



CANbridge Pharmaceuticals Inc.  
北海康成製藥有限公司

## 2022 年中期業績

2022年8月

CANBRIDGE, 1228.HK  
[www.canbridgepharma.com](http://www.canbridgepharma.com)

# 免責聲明



**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 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 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."



01

## 業務回顧

# 我們的願景



成為一家立足於中國的全球化生物製藥公司，  
提供可改善生活的療法。



# 主要投資亮點



罕見病先行者，  
致力於解決龐大且決未獲滿足的醫療需求



全面且收益潛力可觀的罕見病療法組合



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



於引入及開發創新及有效療法方面  
擁有卓越的往績記錄



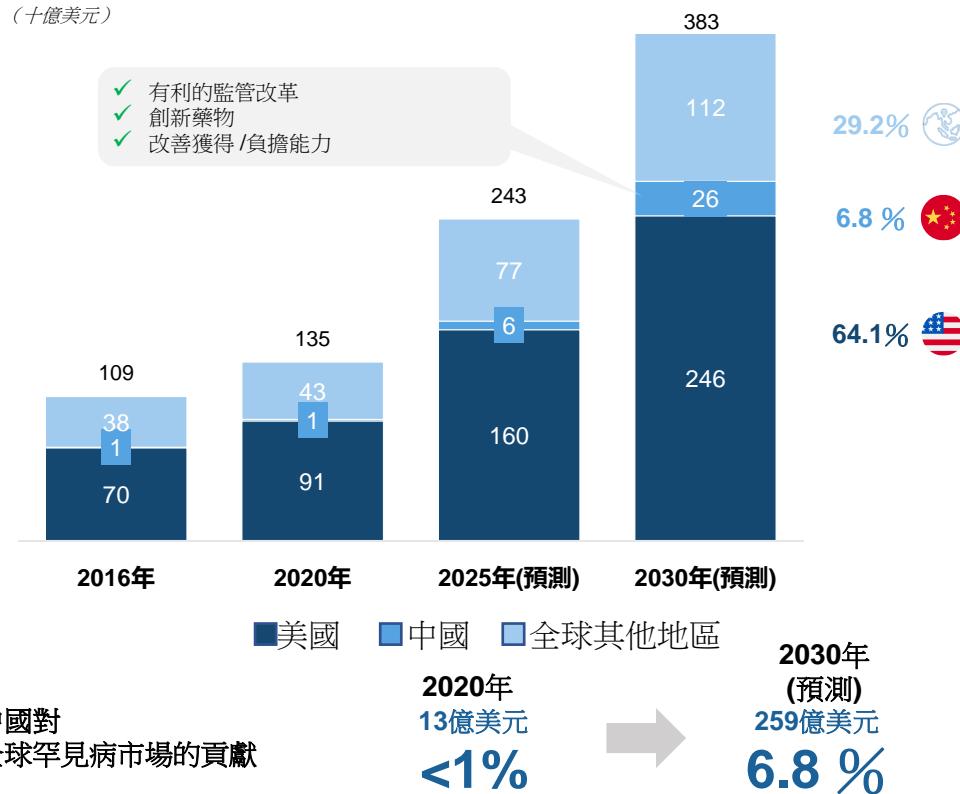
高瞻遠矚的管理層團隊  
於開發及在全球商業化罕見病療法方面  
擁有豐富經驗

# 針對全球罕見病的重大機遇



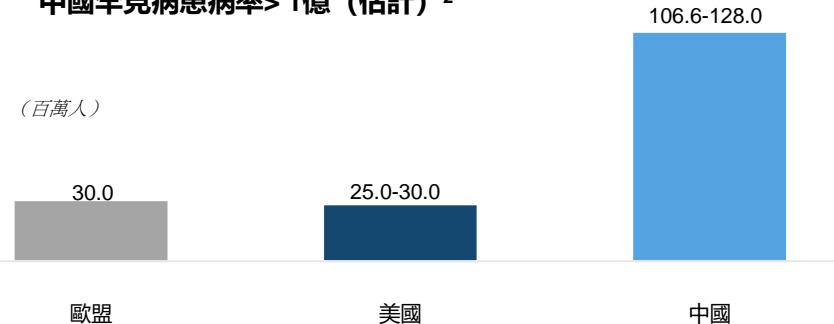
全球罕見病市場龐大，中國是潛在最大的尚未開發市場

## 全球罕見病藥物市場<sup>1</sup> (按地區)



## 美國，歐盟及中國的罕見病患病率（估計）

### 中國罕見病患病率> 1億 (估計)<sup>2</sup>



全球同業罕見病藥物銷售強勁



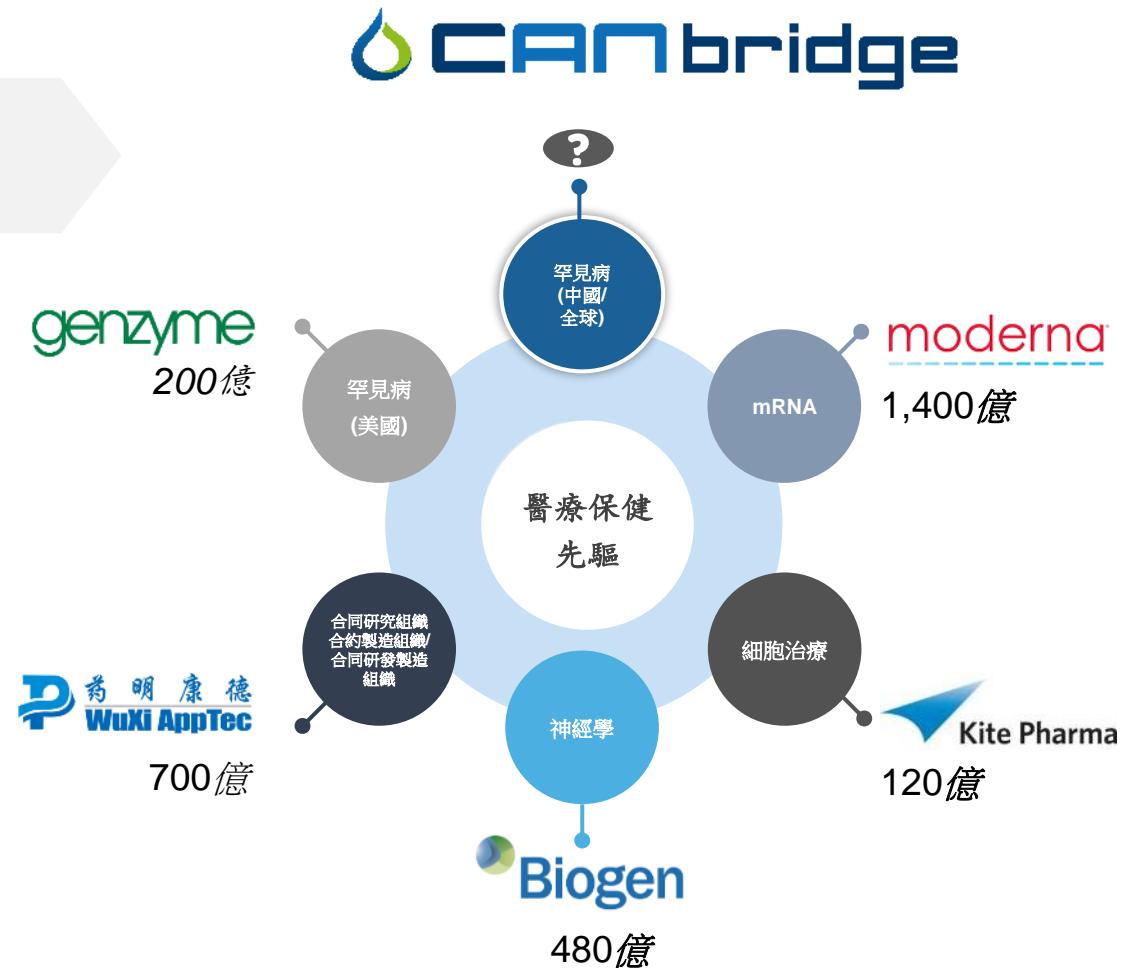
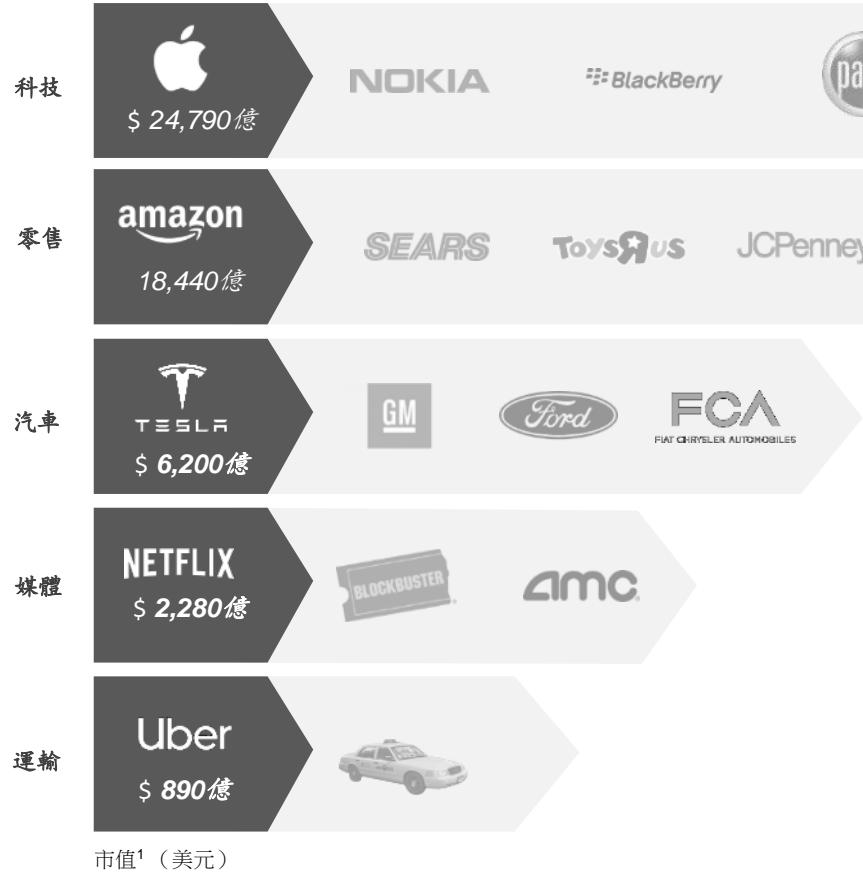
於2020年，十大暢銷孤兒藥  
在全球合共創造428億美元的收入

