

華上生醫(7427)簡報

華上生技醫藥股份有限公司

董事長/總經理

陳嘉南 博士

July, 2025

免責聲明

股票代號: 7427

這份簡報中所載的資訊是由華上生技醫藥股份有限公司編寫的。它有可能尚未得到充分核實，有待進一步更新、修訂。它是依據目前所獲得的主、客觀事實與依據進行撰寫，進展中的事情有可能持續變動中，無法充分保證不再更動。因此，並無法百分之百擔保本簡報所呈現的報告內容不再變動。新藥開發風險大，在醫藥法規部門未核定藥證前仍有眾多不確定風險，請投資人謹慎評估。

內容

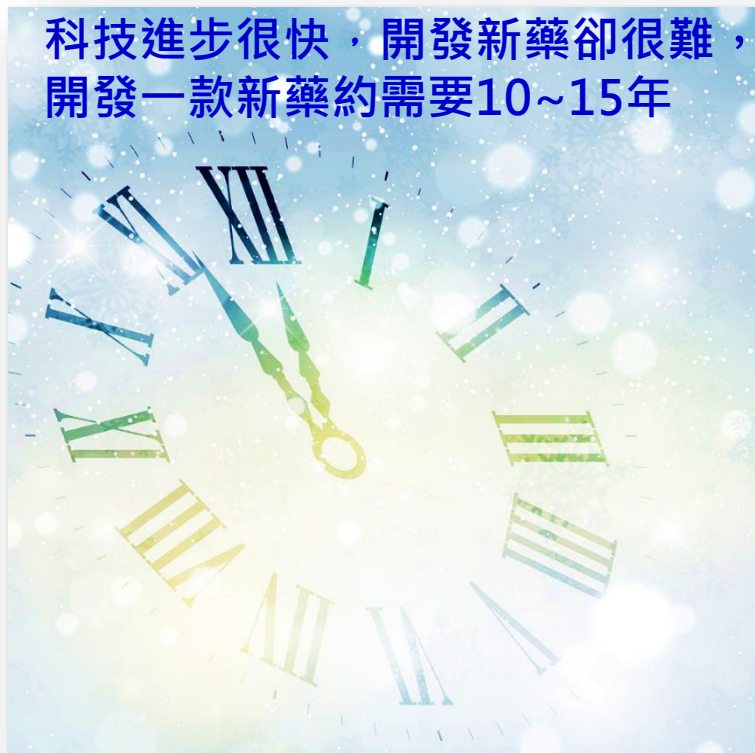
股票代號: 7427

- ① 公司簡介
- ② 剋必達的健保給付申請與銷售
- ③ GNTbm-38的全球臨床開發與布局
- ④ GNTbm-TKI臨床前研究與臨床研究規劃
- ⑤ Q&A

新藥開發時間與不同期別藥物的價值

股票代號: 7427

科技進步很快，開發新藥卻很難，
開發一款新藥約需要10~15年



1. AI可提高新藥開發成功機率並讓新藥開發的時間加速
2. 新藥開發行業正在急遽變化中，擺脫過往大藥企才有可能開發新藥上市
3. 癌藥仍是最熱門的開發品系全球市場巨大

公司成立初衷---提供晚期癌症治療新選擇延長病患壽命

股票代號: 7427

2013

公司成立初衷是為了開發更有效與安全的新藥，
提供晚期癌症治療的新選擇，延長生命，提升生活品質。

2025

公司建置創新性癌症藥物開發平台，開發新藥物，提供病患更有效的腫瘤免疫治療新選擇。

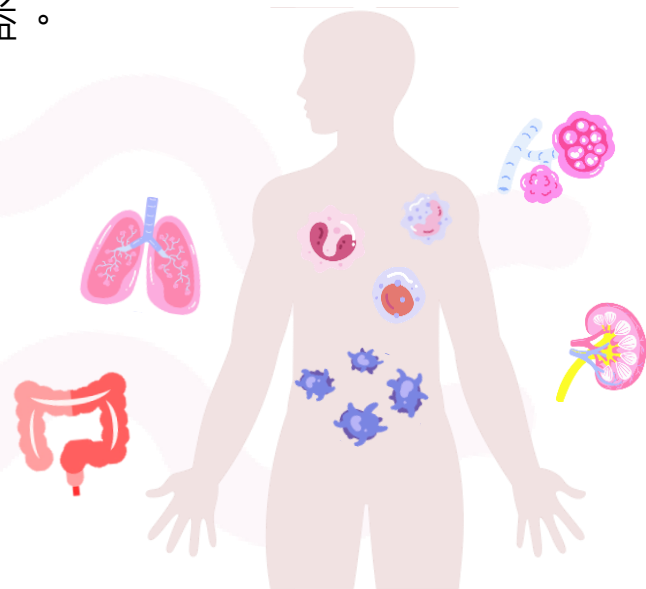
願景

創新成分GNTbm-38及GNTbm-TKI是台灣自主開發的抗癌候選新藥，在國際癌藥市場上具有競爭優勢，可望大幅提升病患治療的效益，延長病患的壽命。

公司願景與定位

股票代號: 7427

華上生醫主要聚焦在**晚期與難治性癌症**，主要開發的適應症為**淋巴瘤、乳癌、大腸直腸癌及腎癌**...等。開發策略是先申請罕見疾病取得**孤兒藥授予**，並持續擴增新增適應症，主要的開發藥物可與腫瘤免疫治療的藥物聯合，可增強**腫瘤免疫治療**效益。



穩健的新藥開發策略---從台灣邁向國際

股票代號: 7427

第一個新成分新藥的成功開發

剋必達是華上生醫歷經10年第一個成功開發的新成分新藥，申請健保給付，造福台灣乳癌病患。

自主開發腫瘤微環境調控藥物

華上生醫研發團隊自主開發具有全球開發專利的腫瘤免疫新藥，包含表觀免疫活化藥物**GNTbm-38**及強效免疫活化多重激酶抑制劑藥物**GNTbm-TKI**。

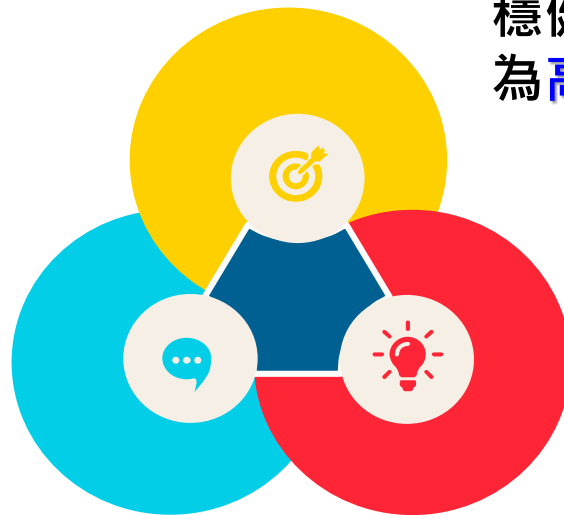
新藥國際授權合作

華上生醫自主開發的新藥將**授權國際大藥廠(Big Pharma)**合作，加速商業化，造福全球晚期癌症病患。

專注開發高成功開發機率與高競爭優勢的 抗癌新成分新藥

股票代號: 7427

穩健平台確認候選新藥
為**高成功開發機率**藥物

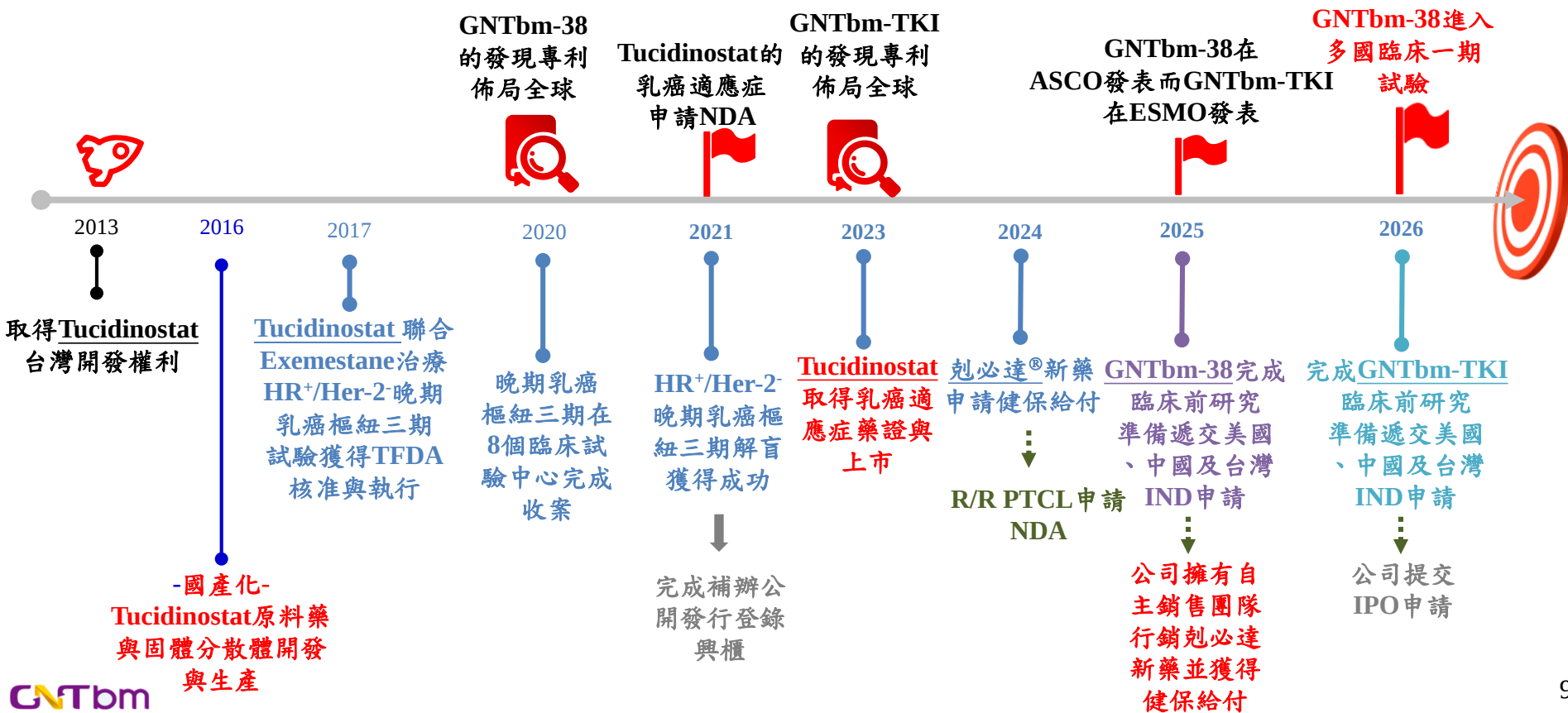


癌症新藥具有全球開發
權利、療效優越、適應
症多重的**廣普性藥物**

屬於**高開發價值與高需求**
的新成分癌症新藥

公司穩健經營新藥布局國際的重要里程碑

股票代號: 7427



公司小而美研發腫瘤免疫新藥能力優越

股票代號: 7427

新藥上市

公司研發能力優越
第一個國產乳癌新
成分新藥**剋必達®**
上市造福台灣病患

公司

華上生技醫藥股份有限公司
(華上生醫)
Great Novel Therapeutics Biotech
& Medicals Corporation (GNTbm)

