

香港交易及結算所有限公司及香港聯合交易所有限公司對本公告的內容概不負責，對其準確性或完整性亦不發表任何聲明，並明確表示，概不就因本公告全部或任何部分內容而產生或因依賴該等內容而引致的任何損失承擔任何責任。



CANbridge Pharmaceuticals Inc.
北海康成製藥有限公司
(於開曼群島註冊成立之有限公司)
(股份代號：1228)

內幕消息

本公告乃根據香港聯合交易所有限公司證券上市規則第13.09條及證券及期貨條例第XIVA部(香港法例第571章)作出。

北海康成製藥有限公司(「本公司」，連同其附屬公司統稱「本集團」)謹在此隨附新聞稿，以告知本公司股東及潛在投資者，本集團已在第25屆ASGCT年會上公佈來自其與UMass Chan醫學院Horae基因治療中心基因治療研究協議的初步數據。

本集團無法保證上述新聞稿公佈的新型第二代scAAV9基因療法最終將成功開發及上市。本公司股東及潛在投資者於買賣本公司股份時務請審慎行事。

承董事會命
北海康成製藥有限公司
董事長
薛群博士

北京，2022年5月17日

於本公告日期，本公司董事會包括執行董事薛群博士；非執行董事陳侃博士、Derek Paul Di Rocco博士及樂霄先生；以及獨立非執行董事James Arthur Geraghty先生、Richard James Gregory博士、陳炳鈞先生及胡瀾博士。

北海康成ASGCT年會公布

與UMass Chan醫學院合作的首項研究顯示——新型基因治療有望臨床應用於SMA

中國北京，美國馬薩諸塞州劍橋市，2022年5月17日——北海康成製藥有限公司（以下簡稱「北海康成」，股票代碼「1228.HK」），是一家立足於中國的生物製藥公司。作為全球罕見疾病領域的領先公司，北海康成致力於創新療法的研究、開發和商業化。公司於今日在華盛頓特區舉行的第25屆ASGCT年會上，展示與UMass Chan醫學院Horae基因治療中心開展罕見病基因治療研究合作的初步數據。

高光坪實驗室的Jun Xie博士團隊經研究得出結論：與基準載體scAAV9-CMVen/CB-hSMN1，從內源性hSMN1啟動子表達co-hSMN1的新型第二代scAAV9基因治療在脊髓性肌萎縮症(SMA)小鼠模型中顯示了更強的效力、有效性和安全性。此基準載體和目前美國獲批用於治療SMA基因療法的載體類似。

在SMA小鼠模型中，新型第二代基因療法在數個終點（包括延長壽命、恢復肌肉功能和更好的神經肌肉接頭神經支配）上表現出優於基準載體的有效性，且沒有出現接受基準載體治療動物表現出的肝臟毒性。具體而言，第二代基因療法以劑量依賴性方式顯著延長SMA小鼠的壽命，與基準基因療法高劑量組和未受治療的SMA小鼠相比，所有劑量組均顯示更長的生存期。第二代基因療法相比基準載體還可顯著恢復SMA小鼠的肌肉功能。在翻正實驗（接受第二代基因治療的SMA小鼠相比接受基準載體治療的小鼠可更快翻正，恢復直立）和網格實驗（其肌肉功能更強）中均觀察到這一點。此外，第二代基因療法可恢復SMA小鼠神經肌肉接頭的神經支配，使其接近野生型小鼠的神經支配，明顯優於接受基準載體治療的SMA小鼠。

最後，與接受基準載體治療的小鼠相比，接受第二代基因治療的SMA小鼠的SMN1表達在中樞神經系統中偏高、在外周組織中偏低，其模式與健康載體小鼠相似。此外，接受基準載體注射後8天，7隻SMA小鼠中有4隻中出現肝損傷，而在接受第二代基因治療的小鼠或健康載體小鼠中未顯示肝毒性，表明第二代基因療法或會降低肝毒性並克服當前的治療局限性。

這是北海康成與Horae基因治療中心Gao Lab合作進行基因治療研究取得的首次數據。

北海康成全球研究副總裁、本研究作者朱雲祥博士表示，「我們的新型第二代基因治療載體與基準載體的不同之處在於內源性SMN1啟動子控制下的SMN1密碼子基因工程優化，它能夠實現高效且受調控的跨組織基因表達，並有可能改善療效和安全性，同時劑量低於目前在患者在臨床使用的情況。這將鼓勵我們繼續開發第二代療法，作為治療SMA的潛在最佳基因治療手段。」