資料來源：弗若斯特沙利文分析。附註：1. 這市場的罕見病藥物僅包括罕見病用藥及首先獲得孤兒藥資格認定但隨後擴大適應症的藥物，其中包括產生大部分收入的藥物，如Humira。然而，本市場並未計及擴大非孤兒適應症產生的部分收入。2. 通過採用美國或歐洲更廣泛定義的外推法，可恰當地合理估計中國患有  
一種或多種罕見病患者的總基數可能超過1億人。

# 創新行業先行者保持領導地位



北海康成有機會成為中國的罕見病行業先行者，並影響全球的罕見病市場



資料來源：公開資料。附註：1，截至2021年7月23日的市值 2，賽諾菲於2011年2月以約201億美元收購健贊。3，Gilead於2017年8月以約119億美元收購Kite Pharma。

# 北海康成概覽



我們是中國及全球罕見病治療的領先開發者，專注具有龐大市場潛力的創新療法的研究、開發及商業化。



## 中國罕見病市場先行者

- 與主要利益相關者緊密合作，建立中國的罕見病生態系統
- 接觸大量未接受治療的病患者人群
- 已建立強大的基礎設施



關鍵意見領袖



醫生



患者



[卓越與報銷中心]



保險機構



## 廣泛的全球合作

- 行業：自全球創新者授權引進創新及有效療法，然後迅速推進商業化
- 病人組織：首席執行官是中國罕見病聯盟副理事長
- 研究/學術機構：尋求「最佳」技術推進內部發展



許可合作方



GC Pharma



研究共同開發商



Global Solution Provider



UMASS Medical School



UW Medicine



中国罕见病联盟

## 全面且收益潛力可觀的管線

- 針對罕見病及罕見腫瘤適應症
- 選擇具有效作用機制的候選產品
- 跨越多種治療方法：生物製劑、小分子藥物、基因療法
- 於中國及全球市場擁有13項針對治療罕見病及多形性膠質母細胞瘤(GBM)的藥物資產，以及下一代基因療法平台



## 全面一體化平台



- 覆蓋整個藥物開發領域



早發現/臨床前研究

臨床發展



製造



商業化

# 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



- 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

**薛群博士**  
創始人、董事會主席、執行董事、首席執行官



SANOFI GENZYME  
中国罕见病联盟  
China Alliance for Rare Diseases



- 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。

**Gerald Cox博士**  
首席戰略官、代理首席醫學官

SANOFI GENZYME editas  
MEDICINE



- 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

**Glenn Hassan**  
首席財務官



CITADEL  
Fidelity  
INVESTMENTS



- 在生物技術行業擁有約20年的研發領導經驗
- 曾擔任盛諾基醫藥(Shenogen Pharma Group)高級副總裁
- 曾擔任Sanofi Genzyme高級總監，引領第二代酶替代療法的發明

**朱雲祥博士**

副總裁  
全球研究負責人

SANOFI GENZYME  
SHENGEN  
PHARMA GROUP  
復旦大學  
FUDAN UNIVERSITY



**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

SANOFI GENZYME  
ultragenyx  
Synageva  
Biopharma  
Bioverativ



- 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。

**陸義駿**  
CANbridge中國區總經理

Takeda  
Shire Baxalta  
Bayer  
Celgene  
Novartis  
Lilly  
上海市第一人民醫院  
SHANGHAI GENERAL HOSPITAL  
上海醫科大學  
SHANGHAI MEDICAL UNIVERSITY



**陳蔚**

人力資源  
副總裁



**李萍**

臨床開發及運營高級副總裁



**李海霞**

高級董事兼財務運營主管和  
財務總監



**馬倩**

法律合規主管  
聯席公司秘書兼董事會秘書



**茅越佳**

公共事務  
高級總監



**岳旻**

採購與供應鏈  
高級總監



**張苒**

高級藥政事務  
副總裁



**張威**

高級董事兼CMC部門中國區負責人

# 管線瞄準具重大收益潛力的疾病

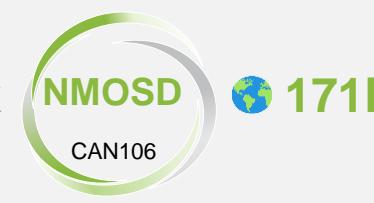


具臨床驗證作用機制、涵蓋多種治療方案的低風險管線

在中國  
為中國



在中國  
為全球



四種適應症  
\$ 5,362



罕見病/罕見癌症

\$ 2021年全球銷售（百萬美元）



2021年全球 / 中國患病率

縮寫：GBM –多形性膠質母細胞瘤；MPS II – 黏多糖貯積症II型；ALGS – Alagille綜合症；PFIC –進行性家族性肝內膽汁淤積症；BA –膽道閉鎖；GD –戈謝病；PNH –陣發性睡眠性血紅蛋白尿症；aHUS –非典型溶血性尿毒綜合症；gMG –全身性重症肌無力；NMOSD –視神經脊髓炎譜系障礙；XLH – X鏈鎖低磷血症；FD –法布雷病；PD –龐貝氏病。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：1. CAN008目前並無任何商業化同類產品。\* 2022 預計銷售額



加快新患者識別，擴大商業保險覆蓋面

## MPS II概述



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「全國罕見病名目錄」作為針對的疾病組別



MPS II重症患者的預期壽命（**60% - 80%**的案例）明顯縮短



一般於**25**歲前死亡

## Hunterase 商業更新



MPS II患者識別



賠償計劃

### 共發現**539**名患者

- 於2022年上半年發現**135**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

- **5個省及42個城市的商業保險(惠民保)覆蓋Hunterase**
- **64%**目前接受Hunterase治療的患者中有商業保險



# 在中國進行中的臨床項目摘要



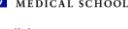
<b>Alagille綜合症</b>  <u>14,000名患者</u> \$ > 100 M*	<b>進行性家族性肝內膽汁淤積症</b>  <u>7,000名患者</u> \$ > 50 M*	<b>膽道閉鎖</b>  <u>50,000名患者</u> \$ > 250 M*	<b>膠質母細胞瘤</b>  <u>55,000名患者</u> \$ > 500 M*	<b>陣發性睡眠性血紅蛋白尿</b>  <u>24,000名患者</u> \$ > 250 M*	<b>戈謝病</b>  <u>3,000名患者</u> \$ > 50 M*
 <b>CAN108</b>  提交新藥申請 <ul style="list-style-type: none"><li>預期2023年獲批准並作商業推出</li><li>啟動患者社區和教育項目</li><li>EAP在海南進行中</li></ul>	 <b>CAN108</b>  III期進行中 <sup>A</sup> <ul style="list-style-type: none"><li>於中國大陸、香港及臺灣制定註冊策略</li></ul>	 <b>CAN108</b>  II期進行中 <ul style="list-style-type: none"><li>亞洲嬰兒患病率高於白種人嬰兒</li></ul>	 <b>CAN008</b>  II期進行中 <ul style="list-style-type: none"><li>存活率少於2年的致命性疾病</li><li>暫無靶向治療獲批</li><li>對新診斷患者進行研究</li></ul>	 <b>CAN106</b>  VII期進行中 <ul style="list-style-type: none"><li>患者在中國無法得到輔助療法</li></ul>	 <b>CAN103</b>  VII期進行中 <ul style="list-style-type: none"><li>CAN103針對疾病的根本起因</li></ul>

資料來源：弗若斯特沙利文分析。\*潛在中国市场大小（美元，百万）。^3期全球研究由合作方Mirum進行

# 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13項藥物資產中，集團擁有其中7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）						 GC Pharma	大中華區
	CAN 108 (maralixibat)	IBAT抑制劑	Alagille綜合症（美國） 進行性家族性肝內膽汁淤積症					在中國為中國	 mirum	大中華區
	CAN 106	抗C5單克隆抗體	陣發性睡眠性血紅蛋白尿						 WuXi Biologics / Privus	全球
	CAN 103	ERT GBA	戈謝病						 WuXi Biologics Global Solution Provider	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	法布雷病						 WuXi Biologics Global Solution Provider	全球
	CAN 105	因子IXa/X bsAb	A型血友病						 WuXi Biologics Global Solution Provider	大中華區
	CAN 201	AAV sL65 GLA	法布雷病						 LogicBio Therapeutics	全球
	CAN 202	AAV sL65 GAA	龐貝氏病						 LogicBio Therapeutics	全球
其他[腫瘤]	未披露	腺相關病毒	脊髓性肌萎縮症						 UMass Chan MEDICAL SCHOOL	全球
	未披露	AAV	杜氏綜合症						 Scriptar	全球
	Caphosol™	磷酸鈣漱液	口腔黏膜炎						 EUSA Pharma	中國大陸
	Nerlynx® (奈拉替尼)	酪氨酸激酶抑制劑	HER2+陽性乳腺癌 HER2+陽性轉移性乳腺癌						 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

