

股票代號: 7754

AnnJi 

**安基生技新藥股份有限公司
法人座談會-公司簡報**

2026年04月08日

Apr 2026

- 本簡報包含**前瞻性陳述**。過程中基於經營團隊目前的信念、預測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，以及我們進入這些市場的能力。
- 此等**前瞻性陳述**是基於現況未來事件的預期，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時的觀點。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，我們目前並沒有此意圖，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智慧財產，且僅供參考之用途。此用途不應被視為對此處揭示之產品或服務為任何形式的背書。



公司簡介

成立日期	民國103年12月15日
實收資本額	新台幣 1,007,277,890元 (增資後)
負責人	董事長暨總經理 黃文英 博士
主要業務	新藥開發 - 治療神經、皮膚疾病及罕見疾病之創新小分子新藥
員工人數	34人 (博士12 ; 碩士13 ; 學士9)

獲國家資金挹注之基金及專業生技創投共同支持



- 自國立台灣大學
技轉授權
- 安基公司成立

- 併購有聯生技
- 重整研發產品線及公司組織

- AJ201榮獲國家新創獎
- AJ303榮獲百靈佳獨角獸獎

- AJ302啟動臨床1期試驗
並榮獲國家新創獎
- 登錄興櫃 (股票代號7754)

- 完成2.925億元現金增資
- 準備AJ201臨床三期試驗
計畫書以進行法規送審



2014

2019

2020

2021

2022

2023

2024

2025

2026

A輪募資: 10M USD

台杉邀請黃文英博士加入擔任董事長及總經理

B輪募資: 15M USD

完成AJ201臨床1期試驗

C輪募資: 22M USD

- 啟動AJ201臨床2a期試驗
- 榮獲台灣生物產協潛力標竿獎

AJ201

- 臨床1b/2a期試驗多項指標顯示正向治療效果
- 取得US FDA 快速審查資格

AJ302

- 完成首次人體臨床試驗

2025臺北生技獎

- 「創新技術獎-製藥組」銀獎
- 「臺北生技之星」

專業經驗豐富且高度投入的經營團隊



黃文英 博士

董事長暨總經理



陳耀武 博士

臨床前研究暨轉譯醫學處
研發副總



黃敬倫 醫師

臨床醫學處
資深處長



李展榮 博士

藥物開發處
處長



葉俊彥 CPA

財務長



楊哲權 博士

事業發展處
副處長



于怡文 藥師

專案法規暨臨床執行處
資深處長





蘇裕惠 博士

東吳大學會計學系專任教授

台新藥、樺漢科技、
聚陽實業獨董

台灣大學商學研究所博士



張振武

中央研究院生醫轉譯研究中心
諮詢專家董事

太景醫藥、台睿生物科技獨董；安邦生技董事

- 諾華公司亞洲區總裁
- 輝凌醫藥亞太、中東、非洲區資深副總裁



康照洲 博士

台灣醫藥品法規學會理事長
陽明交通大學食安所教授

台新藥、友霖生技、
瑩碩生技獨董

- 厚生會罕病權益促進會主委
- 衛生署食品藥物管理局局長



劉景平 博士

臺北醫學大學藥藥物科學教授
臺北醫學大學新藥開發研究中心主任

創益生技董事

- 台大醫學院藥學研究所博士
- 臺北醫學大學藥學院院長

臨床療效指標顧問



葉瑋忻 博士

- AESARA-卓越中心負責人
- 前台灣羅氏醫療體系解決方案群組負責人
- 具橫跨不同市場的新藥開發經驗，涵蓋早期至上市後各階段，並與臨床、法規及產業關鍵利害關係人密切合作

法規顧問



洪筱玲 博士

- 前必治妥國際法規資深總監
- 前嬌生製藥北美法規總監
- 具逾20年藥業經驗，專精法規策略與研發，成功推動多項首創藥物與突破性療法自臨床前至上市獲批

業務開發顧問



莊司隆一 先生

- 曾任職於大正製藥與富士藥品，累積逾 40 年藥業國際業務經驗
- 派駐歐洲與美國，負責設立國際辦事處並主導多項臨床試驗計畫
- 完成超過 20 項跨國授權交易，合作夥伴包含諾華、衛采等國際藥廠與創投機構

藥物開發顧問



陳豈禮 博士

- 為波士頓生技產業的CMC顧問，在多家機構累積超過17年的CMC經驗。他在藥物從早期開發到後期註冊申報階段均具備豐富的支持與管理經驗並曾協助三個研發項目成功被大型投資機構及製藥公司收購



Christopher Grunseich, M.D.

- 於美國國家衛生研究院 (NIH) 累積逾15年神經遺傳學與神經肌肉疾病研究經驗，為脊髓延髓性肌肉萎縮症 (SBMA) 領域頂尖專家，成功執行多項臨床試驗與自然病史研究



勝野雅央 医学博士

- 現任日本名古屋大學醫學院院長，為聚麩醯胺酸疾病臨床研究的國際權威，發表逾 400 篇論文，並主導 SBMA 小鼠模型開發及 Leuplin SR® 於日本取得 SBMA 新藥核准之關鍵臨床研究



Vissia Viglietta, M.D., Ph.D.

