



基石药业

CSTONE
PHARMACEUTICALS

2023年年度业绩演示材料

2024年3月28日

股票代码：2616.HK

免责声明

- By attending the meeting where this presentation is made, or by reading the presentation materials, you agree to be bound by the following:
- The information in this presentation has been prepared by representatives of CStone Pharmaceuticals (the "**Company**" and, together with its subsidiaries, the "**Group**") for use in presentations by the Group for information purpose. No part of this presentation will form the basis of, or be relied on in connection with, any contract or commitment or investment decision.
- Certain statements contained in this presentation and in the accompanying oral presentation, may constitute forward-looking statements. Examples of such forward-looking statements include those regarding investigational drug candidates and clinical trials and the status and related results thereto, as well as those regarding continuing and further development and commercialization efforts and transactions with third parties. Such statements, based as they are on the current analysis and expectations of management, inherently involve numerous risks and uncertainties, known and unknown, many of which are beyond the Company's control. Such risks include but are not limited to: the impact of general economic conditions, general conditions in the pharmaceutical industry, changes in the global and regional regulatory environment in the jurisdictions in which the Company's does business, market volatility, fluctuations in costs and changes to the competitive environment. Consequently, actual future results may differ materially from the anticipated results expressed in the forward-looking statements. In the case of forward-looking statements regarding investigational drug candidates and continuing further development efforts, specific risks which could cause actual results to differ materially from the Company's current analysis and expectations include: failure to demonstrate the safety, tolerability and efficacy of the Company's drug candidates, final and quality controlled verification of data and the related analyses, the expense and uncertainty of obtaining regulatory approval, the possibility of having to conduct additional clinical trials and the Company's reliance on third parties to conduct drug development, manufacturing and other services. Further, even if regulatory approval is obtained, pharmaceutical products are generally subject to stringent on-going governmental regulation, challenges in gaining market acceptance and competition. These statements are also subject to a number of material risks and uncertainties that are described in the Company's prospectus published onto the websites of the Company and The Stock Exchange of Hong Kong Limited and the announcements and other disclosures we make from time to time. The reader should not place undue reliance on any forward-looking statements included in this presentation or in the accompanying oral presentation. These statements speak only as of the date made, and the Company is under no obligation and disavows any obligation to update or revise such statements as a result of any event, circumstances or otherwise, unless required by applicable legislation or regulation.
- Forward-looking statements are sometimes identified by the use of forward-looking terminology such as "believe," "expects," "may," "will," "could," "should," "shall," "risk," "intends," "estimates," "plans," "predicts," "continues," "assumes," "positioned" or "anticipates" or the negative thereof, other variations thereon or comparable terminology or by discussions of strategy, plans, objectives, goals, future events or intentions.
- No representation or warranty, express or implied, is made as to, and no reliance should be placed on, the fairness, accuracy, completeness or correctness of the information, or opinions contained herein. The information set out herein may be subject to updating, revision, verification and amendment and such information may change materially.
- This presentation and the information contained herein is highly confidential and being furnished to you solely for your information and may not be reproduced or redistributed in any manner to any other person, in whole or in part. In particular, neither the information contained in this presentation, nor any copy hereof may be, directly or indirectly, taken or transmitted into or distributed in any jurisdiction which prohibits the same except in compliance with applicable securities laws. This presentation and the accompanying oral presentation contains data and information obtained from third-party studies and internal company analysis of such data and information. We have not independently verified the data and information obtained from these sources.
- By attending this presentation, you acknowledge that you will be solely responsible for your own assessment of the market and the market position of the Group and that you will conduct your own analysis and be solely responsible for forming your own view of the potential future performance of the business of the Group.

具有端到端能力、实现全面整合的生物制药公司

从成立到首个商业化产品上市仅用了5.5年

研究

临床洞察驱动的
模块化研发模式

45+项

新药临床试验申请
获批

10+

早期研发项目

开发

高效、优质及创新的临床开发引擎

14项

新药上市申请
获批

50+篇

数据报告
/ 学术文章发布

商业化

全面的内部商业化能力

4款* 商业化产品

9项 已获批适应症

3大 区域覆盖

2016

基石药业成立

2018

创纪录B轮融资2.60亿美元

2019

在香港联交所IPO

2020

与辉瑞建立全球
战略伙伴关系

2021

普吉华®、泰吉华®和择捷美®
获批和上市
全面整合的生物制药公司

2022

拓舒沃®获批和上市

2023

择捷美®的5项注册试验均获
成功，且有望在海外上市
(上市许可申请在英国与欧
洲获受理)

01

业务成就

2023年及2024年迄今

2023全年和2024年迄今为止取得的成就

作为一家全方位的生物制药企业，我们在2023年保持了强劲的增长势头

财务数据

截至2023年12月31日

2023年总收入^[1]

4.6

亿元人民币
较去年基本持平

2023年其他收益及亏损

2.0

亿元人民币
(主要来自BD收入)

2023年净亏损^[2]

(3.3)

亿元人民币
(收窄57% YoY)

2023年现金余额

10.3

亿元人民币

研发及合作进展

截至2024年3月27日

5 项新药上市申请获批

普拉替尼	一线非小细胞肺癌	
	非小细胞肺癌、甲状腺髓样癌/甲状腺癌	
舒格利单抗	复发/难治性结外NK/T细胞淋巴瘤	
	一线食管鳞状细胞癌	
	一线胃/胃食管结合部腺癌	

2 项新药上市申请正在审评中

舒格利单抗	一线IV期非小细胞肺癌	
	一线IV期非小细胞肺癌	

10+ 项数据发表/汇报

CS5001
ROR1 ADC

I期临床在美国、澳大利亚和中国同步展开，已在多个瘤种中展现出明显疗效

洛拉替尼
ROS1

ROS1 阳性晚期非小细胞肺癌注册性临床研究数据读出

阿伐替尼 & 普拉替尼
降低生产成本

阿伐替尼转移至境内生产的药品上市注册申请正在CDE审评中；
普拉替尼转移至境内生产的药品上市注册申请已提交CDE

国家医保药品目录

阿伐替尼被纳入2023年国家医保药品目录

BD

与艾力斯达成普拉替尼在中国大陆的独家商业化推广合作
授予三生制药nofazinlimab在中国大陆的独家许可权益
将艾伏尼布在大中华区和新加坡的独家权益出售给施维雅

[1] 2023年总收入包括药品销售收入(2023: 336.7m vs.2022: 364.3m,-8%)、授权费收入(2023: 95.7m vs.2022: 87.3m,+10%)和舒格利单抗的特许权使用费收入(2023: 31.4m vs. 2022: 29.8m, +5%)

[2] 净亏损是指不包括某些非现金项目和一次性事件的影响，即基于股票的支付费用。



02

研发管线近况

1. 关键临床项目
2. 早期创新管线
3. 商业化阶段项目

持续推进研发管线2.0，并最大化成熟产品商业价值，以驱动业务增长

研发管线2.0中的 关键临床项目

CS5001
(ROR1 ADC)

临床研发进程全球前二
同类最佳潜力

研发管线2.0中的 早期创新项目

CS2009
(PD-1/CTLA4/VEGF三抗)

CS5005
(GPCR-x ADC)

CS5006
(创新靶点 ADC)

CS5007, CS2011等
(其他早期探索项目)

商业化阶段项目

普拉替尼
(RET)

阿伐替尼
(KIT/PDGFRA)

艾伏尼布
(IDH1)

舒格利单抗
(PD-L1)

02

研发管线近况

1. 关键临床项目
2. 早期创新管线
3. 商业化阶段项目

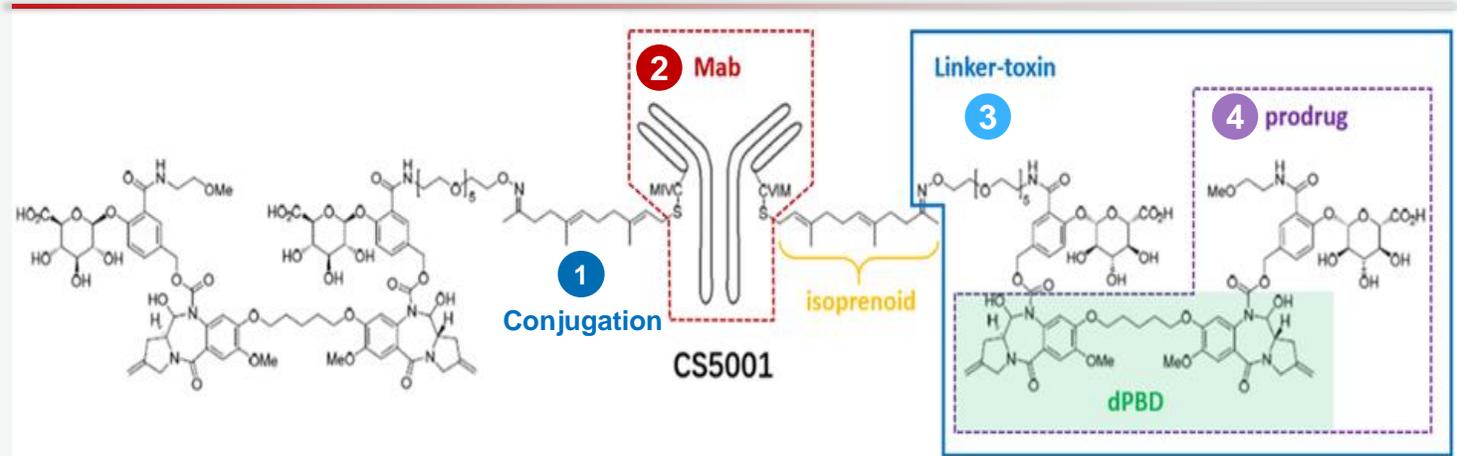
CS5001 (ROR1 ADC)

