

股票代號: 6610

安成生物科技股份有限公司 TWI BIOTECHNOLOGY, INC.

Every Patient and Their Family Deserve A Better Life.



免責聲明







- 此內容由安成生物科技股份有限公司提供，其目的僅作為訊息提供，並不具有購買/銷售或由第三方作為營利之目的。
- 此內容可能包含安成生物科技股份有限公司其管理階層前瞻性之聲明，如預估及目前可獲得之信息，本公司不會保證這些信息的準確性，可靠性和完整性，因可能有重大的風險導致與前瞻性陳述產生顯著差異，投資者不應該過分依賴此內容。可能的風險包括但不限於金融經濟條件、外匯匯率波動、競爭態勢、市場環境變動及各國政策法規的變動。
- 本公司並無義務更新任何前瞻性聲明或資訊，除非法律要求，本公司將不負責更新或公告新資訊、未來項目或其他的訊息。

簡報大綱

- 執行摘要
- AC-203
- AC-1101
- 我們的團隊
- 未來發展規劃
- 總結
- Q & A

執行摘要

公司亮點

-  專注於**重新定位**已上市藥物之新藥開發，以**罕見疾病**與**發炎性皮膚疾病**為主要目標，解決**未滿足的醫療需求**。
-  主力產品 AC-203 具有美國 FDA **孤兒藥**及**罕見兒科疾病認證**，規劃於**2026年第三季**在**美國取得藥證**。
-  通過授權與技術合作，充分利用外部資源，加速產品發展與市場推廣。合作對象包括國內外醫藥企業、科研機構、醫界領袖、罕病團體等。
-  創辦人及大股東**陳志明博士**是一名成功的連續創業家，具有豐富的專業知識與經驗，並在國內外醫藥產業及學術界享有高知名度與人脈資源。
-  團隊具有豐富的**皮膚製劑開發**和給藥技術、罕見病轉譯醫學研究、皮膚外用藥物臨床執行等開發經驗。
-  公司股票在興櫃市場掛牌，內部制度健全且財務透明，預計於**AC-203全球2/3期臨床試驗期中分析**後，最快於**2025年**下半年啟動以**科技事業**在台灣股票上櫃交易的申請作業。

自主創新的研發產品線

產品代號 (主成分)	劑型	適應症	開發狀態				備註	
			Preclinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3		
AC-203 (Diacerein)	軟膏	單純型 表皮分解性 水皰症 (罕見病)					<ul style="list-style-type: none"> • 完成美國FDA EOP2*會議，FDA同意進行全球多國多中心2/3期臨床試驗 • 完成歐盟EMA科學諮詢會議，EMA同意試驗設計 • 於美國、台灣、澳洲、英國與菲律賓獲得試驗許可，正準備收案中；已向歐盟申請試驗許可 	全球中重度病人數約14萬
		類天皰瘡 (罕見病)					<ul style="list-style-type: none"> • 於台大、長庚、成大完成2期臨床試驗 	全球病人數約10萬
AC-1101 (Tofacitinib)	凝膠	環狀 肉芽腫 (罕見病)					<ul style="list-style-type: none"> • 美國1期臨床試驗已完成，預計2024年3月底獲得Top-line結果 	美國病人數約25萬
		異位性 皮膚炎					<ul style="list-style-type: none"> • 美國 FDA同意進行1期人體臨床試驗 	全球病人數約4200萬

*EOP2: End-of-Phase 2 ; 2期臨床試驗後諮詢會議

AC-203

局部外用發炎體活化抑制劑 Topical Inflammasome Activation Blocker

單純型表皮分解性水皰症 Epidermolysis Bullosa Simplex (罕見疾病)

AC-203 介紹

口服 Artrodar® (主成分為 diacerein) ·
歐盟核准用於治療骨關節炎 · 人體使用
經驗逾 30 年 · 安全性已確立

主成分/劑型

- Diacerein* 雙醋瑞因/外用軟膏

適應症

- 單純型表皮分解性水皰症 (EBS)

作用機轉

- Inflammasome 發炎體抑制劑 · IL-1beta 介白素抑制劑

用法用量

- 每日外用 1 次

研發進度

- 全球多國多中心第2/3期臨床試驗進行中

核心優勢

- **First-in-class (市場上尚無核准用藥)**
- 為發展最快的 EBS 藥品，已進入第2/3期臨床階段
- 用藥8週後即明顯改善患部的趨勢

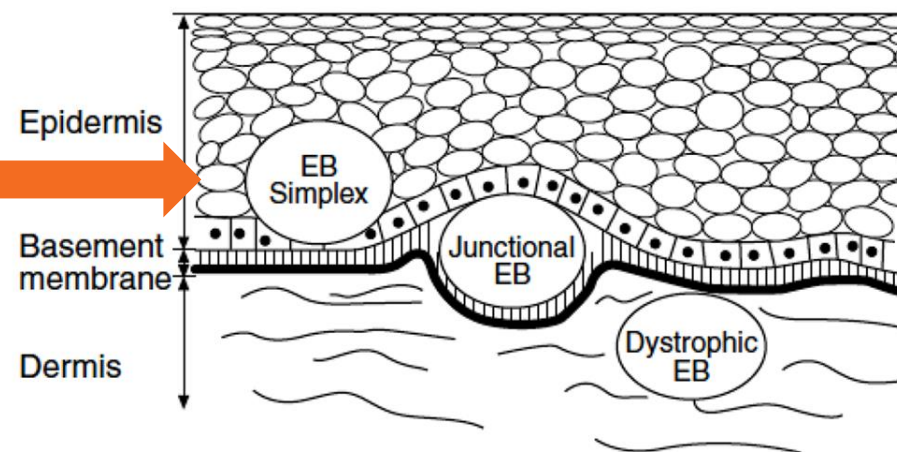


表皮分解性水疱症 (Epidermolysis Bullosa, EB)

EB的主要分型:



Source: A Consensus Approach to Wound Care in Epidermolysis Bullosa



- 罕見疾病 (全球約50萬人)
- 每人每年照顧費用高達10萬美元
- 皮膚或黏膜變得脆弱，易產生水泡
- 嚴重可造成肢體萎縮、皮膚癌

AC-203目標族群為中重度單純型EB (EBS)