設立

成立日期: 2013.04
實收資本額: 4.36億元
登錄興櫃: 2021.07.08

人資

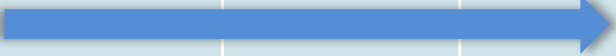
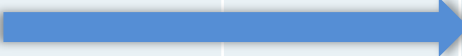
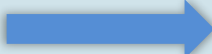
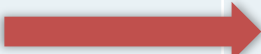
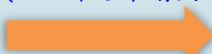
公司人數: 25
研發團隊: 12人
(博士: 4人/ 碩士: 8人)
國際專利申請:
Tucidinosta/salt、GNTbm-38、
GNTbm-TKI

價值

自主開發的新藥:
GNTbm-38 (表觀免疫活化劑)
GNTbm-TKI (免疫活化多重激
酶抑制劑)
腫瘤免疫新藥的開創者

產品線開發的進展

股票代號: 7427

Drug Candidate	Molecular Target	Indication of Therapy	Patent Rights	Research/ Pre-clinical	Ph.1-Ph.3	NDA/ Marketing
Tucidinostat + Aromasin	HDACs 1, 2, 3 and 10 inhibitor	HR ⁺ /Her-2 ⁻ Breast Cancer (2L)	Taiwan			Approved/Marketed
Tucidinostat	HDACs 1, 2, 3 and 10 inhibitor	R/R PTCL 復發或難治 外周T細胞淋巴瘤	Taiwan			NDA(2025)
Tucidinostat salt	HDACs 1, 2, 3 and 10 inhibitor	All	Worldwide			
GNTbm-38	Epigenetic immunomodulator	All	Worldwide	(2025年底申請美國、中國及台灣IND) 		
GNTbm-TKI	TKI with Immune regulation activity	All	Worldwide	(2026年底申請美國、中國及台灣IND) 		

內容

股票代號: 7427

1. 公司簡介
- 2. 剋必達的健保給付申請與銷售**
3. GNTbm-38的全球臨床開發與布局
4. GNTbm-TKI臨床前研究與臨床研究規劃
5. Q&A

剋必達®新藥兩個適應症開發

股票代號: 7427

01

HR⁺/HER-2-晚期乳癌

02

R/R PTCL

國產新成分新藥Tucidinostat / 剋必達®(Kepida®)

股票代號: 7427

正本

檔 號：
保存年限：

衛生福利部 函

地址：115204 臺北市南港區忠孝東路六段488號
聯絡人：黃小姐
聯絡電話：0227877421
傳真：
電子郵件：

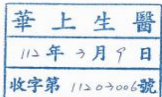
115



台北市南港區區街3號17樓

受文者：華上生技醫藥股份有限公司

發文日期：中華民國112年3月7日
發文字號：衛授食字第1121401331號
類別：普通件
密等及解密條件或保密期限：
附件：仿單、外盒、標籤說明書各一份。



主旨：貴公司申請國產新成分新藥「剋必達錠 (Kepida tablets)」查驗登記一案（案號：1106028210），復如說明段，請查照。

說明：

- 一、復貴公司110年10月1日藥品查驗登記申請書。
- 二、本案業經本部審核通過，本部將於後續通知領證。
- 三、本案核定之許可證字號、中、英文品名及適應症如下：
 - (一)許可證字號：「衛部藥製字第061429號」。
 - (二)中、英文品名：「剋必達錠、Kepida tablets」。
 - (三)適應症：「併用 exemestane，適用於荷爾蒙受體陽性且第二型人類表皮生長因子接受體(HER2)陰性，且經內分泌治療後復發或惡化之停經後局部晚期或轉移性乳癌婦女」。
- 四、有關本案適應症之核定若有異動，以本部核發之領證通知及

衛生福利部藥品許可證

GMP G-13995

衛部藥製字第 061429 號

簽審文件號碼：DHY05106142901

中文名稱：剋必達錠

英文名稱：Kepida Tablets

類別：須由醫師處方使用

藥商名稱

華上生技醫藥股份有限公司

劑型：錠劑

製造廠名稱

吉輝藥品工業股份有限公司

包裝種類：6-1000錠 PTP 鋁箔盒裝

製造廠地址

宜蘭縣冬山鄉中山村中山路 84、84 之 4、84 之 6、84 之 7 號、冬山鄉中山村新泰路 81、95、95 之 1、100 之 6、100 之 7、100 之 12、100 之 17、100 之 16、103、126 號 3 樓、136 號

處方：

Each Tablet contains:
Tucidinostat (Chidamide).....5.0 MG

適應症：併用 exemestane，適用於荷爾蒙受體陽性且第二型人類表皮生長因子接受體(HER2)陰性，且經內分泌治療後復發或惡化之停經後局部晚期或轉移性乳癌婦女

前項藥品經本部審核與藥事法之規定相符應發給許可證以備證明

衛生福利部部長

薛瑞元

發證日期 112 年 4 月 11 日

有效日期 117 年 4 月 11 日

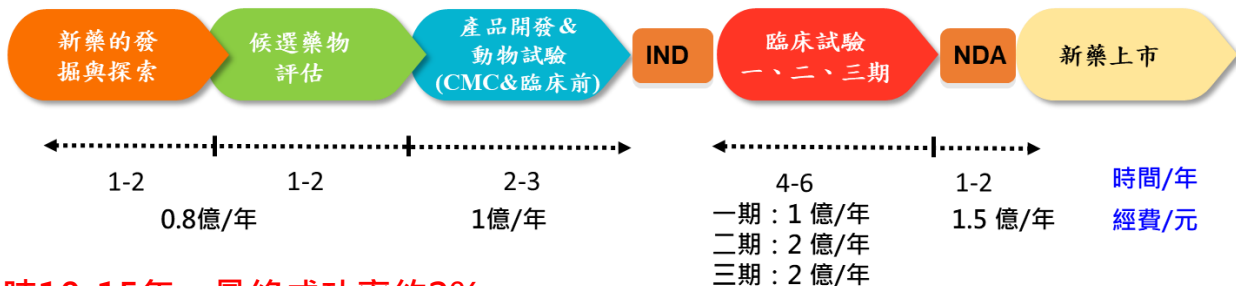
核准				
展延				
註銷				
文號	年 月 日	年 月 日	年 月 日	年 月 日

ME 005797

新成分新藥是新藥開發的最高規格

股票代號: 7427

新成分新藥 開發時程



新成分新藥 (NCE)

- 耗時10-15年，最終成功率約2%
- 台灣新核藥證：近3年<30件/年，國產全新成分僅1件為本品**剋必達®** (另1件為水合物新藥不同高低劑量)

新劑型 新療效 新複方

- 投入5-7年，最終成功率約30%
- 台灣新核藥證：近3年每年約30件，國產3年共**25**件

學名藥

- 投入3年，最終成功率約>80%
- 台灣新藥證：一年>150件，國產件數**約佔70%**

剋必達®歷經10年開發 是台灣第一個國產治療乳癌新成分新藥

股票代號: 7427

- ❑ 氟吡苯醯胺的台灣商品名為**剋必達®**(英文成名:Tucidinostat)，為新一代口服表觀遺傳調控劑(Epigenetic Modulator)，是一種亞選擇性HDAC抑制劑，**華上生醫耗時10年，投入數億研發成本，取得國產藥證。**



2013

- 2013年9月取得 Tucidinostat 台灣專利授權進行開發。
- 在台灣的第一個適應症為治療HR⁺/Her-2⁻晚期乳癌第二線治療。

2017-2022

- 2017年獲准在**台執行晚期乳癌臨床試驗**，並於2021年底完成試驗提交NDA申請。
- 2022年API委託台灣**GMP原料藥廠台耀**製造並取得許可證(衛部藥製字第061140號)。

2023

- 2023年4月剋必達錠獲國產**新成分新藥**許可(衛部藥製字第061429號)，係委託 **PIC/S GMP製劑廠杏輝**進行生產製造。

2024

- 2024年1月提交健保給付申請，持續進行中。

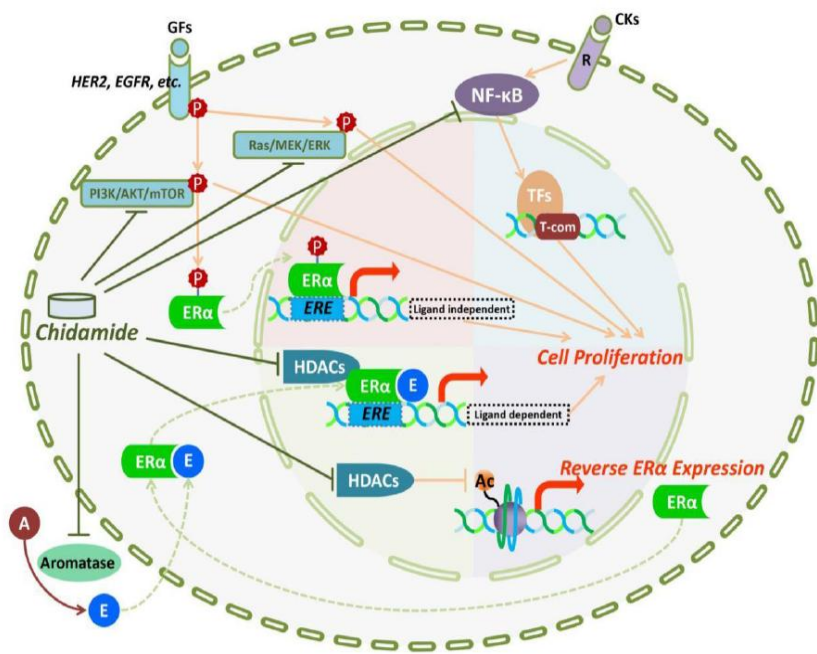


剋必達®(Tucidinostat)獨特的表觀遺傳作用機制

有效增敏內分泌治療

股票代號: 7427

Tucidinostat藉由獨特表觀遺傳調控機制顯著增敏內分泌藥物的療效用於治療HR⁺/Her-2⁻晚期乳癌病患達到抗癌的目標



1. Tucidinostat調控ER的機制:在ER⁺的乳癌細胞驅動癌細胞與ER增生相關的基因表達會受到Tucidinostat直接抑制造成癌細胞死亡或停止生長; 在ER低表達的乳癌細胞, ER的表達量會受到Tucidinostat誘導持續上升, 增加內分泌治療的敏感性, 意謂著可降低因長期使用內分泌治療所誘發的抗藥性。

