

順天醫藥生技股份有限公司 (TPEX:6535)

法人說明會

2024/11/29

免責聲明

- 本簡報及同時發佈之相關訊息所提及之預測性資訊包含營運展望、財務狀況以及業務預測等內容，是建立在本公司從內部與外部來源所取得的資訊基礎；此等前瞻性說明是有關於未來事件，而且取決於未來發生時的環境因素，包含但不限於價格波動、競爭情勢、國際經濟狀況、匯率波動、市場需求以及其他本公司無法掌控之風險等因素，所以必然含有風險與不確定性，資訊使用者應自行判斷與承擔風險。
- 本公司將不負擔公開更新或修改這些預測性的說明之義務，無論是出現新資訊、未來發生任何事件，或其他情況。實際結果可能與此等預測性說明推測的內容有重大差異。



LT3001

治療急性缺血性中風的創新小分子藥物

開發進度: 完成二期臨床試驗 - 概念驗證

缺血性中風 - 事實 - 高發生率，沉重家庭與社會負擔

全球

>700萬

每年新發缺血性中風

**四個人就
有一個**

一生中會中風，17年
來增加了50%

第一名

長期嚴重殘疾的頭號
原因

\$4,500億

2017年全球中風的總
估計成本

Global Stroke Fact Sheet 2022

美國

>50萬

每年新發缺血性中風

40秒

就有人發生中風

\$560億

2018年到2019年之
間，中風相關的花費

不到20%

的急性期病患能用
溶栓劑來打通阻塞
的血管

CDC. Gov

急性缺血性中風 - 現有療法效果有限，急需更好的治療選擇

	大血管阻塞	中血管阻塞	小腔隙中風
中風後4.5小時內	靜脈血栓溶解劑(IV rtPA)		
中風後 4.5-24 小時	動脈血管取栓手術(IA EVT)	LT3001 治療 為無法接受IV tPA和動脈血管取栓手術EVT的患者提供新型再灌注療法 205,二期試驗(美國、歐洲、台灣) 202,二期試驗(中國)	
	+LT3001 改善動脈血管取栓手術結果 203, 二期試驗 (美國、台灣)		

1

2

LT3001目標

- 1 提供中風后4.5小時以後患者新的治療選擇
- 2 與EVT併用，提升現有療法之治療效果

現有療法的困境

IV tPA

- 僅用於<20%的AIS患者
- 增加10倍症狀性顱內出血發生率 (6.4% vs 0.6% 對照組，p<0.001)
- 僅30%的患者患者得到良好的治療結果 (30% vs 20% 對照組，p<0.05)

IA EVT

- 僅用於<10%的AIS患者
- 不到50%的患者得到良好的治療結果 (46% vs 29% 對照組)

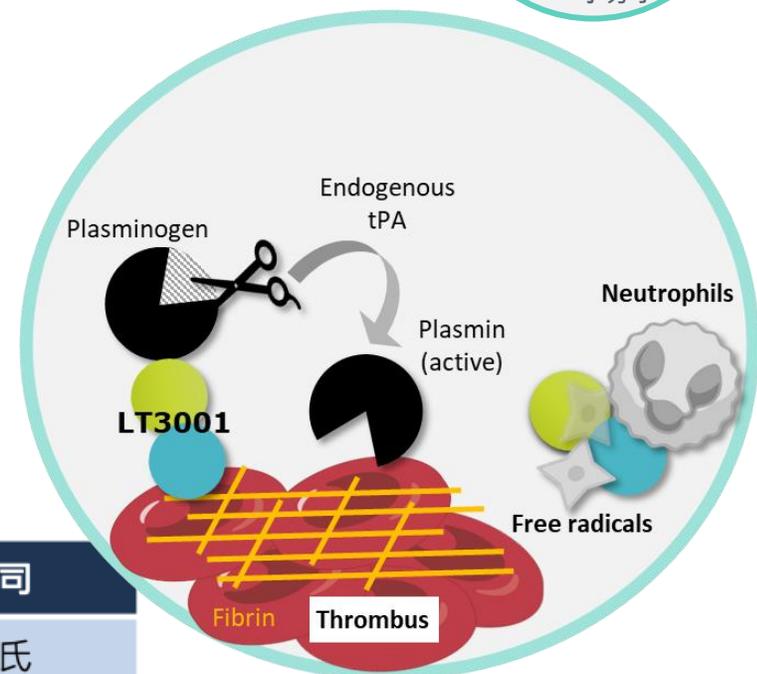
1. NINDS, N Engl J Med 1995; 333:1581-1588
 2. HERMES meta-analysis. Lancet 2016; 387: 1723-31
 3. Nationwide private health insurance database, 2012-2018, US. Neurosurg Focus. 2021 Jul;51(1):E2