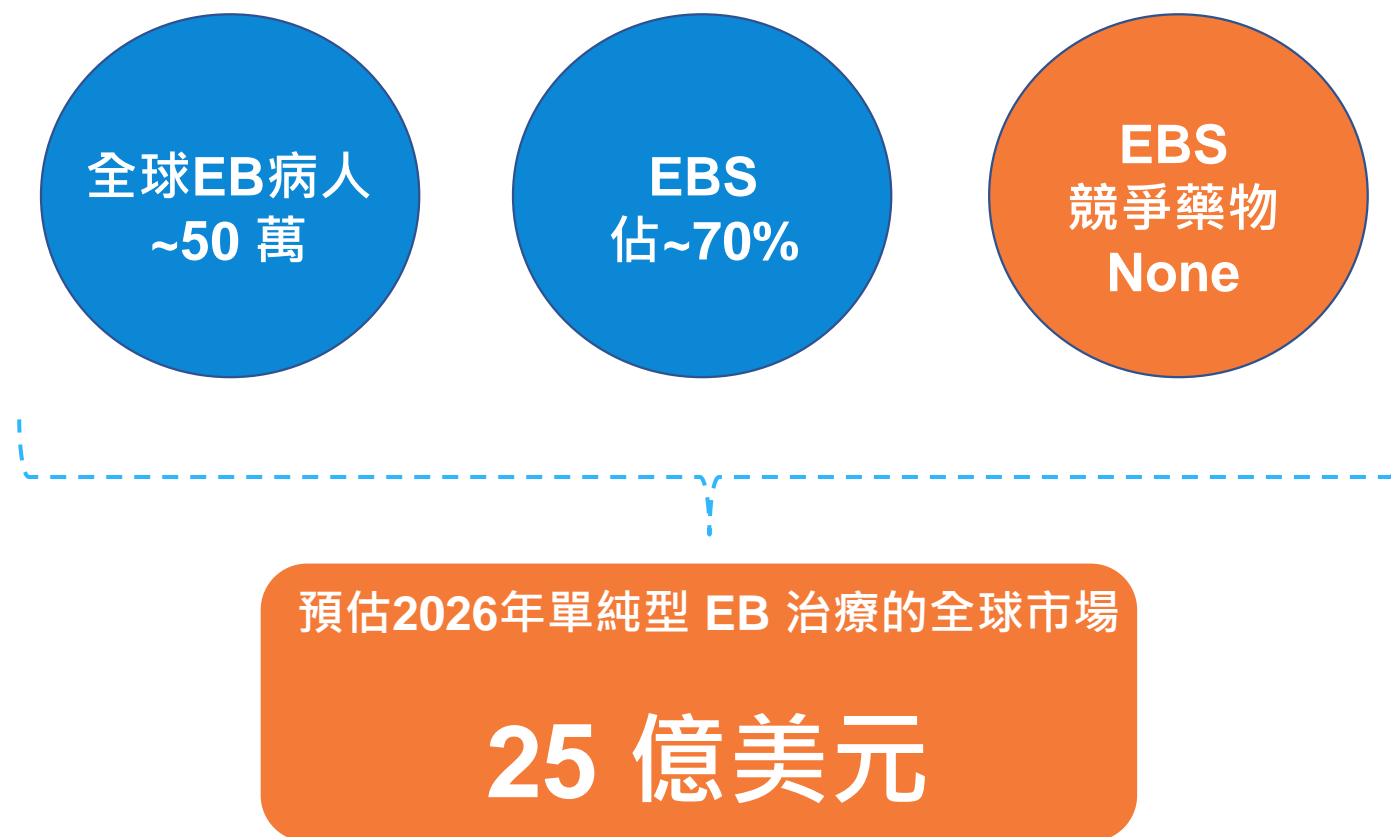


約有10種亞型，主要常見亞型與比例如下

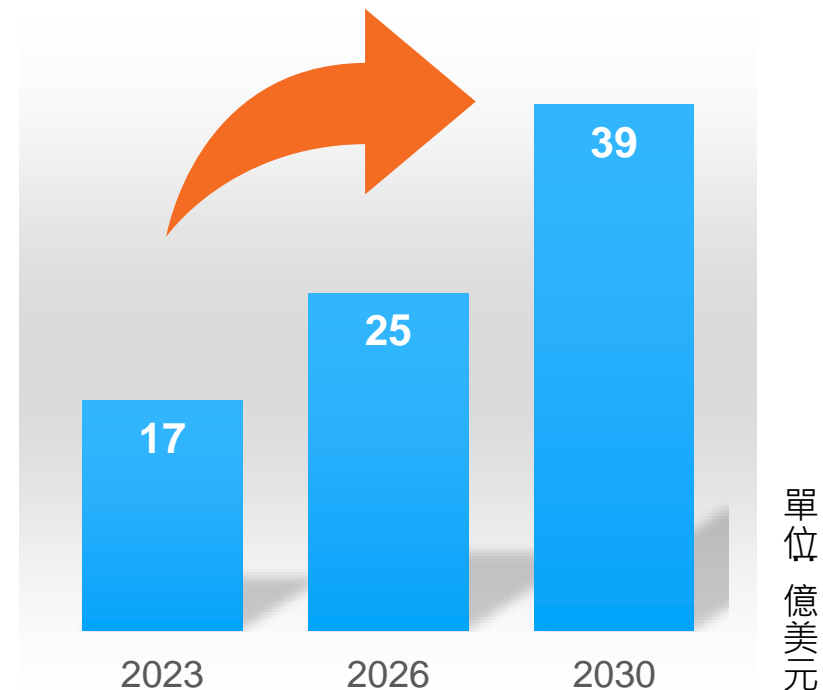
EBS 亞型 ¹	基因型	臨床表徵	比例 ¹
Localized EBS 局部型EBS	<i>DST, EXPH5, KRT5 or KRT14</i>	水皰通常侷限於手、腳區域	60%
Intermediate EBS 中度EBS	<i>DST, EXPH5, KRT5, KRT14 or PLEC</i>	水皰產生區域廣泛，偶見水皰發生在黏膜	15%
Severe EBS (Dowling-Meara EBS) 重度EBS	<i>KRT5 or KRT14</i>	水皰產生區域廣泛，可見黏膜水皰、皰疹樣水皰、出血性水皰	25%

目標病患

EBS市場規模預估

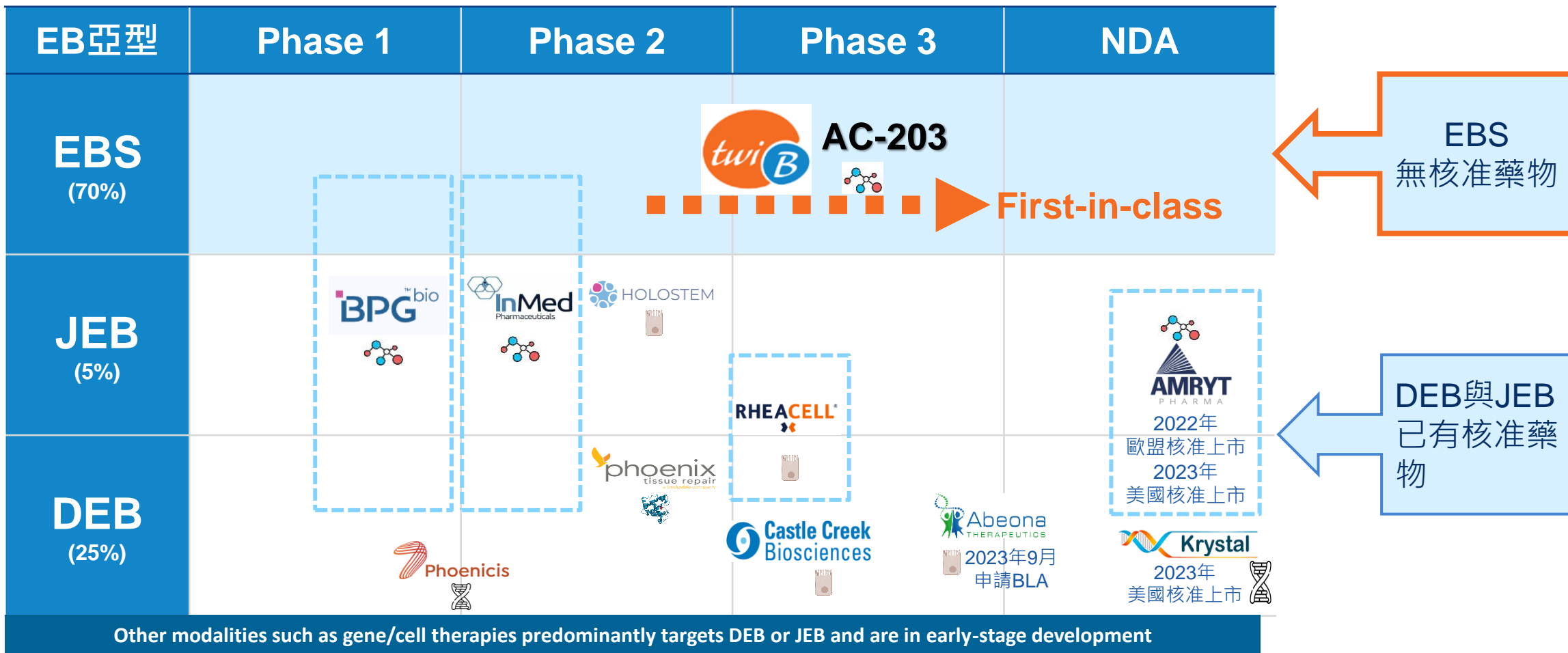





複合年均成長率12.9%
(2023-2030)