2. Tucidinostat抑制生長因子所驅動的訊號傳遞: Tucidinostat會阻斷生長因子活化受體所驅動的藉由磷酸化ER相關蛋白的癌細胞增生訊號傳遞, 有效阻斷癌細胞的增生。

3. Tucidinostat抑制芳香環酶活性: Tucidinostat可以直接抑制芳香環酶的表達量與活性, 直接讓雌性素下降, 降低乳癌細胞增生。

4. Tucidinostat抑制NF-κB活性: Tucidinostat可以直接抑制由NF-κB活化所誘發的慢性發炎反應的基因表現, 有效阻斷持續刺激癌細胞的增生路徑。

克必達®之臨床價值 -

晚期乳癌第二線治療新選擇(藥理機制不同,新的ATC碼藥物)

股票代號: 7427

臨床急迫需求: 台灣 HR⁺/HER-2⁻ 晚期乳癌治療指引主要依循NCCN 及台灣乳房醫學會專家共識之治療指南，其中，CDK4/6抑制劑聯合內分泌療法已是標準第一線治療，但長期使用將引發的雙重抗藥性，限縮第二線治療的選擇。

提供治療新選擇: Tucidinostat是唯一屬於多靶點的表觀遺傳調控劑，已被台灣乳房醫學會專家共識推薦為第二線治療的首選(A級)；而mTOR抑制劑及PI3K抑制劑都是屬於單靶點抑制，被列為次要選擇(B級)。

First-Line Therapy		CDK4/6 inhibitor + Aromatase inhibitor	standard 68.3 %	CDK4/6 inhibitor + Fulvestrant	Fulvestrant or Aromatase inhibitor (exemestane etc.)	31.7 %
Second-Line Therapy		A級		B級	A級	
		Tucidinostat + Aromatase inhibitor (exemestane)		Everolimus + Aromatase inhibitor (exemestane)	CDK4/6 inhibitor (palbociclib etc.) + Fulvestrant	
抑制的靶點	PI3K/AKT	✓		✗	✗	
	mTOR	✓		✓	✗	
	CDK4/6	✓		✗	✓	

雙重抗藥性

2023臺灣乳房醫學會專家共識 剋必達®列為A級推薦 (同CDK4/6抑制劑)

Confidential

股票代號: 7427

2023 HR-POSITIVE METASTATIC BREAST CANCER 共識會議

2023 HR(+) mBC Consensus Symposium

主編 台灣乳房醫學會

- **Kepida® tablets (Tucidinostat)合併內分泌治療藥物在一線接受內分泌治療失敗後之2線治療定位上，列為A級推薦。**

https://www.bcst.org.tw/bcst_Web/Content_List.aspx?pid=2&uid=49

Selection of Second-Line Treatment (II)

Consensus Statement	Quality of Evidence	Strength of Recommendation	Key Reference
Selective estrogen receptor degrader (SERD, such as Elacestrant, Fulvestrant) is an option for patients with ER-positive, HER2-negative, ESR1-mutated metastatic breast cancer progressing after at least one line of endocrine therapy.	I	A	1
Capivasertib plus fulvestrant is a treatment choice for one or more PIK3CA/AKT1/PTEN alterations metastatic breast cancer after at least one line of endocrine therapy. ^a	I	A	2
<u>Tucidinostat (a HDAC inhibitor)</u> plus exemestane could be used for patients with ER-positive HER2-negative metastatic breast cancer who have received at least one line of endocrine therapy in early of metastatic setting.	II**	A	3

a. In CAPitello-291 trial, this treatment also showed the efficacy of non-AKT pathway alterations group.

** Only in Asia, not global trial

臨床相對療效 - 剋必達®毫不遜色於CDK4/6抑制劑

股票代號: 7427

★ 本品與CDK4/6抑制劑的收案病患特徵雷同(收納使用過內分泌治療失敗的病患為主)

Study	CDM301 (2015.07~2022.01)		PALOMA-3 (2013.09~2022.10)	
Mechanism of action	HDACi		CDK4/6 inhibitor	
Combination therapy	Tucidinostat plus exemestane		Palbociclib plus fulvestrant	
Previous endocrine therapy	Failed previous endocrine therapy		Failed previous endocrine therapy	
Menopausal status	Post-menopause		Any menopausal status	
Treatment group	Exemestane + Tucidinostat	Exemestane + Placebo	Fulvestrant + Palbociclib	Fulvestrant + Placebo
Sample size	N=281	N=139	N=347	N=174
Baseline characteristics				
Median age, year (min, max)	56.0 (29, 76)	55.0 (27, 75)	57 (30, 88)	56 (29, 80)
ECOG=0, %	45.6	37.4	59	67
ECOG=1, %	54.4	62.6	41	33
Efficacy results				
Median PFS, month	7.4	3.7	9.5	4.6

剋必達®是HR+/HER-2-晚期乳癌第二線治療首選

股票代號: 7427

- 第一線常見治療組合 (健保已給付)
- CDK4/6 inhibitor (Ribociclib or Palbociclib) + AI (Letrozole or Anastrozole)
- 平均控制時間 (mPFS) 約 24 個月

第二線治療(停經後病患)健保用藥

藥物	商品名	類別 / 機轉	適用族群	核准/給付狀態 (台灣)
Tucidinostat	剋必達®/Kepida®	HDAC 抑制劑	AI 失敗，HR+/HER2-乳癌二線	✓ 核准，✗ 未給付 (合併 Exemestane內分泌治療)
Alpelisib	Piqray®	PI3Kα 抑制劑	PIK3CA 突變者 (34.6%)	✓ 核准/已給付
Everolimus	Afinitor®	抑制 PI3K/AKT /mTOR	HR+/HER2-乳癌二線 (已核准多年)	✓ 健保給付 (合併 Exemestane內分泌治療)

健保署HTA報告

股票代號: 7427

財團法人醫藥品查驗中心 醫療科技評估報告補充資料

商品名：Kepida

學名：Tucidinostat

事由：

1. 有關華上生技醫藥股份有限公司（以下稱建議者）提出之 Kepida[®]（以下稱本品）「併用 exemestane，適用於荷爾蒙受體（HR）陽性且第二型人類表皮生長因子接受體（HER2）陰性，接受過一種治療轉移性的內分泌治療後復發或惡化之下一線治療的停經後轉移性乳癌婦女」給付建議案，前經 114 年 2 月藥品專家諮詢會議討論，會議結論為建議納入給付，然本品不符合全民健康保險藥物給付項目及支付標準第 17-1 條之認定。
2. 後因全民健康保險藥物給付項目及支付標準於民國 114 年 4 月 26 日修訂，故建議者提出申覆，表示本品應符合第 17-1 條修訂後之情形，並更新財務影響推估資料。爰此，財團法人醫藥品查驗中心（以下稱查驗中心）再次進行財務影響評估，以供後續研議參考。

完成時間：民國 114 年 7 月 3 日

剋必達®符合台灣鼓勵國產新藥研發修訂 支付標準第17-1條

股票代號: 7427

第十七條之一 新藥具有下列情形之一者，得依第十七條之二規定核價，免適用前條規定：

一、在我國為國際間首次上市，且具增進療效、減少不良反應或降低抗藥性之臨床價值。

二、藥品於十大先進國家首次上市二年內，在我國申請藥品許可證，且於國內製造。

三、藥品於十大先進國家上市已滿五年，在我國申請藥品許可證，且於國內製造之新成分新藥。

- ✓ 華上生醫抗癌藥產品「Kepida® tablets 5mg (tucidinostat)」符合114年4月26日衛部保字第1141260194號令發布修正之「全民健康保險藥物給付項目及支付標準」第17條之一，為藥品於十大先進國家首次上市二年內(日本Hiyasta於2021年6月23日核准上市)，華上生醫Kepida® tablets 於2021年10月1日向台灣FDA申請藥品許可證，且於國內製造。
- ✓ 製造廠：
原料藥 - 台耀化學股份有限公司；
製劑 - 杏輝藥品工業股份有限公司。
- ✓ 國產藥品許可證：
2022年8月23日「“華上” 氟吡苯醯胺」獲國產原料藥許可(衛部藥製字第061149號)
2023年4月11日「剋必達®錠」獲國產新成分新藥許可證(衛部藥製字第061429號)

剋必達®在臺灣HR⁺/Her-2⁻晚期乳癌第二線治療 病患數252-689人及進入健保市場藥費

股票代號: 7427

3. 建議者與本報告未來五年之推估結果彙整如後表。

推估項目	建議者推估 (114 至 118 年)	查驗中心推估 (115 至 119 年)
本品使用人數	241 人至 663 人	252 人至 689 人

*依據HTA報告第一年治療的病患數為252人至第五年689人

**依據新公告的成本法進行核價

***如順利推估完前整個健保申請程序在年底完成

華上生醫掌握剋必達®新藥銷售權的優勢

股票代號: 7427

1. 2025年6月30日華上生醫收回剋必達銷售權，更有利於華上生醫快速回收早期新藥開發成本與申請IPO。
2. 自主銷售剋必達將可提高產品毛利率，並拓展新增適應症，幫助更多台灣病患。
3. 自主銷售的業績預估將更精準，達到健保預估的銷售額。
4. 公司銷售團隊未來不只銷售華上生醫所開發的新藥，未來將引進與GNTbm-38或GNTbm-T KI聯合的藥物，例如: 雙特異性抗體與ADC藥物，大幅提升銷售業績，幫助更多病患。
5. 公司掌握銷售團隊更有利於資金流入，有利於加速開展自主開發的新藥，讓公司的長期發展具有非常正面意義。

2025年剋必達®乳癌新藥申請健保給付可幫助台灣病患

股票代號: 7427



CNTbm
華上生醫



明日をもっとすやかに

meiji

Meiji Seika Pharma Co., Ltd.



