

安基生技新藥股份有限公司

法人說明會

為尚無有效療法的疾病，開發創新小分子藥物
攜手國際夥伴，加速惠及全球病人，共創長期價值

October 15, 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。

- 01** 公司概况
- 02** **AJ201：領航新藥 (Leading Asset)**
- 03** **HDAC6 平台：創新接棒**
- 04** **未來展望**



公司概況

成立日期	民國103年12月15日
實收資本額	新台幣1,011,305,390元
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	33人 (博士11；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



2014

2019

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

- 併購有聯生技
- 重整研發產品線及公司組織



2020

B輪募資: 15M USD

完成AJ201臨床1期試驗



2021

- AJ201榮獲國家新創獎
- AJ303榮獲百靈佳獨角獸獎



2022

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



2023

- 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)



2024

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**」



2025

- 完成EoP2諮詢
整合全球法規策略
- 開展AJ201美國臨床三期試驗

2026



研發總覽：近期、中期與長期價值並存



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

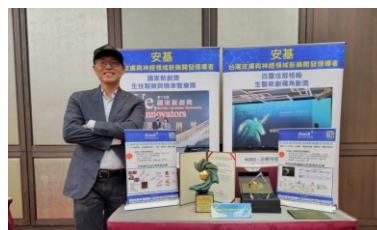
- 為波士頓生技產業的CMC顧問，在多家機構累積超過17年的CMC經驗。他在藥物從早期開發到後期註冊申報階段均具備豐富的支持與管理經驗並曾協助三個研發項目成功被大型投資機構及製藥公司收購



臺北生技獎AJ201 台北生技之星
暨「創新技術獎-製藥組」銀獎



AJ302
國家創新獎「企業創新」獎



台灣傑出生技產業
潛力標竿獎



AJ303
百靈佳殷格翰獨角獸獎



AJ201：國家新創獎

2026

「世界肌肉學會2025國際年會」最新突破研究

安基新藥AJ201登上世界肌肉學會年會 脊髓延髓肌肉萎縮症治療現曙光

2025.10.13 / 16:08 / 工商時報 杜蕙蓉

#脊髓延髓肌肉萎縮症 #臨床 #世界肌肉學會

安基生技 (7754) 13日表示，旗下治療脊髓延髓肌肉萎縮症 (SBMA，又稱甘迺迪氏症) 的創新療法 AJ201，於世界肌肉學會 (World Muscle Society, WMS) 會中發表轉譯醫學與臨床試驗最新成果，並以臨床二期試驗 (Phase 2a) 結果入選為今年僅有的七項「最新臨床突破研究」 (Late-Breaking Oral Abstract) 之一，獲邀進行口頭報告，成為全場焦點。

2025

2024



獲總統府接見「112年度傑出生技產業獎」

2023

2022





AJ201：領航新藥 甘迺迪氏症 (SBMA)首創療法

病因

SBMA 為 X 染色體連鎖遺傳疾病，因雄激素受體（AR）基因的 CAG 重複序列異常擴增，產生突變 AR 蛋白 (mAR)，於細胞內累積，導致運動神經元與骨骼肌進行性退化。

病程

SBMA 多於中年發病，緩慢進行；肌肉無力由下肢逐漸擴及上肢與延髓肌群，患者行走、吞嚥與說話能力逐年下降，晚期易因吸入性肺炎危及生命。

缺口

美國尚無核准療法；症狀易被誤認為 ALS, Parkinson, SMA, 等疾病，且缺乏基因檢測誘因，普遍被認為未被充分診斷。

0

美國 FDA 核准之 SBMA 療法

12,000+

歐美日已確診患者 (L.E.K. 調查)