# 2022年上半年業務亮點



## Hunterase

- ✓ 識別新患者的速度加快 (539名患者\*) 及商業保險覆蓋範圍擴大 (47個保險計劃\*)

## CAN108

- ✓ 根據中國(博鳌)「先行先試」政策批准
- ✓ Alagille綜合症新藥上市申請獲中國國家藥品監督管理局 / 臺灣藥品監督管理局受理
- ✓ 膽道閉鎖的II期試驗中向首位中國患者給藥 (全球EMBARK<sup>1</sup>研究)

## CAN106

- ✓ 於2月公佈在新加坡的CAN106的I期試驗積極數據
- ✓ 在中國1b/2期PNH試驗中向首位患者給藥
- ✓ 在維也納EHA會議上公布CAN106的I期數據

## CAN008

- ✓ 在II期試驗中繼續進行患者招募及向中國新診斷GBM患者給藥

## CAN103

- ✓ 於2021年10月就CAN103獲得國家藥監局IND批准
- ✓ 在I/II期成年和青少年戈謝病臨床試驗中完成向首位患者給藥

## 基因治療

- ✓ 在華盛頓特區舉行的ASGCT年會上透過小鼠SMA模型提出新型第二代scAAV9數據，並與onasemnogene abeparvovec<sup>2</sup>進行比較

注釋: \* 截至2022年6月30日，5個省及42個城市的商業保險(惠民保)覆蓋Hunterase. 1. EMBARK是Mirum Pharmaceuticals申辦的全球2期研究，旨在評價maralixibat治療Kasai術後BA受試者的有效性和安全性 (NCT04524390. 2. Onasemnogene abeparvovec，商品名為Zolgensma，中文商品名為諾健生®靜脈懸液注射劑)

## 企業及業務發展

- 在馬薩諸塞州伯靈頓開設美國基因治療研發中心
- 成立補體疾病科學顧問委員會



02

## 產品管線最新發展

# CAN108 – 罕見膽汁淤積性肝病的IBAT抑製劑



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

## CAN108摘要

獲Mirum授予大中華地區開發、生產及商業化Livmarli® ( maralixibat) 的專利權  
2021年9月在美國獲得FDA批准針對靶向治療的症狀，並成為ALGS提供替代治療  
目前在中國並無ALGS、PFIC 或 BA（葛西氏手術後）產品獲得批准  
廣泛的安全數據集：已在1,600+人類受試者中進行評估，並在120+兒童完成和持續進行ALGS和PFIC臨床試驗的研究  
有潛力改善肝移植的長期成果

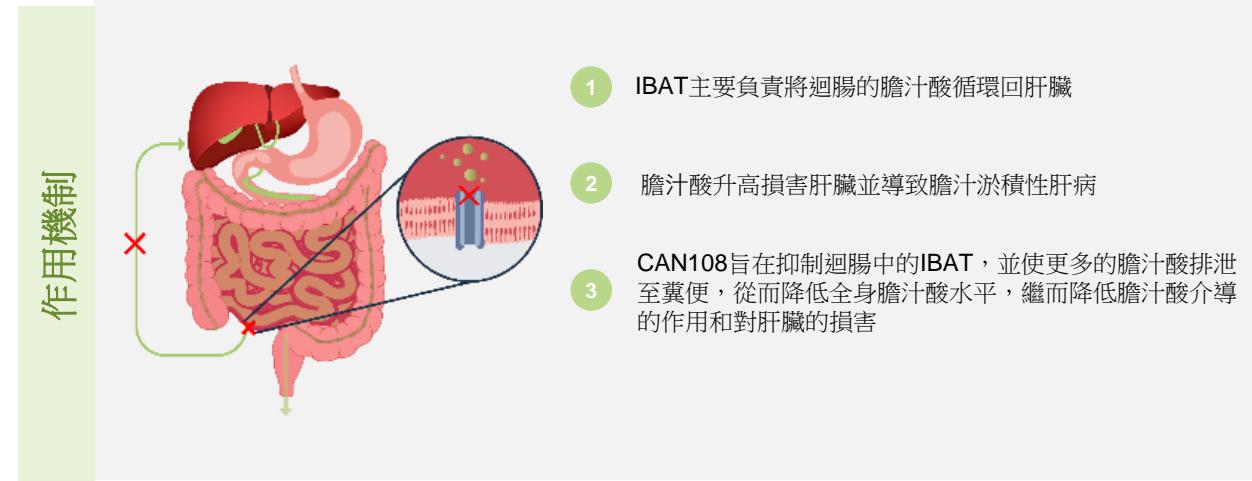
## 疾病概述

**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尚無治癒方法。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

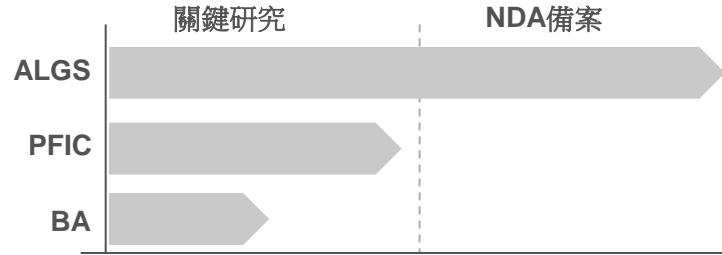


# CAN108 – 臨床開發計劃



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

## 中國CAN108的開發情況



### ALGS

- ✓ 在中國大陸和台灣NDA備案
- ✓ 中國大陸及香港EAP計劃

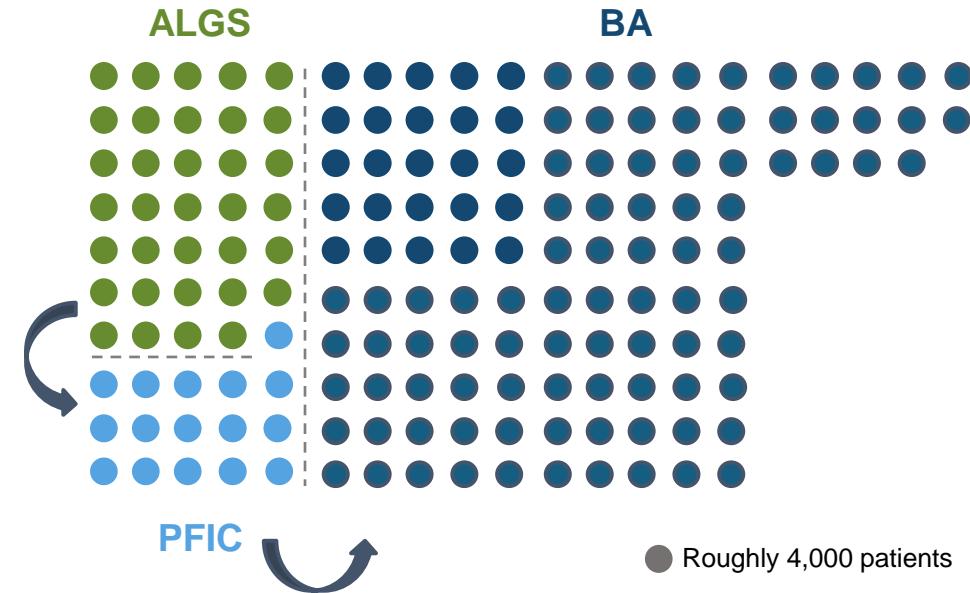
### PFIC

➤ Mirum備案後在中國NDA備案，備案時間預計在2023年初

### BA

- ✓ 中國2期實驗首例患者給藥

## 中國 > 70,000名ALGS、PFIC及BA患者



### 增長機會：

- 預計於2023年商業化推出ALGS，於2024年推出PFIC及於2026年(2029年)推出BA

# CAN106 – 補體疾病的長效抗C5療法



中國及全球補體相關疾病的治療需求未得到滿足

## CAN106摘要

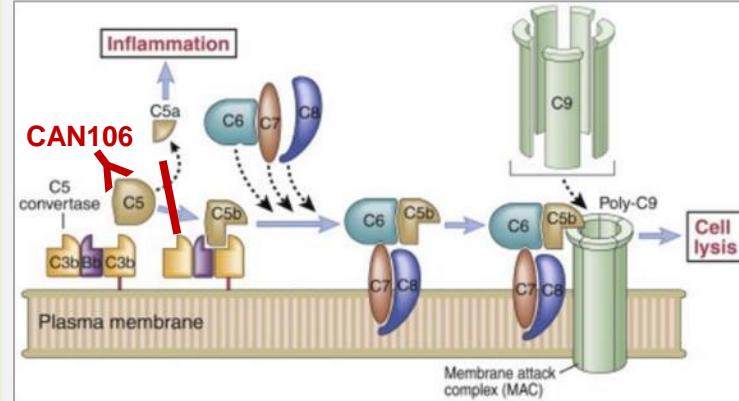
通過與藥明生物及Privus(發明者)的戰略協議獲得全球開發、生產和商業化CAN106的權利