LT3001 有別於競爭對手，具有溶栓及神經保護雙效功能



LT3001 優勢

- 創新機轉與給藥設計:** 利用內源性之tPA, 在不影響凝血功能的情況下實現血栓溶解，同時清除損害神經的自由基並減少發炎反應。藉結合溶栓與細胞保護作用，於中風後關鍵三天，提供更全面有效的治療
- 臨床2a突破性成果:** 獲美FDA快速審批資格, 並成功授權中國上海醫藥
- 更全面的二期臨床試驗規劃:** 美、中、歐、台同步開展, 聚焦於中重度中風, 利用先進的影像技術進行患者選擇和結果評估

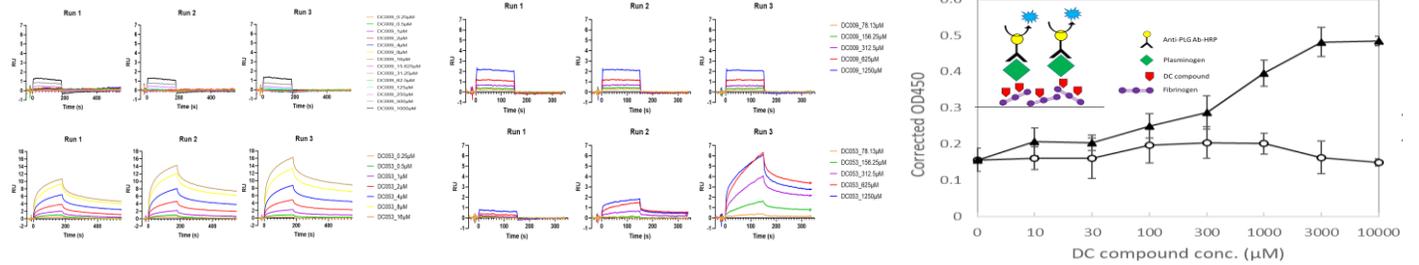


	溶栓	細胞保護	給藥次數	治療時間窗	開發階段	公司
tPA	✓	✗	單劑量	4.5小時	全球上市	羅氏
LT3001	✓	✓	3天 多劑量	24小時	二期 (美歐中台)	順藥
TMS-007	✓	✓	單劑量	12小時	完成二期 (日本)	Biogen→箕星
DM-199	✗	✓	3週 多劑量	24小時	二/三期 (美國)	Diamedica
Edaravone	✗	✓	2週 多劑量	24小時	中、日上市	田辺三菱

