

北海康成
製藥有限公司

2022年全年業績 演示材料

2023年3月

免責聲明

This document contains strictly confidential and proprietary information in relation to CANbridge Pharmaceuticals Inc. (the "Company") and is only being made available on a confidential basis for the exclusive use of the person to whom it is addressed (the "Recipient") and may not be reproduced or transmitted to any other person. The information contained in this document has not been independently verified by the Company and its directors, management, employees, agents, affiliated entities or persons, advisers or representatives (collectively, the "Representatives"). By accepting this document, you agree that you and your representatives will keep this document strictly confidential and must not use the information contained herein for any other purpose and must not communicate, reproduce, distribute or disclose it in any other manner to any other person, internally or externally, or refer to it publicly, in whole or in part. You and your representatives shall not cite this document, in whole or in part, at any time, in any manner or for any purpose without the prior written consent of the Company. If you are not the intended recipient of this document, please delete and destroy all copies immediately and do not copy or forward them to any other person. No representation, express or implied, is made in respect of the fairness, reliability, completeness or accuracy of the information contained in this document, nor the reasonableness of any assumptions herein, and no party shall be entitled to rely on the fairness, reliability, completeness or accuracy of the information or any oral or written communication in connection with any proposed investment in the Company ("Proposed Investment"), and the reasonableness of any assumptions herein. The information contained herein is subject to change without notice, and will not be updated to reflect any material development after the date of this document. Neither the Company nor the Representatives shall have any liability for any loss in connection with this document, the use of any of the information herein or any loss however arising in connection with this document. This document does not purport to contain all of the information that may be required by or otherwise important to the Recipient and the Recipient should conduct its own due diligence and independent analysis of the Company and the information contained or referred to herein.

THIS DOCUMENT OR THE INFORMATION CONTAINED HEREIN IS NOT INTENDED TO AND DOES NOT CONSTITUTE ANY OFFER OR INVITATION, SOLICITATION, COMMITMENT OR ADVERTISEMENT OF ANY OFFER FOR SUBSCRIPTION, PURCHASE OR SALE OF ANY SECURITIES, NOR SHALL ANY PART OF THIS DOCUMENT FORM THE BASIS OF OR BE RELIED ON IN CONNECTION WITH ANY CONTRACT OR COMMITMENT WHATSOEVER.

This document may contain forward-looking statements. Such forward-looking statements are based on a number of assumptions in connection with the Company's operation and future development plan, market (financial and other aspects) conditions, industry and regulatory trends, and growth prospect. The validity of such assumptions are affected by a number of factors, both identified and unknown, and includes factors beyond the Company's control, and such factors may cause material deviations between the Company's actual performance to that expressed or implied in such forward-looking statement. You are cautioned not to place undue reliance on these forward-looking statements, as these statements are subject to risks both identified and unknown, involve inherent uncertainties and speaks only as of the date they are made. Neither the Company nor the Representatives shall be responsible updating the forward-looking statements in accordance with events or circumstances that occur after the date of this document. This document has been prepared solely for information purposes and does not constitute a recommendation regarding any offer for subscription for the securities of the Company and does not constitute and should not be considered as any form of financial or investment opinion or recommendation by the Company or the Representatives. The shares of the Company have not been, and will not be, registered under the U.S. Securities Act of 1933, as amended (the "Securities Act"), or the securities laws of any state of the United States or any other jurisdiction outside Hong Kong. The shares of the Company may not be offered or sold within the United States, or to or for the account or benefit of U.S. persons (as such term is defined in Regulation S under the Securities Act), absent registration under the Securities Act or except pursuant to an exemption from, or in a transaction not subject to, the registration requirements of the Securities Act and applicable state or local securities laws. Any public offering in the United States must be conducted with a prospectus that shall contain detailed information about the company and its management, as well as financial statements. Such prospectus may be obtained from the company or the selling security holders. This document does not constitute a prospectus as defined by the Securities Act.

The Company does not intend to conduct a public offering of securities in the United States, register or apply for registration of any portion of any offering under the Securities Act. Nothing in this document constitutes an offer of securities for sale or solicitation of an offer to buy or subscribe for securities in the United States or any jurisdiction where it is unlawful to do so. In Hong Kong, the shares of the Company may not be offered to the public unless a prospectus in connection with such sale or offer for subscription has been duly registered with the Hong Kong Companies Registry in accordance with the Companies (Winding Up and Miscellaneous Provisions) Ordinance (Cap 32 of the laws of Hong Kong) (the "Companies Ordinance"). An prospectus which has not been so registered may not be distributed, issued or circulated, but may be distributed to professional investors in accordance with the Securities and Futures Ordinance (Cap 571 of the laws of Hong Kong) (the "Securities and Futures Ordinance"). This document does not constitute a prospectus as defined by the Companies Ordinance. This document contains no information or material which may result in it being deemed (1) to be a prospectus within the meaning of section 2(1) of the Companies Ordinance, or an advertisement in relation to a prospectus or proposed prospectus or extract from or abridged version of a prospectus within the meaning of section 38B of the Companies Ordinance or an advertisement, invitation or document containing an advertisement or invitation falling within the meaning of section 103 of the Securities and Futures Ordinance, or (2) in Hong Kong to have effected an offer to the public without compliance with the laws of Hong Kong or being able to invoke any exemption available under the laws of Hong Kong, and is subject to material change without notice. Neither this document nor any part or copy of it may be taken or transmitted into or distributed in or into, directly or indirectly, the U.S. (including the territory and dependency of the U.S.). Any failure to comply with these restrictions may constitute a violation of U.S. securities laws. The distribution of this document in certain jurisdictions may be restricted by law, and persons into whose possession this document come should inform themselves about, and observe, any such restrictions. This document is not directed to, or intended for distribution to or use by, any person or entity that is a citizen or resident in any jurisdiction where such distribution or use would be contrary to law or regulation or which would require any registration or licensing within such jurisdiction. Nothing in this document should be construed as regulatory, valuation, legal, tax, accounting or investment advice and it does not constitute a recommendation, solicitation, offer or commitment to purchase, sell or underwrite any securities from you, to you, or on your behalf, or to extend any credit or provide any insurance to you or to enter into any transaction. Unless otherwise agreed in writing, any third party from whom you receive this document is not acting as your financial adviser or fiduciary. Before you enter into any transaction, you should ensure that you fully understand the potential risks and rewards of that transaction and you should consult with such advisers as you deem necessary to assist you in making these determinations, including, but not limited to, your accountants, investment advisers and legal and/or tax experts.

By accepting delivery of or accessing this document, you are deemed to represent irrevocably and unconditionally to the Company and its agents, affiliated entities or persons, advisers and representatives that you and any customers you represent are "qualified institutional buyers" as defined in Rule 144A under the Securities Act, persons outside the United States for the purpose of Regulation S under the Securities Act, or professional investor as defined in the Securities and Futures Ordinance. The information contained herein is directed solely at such investors. Any investment or investment activity to which the information in this document relates is only available to such investors. Other persons should not access, rely on or act upon this document or any of its contents. All enquiries or requests for additional information in connection with this document should be submitted or directed to the syndicate members. Management of the Company should not be contacted directly under any circumstances in connection with this document and any unauthorized contact may result in termination of negotiations in relation to the Proposed Investment, if any. If you do not accept the forgoing conditions or any confirmations and representations contained herein, please immediately return this document to the Company."