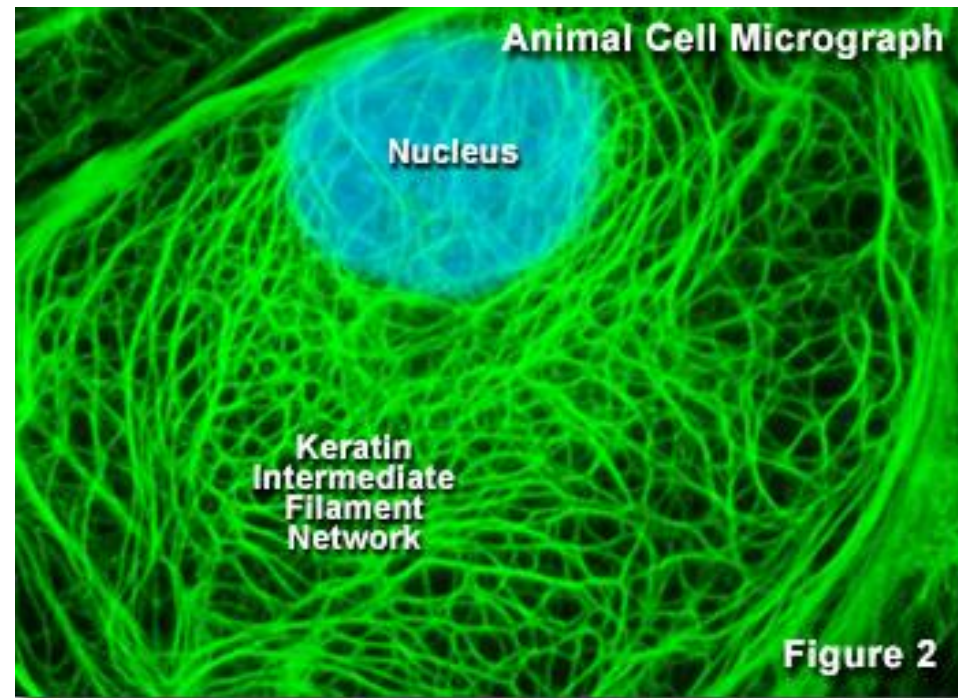
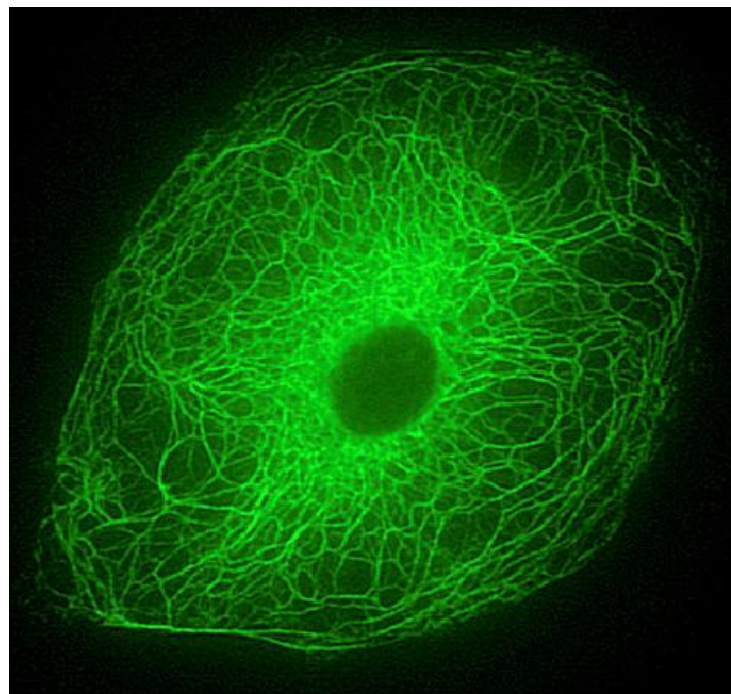
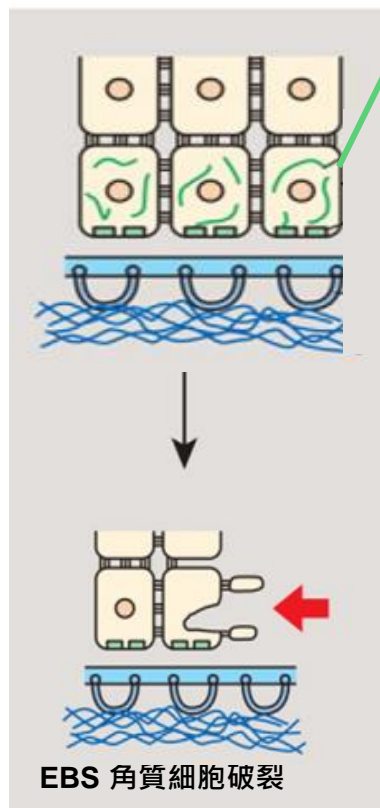
Source: Coherent Market Insights 2023, CMI Analysis

EB藥物開發現況



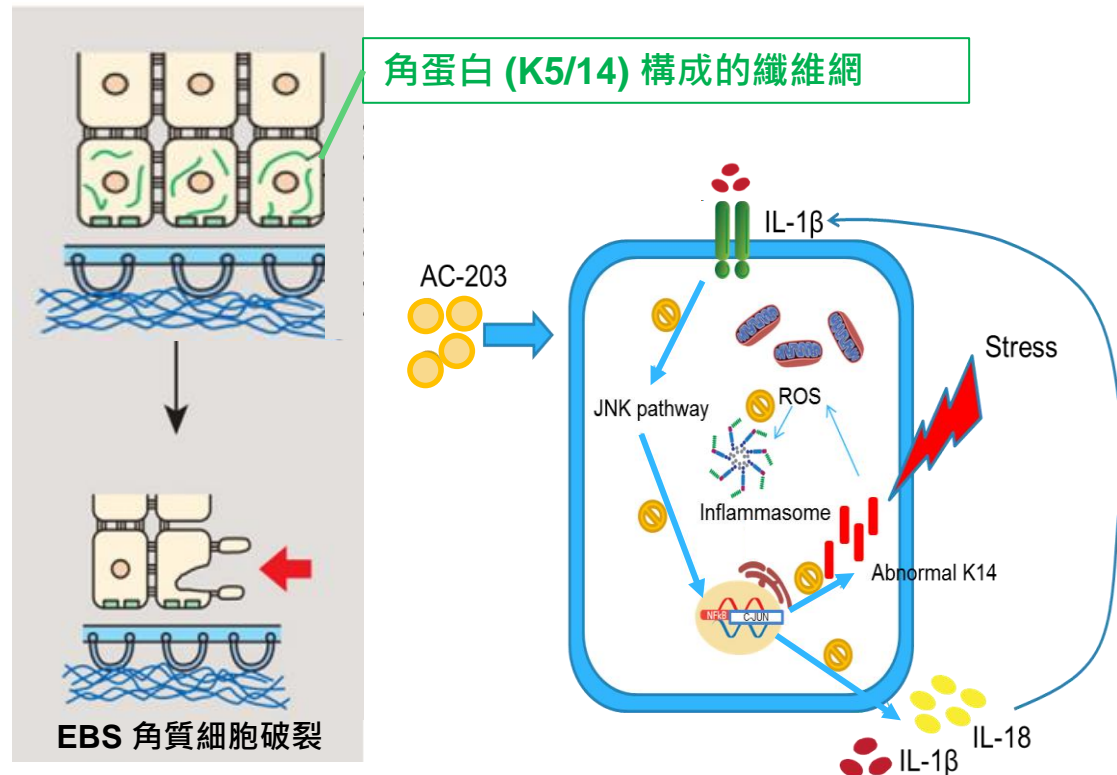
 小分子藥物
  重組蛋白
  基因療法
  細胞療法

正常皮膚角質細胞需要完整的角蛋白 (K5/14) 纖維網



1. McLean and Irvine. *Ulster Med J* 2007;76:72–82.
2. <http://micro.magnet.fsu.edu/cells/intermediatefilaments/intermediatefilaments.html>

