

6949

沛爾生技醫藥股份有限公司



免責聲明

- 1.本公司於簡報當時之主、客觀因素對過去、現在及未來之營運彙總與評估；其中含有前瞻性之論述將受風險、不確定性及推論所影響，部分將超出我們的控制之外，實際結論可能與這些前瞻性論述大為不同。
- 2.所提供之資訊包含對未來的看法並未明示或暗示地表達或保證其具有正確性、完整性及可靠性；亦不代表本公司、產業狀況及後續重大發展之完整論述。
- 3.本簡報中對未來的展望反映公司截至目前為止之看法。若有任何變更或調整時本公司不負責隨時提醒及更新。
- 4.本簡報及其內容未經本公司書面許可，任何第三者不得任意取用。

大綱

1. 前言

2. 公司簡介

3. 核心技術

4. R&D PIPELINE

哈佛醫學院院長 George Dailey：
如果說 20 世紀是藥物治療時代，
21 世紀就是 **細胞治療** 的時代！



注射細胞激素

活化T細胞
(IL-2, IFN等)

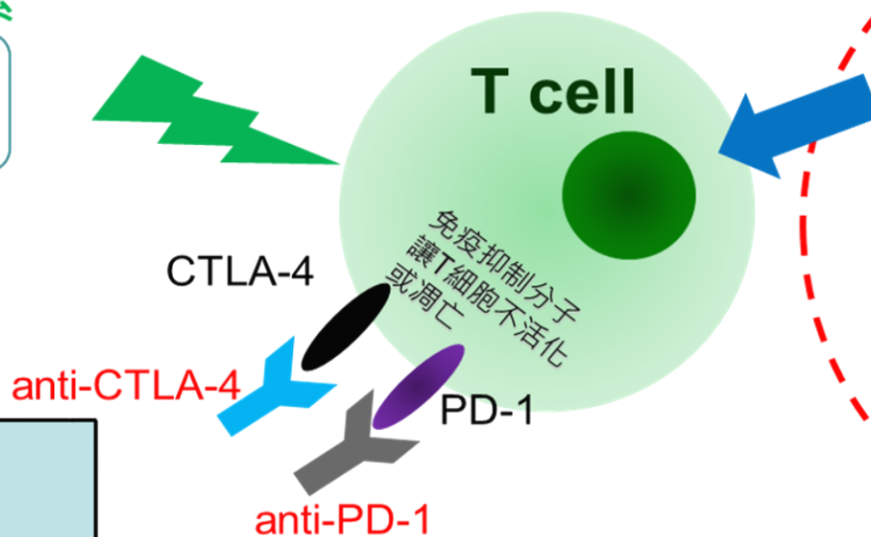
注射單株抗體

重新活化T細胞

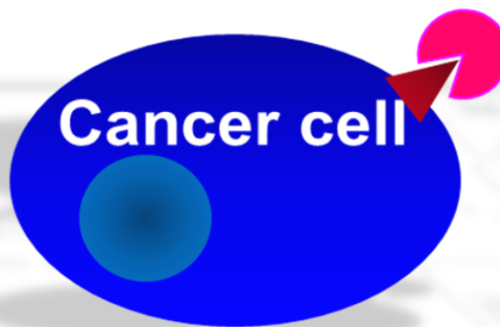
Yervoy (ipilimumab)
Opdivo (nivolumab)
Keytruda (pembrolizumab)

(另有MDX-1105, 一種anti-PD-L1抗體, 防止腫瘤細胞殺死T細胞)

(摘自衛福部官網)



B. Aim at cancer cells



輸入免疫細胞

DC細胞
(可活化T細胞)
Provenge (Sipuleucel-T)

自體T細胞
基因改造T細胞
(CAR-T)
腫瘤內T細胞(TIL)

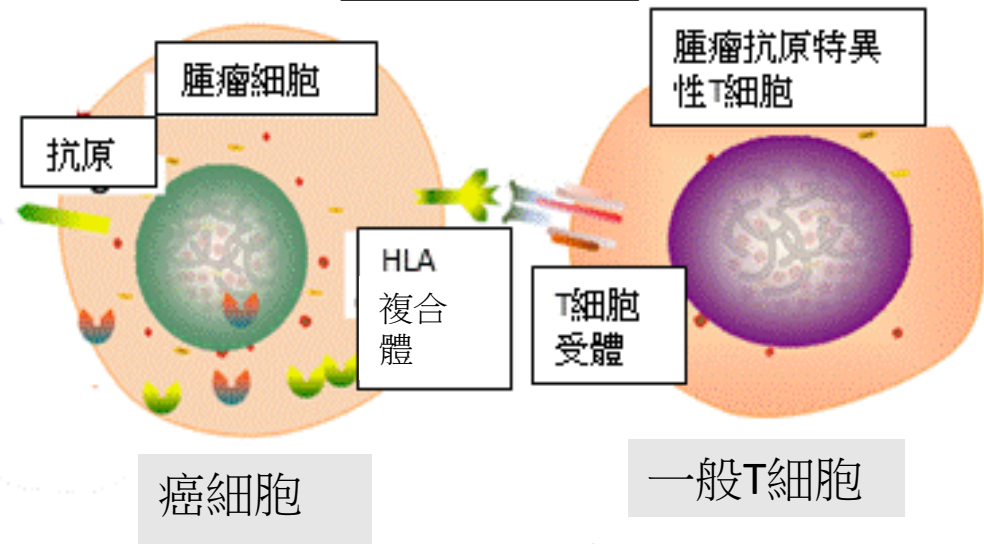
(另有其他細胞,如NK)