我們的願景



成為一家**全球化**
生物製藥公司

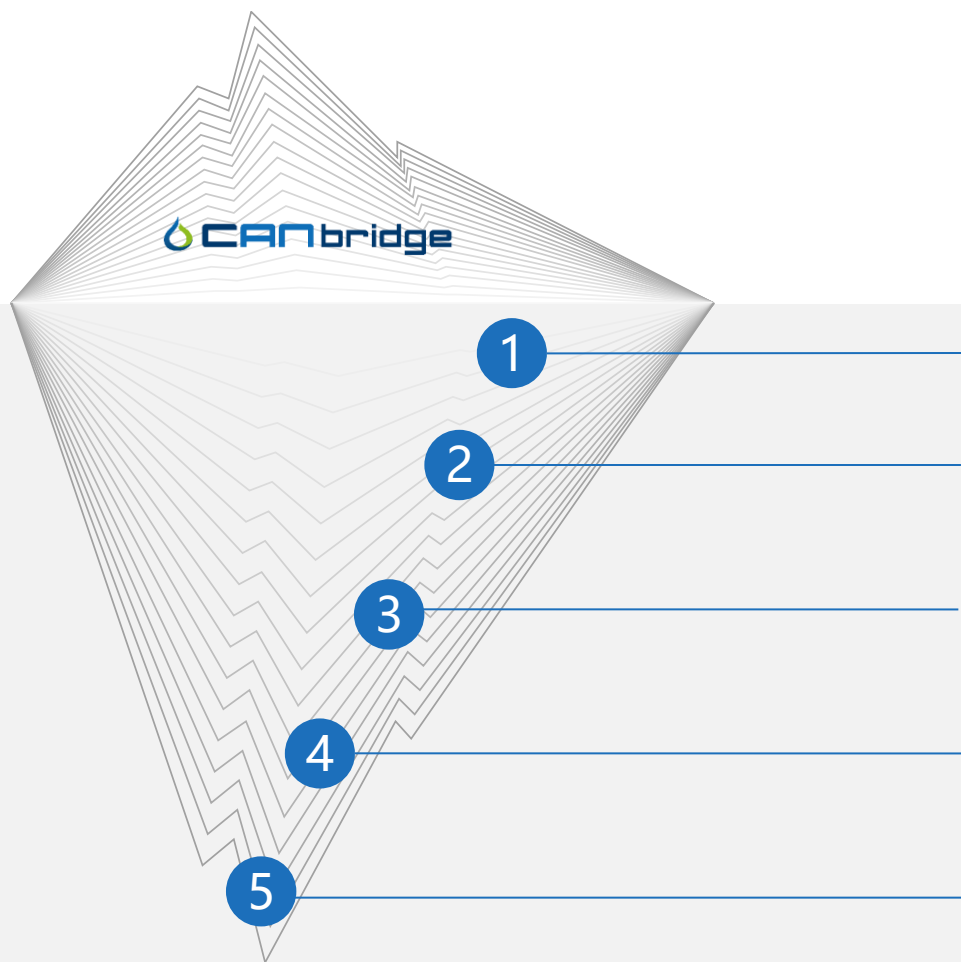


提供**可改善生活的療法**



立足於中國

主要投資亮點



致力於在中國乃至全球推動快速及全面的產品開發及市場准入

全面且收益潛力可觀的罕見病療法組合

于引入及開發創新及有效療法方面擁有卓越的往績記錄

罕見病先行者，致力於解決龐大且未獲滿足的醫療需求

高瞻遠矚的管理層團隊于開發及在全球商業化罕見病療法方面擁有豐富經驗

經驗豐富的管理團隊

強大的全球管理層團隊具有豐富的行業經驗和商業化罕見病療法的往績記錄



薛群博士

創始人、董事會主席、
執行董事、首席執行官

- 資深的企業家，在醫療及製藥公司擁有逾22年經驗
- 曾擔任健贊中國創始總經理
- 中國罕見病聯盟(CHARD)的副理事長、中國醫藥創新促進會(PhIRDA)藥物研發專業委員會副主任委員



Gerald Cox博士

首席戰略官、代理首席醫學官

- 擁有21年生物技術執行管理經驗
- 曾擔任愛迪塔斯醫藥(Editas Medicine)的首席醫學官及健贊(Genzyme)的副總裁
- 為4項IND申請及3款治療嚴重致命疾病罕用藥的上市許可作出重大貢獻，為健贊創造了超過30億美元的收益



Glenn Hassan

首席財務官

- 逾15年在全球醫療保健行業的廣泛銀行、投資和策略諮詢經驗
- 華興國際醫療投資銀行前董事
- 領先企業(包括Citadel和富達管理)的資深公共市場醫療保健投資者



Marcelo Cheresky

首席商務官

- 在生物技術行業擁有約20年的商業領導經驗，擁有深厚的行業知識和強大的執行能力
- 曾在Bioverativ、Ultragenyx、Synageva、Biopharma和健贊等領先生物製藥公司任職



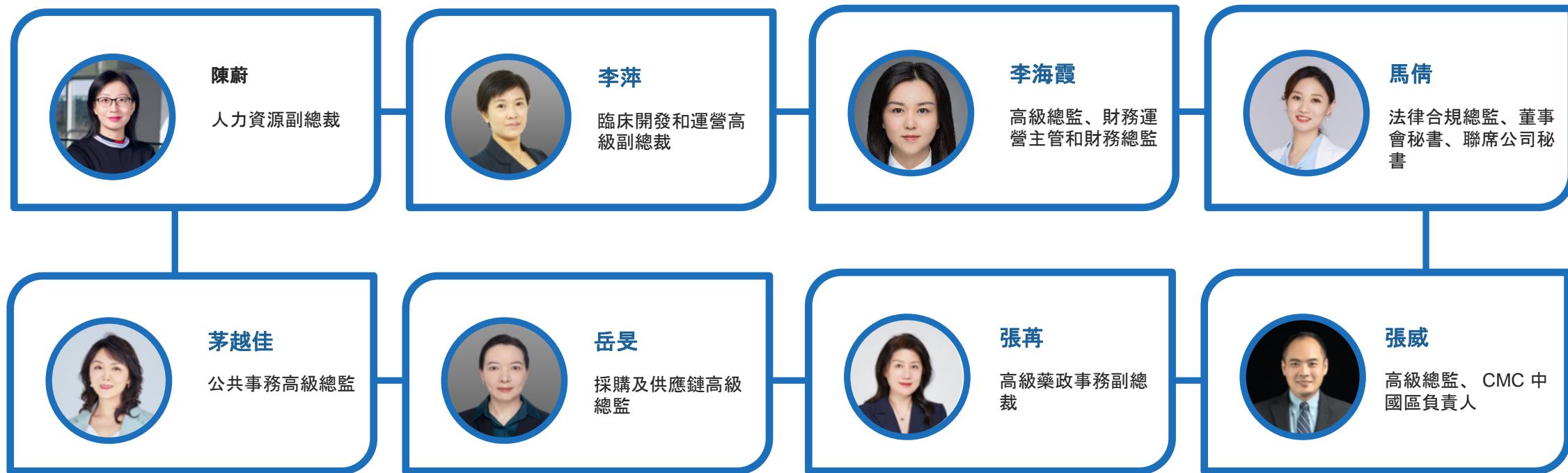
陸義駿

CANbridge中國區總經理

- 經驗豐富的業務負責人，在腫瘤及罕見病方面表現尤為突出
- 曾擔任武田中國血友病和罕見病業務部負責人，領導罕見病相關產品的推出及開發。



經驗豐富的管理團隊



P a r t

01

業務回顧



快速發展的罕見病藥物市場

新興的良好監管框架

 **CANbridge**
潛在的商業化道路



Hunterase 在自費市場
推出

LIVMARLI 在中國潛
在上市

全球擴張以進一步
提高平均售價



1983

2000

2018

2020

2021

2023

短期內

美國FDA 頒佈《孤兒藥
法案》

歐盟制定孤兒藥法律
法規

中國公佈首批罕見病目錄，
涵蓋121種罕見病

中國國家藥監局批准
29個針對121種罕見
疾病的靶向治療藥
物，16個納入國家醫
保目錄⁽¹⁾

42個省/市實施罕見病治
療保險或政策

中國第二批罕見病目錄即將
發布

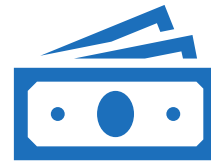
快速發展的罕見病藥物市場

罕見疾病藥物研發激勵措施



更快的批准時間表

- 可根據境外臨床數據條件批准藥物，不受其他市場批准狀態的影響
- 罕見疾病藥物具有較小且成本較低的臨床試驗
- 通過協商的試驗設計進行加速審批的規制程序
- 中國 CDE 於 2022 年發布了《罕見疾病藥物臨床研發技術指導原則》



財務激勵措施

- 中國新政策計劃對特定疾病治療藥物和活性藥物成分的增值稅 (VAT) 減免80%
- NMPA 提議授予罕見疾病藥物新的市場獨佔期長達7年



提高社會認知度

- 2019年成立了國家罕見疾病網絡 (NNRD) 和中國國家罕見病註冊登記系統 (NRDCRS)，以更好地識別和治療罕見疾病患者，有助於在中國進行臨床試驗招募和商業化

我們的全面及多元化管線

我們的組合包括具有有效作用機制的生物製劑、小分子及基因療法解決方案，針對擁有巨大市場潛力的部分最常見的罕見病以及罕見的腫瘤適應症。
在14項藥物資產中，集團擁有其中8項的全球專利。

	候選藥物	機制	發現	IND準備	1期	2/3期	新藥申請	上市	開發策略	合作方	商業權利
罕見腫瘤適應症	CAN008 (Asunercept)	CD95-Fc融合蛋白	多形性膠質母細胞瘤							apogenix	大中華區
	Hunterase® (艾度硫酸酯酶β)	ERT IDS	亨特氏綜合症 (黏多糖貯積症II型)						在中國為中國	GCPharma	大中華區
罕見病	CAN 108 (邁芮倍®)	IBAT抑制劑	進行性家族性肝內膽汁淤積症 膽道閉鎖							在中國為中國	mirum
	CAN 106	抗C5單克隆抗體	陣發性睡眠性血紅蛋白尿						在中國為全球		WuXi Biologics/Privus
	CAN 103	ERT GBA	戈謝病							WuXi Biologics	全球
	CAN 107	抗FGF23單克隆抗體	家族性低磷酸血症 佝僂病							WuXi Biologics/Privus	全球
	CAN 104	ERT GLA	法佈雷病							WuXi Biologics	全球
	CAN 105	抗因子IXa/X bsAb	A型血友病						在中國為中國	WuXi Biologics	大中華區
	CAN 201	AAV sL65 GLA	法佈雷病							在全球為全球	AstraZeneca/LogicBio
	CAN 202	AAV sL65 GAA	龐貝氏病						AstraZeneca/LogicBio		全球
	CAN 203	AAV9 SMN1	脊髓性肌萎縮症						UMass Chan MEDICAL SCHOOL		全球
	未披露	AAV	杜氏綜合症						UW Medicine UW SCHOOL OF MEDICINE Scripta		全球
其他腫瘤	Caphosol™	磷酸鈣漱液	口腔黏膜炎							EUSA Pharma	中國
	Nerlynx® (奈拉替尼)	酪氨酸激酶抑制劑	HER2+陽性乳腺癌							Pierre Fabre	香港、台灣、澳門