全球前二，I期临床试验在美国、澳大利亚和中国同步进行中

针对血液恶性肿瘤和实体瘤的 ADC 靶点

- 在正常血液淋巴细胞和成人组织中基本不存在¹⁻³
- 作为胚胎蛋白, 在许多血液恶性肿瘤 (尤其是 B 细胞淋巴瘤) 中过量表达^{4, 5}
- 在三阴性乳腺癌、卵巢癌和非小细胞肺癌 (腺癌) 等实体瘤中广泛表达^{2, 6-13}
- 同类首创分子在 I 期临床阶段于 2020 年 11 月被默克以 27.5 亿美元的价格收购

四项差异化优势支持同类最佳潜力:



可控的品质与生产

- 位点特异性偶联技术 ConjuAll 可精确控制药物与抗体的比例均值达到 2

潜在的免疫原性较低

- 全人源 IgG1 单抗 vs. 其他处于临床阶段的 ROR1 ADC 的人源化单抗

潜在更宽的治疗窗口

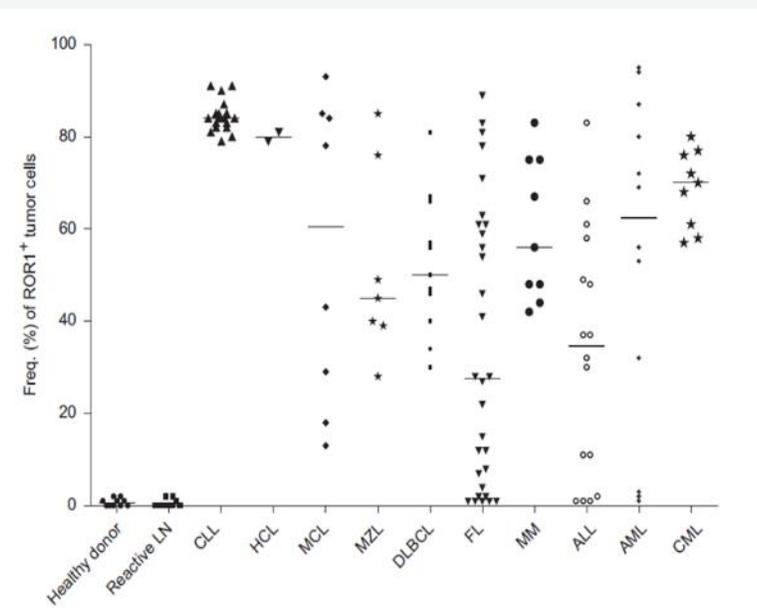
- 专属肿瘤选择性可降解连接子 (由 β -葡萄糖醛酸酶裂解), 在血液循环系统中高度稳定
- 肿瘤微环境中特异性激活吡咯并苯二氮卓类二聚体毒素 (dPBD) 前药 (由 β -葡萄糖醛酸酶酶切释放)

1. Baskar et al, Clin Cancer Res 2008, 14(2); 2. Balakrishnan et al, Clin Cancer Res 2017 23(12); 3. Uhrmacher et al, Leukemia Research 35 (2011) 1360; 4. Borcherdig et al, Protein Cell 2014, 5(7):496-502; 5. Daneshmanesh et al, Leukemia & Lymphoma 2013, 54(4): 843-850; 6. Zhang et al, PLoS ONE 2012 7(3): e31127; 7. Chien et al, Virchows Arch 2016, 468(5):589-95; 8. Henry et al, Transl Oncol. 2017, 10(3):346-356; 9. Zhang et al, Sci Rep. 2014, 24(4):5811; 10. Zheng et al, Sci Rep. 2016, 10(6):36447; 11. Liu et al, PLoS One. 2015, 10(5):e0127092; 12. Henry et al, Gynecol Oncol. 2018, 148(3):576-584; 13. Zhou et al, Oncotarget 2017, 8(20):32864-32872

ROR1: 非常具有潜力的新兴靶点, 可用于治疗多种肿瘤

- 酪氨酸激酶样孤儿受体1 (ROR1) 是酪氨酸激酶受体家族的成员
- ROR1在实体瘤及血液恶性肿瘤, 例如三阴性乳腺癌 (TNBC)、肺癌、卵巢癌、胰腺癌、慢性淋巴细胞白血病 (CLL)、套细胞淋巴瘤 (MCL) 等) 中广泛表达
- 正常血液淋巴细胞和成人正常组织中不表达ROR1, 可大大减少血液毒性, 以及对于其他正常组织的毒性

ROR1在不同血液恶性肿瘤中的表达

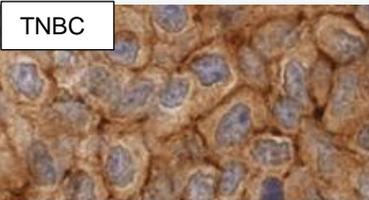


Leuk Lymphoma. 2013 Apr;54(4):843-50

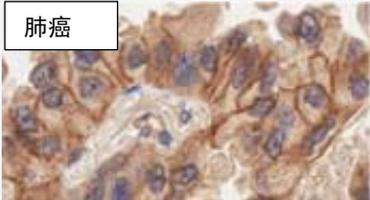
ROR1在不同实体瘤中的表达

肿瘤类型	阳性率
三阴性乳腺癌 (TNBC)	56% (n=56)
肺癌	42% (n=137)
卵巢癌	50% (n=159)
胰腺癌	15% (n=38)

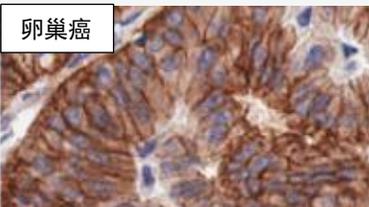
TNBC



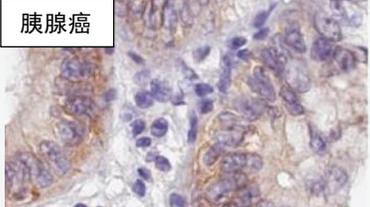
肺癌



卵巢癌



胰腺癌



ROR1表达是高同质性的, 超过 50% 的肿瘤细胞有清晰的膜染色

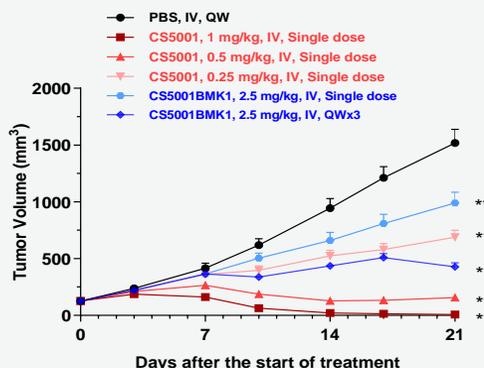
Clin Cancer Res. 2017 Jun 15;23(12):3061-3071

CS5001 (ROR1 ADC) 临床前数据概览 (1/2)

在实体瘤和血液癌中都表现出明显的抗肿瘤活性

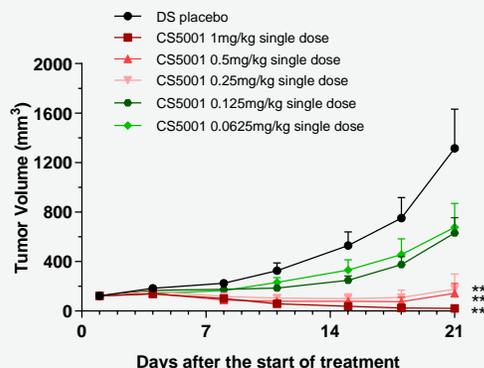
CS5001在CDX模型中对肿瘤细胞有显著杀伤作用，体内疗效数据优于对照

Jeko1 (套细胞淋巴瘤)