口服或注射標靶藥物

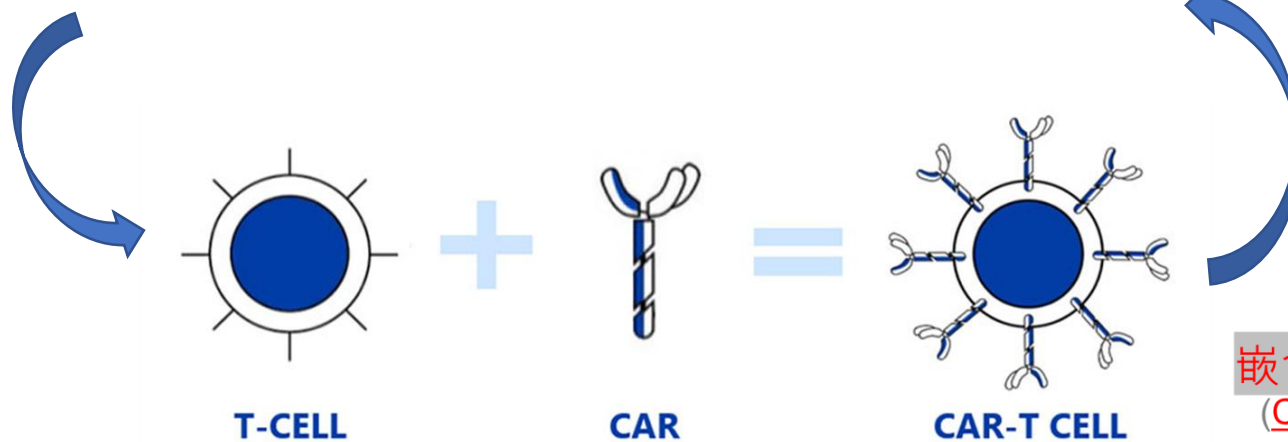
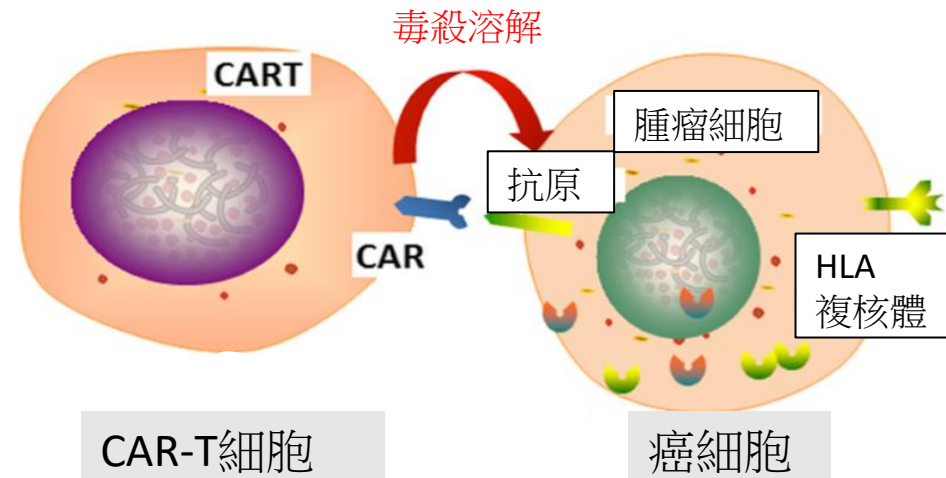
針對癌細胞生長所需因子

Lapatinib (Tykerb)	Bortizomib (Velcade)
genfitinib (Iressa)	Imatinib (Glivec)
Erlotinib (Tarceva)	Sunitinib (Sutent)
Cetuximab (Erbix)	Sorafenib (Nexavar)
Bevacizumab (Avastin)	Rituximab (Mabthera)

- 接合力不高
- 效力低



- 接合力高
- 效力強

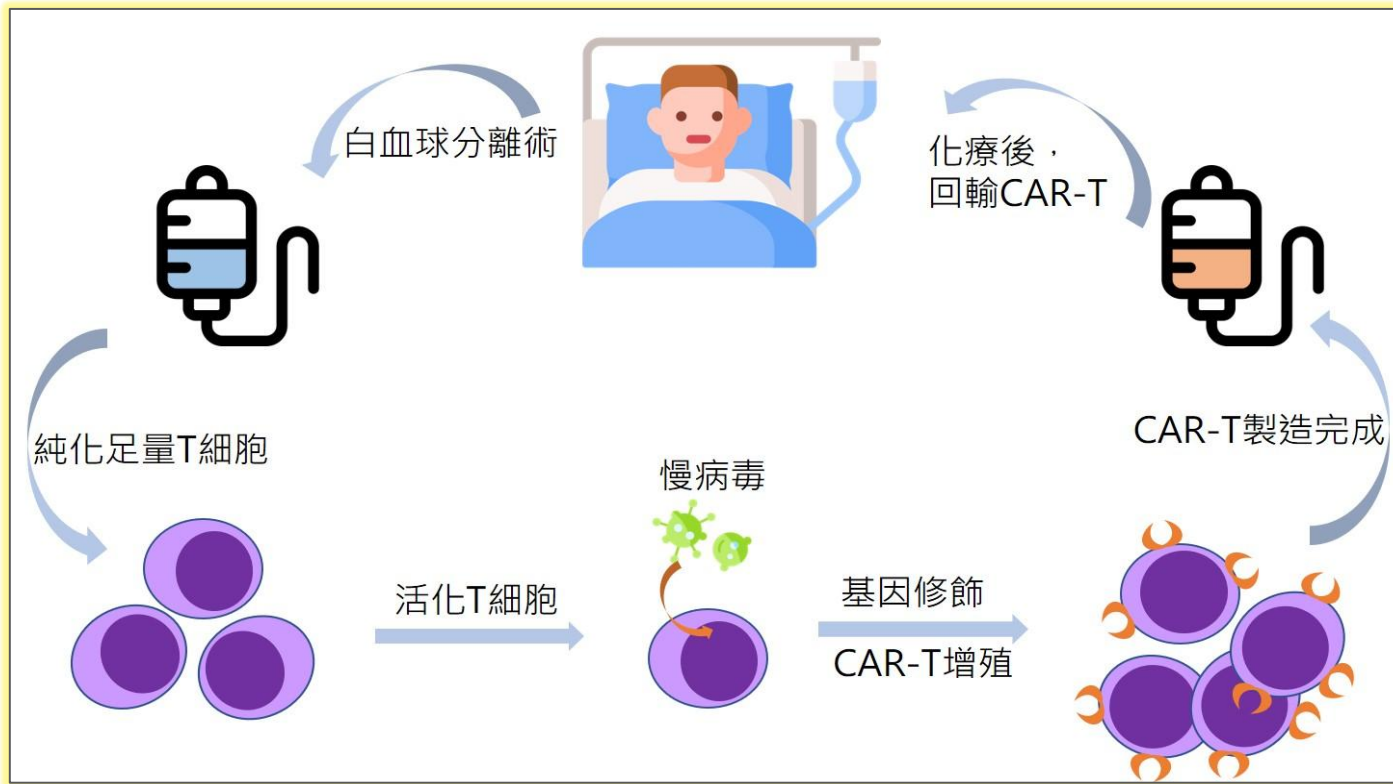


嵌合抗原受體T細胞療法CAR-T
(Chimeric Antigen Receptor T cell)

一般T細胞

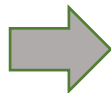
基因工程技術「塞入」
數段人工製造的DNA

CAR-T 怎麼做?