PD/PK研究有利特徵，PD作用持續時間延長

在新加坡完成健康志願者的1期SAD研究，目前在中國進行針對患者PNH 1b/2期研究（首例PNH患者於2022年3月給藥）

安全且耐受良好，在1期SAD研究中，主要為輕度或中度不良事件，無與藥物相關的嚴重不良事件

## 作用機制

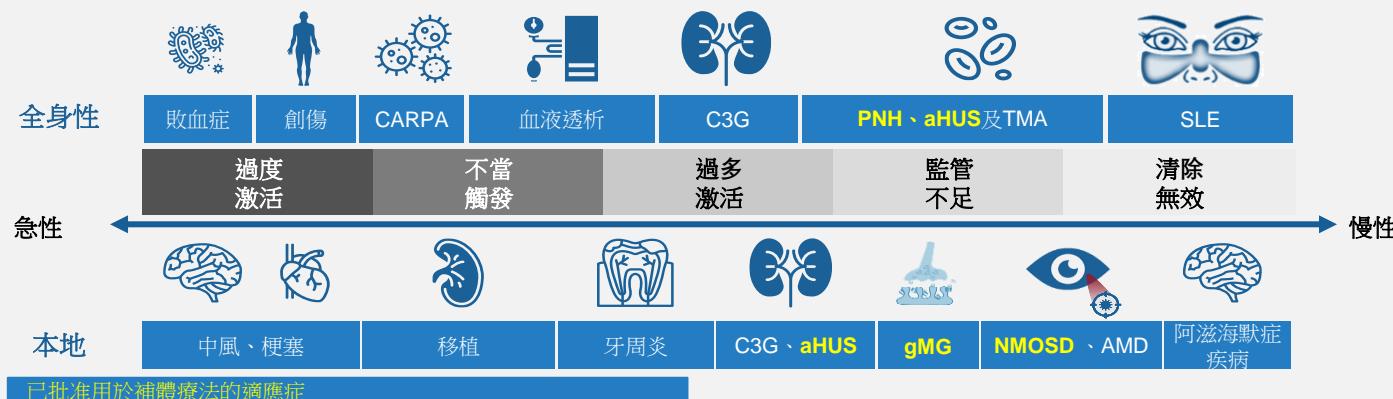


1 CAN106與C5的α鏈結合，阻止C5被C5轉化酶切割成C5a和C5b，從而防止MAC形成和細胞裂解

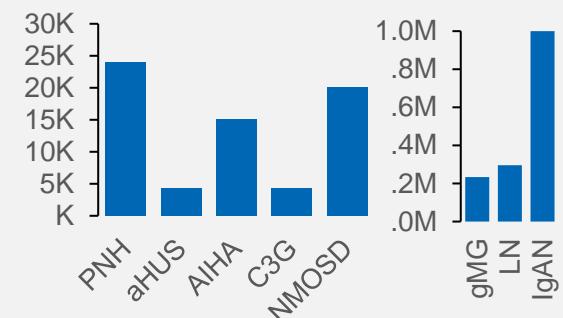
2 CAN106保留了C3b的產生，這對於清除循環免疫複合物以及細菌和真菌病原體的正常吞噬作用至關重要

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<sup>1</sup>

### 補體療法的潛在適應症



### 中國估計可尋址患者人數<sup>2</sup>

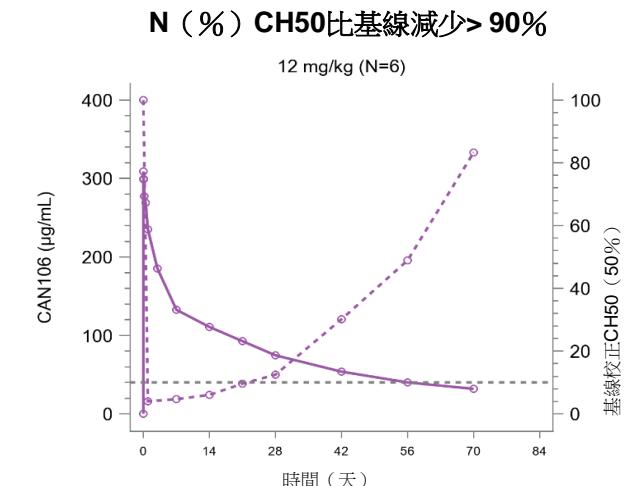
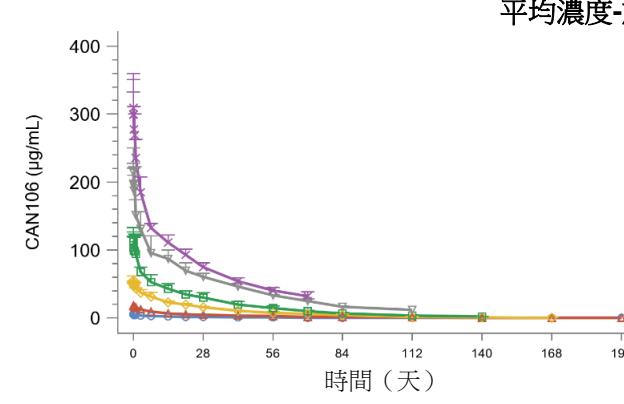


縮寫：PNH，陣發性睡眠性血紅蛋白尿症。附註：1. 根據2020年10月6日發布的2020年Alexion 資者日新聞。2. Risitanon 及 Rotoli, 2008；中國 KOL 專訪；中國aHUS診斷和治療共識, 2017；《中國MG診治指南》2015；Howard 等, 2017；Zanella和Barcellini, 2014；Berentsen及Sundic, 2015；Mahmoud等, 2016；北海康成研究

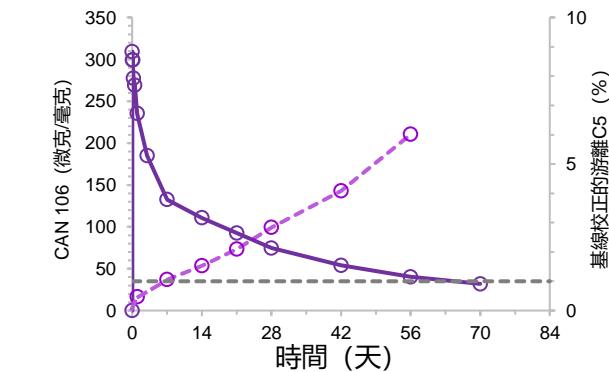
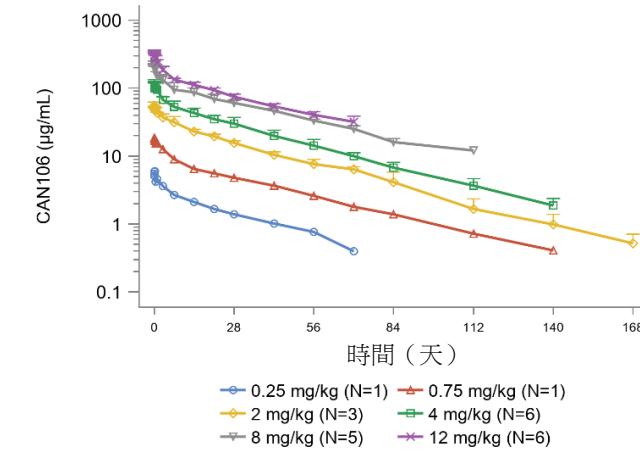
# CAN106 –1期SAD<sup>1</sup>統計學結果



完全阻斷補體功能鼓勵對PNH患者進行進一步研究



附註：基線校正CH50(%) = 紿藥後CH50 /基線CH50



附註：基線校正游離C5 (%) = 紿藥後游離C5 /基線游離C5

注释：1.Single ascending dose，单次剂量递增研究

# CAN106為中國PNH患者的1b期設計



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

**研究人數**

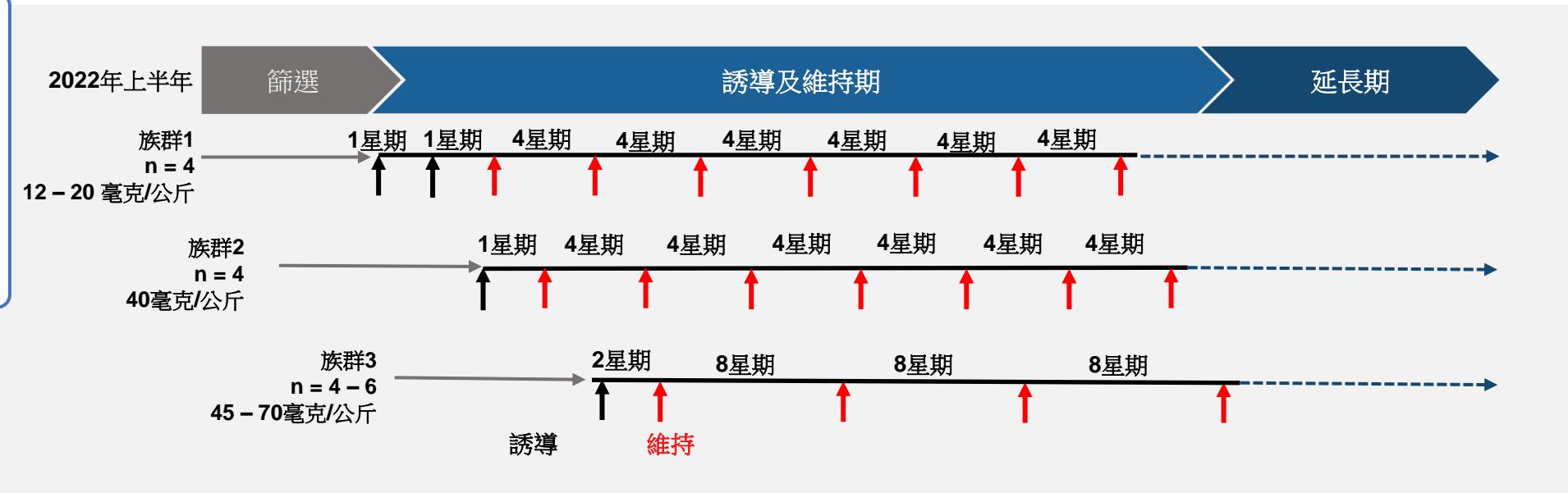
- 未使用補體抑製劑治療的PNH患者

**主要療效終點**

- 安全
- PK/PD

**地區**

- 中國



- PNH**
- 3月1b期FPD，2022年下半年族群1及2中期數據分析
  - 2期研究的準備工作將於2023年上半年開始，於2023年下半年開始招募患者。
  - 2025年有望获中國国家药品监督管理局药品审评中心批准