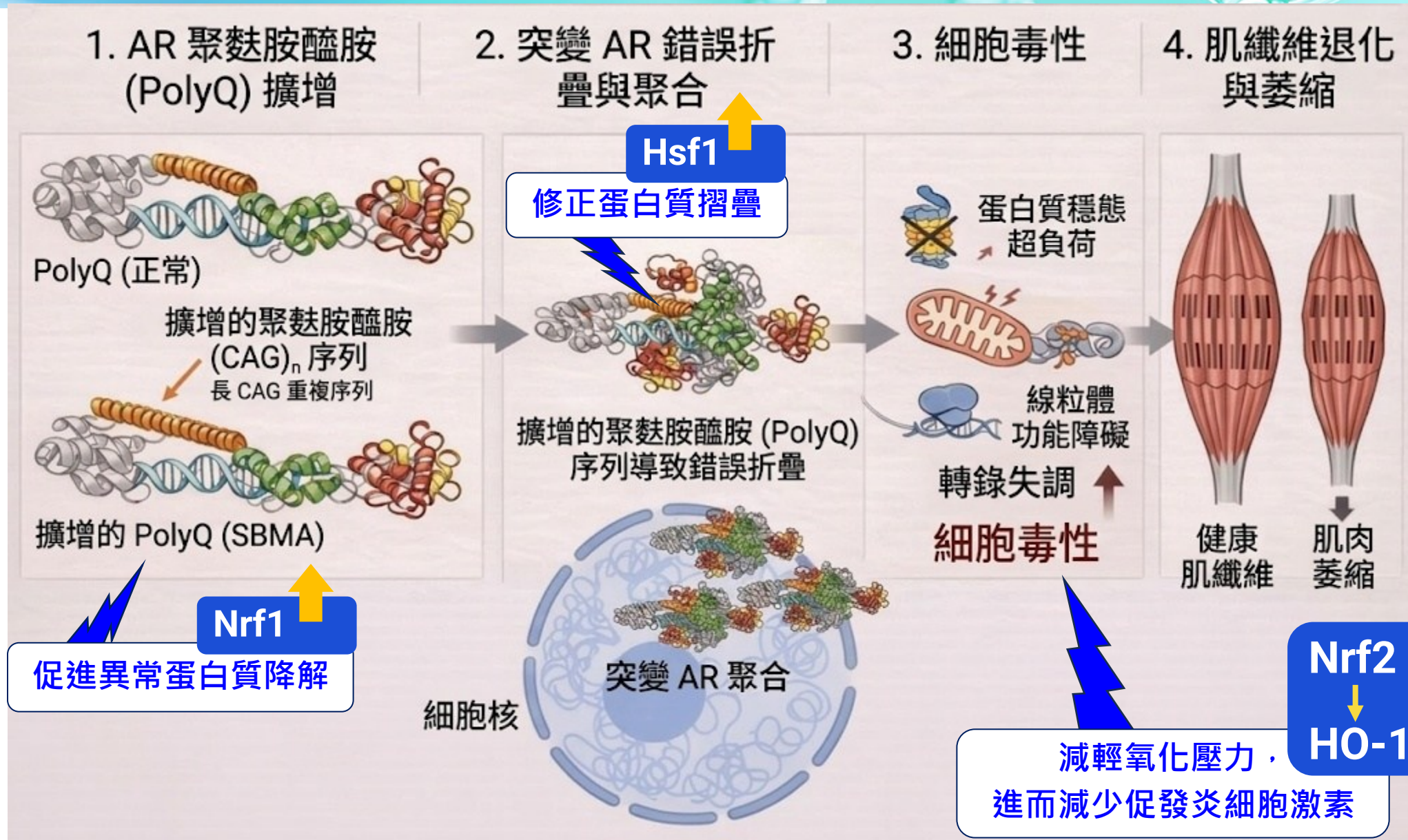
約 1/30,000–1/40,000

男性盛行率 (過去文獻報告範圍)

實際約 1/7,000

男性盛行率 (基因體研究推估 *)

*大型基因體研究 (以全基因體定序分析逾 7.4 萬人) 推估 SBMA 男性盛行率，約較既往報告高出四倍以上, Zanovello et al., Brain 2023.