AC-203 有效緩解EBS的致病機轉



➤ **KRT5/KRT14 基因突變導致 EBS¹ :**

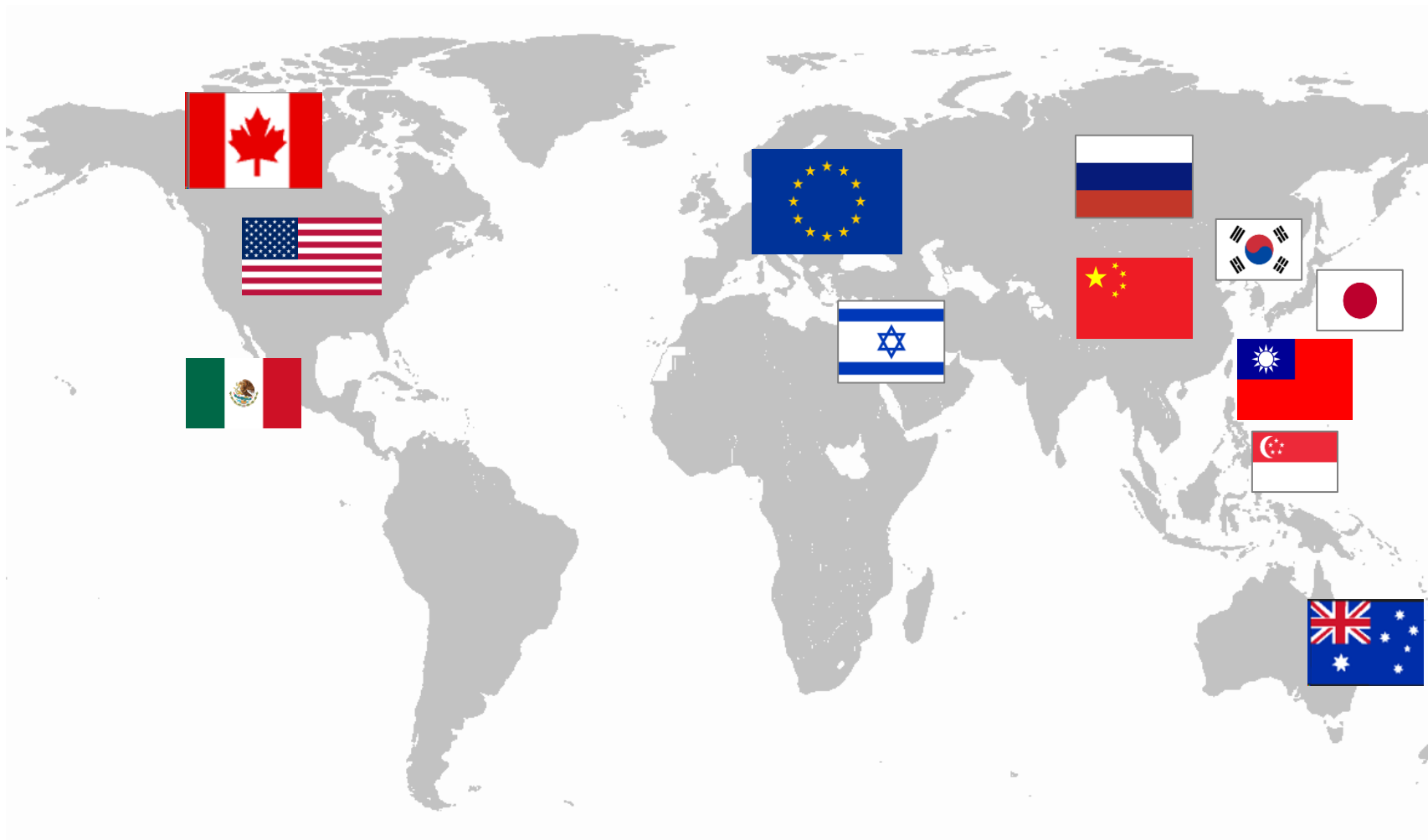
- 無法構成纖維網狀架構以支撐角質細胞
- 表皮角質細胞的**角蛋白**形成聚集
- 局部發炎
- 易使細胞破裂

➤ **AC-203 的作用機轉 :**

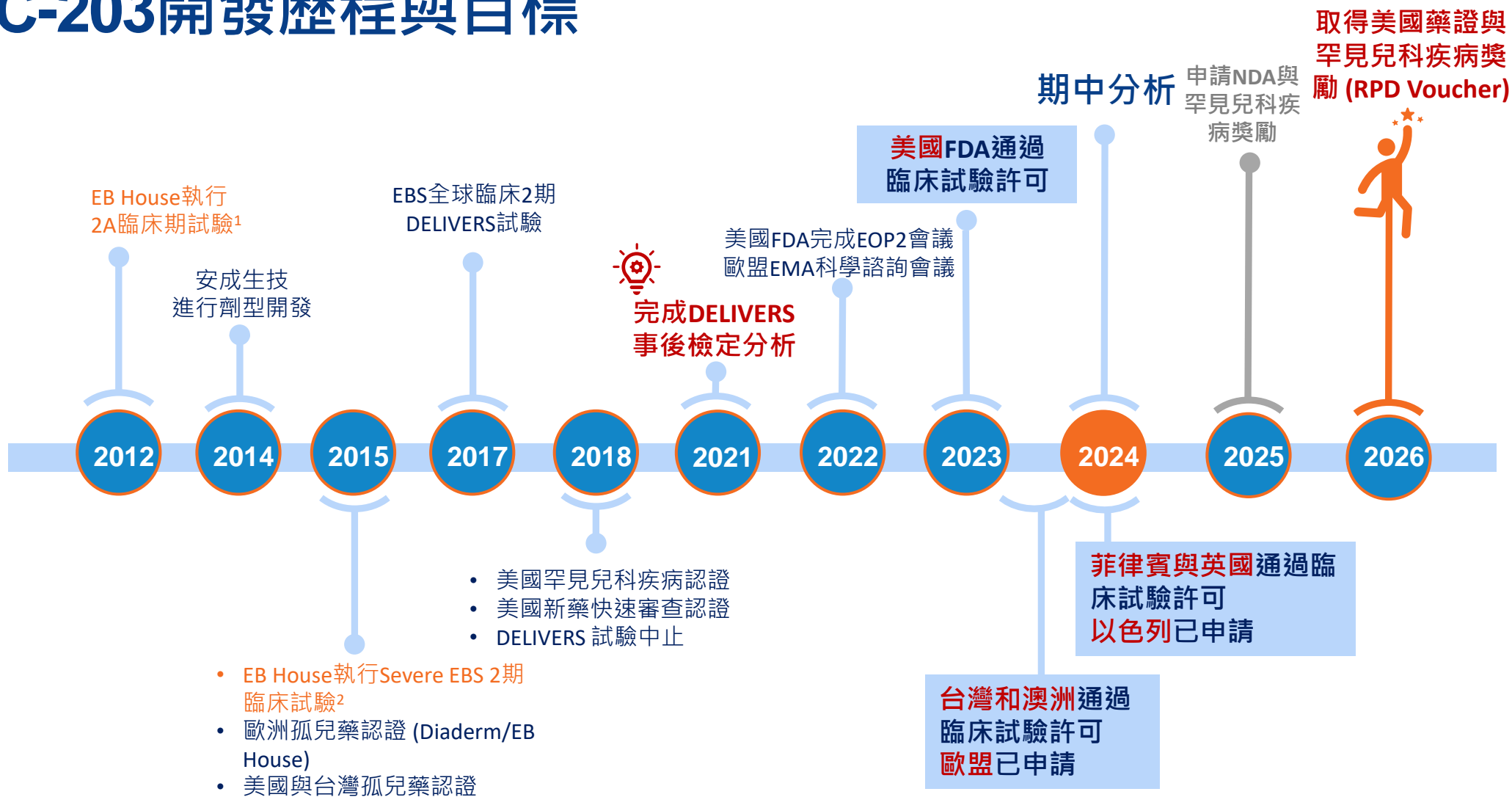
- ✓ 穩定角蛋白構成的纖維
- ✓ 減少表皮角質細胞的角蛋白聚集
- ✓ 減少 IL-1 β /IL-18 發炎因子²
- ✓ 抑制 NLRP3 發炎體，進而抑制 IL-1 β ³

1. Shinkuma et al. *Clin Dermatol* 2011;29:412-9.
2. Wally et al. *J Invest Dermatol* 2013;133:1901-3.
3. Chang et al. *Am J Chin Med* 2019;47:135-1.