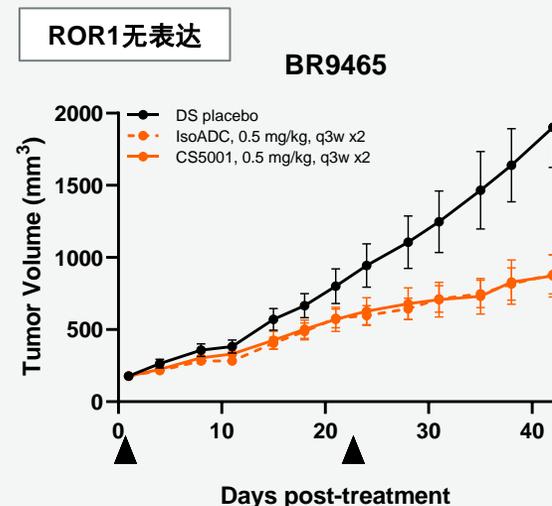
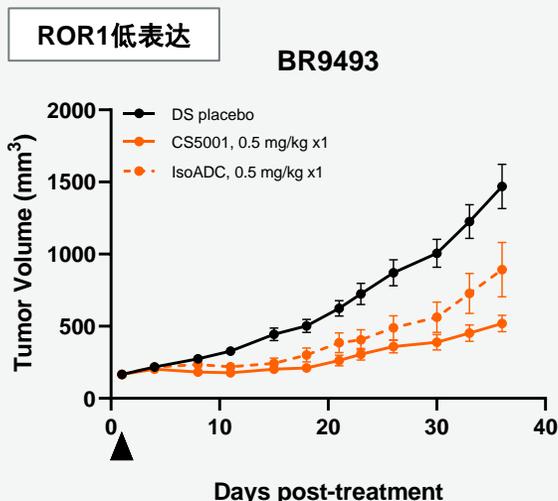
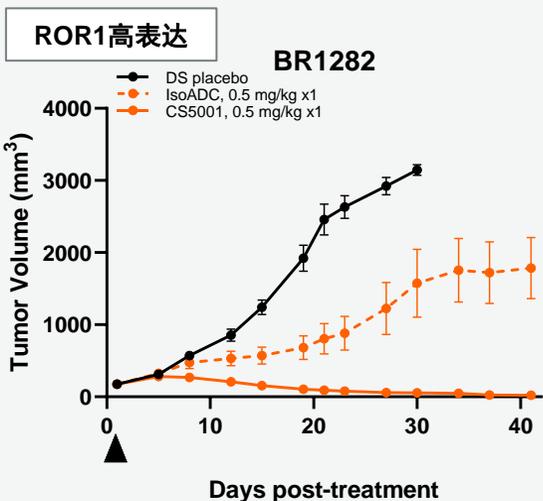
治疗	TGI %	CR
CS5001, 1 毫克/千克, 单剂量	109	2/8
CS5001, 0.5毫克/千克, 单剂量	98	0/8
CS5001, 0.25毫克/千克, 单剂量	60	0/8
CS5001BMK1, 2.5毫克/千克, 单剂量	38	0/8
CS5001BMK1, 2.5毫克/千克, 每周一次x3	78	0/8

PA-1 (卵巢癌)



治疗	TGI %	CR
CS5001, 1 毫克/千克, 单剂量	108	2/8
CS5001, 0.5毫克/千克, 单剂量	98	1/8
CS5001, 0.25毫克/千克, 单剂量	95	0/8
CS5001, 0.125毫克/千克, 单剂量	57	0/8
CS5001, 0.0625毫克/千克, 单剂量	53	0/8

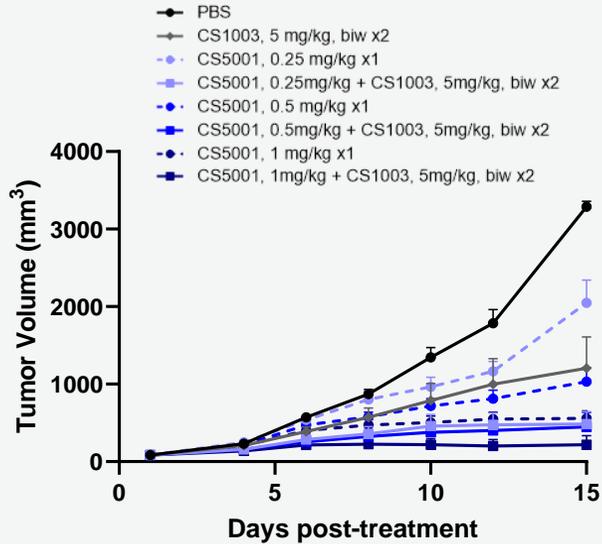
实体瘤PDX模型中, CS5001同样展示了高度的ROR1依赖性的抗肿瘤活性



注: $p < 0.01$, ***, $p < 0.001$ vs PBS; #, $p < 0.05$, vs CS5001BMK1 单剂量; TGI: 肿瘤生长抑制; CR: 肿瘤完全消退的定义为连续3次测量 ≤ 13.5 立方毫米; CS5001BMK1: 基准1, 为基于MMAE的ROR1 ADC (与VLS-101相同的序列、连接子和毒素)

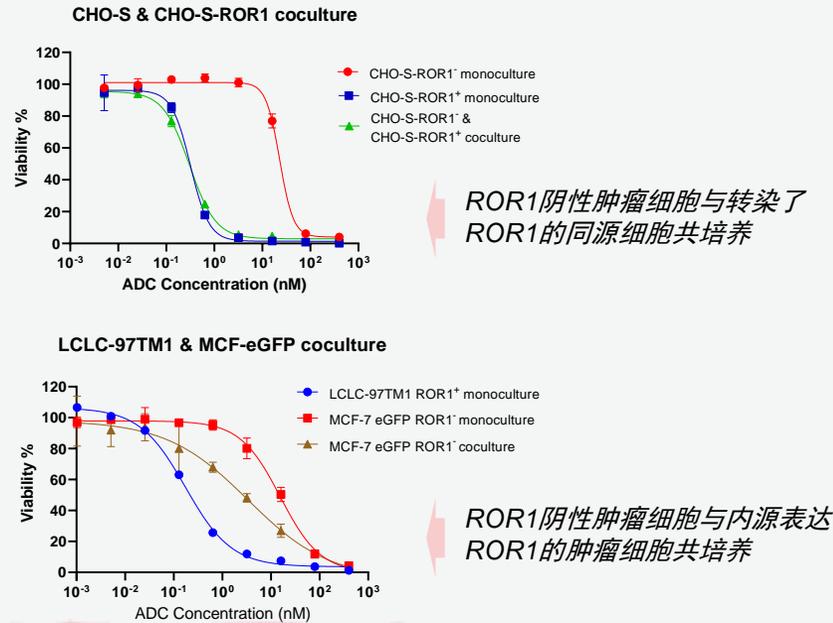
CS5001 (ROR1 ADC) 临床前数据概览 (2/2)

与PD-1单抗的协同作用



CS5001 与 CS1003 (PD-1单抗) 联用时可协同抑制肿瘤生长

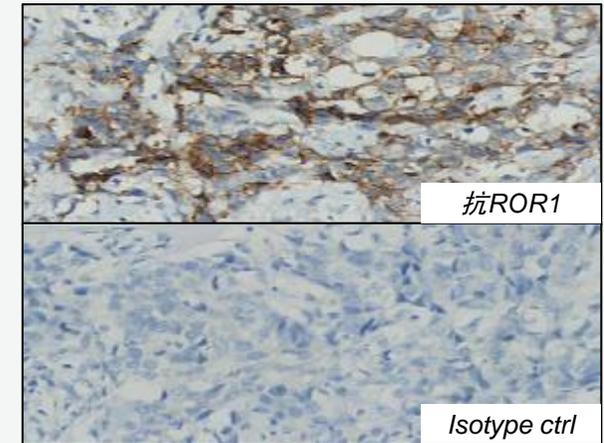
显著的旁观者杀伤效应



与ROR1+/-细胞共培养试验中, CS5001展现出强大的旁观者杀伤效应

专属的免疫组化单抗

用于伴随诊断



Human TNBC (IHC 2+)

已开发出对于免疫组化(IHC)检测敏感性和选择性俱佳的抗ROR1抗体克隆, 用于支持伴随诊断的开发, 使生物标记物驱动的患者选择成为可能

Note: ** p<0.01 and *** p<0.001 vs PBS; # p<0.05 vs CS5001BMK1 (benchmark) single dose

