

## 概 要

本概要旨在為閣下提供本文件所載資料的概覽。本節內容僅為概要，並未包括所有可能對閣下而言屬重要的資料。閣下決定[編纂][編纂]前，務請閱畢整份文件。尤其是，我們是一家生物科技公司，在不能符合上市規則第8.05(1)、(2)或(3)條規定的基準下，尋求根據上市規則第十八A章在聯交所主板[編纂]。[編纂]於類似我們這樣的公司存在獨特的挑戰、風險及不確定性。此外，我們自成立以來產生重大經營虧損，而我們預計短期內將繼續虧損。於往績記錄期間，我們經營活動的淨現金流量為負數。我們於往績記錄期間並無宣派或派付任何股息，亦無意於近期內派付任何股息。閣下的[編纂]決定應基於該等考慮因素。

任何[編纂]均存在風險。[編纂][編纂]的若干具體風險載於本文件「風險因素」一節。閣下決定[編纂][編纂]前，務請細閱該節。

## 業務概覽

我們成立於2012年，是立足中國、專注於罕見病的生物醫藥公司，致力於研究、開發及商業化生物科技療法。截至最後實際可行日期，我們已打造一個由13個擁有巨大市場潛力的藥物資產組成的全面的管線，包括三個已上市產品、四個處於臨床階段的候選藥物、一個處於IND準備階段、兩個處於臨床前階段，另外三個基因治療專案處於先導識別階段<sup>(1)</sup>。我們的產品及候選產品針對部分最常見的罕見病以及罕見的腫瘤適應症，包括但不限於膠質母細胞瘤(GBM)及黏多糖貯積症II型(MPS II或亨特氏綜合症)。GBM的發病率佔中國腦癌總發病率的46.6%，2020年已達到5.47萬人，2016年至2020年的複合年增長率為2.0%，預計到2025年及2030年將分別穩定增長到5.98萬人及6.44萬人，複合年增長率分別為1.8%及1.5%。MPS II是東亞國家最常見的MPS疾病。MPS II在大中華區的患病人數於2020年達到8,005例，預計於2030年將達到8,175例。我們的核心產品CAN008是一種正開發用於治療GBM的CD95-Fc糖基化融合蛋白。截至最後實際可行日期，我們正在管線中開發其他12種候選藥物。截至最後實際可行日期，我們享有合作夥伴Apogenix就CAN008擁有的兩項獲批專利及1項專利申請的獨家權利。我們亦正就GBM以外的其他適應症進行研發工作，而我們可能在中短期內就此提出額外的專利申請。

(1) 先導識別階段指我們識別將與標的的相互作用並具有治療所研究疾病的潛力的化學物質的階段。

---

## 概 要

---

我們未必能夠成功開發及／或營銷我們的核心候選產品或任何管線產品。

### 我們的業務模式

我們在策略上將全球合作及內部研究相結合，以建立及多元化我們的藥物組合。隨著中國罕見病市場的迅速擴張，許多國際生物製藥公司對進入這一不斷增長和尚未開發的市場大感興趣，但缺乏本地專業知識。利用我們的全球合作和研發能力，我們相信我們可以成為國際生物製藥公司進軍中國的門戶及首選合作夥伴。截至最後實際可行日期，我們的全球合作夥伴包括但不限於Apogenix、GC Pharma、Mirum、藥明生物、Privus、馬薩諸塞大學(UMass)和LogicBio。於2019年，我們自國際生物醫藥公司GC Pharma授權引進我們的首款商業化罕見病產品Hunterase®(CAN101)，以滿足中國的需求缺口。GC Pharma已就Hunterase®在全球超過10個國家獲得臨床驗證及上市許可。我們正在就贊助的研究項目與我們的研究夥伴UMass合作，開發神經肌肉疾病的基因療法解決方案，對許可用於開發的資產擁有獨家選擇權。我們亦致力與中國本土學術機構合作。此外，我們經驗豐富的研究團隊繼續致力於物色及開發候選藥物，以進一步擴充我們的產品組合。例如，我們的內部研究團隊正在開發神經肌肉疾病的基因療法解決方案。我們利用我們的商業化能力，最大限度地發揮候選藥物的市場潛力。我們在北京和上海建立了主要運營中心，並在大中華區的其他地區設立了辦事處，並計劃擴展至中國內地各主要目標省份，設立地方辦事處。目前，我們正在擴展我們有針對性的內部商業化團隊，預期將於未來五年擴展至超過300人。

憑藉我們經驗豐富的管理團隊、全面的產品組合及業內領先罕見病技術的綜合平台，我們認為，我們擁有良好優勢可獲取中國及全球需求龐大的罕見病市場。

## 概 要

下圖概述截至最後實際可行日期我們的產品組合以及各藥物資產的開發狀態：

產品	療法 (藥品管理法下的藥品分類) <sup>(1)</sup>	機制	適應症	發現 / 臨床前開發	IND準備	臨床I期	臨床II期/III期	NDA	上市	合作方	商業權利 <sup>(2)</sup>	授權引證日期	獲授專利數量 <sup>(2)</sup>	專利申請數量 <sup>(2)</sup>
★ CA N008 (Asmonecp)	生物藥 (生物藥1類)	CD55-Fc 融合蛋白	多形性膠質母細胞瘤 <sup>(3)</sup>	台灣進行初步臨床試驗 中國進行初步臨床試驗	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	apogenix	大中華區	2015年6月26日 (擁有開發及商業化的專有權)	3	2
Herceptin® (CAN101) (trastuzumab beta)	生物藥 (生物藥3類)	ERT 艾杜糖素-2 抗體藥物 (IDS)	亨特氏綜合症 (最多期肝積症II型) <sup>(4)</sup>	全球進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	EC Pharma	大中華區	2019年1月21日 (擁有開發及商業化的專有權，於2020年5月開始商業化)	1	2
CAN 108 (maralixibat)	小分子 (ALGS : 化學藥3類 ; PFIC : 化學藥2.4類)	ASBT抑制劑	阿拉日歐綜合症 <sup>(5)</sup> 進行性家族性肝內膽汁淤積症 <sup>(6)</sup>	全球進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	mitum	大中華區	2021年4月28日 (擁有開發及商業化的專有權)	2	5
CAN 106	生物藥 (生物藥1類)	抗CS mAb	神經性痛風性血紅蛋白尿 (PNH)和骨髓瘤 <sup>(6)</sup>	全球進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	WuXi Biologics / Prinus	大中華區 / 全球	2019年11月7日 / 2020年5月9日 (擁有開發及商業化的專有權)	0	23
CAN 103	生物藥 (生物藥1類)	ERT GBA	戈謝症 <sup>(6)</sup>	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	WuXi Biologics	全球	2018年10月22日 (擁有開發及商業化的專有權)	0	2
CAN 107	生物藥 (生物藥1類)	抗EGF23 mAb	家族性低磷血症伴佝僂病	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	WuXi Biologics / Prinus	大中華區 / 全球	2019年1月7日 / 2021年3月25日 (擁有開發及商業化的專有權)	0	2
CAN 104	生物藥 (生物藥1類)	ERT GLA	法布雷病	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	WuXi Biologics	全球	2019年1月7日 (擁有開發及商業化的專有權)	0	0
CAN 105	生物藥 (生物藥1類)	抗因子IXa/ X mAb	A型血友病	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	WuXi Biologics	大中華區	2019年1月7日 (擁有開發及商業化的專有權)	0	0
不才披露 <sup>(8)</sup>	基因治療	AAV	神經肌肉疾病 <sup>(9)</sup>	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	University of Massachusetts Lowell / Hecolix	全球	2020年9月1日 (擁有獨家選擇權的資助研究項目)	0	0
CAN 201	基因治療	AAV sL65 GLA	法布雷病 <sup>(9)</sup>	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	LogicBio	全球	2021年初至6月 (擁有開發、製造及商業化的專有權)	0	3
CAN 202	基因治療	AAV sL65 GAA	龐貝氏病 <sup>(9)</sup>	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	LogicBio	全球	2021年4月至6月 (擁有開發、製造及商業化的專有權)	0	3
Caposon™	醫療器械 <sup>(10)</sup> (醫療器械)	醫療器械	口腔癌療法	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	EUSA Pharma	中國	2018年7月20日 (於2018年10月開始商業化)	0	0
Nerxone® (Neratinib)	小分子 (化學藥5.1類)	酪氨酸激酶抑制劑	HER2陽性乳腺癌 HER2陽性轉移性乳腺癌	中國進行IND	IND準備完成	臨床I期	臨床II期	NDA	上市	Pierre Fabre	香港、台灣、澳門 <sup>(11)</sup>	2021年2月24日 (於2019年12月開始商業化)	12	7

★ 核心產品    由許可合作夥伴執行的臨床試驗    下一階段程序

## 概 覽

### 附註：

1. 大中華區包括中國內地、香港、台灣和澳門。
2. 授權引進後，我們已在台灣完成1期試驗並在中國取得一線GBM 2期臨床試驗的IND批准，且就此於2021年10月進行首例患者給藥。
3. 授權引進後，我們於2020年9月自國家藥監局取得用於MPS II的Hunterase® (CAN101)關鍵試驗的臨床試驗豁免和NDA批准。
4. Mirum於2021年9月就用於治療ALGS患者膽汁淤積性瘙癢症的CAN108獲得FDA批准。Mirum亦已於2021年9月向EMA提交CAN108針對ALGS的MAA。授權引進後，我們已開始準備CAN108針對ALGS的NDA，且根據我們在全球研究的許可合作夥伴獲得的數據，預計於2021年12月在大中華區提交NDA。
5. 對於BA，我們為許可合作夥伴的全球2期臨床試驗在中國的患者招募和臨床中心管理提供支持，該試驗目前已經在美國和歐洲啟動。在2021年5月已取得國家藥監局的IND批准，我們計劃於2022年上半年開始在中國進行患者招募，參與全球2期試驗。
6. 授權引進後，於2021年2月在新加坡啟動CAN106的1期臨床試驗，並於2021年7月就PNH的1期研究取得國家藥監局的IND批准。
7. 大中華區的權利由藥明生物授予。除大中華區外的全球權利由Privus授予。
8. 本公司於2021年10月就在中國進行的戈謝病1期研究取得國家藥監局的IND批准。我們計劃於2022年上半年啟動患者招募。
9. 處於先導識別階段的基因治療項目，包括自LogicBio授權引進的兩個項目 (CAN201和CAN202) 和一個與UMass訂立許可協議的具有獨家選擇權的未披露項目 (項目名稱尚未公開)。
10. Caphosol™ 是一款口服電解質溶液並被指定為處方醫療設備。
11. 我們已與Pierre Fabre訂立分銷協議，據此，Pierre Fabre委任我們作為其分銷商，有權在香港、澳門和台灣獨家銷售Nerlynx® (CAN030)。Pierre Fabre擁在大中華區開發及商業化Nerlynx® (CAN030)的獨家權利。
12. 合作夥伴為每種藥物授予專利並就每種藥物提交專利申請。
13. 各分類是指藥物審批過程的不同的註冊途徑。對於未分類的藥物資產，彼等仍處於早期階段，而本公司尚未決定申請NDA的註冊途徑。各指定類別是指以下分類：
  - 生物藥1類：中國境內外尚未商業化的創新治療性生物藥；
  - 生物藥3類：已在境內外上市的生物藥；
  - 化學藥2.4類：含有中國或境外尚未商業化的已知有效成分新適應症的藥物；
  - 化學藥3類：境內申請人申請仿製境外上市但境內市場未上市創新藥物的藥物。該等藥物的品質和療效須與所參照的已上市藥物一致；
  - 化學藥5.1類：境外上市創新藥物或改良型藥物申請在境內上市。改良型藥物應具有明顯臨床優勢。

