

業 務

概 覽

我們是一家處於臨床階段的基因治療公司，致力於為世界各地的患者提供安全、有效且可負擔的基因治療方案。我們的使命是推進基因療法以解決重大未滿足的臨床需求，特別是針對重大市場或目前無法治療的疾病，透過單次給藥提供持久的臨床療效。我們的管線包括多項重要候選藥物，特別是在眼科疾病領域，已獲臨床數據支持其將進入關鍵性臨床研究階段。我們也同時擴展至心血管及神經系統疾病適應症。我們經工程化改造的衣殼及經優化的載荷設計，在我們先進生產工藝的支持下，有助於降低免疫原性，並有望提供更佳安全性及持久治療效果。據我們所知，我們是全球少數及中國首家建立商業化規模的桿狀病毒／草地貪夜蛾 Sf9 昆蟲細胞（「**Bac/Sf9**」）系統生產 rAAV 基因治療藥物的生物科技公司，我們的生產優勢為未來的產品商業化提供了極具競爭力的成本優勢。

基因治療通過矯正導致疾病的基因缺陷或阻斷致病機制，有望徹底改變患者現有的治療方式。基因治療作為一種有效的治療方法，雖然相對較新但已在臨床獲得充分的驗證，全球已有十多種基因治療產品獲監管機構批准。基因治療行業正從罕見疾病轉向更普遍的重大市場適應症。同時，眼科疾病——由於局部給藥選擇、免疫豁免特性以及未滿足的臨床需求——已成為一個前景廣闊的領域。新生血管性老年性黃斑病變（「**nAMD**」）及糖尿病黃斑水腫（「**DME**」）等重大市場的眼科疾病為基因療法帶來巨大潛力。

自2019年成立以來，我們一直致力於自主開發重組腺相關病毒（「**rAAV**」）基因治療產品。針對眼科及心血管疾病，我們已經建立了具有差異化、臨床進展領先的研發管線。我們的核心產品——治療 XLRP、治療 nAMD 及 DME 的項目已經進入臨床開發後期階段，現有的臨床研究數據已展現出療效及／或安全性方面的明顯優勢，將為滿足全球患者未滿足的臨床需求提供極具價格優勢的解決方案。

我們是全球為數不多的、已經建立並擁有端到端一體化研發、生產、臨床營運體系的基因治療藥物研發公司之一，基於我們的科學洞察力與卓越執行力，實現管線的高效推進。我們的波士頓中心負責藥物發現及早期研究，我們上海中心牽頭新藥研究申請（「**IND**」）並賦能研究及臨床試驗，我們的蘇州中心則滿足我們的生產需求。我們匯集了生物醫藥領域在研究、轉化、臨床及生產技術等方面有深厚專業背景和行業經驗的專業技術人員，保證我們能夠精準選擇適應症、科學設計臨床研究計劃以及高效招募參與者。我們相信，中國更高效的臨床研發能力及生產成本優勢，將為我們的在研產品在全球的研發及潛在商業化帶來關鍵競爭優勢。

我們已建立 rAAV 基因治療研發平台（**EXACTE™**），以篩選具有更佳組織趨向性、高轉導效率、長期有效性及卓越安全性的候選藥物。**EXACTE™** 專注於基因治療研發的三個關鍵環節：衣殼工程、載荷工程及靶向組織篩選。我們對衣殼變體進行工程化改造使其具有更佳的轉導及組織趨向性，並優化桿狀病毒 rep/cap 載體設計以提高 rAAV 生產質量及衣殼效價。我們的載荷工程優化各候選藥物的基因載荷，以實現更高及更持續的治療蛋白水平、提高安全性並降低免疫相關副作用的風險。我們的靶向組織篩選平台整合了全面的體外及體內篩選系統，以在臨床前階段評估候選構建體的功效、安全性及毒性。

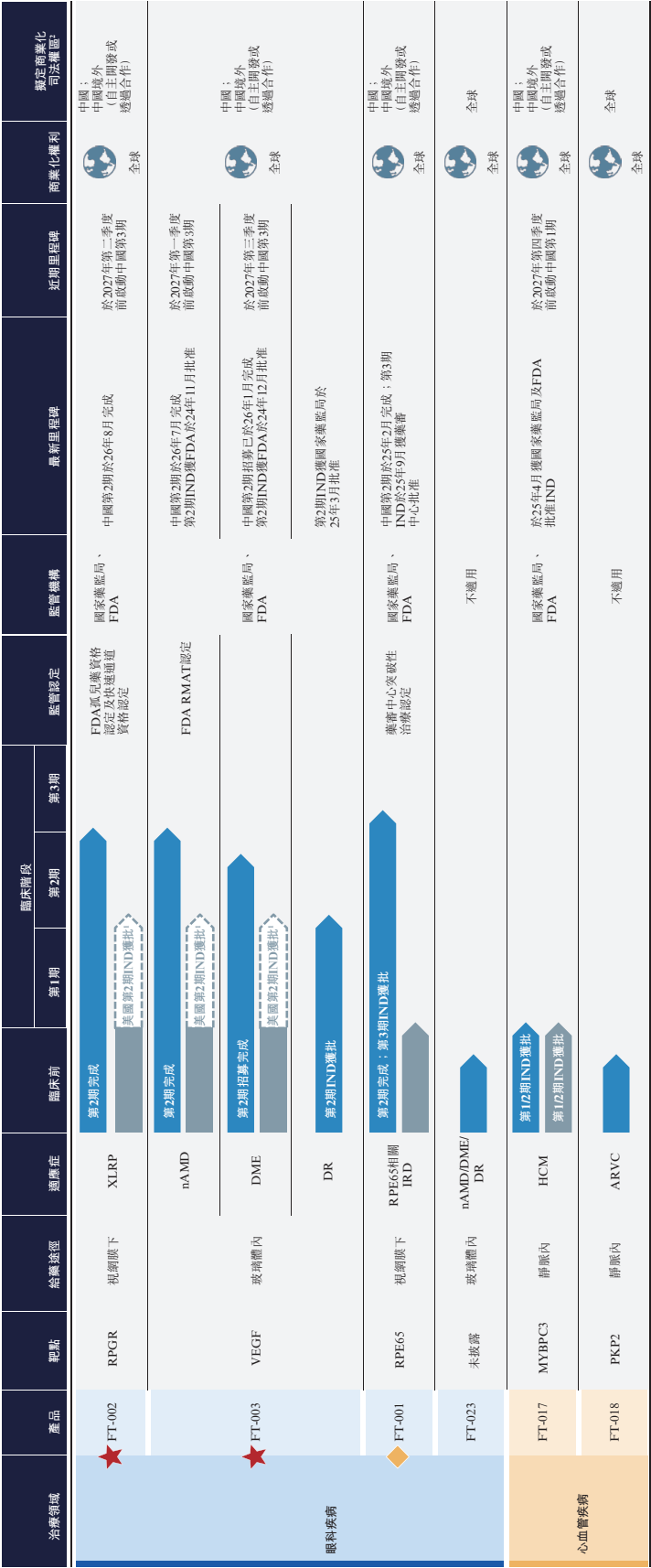
我們是中國唯一建立了基於 Bac/Sf9 表達體系、具有商業化規模生產能力的 rAAV 基因治療生物科技公司。我們的 **AAVANCE™** 生產平台能夠以低空殼率及高產品質量實現具成本效益、可規模化的基因治療產品生產。我們已實現低於 1% 的極低空殼率，顯著優於接近 30% 的行業常規水平。低空殼率是一個關鍵的里程碑，因為空衣殼會對安全性及有效性產生負面影響，在無助於臨床效率的情況下增加總體病毒載量。該等能力使我們能夠提供具革命性且可負擔的 rAAV 基因治療方案，並同時實現高效價、高效率與高安全性——基因治療產品成功的三項關鍵因素。

我們的管線

我們的管線目前包括兩款核心產品及一款關鍵產品，以及三款用於治療眼科及心血管疾病的臨床前及早期階段基因療法。我們已自主開發所有該等療法，並持有其全部全球知識產權。

業 務

下圖顯示我們開發中的基因治療藥物管線：



附註：

- * 各司法權區的主管部門：中國為國家藥品監督管理局(NMPA)，美國為美國食品藥品監督管理局(FDA)。
 - 1. 基於在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據，已獲得FDA的II期臨床試驗IND批准。
 - 2. 我們將考慮所有候選產品的全球權利。對於FT-002、FT-003、FT-001、FT-017，我們計劃在中國自行進行開發以備未來商業化。就海外市場而言，我們將考慮自行開發(確切時間表須視乎本公司資源分配、管理層對最新監管及市場狀況與競爭格局的判斷方可確定)或尋求當地合作夥伴進行開發及商業化。臨床前資產因處於早期開發階段，尚未指定特定司法權區。
- 縮寫：RPRGR=視網膜色素變性GTP調節因子；VEGF=血管內皮生長因子；RPE65=視網膜色素上皮特異性65 kDa蛋白；MYBPC3=心肌肌球蛋白結合蛋白C3；PKP2=斑菲素-2編碼基因；XLRP=X連鎖視網膜色素變性；nAMD=新生血管性老年性黃斑病變；DME=糖尿病黃斑水腫；DR=糖尿病視網膜病變；IRD=遺傳性視網膜疾病，包括萊伯先天性黑蒙2型(LCA2)、視網膜色素變性(RP)等；HCM=肥厚型心肌病；ARVC=致心律失常性右室心肌病；Ph=期；CDE=藥審中心

業務

優勢

我們相信以下優勢為我們提供了獨特的競爭優勢，並使我們有別於其他基因治療公司。

差異化的基因療法管線，在中國臨床進展方面處於領先地位

利用我們的EXACTE™及AAVANCE™技術平台，我們已建立具有差異化和競爭力的研發管線，並在中國臨床進展方面處於領先地位。憑藉穩健的臨床數據驗證我們的技術平台，我們已進一步將管線擴展至心血管及神經系統疾病適應症。我們有多項管線資產已展現出強大的競爭優勢，且我們持有所有候選藥物的全部全球權利。

我們擁有兩款核心產品及一款關鍵產品：

- 我們的核心產品FT-002是一款用於治療X連鎖視網膜色素變性(「XLRP」)患者的候選藥物。XLRP是一種最常見且最嚴重的遺傳性視網膜疾病(「IRD」)，患者通常在10歲前發病，視力進行性減退，至50歲前視力下降至法定失明狀態。目前全球尚無獲批准的XLRP治療方法。FT-002於2024年1月獲FDA孤兒藥資格認定，於2024年10月獲FDA快速通道資格認定。我們已完成在中國的FT-002的II期臨床試驗，並已獲得FDA批准在美國進行II期試驗。臨床研究結果顯示，FT-002已顯示出強大的初步療效及良好的安全性。在長達3年的隨訪期內，FT-002安全且耐受性良好。大多數治療期間出現的不良事件(「TEAE」)與手術操作或方案要求的類固醇藥物使用有關，並已通過標準診療得到有效管理。重要的是，經FT-002治療的患者在視力、視網膜功能及結構，以及與視力相關的生活質量方面都顯示出明顯且持續的改善。
- 我們的核心產品FT-003是一款玻璃體內注射的候選藥物，用於治療nAMD及DME。nAMD的特徵是脈絡膜新生血管形成，即視網膜中形成異常血管。DME是糖尿病患者的嚴重併發症，由於高血糖損害視網膜血管，導致液體或血液滲漏超出視網膜的吸收能力所致。nAMD和DME均可導致患者失明。流行病學數據顯示，2025年，中國有420萬名nAMD患者及780萬名DME患者，美國有160萬名nAMD患者及200萬名DME患者。目前nAMD及DME的標準治療為頻繁的玻璃體內注射抗VEGF生物製劑，治療方案繁瑣、患者治療過程不適，且長期治療費用高昂，多次頻繁注射亦帶來較高的副作用及併發症風險，這些因素導致患者依從性低，臨床長期預後差。FT-003有望通過一次性玻璃體注射治療nAMD和DME。我們已完成FT-003在中國的nAMD II期臨床試驗、啟動FT-003在中國的DME II期臨床試驗，並已就nAMD及DME兩者獲得FDA批准在美國進行II期試驗。FT-003就nAMD於2026年7月獲FDA授予再生醫學高級療法(RMAT)認定。迄今為止，FT-003在nAMD及DME的臨床試驗中已顯示出顯著的治療效果，且在所有測試劑量水平下均具有良好的安全性。接受FT-003治療的參與者顯示出視力及視網膜結構的顯著、持續改善，且在長達3年的隨訪中，未曾接受治療的參與者無需接受額外的抗VEGF治療。
- 我們的關鍵產品FT-001是一款用於治療與RPE65雙等位基因突變相關的IRD(RPE65相關IRD)的候選藥物，其為我們於臨床開發階段進度最領先的候選藥物，其穩健的臨床結果為我們的技術平台提供了早期驗證。RPE65相關IRD的臨床特徵是患者視力進行性且不可逆轉的下降，

業 務

最終導致失明。常規管理可能減緩但無法阻止疾病進展，而唯一獲批准的基因治療藥物價格昂貴且尚未在中國獲批。FT-001於2025年6月26日獲得國家藥監局藥審中心的突破性治療認定。我們已在中國完成FT-001的I/II期臨床試驗。我們的III期臨床試驗方案已於2025年9月獲國家藥監局藥審中心批准。FT-001整體安全且耐受性良好，無劑量限制性毒性（「DLT」），且大多數眼部不良事件均為輕度。早自第4週起，FT-001極大改善了功能性視力及視網膜敏感度，並在迄今近兩年的試驗後觀察中已證明持續有效。

我們的管線還包括一款針對眼科疾病及兩款針對心血管疾病的其他基因療法候選藥物。除FT-017外，其餘候選藥物仍處於臨床前研發階段。這些其他候選藥物包括如下：

- FT-023是一款處於臨床前研究階段的基因治療候選藥物，用於治療nAMD、DME及糖尿病視網膜病變（「DR」）。FT-023可作為除抗VEGF療法以外治療視網膜血管滲漏疾病的一種有效的療法，因其專注於一種生物靶點。當與抗VEGF通路結合時，FT-023可對nAMD及DME患者產生更明顯的療效，並有潛力治療對抗VEGF治療反應不佳的患者。
- FT-017是一款rAAV候選藥物，用於治療MYBPC3突變相關的肥厚型心肌病（「HCM」）。FT-017是中國首款進入臨床試驗的用於治療由MYBPC3基因突變引起的HCM的rAAV基因療法。
- FT-018是一款處於臨床前研究階段的基因治療候選藥物，用於治療由PKP2基因突變引起的致心律失常性右心室心肌病（「ARVC」）。FT-018是中國已披露的唯一一款用於治療PKP2基因突變所致ARVC的rAAV基因療法。

AAVANCE™，我們的Bac/Sf9生產平台，實現安全、可規模化及具成本效益的高質量生產

基因治療行業最大的兩項挑戰是產品的安全性及生產成本。我們相信我們的AAVANCE™生產平台將使我們能夠克服這兩項挑戰。我們已在中國建立符合現行GMP標準、基於Bac/Sf9細胞病毒培養系統的基因藥物生產體系，並是國內為數不多的具備此類能力的公司之一。如下表所示，與另一種常用的生產體系HEK293相比，Bac/Sf9生產體系在生產成本、批次間一致性、空殼率、可規模化及產量方面具有顯著優勢。我們能夠實現低於1%的空殼率，最大限度減少工藝相關雜質，以顯著提升產品安全性。空衣殼被視為rAAV基因治療中的關鍵雜質，因為其存在會增加衣殼總給藥量，並可能增加免疫反應的風險。我們已經建立了六個項目的生產工藝，其產品質量符合美國及中國臨床試驗產品質量要求。

類別	Bac/Sf9	HEK293	說明
生產成本	相對較低	相對較高	Bac/Sf9生產系統生產的rAAV成本通常較低，原因在於培養基成本較低及基於感染的高效生產。HEK293生產成本更高，原因在於需要大量高品質質粒、昂貴的轉染試劑及要求更高的哺乳動物細胞培養過程。

業 務

類別	Bac/Sf9	HEK293	說明
批次間一致性	高	中等	批次間一致性是Bac/Sf9平台產品的一大關鍵優勢。一旦建立桿狀病毒主庫，在一致的感染複數條件下進行生產，可使批次間的差異性降至最低。相比之下，依賴瞬時轉染的HEK293系統，由於每次生產運行的轉染效率和質粒質量存在內在差異，表現出更大的批次間差異。
空殼率	相對較低	相對較高	Bac/Sf9系統生產的rAAV，通常空殼率較低。HEK293平台生產的rAAV實心／空殼比率為70.8%，而Bac/Sf9系統的rAAV實心／空殼比率為93.2%，表明Bac/Sf9系統生產的rAAV空殼率明顯更低。 ⁽¹⁾
可規模化	高(100-2000+公升)	中等；受轉染限制	Bac/Sf9系統具有高度可規模化特性，昆蟲細胞可在大型攪拌罐式生物反應器中輕鬆擴增，體積可達2,000公升，使其非常適合大規模GMP生產。相比之下，HEK293系統的規模擴展受到質粒轉染效率及成本的限制。
產量	高且可規模化	中等	Bac/Sf9系統通常能實現高產量，得益於高效的感染和良好的可規模化特性。HEK293的產量為中等，且對轉染效率和質粒質量更為敏感。在上文討論的同一項頭對頭研究中，來自Bac/Sf9細胞的rAAV產量比來自HEK293細胞的rAAV高出約40倍。 ⁽¹⁾ 此外，公開研究報告指出，在經優化的實驗條件下，Bac/Sf9系統或可達致每細胞約 7×10^4 個純化rAAV顆粒的生產力水平。
感染性	相對較高	相對較低	Bac/Sf9系統通常實現更高的感染性。來自Bac/Sf9系統的rAAV的組織培養感染劑量／病毒基因組高於來自HEK293平台的rAAV，表明其感染性更佳。 ⁽¹⁾

附註：

- (1) 關於使用大規模懸浮培養的Bac/Sf9系統及HEK293平台製造的rAAV載體的系統性比較，乃源於一項頭對頭研究。在該研究中，AAV2.N54-Aflibercept載體乃根據匹配的上游／下游方案，在Bac/Sf9系統及HEK293平台中以2升及50升的規模生產，其後對產量、衣殼含量及感染性進行相同的分析。

資料來源：文獻綜述(使用大規模懸浮培養的Sf9及HEK293細胞製造的rAAV載體的系統性比較)、弗若斯特沙利文報告

我們的AAVANCE™生產平台能夠大規模生產高質量的rAAV基因產品，具有卓越的效率及成本優勢。AAVANCE™擁有行業領先、符合GMP標準的500公升產能。目前，實驗室規模的rAAV生產通常實現每升介乎 10^{12} – 10^{14} 載體基因組(「vg」)的產率；相比之下，我們的生物反應器實現了超過 10^{15} vg/L的上游生產產率，根據弗若斯特沙利文的資料，這使我們躋身該方面的行業領先者之列。我們的高產量、高純度生產亦促進了工藝穩定性，使我們能夠達到50%的下游純化收率。我們擁有充足的產能支持臨床開發及初步商業化需求，且與其他常用方法相比，基

業 務

於Bac/Sf9的生產更易實現且擴展所需的培養基及基礎設施成本更低，這有助於在需要時進行進一步擴充。我們的rAAV藥品採用先進的無菌製備隔離器灌裝系統生產，我們亦已建立一個穩健、全面整合且具備內部檢測能力的質量控制及保證體系，確保我們保持高水平的產品質量及一致性。藉助上述優勢，我們能夠顯著降低基因治療藥物的開發成本，從而支持更低的定價及更高的可及性。據我們估計，與FT-001目標疾病在美國及歐洲唯一獲批的基因治療方案相比，我們能夠使FT-001的每批次總成本降低多達90%。綜合上述因素，我們得以加快開發速度、降低製造成本及減少患者治療成本，從而在臨床及商業環境中提供可持續的競爭優勢。

充分利用我們在中國和美國佈局的優勢，具備強大的轉化醫學及臨床營運能力

我們擁有全方位的轉化醫學能力，將基礎科學研究與臨床開發銜接起來。我們已組建一支專注的臨床科學專家團隊，由李新燕博士帶領，負責監督臨床試驗策略，以科學證據支持臨床試驗，並提供臨床試驗結果的醫學解讀。這些能力使我們能夠迅速將科學發現推進至臨床開發階段。

我們利用美國及中國作為全球生物技術研究中心的優勢，同時保持統一的全球研發策略，並利用中國臨床試驗更高的效率及成本效益。我們的波士頓中心負責藥物發現及早期研究，包括衣殼篩選及病毒載體構建與優化。我們的上海中心處理轉化醫學及臨床試驗，包括支持IND的研究、IND申請及臨床試驗本身。我們的蘇州中心滿足我們非臨床及臨床試驗的生產需求，同時為商業化規模生產作準備。

我們的臨床營運能力將早期創新及臨床前研究推進至臨床試驗，延誤極少。我們利用與領先醫院及研究機構建立的關係，得以實現高效的中心啟動及方案部署。此基礎設施支持更快的受試者招募及更高的數據通量，這對加快開發時間至關重要。我們僅需11個月便將一款候選藥物從概念階段推進至IND獲批。自公司成立以來，我們已成功將三款候選藥物推進至II期臨床試驗。

EXACTE™，我們的rAAV基因治療研發平台，支持受全球知識產權保護的產品開發

我們的研發平台EXACTE™是一個一體化系統，旨在提升治療性基因遞送的準確性、效率及安全性。該平台通過精準工程與靶向遞送技術，加速基因療法的開發進程。在整合型體外與體內篩選系統的支持下，EXACTE™能篩選出具備最佳組織趨向性、高轉導效率、持久表達特性及卓越安全性，同時兼具競爭力成本結構的候選藥物。

EXACTE™專注於基因治療研發的三個關鍵方面：

- **衣殼工程：**利用我們的rAAV衣殼改造技術，我們能夠改良rAAV衣殼的趨向性以準確靶向特定組織及細胞類型，最大限度地減少脫靶效應並改善治療結果，同時提升與我們Bac/Sf9生產系統的兼容性，以實現增強的載體效價及生產質量。
- **載荷工程：**我們採用科學的策略優化目的基因序列，包括密碼子優化

業 務

以增強目的基因表達，以及優化增強子、啟動子及內含子等調控元件以提升目的基因的轉錄及翻譯效率。

- **候選藥物篩選：**我們已建立一個穩健的體內外篩選系統，包括特異的檢測方法以評估載體性能及轉基因表達、體內及體外模型評估初步有效性，以及用於降低候選藥物選擇風險的全面毒性評估。

在研究、轉化、臨床及生產學科方面擁有深厚的基因治療專業知識

我們的管理團隊由領導者組成，他們在細胞及基因治療領域擁有豐富的行業經驗及強大的科學專業知識，包括營運一家臨床階段基因治療企業所需的研究、轉化、臨床及生產等方面。我們相信，我們管理團隊經驗的廣度、深度及多樣性是我們公司的核心優勢。

我們的首席執行官及首席醫學官**李新燕博士**在創新藥物開發(包括細胞及基因治療)方面擁有超過25年的經驗積累。在其職業生涯中，李博士已將多種療法從臨床前階段推進至臨床階段，並重點關注生物製劑及細胞療法。她的領導對於在中國及美國獲得監管批准至關重要。李博士曾從事內科執業五年，並在醫學院任教及進行科學研究十年，包括於法國蒙彼利埃大學醫學院擔任訪問學者，從事基因及細胞治療的研究。彼亦曾擔任多個國家研究項目的首席研究員。

我們的高級副總裁兼研發負責人**施中東博士**帶來了細胞及基因治療研發領域逾十年的創新及領導經驗。施博士的工作促成了中美兩國超過10項IND獲批，他已發表30多篇論文並持有10多項專利。施博士是iCRISPR平台的共同開發者，並利用多能幹細胞研究了人類發育疾病，於開發基因治療、幹細胞治療以及CAR-T及iPSC-NK療法方面擁有廣泛的專業知識。

此外，我們已建立一支全面、高效且服務長久的內部團隊，經驗涵蓋研發週期的所有關鍵階段。我們的生產製造負責人**楊鵬**在生物科技領域擁有16年經驗，主要從事工藝開發；他負責監督我們的化學、製造及控制(「**CMC**」)，包括工藝開發、轉移及放大、臨床樣品生產、註冊申請及項目管理。我們的轉化醫學高級總監**超博士**自完成博士學位後在生物科技領域擁有12年經驗，涉及多個領域，包括臨床前管線項目管理、研究、臨床前藥理學、藥代動力學及安全性評估；她負責我們的轉化醫學運作，包括非臨床療效及毒理學、臨床藥理學及臨床生物樣本分析。我們的臨床營運高級總監**薛明慧**在生物科技領域擁有15年經驗，專注於臨床試驗管理；他負責臨床研究項目管理。我們的質量控制高級總監**李愛群博士**在領先的生物技術公司及研究機構擁有15年經驗。

策略

加速我們中後期眼科藥物管線的臨床開發

我們計劃繼續推進FT-002及FT-003的臨床開發，並儘快尋求商業化批准。

我們已在中國完成FT-002的II期臨床試驗。我們預期於2027年第二季度前啟動III期臨床。利用其孤兒藥資格認定及快速通道資格認定地位，我們亦將繼續在美國尋求FT-002的開發及批准。FDA已批准FT-002在美國進行II期臨床試驗。

業 務

我們正在推進FT-003用於nAMD及DME適應症。我們已在中國完成nAMD的II期臨床試驗，並預計於2027年第一季度或之前啟動III期的開發。我們亦已在中國完成DME的II期參與者招募，並預計於2027年第三季度或之前啟動III期。此外，我們正在考慮就FT-003及其他管線產品的海外試驗尋求合作夥伴。FDA已批准FT-003在美國進行nAMD及DME的II期臨床試驗。

繼續增強我們的CMC及生產能力以支持最終的商業化

鑑於FT-002及FT-003在臨床開發方面的進展，我們將進一步優化我們的生產工藝，驗證我們的測試方法，並進行工藝驗證以準備商業化生產。我們將繼續增強我們的AAVANCE™工藝自動化技術，以保持高純度並降低每劑製造成本，並可能考慮將我們的AAVANCE™生產技術對外授權予合作夥伴，作為額外的收入來源。我們將在設備、系統或人員方面按需升級我們的設施，以確保符合不斷變化的法規要求和質量標準，並在獲得市場批准前通過監管機構的程序性現場檢查。我們亦將繼續加強我們穩健的質量控制體系，以跨國製藥公司採用的最高國際標準為基準，實現患者安全及監管合規。