AJ201: 二十年來首次顯示SBMA患者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

- AJ201 Phase2a Study in SBMA: 隨機、雙盲、安慰劑對照研究結果顯示受試者經12週投藥後 (End of Treatment, EOT)相對於試驗治療前(baseline) 有正向效果

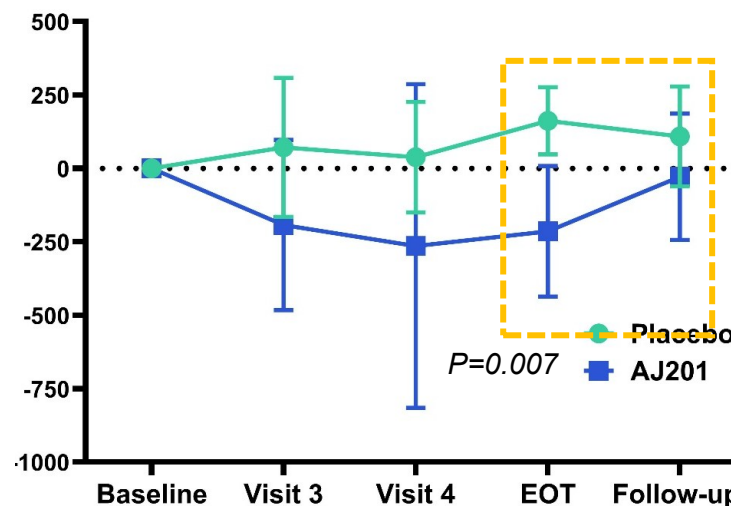
6MWT行走距離 增加 17.6 公尺 SBMA功能評估量表分數 提升 0.8 分 患者自評量表體能部分 改善3.6分

- 運動功能、肌肉生物標記變化及 Nrf2 路徑活化，支持AJ201對病患的給藥作用

核內突變 AR 下降 >50% 的患者比例 (肌肉切片)



Creatine Kinase
(Change from Baseline)



AJ201臨床開發：1st in Human到PoC到三期樞紐試驗



- 多國多中心，於北美、歐洲及亞洲收案
- 每位受試者預定治療觀察共104週；對照期後，兩組皆進入AJ201開放標籤治療。





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.

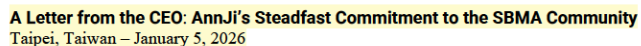
- 具備深厚的臨床開發與醫務事務 (Medical Affairs) 背景，曾於Nido Biosciences 擔任醫療長 (CMO)。亦曾於多家全球生技醫藥公司擔任臨床開發高階主管；並於 Amgen 與 Biogen 擔任多項全球醫藥研發要職

AnnJi Pharmaceutical
12月2日下午3:33 · 🌐

🌟 Hope for the Kennedy's Disease Community 🌟
At the 2025 WMS Congress, Dr. Tahseen Mozaffar, an investigator of the study, shared encouraging Phase 2a clinical results [查看更多](#)

的研究中心負責人塔赫辛·莫札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入「最新研究摘要」之一，這是一項專門授予具有重要新榮。

症帶來了希望，成為二十多年來第一個可能改變疾病



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 nR2 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.



18:15-18:30 Elisabetta Pupillo (Istituto Mario Negri, Milano)
Risultati preliminari del trial clinico BetaSBMA

18:30-18:45 Vissia Viglietta (Nido Therapeutics)
Risultati trial clinico PIONEER KD

18:45-19:00 AnnJi Therapeutics
Risultati del trial clinico fase 1/2a con Rosolutamide



71. 1996, 7, 16 (Monday), 10:10 (C-200) (10:10:00) 8.