## 概 要

### 我們的核心藥物

#### 用於GBM的CAN008 CD95-Fc融合蛋白

本公司核心產品CAN008是一種正開發用於治療GBM的糖基化CD95-Fc融合蛋白。自2016年9月起，經台灣食品藥物管理署（「TFDA」）許可，我們開始在台灣對新診斷為GBM患者進行CAN008聯合放射療法(RT)及替莫唑胺(TMZ)1期試驗。Apogenix AG (Apogenix)於2014年9月在歐洲完成復發性GBM中CAN008 2期試驗。歷經24個月的臨床研究與開發，我們於2018年9月在台灣完成了1期試驗，結果表明CAN008在GBM患者中總體耐受，並未觀察到劑量限制性毒性，亦無報告任何治療相關的嚴重不良事件。我們於2018年3月就CAN008獲得國家藥監局IND批准，以進行二線2期試驗，且隨後根據台灣1期試驗所得積極的初步療效結果，將我們的IND申請修訂為一線2期試驗，這表明CAN008有可能成為標準治療方法<sup>(1)</sup>。我們於2021年4月獲批准在中國對GBM患者進行一線2期試驗，並於2021年10月在中國進行首例患者給藥。第2期臨床試驗設計為多中心、隨機、雙盲及安慰劑對照研究以調查療效並探索不同生物標誌物與治療效果間的關係。我們預期在中國將CAN008商業化，作為合併治療（放療加化療），配合GBM的護理標準。

目前有三種治療GBM的靶向藥物在中國上市，有七種藥物正在中國和世界範圍內開發。詳情請參閱「行業概覽－多形性膠質母細胞瘤(GBM)」。

#### 核心候選產品開發流程

自於2015年6月從Apogenix授權引進CAN008以來，我們主導所有研發策略及主要負責大中華區與CAN008有關的所有臨床開發活動，包括生物標誌物研究、1期研究及2期研究。我們已開展CAN008的實質性研發工作超過12個月，主要包括：

- (a) 2015年7月至2016年1月，我們完成一項針對CD95L表達的生物標誌物研究，是中國首例該類型研究，當中涉及60多名中國GBM患者，證實中國GBM患者存在CD95L，並證明在地域不同的中國及西方GBM患者之間CD95L表達極為一致；

(1) 根據國家癌症研究所，標準治療方法指獲醫學專家接納作為適當治療特定類型疾病並獲醫護專業人員廣泛使用的療法。這一般在專家共識或治療指引中包括及定義，換言之，是醫學界廣泛接受的護理水平，在臨床實踐中證明了療效和良好的安全性。

---

## 概 要

---

- (b) 2016年4月至2016年7月，我們於2016年3月提交台灣IND申請，並於2016年7月獲得TFDA批准；
- (c) 2016年9月至2018年9月，經TFDA許可，我們在台灣三所醫院的10例新診斷GBM患者中完成CAN008聯合RT和TMZ的1期試驗。在1期試驗後，我們於2017年6月向國家藥監局提交IND申請，且該申請已於2017年7月受理。在申請IND時，我們負責與國家藥監局的CDE進行所有監管互動，並領導IND前諮詢、方案設計、醫學顧問委員會及IND檔案編製；
- (d) 自2016年4月起，於台灣進行CAN008的1期試驗的同時，我們為CAN008的CMC技術轉讓投入大量的研發工作，以期在中國生產；
- (e) 自我們CAN008的2期試驗於2018年3月獲得國家藥監局IND批准以來，我們繼續為籌備試驗加入研發投入，包括：
  - (i) 委聘來自中國及歐洲逾15家醫院的專家，以評估及完善臨床試驗方案設計；
  - (ii) 根據患者流量、醫療能力及醫生經驗，評估9個可能參與該試驗的臨床試驗場所；
  - (iii) 現場訪問北京天壇醫院、天津醫科大學總醫院、復旦大學附屬華山醫院、北京協和醫院、華中科技大學同濟醫學院及哈爾濱醫科大學附屬腫瘤醫院，並與主要研究者討論研究設計、安全監測和風險緩解計劃、療效終點，以及患者篩查和招募；及
  - (iv) 於2020年12月委聘一家知名中國CRO籌備多中心、隨機、雙盲及安慰劑對照的II期臨床試驗，就此，我們將設計試驗、監督臨床過程、監察CRO的表現，並與CRO共同負責方案開發及研究性產品管理，而CRO將負責臨床監察、藥物安全監督、醫學監察及數據管理。

---

## 概 要

---

- (f) 截至2019年及2020年止年度以及截至2021年6月30日止六個月，我們分別有一支由9名成員、11名成員及17名成員組成的團隊負責CAN008的研發工作，涵蓋藥物開發的整個生命週期，包括臨床前研究、臨床操作、監管事務、CMC開發、質量保證、醫療協助及項目管理。

更多詳情，請參閱「業務－我們的產品組合－用於GBM的CAN008 CD95-Fc融合蛋白－我們自授權引進以來的研發工作」。

儘管先前由國家藥監局批准的2期臨床試驗用於二線試驗，但我們根據上述研發工作於2020年12月就CAN008提交最新2期一線臨床試驗申請，並於2021年4月獲得CDE許可。2期試驗為國家藥監局規定的強制性試驗。我們將在中國獨立開發CAN008，而Apogenix僅被動參與CAN008在中國的開發過程。我們已就2期臨床試驗聘請行業領先CRO，就此，我們將設計試驗、為CRO的活動提供指引、監督臨床過程、監察CRO的表現，而CRO將負責臨床監察、藥物安全監督、醫學監察及數據管理。我們亦已聘請CMO就試驗生產原材料。我們於2021年10月就中國GBM患者一線治療進行CAN008的2期臨床試驗的首例患者給藥。其設計為多中心、隨機、雙盲及安慰劑對照研究以調查療效並探索不同生物標誌物與治療效果間的關係。試驗將安慰劑的標準療法（腫瘤切除，隨後使用RT加TMZ治療）與CAN008的標準療法進行比較。

我們可能最終無法成功地開發及營銷CAN008。

### 我們的其他候選藥物

#### 後期藥物產品及候選藥物

#### **針對MPS II／亨特氏綜合症的Hunterase® (CAN101)**

Hunterase® (CAN101)是一種酶替代療法(ERT)，開發用於治療黏多糖貯積症II型(「MPS II」)。我們於2019年1月從GC Pharma (或「GC」)獲得授權引進Hunterase® (CAN101)。迄今為止，GC已進行多項臨床試驗以評估Hunterase® (CAN101)的安全性及有效性，包括關鍵1／2期試驗獲得MFDS (前稱為韓國食品藥品監督管理局或KFDA)的批准及若干批准後研究。關鍵研究表明受試者獲益顯著，uGAG水平較基線顯著降低，主要終點得到改善。Hunterase® (CAN101)目前由GC Pharma在全球超過10個國家銷售。其於2012年1月獲得MFDS的孤兒藥銷售許可。截至最後實際可行日期，Hunterase® (CAN101)已獲得阿爾及利亞、白俄羅斯、哈薩克斯坦及俄羅斯當局的銷售許可，並已在巴西、埃及、印度、馬來西亞、阿曼、土耳其及委內瑞拉批准用於

---

## 概 要

---

治療MPS II的處方藥。我們於2020年9月自國家藥監局取得用於MPS II的Hunterase® (CAN101)關鍵試驗的臨床試驗豁免和NDA批准。我們目前在浙江省參與CAN101風險篩查項目，該項目已獲得倫理委員會及中國人類遺傳資源管理辦公室(HGRAC)批准，從臨床角度審查與診斷相關的風險並加以改善。我們主要負責對不同測試下的患者進行篩查。

我們計劃於2023年上半年按照國家藥監局的要求在中國進行批准後研究。更多詳情請參閱「業務－後期藥物產品及候選藥物－針對MPS II／亨特氏綜合症的Hunterase® (CAN101)」。

Hunterase® (CAN101)是目前中國唯一可用於MPS II的靶向治療。在中國和世界範圍內，共有8個MPS II靶向藥物處於臨床階段。詳情請參閱「行業概覽－黏多糖貯積症II型 (MPS II或亨特氏綜合症)」。

### ***CAN108 (maralixibat)***

CAN108 (maralixibat)為一種口服、最小化吸收的藥物，旨在選擇性抑制頂端鈉依賴性膽汁酸轉運蛋白(ASBT)並治療罕見的膽汁淤積性肝病，包括Alagille綜合症(ALGS)、進行性家族性肝內膽汁淤積症(PFIC)及膽道閉鎖(BA)。於2021年4月，我們獲得Mirum授予在大中華區開發、製造及商業化用於治療ALGS、PFIC和BA的CAN108 (maralixibat)的獨家許可。ASBT主要負責將膽汁酸自腸道循環回至肝臟。ASBT抑制會使更多膽汁酸隨糞便排出，導致全身膽汁酸水平降低，從而減少膽汁酸介導的作用及肝損傷。通過在該等環境中靶向膽汁酸，maralixibat有可能改善我們靶向環境中的長期結果及症狀，並提供肝移植的替代治療方法。maralixibat安全數據集廣泛，已在1,600多名人類受試者中進行評估。maralixibat已在由Mirum進行的ALGS及PFIC多項已完成及正在進行的臨床試驗中進行研究，超過120名兒童接受治療，部分接受研究超過七年。Mirum於2021年9月就用於治療ALGS的maralixibat獲得FDA批准。

我們已開始準備CAN108針對ALGS的NDA，根據我們在全球研究的合作夥伴Mirum獲得的數據，預計在2021年12月在中國內地及台灣提交NDA。對於BA而言，我們的合作夥伴Mirum於2021年5月啟動2期全球多中心臨床試驗，我們於中國支持患者招募及臨床中心管理。我們的目標是於2022年上半年在中國啟動患者招募以進行2期試驗。

