



## 5.1 新藥研發及創新

重大主題

藥華醫藥成立至今，致力於新藥研發與藥物改良，以解決未被滿足的疾病需求為目標。我們自主開發「PEGylation 技術平台」改良既有藥物，成功開發新一代PEG長效型 $\alpha$ 干擾素藥物Ropeg，其具有一藥適用多種適應症之特性，不僅可用於治療血液疾病相關適應症，也可用於腫瘤疾病以及病毒感染型疾病，以扎實的成果為病患創造藥物近用價值。



### 14.3億元

研發支出成長12.6%  
且佔營收49.6%

GRI 3-3



管理政策

#### 內部政策

- 本公司從早期的基礎研究、產品技術研究、臨床前實驗，中期的藥品試量產、第1、2期人體臨床試驗，到成熟期的產品試作、第3期人體臨床試驗等，係遵循內控研發循環規章、智財專利的申請保護與相關辦法來執行，旨在尋求具有市場競爭力的新技術新產品，及探索利用自有技術開發尚未被滿足的新藥需求
- 研發內控循環規章與相關管理辦法

#### 外部依循

- 赫爾辛基宣言
- 國際醫藥法規協和會藥品優良臨床試驗規範 (ICH-E6-GCP)
- 優良臨床、實驗室和製造規範 (GxP) 等臨床試驗相關的國際規範



目標

#### 2023 短期目標

- 穩定發展中的專案或技術包含：Anti-PD-1、PEG-GSF、TCRT，陸續於2023年進入申請臨床試驗許可階段
- 導入細胞治療相關技術合作專案，利用引進技術構建細胞工廠，並持續評估新藥開發方向申請一項細胞治療產品臨床試驗
- 多國多中心原發性血小板過多症 (ET) 3期臨床試驗，預計於第1季收案完成
- 啟動美國創新研究中心 (PharmaEssentia Innovation Research Center Corporation) 的各項研發活動

#### 2024~2026 中期目標

- 持續推動多國多中心Ropeg (P1101) 原發性血小板過多症 (ET) 三期臨床試驗及藥證申請
- 積極執行新標靶蛋白的聚乙二醇化 (PEGylation) 專案計畫，並申請一項的評量臨床試驗許可
- 發展新創之製程技術平台以提升生產效率、降低成本並縮短開發時程，應用新製程技術平台於一新藥產品，並申請一項臨床試驗

#### 2026~ 長期目標

- 持續尋求授權合作或許可，與策略聯盟夥伴共同開發或引進新藥候選者，擴大公司產品線
- 加速各國關鍵臨床試驗的進度及各項產品藥證申請，將產品效益極大化
- 建立研發與行銷協作平台及程序，促進跨部門交流，增進研發團隊市場評估能力



管理承諾

承諾遵循相關適用的法規，專注4大聚焦的疾病領域，以最精湛的技術及最高的品質創新生物新藥，通過提供創新和可靠的藥品，為改善世人民的健康做出貢獻



權責單位

- 新藥探索主要由新藥研發處統籌，新藥研究決策者為「專案評估小組」，內含跨部門之代表成員及內部高階管理階層主管，由「專案審查會議」所討論之決議共同決策，成立研發專案後由專案主持人統籌專案之進度及定期完成匯報
- 臨床試驗部分由臨床操作部門負責管理
- 永續發展中心-藥物近用小組



投入資源

- 2022年度藥華醫藥全球共有123位研發臨床人員，研發總支出投入達14.3億元較去年成長12.6%
- 於新案起始階段，進行深度資料蒐集以了解競爭藥品臨床進展，深入評估市場未被滿足的藥物需求及商業化發展機會，結合開發平台指引藥物開發進程
- 滾動式彙整及回饋各專案市場動態，定期於雙週研發會議中報告於管理團隊，提升專案團隊與管理團隊對於研發專案相關的市場認識和風險評估能力研發部門針對新案積極評估藥物市場資料庫導入之可能性及鼓勵同仁參與市場評估相關之教育訓練