2024

2012



CAR-T



- Kymriah (**Novartis**) 為全球首例獲美國 FDA 核可上市，成為常規療法。
一劑價格 47.5 萬美元
- Kite Pharma 治療「瀰漫性大B細胞淋巴瘤」(Diffuse Large B Cell Lymphoma, 一劑價格 37.3 萬美元)

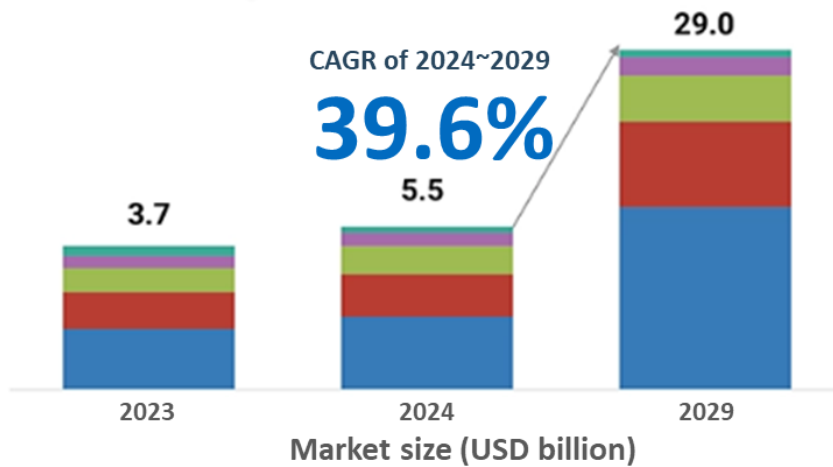
Global Data統計:

✓ 2024年全球細胞治療市場規模為73.1億美元，預計2033年為1,888.4億美元
<https://www.polarismarketresearch.com/industry-analysis/car-t-cell-therapy-market>

已上市的CAR-T營業額超速成長

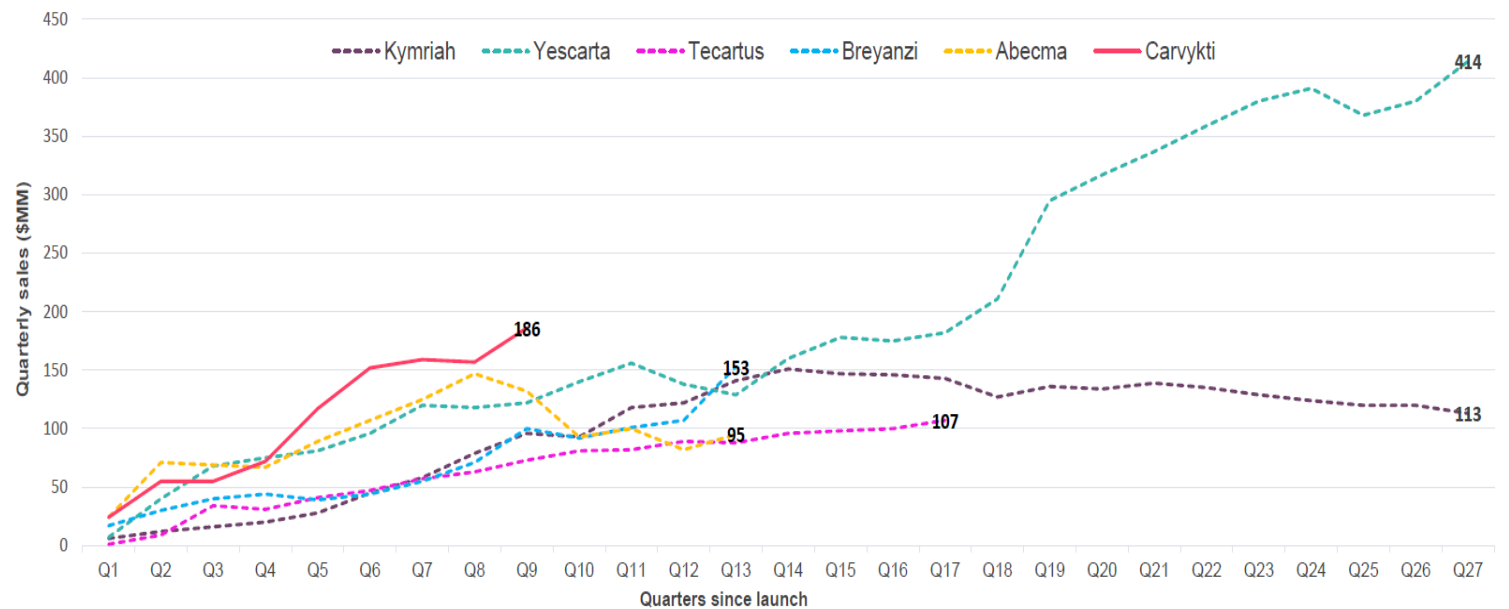
- 全球CAR-T市場以美國為主；亞太是高需求市場，但普及率有限，成長最快

▼ CAR-T 市佔率



北美	歐洲	亞太	拉丁美洲
<ul style="list-style-type: none"> 7項上市產品 營收: 22億 當地液體癌患者: 29.5萬 	<ul style="list-style-type: none"> 6項上市產品 營收: 16億 當地液體癌患者: 43.9萬 	<ul style="list-style-type: none"> 7項上市產品 營收: 11億 當地液體癌患者: 101.1萬 	<ul style="list-style-type: none"> 2項上市產品 營收: 7億 當地液體癌患者: 16.7萬

▼ CAR-T療法全球季度銷售額（百萬美元）



大綱

1. 前言

2. 公司簡介

3. 核心技術

4. R&D PIPELINE

台北總公司

tcmc

高雄分公司



- 登記資本額10億; 實收資本額5.87億
- 集團員工人數: 130人(博/碩士 61.5%)
- 股權結構: 董事及經營團隊佔47.95%
- 主要業務:
 - ✓ 癌症之免疫基因工程療法
 - ✓ 細胞治療相關技術與產品
 - ✓ 非細胞產品開發應用
- 總公司及分公司
 - ✓ 台北總公司(內湖)
 - ✓ 高雄分公司(左營)
- 子公司--台灣細胞製造股份有限公司 (tcmc)
 - 竹北 PIC/S GMP廠
 - 竹北生醫園區廠房面積 1,000坪
 - CAR-T產能規劃 300例/年

創辦人

林成龍 教授

- 英國牛津大學醫學博士
- 英國倫敦帝國學院腫瘤免疫學講座教授
- 英國皇家外科學院院士
- 香港大學榮譽教授
- 細胞臨床治療領域**超過25年**
- 團隊細胞治療臨床經驗 **超過700例**
- CAR-T臨床經驗**超過50例**
- 學術論文發表於國際各大期刊**超過150篇**

(Cancer Research/Journal of Immunology/European Journal of Immunology/Journal of Experimental Medicine/Nature Genetics/Stem Cells等)