---

## 概 要

---

Maralixibat為目前全球唯一用於治療ALGS的靶向藥物。目前在中國和世界範圍內，PFIC和BA都沒有獲批產品。在中國和世界範圍內，分別有一種治療ALGS的靶向藥物、兩種治療PFIC的藥物和四種治療BA的藥物正在開發中。詳情請參閱「行業概覽－罕見的膽汁淤積性肝病」。

### **用於補體疾病的CAN106長效抗C5抗體**

CAN106是針對補體C5的人源化單克隆抗體，開發用於治療補體介導的疾病，包括陣發性睡眠性血紅蛋白尿(PNH)，以及獲批准的抗C5抗體靶向的各種其他補體介導的疾病和其他新的潛在適應症。該分子源自Privus的發現，而藥明生物負責CMC的開發。我們已獲得Privus及藥明生物授予開發該候選藥物並將其商業化的全球權利。根據臨床前數據，CAN106表現出良好的PK/PD特徵及耐受性，顯示CAN106具有在降低給藥頻率下有效抑制PNH患者C5的潛力。我們於2020年10月在新加坡提交CAN106的1期臨床試驗IND申請，並於2020年12月獲得新加坡衛生科學局(HSA) IND批准。我們於2021年2月在新加坡對健康志願者啟動CAN106的1期臨床試驗。這項首次人體研究旨在對31名健康志願者進行一項隨機、雙盲、安慰劑對照和單次遞增劑量研究，以評估CAN106的安全性、藥代動力學、藥效學和抗藥物抗體的發展等數據。我們計劃在中國進行1期研究，預期將於2023年第一季度獲得數據結果。我們於2021年7月就PNH的1期研究取得國家藥監局的IND批准。

SOLIRIS是目前中國唯一獲批的針對PNH的產品。在中國和世界範圍內，有八個針對PNH的C5抑制劑正在開發。詳情請參閱「行業概覽－補體介導疾病」。

我們於2021年2月在新加坡對健康志願者啟動CAN106的1期臨床試驗，並於2021年7月就用於治療PHN的CAN106的1期研究取得國家藥監局的IND批准<sup>(1)</sup>。

### **CAN103**

CAN103是源自藥明生物的發現及我們正在中國本土開發的針對戈謝病(GD)的ERT，是我們於2018年從藥明生物收購的首個罕見病藥物資產，我們擁有全球專有的開發和商業化權利。它是在能夠產生重組β-葡萄糖腦苷脂酶(GCase)的工程細胞系產生的，具有高度暴露的甘露糖，可由戈謝病患者的巨噬細胞和可撲弗氏細胞有效吸收，

(1) 國家藥監局並非基於新加坡的1期臨床數據就用於治療PNH的CAN106授出IND批准。

---

## 概 要

---

從而分解葡萄糖腦苷脂 (GL1，一種在GD患者體內積累的脂質)。GD是一種GBA基因突變引發的溶酶體貯積病。根據弗若斯特沙利文的數據，大量研究文獻證明GD是最知名的典型罕見病之一，與其他罕見病相比有更多獲批的藥物。2020年，在中國有約3,000名GD患者。

我們於2021年10月自國家藥監局取得CAN103的IND批准。我們正籌備對成年和青少年GD患者進行的1期臨床試驗，並計劃於2022年上半年啟動患者招募。

目前有六種針對GD的靶向藥物在美國上市，有七種藥物正在中國和世界範圍內開發。詳情請參閱「行業概覽－戈謝病(GD)」。

### 我們的臨床前候選產品

#### **CAN107**

CAN107是中國正在開發的治療X連鎖低磷血症(XLH)重組人源抗FGF23單克隆抗體，目前處於CMC階段籌備進行IND待啟動研究。XLH是一種磷酸鹽代謝遺傳病，基因突變使得X連鎖的磷酸鹽調節內肽酶同源物(PHEX)基因失活，導致PHEX蛋白失活。PHEX蛋白缺乏／失活使其無法正確規範成纖維細胞生長因子23 (FGF23)，導致FGF-23過度活躍，降低了維生素D1  $\alpha$ 羥化和腎臟的磷酸重吸收，進而導致低磷酸鹽血症和相關的遺傳性低磷酸佝僂病症狀，局部性與系統性的影響有生長緩慢、佝僂、骨骼畸形和肌肉功能障礙。根據弗若斯特沙利文的數據，2020年患病率估計為20,000分之一，該遺傳性疾病患病率過去一直保持相對穩定。

#### **CAN104**

CAN104是中國正在開發的一種ERT，用於治療法布雷病(FD)。FD是一種由於 $\alpha$ -Gal A的缺乏或不足導致的遺傳性鞘糖脂代謝溶酶體儲存障礙，可導致危及生命的心臟和腎臟問題。CAN104是一種人源的重組 $\alpha$ -半乳糖苷酶A( $\alpha$ -Gal A)。其作用機制是通過先與甘露糖-6-磷酸受體(M6PRs)結合，然後運輸到溶酶體，從而使細胞內化。在溶酶體中，CAN104催化globotriaosylceramide (GL-3)和其他 $\alpha$ -半乳糖基封端的中性鞘糖脂的水解。我們正在加速CAN104的臨床前開發，現時正處於支持IND研究的細胞系開發階段。FD是最常見的LSD之一，通常於兒童時期發病，在男性中比在女性中更為常見。中國FD患者人數相對較多，約佔全球患者五分之一。

---

## 概 要

---

### **CAN105**

CAN105是一種正在開發用於治療A型血友病的治療藥物，市場潛力巨大。CAN105是一種重組人源化雙特異性抗體，可橋接活化因子IX和因子X以恢復缺失的活化因子VIII的功能，預計其不會受到現有因子VIII抑制劑影響或誘導生成新的抑制物。2020年，中國有超過120,000名A型血友病患者，預期2020年至2025年的複合年增長率為0.5%及2025年至2030年的複合年增長率為0.1%。CAN105預期將在2022年上半年進入臨床前研究階段。

### **基因療法 – CAN201及CAN202**

sL65為用於基因編輯和基因療法的下一代嗜肝性的AAV衣殼平台。2020年5月舉行的美國基因與細胞治療學會（「ASGCT」）會議上，數據顯示衣殼在人源化小鼠模型和非人類靈長類動物中對人肝細胞進行高效的功能轉導。數據亦顯示衣殼的可製造性得到改善，對人類血清樣品中預先存在的中和抗體更具抵抗力。我們正在設計CAN201的臨床前對策，因為我們和我們的合作夥伴LogicBio正在對候選藥物進行臨床前評估。我們的CAN202開發計劃受制於CAN201的開發狀態，以降低過程風險。

### **我們的平台**

我們由一支擁有豐富罕見病行業經驗的管理團隊領導，彼等的經驗涵蓋研發、臨床開發、法規事務、業務發展及商業化，截至最後實際可行日期由173名僱員組成的人才庫提供支持，其中22人擁有博士學位及／或醫學博士學位及有超過80%的僱員擁有在跨國生物製藥公司工作的經驗。我們的管理團隊共同擁有在各主要市場（包括中國、美國、歐洲、拉丁美洲及東南亞）成功商業化罕見病療法的良好業績。憑藉管理層的專業知識，我們在推動中國罕見病行業的發展及打造罕見病生態系統方面發揮積極作用。例如，我們的創始人薛博士目前擔任中國罕見病聯盟（CHARD）副理事長。

自2012年成立以來，我們已經建立起一套豐富的產品組合，專門針對具有巨大市場潛力和經驗證作用機制的疾病，包括生物製劑、小分子及基因療法解決方案。我們採用授權引進業務模式，且除了開發神經肌肉疾病基因治療方案的內部工作外，截至最後實際可行日期，我們所有產品管線均自業務合作夥伴授權引進。我們將通過業務合作以及與學術機構的合作和內部研發持續充實這一渠道。

---

## 概 要

---

- 於罕見病領域，我們擁有七種生物製劑及小分子產品及候選產品，用於治療亨特氏綜合症(MPS II)及其他溶酶體貯積病(LSD)、補體介導紊亂、A型血友病、代謝紊亂，以及罕見膽汁淤積性肝病，包括Alagille綜合症(ALGS)、進行性家族性肝內膽汁淤積症(PFIC)及膽道閉鎖(BA)。其中，我們於2020年9月在中國內地獲得用於MPS II的Hunterase®(CAN101)的上市批准。
- 於罕見腫瘤領域，我們正開發CAN008，用於治療多形性膠質母細胞瘤(GBM)。於2018年，我們在台灣完成了CAN008的1期臨床試驗，在之前海外試驗中獲得的臨床數據的支持下，成功地將CAN008與亞洲新診斷的GBM患者橋接。我們已取得國家藥監局的IND批准，以開展CAN008的一線2期臨床試驗，並於2021年10月就GBM患者一線治療在中國內地進行CAN008 2期臨床試驗的首例患者給藥。其他兩種腫瘤產品Caphosol™(CAN002)和Nerlynx®(CAN030)亦已分別在中國內地及大中華區獲得了上市許可。

除生物製劑及小分子外，我們正在投資於下一代基因療法技術。基因療法為多種罕見基因疾病提供了可能的一次性、持久的治療。於最後實際可行日期，我們正在使用LogicBio Therapeutics授權的AAV sL65衣殼載體，開發兩種分別用於治療法布雷病及龐貝氏病的基因治療產品，根據我們與LogicBio Therapeutics的合作協議，我們可選擇使用相同載體開發兩種額外適應症，以及用於治療甲基丙二酸血症(MMA)的臨床階段基因編輯項目。我們亦與我們的研究合作夥伴UMass合作開展贊助研究計劃，以開發神經肌肉疾病的基因治療解決方案，並獨家選擇許可用於開發的資產。此外，我們正在內部開發針對不同組織的腺相關病毒(AAV)遞送平台，例如中樞神經系統(CNS)及肌肉。

## 競爭

醫藥及生物製藥行業的特徵是技術發展迅速、充滿競爭及非常重視專利藥。儘管我們相信我們的研發經驗及科學知識可為我們提供競爭優勢，但我們面對許多不同來源的潛在競爭，該等來源包括大型製藥公司、專業製藥公司及生物製藥公司、學術機構及其他公共及私人研究機構。我們成功開發及商業化的任何候選藥物均會與現有藥物及未來可能出現的新藥進行競爭。