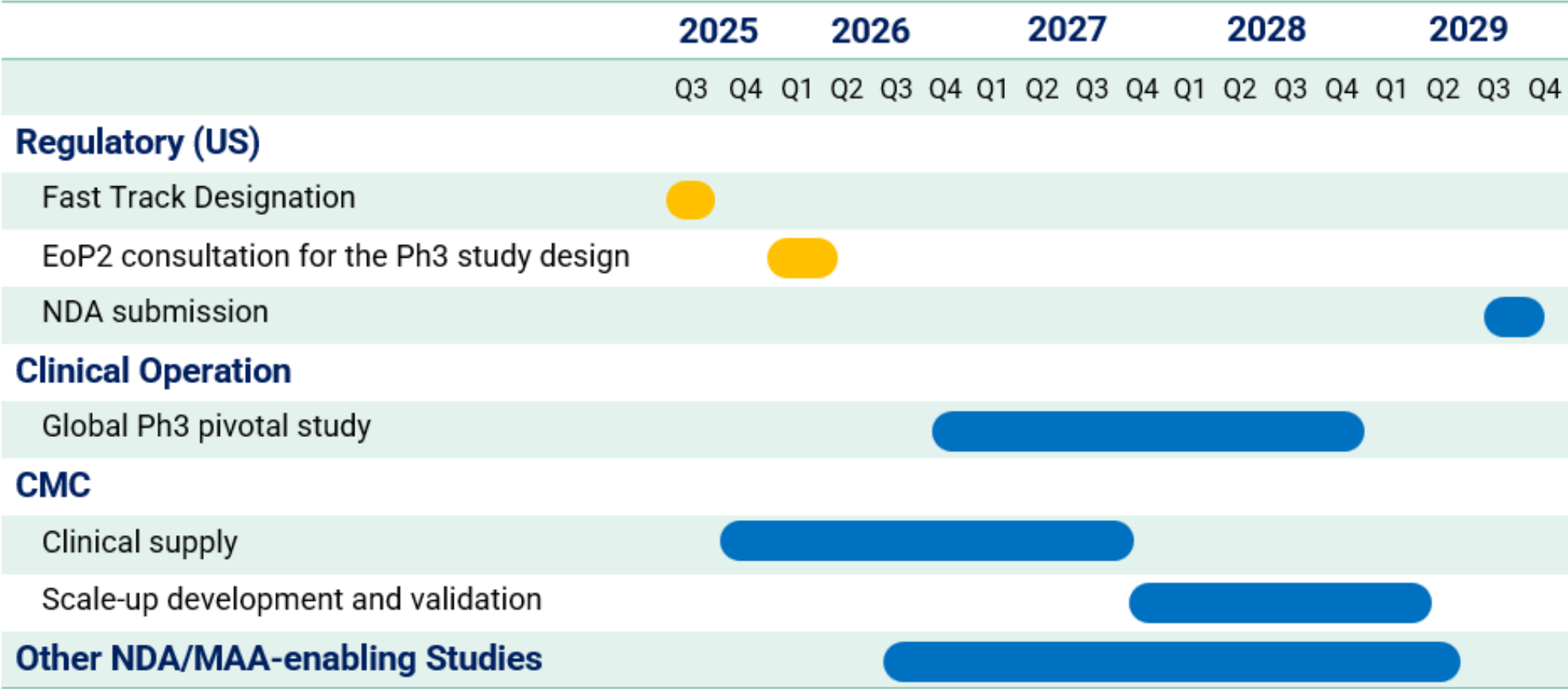


主持「病友與家屬論壇」，與全球病友及
照護者深度交流，深化對AJ201高度信心

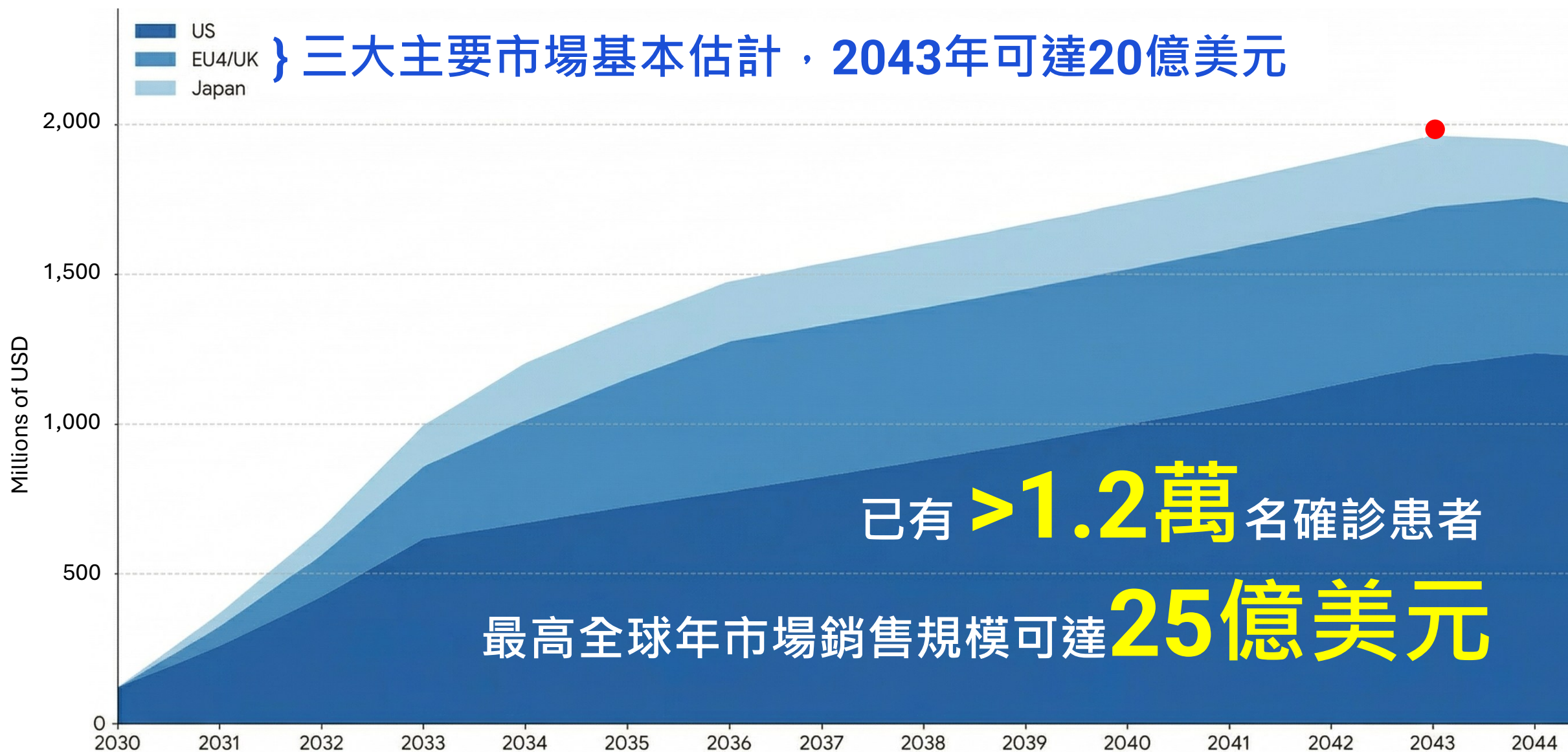


與歐美日三地頂尖醫療專家交流，
深化未來合作，為臨床三期奠定堅實基礎

經FDA 30天審查期屆滿且未提出意見，正式於美國開展AJ201三期臨床



2030 取得美國藥證及上市



首創神經肌肉罕病小分子新藥年營收已達數億美元



藥品名稱(美國上市年度)	AJ201	Skyclarys® ¹	Evrysdi® ²	Daybue® ³
Licensors 授權公司	安基 (AnnJi)	Reata	PTC Therapeutics	Neuren
Licensees 被授權公司		百健(Biogen)	羅氏, Royalty	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)	-	~37萬	~34萬	~38萬
美國患者總數	~5,000人	~5,000人	~10,000人	~7,500人
2026全球總營收預估	-	~7億 (~30%+)	22-24億	~5億
預估全球總銷售峰值 (億美元)及年份	-	13-22億 / mid 2030's	29 億 / 2030 -	8-10 億 / 2028 -