 管理方針  
的評量

## 管理評核機制

- 研發專案皆遵循內控研發作業循環，每季依照財務部彙整的財務資料進行各專案進程和執行效率管理、每半年進行專案成本管控評估。並定期由「專案小組」成員於有重大研發成果或計畫書所訂定之里程碑出現時，共同決策是否持續進行本專案
- 大型專案及年度內各專案研發預算需於董事會提報，通過後始得進行相關之研究開發
- 稽核單位每年依照年度稽核計畫執行研發循環管理機制的稽核作業
- 臨床操作部門每兩週於醫學研究雙週例會檢視公司臨床試驗進程

## 2022年評估結果

- 專案小組已定期針對各項研發中專案評估與決策，整體平均而言管控評估良好
- Ropeg (P1101) 相關結果
  - 1期臨床試驗招募：使用此藥物後繼續使用 Anti-PD1 治療 B 型肝炎或 D 型肝炎的臨床試驗已開始招募受試者
  - 不同階段的臨床試驗：於8國進行此藥物應用於原發性血小板過多症 (ET)、肝炎病毒感染疾病及腫瘤疾病的相關臨床試驗；用於治療新冠肺炎COVID-19病患之三期臨床試驗設計重大變更獲衛福部核准；於中國進行之真性紅血球增生症 (PV) 取證用第二期銜接性單臂臨床試驗初步臨床數據
  - 「A+企業創新研發淬鍊計畫」補助：「Ropeg (P1101) 治療原發性血小板增多症 (ET) 之多國多中心第三期臨床試驗計畫」獲經濟部全力支持，共補助新臺幣32,918,000元
  - 藥證申請：已向日本主管機關PMDA提交應用於真性紅血球增生症 (PV) 之上市許可申請
- 自美國Athenex授權引入開發治療日光性角化症的KX 01新藥
  - 臨床試驗：已於日本啟動一項3期臨床試驗以符合申請日本藥證的法規要求
  - 藥證申請：取得臺灣上市許可藥證
- 於美國投資設立創新研究中心 (PharmaEssentia Innovation Research Center Corporation)

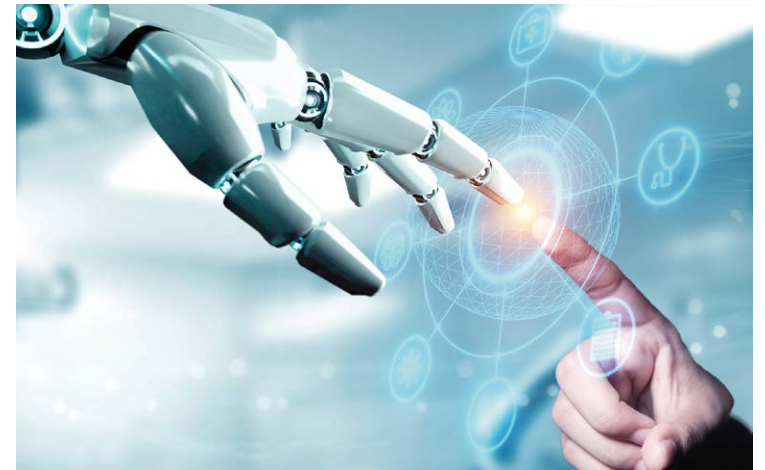
## 製程創新 通過創新創造價值「PEGylation 技術平台」

SASB HC-BP-240a.1

PEGylation技術平台是藥華醫藥自創立之初的強大研發核心，為將蛋白質藥物與長鏈高分子PEG (polyethylene glycol，聚乙二醇) 結合在一起的技術，目的是延長蛋白質藥物在人體血液內維持有效濃度的時間，使用這樣的平台技術可大幅降低研發成本，同時提升病患用藥的耐受度和方便性。為進一步擴大研發創新量

能，藥華醫藥正式啟動美國創新研發中心計畫 (PharmaEssentia Innovation Research Center Corporation, PRIC) 的各項研發活動，可望結合AI人工智慧與機器學習平台，在早期研究階段識別研究目標以減少開發時間與成本，加速新藥研發到上市階段的進程。