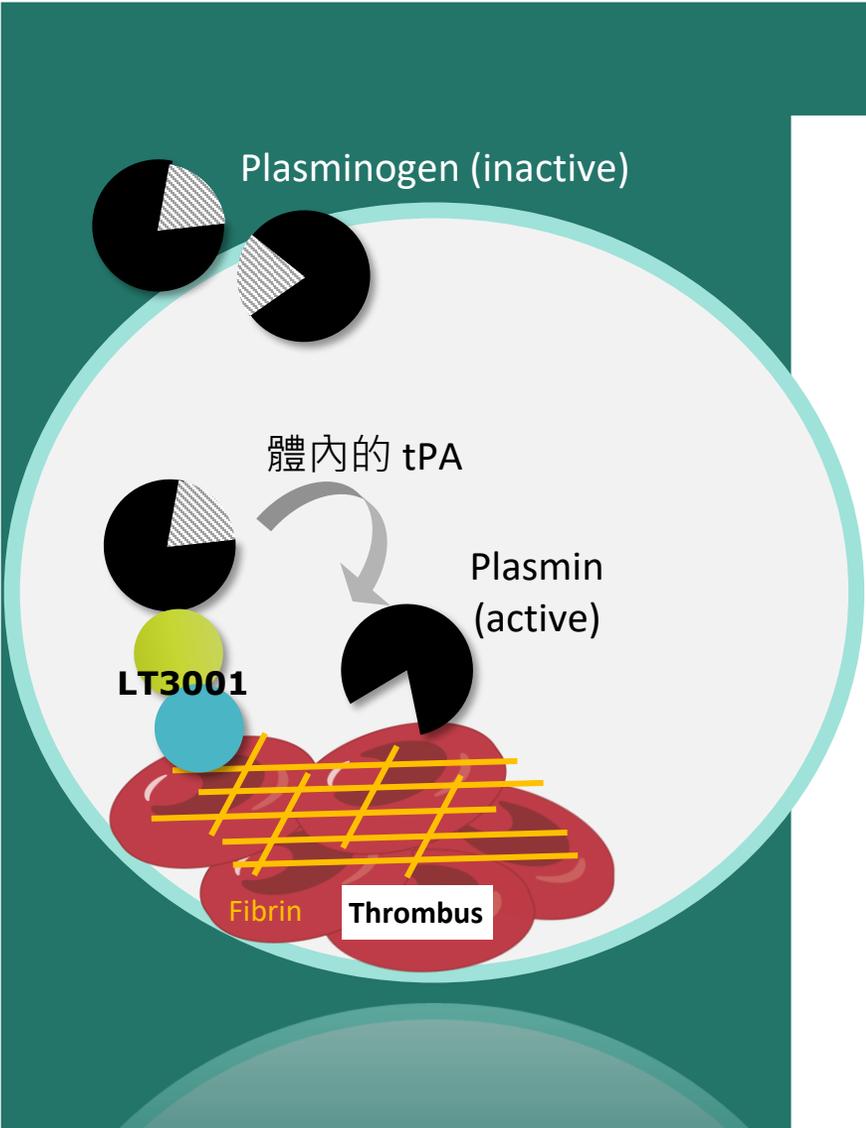
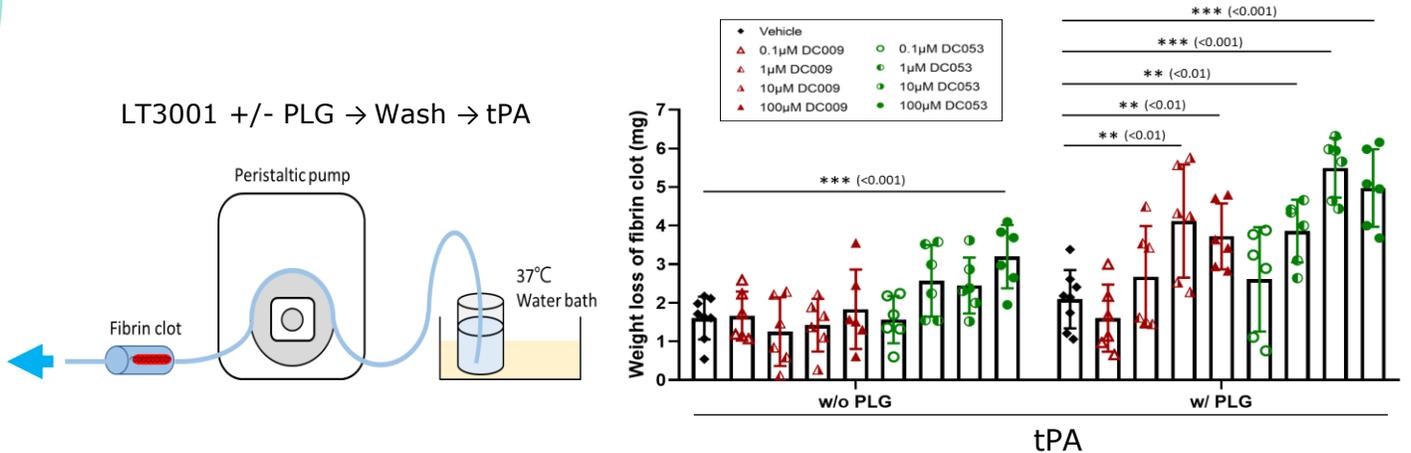
LT3001 作用機轉：促進體內溶栓反應