CS5001 I期临床试验设计和快速上市注册计划

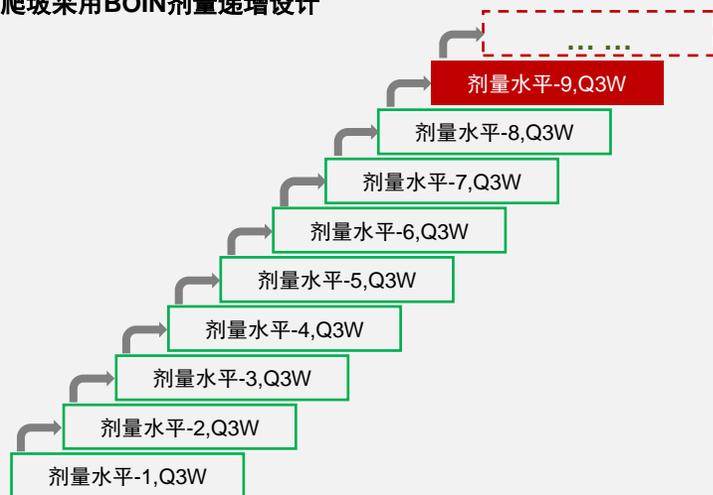
一项在晚期实体瘤和淋巴瘤患者中评价CS5001（抗-ROR1抗体偶联药物）的安全性、耐受性、药代动力学和抗肿瘤活性的I期、剂量递增和剂量扩展研究

1a期 剂量递增 (BOIN设计) + 补充入组

主要筛选标准

- 年龄 18 岁或以上
- 患有晚期实体肿瘤或淋巴瘤、在接受过所有已知能从中获益的标准治疗手段后进展的或对其不耐受的患者
- ≥ 1 个可评估病灶
- 患者具有足够的器官功能
- 可提供用于生物标记物分析的肿瘤样本

全球多中心I期临床试验正在美国、澳大利亚和中国进行中
爬坡采用BOIN剂量递增设计



初步的II期推荐剂量

1b期 剂量扩展以及关键扩展队列

- A B细胞淋巴瘤1; N = 最多80
- B B细胞淋巴瘤2; N = 最多124
- C 实体瘤1; N = 最多82
- D 实体瘤2; N = 最多100
- E 探索ROR1阳性实体瘤（包括三阴性乳腺癌, 子宫内膜癌, 卵巢癌, 非小细胞肺癌, 胃癌和胰腺癌）

全球多中心一期试验的剂量递增部分的患者入组工作正在美国、澳大利亚和中国同步进行

近期催化剂事件

在2024年ASCO、ESMO / ASH等大会中报告I期临床数据

启动具备注册性临床潜力的Ib期临床研究

I期数据表明，CS5001是一种耐受性良好的ADC，且在实体瘤和血液肿瘤中均显示出良好的抗肿瘤活性

A 剂量递增至第9剂量水平，未发生剂量限制性毒性（DLT）事件

- 已完成1-8个剂量组的评估，第9剂量组目前正在评估中
- 未观察到剂量限制性毒性，表明该药物安全且耐受性良好
- 截至目前观察到的不良事件大多为1级或2级

B 在淋巴瘤和实体瘤中均观察到抗肿瘤活性

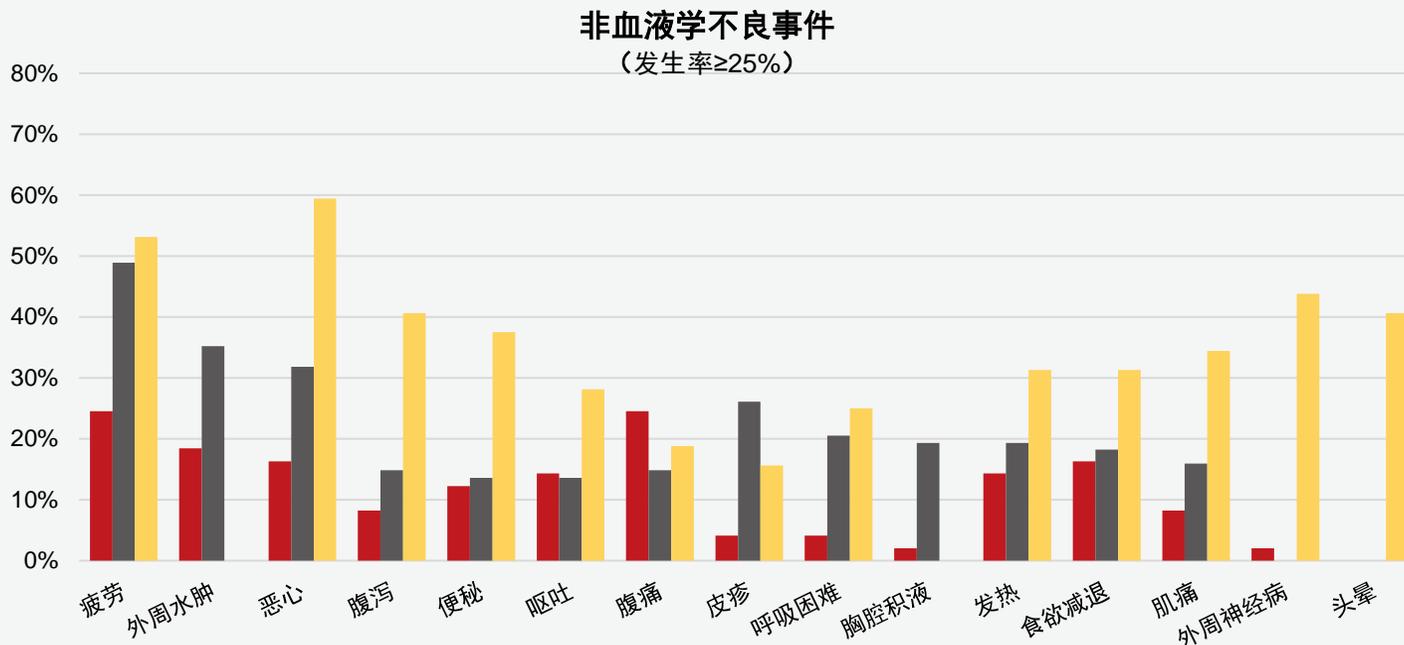
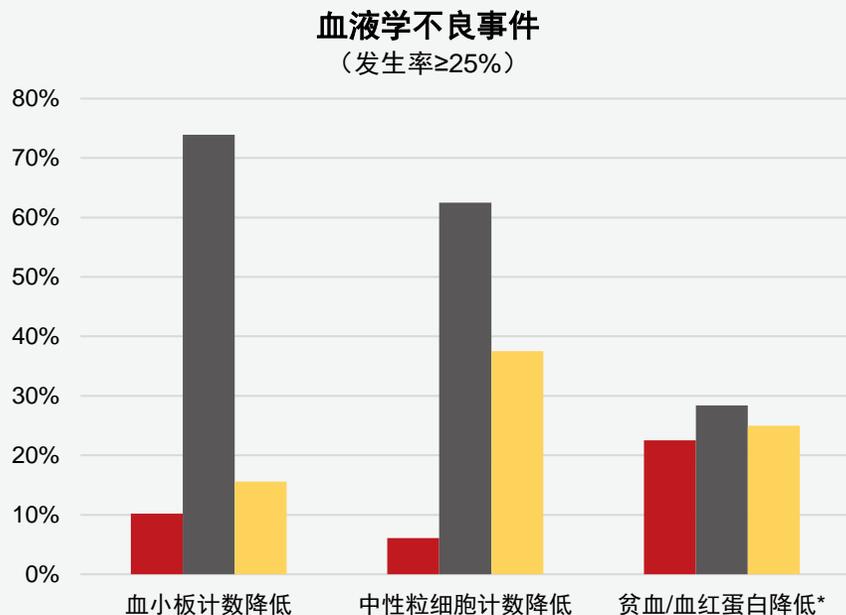
- 在第5和以上剂量水平观察到明显的抗肿瘤活性，包括在晚期实体瘤（例如肺癌和胰腺癌）和淋巴瘤（例如霍奇金淋巴瘤，DLBCL）中观察到多例PR或CR
- 更高剂量组的疗效评估仍在进行中，计划在近期国际学术会议中（如ASCO, ESMO, ASH等）公布更多数据

