



安基生技新藥股份有限公司
AnnJi Pharmaceutical Co. Ltd

與櫃前法人說明會
主講人：黃文英董事長

June 20, 2024

免責聲明



本簡報包含前瞻性陳述。過程中基於經營團隊目前的信念和期望會透過詞語如「將會」、「預計」、「打算」、「計畫」、「目標」、「相信」、「估計」、「潛在」、「持續」和「進行中」，或前述詞語的否定性用法，對未來情況作出描述。此類陳述包括但不限於，關於我們的商業策略、候選藥物及研發專案的開發計劃及與商業或策略合作夥伴進行交易的目標、產品候選藥物的安全性和效力、產品候選藥物臨床試驗的設計，時程、和結果的預期、監管申報和核准的計劃和預期時間安排、產品候選藥物市場的規模和增長潛力，以及我們在進入這些市場的能力。

此等前瞻性陳述是有關於未來事件，除了新藥開發本身的風險，亦取決於未來發生時的環境因素，包含但不限於價格波動、競爭情勢、國際經濟狀況、匯率波動、市場需求以及其他本公司無法掌控之風險等因素，所以必然含有其不確定性。

實際結果或事件可能與我們所作的前瞻性陳述中揭露的計劃、意圖和期望有實質性的顯著差異，因此您不應過度依賴我們的前瞻性陳述。本簡報中的前瞻性陳述代表我們截至本簡報日期的觀點。我們預期後續的事件和發展將導致我們的觀點發生變化。然而，儘管我們可能選擇在未來某個時間更新這些前瞻性陳述，但我們目前沒有此意圖，除非相關適用的法律如此要求。因此，在閱讀本簡報之後，請勿將這些前瞻性陳述視為代表我們在本簡報日期之後的任何時間所持的觀點。此處所包含的商標是其所有者的財產，且僅供參考之用途。此用途不應被視為對此處產品任何形式的背書。

Agenda

Section 1. ● 公司簡介

Section 2. ● 研發產品及市場分析

Section 3. ● 公司展望

Section 4. ● Q & A



AnnJi

安基生技新藥股份有限公司
AnnJi Pharmaceutical Co. Ltd

公司簡介

公司概況



成立日期	民國103年12月15日
實收資本額	新台幣935,745,390元
負責人	黃文英董事長
主要業務	新藥開發 - 主要產品線為治療神經、皮膚疾病及罕見疾病之創新小分子新藥

主要股東

前十大股東持股58.1%

- ★ 含國家資金挹注之基金
- ★ 中國信託銀行受託財產帳戶



員工人數	33人 (博士11,碩士13;學士9)
------	---------------------

2014
自國立台灣大學技轉授權
安基公司成立

2019
A輪募資: 台杉邀請黃文英博士
加入擔任董事長及總經理

2020
併購有聯生技
重整研發產品線及公司組織

2021
B輪募資: 新台幣4.35億元
完成AJ201臨床1期試驗

2022
AJ201榮獲國家新創獎
AJ303榮獲百靈佳獨角獸獎

2023
C輪募資: 新台幣6.6億元
AJ201於北美及歐盟地區之對外授權
安基公司榮獲台灣生物產協潛力標竿獎

AnnJi 



願景與使命

台灣專注於皮膚和神經
疾病之新藥研發之領航者

● 營運模式

- 專注於轉譯及選題，開發優質、創新且具市場區隔性的**小分子新藥**
- 慎重選題，積極臨床前轉譯，將新藥導入臨床概念驗證(POC)試驗
- 早期授權，與國際藥物開發及商業夥伴合作，實現銷售於全球市場的目標，以維持公司長期持續與穩定的成長。

● 新藥開發三大主軸

- **Nrf2 活化劑** - 治療 PolyQ 神經退化疾病
- **Histone Deacetylase 6 抑制劑 (HDAC6i)**
- 治療周邊神經病變及纖維化疾病
- **雄性激素受體降解促進劑** - 治療皮膚疾病