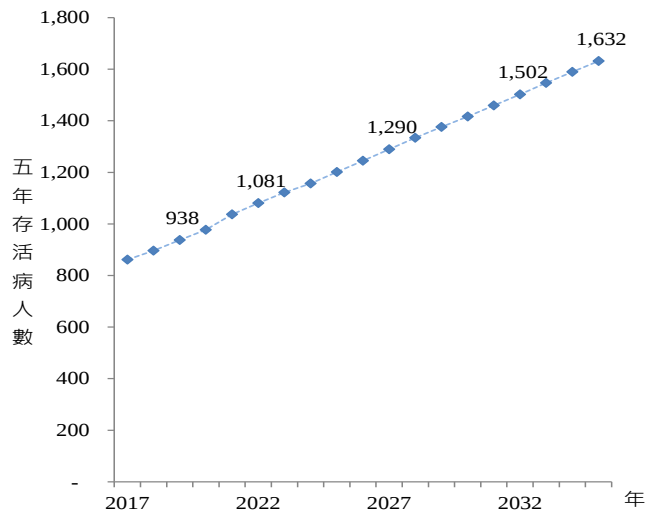
中國醫保藥價: 約66.5萬元新台幣/年/人

日本健保藥價: 約154萬元新台幣/年/人

剋必達®用於治療R/R PTCL適應症已遞交新增適應症的NDA申請

股票代號: 7427

2017~2035年臺灣 R/R PTCL五年存活病患人數推估



市場預估: 預估至2025年約有1,201名的R/R PTCL五年存活人數，2035年預估約有1,632人，此為潛在之每年R/R PTCL治療需求人數。

年	市場滲透率	剋必達®PTCL市場規模預估
2025	0.5%	2.4
2026	2.8%	13.7
2027	5.0%	25.8
2028	10.3%	54.7
2029	16.5%	90.8
2030	18.7%	106.0

年	市場滲透率	剋必達®PTCL市場規模預估
2031	22.0%	128.4
2032	21.3%	128.2
2033	20.7%	127.9
2034	19.4%	123.1
2035	17.0%	110.9

■ 剋必達®治療R/R PTCL銷售高峰約在1.28億元新台幣

內容

股票代號: 7427

1. 公司簡介
2. 剋必達的健保給付申請與銷售
- 3. GNTbm-38的全球臨床開發與布局**
4. GNTbm-TKI臨床前研究與臨床研究規劃
5. Q&A

GNTbm-38表觀遺傳免疫活化劑的基本特徵

股票代號: 7427

Items	Description
General name	GNTbm-38
Drug classification	Anti-cancer drug
Chemical structural characteristics	Benzamide-based class I HDAC inhibitor
Pharmacological targets	Subtype-selective HDAC inhibition (HDACs 1, 2, 3, and 10)
mechanism of action	Epigenetic immunoactivation, TME modulation
Molecular weight	372.16
Molecular formula	$C_{22}H_{20}N_4O_2$
Possible mode of administration	Oral
Appearance	White
Patent granted so far	US, EU, TW, Australia, South Africa (PCT patent application)
Clinically possible applications	Recurrent or Refractory advanced cancers

GNTbm-38的全球競爭優勢

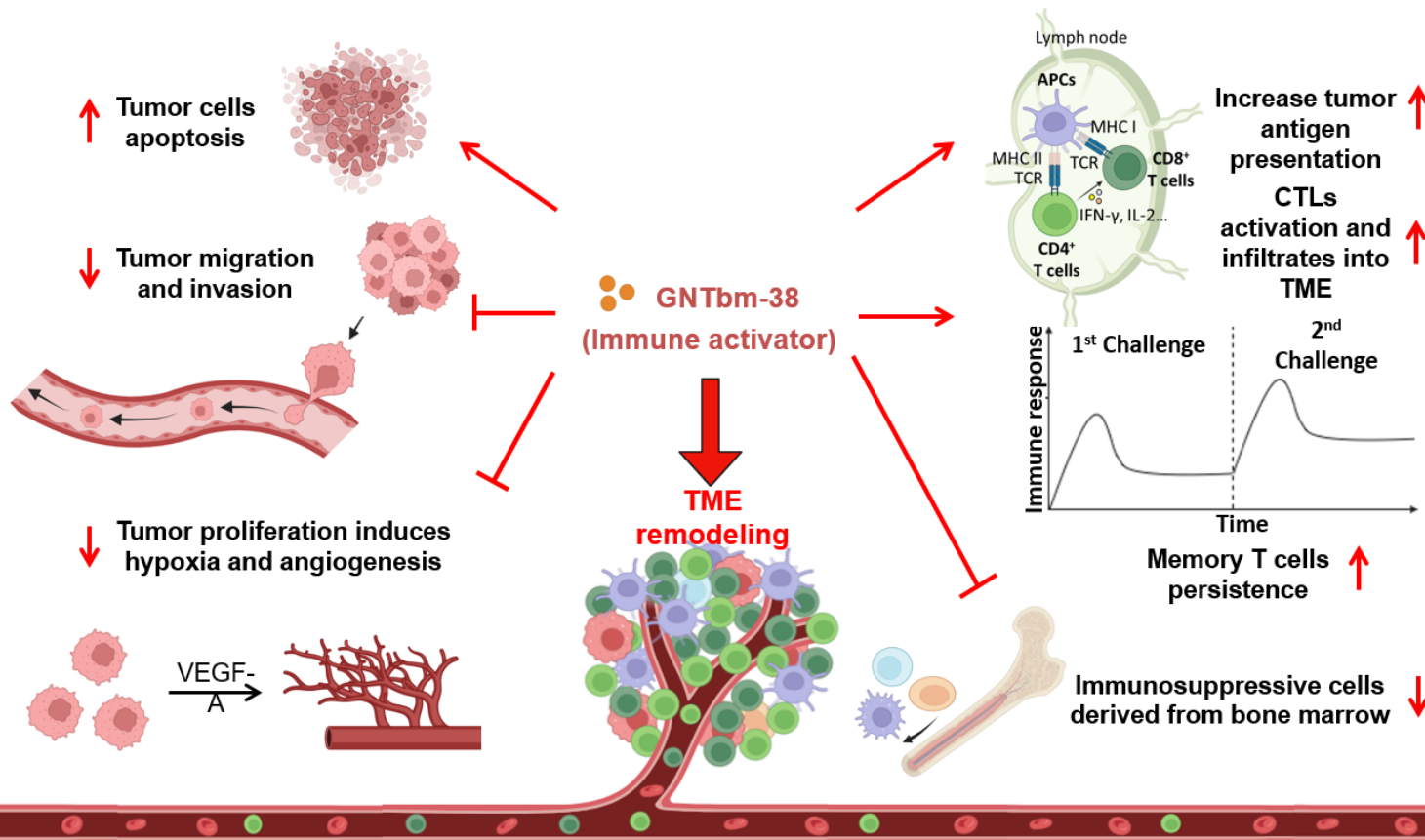
股票代號: 7427

新成分新藥GNTbm-38抗癌活性明顯優於上市的新藥Tucidinostat，而Tucidinostat在全球有6張藥證實力，GNTbm-38在全球的發展潛力可以期待。

	GNTbm-38	Tucidinostat
藥理機制分類	Class I HDACi (抑制HDACs 1, 2, 3, 及10)	Class I HDACi (抑制HDACs 1, 2, 3, 及10)
化學結構特徵	Benzamide based	Benzamide based
藥物動力特徵	半衰期短一天服用一次	半衰期長三天服用一次
開發進展	完成臨床前試驗將進入臨床一期 (預計開發的適應症: R/R PTCL、MYC/BCL2 DLBCL、mCRC)	已有4張藥證 (R/R PTCL, R/R ATL, MYC/BCL2 DLBCL, Mbc)，兩個樞紐三期進行中(melanoma, Mrcr)
抗癌動物試驗療效	更佳	佳
開發價值	高	無進一步開發前景
腫瘤免疫療法療效	更佳	佳

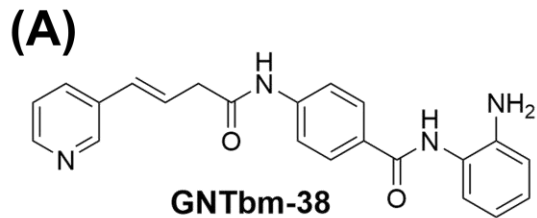
GNTbm-38的抗癌與免疫活化機制

股票代號: 7427



GNTbm-38是一個強效class I HDAC抑制劑

股票代號: 7427



Molecular Weight: 372.43

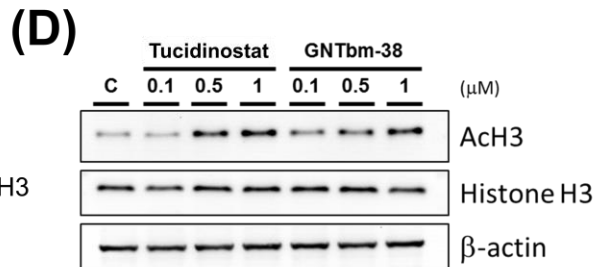
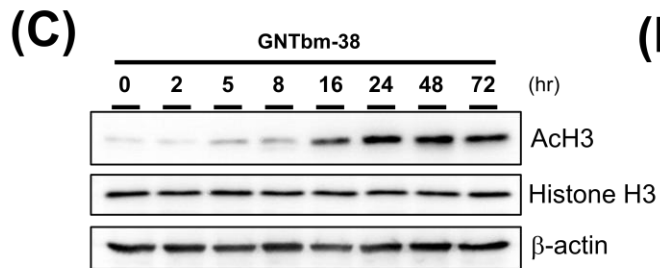
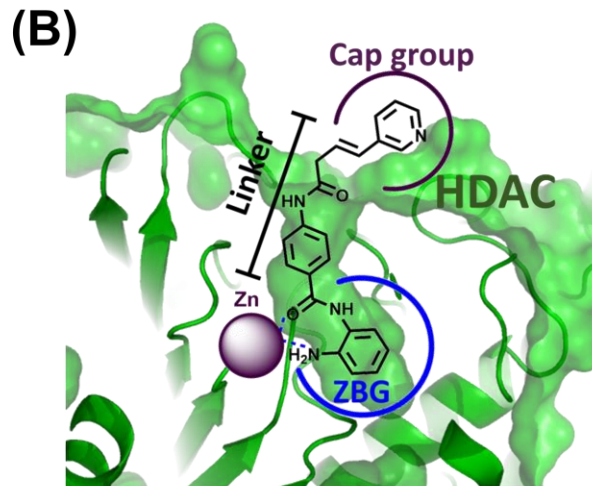
IC_{50} (μM) :

HDAC1 = 0.10

HDAC2 = 0.69

HDAC3 = 0.80

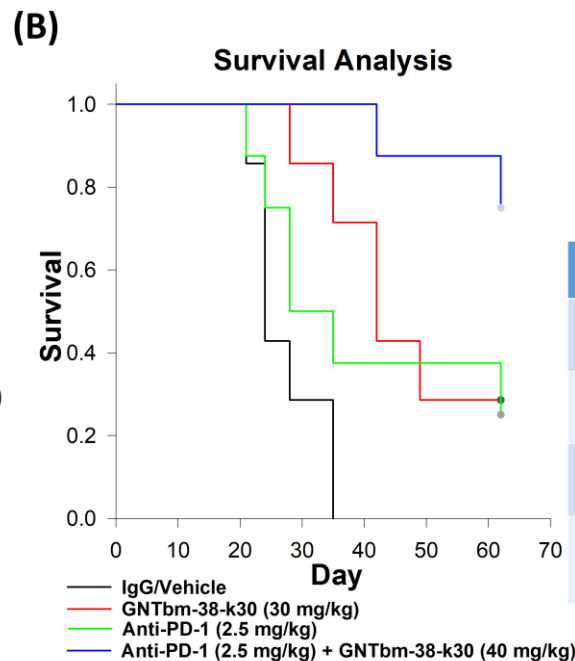
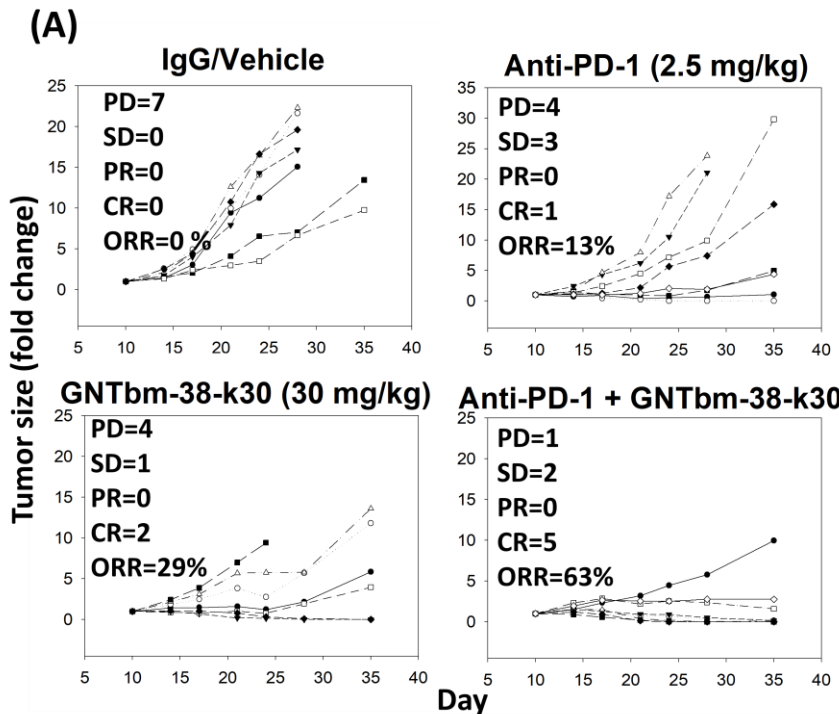
HDAC10 = 1.22