C 临床药代动力学特征符合预期

- 药代动力学数据表明CS5001的暴露量与剂量成正比
- 优异的连接子稳定性—ADC和总抗体表现出相似的暴露量

CS5001安全性数据（1/2）：相比两种其他相关抗体偶联药物(ADC)，CS5001在I期研究中展现出更好的安全性

CS5001在剂量水平1-8观察到的血液学及非血液学不良事件发生率相比更低



■ CS5001: DL1-DL8

■ Loncastuximab Tesirine: 15-200 ug/kg

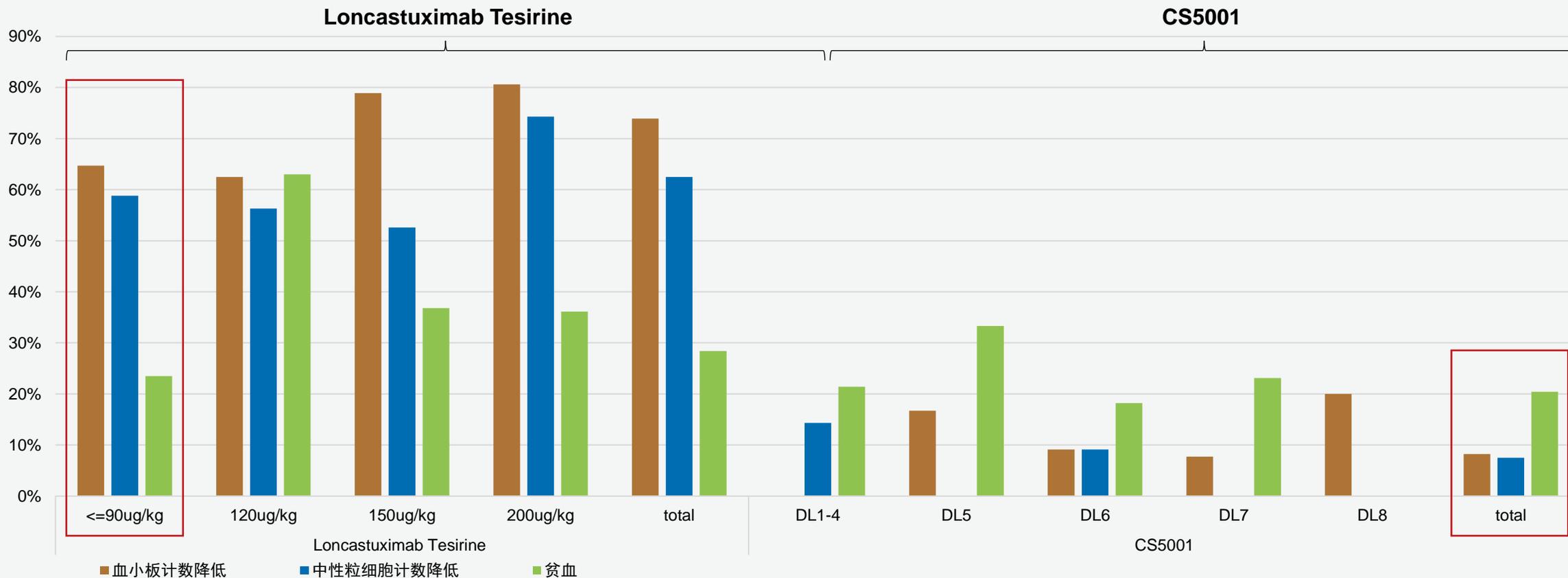
■ Zilovetamab Vedotin: 0.5-2.5mg/kg

* Zilovetamab vedotin: 血红蛋白降低

	CS5001	Loncastuximab Tesirine	Zilovetamab Vedotin
抗体	全人源ROR1单克隆抗体	人源化CD19单克隆抗体	人源化ROR1单克隆抗体
连接子	类异戊二烯-聚乙二醇(PEG)-β-葡萄糖苷酸-对氨基苄氧羰基(PAB)	马来酰亚胺(MC)-PEG-缬氨酸-丙氨酸(VA)-PAB	MC-缬氨酸-瓜氨酸(VC)-PAB
有效载荷	PBD二聚体 前药	PBD二聚体	金盏花素E(MMAE)
连接子的切割机制	可被β-葡萄糖苷酸酶(肿瘤特异性)降解	可被组织蛋白酶降解	可被组织蛋白酶降解
偶联	定向且同质	随机	随机

CS5001安全性数据（2/2）：相比其他PBD类ADC, CS5001在相近剂量水平均展示出更低的血液学毒性

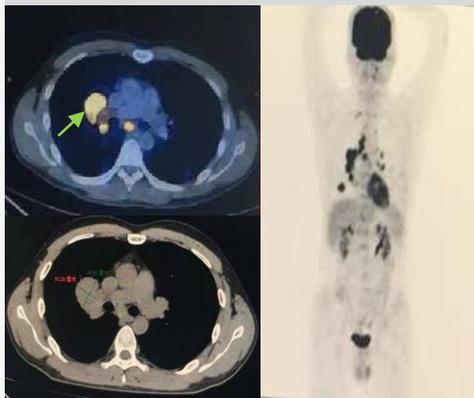
按剂量组划分的血液学不良事件—Loncastuximab Tesirine vs. CS5001



CS5001抗肿瘤活性实例

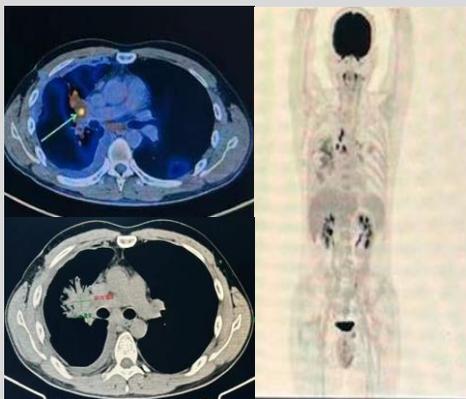
患者 0104003: 33 岁男性,
IV期霍奇金淋巴瘤

患者在接受两线化疗（包括 ABVD方案和RCHOP方案）后疾病复发。接受 4 个周期的CS5001治疗后，根据 2014Lugano标准达到**部分缓解**



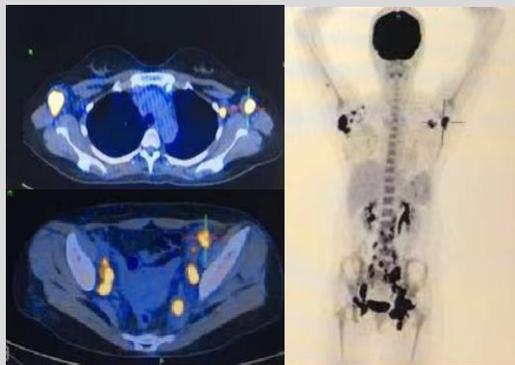
◀ 基线

CS5001治疗
4个周期后 ▶



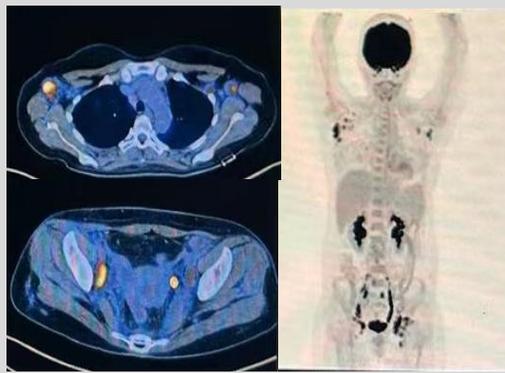
患者 0104002: 34岁女性,
IV期霍奇金淋巴瘤

患者为难治性疾病，既往接受过五线治疗，包括 ABVD方案、GVD方案、信迪利单抗联合地西他滨、ICE联合信迪利单抗及IBI-322治疗。经过 4 个周期的CS5001 治疗后，根据2014Lugano 标准达到**部分缓解**