創新藥物發展分析



+69%

小分子
新藥

- 2023年美國FDA核准上市55個新藥，其中小分子新藥有38個，佔比約為69%

+20%

神經/皮膚
疾病領域

- 若依疾病領域分類，癌症用藥仍占第一(24%)，神經領域疾病用藥為第二(16%)，皮膚疾病用藥則佔4%。

+51%

罕見疾病

- 55個新藥中有28項新藥符合罕見疾病資格，佔總數的51%

安基開發的產品及疾病領域特質



AJ302



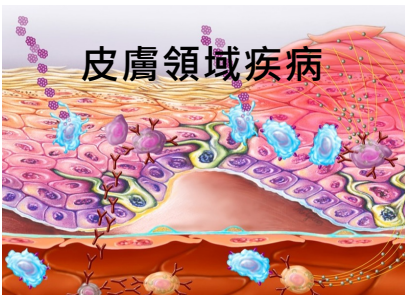
AJ303

罕見疾病



AJ201

AJ202



AJ101

● 神經/皮膚疾病

- 人口老化與環境污染，造成的慢性疾病的複雜度增加，醫療未滿足需求，多為慢性疾病，需長時期治療用藥
- 經常與其他慢性病共存，被誤診、忽視、甚至造成惡化
- 有可能是遺傳性疾病
- 小分子創新藥的優勢

● 罕見疾病

- 法規上特別輔導，加速/優先審查及市場專賣權的保護
- 各國保險 (私人及健保)均極重視，並有負擔機制
- 90% 的罕病尚無有效治療
- 病友會及KOLs的積極支持

- 無論是神經、皮膚、或罕見疾病，對病患及其家人之生活和社交品質均有重大影響，對家庭及社會經濟壓力甚大

安基研發產品線及進度



Mechanism of Action	Project Code	Indication	Discovery	Preclinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3
Nrf2 活化劑	AJ201	PolyQ 神經退化疾病: 甘迺迪氏症					
次世代 雄性激素受體降解 促進劑	AJ202	雄性禿					
HDAC6抑制劑	AJ302	化療引起之 周邊神經病變					
	AJ303	纖維化疾病					
轉譯研究	New-Candidates	新藥，新適應症					

Status as of Feb 2023
 Status in May 2024
 Status projected 4Q2025

安基的新藥開發實力與利基



內部實驗室分析驗證

● 藥物篩選及機轉驗證

- 細胞有效性試驗
- 動物有效性確認
- 血液中濃度與生體可用率確認

● 成藥性分析

- 物化性質可行性
- 市場研究

臨床前轉譯研究

● 建立PK/PD 關係

● 目標產品概況(TPP) 及開發策略設定

● IND-enabling試驗

- 動物毒理試驗
- 代謝安全性確認
- 臨床有效劑量預估
- 臨床試驗供料準備

人體安全/有效性驗證

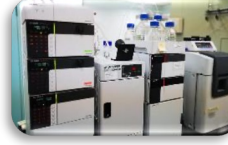
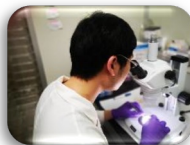
● 臨床計畫及法規策略

- FIH臨床試驗
- POC臨床試驗
- 連結KOLs & SMEs

● 優化、量化產品製造

● 合作開發與商務拓展

- 國際合作、研發
- 早期授權





**黃文英 博士
董事長暨總經理**

**PhD in Toxicology, Minor in
Pharmacology, NCSU, USA, 1993
BS in Pharmacy, National Taiwan
University, Taipei, Taiwan, 1978**

- 在新藥研究、選題、轉譯醫學研究、產品開發、產品組合管理、全球藥品註冊與商業發展有40年的豐富經驗，對皮膚、免疫及神經疾病領域尤其深入。擅長評估新藥機轉及其商業化的潛力，曾主導多項藥品、醫材、化妝品開發策略規劃，技術平台整合，管理多元、跨國團隊，成功的領導多個新藥從候選藥物篩選、臨床前開發、臨床試驗到產品上市。
- 領導開發及商品化的產品包括: Imigran®, Zantac®, Evoclin®, Verdeso®, Olux® -E Cream, Carac® Cream, Benzamycin® Pak, BenzaClin® Topical Gel, Penlac® Nail Lacquer, Psorcon® E Ointment and Cream, Vanamide® Cream, Sculptra® Injectables, and NALDEBAIN® ER injection
- 2013 年底從葛蘭素史克(GSK)退休回國接任順天醫藥生技股份有限公司(順藥)總經理暨執行長，2016年9月成功帶領順藥於櫃買中心登錄上櫃，並於2017、2018年取得長效止痛新藥的藥證及國際商業授權協議，為台灣新藥開發產業，建立成功研發及商業銷售的新範例。



