

TQM 254
999.2 N25.4
13034
54.57
20 JH
GTR 547

开拓药业路演材料

创新疗法研究、开发及商业化的全球领军企业

免责声明

本报告所载的信息由 Kintor Pharmaceutical Limited (“本公司”及其联署公司，并称“本集团”)的代表所编制，仅供本集团在报告中使用。本报告中的任何部分都不应构成任何合同、承诺或投资决定的基础或依据。

对于本报告中所载信息或意见的公平性、准确性、完整性或正确性，本集团不作任何明示或暗示的声明或保证，阁下也不应予以此类声明或保证以任何依赖。本集团及其分支机构、联属公司、顾问或代表均不对因使用本报告或其内容或与本报告有关而导致的任何损失（由于疏忽或其他原因）承担任何责任或义务。本报告中所列信息可能会被更新、完成、更改、验证和修改，并且该等信息可能会发生重大变更。

本报告是基于截至最新日期的经济、监管、市场和其他情况而制。需认识到，后续的发展可能会影响本报告中所载信息，且本集团及其分支机构、关联公司、顾问或代表没有义务更新、修改或确认这些信息。

本报告中传达的内容可能包含前瞻性或可能属于前瞻性的若干陈述。这些陈述通常包含诸如“将会”、“预计”、“有意”和“预期”以及类似意思的词语。就其性质而言，前瞻性陈述包含风险和不确定性，因为它们与事件有关，并取决于未来将发生的情况。目前仍可能存在不被认为是重大的或本公司及其顾问或代表不知道的其他重大风险。在这些不确定因素的背景下，阁下不应依赖这些前瞻性陈述。本集团及其联属公司、顾问或代表均不承担更新前瞻性陈述或使其适应未来事件或发展的责任。



目录

01

公司概况

02

临床管线药物介绍

03

发展战略

04

财务表现



章节1

公司概况

开拓药业速览 - 立足中国，放眼全球



2009年

童博士
创立苏州开拓药业



关注皮肤科和肿瘤领域

致力于未满足临床需求的皮肤科（自免）和肿瘤领域相关疾病，尤其是雄激素受体（AR）



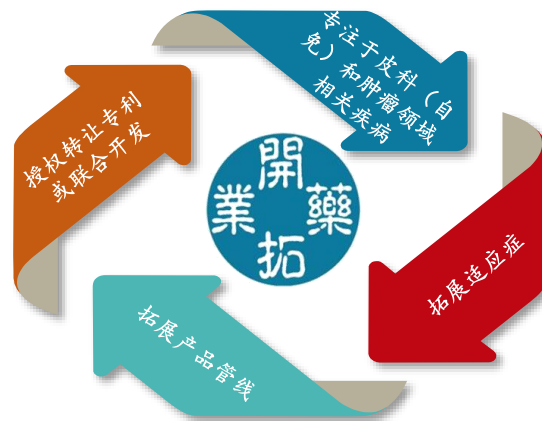
7+N管线

7款临床阶段药物均为潜在同类首创/同类最佳，多款临床前药物



适应症

于全球治疗AR领域适应症，例如雄激素性脱发(AGA)²和痤疮，以及新冠肺炎和增速最快的癌症



全球拓展

在中国和全球积极进行授权转让或共同开发，加快核心产品的商业化



KX-826

适应症为雄激素性脱发和痤疮。目前正进行男性脱发III期临床试验，计划开展女性脱发III期试验



AR-PROTAC (GT20029)

针对脱发和痤疮的外用治疗，全球首款进入II期临床试验阶段的外用PROTAC化合物，正在开展中国II期试验



普克鲁胺 (GT0918)

适应症为新冠肺炎、前列腺癌等



注：

1 AR：雄激素受体；2 AGA：雄激素性脱发，简称脱发

由潜在同类首创和同类最佳产品组成的风险均衡的产品管线



同类最佳



同类首创

寻求渐进且显著改善现有治疗方案同类最佳药物



寻求显著扩大目标适应症潜在市场的同类首创药物



7款临床阶段在研药物

布局**全球**中国内地、中国台湾、美国及欧洲等

完全自主开发的创新化合物

KX-826化合物专利：2030年9月8日；GT20029化合物专利：2041年3月5日；普克鲁胺(GT0918)化合物专利：2032年3月8日

开拓药业采取双管齐下的策略，构建了**多元化且风险均衡**的产品管线



资料来源：公司招股书、公司公告、弗若斯特沙利文分析



章节2

临床阶段管线药物介绍

覆盖皮肤科（包括自免）和肿瘤领域的多元化产品管线，拥有可观的市场潜力

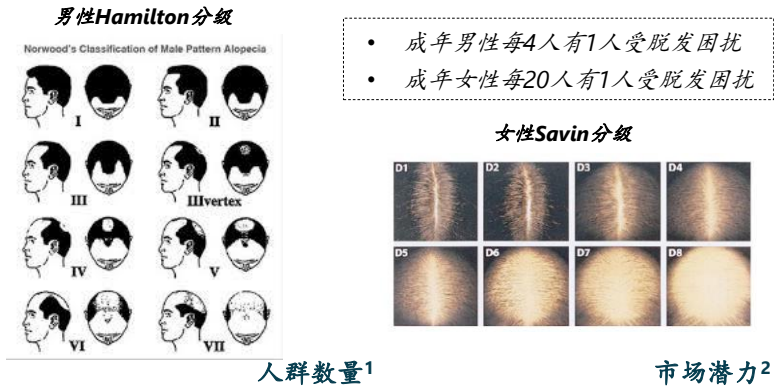
临床阶段	在研药物	目标/机制	适应症	国家/地区	临床前	新药临床试验			新药上市申请(NDA)
						申请(IND)备案(已提交) (已获受理)	I期	II期	
皮肤科	KX-826	AR拮抗剂（外用）	雄激素性脱发（男性）	中国		2023年3月完成患者入组			
			雄激素性脱发（女性）	中国		2022年12月1日公布数据			
			雄激素性脱发（男性）	美国		2023年5月11日公布数据			
			雄激素性脱发（长期安全性试验）	中国		2023年7月19日首例患者入组			
			痤疮	中国					
			痤疮	美国					
	AR-PROTAC (GT20029)	AR-PROTAC化合物	雄激素性脱发	中国		2023年8月22日完成患者入组			
			痤疮	中国		2022年11月24日公布积极顶线结果			
			雄激素性脱发	美国		2023年2月10日公布积极顶线结果			
			痤疮	美国		2023年2月10日公布积极顶线结果			
非皮肤科	普克鲁胺 (GT0918)	第二代AR拮抗剂	COVID-19	全球					
	GT1708F ¹	Hedgehog/SMO抑制剂	特发性肺纤维化 (IPF)	中国					
	GT0486	mTOR多激酶抑制剂	转移性实体瘤	中国		探索联合疗法			
大分子	ALK-1 (GT90001)	血管生成抑制剂	联合PD-1作为治疗转移性肝癌的二线疗法	中国台湾		2022年7月7日完成首例病人首次访视			
			联合PD-1作为治疗转移性肝癌的二线疗法	美国和全球		2022年5月2日首例患者入组			
			联合PD-1作为治疗转移性肝癌的疗法	中国		于2021年10月11日获批开展			
	GT90008	PD-L1 / TGF-β双靶点抗体	多类实体瘤	中国		于2021年10月21日获批开展			
临床前		c-Myc抑制剂和分子胶	血液肿瘤和实体瘤						
		PROTAC化合物	外用疗法						
		ALK-1/VEGF双特异性抗体	实体瘤						

注：1.此外，基底细胞癌适应症已获FDA许可在美国开展临床试验



KX-826治疗脱发： 利用我们在AR领域的独有研发能力治疗雄激素性脱发

雄激素性脱发 (AGA) – 全球日益增多



市场规模⁴

118亿元人民币 (2026年)



雄激素性脱发已获批药物市场规模:

14亿美元 (2028年)



现有疗法存在显著局限性和副作用

治疗雄激素性脱发市场上仅有**2款***药物

<p>非那雄胺 (保法止)</p> <p>口服: 1997年获得美国FDA批准用于治疗脱发</p> <p>喷雾: 2020年卢森堡和意大利获批上市; 2021年德国和葡萄牙获批上市</p>	<p>米诺地尔</p> <p>1988年获得美国FDA批准用于治疗脱发及于1996年获得美国FDA批准以非处方药销售药物</p>
---	---