◀ 基线

CS5001治疗
4个周期后 ▶

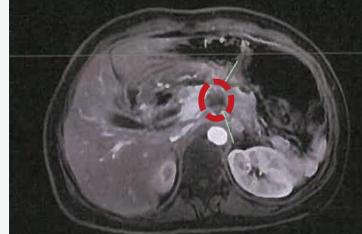


患者 0201010: 52岁女性,
晚期胰腺癌

52 岁女性，患有晚期胰腺癌



◀ 基线MRI: 靶病灶胰腺手术床软组织肿块，最长直径**37毫米**



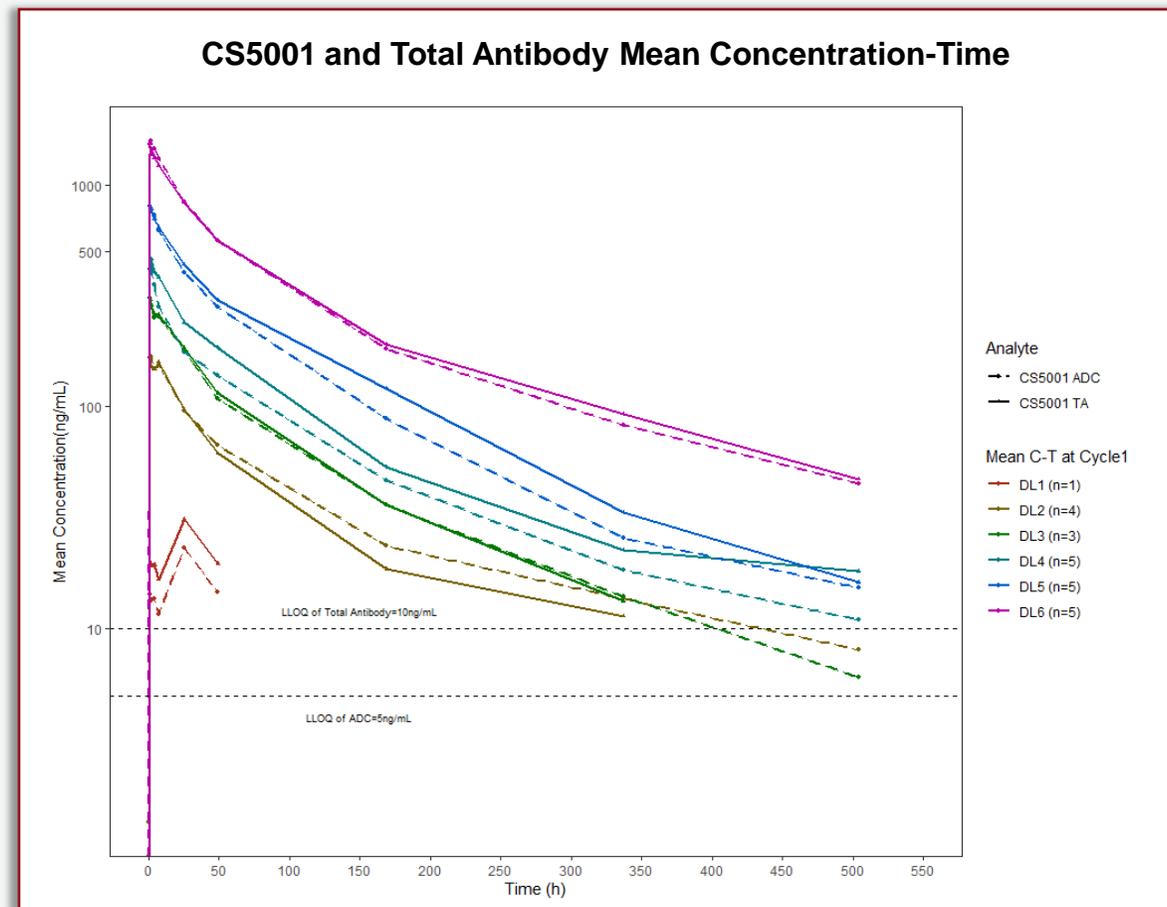
◀ CS5001治疗9周后，靶病灶最长直径缩小至**28毫米**（缩小**24%**），整体评估为**疾病稳定**



◀ CS5001治疗18周后，靶病灶最长直径缩小至**24毫米**（缩小**35%**），整体评估为**部分缓解**

CS5001药代动力学：优异的连接子稳定性，且暴露量与剂量成正比

- 药代动力学数据表明CS5001静脉注射给药后的暴露量与剂量成正比
- 免疫偶联物表现出优异的连接子稳定性，ADC和总抗体的药物动力学特征非常相似
- 血浆中毒素和前药的水准低于定量下限
- 未检测到药物抗体（ADA）的形成



CS5001 I期临床进展总结

1

CS5001 是一种新型 ROR1 导向的 PBD-ADC，在首次人体I期临床研究中表现出良好的耐受性及安全性

- 未观察到剂量限制毒性 (DLT)，未达到最大耐受剂量 (MTD)
- 与其他相关ADC相比毒性更低

2

CS5001在实体瘤和淋巴瘤中均表现出明显的抗肿瘤活性，最新详细数据将在2024年的ASCO和其他学术大会上公布

3

药代动力学表明CS5001暴露量与剂量成正比，且连接子具有出色的血液循环稳定性

4

剂量递增阶段的患者入组仍在进行中，将在实体瘤及淋巴瘤中持续评估CS5001的耐受性及疗效

5

预期在2024年年底前启动注册性临床

02

研发管线近况

1. 关键临床项目
2. 早期创新管线
3. 商业化阶段项目

研发管线2.0中的创新性早期管线： 多项自研管线产品持续驱动未来增长

多个项目取得快速进展，同时积极寻求合作机会

多个项目具备FIC/BIC潜力且已处于/接近PCC阶段



目前状态或进展

Abbr.: FIC = first in class; BIC = best in class; IO = immune-oncology; PCC = preclinical candidate compounds; PoC = proof of concept; IND = investigational new drug

CS2009 (PD-1, CTLA-4, VEGFa三特异性抗体)

具备同类首创潜力，预计在2024年第四季度递交IND

靶向大瘤种的三特异性抗体， 具备同类首创潜力

分子设计

- 结合3个经临床验证的靶点
- 倾向于重新激活接近耗竭状态的肿瘤浸润T细胞。
- 与原anti-VEGFa抗体可比的VEGFa中和能力

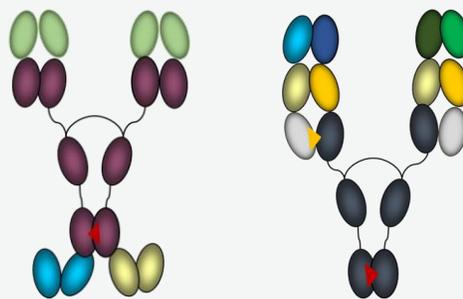
目标适应症

- 疾病覆盖广泛，包括非小细胞肺癌、肝细胞癌、胃癌等

竞争格局

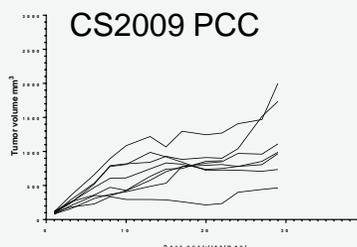
- 潜在同类首创

差异化分子设计

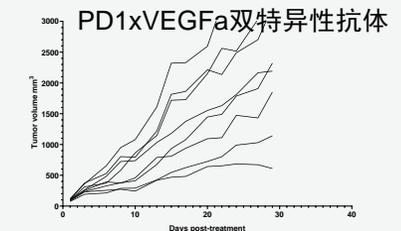
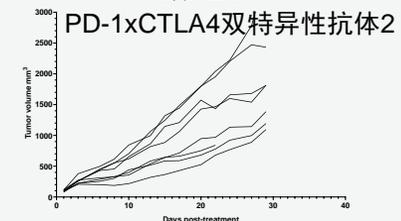
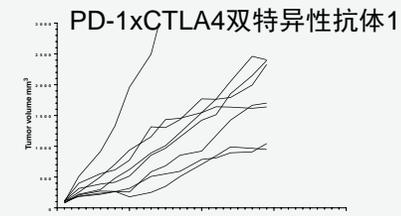


临床前数据

在免疫正常小鼠中，CS2009
展示出优于主要竞品的抗肿瘤
活性



X: 治疗后天数
Y: 肿瘤体积, mm³



初步临床开发计划

- 预计于2024下半年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗肝细胞癌、非小细胞肺癌、胃癌、肾细胞癌、宫颈癌患者的II期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗肝细胞癌、非小细胞肺癌、胃癌、肾细胞癌、宫颈癌患者

CS5005 (GPCR-x ADC)

具备同类首创潜力，预计在2025年递交IND

全新靶点ADC， 具备同类首创潜力

分子设计

- 基石药业专有抗GPCR-x抗体，具备较高的亲和性和选择性
- 基石药业专有连接子和毒素

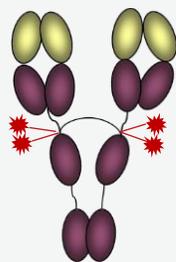
目标适应症

- GPCR-x阳性肿瘤，包括小细胞肺癌、神经内分泌癌、神经内分泌瘤等

竞争格局

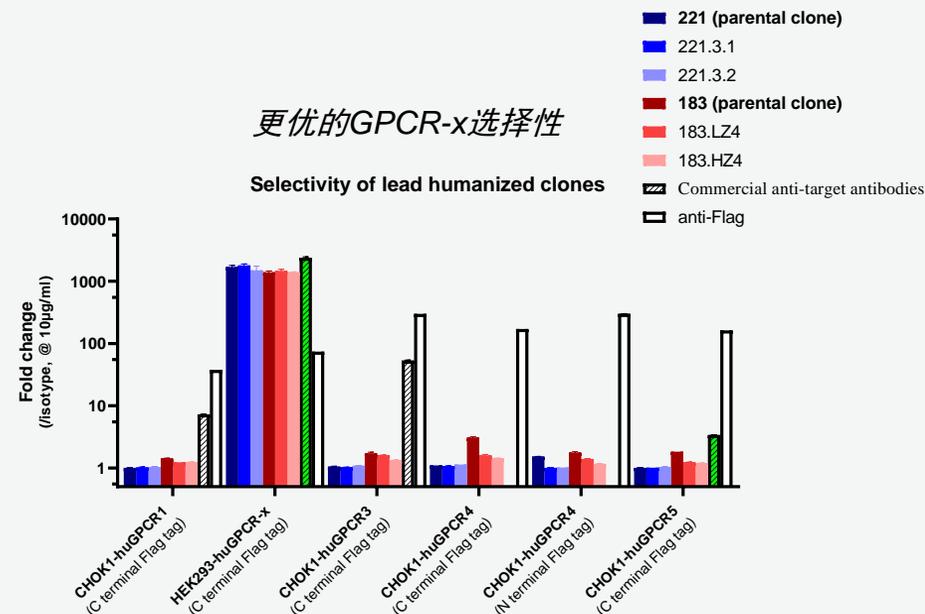
- 潜在同类首创

差异化分子设计



同类首创抗GPCR-x
ADC (DAR4 或 8)

