

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

基石藥業在中國獲准開展針對晚期胃腸道間質瘤的 Avapritinib I/II 期橋接註冊性臨床試驗

基石藥業(「公司」或「基石藥業」)宣佈，由其合作夥伴 Blueprint Medicines Corporation (納斯達克股份代號: BPMC) (「Blueprint Medicines」)開發的候選藥物 Avapritinib 近期獲得中國國家藥品監督管理局批准，在中國開展用於治療不可手術切除或轉移性胃腸道間質瘤(「GIST」)患者的 I/II 期臨床研究。這是一項中國單獨橋接註冊性研究，包括 I 期劑量遞增和 II 期劑量擴展試驗，目的是評估 Avapritinib 在中國患者中的安全性、藥代動力學和療效。

GIST 是通常出現於胃壁或小腸中的肉瘤，在所有胃腸道惡性疾病中占比約為 0.1% 至 3.0%，屬於罕見病。GIST 通常在 50 至 80 歲之間被診斷。大約 90% 的 GIST 病例與導致 KIT 或 PDGFRA 酪氨酸激酶過度激活的突變有關，這種突變引發了細胞生長失調。

目前，Avapritinib 已被證明對 KIT 和 PDGFRA (主要是 PDGFRA D842V 突變) 驅動的 GIST 有廣泛抑制作用。於 2019 年 1 月，Blueprint Medicines 公佈了針對晚期 GIST 患者的 Avapritinib NAVIGATOR I 期臨床研究主要數據，數據截止至 2018 年 11 月 16 日。

- 43 位 PDGFRA 【外顯因數 18 突變】的 GIST 患者，起始劑量為每日一次 300 或 400 毫克，客觀緩解率為 86% (一例有待確認)，未達到中位反應持續時間。

- 111 位 4 線或以上的 GIST 患者，起始劑量為 300 或 400 毫克，客觀緩解率為 22%（一例有待確認）。中位反應持續時間為 10.2 個月。
- 總體安全性與之前的結果一致。Avapritinib 耐受性良好，大多數不良反應為 1-2 級。在相關研究的所有劑量（共 237 例），只有 23 位（9.7%）由於治療相關不良反應終止治療。

2018 年 6 月，基石藥業通過與 Blueprint Medicines 簽訂許可合作協議，獲得了包括 Avapritinib 在內的三種候選藥物在中國大陸、香港、澳門和台灣的獨家開發和商業化授權，Blueprint Medicines 保留在世界其他地區開發及商業化 Avapritinib 的權利。

基石藥業董事長、執行董事兼首席執行官江寧軍博士表示：「Avapritinib 憑藉其出色的數據已得到美國食藥監局(「FDA」)突破性療法認定，目前尚無用於靶向 PDGFRA D842V 突變的藥物獲批准。我們希望能夠通過橋接試驗，以 Blueprint Medicines 將在遞交 FDA 的資料支持在中國的新藥申請。」

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示：「我們已於今年 2 月宣佈收到 Avapritinib 的全球 III 期 VOYAGER 臨床試驗在中國的批准，以開展其作為 KIT 和 PDGFRA 驅動的 GIST 的三線或四線療法的研究。很高興又迎來針對 GIST 的 I/II 期研究橋接試驗的批准。我們希望能在臨床研究中挖掘出 Avapritinib 這款產品的更多潛力，讓更多的 GIST 患者可能獲益。」

關於 Avapritinib

Avapritinib 是一種口服的、強效選擇性的 KIT 和 PDGFRA 突變激酶抑制劑。它是一種靶向於活性激酶構象的 1 型抑制劑；所有致癌激酶都通過這種構象發出信號。Avapritinib 在與 KIT 和 PDGFRA 突變有關的 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 療法則不能抑制啟動環的突變。與現有的多激酶抑制劑相比，Avapritinib 對 KIT 和 PDGFRA 的選擇性明顯高於其他激酶。此外，Avapritinib 的獨特設計可選擇性結合並抑制 KIT D816V 位點的突變，而該基因突變為約 95% 的系統性肥大細胞增生症(「SM」)患者的疾病主要驅動因素。臨床前研究表明，Avapritinib 在亞納摩爾級下即可顯著抑制 KIT D816V，只顯示出極微的脫靶效應。

Blueprint Medicines 正率先開發 Avapritinib，用於治療晚期 GIST、高危 SM 以及惰性和冒煙型 SM。FDA 已經授予 Avapritinib 兩個突破性療法認證，一個用於治療 PDGFRA D842V 基因驅動的 GIST，一個治療高危 SM。

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。本公司以腫瘤免疫聯合療法為核心，建立了一條強大腫瘤藥物管線。目前四款後期候選藥物正處於或接近關鍵性試驗。憑借經驗豐富的團隊、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。

承董事會命
基石藥業
江寧軍博士
主席

中華人民共和國，上海，二零一九年四月十五日

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、童小幪先生、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。