Li Weibo罕見病研究所聯席所長、Horae基因治療中心與病毒載體中心主任，UMass Chan醫學院微生物與生理系統教授、Penelope Booth Rockwell生物醫學研究教授，本研究主要作者高光坪博士表示，「我們目前尋求開發的針對SMA的新一代基因療法，得益於自十多年前首個基因療法被開發以來，該領域所取得的進步。」高光坪博士亦為ASGCT前任主席。

報告細節

題目：內源性人SMN1啟動子驅動的基因置換改善AAV9介導的基因治療小鼠脊髓性肌萎縮症的有效性和安全性研究

海報號碼：M-144 **類別：**神經系統疾病：AAV載體－臨床前和概念驗證研究

日期和時間：5月16日（周一），下午5:30~6:30（美國東部時間）

作者：Qing Xie, Hong Ma, Xiupeng Chen, Yunxiang Zhu, Yijie Ma, Leila Jalinous, Qin Su, Phillip Tai, Guangping Gao, Jun Xie

摘要可在ASGCT網站上獲得<https://annualmeeting.asgct.org/abstracts/abstract-details?abstractId=6140>。

關於UMass Chan醫學院Horae基因治療中心

Horae基因治療中心致力於開發尚未治癒的罕見遺傳性疾病的治療療法。中心利用最先進的技術編輯產生致病蛋白質的突變基因，或者在突變導致非功能性蛋白質的情況下引入基因的健康拷貝。Horae基因治療中心跨多門學科研究，聚集了兒科、微生物學、生理學、生物化學、分子藥理學、神經學、醫學和眼科等多個學科。醫生和研究人員共同努力解決罕見病領域的醫療挑戰，如 α -胰島素缺乏症、腦白質海綿狀變性綜合徵、嬰兒型黑矇性家族性癡呆、GM2神經節苷脂沉積病、色素性視網膜炎、囊性纖維化、葛雷克氏症、TNNT1桿狀體肌病、瑞特綜合徵、NGLY1-先天性脫糖症、皮特-霍普金斯樣綜合徵、楓糖尿症、涎酸累積症、GM3合成酶缺乏症、亨廷頓舞蹈症和肌萎縮側索硬化。該中心也聚焦一些常見疾病，如心律失常和高膽固醇血症。與此同時，研究人員希望通過UMass Chan醫學院發起的研究和部分中心研究者發起的臨床試驗探索各種基因療法以求治癒更多的疾病。

北海康成製藥有限公司簡介

北海康成製藥有限公司（以下簡稱「北海康成」，股票代碼1228.HK）是一家立足於中國的全球罕見病生物製藥公司，致力於創新療法的研究、開發和商業化。公司目前擁有14個具有可觀市場潛力的藥物資產組合，其中包括三種已獲批上市產品和11個在研藥物。這些產品均針對一些較普遍的罕見疾病和罕見腫瘤適應症，比如亨特綜合徵和其他溶酶體貯積症、補體介導的疾病、血友病A、代謝紊亂和罕見的膽汁淤積性肝病，包括阿拉傑里綜合症、進行性家族性肝內膽汁淤積症和膽道閉鎖，以及膠質母細胞瘤。北海康成將外部合作與內部研究相結合，以建立下一代基因治療技術。公司的全球合作夥伴包括不限於Apogenix、GC Pharma、Mirum、藥明生物、Privus、UMass Chan醫學院、LogicBio、華盛頓大學醫學部和Scriptr Global等。如需了解更多關於北海康成製藥有限公司的信息，請訪問：www.canbridgepharma.com。

前瞻性陳述

本文中作出的前瞻性陳述僅與本文作出陳述之日的事件或信息有關。除非法律要求，否則我們不承擔公開更新或修改任何前瞻性陳述的義務，無論是由於新信息、未來事件或其他原因，在做出陳述的數據之後或反映意外事件的發生情況。您應完整閱讀本文，並了解我們未來的實際結果或表現可能與我們的預期存在重大差異。在本文中，我們或我們的任何董事或我們公司的意圖的陳述或引用均在本文發表之日作出。這些意圖中的任何一個都可能隨着未來的發展而改變。

聯繫方式：

美國投資者請聯繫：

Chris Brinzey
ICR Westwicke
Chris.brinzey@westwicke.com

中國投資者請聯繫：

CANbridge Pharmaceuticals Inc.
ir@canbridgepharma.com

媒體請聯繫：

Deanne Eagle Planet Communications
deanne@planetcommunications.nyc
917.837.5866