¹ 百健 (Biogen) 於2023年7月以約73億美元全面收購Reata (同年9月完成) , 取得治療弗里德瑞希氏運動失調症之Skyclarys®全球權利。分析師預估範圍13 ~ 22億美元, 峰值約2030年代中期 (GlobalData、Jefferies、Visible Alpha、Refinitiv)。

² PTC Therapeutics於2011年11月與SMA基金會共同將risdiplam (Evrysdi) 之全球開發與商業化權利授權予羅氏 (Roche) 並保留銷售權利金, 該藥於2020年8月獲美國FDA核准用於治療脊髓性肌肉萎縮症 (SMA) , PTC並於同年7月以6.5億美元將其約43%之權利金出售予Royalty Pharma。分析師共識預估2030年(預測期間終點)可達29億美元 (Royalty Pharma新聞稿, Roche 財報預測)

³ Neuren於2018年將trofinetide (Daybue) 北美權利授權予Acadia, 該藥2023年3月獲FDA核准治療雷特氏症; 雙方同年7月以1億美元預付款將授權擴大至全Neuren於2018年將北美權利授權予Acadia, 該藥2023年3月獲FDA核准治療雷特氏症; 雙方同年7月以1億美元預付款將授權擴大至全球。Acadia將Daybue® 2026年銷售指引上調至4.8 ~ 5.1億美元, 並預估2028年全球淨銷售額達約7億美元; 表列8 ~ 10億美元為分析師納入歐盟、日本等市場後之長期峰值估計, 峰值年份可能晚於2028年。(Neuren Pharmaceuticals ASX公告; Acadia 2026 Q2財報; 分析師研究報告。