經營團隊



陳耀武 博士

臨床前研究暨轉譯醫學處 研發副總

20多年轉譯研究以及臨床開發經驗，特別專注於罕見疾病藥物之開發。



Howard Hughes Medical Institute



黃敬倫 醫師

臨床醫學處 資深處長

超過15年全球臨床試驗設計、臨床安全監控、臨床試驗執行及臨床醫療事務。



李展榮 博士

藥物開發處 處長

超過15年藥物劑型開發經驗，包括針劑、口服與外用劑型。



于怡文 藥師

專案、法規暨臨床執行處 處長

超過15年新藥項目專案評估與藥物開發專案管理經驗。



China Medical University Hospital





AnnJi

安基生技新藥股份有限公司
AnnJi Pharmaceutical Co. Ltd

研發產品線及市場分析

The background of the slide is a collage of medical-related items. On the left, there are surgical instruments like scissors and scalpels, along with a container of yellow pills and a pill dispenser. On the right, there is a stethoscope and a smartphone displaying the time 08:15. The central part of the image is covered by a semi-transparent teal rectangle where the text is located.

AJ201

治療甘迺迪氏症的Nrf2 Activator

Nrf2 Activator for the Treatment of
Spinal Bulbar Muscular Atrophy
(SBMA), also known as
Kennedy's Disease

AJ201的亮點



甘迺迪氏症病症未被滿足的醫療需求與市場預估



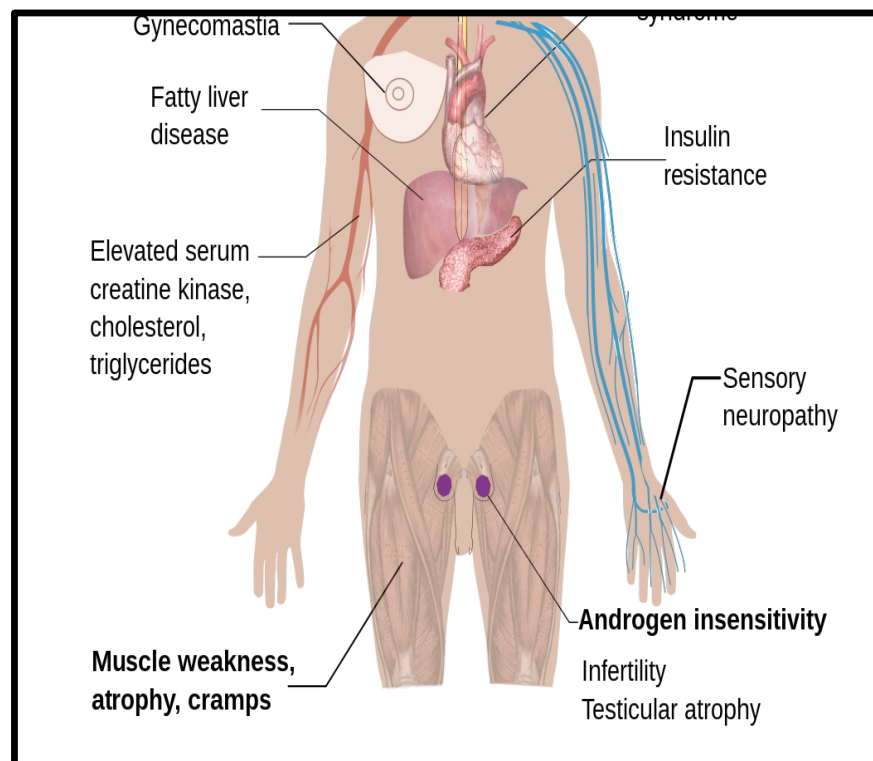
病徵

好發於30-50歲的男性，臨床症狀包括漸進性肌肉抽筋，無力及萎縮，吞嚥困難及說話含糊的現象。最後往往會因噎到，引起吸入性肺炎或因跌倒引發骨折、感染等併發症而致死。

預估藥價

在美國上市的小分子孤兒藥的藥價中位數高達206,176美元/病患/年。日本及歐洲之藥價則落在美國價格的60%-70%之間

超越肌肉和神經元的多系統疾病



目前沒有 FDA / EMA 批准的治療方法！

病患預估人數

全球平均男性發病率大約估計為1/40,000男性。使用突變頻率建模得出的盛行率估計為1/6,887。加拿大Saskatchewan省之原住民的盛行率甚至高達 14.7/10萬人 **(Founder Effect)**