## 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。

# 補體疾病科學顧問委員會



委員會將就CAN106臨床開發計劃提供指導，並探討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  
Weinshenker,  
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

# 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

## CAN008摘要

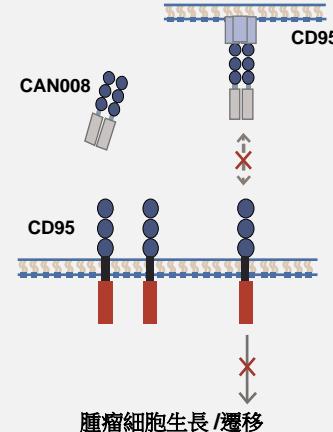
獲Apogenix授予大中華地區開發、製造和商業化CAN008  
(APG101/asunercept) 的專利權



全人源融合蛋白，由CD95受體的細胞外結構域和IgG抗體的Fc結構域組成

Apogenix進行的2期隨機對照試驗的統計數據顯示，無進展生存期及生活質量大幅及臨床有效改善以及復發GBM患者的總體生存期呈積極趨勢。

目前正在中國進行新確診GBM2/3期研究



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

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。

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

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，TMZ輔助化療<sup>1</sup>，腫瘤治療領域（TTF），貝伐珠單抗（Avastin）

## GBM概述

## 流行病學



資料來源：弗若斯特沙利文分析。附註：GBM，多形性膠質母細胞瘤；TMZ，替莫唑胺

# CAN008 – II期研究患者招募進行中



新確診GBM的I期數據令人鼓舞<sup>1</sup>

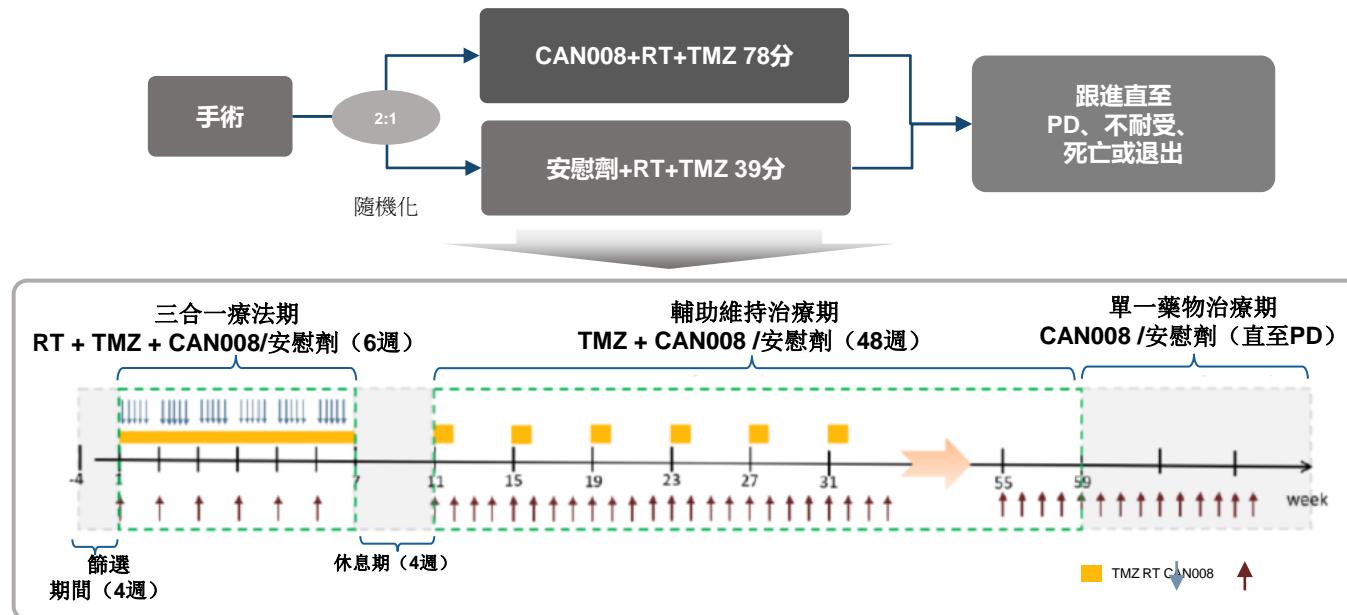
安全

- 當CAN008（200或400毫克）與RT和TMZ結合時沒有具體安全問題。
- 族群2的兩名患者發生嚴重不良事件（SAE），但與CAN008無關。所有病人均已康復。
- 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。

療效

PFS率	族群1 (200毫克；n=3)	族群2 (400毫克；n=7)
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 <sup>(1)</sup>

## II/III期多中心、隨機、雙盲、安慰劑對照研究



### 研究人數

- 新確診GBM
- 主要療效終點
- 無進展生存期（PFS）
- 中期讀數
- 37個個案進展

於2022年下半年完成患者招募

資料來源：1. Wei K-C等，《科學報告》2021; 11: 24067 \*CAN008每週一次400毫克靜脈注射，直至疾病有進展或不可接受的毒性。 GBM：多形性膠質母細胞瘤 RT：放射治療 TMZ：替莫唑胺 PD：疾病惡化

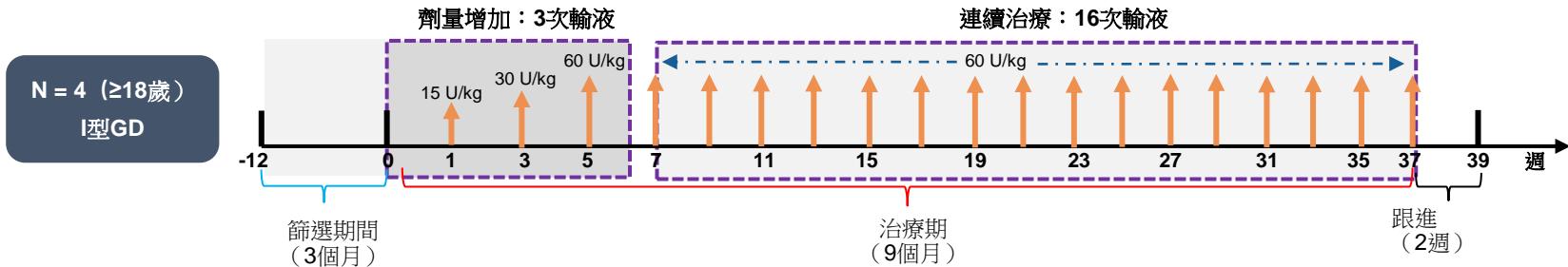
# CAN103注射液I/II期臨床試驗完成首例患者給藥



多中心I/II期臨床試驗包括兩個部分，預計招募40名青少年和成人患者



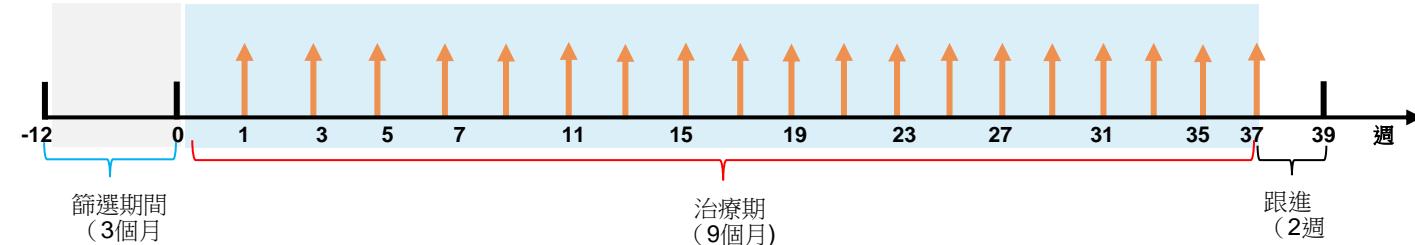
## A部分：開放標籤，受試者內，劑量增加1期研究



## B部分：隨機、雙盲、平行組、劑量比較2期研究



**主要療效終點：**  
60 U/kg劑量組第39周血紅蛋白濃度與基線的平均變化



縮寫：GD，戈謝病；EOW，每隔一周；IV，靜脈注射；CAN103每兩周靜脈注射一次

↑ 一次注射；附註：所有患者將在1/2期試驗後加入長期研究

# 三管齊下的基因療法研究策略



內部基因療法研究，以建立針對特定靶組織的腺相關病毒（AAV）平台；與行業創新者合作及與學術專家合作，加快尖端基因治療技術的開發

## 內部研究



在大波士頓區與AAV工藝開發實驗室和試驗工廠一起開發成熟的基因治療平台



針對不同的組織類型，包括中樞神經系統和肌肉



AAV工藝開發實驗室預計於2022年開業



## 與LogicBio和Scriptr緊密合作



使用LogicBio授權的AAV sL65衣殼載體開發兩種用於治療法布雷病及龐貝氏病的基因治療產品，並使用Scriptr公司的技術開發DMD療法



LogicBio授權，公司可選擇使用相同載體開發兩種額外適應症，以及用於治療甲基丙二酸血症(MMA)的臨床階段基因編輯項目



## 與領先研究機構的策略合作



與UMassHorae基因療法中心及UW合作開啟研究項目，為神經肌肉疾病開發基因療法



擁有獨家選擇許可用於UMass資產的開發



有可能成為首批開展AAV基因治療全球合作的中國公司



## 北海康成創新的AAV平台

### 功能

- 肝臟脫靶AAV避免外圍沉降
- 對生產力無影響
- 一個AAV「適合所有人」
- 可為單組織或多組織遞送重新編程
- 避開NAb – 所有患者均可使用
- 簡化製造工藝開發

