身治療且尚無替代療法的 **RET** 突變陽性 **MTC**。

## 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，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，基石藥業在大中華地區範圍內已經獲得了三個新藥上市申請的批准，分別在中國大陸獲得兩個新藥上市批准、在臺灣地區獲得一個新藥上市批准。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)。

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，2021年6月24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、林向紅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。