預估市場

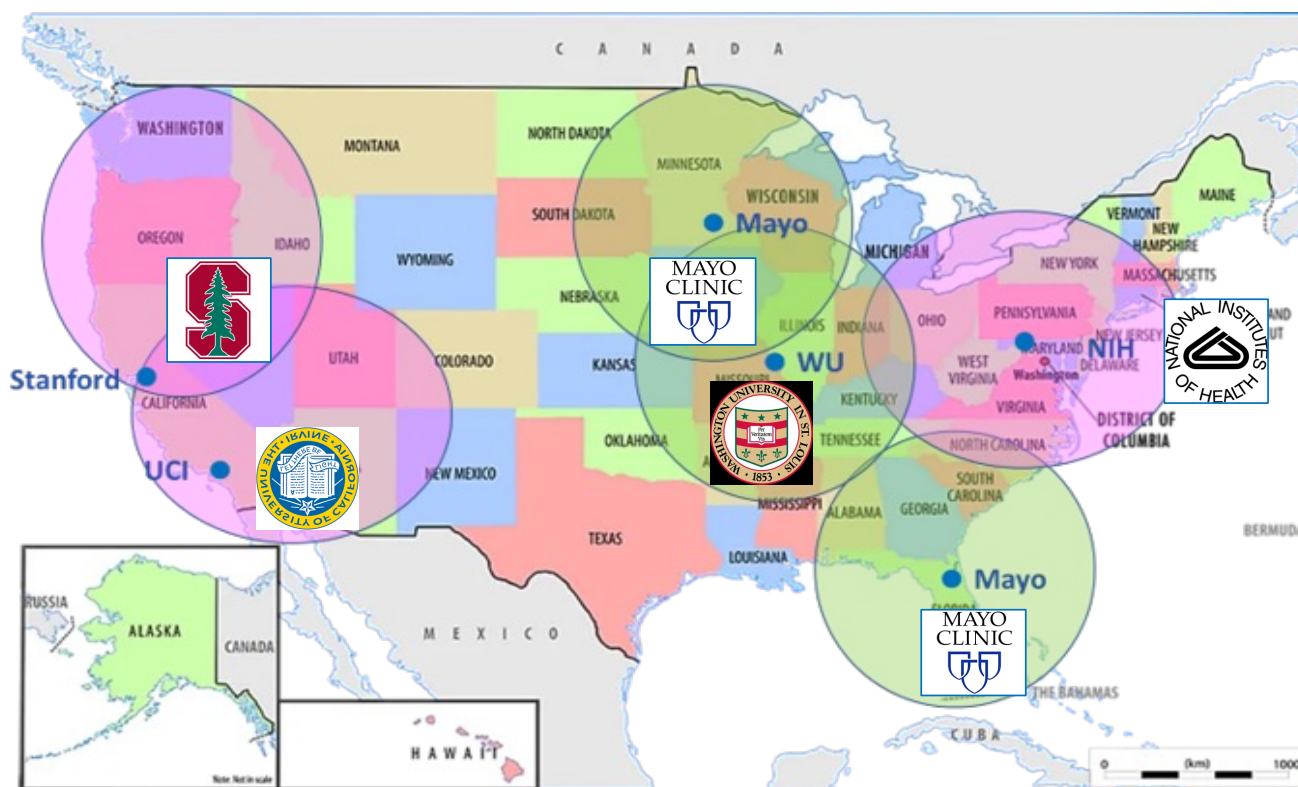
若AJ201成為全球第一個有效治療SBMA的新穎藥物，保守估計全球有12,000名病患接受治療，可創造出每年達15億美金以上的新藍海市場。

https://en.wikipedia.org/wiki/Spinal_and_bulbar_muscular_atrophy

SBMA 病人 多中心、雙盲、隨機臨床2a試驗



- 臨床試驗中心: 美國六大醫學中心
- 收案: 24位SBMA患者
- 劑量: 600 mg per day
- 治療期間: 12週 (LPLV 2024 年 5 月)
- 研究目的:
 - AJ201在 SBMA 患者的安全性和耐受性
 - 治療前後肌肉雄性激素受體蛋白的變化
 - AJ201吸收到體內的濃度排泄速率
 - 確定適當的臨床效益評估



ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05517603

AJ201: First-in-Class Treatment for SBMA



AJ201 for PolyQ Diseases

作用機轉	活化Nrf2; 促進AR 蛋白降解
給藥方式	口服懸浮液; 一天1-2次
其他適應症	PolyQ-相關神經退化性疾病，包括亨丁頓氏症 (Huntington's Disease)及小腦脊髓萎縮症 (Spinocerebellar Ataxia)



- 榮獲2022年度國家產業創新獎
- 於5個月內完成美國Phase 1/2a 臨床試驗SBMA病患收案
- 已取得 SBMA (美國 FDA 和 EMA) 、HD (美國 FDA) 和 SCA (美國 FDA) 孤兒藥資格
- 2023 年 2 月以 最高可達2.5 億美元完成美國和歐洲授權。授予 Avenue Therapeutics開發和商業化權利，該授權案目前已經收到 950萬美元。
- 洽談日本、中國和其他地區的合作夥伴加入加速全球臨床開發計劃

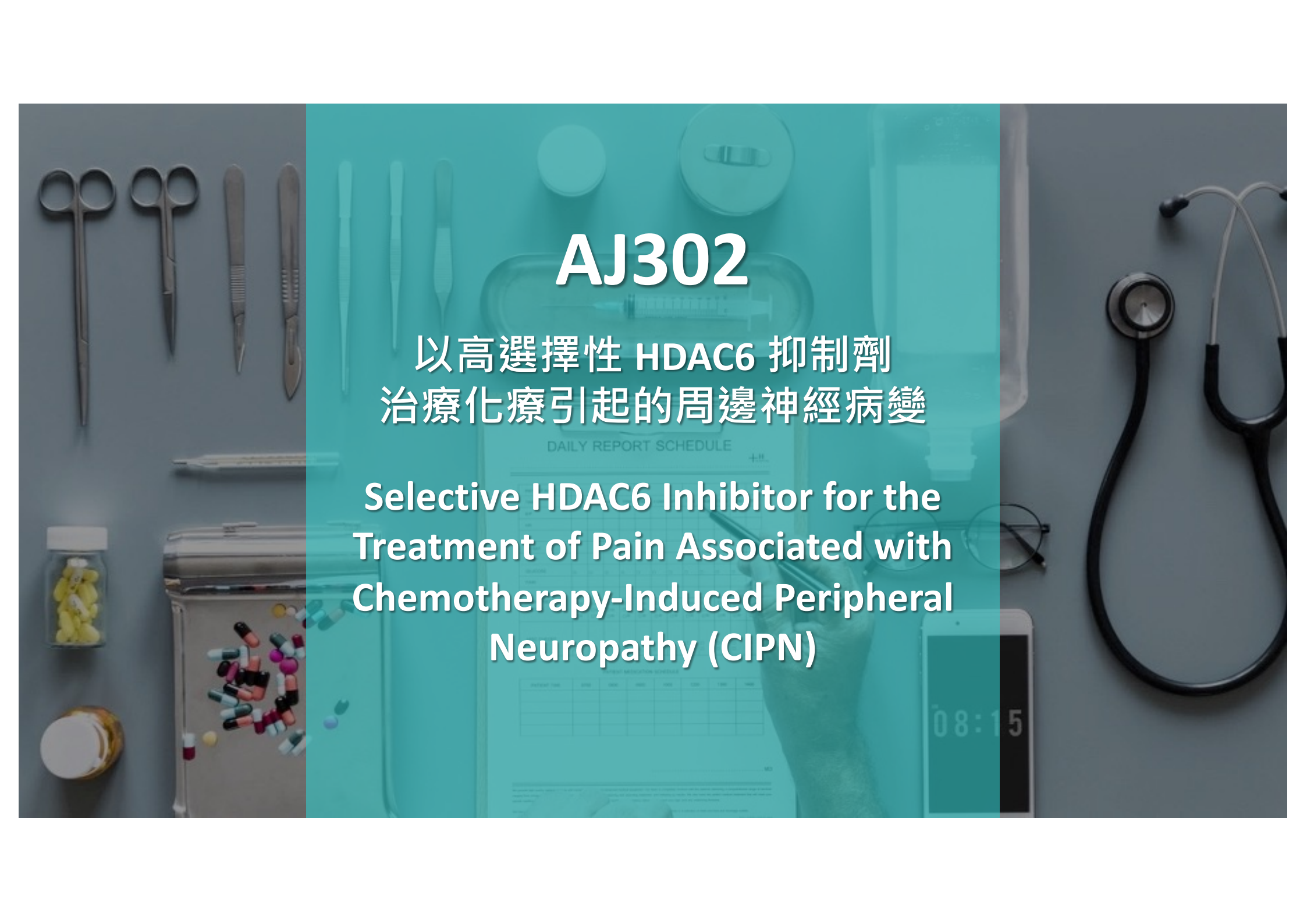
AJ201-Nrf2市場矚目

Biogen 以**73億美金**收購
Reata Pharmaceuticals

著眼於

SKYCLARYS®
(omaveloxolone) 50 mg
capsules

- **Reata** 公司成立於**2002**年，致力於研究口服抗氧化和抗發炎藥物，公司專注於調節轉錄因子調節性蛋白質的藥物創新機制作用，包括Nrf2。
- **SKYCLARYS® (omaveloxolone)**是一個Nrf2 activator；於**2023/2/28** 取得美國FDA核准上市
- 使用於治療**Friedreich's ataxia (FA)**，一種罕見的遺傳性小腦萎縮症。在美國的發生率約**1/40,000**，與**SBMA**發生率相當。
- **SKYCLARYS®** 的每年藥物費用高達**37萬美元**；去年第四季銷售額達到**5,600萬美元**。今年第一季產品已有超過**1,100**名患者使用，銷售額達到**7,800萬美元**(全美僅約**6,000**名患者)
