

藥華醫藥致力於自主創建的研發技術，不僅為生技醫藥產業帶來突破性的成就，也為病患創造更多福祉。從新藥的研發、生產、製造、運輸到上市，每個環節皆嚴格且全面地遵循繁複法規及品質要求，藥華醫藥也對創新研發技術不斷進行專利挖掘及完善保護，布局各項智慧財產權的保障措施，最大化延長核心產品生命週期。我們亦重視藥品上市後之風險管理，持續監測與通報藥品使用安全資訊，善盡保護病患權益的重要責任。

3.1 新藥研發與創新管理

GRI 3-3



重大主題



衝擊說明



政策與承諾



新藥研發與 創新管理

藥華醫藥自主創建PEGylation技術平臺，PEGylation是能夠維持蛋白質藥物在人體血液內的穩定度，因而延長血中有效濃度的時間的一項專門技術。我們利用該技術改良既有蛋白藥物，成功研發新一代長效型干擾素BESREMi(百斯瑞明，學名為Ropeginterferon alfa-2b，簡稱Ropeg，即P1101)，其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，目前仍在開發多種新的適應症，造福更多病患。

藥華醫藥致力於解決未被滿足的醫療需求，在血液腫瘤疾病(MPN)領域取得突破之後，參考藥物近用指引(Access to Medicine Index)的精神，持續投入血液疾病與實體腫瘤等研究，並與外部研究機構及生技公司合作，共同開發細胞療法的研究。另外，藥華醫藥也承諾篩選具有GLP、ISO 17025(非強制的)及AAALAC認證的國內外研究機構，在新藥研發過程中，確保研究人員遵循相關規範，執行嚴格要求動物福利的臨床前動物實驗。



權責單位

新藥研發中心：負責新藥開發，並成立「專案評估小組」為研究決策單位，小組成員包含不同部門之同仁及高階管理階層，經由「專案審查會議」進行決議，專案成立後由專案主持人統籌專案之進度及定期完成進度匯報。

臨床操作部門：負責管理臨床試驗

永續發展中心-藥物近用小組：負責統整管理永續重大主題



因應措施與管理行動



投入資源

人事面—全球共有165位研究發展及臨床人員，相較去年增長16.2%
財務面—2024年藥華醫藥共計投入研發量能約25.9億元，較去年成長16%

研發面—●重要研發品項如PEG-IL-2用於發炎及免疫疾病治療，另有其他多項產品在臨床一期、二期、三期以及上市後研究第四期，加上和醫師合作的IIT (Investigator Initiated Trials)等臨床試驗

●透過外部合作，共同開發TCR-T細胞療法



前瞻計畫

●結合AI(人工智慧)與ML(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，用於藥物初期開發、設計與優化提升效率



評核機制

(如何追蹤因應措施與管理行動是否有效之追蹤管道、系統)

- 新藥歷經可行性研究、臨床前動物試驗、臨床試驗、產品生產至通過審核上市，研發過程中皆設有產品品質的保證、藥物的安全與療效，及符合法規單位規範等控管機制，做為評估是否持續進行的依據
- 研發部門每月依照各研發專案進行時程管理檢討，並每季向董事會報告
- 研發經費於2023年12月經董事會通過執行，財務部每季會依照各研發專案追蹤研發專案實際與預算支出，並向董事會報告說明差異分析
- 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



2024年目標與達成情形

- 研發中的藥物數量：13個
2024年總部完成2項試驗用新藥(Investigational New Drug, IND)PEG-GCSF和Anti PD-1申請，及進行5項(PEG-GCSF、Anti PD-1、TCRT-ESO-A2、HOPE PMF、ATL)新臨床試驗。
- PEG-GCSF第一期臨床試驗IND申請並完成第一期臨床試驗
 - Exceed ET與Eclipse PV分別於今年3月、6月完成臨床試驗收案
 - 多國多中心原發性血小板過多症(ET)三期臨床試驗完成，並在12月底完成Topline的數據分析
 - ET三期臨床試驗獲得政府科專補助款新臺幣10,428仟元
 - 日本ALT二期臨床開始收案