- 可造成**性功能障碍**的严重副作用
- **口服**处方药
- 仅对男性功效显著
- 1998年专利过期, 市场分散,
- **缺乏明确的作用机制**

* 度他雄胺分别于2009年和2015年在韩国和日本获批用于治疗雄激素性脱发, 但美国FDA仅于2001年批准其用于治疗良性前列腺增生

- 脱发人群对**高疗效及安全性**的治疗手段有**强烈需求**
- 脱发**治疗率**仍然很高, 预期逐年持续改善
- 男性雄激素性脱发的药物治疗有**米诺地尔**和**非那雄胺**; 女性雄激素性脱发外用药物仅有**米诺地尔**, 药物治疗手段更为局限
- **KX-826**为局部使用的药品, 系统性药物接触程度较低, 从而能够消除**性功能障碍**和其他副作用

资料来源: 公司招股书、弗若斯特沙利文分析、Statista

注: 1. 《2021国民头皮健康白皮书》; 2. 指药物市场 (不含消费品市场); 3. 美元/人民币 = 6.67; 4. 市场规模包括头发再生产品和治疗雄激素性脱发的药物

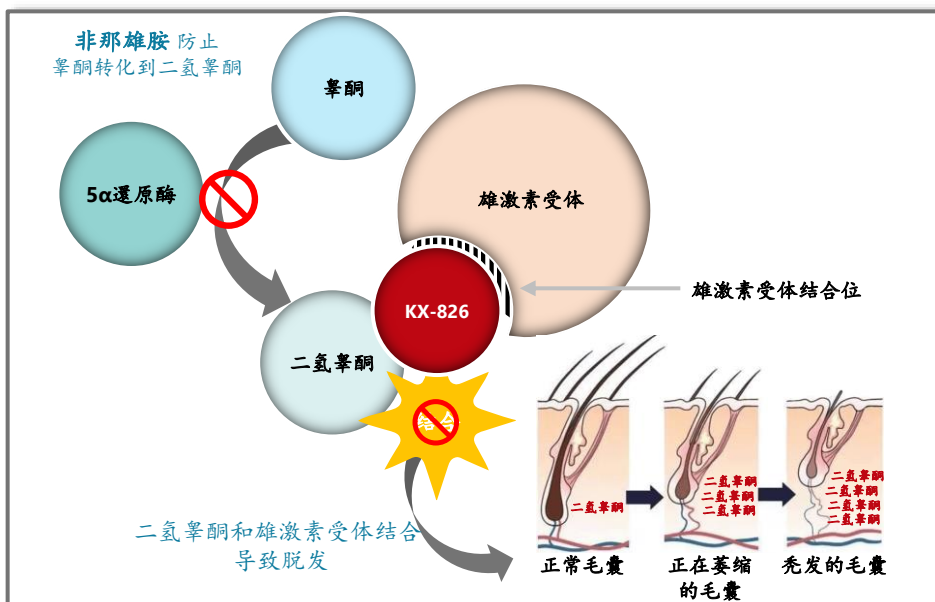


KX-826:

可避免当前已获批药物严重副作用并提高患者依从性的创新作用机制

作用机制

二氢睾酮（DHT）与雄激素受体的结合过程影响毛囊细胞，造成毛囊阻塞，使其无法吸收营养而萎缩，开始产生过量掉发，如没有及时治疗最终导致秃发



非那雄胺是一种口服的全身用药，透过减低睾酮转化为DHT以预防脱发，但导致一些不良副作用

KX-826是局部使用的药品，通过竞争雄激素与靶组织中的雄激素受体结合，从而局部阻断雄激素介导的信号传导。由于KX-826采用不同的作用机制，仅与毛囊附近的雄激素受体结合，所以不会有如使用非那雄胺而衍生不良的副作用

进行中的临床试验



中国男性脱发患者III期临床试验

(随机、双盲、安慰剂对照、多中心)

CTR20213036

评价KX-826在成年男性脱发受试者的有效性和安全性

740名受试者

试验组:

KX-826 0.5% 1ml BID

对照组:

安慰剂

- 主要终点: 治疗24周与安慰剂相比目标区域内非秃毛数 (TAHC) 较基线的平均变化

2023年3月在26家中心完成740名受试者入组



中国女性脱发患者III期临床试验

(正在准备中)



中国男女性脱发患者III期长期安全性临床试验

(开放标签、多中心)

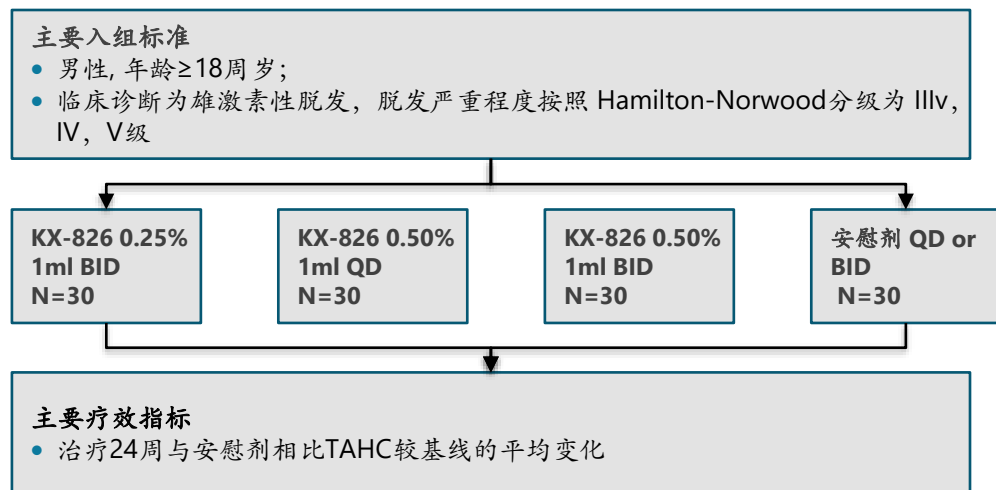
- 2023年4月18日获得国家药品监督管理局批准开展
- 计划在16家中心共招募270名男女性脱发患者，2023年7月19日完成首例患者入组
- 主要终点: 治疗期间不良事件 (TEAE) 的发生情况 (治疗时间52周)
- 次要终点: 目标区域内非秃毛数 (TAHC) 较基线变化等有效性指标以及其他安全性指标



资料来源: 公司招股书、国家药品监督管理局药品审评中心

KX-826: 中国成年男性脱发患者II期临床试验数据

试验设计



- IIIv级(头顶型): 脱发局限在头顶, 同时额部头发明显退缩, 退缩程度轻于III级。
- IV级: 表现为前额和颞部发际线明显退缩, 毛发变细, 同时头顶部毛发稀疏, 甚至秃顶。头顶与头皮前部的脱发区之间, 仍有一条桥样的毛发生长连接区。
- V级: 头皮前部和头顶部大片秃发区, 程度大于IV级, 顶部与颞部之间的连接区非常狭窄, 其中仅有稀少的毛发。

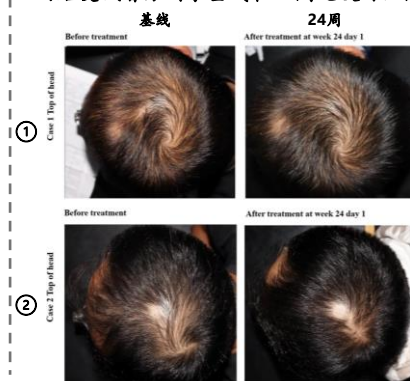
其他疗效指标

24周HGA (毛发生长情况评估) 改善的百分比:

组别	受试者 HGA	研究者 HGA	独立审评 HGA
0.5% QD	85.19%	74.07%	62.96%
安慰剂 QD	70%	70%	40%
0.25% BID	69.23%	65.38%	57.69%
0.5% BID	80.77%	84.62%	57.69%
安慰剂 BID	56.25%	62.5%	37.5%

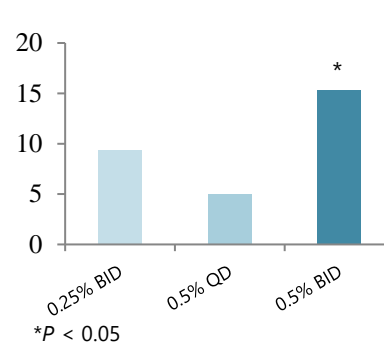
- 采用HGA 7分类法 (-3/-2/-1为显著/中度/稍有恶化, 0为不变, 1/2/3为稍有/中度/显著改善) 衡量较基线的改善情况
- HGA评分 ≥ 1 (稍有改善及以上) 记为改善