繼續強化我們的EXACTE™開發平台，以擴大對其他醫療服務不足適應症的覆蓋，並充分實現我們技術平台的臨床及商業價值

我們計劃在多個方面進一步加強我們EXACTE™平台的能力，包括衣殼設計、載荷優化及先導候選藥物篩選。我們將進一步開發用於玻璃體內注射及更佳心血管疾病靶向性的衣殼，同時脫靶其他組織，以及進一步工程改造重組桿狀病毒基因組以提升我們的重組桿狀病毒基因組穩定性。我們計劃利用我們的EXACTE™平台進一步推進我們管線中針對眼科及心血管疾病的臨床前及早期資產。此外，我們旨在利用我們的基因治療專有技術擴展至其他治療領域及適應症，以擴大我們的目標市場並造福更多患者群體。

針對不同適應症實施定制化的商業化方法，以充分實現商業及臨床裨益

我們計劃在中國採取靈活的商業化策略，結合內部銷售團隊與專業合作夥伴，以實現最佳的市場滲透。對於針對罕見疾病的產品，我們旨在建立一支內部銷售團隊，並充分利用與第三方的合作。我們亦會考慮如何藉助利好政策(例如在中國部分行業試驗區內，於該等試驗區內若干療法可在國家藥監局批准前獲准使用)。對於針對重大市場疾病的產品，特別是在海外市場，我們預計尋求擁有當地知識及人脈的商業化合作夥伴，以接觸更大的患者群體。

繼續透過合作及夥伴關係尋求海外臨床開發及商業化，以執行我們的全球策略

我們計劃在臨床開發及商業化堅持我們的全球營運策略，以接觸更大的潛市場，並以我們的解決方案方面造福全球患者。在商業化方面，我們將尋求探索戰略合作夥伴關係，以實現迅速進入海外市場。這些努力可能包括對外授權協議，允許全球生物製藥合作夥伴對我們的管線資產進行臨床研究，並在海外司法

業 務

管轄區商業化獲批准的產品，以擴大我們的潛在市場。我們亦將評估與全球製藥公司合作的機會，以利用我們的平台並擴展我們面向全球市場的產品組合。

培養及留住人才，將人力資本轉化為持續創新及股東價值創造的催化劑

在未來幾年，我們打算擴大我們在研發、臨床科學、醫學及監管職能方面的現有團隊。我們將繼續吸引及留住具全球競爭力的人才，同時植入系統化的培訓、績效評估及領導力發展計劃。隨著我們的臨床候選藥物邁向批准，我們亦打算建立一支內部銷售團隊，以支持市場推出後的商業化需求。

管線概覽

截至最後實際可行日期，我們的產品管線包括六款自主開發的rAAV基因治療候選藥物，包括(i)兩款核心產品，即FT-002（一款正在研究用於治療XLRP的候選藥物）及FT-003（一款候選藥物，正在研究用於透過玻璃體內注射治療nAMD及DME）；(ii)一款關鍵產品，即FT-001（一款用於治療RPE65基因雙等位基因突變導致的IRD的基因治療候選藥物）；及(iii)三款其他處於臨床前及早期研究階段的基因治療候選藥物，用於治療眼科及心血管疾病。

下圖顯示我們開發中的基因治療藥物管線：



管線策略

我們的管線策略旨在開發有效、安全及可負擔的rAAV基因治療藥物，滿足高發及目前無法治療的疾病患者的未被滿足的治療需求。與專注於遺傳性或罕見疾病的傳統基因治療公司不同，我們致力於為重大市場適應症開發候選藥物。就遺傳性疾病而言，我們的重點是針對目前缺乏有效療法的疾病。

- 策略性地專注於高發及目前無法治療的疾病：眼科疾病—由於其局部給藥、免疫豁免以及未被滿足的醫療需求—已成為基因治療的最有應用前景的廣闊領域。我們正針對導致視力喪失的合共影響全球數百萬人的難治性病nAMD及DME研發基因療法，該療法具備巨大的市場潛力。就遺傳性疾病而言，我們正在推進一項針對XLRP的療法，XLRP是導致中年失明的主要原因之一，目前尚無可用療法。基於我

業 務

們在眼科疾病領域的經驗，我們也同時擴展至心血管疾病，比如開發針對HCM及ARVC等疾病的基因治療產品，所有該等疾病均存在重大未滿足需求及市場潛力巨大。

- **方法：**我們旨在以可負擔的成本開發具有安全性、療效及患者便利性的基因療法。我們在AAV衣殼選擇及載荷設計方面的創新強調安全性及有效性。FT-003（我們用於nAMD及DME的核心產品）提供一次性玻璃體內注射的便利，並顯示出視力及視網膜結構的持續改善，且與現有標準護理抗VEGF療法相比，三年內的治療負擔顯著減輕。截至最近的數據截止日期，FT-002（我們用於XLRP的核心產品）在兩年內已證明在視覺功能、視網膜結構及視覺相關生活質素方面有持續改善。FT-002已獲FDA授予孤兒藥資格認定及快速通道資格認定，而FT-003已獲FDA授予再生醫學先進療法認定。
- **致力於提供患者可負擔的rAAV基因療法：**我們致力於透過具競爭力的生產成本及可負擔的定價，改善基因療法的可及性。據我們所知，我們是全球少數及中國首家建立商業化規模基於Bac/Sf9系統生產rAAV的專業基因治療生物科技公司，這為未來的商業化提供了具意義的成本優勢。例如，據我們估計，與FT-001靶向同一疾病的且唯一在美國及歐洲獲批的基因治療藥物相比，FT-001的直接生產成本降低多達90%。此項顯著的成本優勢使我們能夠提供患者更可負擔的基因療法並擴大市場可及性。
- **優質的產品質量及安全性：**我們的EXACTE™研發平台整合了載體設計以及先進的體外及體內篩選，以構建具有最佳組織趨向性、高轉導效率及持久表達的候選藥物。同時，我們的AAVANCE™生產平台實現行業領先的產率，其上游產率超過 10^{15} vg/L，而實驗室規模的rAAV生產產率通常在 10^{12} – 10^{14} vg/L的範圍內。此外，相較於行業常規水平接近30%的空殼率，我們的系統能夠實現小於1%的極低空殼率。
- **卓越營運及全球可及性：**我們在中國和美國的佈局使得我們能夠更高效地推動臨床試驗，不論是在適應症的選擇，臨床試驗設計還是招募患者，海內外佈局讓我們更有針對化，從而提升了整體效率。我們僅需11個月便將一款候選藥物從先導物識別推進至IND獲批，展示了我們高效的執行能力及跨區域協作能力。根據弗若斯特沙利文的資料，我們是首家使用Bac/Sf9系統，基於在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據就一項II期臨床試驗獲得FDA的IND批准的中國rAAV基因治療公司。我們擁有全部管線的全球權利，使我們能夠尋求直接商業化或戰略合作夥伴關係，以最大限度地發揮全球市場潛力。

由於基因療法存在各種特定風險，涉及基因療法的不可逆性質、非預期副作用及延遲不良事件的風險，我們嚴肅對待我們候選產品的安全性，並嚴格遵守有關基因療法臨床開發的適用監管規定。誠如下文進一步所討論，根據最新可得的臨床數據，我們的核心產品及主要產品已表現出良好的安全性及耐受性狀況，且我們進行長達五年的長期隨訪，以監測我們候選藥物的長期安全性概況。

截至最後實際可行日期，我們候選藥物的五年長期隨訪期並無亦預期不會影響其開發、註冊或商業化。根據我們目前的開發計劃及已披露的項目時間表，該等長期隨訪正與我們的日常研發活動並行進行，且並非推進至下一開發階段的先決條件。就AAV基因療法產品而言，規定的五年長期隨訪包括給藥後為期一年的臨床試驗觀察期及額外四年的隨訪。根據國家藥監局藥審中心依據2021年第

業 務

50號公告頒佈的《基因治療產品長期隨訪臨床研究技術指導原則(試行)》，其中預計接受基因療法產品的受試者於取得上市批准時可能尚未完成整個長期隨訪期，且可於獲批後進行持續的長期安全性監測，可在完成為期一年的臨床試驗觀察期後，依據該期間產生的有效性及安全性數據提交BLA。此亦與在中國及海外司法權區觀察到的若干基因療法產品的批准路徑一致。因此，其後的長期隨訪期不會亦預期不會影響我們候選藥物的監管審查或商業化過程。

我們的候選藥物

FT-002，一種用於治療XLRP的rAAV基因療法，為我們的核心產品

概覽

FT-002是一款基因治療候選藥物，亦是目前中國唯一正在開發的用於治療XLRP的臨床階段rAAV基因療法。XLRP是最嚴重的IRD形式之一，主要由RPGR基因突變引起。該疾病的特徵是漸進性及不可逆的視力喪失，通常在10歲前發病，並在50歲前惡化至法定失明。目前全球尚無獲批准的XLRP治療方法。

我們已於2024年8月完成在中國的I期臨床試驗，並於2026年8月完成在中國的II期臨床試驗。在美國，FT-002於2024年1月獲授予孤兒藥資格認定，於2024年9月獲批准進行II期臨床試驗，於2024年10月獲授予快速通道資格認定。

藥物設計及作用機制

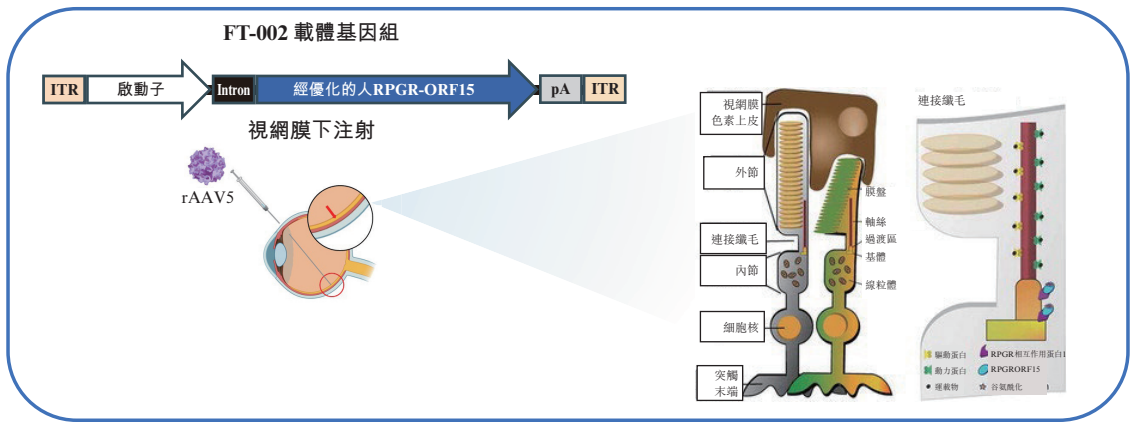
視網膜色素變性GTP酶調節因子(「RPGR」)基因編碼RPGR蛋白，該蛋白在光感受器細胞(視網膜中負責捕捉光線及啟動視覺的特化細胞)的連接纖毛內蛋白質的運輸中起關鍵作用。連接纖毛充當光感受器內外段之間的橋樑，促進光感受器細胞存活及功能所需的基本蛋白質及物質的移動。RPGR基因的突變(尤其是在ORF15區域)會破壞此運輸過程，導致關鍵視覺蛋白的錯誤定位、光感受器細胞變性及漸進性視力喪失。

FT-002旨在透過遞送RPGR-ORF15基因的功能性拷貝，產生功能性RPGR蛋白，彌補因RPGR突變而導致的光感受細胞功能及／或結構損失，進而糾正XLRP患者視網膜變性及視力喪失的細胞運輸缺陷。該方法代表了一種治療目前無法治癒的致盲性遺傳病的有前景的策略。具體而言，FT-002利用重組腺相關病毒5型(「rAAV5」)作為遞送載體。該載體經改造以攜帶經密碼子優化的全長人RPGR-ORF15基因。密碼子優化目的是提高目的基因在人體細胞中表達的效率及穩定性，確保治療蛋白的產生達到足夠水平。

FT-002透過單次視網膜下注射給藥，這是一種直接在視網膜下的靶向遞送。該方法使rAAV5載體能夠有效轉導入光感受器細胞。一旦進入細胞，該載體會將全長RPGR-ORF15基因遞送至細胞核，並在此轉錄及轉譯成RPGR蛋白。新產生的RPGR蛋白可恢復光感受器細胞中連接纖毛的正常功能。具體而言，其可重建光感受器內外段之間蛋白質及其他分子的正常運輸。這有助於維持該等細胞的結構完整性及功能，防止進一步變性，並可能改善或穩定視覺功能。

業 務

下圖說明FT-002的作用機制：



附註：ITR = 反向末端重複序列；pA = 多腺苷酸化信號。
資料來源：文獻綜述

市場機遇與競爭

IRD是一組由基因突變引起的漸進性、不可逆的視網膜退行性疾病。根據弗若斯特沙利文的資料，IRD合共影響全球500萬至1,000萬名患者。視網膜色素變性(「RP」)是最常見的IRD，全球有超過150萬名患者。RP可以常染色體隱性、常染色體顯性或X連鎖模式遺傳(XLRP)，其中XLRP是IRD最嚴重及最普遍的亞型之一，約佔所有RP病例的5%至15%，是導致中年失明的主要原因。

XLRP通常發病早、進展快，到中年時會導致嚴重視力喪失或失明。症狀在10歲左右出現，導致視野變窄及早期夜盲症，及通常在50歲前惡化至法定失明。2025年，中國有62,300名XLRP患者，美國有15,300名XLRP患者。

傳統管理僅限於調整生活方式及營養支持，但並不能阻止或逆轉疾病進展。迄今為止，尚無獲批的XLRP療法，因此存在巨大的未滿足醫療需求及極具吸引力的市場機遇。

FT-002是目前中國唯一處於臨床階段的XLRP基因治療產品，亦是全球臨床開發進展最領先的產品之一。FT-002已獲FDA授予孤兒藥資格認定及快速通道認定，凸顯其全球創新及臨床價值。我們相信FT-002具備有利條件，可在中國及國際上佔據重要市場份額。隨著基因診斷及患者識別的改善，潛在市場預計將進一步擴大。FT-002的潛在成功將標誌著XLRP及更廣泛IRD領域基因治療的里程碑。

截至最後實際可行日期，全球有三款rAAV基因治療候選藥物正在進行用於治療XLRP的臨床開發，FT-002及laru-zova。根據弗若斯特沙利文的資料，下表表格顯示截至最後實際可行日期FT-002的全球競爭格局：

藥物名稱	公司	靶點	載體類型	臨床階段	首次發佈日期	國家	生產系統
Botarectigene sparaparvovec ¹	MeiraGTx	RPGR	AAV5	III期	2020-12-17	美國、英國、西班牙等	HEK293
Laruparetigene zosaparvovec (laru-zova, AGTC-501)	Beacon Therapeutics	RPGR	AAV2	II/III期	2021-04-20	英國、美國、澳大利亞	HSV/BHK ²
FT-002	Frontera Therapeutics	RPGR	AAV	II期	2024-10-15 ³	中國	Bac/Sf9
				II期 IND獲批	2024-09-23	美國	

業 務

附註：

- (1) Botaretigene sparoparvovec最初於2019年授權予J&J，並於2023年以高達4.15億美元的價格出售予J&J；在其III期試驗未達到主要終點後，MeiraGTx於2026年以2,500萬美元的價格重新收購該藥物。截至最後實際可行日期，MeiraGTx計劃於2026年在美國、歐盟、英國及日本進行監管備案，目標於2027年推出。
- (2) 截至最後實際可行日期，在rAAV基因療法領域，HSV/BHK系統尚未在全球獲任何藥物批准驗證。
- (3) FT-002已完成I期及II期臨床試驗。本文所披露的首個刊發日期，指II期試驗首位受試者簽署知情同意書之日。

資料來源：Clinicaltrial.gov、藥審中心、弗若斯特沙利文分析

主要優勢

FT-002將是XLRP治療領域的一項重大進展。作為中國首個及唯一處於臨床階段的XLRP rAAV基因療法，且為全球臨床開發進展最領先的療法之一，FT-002具備應對此種目前無法治療的嚴重遺傳性疾病的有利條件。

- **中國唯一用於治療XLRP的臨床階段rAAV基因療法。**FT-002為中國首個及唯一一個用於治療XLRP的臨床階段rAAV基因治療產品，亦是全球臨床開發進展最領先的產品之一。其已獲FDA授予孤兒藥資格認定及快速通道資格認定，凸顯其全球創新及臨床價值。倘獲批准，FT-002將可滿足XLRP患者的重大未滿足醫療需求，該等患者目前尚無獲批的療法。
- **兼顧療效及安全性的藥物設計。**FT-002經改造以遞送全長、經密碼子優化的人類RPGR-ORF15基因，該基因對恢復XLRP患者的光感受器細胞功能至關重要。使用經密碼子優化的序列可確保高效穩定的基因表達，最大限度地產生功能性RPGR蛋白，並支持視覺功能的長期恢復。該基因被包裝在AAV5衣殼內，因其對光感受器細胞有強烈的趨向性而被選中，從而能夠高效、靶向地將基因遞送至視網膜。基因表達盒包含精選的啟動子、內含子及多聚腺苷酸化元件，以驅動穩健及持續的轉基因表達。還包括CpG基序優化以盡量降低免疫原性，從而提高該療法的整體安全性概況。視網膜下給藥可進一步確保治療基因到達適當的視網膜層以達到最佳效果，並避免脫靶毒性。
- **已證實的臨床療效及長期益處。**總體而言，來自我們的研究者發起的試驗、I/II期臨床試驗的臨床數據一致表明，FT-002為兒童及成年XLRP參與者帶來了具臨床意義且持續的視力、視網膜敏感度及生活品質改善，並具有良好的安全性。該等結果凸顯了FT-002為XLRP患者帶來長期臨床益處的潛力。
 - 在I期臨床試驗中，FT-002高劑量組的成年參與者在一年內最佳矯正視力(「BCVA」)及視網膜敏感度均取得有意義的提高。根據視力相關的生活質量標準化問卷評估，該等改善伴隨著參與者報告的生活品質的積極變化。影像學評估顯示視網膜結構的保存或恢復，表明疾病進展有所減緩，進一步支持了該等發現。
 - 在II期臨床試驗中，在長達12個月的最長隨訪期內，所有兒童參與者的低亮度視力(「LLVA」)及微視野測量均表現出顯著改善，表明兒童參與者的視力及視網膜功能有所增強。
- **良好的安全性及具吸引力的成本效益。**臨床前及臨床研究已證明，與全球唯一其他處於臨床開發階段的XLRP基因療法候選藥物相比，FT-002的安全性及耐受性概況具可比性，且未觀察到DLT或與FT-002相關的嚴重不良事件。我們使用Bac/Sf9系統生產FT-002，該系統可實現低空殼率，並極具競爭力地降低生產成本，從而支持更廣泛的患者可及性及商業可行性。

業 務

- **高成功率及全球商業潛力。**憑藉其設計、穩健的臨床前及臨床數據，FT-002具備在中國及國際上早期商業化的有利條件。該療法的安全性及功效，結合其具成本效益的生產，支持其佔據重大市場份額並為全球XLRP患者帶來裨益的潛力。

臨床試驗數據概要

研究者發起的試驗

我們分別與北京協和醫院的隋瑞芳教授及復旦大學附屬眼耳鼻喉科醫院的徐格致教授合作，就FT-002進行研究者發起試驗。我們與該等醫院合作，乃因彼等擁有適用的臨床研究資格、業內領先專家及龐大的患者庫。

根據我們的合作協議條款，我們負責供應所需藥物及承擔與研究者發起試驗相關的所有開支，該等開支由我們的營運資金撥付。於往績記錄期間，我們已就該試驗產生專業服務開支合共0.4百萬美元，並預期將產生額外0.2百萬美元。研究者主要負責設計試驗方案及其執行。我們的合作協議中並無明確的保密條文。

我們有五項有關FT-002的專利申請，包括其中一項在美國的專利申請已於2026年5月接獲授權通知，該等申請涵蓋FT-002的所有已知主要特點及／或特徵，且並無接獲相關主管機關就該等申請提出的任何重大疑慮或查詢。研究者並未提交任何有關FT-002的專利申請，並已書面確認彼等不會提交任何有關FT-002的專利申請。根據我們的知識產權顧問的意見，我們認為(i)由於我們在研究者發起試驗開始前超過18個月已以完整形式提交FT-002的物質組合物專利，且FT-002在研究者發起試驗期間並無被修改，故研究者發起試驗(及研究者參與其中)應不會影響我們的FT-002專利；及(ii)即使研究者違反其書面確認而提交有關FT-002的專利申請，該申請亦將被專利局駁回，原因為本公司已就FT-002展開臨床試驗，而有關試驗已在公共領域發表。我們並無依賴研究者發起試驗的結果以自國家藥監局獲取FT-002的IND批准，乃因該研究者發起試驗於2024年11月結束，而我們(作為獨家申辦方)已於2023年8月提交FT-002的IND申請並於2023年11月獲批。我們獨家擁有所有由我們提交的有關FT-002的專利申請，且並無向第三方授出該等待決專利的許可。我們認為，概無有關FT-002的有效第三方專利可對我們強制執行。因此，我們相信我們擁有對FT-002進行研發及商業化的全部及獨立權利。

試驗設計。FT-002的研究者發起的試驗乃一項開放標籤、劑量遞增試驗，對象為18至45歲患有RPGR突變相關XLRP的成年男性。合共招募了18名參與者，並被平均分配。設立了三個劑量隊列，包括(i)低劑量組： 5×10^{10} vg／眼；(ii)中劑量組： 1.0×10^{11} vg／眼；及(iii)高劑量組： 2.0×10^{11} vg／眼。

試驗目標。主要目標為評估XLRP參與者在接受單次FT-002視網膜下注射後的安全性、耐受性及療效。

試驗狀態。該IIT研究於2023年2月啟動，於2024年11月完成其52週隨訪。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

業 務

安全性及療效數據。在長達三年的隨訪期內，未觀察到DLT、與FT-002相關的SAE、RPE萎縮或黃斑變薄。大多數治療期間出現的不良事件(TEAE)表現為與眼部炎症，均與手術操作有關，並可通過局部使用類固醇滴眼液控制。此外，IIT數據表明，參與者視網膜功能及視覺相關生活品質有所改善，且視力穩定。

I期臨床試驗

試驗設計。FT-002的I期臨床試驗乃一項開放標籤、劑量遞增研究，對象為18至45歲患有RPGR突變相關XLRP的成年男性參與者。該試驗合共招募7名參與者，每名參與者單眼接受一次FT-002視網膜下注射。設立了三個劑量隊列，包括(i)低劑量組： 0.33×10^{11} vg/眼，招募了1名參與者；(ii)中劑量組： 1.0×10^{11} vg/眼，招募了3名參與者；及(iii)高劑量組： 2.0×10^{11} vg/眼，招募了3名參與者。

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)年齡介乎18至45歲的男性參與者；(ii)臨床診斷為XLRP；(iii)根據基因檢測確認RPGR基因突變；(iv)研究眼的BCVA不低於34個字母且不超過78個字母，及對側眼的BCVA不低於19個字母，及(v)研究眼經OCT評估存在可檢測到的黃斑區中心凹下橢圓體帶或經靜態視野檢查30°內有殘餘視野。該試驗的主要排除標準包括但不限於(i)參與者患有其他可能影響試驗結果評估的視網膜疾病(如IRD)；(ii)參與者有相關治療記錄及/或過敏史，包括近期眼部手術、其他基因療法治療或對試驗中使用的材料過敏；及(iii)參與者存在高血壓等全身性風險。

接受FT-002後，所有參與者均完成為期28天的觀察以確定DLT，且根據藥審中心批准的試驗方案的要求及授權，舉行獨立數據監察委員會(「iDMC」)會議(由一組獨立專家組成)，以審查所有參與者的安全性及耐受性數據，從而確認啟動II期劑量擴展研究。同時，除非提早退出，否則所有七名參與者預期將完成為期52週的隨訪，並進入直至注射後5年的長期隨訪期，以評估長期安全性及療效。

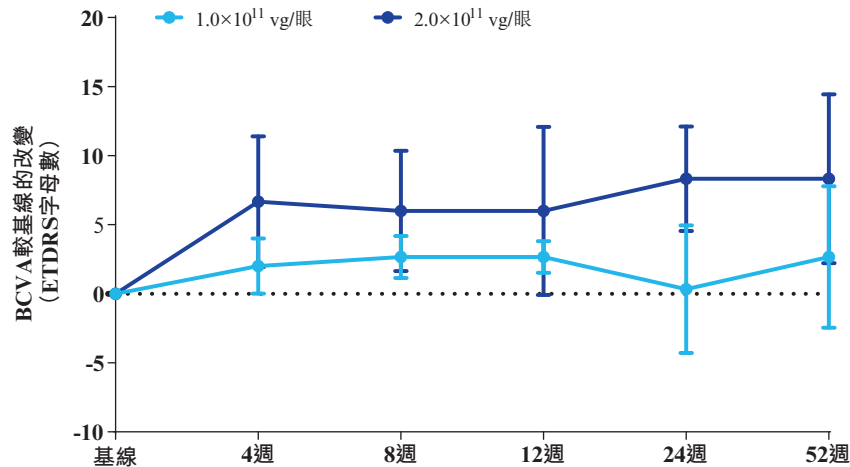
試驗目標。評估XLRP參與者在接受單次FT-002視網膜下注射後的安全性、耐受性及初步療效。主要終點與安全性及耐受性有關，包括28天內的DLT以及AE及SAE事件。次要終點與52週內療效(包括BCVA自基線的變化)以及免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該臨床試驗於2024年4月啟動，並於完成為期28天的觀察後於2024年8月完成。其後，iDMC會議評估了主要終點(即啟動II期臨床試驗的唯一先決條件)，並確認啟動該試驗。直至我們建議啟動III期臨床試驗前，毋須與藥審中心溝通以確認是否已達到主要或次要終點。此外，於2025年9月完成為期52週的隨訪，其中有關次要終點的結果已達到試驗目標。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

療效數據。I期臨床試驗結果表明，接受高劑量FT-002的參與者在視力、視網膜功能及結構以及視覺相關生活品質方面表現出持續改善。在高劑量組中，參與者BCVA改善為 8.3 ± 6.11 個字母，其中33.3%的參與者增益超過15個字母。BCVA改善不少於5個字母被視為最低臨床重要差異，而改善不少於15個字母則被視為在臨床上顯著改善視力。高劑量組的BCVA改善，尤其是持續超過52週的改善，表明FT-002可恢復或保存中心視力。誠如下圖所示，接受高劑量FT-002的