---

## 概 要

---

GBM為CAN008的適應症，中國目前針對GBM的靶向治療方案包括手術、放射療法聯合TMZ同步化療、腫瘤電場治療(TTF)、貝伐珠單抗(Avastin)及貝伐珠單抗生物類似藥。於2020年，中國GBM的發病例達54,700例，2016年至2020年的複合年增長率為2.0%，預期遞增至2025年的59,800例及2030年的64,400例，複合年增長率分別為1.8%及1.5%。根據弗若斯特沙利文的資料，發病例代表用於GBM的CAN008的總目標市場規模。更多詳情，請參閱「行業概覽－罕見腫瘤－多形性膠質母細胞瘤(GBM)－市場概覽」。弗若斯特沙利文根據文獻報導的患病率和相關專家的訪談估計GBM的流行病學情況。預期國內GBM患病人數的增幅主要是由於未來十年人口老齡化、電離輻射及空氣污染所致。目前有三種GBM靶向藥物在中國上市，22種GBM靶向藥物正在中國和全球開發。CAN008融合蛋白在GBM治療方面具有優於其他治療方案的競爭優勢，包括經驗證的新型作用機制、更高療效和聯合治療的潛力。更多詳情，請參閱「行業概覽－罕見腫瘤－多形性膠質母細胞瘤(GBM)」。

Hunterase® (CAN101)的適應症MPS II，亦稱為亨特氏綜合症，為X聯溶酶體隱性貯積症。MPS II在大中華區的患病人數於2020年達到8,005例，估計於2030年升至8,175例。根據弗若斯特沙利文的資料，MPS II的患病人數代表Hunterase® (CAN101)的總目標市場規模。更多詳情，請參閱「行業概覽－罕見病－黏多糖貯積症II型(MPS II或亨特氏綜合症)－市場概覽」。弗若斯特沙利文根據文獻報導的患病率和相關專家的訪談估計MPS II的流行病學情況。由於MPS II是一種遺傳病，故預期MPS II在大中華區患病人數的穩步增長主要是由於未來十年整體人口增長所致。Hunterase® (CAN101)是中國唯一獲批治療亨特氏綜合症或MPS II的療法，全球有另外三種獲批的MPS II靶向藥物。更多詳情，請參閱「行業概覽－罕見病－黏多糖貯積症II型(MPS II或亨特氏綜合症)」。

有關我們其他候選產品的目標市場，請參閱「行業概覽」。

## 研發

我們相信研發是推動我們的治療策略和保持我們在生物製藥行業的競爭力的關鍵。憑藉我們從臨床前研究到臨床開發的強大內部研發能力，我們致力於增強罕見病藥物組合。

---

## 概 要

---

我們研發團隊的成員均有豐富的臨床前及臨床開發經驗，包括在開發治療不同類型罕見病藥物方面具有有目共睹的往績記錄。截至最後實際可行日期，我們共有173名員工，其中22名擁有博士學位及／或醫學博士學位，而我們超過80%的員工曾在跨國生物製藥公司任職。我們的研發團隊成員平均擁有約10年的相關行業經驗。

為了發揮我們研發團隊的作用，我們促進全公司範圍內的跨職能合作，在具有巨大市場潛力的創新療法的開發過程中實現早期識別及緩釋內在風險。例如，在實施此方法時，我們服務於不同職能團隊的高級研發成員及我們的醫療團隊從項目開始就參與其中，並貫穿我們研究項目的整個臨床前開發過程，使我們的團隊能夠在早期階段熟悉資產，以便提早制定開發思路並為內部研發團隊提供反饋。

我們的研發團隊由我們的創始人、主席兼首席執行官薛博士（醫學博士、工商管理碩士）領導。薛博士是一位資深的企業家，在醫療及製藥公司擁有逾22年的經驗。薛群博士作為健贊中國的創始總經理，主導了包括即複寧和思而贊在內的多個抗血液腫瘤和罕見代謝病特藥在中國的成功上市。彼亦為中國罕見病聯盟(CHARD)的副理事長、中國醫藥創新促進會（中國藥促會）藥物研發專業委員會副主任委員、北京大學醫學部－密歇根大學醫學院聯合研究所領導及發展委員會委員。

截至2019年及2020年12月31日止年度及截至2021年6月30日止六個月，我們的研發開支分別為人民幣55.4百萬元、人民幣109.6百萬元及人民幣274.8百萬元。就我們的核心產品CAN008而言，截至2019年及2020年12月31日止年度以及截至2021年6月30日止六個月的研發開支分別為人民幣11.9百萬元、人民幣4.3百萬元及人民幣17.9百萬元，分別佔研發開支總額的21.5%、3.9%及6.5%。

### 知識產權

知識產權對我們業務的成功具有重要意義。我們的成功部分取決於我們能否獲得及維護與我們業務相關的在商業上屬重要的技術、發明及專有技術的專利及其他知識產權以及所有權保護，維護及執行我們的專利，保護我們商業機密的機密性，並在不侵害、侵佔或以任何其他方式侵犯第三方有效可執行的知識產權的情況下運營。

截至最後實際可行日期，我們在全球擁有或以其他方式享有17項獲批專利及47項待批專利申請的獨家權利。我們認為，要獲得這些待批專利及商標的批准並無重大法律障礙。

## 概 要

下表載列我們的核心產品的關鍵專利權信息：

產品	專利保護範圍	專利申請人／		狀態	專利權 期限*
		持有人	司法權區		
CAN008	CD95-Fc變體	Apogenix	中國、香港	已獲批	2033年
	檢測癌症的試劑和方法	Apogenix	中國	已獲批	2033年
	CD95-Fc亞型	Apogenix	中國、香港	待批	不適用

董事確認，截至最後實際可行日期，我們並非任何與知識產權或其他方面有關的重大法律或行政訴訟的當事方，亦不知悉我們有任何侵犯任何第三方知識產權的情況而可能對我們的業務產生重大不利影響。

有關對我們的業務而言屬重要的專利申請組合的詳情，請參閱「業務 — 知識產權」。

### 合作及許可安排

#### 與Apogenix的開發及許可協議

於2015年6月26日，我們與Apogenix AG (前稱Apogenix GmbH) (「Apogenix」) 訂立開發及許可協議 (「Apogenix協議」，分別於2015年12月、2021年5月及2021年8月經修訂)，內容涉及我們在大中華區開發、製造和商業化APG101化合物(CAN008)和含APG101的藥物產品 (「Apogenix許可產品」) 的專有權利。

根據Apogenix協議，Apogenix向我們授予特定Apogenix專利權、材料和專有技術下的獨家、含特許權使用費許可，用以在大中華區開發 (不包括對合成物進行任何改造)、生產及商業化 (包括上市、推廣、貼標、包裝、分銷、進口、出口、要約出售及出售) Apogenix許可產品，以治療膠質母細胞瘤 (「GBM」) 的患者及／或其他適應症。我們向第三方轉授許可 (不包括向我們和Apogenix的聯屬公司) 均須事先獲得Apogenix書面同意。根據Apogenix協議，如果我們、協議範圍之外的聯屬公司或分授許可持有人在大中華區開始就治療GBM的任何CD95配體抑制劑進行臨床試驗或商業化，則Apogenix可以終止並將我們的獨家許可轉為非獨家許可，並且可以在大中華區獨立開發Apogenix許可產品，我們必須向Apogenix授予我們開發數據的非獨家許可。

\* 專利權期限不包括任何適用的專利期限延長

## 概 要

根據Apogenix協議，我們負責在大中華區開發、製造和商業化治療GBM用的APG101。我們須盡商業合理努力，以在大中華區開發Apogenix許可產品、就此獲得監管批准並使其商業化，且我們應承擔我們或Apogenix在Apogenix協議中訂明與該等活動相關的開發計劃和技術轉讓<sup>(1)</sup>下產生的所有成本和費用。我們將在中國獨立開發CAN008，而Apogenix僅被動參與CAN008在中國的開發過程。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與Apogenix的開發及許可協議」。

### 與GC Pharma的獨家許可協議

於2019年1月3日，我們與綠十字公司（「GC Pharma」）訂立許可協議（「GC Pharma協議」），內容涉及開發和商業化<sup>(2)</sup>任何GC Pharma開發的含有化合物Idursulfase- $\beta$ 的生物製藥產品（作為一種活性藥物成份，在所有適應症（CNS特定適應症除外）（「GC Pharma許可領域」）中均被配製用於靜脈內給藥，用於治療II型黏多糖貯積症（亦稱作亨特氏綜合症）（「GC Pharma許可產品」）的獨家權利。GC Pharma許可產品指由GC Pharma或代表GC Pharma目前在大中華區以外以產品名Hunterase<sup>®</sup>（CAN101）銷售的產品。

根據GC Pharma協議，GC Pharma向我們授予若干與GC Pharma許可產品相關的專利權、技術知識及產品名稱及商標下的獨家、可轉授（附帶若干條件）、含特許權使用費的權利及許可，用以在大中華區GC Pharma許可領域開發及商業化（不包括生產活動）GC Pharma許可產品。根據GC Pharma協議，我們選擇不在以下省份進行商業化：山西、貴州、甘肅、青海、西藏、吉林和雲南<sup>(3)</sup>，應GC Pharma書面要求，須訂立分授許可協議，將我們於GC Pharma協議項下的商業化權利授予一個或多個該等省份內的指定GC Pharma聯屬公司。對於治療CNS適應症中的II型黏多糖貯積症的GC Pharma許可產品的開發和商業化，GC Pharma授予我們在許可區域內開展合作的優先談判

- (1) Apogenix協議項下的技術轉讓主要涉及轉讓CMC過程相關的所有原材料（包括一氣雙胍及化驗成分）及化驗信息。有關技術轉讓已於2018年根據Apogenix協議的條款及付款時間表完成。
- (2) GC Pharma負責製造CAN101。
- (3) 我們認為該等省份在商業上吸引力較低，且患者支付能力及健康意識較低。倘市場更加成熟，GC Pharma協議並不妨礙我們在該等省份進行商業化。

---

## 概 要

---

權。就GC Pharma向第三方授予或從第三方獲得要約以在許可區域內開發或商業化GC Pharma許可產品以治療CNS適應症中的II型黏多糖貯積症而言，GC Pharma還向我們授予優先購買權。

根據GC Pharma協議，我們有責任且必須盡商業上的合理努力開發GC Pharma許可產品、就其獲得監管批准並使其商業化，且我們應承擔我們或代表我們就該等活動產生的所有成本和費用。除非另行協定，否則我們同意購買且GC Pharma同意按GC Pharma協議規定的固定價格向我們提供GC Pharma許可產品，並免費向我們提供樣品以供監管部門批准。我們還同意不直接或間接開發、製造或商業化任何指定用於治療中國II型黏多糖貯積症的產品，惟GC Pharma許可產品除外。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與GC Pharma的獨家許可協議」。