两名受试者分别于基线和24周毛发对比图:

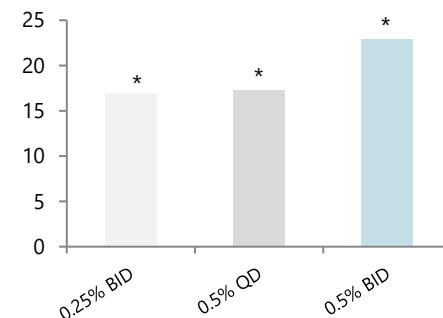


主要疗效终点

治疗24周TAHC较安慰剂组的平均变化 (根/cm²)



治疗24周TAHC较基线的平均变化 (根/cm²)



- 治疗24周后, 在0.5% 1ml BID组第24周TAHC较安慰剂组显著增加**15.34根/cm²** ($P = 0.024$), 较基线增加**22.73根/cm²** ($P < 0.001$)。
- 部分受试者于第6周即看到效果, 大部分受试者第12周看到效果
- 推荐KX-826 0.5% 1ml BID为中国成年男性III期临床试验的推荐给药剂量

安全性分析

- 无严重不良事件 (SAE)、无严重药物不良反应 (SADR) 及死亡事件发生。
- 药物不良反应 (ADR) 的发生率为16.1%, 最常见的ADR为瘙痒症 (5.9%), 其次为接触性皮炎 (2.5%); 1例出现3级高甘油三酯血症和4级高甘油三酯血症各一次, 但基线甘油三酯数值较高 (6.99 mmol/L)。
- 局部外用14天后, 体内KX-826及其代谢物的系统暴露量达到稳态, 各剂量组经皮入血的药物浓度较低。

KX-826: 其他II期临床试验数据

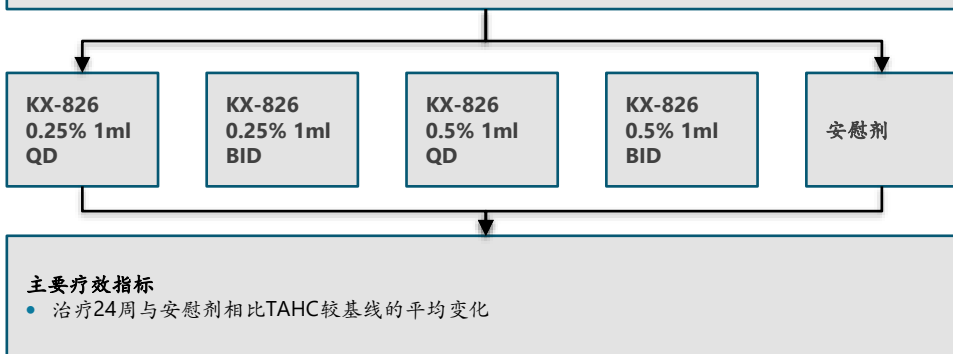


中国成年女性脱发患者II期临床试验 (随机、双盲、安慰剂对照)

- 2022年3月4日完成160名受试者入组
- 2022年12月1日数据读出

主要入组标准

- 女性, 年龄 ≥ 18 周岁;
- 临床诊断为雄激素性脱发
- 脱发严重程度按照 Savin 分级为 D3-D6 级



主要疗效指标

- 治疗24周与安慰剂相比TAHC较基线的平均变化

主要结果

- 治疗24周后, 0.50% 1ml QD组TAHC较基线变化与安慰剂QD组相比**增加11.39根/cm²**, 具有统计学差异 ($P=0.0087$)。此外, KX-826的疗效在治疗第12周展现。
- **KX-826 0.50% 1ml QD**被确定为中国成年女性雄激素性脱发III期临床试验的推荐给药剂量。
- KX-826各剂量组的总体**安全性良好**, 研究过程中出现的不良事件 (TEAE) 大多数为轻度, 且与安慰剂组相似。未发生导致退出试验的TEAE及死亡。



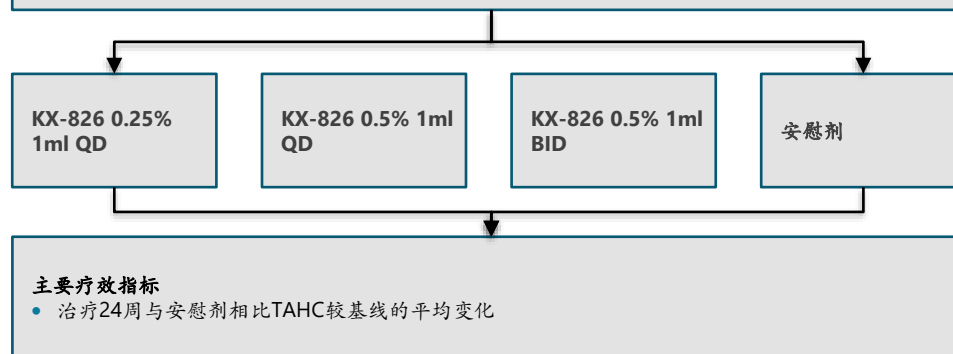
美国成年男性脱发患者II期临床试验 (随机、双盲、安慰剂对照)

NCT05218642

- 2022年8月1日完成123名受试者入组
- 2023年5月11日数据读出

主要入组标准

- 男性, 年龄 ≥ 18 周岁;
- 临床诊断为雄激素性脱发
- 脱发严重程度按照 Hamilton-Norwood 分级为 IIIv, IV, V 级



主要疗效指标

- 治疗24周与安慰剂相比TAHC较基线的平均变化

主要结果

- 治疗24周后, KX-826 0.5%浓度BID组的TAHC较基线增加约**10根/cm²**, 结果具有统计学意义 ($P=0.0088$)。
- KX-826相对于安慰剂在TAHC变化方面呈现出数值上的优势, 且不同KX-826剂量组之间存在**剂量效应关系**。
- **KX-826 0.5%浓度BID**被确定为美国/全球男性脱发III期临床试验的推荐给药剂量。
- KX-826治疗男性脱发的**安全性良好**。在研究过程中, 大多数不良事件为轻度局部皮肤刺激, 且发生率与安慰剂组相当。未发生任何导致退出试验或死亡的不良事件。



KX-826治疗痤疮：低风险的治疗产品

稳健的临床数据，有望重新定义市场格局

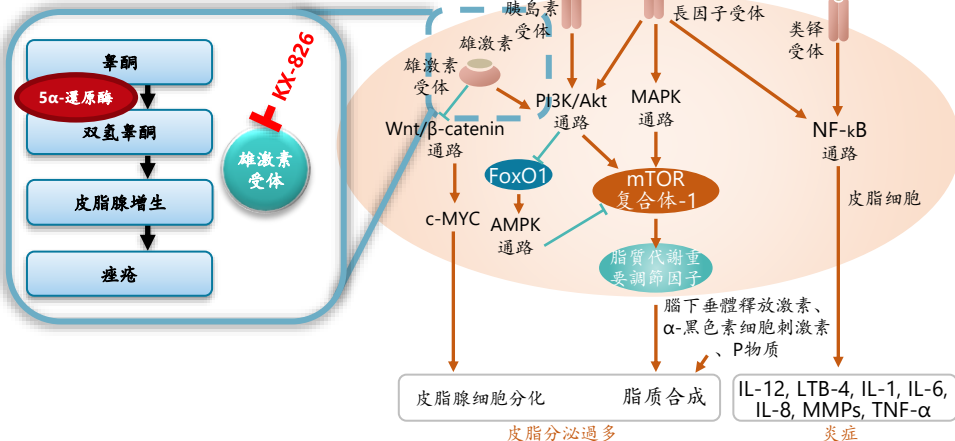
当前的治疗方法和副作用

激素	月经失调、性欲减低、高钙血症
局部治疗	皮肤刺激、红斑、脱屑、瘙痒
全身抗生素	恶心、呕吐、光敏性疾病
异维A酸	致畸胎性、抑郁症、唇炎、结膜炎



9.4% / 7.4亿+
全球痤疮发病率

作用机制



资料来源：Cong TX, et al. Epub 2019 Mar 11.