業 務

參與者在BCVA方面錄得持續改善。低劑量及中劑量組的BCVA未觀察到有意義的改善。



資料來源：公司數據

為作比較，亦對未治療的對側眼進行了BCVA變化的評估，在觀察及隨訪期間，該眼自基線的改善普遍較不顯著。

於第52週，高劑量組參與者的視覺相關生活品質(NEI VFQ-25評分)較基線增加 14.139 ± 9.560 分。就低劑量組及中劑量組而言，自基線的變化分別為增加9.3494分及減少 3.977 ± 9.770 分。NEI VEQ-25評分指一項標準參與者報告問卷的評分，用以評估12個領域中與視力相關的生活質量，評分範圍為0至100分。6分或以上的改善具有統計學意義，代表該等變化極有可能為參與者所切實感受，並對其生活質素有積極貢獻。在此情況下，高劑量組增加 14.139 ± 9.560 分表明FT-002具有重大臨床價值。

重要的是，OCT結果顯示，在高劑量組中，參與者研究眼的平均視網膜橢圓體帶(「EZ」)寬度於第52週較基線增加了 0.022 ± 0.146 毫米。就低劑量組及中劑量組而言，自基線的變化分別為減少0.096毫米及減少 0.136 ± 0.068 毫米。與XLRP自然病程研究中EZ寬度每年平均減少0.173至0.289毫米相比，高劑量組經FT-002治療後EZ寬度的增加表明視網膜結構得以保存或恢復，顯示疾病進展減緩或逆轉。

安全性數據。I期臨床試驗結果表明，FT-002的總體安全性及耐受性良好。未觀察到DLT或與FT-002相關的SAE。三名參與者(包括中劑量組的兩名及高劑量組的一名)報告了嚴重程度為2級的FT-002相關眼部TEAE，包括玻璃體炎及虹膜炎，經類固醇眼藥水治療後已緩解。一名中劑量組參與者出現嚴重程度為3級的SAE，即肛周膿腫，經評估與FT-002及外科手術無關。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。

就52週內的AAV脫落而言，在參與者雙眼的外周血、尿液及淚液中檢測到短暫及低水平的FT-002載體基因組DNA，而並無觀察到明顯或持續的AAV脫落。

II期臨床試驗

試驗設計。FT-002的劑量擴展II期臨床試驗乃一項單劑量、開放標籤臨床試

業 務

驗，針對(i)8至17歲的兒童參與者及(ii)患有RPGR突變相關XLRP的成年參與者。每名入組參與者均須單眼接受一次性FT-002視網膜下注射。II期推薦劑量(RP2D, 2.0×10^{11} vg/眼)乃根據I期臨床試驗的安全性及療效數據釐定。

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)參與者必須為年齡介乎8至17歲的兒科參與者或年齡介乎18至40歲的成年參與者；(ii)臨床診斷為XLRP；(iii)根據基因檢測確認RPGR基因突變；及(iv)BCVA不低於34個字母且不超過78個字母。該試驗的主要排除標準與I期臨床試驗的標準大致相同。

接受FT-002後，6名兒科參與者已完成為期52週的隨訪，而5名成年參與者已完成為期24週的隨訪，以評估FT-002的安全性、療效及免疫原性。參與者在完成第52週訪視後已進入長達5年的長期隨訪，每6個月進行一次，以評估FT-002的長期安全性及療效。

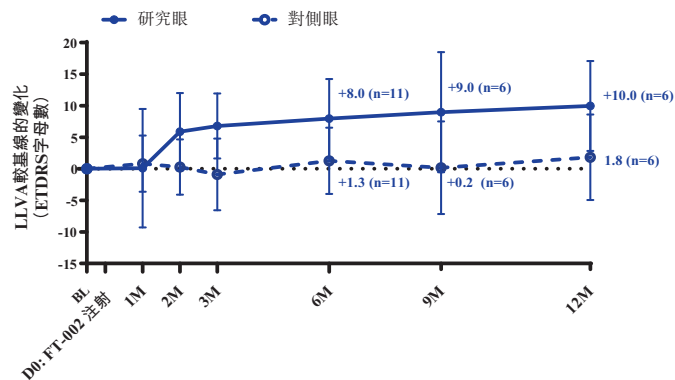
試驗目標。主要目標為評估兒童及成人XLRP參與者在接受單次RP2D劑量的FT-002視網膜下注射後的安全性、耐受性及療效。主要終點與療效有關，並包括低亮度視力(「LLVA」)自基線的變化。次要終點與療效有關，包括BCVA自基線的變化、安全性、免疫原性及AAV脫落。

我們的試驗方案先前將自基線的平均視網膜敏感度(MS)變化列為主要終點，並將自基線的LLVA變化列為次要終點。於2026年7月，為與處於後期臨床階段的其他靶向XLRP基因療法藥物的療效終點保持一致，我們修訂了我們的試驗方案，以移除自基線的MS變化作為主要終點，並增加自基線的LLVA變化為主要終點。該修訂已獲一個由獨立行業專家組成的倫理委員會審閱及批准，該委員會負責審閱對預先批准的試驗方案的任何修訂。

試驗狀態。該II期臨床試驗於2025年2月啟動，並於2025年7月完成六名兒童參與者的入組及於2026年3月完成五名成年參與者的入組。於2026年8月，II期臨床試驗已完成，乃由於六名兒童參與者已完成52週的隨訪，而五名成年參與者已完成24週的隨訪。所有終點均已評估，預計將於2026年第三季度提交予藥審中心進行評估。我們預計將於2026年第四季度獲得藥審中心的無異議確認，並於2027年第二季度啟動III期臨床試驗。

療效數據。根據成年及兒童隊列的24週隨訪數據以及兒童隊列的52週隨訪數據：(i)就成年及兒童隊列而言，每名成年參與者的研究眼在低亮度視力(LLVA)方面均表現出改善，於第24週時較基線平均增加8.0個字母，而對側眼平均增加1.3個字母；及(ii)就兒童隊列而言，每名兒童參與者的研究眼在低亮度視力(LLVA)方面均表現出持續改善，於第52週時較基線平均增加10.0個字母，而對側眼平均增加1.8個字母。LLVA測量低亮度(2.0 log 濾光片)下的視錐細胞功能。在XLRP中，LLVA是視力功能的關鍵衡量指標，增加超過10個字母被認為具有臨床意義。下圖說明研究眼及對側眼的LLVA自基線的變化。

業務



資料來源：公司數據

安全性數據。根據兒童隊列的52週隨訪數據及成年隊列的24週隨訪數據，所有參與者均表現出良好的耐受性及安全性。並無報告眼部SAE、SUSAR或與FT-002相關的眼部炎症。亦無3級或以上的AE。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。重要的是，與成年參與者相比，6名兒童參與者在延長的52週隨訪期內並未出現任何新的安全性信號。兩個年齡組中與FT-002相關的不良事件的發生率及嚴重程度與在先前研究中觀察到的情況相當。

就兒科參與者的AAV脫落而言，在外周血、尿液及雙眼淚液中檢測到短暫及低水平的FT-002載體基因組DNA，而並無觀察到明顯或持續的AAV脫落。

監管機構重大溝通及下一步計劃

我們於2023年11月獲得國家藥監局的IND批准，其涵蓋作為兩個獨立部分的劑量遞增I期及劑量擴展II期臨床試驗。我們在收到IND批准前並未收到國家藥監局對我們臨床試驗計劃的意見。根據IND批准，我們根據試驗設計於2024年4月啟動並於2024年8月完成I期臨床試驗，並於2025年2月啟動II期臨床試驗。

經參考弗若斯特沙利文所告知的行業慣例，劑量遞增I期臨床試驗構成一項已完成的臨床試驗，其主要目的與傳統I期臨床試驗的總體目的一致，即通常評估安全性並釐定II期臨床試驗的劑量。於2015年11月11日，國家食藥監總局頒佈《關於藥品註冊審評審批若干政策的公告》（「**藥品審批公告**」），其規定國家藥監局將就新藥臨床試驗的多個階段發出一一次性批准，而非分階段批准。基於上述情況及已提交予藥審中心的FT-002臨床試驗方案，我們的中國法律顧問認為，我們無須就於中國啟動劑量擴展II期臨床試驗自國家藥監局取得額外監管批准。於2025年12月，我們就完成I期臨床試驗後啟動II期臨床試驗事宜諮詢了藥審中心長三角分中心（國家藥品監督管理局藥品審評檢查長三角分中心）。我們透過長三角分中心的官方諮詢熱線聯繫了一名代表，經我們的中國法律顧問確認，(i)該熱線是就藥品審評（包括藥品臨床試驗申請）相關事宜向藥審中心進行諮詢的官方渠道，及(ii)由於該熱線是與藥審中心進行諮詢的官方渠道，接聽電話的代表是回應公眾查詢的合資格人士。根據弗若斯特沙利文的資料，中國公司通過藥審中心的官

業 務

方諮詢渠道尋求藥審中心的官方意見亦屬慣例。我們告知該代表我們臨床試驗的詳情，包括我們的IND涵蓋I期及II期臨床試驗，且該等臨床試驗並無中國境外的組成部分。根據我們的解釋，該名代表確認我們毋須就於中國開展II期臨床試驗自國家藥監局取得額外監管批准，且對我們開展FT-002的II期臨床試驗表示不反對。

FT-002分別於2024年1月及2024年10月獲FDA授予孤兒藥資格認定(ODD)及快速通道資格認定。於2024年9月，FDA已批准FT-002在美國進行II期臨床試驗，這使我們成為首家使用Bac/Sf9系統的中國rAAV基因治療公司，就一項II期臨床試驗獲得FDA的IND批准。我們II期臨床試驗的申請材料包括在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據，以及在美國擬議的II期臨床試驗計劃。在授予IND批准前，FDA主要就入組參與者、隨訪方法及療效終點提出意見，我們亦據此對II期試驗計劃作出了相應變更。FDA就II期臨床試驗作出的批准乃基於在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據，而美國並無已完成的I期臨床試驗。FDA的IND批准範圍涵蓋II期研究，以研究FT-002視網膜下注射在RPGR相關XLRP參與者中的療效及安全性。

至今，國家藥監局及FDA並未就FT-002的開發提出任何反對意見或重大疑慮。

FT-002的II期臨床試驗最初針對8至17歲患有RPGR突變相關XLRP的兒童參與者。於2025年9月，我們向藥審中心提交了一份文件以討論FT-002的III期臨床試驗計劃，其中包括我們當時可得的II期臨床試驗結果，並於2025年12月收到反饋意見，建議(i)在評估啟動III期試驗前完成對兒科參與者為期52週的隨訪及(ii)考慮兒科參與者的臨床試驗結果對擬議III期試驗招募成年參與者的適用性。根據該等建議，我們經藥審中心同意自願修訂II期臨床試驗方案以額外納入三至六名成年參與者。截至最後實際可行日期，我們已在中國完成FT-002的II期臨床試驗，合共六名兒童參與者已完成52週的隨訪，五名成年參與者已完成24週的隨訪。所有終點均已評估，結果預計將於2026年第三季度提交予藥審中心進行評估。我們預計將於2026年第四季度獲得藥審中心的無異議確認，並於2027年第二季度啟動III期臨床試驗。除上文討論的溝通外，我們並未收到藥審中心有關FT-002臨床試驗結果的任何意見。

利用其孤兒藥資格認定及快速通道資格認定地位，我們亦將繼續在美國尋求FT-002的開發及批准。我們目前預期在適當時候利用來自中國的臨床數據並與當地CRO合作，以在美國進行進一步臨床開發。我們擬於2026年第四季度就FT-002提交FDA再生醫學高級療法(RMAT)認定申請，並尋求於2027年第一季度召開III期臨床試驗前會議。在取得適用監管批准的規限下，我們擬於2027年底前在美國啟動FT-002的III期臨床試驗。我們相信，我們於美國擁有充足研發能力，可透過與當地CRO合作推進FT-002的臨床開發。我們將根據該等司法權區的當地監管及市場環境、競爭格局以及我們自身資源的充裕程度，靈活調整我們在推進中國及美國臨床試驗之間的資源分配以及臨床開發的預期進度。為此，我們充分利用FDA在美國就II期臨床試驗的批准以及FT-002的孤兒藥資格認定及快速通道資格認定，以釋放最大的市場潛力並為持份者實現價值最大化。

業 務

FT-002未必能最終成功開發及商業化。

FT-003，一種用於治療nAMD及DME的rAAV基因療法，為我們的核心產品

概覽

FT-003為一款玻璃體內注射的rAAV基因治療候選藥物，正在研究用於治療nAMD及DME。該等視網膜血管疾病乃屬全球成人視力喪失及失明的主要原因之一，尤其影響老年人及糖尿病患者。nAMD及DME的現有診療標準依賴頻繁的抗VEGF藥物玻璃體內注射，一方面為患者及醫療系統帶來沉重的治療負擔，另外一方面頻繁的抗VEGF藥物注射使得患者依從性欠佳從而導致長期療效不理想。

根據弗若斯特沙利文的資料，FT-003是中國針對nAMD的進展最領先的玻璃體內注射基因療法。我們基於自有的知識產權自主開發FT-003。

藥物設計及作用機制

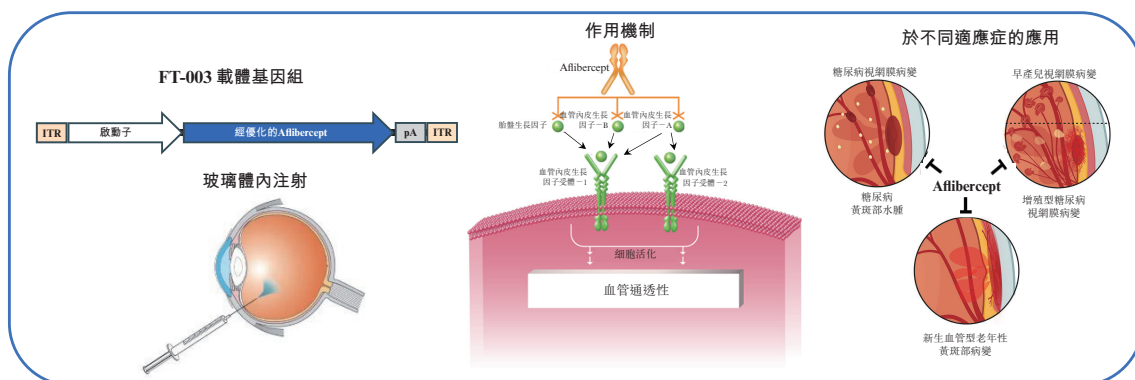
FT-003利用rAAV2m衣殼，通過玻璃體內注射給藥。與許多其他rAAV載體不同，FT-003中的rAAV2m衣殼經專門設計，可高效穿透視網膜內界膜。這種靶向載體設計能夠使FT-003在多種視網膜細胞層實現廣泛而深入的轉導。

FT-003攜帶經密碼子優化的編碼Aflibercept的基因。Aflibercept是一種融合蛋白，由人VEGF受體1和2（「**VEGFR1**」和「**VEGFR2**」）的胞外域與人IgG1的Fc部分融合而成。給藥後，FT-003能夠實現Aflibercept的穩定及持續表達，該表達由一個經優化的普遍性啟動子及調控元件驅動。

Aflibercept作為一種可溶性誘餌受體，與血管內皮生長因子A和B（「**VEGF-A**」和「**VEGF-B**」）以及胎盤生長因子（「**PlGF**」）高親和力結合，進而可有效阻斷其與血管內皮細胞上內源性VEGF受體的相互作用。這種抑制作用可干擾VEGF及PlGF信號通路，從而抑制病理性新生血管形成，降低血管通透性，並防止視網膜內的血管滲漏。

通過該機制，FT-003作用於導致nAMD及DME的致病分子靶點，提供了一種長效、一次性的基因治療解決方案，有望顯著改善患者的視力結果，減少頻繁抗VEGF注射的需求，並減輕患有該等威脅視力的視網膜疾病患者的治療負擔。

下圖左側說明FT-003的載體基因組及注射方法，中間說明FT-003作用機制，右側說明FT-003於不同適應症的應用：



附註： ITR = 反向末端重複序列；pA = 多腺苷酸化信號。

資料來源： 文獻綜述

業 務

市場機遇與競爭

nAMD及DME是全球老年人視力喪失及失明的兩個主要原因。隨著人口老齡化及糖尿病發病率的上升，該等疾病的患者人數亦隨之增加，在中國及國際市場上形成了龐大且不斷增長的患者群。於2025年，中國約有420萬名nAMD患者及780萬名DME患者，而美國約有160萬名nAMD患者及200萬名DME患者。除以上兩個國家外，於2025年，世界其他地區約有1,580萬名nAMD患者及1,690萬名DME患者。

目前nAMD及DME的標準診療主要依賴頻繁的抗VEGF藥物玻璃體內注射。由於需要重複注射(通常頻率為每四至八週一次)，該等方案給患者及醫療系統帶來了巨大的治療負擔。高頻率的給藥不僅增加了直接醫療成本，還導致了間接成本，包括患者及護理人員的時間、差旅及生產力損失。根據英國一份已發表的成本效益研究，長期抗VEGF療法估計合共平均9.2個質量調整壽命年。在此基礎上，經計算，抗VEGF療法的總治療費用在美國最高為304,000美元，在中國最高為人民幣403,000元。這種累積的財務負擔，加上重複注射帶來的不便及不適，往往導致患者依從性欠佳及長期療效不理想。

市場迫切需要能以較少干預提供持久疾病控制的長效療法，此項需求明確且未獲滿足。能夠減少注射頻率或提供一次性治療方案的療法，有望改善患者生活品質，並減輕醫療系統的總體負擔，帶來更高的臨床及經濟價值。

用於治療nAMD及DME的療法的市場潛力巨大。在中國和美國，nAMD及DME的患者人數預計將持續穩定增長。根據弗若斯特沙利文的資料，全球眼科抗VEGF藥物市場於2025年為179億美元，預計於2035年將達到418億美元。隨著先進療法的日益普及以及支付方願意支持提供更優持久性及減輕治療負擔的療法，進一步支持了積極的市場前景。

業 務

截至最後實際可行日期，有24款用於治療nAMD的rAAV基因治療候選藥物處於臨床階段。FT-003是中國針對nAMD的進展最領先的玻璃體內注射基因療法。下圖根據弗若斯特沙利文的資料，說明了截至最後實際可行日期FT-003用於治療nAMD的全球競爭格局：

給藥途徑	藥物名稱	公司	靶點	載體類型	階段	首次發佈日期	國家	生產系統
玻璃體內	Isobogene soroparovec (Iso-vec, ADVM-022)	禮來/ Adverum	VEGF	AAV2.7m8	III期	2025/3/4	美國	Bac /SF9
	zunibergene rocparovec (4D-150)	4D Molecular Therapeutics	VEGFA; VEGFB; VEGFC; PLGF	AAV載體R100	III期	2025/3/7	美國、加拿大	HEK293
	SKG0106	九天生物	VEGFA	AAV	I/II期	2023/8/14	中國、美國	不適用
	FT-003	Frontera Therapeutics	VEGF	AAV	II期 IND獲批	2024/9/26 ¹ 2024/11/11	中國 美國	Bac /SF9
	XMVA09	合肥星眸生物科技有限公司	ANGPT2, VEGF	AAV	I/II期	2024/4/12	中國	不適用
	ABI-110	Avirmax Biopharma	VEGF	AAV2.N54	I/II期	2024/8/12	美國	Bac/SF9
	GZ402663	費諾菲	VEGF	AAV2	I/II期	2024/10/28	美國	不適用
	IVB-103	因諾維康	-	AAV	I/II期	2024/11/29	中國	不適用
	EXG202	杭州嘉因生物科技有限公司	ANGPT2, VEGF	AAV	I/II期	2025/9/18	中國	不適用
視網膜下	LX111	朗信生物	VEGF	AAV	I期	2025/7/8	中國	不適用
	Surabgene lomparovec (Sura-vec, ABBV-RGX-314)	艾伯維/ Regenxbio	AAV8-VEGF	AAV8	III期	2022/6/7	美國、英國、日本等	HEK293
	LX102	朗信生物	VEGF	AAV	III期	2025/12/29	中國	不適用
	JWK001	成都金唯科生物科技有限公司	VEGF	AAV	II期	2026/8/20	中國	不適用
	KH631	成都康弘藥業集團股份有限公司	VEGF	AAV	I/II期	2023/1/5	中國	不適用
	EXG102-031	杭州嘉因生物科技有限公司	ANGPT2, VEGFA, VEGFC	AAV	I期	2022/12/10 2023/10/12	美國 中國	不適用
	NG101	Reyon Pharmaceutical, Neuracle Genetics	VEGF	AAV	I/II期	2023/8/9	美國、加拿大	不適用
	RRG001	上海鼎新基因科技有限公司	VEGF	AAV	I/II期	2023/11/21	中國	不適用
	NGGT007	Next Generation Gene Therapeutics	CYP4V2	AAV	I/II期	2025/1/16	中國	不適用
	CRG-B191	上海科銳克醫藥科技	VEGF	AAV	I/II期	2025/11/6	中國	不適用
	HG202	輝大基因有限公司	VEGF	AAV	I期	2023/9/4	中國	不適用
	RGL-2201	上海瑞宏迪醫藥有限公司	VEGF	AAV	I期	2025/3/3	中國	不適用
	AL-001	北京安龍生物醫藥有限公司	VEGF	AAV	II期	2025/2/17	中國	Bac/SF9
脈絡膜上腔	KH658	成都康弘藥業集團股份有限公司	VEGF	AAV	I/II期	2024/6/13	中國	不適用

附註：

- * 「不適用」指相應產品的生產系統尚未公開披露。
- (1) FT-003已完成I期及II期臨床試驗。於本文件所披露之首次發佈日期乃指II期試驗的首名參與者簽署知情同意書的日期。
- 資料來源： Clinicaltrial.gov、藥審中心、弗若斯特沙利文報告

根據弗若斯特沙利文的資料，截至最後實際可行日期，FT-003用於治療DME的全球競爭格局如下表所示：

給藥途徑	藥物名稱	公司	靶點	載體類型	階段	首次發佈日期	國家	生產系統
玻璃體內	zunibergene rocparovec (4D-150)	4D Molecular Therapeutics	VEGFA、VEGFB、VEGFC、PLGF	AAV載體R100	II期	2023-07-05	美國、波多黎各	HEK293
	FT-003	Frontera Therapeutics	VEGF	AAV	II期	2024-10-22 ¹	中國	Bac/SF9
					II期 IND獲批	2024-12-25	美國	
					I期	2024-02-01	中國	
	SKG0106	九天生物	VEGFA	AAV	I期	2024-02-01	中國	不適用
脈絡膜上腔	LX111	朗信生物	VEGF	AAV	I期	2026-01-23	中國	不適用
	Surabgene lomparovec (Sura-vec、ABBV-RGX-314)	艾伯維/Regenxbio	VEGF	AAV8	II/III期	2026-05-18	美國、波多黎各	HEK293
	KH658	成都康弘藥業集團	VEGF	AAV	II期	2026-07-07	中國	不適用

附註：

- * 「不適用」指相應產品的生產系統尚未公開披露。
- (1) 於本文件所披露之首次發佈日期乃指II期試驗的首名參與者簽署知情同意書的日期。
- 資料來源： Clinicaltrial.gov、藥審中心、弗若斯特沙利文報告

業 務

主要優勢

FT-003結合了經驗證的分子靶向、載體及基因設計、穩健持久的臨床療效、良好的安全以及行業領先的生產效率。

- 有潛力可實現長期疾病控制、顯著減輕治療負擔並具備良好的安全性。來自I期及II期臨床試驗的臨床數據證明，與Ixo-vec及4D-150等nAMD的知名競爭產品相比，FT-003可能具有相當的療效及安全性概況(基於彼等最新公開的試驗結果，而非頭對頭比較)。

nAMD

- FT-003在II期臨床試驗中給藥後52週內顯示出BCVA及CST的持續改善，其中高劑量隊列於第52週時的表現與Aflibercept對照組相若。在II期臨床試驗中，單次玻璃體內注射高劑量FT-003於第52週時導致LS平均BCVA增加10.4個字母，LS平均CST減少73 μm ，其中79%的參與者無需任何後續抗VEGF注射，89%的參與者接受不超過一次注射。
- 我們的II期臨床試驗表明，根據非頭對頭比較，與Ixo-vec及4D-150等知名基因療法競爭產品的最新公開臨床試驗結果相比，FT-003可能具有相當的療效及安全性概況。

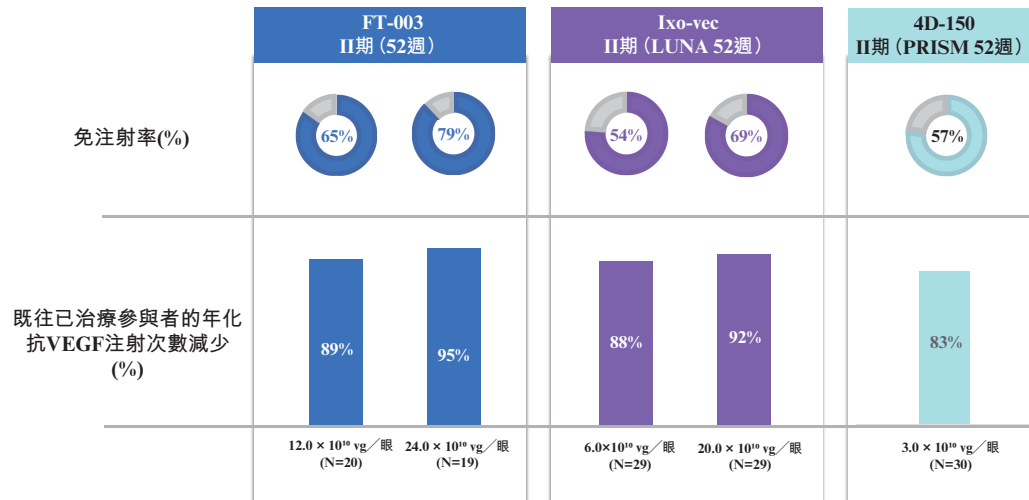
產品 (臨床階段)	FT-003 (第52週II期)	Ixo-vec (第52週II期LUNA)	4D-150 (第52週II期PRISM)
BCVA較基線的改變 (ETDRS字母)	+6.2 ($12.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=20) +10.4 ($24.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=19)	+2.1 ($6.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=28) +1.8 ($2.0 \times 10^{11}\text{vg/眼}$, N=29)	+2.2 ($3.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=30)
CST較基線的改變 (μm)	-81 ($12.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=20) -73 ($24.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=19)	-10.2 ($6.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=30) -21.9 ($2.0 \times 10^{11}\text{vg/眼}$, N=30)	+11.0 ($3.0 \times 10^{10}\text{vg/眼}$, N=30)