### 與藥明生物的獨家許可協議

於2019年1月7日，我們與WuXi Biologics Ireland Limited（「藥明生物」）訂立許可協議（「藥明生物協議」），其中藥明生物向我們授予(i) (a)於協議期內在大中華區使用藥明生物或其聯屬公司控制的所有專利及專利應用，涵蓋對與C5蛋白特異性結合的抗C5抗體或含有抗C5抗體的藥物組合物（「藥明生物許可產品」，代表CAN106）及(b)僅與藥明生物許可產品有關的專有技術項下的獨家、可轉讓（受若干條件規限）、含特許權使用費許可，以及(ii)與藥明生物許可產品和其他產品相關的若干專業知識項下的非獨家、含特許權使用費許可，在(i)和(ii)各情況下均附有多級分授許可的權利（受若干條件規限），以在大中華區就與抗C5抗體相關的所有適應症製造、製成、使用、註冊、出售、要約出售、售出、進口、出口、利用、研究、改善、開發及商業化藥明生物許可產品（包括所有改進及／或改造）。我們在協議期內隨時向藥明生物回授我們、我們的聯屬公司或分授許可持有人控制的所有專利權及專有技術下的聯合獨家、不可撤回、繳足、免特許權使用費許可，有關許可僅與藥明生物許可產品或抗C5抗體或其研究、開發、製造、商業化、銷售或使用有關。藥明生物已就藥明生物許可產品的全球許可向我們授予優先談判權以及就第三方授予或自藥明生物獲得全球許可向我們授予優先購買權，各情況均在大中華區之外。

---

## 概 要

---

根據藥明生物協議，我們將負責藥明生物許可產品的開發和商業化。我們必須盡商業上的合理努力開發藥明生物許可產品、就其獲得監管批准並使其商業化，且我們應承擔我們或代表我們就該等活動產生的所有成本和費用。除非另行協定，否則藥明生物是我們藥明生物許可產品的獨家臨床供應商和主要商業供應商。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與藥明生物的獨家許可協議」。

### 與Privus的獨家許可協議

於2020年5月9日，我們與Privus Biologics, LLC (「Privus」) 訂立許可協議 (「Privus協議」)，其中Privus授予我們(i) (a)在協議期限內由Privus或其聯屬公司在除大中華區之外全球範圍內所控制就一種C5a及C5b蛋白的末端補體抑制劑以及所有由Privus控制的C5a和C5b蛋白的其他末端補體抑制劑 (「Privus許可產品」) 的所有專利及專利申請；及(b)僅與Privus許可產品有關的專有技術，以及就所有Privus許可產品在除大中華區之外全球範圍內通過多級分授許可的權利項下的獨家、可轉讓 (受若干條件規限)、含特許權使用費許可。

根據Privus協議，我們將對Privus許可產品的所有開發及商業化擁有唯一控制權、負有責任及決策權，成本及費用由我們單獨承擔。我們須盡商業上的合理努力開發、尋求監管部門的批准並將Privus許可產品商業化，且我們負責我們或代表我們所產生的與有關活動相關的所有成本及費用。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與Privus的獨家許可協議」。

### 與UMass的合作

於2020年6月1日，我們與馬薩諸塞大學 (由其醫學院代表並僅代表其醫學院) (「UMass」) 訂立贊助研究協議，據此，我們獲授獨家選擇權，以獲取若干UMass的專利權及與之相關的未來專利權下的全球性、含特許權使用費的獨家許可 (附帶多級分授許可的權利)，以使用及利用該等權利預防、治療、治癒或控制與某些神經修復障礙有關的病症。我們行使獨家選擇權使我們和UMass有義務真誠協商載有合理條款的許可協議。考慮到研究項目的執行情況和所授出的權利，我們須按照贊助研究協議載明的每年兩次定期預付款向UMass提供財務支援。根據贊助研究協議，UMass向我們授予

---

## 概 要

---

贊助研究項目產生的所有UMass的專利權項下的全球性、免特許權使用費、繳足、永久性、非獨家許可，而並無分授許可權，以製造、製成、使用、租賃、出售、售出、要約出售和進口產品，並以其他方式使用該等專利權，但前提是我們同意(a)出於公共利益而竭盡合理努力將該等產品商業化；及(b)在所有我們獲授非獨家許可權的國家(包括美國)中按比例(與其他非獨家被許可人等分)支付專利申請和維護費用。除非提前終止，否則贊助研究協議將一直有效，直至自2020年6月1日起計兩年或研究項目完成(以較遲發生者為準)。倘(i)主要研究員離職UMass且在60天內並無確定可接受的替代者或以其他方式終止其參與研究項目，或(ii)各方無法根據贊助研究協議的有關規定，就研究項目的最新進展達成一致意見，我們可能會提前30天通知終止贊助研究協議。任何一方均可在另一方嚴重違反協議而無法補救時終止贊助研究協議。

於2020年9月1日，我們與UMass(由其醫學院代表並僅代表其醫學院)訂立另一項贊助研究協議，涉及一項有關對抗體中和敏感性較低、較高CNS和肌肉嗜性的經改造AAV衣殼的研究項目，據此，我們獲授一項獨家選擇權，以獲得該贊助研究項目相關的若干UMass專利權和未來專利權項下的全球性、含特許權專用費的獨家許可(附有分級分授許可的權利)，以使用和行使該等權利來預防、治療、治癒或控制人類適應症、疾病、紊亂或症狀。我們行使獨家選擇權使我們和UMass有義務真誠協商載有合理條款的許可協議。考慮到研究項目的執行情況和所授出的權利，我們須按照贊助研究協議載明的每年兩次定期預付款向UMass提供財務支援(包括材料、試劑、消耗品、供應及人員成本)。反之，我們與UMass擁有我們與UMass共同構想或付諸實踐的所有專利權的共同、不可分割的擁有權。除非提前終止，否則贊助研究協議將一直有效，直至自2020年6月1日起計兩年或研究項目完成。倘(i)主要研究員離職UMass且在60天內並無確定可接受的替代者或以其他方式終止其參與研究項目，或(ii)各方無法根據贊助研究協議的有關規定，就研究項目的最新進展達成一致意見，我們可能會提前30天通知終止贊助研究協議。任何一方均可在另一方嚴重違反協議而無法補救時終止贊助研究協議。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與UMass的合作」。

---

## 概 要

---

### 與LogicBio的合作

於2021年4月26日，我們與LogicBio Therapeutics, Inc. (「LogicBio」) 訂立戰略合作及許可協議，當中LogicBio授予我們(i)若干LogicBio專利及專有技術的全球性、含特許權使用費、多級分授許可權(受若干條件所限)、獨家許可權，以針對兩個靶點(治療法布雷病及龐貝氏病)開發、生產及商業化基因療法候選藥物，有關LogicBio專利及專有技術，包括LogicBio的腺相關病毒(AAV) sL65(一種由LogicBio sAAVy™平台產生的衣殼)；(ii)就另外兩個靶點開發基於AAV sL65治療方法的選擇權；及(iii)取得大中華區LogicBio LB-001專利及專有技術的獨家、含特許權使用費、多級分授許可權(受若干條件所限)、許可權的選擇權，而LB-001為一項基於GeneRide™平台的研究性體內基因編輯技術，具有治療甲基丙二酸血症(MMA)的潛力(統稱為「LogicBio許可產品」)。根據協議，我們就LogicBio履行其於協議項下的責任授予LogicBio免特許權使用費、非獨家、分授許可權、許可權。

我們須採取商業上合理的努力，在若干國家各開發一種直接針對各許可適應症的靶點的LogicBio許可產品並尋求監管批准，以及在取得有關國家適用生物製劑許可申請批准後，我們有責任通過商業上合理的努力獲得監管批准並在該國家將有關產品商業化。同樣，倘我們行使LB-001選擇權，我們需要在大中華區作出商業上合理的努力，就LB-001開發、尋求監管批准及商業化LogicBio許可產品。除協議另有規定外，我們於大中華區對LogicBio許可產品全權負責並將全權控制、準備、提交及維護監管提交文件，以及與監管機構進行溝通。

根據協議條款，LogicBio將有權就若干靶點按逐個靶點基準，選擇就一定時限內直接針對適用靶點的產品與我們簽訂一份單獨的全球性、聯合獨家(與我們)共同開發及共同商業化協議。我們及LogicBio將全權負責開展分配予我們或LogicBio的活動。

根據協議條款，按除LB-001產品外的逐個產品基準，於LogicBio初始生產期間，LogicBio全權負責所有生產活動。於LogicBio初步生產期後，我們將就所有生產活動負全責及擁有唯一決策權。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與LogicBio的合作」。

---

## 概 要

---

### 與Mirum的合作

於2021年4月28日，我們與Mirum Pharmaceuticals, Inc. (「Mirum」) 訂立許可協議。據此，Mirum就若干Mirum許可的技術及專利向我們授出獨家、含特許權使用費及分授許可權 (惟受限於若干條件)，以開發、生產及商業化maralixibat (一種研究性口服藥物) 以及含有maralixibat (「Mirum許可產品」) 的藥品，而該藥品於ALGS、PFIC及BA的大中華區許可地區正接受多項適應症 (包括Alagille綜合症(ALGS)、進行性家族性肝內膽汁淤積(PFIC)及膽道閉鎖(BA)) 評估。授予我們的許可構成Mirum的上游許可協議的分授許可權，而Mirum在未經我們的事先書面同意情況下不得修訂或終止有關許可。

與Mirum合作期間，我們已同意監督Mirum在中國的臨床研究點，旨在加快全球EMBARC的2b期研究招募人數，近期針對BA患者啟動。我們亦有權根據若干條件在大中華區生產maralixibat。我們須在大中華區盡商業上的合理努力開發及商業化Mirum許可產品 (成本及費用由我們單獨承擔)，且負責在許可地區取得Mirum許可產品的監管批准。

更多詳情，請參閱「業務－合作及許可安排－與Mirum的合作」。

### 銷售及營銷

截至最後實際可行日期，我們已將三種產品商業化，即分別於中國內地、大中華區及中國內地商業化Caphosol™ (CAN002)、Nerlynx® (CAN030)及Hunterase® (CAN101)。我們結合內部銷售和營銷團隊以及獨立分銷商網絡於大中華區銷售我們的產品。我們的管理團隊於中國、東南亞、美國、拉美及歐洲等主要市場罕見病治療成功商業化方面擁有豐富的經驗，在其領導下，我們組建了一支經驗豐富的商業化團隊以確保我們獲批准候選藥物的成功商業化。截至最後實際可行日期，我們已成立了由我們的中國區總經理陸義駿先生及首席商務官Marcelo Cheresky先生共同領導由81名成員組成的商業化團隊。我們預期於未來五年擴展我們的商業化團隊至超過300名成員，包含市場與銷售、醫學事務和患者權益，以及服務三大主要職能，旨在執行發展KOL的醫學項目、提高社會疾病認知及探索有助於藥物開發的行業見解。