### 固定的AAV衣殼使我們能夠：

- 使用最佳的AAV製造平台
- 節省開發成本
- 使用單一製造流程
- 相同的分析方法
- 降低COG = 改善負擔能力和患者取得比率
- 加快上市速度

## LogicBio臨床前數據<sup>1</sup>



對人肝細胞進行高效的功能轉導



改善可生產性



對人類血清樣品中  
預先存在的中和抗體更具抵抗力

## 與基因療法專家合作

### 高光坪醫生

- 與UMass合作進行基因療法的策略顧問委員會成員
- 曾撰寫250+研究論文及持有131項專利和221項申請在審核之中
- Voyager Therapeutics和Aspa Therapeutics聯合創始人

### Jeffrey Chamberlain醫生

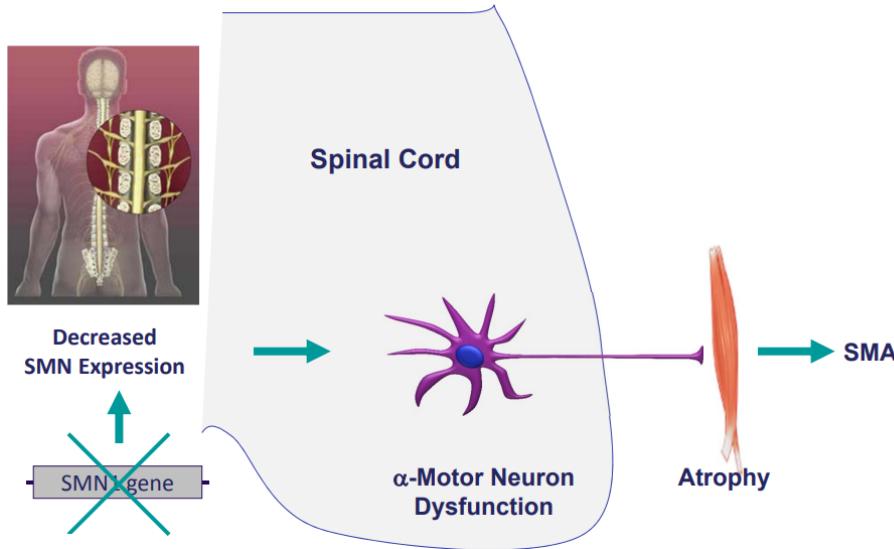
- 華盛頓大學醫學院肌營養不良症McCaw資助講座教授；美國科學促進會理事；ASGCT副總裁
- 曾撰寫110+研究論文（GT和DMD）
- Solid Biosciences科學顧問委員會

# 与UMass合作：脊髓性肌萎缩症的基因治療



SMA首個及唯一獲批的基因療法，有望全球銷售達到30億美元的高峰<sup>1</sup>

## 病理生理學插圖<sup>2</sup>



- SMA以α運動神經元功能障礙為特徵
- 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<sup>2</sup>

- 常染色體隱性遺傳
- 50人中有1人是攜帶者
- 6,000人中有1至10,000人中有一名兒童患有SMA
- 最常見的罕見病之一
- 影響所有種族和民族

## 獲批的靶向治療

- 基因治療（例如Novartis的Zolgensma®）
- 正確剪接（例如Biogen的Spinraza®和羅氏的Evrysdi®）

## 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

資料來源：1，Cowen股權研究。2，改編自SMA基金會

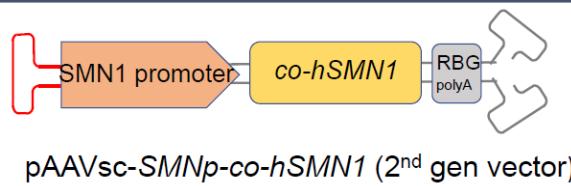
# 北海康成-UMass SMA計劃在2022年ASGCT上提出



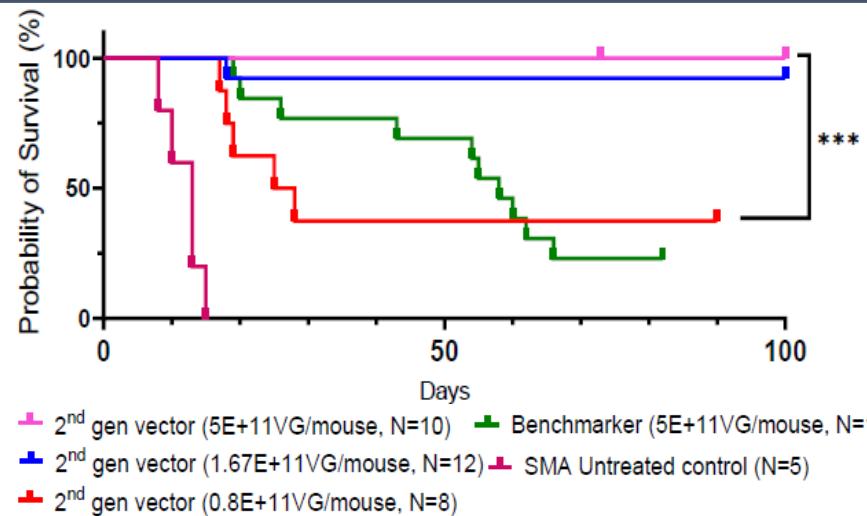
與我們的第二代載體和基準載體進行正面比較，後者設計類似於 Zolgensma®，顯示較基準載體較有治療優勢