附註： FT-003及Ixo-vec的BCVA及CST數據以LS平均值呈列，而4D-150的數據則以平均值±標準差呈列。Ixo-vec及4D-150的數據乃按各公司公開披露的指標及格式呈列。臨床數據並非來自頭對頭臨床試驗，因此不具直接可比性。

資料來源： 公司數據、文獻綜述

- 於注射FT-003後，抗VEGF補救性注射的年化率亦顯示顯著下降。該比率在I期臨床試驗中降低了79%，11名參與者中有7名(63.6%)在整個年度內無需額外注射。如下文所示，於II期臨床試驗第52週，FT-003的低劑量組及高劑量組分別有65%及79%達到免注射狀態，與同類產品在其II期臨床試驗的相若時間點相比相當。FT-003的低劑量組及高劑量組的注射頻率分別減少89%及95%，而Ixo-vec的減幅為88%及92%，4D-150的減幅為83%。

業 務



附註：臨床數據並非來自頭對頭臨床試驗，因此不具直接可比性。
資料來源：公司數據、文獻綜述

DME

- 在I期臨床試驗中，抗VEGF療法的需求減少67%，其中九名I期參與者中的兩名於給藥後52週內無需接受抗VEGF療法注射。
- 在IIT研究及I期臨床試驗中，根據其最新公開臨床試驗結果，FT-003通常表現出與一款知名基因治療候選藥物4D-150相當的療效。下表載列FT003與4D-150的非頭對頭比較。

產品 (臨床階段)	FT-003 (IIT及I期)	4D-150 (II期SPECTRA)
52週平均BCVA較基線的改變 (ETDRS字母數)	+2.7 (2.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) +7.3 (24.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) +11.7 (12.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) +7.3 (24.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3)	+9.2 (5.0 x 10 ⁹ vg/眼 & 1.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=11) +6.4 (3.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=9)
52週平均CST較基線的改變 (μm)	-170 (2.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) -225 (6.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) -214 (12.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3) -192 (24.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=3)	-140 (5.0 x 10 ⁹ vg/眼 & 1.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=11) -131 (3.0 x 10 ¹⁰ vg/眼, N=9)

附註：臨床數據並非來自頭對頭臨床試驗，因此不具直接可比性。
資料來源：公司數據、文獻綜述

- 一次給藥，長期有效，有望解決患者的治療需求，極具市場價值：通過提供單次給藥的長效解決方案，FT-003有望改變nAMD及DME的標準療法，提高患者生活品質並減輕醫療系統的整體負擔。此外，FT-003乃使用我們的AAVANCE™生產平台生產，該平台能夠實現大規模、符合GMP標準的生產，具有高產量，低空殼率及具高競爭力的生產成本。
- 採用臨床廣泛應用的便捷的給藥方式。FT-003通過單次玻璃體內注射給藥，此乃一項微創手術，可在門診環境中快速、安全地進行，無需專門的手術設備或高深的技術專業知識。這種便捷的給藥方式有助於廣泛的臨床應用並增加患者的可及性，使玻璃體內注射有別於視網膜下注射及脈絡膜上腔注射等其他給藥方法。有關主要注射方法的比較，請參閱「行業概覽」一節。

業 務

- 經全面驗證的靶點及優化的基因設計。FT-003編碼Aflibercept（已經驗證的抗VEGF融合蛋白），通過靶向視網膜血管VEGF分子通路，確保較高的臨床成功可能性。經改造的rAAV2m衣殼能夠通過玻璃體內注射高效轉導視網膜細胞，而密碼子優化及調控元件的改良可確保Aflibercept的穩定及持續表達。

nAMD臨床試驗數據概要

研究者發起的試驗

我們與天津醫科大學眼科醫院的李筱榮教授合作，就FT-003用於nAMD進行研究者發起試驗。我們與該醫院合作，乃因其擁有適用的臨床研究資格、業內領先專家及龐大的患者庫。

根據我們的合作協議條款，我們負責在諮詢研究者後設計試驗方案，供應所需藥物及承擔與研究者發起試驗相關的所有開支，該等開支由我們的營運資金撥付。於往績記錄期間，我們已就該試驗產生專業服務開支合共0.2百萬美元，並預期將產生額外0.1百萬美元。研究者主要負責執行試驗計劃。我們擁有因研究者發起試驗而產生有關FT-003用於nAMD的所有臨床試驗數據、知識產權、專有技術、技術及其他重大方面的獨家權利及所有權。研究者並未提交任何有關FT-003用於nAMD的專利申請。我們的合作協議中並無明確的保密條文。

我們並無依賴研究者發起試驗的結果以自國家藥監局獲取FT-003就nAMD的IND批准，乃因該研究者發起試驗於2025年5月結束，而我們（作為獨家申辦方）已於2023年2月提交FT-003就nAMD的IND申請（當中並無引用研究者發起試驗的任何數據），並於2023年4月獲批。我們獨家擁有所有由我們提交的有關用於nAMD的FT-003的專利申請，且並無向第三方授出該等待決專利的許可。我們認為，概無有關用於nAMD的FT-003的有效第三方專利可對我們強制執行。因此，我們擁有對用於nAMD的FT-003進行研發及商業化的全部及獨立權利。

試驗設計。FT-003的研究者發起的試驗乃一項開放標籤、劑量遞增試驗。設立了兩個劑量組：(i) 低劑量組 (6.0×10^{10} vg/眼)，招募3名參與者；及(ii) 中劑量組 (12.0×10^{10} vg/眼)，招募1名參與者。每名參與者接受單次玻璃體內注射一劑50 μ L的FT-003。

試驗目標。主要目標為評估nAMD參與者在接受玻璃體內注射FT-003後的安全性、耐受性及初步療效。

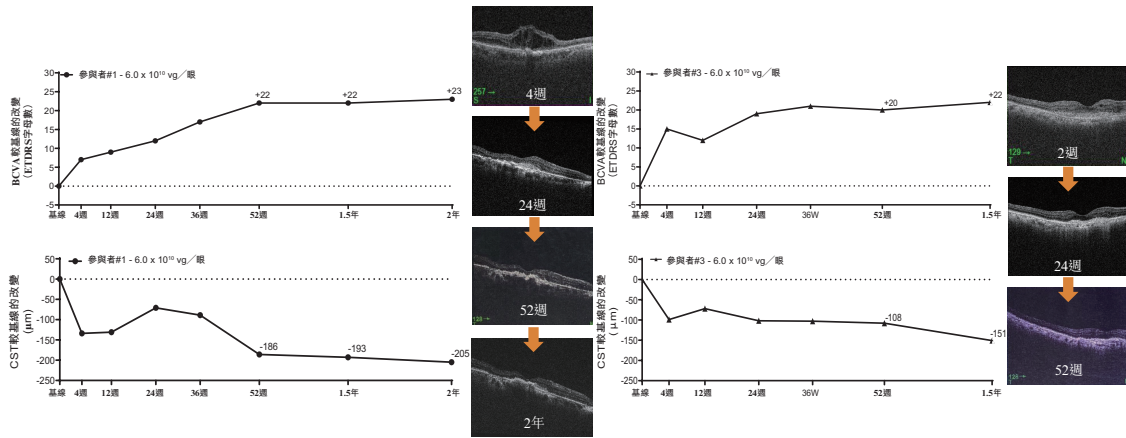
試驗狀態。該IIT研究於2022年12月啟動，並於2025年5月完成其為期兩年的隨訪。所有參與者現正進行為期五年的長期隨訪。

療效數據。療效結果表明，FT-003可為nAMD參與者提供持續的視覺及解剖學裨益，同時減輕治療負擔。四名nAMD參與者單次玻璃體內注射FT-003後，在三年的隨訪期內，BCVA有所改善，CST有所降低。

值得注意的是，在低劑量組中，兩名接受FT-003的參與者在三年的隨訪中BCVA持續穩定提高，經OCT成像評估，視網膜結構保持正常。重要的是，該等參與者在觀察期內無需任何額外的抗VEGF療法，並且在隨訪結束時，房水中仍可

業務

檢測到Aflibercept。這表明FT-003有效地轉導了視網膜細胞，並實現了Aflibercept的持續穩定表達，為nAMD患者提供了持續的治療裨益和疾病控制。



資料來源：公司數據

安全性數據。臨床結果表明，FT-003的整體耐受性及安全性良好。未觀察到與FT-003相關的DLT或SAE。報告的唯一不良事件為眼內炎症反應，這類反應是重組腺相關病毒(rAAV)基因治療產品及玻璃體內注射常見的相關反應。研究期間未發現新的或非預期的安全風險。

I期臨床試驗

試驗設計。劑量遞增I期臨床試驗為一項開放標籤、多中心及非隨機研究。該試驗合共招募11名參與者，每名參與者單眼接受一次FT-003玻璃體內注射。設立了三個劑量隊列：(i)低劑量組：6.0 × 10¹⁰ vg/眼，招募3名參與者；(ii)中劑量組：12.0 × 10¹⁰ vg/眼，招募4名參與者；及(iii)高劑量組：24.0 × 10¹⁰ vg/眼，招募4名參與者。

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)年齡介乎50至80歲的男性及女性參與者；(ii)臨床診斷為nAMD；(iii)研究眼的BCVA不低於24個字母且不超過73個字母，及對側眼的BCVA不低於19個字母；(iv)於篩選前過往六個月內曾接受抗VEGF治療，及(v)於入組前已證實對抗VEGF治療有臨床反應。該試驗的主要排除標準包括但不限於(i)研究眼患有AMD以外原因導致的脈絡膜新生血管形成；(ii)有相關治療記錄及/或過敏史，包括近期眼部手術、其他基因療法治療或對試驗中使用的材料過敏；(iii)存在中風等全身性風險；及(iv)抗AAV2m中和抗體滴度大於1:1,000。

接受FT-003後，所有參與者均完成為期12週的觀察，且根據藥審中心批准的試驗方案的要求及授權，舉行iDMC會議(由一組獨立專家組成)以審查所有參與者的安全性及耐受性數據，並確認啟動II期劑量擴展研究。同時，所有參與者預期將完成為期52週的隨訪。完成第52週訪視或提早退出的參與者進入直至注射後五年的長期隨訪期。

試驗目標。主要目標為評估單次玻璃體內注射FT-003於nAMD患者的安全性、耐受性及療效。主要終點與注射後12週內的安全性及耐受性有關，包括28天內的

業 務

DLT以及AE及SAE事件。次要終點與注射後52週內的安全性及耐受性、注射後12及52週內的療效(包括BCVA自基線的變化)、免疫原性及AAV脫落有關。

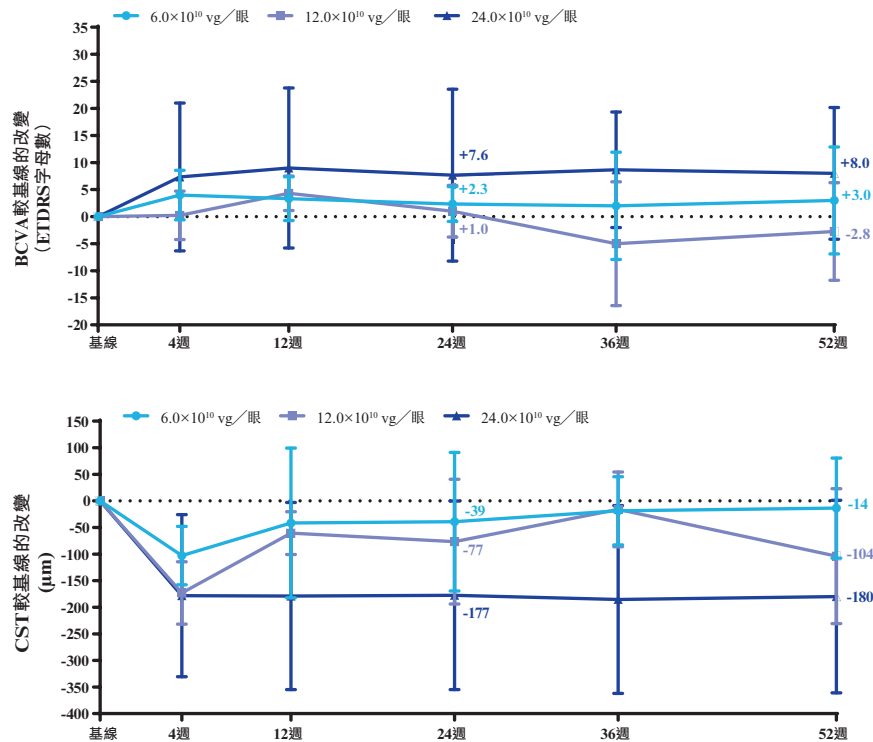
試驗狀態。該臨床試驗於2023年8月啟動，並於2024年8月完成。主要終點(即為期12週的安全性及耐受性數據以及啟動II期臨床試驗的唯一先決條件)已由iDMC進行評估，其確認於2024年8月啟動II期臨床試驗。直至我們建議啟動III期臨床試驗前，毋須與藥審中心溝通以確認是否已達到主要或次要終點。次要終點(即注射FT-003後52週內的安全性、療效、免疫原性及AAV脫落數據)於2025年9月進行評估，且已達到試驗目標。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

療效數據。臨床數據表明，FT-003有潛力為nAMD患者帶來持久的臨床裨益，包括視力的顯著提升、視網膜解剖結構的改善以及持續抗VEGF療法負擔的顯著減輕。注射FT-003後，在所有三個劑量組中，房水中的Aflibercept治療水平可檢測長達52週，表明Aflibercept的持續表達介導了藥理作用。

高劑量組表現出最強的療效。於第52週，該組參與者的BCVA平均提高8個字母，CST平均減少180 μm ，其中33%的參與者BCVA改善超過15個字母。BCVA衡量參與者的視力功能，而CST(即中心子區厚度)是黃斑中心部分視網膜厚度的客觀、可量化測量指標，為參與者的視網膜結構提供生物學證據。該等參數均為國際公認的參數，用於評估全球用於治療nAMD及DME的候選產品。BCVA改善不少於5個字母被視為最低臨床重要差異，而改善不少於15個字母則被視為視力顯著改善。高劑量組的BCVA改善，尤其是持續超過52週的改善，表明可恢復或保存中心視力。同時，CST減少不少於50 μm 被視為具有臨床意義。高劑量組的CST減少180 μm 反映FT-003恢復視網膜結構的能力。該等結果表明，FT-003可持續改善視功能及視網膜結構。

業 務

下圖載列各劑量隊列直至注射後52週的BCVA及CST自基線的變化。低劑量組及中劑量組的BCVA及CST改善普遍較不顯著。



資料來源：公司數據

並無與對側眼進行比較，原因為對側眼未必診斷為nAMD，且即使患有nAMD，其病歷及治療史以及基線特徵(如BCVA及CST)亦可能與研究眼不同。此外，我們於研究期間並無限制對側眼的治療。

所有參與者年化抗VEGF注射率降低了79%。年化抗VEGF注射率亦是評估全球同類基因療法產品的國際公認參數，其計算方法為治療前後年化抗VEGF注射次數的百分比差異。值得注意的是，在已完成52週隨訪的三名高劑量參與者中，無人在整個年度內需要任何抗VEGF補救性注射，即年化抗VEGF注射率降低100%。就低劑量組及中劑量組而言，年化抗VEGF注射率分別降低32%及75%。結果表明，患者對額外抗VEGF療法的需求大幅減少，進而可能改善患者的治療依從性和生活品質。然而，於第52週，三個劑量組的CNV面積及滲漏面積並無測得顯著及一致的減少。

安全性數據。在長達1年的隨訪中，FT-003在所有測試劑量水平的參與者中均表現出良好的安全性及耐受性。所有參與者僅接受輕度類固醇預防，整體耐受性極佳。少數參與者觀察到微量至輕度的眼內炎症，所有炎症均通過標準類固醇治療得到有效處理和控制，並未導致任何嚴重併發症。整個研究期間，未報告與FT-003相關的DLT或SAE。除上述眼部炎症事件外，未發現新的或非預期的安全風險。儘管在低劑量組的2名參與者中檢測到針對AAV的體液免疫反應(中和抗體)，但在任何參與者中均未觀察到特異性細胞免疫反應，因此迄今尚未確定FT-003的安全性與免疫反應之間的相關性。此外，在長期隨訪期間，沒有參與者出現與

業 務

FT-003相關的眼內壓降低，也未觀察到其他重大的眼部或全身性安全問題。於整個研究過程中並無觀察到3級或以上的AE。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。

就AAV脫落而言，在11名參與者雙眼的外周血、尿液及淚液中檢測到短暫及低水平的FT-003載體基因組DNA，而並無觀察到明顯或持續的AAV脫落。

II期臨床試驗

試驗設計。劑量擴展II期臨床試驗是一項隨機、Aflibercept陽性對照、單盲、多中心的研究。根據I期臨床試驗中參與者至少12週的安全及療效數據，iDMC建議啟動II期研究的FT-003劑量為 12.0×10^{10} vg/眼及 24.0×10^{10} vg/眼。因此，按1:1:1的比例設立了三個隊列：(i)低劑量組： 12.0×10^{10} vg/眼；(ii)高劑量組： 24.0×10^{10} vg/眼；及(iii) Aflibercept組：2毫克，每8週一次。合共62名參與者已獲納入該三個組別，其中低劑量組、高劑量組及Aflibercept組分別包括20名、19名及22名參與者。

除入組初治及既往已接受治療的參與者外，該試驗的主要納入及排除標準與I期臨床試驗的納入及排除標準相同。

接受FT-003後，所有參與者已完成為期52週的隨訪，以評估其安全性、療效、藥代動力學及免疫原性。在完成第52週訪視或提早退出後，參與者已進入長達5年的長期隨訪。

試驗目標。此II期臨床試驗的主要目標為，透過評估nAMD患者在單次玻璃體內注射後BCVA相較基線的變化，以評價FT-003在改善視功能方面的療效及安全性。主要終點與注射後24週內的療效有關，並包括BCVA自基線的變化。次要終點與注射後52週內的療效（例如BCVA及CST自基線的變化）及安全性（例如AE及SAE事件）、免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該II期臨床試驗於2024年10月啟動，並於2025年7月完成參與者入組。於2026年7月，II期臨床試驗已完成，原因為除一名因撤回知情同意書而未獲給藥的參與者外，所有參與者均已根據藥審中心的建議完成為期52週的隨訪（有關我們與藥審中心的溝通詳情，請參閱「重大溝通及下一步」一節）。所有終點均已評估，預計將於2026年第三季度提交予藥審中心進行評估。我們預計將於2026年第四季度獲得藥審中心的無異議確認，並於2027年第一季度啟動III期臨床試驗。

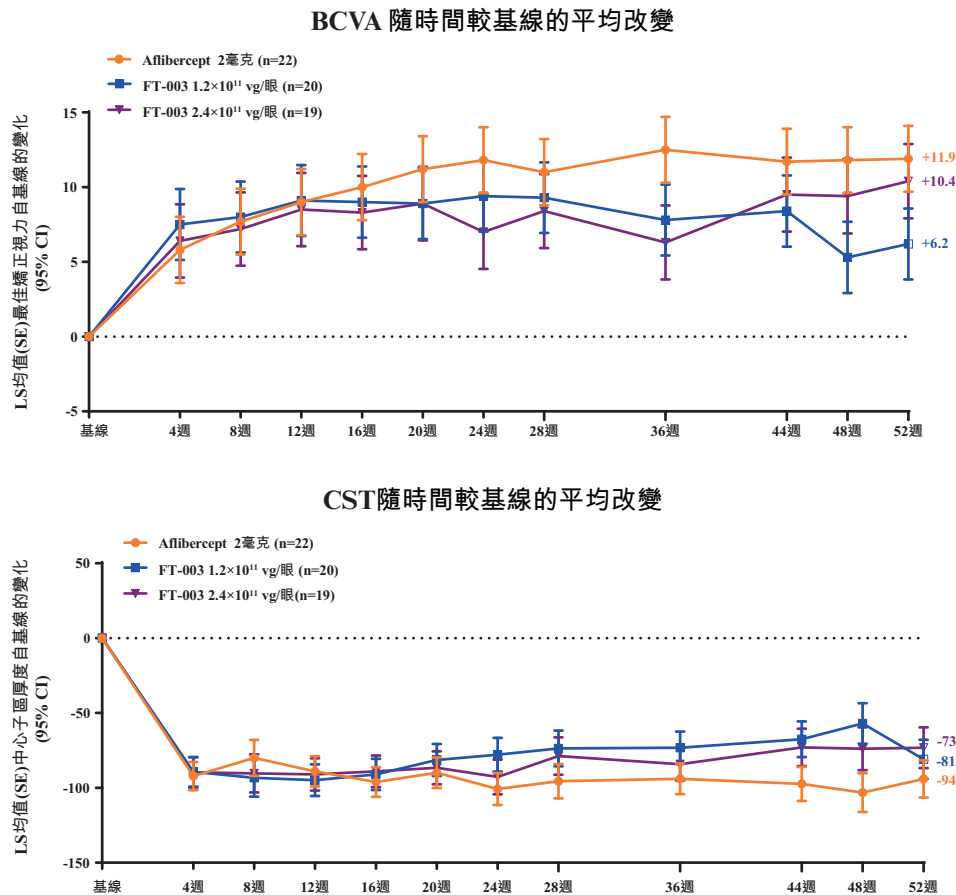
療效數據。自己完成的52週隨訪獲得的現有臨床數據表明，FT-003有潛力為nAMD患者帶來持續且具臨床意義的裨益，包括視力的顯著提升、視網膜解剖結構的改善以及持續抗VEGF療法負擔的顯著減輕。

於第52週，低劑量組及高劑量組的最佳矯正視力(BCVA)自基線的最小二乘法平均變動(LS平均值，95%CI)分別為6.2及10.4個字母，而Aflibercept對照組的最佳矯正視力(BCVA)自基線的LS平均值為11.9個字母。治療組與對照組之間的差異在統計學上不顯著，p值分別為0.0815及0.6641。值得注意的是，高劑量隊列於第52週時的表現超過Aflibercept對照組，38.9%的參與者實現15個或以上字母的BCVA增益，而Aflibercept組則為31.8%。此外，低劑量及高劑量隊列的中心子區

業 務

厚度(CST)自基線平均減少，LS平均值分別為 $-81\ \mu\text{m}$ 及 $-73\ \mu\text{m}$ ，而Aflibercept對照組自基線減少 $-94\ \mu\text{m}$ 。治療組與對照組之間的差異在統計學上不顯著，p值分別為0.4687及0.2607。

下圖載列各劑量隊列直至注射後52週的BCVA及CST自基線的變化。



資料來源：公司數據

就第52週時持續抗VEGF治療的需求而言，低劑量及高劑量隊列中分別有65%及79%的參與者未接受任何後續Aflibercept治療，且分別有80%及89%的參與者接受不超過一次注射。低劑量及高劑量隊列的Aflibercept累計平均注射次數分別為0.32次及0.65次，而Aflibercept對照組為6.0次，分別減少約95%及89%。

安全性數據。現有臨床數據已證明FT-003對nAMD具有良好的安全性及耐受性。至今，並無導致死亡或試驗中止的TEAE、無疑似非預期嚴重不良反應、無與FT-003相關的SAE，亦無新的AAV相關安全風險信號。

就AAV脫落而言，第4週外周血及第24週雙眼淚液中的載體基因組DNA檢測呈陰性，表明FT-003主要分佈在眼組織中，玻璃體內注射後全身暴露及潛在的環境脫落有限。並無觀察到明顯或持續的AAV脫落。

業 務

DME臨床試驗數據概要

研究者發起的試驗

我們與天津醫科大學眼科醫院的李筱榮教授合作，就FT-003用於DME進行研究者發起試驗。我們與該醫院合作，乃因其擁有適用的臨床研究資格、業內領先專家及龐大的患者庫。

根據我們的合作協議條款，我們負責在諮詢研究者後設計試驗方案，供應所需藥物及承擔與研究者發起試驗相關的所有開支，該等開支由我們的營運資金撥付。於往績記錄期間，我們已產生與試驗相關的專業服務開支合共0.2百萬美元，並預期將額外產生0.1百萬美元。研究者主要負責執行試驗計劃。我們擁有因研究者發起試驗而產生有關FT-003用於DME的所有臨床試驗數據、知識產權、專有技術、技術及其他重大方面的獨家權利及所有權。研究者並未提交任何有關FT-003用於DME的專利申請。我們的合作協議中並無明確的保密條文。

我們並無依賴研究者發起試驗的結果以自國家藥監局獲取FT-003就DME的IND批准，乃因該研究者發起試驗於2025年7月結束，而我們（作為獨家申辦方）已於2023年5月提交FT-003就DME的IND申請（當中並無引用研究者發起試驗的任何數據），並於2023年8月獲批。我們獨家擁有所有由我們提交的有關用於DME的FT-003的專利申請，且並無向第三方授出該等待決專利的許可。我們認為，概無有關用於DME的FT-003的有效第三方專利可對我們強制執行。因此，我們相信我們擁有對用於DME的FT-003進行研發及商業化的全部及獨立權利。

試驗設計。研究者發起試驗最初設計為一項針對DME參與者的開放標籤、劑量遞增研究。該試驗合共招募3名參與者，彼等接受單次玻璃體內注射一劑50 μ L的FT-003 (2.0×10^{10} vg/眼)。

試驗目標。主要目標為評估FT-003的安全性及耐受性。

試驗狀態。該IIT研究於2023年5月啟動，我們於2025年7月完成其兩年隨訪。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

療效數據。初步療效結果表明，FT-003可提供持續的視覺及解剖學裨益。三名DME參與者單次玻璃體內注射FT-003後，在兩年內，BCVA有所改善，CST有所降低。

