

從藥物研發到生產階段都必須嚴格遵守法規及各種品質要求；藥品供應鏈也必須嚴格管理，包含原料來源，生產製造，充填、藥品包裝、運輸、到患者使用階段安全都是我們重視的議題。



3.1 新藥研發與創新管理

重大主題

GRI3-3



重大主題

新藥研發與創新管理



衝擊評估

PEGylation 技術平台是藥華醫藥的研發核心，能夠延長蛋白質藥物在人體血液內維持有效濃度的時間，自主研發的 Besremi 屬於新一代 PEG 長效型 α 干擾素，具備一藥適用多種適應症之特性。除了已經取得的 PV 藥證之外，仍在發展新的適應症，造福更多患者。



管理政策與承諾

藥華醫藥致力於解決未被滿足的醫療需求，繼最早取得突破的血液腫瘤疾病 (MPN) 之後，並參考藥物近用指引 (Access to Medicine Index) 的精神，持續投入於血液疾病與實體腫瘤等研究。另外，藥華醫藥承諾在新藥研發過程，採用格求動物福利的臨床前動物實驗。



權責單位

- 新藥研發處：負責新藥探索工作。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，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。
- 臨床操作部門：負責管理臨床試驗。
- 永續重大主題：由永續發展中心 - 藥物近用小組成員負責統整管理。



投入資源

- 全球共有 142 位研發及臨床人員，較去年成長 15.4%
- 研發經費投入：2023 年藥華醫藥共計投入約 22.2 億元於研發活動，較 2022 年成長 56%
- 重要研發品項如 PEG-IL-2 技術用於發炎及免疫疾病治療及其他多項產品之臨床一期、二期、三期以及上市後研究，IIT 等臨床試驗。
- 透過外部合作，共同開發 TCR-T 細胞療法。



指標與目標

- 研發中的藥物數量：13 個
- 總部完成 2 項 IND 申請，及進行 4 項新臨床試驗



確保行動有效之作法

- 透過 AI 結合人工智慧與機器學習，擴大研發量能
- 持續延攬具備藥品開發經驗的專業科學人才，並結合 AI/ML 技術，於藥物初期開發、設計與優化提升效率。

2023 年執行成效

- 成立美國創新研究中心 (PharmaEssentia Innovation Research Center Corporation, PIRC)，期望結合 AI 人工智慧與機器學習，進一步擴大研發創新量能，在早期研究階段有效識別研究目標，減少開發時間與成本，加速新藥研發到上市階段的進程。
- 臨床試驗：2023 年度新增 CML、HDV、PMF、HCC 等 4 個計畫，累計目前進行中的臨床試驗計畫共 9 個。2023 年當年度患者新增 453 人，累計臨床試驗患者人數共 1,332 人。
- 2023 年，藥華醫藥完成台灣 TFDA 一期臨床試驗 IND 運用 (anti-PD-1 抗體 (P1801) 治療實體腫瘤)；及多國多中心原發性血小板過多症 (ET) 三期臨床試驗收案，該計畫也獲得政府科專補助款新台幣 5,435 千元。

近五年 (2019-2023) 研發成本持續成長

年度	2019	2020	2021	2022	2023
全球研發支出 (新台幣千元)	639,575	922,380	1,272,944	1,425,964	2,224,054
支出比前期增加額度 (新台幣千元)	-	282,805	350,564	153,020	798,090
支出比前期成長幅度	-	44.2%	38.0%	12.0%	56.0%
全球研發人員 (人)	56	74	83	123	142
人力比前期增長 (人)	-	18	9	40	19
人力成長幅度	-	32.1%	12.2%	48.2%	15.4%



創新研發重心 SASB HC-BP-000.B

除了投入於 MPN 之外，藥華醫藥也投入 PEG-IL-2 技術，用於發炎及免疫疾病治療；並透過外部合作，共同開發 TCR-T 細胞療法。

2024 年規劃將持續啟動 2 項 IND 研發專案：

- 啟動 anti-PD-1 抗體 (P1801) 及長效型 G-CSF 臨床試驗
- 與此同時也正在進行：P1101 新適應症 early PMF 及 low-risk PV 臨床試驗
- 另外將完成：
 - ▶ 1 個以上的至開發候選藥物階段專案
 - ▶ 1 個以上的至臨床前候選藥物開發階段的專案
 - ▶ 1-2 個外部技術平台資產引進專案以及人工智慧和機器學習 (AI/ML) 平台的開發。