当睾酮和二氢睾酮等的雄激素与雄激素受体结合，产生的雄激素-雄激素受体复合物会与基因组雄激素反应元件结合，启动基因表达，导致皮脂和促炎细胞因子 IL-6、IL-8 和 IL-1 的生产，最终导致痤疮。

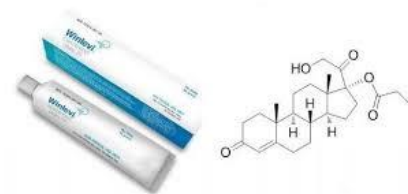
KX-826与二氢睾酮竞争结合雄激素受体，抑制基因表达，从而减少皮脂产生和炎症

已上市痤疮产品-Winlevi

- 2020年8月27日，Cassiopea公司宣布，美国FDA批准Winlevi (clascoterone, 1%乳剂) 上市，用于治疗12岁及以上人群的痤疮。
- 于2022年度，Winlevi销售收入约2.02亿美元。

近40年首款

AR抑制剂



作用机制

- Clascoterone (1%乳剂) 是一种外用雄激素受体抑制剂。
- 研究表明，该化学物质与雄激素特别是二氢睾酮 (DHT) 竞争，与皮脂腺和毛囊内的雄激素受体结合。Clascoterone可抑制皮脂细胞的脂质生产，并减少受雄激素影响的促炎性细胞因子。

同为AR靶点的药物获批治疗痤疮，说明通过阻断AR信号通路以达到治疗痤疮目的的作用机理经过验证

资料来源：公司招股说明书、弗若斯特沙利文分析、国家药品监督管理局药品审评中心、《英国皮肤病学杂志》、《临床，化妆品和研究皮肤病学研究杂志》、《国际医学研究杂志》、《加拿大家庭医师学院官方出版物》、《皮肤内分泌研究杂志》



KX-826治疗痤疮： 临床试验展现药物良好的安全性和有效性

中国I期、II期融合临床试验方案

试验目的

评估KX-826 凝胶在轻中度痤疮受试者（IGA分级2-3级或Pillsbury分级I-III级）中的安全性、耐受性、药代动力学和有效性研究

受试者入组

随机、双盲、安慰剂对照临床试验

I期
64名
受试者



II期
160
名受试者

0.25%QD/BID

0.5%QD/BID

安慰剂QD/BID

主要终点

I期：耐受性和安全性（接触性皮炎评价、不良事件等）

II期：治疗12周时，各组受试者的治疗成功率（根据研究者总体评分—IGA评分）

评价体系

IGA评分（5分量表）

0 干净	正常、透明的皮肤，没有寻常性痤疮病变
1 几乎干净	罕见非炎性病变，或有罕见的炎性病变（不超过1个）
2 轻度	比1级严重，有部分非炎性病变伴有极少的炎性病变(只有丘疹或脓疱；没有结节病变)
3 中度	比2级严重，以非炎性病变为主，多发炎性病变：几个到许多的粉刺和丘疹/脓疱，不超过一个小的结节病变
4 重度	比3级严重，有多个非炎性和炎性病变（可见较多的粉刺和丘疹/脓疱），仅有少数的结节病变

临床试验结果

- 在第12周时，达到治疗成功（根据IGA 5分量表，把IGA评分下降到0-1且下降等级 ≥ 2 级记为成功）的患者均出现在试验组。
- 与安慰剂相比，对于基线非炎性病变量 ≥ 30 的亚组事后分析表明，KX-826组的非炎性和炎性病变量均出现明显改善并持续至12周，改善效果最初在第2周的时候被观察到。
- KX-826的安全性良好。在研究过程中，大多数不良事件为轻度局部皮肤刺激症状，且发生率与安慰剂组相似。未发生任何导致退出试验或死亡的不良事件。

公司将在后续试验中进一步评估不同基线患者的改善情况（如纳入中度和重度痤疮患者等），以探索KX-826在痤疮治疗的更多可能性

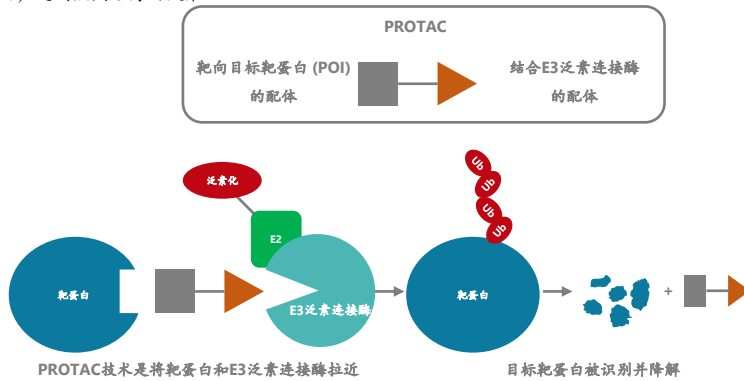
AR-PROTAC (GT20029): 自主研发的创新型AR降解剂，用于脱发和痤疮的治疗

PROTAC (靶向蛋白降解嵌合体)

作用机制: 在基于细胞的检测中选择性降解AR，可作用于外周皮肤局部组织中

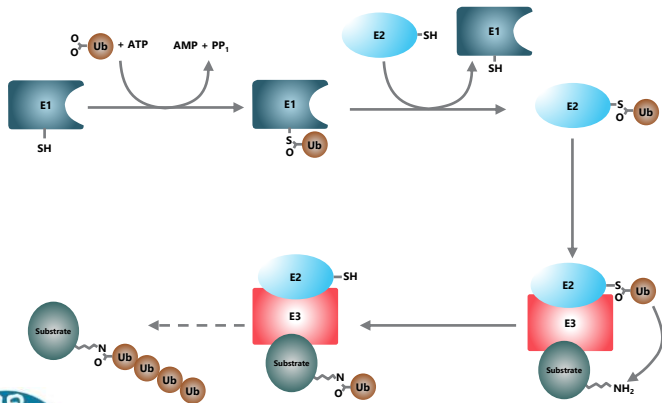
PROTAC: 劫持细胞中的UPS以降解靶向蛋白

- PROTAC是一种新型双功能化合物，一端是靶向目标靶蛋白(POI)的配体，另一端是结合E3泛素连接酶的配体，再通过一定长度的连接器(linker)连接
- 而PROTAC技术可以将靶蛋白和E3泛素连接酶拉近，从而诱导目标靶蛋白泛素化，然后降解目标靶蛋白，达到疾病治疗的效果



泛素蛋白酶体系统 (UPS): 天然的蛋白质降解过程

- 细胞中大部分的蛋白质转化都是由UPS介导的
- 对利用UPS诱导特定靶向蛋白降解的研究已长达数十年



开拓药业蛋白降解技术平台介绍

专注于开发治疗皮肤科（包括自免）疾病和肿瘤蛋白降解剂（PROTAC和分子胶）

- 开拓药业自主开发的蛋白降解技术平台成立于2018年
- 进度最快的AR-PROTAC化合物GT20029用于治疗雄激素性脱发和痤疮，是全球首个在中国和美国均完成I期临床试验的外用PROTAC化合物。专利2041年到期。此外还布局其它“难成药靶点”等PROTAC项目
- 分子胶降解剂(MGD)方面，管线内有处于临床前研究阶段的化合物，拟临床用于肿瘤的治疗
- 集成的蛋白降解剂研发平台，集AI预测、合成、筛选、优化于一体，极大的加快了发现PROTAC/MGDs候选化合物的速度

AR-PROTAC (GT20029)的优势

AR-PROTAC (GT20029)具有完全不同的作用机制，可用于治疗雄激素性脱发和痤疮，拥有重新定义市场和增强药物依从性的潜力

- 由于物理特性而无法透过皮肤渗透，因此消除了任何因作用机制而产生的副作用
- 由于蛋白质再生需要较长时间，因此与AR拮抗剂相比，治疗有效的持续时间更长
- 显示出降解突变AR蛋白的潜力，这将有利于治疗接受AR拮抗剂治疗后的患者
- 可规避因口服带来的生物利用度问题，有潜力首次证明PROTAC技术在药物研发中的有效性