AC-203全球專利佈局



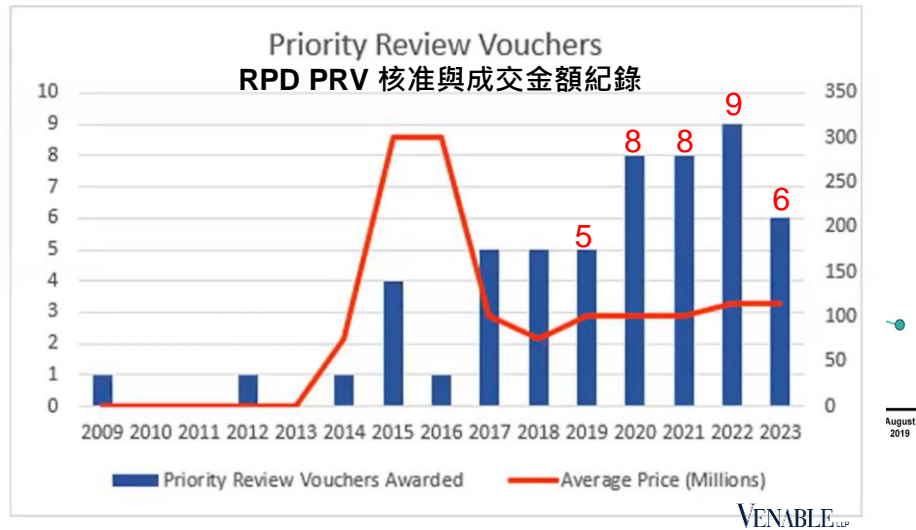
AC-203開發歷程與目標



1. Wally et al. *Orphanet J Rare Dis* 2013;8:69.
 2. Wally et al. *J Am Acad Dermatol* 2018;78:892-901.
 3. EOP2: End-of-Phase 2 2期臨床試驗後諮詢會議

罕見兒科疾病獎勵

(Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher; RPD PRV)



美國FDA之獎勵措施：

獲得美國FDA藥證時，取得罕見兒科疾病認證之新藥，可取得PRV（藥證審查期只需6個月），PRV可於：

1. 下次申請藥證使用（不限適應症）
2. 出售給另一家公司使用（購買者通常為國際大藥廠）

- 截至2023年，US FDA 共核准 54 個 RPD PRV，根據2023年交易紀錄約為**1億美金**。
- **AC-203** 已於 **2018** 年取得罕見兒科疾病認證
- 根據 US FDA 目前公告之日落條款，新藥公司需於 **2026 年 9 月 30 日**前取得藥證，以取得 PRV 之機會。

AC-203 對重度EBS的療效：能減少水疱數目

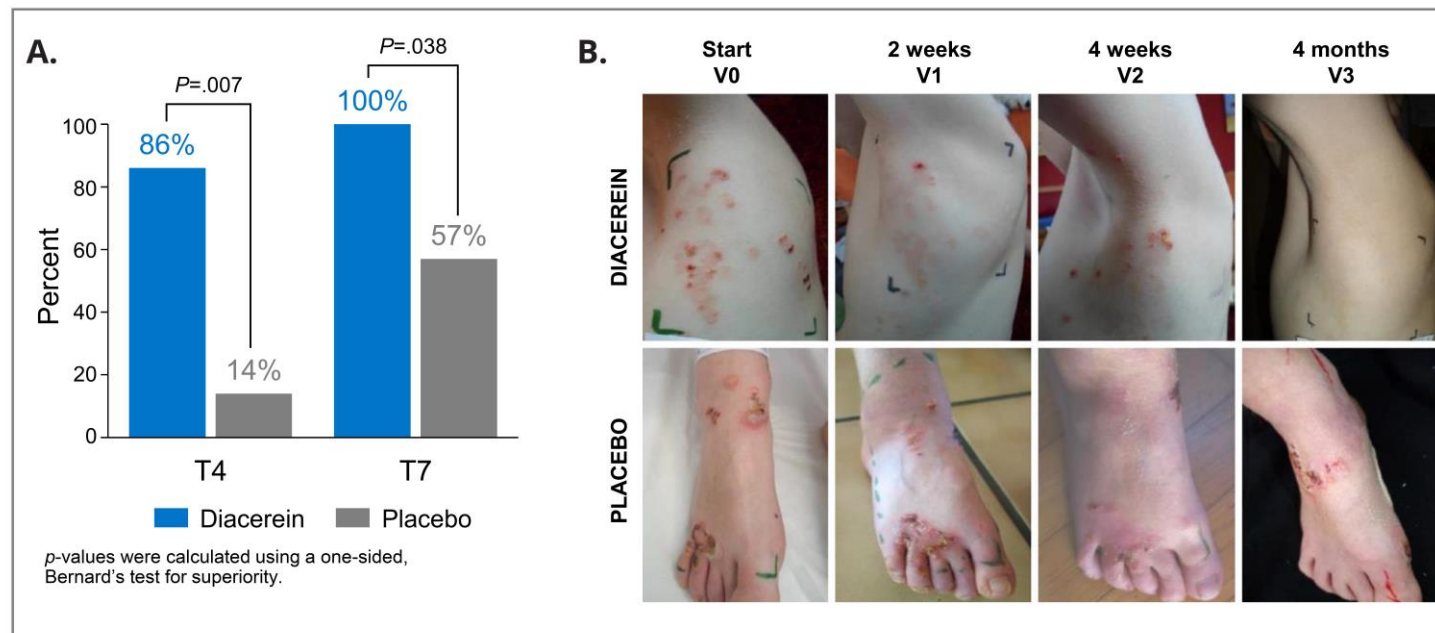
1. Phase 2a: Topical AC-203 for Severe EBS: a randomized controlled pilot study – Wally et al. *Orphanet J Rare Dis* 2013;8:69
2. Phase 2b: A phase 2/3 randomized, placebo-controlled double-blind clinical trial for Severe EBS – Wally et al. *J Am Acad Dermatol* 2018;78:892-901.

Subjects: Severe EBS patients with *KRT5/14* mutations, n=17, 4-19 y/o

Treatment: 1% diacerein cream, QD for 4 weeks

Primary endpoint: Reduction of blister numbers by >40% in treated skin area after 4 weeks

Figure 2. (A) Proportion of patients with >40% reduction in blister numbers at 4 weeks (T4) and 3 months (T7). (B) Representative images of improvements in lesions.