临床前数据



初步临床开发计划

- 预计于2025年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗小细胞肺癌、三线治疗三级神经内分泌瘤/癌患者的II期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗小细胞肺癌患者，二线治疗神经内分泌瘤患者

CS5006 (全新靶点ADC)

具备同类首创潜力，预计于2025年递交IND

全新靶点ADC， 具备同类首创潜力

分子设计

- 基石药业专有抗体，具备较高的亲和性和选择性
- 经临床验证的连接子和毒素

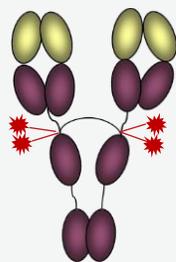
目标适应症

- 疾病覆盖广泛，包括非小细胞肺癌、头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等

竞争格局

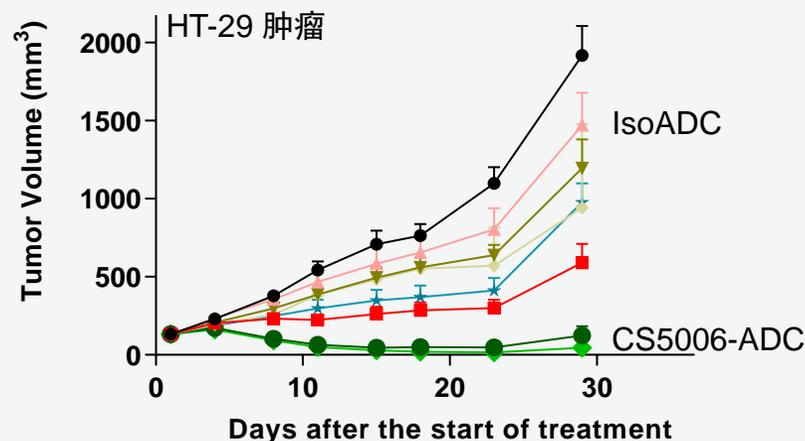
- 潜在同类首创

差异化分子设计



同类首创新靶点
ADC (DAR4 或 8)

临床前数据



初步临床开发计划

- 预计于2025年递交IND
- 快速上市临床试验：后线治疗头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等患者的II期单臂临床试验
- 全球III期临床试验：一线治疗非小细胞肺癌、头颈鳞状细胞癌、食管鳞状细胞癌等患者

02

研发管线近况

1. 关键临床项目
2. 早期创新管线
3. 商业化阶段项目

普拉替尼和艾伏尼布：通过建立合作最大化商业价值

借助合作伙伴在商业化方面的优势，最大限度实现产品的价值

商业化合作

普拉替尼
RET抑制剂



2023年11月8日

独家商业化推广协议



- 基石药业获得一笔首付款
- 基石药业获得中国大陆的销售收入，艾力斯从基石药业收取服务费
- 基石药业继续拥有中国大陆研发、注册等推广权之外的权益

地产化进展

地产化上市注册申请目前已提交CDE，未来获批后预计将实现70%以上生产成本降幅

开发和注册进展

	一线非小细胞肺癌	二线非小细胞肺癌	一线甲状腺髓样癌/ 甲状腺癌	泛瘤种 ^[1]
	已获批	已获批	已获批	II期临床中观察到出色疗效 (ORR: 57%)
	已获批	已获批	已获批	
	已获批	已获批	已获批	

中国大陆 中国香港 中国台湾

市场潜力

~70K

中国每年新确诊的RET突变肿瘤患者^[2]

艾伏尼布
IDH1抑制剂



2023年12月21日

独家权益出售



- 基石药业将获得总额5000万美元的付款
- 基石药业将大中华地区和新加坡开发、生产和商业化拓舒沃®（艾伏尼布片）的独家权利转让给施维雅公司



	急性髓系白血病		胆管癌
	复发难治性 ^[3]	一线治疗	
	已获批		
	已获批	已获批	已获批
		已获批	已获批

~45K

中国每年新确诊的IDH1突变肿瘤患者^[4]

[1]. 广泛适应RET+实体瘤，即结直肠癌、胃癌、乳腺癌、肝癌、宫颈癌、卵巢癌、食道癌和胰腺癌；[2]. Clarivate DRG, 2025；[3]. 国家药监局对该适应症的新药申请予以有条件批准；[4]. Clarivate DRG; Globocan 2020

阿伐替尼

同类首创KIT/PDGFRα抑制剂，有潜力用于PDGFRα外显子18突变胃肠道间质瘤以外其他适应症；合作伙伴协商中



~4.5万

中国每年新确诊的PDGFRα外显子18或KIT突变肿瘤患者^[1]

PDGFRα外显子18突变胃肠道间质瘤	<ul style="list-style-type: none"> 客观缓解率: 70%^[2]
晚期系统性肥大细胞增多症	<ul style="list-style-type: none"> 客观缓解率: 84% 24个月总体生存率: 87.7%
非晚期系统性肥大细胞增多症	<ul style="list-style-type: none"> 在TSS^[3]中呈现具有统计学意义和临床意义的改善
KIT D816或N822突变复发/难治性急性髓系白血病	<ul style="list-style-type: none"> 数据计划在会议/期刊上发表^[2]
KIT 17/18突变胃肠道间质瘤 (2L-4L)	<ul style="list-style-type: none"> 2L GIST中，中位PFS为19.3个月，ORR为36.4%^[2]

药物简介

合作伙伴 

研发与注册进展

胃肠道间质瘤		系统性肥大细胞增多症		KIT D816或N822突变复发/难治性急性髓系白血病
PDGFRα外显子18突变	KIT 17/18突变 (二线-四线)	晚期	非晚期	
	已获批	待与国家药品监督管理局药品审评中心讨论注册途径		在真实世界中观察到确认的疗效。正在进行研究者发起的试验，将被纳入诊疗指南
 Blueprint	已获批	通过回顾性分析看到强大的抗肿瘤活性且疗效优于标准治疗	已获批	
 Blueprint	已获批	已获批	已获批 	