- **AJ201**將用於治療**甘迺迪氏症**，與**FA**同樣為神經系統損傷和運動失調罕見疾病，全球年銷售額可達到**15億美元**以上。

The background of the slide is a grayscale photograph of medical supplies, including surgical scissors, scalpels, a stethoscope, a syringe, and various pills, arranged on a dark surface. A semi-transparent teal rectangle is centered over the image, containing the text.

AJ302

以高選擇性 HDAC6 抑制劑
治療化療引起的周邊神經病變

Selective HDAC6 Inhibitor for the
Treatment of Pain Associated with
Chemotherapy-Induced Peripheral
Neuropathy (CIPN)

AJ302 的亮點



First-in-Class 優勢
- 尚無法規核准的
CIPN 治療藥物

高選擇性的
HDAC6 抑制可
減少脫靶毒性

逆轉疾病動物之
CIPN異常性疼痛

安全安定的
長效劑型

2025年預期
啟動臨床二期

CIPN-未被滿足醫療需求與市場



● CIPN 對生活品質和治療預後有深遠影響



68% 的患者在化療第一個月內出現周邊神經疼痛;嚴重的副作用經常造成病患無法再接受更高劑量與更長期的藥物治療，導致藥物劑量調整和癌症治療中斷的主要原因之一。



30%的CIPN病患演變為慢性神經疼痛。肌肉虛弱疼痛，產生四肢電流感，對疼痛感覺異常、造成病患日常生活中的許多不便，嚴重降低生活品質。



每年新增癌症病例將增至2,600萬例；其中約有53%患者需要化療。



根據RESEARCH AND MARKETS，CIPN治療市場規模將從2024年的16.5億美元成長到2028年的22.5億美元，年複合成長率預計可達8%。

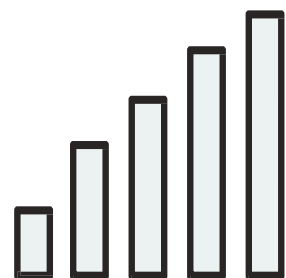
● 目前針對治療或預防CIPN仍然沒有FDA或EMA核准的藥物!