未來五年 (2024-2029) 發展重點：



Besremi 營運持續增長

- 現有市場的患者使用經驗持續增加，患者人數增長
- **PV 適應症：**
2024 年預計取得中國及星馬藥證
- **ET 適應症：**
預計 2025 年申請美國藥證，預計 2026 年初取得藥證



P1101 適應症拓展

- Early PMF 全球第三期樞紐臨床試驗進行中，預計於 2026 年底提交 FDA 藥證申請。
- **其他血液疾病：**
ATL, CTCL 等應用領域之研究



產能供應全球

- 預計全球產能可供應超過 1 萬人
- 因應市場需求，竹北廠已經開始興建，預計 2026 年完成



頂尖研發平台

- 新型免疫檢查點分子和細胞激素 (cytokine)，用於治療實體腫瘤、血液及免疫疾病
- **細胞療法：**
TCR-T 靶向細胞內的癌抗原，用於治療實體腫瘤

資料來源：2024 年 3 月法說會檔案

疾病分類	技術產品	適應症	市場	臨床前試驗	臨床一、二期	臨床三期	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	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
			美國、台灣、韓國、日本	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
			中國、馬來西亞、香港、新加坡	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
		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	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
實體腫瘤	TCRT	實體腫瘤	美國、台灣	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
			全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
		肝細胞癌	全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
		實體腫瘤	全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
		嗜中性白血球減少症	全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
		實體腫瘤	全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████
Novel checkpoint Abs	實體腫瘤	全球	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	████████████████████	

註：研發產品線最新更新請參考 [官網 https://hq.pharmaessentia.com/tw/pipeline](https://hq.pharmaessentia.com/tw/pipeline)

格求動物福利的臨床前動物實驗

篩選具有 GLP 認證的國內外研究機構，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，以 3R 原則 (精緻化，減量，取代)，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。

參與臨床試驗者的安全性 SASB HC-BP-210a.1

為了確保臨床試驗者的安全，藥華醫藥針對臨床操作制定了約 20 項的標準作業程序進行管理；並在各階段都設置稽核與查核機制，確保試驗品質，並依循經核准的試驗計畫書與當地國家法規要求來執行第一、二、三期的臨床試驗。目前沒有因為違反 GCP (藥品優良臨床試驗規範) 而中止的臨床試驗。

第一期臨床試驗 安全性探索

試驗規劃

依照 CRO 提供之服務項目與臨床試驗特性評估風險
依照風險高低制定監測計畫與稽核計畫、品質管理與品質保證規劃

試驗前

試驗計畫書與相關文件接受衛生主管機關和人體試驗委員會審查核准

主持人會議：進行試驗相關訓練

受試者書面知情同意：被充分告知且完整考慮後簽署確認自願參與，方能接受篩選

受試者篩選：依照試驗計畫書的納入與排除條件嚴格篩選

試驗期間

臨床操作部門針對承接監測業務的 CRO 執行協同監測
依相關稽核計畫執行稽核，確保 CRO 的服務符合品質要求

試驗後

彙整療效與安全性資料經衛生主管機關書面審查和實地查核及利益與風險評估後方能核准上市

第二期臨床試驗 初步療效研究

第三期臨床試驗 大規模療效 確認性研究

臨床試驗品質維護與風險管理

臨床 試驗前

依照藥品特性與試驗設計差異，評估執行試驗過程可能遭遇的風險及程度

評估 重點

依風險程度，委託 CRO 制定案件專屬的「監測計畫」與「稽核計畫」來執行 QA 及 QC 項目。確保受試者權利及福祉受到保護，臨床試驗進行及數據的產生、紀錄與報告皆遵守試驗計畫書與 GCP 等相關法規

執行 流程

品質保證 QA：

含獨立稽核制度，所發現的問題會經過適當的評估與追蹤並擬定相關的矯正與預防措施 (CAPA)

品質管制 QC：

含執行監測與協同監測