生产与供应进展

地产化上市注册申请目前正在CDE审评中，获批后将实现50%以上生产成本降幅，预计于2024年底实现地产化供药

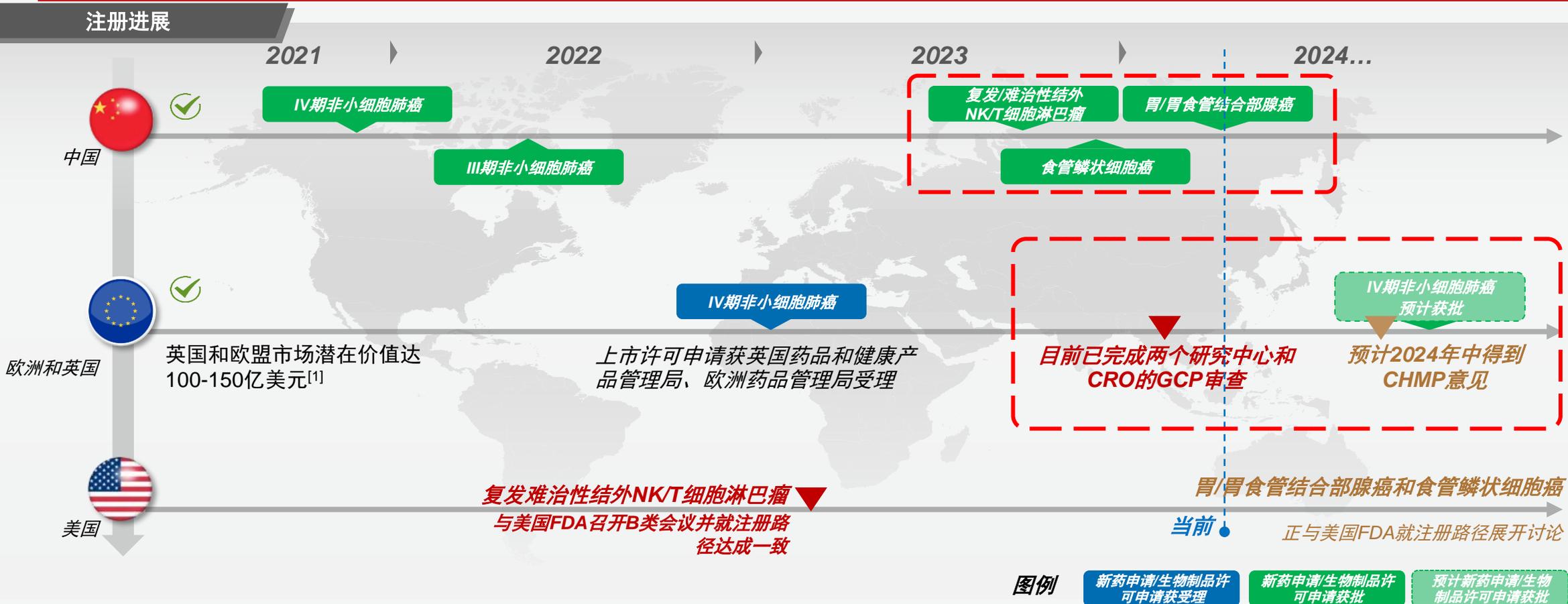
商业化进展

截至目前在 80+家 医院和DTP（直接面向患者的药房）列名 市场准入	NRDL 被纳入2023年国家医保药品目录 可负担性	实现 80%^[5] 检测率，通过与国家病理质控中心合作提高准确率 PDGFRα外显子18/KIT检测	纳入 5项 纳入全国性指南，包括中国系统性肥大细胞增多症诊疗指南 指南推荐
--	---	--	--

[1] Clarivate DRG, 2025; [2] 中国患者数据; [3] 总症状评分; [4] Blueprint Medicines and associated logos are trademarks of Blueprint Medicines Corporation; [5] 在前100家医院中
数据来源: ESMO 2021, ASH 2022, AAAAI 2023

舒格利单抗 (抗PD-L1单抗)

五项适应症已全部在中国获批；欧洲和英国的上市申请目前正在审评中；海外合作积极探索中



合作进展

海外合作正在积极探索中，预计将在2024年底达成多项协议

[1] 数据基于EvaluatePharma2021年7月数据和Cowen2019年12月对PD(L)1市场模型的更新

Abbr.: MAA = marketing authorization application; MHRA = the Medicines and Healthcare products Regulatory Agency; EMA = the European Medicines Agency

基石药业同时拥有成熟的商业化产品以及创新性研发管线，适应症覆盖广泛，具备快速增长的商业价值

~20万例
中国年发病数^[1]

200万例+
全球年发病数^[2]

500万例+
全球年发病数^[3]

精准治疗药物

- **普拉替尼**（商业化）
同类首创RET抑制剂
- **阿伐替尼**（商业化）
同类首创KIT/PDGFRα抑制剂
- **洛拉替尼**（临床试验中）
ROS1/ALK，与辉瑞联合开发

肿瘤免疫

- **舒格利单抗**（商业化）
PD-L1，首个获批用于III/IV期非小细胞肺癌“全人群”的PD-(L)1药物
- **Nofazimab**（临床试验中）
PD-1，PD-(L)1联合仑伐替尼一线治疗肝细胞癌的先行者
- **CS1002**（临床试验中）
CTLA4，与恒瑞医药联合开发，获得一线治疗晚期非鳞状非小细胞肺癌的IND批准

研发管线 2.0

- **CS5001**（临床试验中）
ROR1抗体偶联药物，在全球处于领先地位
- **CS2009**（临床前）
PD-1 x CTLA4 x VEGFα
- **CS5005**（临床前）
GPCR-x 抗体偶联药物
- **CS5006**（临床前）
全新靶点抗体偶联药物

03

财务亮点

2023年度财务业绩

合作收入大幅降低全年亏损，现金储备稳健

(百万元人民币)	2023年度	2022年度	变动
公司收入	463.8	481.4	-4%
药品销售收入 ^[1]	336.7	364.3	-8%
授权费收入	95.7	87.3	+10%
特许权使用费收入 ^[1]	31.4	29.8	+5%
运营费用 (非IFRS ^[2] 计量方法)	(872.8)	(1048.6)	-17%
研发费用 (非IFRS ^[2] 计量方法)	(534.7)	(559.2)	-4%
行政及销售费用 (非IFRS ^[2] 计量方法)	(338.1)	(489.4)	-31%
其他收入/其他收益及亏损	250.1	17.9	+1297%
其他收入	50.6	18.7	+171%
其他收益及亏损	199.5	(0.8)	+25038%
年度亏损 (非IFRS ^[2] 计量方法)	(330.2)	(760.7)	-57%

公司总收入为人民币4.64亿元

- 药品销售收入下降8% 至人民币3.37亿元
- 授权费收入增长10% 至人民币95.7百万元
- 特许权使用费收入增长5% 至人民币 31.4百万元
- 商业化毛利率^[1] 由49% 上升至 57%

2023年度亏损同比减少57%至人民币3.30亿元

- 受益于Ivosidenib许可证转让的净收益人民币1.79亿元，其他收益及亏损增加
- 三期注册性临床试验费用降低
- 受益于严格的成本控制措施，行政及销售费用降低

(百万元人民币)	2023年12月31日	2022年12月31日	变动
现金余额^[3]	1,026.7	1,042.1	(15.4)

现金余额超过人民币10亿元

- 相比于去年同期营运现金支出减少人民币21.9百万元 (2023年度: 人民币588.8万元, 2022年度: 人民币610.7万元)
- 股票增发和商务合作带来现金注入

[1] 商业化毛利率包括药品销售收入和特许权使用费收入产生的毛利率 2022年度: 人民币191.2百万元 (等于毛利总额人民币278.5百万元减去许可费收入毛利人民币87.3百万元), 占商业化收入的49%, 2023年度: 人民币208.6百万元, 占商业化收入的57%; [2] 国际财务报告准则, 非IFRS计量方法剔除某些非现金项目和一次性事件影响后的 (即股份支付费用) 当期损失; [3] 现金余额包括现金及现金等价物, 以及原始存期超过三个月的定期存款。

04

业绩展望

近期催化剂事件

	产品	催化剂事件	时间
关键临床项目	CS5001 (ROR1 ADC)	★ 在2024年ASCO、ESMO / ASH学术会议上公布I期临床数据	2024上半年 & 2024下半年
		★ 启动具备注册性临床潜力的Ib期临床研究	2024下半年
		★ 全球合作伙伴探索	2024/2025
研发管线2.0	CS2009 (PD1xCTLA4xVEGFa)	递交IND	2024下半年
	CS5006 (全新靶点ADC)	递交IND	2025
	CS5005 (GPCR-x ADC)	递交IND	2025
商业化阶段/ 晚期临床项目	舒格利单抗 (PD-L1)	★ 一线IV期非小细胞肺癌在欧洲上市许可申请的审评决定及海外合作伙伴探索	2024上半年
		★ 一线IV期非小细胞肺癌在英国上市许可申请的审评决定及海外合作伙伴探索	2024下半年
		一线胃/胃食管结合部腺癌上市申请在中国大陆获批 (已达成)	2024一季度
	普拉替尼 (RET)	地产化上市注册申请接受	2024上半年
	阿伐替尼 (KIT/PDGFRα)	地产化上市注册申请获批	2024下半年
	Nofazinlimab (PD-1)	预设OS最终分析数据读出及海外合作伙伴探索	2025上半年

★ 主要价值驱动因素

Abbr.: IND = investigational new drug; NDA = new drug application; ENKTL = Extranodal Natural KILLER/T Cell Lymphoma; NSCLC = non-small cell lung cancer; MAA = marketing authorization application; GC/GEJ = gastric adenocarcinoma/gastroesophageal junction adenocarcinoma; ESCC = esophageal squamous cell carcinoma; HCC = hepatocellular carcinoma



感谢聆听

C1



基石药业
JISHI
PHARMACEUTICALS

附录



经验丰富的管理团队



杨建新
M.D., Ph.D.

首席执行官兼研发总裁



Michael Choi
MBA

首席商务官兼首席战略官



史青梅
M.D., Ph.D.

首席医学官



喇玉娟
Ph.D.

产品开发负责人



廖敏
EMBA

商业部负责人



倪维聪
MBA, CFA

首席财务官



张英华

运营负责人





文件结束