AJ302: First-in-Class Treatment for CIPN



AJ302

作用機轉	高選擇性組蛋白去乙醯化酶 6 (HDAC6) 抑制; 促進紫杉醇損傷的背根神經節中微管蛋白乙醯化
給藥方式	長效肌肉注射
其他適應症	糖尿病周邊神經病變及帶狀皰疹後神經病變



Development Status

- 動物試驗顯示它介導週邊神經的修復和減輕神經性疼痛，挽救紫杉醇誘導的CIPN有持續效果
- 全球專利佈局完整 (2044)
- 2024 在美國進行人體臨床1期試驗
- 2025 啟動臨床2期試驗



HDAC6備受市場矚目

諾華斥12億美元取韓藥廠
HDAC6抑制劑
鍾根堂股價暴漲26%
(2023年11月8日環球生技)

- CKD 公司原專注於CKD-510用於治療CMT (Charcot-Marie-Tooth 氏症)以及心房顫動等疾病之開發。 CMT是一種罕見疾病遺傳性周邊神經病變疾病，而心房顫動是心律不整的一種，心房會快速而不規則的跳動。
- CKD-510於2022年在美國完成健康受試者1期臨床試驗。 Novartis於2023/11/6 以12億美金取得CKD公司之HDAC6抑制劑開發權; 並於2024/1/8在JPM發布CKD-510首先將專注在開發心血管相關疾病之治療。
- 安基AJ302同為HDAC6抑制劑，可用於神經及組織纖維化之相關疾病領域，包括化學治療引起的周邊神經病變及特異性肺纖維化等，預計今年在美啟動1期臨床試驗。

The background is a top-down view of a medical workspace. On the left, there are surgical instruments: two pairs of forceps and two scalpels. Below them are small vials of yellow and white capsules, and a pill organizer filled with various colored pills. On the right, a stethoscope is visible. In the center, a teal semi-transparent rectangle contains the text. Behind the text, a hand is seen writing on a 'DAILY REPORT SCHEDULE' grid, and a smartphone displays the time '08:15'.

AJ303

以高選擇性 HDAC6 抑制劑
治療特發性肺纖維化 (菜瓜布肺)

Selective HDAC6 Inhibitor for
the Treatment of Idiopathic
Pulmonary Fibrosis (IPF)

獲得百靈佳獨角獸獎



- HDAC6選擇性抑制被認為是治療IPF的新標靶; AJ303 可能透過調節促發炎細胞因子的表達、上皮間質轉化 (EMT) 和 ECM 沉積來改變纖維化的進展，
- AJ303 在臨床前研究中因其具有良好的抗纖維化和抗發炎活性而被認為具有治療 IPF 的潛力。

IPF-未被滿足醫療需求與市場



- IPF 病程變異性大、難以預測，且死亡率高，五年存活率僅20-40%
- 早期診斷與治療可以改進預後；常伴隨合併症，這些合併症的治療及提供藥物以外的全面性輔助療法是治療IPF重要的一環
- 目前除了 Pirfenidone 和 Nintedanib, 没有其他FDA或EMA核准治療IPF的藥物!



IPF 是一種罕見疾病，在美國有20萬以上的病人，每年診斷出約58,000 新病例。在16個主要醫藥市場中，2023年診斷病例數>49萬例，2028年預計診斷>55萬病例。



IPF是一種進行性衰弱性的肺部疾病，典型特徵包括逐漸出現的呼吸短促、進行性呼吸困難以及乾咳。現有藥物可以幫助減緩某些人的疾病進展, 但無法治癒。



特發性肺纖維化特徵是不明原因的肺部疤痕。長期預後較差。自診斷 IPF 起，平均存活期為 2-5 年



全球特發性肺纖維化市場於2020已超過31億美元，估計2030將達到62億，2021-2030複合年增長率為7%。

The background of the slide is a top-down view of a medical workspace. On the left, there are surgical instruments including two pairs of forceps and two scalpels. Below them are small vials of yellow capsules and a pile of various colored pills. On the right, a stethoscope is visible. In the center, a teal semi-transparent rectangle contains the text. Behind the text, a hand is seen writing on a 'DAILY REPORT SCHEDULE' form, and a smartphone displays the time '08:15'.