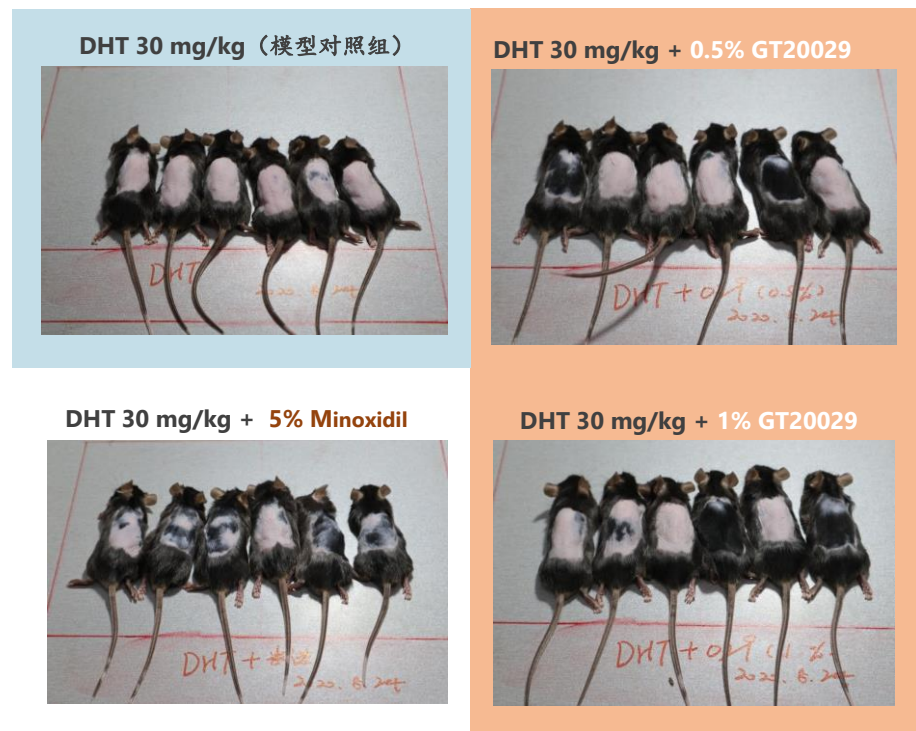
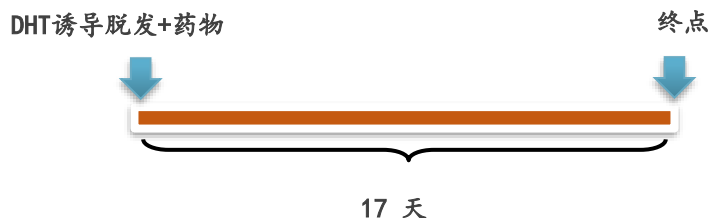
AR-PROTAC (GT20029): 用于治疗脱发和痤疮的临床前结果

用于治疗脱发和痤疮的临床前结果

- 临床前研究显示, GT20029通过降解AR蛋白, 能够有效**阻断AR信号通路**激活导致的**毛囊萎缩微型化作用**, 抑制毛发变细、变软和脱落, 同时能够有效抑制皮脂腺发育和皮脂分泌。
- GT20029仅在局部产生疗效, 较少的皮肤渗透可以减少全身药物暴露, 从而获得**更好的安全性**。
- 对二氢睾酮(DHT)诱导的脱发小鼠模型药效学研究的重复结果表明, **GT20029可显著促进毛发生长, 且有统计学差异**。
- 此外, 对丙酸睾酮(TP)诱导的金黄地鼠皮脂腺斑痤疮模型药效学研究的**结果表明, GT20029可显著抑制皮脂腺斑的增大, 且有统计学差异**。

DHT诱导的脱发动物模型

目的: 探索GT20029对DHT诱导小鼠模型中对毛发生长的促进作用。



AR-PROTAC (GT20029):

全球首个在中国和美国均完成I期临床试验的外用PROTAC化合物

中国I期临床试验



CTR20211363

试验设计

评估GT20029（凝胶和酞）在健康受试者中单、多剂外用给药的安全性和药代动力学等特征

受试者入组

92名受试者，随机、双盲、安慰剂对照研究

顶线结果

- 2022年11月24日公布顶线数据
- 试验期间发生的与研究药物相关的不良事件（TRAE）均为1级，没有发生1级以上的TRAE
- GT20029作为外用药在健康受试者中安全性和耐受性良好，人体药物浓度暴露水平低。单次用药后，所有受试者均无体内药物暴露量，所有剂量组的所有样品血药浓度均低于定量下限（LLOQ, 0.001ng/mL）。连续14天用药后，各剂量组最大血药浓度均值均在0.05ng/mL以下。

美国I期临床试验



NCT05428449

试验设计

评估GT20029在健康受试者中单剂给药剂量递增和在雄激素性脱发或痤疮受试者中多剂给药剂量递增后的安全性、耐受性和药代动力学特征

受试者入组

123名受试者，随机、双盲、安慰剂对照、平行设计的剂量递增研究

顶线结果

- 2023年2月10日公布顶线数据
- **GT20029在所有剂量组的安全性和耐受性均良好。研究期间未发生严重不良事件，未发生大于等于三级的治疗期间的不良事件，未发生导致受试者终止试验或死亡的治疗期间的不良事件。**在单剂给药剂量递增阶段，未发生治疗期间的不良事件。在多剂给药剂量递增阶段，常见的不良事件均为轻度，包括在给药部位出现干燥、瘙痒、灼热感、疼痛等。
- 在单剂给药剂量递增阶段，所有剂量组的受试者**无系统暴露量**。在多剂给药剂量递增阶段，**系统暴露量有限**，各剂量组平均峰浓度(Cmax)均在定量下限附近波动，且最高不超过0.015ng/mL



中国II期临床试验

CTR20230669

评估治疗180名中国成年男性雄激素性脱发（AGA）的有效性和安全性，入组已于2023年8月22日完成

受试者入组

AGA严重程度按照Hamilton-Norwood分级为III-V级

180人

分组

1.0%，QD或BIW GT20029

0.5%，QD或BIW GT20029

安慰剂

12周

主要终点

目标区域内非毳毛数（TAHC, Target Area Hair Counts）变化（治疗12周较基线的变化）



Hedgehog/SMO抑制剂 (GT1708F): 潜在治疗特发性肺纤维化 (IPF) 和血液肿瘤

IPF市场规模

- 在7个主要市场的IPF市场规模为**30亿美元**，预计复合年增长率为**11%**
- 前三大IPF市场:美国、欧洲和亚洲
- 中国有潜力取代日本成为亚洲最大的IPF市场



目前IPF治疗手段

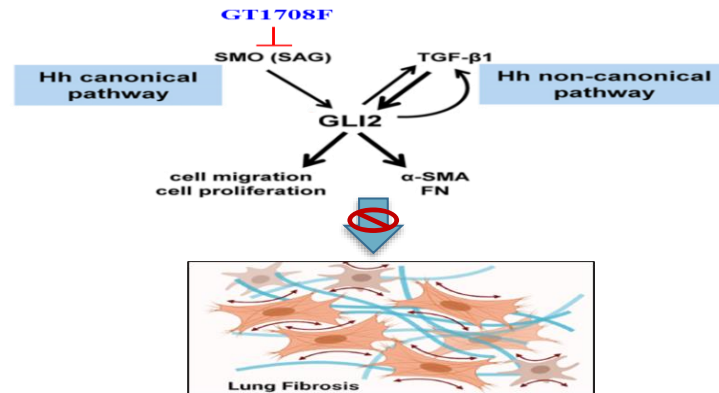
尼达尼布: TGF β 1,2,3和PDGFR抑制剂

吡非尼酮: 抗炎和抗纤维化作用



- IPF是一种罕见的、慢性的、危及生命的肺部疾病。目前的治疗可以减缓疾病的进展，但不能改善其最终致命的预后

GT1708F的作用机理



- Hedgehog信号通路激活导致肌成纤维细胞分化和肺纤维化的发展
- GT1708F为SMO抑制剂，其通过抑制SMO蛋白的活性影响Hedgehog通路的活性及其下游相关蛋白的表达
- GT1708F与SMO蛋白结合能力强，活性高于市场上的SMO抑制剂

临床试验概览



中国临床试验
(治疗IPF)

已获得许可开展试验



中国I期临床试验
(治疗血液肿瘤)

CTR20201525

主要目的: 评价不同剂量的GT1708F在恶性血液病患者中的安全性和耐受性，观察可能出现的剂量限制性毒性 (DLT) 和最大耐受剂量 (MTD)