GNTbm-38聯合anti-PD-1 Ab產生協同抗癌活性

股票代號: 7427

Mice bearing mouse colon cancer CT26 (Cold Tumor)

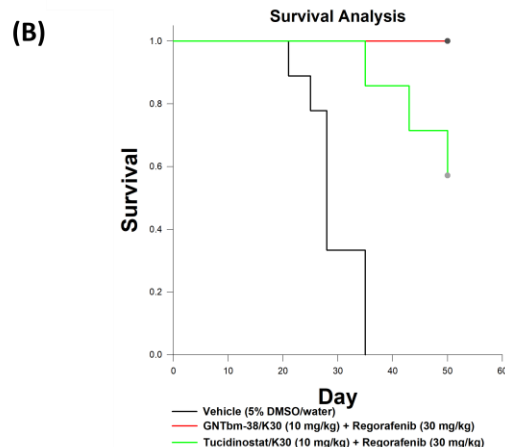
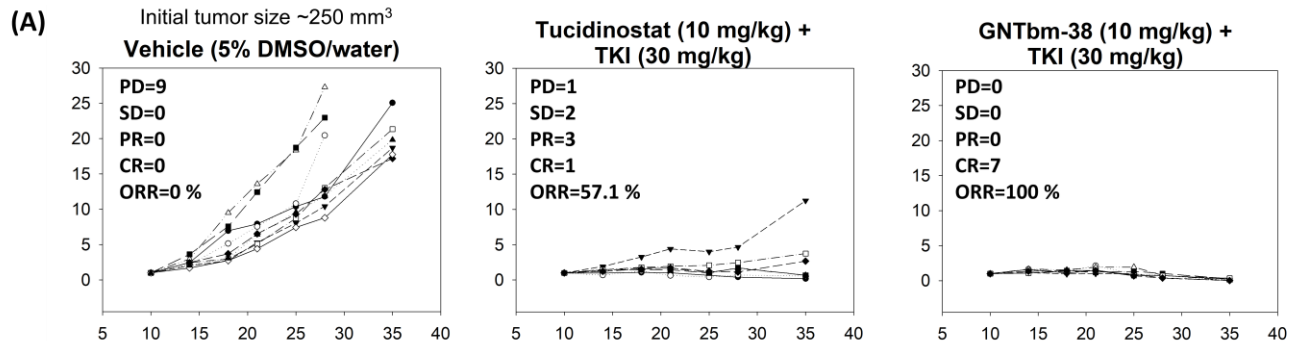


Group	Median Time
Vehicle/IgG	24
GNTbm-38-K30	42
Anti-PD-1	28
GNTbm-38-K30 + Anti-PD-1	-

When tumor size reached $\sim 300 \text{ mm}^3$, the mice were treated with different treatment

GNTbm-38抗癌活性優於已經上市的藥物 Tucidinostat

股票代號: 7427



Group	Median Time
Vehicle	28
GNTbm-38 (10) +TKI	-
Tucidinostat (10) +TKI	50

GNTbm-38聯合特定的TKI抗癌療效優越

股票代號: 7427

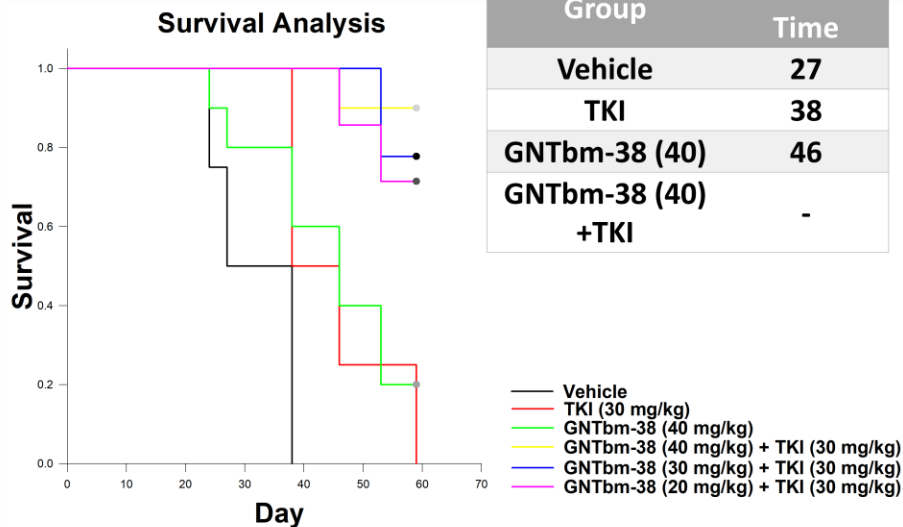
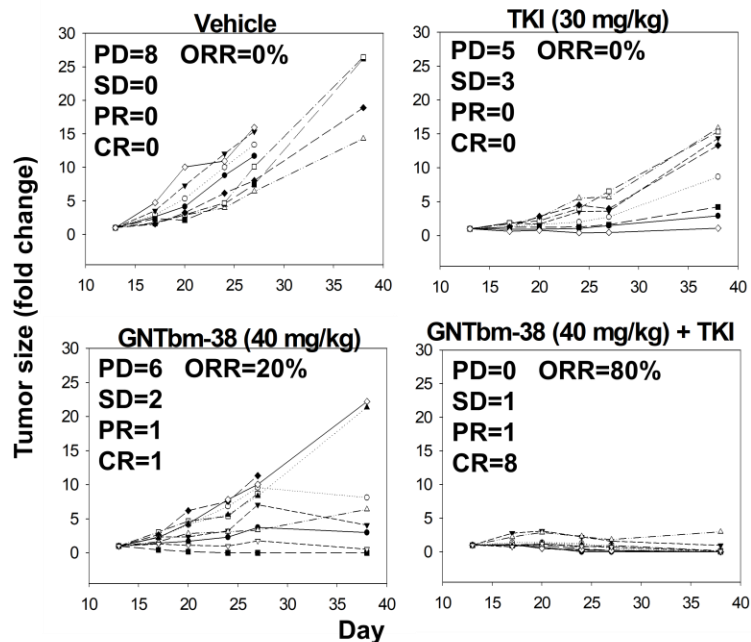
(C)

Mice bearing mouse colon cancer CT26 (Cold Tumor)

CT26 (Cold Tumor)

(D)

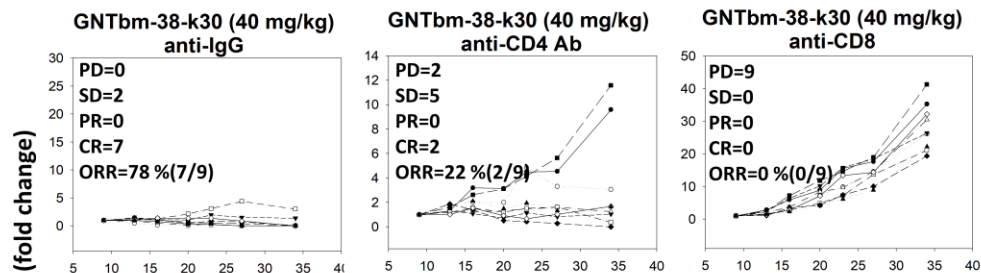
Initial tumor size ~300 mm³



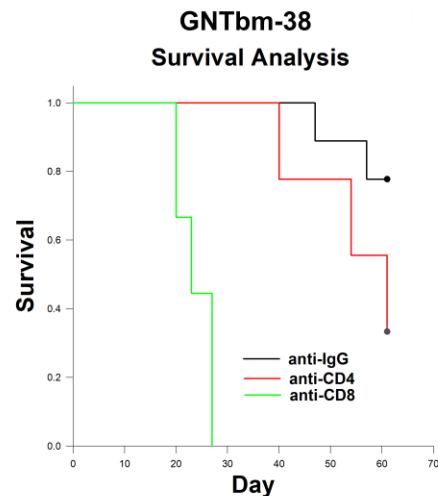
GNTbm-38聯合TKI是藉由活化CTL選擇性攻擊 腫瘤獲得抗癌活性

股票代號: 7427

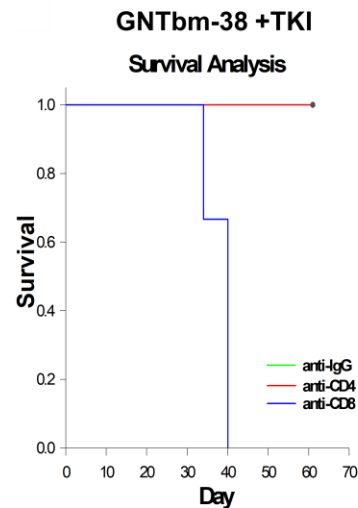
(A)



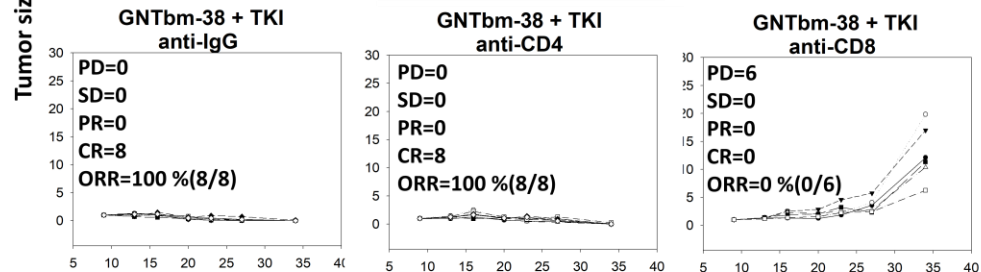
(C)