- 具備深厚的臨床開發與醫務事務 (Medical Affairs) 背景，曾於 Nido Biosciences 擔任醫療長 (CMO)。亦曾於多家全球生技醫藥公司擔任臨床開發高階主管；並於 Amgen 與 Biogen 擔任多項全球醫藥研發要職



研發產品線進展與策略

甘迺迪氏症首創療法

AJ201

多重藥理與先進製藥技術結合的首創小分子新藥

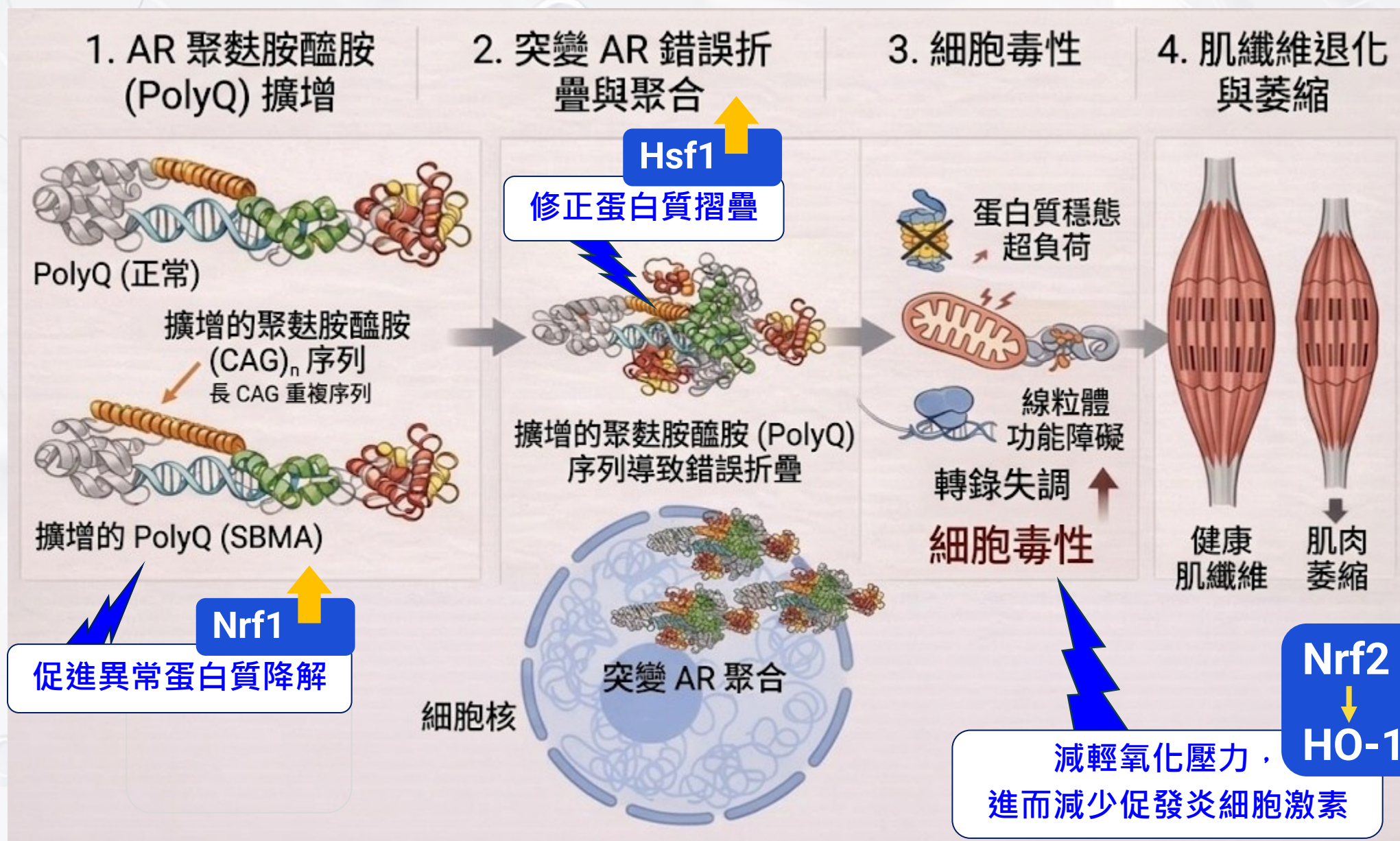


AJ201

**Rosolutamide 600 mg
Oral Granules**



Ann Ji Pharmaceutical Co., Ltd.



- 自患者脛前肌活檢樣本之核內蛋白集中萃取檢測突變型雄激素受體(mAR)，數據顯示出**過半AJ201受試者(9/17)**之前脛肌中的mAR降低至少**50%**，相較於安慰劑組患者僅有17% (1/6)有同樣明顯現象
- 核內 mAR 蛋白降幅最大的五名受試者皆屬 AJ201組

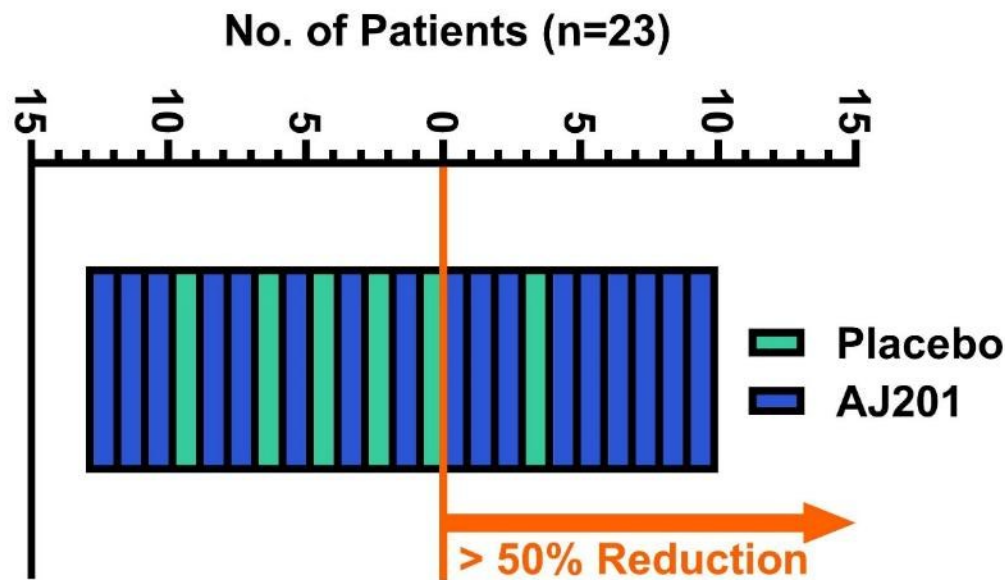
- SBMA病人前脛肌檢體之RNA 定序分析結果驗證AJ201的多重藥理機轉
 - 活化 Nrf2 訊息傳導路徑 ($p < 0.05$)
- 不僅如此，AJ201 也調控其他與SBMA疾病機轉相關的分子路徑。這些基因表現的變化顯示 AJ201 在整體SBMA致病機轉過程中的多重作用，包括：