结果: 1) GT1708F各剂量组总体安全性良好，治疗过程中出现的不良事件大多为轻度，未发生导致死亡的TEAE

2) 在剂量递增阶段，自180mg剂量组起，在多线治疗失败的急性骨髓性白血病 (AML) 患者中观察到初步疗效，AML患者髓系原始细胞较基线最高下降了62%



可推动未来增长的其他临床候选产品

	GT0486	ALK-1单抗 (GT90001)	PD-L1/TGF-β (GT90008)
概览	<ul style="list-style-type: none"> PI3K/mTOR信号通路抑制剂，同时也是第二代mTOR抑制剂。正在进行转移性实体瘤治疗的临床开发 	<ul style="list-style-type: none"> ALK-1单抗通过对抗血管内皮生长因子 (VEGF)疗法起到补充作用来抑制血管生成和肿瘤发生 	<ul style="list-style-type: none"> PD-L1/TGF-β双靶点抗体，目前正处于临床开发阶段，有潜力用于治疗晚期实体瘤
作用机制	<ul style="list-style-type: none"> mTOR选择性激酶小分子抑制剂，可同时抑制PI3K/AKT/mTOR信号通路（这是肿瘤细胞中最常见的被激活的致癌信号通路）中的mTORC1和mTORC2 	<ul style="list-style-type: none"> ALK-1抗体是一款全人类IgG2中和性单克隆抗体，可抑制ALK-1/TGF-β信号转导和肿瘤血管生成 	<ul style="list-style-type: none"> 同时抑制PD-L1和TGF-β，这两个通路分别控制肿瘤微环境中免疫耐受的诱导和维持，诱导肿瘤细胞迁移，刺激上皮间质转化
目标市场	<ul style="list-style-type: none"> 全球mTOR抑制剂市场：2022年为67.05亿美元，2022-2030年期间保持4.5%的年复合增长率 	<ul style="list-style-type: none"> HCC药物治疗市场预计2022年为215.4亿人民币 中国肝癌和HCC的发病率远高于全球平均水平，占全球新增病例的一半以上 	<ul style="list-style-type: none"> 实体瘤占成人所有癌症的90% 2020年中国新增癌症病例达460万
所处开发阶段	 中国I期临床试验完成（治疗转移性实体瘤）	 中国台湾II期临床试验完成  中国II/III期临床试验获批  美国II期临床试验	 中国I期临床试验获批（治疗晚期性实体瘤）



资料来源：(Wang et al., 2021): 中美癌症发病率和死亡率的比较、Precision Cancer Medicine、弗若斯特沙利文

先进工艺的设施与战略合作支持处于研发后期的产品的商业化

生产和研发基地

- 苏州厂房占地约2万平方米
- 于2020年8月底投入运营
- 已于2020年11月23日在中国获得生产许可证，后续将取得北美和欧盟GMP认证
- 用于满足临床药品自主生产的需求



战略合作

KX-826

GT20029

对外授权/
合作开发

c-Myc
降解剂等



上海医药

2021年12月，开拓与上药控股签署战略合作协议，就新产品上市商业化的过程中商业化管理和渠道进行合作



国药集团

2020年3月，开拓与国药集团签署了战略合作协议，将在KX-826（外用）产品的市场开发开展全方位合作

etana
Biotech

PT Etana Biotechnologies

2021年8月，开拓与印尼生物科技公司Etana关于普克鲁胺治疗新冠在印尼的商业化达成合作协议。开拓药业将获得来自Etana的首付款和里程碑付款以及销售相关的经济利益

京东大药房

京东大药房

2020年6月，开拓与京东大药房签署框架协议，就KX-826（外用）在京东大药房的营销和销售开展深入合作



拥有卓越往绩的一流管理团队



童友之博士
创始人、董事长兼首席执行官

- 超过25年的生物医药研发及管理经验
- 前美国Angion副总裁
- 前阿尔伯特·爱因斯坦医学院的助理教授
- 美国康奈尔大学药理学博士，北京大学化学学士及硕士



陆群博士
执行董事、首席技术官

- 超过20年生物制药CMC开发及管理经验
- 曾任职辉瑞、默沙东，前新基/BMS执行总监
- 曾担任国际药物开发创新与质量联盟董事会成员
- 美国亚利桑那州立大学化学博士，北京大学化学学士



章明明
首席财务官

- 超过15年金融和投资行业工作经验
- 曾任海通国际股权投资与跨境并购业务主管
- 曾在ING银行香港分行工作，从事企业客户开发和并购财务顾问
- 香港大学医学院生物信息学硕士，香港科技大学生物化学学士



许若博士
副总裁
(商务拓展)

- 超过20年制药行业工作经历
- 曾于默沙东任职超过15年，前先灵葆雅首席科学家
- 负责超过7个小分子抑制剂的设计和合成
- 哥伦比亚大学化学博士，北京大学化学学士



沈菊平
副总经理

- 超过30年制药行业经验
- 曾在大家制药、卫材、正大天晴、圣和药业、Fresenius KABI工作
- 东南大学工商管理硕士，中国药科大学学士



陈洁博士
副总经理

- 超过10年的药物研发经验
- 发表近20篇论文，拥有4项发明专利
- 目前在中国科学院兰州化学物理研究所苏州研究院兼任客座研究员
- 中国科学院研究生院有机化学理学博士



任志华博士
副总裁、新药研究
院长

- 超过20年医学、肿瘤学和干细胞转化医学研究经验
- 曾任职迈杰转化医学、中国医学科学院北京协和医学院苏州方舟生物医药研发中心
- 先后在美国芝加哥大学、拉什大学医学中心和新泽西医科口腔科大学从事博士后和研究员工作
- 上海交通大学理学博士，青岛大学医学学士及硕士





章节3

发展战略

发展战略





章节4

财务表现

损益表（经调整）

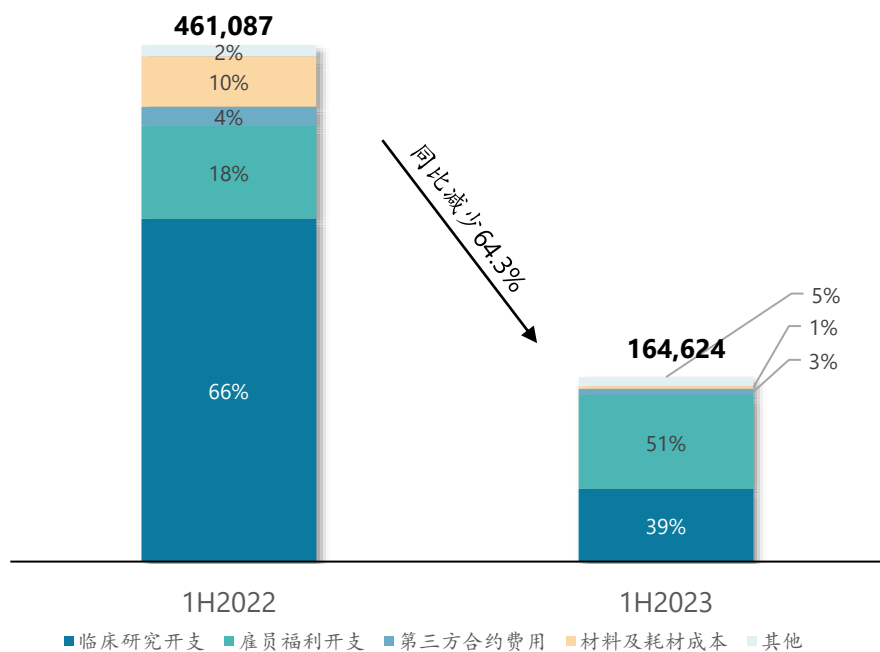
	截至06月30日止六个月	
	2023年 (未经审核)	2022年 (未经审核)
人民币千元		
收益	-	-
销售成本	-	-
毛利	-	-
其他收入	16,713	7,567
营销成本	(8,640)	(10,641)
包括：股权激励计划开支	(710)	(4,428)
行政开支	(51,202)	(65,475)
包括：股权激励计划开支	(13,760)	(15,714)
研发成本	(164,624)	(461,087)
包括：股权激励计划开支	(27,319)	(29,703)
其他（亏损）/收益净额	1,316	13,526
经营亏损	(206,437)	(516,110)
财务成本净额	(6,050)	(2,304)
联营企业和合资企业亏损份额	(131)	-
除所得税前损益	(212,618)	(518,414)
所得税开支	507	(9)
亏损总额	(212,111)	(518,423)
减：股权激励计划支出(非现金)	41,789	49,845
经调整亏损总额	(170,322)	(468,578)