大綱

1.前言

2.公司簡介

3.核心技術

4.R&D PIPELINE

沛爾之核心技術

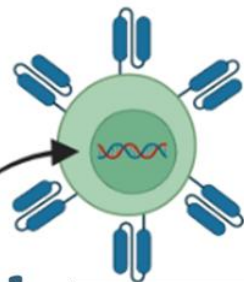


① acquire T cells from blood

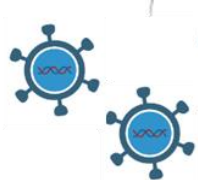


② transduction of T cells with lentivirus

CAR-T cell

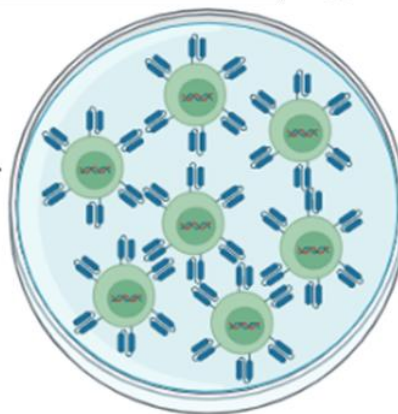


insertion gene for CAR



lentivirus for CAR

慢病毒



③ expansion of CAR-T cell while maintaining stemness

④ infusion into patient



CAR-T生產之門檻與困難

CAR平台具專利限制且效能仍需改善

LV 病毒製造不易且成本高昂

製程耗時長

CAR-T生產品質不佳

核心突破技術

新穎之次世代CAR-T平台

專利之新型慢病毒(LV)製造工藝

獨家7天短天期製程

特殊製程產出高比例Tscm之CAR-T

核心技術: 免疫基因工程之癌症療法

自主技術臨床應用

1. CD19 CAR-T 和 BCMA CAR-T

— B細胞淋巴瘤、急性B細胞白血病、多發性骨髓瘤

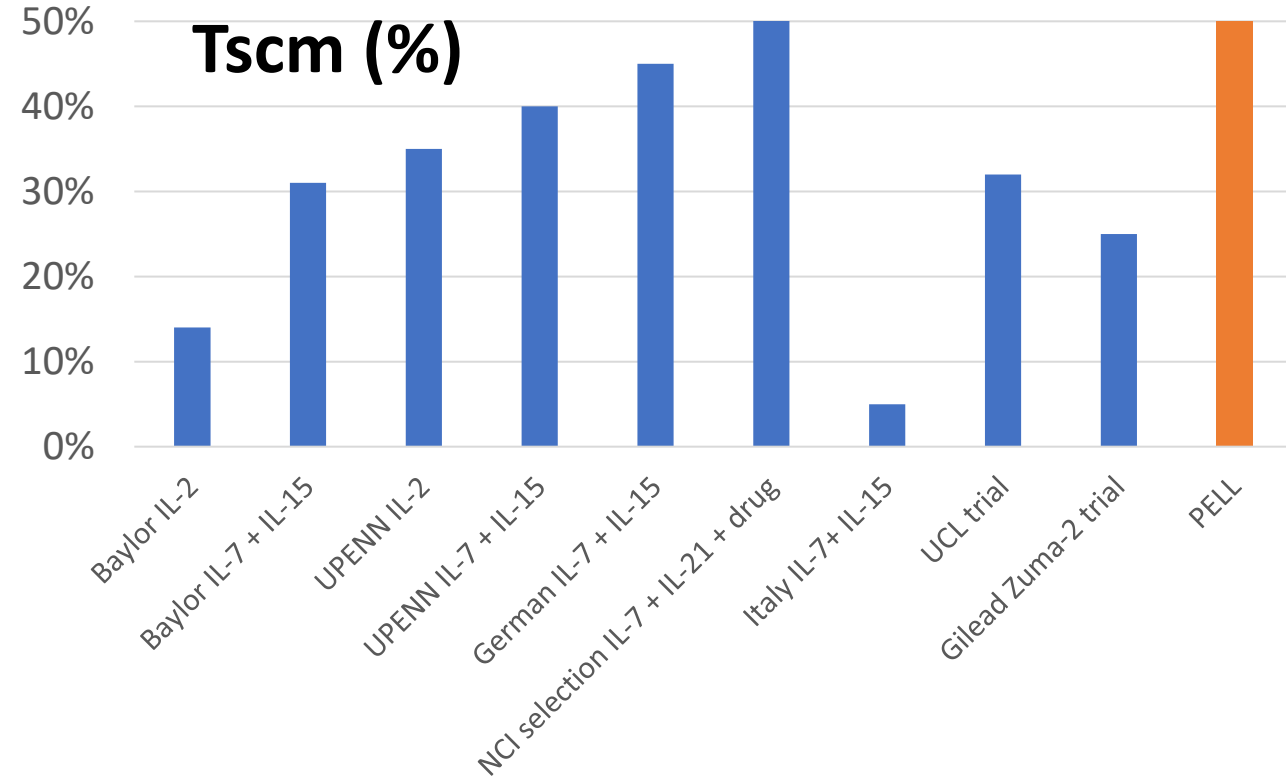
- 淋巴瘤的第1期臨床試驗已結束，正進行第2期臨床試驗
- 專利保護的 CAR-T 臨床生產製程，可產出超高 Tscm (stem central memory T cells) 比例，並僅需7日即可完成生產，為**最先進之製程**

2. 多鏈 CAR-T 治療實體癌

3. 異體 CAR-T

PL001: 更優之 CD19 CAR-T 產品

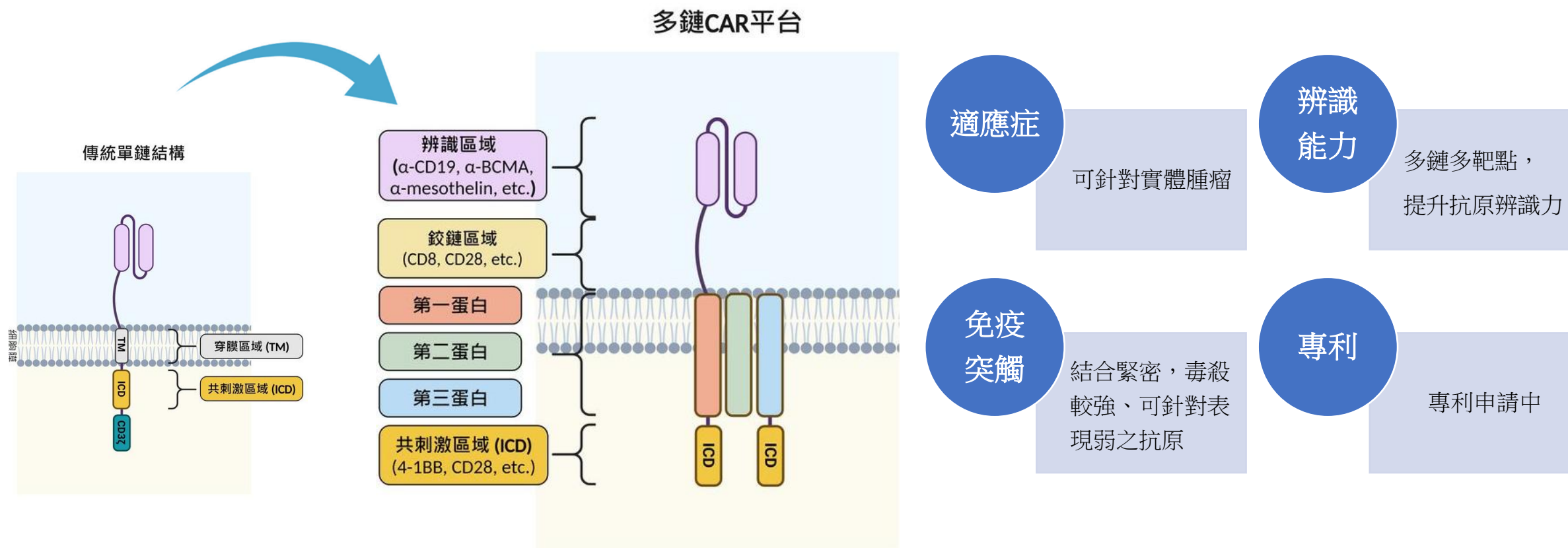
Product	Manufacturing period (days)	Turn-around time (days)
YESCARTA (Gilead/KIT E)	6-8	14
KYMRIAH (Novartis)	8-12	22
BREYANZI (BMS)	NA	24
PL001 (PELL BioMed)	7	10-14