提升

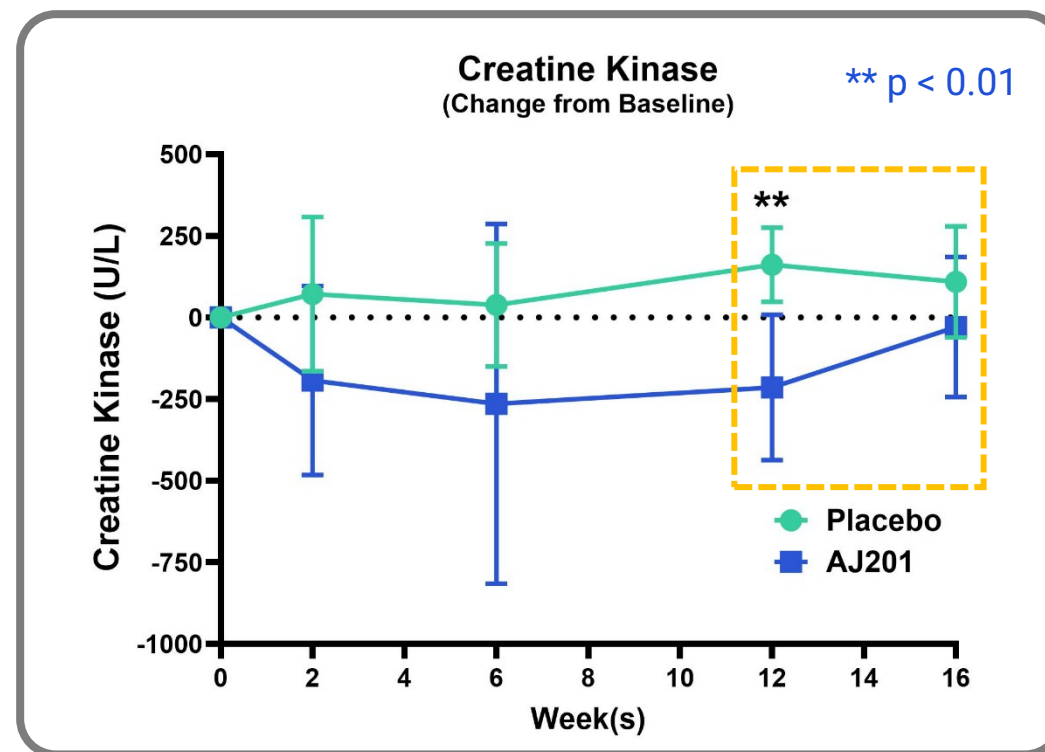
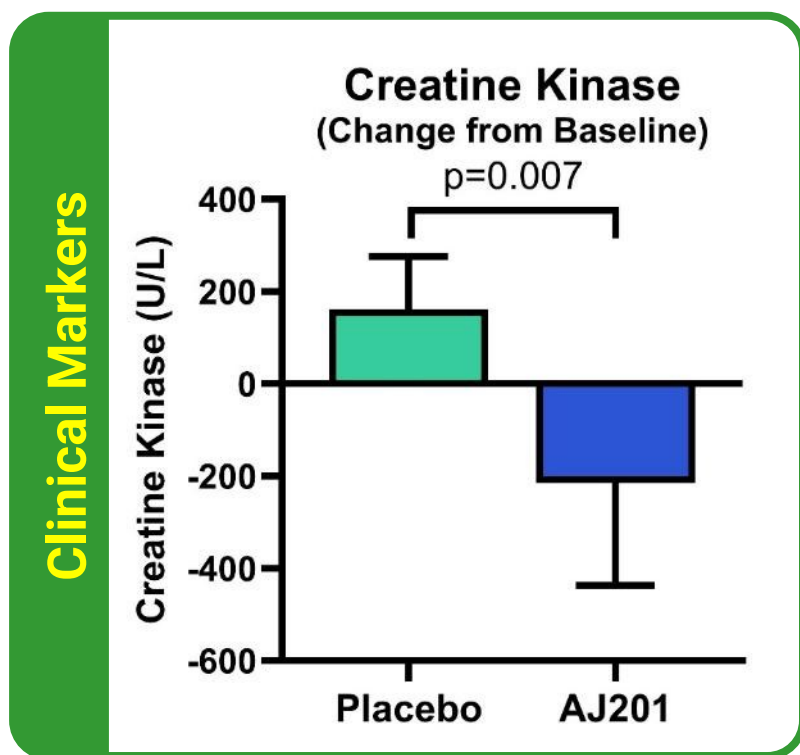
- 肌生成作用 (Myogenesis)
- 核醣體生物合成 (Ribosomal Biogenesis)
- 粒線體功能 (Mitochondrial Activities)

降低

- 發炎反應 (Inflammatory Response)



- 平均而言，與治療前相比，AJ201受試者經12週投藥後 (EOT)，血清肌酸激酶(CK)下降 214.5 U/L
- 停藥四周後，CK隨即回升到原本的水平，推論AJ201的確有發揮保護肌肉受損的效用



n=25, 17 patients received AJ201 and 8 received placebo

AJ201: 二十年來首次顯示SBMA患者在功能性評估中有正向結果

- 依據自然病程(natural history) 的研究(Huggett et al., 2024) · SBMA患者每半年平均:

6MWT行走距離**減少17.8公尺**

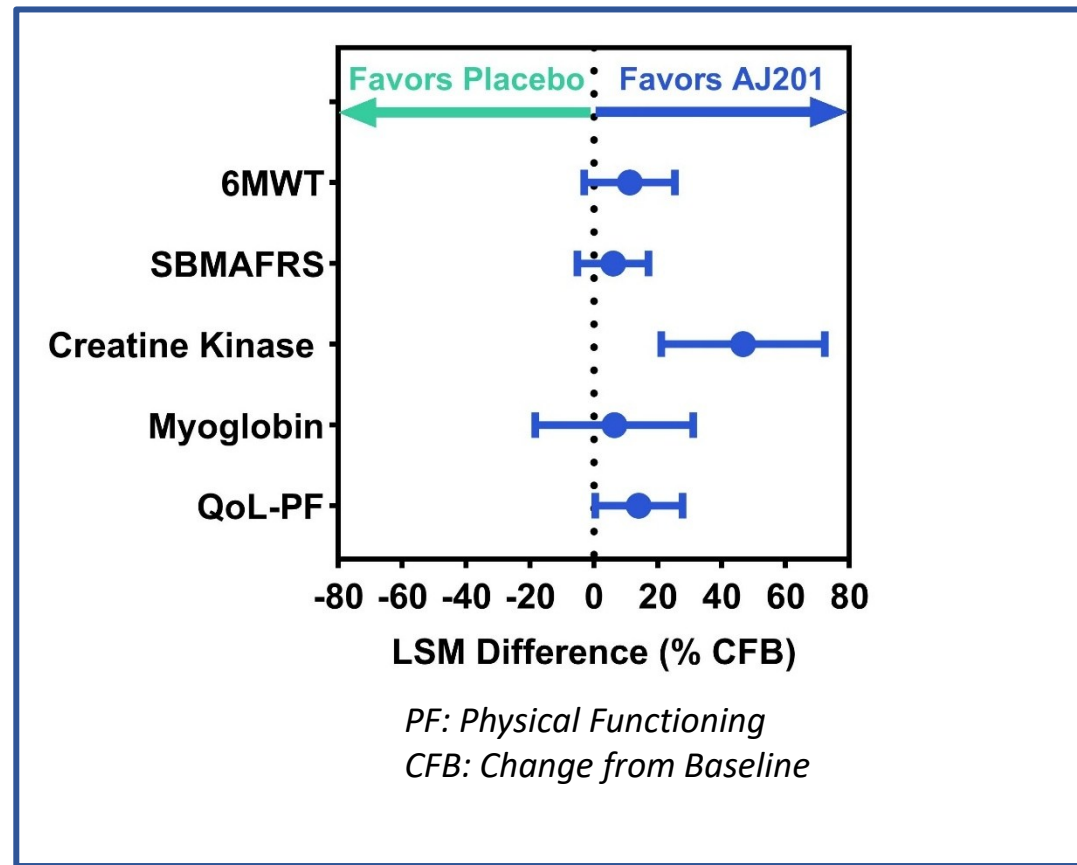
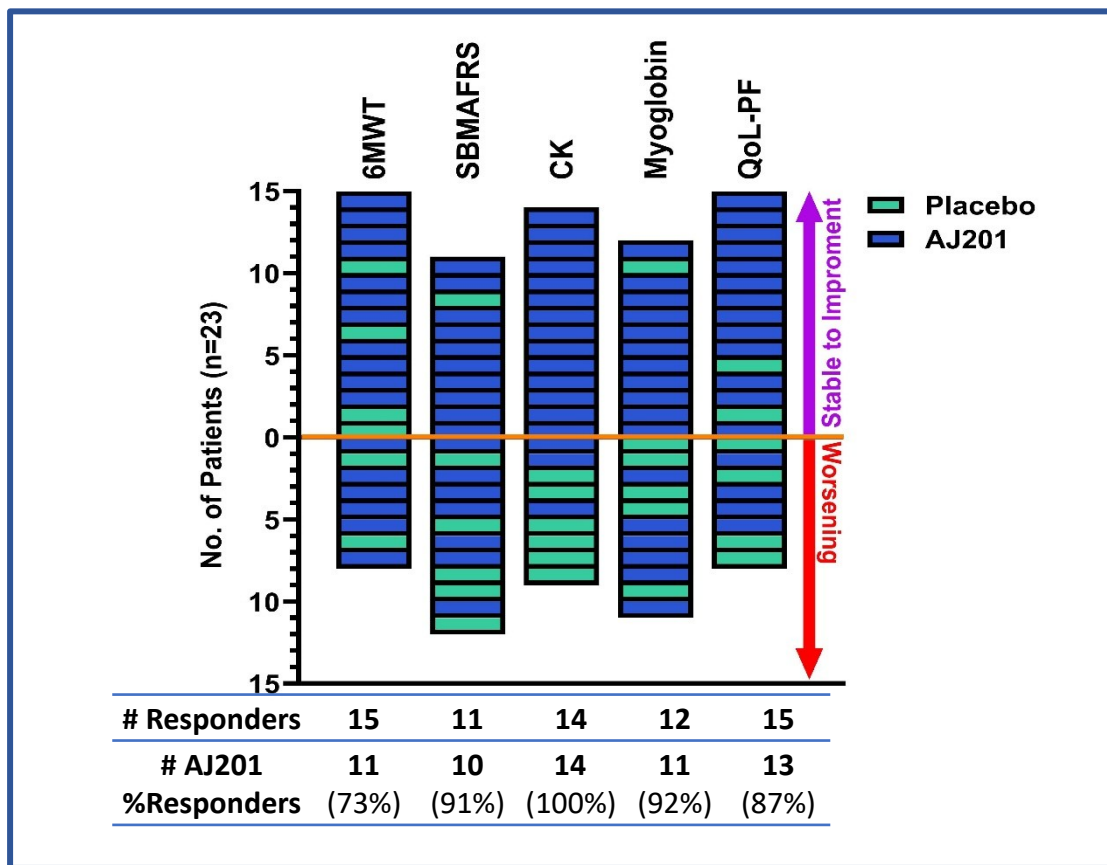
SBMA功能評估量表 (SBMAFRS)分數**降低1.2分**

- 平均而言Phase 2a之AJ201受試者經12週投藥後 (End of Treatment, EOT)相對於試驗治療前(baseline) 有正向效果

6MWT行走距離**增加 17.6公尺**

SBMA功能評估量表分數**提升 0.8分**

患者自評量表體能部分**改善3.6分**







GRANT FAST TRACK

Annji Pharmaceutical Co., Ltd.
US Agent: Shawna Richards
Syneos Health Global Headquarters
Manager, Global Regulatory Affairs Solutions
1030 Sync Street
Morrisville, NC 27560

Dear Shawna Richards:

Please refer to your investigational new drug application (IND) submitted under section 505(i) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act for AJ201.