目標

短期目標(1~2年)：

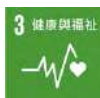
- 拓展MPN類型的新適應症發展，成為全球MPN領導者

中期目標(3~5年)：

- 開發PEG平臺：運用PEC的自主創建PEG平臺設計長效Cytokines
- 開發其他技術例如：BiC/FiC PEGylated Cytokines (GCSF, IL-2, IFN-g, ...etc.)
- 開發針對低反應率的實體瘤，如：腎癌、胰腺癌或免疫介導的疾病

長期目標(5年以上)：

- 鑽研頂尖研發平臺：開發Best-in-Class/First-in-Class療法
- 新型BiC/FiC免疫檢查點分子用於治療實體腫瘤及血液疾病
- 細胞療法：TCR-T不僅靶向細胞膜上的癌抗原，還靶向細胞內的癌抗原



3 健康與福祉

9 工業、創新
基礎建設

17 全球夥伴

重大主題

新藥研發與創新管理
藥物品質與安全管理
商業倫理與誠信經營

主要利害關係人

患者
醫護人員
委外研究/實驗單位
股東與投資者
供應商與商業夥伴
當地社區
政府與監管機構
媒體

► 研發理念

在醫療技術進步及人口高齡化的趨勢下，全球生技醫藥產業正呈現蓬勃發展的態勢，因此不斷創新研發是新藥公司的重要使命。藥華醫藥係新藥研發暨生物製劑藥廠，積極投入骨髓增生性腫瘤(Myeloproliferative Neoplasms, MPN)藥物開發，MPN分為四大類：

真性紅血球增多症 (Polycythemia Vera, PV)

原發性血小板過多症 (Essential Thrombocythemia, ET)

慢性骨髓性白血病 (Chronic Myeloid Leukemia, CML)

原發性骨髓纖維化 (Primary Myelofibrosis, PMF)

因MPN為罕見疾病且全球病患眾多，全球有許多正在開發此領域之新藥公司。藥華醫藥運用自主創建的PEGylation技術平臺，改良既有藥物，成功研發新一代PEG長效型干擾素alfa-2b (Ropeg)，其具備一藥適用多種適應症之特性，突破舊有干擾素給藥及治療上的限制，目前除了已經取得的PV藥證之外，仍在開發新的適應症。同時，藥華醫藥也將PEGylation技術平臺延伸運用於腫瘤、免疫及切入細胞療法領域，拓展其治療適應症及應用範圍，為相關疾病治療提供創新解決方案。

儘管研發新藥需要大量研發技術、時間成本與資金投入，藥華醫藥始終不遺餘力，以豐富的製藥知識與產業經驗，推動創新來提升病患的生活品質、貢獻社會，期望持續成為生技醫藥業的標竿企業。

治理

新藥從一開始的新發現、可行性研究、臨床前動物試驗、臨床試驗、產品生產至新藥通過審核上市，皆需要長時間的高度品質、安全、療效及法規控管，藥華醫藥設立了完整的藥物研發治理組織，確保各權責單位均能在新藥發展的歷程中達到有效率的管理及進度推展之目標。

本公司新藥研發中心直屬執行長之下，擔任藥物技術研發之主責單位，並設有「專案評估小組」執行研究決策，小組成員主要為總部及美國子公司的研發團隊、智財部門及高階管理層，其它部門如企劃/市場發展部門、財務部門、法務部門等，即根據各自職能及研發進程需求參與會議，從研發專案啟動前用以評估專案可行性和潛在價值的可行性研究，包括概念驗證、文獻、市場潛力、競爭環境及實驗數據的蒐集等，到正式成案的基礎研究，皆依循內控辦法執行、製作會議記錄、必要時進行滾動式修正。

開發進程至一定階段時，需交付「專案審查會議」，審查委員根據專案的獨特性，輔以相當的實驗數據，以評估其競爭潛力及侵權風險，最終由高階管理層組成的「專案評估委員會」決定專案的走向。專案成立後，由專案主持人統籌專案進度，並就專案技術的新穎性、進步性及自由運營等重要議題，適時請內部專利律師進行評估或建議，以確保所開發的專案技術的價值。