(D)



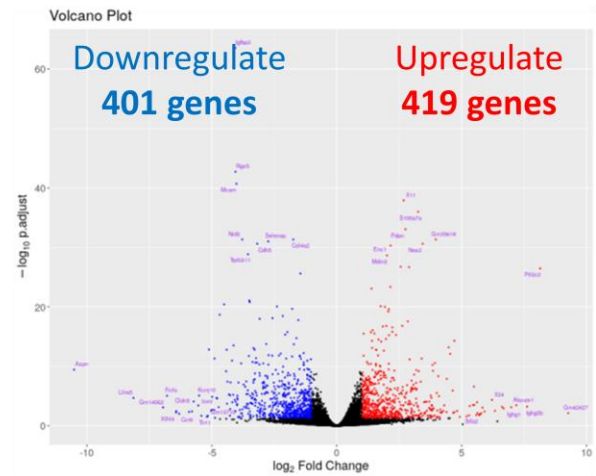
(B)



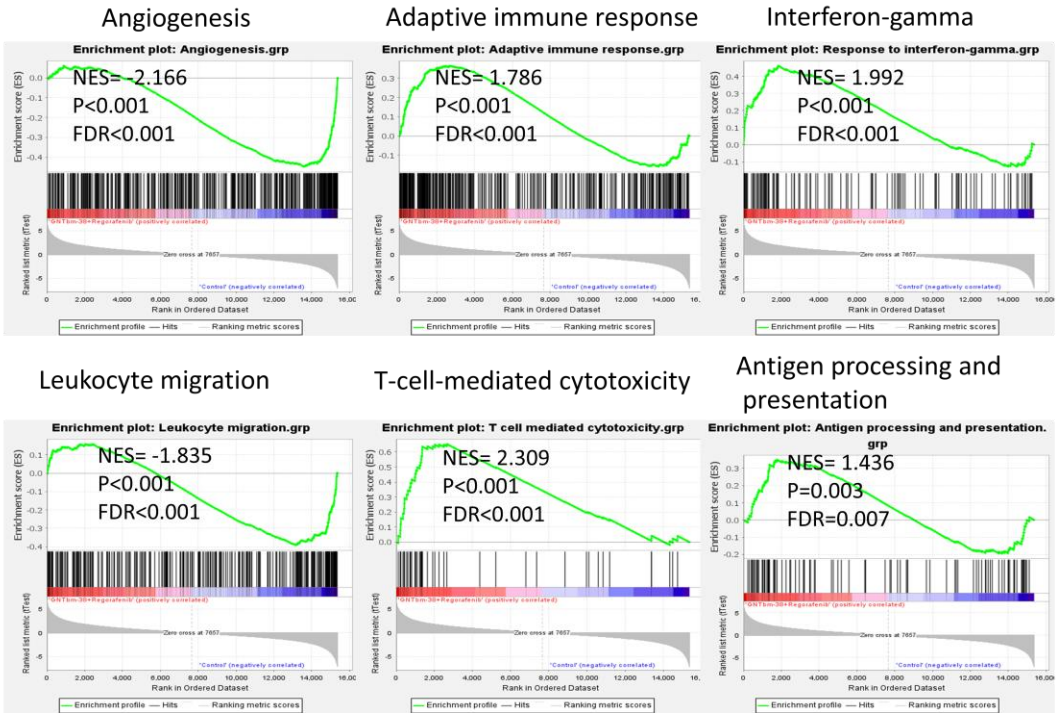
股票代號: 7427

(A)

GNTbm-38 + TKI

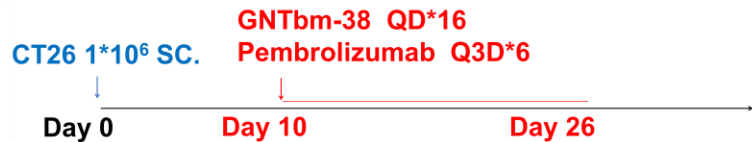
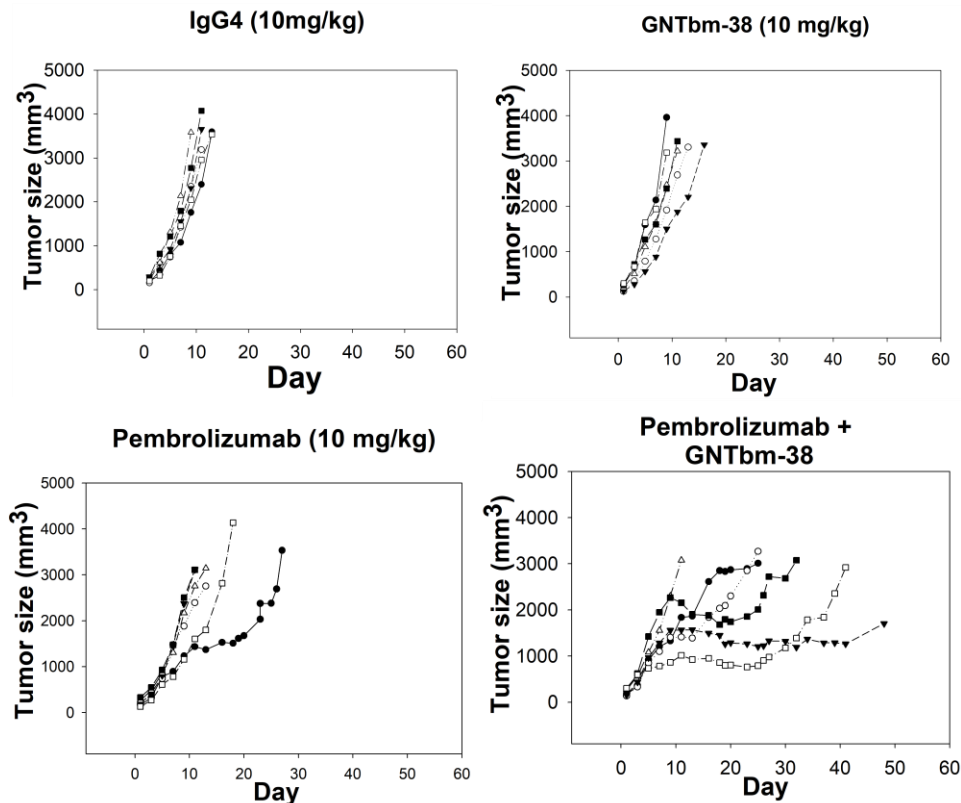


(B)



GNTbm-38聯合keytruda具有協同抗癌活性

股票代號: 7427



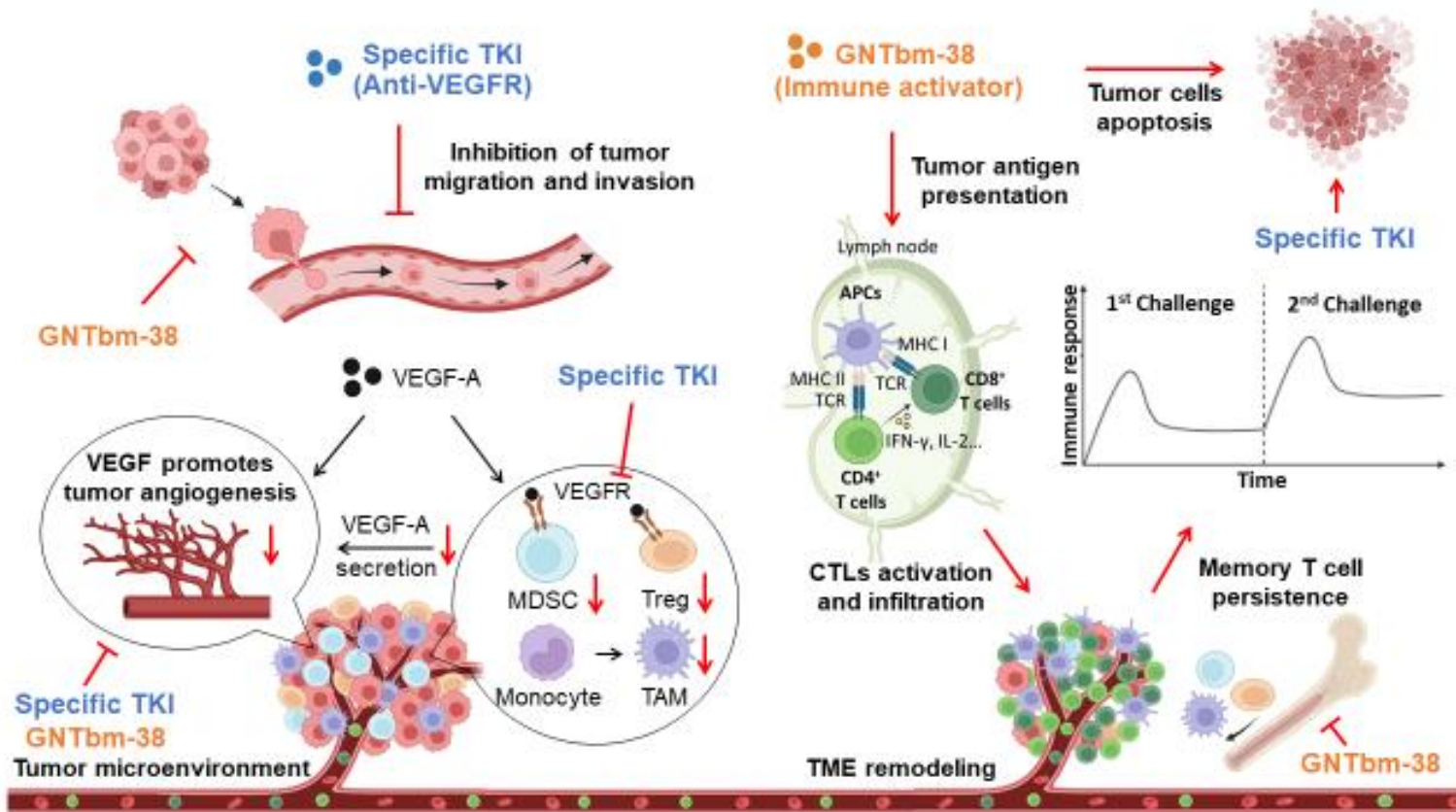
Animal Strains	B-hPD-1/hPD-L1 mice(C)
Animal Genotype	h/h,h/h
Cell Line	B-hPD-L1 CT26.WT#6-H06
Grouping Criterion	Mean tumor volume 150 ± 30 mm ³

Tumor volume upon treatment on humanized B-hPD-1/hPD-L1 mice(C) inoculated with B-hPD-L1 CT26.WT cells

Group /Test articles	Tumor volume (mm ³)		TGI _{TV}	p
	Before treatment	Day 11 post treatment		
IgG4	213±60	3254±644	-	-
Pembrolizumab	214±72	2403±736	28.0 %	0.3069
GNTbm-38	213±73	2806±693	14.7 %	0.9359
Pembrolizumab + GNTbm-38	214±70	1842±717	46.5 %	*0.0194

