

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。



**CSStone 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2021年第33屆國際分子靶標與癌症治療大會上公佈CS5001(ROR1 ADC)研究數據**

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)欣然宣佈潛在全球同類最佳藥物CS5001(靶向受體酪氨酸激酶樣孤兒受體1(receptor tyrosine kinase-like orphan receptor 1, 「ROR1」)抗體偶聯藥物(「ADC」))的臨床前研究數據入選2021年第33屆國際分子靶標與癌症治療大會(AACR-NCI-EORTC International Conference on Molecular Targets and Cancer Therapeutics)重磅研究摘要(late-breaking abstract, 「LBA」)並通過海報形式展示研究結果(Poster ID: LBA008)。結果表明：CS5001在多種表達ROR1的細胞系展現出了較強的選擇性細胞毒性，並在異種移植小鼠模型中顯示出顯著的體內抗腫瘤活性。在一組癌症細胞系中，ROR1的表達似乎可以預測對CS5001的敏感性。我們的數據顯示，CS5001是一款有望在ROR1高表達的血液腫瘤和惡性實體腫瘤中都具有精準治療潛力的候選藥物。

#### 會議概要：

- 研究領域：多種實體腫瘤和血液腫瘤
- 日期：2021年10月7日-10日
- 報告形式：LBA
- 題目：CS5001是一款新穎的以ROR1為靶點的，具有腫瘤特異激活的β-葡糖苷酸連接子和吡咯並苯二氮卓(pyrrolobenzodiazepine, 「PBD」)前毒素的ADC，有望用於治療血液腫瘤和惡性實體瘤
- 報告人/主要研究者：基石藥業首席科學官謝毅釗博士

CS5001是一款由靶向ROR1的人源單克隆抗體構成的ADC。通過定向偶聯技術，CS5001結合了特有的β-葡糖苷酸連接子和PBD前毒素二聚體。連接子和前毒素均能被溶酶體β-葡萄糖醛酸酶切割，而後者在許多癌細胞中呈過度表達。因此，DNA交聯的PBD前毒素能夠在腫瘤細胞內被選擇性釋放。

CS5001與人源ROR1結合，但不與ROR2結合。CS5001對小鼠、大鼠和食蟹猴ROR1具有相似親和力。結合後，CS5001迅速被表達ROR1的癌細胞內化。CS5001對ROR1高表達細胞系如Jeko-1(人套細胞淋巴瘤)和MDA-MB-231(人乳腺癌細胞)均展示出強大的細胞毒性，具有納摩爾的IC50值。在腫瘤細胞系中，CS5001的癌細胞生長抑制活性與ROR1密度密切相關。

CS5001在Jeko-1和MDA-MB-231異種移植瘤模型中均表現出顯著的抗腫瘤活性，且呈劑量依賴性。此外，在Jeko-1模型中，與基於MMAE毒素分子的ROR1 ADC相比，在相等毒性劑量下CS5001展現出了更高的療效。

基石藥業首席科學官謝毅釗博士表示：“ROR1是一個非常有潛力的藥物靶點，在多種實體瘤和血液惡性腫瘤中都具有差異化的高度表達，而在成人健康組織中並不表達。這意味著ROR1有望成為像PD-1/L1一樣具有廣譜抗癌潛力的新藥靶點。此次公佈的CS5001在臨床前藥理學和藥效學方面的數據令人鼓舞，表明了CS5001在治療多種血液疾病和惡性實體腫瘤領域的精准醫學的潛力。我們預計將在今年年底前提交臨床試驗申請(「IND」)，隨後啟動臨床試驗。”

目前，CS5001已完成IND申報所需的臨床前研究，其具有獨特的設計，該連接子(linker)與使用腫瘤特異激活的PBD前毒素載荷(payload)相結合。CS5001只有在到達腫瘤後，其連接子被切割釋放PBD前毒素，繼而PBD前毒素在腫瘤細胞內被激活，從而殺死腫瘤細胞。這種連接子加PBD前毒素的“雙控”機制有效地解決了與傳統PBD載荷有關的典型毒性問題，擁有更好的安全性。此外，CS5001利用定向偶聯技術獲得精准的藥物抗體比率(「DAR」)，便於實現均質生產及大規模生產。

2020年10月，基石藥業與LegoChem Biosciences, Inc.(「LCB」)就CS5001的開發和商業化達成授權協議。根據協議條款，基石藥業獲得獨家授權，主導CS5001在韓國以外的全球其他地區的開發和商業化。

該研究由基石藥業、LCB公司以及韓國ABL Bio公司共同完成。

## 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年底，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10月8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、林向紅先生及胡正國先生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。