骨髓增生性腫瘤 (MPN) 為罕見慢性血液癌症，罹患的病友長年存在嚴重且未被滿足的醫療需求。針對同領域之一的真性紅血球增多症 (PV)，我們以PEGylation技術平台為基礎，改良既有藥物並成功開發新一代PEG長效型α干擾素Ropeg，對於治療該疾病具有顯著成果。合作夥伴AOP Orphan公司以Ropeg用於治療真性紅血球增多症 (PV) 歷時7.5年的臨床研究發現，超過6成的病患達完全血液學反應，證實創新干擾素藥物研究結果對於造福病人族群的潛力。



### 原創性蛋白質藥物研發「PEGylation 技術平台」的近期價值

**既有藥物改良 - 降低開發新藥風險**

以PEGylation平台為基礎改良既有藥物，成功開發新一代PEG長效型α干擾素藥物，大幅降低新藥開發失敗的風險。新藥本身副作用降低，使醫師提供更好的治療選項予病友，以藥物醫療創造共享價值

**利用技術平台 - 有效發展多樣產品**

利用技術平台持續發展創新藥物，可用於血液疾病相關適應症等4大領域，具有一藥適用多種適應症之特性。若適應症為罕見疾病，上市後提供病患使用之正面影響無遠弗屆

**5大專業領域**

- 分析科學
- 化學
- 細胞工程
- 藥物科學
- 製程發展

**持續成長的研發支出**

年份	研發費用 (新台幣千元)	研發人力
2020年	922,380	74
2021年	1,272,944	83
2022年	1,430,350	123

**新藥競爭優勢**

Ropeginterferon alfa-2b (P1101)  
新一代PEG長效型α干擾素藥物

- 高純度
- 高耐受度
- 低副作用
- 穩定且單一成分
- 可治療多種適應症
- 給藥頻率將縮短至2周1次

**4大聚焦的疾病領域**

- 罕見血液疾病
- 病毒感染疾病
- 腫瘤疾病
- 皮膚疾病

**4大研發產品**

- Ropeginterferon alfa-2b 代號P1101
- Ropeginterferon alfa-2b (P1101)+ 免疫檢查點抑制劑 Anti-PD-1抗體
- 口服紫杉醇 Oraxol®
- 激酶抑制劑 Tirbanibulin 代號KX01

### 產品創新 藥華醫藥研發產品線

SASB HC-BP-000.B

疾病分類	技術/產品	適應症	市場	臨床前試驗	臨床1期	臨床2期	臨床3期	藥證申請	上市銷售
血液病	Ropeginterferon alfa-2b (P1101)	真性紅血球增多症	歐洲、瑞士、以色列	█	█	█	█	█	█
			台灣、韓國	█	█	█	█	█	█
			美國	█	█	█	█	█	█
			日本、中國	█	█	█	█	█	█
		原發性血小板過多症	全球	█	█	█	█	█	
		纖維化前骨髓纖維化	全球	█	█	█	█	█	
		成人T細胞白血病	日本、台灣、中國	█	█	█	█	█	
感染症	P1101 + Entry inhibitor	D型肝炎	美國、歐洲、台灣	█	█	█	█	█	
皮膚病	Tirbanibulin (KX01)	乾癬	台灣、中國、澳門、新加坡、日本、韓國	█	█	█	█	█	
		日光角化症	台灣、日本、韓國	█	█	█	█	█	
實體腫瘤	P1101 + anti PD-1	肝細胞癌	全球	█	█	█	█	█	
	PEG-GCSF	嗜中性白血球減少症	全球	█	█	█	█	█	
	PEG-IL2	實體腫瘤	全球	█	█	█	█	█	
	PEG-IFN-Gamma	實體腫瘤	全球	█	█	█	█	█	
	TCR-T	實體腫瘤	美國、台灣	█	█	█	█	█	

註：研發產品線最新更新請參考[官網](#)