由許可合作方進行的臨床試驗 生物製劑 小分子 基因療法 醫療設備

管線瞄準具有150億美元潛力的疾病

具臨床驗證作用機制 涵蓋多種治療方案的低風險管線

商業權利	管線	適應症	病患人數		全球銷售	
中國	海芮思®	黏多糖貯積症II (MPS II)	🇨🇳	8k	\$ >500 M	
	邁芮倍®	阿拉傑裡綜合征 (ALGS)	🇨🇳	10k	\$ 75 M	
		進行性家族性肝內膽汁淤積症 (PFIC)	🇨🇳	5k	\$ >25 M	
		膽道閉鎖 (BA)	🇨🇳	50k	\$ NA	
	CAN008	多形性膠質母細胞瘤 (GBM)	🇨🇳	55k	\$ NA	
全球	CAN106	陣發性睡眠性血紅蛋白尿 (PNH)	🇨🇳	23k	🌍 124k	\$ >5 B
		非典型溶血性尿毒症候群 (aHUS)	🇨🇳	10k	🌍 32k	
		全身型重症肌無力 (gMG)	🇨🇳	234k	🌍 1,290k	
		視神經脊髓炎譜系障礙 (NMOSD)	🇨🇳	55k	🌍 171k	
	CAN 203	脊髓性肌萎縮症 (SMA)	🇨🇳	14k	🌍 78k	\$ 1.4 B
	CAN103	戈謝病		🌍 78k	\$ >1.5 B	
	CAN104 CAN201	法佈雷病		🌍 1,789k	\$ ~2 B	
	CAN202	龐貝氏病		🌍 170k	\$ >1 B	
	CAN107	家族性低磷酸血症佝僂病 (XLH)		🌍 117k	\$ ~1 B	
	CAN105	A型血友病		🌍 340k	\$ ~4 B	

 2022 全球銷售(US\$)
 2022 全球 / 中國病患人數

資料來源：
 弗若斯特沙利文及北海康成分析、
 NCBI research、
 Endocrine Journal研究、
 世界血友病聯盟研究

附註：
 CAN008目前並無任何商業化同類產品。

今日的北海康成

具備於罕見病領域實現多個商業和發展里程碑的能力

1 個已上市的
罕見病產品

海芮思®



4 個後期臨床項目

膽道閉鎖

邁芮倍®

PNH

CAN106

戈謝病

CAN103

膠質母細胞瘤

CAN008

預計未來 12 個月內有
項註冊申請遞交及批准

2

ALGS

邁芮倍®

PFIC

邁芮倍®

2022年全年業務亮點

企業及業務發展

人民幣
79.0M

01

2022財年淨收入為7900萬元人民幣，主要歸因於Nerlynx在香港/臺灣銷售額的增加以及海芮思在中國內地銷售額的增加

02

宣佈已從Umass Chan醫學院獲得開發和商業化新型第二代針對脊髓性肌萎縮症（SMA）的基因療法的授權

scAAV9



03

2022年下半年獲得LogicBio 授權用於治療法布雷病及龐貝氏病的衣殼載體/製造工藝的非獨家全球權利。亦已於2022年年底前完成LogicBio Therapeutics有關法布雷病及龐貝氏病的開發中基因療法產品的全面技術轉讓

2022年全年業務亮點



CAN008

- 2023年第一季度完成新診斷 GBM 的2期試驗患者入組
- 2023年3月在ESMO上公佈的來自牽頭研究機構的1/2期膠質母細胞瘤試驗長期隨訪數據顯示：1) 患者五年總體生存率達67% vs 研究機構數據僅為8.2% 2) 中位無進展生存期為17.95個月 vs 5.8個月的無進展生存期歷史數據



邁芮倍®

- 在中國進行的治療膽道閉鎖的邁芮倍 2期研究完成首例患者給藥
- 博鰲樂城國際醫療旅遊先行區治療阿拉傑里綜合征(ALGS)的先行政策獲批
- 國家藥品監督管理局(NMPA)的優先審評資格，有望於2023年上半年在中國獲批



CAN106

- 於中國進行1b/2期試驗的首例患者給藥
- 2022年在 歐洲血液學協會大會及其他3個醫學會議上提交了单剂量递增 (SAD) I期研究數據



CAN103

- 在成人和青少年戈謝病患者中啟動 1/2 期試驗
- 於2023 年第一季度開始B部分給藥



CAN203

- 在 2022 美國基因與細胞治療學會 (ASGCT), 歐洲基因與細胞治療學會大會 (ESGCT)及世界肌肉組織(WMS)上展示的臨床前數據顯示, 相比于目前已上市的基因療法產品, 我們的產品存在潜在优势

P a r t

02

產品管線最新發展

海芮思:

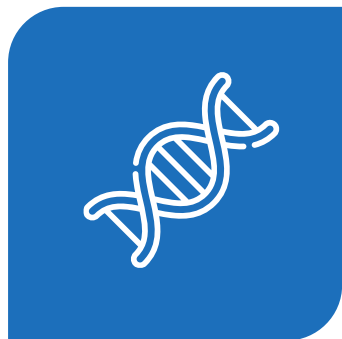
中國唯一獲批的
黏多糖貯積症II型
(MPS II) 酶替代療法



海芮思® – 在非国家医保覆盖阶段的市场商业化

加快新患者识别，扩大商业保险覆盖面

黏多糖貯積症II型(MPS II)



MPS II是罕見、致殘和危及生命的遺傳病



在東亞國家，MPS II是MPS疾病最常見的形式



中國政府已將MPS II納入「全國罕見病目錄」作為針對的疾病組別



MPS II重症患者的預期壽命 (60% - 80%的病例) 明顯縮短



一般於25歲前死亡

海芮思® – 截至2022年在中國已識別 667名 MPS II 患者

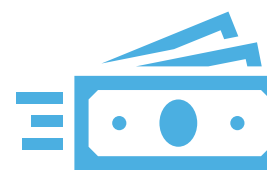
海芮思® 商業更新



MPS II患者識別

共發現**667**名患者 (截至2022年底)

- 於2022年發現**263**名新患者
- 自2021年5月推出後2021年發現**195**名患者
- **209**名患者於患者組別登記



報銷方案

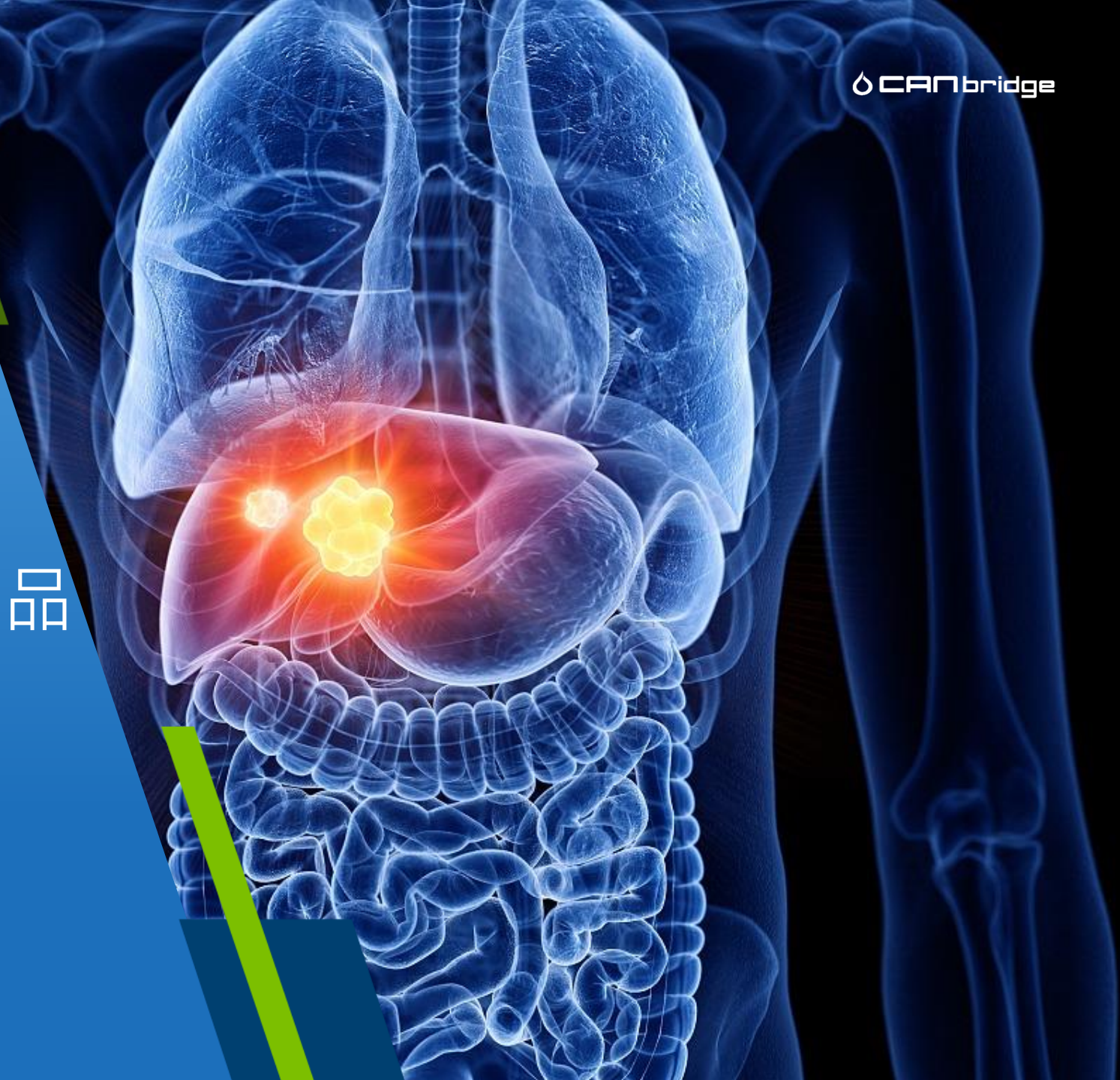
- **78**個城市的商業保險(惠民保)覆蓋海芮思® (截至2022年底)
- **72%**目前接受海芮思®治療的患者中有商業保險 (截至2022年底)
- 保險報銷率介乎 20% 至 90% 之間