除了新藥研發中心及智財部門，公司也設立醫學研究中心，規劃產品醫學策略與臨床試驗相關計畫，由臺中廠策畫製程及物料管理相關事宜，最後透過全球營運處負責訂定全球化的策略及全球性的市場發展企劃。

► 藥華醫藥藥物研發至行銷流程



創新研發

- 學術研究合作
- 藥物產品研發
- 產品專利檢索與分析



試驗發展

- 非臨床動物試驗
- 規劃與執行臨床試驗



生產製造

- 製程開發及可行性研究
- 執行生產及物料管理



全球行銷

- 制定全球業務營運策略
- 開發各國新藥市場

策略

► 創新研發重心 SASB HC-BP-000.B

2024年藥華醫藥的Ropeg之ET適應症臨床三期最後一位受試者完成試驗，預計2025年送件申請臺灣、美國、日本、韓國及中國等多國ET藥證，為MPN領域帶來更高的醫療價值，也進一步強化藥華醫藥在該領域之領先地位。

ET藥證申請及上市銷售前準備

- 依據臨床試驗報告完成時點，預估藥證申請及取得時程
- 實施GCP (Good Clinical Practice, 藥品優良臨床試驗規範) 模擬查核
- 制定藥物定價及進藥的策略及時程
- 進行ET在臺灣、美國、日本、韓國及中國等國家市場調查，瞭解目前藥物治療之情形

ET藥證帶來之效益

- PV適應症的醫師團隊歷年來在MPN領域已有多年相關市場部署經驗，故以相同的醫師團隊來推展ET適應症，藥華醫藥並不需要重新打造，甚至耗費過多行銷成本與準備，即可對全球進行佈局，僅僅需對病人的分佈位置進行調查，布局的廣度及深度即可達到事半功倍的效果
- 目前核准上市之ET適應症藥品極少且副作用高、病人順從性低，而此三期臨床試驗結果顯示Ropeg療效佳、副作用低、病人順從性高
- 增進醫療領域的學術發展及病患福祉，同時鞏固Ropeg在MPN領域的領導地位

除了MPN外，藥華醫藥也運用公司專利的PEGylation技術，研發出新藥PEG-IL-2用於治療發炎及免疫疾病，並規劃於2025年底申請臨床一期試驗。另外也透過外部合作，共同開發TCR-T細胞療法，預計於2025年底在臺灣收納一期臨床試驗病人。

以下為藥華醫藥各藥物2024年之研發進展：

► 研發產品線 SASB HC-BP-210a.1

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、臺灣、韓國、日本、 中國、馬來西亞、新加坡					
			香港、巴西、阿根廷、 墨西哥、哥倫比亞					
		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、臺灣、中國					
		慢性骨髓性白血病	韓國					
實體腫瘤	TCRT	實體腫瘤	美國、臺灣					
	P1101 + Anti PD-1	肝細胞癌	全球					
	Anti PD-1 (P1801)	實體腫瘤	全球					
	PEG-GCSF	嗜中性白血球減少症	全球					
	PEG-Cytokine X,Y	實體腫瘤	全球					
	Novel Checkpoint Abs	實體腫瘤	全球					

註：2025年研發產品線最新進展請詳官網 <https://hq.pharmaessentia.com/tw/pipeline>



► 美國創研中心PIRC

藥華醫藥於2023年創立美國創研中心(Pharmaessentia Innovation Research Center, PIRC)，與總部一同開發新穎研究領域，並期望結合AI(人工智慧)與ML(機器學習)，進一步擴大研發創新量能，加速新藥研發到上市階段的進程。2024年我們與Qiagen合作，運用大數據與人工智慧尋找Ropeg的新適應症，也已將成果彙整投稿至ASH(美國血液學會)年會，另外也與DeepSeq.AI合作使用人工智慧協助設計新一代的智慧細胞激素以用於癌症治療相關應用。而我們也持續建置人工智慧平臺與導入相關工具協助加速新藥的開發，並持續延攬具備藥品開發經驗的專業科學人才，結合AI與ML技術，使用於藥物初期開發、設計與效率優化。