LT3001 促進溶栓蛋白-血栓結合，增進溶栓反應

促進 plasminogen-fibrinogen 結合

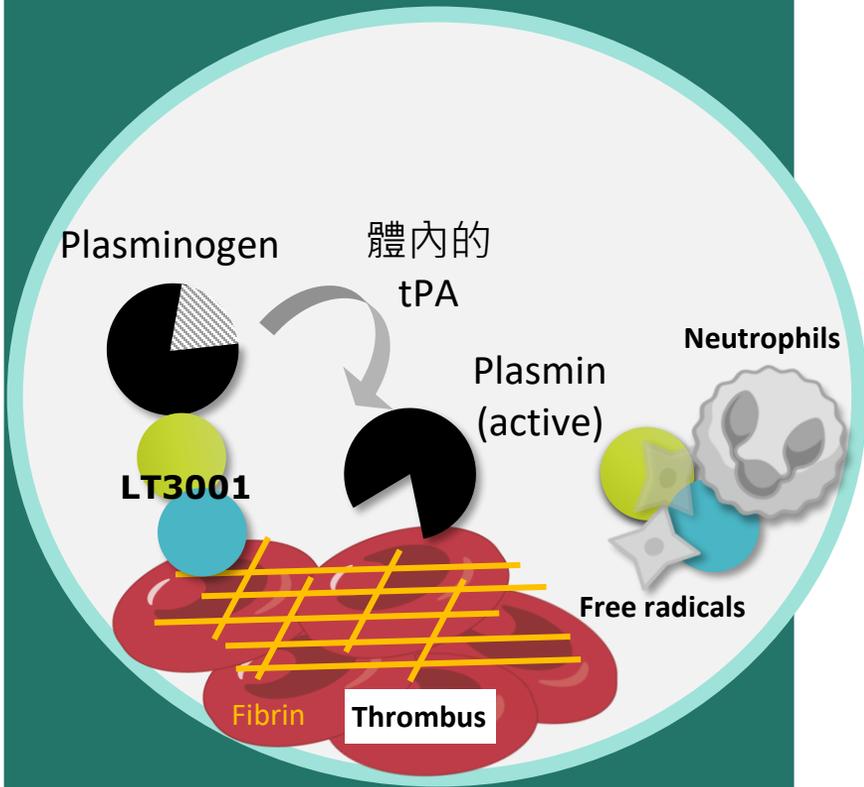


LT3001 促進溶栓反應

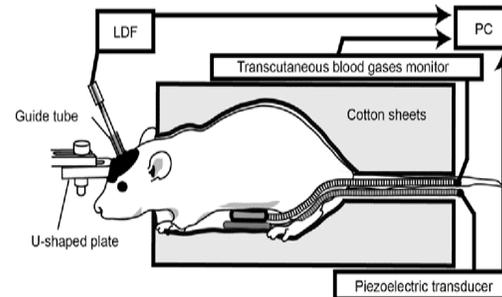
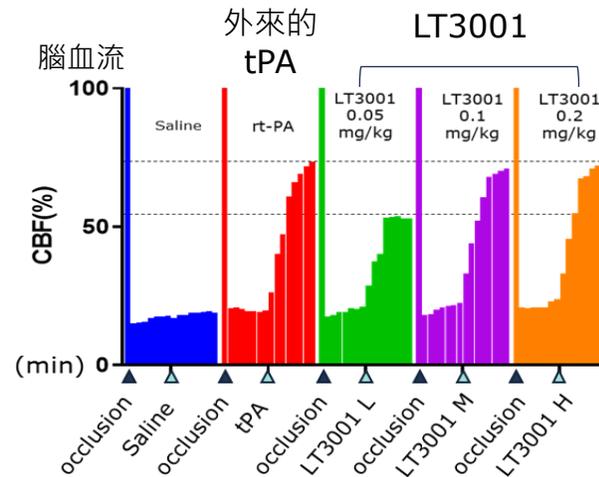


LT3001 作用機轉：創新溶栓機轉 - 恢復阻塞血流，無出血副作用

利用體內原有的溶栓機制，溶解血栓、恢復血流，無出血副作用

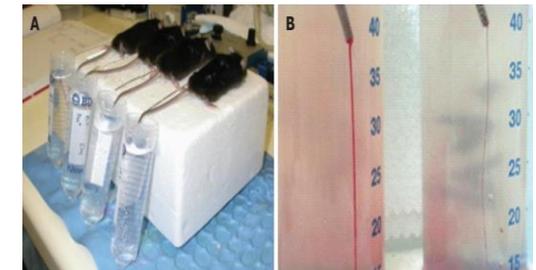
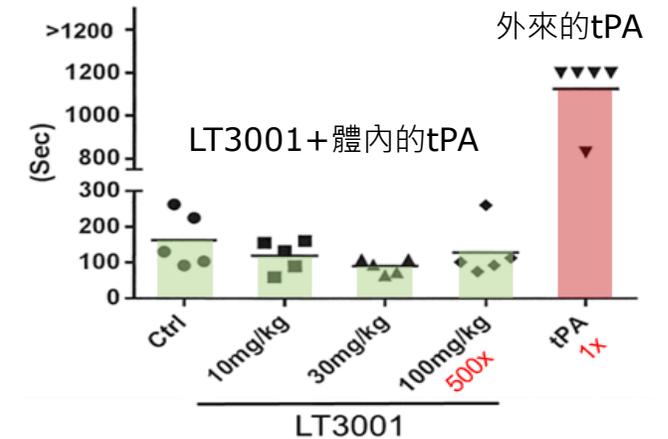