Blood. 2014 Jun 12; 123(24): 3750–3759;
 Oncotarget. 2016 Dec 13; 7(50): 82354–82368;
 Cancer Immunology, Immunotherapy, 2018 doi.org/10.1007/s00262-018-2155-7;
 Blood. 2016 Jul 28; 128(4): 519–528;
 Front. Immunol. 2020: 11:482;
 Nat Med . 2019 Sep;25(9):1408-1414;
 J Clin Oncol 38: 2020 (suppl; abstr 3023)

沛爾核心技術：多鏈平台

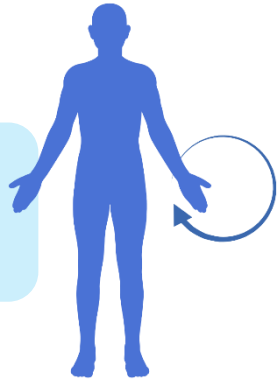
- 專利保護多鏈 CAR-T平台優於傳統單鏈



自體轉向異體，開創新藍海

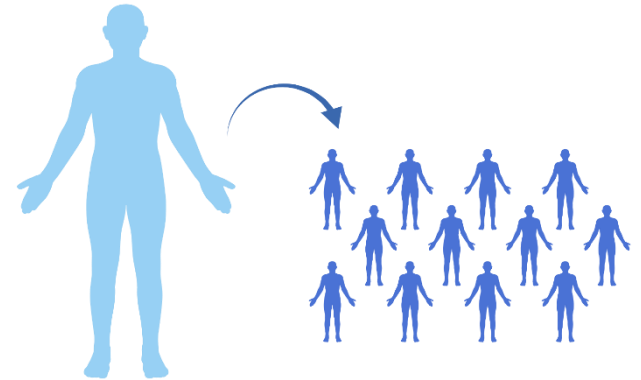
異體 CAR-T 領航，再生醫療趨勢

自體細胞治療
(autologous)



- ✗ 客製化生產，耗時
- ✗ 高成本
- ✗ 起始細胞變異大，品質不穩定

異體細胞治療
(allogeneic)

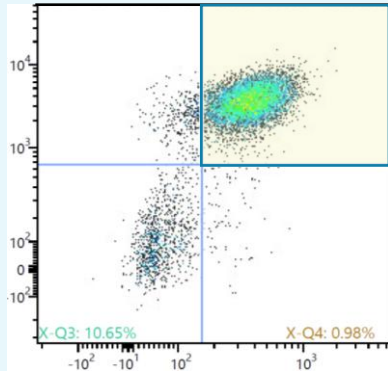


- ✓ 細胞來源 → 可篩選合適捐贈者
- ✓ off-the-shelf → 無需費時等待培養
- ✓ 大量生產 → 可負擔的醫療費用
- ✓ 標準化製程 → 提升製備成功率、彈性生產時程

鎖定3大關鍵突破多鏈、異體細胞治療

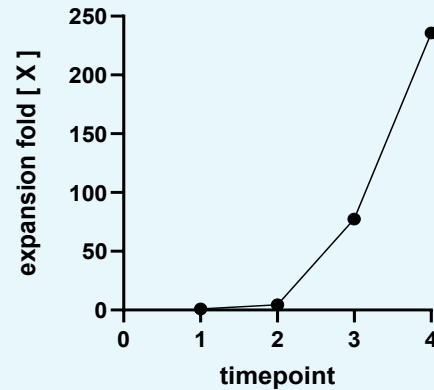
純度 (purity)

> 80%
before purification



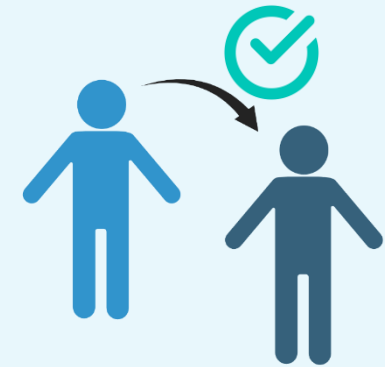
擴增 (expansion)

100x ~ 1,000x
ongoing optimization



安全性 (safety)

minimal to
no GvHD



2024 專利佈局

- 2024 年獲得專利共 5 件，目前累積取得 25 項技術專利
- 涵蓋 CAR-T 製程、異體平台、多鏈 CAR-T、病毒包裝系統...等關鍵技術



國家獎項



- 2019 R&D 100 award
- 2020 國家新創獎(第17屆)
- 2021 兩項國家新創獎(第18屆)
- 2022 經濟部A+企業創新研發淬鍊計畫
- 2024 國家新創獎(第21屆)

大綱

1.前言

2.公司簡介

3.核心技術

4.R&D PIPELINE

PL001 CD19 CAR-T 治療 B細胞淋巴瘤

工作項目	2025 年度	2026 年度				2027 年度				2028 年度				2029 年度			
	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
第二期臨床試驗 (含收案病人一年觀察期)																	
臨床結案報告(CSR)送 TFDA 審查																	
NDA 送件資料準備																	
申請 NDA 或附款許可																	
第三期臨床試驗																	