資料來源：<https://hq.pharmaessentia.com/tw/pipeline>

## 恪守動物福利的臨床前動物實驗



為確保研究人員於動物實驗中遵循實驗動物照護及使用委員會 (IACUC) 的相關法規要求，本公司篩選具有GLP認證的國內外委外研究機構，其遵循動物福祉保護委員會以人道方式進行動物實驗。目前共委託3家國內外優良合格機構進行臨床前動物實驗。



## 嚴謹的人體臨床試驗流程

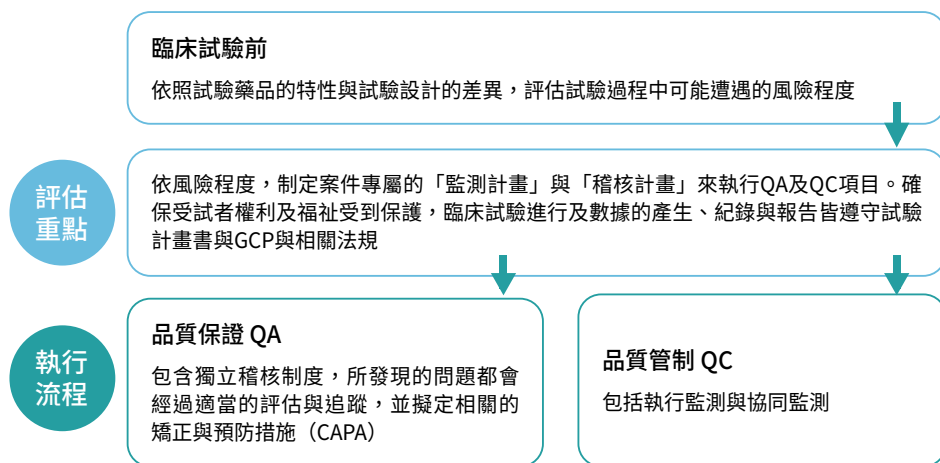
SASB HC-BP-210a.1

為確保人體臨床試驗的品質，藥華醫藥針對臨床操作、委託研究機構 (CRO) 的遴選與管理制定20項以上的標準作業程序，在各臨床開發階段都有稽核與查核機制，依循經核准的試驗計畫書與當地國家法規要求，執行第1、2、3期的臨床試驗。



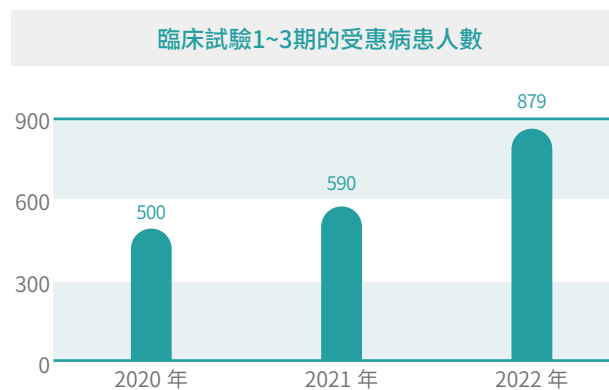
## 臨床試驗品質風險評估與維護

臨床試驗風險評估由委外研究機構執行，並依內部作業程序之規定，在執行臨床試驗之前及試驗中，皆會舉行內外部相關試驗產品安全教育訓練，並執行臨床試驗中的品質保證及品質管理活動。



## 多國多中心臨床試驗 驗證藥品國際競爭力

截至2022年底，本公司在全球各地以Ropeginterferon alfa-2b (P1101) 所進行的各項臨床試驗受惠病患來自台灣、歐洲、美國、日本、中國、香港與其他地區，同步推動超過20件的臨床試驗案；臨床試驗應用PV、ET、B肝、C肝及COVID-19輕中症的受惠患者，2022年新增近290人，累計已達850人以上。



**289人次**  
2022年新增P1101  
臨床試驗受惠者，  
累計達850+人

## 跨國產學合作 建構當地研發與臨床試驗量能

此外也藉著與國內外大學、研究機構合作，深入了解全球市場的疾病需求，並藉臨床合作試驗鑽研相關疾病，即時更新與掌握最前沿的科技與技術，共同實踐各地不同疾病領域需求的藥物近用計畫。