回復阻塞腦血流



Front. Biosci. (Elite Ed) 2014, 6(1), 62-68

不影響凝血功能



Liu Y. et al., World J Exp Med 2012; 2(2): 30-36

臨床試驗佈局完整，2a臨床結果正面積極

關鍵中國臨床二期試驗預計2024年底解盲，臨床三期預計2025~2026年啟動

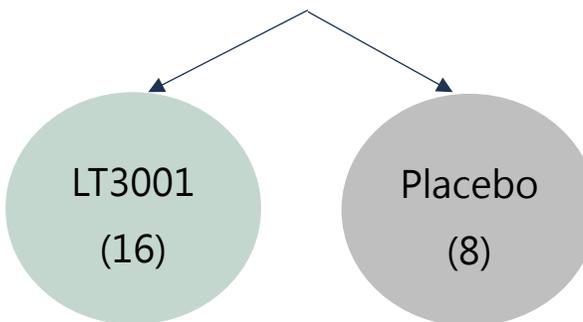
美、中臨床一期

試驗編號	給藥方案		
LT3001-101 (美國, 16人)	單劑量	1x	15分鐘靜脈輸液
		2x	15分鐘靜脈輸液
LT3001-105, DDI (美國, 65人)	三天多劑量	1x	15分鐘靜脈輸液
LT3001-103 (中國, 24人)	三天多劑量	1x	15分鐘靜脈輸液
		2x	30分鐘靜脈輸液

- 藥代特性適合急性期藥物開發
 - 排除快, 不累積, 吸收與劑量成正比
- 給藥策略彈性
 - 可以連續三天給藥
 - 可與中風患者常用的抗血小板和抗凝劑聯合使用
- 沒有種族差異

美、台臨床2a

24例AIS缺血性中風患者



◆ 單劑量LT3001給予超過tPA治療時間窗的AIS病人(24小時內)

- 安全性佳
 - 沒有增加症狀性腦出血
- 療效具趨勢
 - 有較佳的神經功能改善
 - 有較多病人治療後恢復正常生活 (mRS=0-1: 21% vs 14%)

美、歐、中、台臨床二期

202, 臨床二期, 多劑量 (中國, 300人)

治療時間窗：24小時以內
無法接受tPA/EVT之患者
無影像學篩選
低劑量：高劑量：placebo=1:1:1

205, 臨床二期, 多劑量 (美歐台, 200人)

治療時間窗：24小時以內
無法接受tPA/EVT之患者
加入影像學篩選條件

203, 臨床二期 (美台, 24人)

治療時間窗：24小時以內
無法接受tPA之患者
併用取栓手術試驗

LT3001-202 臨床2期試驗結果

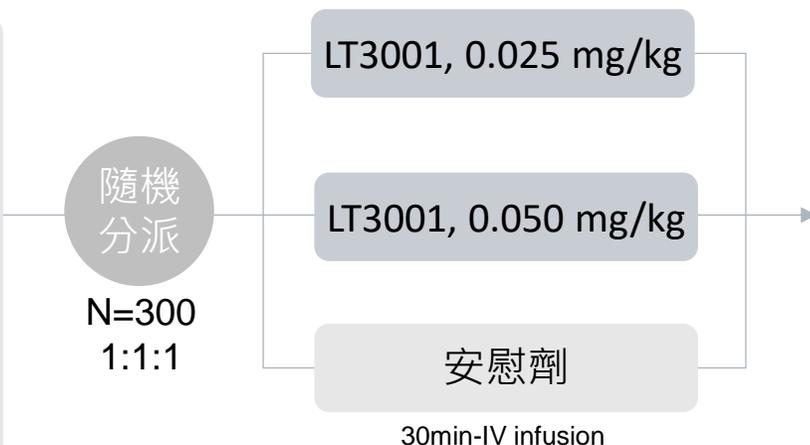
上海醫藥 (**Shanghai Pharma**) 完成一項在中國進行的多中心、隨機、雙盲、安慰劑對照的2期臨床試驗。

LT3001-202: 設計 - 多中心, 隨機, 雙盲, 安慰劑平行對照之2期試驗



主要納入/排除條件

- 年齡18-80歲
- 急性缺血性腦中風患者
- 隨機時NIHSS評分為4-25分
- 發病24小時內可以接受試驗藥品
- 排除已接受或計劃接受血管內治療和/或靜脈溶栓治療的患者