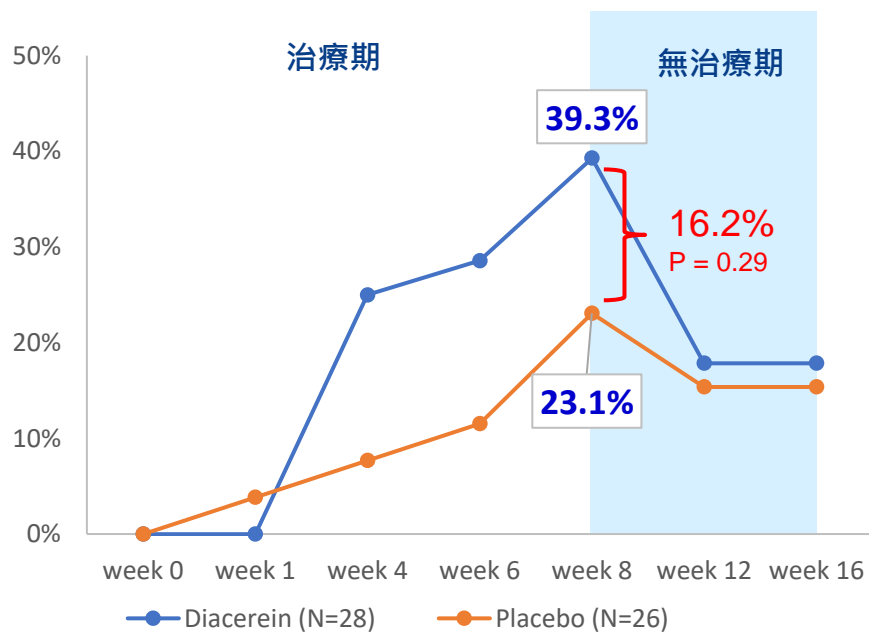


臨床二期 DELIVERS 試驗與事後檢定分析比較

- 根據事後檢定分析，以**重度EBS**病患治療反應最顯著
- US FDA同意安成生技進行**全球多國多中心 2/3 期**臨床試驗

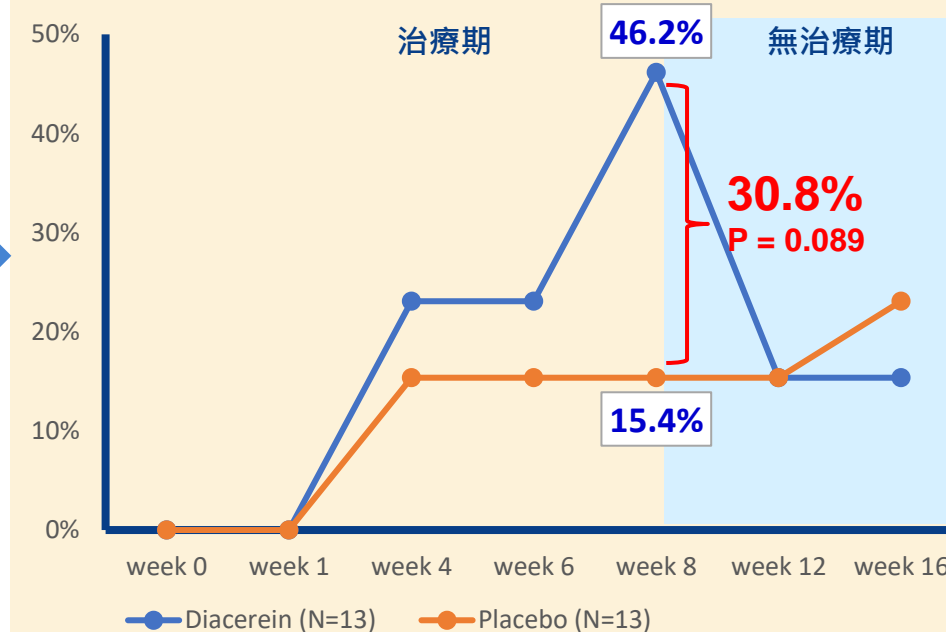
DELIVERS 試驗：輕中重度 EBS 合併

% subjects with IGA success ITT population

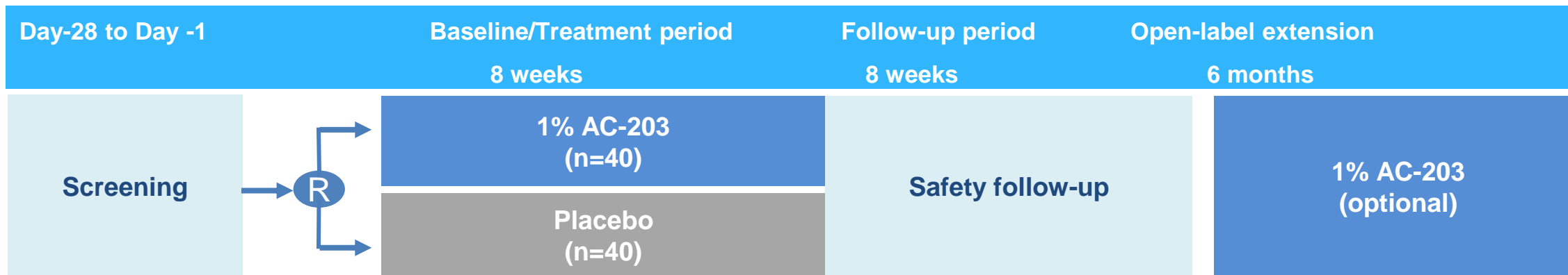


事後檢定分析: 重度EBS

% subjects with IGA success ITT population



全球多國多中心雙盲2/3期臨床試驗（進行中）

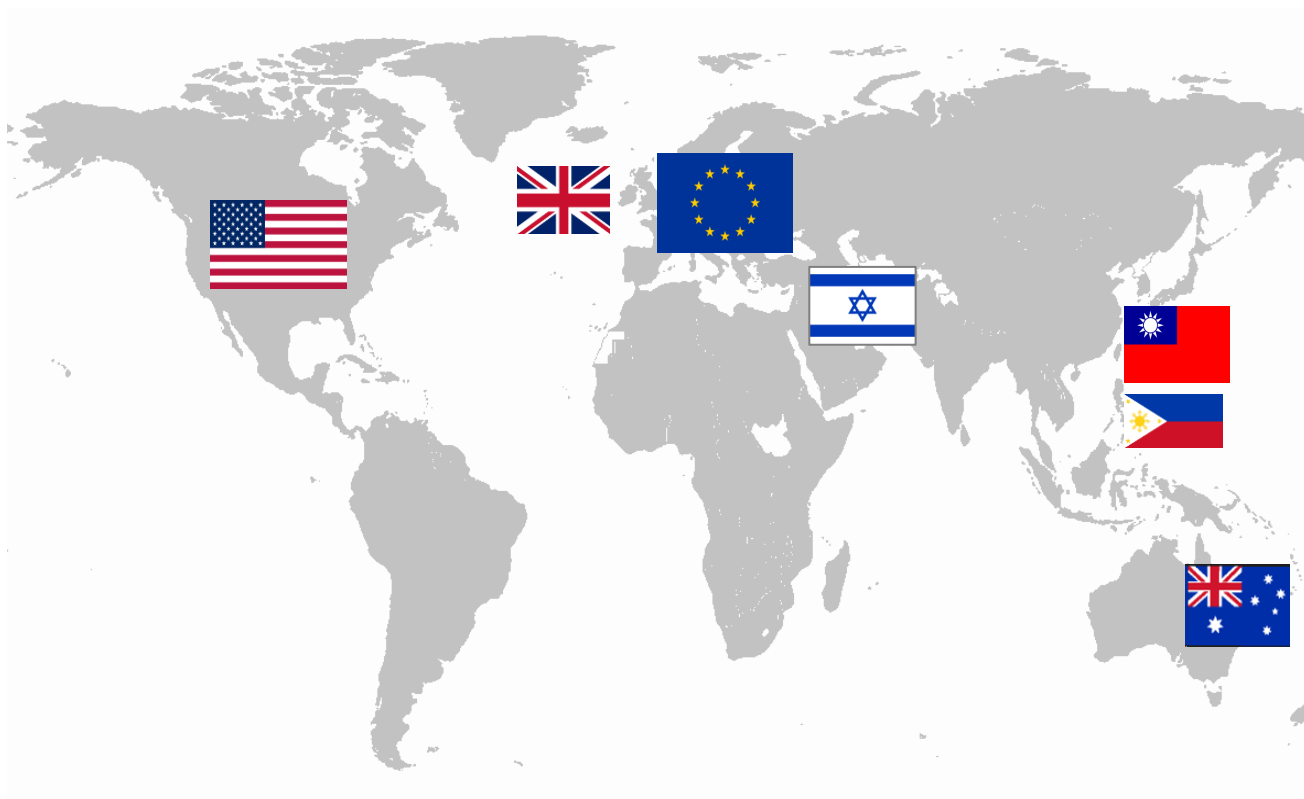


AC-203 EBS-007 試驗設計

病患人數	80人
收納族群	中/重度 EBS
病患年齡	6 個月以上
主要試驗指標	IGA 分數減少 2 分以上並符合 0-1 分程度
次要試驗指標	<ol style="list-style-type: none"> 1. 整體患部 BSA 縮減比例 2. 疼痛指數、發癢指數 3. QOLEB、EBDASI 分數

AC-203全球多國多中心2/3期臨床試驗

美國、歐洲、亞洲預計有 20+ 醫院加入



國家	申請狀態
美國	已核准
台灣	已核准
澳洲	已核准
菲律賓	已核准
英國	已核准
歐盟	申請中
以色列	申請中

AC-1101

局部外用 JAK 抑制劑 Topical JAK (Janus Kinase) Inhibitor

環狀肉芽腫 **Granuloma Annulare**

AC-1101介紹

主成分/劑型

- Tofacitinib 外用凝膠；原輝瑞產品治療類風濕關節炎
- 改良劑型增加皮膚穿透性

適應症

- 環狀肉芽腫 (granuloma annulare)
- 異位性皮膚炎 (atopic dermatitis)

作用機轉

- JAK (Janus kinase) 抑制劑
- 抑制細胞發炎的活化反應，減少細胞激素生成

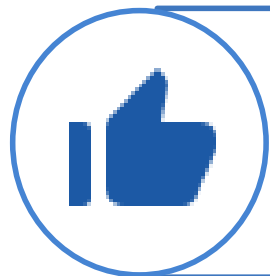
用法用量

- 每日外用1~2次

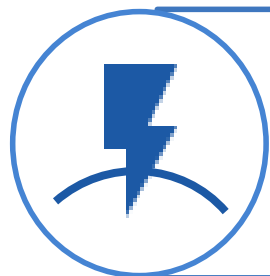
研發進度

- 環狀肉芽腫尚無核准的藥物可治療
- 初步臨床數據顯示，外用JAK抑制劑針對異位性皮膚炎有快速起效潛力，相較於類固醇類藥膏可以長期使用

AC-1101核心優勢及進度



良好的抑制炎症作用，短時間可看到藥效。



較好的藥代動力學特性，經皮塗抹主要分佈在表皮和真皮中，維持療效。



經皮塗抹可以降低口服給藥帶來的全身性毒副作用的風險

2020

1月從安成藥業取得AC-1101全球開發及銷售權利
4月加拿大衛生部白斑症臨床試驗許可
5月美國 FDA 白斑症臨床試驗許可

2021

7月於加拿大完成健康人1期臨床試驗

2022

7月美國FDA環狀肉芽腫臨床試驗許可
9月於耶魯大學啟動1期環狀肉芽腫臨床試驗

2023

4月美國FDA異位性皮膚炎臨床試驗許可
11月環狀肉芽腫臨床試驗收案完成

環狀肉芽腫 (Granuloma Annulare, GA)



