

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)

**自願性公告**  
**有關與馬薩諸塞州立大學CHAN醫學院和**  
**LOGICBIO® THERAPEUTICS合作的更新資料**

本公告由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」自願作出，以令本公司股東及潛在投資者獲悉本集團最新業務情況。

本公司董事會（「董事會」）欣然告知本公司股東及潛在投資者，本集團已發佈隨附新聞稿，當中公佈本集團已行使選擇權自馬薩諸塞州立大學Chan醫學院獲得開發、生產和商業化新型第二代基因療法以治療脊髓性肌萎縮症(SMA)的全球獨家權利。

本公司進一步宣佈，本集團已完成自LogicBio® Therapeutics, Inc.（「LogicBio」）獲取之正在開發的治療法布雷病(Fabry)和龐貝氏病(Pompe)的基因療法產品的全部技術轉讓。作為該技術轉讓的一部分，本集團保留了基於肝靶向腺相關病毒(AAV)衣殼sL65的法布雷病和龐貝氏病基因療法項目的全球獨家許可。本集團亦已獲得用於法布雷病和龐貝氏病基因治療的LogicBio專有製造工藝的非獨家全球權利。作為本集團與LogicBio協議的一部分，根據本集團與LogicBio最初的戰略合作及許可協議授予本集團基於sL65的針對另外兩個適應症的基因療法的選擇權以及對大中華區的LB-001（一種甲基丙二酸血症的研究性療法）的選擇權不再保留。

本集團無法保證上述治療SMA的第二代基因療法及正在開發的治療法布雷病和龐貝氏病的基因療法產品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  
主席  
薛群博士

香港，2023年1月4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*博士及胡正國先生；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。

## 北海康成完成了基因療法管線整合

- 已獲得馬薩諸塞州立大學醫學院(UMass Chan Medical School)治療脊髓性肌萎縮症(SMA)的潛在同類最佳基因療法的全球獨家授權。
- 完成兩種溶酶體貯積疾病的基因療法的技術轉讓。

中國北京；美國馬薩諸塞州伯靈頓市，2023年1月4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)是一家在中國領先並專注罕見疾病及腫瘤領域的全球化的生物製藥公司，致力於創新療法的研究、開發和商業化。公司宣布已從馬薩諸塞州立大學醫學院獲得開發、生產和商業化治療脊髓性肌萎縮症(SMA)的新型第二代基因療法的全球獨家授權。

2022年在美國基因與細胞治療學會(ASGCT)、歐洲基因與細胞治療學會(ESGCT)及世界肌肉學會年會上發表的動物數據顯示，在SMA小鼠模型中，基因療法在多個關鍵終點上表現優於基準療法，且在靜脈注射時表現出更少的肝臟毒性。基準療法使用與已獲准用於SMA基因治療的唯一基因療法的載體相似。北海康成贊助了該項研究，並將繼續評估這一基因療法，以確定與目前的標準治療相比可能具有的額外優勢。

此外，北海康成宣布已完成LogicBio® Therapeutics用於治療法布雷病和龐貝氏病而開發的基因治療產品的全部技術轉讓。根據修訂後的協議，北海康成保留了基於肝靶向腺相關病毒(AAV)衣殼sL65的法布雷病和龐貝氏病基因療法項目的全球獨家許可。北海康成還取得LogicBio用於法布雷病和龐貝氏病基因療法專有製造工藝的非獨家全球權利。此外，根據北海康成和LogicBio的原始協議，本集團基於sL65的針對另外兩個適應症的基因療法的選擇權以及對大中華區的LB-001(一種甲基丙二酸血症的研究性療法)的選擇權不再保留。

北海康成製藥有限公司的創始人、董事長兼首席執行官薛群博士表示「我們與馬薩諸塞州立大學醫學院共同開發這一基因療法。目前，我們擁有該療法的全球權利，這一療法有望成為潛在同類最佳的SMA治療方法。隨著我們近期在馬薩諸塞州伯靈頓開設的北海康成新一代基因技術研發中心實驗室新增設了兩個基因療法項目(治療法布雷病及龐貝氏病)，我們希望為這三種目前治療選擇非常有限的罕見疾病開發潛在的同類最佳基因療法。」