主要試驗終點 - 安全性

- 安全性; 首次給藥後 90 天內不良事件及不良反應的發生率, 首次給藥後 3 天內出現的症狀性或無症狀性顱內出血的例數及發生率

次要試驗終點 - 有效性

- 功能評分 (mRS)
- 神經行為評分 (NIHSS)
- 日常生活能力與品質評分 (BI)

2023/4-2024/7期間, 於34間醫學中心, 完成300例入組

LT3001-201 (臨床2a單劑) vs LT3001-202 (臨床2b期多劑)

類別	比較項目	LT3001-201 (臨床2a,美台)		LT3001-202 (臨床2b期,中國)	
		LT3001單劑	安慰劑	LT3001多劑	安慰劑
入組病人 特徵	例數	16	8	200	100
	年齡 (歲,中位數)	62	69	64	
	性別分布 (男性%)	75%	88%	70%	
	發病-首次給藥時間 (小時,中位數)	19.4	18.0	12.1	
	基線NIHSS評分 (中位數)	6	4	8	8

LT3001-202: 試驗結果

- 主要評估指標：

- LT3001注射液總體安全耐受性良好。
- 首次給藥後90天內的不良事件和不良反應的發生率在高劑量LT3001組、低劑量LT3001組和安慰劑組類似，且絕大多數為輕中度。
- 三組均未發生症狀性顱內出血，僅3例受試者發生無症狀性顱內出血，且均發生在安慰劑組。

- 重要次要評估指標：

- LT3001注射液在治療後第90天mRS達到0-1分(即恢復正常生活功能)的受試者比例上顯示出了初步療效。

AIS臨床試驗數據比對 – 靜脈溶栓藥關鍵試驗

作用機轉	臨床試驗	時間窗	先進影像篩選	樣本數	基線中風嚴重度 ⁴	% mRS=0-1 on day 90 (療效)				sICH (出血風險)		
						IV tPA	Aspirin	Δ	P value	IV tPA	Aspirin	Δ
傳統溶栓 (tPA, TNK)	PRISMS, 2018 (輕度中風)	0-3小時	無	156/157	2/2 ⁵	IV tPA	Aspirin	Δ	P value	IV tPA	Aspirin	Δ
						78%	82%	-4%	NA	3.2%	0%	3%
	NINDS, 1995 (取證上市)	0-3小時	無	168/165	14/14	IV tPA	Placebo		0.02	IV tPA	Placebo	
						39%	26%	13%		6.4%	0.6%	6%
	ECASS III, 2007 (指南延長至4.5h)	3-4.5小時	無	418/403	9/10	IV tPA	Placebo		0.04	IV tPA	Placebo	
						52%	45%	7%		2.4%	0.2%	2%
	EPITHET, 2008 (腦影像顯示有可拯救組織:90%/無:10%)	3-6小時	有/無	52/49	5/5	tPA	Placebo			IV tPA	Placebo	
						44%	42%	2%				
						篩選有 45% ³	40% ³	5%		7.7%	0%	8%
						篩選無 38% ³	60% ³	-22%	6%			
	Extend, 2019 (腦影像顯示有可拯救組織)	3-9小時	有	113/112	12/10	IV tPA	Placebo		0.04	IV tPA	Placebo	
						35%	30%	6%		6.2%	0.9%	5%
	Wake-Up, 2019 (腦影像顯示有可拯救組織)	中位數10小時	有	254/249	6/6	IV tPA	Placebo		0.02	IV tPA	Placebo	
						53%	42%	11%		2.4%	0.4%	2%
	TRACE 3, 2024 (腦影像顯示有可拯救組織)	0-24小時	有	264/252	11/10	IV TNK	Placebo		0.03	IV TNK	Placebo	
						33%	24%	9%		3%	0.8%	2%

恢復功能
平均增加
6%

症狀性腦
出血平均
增加
3%

¹cerebral hemorrhage; ²Edaravone-Dexborneol; ³mRS=0-2 ;⁴NIHSS baseline, median value; ⁵mean value