中國唯一獲批的 MPS II 酶替代療法

邁芮倍[®](CAN108):

近期將於中國上市的
罕見膽汁淤積性肝病產品



邁芮倍®(CAN108) – 罕見膽汁淤積性肝病的IBAT抑制劑

一種新型的口服、幾乎不被吸收的口服液，旨在選擇性抑制迴腸中的IBAT並治療罕見的膽汁淤積性肝病，包括ALGS、PFIC和BA

近期亮點

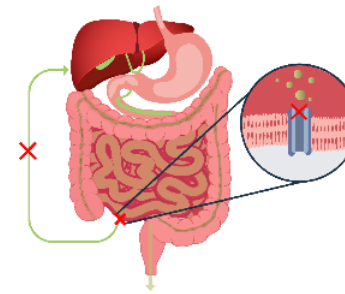
- 中國NMPA和台灣FDA已受理邁芮倍用於治療ALGS患者的上市申請，有望於2023年上半年在中國及於2023年下半年在台灣獲批
- Mirum於其在美国首次推出LIVMARLI後的首個完整財政年度實現LIVMARLI產品銷售淨額75.1百萬美元
- Mirum 在進行 Phase 2 BA 中國研究中完成首例患者給藥，並發布了積極的頂級ALGS Phase 3 PFIC 數據和標籤擴展，患者包括 3 個月以上的嬰兒

疾病概覽

- **Alagille 綜合症 (ALGS)**：罕見的遺傳病，可影響身體多個器官系統，包括肝臟、心臟、骨骼、眼睛和腎臟。目前沒有任何療法可以完全治愈ALGS
- **進行性家族性肝內膽汁淤積症 (PFIC)**：罕見的遺傳性肝病，其中肝細胞無法正確釋放膽汁，導致膽汁在細胞內積聚。手術治療包括外部或內部膽道分流
- **膽道閉鎖 (BA)**：嬰幼兒罕見的肝膽管疾病。目前BA尚無治愈方法。治療方法包括肝移植及肝門空腸吻合術（又稱葛西氏手術）

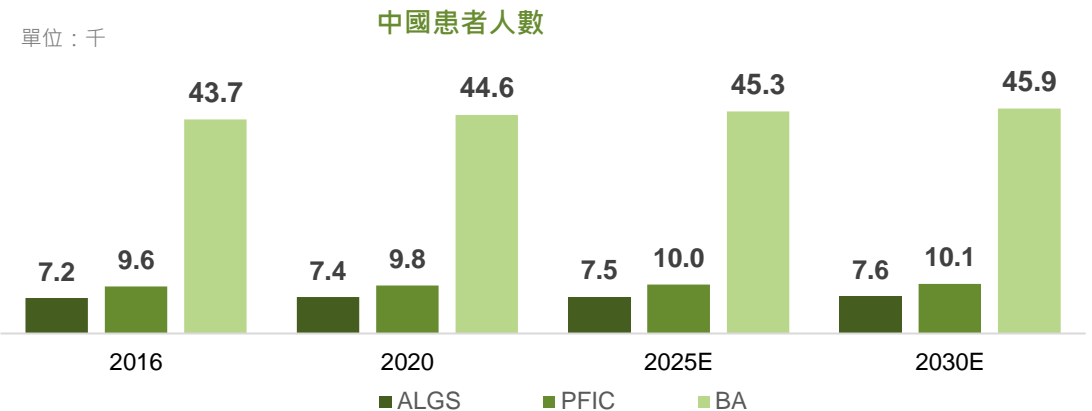
資料來源：弗若斯特沙利文分析。縮寫：IBAT，迴腸鈉依賴性膽汁酸轉運蛋白

作用機制



1. IBAT主要負責將迴腸的膽汁酸循環回肝臟
2. 膽汁酸升高損害肝臟並導致膽汁淤積性肝病
3. 邁芮倍旨在抑制迴腸中的IBAT，並使更多的膽汁酸排泄至糞便，從而降低全身膽汁酸水平，繼而降低膽汁酸介導的作用和對肝臟的損害

流行病學



於中國面向中國市場

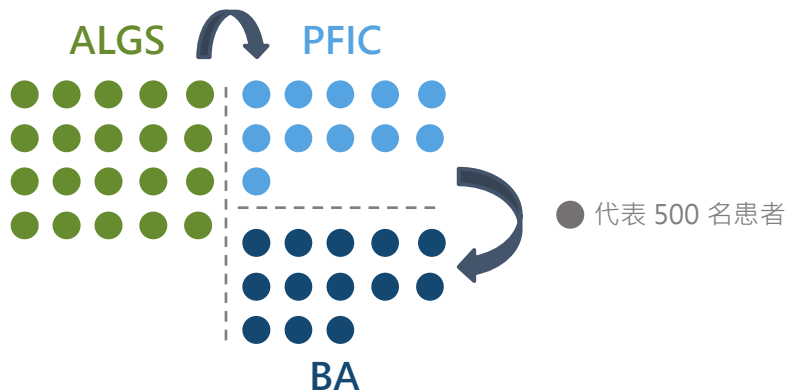
於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

邁芮倍®(CAN108) – 臨床開發計劃

龐大而強大的安全數據集為PFIC和BA的進一步研究提供有力支持

~22,000名被診斷為ALGS、PFIC及BA的中國患者



增長機會：

- 中國 NMPA 已授予優先審查，有望在2023年上半年獲得批准
- 預計在2024年推出 PFIC 的商業上市計劃
- II期 BA EMBARK 試驗正在進行中

主要里程碑

下一個
催化劑

2023年上半年：有望獲得 ALGS 中國批准

2023年下半年：有望獲得 ALGS 台灣批准

2024年第一季度：有望獲得 ALGS 香港批准

2024年下半年：有望獲得PFIC中國/台灣批准

CAN106:

具備針對多個適應症
潛力的產品



CAN106 – 補體疾病的長效抗C5療法

中國及全球補體相關疾病患者的治療需求未得到滿足

近期亮點

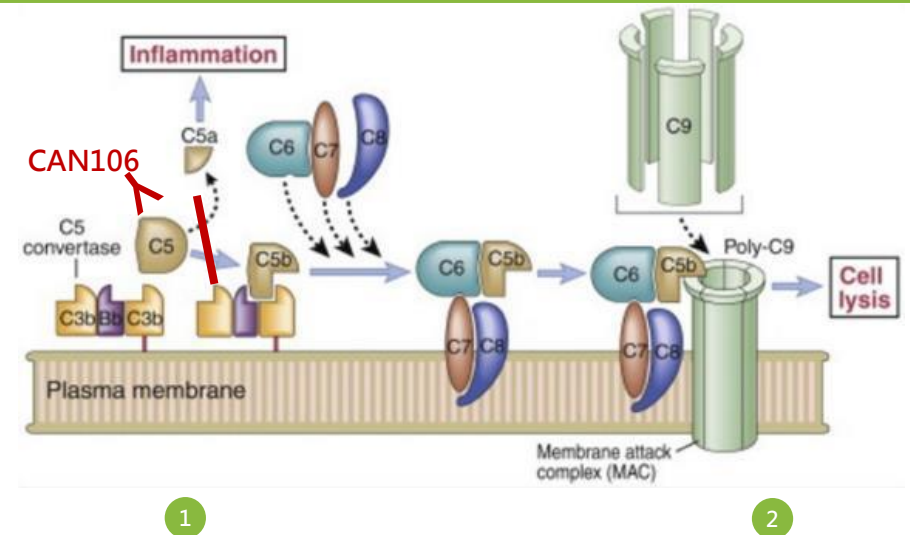
通過與藥明生物和 Privus (原始開發方) 的戰略協議獲得了 CAN106 的開發、製造和商業化全球權利

目前正在中國進行 PNH 患者的 1b/2 期研究 (於2022年3月完成首例患者給藥)

I 期SAD 研究數據在 EHA 2022 上發表。CAN106 安全耐受性良好，大多數副作用輕微或中度，沒有藥物相關的嚴重不良事件

已獲得FDA認證治療重症肌無力 (MG) 的孤兒藥物資格 (2022年11月)