重要的是，與治療前時期相比，該等參與者的年化平均抗VEGF注射率下降了86%，表明FT-003可大幅減少大多數接受治療的參與者對額外抗VEGF干預的需求。

安全性數據。總體而言，FT-003在該隊列中表現出良好的安全性，未觀察到DLT、治療相關的SAE及眼內炎症。

I期臨床試驗

試驗設計。I期臨床試驗為一項開放標籤、多中心的劑量遞增研究。該試驗合共招募9名參與者，每名參與者單眼接受一次FT-003玻璃體內注射。設立了三個劑量隊列：(i)低劑量組： 6.0×10^{10} vg/眼；(ii)中劑量組： 12.0×10^{10} vg/眼；及(iii)高劑量組： 24.0×10^{10} vg/眼。合共9名參與者已獲招募並按1:1:1的比例隨機分配至該三個組別，每組包括3名參與者。

業 務

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)年齡介乎18至74歲的男性及女性參與者；(ii)研究眼臨床診斷為DME；(iii)研究眼的BCVA不低於24個字母且不超過73個字母，及對側眼的BCVA不低於19個字母；及(iv)於入組前已證實研究眼對抗VEGF治療有臨床反應。該試驗的主要排除標準包括但不限於(i)入組前糖尿病視網膜病變嚴重程度評分不低於65分；(ii)研究眼患有DME以外的眼科疾病；(iii)有相關治療記錄及／或過敏史，包括近期眼部手術、其他基因療法治療或對試驗中使用的材料過敏；及(iv)抗AAV2m中和抗體滴度大於1:640。

接受FT-003後，所有參與者均完成為期12週的觀察，且根據藥審中心批准的試驗方案的要求及授權，舉行iDMC會議(由一組獨立專家組成)以審查所有參與者的安全性及耐受性數據，並確認啟動II期劑量擴展研究。同時，所有參與者預期將完成為期52週的隨訪。完成第52週訪視或提早退出的參與者進入直至注射FT-003後五年的長期隨訪期。

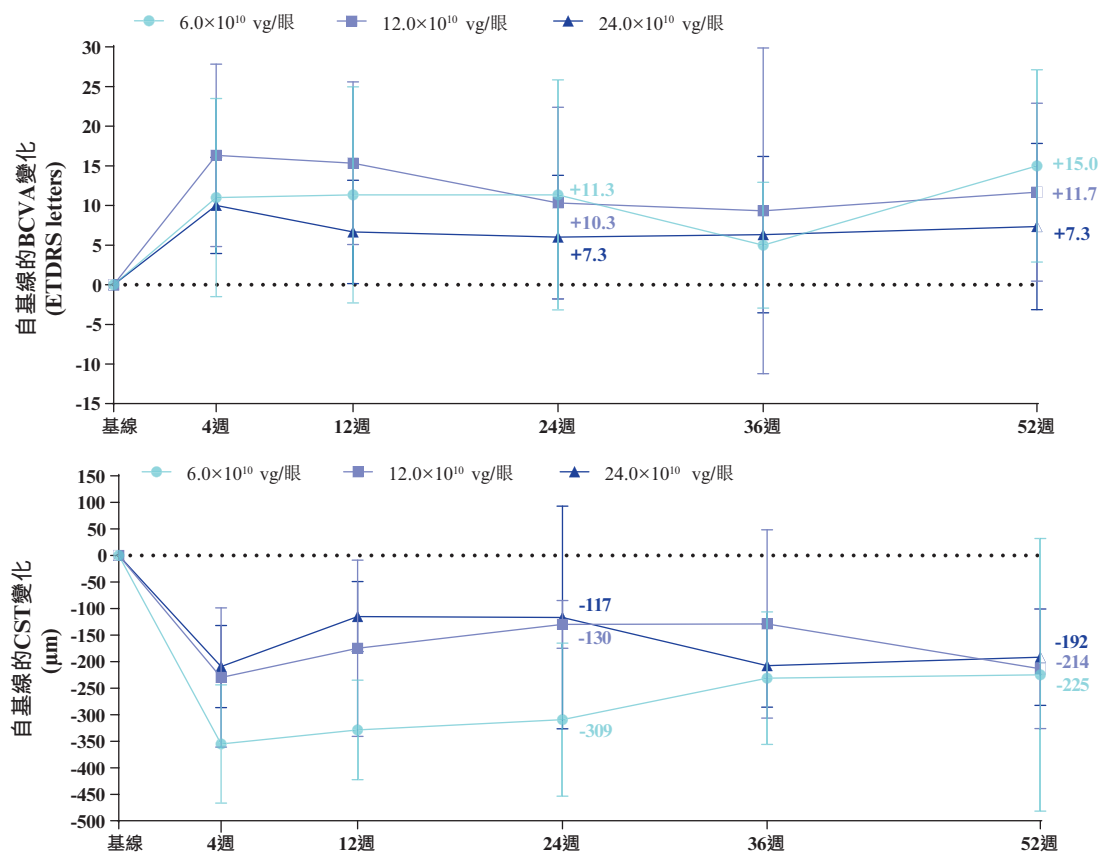
試驗目標。主要終點與注射後12週及52週內的安全性及耐受性有關，包括28天內的DLT以及AE及SAE事件。次要終點與注射後12及52週內的療效(包括BCVA自基線的變化)、免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該I期臨床試驗於2023年12月啟動，並於2024年10月完成。其後，iDMC會議對主要終點(啟動II期臨床試驗的唯一先決條件)進行評估，並確認啟動該試驗。直至我們建議啟動III期臨床試驗前，毋須與藥審中心溝通以確認是否已達到主要或次要終點。此外，於2025年9月完成為期52週的隨訪，其中有關次要終點的結果已達到試驗目標。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

療效數據。臨床數據表明，FT-003有潛力為DME患者帶來持久的臨床裨益，包括視力的顯著提升、視網膜解剖結構的改善以及持續抗VEGF療法負擔的顯著減輕。

業務

與基線相比，於第52週時，三個劑量組參與者的BCVA平均增加11個字母(其中44.4%的參與者BCVA提高大於15個字母)，平均CST則減少210 μ m。下圖說明三個隊列組直至注射後52週的BCVA及CST變化。



資料來源：公司數據

並無與對側眼進行比較，原因為對側眼未必診斷為DME，且即使患有DME，其病歷及治療史以及基線特徵(如BCVA及CST)亦可能與研究眼不同。此外，我們於研究期間並無限制對側眼的治療。

重要的是，參與者的治療負擔大幅減輕。給藥後第52週，參與者抗VEGF注射頻率較按標籤註明的Aflibercept 2毫克，每8週一次注射的預計次數減少了76%。

安全性數據。FT-003在所有測試劑量水平的DME參與者中均表現出良好的安全性及耐受性，最長隨訪時間長達2年。所有參與者僅接受輕度類固醇預防，FT-003的整體耐受性極佳。部分患者出現微量至輕度的眼內炎症。但該類事件均通過標準類固醇治療得到有效處理和控制。重要的是，在整個研究期間，未報告與FT-003相關的DLT或SAE。所觀察到的安全事件與通常與rAAV基因治療產品及玻璃體內注射程序相關的事件(如輕度眼內炎症)一致，並未發現新的非預期的安全風險。於整個研究過程中並無觀察到3級或以上的AE。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。

該等結果支持繼續進行FT-003的臨床開發，作為DME患者的一種有前景的治療選擇。

業 務

就AAV脫落而言，在所有參與者外周血、尿液、雙眼淚液及／或鼻分泌物中檢測到短暫及低水平的FT-003載體基因組DNA，而並無觀察到明顯或持續的AAV脫落。

進行中的II期臨床試驗

試驗設計。II期臨床試驗是一項隨機、單盲、多中心的劑量擴展研究。按1:1:1的比例設立了三個劑量隊列：(i)低劑量組： 6.0×10^{10} vg／眼；(ii)中劑量組： 12.0×10^{10} vg／眼；及(iii)高劑量組： 24.0×10^{10} vg／眼。截至最後實際可行日期，合共60名參與者已獲招募。

該試驗的主要納入及排除標準與I期臨床試驗的納入及排除標準相同。

接受FT-003後，所有參與者預期將完成為期52週的隨訪，以評估其安全性、療效、藥代動力學及免疫原性。在完成第52週訪視或提早退出後，參與者亦將進入長達5年的長期隨訪。

試驗目標。主要終點與注射後24週內的療效有關，並包括BCVA自基線的變化。次要終點與注射後52週內的療效(例如BCVA及CST自基線的變化)、安全性(例如AE及SAE事件)、免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該II期臨床試驗於2024年11月啟動，最後一名參與者的入組於2026年1月完成。由於我們已就FT-003用於nAMD與藥審中心進行溝通，而藥審中心建議在評估啟動III期試驗前完成為期52週的隨訪，故我們擬就FT-003用於DME自願遵循相同方法。即，我們預計在完成為期52週的隨訪後，向藥審中心提出II期結束會議請求，以討論III期計劃。我們預計將於2027年第一季度獲得藥審中心的無異議確認並於2027年第三季度啟動III期臨床試驗。

監管機構重大溝通及下一步計劃

我們於2023年4月獲得國家藥監局針對nAMD的IND批准，其涵蓋作為兩個獨立部分的劑量遞增I期及劑量擴展II期臨床試驗。我們在收到IND批准前並未收到國家藥監局對我們臨床試驗計劃的意見。根據IND批准，我們根據試驗設計於2023年8月啟動並於2024年8月完成I期臨床試驗，並於2024年10月啟動II期臨床試驗。

我們於2023年8月獲得國家藥監局針對DME的IND批准，其涵蓋作為兩個獨立部分的劑量遞增I期及劑量擴展II期臨床試驗。我們在收到IND批准前並未收到國家藥監局對我們臨床試驗計劃的意見。根據IND批准，我們根據試驗設計於2023年12月啟動並於2024年10月完成I期臨床試驗，並於2024年11月啟動II期臨床試驗。

經參考弗若斯特沙利文所告知的行業慣例，就nAMD及DME而言，劑量遞增I期臨床試驗構成一項已完成的臨床試驗，其主要目的與傳統I期臨床試驗的總體目的一致，即通常評估安全性並為II期臨床試驗釐定劑量。根據《藥品審批公告》的條文及提交予藥審中心的FT-003臨床試驗方案，我們的中國法律顧問認為，我們毋須就於中國開展nAMD及DME的劑量擴展II期臨床試驗而自國家藥監局取得額外監管批准。於2025年12月，我們就完成I期臨床試驗後啟動II期臨床試驗事宜諮詢了藥審中心長三角分中心(國家藥品監督管理局藥品審評檢查長三角分中

業 務

心)。我們透過長三角分中心的官方諮詢熱線聯繫了一名代表，經我們的中國法律顧問確認，(i)該熱線是就藥品審評(包括藥品臨床試驗申請)相關事宜向藥審中心進行諮詢的官方渠道，及(ii)由於該熱線是與藥審中心進行諮詢的官方渠道，接聽電話的代表是回應公眾查詢的合資格人士。根據弗若斯特沙利文的資料，中國公司通過藥審中心的官方諮詢熱線尋求藥審中心的官方意見亦屬慣例。我們告知該代表我們臨床試驗的詳情，包括我們的IND涵蓋I期及II期臨床試驗，且該等臨床試驗並無中國境外的組成部分。根據我們的解釋，該名代表確認我們毋須就於中國開展II期臨床試驗自國家藥監局取得額外監管批准，且對我們開展FT-003的II期臨床試驗表示不反對。

於2024年11月及12月，FDA已分別批准FT-003在美國用於nAMD及DME的II期臨床試驗。我們II期臨床試驗的申請材料包括在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據，以及在美國擬議的II期臨床試驗計劃。在授予IND批准前，FDA主要就(i) nAMD的知情同意書中的措辭、不良事件的分類、參與者納入標準及GCP合規性，及(ii) DME的知情同意書中的措辭提出意見。我們已對II期試驗計劃作出相應變更。FDA就該II期臨床試驗作出的批准乃基於在中國產生的CMC、臨床前及I期臨床數據，而美國並無已完成的I期臨床試驗。FDA授予的IND批准的範圍涵蓋(i)評估單次玻璃體內注射FT-003對nAMD參與者的療效、安全性及耐受性的II期研究，及(ii)評估單次玻璃體內注射FT-003對DME參與者的療效、安全性及耐受性的II期研究。繼FT-003就nAMD及DME取得FDA IND批准後，我們目前並無計劃在美國就nAMD及DME進行II期臨床試驗。相反，我們目前計劃完成正在中國進行的FT-003就nAMD及DME的II期臨床試驗，並使用該等中國研究的臨床數據支持我們與FDA的互動以及我們在美國進入III期臨床試驗的申請。

此外，於2025年3月，我們獲得國家藥監局就FT-003用於治療DR的II期臨床試驗的IND批准。我們直接申請並獲批FT-003用於DR的II期臨床試驗，而未進行I期臨床試驗，因為DME是DR患者視力喪失的主要原因，且屆時我們已完成FT-003用於DME的I期臨床試驗。儘管取得該批准，我們目前並無計劃在中國啟動FT-003就DR的II期臨床試驗。根據抗VEGF療法就DR的註冊經驗，我們認為，先完成FT-003就DME的III期臨床試驗，再就FT-003的DR適應症提交III期臨床試驗的補充申請，會更高效。

至今，國家藥監局及FDA並未就FT-003的開發提出任何反對意見或重大疑慮。根據藥審中心批准的FT-003用於nAMD的試驗方案，在完成為期24週的隨訪且主要終點可得後，我們向藥審中心提交了一份文件以討論III期臨床試驗計劃，其中包括我們當時可得的II期臨床試驗結果。於2026年7月，我們收到反饋意見，建議在評估啟動III期試驗前完成為期52週的隨訪。根據該等建議，我們已為所有參與者完成為期52週的隨訪。所有終點均已評估，結果預計將於2026年第三季度提交予藥審中心進行評估。除上文所討論的溝通外，我們並未收到藥審中心有關FT-003臨床試驗結果的任何意見。

我們正在推進FT-003用於nAMD及DME適應症。我們預計於2027年第一季度前在中國啟動nAMD的III期臨床試驗，及於2027年第三季度前在中國啟動DME的III期臨床試驗。

我們亦預期於適當時機推進FT-003在美國的臨床開發。我們擬利用來自中國的臨床數據並與當地CRO合作，以進行進一步臨床開發。我們已於2026年7月6日向FDA提出C類會議請求以討論III期臨床開發計劃及在美國的建議監管批准

業 務

路徑，並擬尋求於2027年第一季度或之前召開III期臨床試驗前會議。於2026年7月，FT-003獲FDA授予再生醫學先進療法(RMAT)認定，用於治療nAMD。我們擬於2026年第四季度就FT-003有關DME提交FDA的RMAT認定申請，並擬尋求於2027年第二季度召開III期臨床試驗前會議。在取得適用監管批准的規限下，我們擬於2027年底前在美國啟動FT-003就nAMD及DME的III期臨床試驗。我們相信我們在美國擁有足夠的研發能力，可通過與當地CRO合作推進FT-003的臨床開發。我們對此開發投入的資源規模及相關時間表，將取決於管理層對最新監管與市場狀況、競爭格局以及內部準備程度的判斷。我們或會考慮與當地合作夥伴合作，於美國將FT-003進行商業化。

FT-003未必能最終成功開發及商業化。

FT-001，一種用於治療RPE65相關IRD的rAAV基因療法，為我們的關鍵產品

概覽

FT-001是一款基因治療候選藥物，用於治療由RPE65雙等位基因突變引起的IRD，包括萊伯氏先天性黑蒙症2型(「LCA2」)及RP。該等病症的特徵通常為視力進行性且不可逆轉的下降，最終導致失明。目前，相關治療選擇仍極為有限。Luxturna®是美國及歐洲批准用於治療RPE65相關IRD的唯一基因療法，而尚無基因療法選項在中國獲批。

FT-001為我們於臨床開發階段最為領先的候選藥物，其穩健的臨床結果為我們的技術平台提供了早期驗證。FT-001於2025年6月獲得國家藥監局藥審中心的突破性治療認定。我們已於2025年2月在中國完成I/II期臨床試驗，且我們的III期臨床試驗方案已於2025年9月獲國家藥監局藥審中心批准。

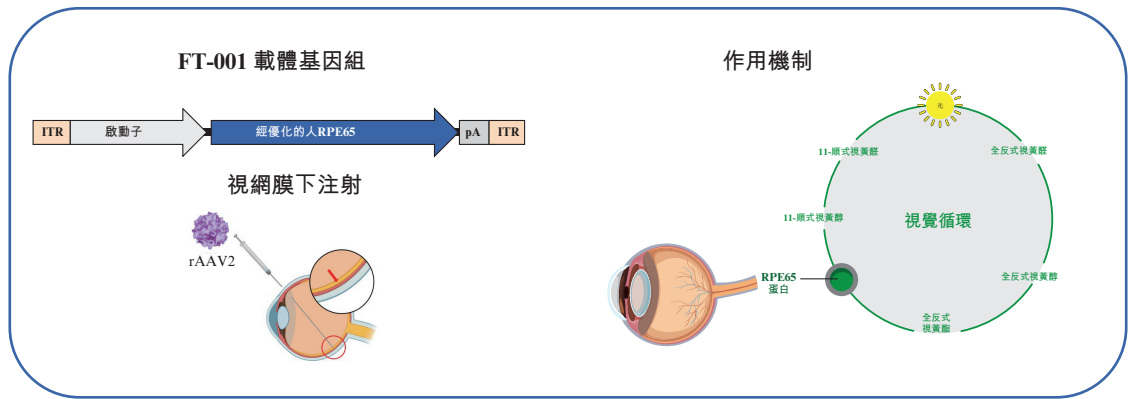
藥物設計及作用機制

視覺感知源於眼內視網膜光感受器將光信號轉化為生物電信號。作為視覺循環的一部分，此生物化學過程需要消耗及再生維生素A的衍生物11-順式視黃醛。參與11-順式視黃醛再生的一種酶是全反式視黃酯異構酶，一種在視網膜色素上皮中表達的65 kDa蛋白(即「RPE65蛋白」)。編碼該等RPE65蛋白的RPE65基因發生雙等位基因突變會損害11-順式視黃醛的再生，並最終導致光感受器進行性退化及視力喪失。

FT-001的治療策略核心是將功能性、經密碼子優化的人類RPE65基因引入視網膜色素上皮。此乃通過使用具有高效細胞轉導能力的rAAV載體以實現持續的基因表達。遺傳有效載荷被包裝在優化的表達盒內，以確保功能性RPE65蛋白的高水平及持久生產，從而促進視桿細胞及視錐細胞介導視覺所必需的11-順式視黃醛的再生。FT-001通過一次性視網膜下注射給藥，將病毒載體直接置於視網膜色素上皮細胞中。

業務

下圖說明FT-001的作用機制：



附註： ITR = 反向末端重複序列；pA = 多腺苷酸化信號。
資料來源： 文獻綜述

市場機遇與競爭

RPE65相關IRD是全球IRD患者群體中的一個重要組成部分。根據《常染色體隱性遺傳性視網膜疾病的全球攜帶者頻率和遺傳患病率(2020年)》，IRD合共影響全球500萬至1,000萬名患者，其中視網膜色素變性(RP)為最常見的形式，而萊伯氏先天性黑矇症(LCA)為最嚴重的早發性病症。RPE65相關IRD會導致患者進行性視力喪失，始於童年時期的夜盲症，並通常在成年早期發展為完全失明。於2025年，全球RPE65相關IRD患者人數約為5.15萬人，中國為7,900人。

目前RPE65相關IRD的治療格局仍然嚴重受限。常規管理依賴於支持性護理，包括營養補充劑及生活方式調整，此等措施可能減緩但無法阻止疾病進展。2017年，FDA批准Luxturna®上市，從而驗證了RPE65基因療法的療效。然而，Luxturna®目前每個療程的定價約為850,000美元，且尚未在中國獲批。中國及全球患者仍存在巨大的未滿足醫療需求。

FT-001的定位是填補此空白的潛在候選藥物。基於Luxturna®已證實的作用機制，FT-001融合了數項關鍵創新，包括一項顯著降低生產成本的生產工藝。此項突破將大幅提升治療的可及性及商業可行性。

根據弗若斯特沙利文的資料，截至最後實際可行日期，FT-001的全球競爭格局如表所示：

已獲批藥物

品牌名稱	藥物名稱	公司	載體類型	生產體系	靶點	首次批准日期	國家	給藥途徑	強度	價格	2025年 年度 銷售額 (百萬美元)
LUXTURNA®	Voretigene neparvovec	羅氏	AAV2	HEK293	RPE65	2017-12-19	美國	視網膜下	0.5毫升	850,000美元	46.6
						2018-11-22	歐洲				
						2023-06-01	日本				

資料來源： 藥審中心、弗若斯特沙利文報告

業 務

開發中藥物

給藥途徑	藥物名稱	公司	靶點	載體類型	階段	首次發佈日期	國家	生產系統
視網膜下	LX101	朗信生物	RPE65	AAV2	III期	2024-10-10	中國	不適用
	FT-001	Frontera Therapeutics	RPE65	AAV	III期 IND獲批	2025-09-26	中國	Bac/SP9
					I期 IND獲批	2022-07-19	美國	
	HG-004	輝大基因有限公司	RPE65	AAV9	I/II期	2023-06-18	中國、美國	不適用

資料來源： Clinicaltrial.gov、藥審中心、弗若斯特沙利文報告

主要優勢

FT-001憑藉以下主要優勢展現出潛力：

- 經優化的載體設計可實現高水平及持久的療效。FT-001採用經高效表達盒改造的rAAV載體。其中包括一個經密碼子優化及CpG減少的人RPE65基因，以及一個經優化的啟動子和內含子協同作用，以驅動穩健、高水平及持續的轉基因表達。
- 療效與現有療法相當。在I/II期臨床試驗中，FT-001展現的臨床獲益與Luxturna®所達致者相當，此乃基於非頭對頭比較。具體而言，FT-001在關鍵療效終點方面表現出相似或更佳的改善，例如行動能力測試（「MT」）及全視野刺激閾值（「FST」），兩者分別為公認的功能性視覺及視網膜敏感度測量指標。
- 可及性顯著提高。由於我們具成本效益的生產系統，據我們估計，與美國及歐洲唯一批准用於FT-001目標疾病的基因治療方案相比，FT-001的直接生產成本降低多達90%。此舉克服了患者可及性的一大障礙，實現了可供中國及全球廣大患者群體使用的具商業可行性及可持續性的治療方法。

臨床試驗數據概要

I期臨床試驗

試驗設計。FT-001的I期臨床試驗是一項開放標籤、劑量遞增研究，於8至45歲患有雙等位基因RPE65介導IRD的參與者中進行。設立了三個劑量隊列：(i)低劑量組：1.5×10¹⁰ vg／眼，(ii)中劑量組：7.5×10¹⁰ vg／眼，及(iii)高劑量組：1.5×10¹¹ vg／眼，參與者單眼接受單次視網膜下注射FT-001。合共9名參與者已獲招募並按1：1：1的比例隨機分配至該三個組別，每組包括3名參與者。

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)年齡介乎8至45歲的男性及女性參與者；(ii)臨床診斷為由已確認的雙等位基因RPE65突變引起的LCA2或RP；及(iii)雙眼視力低於20/60。該試驗的主要排除標準包括但不限於(i)參與者患有其他可能影響研究結果的干擾性眼疾；(ii)參與者患有其他視網膜退化性疾病；(iii)參與者有相關治療記錄及／或過敏史，包括近期眼部手術、其他臨床試驗或對試驗中使用的材料過敏；及(iv)抗AAV2中和抗體滴度大於1:1,000。

接受FT-001後，最後一名參與者完成為期8週的觀察，並根據藥審中心批准的試驗方案，舉行iDMC會議以審查所有參與者的安全性及耐受性數據，並確認

業 務

啟動II期劑量擴展研究。同時，所有參與者須完成為期52週的隨訪。完成第52週訪視或提早退出的參與者進入直至注射FT-001後五年的長期隨訪期。

試驗目標。主要目標為評估FT-001的安全性、耐受性及初步療效。主要終點與注射後28天內的安全性及耐受性有關，包括DLT以及AE及SAE事件。次要終點與12週內的初步療效(例如MT自基線的變化)、免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該臨床試驗於2023年1月啟動，並於2023年10月完成。其後，iDMC會議對主要終點(啟動II期臨床試驗的唯一先決條件)進行評估，確認啟動該試驗。此外，次要終點於2023年12月進行評估，且已達到試驗目標。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

安全性數據。I期臨床試驗的結果表明FT-001具有良好的安全性及耐受性。未觀察到DLT。大部分治療期間出現的不良事件(TEAE)與視網膜下注射的外科手術程序有關，例如結膜充血、結膜出血、晶狀體混濁及前房細胞，且已在無干預或使用局部類固醇的情況下消退。在長期隨訪中，所有參與者均未報告RPE萎縮或色素沉著。三名參與者(低劑量組一名及高劑量組兩名)報告了嚴重程度為3級或以上的AE，包括視網膜脫落、視力惡化及耳朵腫脹。其中，僅在低劑量組觀察到的視網膜脫落經評估與FT-001有關。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。

就12週內的AAV脫落而言，在施用FT-001後，參與者的外周血中未檢測到AAV脫落。在大多數參與者的研究眼及／或對側眼的淚液中檢測到短暫、低濃度的載體基因組DNA，但未觀察到持續的AAV脫落。

II期臨床試驗

試驗設計。FT-001的II期臨床試驗是一項開放標籤、劑量擴展研究，於8至45歲患有雙等位基因RPE65介導IRD的參與者中進行。在II期試驗中，五名來自I期試驗的合資格參與者在其對側眼接受了隨後的高劑量(即 1.5×10^{11} vg／眼)注射。

該試驗的主要納入標準包括但不限於(i)曾參與I期臨床試驗；及(ii)經確認有足夠的功能性視網膜細胞。該試驗的主要排除標準與I期臨床試驗的標準相同。

接受FT-001後，所有參與者已完成為期52週的隨訪，以評估FT-001的安全性、療效、免疫原性及AAV脫落。在完成第52週訪視或提早退出後，參與者已進入長達5年的長期隨訪。

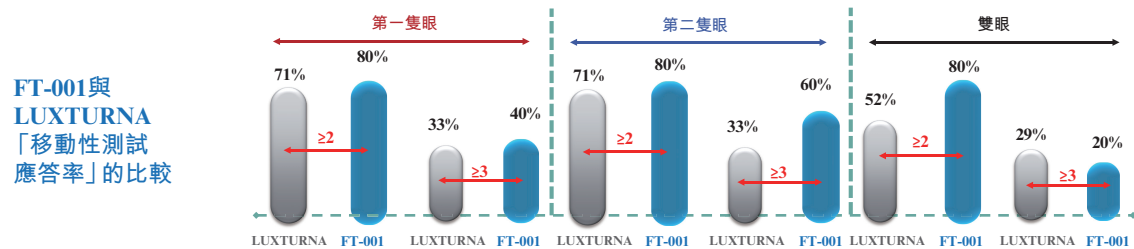
試驗目標。主要目標為評估FT-001的安全性、耐受性及療效。主要終點與第52週的療效(MT自基線的變化)及注射後52週內的安全性有關。次要終點與52週內的療效、免疫原性及AAV脫落有關。