AIS臨床試驗數據比對 – 靜脈溶栓藥關鍵試驗 vs LT3001

作用機轉	臨床試驗	時間窗	先進影像篩選	樣本數	基線中風嚴重度 ⁴	% mRS=0-1 on day 90 (療效)				sICH (出血風險)				
						IV tPA	Aspirin	Δ	P	IV tPA	Aspirin	Δ		
傳統溶栓 (tPA, TNK)	PRISMS, 2018 (輕度中風)	0-3小時	無	156/157	2/2 ⁵	IV tPA	Aspirin	Δ	P	IV tPA	Aspirin	Δ		
						78%	82%	-4%	NA	3.2%	0%	3%		
	NINDS, 1995 (取證上市)	0-3小時	無	168/165	14/14	IV tPA	Placebo			IV tPA	Placebo			
						39%	26%	13%	0.02	6.4%	0.6%	6%		
	ECASS III, 2007 (指南延長至4.5h)	3-4.5小時	無	418/403	9/10	IV tPA	Placebo			IV tPA	Placebo			
						52%	45%	7%	0.04	2.4%	0.2%	2%		
	EPITHET, 2008 (腦影像顯示有可拯救組織:90%/無:10%)	3-6小時	有/無	52/49	5/5	tPA	Placebo			IV tPA	Placebo			
						44%	42%	2%	恢復功能 平均增加 6%				症狀性腦 出血平均 增加 3%	
						篩選有	45% ³	40% ³		5%	7.7%	0%		8%
						篩選無	38% ³	60% ³		-22%				
	Extend, 2019 (腦影像顯示有可拯救組織)	3-9小時	有	113/112	12/10	IV tPA	Placebo			IV tPA	Placebo			
						35%	30%	6%	0.04	6.2%	0.9%	5%		
	Wake-Up, 2019 (腦影像顯示有可拯救組織)	中位數10小時	有	254/249	6/6	IV tPA	Placebo			IV tPA	Placebo			
						53%	42%	11%	0.02	2.4%	0.4%	2%		
	TRACE 3, 2024 (腦影像顯示有可拯救組織)	0-24小時	有	264/252	11/10	IV TNK	Placebo			IV TNK	Placebo			
						33%	24%	9%	0.03	3%	0.8%	2%		
創新溶栓 細胞保護 LT3001	LT3001-202, 2024 (Ph2, no tPA/EVT)	0-24小時	No 不需篩選	100/組	8/8	LT3001	Placebo			LT3001	Placebo			
						LT3001具療效趨勢				不增加腦出血		0%		

¹cerebral hemorrhage; ²Edaravone-Dexborneol; ³mRS=0-2 ;⁴NIHSS baseline, median value; ⁵mean value