UMass Chan  
MEDICAL SCHOOL  
Horae (红瑞) Gene Therapy Center

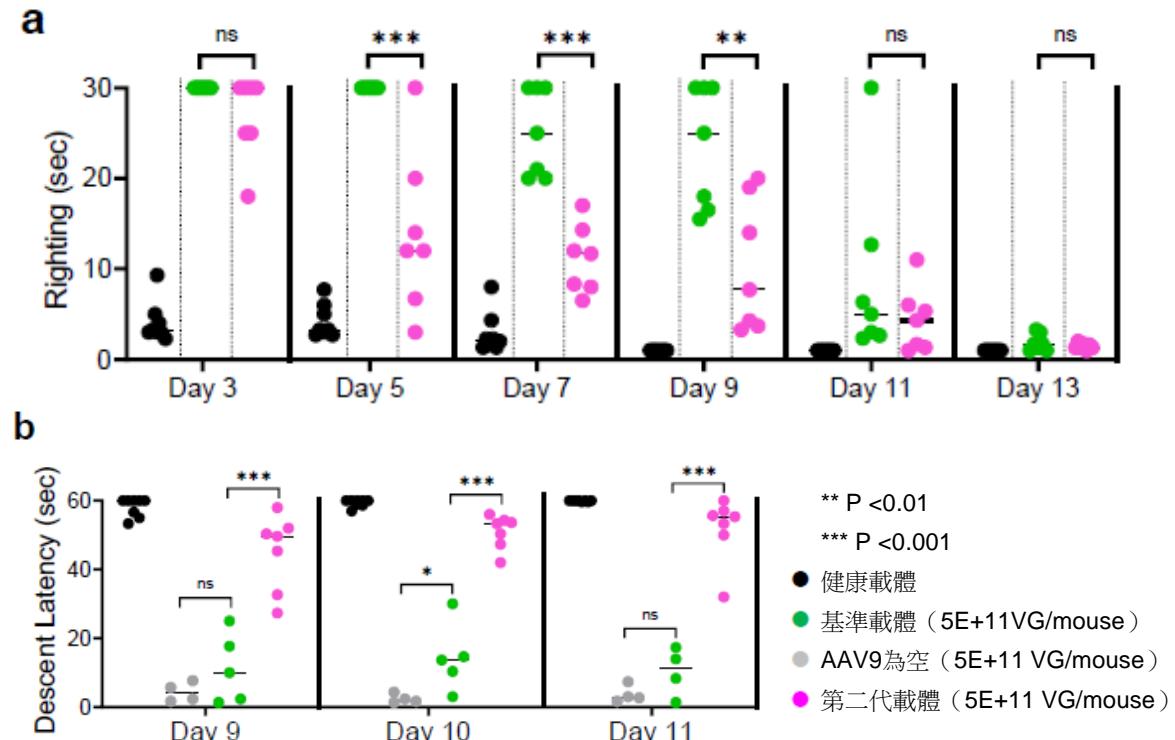
第二代載體：內源SMN1啟動子分離並插入基因序列優化的hSMN1  
上游



載體治療白鼠的存活曲線



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>



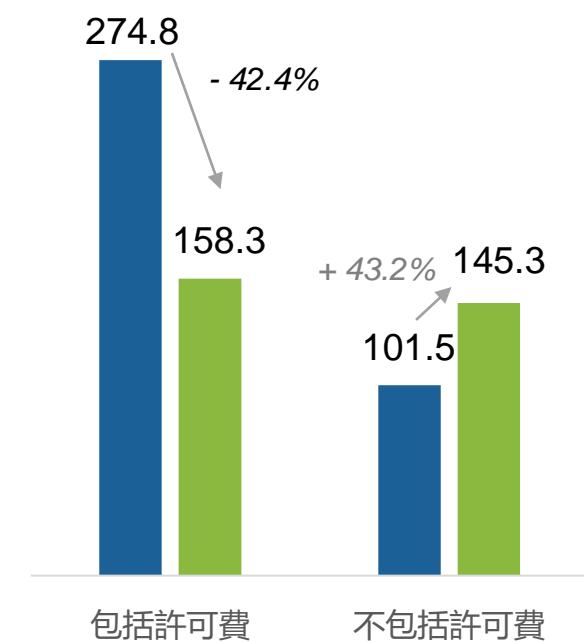
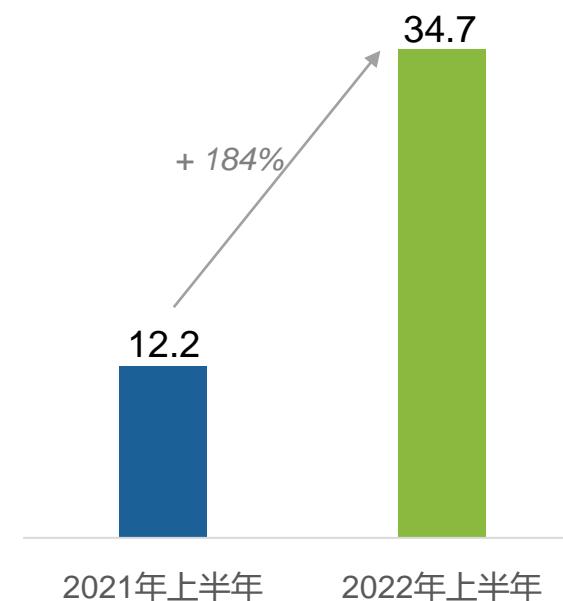
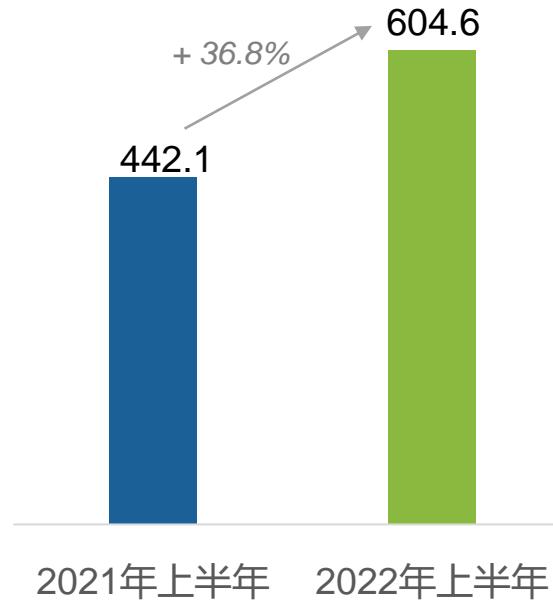
03

## 財務回顧

# 2022年上半年財務摘要



(人民幣百萬元)



## 現金結餘

按年增長人民幣3.85億元，主要是由於2021年下半年進行首次公開發售，但部分被經營現金流出淨額抵銷

## 收益

按年增長人民幣2,250 萬元，主要歸因於Nerlynx®於2020年12月在台灣商業化及Hunterase®於2021年5月在中國大陸商業化

截至2022年6月30日，北海康成識別了**539**名MPS II患者，而Hunterase覆蓋了**47**個商業保險計劃

## 研發開支

按年減少人民幣1.165億元，主要歸因於集團向許可夥伴作出的付款減少，但部分被檢測及臨床試驗開支及研發僱員成本的增幅所抵銷



04

## 展望

# 下一步的重要里程碑



我們預計於**2022年下半年及2023年**：

截至2022年6月30日，我們的現金  
結餘為人民幣**6.046 億元\***

2022

2023

- **CAN108** – 针对ALGS这一适应症的申请有望2023年在中國获批上市
- **CAN008** – 2023年2期中期讀數
- 基因疗法临床前测试将获取多个验证性数据
- **CAN106** – 第四季度族群1&2 的Ib/II期中期數據分析
- 於下半年完成**CAN008** 2期患者入組
- 基因疗法临床前测试将获取多个验证性数据

\*1美元=人民幣 6.70元，截至2022年6月30日

謝謝



微信公眾號

CANBRIDGE , 1228.HK

聯絡  
[IR@canbridgepharma.com](mailto:IR@canbridgepharma.com)



05

## 附錄

# 損益表



人民幣千元	截至6月30日止六個月	
	2022	2021
收益	34,728	12,192
銷售成本	(12,561)	(5,353)
<b>毛利</b>	<b>22,167</b>	<b>6,839</b>
其他收入及收益	6,445	11,052
銷售及分銷開支	(42,626)	(44,768)
行政開支	(55,625)	(52,928)
研發開支	(158,260)	(274,837)
可轉換可贖回優先股的公平值變動	—	(21,848)
衍生金融工具的公平值變動	34,454	
其他開支	(18,631)	(609)
融資成本	(2,482)	(1,558)
<b>除稅前虧損</b>	<b>(249,012)</b>	<b>(344,203)</b>

## 收益

按年增加人民幣2,250萬元，主要由於2020年12月台灣Nerlynx®商業化及2021年5月Hunterase®在中國大陸商業化

## 研發開支

按年減少人民幣1.165億元 主要歸因於集團向許可夥伴作出的付款減少，但部分被檢測及臨床試驗開支及研發僱員成本的增幅所抵銷了

## 行政開支

按年增長人民幣270萬元，主要歸因於行政僱員成本、辦公室開支以及使用權資產及物業折舊成本增加，，但部分被专业服务费及上市開支減少抵銷了

## 期內虧損

2022年上半年期間虧損人民幣2.49億元

# 資產負債表

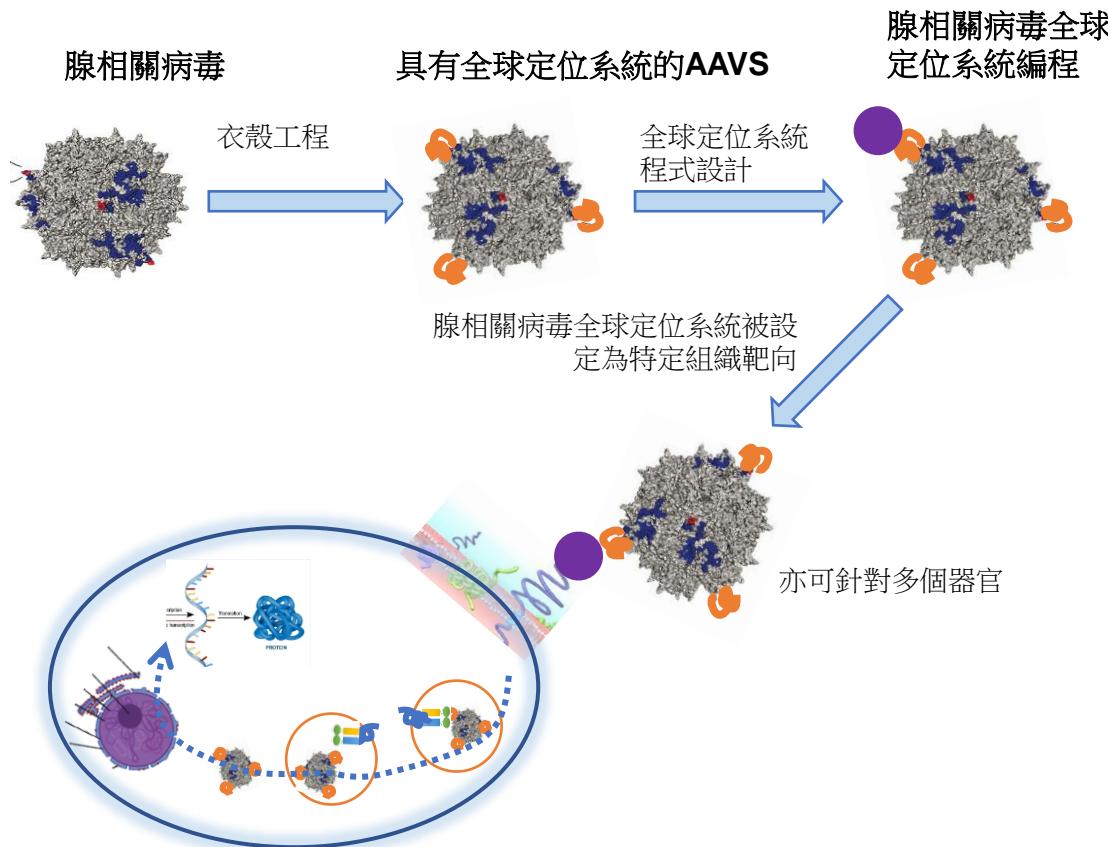


	截至 2022年6月30日	2021年12月31日
<b>人民幣千元</b>		
物業、廠房及設備	7,601	9,564
使用權資產	123,738	19,978
無形資產	50,185	51,269
<b>非流動資產總值</b>	<b>188,331</b>	<b>80,811</b>
存貨	9,602	13,448
貿易應收款項	14,553	9,141
預付款項、其他應收款項及其他資產	25,348	43,307
現金及現金等價物	604,616	745,815
<b>流動資產總值</b>	<b>654,119</b>	<b>811,711</b>
貿易應付款項	108,307	43,607
其他應付款項及應計費用	70,873	103,423
計息銀行及其他借款	29,904	30,868
租賃負債	5,561	7,882
<b>流動負債總額</b>	<b>214,645</b>	<b>185,780</b>
計息銀行及其他借款	18,876	-
租賃負債	102,124	13,351
<b>非流動負債總額</b>	<b>121,000</b>	<b>13,351</b>
<b>權益總額</b>	<b>506,805</b>	<b>693,391</b>