試驗狀態。該II期臨床試驗於2023年12月啟動，並於2025年2月完成。試驗完成後，所有終點均達到試驗目標。所有參與者均須接受為期五年的長期隨訪。

療效數據。II期臨床試驗的結果表明療效穩健且具臨床意義。

業務

下圖提供了FT-001的I/II期合併臨床試驗結果與Luxturna在「應答率」(一項衡量在第52週時，參與者在多亮度活動視力測試(「MT」)中較基線改善至少兩個光照水平的百分比的指標)方面的非頭對頭比較。



附註：臨床數據並非來自頭對頭臨床試驗，因此不具直接可比性。

資料來源：公司數據、文獻綜述

安全性數據。II期臨床試驗的結果表明FT-001具有良好的安全性及耐受性。未觀察到DLT。於整個研究過程中並無觀察到3級或以上的AE。並無發生導致患者退出或研究中止的不良事件。

就52週內的AAV脫落而言，在施用FT-001後，參與者的外周血中未檢測到AAV脫落。在大多數參與者的注射眼及／或非注射眼的淚液中檢測到短暫、低濃度的載體基因組DNA，但未觀察到持續的AAV脫落。

監管機構重大溝通及下一步計劃

FT-001於2025年6月獲得國家藥監局藥審中心的突破性治療認定。我們已於2025年2月在中國完成I/II期臨床試驗，且我們的III期臨床試驗方案已於2025年9月獲藥審中心批准。我們尚未確認在中國繼續進行FT-001臨床開發的時間表，並預期將根據我們可動用的資源量、其他候選藥物的臨床進展及其他外部因素靈活調整我們的時間表。我們尚未確認在短期內進一步開發FT-001的具體計劃，主要是因為我們分配資源以優先進行我們核心產品的臨床開發，我們預期該等產品將為我們的投資帶來更好的回報，我們核心產品的目標適應症的患病率及潛在市場總額較RPE65相關IRD更為顯著，且已有獲批的基因療法產品治療RPE65相關IRD。為免生疑問，我們的決定並非因FT-001的任何安全性或療效結果所致，且FT-001的開發並未對我們的營運及業務前景或我們其他候選基因療法的臨床開發產生任何重大不利影響。

展望未來，我們預期會考慮業務發展機會，以促進FT-001的臨床應用。我們或會考慮如何藉助利好政策(例如在中國選定的行業試驗區內，於該等試驗區內若干療法可在國家藥監局批准前獲准使用)。

FT-001未必能最終成功開發及商業化。

其他眼科疾病候選藥物

FT-023

FT-023是一種處於臨床前階段的基因療法候選藥物，用於治療nAMD、DME及DR。FT-023透過玻璃體內注射給藥，專注於多種生物途徑，包括VEGF抑

業 務

制以及兩種額外的互補治療機制。與抗VEGF療法相比，FT-023預期可對nAMD及DME患者產生更廣泛及更持久的療效。

已發表的文獻表明，全球約20%至40%的nAMD患者及30%至50%的DME患者可能對抗VEGF療法反應不足或欠佳，而在中國的臨床實踐中亦觀察到類似的未滿足需求。由於作用機制與FT-003不同，且靶向另外兩個生物途徑，FT-023有潛力成為該等nAMD及DME患者的有效療法。我們預計為FT-023及FT-003的臨床試驗招募具有不同特徵的參與者，並獨立評估其療效及安全性。FT-003旨在靶向對抗VEGF療法有充分應答的患者，並提供一種持久、低負擔的療法以替代重複的抗VEGF注射，而FT-023則旨在靶向對抗VEGF療法應答不足或欠佳的患者。由於我們特意區分FT-023及FT-003的目標患者群，我們預計該兩種候選產品不會相互產生重大蠶食。

迄今為止，來自急性或慢性視網膜新生血管兔模型的臨床前藥理學評估結果表明，與陽性對照藥Aflibercept相比，FT-023候選藥物表現出持續的血管滲漏抑制作用。該等研究結果表明，FT-023不僅能阻斷VEGF通路，還可能恢復視網膜脈管系統的完整性並減少視網膜血管炎症，從而實現對新生血管的抑制及對水腫的壓制。

其他心血管疾病候選藥物

在心血管疾病領域，我們的管線包括用於治療MYBPC3基因突變引起的HCM和PKP2基因突變引起的ARVC的基因療法，這兩種疾病均為嚴重的遺傳驅動性疾病，治療方案有限且存在重大的未滿足需求。

FT-017

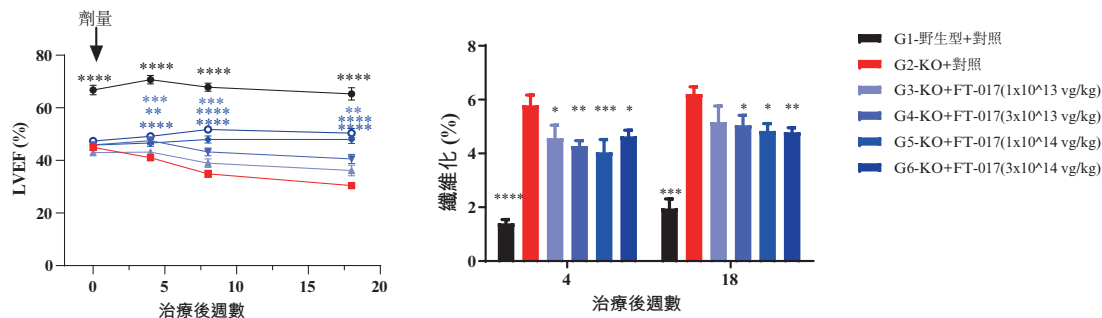
FT-017是一款rAAV基因療法候選藥物，旨在用於治療由MYBPC3基因突變引起的HCM。HCM是一種常見的遺傳性心血管疾病，其特徵為心室壁異常增厚(尤其是左心室)，並與心房顫動、中風、心力衰竭及心源性猝死的風險增加有關。全球HCM帶來的負擔沉重，2025年全球有1,790萬名患者，其中中國有300萬名。在HCM患者中，由MYBPC3基因突變引起的HCM被公認為HCM最常見的遺傳原因之一，全球有770萬名患者，其中於2025年中國約有120萬名。儘管已有對症治療和外科手術干預措施，但目前尚無獲批的療法可直接解決MYBPC3突變型HCM的根本遺傳原因，存在巨大的未滿足醫療需求。

FT-017載體構建採用心臟特異性啟動子設計，以確保密碼子優化的、編碼心肌肌球蛋白結合蛋白C(「**cMyBP-C**」)的MYBPC3基因僅在心肌細胞中表達，從而最大限度地減少在肝臟及骨骼肌等非心臟組織中的脫靶效應。該療法通過靜脈注射給藥，可實現全身性遞送並高效轉導心臟組織。這種靶向方法旨在恢復cMyBP-C的表達，cMyBP-C是正常心肌收縮和結構的關鍵組成部分。

臨床前研究表明，FT-017可在小鼠心肌中表達cMyBP-C蛋白，從而改善模型小鼠的心臟功能及結構。在MYBPC3基因敲除小鼠模型中，FT-017可致左心室射血分數(「**LVEF**」)顯著增加、心臟纖維化減少及心臟形態正常化。在新生、幼年及成年小鼠中均觀察到該等治療效果，凸顯了FT-017惠及廣大HCM患者的潛力。重要的是，組織特異性表達得證實，在非心臟組織中基因表達量極低甚至檢測不

業 務

到，這為安全性提供了數據支持。於非人靈長類動物（「NHP」）中進行的毒理學研究進一步證實了FT-017的安全性，未觀察到肝毒性、血栓性微血管病（「TMA」）、心臟毒性或神經毒性。



數據以平均值±標準誤差呈列。第4/8/18週：N=8~24

(* $P<0.05$, ** $P<0.01$, *** $P<0.001$, **** $P<0.0001$ (與G2模型+載體相比)，雙因素方差分析及Dunnett檢驗)

資料來源：公司數據

FT-017已達到關鍵的監管里程碑，於2025年4月獲得國家藥監局及FDA的IND批准，其為針對MYBPC3突變型HCM、中國首個進入臨床試驗的rAAV基因療法，使FT-017處於遺傳性心肌病領域創新的前沿。

根據我們目前的開發計劃，我們預計於2027年第四季度在中國啟動FT-017的I期臨床試驗，並於2028年第四季度在中國開始FT-017的II期臨床試驗。我們目前預計於2027年第四季度在美國啟動I期臨床試驗。

FT-018

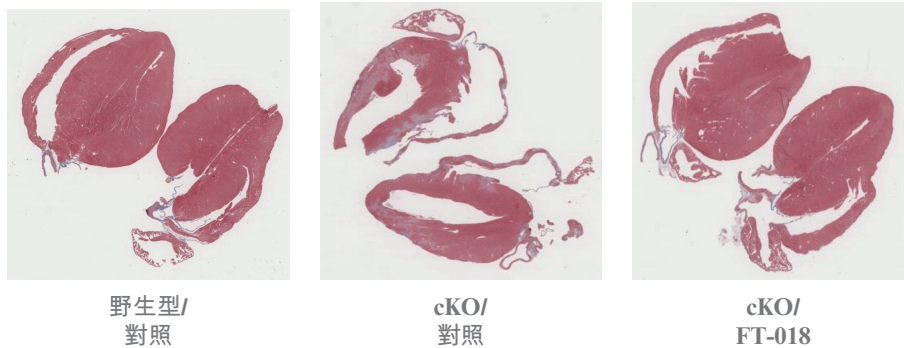
FT-018是一款處於臨床前階段、rAAV基因療法候選藥物，用於治療由PKP2基因突變引起的ARVC。ARVC是一種遺傳性心肌病，會顯著增加心律失常性源性猝死的風險，尤其是在年輕人及運動員中。該疾病的特點是進行性心肌喪失、纖維脂肪替代、室性心律失常及心力衰竭。全球ARVC帶來的負擔沉重，2025年全球有180萬名患者，其中中國有約40萬名。PKP2基因突變是ARVC最常見的遺傳原因，但目前尚無獲批的療法可解決潛在的分子缺陷，凸顯了關鍵的未滿足需求。據估計，2025年全球有541,900名由PKP2基因突變引起的ARVC患者，其中中國有超過164,400名。

FT-018採用經過優化及精密的載體設計，將功能性PKP2基因特異性地遞送至心肌組織。該基因盒經過工程改造，可確保PKP2蛋白在心臟中的穩健及持久表達，從而恢復心肌的正常細胞間粘附、收縮功能及電穩定性。通過靶向ARVC的根本原因，FT-018旨在阻止或逆轉疾病進展，預防進一步的組織纖維化，並改善整體心臟功能。

在PKP2條件性基因敲除（「cKO」）小鼠模型的研究表明，FT-018治療可恢復模型小鼠心臟結構及功能。FT-018在小鼠心臟特異性穩健表達PKP2，心肌纖維化減少、心力衰竭生物標誌物正常化，並顯著提高受治動物的存活率。組織學分析證實心臟形態得到改善，病理性重塑減少。此外，在野生型小鼠中進行的毒理學研究表明，FT-018具有良好的耐受性，在全身性給藥後未觀察到重大安全問題。

業務

下圖分別說明野生型對照模型的心臟結構、PKP2基因敲除4週後對照模型的心臟結構，以及PKP2基因敲除4週後接受FT-018治療的模型的心臟結構，顯示心臟結構顯著改善及纖維化減少。



資料來源：公司數據

FT-018的載體設計及令人信服的臨床前療效及安全性數據支持其成為治療PKP2相關ARVC的基因療法的潛力。該項目正處於臨床前開發階段，目標是啟動臨床研究，以解決患有此危及生命的心血管疾病的患者的巨大未滿足需求。

其他早期候選藥物

除上文討論的候選藥物外，我們正利用我們EXACTE™研發平台及AAVANCE™生產平台的經驗證多功能性，探索開發目前處於臨床前或早期臨床階段的靶向眼科、心血管、神經及血液疾病的其他候選藥物。此方法凸顯了我們平台的廣泛適用性及可擴展性，使我們能夠應對超出我們初始重點領域的其他類別疾病。下文載列該等早期候選藥物的兩個例子。

FT-019

FT-019為早期候選藥物，旨在針對一種未披露的慢性退行性眼科適應症，其特點是存在大量未滿足的醫療需求且缺乏根治性治療方案。其乃透過視網膜下注射給藥。我們的策略是結合多種疾病途徑的調節，以達致更佳的治疗效果。

FT-022

FT-022為早期候選藥物，旨在針對帕金森病，一種以對運動功能至關重要的特定神經元逐漸喪失為特徵的進行性神經退行性系統疾病。目前的療法僅能緩解症狀，而不能解決潛在的疾病機制。我們的基因療法旨在同時調節多個關鍵疾病途徑，以恢復神經元功能並延緩退化。FT-022的給藥途徑有待確認。倘若成功，其有潛力提供持久的治療獲益。

我們的技術平台

EXACTE™研發平台

概覽

EXACTE™是我們自主開發的rAAV基因療法研發平台，整合了從載體設計和工程化，到候選藥物篩選和臨床前驗證的先進技術和方法。截至最後實際可行

業務

日期，我們產品管線中所有六款自主開發的rAAV基因療法候選藥物均已透過我們的EXACTE™研發平台識別及篩選。

主要特點

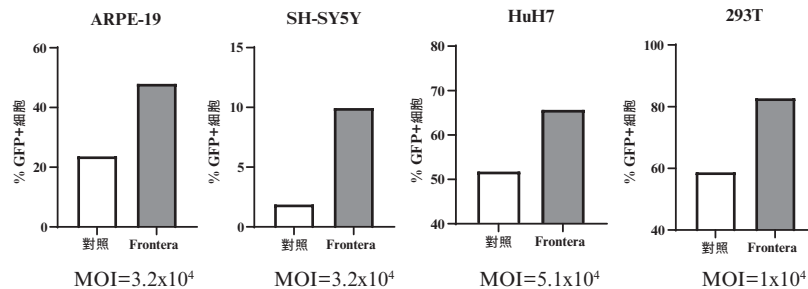
衣殼工程

EXACTE™採用理性設計及誘變方法來改造AAV衣殼變體，以提高組織趨向性及轉導效率。組織趨向性是指rAAV載體選擇性靶向及轉導特定組織或細胞類型的能力，這對於最大限度地提高治療效果及最大限度地減少脫靶效應或非靶組織中的不必要分佈或轉導至關重要。轉導效率描述了rAAV載體將其基因載荷遞送至靶細胞的有效程度，直接影響基因療法的效力。

EXACTE™亦結合桿狀病毒rep/cap載體設計，該設計專為與我們基於Bac/Sf9的AAVANCE™生產平台兼容而設。該設計能夠生產具有更高生物活性及更佳顆粒完整性的rAAV載體。

通過EXACTE™實現的桿狀病毒rep/cap載體設計，我們顯著改善了使用基於Bac/Sf9的rAAV基因療法生產基礎設施生產的rAAV載體的產量及功能質量。具體而言，我們的rep/cap載體設計已產生更有利的rAAV衣殼蛋白VP1、VP2及VP3比例，此對病毒載體的結構完整性及感染性至關重要。體外研究表明，這些AAV2載體在多種細胞類型中表現出更高的感染效率。這意味著，對於給定劑量，更大比例的靶細胞被成功轉導，從而導致更穩健的基因表達。增強的轉導效率說明與對照設計生產的載體相比，優化的AAV2載體具有的性能。

轉導效率比較



資料來源：公司數據

載荷工程

EXACTE™利用先進策略優化每種候選療法的基因載荷：

- 進行密碼子優化以最大限度地提高治療基因在靶組織中的表達，確保所遞送的基因能有效地轉譯為所需的蛋白質。
- 我們調控CpG基序數量，以降低針對AAV基因組產生免疫反應的風險。CpG基序是可觸發先天性免疫活化的短DNA序列；降低其頻率有助於最大限度地減少免疫原性及潛在不良反應。

業 務

- 根據治療適應症的要求，系統地選擇及改造**調控元件**(包括啟動子、內含子及多腺苷酸化信號)，以實現廣泛或組織特異性的表達譜。這使得機體中治療性蛋白的表達部位和表達量均能得到精準調控。
- 亦應用**蛋白質工程**來增強所表達的治療蛋白的功能或活性，進一步提高基因療法的臨床潛力及持久性。

該等策略一起有助於實現表達更高及更持久的治療蛋白的水平、改善安全性並降低免疫相關副作用的風險。

候選藥物篩選

EXACTE™整合了全面的體外及體內篩選系統，以在臨床前階段評估候選構建體的分佈、療效、安全性及毒性。這種穩健的篩選框架能夠識別具有最佳治療特徵和降低安全性風險的先導候選藥物，從而提高成功轉化為臨床開發的可能性。該平台的篩選能力支持快速迭代和數據驅動的決策，從而實現從發現到IND申報研究的有效進展。通過採用高通量和系統性篩選，EXACTE™加快了最具潛力候選藥物的選擇，縮短了開發時間，並增加了臨床和商業成功的可能性。

AAVANCE™生產平台

概覽

我們已建立自主開發的AAVANCE™生產平台，以實現可擴展、高品質及低成本的rAAV基因療法產品的生產。作為中國唯一一家擁有內部臨床階段、基於Bac/Sf9的大規模GMP生產能力的公司，我們已建立強大的生產基礎設施，支持從臨床前研究到商業規模生產的整個開發過程。截至最後實際可行日期，我們產品管線中所有六款自主開發的rAAV基因療法候選藥物均依賴我們的AAVANCE™生產平台生產用於臨床試驗的基因療法藥物產品及相關材料。

基於Bac/Sf9的生產需要大量的專業知識及前期投資方能實施，我們認為這對潛在競爭對手(尤其是那些已實施不同生產系統的競爭對手)構成了重大的進入壁壘。

對AAVANCE™生產平台開發作出貢獻的關鍵人員包括我們的生產主管楊鵬、我們的質控主管李愛群，以及若干前僱員，包括Hongxiang Lu、Ting Yang及Yiling Fang。楊鵬及李愛群自2021年加入我們以來一直負責我們的生產活動，包括持續優化生產平台。此外，我們之前擁有一支駐美國的工藝開發及分析開發團隊，負責AAVANCE™生產平台的早期開發工作。該團隊的主要成員包括我們的前高級副總裁Hongxiang Lu(其負責我們工藝開發及分析開發團隊日常營運的整體管理)、我們的前高級總監Ting Yang(其負責上游及下游工藝開發)及我們的前高級總監Yiling Fang(其負責工藝開發過程中的分析方法開發及樣本測試)。上述三名人士於2024年末至2025年初期間離開本公司，彼等的離職並未對我們的研發或生產能力產生重大不利影響，原因為(i)在我們的生產主管楊鵬及質控主管李愛群的領

業 務

導下，我們已開發出成熟且可商業化的產品生產方法；(ii)該等前僱員的職責已由包括楊鵬及李愛群在內的其他團隊成員自然承擔；及(iii)該等前僱員均受知識產權轉讓條款所規限，將其於相關專利的所有權利轉讓予我們。

主要特點

多功能性及安全性

我們開發了無彈狀病毒Bac/Sf9細胞系，通過嚴格的篩選和分子測試進行驗證，以確保我們生產系統的安全性和可靠性。該特點降低了彈狀病毒污染的風險(昆蟲細胞製造中的已知挑戰)，並鞏固了我們基因療法產品的安全性。AAVANCE™平台已通過驗證，可用於生產多種AAV血清型(包括AAV2、AAV5、AAV8及AAV9)及其變體，支持廣泛且多樣化的基因療法候選藥物管線。AAVANCE™已證明其能夠支持跨多個治療領域開發多種基因療法候選藥物，這體現在我們不斷擴大的管線中。AAVANCE™促進了候選藥物從臨床前階段到臨床後期的快速進展。該等成就證明了該平台的多功能性及其滿足臨床和商業需求的能力。

更重要的是，我們的AAVANCE™平台技術已將空殼率控制在1%以下，根據弗若斯特沙利文的資料，行業常規水平為接近30%。空殼率過高並非理想狀態，因為它們會通過稀釋活性治療載體的比例而降低基因療法產品的整體效力，並增加免疫反應的風險。通過最大限度地降低空殼率，AAVANCE™確保更大部分製造的rAAV顆粒完全具備功能，這既提高了最終基因療法產品的安全性及療效，也支持了更具成本效益的大規模生產。

大規模生產及顯著的成本優勢

我們的AAVANCE™生產平台能夠大規模生產高質量的基因療法，具有卓越的效率及成本優勢。AAVANCE™擁有行業領先的200公升生物反應器用於眼內產品、500公升生物反應器用於全身系統給藥產品的產能。在積累了廣泛的技術經驗後，我們已證明可從2公升一步放大至500公升，而產量或質量並無損失。

目前，實驗室規模的rAAV生產通常實現介乎 10^{12} – 10^{14} vg/L的產率；相比之下，根據弗若斯特沙利文的資料，我們的生物反應器實現了超過 10^{15} vg/L的行業領先上游生產產率，使我們躋身該方面的行業領先者之列。我們的高產量、高純度生產亦促進了工藝穩定性，使我們能夠達到50%的下游純化收率。我們使用200L生物反應器生產用於治療眼科疾病的rAAV載體，或使用500L生物反應器生產用於治療心血管疾病的rAAV載體。就每批次而言，上游工序通常產生 2.0×10^{14} vg/L至 1.0×10^{15} vg/L的培養物。經下游純化後，總回收率為30%–50%，每批次總共產出約 1.6×10^{16} 至 2.5×10^{17} vg。經配方及灌裝後，一個批次通常可提供約1,200至60,000個已灌裝藥瓶(確切數量取決於特定項目的灌裝體積及產量)。我們擁有充足的產能支持臨床開發及初步商業化，且與其他常用方法相比，基於Bac/Sf9的生產更易獲得，且擴產所需的培養基及基礎設施成本更低，這有助於在需要時及按需進行進一步擴展。

我們在開發基因治療藥物方面的成本優勢支持了更低的定價及更高的可及性。據我們估計，與美國及歐洲唯一批准用於FT-001目標疾病的rAAV基因療法產品相比，FT-001的直接生產成本降低多達90%。

商業化準備及監管成功

我們位於蘇州的生產設施完全符合現行GMP標準，其設計旨在滿足FDA、EMA及國家藥監局的監管要求。該設施配備齊全，可支持從中試規模到GMP商

業 務

業化生產的所有階段，確保產品質量一致及監管就緒。我們已實施覆蓋整個生產過程的綜合質量保證／質量控制體系，使我們能夠保持高水平的產品質量一致性。

我們已為六個項目實施了滿足美國及中國臨床試驗產品質量要求的產品工藝。我們的生產往績記錄證明了AAVANCE™的穩健性及可靠性，已成功生產並放行10個符合GMP的200公升及500公升規模批次，成功率達100%。

研究及開發

概覽

我們是一家生物技術公司，專注於利用我們的EXACTE™研發平台及AAVANCE™生產平台開發rAAV基因療法。我們自主開發我們所有的候選產品，並持有其全部全球知識產權。我們獨家擁有所有由我們提交的有關我們兩款核心產品的專利申請，且並無向第三方授出該等待決專利的許可。我們認為，概無有關我們任何一款核心產品的有效第三方專利可對我們強制執行。因此，我們擁有對我們兩款核心產品進行研發及商業化的全部及獨立權利。

迄今為止，我們已獲得國家藥監局和FDA的12項IND批准，根據弗若斯特沙利文的資料，令我們成為中國獲得IND批准數量最多的rAAV基因療法開發公司之一。自成立以來，我們已成功將三款候選藥物推進臨床開發，其中一款候選藥物已獲批進入III期臨床試驗，兩款候選藥物已完成II期臨床試驗，進一步彰顯了我們在藥物開發方面的強勁往績記錄。該等成就證明了我們高效的執行能力及跨地區有效協作的能力。

引進授權方法

rAAV基因療法的研發通常包括(i)衣殼及(ii)衣殼內目標基因的開發。我們為所有候選產品獨立開發了衣殼及目標基因。就FT-001及FT-002而言，我們自第三方Virovek Inc.許可一項與高效及大規模生產AAV衣殼有關的商品化方法，該方法獨立於候選藥物的設計、結構或序列。使用許可人的專利方法生產的所得衣殼不受許可人或其他方持有的任何進一步專利所規限，而我們擁有FT-001及FT-002的待決專利，其整體由本公司獨家設計及開發，並由衣殼及目標基因組成。

Virovek Inc.為一家獨立的美國生物科技公司，其向全球範圍內多間其他公司提供類似許可。許可範圍並非針對任何適應症，且在全球範圍內有效。由於許可引進安排涉及方法而非產品，故許可引進的方法並無適用的開發階段，且我們並未且預期不會投資於許可引進方法的研發。我們有關FT-001及FT-002的專有技術及知識產權由我們擁有，並非基於引入授權方法或受任何許可協議所規限。我們有關FT-001及FT-002的待決專利並無引用許可方法。我們許可了此項第三方方法，該方法為一種商品化方法，可從rAAV行業的多個供應商(包括大量CDMO)輕易獲得，原因為我們處於開發的極早期階段，並認為專注於rAAV基因療法開發的其他更實質性部分對我們而言更有效率。我們其後開發的自有衣殼生產方法(已用於我們的其他核心產品FT-003及其他候選產品)亦證實我們有能力不依賴該引入授權方法。

業 務

就我們與許可方的關鍵權利及義務而言，我們的付款責任包括(i)一筆已結清的一次性預付款項；(ii)根據相關產品的臨床開發狀況而變化的年度許可費；(iii)特許權使用費，金額相當於相關產品於其商業銷售後10年內或(倘為較後者)直至許可人的相關專利權屆滿為止的淨銷售額的1%，惟在無相關專利權的國家，該費用可下調至淨銷售額的0.5%；及(iv)與啟動I期及III期臨床試驗以及提交NDA有關的若干里程碑付款，金額介乎25,000美元至100,000美元。因此，於往績記錄期間，我們就該許可向許可方支付合共25,000美元。於FT-001及FT-002商業化後，我們將須向許可方支付額外費用，包括上文所述的里程碑付款及特許權使用費。我們可隨時終止本協議，惟須提前90天發出書面通知，而許可方僅可因故終止協議。許可協議受馬薩諸塞州法律管轄，爭議可提交至位於馬薩諸塞州的州及聯邦法院。