GNTbm-38聯合特定TKI的MOA

股票代號: 7427



New Drug Research and Development Center, Great Novel Therapeutics Biotech & Medicals Corporation (GNTbm), Taipei City, Taiwan

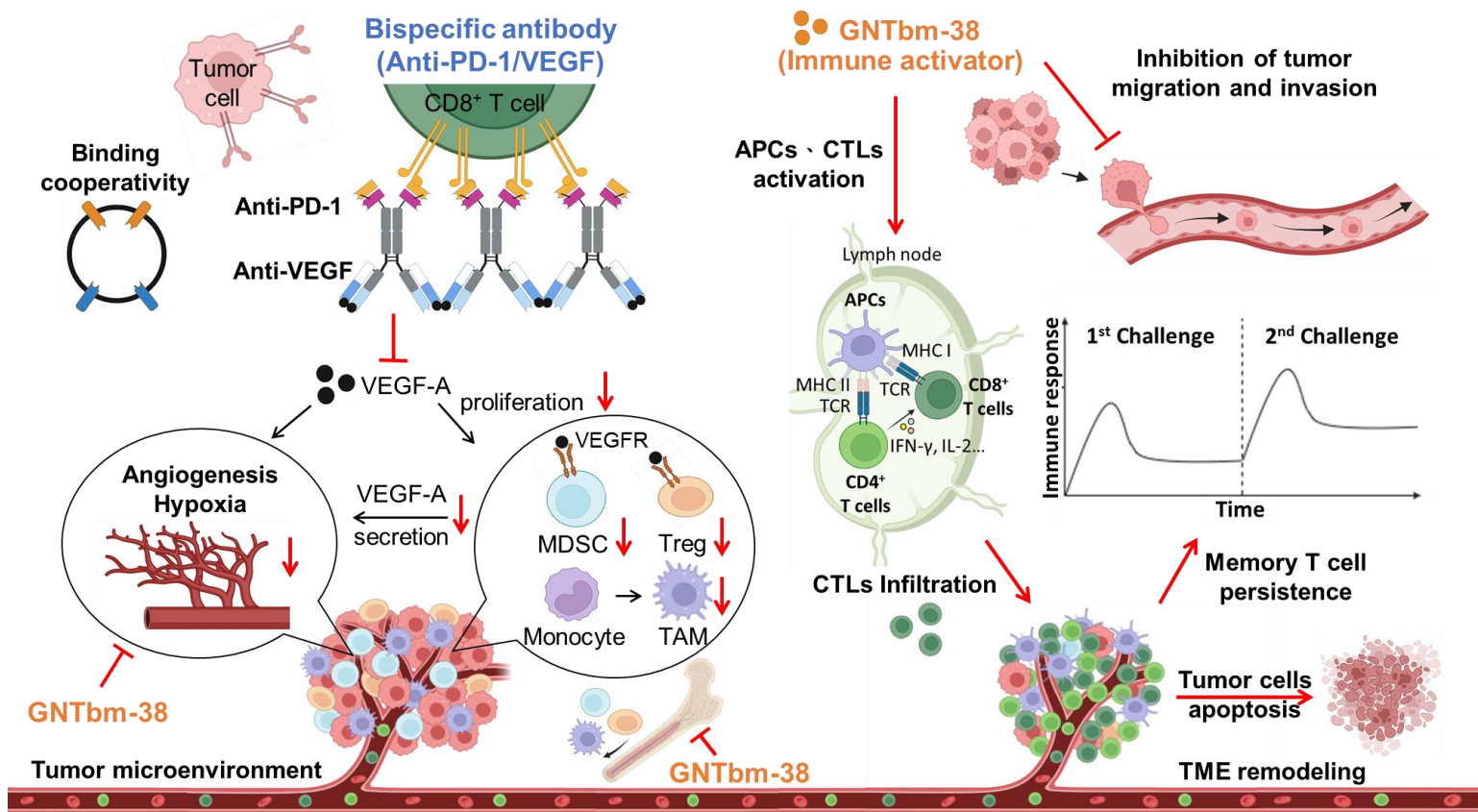
GNTbm-38的三個適應症臨床試驗規劃

股票代號: 7427

項目	說明
臨床Ia期多國多中心開展 (申請美國、中國及台灣IND)	2026年第一季開始收案進行劑量爬升(收納固態腫瘤與R/R PTCL)約30位病患
臨床Ib試驗收納2個cohort病患，各約20位病患	第一個cohort收納第一線治療的MYC/BCL2 DLBCL病患使用GNTbm-38 + BTKi + Rituximab ± CHOP進行療效與安全性驗證 第二個cohort收納MSS mCRC第三線治療病患使用GNTbm-38 + PD-1/VEGF雙特異性抗體進行療效與安全性驗證
國際授權時機	預估完成臨床一期試驗開始洽談
申請R/R PTCL孤兒藥授予	將在臨床一期試驗納入R/R PTCL病患評估療效與安全性並向美國與中國申請孤兒藥授予
第一個適應症R/R PTCL	取得美國孤兒藥授予後進行多國多中心樞紐二期試驗，完成試驗後遞件藥證申請

GNTbm-38聯合PD-1/VEGF雙特異性抗體可以獲得協同 抗癌活性提高ORR

股票代號: 7427



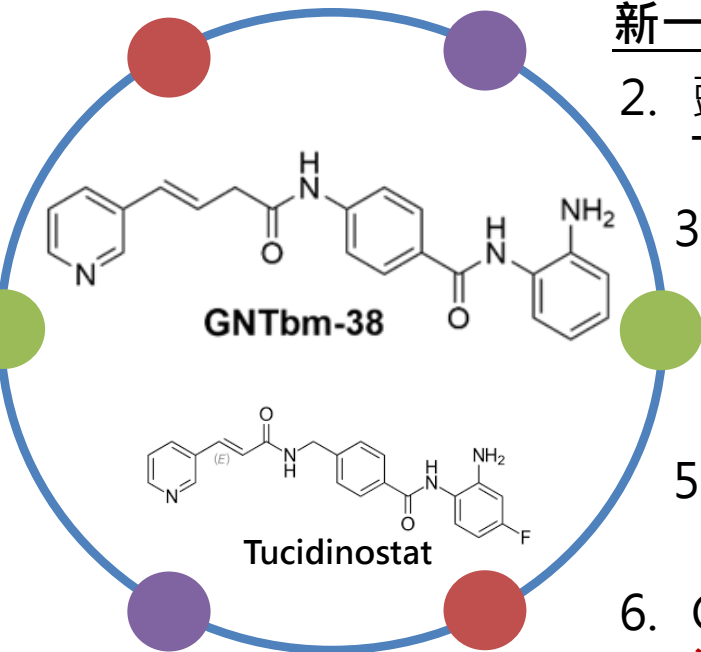
如何看待GNTbm-38國際授權價值

股票代號: 7427

項目	說明
開發適應症以我們熟悉的為優先	單藥用於治療 R/R PTCL (外週T細胞淋巴瘤) 聯合用藥治療 MYC/BCL2 DLBCL (瀰漫大B細胞淋巴瘤) 免疫聯合用藥治療 mCRC (晚期大腸直腸癌)
競爭優勢以療效為主	R/R PTCL療效指標：ORR及DOR及OS MYC/BCL2 DLBCL療效指標：CR率及EFS mCRC 療效指標：OS, PFS, ORR
藥理機制的獨特性與必要性	表觀免疫活化劑在重塑腫瘤微環境中應是無可取代。 可將冷腫瘤轉變成熱腫瘤大幅提升抗腫瘤免疫效益。
GNTbm-38將聯用哪些藥物	PD-1/VEGF雙特異性抗體、多重激酶抑制劑、CAR-T
多適應症的開發潛力	GNTbm-38具有多適應症聯合用藥開發潛力市場價值大
國際授權策略	先以美國、加拿大與歐盟為主，保留部份自行開發權益。

為什麼GNTbm-38具國際授權優勢？

股票代號: 7427



1. GNTbm-38是在開發Tucidinostat 10年的經驗下所開發的新一代藥物。
2. 頭對頭的動物試驗顯示GNTbm-38的抗癌療效顯著優越Tucidinostat。
3. Tucidinostat在全球有6張藥證實力，**GNTbm-38的成藥機率高。**
4. GNTbm-38**不會有藥物蓄積**問題，副作用相對輕微。
5. GNTbm-38半衰期較短，**每天服用一次**，與Tucidinostat每3天服用一次不同。
6. GNTbm-38免疫激活強，更適用於**腫瘤免疫的聯合用藥治療。**
7. Tucidinostat已無再開發全球新適應症的價值。

內容

股票代號: 7427

1. 公司簡介
2. 剋必達的健保給付申請與銷售
3. GNTbm-38的全球臨床開發與布局
- 4. GNTbm-TKI臨床前研究與臨床研究規劃**
5. Q&A

為何要開發GNTbm-TKI？

股票代號: 7427

1. **腫瘤免疫療法**是最有可能治癒癌症的一種有潛力的療法，主要是以免疫檢查點抑制劑為治療藥物，但其單藥治療有效率非常有限，需要聯合其他機制藥物來提升治療效益。

2. **GNTbm-TKI**是公司自主開發的強效免疫激活的多重激酶抑制劑。在以動物試驗進行頭對頭試驗，**GNTbm-TKI**的抗癌療效較優於正控制組**Zanzalintinib**。

Zanzalintinib是一個非常具有開發潛力的多重激酶抑制劑。在2025年6月其第一個適應症治療晚期大腸直腸癌獲得非常正面的解盲結果，開發商Exelixis推估在2033年有多個適應症可以開發成功，年銷售額估計在50億美金。

3. **GNTbm-TKI**是公司首次開發的多重激酶抑制劑，針對免疫激活的藥理機制，是具選擇性 (TYRO-3、AXL、c-MER、BTK、ROS1、NTRK2、VEGFR2、及MET)強效抑制劑。