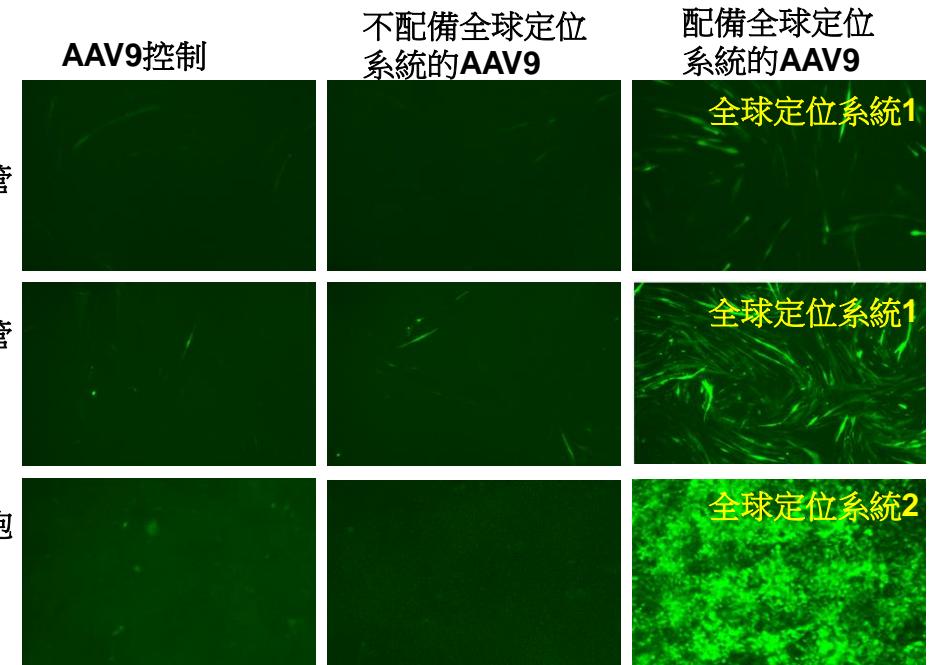
# 北海康成創新的腺相關病毒(AAV)平台：腺相關病毒全球定位系統 (AAV-GPS)



## 北海康成的腺相關病毒全球定位系統組織專用遞送平台



## 對體外肌管和非肌肉細胞中的腺相關病毒全球定位系統的概念驗證



### 額外數據

- 腺相關病毒全球定位系統表現出對AAV9的優越轉導，與MyoAAV的轉導相似\*
- IVIG抑制AAV9和MyoAAV的肌管轉導，但不抑制腺相關病毒全球定位系統的轉導

附註 : Tabebordbar M et al, Cell 2021



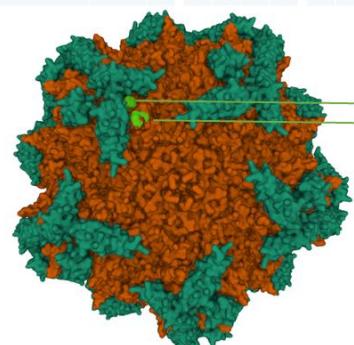
## 自然帽發現

- 有100個已被確定
- 天然進化而成

- 意外發現
- 廣泛的組織趨向性
- NAb/CTL
- 未知物種的可譯性

MNPLIDQYLYLSRINTPF...SLQFSQAGASDIRDQSPRNWLPGFCYRQQRVSKTSADNNN  
RTINWVATEQYGSVSTNLQ...AAADVNITQQLVLFGHNVWQDRDVYLQGPINAKIPTHDGHFNS  
IQYTNYNPKSVNVDFTVVDINGVYSEPRFIGTRYLTRNL

Residue ● ○ ⊖ ⊕ ⊖ ⊖ ⊗ ⊙



## 合理設計

- 基於對受體生物學的理解
- 更多可預測的物種可譯性
- 可能會改變NAb

- 缺乏對受體生物學的全面了解
- 難以設計成腺相關病毒

## 定向進化

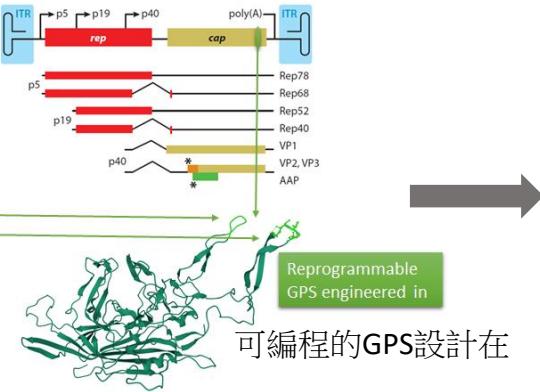
- 高產量
- 包括自然界無法做到的所有可能組合

- 在未知物種可譯性上耗時
- 可驗證性和可製造性的驗證成本高昂
- 不同的組織可能需要不同的腺相關病毒

## 計算機的設計

- 至於定向進化
- 強大的人工智能學習衣殼生物學引導合理的軟件庫設計

- 至於定向進化
- 不同的組織可能需要不同的腺相關病毒



## 北海康成的腺相關病毒全球定位系統

- 全球定位系統外型細小，避免影響化學、製造和控制流程的可開發性
- 肝臟去靶向腺相關病毒以避免外周沉降物
- 一個腺相關病毒可適合所有人，只需更換「GOI」
- 一個腺相關病毒便可簡化製造流程開發
- 可編程的全球定位系統，為某個特定組織或多個組織而設
  - 單組織或多組織遞送能力
- 越過NAb → 增加合資格接受腺相關病毒基因治療的患者人數
- 同一個組織的兩個目標可以被兩個不同的全球定位系統使用，以進一步避免NAb的重複給藥

# 尋找及開發創新及有效療法的往績記錄

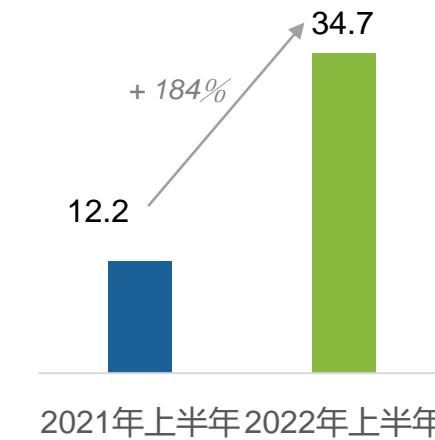
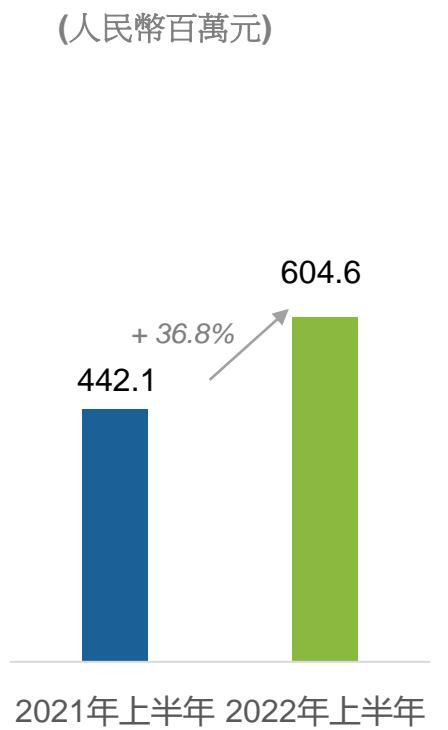


縮寫：GBM，膠質母細胞瘤

# 2022年上半年財務摘要



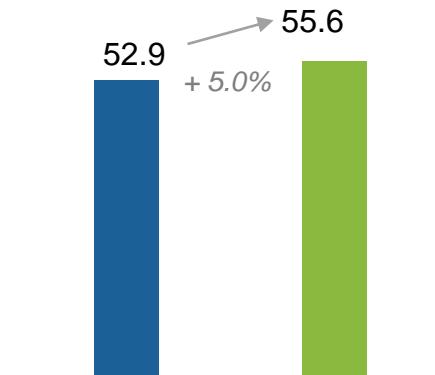
(人民幣百萬元)



## 收益

按年增長人民幣2,250 萬元，主要歸因於Nerlynx®於2020年12月在台灣商業化及Hunterase®於2021年5月在中國大陸商業化

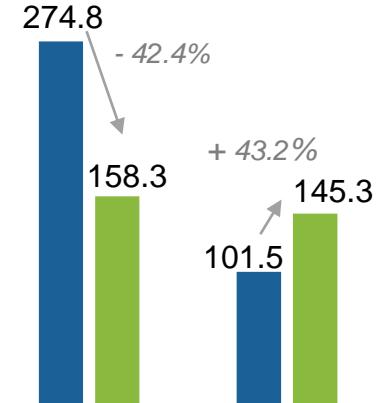
2021年上半年 2022年上半年



## 行政開支

按年增長人民幣200萬元，主要歸因於行政僱員成本、辦公室開支以及使用權資產及物業折舊成本增加，但部分被專業服務費及上市開支減少抵銷了

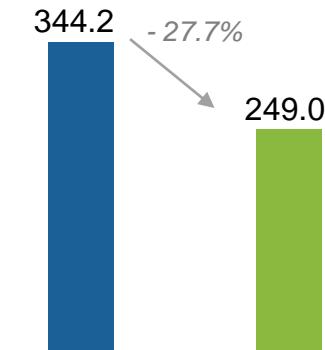
2021年上半年 2022年上半年



## 研發開支

按年減少人民幣1.165億元，主要歸因於集團向許可夥伴作出的付款減少，但部分被檢測及臨床試驗開支及研發僱員成本的增幅所抵銷

包括許可費 不包括許可費



## 期間虧損

2022年上半年普通股權益持有人應佔每股虧損為人民幣(0.59)元