We also refer to your August 28, 2025, request for Fast Track designation. We have reviewed your request and concluded that it meets the criteria for the Fast Track designation. Therefore, we are designating as a Fast Track product AJ201 for the treatment of spinal and bulbar muscular atrophy. Please note that if the clinical development program you pursue does not continue to demonstrate that the product meets the criteria for Fast Track designation, the application will not be reviewed under the Fast Track program.

快速通道認定

(Fast Track Designation, FTD)

旨在促進新藥的加速開發和審查

依據 *FDA Guidance for Industry Expedited Programs for Serious Conditions* 新藥需具備以下認定資格：

- 用於治療嚴重或危及生命的疾病
- 證明有潛力滿足尚未滿足的醫療需求
- 提交確切臨床開發及執行計劃



MEMORANDUM OF MEETING MINUTES

Meeting Type: Type B
Meeting Category: End of Phase 2

Videoconference Date and Time: [REDACTED]

Application Number: [REDACTED]

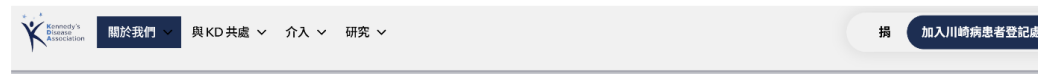
Product Name: AJ201

Proposed Indication: Treatment of spinal-bulbar muscular atrophy (SBMA)

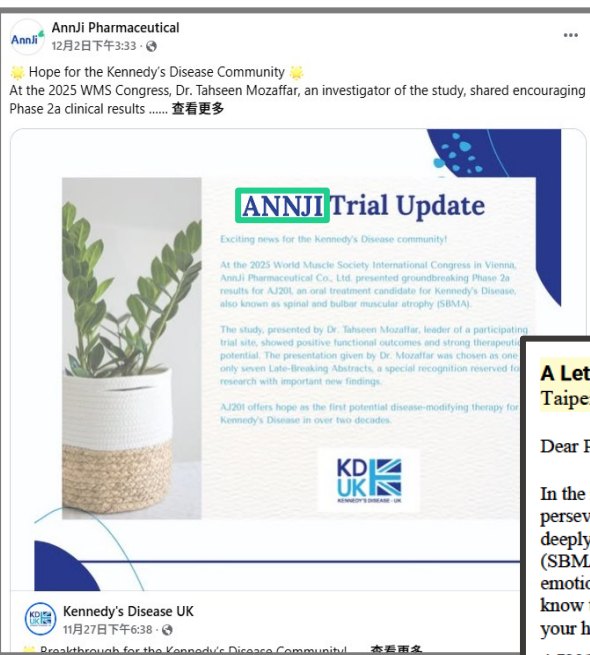
Sponsor Name: AnnJi Pharmaceutical Co., Ltd.

Regulatory Pathway: 505(b)(1) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act

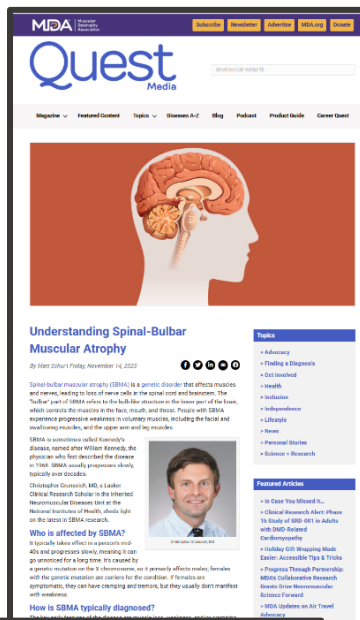
FDA ATTENDEES



2025年10月27日 Annji公司展示了AJ201在甘迺迪氏症臨床試驗中令人鼓舞的結果



群迎來令人興奮的消息！在維也納舉行的 2025 年世界會上，安吉製藥有限公司公佈了其口服肯尼迪氏症候破性 2a 期臨床試驗結果。甘迺迪氏症又稱脊髓延髓肌病的研究中心負責人塔赫辛·莫扎法爾博士發表的研究顯性結果和強大的治療潛力。莫札法爾博士的報告被選「最新研究摘要」之一，這是一項專門授予具有重要新藥。症帶來了希望，成為二十多年來第一個可能改變疾病



A Letter from the CEO: Annji's Steadfast Commitment to the SBMA Community Taipei, Taiwan – January 5, 2026

Dear Patients, Caregivers, and Advocates,

In the rare disease community, progress is never measured only in milestones or data—it is measured in perseverance, hope, and the daily strength of patients and families. At Annji Pharmaceutical (Annji), we deeply understand that the journey toward an effective treatment for Spinal and Bulbar Muscular Atrophy (SBMA/Kennedy's Disease) is a long and often uncertain marathon. We recognize the profound physical, emotional, and personal toll this disease places on individuals and their loved ones, and we want you to know that your resilience continually inspires our work. We share your urgency, your determination, and your hope for meaningful progress.

AJ201: A Path Forward Built on Trust

Since AJ201 first entered clinical development, we have been humbled by the trust you have placed in our science and in our team. Following the successful completion of our Phase 2a study, AJ201 has emerged as the most advanced first-in-class therapeutic candidate currently in development for SBMA. Our clinical results validated the proposed mechanism of action of AJ201—activating Nrf2 to reduce oxidative stress and promoting the degradation of toxic mutant androgen receptor (mAR). Importantly, we observed encouraging positive signals in both the 6-Minute Walk Test (6MWT) and the SBMA Functional Rating Scale (SBMAFRS) along with a manageable safety profile after only 12 weeks of treatment. These findings, together with the recent FDA Fast Track Designation, reinforce our belief that AJ201 holds real promise and that we are moving in the right direction.