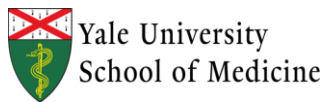
- 環狀肉芽腫在美國之盛行率為 0.06-0.09%，病人數約 20-30 萬
- 目前沒有核可的治療方法且患者再復發率很高，非常需要有效治療
- 患部皮膚增厚，所以需要穿透力佳的藥物，AC-1101通過劑型改良，於健康人臨床藥物動力學數據發現其整體藥物吸收率良好

AC-1101 治療 GA 之臨床佐證



**William Damsky,
MD, PhD**

耶魯大學醫院皮膚科主治醫師與耶魯大學助理教授，專注於環狀肉芽腫的研究，並參與過JAK抑制劑的大型三期臨床試驗。

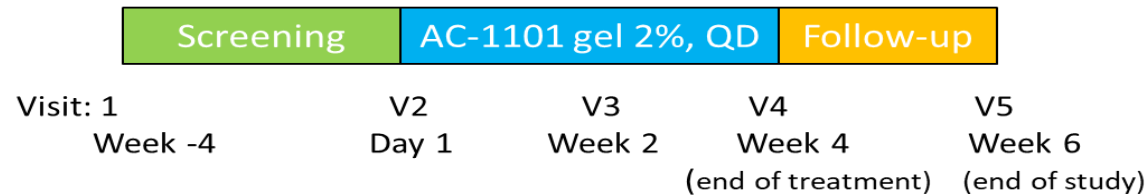


- 2021年耶魯大學皮膚科臨床醫師 Dr. Damsky 發表5位長期患有嚴重 GA 的病患，每日 2 次口服 **tofacitinib** 持續 6 個月後，其中 3 位完全治癒，2 位大幅減少 GA 患部面積與表徵 (NCT03910543; 輝瑞贊助)



AC-1101臨床1b期試驗

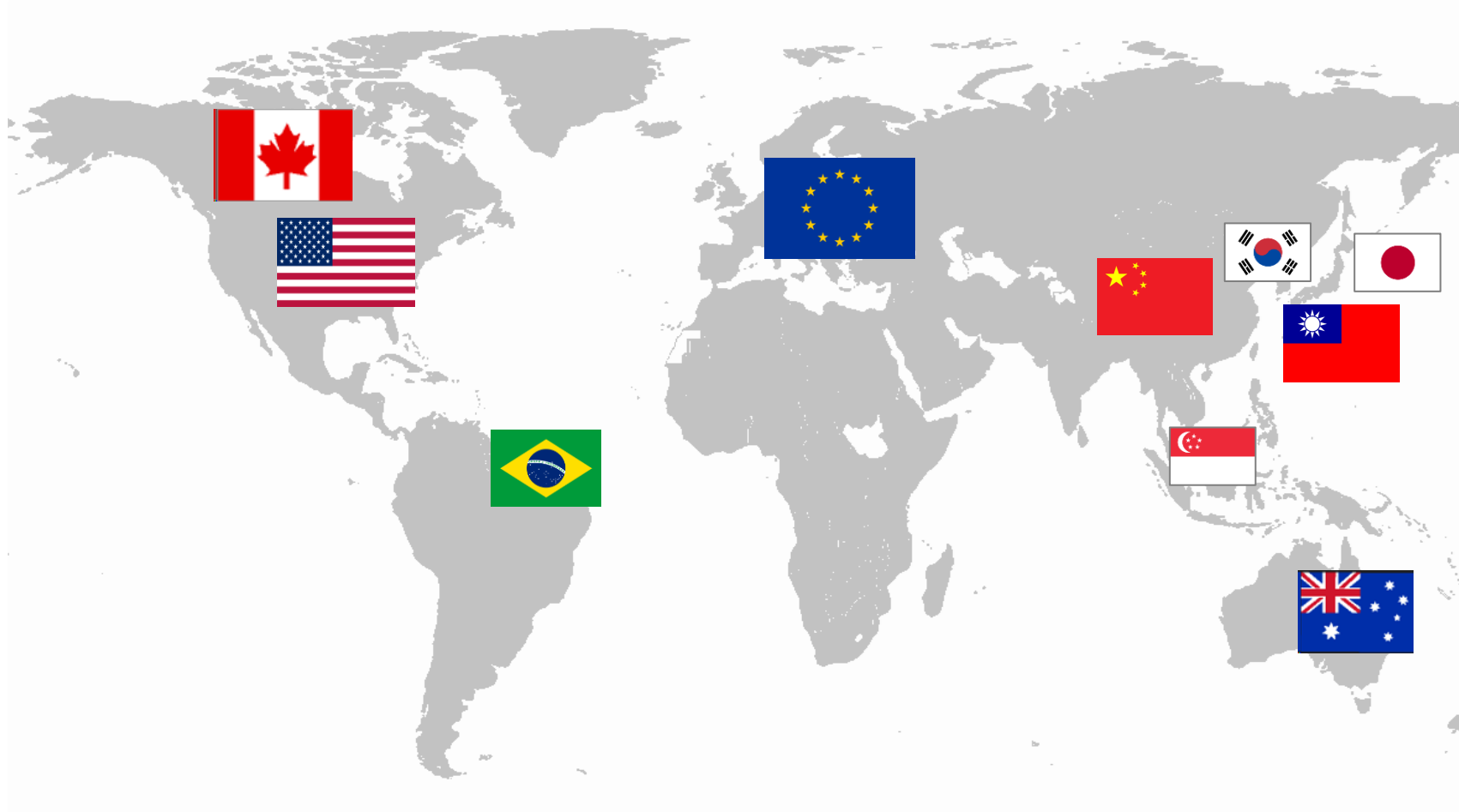
- An open-label, single arm, Phase I study to evaluate the safety and tolerability of AC-1101 topical gel in patients with Granuloma Annulare (NCT05580042)
- 由耶魯大學皮膚科臨床醫師Dr. Damsky執行環狀肉芽腫的臨床試驗，患者須每日塗抹1次AC-1101凝膠 (2% tofacitinib gel)持續4週後，評估以下指標：



AC-1101-GA-001試驗設計

病患人數	至少12人
收納族群	環狀肉芽腫病患
病患年齡	18歲以上
主要試驗指標	評估以AC-1101凝膠治療4週後，環狀肉芽腫患者中的安全性和耐受性
次要試驗指標	<ol style="list-style-type: none"> 1. 評估tofacitinib在環狀肉芽腫患者中之初步藥物動力學 (pharmacokinetics) 2. 評估環狀肉芽腫患者擬議的的臨床評估，作為支援未來療效研究的臨床結果指標

AC-1101全球專利佈局



我們的團隊

創辦人及大股東



陳志明博士



- 美國俄亥俄大學藥學博士，國際製藥界知名科學家及連續創業家
- 陸續創辦多家醫藥公司，開發或生產高技術門檻的特殊學名藥或高附加價值新藥
- 成功開發多種藥物釋放系統與技術平臺，並獲得50多項專利及數十項藥證
- 1993年在美創立Andrx製藥公司，曾名列美國第四大學名藥廠，市值達30億美元，後被學名藥大廠華生製藥(Watson)收購
- 2002年在美國創辦Anchen公司，2010年臺灣子公司獨立為安成國際藥業。2011年美國Anchen被美國Par Pharmaceutical收購，2022年安成國際藥業被保瑞藥業全資收購
- 2010年6月設立本公司，目前持股比例超過50%