Penelope Booth Rockwell生物醫學研究教授、微生物與生理系統教授、紅瑞(Horae)基因治療中心主任和李偉波罕見病研究所聯席所長高光坪博士表示「新型*hSMN1* AAV基因治療載體由內源性SMN1啟動子和密碼子優化的*hSMN1*組成，與基準載體相比，其療效和安全性有明顯改善，為進一步臨床開發帶來巨大希望。我們對北海康成開發這一脊髓性肌萎縮症基因療法的能力充滿信心，希望可以幫助更多患有此類災難性疾病的患者和家庭。」

## 關於第二代基因療法

新型第二代基因療法(scAAV9-SMN1p-co-hSMN1)是一種在內源性啟動子控制下表達密碼子優化的人源SMN1基因的自互補AAV9基因療法。在小鼠脊髓性肌萎縮症(SMA)模型研究中，與靜脈給藥的基準基因療法相比，第二代療法表現出更長的壽命、更好的運動功能恢復和更完整的神經肌肉接頭神經支配，而沒有基準載體所見的肝臟毒性。基準載體與已獲批准的SMA基因療法中使用的載體相似，在巨細胞病毒增強子(cytomegalovirus enhancer)及雞 $\beta$ -肌動蛋白(chicken  $\beta$ -actin)啟動子驅動表達人源SMN1基因，以便在所有細胞類型中普遍表達，與基準載體不同的是，第二代基因療法載體採用了內源性SMN1啟動子控制在不同組織的基因表達的策略。有關數據在2022年的美國基因和細胞治療學會(ASGCT)、歐洲基因與細胞治療學會(ESGCT)及世界肌肉學會年會上公布。

該基因療法由北海康成開發，用於治療脊髓性肌萎縮症。北海康成擁有全球獨家開發、生產和商業化的權利。

## 關於脊髓性肌萎縮症(SMA)

脊髓性肌萎縮症(SMA)是一種由缺乏功能性運動神經元存活基因1(SMN1)引起的罕見遺傳性疾病。該基因編碼為運動神經元存活所必需的蛋白質，缺乏該基因的結果是快速且不可逆的運動神經元損傷，從而引起衰弱性運動功能喪失，在大多數情況下可導致死亡。最常見的類型SMA1在出生至6個月期間發病，占SMA病例的60% (根據Cure SMA)。如不治療，SMA1會導致進食及呼吸困難，或在兩歲前死亡。SMA2在出生6至24個月期間發病。患者或能夠自行坐立，但將無法行走，30%的患者在25歲前死亡(Cure SMA)。SMA3和SMA4則屬更為罕見、發病較晚的疾病類型，於兒童期至成年早期發病，亦會導致運動功能喪失及死亡。根據spinalmuscularatrophy.net的資料，全世界每6,000至10,000名新生兒中，就有一名SMA患者。

已獲批的SMA治療方案有限。即使近期有新方案獲批，仍有大量未滿足的醫療需求。

## 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)是一家在中國領先並專注罕見疾病領域的全球化的生物製藥公司，致力於創新療法的研究、開發和商業化。公司目前擁有13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10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、罕見的膽汁淤積性肝病及神經肌肉疾病以及膠質母細胞瘤。北海康成的新一代基因技術研發中心實驗室正在開發針對罕見遺傳病，包括龐貝氏症、法布雷病、脊髓性肌萎縮症(SMA)和其他神經肌肉疾病的新型及潛在治癒性的基因療法，並與世界領先的研究人員和生物技術公司合作。來自SMA基因治療的動物數據已在美國基因和細胞治療學會(ASGCT)、歐洲基因和細胞治療學會(ESGCT)以及世界肌肉組織大會上發表。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、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資訊，請訪問：[www.canbridgepharma.com](http://www.canbridgepharma.com)

## 前瞻性聲明

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。