我們認為，該許可不會對我們的業務運營或我們商業化候選藥物的能力產生任何重大影響，原因如下：(i)誠如上文所討論，我們是FT-001及FT-002的有效成分(衣殼及目的基因的設計及優化)的獨家發明人；(ii)許可引進的方法是一種以非獨家基準提供給我們的商品化方法，並可透過多家基因療法CDMO在市場上廣泛獲得；(iii)就FT-003及我們管線中的後續產品而言，我們並無使用該引入授權方法，而是使用我們自有的方法，該方法是引入授權方法的替代方法；(iv)我們向許可方支付的費用僅佔我們於往績記錄期間總體研究成本的極小部分；及(v)我們是我們核心產品及主要產品的獨家保薦人及獨家營銷授權持有人，且許可引進安排中並無聯合指導委員會安排允許任何第三方影響該方法的使用—因此，我們獨家負責FT-001及FT-002的臨床開發及營銷。

研發開支

於往績記錄期間，我們的研發開支主要包括藥物發現、臨床前及臨床試驗開支、生產開支、註冊及監管事宜開支以及員工成本。

截至2024年及2025年12月31日止年度，我們的研發開支分別為20.6百萬美元及13.9百萬美元，分別佔我們總營運開支(定義為相應年度的研發開支與一般及行政開支的總和)的74.6%及73.1%。截至2025年及2026年6月30日止六個月，我們的研發開支分別為7.1百萬美元及5.3百萬美元，分別佔我們總營運開支的72.4%及68.6%。

截至2024年及2025年12月31日止年度，我們錄得的核心產品之一FT-002應佔研發開支分別為2.2百萬美元及1.7百萬美元，分別佔我們總研發開支的10.6%及12.5%。截至2025年及2026年6月30日止六個月，我們錄得的核心產品之一FT-002應佔研發開支分別為0.6百萬美元及1.0百萬美元，分別佔我們總研發開支的8.7%及18.7%。

截至2024年及2025年12月31日止年度，我們錄得的核心產品之一FT-003應佔研發開支分別為4.0百萬美元及6.0百萬美元，分別佔我們總研發開支的19.6%及43.1%。截至2025年及2026年6月30日止六個月，我們錄得的核心產品之一FT-003應佔研發開支分別為2.8百萬美元及3.2百萬美元，分別佔我們總研發開支的39.5%及60.8%。

業 務

研發開支(包括核心產品應佔的研發開支)詳情，請參閱「財務資料 — 我們的經營業績主要組成部分的說明 — 研發開支」一節。

研發團隊

截至2026年6月30日，我們的內部研發團隊由37名成員組成，遍布中國及美國，其中超過56%擁有博士或碩士學位，主要專業領域為醫學、生物學、藥理學及化學以及其他相關領域。我們的研發團隊平均行業經驗超過十年。

我們研發團隊成員擁有深厚的科學才能及豐富的跨國製藥企業工作經驗。我們的研發團隊包括由藥物發現團隊、臨床前及轉化醫學團隊、臨床開發團隊及CMC團隊組成。此外，我們與CRO等外部研究合作夥伴合作。

值得注意的是，我們的研究領導團隊在基因療法研究方面擁有豐富的往績經驗，並在推動創新基因治療藥物方面取得了良好往績記錄。我們的內部研發團隊由我們的首席執行官及首席醫學官李新燕博士及我們的高級副總裁兼研發負責人施中東博士領導。

李新燕博士負責制定我們的整體發展戰略，並就臨床前研究、轉化醫學、臨床開發、生產及監管事務等關鍵業務分部提供指導。加入我們之前，李博士已於創新生物製藥領域擁有逾20年經驗，擁有近10年科研經驗，並在分子生物學、免疫學以及細胞及基因療法方面擁有深厚專業知識。李博士先前曾於法國蒙彼利埃大學醫學院擔任訪問學者，從事基因及細胞治療的研究，並憑藉其在江蘇省及上海市具影響力的科學研究，榮獲多個著名獎項，以表彰彼對醫學研究及創新的貢獻，其中包括於2024年獲得浦東新區「明珠計劃」領軍人才及於2023年獲得江蘇省「雙創人才」。李博士在監督全球藥物開發的全生命週期方面擁有豐富經驗。在愷興生命任職期間，李博士領導臨床前及臨床營運、醫學事務及監管策略，並取得了重大里程碑，包括CT041(一種抗CLDN18.2 CAR-T療法)獲得FDA及國家藥監局的IND批准，以及在中國啟動CT053(一種全人源BCMA CAR-T療法)的關鍵性II期試驗。李博士早於2020年11月制定了我們核心產品的開發計劃，此後一直領導我們研發策略的制定及執行。有關李博士的背景以及其與彼於本公司從事的rAAV基因療法工作的關係的更多詳情，請參閱「董事及高級管理人員—董事會—執行董事」。

施中東博士作為我們最早期的員工之一，主導我們的研究與開發策略及活動，並監督所有研發計劃。施博士在先前工作中於病毒載體設計及生產、基因編輯、幹細胞分化及疾病建模方面擁有豐富經驗，所有該等技術均為開發細胞及基因療法的關鍵技術。施博士在加入我們之前於生物技術行業任職期間，儘管其開發的產品為幹細胞療法及CAR-T療法，但其工作專注於載體設計，包括慢病毒載體及AAV載體，以及使用該等病毒載體將目標基因遞送至幹細胞及T細胞以生產細胞療法產品。該等在病毒載體設計、生產及應用方面的直接實踐經驗使施博士成為我們早期建立研發能力的關鍵一員，亦是我們核心產品初步發現及開發的主要貢獻者。在與我們共事期間，施博士持續引導我們的研發重點與資源投向更具影響力且更高效的臨床開發方向。施博士為我們重要專利的發明人以及我們研發平台EXACTE™的唯一開發者。

我們的臨床前研究及轉化醫學職能由高級總監Chao Ren博士領導，彼持有

業 務

華威大學生物學博士學位，並在領先的生物技術公司擁有13年經驗。我們的臨床營運職能由高級總監薛明慧先生領導，彼在多家行業領先的生物技術公司擁有16年經驗。我們的CMC職能由生產負責人楊鵬先生領導，彼在頂尖生物技術公司擁有17年經驗。我們的質量職能由李愛群博士領導，彼獲得普渡大學細胞生物學博士學位，並在領先的生物技術公司和研究機構擁有16年經驗。連同李博士及施博士，上述僱員為本公司於往績記錄期間及截至最後實際可行日期的主要研發人員（「主要研發人員」）。於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，所有領導我們核心產品FT-002及FT-003發現及開發的主要研發人員仍為本公司僱員。彼等自我們核心產品的初始階段起已廣泛參與其開發，並指導核心產品的開發直至取得IND批准及執行臨床試驗。

於2021年3月至2023年5月期間，戴勇博士擔任我們當時的行政總裁。於2022年5月至2024年1月期間，Dean Falb博士擔任我們當時的首席科學官。在戴博士加入我們前後及Falb博士加入前，李博士及我們的研發團隊已大致完成我們核心產品的病毒載體構建及篩選，並於其後不久就功效及安全展開臨床前研究。於彼等任職本公司期間，戴博士及Falb博士均常駐美國，主要負責在藥物發現及早期臨床前研究方面提供領導及管理監督，此與我們當時在美國專注於藥物發現的策略一致。具體而言，彼等參與了初步的早期決策，例如選擇初始技術路徑及制定研發策略，連同其他人士（包括我們當時的首席醫學官李新燕博士）。作為我們當時的行政總裁，戴博士負責並致力於管理我們的整體發展、協調內部及外部資源、促進我們中國及美國團隊之間的溝通以及監督我們的財務。作為我們當時的首席科學官，Falb博士負責並致力於推動我們核心產品的臨床前功效及安全研究，該等研究於彼加入我們之前已經啟動。同時，具體的藥物發現工作，例如早期載體構建與設計、目的基因設計以及早期臨床前研究的設計與建立，乃由李博士及施博士領導及完成。我們EXACTE™ rAAV基因療法研發平台的設計與建立乃由施博士進行及實施。自我們生產能力建立以來，我們開發的生產製造方面一直由李博士領導。於2023年及2024年，因應我們的藥物發現進展、其後技術路徑的選定及核心產品在中國朝臨床試驗的內部發展，我們調整並重新平衡於中國及美國的重心，戴博士及Falb博士因而離開本公司。於彼等離任後，在戴博士及Falb博士離任前已與彼等共同履行相關管理、科學及臨床前開發職能的李新燕博士及施中東博士，順理成章地接替了彼等的職責。我們核心產品的I期臨床試驗（FT-002於2024年4月、FT-003就nAMD於2023年8月及FT-003就DME於2023年12月）均於戴博士離任後及Falb博士離任前後啟動。戴博士及Falb博士均非我們任何專利的發明人。由於我們的戰略調整及重新平衡重點，我們的美國人員主要專注於臨床前研究，而臨床階段開發則主要在中國進行。戴博士及Falb博士離任並未對我們的研發能力或我們的臨床開發進度造成重大不利影響。

此外，誠如「附錄四—法定及一般資料—B.有關本公司業務的其他資料—2.知識產權—(c)專利」所列，趙巍先生及Sebastian Aguirre Kozlouski均為我們的前顧問，並與施博士同為FT-001的共同發明人。趙先生亦與施博士同為FT-002及FT-003的共同發明人。在本公司極早期階段（例如2019年及2020年初），我們聘請外部顧問推進早期研發籌備工作。趙先生及Kozlouski均以此身份獲聘為外部顧問。儘管趙先生及Kozlouski均作出早期貢獻，但施博士領導了FT-001、FT-002及FT-003的整體開發。趙先生被列為上述產品的共同發明人，因其參與了相關產品的早期

業務

研究、立項及CRO甄選；Kozlouski被列為FT-001的共同發明人，因其參與了FT-001的立項。趙先生及Kozlouski均已簽署知識產權轉讓協議，將其於相關專利的權利轉讓予我們。自2021年4月及2020年3月起，趙先生及Kozlouski各自並無參與我們候選藥物的開發，而我們其後在核心產品及主要產品開發方面的持續成功，證明了我們獨立的研發能力。於本公司任職期間，趙先生亦擔任我們的創始股東之一泓元的合夥人。除上文所述者外，趙先生或Kozlouski概無與本公司、我們的董事、高級管理層及／或主要股東有任何其他關係。

研發中心

我們利用美國及中國作為全球生物技術研究中心的優勢，同時保持統一的全球研發策略，並利用中國臨床試驗更高的效率及成本效益。

我們的波士頓中心負責藥物發現及早期研究，包括衣殼篩選及病毒載體構建與優化。我們的上海中心負責非臨床研究及臨床試驗，包括研究者發起的試驗、IND申請及臨床試驗本身。我們的蘇州中心滿足我們非臨床及臨床試驗的生產需求，同時為商業化規模生產做準備。這種分工使每個團隊都能在整個開發過程中發揮各自的優勢，同時確保整個工作流程的執行效率。

截至2024年年中，我們的波士頓中心由數個不同職能部門組成，包括載體研究及早期開發、生物分析、體內藥理學、CMC相關工藝開發及分析開發。隨著核心產品在2024年的臨床進展，我們策略性地將重心從臨床前研究轉向後期藥物開發階段。據此，我們重組了波士頓團隊，打造更精簡且組織效能更高的架構。上述職能已整合為單一研發團隊，成員專精於研究探索、體內藥理學、生物分析方法開發及早期工藝開發等領域。截至2024年及2025年12月31日以及2026年6月30日，我們在波士頓中心分別有8名、5名及4名僱員。重組並未對我們的業務運營或研發能力造成重大不利影響，詳見下文進一步討論。此外，於2025年9月，我們將位於波士頓的實驗室搬遷至鄰近城市馬薩諸塞州沃特敦一個較小的新地點，並透過處理實驗室及生物技術設備銷售的當地代理商出售若干陳舊設備，以配合我們的重點轉移及提升效率。我們透過比較數個備選方案的費用報價聘用該代理商，而該代理商將設備出售予未向我們披露身份的客戶。我們錄得相關虧損360萬美元，列為「其他收益及虧損」項下的「出售物業及設備虧損」。搬遷並未對我們的業務運營及財務表現造成重大不利影響。

儘管團隊規模縮減及實驗室搬遷，但匯聚多領域專家的波士頓中心持續在研究與藥物發現方面表現卓越。例如在2024年中重組後，該中心已達成多項關鍵里程碑：啟動FT-019與FT-023兩項新早期項目、建立衣殼發現技術平台並研發出用於玻璃體內給藥的AAV2變體，以及提交三項新專利申請。就我們現有候選產品在美國的開發而言，特別是我們核心產品的臨床試驗及註冊，我們擬與本地CRO合作，彼等協助現場管理、患者招募、候選藥物管理、藥物警戒、數據管理及註冊等。用於臨床試驗的候選藥物將由我們位於中國的設施生產。我們的波士頓中心將繼續專注於早期研發活動，包括載體構建及篩選、GOI優化、早期工藝及分析開發、專利申請及協助新藥臨床試驗申請，而有關我們核心產品的上述活動均已完成。於往績記錄期間，誠如上文所討論，我們在美國波士頓地區以外並無業務或主要設施。

研發流程

我們已建立一個全面的內部研發體系，以管理rAAV基因療法發現和開發的所有關鍵環節。

業 務

藥物發現

在啟動基因療法研發項目之前，我們的多學科科學家團隊利用在分子遺傳學、生物學和臨床醫學方面的深厚專業知識以及專利律師的建議，識別並優先考慮具有高治療潛力的基因靶點。對於每個選定的靶點，我們都會對疾病患病率、未滿足的臨床需求、科學依據、專利格局、競爭環境和潛在的開發風險進行全面評估。這種全面的評估為我們的項目在臨床和商業上的成功奠定了基礎。

在確定目標適應症後，我們採用我們的EXACTE™研發技術平台來設計和改造基因療法候選藥物。此過程包括合理的衣殼工程以優化組織趨向性和轉導效率，以及載荷工程以實現穩健和持續的轉基因表達。

轉化醫學及臨床前研究

我們的轉化醫學團隊彌合臨床前研究與臨床應用之間的差距，支持設計穩健的臨床項目，並提供臨床前及早期臨床數據的科學解釋。其跨學科研究涵蓋了從藥代動力學、藥效動力學、安全性及生物標誌物開發到定量和臨床藥理學的廣泛研究。我們的轉化醫學團隊在提高我們臨床試驗的成功率、時間效率和成本效益方面發揮著關鍵作用。

在臨床前階段，我們在體外和體內進行全面的藥理學、藥代動力學、生物分佈和毒理學研究，以評估我們基因療法候選藥物的安全性和有效性。我們進一步評估相關疾病模型中的免疫原性、生物分佈和長期功能結果。只有那些表現出強大臨床前特徵和明確臨床轉化路徑的候選藥物才能進入IND申報研究和隨後的臨床開發。這種綜合和迭代的方法使我們能夠有效地發現和開發基因療法，以應對重大的未滿足醫療需求。

臨床開發

在臨床試驗期間，我們與領先的醫院、研究機構和主要研究者保持密切合作，以確保遵守研究方案和藥品臨床試驗質量管理規範（「GCP」）指南。我們的臨床營運團隊負責中心管理、參與者招募和數據管理，以實現高品質及時的臨床研究執行。我們根據其專業知識、資源及接觸相關患者群體的情況選擇試驗中心和研究者。

臨床開發團隊管理臨床試驗的所有階段，包括臨床試驗設計、實施、藥品供應以及試驗數據的收集和分析。我們的每個臨床開發項目均由一名項目負責人領導，該負責人(i)制定臨床開發計劃，(ii)設計試驗方案，(iii)負責藥物警戒，以及(iv)在其他團隊成員的支持下監督試驗執行。我們採用適應性臨床試驗設計策略，以提高產品開發過程的效率，並可能加快我們候選藥物的批准。

CMC

我們的CMC團隊是我們研發職能的組成部分。CMC發揮著至關重要的作用，包括放大、優化、表徵和驗證、控制方法開發和驗證以及技術轉讓和評估。我們的CMC團隊在整個產品開發過程中提供臨床前和臨床支持。

我們的CMC能力包括臨床前及臨床支持以及商業化生產。

業 務

監管事務

我們的監管事務團隊負責我們候選藥物的監管批准流程，包括制定註冊策略、整理IND申請檔案、處理監管機構的詢問以及監控正在進行的研發項目以確保合規。我們的監管團隊成員非常熟悉國家藥監局和FDA等相關政府機構的監管流程。

與CRO的合作

我們在內部執行核心職能，例如設計臨床開發策略和方案，並對醫療和臨床試驗管理的關鍵職能進行控制和監督，包括數據源驗證和臨床結果分析。在臨床前階段，我們使用CRO進行體內臨床前動物研究。在臨床階段，我們使用CRO進行OCT圖像審查、生物樣本檢測和臨床數據的統計分析。此前，我們亦曾就FT-001在中國的I期臨床試驗使用CRO進行臨床管理。我們亦已使用同一CRO，在中國分別對FT-002及FT-003的兩項IIT進行臨床管理。

我們在選擇CRO時會權衡各種因素，例如其資質、學術和專業經驗、行業聲譽以及其服務和產品的範圍、深度和質量。鑑於我們與CRO的安排通常為項目制及非獨家，且市場上隨時可得可比較服務供應商，故我們與CRO的合作並不構成對CRO的過度依賴。我們亦高度重視我們的CRO促進最佳中心選擇、及時招募參與者以及高效進行複雜臨床前和臨床試驗的能力。我們監督這些CRO，以確保他們以遵守我們的方案和適用法律的方式履行對我們的職責，並保護我們的試驗和研究產生的數據的完整性。

一般而言，我們與CRO簽訂主服務協議，據此我們為每個臨床前或臨床研究項目執行單獨的工作訂單，或我們與CRO就單個項目簽訂研發合約。以下為CRO聘用的主要條款概要：

- **服務。**CRO向我們提供協議或工作訂單中規定的與臨床前或臨床研究項目相關的服務。
- **期限。**CRO須在規定時限內完成臨床前或臨床研究項目。
- **付款。**我們須按照雙方協定的付款時間表向CRO付款。
- **知識產權。**我們擁有臨床前或臨床研究項目產生的所有知識產權。
- **風險分配。**任何一方應就其過錯或重大過失造成的損失向另一方作出彌償。倘研究因無法解決的技術困難或因其他一方無法控制的情況而失敗，雙方應協商如何分攤因此類失敗造成的損失。

於往績記錄期間，我們與合共20家CRO合作。截至2024年及2025年12月31日止年度以及截至2026年6月30日止六個月，我們分別聘用15家、14家及七家CRO提供服務，於同期產生的相關研發開支分別為3.0百萬美元、2.4百萬美元及0.7百萬美元。於往績記錄期間，概無我們的CRO及顧問(包括彼等之董事、股東及高級管理層)與我們或我們的附屬公司、股東、董事或高級管理層或彼等各自的任何聯繫人有任何過往或現有關係。

生產

符合GMP標準、可作商業化生產的蘇州生產設施

我們已建立一個內部商業化基因療法生產設施，能夠擴展複雜的基因療法生產工序，同時符合全球監管及安全標準，以支持目前的臨床試驗及未來的商業

業 務

化生產。我們的生產設施位於中國江蘇省蘇州市，佔地約4,000平方米，並於2022年2月開始營運。我們的蘇州設施乃為滿足美國、歐盟及中國監管機構要求的cGMP標準而專門建造，從而實現我們rAAV基因治療產品的臨床及商業供應的全球合規性。

於往績記錄期間，我們的生產設施總產能為 3×10^{18} vg，乃基於200L及500L規模的藥物原料生產計算，每年可支持多達12個批次，包括10個200L批次及2個500L批次，採用 1×10^{15} vg/L的上游表達水平及40%的下游純化收率。經配方及灌裝後，一個批次通常可提供約1,200至60,000個已灌裝藥瓶（確切數量取決於特定項目的灌裝體積及產量）。有關我們產能的更多詳情，請參閱「—我們的技術平台—AAVANCE™生產平台—主要特點—大規模生產及顯著成本優勢」。

於往績記錄期間，我們於生產設施生產了(i) 4.4×10^{17} vg的FT-017（乃基於生產的2,209瓶計算，每瓶含5mL，濃度為 4×10^{13} vg/mL），及(ii)生產了一批FT-003，藥物為3.5L，濃度為 1.1×10^{13} vg/mL，總病毒產量為 3.86×10^{16} vg，利用率約為16%。利用率相對較低，主要是由於我們的生產計劃受候選藥物開發階段及臨床需求的推動。於往績記錄期間前，我們於2022年及2023年生產了FT-002及FT-003各三個批次，以支持其IND申報、IIT、I期臨床試驗及II期臨床試驗用途。由於FT-002及FT-003的成品藥保質期通常為三年，該等批次足以支持其於往績記錄期間的臨床試驗，且並無安排FT-002的額外生產。我們於往績記錄期間生產了一批FT-003，以為其計劃的III期臨床試驗作準備，並生產了兩批FT-017，以支持其IND申報以及I期及II期臨床試驗用途。我們目前預計將於2026年下半年及2027年逐步開始FT-002的III期臨床試驗生產。

我們的蘇州生產設施利用我們基於Bac/Sf9系統的AAVANCE™生產平台。該平台能夠以高產量、可規模化及低成本的方式生產rAAV載體，在載體基因組產量、純度及效力方面具有行業領先的性能。請參閱「—我們的技術平台—AAVANCE™生產平台」。

我們的蘇州生產設施有能力支持我們主要基因治療候選藥物（包括FT-002及FT-003）以及其他管線產品的快速擴產及商業化生產。該設施的設計及建造符合中國及美國的GMP指引，且該設施使用的設備及儀器均採購自業內領先供應商，並須進行例行維護、校準及驗證，以維持良好的運行狀況。我們亦已建立適合AAV生產的組織架構、人員配置及質量管理體系。我們的關鍵生產及質量人員主要於2022年前加入我們，一直保持穩定，並在AAV生產及檢測方面積累了豐富的經驗。我們的質量管理體系乃參照歐盟、美國及中國的GMP要求建立，涵蓋藥品整個生命週期的GMP管理，並由具備豐富GMP合規管理經驗且熟悉中國及美國GMP要求的質量團隊提供支持。於最後實際可行日期，我們的生產設施的最高年產能達 1.2×10^{18} vg。基於此，我們相信我們目前的產能足以支持該等候選藥物的臨床開發及初步商業化，當中已考慮估計可觸達患者人數、預期市場滲透率、競爭格局、相關候選藥物的臨床概況以及監管批准及商業推出的預期時間等因素。

質量管理

我們的蘇州設施與全面的質量管理體系完全整合，在整個生產生命週期內支持端到端的質量保證和控制。符合GMP標準的運營使我們能夠成功生產並放

業 務

行10批臨床及商業規模的產品，成功率為100%。該設施強大的分析平台支持全球市場的放行測試、穩定性研究及監管提交。

我們維持一個全面的質量管理體系，該體系不斷發展和完善，以滿足中國和美國的嚴格法規和指導方針。我們密切監測該等主要市場中不斷發展的cGMP標準及監管變化，並相應地更新我們的內部程序。我們的質量管理程序涵蓋基因治療開發過程的所有關鍵階段。

我們根據詳細的質量控制和質量保證程序開展我們的研發活動，以遵守相關的監管要求和我們的內部標準。我們對原材料供應商進行嚴格的資質審查和甄選，並確保原材料在進入生產過程前經過測試和驗證。我們為我們的質量及研發團隊提供培訓，使其了解最新的質量標準和監管要求。

與CDMO的合作

過去，在我們的蘇州生產設施於2022年2月投入使用前，我們聘請了一家CDMO來支持我們FT-001的藥物開發過程。該合作始於2021年6月，合約生產於2025年9月（我們完成FT-001的三年穩定性分析之時）結束。在此期間，我們與CDMO簽訂了服務協議，明確了穩定性分析服務範圍及相關質量標準、交付時間表及付款條款。我們有權進行現場審核及檢查，以確保符合cGMP及監管要求。對於不合格產品的補救措施包括更換受影響的批次及賠償直接損失。我們保留了因外包生產過程而產生的與我們產品相關的所有知識產權。

自2022年2月以來，隨著我們符合GMP標準的蘇州生產設施的投產，我們已建立了一個完全一體化的內部rAAV生產系統，涵蓋生產、質量控制、質量保證及供應鏈管理。我們藥物開發的所有後續生產均在我們自己的設施內部進行。

商業化

截至最後實際可行日期，我們尚未取得任何候選藥物的上市批准，也未從產品銷售中產生任何收入。

預計未來幾年我們後期rAAV基因療法候選藥物將商業化，我們計劃在中國採取靈活的商業化策略。我們計劃於2026年開始招聘一個銷售及營銷職位；該人士將主要專注於業務發展。根據我們目前的開發時間表，我們計劃於2027年底前建立一支內部銷售團隊，並隨著產品的推出逐步擴大及加強該團隊。在某些情況下，我們或會加強我們在特定領域的內部銷售覆蓋能力，以接觸該等產品的相關醫院、關鍵意見領袖及患者群體。我們正在評估與外部CSO、擁有成熟銷售網絡及能力的大型製藥公司以及下游眼科醫院的潛在合作。

我們的商業化策略將根據各產品的特點量身定制。對於針對罕見疾病的產品，我們預期將結合我們自家的內部銷售團隊及與第三方的關係，以接觸目標患者群體。我們亦會考慮如何利用利好政策（例如在中國（如海南省）選定的行業先行區內，於該等先行區內若干療法可在國家藥監局批准前獲准使用）。

對於針對重大市場疾病的產品，特別是在海外市場，我們預計尋求擁有當地知識及人脈的商業化合作夥伴，以接觸更大的患者群體。

業 務

誠如「未來計劃及[編纂]用途」所披露，我們計劃動用[編纂]淨額的[編纂]或約[編纂]，用於撥付在中國商業推出我們候選藥物的準備費用，包括註冊備案以及建立銷售及營銷能力。