在科學、臨床、法規與市場多方面均具優勢。

● 多重機轉，一藥多效

可同時啟動三種保護機制，有別於單一機轉療法；有機會拓展相同機轉之其他疾病，如亨丁頓舞蹈症、脊髓小腦萎縮症相關。

● 賽道領先

同領域其他候選藥近期受挫，AJ201 為目前已知唯一進入三期。安基所建立的臨床療效評估方法可望成後續開發者參考基準。

● 孤兒藥保護 監管加速

美、歐孤兒藥認定，若獲核准可享市場獨占期等優惠。Fast Track 可與 FDA 更頻繁溝通，並具滾動送審資格。

● 授權價值

開發風險已大幅降低，專利保護預計可延續至 2045 年累積的 CMC 製程經驗亦構成競爭門檻。市場的高峰年銷售額約 25 億美元



合適的合作夥伴，是能把「餅做大」，而非只想分走大塊餅的人

授權合作是「價值創造」的決定，而非單純的「分潤合作」

-- 該合作是否能夠顯著提升資產的 **成功機率 × 上市速度 × 商業覆蓋**

01 提升資產品質與價值

對方能讓資產變得更好？

研發、法規、製造與商業化能力，
尤其在涉及規模與地緣市場層面

02 加速上市

對方能更快將AJ201送達患者？

資金實力、臨床試驗執行力、全球
市場通路，及公司其他營運風險

03 保留權益

我們是否可保留合理商業權益？

首付款之外，開發/銷售里程碑金
、銷售分潤、(保留)市場區域、控
制權、製造權及未來策略選擇權
(同樣關鍵)

-- 該合作效益是否可將AJ201市場價值最大化



HDAC6 平台：創新接棒 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

以跨適應症的共通藥理機制，創造多元臨床與授權機會

AJ302

化療誘發周邊神經病變

CIPN

臨床開發基礎

已完成第一期單次遞增劑量試驗

2030年全球市場預估規模：47億美元

AJ305

蟹足腫

Keloid

快速人體機轉驗證

局部給藥與組織生物標記評估

2030年全球市場預估規模：53.7億美元

AJ303

特發性肺纖維化及其他

IPF

中長期價值成長

以轉譯證據推進臨床開發

2030年全球市場預估規模：54.6億美元

平台共通價值 | 高選擇性 HDAC6 抑制，支持跨疾病的轉譯研究

神經保護

提升 α -tubulin 乙醯化與微管穩定性
支持軸突運輸與神經功能研究

抗纖維化

調節 TGF- β 相關訊號及細胞反應
探索減少纖維母細胞活化的潛力

精準開發

以靶點結合、生物標記與臨床終點
建立可重複利用的轉譯證據

AJ305 (蟹足腫) : HDAC6 平台最快的臨床開發路徑

以最短時間收集並建立機轉驗證，降低早期開發風險，並作為平台價值放大的第一步

核心結論：若目標是最有效率的方式驗證 HDAC6 平台的臨床可行性，**AJ305 / 蟹足腫**應為首要優先項目

為何是最快臨床路徑

1. 病理高度契合

HDAC6 過度表達直接驅動纖維母細胞過度增生與膠原蛋白沉積。外用抑制可精準阻斷 TGF- β 纖維化路徑。

2. 試驗設計可較精簡

先以較小試驗規模，收集相關人體數據，有助縮短時程並控制開發成本。

3. 局部給藥

採用局部塗抹或病灶內注射，大幅降低全身毒性風險

4. 最利於機轉連結

可結合組織與分子 **biomarker**，讓臨床訊號與抗纖維化機制形成更完整證據鏈。

臨床前驗證

關閉疤痕增生失控的關鍵訊號

TGF- β 1 過度活化

專有技術 訊號傳導機制 (know-how)