---

## 概 要

---

我們運用策略性營銷模式，以增加市場滲透率並推廣產品。根據該模式，我們通過學術推廣、建立卓越中心及轉診網絡以及為醫生提供培訓，向大中華區的醫院及醫生推廣我們的產品。具體而言，已針對CAN108等即將上市的候選產品開展了一系列營銷活動，包括在我們的目標罕見疾病方面與具有專業知識的醫院展開合作，與初級衛生保健基金會於線上與線下協辦區域教育研討會引進KOL的參與。我們計劃在CAN008和其他管道產品接近商業化階段時推動類似的營銷策略。隨著更多後期候選藥物進入商業化階段，我們並且計劃在全國各重點省份設立辦事處。請參閱「我們的策略－推動我們後期資產在大中華區的商業化」。

### 定價

我們在釐定產品價格時，考慮臨床價值、當前有待滿足的醫療需要、產品質量、生產成本、產品進軍國家／地區的「健康經濟學」、患者負擔能力和競爭對手的定價策略。經考慮前述的主要因素，Hunterase®(CAN101)在中國的上市銷售價格與其在韓國先前獲批核及得以商業化的報銷價格相近。我們與一家醫療支付服務提供商合作，啟動Hunterase®患者援助計劃，以增加在中國患者獲得Hunterase®(CAN101)的機會。我們預期當CAN008進入商業化階段，將推行類似的定價策略。相信我們對有關產品的定價策略可以在患者的負擔能力與可持續回報之間取得平衡。

截至最後實際可行日期，我們的核心產品CAN008仍處於臨床階段，而我們三種商業化產品CAN101、CAN002及CAN030則未被納入中國或其他相關地區的國家或省級公共醫療保險計劃中。鑒於目前的情況，我們認為，產品於近期內仍然不大可能會被納入中國的國家公共醫療保險計劃中。然而，我們注意到，多年來中國在地方層面的罕見病保險機制方面進行了探索，合共有29個省就若干罕見病實施各種報銷方式的保險政策。倘若我們的商業化產品或商業化後的核心產品被納入公共醫療保險計劃中，我們可能面臨價格下行壓力。然而，這也將促增銷量，因而進一步推動我們產品的市場增長。

### 客戶

截至2019年及2020年12月31日止年度及截至2021年6月30日止六個月，我們向五大客戶的總銷售額分別為人民幣1.5百萬元、人民幣9.4百萬元及人民幣6.4百萬元，分別佔我們收入的100.0%、77.7%及52.4%。同期向我們最大客戶的銷售額分別為人民幣1.1百萬元、人民幣5.3百萬元及人民幣2.2百萬元，分別佔我們收入的72.2%、44.2%及17.7%。

---

## 概 要

---

### 原材料及供應商

於往績記錄期間，我們的供應商主要包括(i)我們就授權引進的候選藥物取得知識產權的許可方；及(ii)提供第三方研發承包服務的CRO及CDMO。我們根據供應商的產品品質、行業聲譽以及是否符合相關法規及行業標準來選擇供應商。

截至2019年及2020年12月31日止年度及截至2021年6月30日止六個月，向五大供應商作出的採購總額分別佔我們總採購額（包括增值稅）的63.1%、83.7%及69.3%，而同期向我們最大供應商作出的採購額分別佔我們總採購額的42.8%、55.6%及23.3%（包括增值稅）。於往績記錄期間，我們的採購主要包括許可協議下的權利和研發服務。

於往績記錄期間，我們並無為商業生產採購原材料或設備。

### 我們的競爭優勢

我們認為，我們擁有以下令我們有別於競爭對手的優勢：

- 致力於解決未獲滿足醫療需求的罕見病生物醫藥公司
- 全面且收益潛力可觀的罕見病療法組合
- 廣泛戰略夥伴關係以尋找全球創新療法
- 設有罕見病平台，有助於在中國及全球推動快速及全面產品開發及市場准入
- 管理層團隊具有豐富的行業經驗和在全球商業化罕見病療法的往績記錄

### 我們的策略

我們的願景是成為全球生物醫藥領域的領導者，為中國及全球罕見病患者提供靶向療法。我們計劃實施以下策略以實現我們的願景：

- 進一步鞏固我們於中國罕見病生態系統的地位，建立全球罕見病特許經營制度
- 推動我們後期資產在大中華區的商業化

---

## 概 要

---

- 快速推進及擴展產品組合
- 通過夥伴關係及合作創造最大價值
- 憑藉全球及大中華區市場的內部藥物研究、開發及生產基礎設施提升能力

### 我們的單一最大股東

於最後實際可行日期，本公司並無控股股東（定義見上市規則）。截至最後實際可行日期，我們的創始人、董事會主席、執行董事兼首席執行官薛博士通過(i)其自身名義實益持有、(ii) CTX Pharma（薛博士全資擁有的投資控股實體）、(iii)投票權委託協議及(iv)家族信託最終控制本公司合共18.84%的投票權，投票權多於本公司任何其他股東。投票權委託協議將在[編纂]時終止。緊隨股份拆細及[編纂]完成後（假設[編纂]未獲行使，且未計及根據[編纂]股權激勵計劃授出的購股權獲行使後將發行的任何額外股份），預期薛博士將通過(i)其自身，(ii) CTX Pharma及(iii)家族信託最終控制本公司合共[編纂]%的投票權，仍高於任何其他股東。詳情請參閱「歷史、重組及公司架構－我們緊接股份拆細、轉換及[編纂]前的架構」、「歷史、重組及公司架構－我們緊隨[編纂]後的架構」及「主要股東」各節。

### 我們的[編纂]投資者

自2015年起，根據各投資協議，我們已獲得總額約為269百萬美元的[編纂]投資。我們的[編纂]投資者包括若干資深投資者，如WuXi PharmaTech Healthcare Fund I L.P.、藥明康德（香港）有限公司、RA Capital Health Fund, L.P.、RA Capital Nexus Fund, L.P.、Blackwell Partners LLC – Series A、Qiming Venture Partners IV, L.P.及Qiming Managing Directors Fund IV, L.P.。請參閱本文件「歷史、重組及公司架構－[編纂]投資」一節。

### 主要財務狀況概要

下文所載歷史財務資料數據概要乃摘錄自本文件附錄一會計師報告所載綜合財務報表（包括隨附附註）以及本文件「財務資料」所載資料，並應與該等資料一併閱讀。我們的財務資料乃根據國際財務報告準則編製。

## 概 要

### 綜合損益表數據概要

下表載列我們於所示期間的綜合損益表，乃摘錄自本文件附錄一會計師報告所載綜合損益表：

	截至12月31日止年度		截至6月30日止六個月	
	2019年	2020年	2020年	2021年
	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元
			(未經審核)	
收益	1,469	12,032	1,944	12,192
銷售成本	(504)	(5,154)	(838)	(5,353)
毛利	965	6,878	1,106	6,839
其他收入及收益	580	1,359	747	11,052
銷售及分銷開支	(28,881)	(51,008)	(16,401)	(44,768)
行政開支	(53,719)	(77,716)	(29,337)	(52,928)
研發開支	(55,383)	(109,642)	(35,884)	(274,837)
可轉換可贖回優先股的公平值變動	(73,694)	(591,385)	(79,043)	(21,848)
可轉債的公平值變動	(1,584)	1,689	1,689	–
衍生金融工具的公平值變動	(17)	(20,746)	3,175	34,454
其他開支	(3,667)	(1,599)	(663)	(609)
融資成本	(2,275)	(3,873)	(2,119)	(1,558)
除稅前虧損	(217,675)	(846,043)	(156,730)	(344,203)
所得稅開支	–	–	–	–
年／期內虧損	(217,675)	(846,043)	(156,730)	(344,203)
以下人士應佔：				
母公司擁有人	(217,675)	(846,043)	(156,730)	(344,203)

於往績記錄期間，我們的收益來自將醫療產品（包括Caphosol™(CAN002)、Nerlynx®(CAN030)及Hunterase®(CAN101)）銷往三個國家或地區。於往績記錄期間的收益增加主要歸因於我們的Nerlynx® (CAN030)自2019年12月在香港、2020年11月在中國內地及2020年12月在台灣推出以來的銷售額增加。截至2019年及2020年止年度以及截至2021年6月30日止六個月，Caphosol™(CAN002)產生的收益分別為人民幣1.1百萬元、人民幣0.4百萬元及人民幣0.9百萬元，而Nerlynx® (CAN030)產生的收益分別為人民幣0.4百萬元、人民幣11.7百萬元及人民幣10.7百萬元。截至2021年6月30日止六個月，Hunterase® (CAN101)產生的收益為人民幣0.7百萬元。

## 概 要

### 地區資料

	截至12月31日止年度				截至6月30日止六個月			
	2019年		2020年		2020年		2021年	
	人民幣	佔總收益的	人民幣	佔總收益的	人民幣	佔總收益的	人民幣	佔總收益的
	千元	百分比	千元	百分比	千元	百分比	千元	百分比
中國內地	1,061	72.2%	5,448	45.3%	117	6.0%	3,837	31.5%
台灣	-	-	319	2.6%	-	-	5,418	44.4%
香港	408	27.8%	6,265	52.1%	1,827	94.0%	2,937	24.1%
	<u>1,469</u>	<u>100.0%</u>	<u>12,032</u>	<u>100.0%</u>	<u>1,944</u>	<u>100.0%</u>	<u>12,192</u>	<u>100.0%</u>

上述收益資料根據客戶的位置釐定。

2020年的虧損淨額增加主要歸因於可轉換可贖回優先股的公平值變動由2019年的虧損人民幣73.7百萬元增加至2020年的虧損人民幣591.4百萬元，主要由於本公司的估值增加所致。截至2021年6月30日止六個月的虧損淨額增加，主要是由於(i)許可費由截至2020年6月30日止六個月的人民幣19.2百萬元增加至截至2021年6月30日止六個月的人民幣173.3百萬元，及(ii)測試及臨床試驗開支由截至2020年6月30日止六個月的人民幣1.7百萬元增加至截至2021年6月30日止六個月的人民幣67.0百萬元，乃由於截至2021年6月30日止六個月就在研候選藥物開展的CRO及CMC活動多於2020年同期。更多詳情請參閱本文件「財務資料－損益表節選部分的描述」。