此外，我們擬透過積極推廣，提升市場對基因療法及我們產品的認知度。此等推廣活動可包括與罕見病基金會或患者協會合作舉辦認知活動、與醫生及醫療機構合作舉辦學術研討會或會議以倡導基因療法的必要性及益處、於商業推出後利用真實世界數據向醫療專業人員及患者宣傳我們產品的功效、安全性及一致性，以及利用數碼工具及聘用數據驅動的精準營銷服務提供商進行定向患者外展。我們與眼科專家及主要研究者保持持續溝通，以進行市場教育並為我們產品的未來商業化作準備。

我們旨在透過與支付方積極合作，為患者實現定價解決方案，特別是透過與商業保險提供商協商，探索涵蓋罕見及慢性疾病管理的個人化保險政策。

我們透過確保各候選產品在適應症、目標患者群體及預期臨床角色方面均有明顯差異，以避免其基因療法管線互相蠶食。我們亦採用嚴謹的組合管治以優先處理適應症，且倘若出現重大重疊，則會調整、重新定位或降低項目的優先次序，從而使候選產品能互為補足，而非直接替代。

供應商

於往績記錄期間，我們的供應商主要包括(i)為研發提供第三方合約服務的CRO，(ii)我們藥物開發的設備及裝置供應商，(iii)辦公場所、實驗室及生產設施供應商，(iv)協助臨床參與者招募的SMO，及(v)專業服務供應商。

於往績記錄期間及直至最後實際可行日期，我們概無與供應商發生任何重大糾紛、採購原材料或服務困難、因原材料或服務短缺或延遲供應而導致營運中斷，或原材料及／或服務價格出現重大波動。

截至2024年及2025年12月31日止年度以及截至2026年6月30日止六個月，我們向五大供應商的採購總額分別佔我們總採購額的33.1%、40.8%及38.3%。截至2024年及2025年12月31日止年度以及截至2026年6月30日止六個月，我們向最大供應商的採購額分別佔我們總採購額的10.1%、12.8%及13.7%。

排名	供應商	背景	提供的主要 產品／服務	採購金額 (千美元)	佔採購總額 百分比(%)	業務關係 開始時間
截至2024年12月31日止年度						
1.....	供應商A	一間物業租賃及管理公司，總部設於美國	辦公場所及實驗室設施	1,180	10.1	2021年
2.....	供應商B	一間物業租賃及管理公司及其聯屬公司，總部設於中國	辦公場所及生產設施	986	8.5	2021年
3.....	供應商C	新藥研發公司，總部設於中國	FT-017的臨床前研究服務	771	6.6	2024年

業 務

排名	供應商	背景	提供的主要 產品／服務	採購金額 (千美元)	佔採購總額 百分比(%)	業務關係 開始時間
4.	供應商D	一間CRO公司，總部設於中國	FT-002及FT-003的CRO服務	547	4.7	2024年
5.	供應商E	一間CRO公司，總部設於美國	CRO服務	372	3.2	2021年
總計....				3,856	33.1	

截至2025年12月31日止年度

1.	供應商A	一間物業租賃及管理公司，總部設於美國	辦公場所及實驗室設施	1,296	12.8	2021年
2.	供應商B	一間物業租賃及管理公司及其聯屬公司，總部設於中國	辦公場所及生產設施	792	7.8	2021年
3.	供應商F	一間國際律師事務所，總部設於美國	法律服務	767	7.6	2019年
4.	供應商G	一間CRO公司，總部設於中國	FT-002及FT-003的CRO服務	692	6.8	2023年
5.	供應商D	一間CRO公司，總部設於中國	FT-002及FT-003的CRO服務	590	5.8	2024年
總計....				4,137	40.8	

截至2026年6月30日止六個月

1.	供應商B	一間物業租賃及管理公司及其聯屬公司，總部設於中國	辦公場所及生產設施	467	13.7	2021年
2.	供應商D	一間CRO公司，總部設於中國	FT-002及FT-003的CRO服務	361	10.6	2024年
3.	供應商F	一間國際律師事務所，總部設於美國	法律服務	228	6.7	2019年
4.	供應商H	一間SMO公司，總部設於中國	SMO服務	127	3.7	2022年
5.	供應商I	一間物業租賃及管理公司，總部設於美國	辦公場所及實驗室設施	124	3.6	2025年
總計....				1,307	38.3	

於往績記錄期間的各年度，我們所有供應商均為獨立第三方。於往績記錄期間各年度，概無我們的董事、彼等各自的聯繫人或任何據我們的董事所知將於緊隨[編纂]完成後擁有我們已發行股本5%以上的任何股東於任何五大供應商中擁有任何權益。

業 務

僱 員

截至2026年6月30日，我們有54名僱員，包括50名在中國及4名在美國。下表載列截至同日按職能劃分的僱員人數。

職 能	僱 員 人 數
CMC及生產	24
研究及開發	18
管理及行政	12
總 計	54

我們主要通過在線平台、招聘網站及獵頭推薦招聘僱員。我們為僱員舉辦入職培訓及定期專業培訓。

我們與僱員簽訂個人僱傭合約，涵蓋薪金、獎金、僱員福利、保密義務、不競爭條款、工作成果及知識產權轉讓條款以及終止理由等事宜。我們僱員的薪酬待遇包括薪金及獎金，一般由其資格、績效評估及資歷決定。我們亦提供股份激勵及晉升機會以激勵我們的僱員。

我們並未成立工會。於往績記錄期間及直至最後實際可行日期，我們並未遇到任何可能對我們的業務、財務狀況或經營業績產生重大不利影響的勞資糾紛或罷工。

中國最高人民法院於2025年7月31日頒佈《最高人民法院關於審理勞動爭議案件適用法律問題的解釋(二)》(「**新司法解釋**」)，並於2025年9月1日生效。根據新司法解釋第19條，用人單位與勞動者約定或勞動者承諾無需繳納社會保險費的，人民法院應認定該約定或承諾無效。根據《中華人民共和國勞動合同法》第38(3)條，用人單位未依法繳納社會保險費，勞動者要求解除僱傭合約並向用人單位主張經濟補償的，人民法院應當依法予以支持。截至最後實際可行日期，(i)我們並無拖欠僱員的社會保險及住房公積金供款；及(ii)概無任何有關社會保險或住房公積金供款的勞動爭議或法律程序向我們提出。基於上文所述，我們的董事及中國法律顧問認為，實施新司法解釋預期不會對我們的業務、經營業績或財務狀況構成重大不利影響。

知 識 產 權

我們致力於發展及保護我們的知識產權。截至最後實際可行日期，我們的專利組合包括一項日本專利及29項專利申請，包括七項專利合作條約(「**PCT**」)專利申請(一旦開始審查，處理時間通常約為5年)、七項美國專利申請、五項中國專利申請(包括一項香港專利申請)、兩項加拿大專利申請、三項歐洲專利申請、兩項日本專利申請、兩項澳洲專利申請及一項韓國專利申請。我們的專利及專利申請主要包括與我們的候選藥物和技術平台相關的組合物、方法及用途。關於取得與核心產品相關的已授權專利，經諮詢本公司知識產權顧問後，董事認為，預計

業 務

將於2027年底前取得已授權專利，且除正常專利局審查程序中可合理預期的困難外，預計在核心產品預期商業化前取得已授權專利不會存在重大困難。

截至最後實際可行日期，我們各核心產品的專利組合概述如下。該等專利及專利申請涵蓋我們核心產品的重大方面：

- FT-002：我們在中國、美國、歐洲及日本擁有五項專利申請，其中包括在美國的一項專利申請於2026年5月收到授權通知。
- FT-003：我們於2026年4月在日本取得一項專利授權。我們在中國（包括香港）、美國、歐洲、加拿大及澳洲擁有七項專利申請，其中包括在美國的專利申請於2026年6月收到授權通知。

該等專利申請涵蓋核心產品的所有已知主要特點及／或特徵。經計及我們就核心產品進行的自由實施檢索及分析（如下文所論述），且我們並未收到有關主管機關就專利申請提出的任何重大疑慮或查詢，我們相信取得涵蓋核心產品的專利批准並無已知困難或法律障礙。有關倘我們未能取得該等專利的影響，請參閱「風險因素－有關知識產權的風險－倘我們無法在世界各地為我們的候選藥物取得充分的專利及其他知識產權保護，或倘取得的該等知識產權的範圍不夠廣泛，第三方可能開發及商業化與我們相似或相同的產品及技術，並直接與我們競爭，而我們成功商業化候選藥物的能力可能受到不利影響」。

更多詳情，請參閱「附錄四－法定及一般資料－B.有關本公司業務的其他資料－2.知識產權－(c)專利」。

我們已在中國及美國就我們的核心產品進行自由實施檢索及分析（「自由實施分析」）。

FT-002的關鍵方面為一種病毒表達載體，其包含經密碼子優化的核酸序列（編碼RPGR多肽），用於治療X連鎖視網膜色素變性；而FT-003的關鍵方面為一種病毒表達載體，其包含經密碼子優化的核酸序列（編碼Aflibercept）及經修飾並帶有10個氨基酸插入的AAV2衣殼，用於治療年齡相關性黃斑變性。

因此，就自由實施分析而言，檢索的重點在於(i)編碼藥物的經密碼子優化序列及(ii)AAV2衣殼序列中的插入氨基酸序列是否存在任何自由實施（「FTO」）問題，以及在使用基於AAV的基因療法治療相關疾病適應症方面是否存在任何廣泛障礙。

為評估有關編碼藥物的經密碼子優化序列的FTO問題，已對經密碼子優化的構建體進行核酸序列檢索。為評估有關AAV2衣殼序列中插入氨基酸序列的FTO問題，已對10個插入氨基酸序列進行氨基酸序列檢索。為評估有關疾病治療本身的FTO問題，已使用疾病名稱作為關鍵詞進行檢索。並無發現於美國及中國存在會被FT-002或FT-003侵權的任何第三方專利的有效權利要求。

本公司認為，該等檢索足以涵蓋與核心產品相關的專利保護的所有重大方面。

業 務

根據自由實施分析，我們的董事認為，在中國及美國，概無任何第三方擁有有效及可執行的專利涵蓋我們核心產品目前正在開發的氨基酸序列或適應症，且我們並未侵犯任何第三方的任何有效及可執行的專利或其他知識產權。

我們已聘請知識產權顧問，以監督我們知識產權組合的全面規劃及發展，旨在減輕與知識產權相關的風險。截至最後實際可行日期，我們並無接獲相關主管機關的任何重大疑慮或查詢，足以令我們相信任何審理中的專利申請將被最終駁回。此外，審理中的申請可保護我們的知識產權，以對抗提交日期晚於我們申請的第三方專利申請。

於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們並無就任何第三方知識產權的侵犯或盜用而牽涉任何法律、仲裁或行政程序，亦無接獲任何重大申索的書面通知，而該等申索可能對我們的業務、財務狀況及經營業績造成重大不利影響。截至最後實際可行日期，我們並不知悉其他市場參與者就其針對類似適應症的專利申請所依據的類似技術或特徵提出任何反對或申索，而該等反對或申索可能對我們的業務、財務狀況及經營業績造成重大不利影響。

競爭

生物製藥及基因療法行業的特點為技術發展迅速、競爭激烈及高度重視受知識產權保護的藥物。我們面臨來自許多不同來源的實際或潛在競爭，包括大型製藥、專科製藥及生物技術公司、學術機構以及公共及私人研究機構。

我們在生物製藥市場的基因治療領域營運，主要針對眼科及心血管疾病。有其他公司致力於在該等領域開發療法。該等公司包括大型製藥公司的分部及各種規模的生物技術公司。我們正在與之競爭或未來可能與之競爭的許多公司，在研究及開發、生產、臨床前測試、進行臨床試驗、取得監管批准及營銷已獲批藥物方面擁有比我們雄厚得多的財務資源及專業知識。製藥及生物製藥行業的併購可能導致更多資源集中在為數更少的競爭對手之中。較小或處於早期階段的公司亦可能成為重要的競爭對手，尤其是通過與大型、成熟的公司進行合作安排。該等競爭對手亦在招聘及挽留合資格的科研及管理人員、建立臨床試驗地點及為臨床試驗進行參與者登記，以及收購對我們的研究及開發有補充作用或屬必要的技術或產品方面與我們競爭。

社會、健康、工作安全及環境事宜

我們須遵守各項健康、工作安全及環境法律法規，且我們的營運定期受到地方政府機關的檢查。於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們在所有重大方面均已遵守適用於我們營運的健康、工作安全及環境法律法規，且並無因不遵守健康、工作安全或環境法規而受到任何可能對我們的業務、財務狀況或經營業績造成重大不利影響的重大申索、罰款或其他處罰。

ESG事宜的管治

我們已建立一系列政策及程序，以促進社會、健康、工作安全及環境事宜。展望未來，我們的目標是根據《上市規則》附錄C2《環境、社會及管治報告守則》的

業 務

建議，主動識別及評估可能影響我們業務、戰略及財務表現的實際及潛在環境、社會及管治(「ESG」)風險，並將對ESG問題的考量納入我們的業務、戰略及財務規劃。

我們的董事會負責監督及加強對ESG法律法規的遵守情況。我們的ESG審核委員會定期就ESG事宜向董事會報告，董事會根據ESG要求就我們的政策及常規作出決策。董事會將繼續監控、評估及處理ESG問題，監督推廣ESG常規的政策實施。

環境保護

我們力求以保護與我們營運相關的環境的方式進行營運。

廢棄物

我們已制定廢棄物管理程序，以確保遵守相關的廢棄物處置法規並盡量減少對環境的影響。這包括存置有害廢物分類賬、填寫及簽立轉移文件，以及與合資格機構訂立合約進行有害廢物處置。

溫室氣體排放

我們的溫室氣體排放包括範圍1、範圍2及範圍3的排放。為響應國家碳中和目標，我們致力於積極減少營運中產生的溫室氣體排放。

	截至12月31日止年度		截至6月30日 止六個月
	2024年	2025年	2026年
溫室氣體排放			
範圍1溫室氣體(噸二氧化碳當量).....	—	368.6	—
範圍2溫室氣體(噸二氧化碳當量).....	4,524.0	3,444.0	2,408.5
範圍3溫室氣體(噸二氧化碳當量).....	351.8	201.8	30.8
總碳排放量(噸二氧化碳當量).....	4,876.0	4,014.0	2,439.3
總碳排放強度			
(噸/百萬人民幣研發開支).....	32.9	40.0	67.5

為進一步減少我們的溫室氣體排放，我們計劃於實驗室設施維護、商務差旅及辦公場所選擇等領域實施低碳優化。與於2025年的強度水平相比，我們目標於2027年底前將溫室氣體排放強度降低1.0%。

環境保護事宜的管理

我們進行環境影響評估以監測排放水平。下表載列於往績記錄期間與我們能源消耗及廢棄物產生相關的指標。

業 務

	截至12月31日止年度		截至6月30日 止六個月
	2024年	2025年	2026年
能源消耗：			
電力(兆瓦時)	3,449.4	2,302.7	1,292.2
總直接能源(兆瓦時)	1,626.0	848.5	—
總間接能源(兆瓦時)	3,449.4	2,302.7	1,292.2
總能源消耗(兆瓦時)	5,075.4	3,151.2	1,292.2
能源強度(噸／百萬人民幣研發開支)	34.3	31.4	35.8
水(噸)	8,648.0	6,358.0	3,875.0
廢棄物：			
有害廢棄物(噸)	45.0	40.0	15.8

隨著我們業務的增長及我們的候選藥物更接近商業化，我們預計資源消耗及排放量將會增加。儘管如此，我們致力於實施各種措施以優化資源使用及減少排放。同時，我們努力培養優先考慮環境保護的企業文化，並與我們的業務夥伴緊密合作，建立一個環保的生態系統。我們的承諾包括提升我們整個價值鏈的環保表現，其中涵蓋辦公室營運、供應商甄選、實驗室活動及生產活動。此外，我們已實施集中生產調度，以優化能源效益。於非生產時段，生產區的空調系統會被關閉，以盡量減少耗電量。我們的目標為，與於2025年的水平相比，於2027年底前將能源強度降低1%。

參與者數據保護及防止數據操縱

我們致力於遵守適用法律、法規及行業標準，保護試驗參與者的資料。

我們已制定嚴格的數據保護政策，以確保臨床數據的收集、使用、儲存及處理符合適用法律及現行行業慣例，包括我們為每個臨床項目制定的詳細數據管理計劃。在我們的臨床試驗及營運中，個人數據的收集主要由研究者進行。參與臨床試驗的受試者會被分配受試者編號以作匿名處理，且任何傳輸給我們的數據集僅與參與者編號相關聯，而非患者的真實身份。因此，我們無法獲取患者的個人可識別信息，例如其姓名、身份證號碼、電話號碼或家庭住址。此外，我們要求所有內部僱員，以及參與我們臨床試驗的醫院及第三方合約方(如CRO)遵守嚴格的保密規定。我們進行培訓以確保遵守該等標準，從而加強我們對維持最高水平的數據安全及患者保密性的承諾。這種全面的方法不僅符合監管期望，亦能增進參與我們臨床試驗流程的參與者及持份者之間的信任。

於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們已在所有重大方面遵守有關數據隱私及安全的所有適用法律法規，且我們的中國法律顧問認為，於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們已在所有重大方面遵守有關跨境數據傳輸的適用中國法律法規。

我們與研發僱員的合約載有機密條款，為機密資料增加了一層額外的安全保障。此外，我們通常要求CRO對我們提供或在合約期間產生的所有文件、數據、記錄及資料嚴格保密。

業 務

生產及質量管理

我們力求使我們的生產及質量管理常規與ESG標準保持一致。我們優先與在其原材料採購及生產過程中表現出良好環保常規的供應商合作。同時，我們維持一個全面的質量管理體系，該體系不斷發展和完善，以滿足中國、美國及歐洲的嚴格法規和指導方針。亦請參閱「－生產－質量管理」。

第三方關係管理

我們透過健全的內部政策框架，在第三方合作中維持嚴格的合規標準。我們的採購管理系統為供應商互動建立了明確的規程，並設有具體的反賄賂及反腐敗條文。對於醫療專業人員，我們遵循規管所有專業合作的詳細指引。我們的《反舞弊及舉報機制政策》及《反腐敗政策》提供了額外的保障措施，以防止腐敗及賄賂，而我們的第三方合約則納入了具體的合規要求。

工作安全

我們致力於為僱員提供安全健康的工作環境。為此，我們已制定嚴格的安全規程。我們透過定期的安全培訓計劃來加強該等規程，使我們的僱員具備必要的意識及技術專長，以安全高效地履行職責。我們已制定處理緊急事宜的具體規程。我們定期召開會議及進行定期檢查，以確保我們的安全標準持續得到遵守。透過該等努力，我們維持一個安全及高效的工作環境，支持我們僱員的福祉及企業的成功。於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們並無發生任何重大工場事故。

工作場所多元化

我們致力於營造一個重視平等的包容及開放的工作場所。我們的招聘常規嚴格以才能為本，確保所有僱員不論性別、年齡、種族、宗教或任何其他社會或個人特質，均享有平等機會。截至2026年6月30日，我們共有54名僱員，其中35名為女性，佔我們總僱員約三分之二。我們致力於維持一個公平透明的僱員管理體系，並不斷努力提高我們員工隊伍的性別及年齡多元化。

動物福利

我們通常聘請CRO進行動物研究，我們聘請的CRO已獲得國際實驗動物評估和認證協會的認證。該認證促進遵守有關動物福利的關鍵法規，包括對所有動物的人道對待、促進心理健康、獲得充分的獸醫護理、研究方案的倫理審查、對參與動物護理的人員進行適當培訓，以及在整個研究過程中進行持續的合規監測，以維持高標準的動物福利。

物業

我們在中國上海及蘇州以及美國波士頓均設有業務。截至最後實際可行日期，我們並無擁有任何物業，並在上海、蘇州及波士頓租賃了若干總建築面積約4,833.5平方米的物業用於各種職能。

下表載列我們截至最後實際可行日期的租賃物業詳情：

業 務

地 點	用 途	建 築 面 積 (平方米)	屆 滿 日 期
中國上海	辦公室及研發	569.6	2027年2月28日
中國蘇州	辦公室及		
中國蘇州	生產場地	3,862.0	2027年5月19日
中國蘇州	設備及設施室	309.0	2028年1月19日
Watertown, MA, USA	實驗室	92.9	2026年9月30日

根據適用的中國法律法規，中國的物業租賃協議須向中國住房和城鄉建設部的地方分支機構登記。截至最後實際可行日期，我們在中國的租賃協議尚未登記。有關詳情，請參閱「風險因素－與政府法規相關的風險－我們的租賃物業可能存在不合規情況或面臨挑戰，可能對我們日後使用該等物業構成影響」一節。

於2021年6月30日，我們並無擁有賬面值佔我們綜合總資產15%或以上的任何物業權益。因此，根據《上市規則》第5章及《公司(豁免公司及招股章程遵守條文)公告》(香港法例第32L章)第6(2)條，本文件獲豁免遵守《公司(清盤及雜項條文)條例》第38(1)條有關《公司(清盤及雜項條文)條例》附表三第34(2)段的規定，該條文規定須就本集團於土地或樓宇的全部權益作出估值報告。

保 險

我們維持適用法律法規規定的保單，以及根據我們對經營需求及行業慣例的評估而投保。我們的現有保單涵蓋我們臨床試驗中的不良事件、生產設施及設備，且我們已為我們的高級管理人員及僱員購買補充商業保險計劃。根據行業慣例，我們選擇不投保若干類型的保險，例如業務中斷保險。我們相信，我們現有的保險範圍足以應付我們目前的營運且符合行業慣例。另請參閱「風險因素－與我們營運相關的風險－我們的保險範圍有限，任何超出我們保險範圍的索賠都可能導致我們產生大量成本及資源轉移」一節。

許可證、牌照及監管批准

於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們已就我們於中國的業務營運自相關政府機關取得所有屬重大的必要許可證、牌照及監管批准。截至最後實際可行日期，我們核心產品的任何監管批准自其發出日期起並無發生任何重大意外或不利變動。

法律程序及合規事宜

法律程序

於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們並非任何實際或可能發生的重大法律或行政訴訟的當事方，且我們的董事亦無牽涉任何該等訴訟。然而，我們可能不時面臨於日常業務過程中產生的各種法律或行政申索及訴訟。

合 規

於往績記錄期間及截至最後實際可行日期，我們已在所有重大方面遵守有關我們營運的全部適用相關法律法規。有關適用於我們的法律法規的進一步資料，請參閱「法規」一節。

業 務

風險管理及內部監控

風險管理

我們認識到，風險管理對我們的長遠發展及成功至關重要。我們面臨的主要營運風險包括中國及全球生物製藥市場整體市況及監管環境的變動、我們開發、生產及商業化候選藥物的能力，以及我們與其他生物製藥及基因治療公司競爭的能力。

為應對該等挑戰，我們已採納一套綜合風險管理政策，當中載列一套風險管理框架，以持續識別、評估、評價及監控與我們戰略目標相關的主要風險。我們的高級管理層監督我們風險管理政策的實施，而我們的董事則作最終監督。管理層識別的風險將根據可能性及影響進行分析，並將由本集團妥善跟進、緩解及糾正，以及向我們的董事匯報。

為監察[編纂]後風險管理政策及企業管治措施的持續實施，我們已採納或將繼續採納(其中包括)以下風險管理措施：

- 我們的董事／審核委員會監督及管理與我們業務營運相關的整體風險；
- 我們的董事、首席執行官兼首席醫學官李新燕博士負責(i)制定及更新我們的風險管理政策及目標；(ii)審閱及批准本公司的重大風險管理事宜；(iii)頒佈風險管理措施；(iv)就我們的風險管理方法向本公司相關部門提供指導；(v)審閱相關部門有關主要風險的報告並提供反饋；(vi)監督相關部門實施我們的風險管理措施；(vii)確保本公司各地均具備適當的架構、流程及能力；及(viii)向我們的審核委員會報告我們的重大風險；及
- 本公司的相關部門，包括但不限於財務部及人力資源部，負責實施我們的風險管理政策及執行我們的日常風險管理常規。

我們認為，我們的董事及高級管理層成員具備就風險管理及內部監控提供良好企業管治監督所需的知識及經驗。

內部監控

我們的董事會負責建立我們的內部監控系統並審查其有效性。我們已聘請一名獨立內部監控顧問(「內部監控顧問」)以執行有關本公司及其主要營運附屬公司內部監控的若干協定程序(「內部監控審閱」)，並報告有關本集團實體層面監控及多個流程(包括財務報告及披露監控、人力資源及薪酬管理、資訊科技系統的一般監控、稅務管理、採購管理以及我們營運的其他程序)內部監控的事實調查結果。內部監控顧問於2025年11月進行了內部監控審閱，並於12月進行了跟進審閱。就審閱範圍而言，內部監控審閱期間發現的主要問題包括須根據最新《上市規則》制定信息披露管理政策及關聯方交易管理政策。此後，我們已採納建議的內部監控措施並糾正已識別的內部監控結果。截至最後實際可行日期，根據跟進審閱，概無有關本集團內部監控的重大未解決事宜。

業 務

於往績記錄期間，我們定期審閱及加強我們的內部監控系統。下文為我們已實施或計劃實施的內部監控政策、措施及程序的概要：

- 我們已就我們業務營運的各個方面採納多項措施及程序，例如關聯方交易、風險管理、知識產權保護、環境保護以及職業健康與安全。
- 我們提供各種培訓課程，以讓我們的僱員了解相關法律、法規及政策的最新情況。
- 我們的董事負責監察本集團的企業管治，並將在我們的法律顧問協助下，於[編纂]後定期審閱我們遵守所有相關法律法規的合規狀況。
- 我們已成立審核委員會，其(i)就委任及罷免外聘核數師向我們的董事提出推薦建議；及(ii)審閱財務報表、就財務報告提供意見以及監督本集團的內部監控程序。
- 我們已委聘同人融資有限公司為我們的合規顧問，向我們的董事及管理團隊提供有關《上市規則》相關事宜的意見，任期直至[編纂]後首個財政年度結束為止。
- 我們已聘請一家中國律師事務所，以於[編纂]後就中國法律法規向我們提供意見，並讓我們了解最新情況。
- 我們維持嚴格的反腐敗政策，且我們相信我們因此將較少受到中國政府為糾正製藥行業的腐敗行為而採取的日益嚴格的措施所影響。

於往績記錄期間，我們定期審閱及加強我們的內部監控系統。我們認為，我們的董事及高級管理層成員具備就風險管理及內部監控提供良好企業管治監督所需的知識及經驗。