► 智財布局，保護創新研發技術

藥華醫藥從早期專注於增產節約，藉由地毯式蒐集大量研發成果，結合醫藥專業專利律師團隊的全心挹注分析，逐漸能夠全面性地從專利層面直迎未來可能出現的生物相似藥(Biosimilars)。由於藥華醫藥核心產品百斯瑞明(BESREMI)在美國等國際醫藥品市場上市行銷，智財部門配合研發部門既有的研發成果，積極因應美國的生物相似藥專利舞蹈(Patent Dance)制度，進行更深入的技術研究思考。

除了核心產品生命週期的革新智財策略之外，內部專利律師也積極邀請資深研究團隊對先前龐大的研究成果進行「發明挖礦(Invention Mining)」，以激發資深研發人員發掘隱藏於技術細節中的專利機會，將研發人員先前未被注意的成果進行深度挖掘與再提煉，轉化為全新的專利，為技術創新賦予更大的價值，從而提升一個優良產品的價值與生命週期，例如，將Ropeg技術進行盤點、提煉、進一步測試，並在相同的Ropeg技術下，發掘更細部的相關專利技術與價值，以不斷申請新的專利，達到專利保護期不斷推延之目標的專利件數，其專利保護也得以長時間的延續，2024年藥華醫藥亦採用此技術挖掘的方式疊加申請研發部門的多項持續成果，以盡力達到核心產品生命週期最大化之目標。同時，我們對於創新醫藥技術的探索與保護也不遺餘力，針對數條尚處研發階段中的未來產品線，以美國專利臨時申請案的形式，確保萌芽中技術的保護，以之為根基，視研發進度來強化各未來產品線的專利布局。

風險管理

► 恪守動物福利的臨床前動物實驗

我們首先審視試驗單位是否符合公司所要求之標準，例如：是否具備GLP(優良實驗操作)、ISO 17025(實驗室品質管理系統)、AAALAC(國際實驗動物管理評鑑及認證協會)認證，接著進行線上或現場訪視/稽核，深入瞭解CRO(委託研究機構)與專業團隊的經驗、試驗時程配合度及市場價格合理性，亦偕同法務同仁審查合約與技術協議，於委託試驗期間進行試驗監督與數據審查，並於試驗結束後進行報告審查。藉由上述流程確保CRO符合法規要求，並確保動物試驗數據的可靠性與合規性。2024年共委託5家國內外優良合格機構進行臨床前動物實驗。

另外，現今醫藥產業多因測試實驗而大量捕獲鰲(Horseshoe Crab)致其有瀕臨絕種之危機。由眾多國際製藥業品牌成立的藥品供應鏈倡議(Pharmaceutical Supply Chain Initiative, PSCI)呼籲生技醫藥業及其供應商夥伴停止捕捉鰲，並找尋如微流體技術及重組試劑等創新替代方案，來降低對鰲試劑(Limulus Amebocyte Lysate, LAL)的依賴，如仍有使用LAL之需求，亦鼓勵倡議成員主動並深入瞭解原物料來源及其相關的動物福利與生物多樣性議題，同時與成員共享有關鰲的資訊可溯性、族群數量及保育狀況。

惟藥華醫藥僅適量採購LAL kit試劑套組裡的試劑(廠商萃取鰲血液後的物質)，用於測試藥物或醫療設備是否被內毒素污染，大幅保有鰲生物種的存活機率，防免其面臨絕種之困境，我們合作之供應商亦採取3Rs (Replacement代替、Reduction減少、Refinement改良)措施來進行鰲的保護，包括找尋代替鰲血液的內毒素測試試劑、利用微流體技術減少95%萃取自鰲的原料，以及積極改良現有LAL配方。藥華醫藥從未於試驗過程中使用其他瀕臨絕種動植物，以善盡保護瀕危動植物之責任。

► 臨床試驗品質維護及臨床試驗者的安全性

SASB HC-BP-210a.1

藥華醫藥針對臨床操作制定了約20項的標準作業程序以落實臨床試驗者的安全管理，並在各階段設置稽核與查核機制以維護試驗品質，依循核准的臨床試驗計畫書與當地國家法規要求，來執行第一、二及三期的臨床試驗。2024年沒有因為違反GCP而遭中止的臨床試驗。