LT3001-202 臨床二期試驗成果

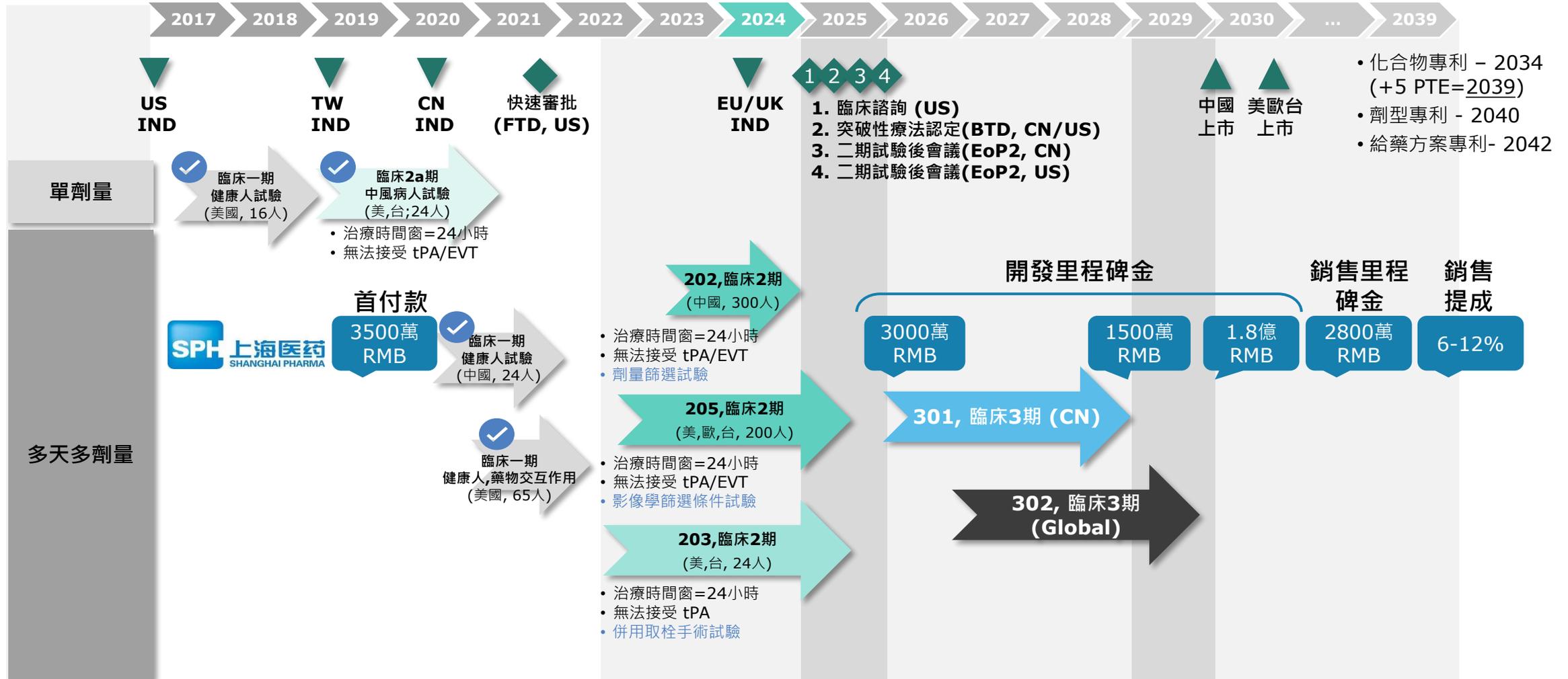
推進開發里程碑

- 成功在300人2b期試驗中完成概念驗證。
- 通過合作夥伴主導的試驗，驗證效果與安全性。
- 在AIS患者中證實LT3001的活性，顯示良好的療效潛力與安全性，於目標病人群改善幅度優於過去傳統溶栓藥試驗結果。

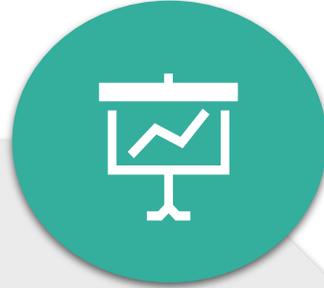
驗證產品價值

- 治療時間窗延長至24小時，是tPA的5倍（4.5小時）。
- 在未經高階影像篩選的病人中亦展現療效與安全性，提升臨床應用潛力。

LT3001 臨床開發計畫 - 臨床三期預計2025-2026 年啟動



LT3001 創新分子 - 針對過去30年未被滿足的醫療需求



關鍵優勢

- **創新雙效機轉** - 低出血風險+細胞保護的新型溶栓藥物
- **針對未被滿足的醫療需求** -
 - 大幅延長急性中風治療時間窗, 從4.5小時至24小時.
 - 試驗設計包含單用與結合取栓手術, 有機會使用於超過80%的AIS.
 - 提供靈活給藥策略, 與常用抗血小板和抗凝藥物兼容.
- **完成臨床概念驗證**



市場潛力

- **潛在市場大** - 每年全球超過700萬急性缺血性中風病人, 超過80%沒有溶栓治療, 潛在市場價值大.
- **專利佈局完整** - 化合物專利保護至2039年, 劑型和使用方法專利保護至2042年.
- **市場高期待** - 歐美市場調查顯示, 醫療專業人員開立LT3001意願高; 支付方對每例治療的價格估計可達約25,000美元.

全球醫界權威組成指導委員會 (Steering Committee)

LT3001-202首席研究者



Marc Fisher

Chairman of World Stroke Organization
Neurology at Harvard Medical School, US



Yongjun Wang

Beijing Tiantan Hospital,
Neurology Center, China Stroke
Association, China



Pooja Khatri

Acute Stroke Program for the
University of Cincinnati, US



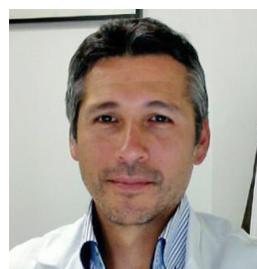
David Liebeskind

UCLA Stroke Center
Neurovascular Imaging Research
Core, US



Thomas Devlin

CHI Memorial Stroke and
Neuroscience Center, US



Carlos Molina

Stroke Unit at Vall d'Hebron
Hospital, Barcelona, Spain



Chung-Hsiang Liu

Acute Stroke Center for the
China Medical University
Hospital, Taiwan



Tsong-Hai Lee

Stroke Center and Department of
Neurology, Linkou Chang Gung
Memorial Hospital, Taiwan

A green wireframe brain graphic, rendered in a grid-like mesh style, is centered on the page. A solid green horizontal bar is overlaid across the middle of the brain, containing the text "Thank You" in white.

Thank You