作用機制



1 CAN106與C5的α鏈結合，阻止C5被C5轉化酶切割成C5a和C5b，從而防止MAC形成和細胞裂解

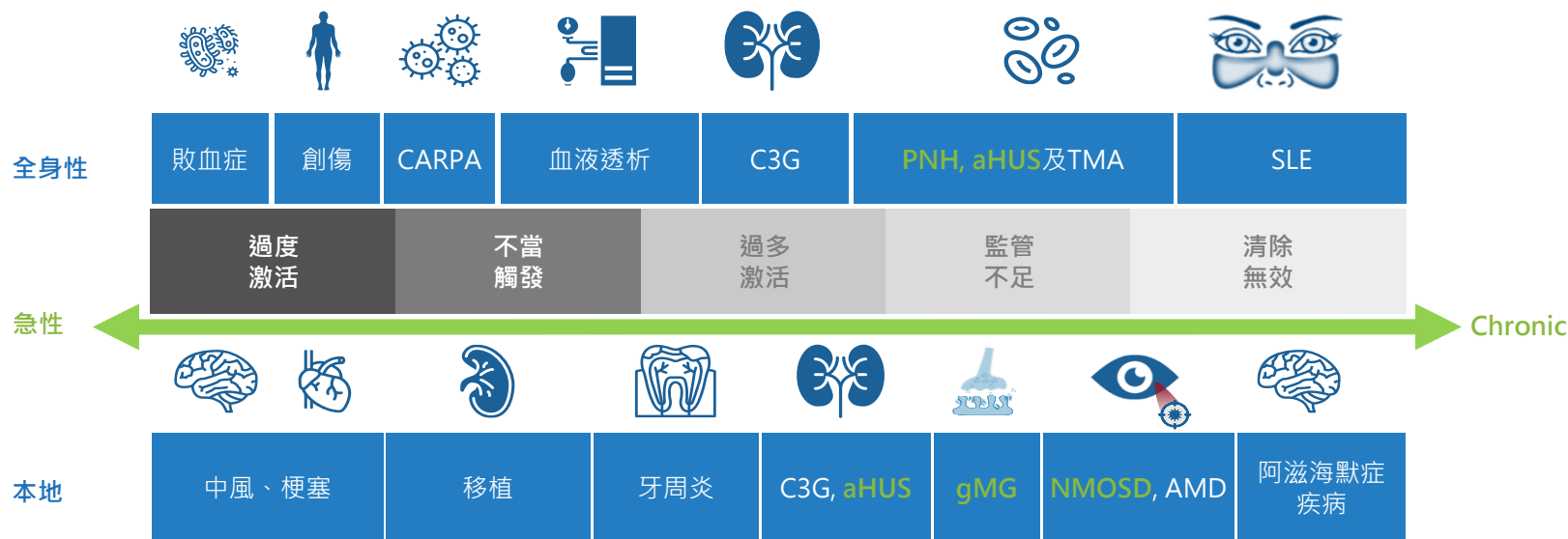
2 CAN106保留了C3b的產生，這對於清除循環免疫複合物以及細菌和真菌病原體的正常吞噬作用至關重要



CAN106 – 補體疾病的長效抗C5療法

CAN106具備治療多種適應症的潛力，初步開發工作集中於PNH這一適應症的治療。2025年全球市場收入預測超過 90億美元¹

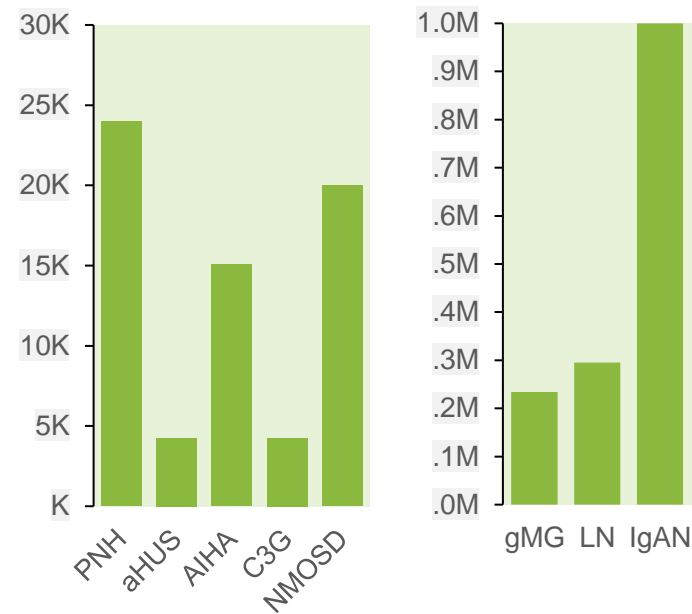
補體療法的潛在適應症



已批准用於補體療法的適應症

- 縮寫：PNH：陣發性睡眠性血紅蛋白尿症；aHUS：非典型溶血性尿毒症候群；NMOSD：視神經脊髓炎譜系障礙；gMG：全身型重症肌無力；AMD：老年性黃斑部病變；TMA：血栓性微血管病；C3G：C3腎小球病；SLE：全身性紅斑狼瘡
- 附註：1. 根據2020年10月6日發布的2020年Alexion 資者日新聞。2. Risitanon 及 Rotoli, 2008；中國 KOL專訪；中國aHUS診斷和治療共識, 2017；《中國MG診治指南》2015；Howard 等, 2017；Zanella和Barcellini, 2014；Berentsen及Sundic, 2015；Mahmoud等, 2016；北海康成研究

中國估計可尋址患者人數²



於中國面向中國市場

於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

CAN106 – 補體疾病科學顧問委員會

董事會將為 CAN106 的全球開發計劃提供指導，並探索 CAN106 在其他適應症中的潛力。



Anthony Amato, MD

- 布列根和婦女醫院神經科特聘主席
- 布列根和婦女醫院神經肌肉病科和臨床神經生理學實驗室主任
- 哈佛醫學院神經病學教授



Robert Colvin, MD

- 麻省總醫院首席名譽病理學家
- 哈佛醫學院病理學科 Benjamin Castleman 特聘教授



Gerald Cox, MD, PhD

- 首席戰略官兼代理首席醫學官
- 波士頓兒童醫院臨床遺傳學家和兒科醫生
- 原 Editas Medicine 首席醫學官
- Sanofi 罕見病臨床開發副總裁



Jean Francis, MD

- 波士頓醫療中心和波士頓大學醫學院腎臟移植專案醫學總監
- 波士頓醫學中心及布列根和婦女醫院聯合胰臟移植專案醫學總監
- 波士頓大學醫學院醫學副教授



Richard Polisson, MD, MHSc

- 臨床開發顧問
- Artax Biopharma 的前首席醫療官
- Sanofi-Genzyme 研發中心的高級副總裁和轉化醫學負責人
- 麻省總醫院關節炎部門臨床總監和 Mallinckrodt 臨床研究部門科學諮詢委員會主席
- 哈佛醫學院醫學副教授



Sushrut Waikar, MD, MPH

- 波士頓醫療中心腎內科主任
- 波士頓大學醫學院 Norman G. Levinsky 醫學科教授
- 原布列根和婦女醫院腎內科 Constantine L. Hampers · MD 特聘主席



Brian Weinschenker, MD

- 佛吉尼亞大學神經病學教授
- 原梅奧醫學中心神經病學教授

神經肌肉疾病

腎臟疾病及器官移植排斥反應免疫病理學

罕見病的藥物開發

器官移植 · PNH · 血栓性微血管病

罕見病的藥物開發 · 風濕病

腎臟疾病、腎損傷和纖維化的非侵入性生物標誌物

NMOSD 及其他中樞神經系統脫髓鞘疾病



於中國面向中國市場

於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

CAN106 – 優化在中國的商業化進程

1b/2 期開放標籤、多劑量提升研究，以評估CAN106對未使用過補體抑製劑治療的PNH患者的療效

臨床研究1b期正在進行

研究人數

- 未使用補體抑製劑治療的PNH患者

主要療效終點

- 安全
- PK/PD

地區

- 中國

其他適應症

其他計劃的籌備工作將於2023年下半年展開

正在考慮的適應症包括：
gMG、NMOSD、aHUS等

主要里程碑

2022年3月：臨床1b期進行
首例患者給藥

2023年中期：臨床1b期擁有
全隊列數據

2023年下半年：開始二期臨
床病人招募

2025年：有望獲中國CDE的
新藥批准上市

下一個
催化劑



CAN008:

針對新診斷膠質母細胞
瘤 (GBM) 的臨床研究



CAN008 – 用於多形性膠質母細胞瘤 (GBM) 的 CD95 Fc 糖基化融合蛋白

CAN008處於臨床開發階段，為中國GBM一線治療藥物

近期亮點

- CAN008 目前正在中國進行新診斷GBM患者的 II/III 期研究。患者招募 (N = 117) 已於 2023 年 3 月完成
- 2023年3月在ESMO上公佈的來自牽頭研究機構的I/II期膠質母細胞瘤試驗長期隨訪數據顯示
 - 患者**五年總體生存率達67%** vs 研究機構數據僅為8.2%
 - 患者**兩年總體生存率為83%** vs 34.3%的研究機構總體生存率數據
 - **中位無進展生存期為17.95個月** vs 5.8個月的無進展生存期歷史數據

膠質母細胞瘤 (GBM) 概述

- 一種罕見的腫瘤病，比其他癌症類型**發病率較低**
- 診斷的中位數年齡為64歲，當中男性較女性稍多一點 (1.59倍)
- **最常見和惡性的**成人膠質瘤類型。約45%的膠質瘤是多形性膠質母細胞瘤
- 估計全球**5年存活率5.5%**及中國5%以下
- 治療選擇：手術切除，替莫唑胺(TMZ)輔助化療¹，腫瘤治療領域 (TTF)，貝伐珠單抗 (Avastin)