註：相關時程將依實際臨床進度調整，並依相關規定辦理公告申報。

PL002 間皮素多鏈 CAR-T

新世代
NKp30-based CAR-T
毒殺固態腫瘤

- NKp30平台具有極佳腫瘤毒殺能力，**勝過所有已知**之41BB.zeta平台，包含毒殺癌細胞之速度、深度，以及耗竭速度
- 強化**實體癌**毒殺能力

間皮素多鏈CAR-T可有效治療卵巢癌

食鹽水

未基改T細胞

傳統單鏈CAR-T

新型多鏈CAR-T

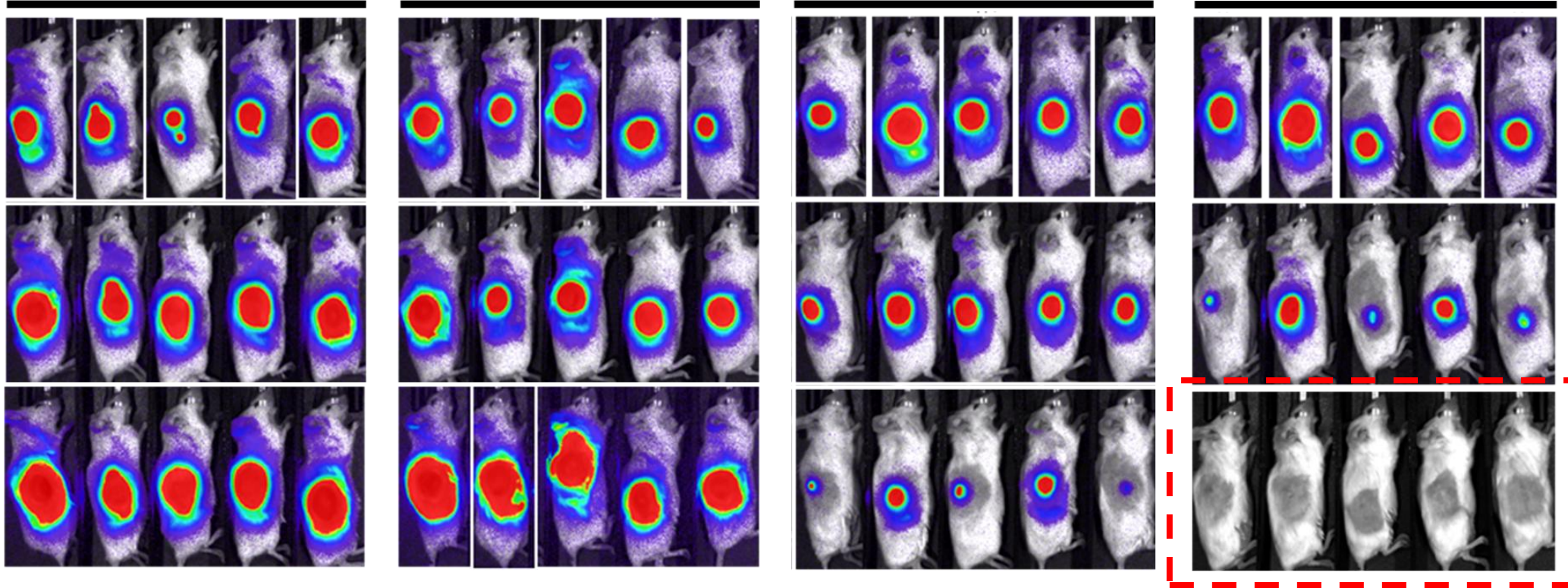
第21天
施打CAR-T

D17

D31

D45

腫瘤細胞為
卵巢癌細胞



*為方便顯示，亦在不影響評估療效趨勢的情況下，此圖沒有呈現D24,D38,D52之影像數據

腫瘤完全消失

PL002 間皮素多鏈CAR-T治療卵巢癌

作項目	2025 年度	2026 年度				2027 年度				2028 年度	
	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2
臨床設計及相關文件準備											
IND 申請											
第一期臨床試驗											

註：相關時程將依實際臨床進度調整，並依相關規定辦理公告申報。

間皮素多鏈CAR-T可治療多種癌症

間皮素表現於多種常見、高死亡率之癌別

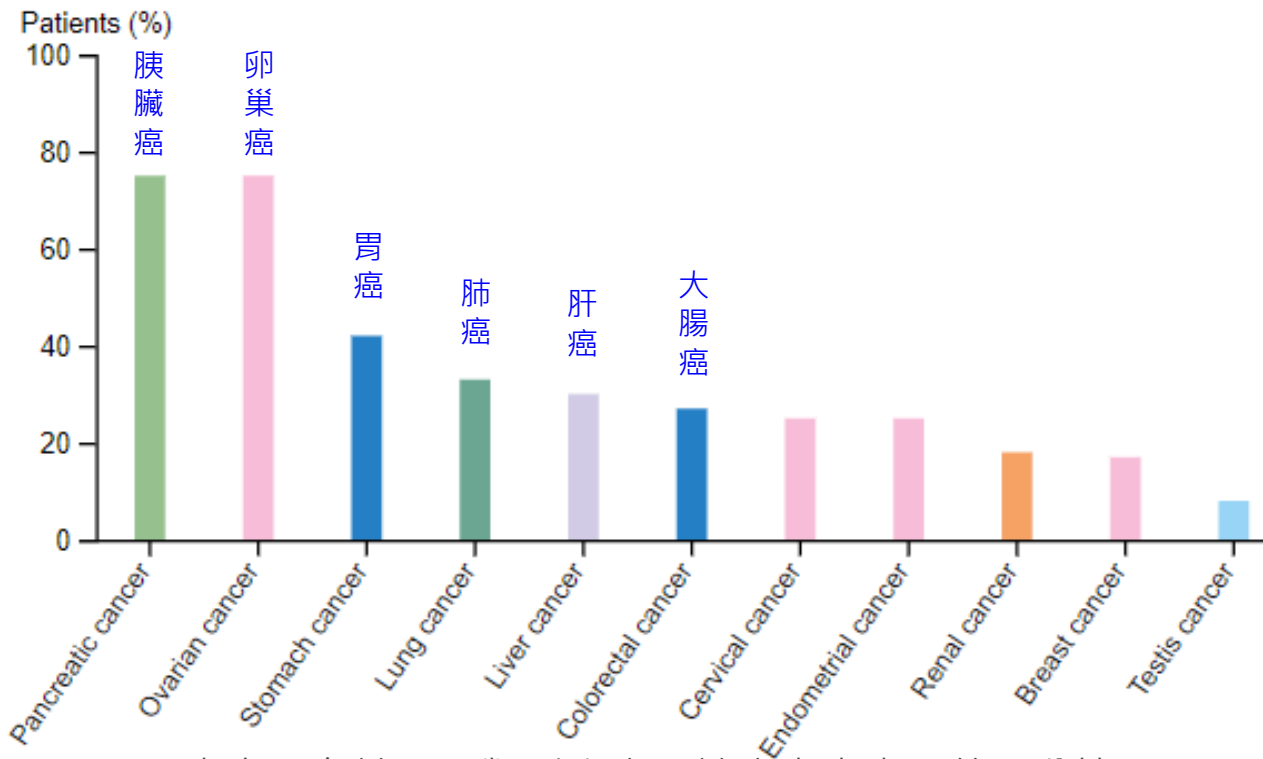
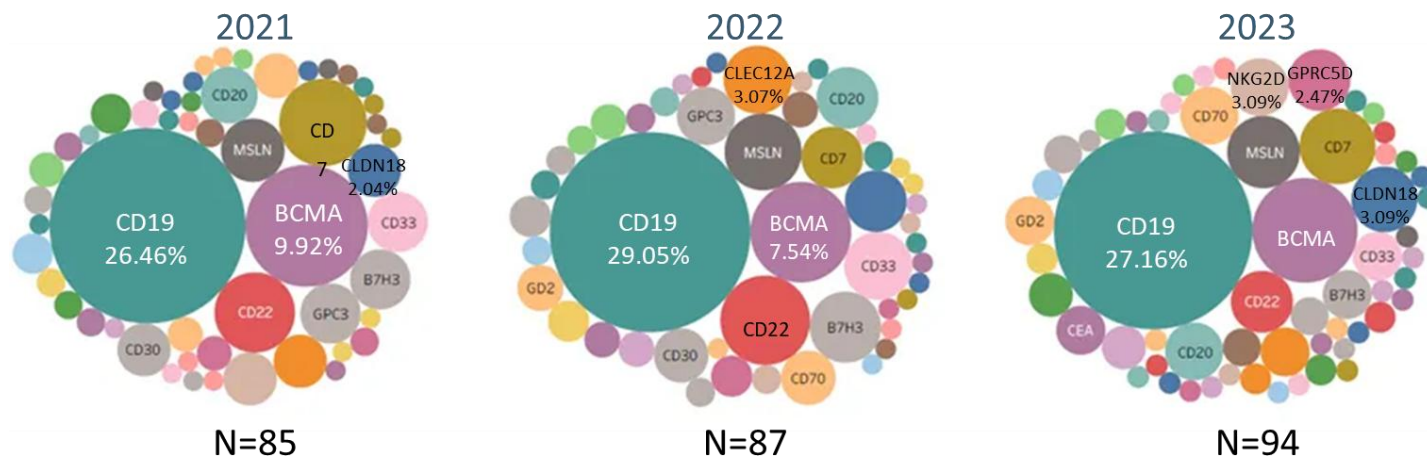