主要财务指标概览

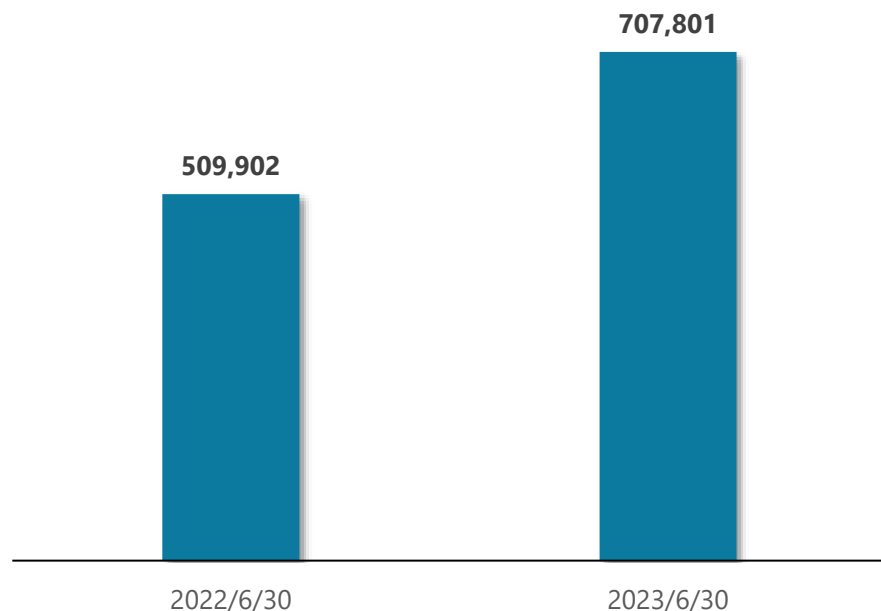
研发成本

人民币千元



现金及现金等价物

人民币千元



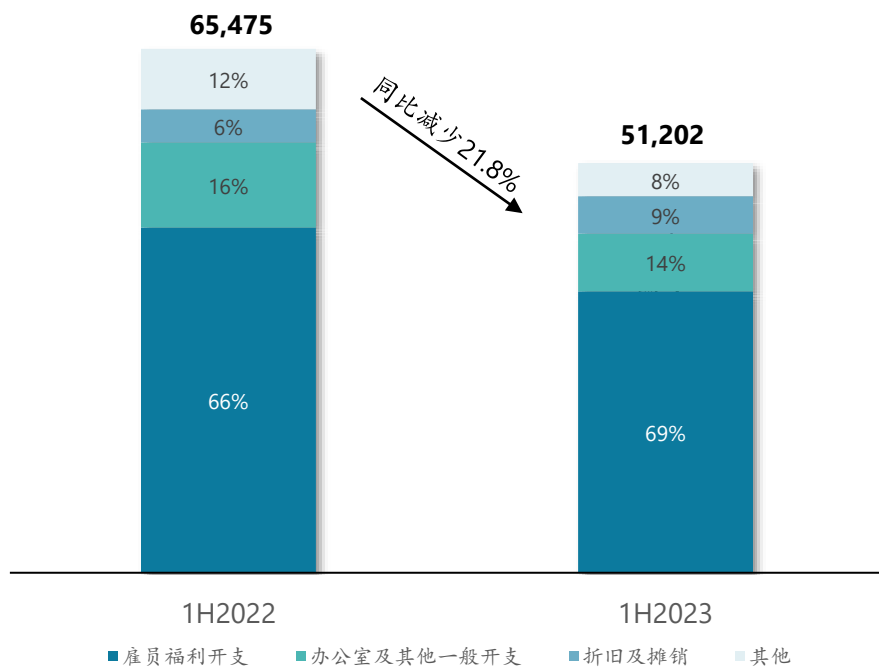
- 2023年上半年研发成本同比减少64.3%，主要原因包括：(i)临床研究开支减少人民币241.1百万元；(ii)材料及耗材开支减少人民币42.7百万元；(iii)第三方合约费用减少人民币11.6百万元；(iv)雇员福利开支增加人民币0.9百万元

- 2022年9月、12月公司先旧后新配售现有股份，净募集额约为港币7.8亿元
- 截至2023年06月30日，我们在手现金人民币7.1亿元，包含银行活期存款人民币6.9亿元、定期存款人民币10.6百万元、银行保证金人民币5.9百万元；我们已使用的银行借款额为人民币3.1亿元，未动用的银行授信额度为人民币90.0百万元

主要财务指标概览

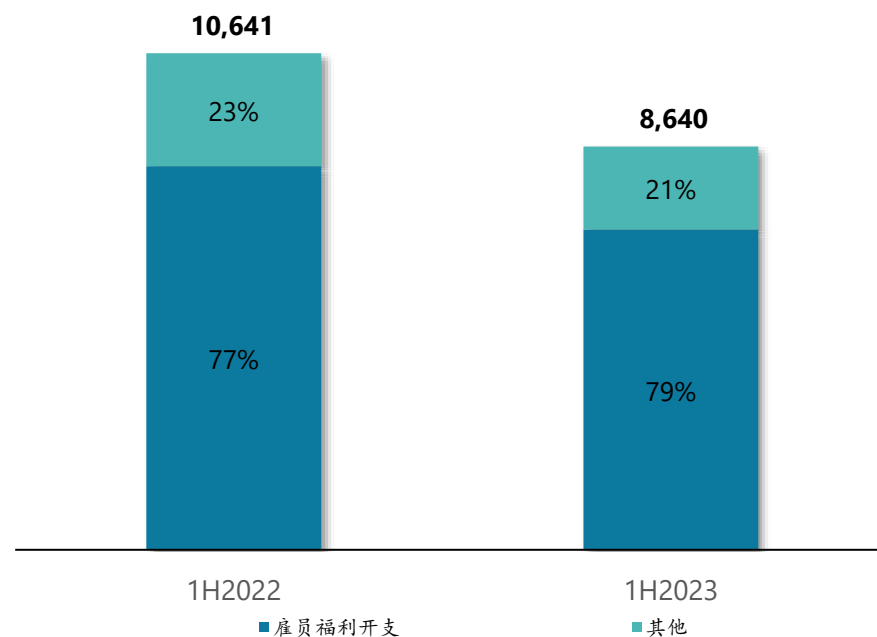
行政开支

人民币千元



营销成本

人民币千元



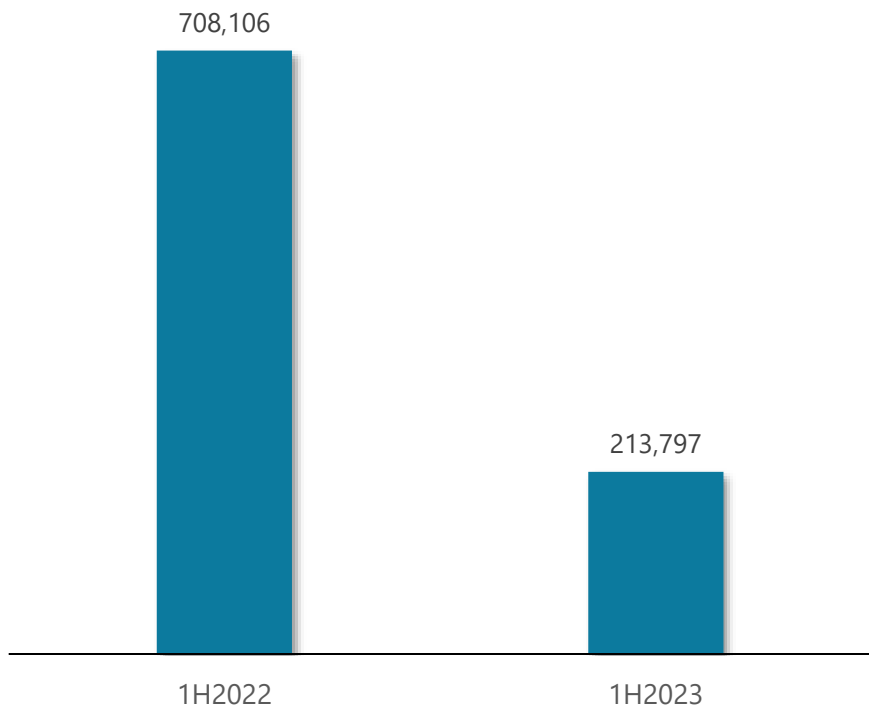
- 2023年上半年行政开支同比减少21.8%，主要原因包括：(i) 雇员福利开支减少人民币8.0百万元；(ii) 办公室及其他一般开支减少人民币3.4百万元；(iii) 其他行政开支减少人民币3.4百万元