2026 KDA年會



主持「病友與家屬論壇」，與全球病友及照護者深度交流，深化其對於AJ201高度信心



與歐美日三地頂尖醫療專家交流，深化未來合作，為臨床三期奠定堅實基礎

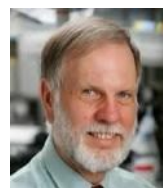
領域專業巨擘



Dr. Chris Grunseich



National Institutes of Health



Dr. Kenneth H. Fischbeck



National Institute of Neurological Disorders and Stroke



Dr. Tahseen Mozaffar



Dr. Albert R. La Spada



Dr. Alan Pestronk



Dr. Bjorn Oskarsson



Dr. John Day



Dr. Eric Sorenson



Dr. Masahisa Katsuno



Dr. Carlo Rinaldi



Dr. John Vissing



Dr. Davide Pareyson



Dr. Gianni Sorarù



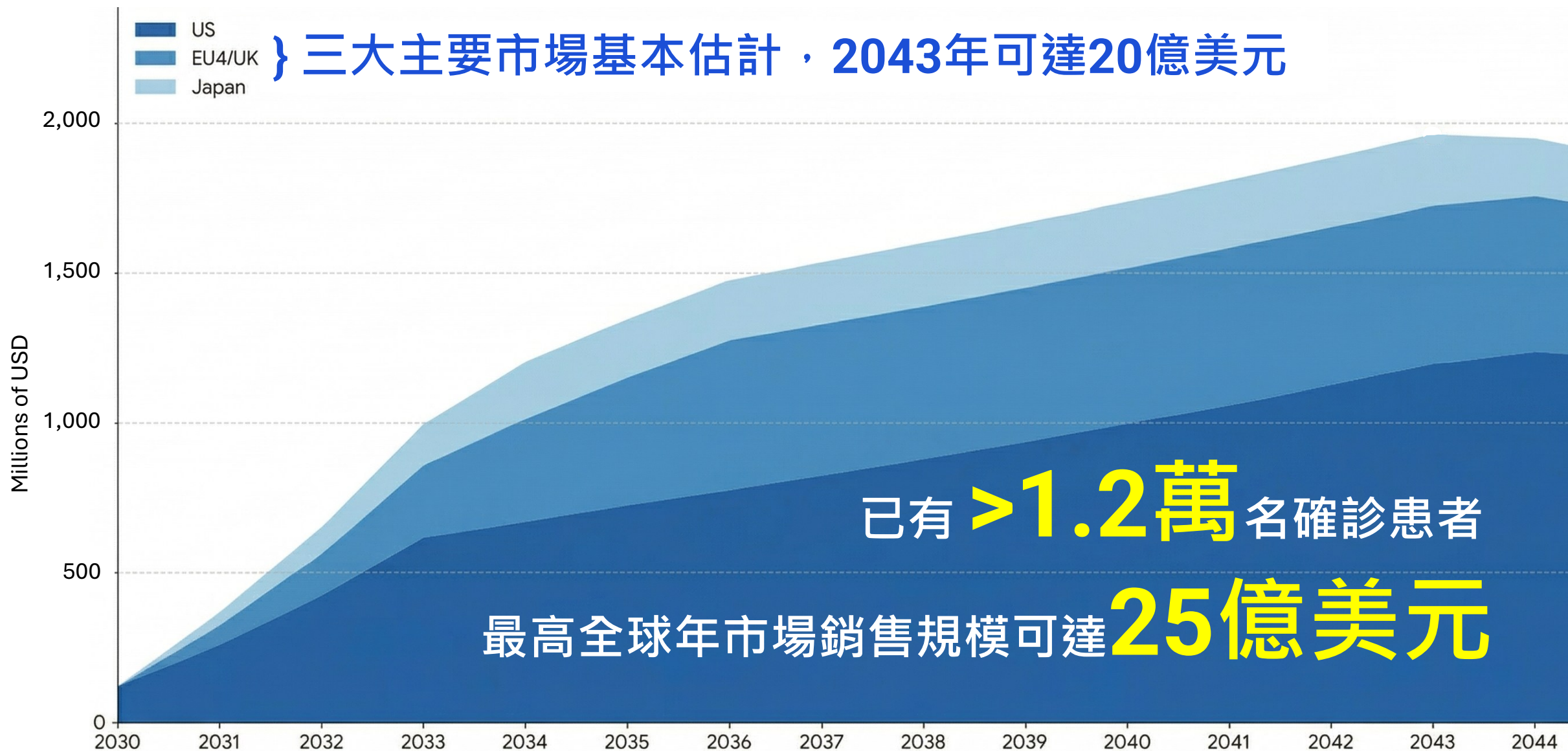
國際病友組織



台灣醫、研、病友網絡



三大主要市場基本估計，2043年可達20億美元



已有 **>1.2萬** 名確診患者

最高全球年市場銷售規模可達 **25億美元**

“美國市場提供具吸引力的商業機會，預計到2044年可達約12億美元營收，成長動能來自醫師處方信心提升、長期用藥行為穩定、價格上行以及診斷率擴大。”