疤痕細胞失控增生

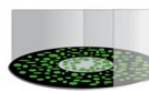
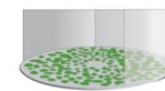
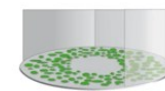
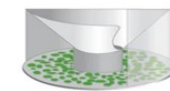
蟹足腫持續變大

細胞接種

移除屏障

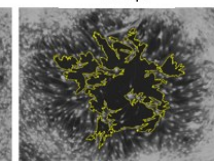
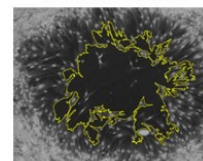
細胞遷移

細胞增生分析



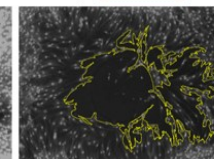
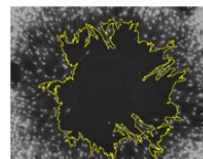
蟹足腫纖維母細胞

+TGF β



TGF- β +AJ305

TGF- β +Tubastatin A



TGF- β 在蟹足腫中過度活化，促進纖維母細胞增殖及膠原蛋白過量生成，導致異常纖維化與疤痕持續擴張。

AJ305 從「根本機制」可抑制纖維母細胞活化並減弱纖維化能力，抑制異常疤痕形成。

戰略價值：以蟹足腫低風險、高可測性的優勢快速完成機轉驗證，能為後續擴展至其他相關適應症奠定基礎。

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 -微管蛋白乙醯化程度隨劑量提升，支持 HDAC6 抑制劑 的藥效機轉

後續研發與商業策略

- 肌肉，皮內，皮下注射皆可
- 拓展多元適應症，充分發揮平台多適應症潛力
- 規劃最快進入臨床開發的路徑，並同步推動國際授權合作



AJ305-102	
臨床階段	第一期
收案	預計收23名病患
實驗區域	台灣
遮盲	雙盲
治療期間	3次單次性施打給藥，每4周為一周期
主要觀察指標	安全性及耐受性
其他指標	轉錄體圖譜分析、藥物動力學、生活品質及初步療效
主要收案條件	年齡 ≥ 18 歲， 胸/肩部共有 ≤ 5 處蟹足腫病灶， 且至少有1處位於胸或肩部之蟹足腫病灶。