第一期臨床試驗 安全性探索

試驗規劃

依照前臨床數據、藥品特性與臨床試驗設計，來評估執行試驗過程潛在的風險衝擊，並由CRO依據風險衝擊高低制定案件專屬的「監測計畫」與「稽核計畫」來執行QC(品質管制)及QA(品質保證)項目，確保臨床試驗進行過程及數據的相關記錄與報告皆遵守試驗計畫書與GCP等相關法規，以保護受試者權利及福祉。

品質保證(QA)

- 含獨立稽核制度，於後期臨床試驗委託另開CRO或獨立顧問執行稽核，確保臨床試驗品質穩定性，其發現的問題均經過適當的評估與追蹤，受稽核方必須擬定相關的矯正與預防措施(Corrective Action and Preventive Action, CAPA)予稽核方審核
- 藥物安全委員會(Data Safety Monitoring Committee, DSMC)：監控臨床試驗的病人安全、藥品療效

品質管制(QC)

執行監測
與協同監測

試驗前

第二期臨床試驗 初步療效研究及 劑量的探索

- 試驗計畫書與相關文件接受衛生主管機關和試驗中心之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：被完整告知且充分考慮後簽署確認自願參與臨床試驗，方能接受試驗篩選
- 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

第三期臨床試驗 大規模療效 確認性研究

- 臨床操作部門與承接監測業務的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

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

指標與目標

► 近五年研發成本

年度	2020	2021	2022	2023	2024
全球研發支出 (新臺幣仟元)	922,380	1,272,944	1,425,964	2,224,054	2,587,570
支出比前期增加額度 (新臺幣仟元)	282,805	350,564	153,020	798,090	363,516
支出比前期成長幅度	44%	38%	12%	56%	16%
全球研發人員(人)	74	83	123	142	165
人力比前期增長(人)	18	9	40	19	23
人力成長幅度	32.1%	12.2%	48.2%	15.4%	16.2%

持續增加研發成本，將可為藥華醫藥帶來四大項效益：

產品創新與技術突破

研發成本的增加不僅代表藥華醫藥投身於開發新產品及技術創新，也積極尋求市場上突破性的優勢，從而提升競爭力。

提升未來營收潛力

研發投入雖於短期內增加成本，卻是公司未來成長的根基。研發成功之新藥，將有助於拓展市場、增加營收，並帶來長期回報的投資效益。

擴大市場佔有率

藥華醫藥目前針對血液及癌症等特定領域之疾病進行深度研發，並持續致力於延長產品的專利保護期限，進一步保持領先市場地位，擴大目標市場佔有率。

提升公司品牌價值與合作機會

透過不斷投入突破性的新藥研發，提升品牌價值來吸引更多合作夥伴及投資者的支持，成為臺灣生技醫藥產業的領頭羊。

► 2024年藥物研發焦點

- 研發中的藥物數量：13個
- 進行細胞工程療法TCRT- ESO-A2-TW之IND申請
- 完成2項IND (PEG-GCSF和Anti PD-1)申請
- 執行5項(PEG-GCSF、Anti PD-1、TCRT-ESO-A2、HOPE PMF、ATL)新臨床試驗
- 取得中國、新加坡及馬來西亞PV適應症藥證
- 未來期待完成：

- ☆ 2025年進行PEG-IL-2 IND申請
- ☆ 1~2個外部技術平臺資產引進專案
- ☆ 1個以上至開發候選藥物階段專案
- ☆ 人工智慧(AI)和機器學習(ML)平臺的開發
- ☆ 1個以上至臨床前候選藥物開發階段專案

► 未來五年(2025~2030)發展重點

Ropeg營運持續增長

- 現有市場的患者使用人數持續增加
- ET適應症：預計2025年申請美國藥證，2026年取得藥證

Ropeg適應症拓展

- Early PMF全球第三期樞紐臨床試驗持續進行，預計於2027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

- 期望產能供應全球超過10萬名病患
- 因應市場需求，竹北廠於2023年開始興建，預計2025年底完工

頂尖研發平臺

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

資料來源：2025年2月法說會檔案及竹北廠相關消息