「...定價區間應屬合理，可將AJ201的價格錨定於**可比的罕見神經肌肉疾病療法**，特別是Skyclarys及其他類似神經系統疾病治療產品...」

Pharmacy Director, Blue Cross Blue Shield of Michigan

「...此定價具可接受性，因其與同類神經肌肉疾病藥物相符，且**填補了目前缺乏有效療法的治療空缺**...」

Medical Director, Blue Cross Blue Shield of California

策略顧問公司L.E.K最新調查報告 - Global commercial opportunity for AJ201 in Kennedy's disease

Recently Approved Small Molecules for Rare Neuromuscular Diseases

藥品名稱(美國上市年度)	AJ201	Skyclarys (2023)	Evrysdi (2020)	Daybue (2023)
公司	安基 (AnnJi)	百健 (Biogen)	羅氏 (Roche)	Acadia
適應症	脊髓延髓性肌肉萎縮症 (SBMA)	弗里德賴希氏共濟失調 (Friedrick Ataxia)	脊髓性肌肉萎縮症 (SMA)	雷特症候群 (Rett Syndrome)
每年治療費用 (USD)	~400K	~380K	~340K	~1,000K
美國患者總數	~5,000人	~5,000人	~10,000人	~7,500人
2025美國市場總營收 (USD)	-	310.6M	738.7M	391.4M
2027全球銷售預測* (USD)	-	714.7M	2,507.7M	537.4M

對標藥物資料來源：策略顧問公司L.E.K最新調查報告 - *Global commercial opportunity for AJ201 in Kennedy's disease*

*: Bankers' Forecast, data collected by Bloomberg Terminal

高選擇性HDAC6抑制劑：

兼具抗纖維化與神經修復的高價值資產

完成首次人體試驗，建立單劑量肌肉注射的安全性、耐受性、藥動及藥效機轉

一期臨床安全性結果良好

- 最高至 500 mg 的單次注射均**維持良好安全性與耐受性**
- 僅出現輕度注射部位反應，無與藥物相關的嚴重不良事件
- 生理檢查、心電圖及各項臨床檢驗皆未出現有意義的異常變化

藥動與藥效結果支撐產品機轉

- 顯示符合緩釋設計的藥動特性，曝藥量隨劑量呈等比例增加
- **α -微管蛋白乙酰化程度隨劑量提升，支持 AJ302 的藥效機轉**

後續研發與商業策略

- 計畫探索最快進入臨床開發的路徑，並同步推動國際授權合作

AJ302

化療引起的周邊神經炎
(CIPN)

AJ303

特發性肺纖維化
(IPF)

AJ305

蟹足腫
(Keloid)

2030 年全球市場預估規模

47 億美元

54.6 億美元

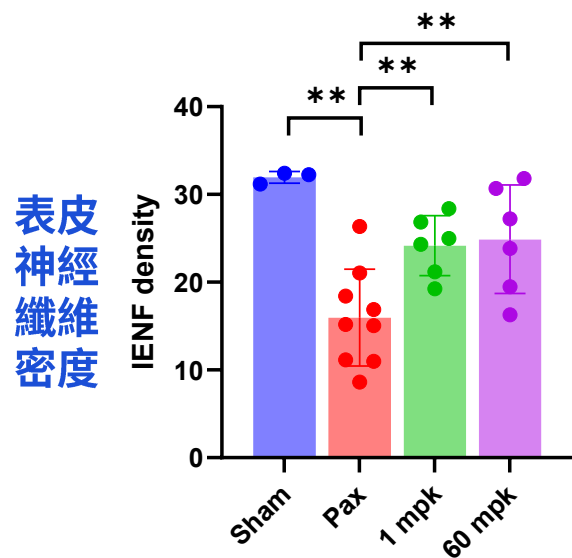
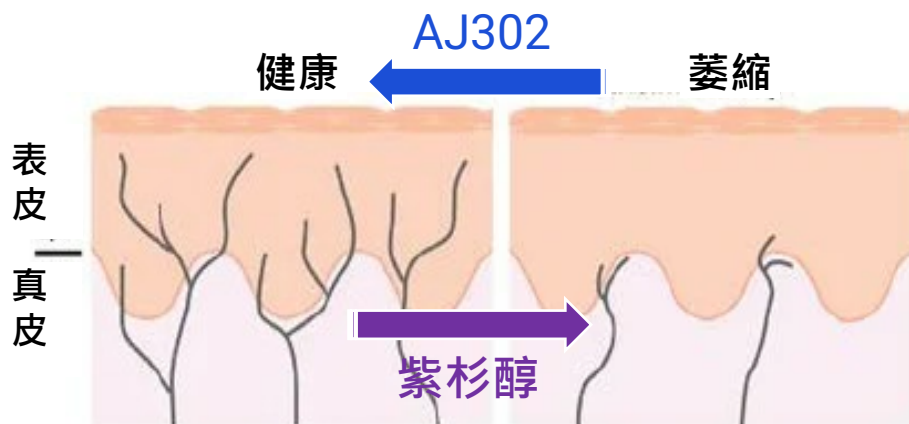
53.7 億美元