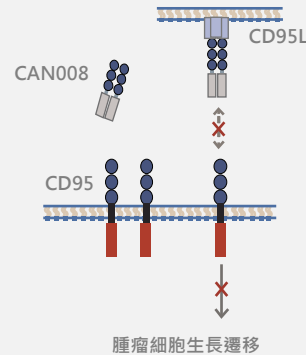
資料來源：弗若斯特沙利文分析

於中國面向中國市場

於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

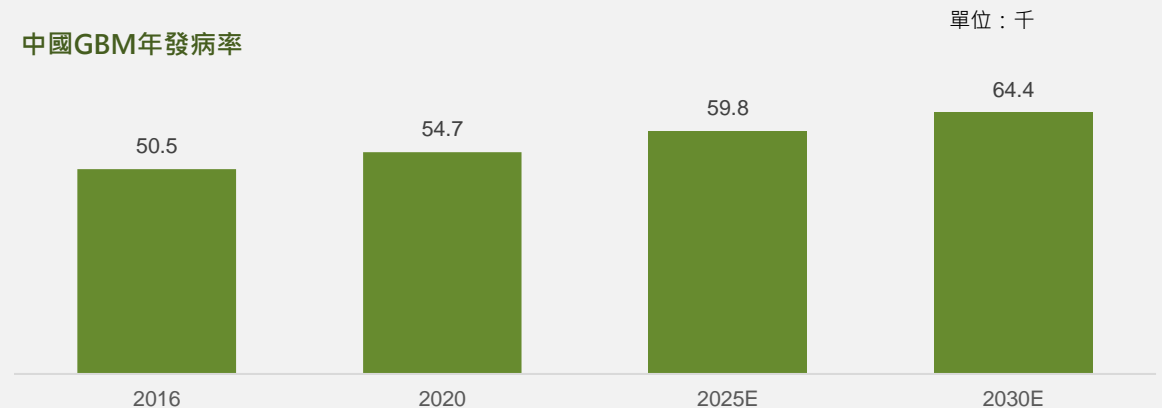
作用機制



- 1 CD95L在細胞表面與其 CD95 受體結合，並誘導 CD95的低聚，從而觸發細胞內信號級聯反應，刺激腫瘤細胞的生長和遷移
 - 2 CAN008作為可溶受體，與 CD95L 結合 並阻斷腫瘤細胞中的內源性 CD95 / CD95L 信號傳導途徑。
 - 3 CAN008還阻斷 CD95 / CD95L 與 T 細胞的結合，阻止 T細胞凋亡並恢復免疫功能
- 由於CD95 的低聚被阻斷和信號轉導被抑制，腫瘤細胞的生長和遷移被抑制

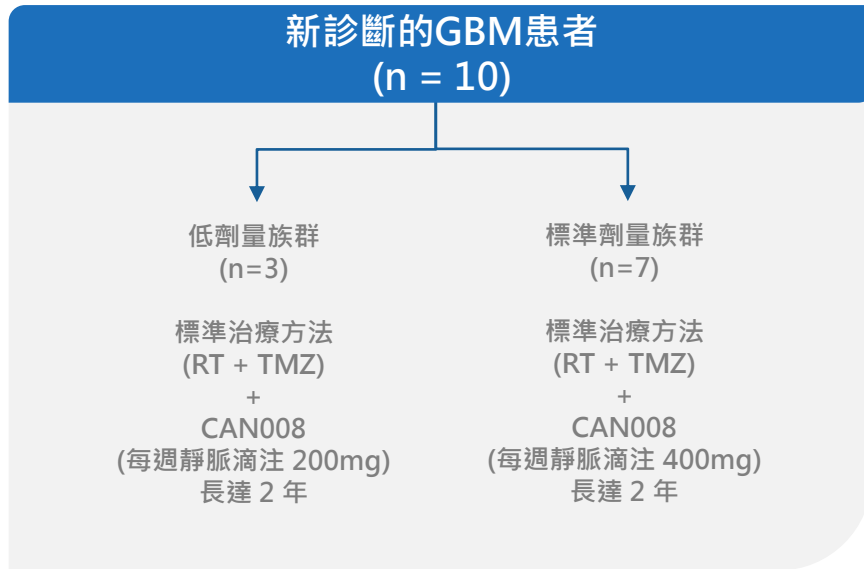
流行病學

中國GBM年發病率



CAN008 – 新診斷膠質母細胞瘤 (GBM) 的 I 期試驗

CAN008 在新診斷的GBM患者中顯示出明顯的臨床療效跡象



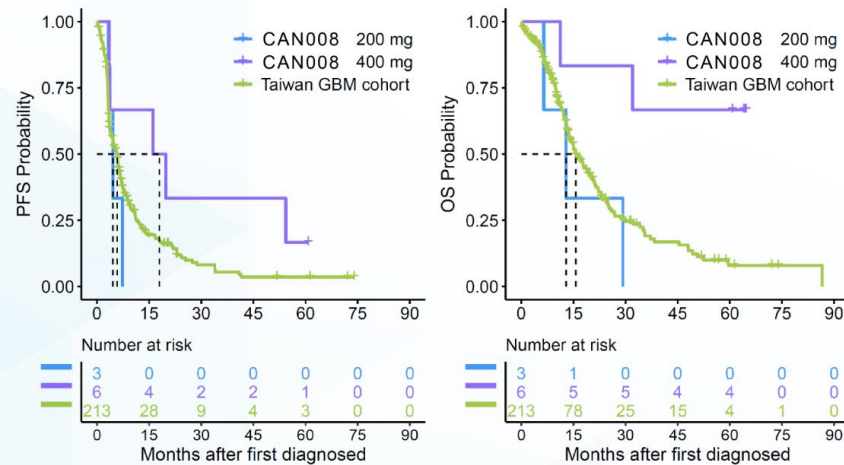
- 安全**
- 當CAN008 (200或400 毫克) 與RT和TMZ結合時沒有具體安全問題
 - 沒有受試者因治療出現的不良事件而終止
 - 沒有患者出現劑量限制毒性 (DLT)
 - RP2D 建議最大給藥劑量每週一次400 毫克靜脈注射

資料來源：1 · Wei K-C等 · 《科學報告》 2021； 11：24067

療效

PFS 率	200 mg 族群	400 mg 族群
PFS-3個月	33.33%	71.42%
PFS-6個月	33.33%	57.14%
PFS-9個月	0% (全部進展)	57.14%
PFS-12個月	-	57.14%
中位數PFS	2.37個月	不適用 ⁽¹⁾

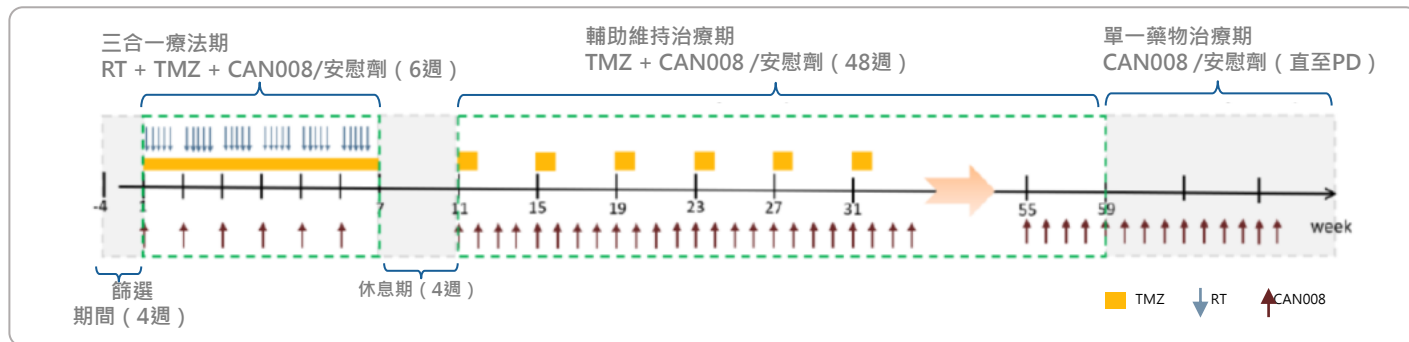
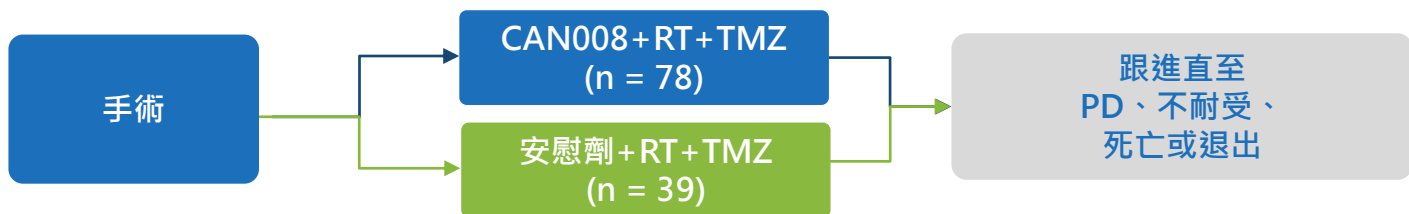
不同劑量下的研究機構历史GBM 队列和 使用CAN008 队列的 Kaplan-Meier 生存曲线



長期追蹤數據在2023年ESMO大會上發表：五年存活率為67%

CAN008 – 新診斷膠質母細胞瘤 (GBM) 的 II 期註冊臨床試驗正在進行中

II 期多中心、隨機、雙盲、安慰劑對照研究



主要療效終點

- 疾病無惡化存活期 (PFS)

中期讀數

- 37 個個案進展

主要里程碑

2023 年第一季：完成招募

2023 年下半年：進行 II 期註冊臨床試驗中期讀數

2024 年：提交新藥申請 (NDA)

下一個
催化劑



CAN103:

首個在中國被開發
用於治療戈謝病的
酶替代療法



CAN103 – 針對戈謝病的酶替代療法

立志為中國戈謝病患者提供首個本土自主研發的酶替代療法

CAN103 概述



首個在中國開發針對戈謝病 (GD) 的酶替代療法 (ERT)



擁有全球專有的開發和商業化權



戈謝病為常染色體隱性遺傳，其常見症狀除神經元病變外，還包括肝脾腫大、貧血、骨病等



中國最知名及最典型的罕見病之一，約有6000名患者



被納入“首批國家罕見病名錄”

