

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

基石藥業合作夥伴施維雅公司公佈艾伏尼布聯合阿扎胞苷的III期研究結果顯示可顯著改善初治IDH1突變急性髓系白血病患者的無事件生存期和總生存期

基石藥業(「本公司」或「基石藥業」)合作夥伴施維雅於2021年12月12日公佈了全球AGILE研究的III期臨床試驗數據。研究結果顯示，與安慰劑聯合化療藥物阿扎胞苷相比，艾伏尼布®(ivosidenib片劑)聯合阿扎胞苷顯著提高了初治易感異檸檬酸脫氫酶-1(「IDH1」)突變急性髓系白血病(「AML」)患者的無事件生存期(「EFS」)和總生存期(「OS」)。這些數據將於美國東部時間2021年12月13日(週一)下午2:45-4:15在第63屆美國血液學會年會暨博覽會以口頭報告形式公佈(摘要編號: 697)，並被納入大會的官方新聞發佈中。

關鍵亮點

- 與安慰劑聯合阿扎胞苷相比，艾伏尼布聯合阿扎胞苷在完全緩解(「CR」)率、CR和完全緩解伴部分血液學恢復的緩解(「CRh」)率、以及客觀緩解率(「ORR」)方面實現顯著改善。
- 艾伏尼布聯合阿扎胞苷的安全性特徵良好，與此前公佈數據保持一致。
- AGILE研究III期臨床試驗治療初治IDH1突變AML患者的數據將於2021年12月13日(週一)在第63屆美國血液學會年會以口頭報告對外發佈，並被納入大會的官方新聞發佈中。

艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的 EFS 獲得具有統計學意義的顯著改善(風險比 [「HR」]=0.33[95% CI 0.16,0.69], 單側 P 值=0.0011)。此外, 艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的 OS 同樣獲得具有統計學意義的顯著改善(HR=0.44 [95%CI 0.27,0.73]; 單側 P 值=0.0005), 艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的中位 OS 為 24.0 個月, 而安慰劑聯合阿扎胞苷組患者的中位 OS 為 7.9 個月。

根據和施維雅達成的獨家合作授權許可協議, 基石藥業就艾伏尼布在包括中國大陸、香港、台灣及澳門地區在內的大中華地區以及新加坡地區進行臨床開發與商業化。2019 年 7 月 19 日, 基石藥業宣布全球 III 期註冊試驗 AGILE 在中國完成首例患者給藥。中國共有 16 家研究中心參與了 AGILE 研究。

AGILE 研究中國主要研究者、中國醫學科學院血液病醫院王建祥教授表示:「AML 是一種進展迅速、危及生命的惡性血液系統疾病。老年以及不適合接受強烈誘導化療的新診斷 AML 患者預後較差。對於這部分患者來說, 我們的治療目標是延長 OS。此次公佈的艾伏尼布的研究數據展示了顯著的臨床獲益, 將會為先前未經治療的 IDH1 突變 AML 患者帶來新的治療選擇。」

基石藥業首席醫學官楊建新博士表示:「我們很高興能夠為先前未經治療的 IDH1 突變 AML 患者帶來新的治療選擇。該研究數據進一步證實了艾伏尼布可為 IDH1 突變的 AML 患者帶來顯著臨床受益, 實現 AML 的精確治療, 大幅度提高患者的生存率。同時, 我們計畫與中國國家藥品監督管理局(「NMPA」)展開溝通, 儘早將這一創新療法帶給中國患者。」

其他研究結果:

研究人員報告了 AGILE 研究的關鍵次要終點結果, 包括:

- 艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的 CR 為 47.2%(n=34/72), 安慰劑聯合阿扎胞苷組患者的 CR 為 14.9%(n=11/74)(p<0.0001)。
- 艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的 CR+CRh 率為 52.8%(n=38/72), 而安慰劑聯合阿扎胞苷組為 17.6%(n=13/74)(p<0.0001)。
- 艾伏尼布聯合阿扎胞苷治療組患者的 ORR 為 62.5%(n=45/72), 而安慰劑聯合阿扎胞苷組的 ORR 為 18.9%(n=14/74)(p<0.0001)。