HDAC6抑制劑如何作用

高選擇性精準鎖定
細胞質內蛋白(如 α -Tubulin)
具高藥理作用與安全性

調節細胞骨架穩定性
阻斷 TGF- β (誘導發炎因子)
抑制組織發炎及纖維化進程

逆轉因化療藥物-紫杉醇所誘導的神經元退化

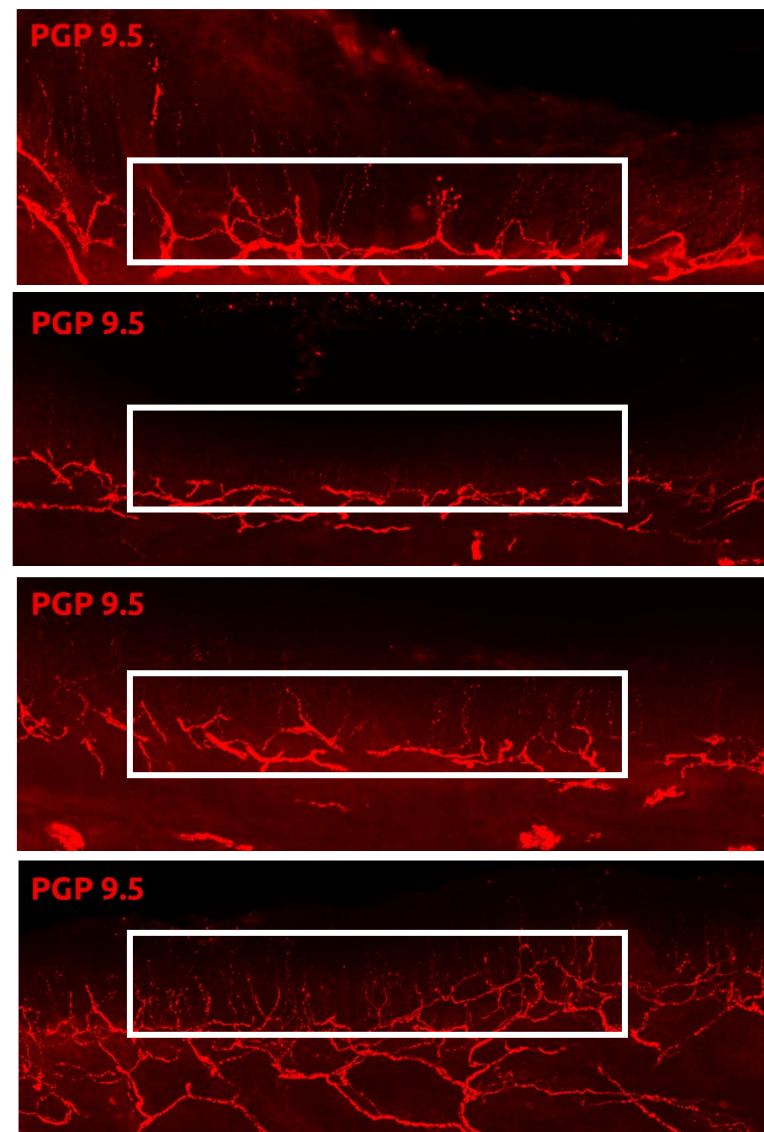


健康控制組
(Sham)

紫杉醇
(Pax)

AJ302低劑量
(1 mpk)

AJ302高劑量
(60 mpk)



TGF- β 1 過度活化



專有技術 訊號傳導
機制 (know-how)

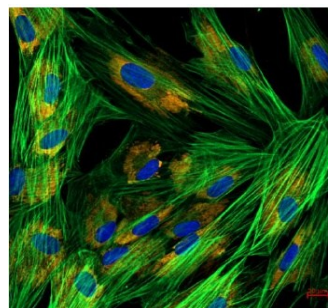


普通細胞失控分化
為肌成纖維母細胞

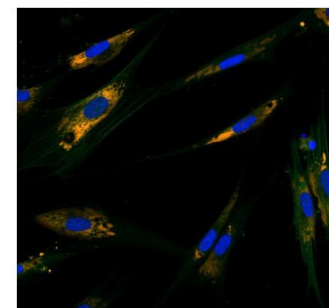


產生大量纖維
導致肺部變硬

AJ303 抑制TGF- β 1誘導之纖維母細胞-肌纖維母細胞轉化

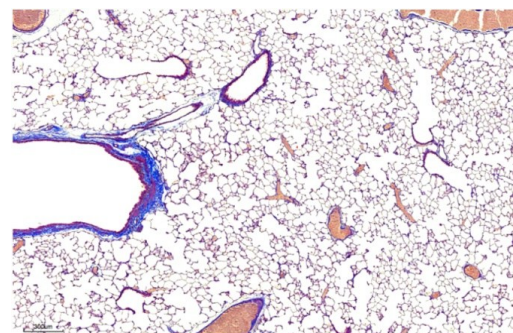


TGF- β 1

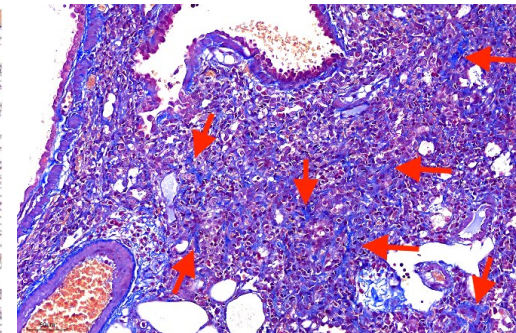


TGF- β 1+AJ303

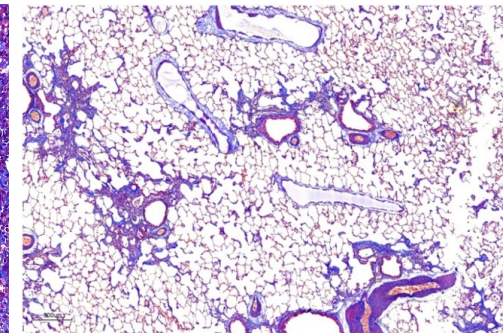
AJ303 可減緩bleomycin誘導之大鼠肺部纖維化程度



健康肺部切片



未給予藥物治療



給予AJ303

TGF- β 1 過度活化



促進纖維母細胞增殖
膠原蛋白過量生成



異常纖維化
疤痕細胞失控增生



蟹足腫持續變大



TGF- β 1 過度活化



抑制訊號傳導機制
專有技術(know-how)



抑制纖維母細胞活化
減弱纖維化能力



抑制異常疤痕形成



未來展望

2026展望

- 立基AJ201於甘迺迪氏症首見正向臨床試驗結果及先行者新藥優勢，全力衝刺國際授權
- 完善高選擇性HDAC6抑制劑系列產品線的競爭力，尋找最快進入市場的路徑
- 擴充新適應症，引進新專案，增加產品線多樣性，創造公司永續成長動能
- 推動執行公司上市（櫃）掛牌目標



專注擅長的疾病領域

- 神經、皮膚、罕病



開發高潛力新藥產品

- 同類首創（First-in-class）及同類最佳（Best-in-class）的創新小分子（NCEs）新藥



目標導向、提昇產品價值

- 自臨床前（Pre-IND）、具備IND申請資格（IND-enabling）、首次人體試驗（FTIH）至概念驗證（PoC）人體試驗

**Thank
You**