主要里程碑

2022年7月: I 期臨床
首例患者給藥

2023年首季: II 期臨床
首例患者給藥

2024年中: 進行新
藥上市申請

下一個
催化劑



於中國面向中國市場

於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

CAN203: 可用於治療SMA的 新一代基因治療



CAN203 – 脊髓性肌萎縮症的基因治療

病理生理學插圖

- SMA以 α 運動神經元功能障礙為特徵，而 α 運動神經元健康時支配骨骼肌肉並負責肌肉收縮
- SMA患者的SMN1基因缺陷導致SMN蛋白質表達下降
- SMN表達降低導致 α 運動神經元功能障礙/喪失
- α 運動神經元的功能障礙/喪失導致肌肉萎縮和無力

流行病學

- 常染色體隱性遺傳
- 1/6,000至1/10,000的新生兒患有SMA
- 影響所有種族和民族

需求未被滿足

- 年齡較大的SMA患者中未能使用第一代基因療法Zolgensma
- Zolgensma有嚴重肝臟損傷的「黑盒警示」
- 價格高昂因，患者可能負擔不起

CAN203

- 第二代基因治療可能可用於治療SMA 1-3型
- 類似於SOC使用的外殼蛋白
- 內源性啟動子：受控的靶向組織表達，以避免肝臟和心臟中不必要的毒性
- 密碼子優化：增強組織表達

主要里程碑

下一個
催化劑

2023年上半年：在醫學會議上
展示的更多臨床前資料

2024年第4季度：開始全球臨床
試驗

料資來源：Cowen股權研究 及 SMA基金會

於中國面向中國市場

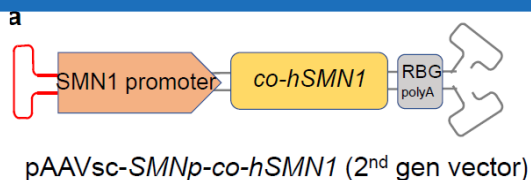
於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

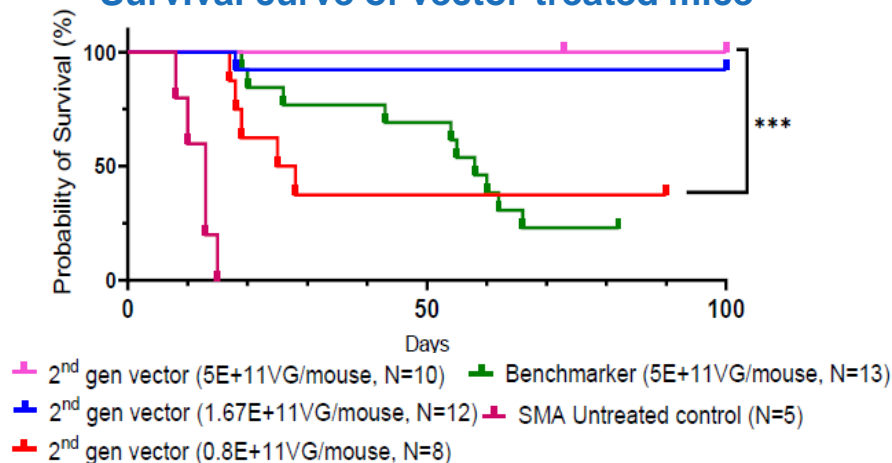
CAN203 –2022年ASGCT上展示的臨床前資料

與我們的第二代載體和基準載體進行正面比較，後者設計類似於 Zolgensma[®]，顯示較基準載體較有治療優勢

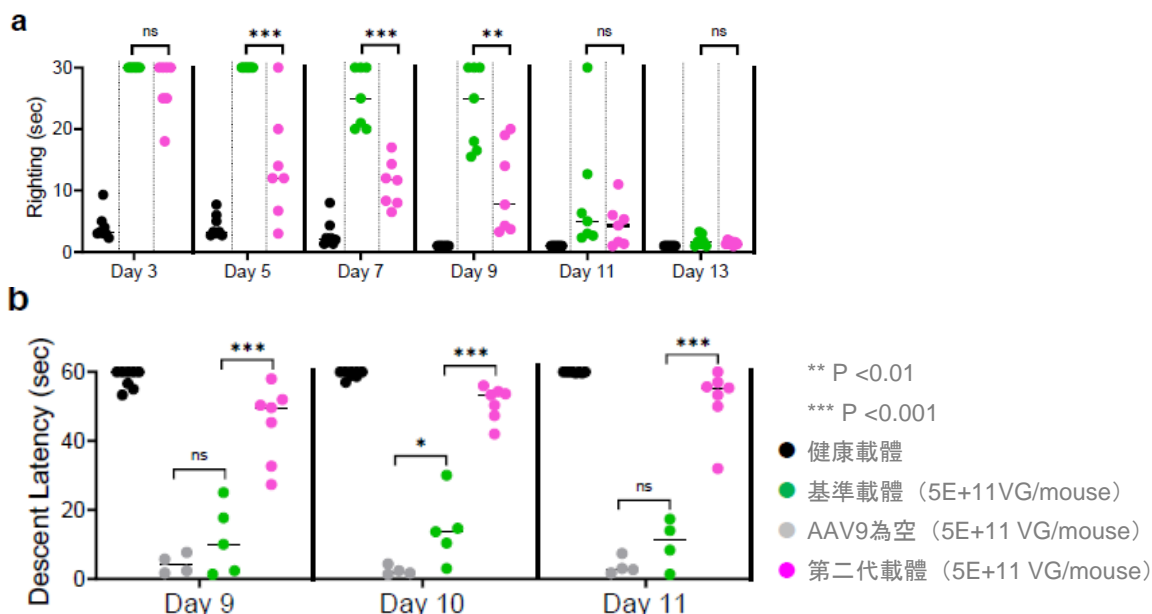
第二代載體：內源SMN1啟動子分離並插入基因序列優化的hSMN1上游



Survival curve of vector-treated mice



SMA白鼠顯示第二代基因載體的肌肉功能恢復較基準載體表現更佳



體內數據顯示，第二代載體在延長壽命、消除肝毒性和改善肌肉功能恢復方面顯示出優勢

資料來源：<https://annualmeeting.asgct.org/abstracts/abstract-details?abstractId=6140>