GNTbm-TKI獨特的強效抑制靶點

股票代號: 7427

強效
抑制

- ✓ 抑制腫瘤的生長
- ✓ 抑制腫瘤的侵襲與轉移
- ✓ 抑制腫瘤血管新生

強效
調控

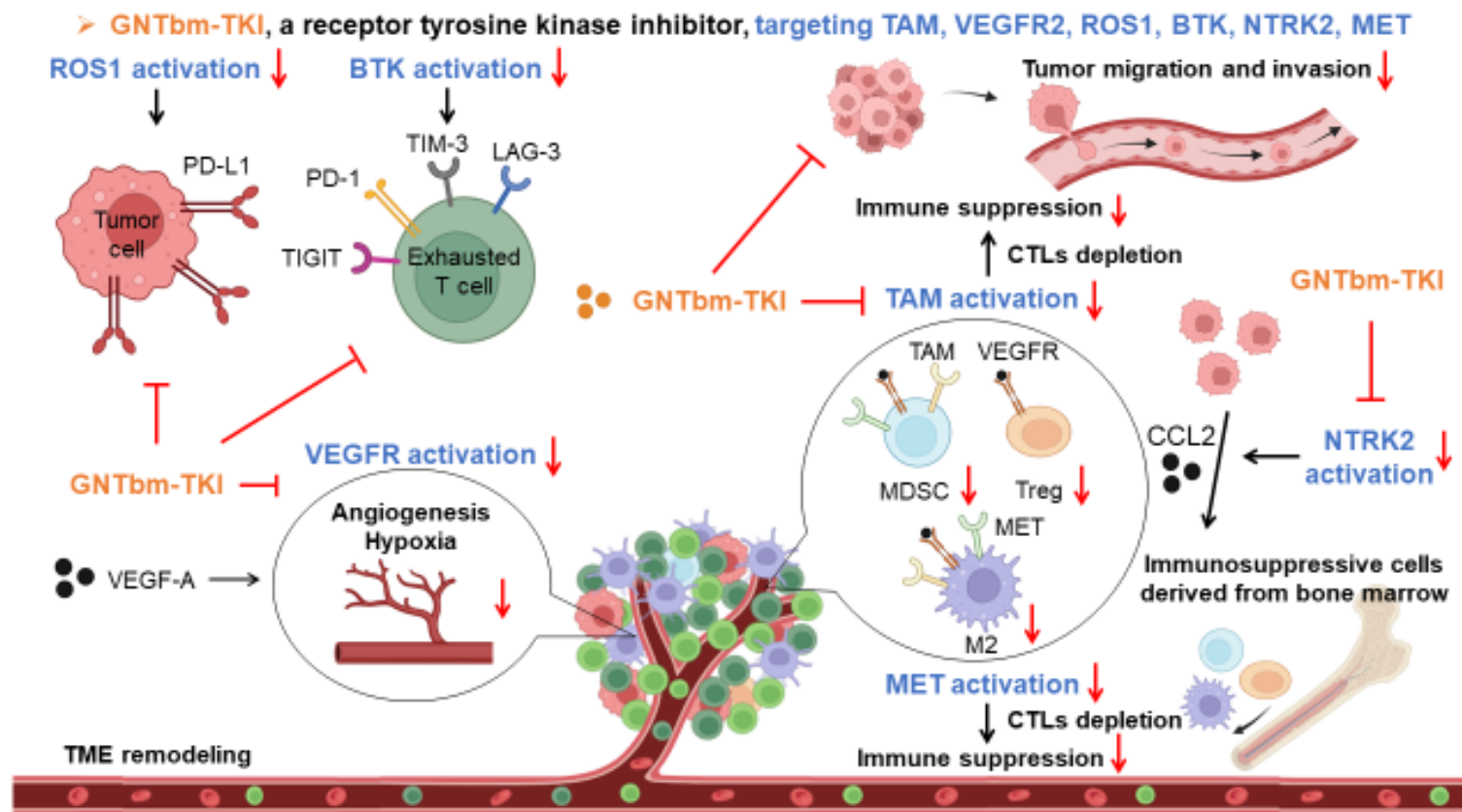
- 🎯 腫瘤免疫調控，抑制免疫逃避發生。
- 🎯 主要的抑制靶點：
TAM (TYRO-3、AXL、c-MER)、
BTK、ROS1、NTRK2、MET、
VGFR2。

Compound Name	Kinase inhibitory IC ₅₀ (nM)		
	Cabozantinib	Zanzalintinib	GNTbm-TKI
MERTK (cMER)	8.50	6.96	3.72*
AXL	2.70	1.41	5.42
ROS1	60.6	71.4	5.87*
BTK	172	111	9.01*
TYRO3 (RSE)	9.10	9.49	12.5
NTRK2 (TRKB)	53.3	112	14.8*
LCK	38.1	7.07	15.9
LYN B	67.7	30.7	18.8*
FLT4 (VEGFR3)	30.3	21.7	20.8*
EPHA2	37.7	52.2	20.9*
HCK	111	59.0	21.4*
FER	424	266	24.7*
FLT3	6.92	5.43	24.8
FGR	88.8	35.4	25.3*
FRK (PTK5)	20.2	10.3	27.0
RET	24.4	22.5	27.1
KDR (VEGFR2)	3.93	2.43	29.2
SRC	141	45.1	32.1*
MET (cMet)	6.90	4.26	35.2
PDGFRA (PDGFR alpha)	84.1	93.9	36.9*
CSF1R (FMS)	11.9	16.3	40.2
MST1R (RON)	128	135	51.5*
LYN A	217	70.9	53.1*
INSRR (IRR)	386	302	53.4*
TEK (Tie2)	508	150	63.1*

*: IC₅₀ lower than Cabozantinib and Zanzalintinib.

GNTbm-TKI獨特的抗癌活性與免疫激活機制

股票代號: 7427



GNTbm-TKI 已獲選2025年ESMO發表研究報告

BERLIN 2025 ESMO congress

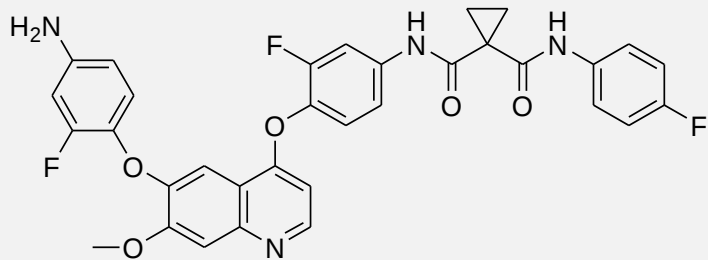
BERLIN GERMANY
17-21 OCTOBER 2025



Dear Dr. Chen,
On behalf of the ESMO 2025 Scientific Committee, we are delighted to inform you that your abstract:
#2242; Preclinical development of GNTbm-TKI, a novel multi-receptor tyrosine kinase inhibitor, while combined with GNTbm-38 showing potent induced tumor microenvironment remodeling activity in cancer immunotherapy
has been accepted for Poster presentation at ESMO 2025, to be held in Berlin, 17-21 October 2025.

華上生醫自主開發第二個新藥GNTbm-TKI

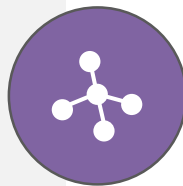
股票代號: 7427



Log P: 5.39
CLogP: 5.94435

$C_{33}H_{25}F_3N_4O_5$
Exact Mass: 614.18

GNTbm-TKI(Cbo-23)



原料藥 API

已完成符合GMP之原料藥生產。



製劑 DP

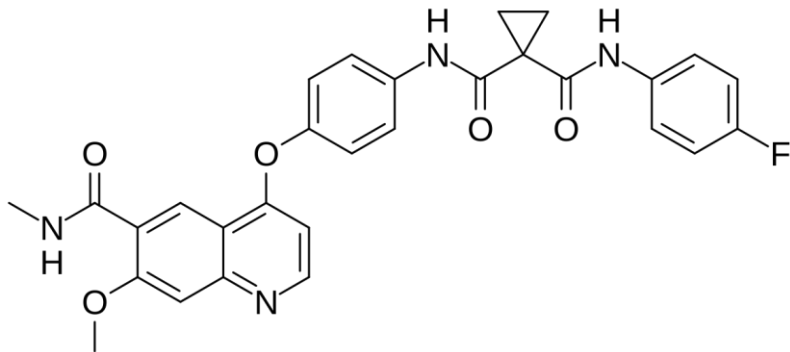
啟動準備CMC及臨床試驗用藥研發與生產



臨床前試驗

啟動臨床前GLP藥、毒理試驗

Zanzalintinib (GNTbm-TKI的正對照品)是國際性的大藥



Zanzalintinib

1

2025年JP Morgan大會展示其優越的開發價值，具有4-6張藥證實力，預估在2033年美國市場的銷售額達50億美金

2

該藥的主要抑制靶點是VEGFR, MET, and the TAM kinases (TYRO3, AXL, c-MER)以聯合免疫檢查點抑制劑為治療目標

3

該藥的第一個適應症是治療晚期MSS型大腸直腸癌第三線治療，使用Zanzalintinib聯合anti-PD-L1 Ab

為什麼GNTbm-TKI開發價值高？

股票代號: 7427

1. 參考藥品Zanzalintinib 被估算在美國市場銷售高峰可能在2033年可達50億美金。
2. GNTbm-TKI的抑制靶點是與Zanzalintinib並不完全相同，因此在腫瘤免疫活性具有更強活性有利於聯合腫瘤免疫藥物。
3. GNTbm-TKI與Zanzalintinib頭對頭動物及藥物動力試驗顯示，抗癌療效是顯著優於Zanzalintinib。
4. GNTbm-TKI的免疫活性是相當優越，可以聯合特定的HDACi及PD-1/VEGF雙特異性抗體用於腫瘤免疫治療。
5. GNTbm-TKI將於今年首次在ESMO以POSTER發表研究報告。

GNTbm-TKI多個適應症臨床試驗的開展與規劃

股票代號: 7427

項目	說明
完成臨床前研究	目前有多家CRO協助正在推進符合美國與中國雙報IND的研究預估2026年底完成申請美國、中國及台灣的IND。
臨床Ia試驗	預估在2027年第一季度開始收納病患以實體瘤及 神經內分泌瘤 病患為主，進行I期臨床試驗之劑量爬升及觀察神經內分泌瘤病患的療效與安全性。
臨床Ib試驗	規劃Ia期臨床試驗後，緊接進行兩個cohort的病患收納，每個cohort約20位病患。 - 第一個cohort收納晚期腎癌第一線治療病患以GNTbm-TKI聯合PD-1/VEGF雙特異性抗體進行療效與安全性驗證。 2028年第二個cohort收納晚期頭頸癌第一線治療病患以GNTbm-TKI聯合PD-1/VEGF雙特異性抗體進行療效與安全性驗證。
申請孤兒藥授予	申請晚期神經內分泌瘤的美國與中國孤兒藥。
樞紐臨床二期試驗	以多國多中心樞紐二期試驗以GNTbm-TKI治療晚期神經內分泌瘤的療效與安全性，如順利達到試驗主要療效指標將申請藥證。

GNTbm-38及GNTbm-TKI全球專利佈局

股票代號: 7427

專利申請者	專利申請題目	申請日期	專利申請國家	專利申請狀態
華上生技醫藥股份有限公司	HISTONE DEACETYLASE INHIBITORS FOR IMMUNOMODULATION IN TUMOR MICROENVIRONMENT (GNTbm-38)	2021/04/28	24個國家與歐盟	申請24個國家或區域專利，約有50幾個國家獲得專利保護。 36國發明專利已經獲得批准。
華上生技醫藥股份有限公司	TYROSINE KINASES INHIBITORS AND USES THEREOF	2023/10/17	24個國家與歐盟	2024年10月完成申請24個國家或區域專利 南非專利已經批准。

內容

股票代號: 7427

1. 公司簡介
2. 剋必達的健保給付申請與銷售
3. GNTbm-38的全球臨床開發與布局
4. GNTbm-TKI臨床前研究與臨床研究規劃
- 5. Q&A**

**Thank you
for your attention !**