圖. 間皮素蛋白於不同類型癌症，於病患中出現的百分比

- 除卵巢癌外，間皮素高表現的癌症包括**胰臟癌**、**卵巢癌**、**胃癌**、**肺癌**、**肝癌**及**大腸癌**，皆為常見且高死亡率的惡性腫瘤
- 胰臟癌與卵巢癌表現率高達70%以上
- 開發抗間皮素多鏈CAR-T用於治療其它實體癌症，可望**縮短研發時程**、**降低研發成本**、**加速進入臨床試驗階段**

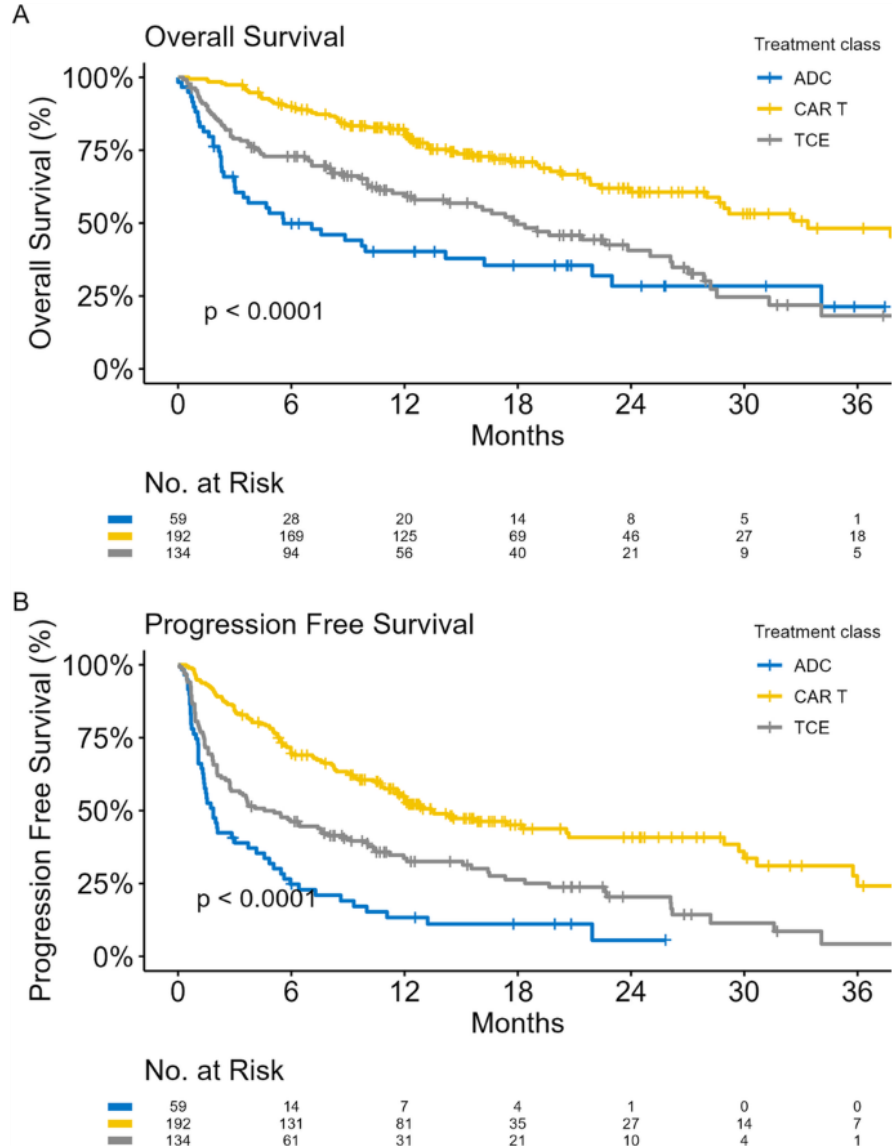
PL003 BCMA CAR-T 治療多發性骨髓瘤

BCMA CAR-T 已在美國和中國上市，為目前CAR-T臨床試驗主要靶點之一



全球已上市 BCMA CAR-T 療法				
地區	產品名稱	公司	上市日期	價格 (參考)
美國	Abecma	BMS	2021年	52.4萬美元
	Carvykti	J&J/南京傳奇	2022年	46.5萬美元
中國	賽愷澤	科濟生物	2024年	115萬人民幣
	卡衛荻	J&J/南京傳奇	2024年	--