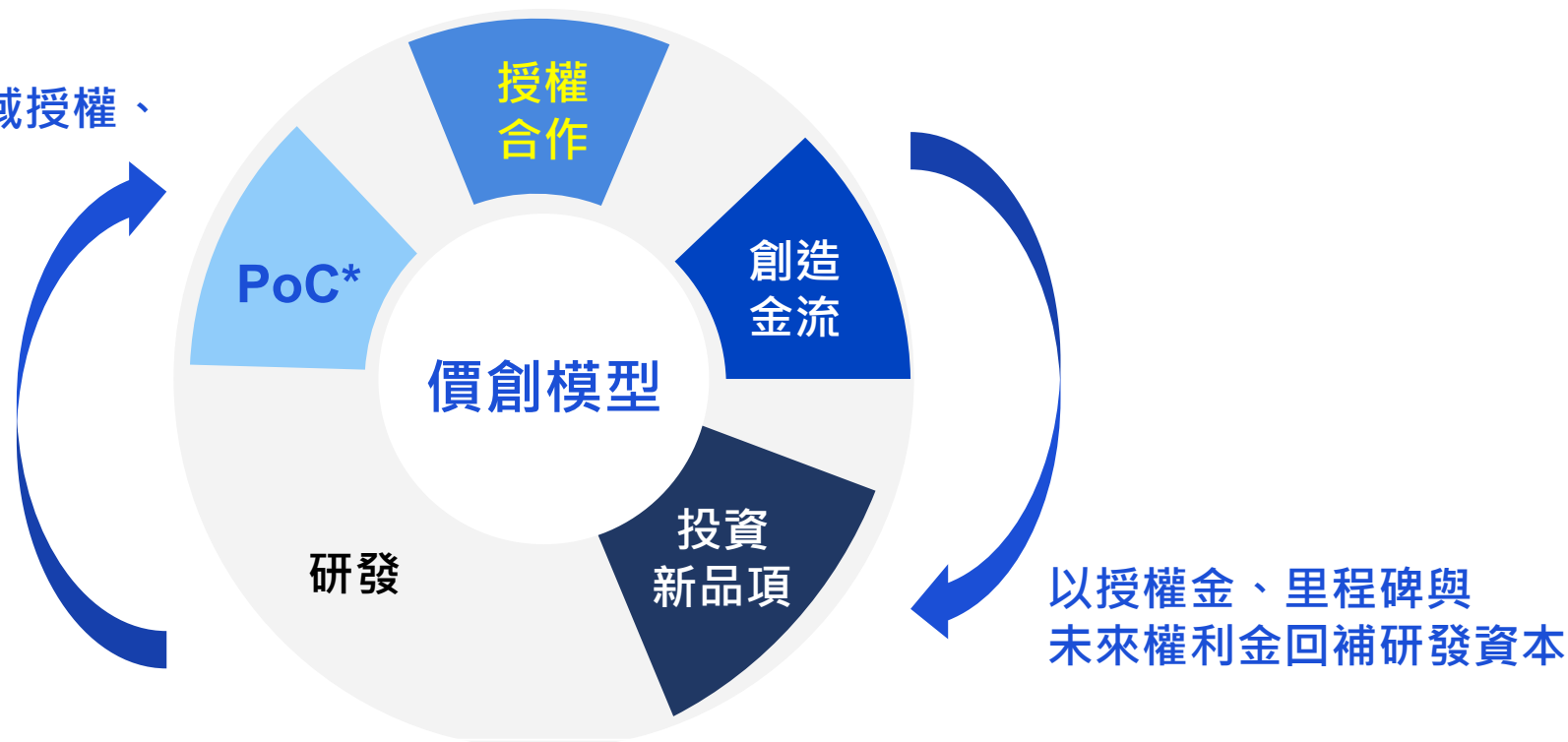


未來展望

精準選題、轉譯研究：降低開發風險，提升資產價值

候選專案篩選 ➡ 目的導向之轉譯與 IND 申請前置研究 ➡ 臨床一期/早期臨床PoC*

於關鍵價值節點尋求區域授權、
全球授權或共同開發





以轉譯研究與早期臨床開發為核心

聚焦神經疾病、皮膚疾病與具高未滿足醫療需求之罕見疾病

未來展望

- 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

提高公司股東權益淨值，增加授權談判籌碼，支持公司持續推進研發與業務推展

● 發行條件 (115/10/07 董事會決議)

增資方式	現金增資發行普通股
發行股數	14,000,000 股 (每股面額新台幣 10 元)
發行總金額 (按面額)	新台幣 140,000,000 元
每股發行價格 (暫訂)	新台幣 55 ~ 65 元
試算募集資金 ※	約新台幣 7.7 億 ~ 9.1 億元
資金用途	充實營運資金
新股權利義務	與原已發行普通股相同

● 後續時程

① 董事會決議
115/10/07 已完成



② 呈報主管機關
核准後方得辦理



③ 公告認購期間
認股基準日、繳款期限

認股基準日、增資基準日及股款繳納期限，將於核准後由本公司另行公告。

原股東 90%

員工

12,600,000 股

員工 10%

原股東：按認股基準日持股比例認購；以目前實收資本額試算，約每仟股可認購 123.86 股 (暫估)。

員工：依公司法第 267 條保留 10% (1,400,000 股)。

畸零股及未認購：畸零股得於停止過戶日起 5 日內向股務代理拼湊；放棄、不足或逾期未拼湊部分，授權董事長洽特定人按發行價格認購。

增資幅度：約占目前股本 13.84%。

🍌 投資人關注專案研發進度重點

- AJ201 美國三期臨床試驗開展中，專利授權業務正積極洽談合作夥伴。
- 全球唯一進入三期之 SBMA 創新藥；具 FDA Fast Track 及美、歐孤兒藥認定
- AJ201 已獲美 FDA 之亨廷頓氏舞蹈症、脊髓小腦萎縮症孤兒藥資格，具擴大適應症之潛力。
- HDAC6 抑制劑平台 (AJ302 / AJ305) 同步推進，發揮平台效益、擴大資產價值。

創新小分子 - 國際合作 - 價值實現

Thank You

Guided by SCIENCE

Inspired by HUMANITY

Taiwan's leading new drug developer in neurology, dermatology, and rare diseases.