艾伏尼布聯合阿扎胞苷組與安慰劑聯合阿扎胞苷組患者常見(20%以上)的所有級別不良事件(「AE」)包括噁心(42.3% vs. 38.4%)、嘔吐(40.8% vs. 26.0%)、腹瀉(35.2% vs. 35.6%)、發熱(33.8% vs. 39.7%)、貧血(31.0% vs. 28.8%)、發熱性中性粒細胞減少症(28.2% vs. 34.2%), 血小板減少症(28.2% vs. 20.5%)、中性粒細胞減少症(28.2% vs. 16.4%)、便秘(26.8% vs. 52.1%)和肺炎(23.9% vs. 31.5%)。

艾伏尼布已在美國獲批, 用於單藥治療 IDH1 突變的複發或難治性 AML(「R/R AML」)成人患者, 以及新診斷的年齡不小於 75 歲或因合併症無法使用強烈誘導化療的 IDH1 突變 AML 成人患者。近期, 艾伏尼布已獲批准作為首個且唯一用於經治 IDH1 突變膽管癌患者的靶向藥物。

2020 年，艾伏尼布被中國 NMPA 國家藥品審評中心納入「臨床急需境外新藥名單(第三批)」，獲得快速通道審評審批資格。同時，作為全球同類首創的強效、高選擇性口服 IDH1 抑製劑，艾伏尼布以其明確的臨床優勢，入選了 2020 版《CSCO 惡性血液病診療指南》。目前，中國 NMPA 已受理艾伏尼布的新藥上市申請(「**新藥上市申請**」)並納入優先審評，用於治療攜帶 IDH1 易感突變的成人 R/R AML 患者。

關於 AGILE III 期 AML 研究(NCT03173248)

AGILE 研究是一項全球 III 期、多中心、雙盲、隨機、安慰劑對照臨床試驗，旨在評估艾伏尼布聯合阿扎胞苷與安慰劑聯合阿扎胞苷，在不符強烈化療條件的新診斷 AML 患者中的療效和安全性。該研究的主要終點是 EFS，定義為從隨機到治療失敗、緩解後復發或任何原因引起的死亡(以先發生者為準)的時間。治療失敗的定義為直到第 24 周患者仍未能達到 CR。

關鍵次要終點包括：CR 率，定義為達到 CR 的受試者比例；OS，定義為從隨機日期到任何原因的死亡日期的時間；CR 和 CRh 率，定義為達到 CR 或 CRh 的受試者比例；ORR，定義為 CR 率、CR 伴不完全血液學恢復(「**CRi**」)(包括 CR 伴不完全血小板恢復(「**CRp**」))、部分緩解(「**PR**」)或形態學無白血病狀態(「**MLFS**」)的受試者比例。

關於 AML

AML 是一種血液和骨髓癌症，病情進展迅速，是最常見的成人急性白血病，據估計美國每年約有 2 萬例新發病例，歐洲每年約有 4.3 萬例病例。大多數 AML 患者最終會復發，R/R AML 預後較差。五年生存率約為 27%。約有 6%至 10%的 AML 患者為 IDH1 突變，突變的 IDH1 酶阻斷了正常的造血幹細胞分化，促進了急性白血病的發病。

關於艾伏尼布®(ivosidenib 片劑)

艾伏尼布用於治療經美國食品藥品監督管理局批准的檢測試劑盒確定攜帶易感異 IDH1 突變的 AML 患者：

AML

- 新診斷的不小於 75 歲或因合併症無法使用強烈誘導化療的 AML 成人患者。
- R/R AML。

局部晚期或转移性胆管癌

- 經治局部晚期或转移性胆管癌。

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、在台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。

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12月12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、Kenneth Walton Hitchner III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。