於中國面向中國市場

於中國面向全球市場

於全球面向全球市場

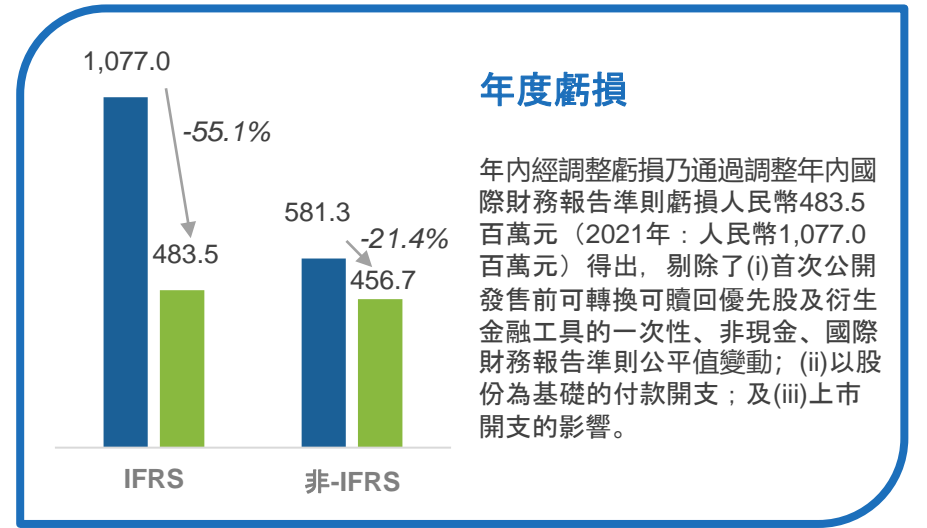
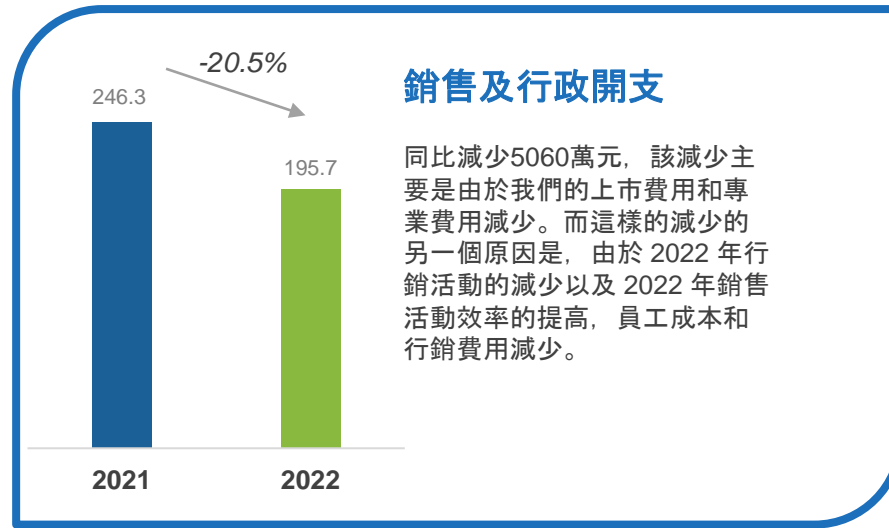
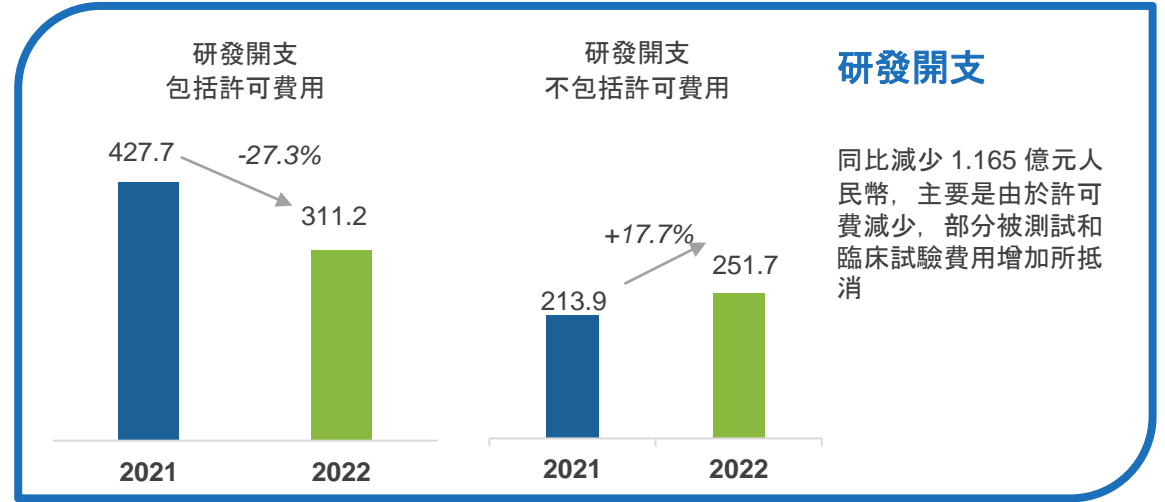
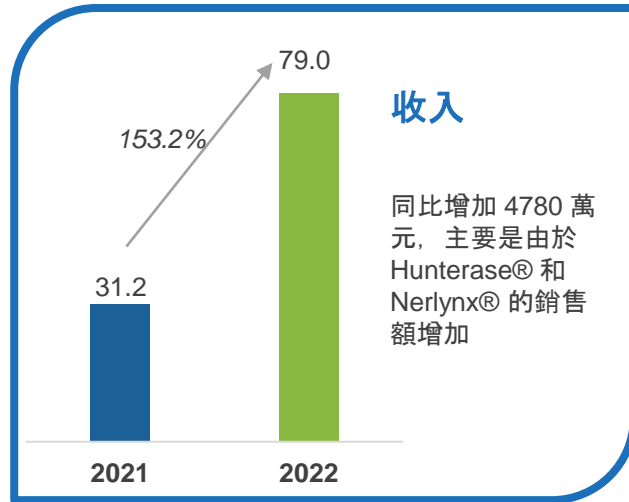
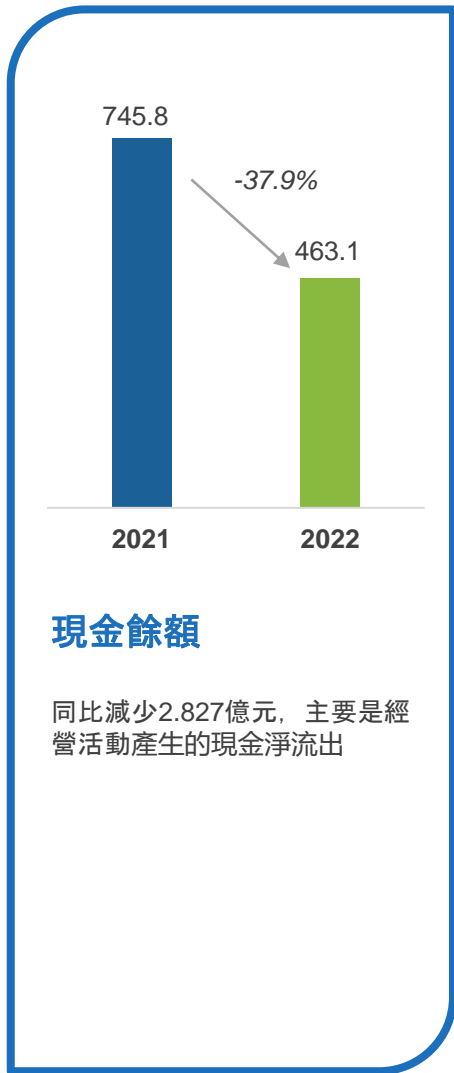
P a r t

03

財務回顧

2022年財務摘要

人民幣 百萬元



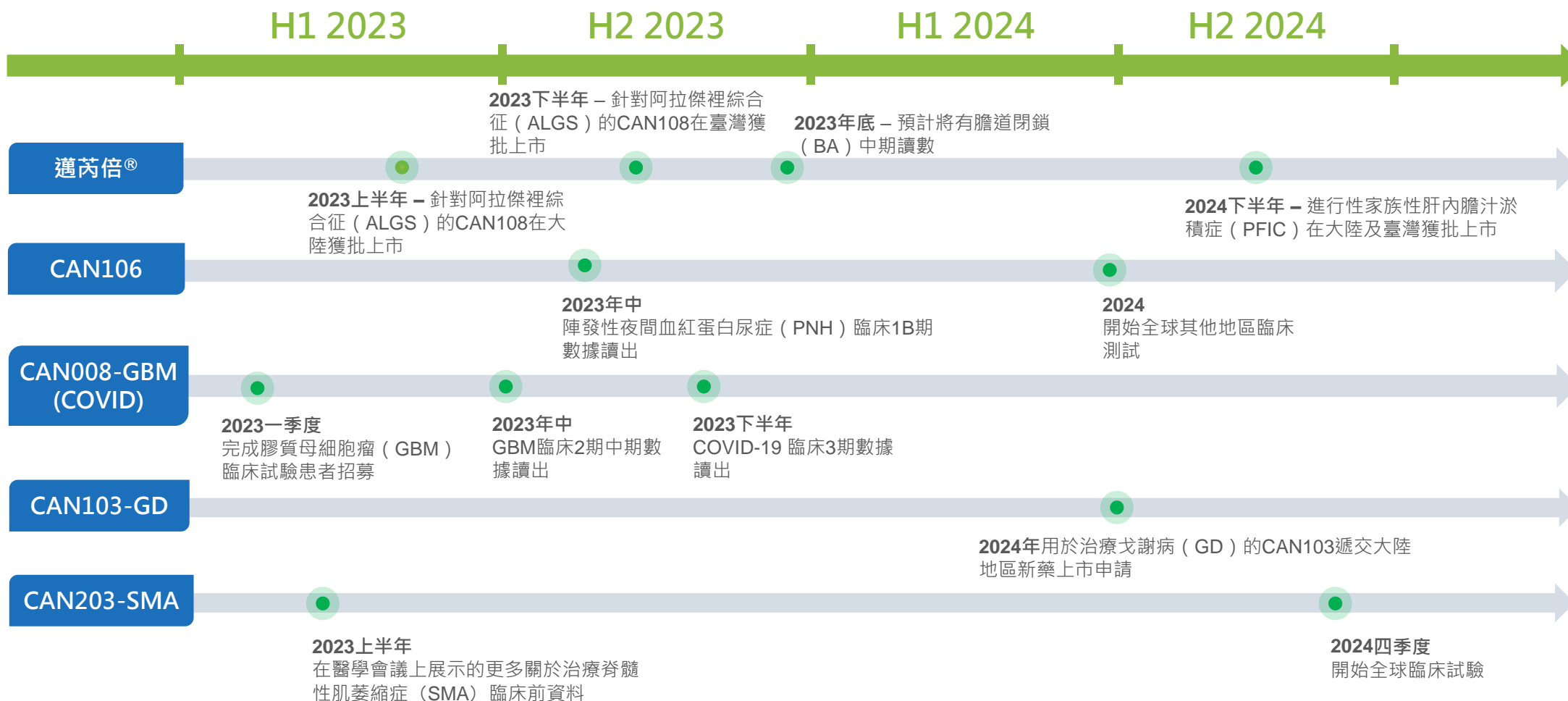
P a r t

04

展望



於2023年及以後有利於推動估值持續增長之催化劑



Q&A

CANBRIDGE-B
01228. HK

www.canbridgepharma.com



謝謝



Contact

IR@canbridgepharma.com

CANBRIDGE-B
01228. HK

www.canbridgepharma.com



WeChat Official Account



P a r t

06

附錄



損益表

人民幣千元	截至12月31日	
	2022	2021
收益	78,972	31,161
銷售成本	(30,078)	(12,385)
毛利	48,894	18,776
其他收入及收益	12,883	13,402
銷售及分銷開支	(86,782)	(100,748)
行政開支	(108,907)	(145,517)
研發開支	(311,174)	(427,658)
可轉換可贖回優先股的公平值變動	-	(462,436)
衍生金融工具的公平值變動	-	34,454
其他開支	(31,526)	(4,200)
融資成本	(6,863)	(3,079)
除稅前虧損（國際財務報告準則）	(483,475)	(1,077,006)
非國際財務報告準則之調整	26,822	(495,684)
經調整後的全年虧損*（非國際財務報告準則）	(456,653)	(581,332)

資產負債表

截至12月31日

人民幣千元	2022	2021
物業、廠房及設備	15,003	9,564
使用權資產	129,714	19,978
無形資產	49,011	51,269
非流動資產總值	3,157	-
存貨	196,885	80,811
貿易應收款項	9,824	13,448
預付款項、其他應收款項及其他資產	19,054	9,141
現金及銀行結餘	13,175	43,307
流動資產總值	463,107	745,815
貿易應付款項	505,160	811,711
其他應付款項及應計費用	107,540	43,607
計息銀行及其他借款	130,670	103,423
租賃負債	26,867	30,868
流動負債總額	13,028	7,882
計息銀行及其他借款	278,105	185,780
租賃負債	10,779	-
非流動負債總額	104,606	13,351
權益總額	115,385	13,351
人民幣千元	308,555	693,391