董事會成員



吳怡君 董事長

凱基證券國際投資銀行業務主管
環宇財務顧問公司總經理
美國雷曼兄弟投資銀行副總裁兼北京辦事處首席代表
美商大通銀行協理
美國印第安那大學經濟碩士



陳培志 董事

美商亞培台灣分公司總經理
美商賽基台灣分公司總經理
必治妥施貴寶台灣暨香港總經理
美國伊利諾大學香檳分校碩士



王嘉宗 獨立董事

美商永生公司董事長
美國梧桐創投公司合夥人
美國嬌生公司技術研發副總裁
美國愛荷華大學物理藥學博士



陳佳青 董事

新陳投資(股)公司總經理
摩根大通銀行交易員
國立成功大學國際企業研究所
財金組碩士



張立言 獨立董事

和康生技公司董事長
經濟部生技中心副執行長
美國冷泉港研究室研究員
美國威斯康辛大學細菌學博士



岳嶽 董事

國家衛生研究院生技與藥物研究所
研究員
美國哥倫比亞大學博士後研究
美國紐約大學醫學院生物化學博士



張森雄 獨立董事

麗彤生醫科技公司獨立董事
證券櫃檯買賣中心上櫃審查部副
經理
美國羅格斯大學企業管理研究所

經營團隊



吳怡君 董事長

- 金融業資深專業人士，擅長策略規劃、營運管理、財務規劃與企業併購
- 35年商業銀行、投資銀行、創業投資經驗
- 歷任美商大通銀行、美國雷曼兄弟公司、環宇財務顧問公司、誠宇管理顧問公司、凱基證券公司主管職位，業務範圍涵蓋台灣、香港、中國大陸及東南亞地區
- 美國印地安那大學經濟碩士；國立臺灣大學商學學士



凱基證券
KGI SECURITIES



LEHMAN BROTHERS



總經理兼醫務長 蔡承恩醫師, 博士

- 13年生技公司新藥研發經驗
 - 率領團隊完成新成分抗生素三期樞紐試驗，獲得台灣及中國上市許可，並獲得台灣健保給付；領導全球三期早期乳癌臨床試驗
 - 臨床試驗經驗橫跨一、二、三期至上市後四期，疾病涵蓋罕見（遺傳）疾病、癌症、痛風、糖尿病及肺炎等
- 5年台灣法規主管機關臨床組審查員/資深正研究員；12年醫學中心臨床醫師，並擔任臨床試驗主持醫師
- 小兒科醫師，具有醫學遺傳學/臨床遺傳學的次專科醫師資格
- 英國劍橋大學分子遺傳學及生物學博士；國立臺灣大學醫學士



TWi Biotechnology, Inc



經營團隊(續)



資深副總經理
陸光偉博士

- 30年製劑、藥劑釋放系統及製程開發經驗
- 曾服務於Allergan、Pfizer、Pharmacia、Johnson & Johnson等國際藥廠
- 曾擔任安成國際藥業研發副總經理，負責產品劑型開發
- 美國喬治亞大學藥劑學博士



臨床研究處
蔡佩芳副總

- 30年臨床試驗管理經驗，包括CRO與Sponsor
- 曾參與多項癌症及重大疾病國際臨床試驗項目的執行與管理，負責臨床研究的進度、品質與經費管理



財務暨營運處
楊玉汝協理

- 19年投資銀行及商業銀行經驗，熟悉資本市場法規與籌資工具、組織發展規劃與專案推動
- 曾服務於凱基證券資本市場部、凱基商銀策略企劃處



資歷完整且互補性高的執行團隊

<p>林俞妤 博士 醫藥研究處 副處長</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 10年新藥開發經驗 • 台灣醣聯研發資深經理 • 國立臺灣大學臨床醫學博士後研究員；國立臺灣大學分子醫學博士
<p>陳姿璇 博士 商業開發經理</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 16年新藥開發經驗 • 生物技術開發中心藥品商品化中心，負責市場分析、技術評估與新創事業輔導 • 德商百靈佳殷格翰藥廠醫藥學術專員；APIAA產業分析師證照 • 國立臺灣大學藥理學博士；國立臺灣大學藥學系學士；具有藥師執照
<p>白惠珍 博士 臨床專案經理</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 8年新藥開發與臨床試驗經驗 • 昱厚生技公司臨床試驗主管，任內完成三個臨床二期試驗 • 生華生物科技公司臨床試驗專案經理 • 國立臺灣大學藥理學博士；輔仁大學護理學士
<p>林佳莉 醫藥法規經理</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 20年業界資歷 • 台灣東洋、智擎生技、因華生技，負責藥品查驗登記法規及臨床試驗的規劃與監督管理 • 英國Birmingham大學分子細胞生物學碩士；國立臺灣大學農化學士
<p>鄭舜竹 專案經理</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 8年業界資歷 • 生物技術開發中心、美洛生物科技、心悅生醫，負責化學結構合成與樣品分析鑑定 • 國立臺灣大學化學碩士；彰化師範大學化學學士

科學顧問團隊



CMC 顧問
周志光 博士

- 曾遞交30多個新藥IND、7份完整NDA (含Roche的3個藥物)，並成功通過 FDA 產品上市查核
- 曾服務於 Roche、Sugen、Oculex Pharma、S*Bio、智擎生技、順天醫藥，並擔任順天醫藥副總經理



臨床前試驗顧問
龔曉嘉 博士

- 美國毒理學會認證毒理學家
- 現任翼達生技顧問執行長
- 曾為中國康龍化成共同創辦人、太景資深副總、宣捷細胞執行長、翼陞生技執行長



藥動試驗顧問
汪佑襄 博士

- 協助臨床前試驗與臨床試驗藥物動力學之試驗設計與藥動數據預測等
- 現任世戎生物科技總經理
- 中華民國製藥發展協會顧問



Rosetta Pharmamate



專利顧問
盧佳吟 專利師

- 熟悉藥品專利申請、策略規劃、專利檢索與分析、盡職調查
- 現為多家新藥開發公司專利顧問
- 曾服務於順天醫藥生技與金樺生物醫學



AC-203 臨床醫學顧問




Johann Bauer
MD, MBA

- 首位發現diacerein外用製劑可顯著減少水皰發生
- 為歐洲地區EB研究的意見領袖
- 主持EB Haus Austria，帶領EB研究的專家團隊及臨床醫師





Joyce Teng
MD, PhD



- 美國史丹佛兒童醫院皮膚科醫師暨教授
- AC-203 DELIVERS主要臨床試驗醫師之一
- 專注於罕見遺傳病和各種炎症性皮膚病





Mary C. Spellman,
M.D., F.A.A.D.

- 前Castle Creek Pharmaceuticals首席醫療長與資深研發副總裁
- 曾領導AC-203之DELIVERS臨床二期試驗
- 美國皮膚科醫師，專長為罕見病

許釗凱醫師/教授
MD, PhD

- 成大醫學院皮膚科教授/主治醫師/遺傳中心主任/國際傷口修復與再生中心成員
- 研究領域主要為遺傳性表皮分解性水皰症(泡泡龍)與皮膚遺傳罕見疾病



未來發展規劃

未來發展規劃

- 如期、如質完成AC-203治療EBS全球2/3期臨床試驗
- 完成AC-1101治療GA 美國1b期臨床試驗後，申請孤兒藥資格認證
- 積極尋求國內外商業夥伴，進行AC-203 全球及區域向外授權
- 通過自行研發或取得授權，基於核心優勢與有限資源，延伸研發產品管線
- 於AC-203 全球2/3期試驗期中分析後，啟動以科技事業申請上櫃的有關作業

總結

總結

- 定位明確，以罕見疾病與發炎性皮膚疾病為主要目標，從事Repurposing已上市藥物的新藥開發，解決市場未獲滿足的醫療需求。
- 主力產品AC-203治療單純型表皮分解性水皰症 (Epidermolysis Bullosa Simples, EBS)具有美國及歐洲孤兒藥資格，目前正進行全球2/3期臨床試驗，預計2026年第三季取得藥證。
- AC-203 用於治療EBS是 First-in-Class新藥，目前市場並無治療用藥，市場規模大且無競爭者。
- 專業團隊資歷完整且優勢互補，科學顧問和臨床醫學顧問皆為一時之選，基於科學數據與執行力，AC-203全球2/3期臨床試驗的成功機會極大。
- 除AC-203外，公司研發管線尚有AC-1101，環狀肉芽腫 (Granuloma Annulare, GA) 美國一期臨床試驗即將結束，預定申請孤兒藥資格認證。
- 相比其他開發孤兒藥的生技公司，依市場規模、競爭狀況、開發進度而言，公司估值合理。

Every Patient and Their Family Deserve A Better Life





Q & A