AJ202

治療雄性禿的頭皮噴劑

Androgen Receptor Degradation Enhancer for Topical Treatment of Androgenetic Alopecia (AGA)

雄性禿未被滿足醫療需求與市場



病患

雄性禿影響全球約 50% 的男性，其中白種人患病率最高，約 20 歲以後發病，有家族傾向，掉髮部位為額至頂部的頭皮毛髮。女性雄性禿表現為額部至頂部的毛髮廣泛性稀疏。是個長期被注意卻未有令患者滿足的治療選擇。

病徵

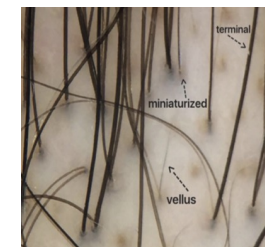
病理機制主要涉及遺傳、荷爾蒙和頭皮環境等多個因素。這些因素導致毛囊逐漸萎縮和頭髮生長周期縮短，導致頭髮變得稀疏、變細並最終停止生長。

已上市產品

產品	落健(Minoxidil)	柔沛(Finasteride)
副作用	使用初期會引起嚴重掉髮；引起頭皮敏感問題，導致頭皮發癢或頭皮屑增多	導致性慾下降、勃起功能異常、不孕症等
治療效果	5%溶液：兩個月內有效生髮 2%溶液：四個月內有效生髮 生長有報導指出，長期使用會產生耐受性	明顯的毛髮生長需要>6個月 有報導指出，長期使用會產生耐受性。
上市劑型	滴劑、洗髮精、泡沫噴劑	口服

預估市場

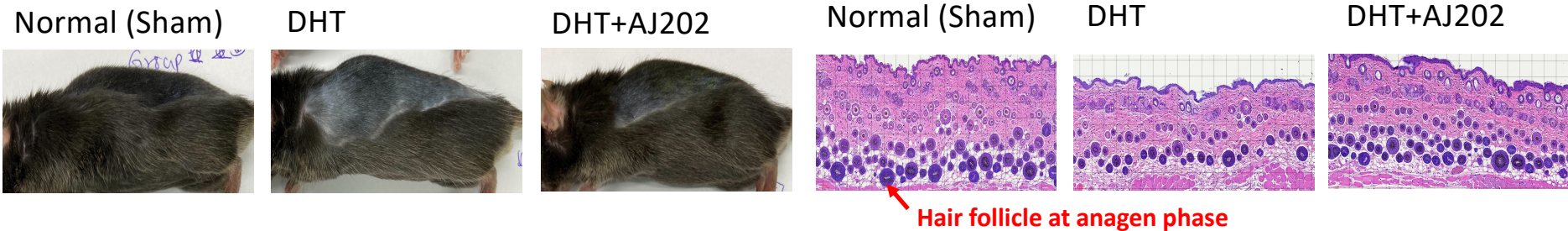
2023年，全球雄性禿市場規模估計為27.2億美元，預計將以8.45%的複合年增長率(CAGR)增長。



AJ202的機轉及開發現況



- 身體中的具活性的雄性激素為二氫睪固酮 (dihydrotestosterone, DHT) 會與頭皮上的雄性激素接受體 (androgen receptor, AR) 結合。這種結合過多時會導致頭髮毛囊縮小，並縮短頭髮生長期。這會使頭髮變短而細，甚至脫落至完全沒有毛髮。
- AJ202可增強AR的降解，減少頭皮中過高的AR活性，促進DHT處理後的小鼠的毛髮生長。



- 開發頭皮滲透局部給藥配方
- 取得體外和體內潛在功效的證據
- 2025 年提交IND，進入臨床1b/2a試驗



AnnJi



安基生技新藥股份有限公司
AnnJi Pharmaceutical Co. Ltd

公司展望

公司未來目標



近期目標

- AJ201臨床解盲
- 完成AJ201日本及ROW授權
- AJ302啟動臨床1期人體試驗

中長期目標

- AJ302完成臨床1/2期(POC)試驗
- AJ302完成海外授權
- AJ202完成臨床2a試驗
- AJ201取得美, 歐, 日藥證
- 成立新案, 茁壯產品線

總結



- 台灣大學育成中心孕育之新藥公司，致力於創新小分子新藥之轉譯研究，臨床前試驗及早期臨床驗證
- 專注於皮膚、神經及罕見疾病領域的研發產品線具市場廣大商機
- 表現優異：
 - 成功展現有聯合併的綜效
 - 獲頒臨床前新藥【百靈佳-獨角獸獎】、臨床後專案【國家新創獎】及【潛力標竿獎】皆能獲獎之小分子新藥公司。
 - 早期授權，已簽立最高可達2.5 億美元之授權合約，2023年已認列超過新台幣1億元之營收。
- 具有高度向心力和執行力之專業經營團隊。

Q & A