可轉換可贖回優先股的公平值變動已經並將持續對我們於往績記錄期間及之後的表現產生不利影響，直至優先股於[編纂]後轉換為普通股。儘管向[編纂]投資者發行的金融工具的公平值虧損已對我們於往績記錄期間的財務狀況產生了不利影響，但該等金融工具於[編纂]後將自動轉換為股份，其後，我們預計不會因可轉換可贖回優先股的公平值變動確認任何額外虧損或收益。由於優先股於[編纂]後將自動轉換為普通股，可轉換可贖回優先股將從金融負債重新被指定為權益，從而將負債淨額狀況轉為資產淨值狀況。更多資料請參閱「風險因素－與我們的財務狀況及額外資金需求有關的風險－按公平值計入損益的可轉換可贖回優先股、可轉債及衍生金融工具的公平值變動，可能對我們的經營業績、財務狀況及前景造成不利影響」一節。

## 概 要

### 綜合財務狀況表數據概要

下表載列我們截至所示日期的綜合財務狀況表的選定資料，乃摘錄自本文件附錄一所載的會計師報告：

	截至12月31日		截至
	2019年	2020年	6月30日
	人民幣千元	人民幣千元	2021年 人民幣千元
非流動資產總值 <sup>(1)</sup>	50,645	195,313	70,939
流動資產總值	37,905	391,045	480,432
<b>資產總值</b>	<b>88,550</b>	<b>586,358</b>	<b>551,371</b>
流動負債總額	43,749	108,103	100,925
非流動負債總額	1,035,447	2,224,111	2,515,244
<b>負債總額</b>	<b>1,079,196</b>	<b>2,332,214</b>	<b>2,616,169</b>
流動(負債)／資產淨額	(5,844)	282,942	379,507
<b>負債淨額</b>	<b>(990,646)</b>	<b>(1,745,856)</b>	<b>(2,064,798)</b>
股本	5	5	5
儲備	(990,651)	(1,745,861)	(2,064,803)
<b>權益總額</b>	<b>(990,646)</b>	<b>(1,745,856)</b>	<b>(2,064,798)</b>

截至2019年12月31日及2020年12月31日，我們分別錄得流動負債淨額人民幣5.8百萬元及流動資產淨值人民幣282.9百萬元。截至2021年6月30日，我們錄得流動資產淨值人民幣379.5百萬元。截至2021年8月31日（即本文件的流動資金披露的最後實際可行日期），我們錄得流動資產淨值人民幣316.7百萬元。截至2019年12月31日，本公司的流動負債淨額為人民幣5.8百萬元，主要由於其他應付款項及應計費用以及計息銀行及其他借款金額較大。於2019年、2020年12月31日及2021年6月30日，本公司分別錄得負債淨額人民幣990.6百萬元、人民幣1,745.9百萬元及人民幣2,064.8百萬元，主要由於通過多輪融資安排發行並於2019年、2020年12月31日以及2021年6月30日於綜合財務狀況表中按公平值計量為負債的可轉換可贖回優先股。

更多詳情請參閱本文件「財務資料－綜合財務狀況表若干選定項目的討論」。

## 概 要

### 綜合現金流量表數據概要

下表載列我們於所示期間的綜合現金流量表數據概要：

	截至12月31日		截至6月30日	
	2019年	2020年	2020年	2021年
	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元
營運資金變動前經營活動				
所得現金流量	(116,560)	(198,611)	(67,740)	(351,521)
營運資金變動	(9,735)	45,999	(2,902)	(10,762)
已收利息	120	964	454	1,124
經營活動所用現金流量淨額	(126,175)	(151,648)	(70,188)	(361,159)
投資活動所得／(所用)				
現金流量淨額	(42,420)	(153,483)	(146,104)	128,581
融資活動所得／(所用)				
現金流量淨額	96,967	679,263	397,538	315,383
現金及現金等價物增加／(減少)淨額	(71,628)	347,132	181,246	82,805
年初現金及現金等價物	85,240	13,873	13,873	360,804
匯率變動的影響淨額	261	(27,201)	(470)	(1,509)
年末現金及現金等價物	13,873	360,804	194,649	442,100

於往績記錄期間，我們的經營產生負的現金流量淨額，主要是由於我們的研發開支所致。我們的經營現金流量將繼續受到我們的研發以及銷售及分銷開支影響。於往績記錄期間及直至最後實際可行日期，我們主要通過私募股權融資所得款項來滿足營運資金需求。我們的管理層密切監控現金的使用及現金餘額，並為我們的運營維持穩健的流動資金，隨著我們業務的發展及擴張，我們預計將通過推出及商業化我們獲批產品以及提升經營效能，從經營活動中產生更多的現金流量。

自業務開始經營後，我們自經營產生負現金流量。我們絕大部分的經營現金流出乃由於研發成本、銷售及分銷開支以及行政開支所致。鑒於我們在整個往績記錄期間錄得淨經營現金流出，我們計劃通過以下方式改善該狀況：(i)進一步增加我們獲批准產品的銷售；(ii)快速推進我們的後期管線產品商業化以從產品銷售中獲得收益；(iii)

## 概 要

採取綜合措施有效控制我們的成本及經營開支（主要包括研發成本、銷售及分銷開支以及行政開支）；(iv)提高營運資金管理效率；(v)成功進行[編纂]以獲得[編纂]；及(vi)在需要時通過公開或私募發售、債務融資、合作及許可安排或其他來源尋求額外資金。

現金消耗率指月均(i)經營活動所用現金淨額，包括研發開支；及(ii)資本開支。截至2021年8月31日，我們擁有銀行結餘及現金人民幣381.5百萬元。經扣減我們於[編纂]中應支付的[編纂]費用及開支後，假設[編纂]未獲行使以及假設[編纂]為每股[編纂][編纂]港元（即本文件每股[編纂]的指示性[編纂]範圍[編纂]港元至[編纂]港元的中位數），我們估計將收取約[編纂]港元的[編纂]淨額。假設未來平均現金消耗率與2020年水平相同，我們估計截至2021年[8月31日]的現金及現金等價物將能夠使我們維持15個月的財務穩定。假設未來平均現金消耗率為2020年水平的兩倍，如計及[編纂]的估計[編纂]淨額，我們估計截至2021年8月31日的現金及現金等價物將能夠使我們維持36個月的財務穩定。我們將繼續密切監察我們的營運資金、現金流量及我們業務發展的進度。

### 主要財務比率

下表載列本集團於所示期間或截至所示日期的主要財務比率：

	截至12月31日止年度		截至6月30日止六個月	
	2019年	2020年	2020年	2021年
毛利率 <sup>(1)</sup>	65.7%	57.2%	56.9%	56.1%
		截至12月31日	截至6月30日	
		2019年	2020年	2021年
流動比率 <sup>(2)</sup>		86.6%	361.7%	476.0%

附註：

- (1) 毛利率等於截至年／期末的毛利除以收益。
- (2) 流動比率等於截至年／期末的流動資產除以流動負債。

---

## 概 要

---

由於業務策略調整及我們商業化產品的平均售價降低，我們的毛利率由2019年的65.7%下降至2020年的57.2%。我們於截至2020年6月30日止六個月及截至2021年6月30日止六個月的毛利率保持穩定，分別為56.9%及56.1%。有關我們毛利率變動的更多資料，請參閱「財務資料－截至2019年12月31日止年度與截至2020年12月31日止年度的比較－毛利及毛利率」及「財務資料－截至2020年6月30日止六個月與截至2021年6月30日止六個月的比較－毛利及毛利率」。

[ 編 纂 ]

---

## 概 要

---

### [編纂]用途

我們估計，經扣除我們就[編纂]應付的[編纂]佣金、費用及估計開支後，假設[編纂]未獲行使及假設[編纂]為每股股份[編纂]港元（即本文件所述指示性[編纂]範圍的中位數），我們將收到的[編纂][編纂]淨額約為[編纂]港元。

我們擬將[編纂]淨額用於以下用途，惟根據我們不斷變化的業務需求及不斷變化的市場環境而作出變動：

- 約[編纂]%或[編纂]港元，將分配用於為我們的核心產品候選藥物CAN008的現有及日後研發（包括已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）、CMC開發以及生產（主要包括蘇州在建設施，該設施將包辦CAN008的流程發展及於GMP環境生產臨床試驗材料；臨床試驗材料生產亦可由現時的CMO轉移至蘇州設施）提供資金；
- 約[編纂]%或[編纂]港元，將分配用於為我們產品管線中的主要產品及候選產品提供資金；
  - i. 約[編纂]%或[編纂]港元，預計用於為Hunterase® (CAN101)的持續商業化、批准後研究及里程碑費用提供資金；
  - ii. 約[編纂]%或[編纂]港元，預計用於為CAN106的現有及日後研發（包括於新加坡及中國的現有及已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）提供資金；
  - iii. 約[編纂]%或[編纂]港元，預計用於為CAN103的現有及日後研發（包括現有及已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）提供資金；
  - iv. 約[編纂]%或[編纂]港元，預計用於為CAN108的現有及日後研發（包括現有及已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）以及日後商業推出（包括銷售及市場推廣）提供資金；
- 約[編纂]%或[編纂]港元，將分配用於為我們產品管線中其他非基因療法產品及候選產品的現有及日後研發（包括現有及已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）提供資金；
- 約[編纂]%或[編纂]港元，預計用於為CAN201、CAN202及其他基因治療項目的現有及日後研發（包括現有及已計劃的臨床試驗、登記備案籌備及里程碑費用）提供資金；

---

## 概 要

---

[編纂]淨額的餘下[編纂]%或[編纂]港元，將分配用於為研發及其他一般業務用途提供資金，詳情如下：

- 約[編纂]%或[編纂]港元將分配用於為我們所有產品及候選藥物發展我們在中國及美國的研發及生產設施，以及在中國及美國進行潛在辦事處及場地擴張與升級。本用途下分配予中國研發及生產設施的[編纂]是指與蘇州在建設施相關的成本，該設施將用於開發及生產除CAN008以外的產品及候選藥物。此用途下的研發及生產設施以及CMC開發及生產CAN008的[編纂]用途並無重疊；
- 約[編纂]%或[編纂]港元將分配用於我們在中國及美國的其他研發活動（包括僱傭成本）；
- 約[編纂]%或[編纂]港元將分配用作潛在策略性收購、投資、授權引進或合作。我們並無任何具體收購目標，但計劃探索罕見病及基因療法領域的候選藥物，這可能為我們現有藥物組合的補充；
- 約[編纂]%或[編纂]港元將用於商業化活動（包括擴展我們的銷售及營銷團隊）；及
- 約[編纂]%或[編纂]港元將用作營運資金及一般企業用途。

有關進一步詳情，請參閱「未來計劃及[編纂]用途」。

## 股息

於往績記錄期間，我們概無派付或宣派任何股息。閣下應知悉，過往股息分派並非我們未來股息分派政策的指標。

我們為於開曼群島註冊成立的控股公司。我們可能需要我們的中國附屬公司分派股息及作出其他權益分派，以滿足我們的流動資金需求。根據當前中國法規，我們的中國附屬公司僅可以其根據中國會計準則及法規釐定的累計除稅後溢利（如有）向我們派付股息。此外，我們的中國附屬公司須每年至少撥出其各自累計除稅後溢利的10%（如有）以為若干儲備金提供資金，直至撥出的總金額達至其各自註冊資本的50%為