- 2023年上半年营销成本同比减少人民币2.0百万元，主要原因包括：(i) 雇员福利开支减少人民币1.4百万元；(ii) 其他营销成本减少0.6百万元

主要财务指标概览 (续)

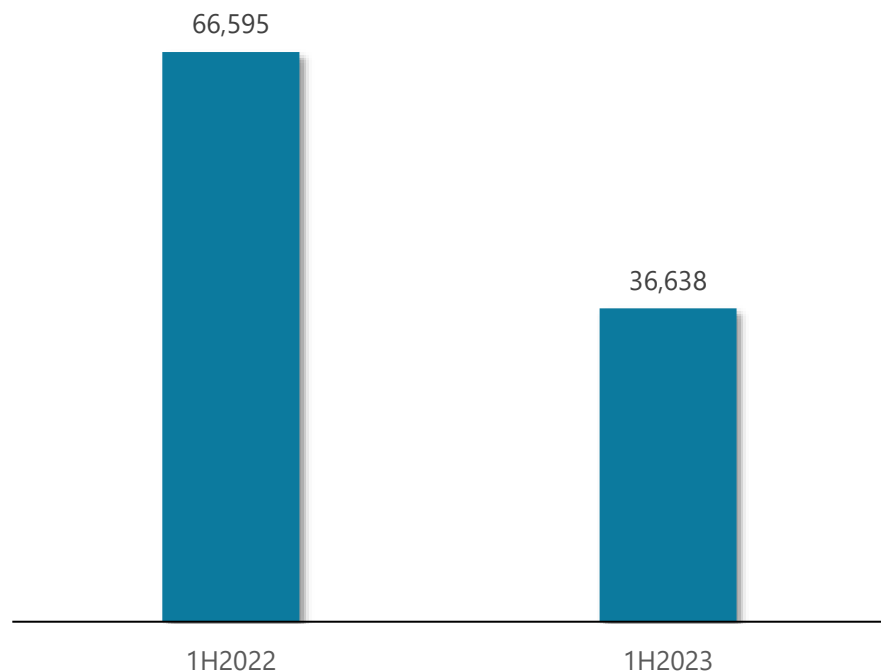
经营活动现金净流出

人民币千元



融资活动现金净流入

人民币千元



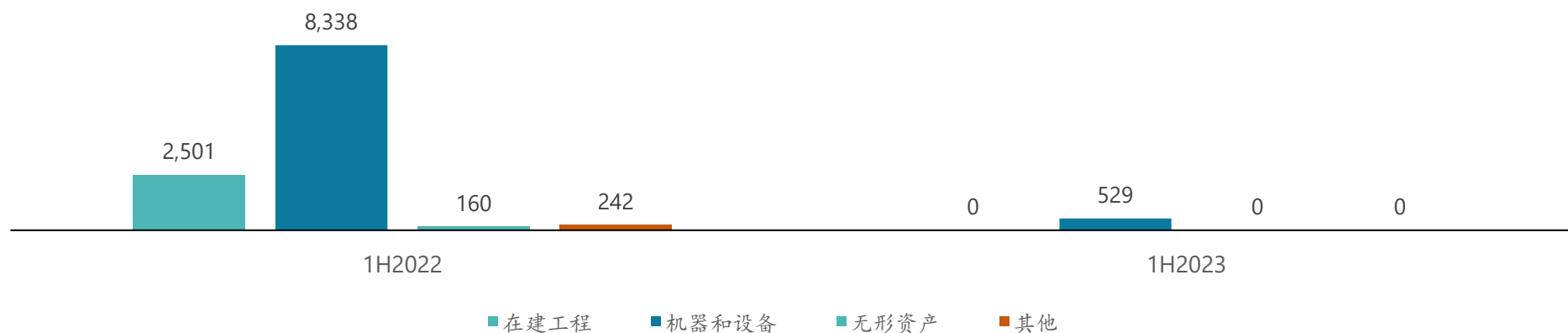
- 经营活动现金净流出主要包括研发开支及行政开支
- 2023年上半年，研发开支同比减少主要是随着新冠疫情缓和以及在全球及中国范围内已有多款小分子药物取得上市批准，公司普克鲁胺治疗新冠的临床试验费用大幅减少；行政开支减少主要为非研发类雇员减少导致薪酬福利开支减少

- 2022年上半年以及2023年上半年，融资活动现金净流入主要来自银行借款

主要财务指标概览（续）

资本开支

人民币千元



- 2022年上半年，我们的资本开支金额为人民币11.2百万元，主要为苏州工厂生产及实验设备采购以及广东珠海研发中心实验设备采购
- 2023年上半年，我们的资本开支金额为人民币0.5百万元，主要为苏州工厂生产及实验设备采购尾款

损益表

	截至06月30日止六个月	
	2023年 (未经审核)	2022年 (未经审核)
人民币千元		
收益	-	-
销售成本	-	-
毛利	-	-
其他收入	16,713	7,567
营销成本	(8,640)	(10,641)
行政开支	(51,202)	(65,475)
研发成本	(164,624)	(461,087)
其他(亏损)/收益净额	1,316	13,526
经营亏损	(206,437)	(516,110)
财务成本净额	(6,050)	(2,304)
联营企业和合资企业亏损份额	(131)	-
除所得税前损益	(212,618)	(518,414)
所得税开支	507	(9)
亏损总额	(212,111)	(518,423)

- 2023年上半年，我们的其他收入来源于利息收入及政府补助，我们的主要支出为研发和行政开支
- 行政开支中，雇员人数减少导致薪酬福利开支减少；研发成本中，普克鲁胺新冠适应症的临床试验费用大幅减少
- 其他收益主要为外币汇兑收益



资产负债表

	2023年06月30日 (未经审核)	2022年12月31日 (经审核)
人民币千元		
资产		
非流动资产		
物业、厂房及设备	233,301	240,250
无形资产	235,586	235,648
对联营公司的投资	17,301	17,432
对合资企业的投资	513	513
使用权资产	39,702	42,227
其他非流动资产	8,991	11,197
	<u>535,394</u>	<u>547,267</u>
流动资产		
存货	603,101	603,503
预付款项、按金及其他应收款项	27,844	23,421
定期存款	10,631	10,223
受限制现金	5,853	5,641
现金及现金等价物	691,317	865,081
	<u>1,338,746</u>	<u>1,507,869</u>
资产总值	<u>1,874,140</u>	<u>2,055,136</u>
负债		
非流动负债		
长期银行借款	214,300	177,600
租赁负债	3,492	5,451
递延所得税负债	38,818	38,818
递延收入	18,132	19,952
	<u>274,742</u>	<u>241,821</u>



资产负债表（续）

	2023年06月30日 (未经审核)	2022年12月31日 (经审核)
人民币千元		
流动负债		
贸易及其他应付款项	167,649	214,534
短期银行借款	100,600	98,900
租赁负债	4,174	4,435
应付关联方款项	1,467	258
	<u>273,890</u>	<u>318,127</u>
负债总额	548,632	559,948
权益		
母公司拥有人应占权益		
股本	315	315
员工持股	(13)	(14)
储备	1,325,206	1,494,887
	<u>1,325,508</u>	<u>1,495,188</u>
权益总额	1,325,508	1,495,188
	<u>1,874,140</u>	<u>2,055,136</u>
负债及权益总额	1,874,140	2,055,136



现金流量表

	截至06月30日止六个月	
	2023年 (未经审核)	2022年 (未经审核)
人民币千元		
经营活动所用现金净额	(213,797)	(708,106)
投资活动(所用)/所得现金净额	238	42,010
融资活动所得现金净额	36,638	66,595
现金及现金等价物增加/(减少)净额	(176,921)	(599,501)
年/期初现金及现金等价物	864,470	926,331
现金及现金等价物汇率损失	3,158	10,437
年/期末现金及现金等价物	690,707	337,267