---

## 概 要

---

止。我們的中國附屬公司亦可能根據中國會計準則酌情將其部分除稅後溢利分配至僱員福利及花紅基金。該等儲備不可作為現金股息分派。此外，倘我們的中國附屬公司日後自行承擔債務，則監管債務的工具可能會限制其向我們派付股息或作出其他付款的能力。

目前，我們預期保留所有未來盈利以用於經營及擴充業務，且預期於可預見未來不會派付現金股息。任何宣派及派付股息以及股息的金額將均須遵守我們的組織章程文件及開曼群島公司法。日後任何股息的宣派及派付均將由董事會酌情決定，並將視乎多項因素而定，包括我們的盈利、資本需求、整體財務狀況及合約限制。股東可於股東大會上批准任何股息宣派，惟不得超過董事會建議的金額。如我們的開曼群島法律顧問所告知，根據開曼群島公司法，開曼群島公司可以溢利或股份溢價賬派付股息，惟於將引致本公司無法支付其於日常業務過程中到期的債務的情況下不得派付股息。鑒於本文件所披露的累計虧損，我們不大可能於可預見未來合資格以溢利派付股息。然而，我們可以股份溢價賬派付股息，除非派付有關股息會導致本公司無法支付我們於日常業務過程中到期的債務則作別論。概不保證將於任何年度宣派任何金額的股息。

### [編纂]開支

假設[編纂]未獲行使及根據[編纂][編纂]港元(即我們的[編纂]範圍每股[編纂][編纂]港元至[編纂]港元的中位數)計算，本公司應付的[編纂]開支總額(包括[編纂]佣金)估計約為[編纂]港元(或約[編纂]美元)，佔[編纂][編纂]總額約[編纂]%。該等[編纂]開支主要包括已付及應付專業人士的法律及其他專業費用、應付[編纂]佣金以及就[編纂]及[編纂]所提供的服務的印刷及其他開支。

於2019年、2020年及截至2021年6月30日止六個月，我們於綜合損益表扣除的[編纂]開支分別為[編纂]港元、[編纂]港元及[編纂]港元。於2021年6月30日後，預計約[編纂]港元將於綜合損益表扣除及預計約[編纂]港元將於[編纂]後自權益扣除。上述[編纂]開支為最新的實際可行估計，僅供參考，實際金額可能與此估計有所不同。

---

## 概 要

---

### 近期發展

#### 臨床開發的最新更新

於2021年10月，我們就中國GBM患者進行CAN008一線2期臨床試驗的首例患者給藥。該試驗設計為多中心、隨機、雙盲及安慰劑對照研究以調查療效並探索不同生物標誌物與治療效果間的關係。詳情請參閱「業務－用於GBM的CAN008 CD95-Fc融合蛋白－臨床開發計劃」。

我們亦於2021年10月獲國家藥監局授出CAN103的IND批准。我們現正籌備對成年和青少年GD患者進行1期試驗，並計劃於2022年上半年啟動患者招募。

#### 2021年5月新商業化產品

我們於2020年9月在中國內地獲得用於MPS II的Hunterase® (CAN101)的上市批准。我們於2021年5月在中國推出了Hunterase® (CAN101)的首個商業處方，而將Hunterase® (CAN101)列為標準治療ERT的中國治療共識已在2021年6月發佈。於三個月期間內完成生產、包裝及發佈準備工作後，Hunterase® (CAN101)可獲發進口藥品註冊證，其後方可進行生產。此外，Hunterase® (CAN101)在商業化之前必須通過國家藥監局規定的逐批國內檢測，該檢測另需三個月時間完成。因此，我們僅可於2021年5月通過中國進口生物製劑的監管和檢測規定後才能交付首個商業處方。我們預計逐步在大中華區開始Hunterase® (CAN101)的全國銷售。

#### 近期業務發展行動

於2021年10月，我們與Scriptr Global, Inc.訂立一份研究合作及許可協議，授予我們獨家全球權利，以開發、製造及商業化治療抗肌萎縮蛋白病(dystrophinopathies)的基因療法候選藥物。

於2021年10月，針對一種罕見的神經肌肉疾病杜興氏肌肉營養不良症(DMD)的基因治療研究，我們與華盛頓州西雅圖的華盛頓大學醫學院訂立一份贊助性研究協議。

#### 2021年預期虧損淨額

我們預計2021年虧損淨額將較2020年大幅增加，主要由於(i)與臨床前及臨床研究有關的研發開支預期增加；及(ii)2021年產生的[編纂]相關開支預期增加。

---

## 概 要

---

### 2021年可轉換可贖回優先股公平值變動預期進一步變動

我們預期於2021年6月30日後至[編纂]確認可轉換可贖回優先股公平值變動的額外虧損。於[編纂]後可轉換可贖回優先股自動轉換為股份後，將造成淨資產狀況，我們預期日後不會確認可轉換可贖回優先股公平值變動產生的任何進一步虧損或收益。

### COVID-19疫情的影響

自2019年12月底以來，COVID-19疫情已對全球經濟造成重大不利影響。為應對疫情，各地政府實施了廣泛的封鎖、關閉工作場所、限制人員流動及出行，以遏制病毒的傳播。截至最後實際可行日期，中國絕大部分城市已放寬或取消了國內出行限制，恢復了正常的社會活動、工作及生產。

政府封鎖及其他限制性措施令我們僱員流動性大幅降低，進而導致多數僱員於COVID-19疫情期間遠程工作。因此，我們已實施各種預防措施並按照相關法規及政策調整我們員工的工作安排，令我們保持充足的現場人員在靈活安排下工作，以繼續進行我們的研發活動。

自COVID-19疫情爆發以來，我們的進行中臨床試驗及我們候選產品的其他研發工作並無出現任何重大中斷的情況。COVID-19疫情並無且目前預計不會對我們的臨床試驗產生重大監管延誤或對我們的運營產生任何重大長期影響或偏離我們的整體開發計劃。我們的董事認為，COVID-19疫情預期不會對本集團的整體業務營運造成任何重大不利影響。

中國因COVID-19疫情導致運輸減少以及生產及物流網絡中斷在一定程度上影響了我們的供應商生產及運輸耗材、設備及我們經營所需其他物資的能力。然而，截至最後實際可行日期，我們的大部分供應商已恢復正常營運，且自COVID-19疫情爆發以來，我們於COVID-19疫情期間並無面臨任何重大供應中斷或短缺的情況。

截至最後實際可行日期，我們的場地內或僱員並無發現疑似或確診COVID-19病例。為預防COVID-19疫情在辦公室和生產設施內傳播，我們已採取預防措施，例如定期對辦公室和生產設施進行消毒通風、每天檢查僱員體溫、記錄僱員旅行史與健康狀況、為前往辦公室和生產設施辦公的僱員提供口罩和消毒劑。我們將繼續實施我們的

---

## 概 要

---

補救措施並在必要時實施額外措施，以減低COVID-19疫情對我們業務的影響。然而，我們無法保證COVID-19疫情不會進一步升級或對我們的經營業績、財務狀況或前景產生重大不利影響。

### 中美關係

鑒於目前情況和生物製藥行業的特殊性質，我們認為中美關係緊張未對我們的業務或運營、我們的臨床試驗設計及執行、患者招募、數據傳輸、有關監管機構的批准流程、尋找替代供應商以採購、開發及生產我們管線產品的能力以及前景造成任何重大影響。然而，我們無法保證中美緊張關係不會進一步升級，這可能對我們的經營業績產生重大不利影響。

### 無重大不利變動

除上文所披露者外，董事確認，截至本文件日期，我們的財務或貿易狀況、債務、按揭、或有負債、擔保或前景自2021年6月30日（即本文件附錄一所載會計師報告呈報期末）以來並無重大不利變動。由於我們繼續推進管線產品的開發及擴大我們的臨床開發項目，我們預計會產生越來越多的研發開支及行政開支。因此，基於我們管理層作出的假設及目前可得的資料，我們預計2021年產生的虧損將較2020年有所增加。

### 風險因素

我們相信，我們的業務涉及若干風險，其中多項風險並非我們所能控制。該等風險載於本文件「風險因素」一節。我們面對的部分主要風險包括：

- 我們的候選藥物的實際市場規模可能小於預期，而我們未來的獲批候選藥物可能無法獲得商業成功所需而來自醫生、患者、第三方付款人及醫學界其他各方的市場認可度。
- 我們的業務及財務前景在很大程度上取決於候選藥物臨床階段及臨床前階段的成功。倘我們無法成功完成臨床開發、取得相關監管批准或實現候選藥物商業化，或倘上述事項遭遇重大推遲，我們的業務及盈利能力或會受到不利影響。

---

## 概 要

---

- 我們可能無法識別、發現或授權引進新候選藥物，且可能將有限的資源分配給特定的候選藥物或適應症，而未能將可能在以後被證明更有利可圖或成功可能性更大的候選藥物或適應症轉化為資本。臨床藥物開發過程漫長、成本昂貴，且結果充滿不確定性，而早期研究和試驗的結果以及非頭對頭分析的結果未必能預示未來的試驗結果。因此，我們可能無法成功擴大我們的藥品組合，這可能會對我們未來的增長和前景產生重大不利影響。
- 倘我們在招募臨床試驗患者時遇到困難，我們的臨床開發活動可能會延遲或受到不利影響。
- 我們自成立以來已產生大量虧損淨額及經營現金流出淨額，且預期於可見未來將繼續產生虧損淨額及經營現金流出淨額，並且未必能夠產生充足的收益以實現或維持盈利。潛在[編纂]面臨損失於本公司股份的絕大部分[編纂]的風險。
- 我們開發及商業化部分候選藥物的權利受限於其他方授予我們的許可條款及條件。
- 即使我們能夠商業化任何獲准候選藥物，有關藥物可能須受國家或其他第三方醫療報銷規例或不利價格法規所規限，可能對我們的業務造成重大不利影響。
- 藥品的研發、生產及商業化在所有重大方面均受到嚴密監管，而且審批過程通常漫長、成本高昂且本身難以預測。倘我們未能遵守現行或未來法規及行業標準或藥品審批機構對我們採取任何不利行動，可能會對我們的聲譽以及業務、財務狀況、經營業績及前景產生不利影響。
- 我們於往績記錄期間產生流動負債淨額及負債淨額，這可能使我們面臨流動資金風險。
- 我們的運營歷史有限，可能難以評估我們當前的業務並預測未來的表現。