CAR-T 相較其他 BCMA 療法更具優越療效



- 統計2018-2023 年多發性骨髓瘤患者研究 (n=339) 顯示：

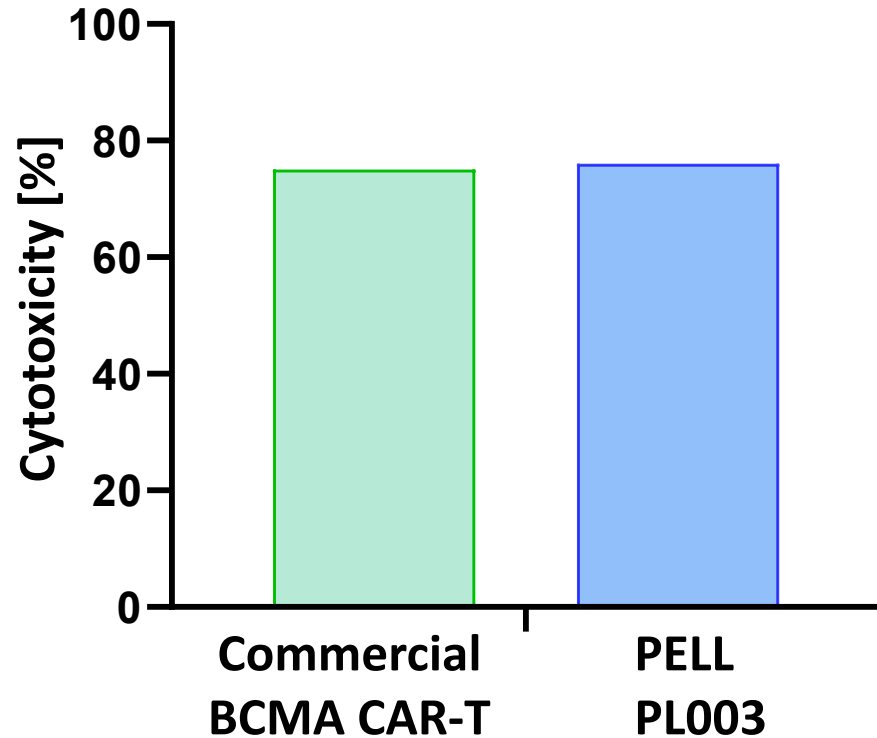
CAR-T 相較 TCE 和 ADC 療效更佳，具更好疾病無惡化存活期 (PFS) 和整體存活期 (OS)，是多發性骨髓瘤患者首選 BCMA 靶向治療 (BDT)

使用不同 BCMA 靶向療法的臨床結果

	PFS	OS
ADC	1.9個月	5.6個月
TCE	4.6個月	18個月
CAR-T	13.4個月	33.4個月

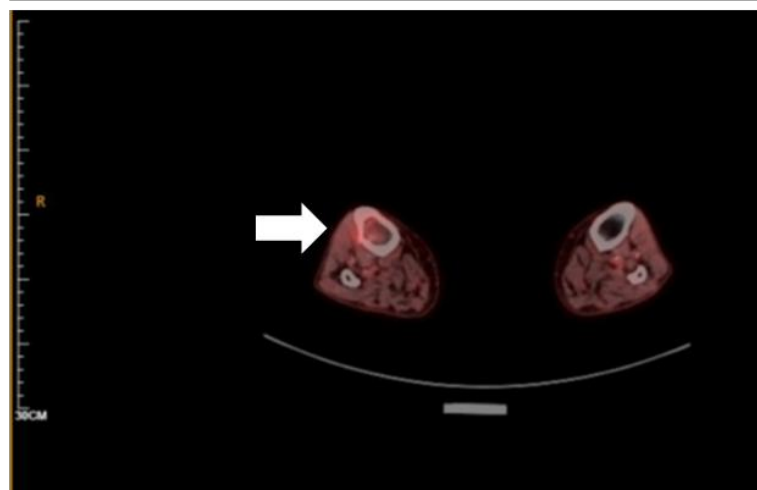
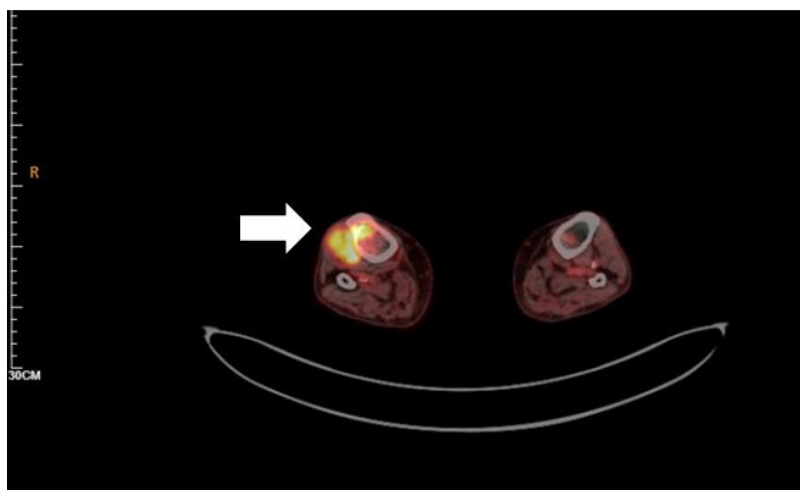
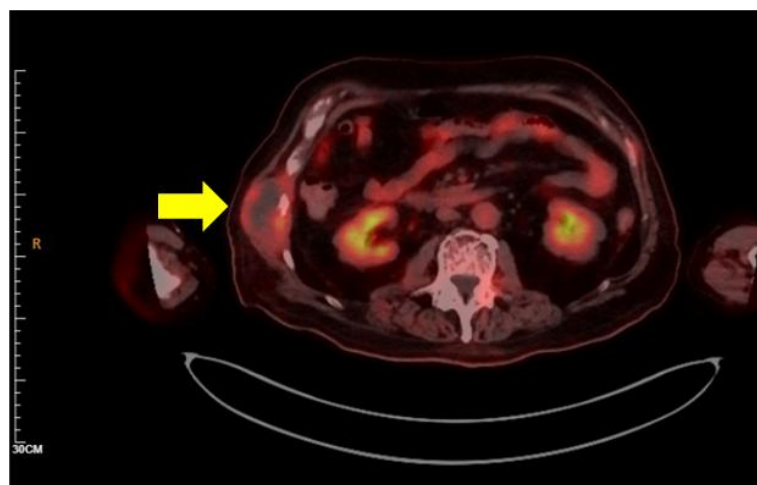
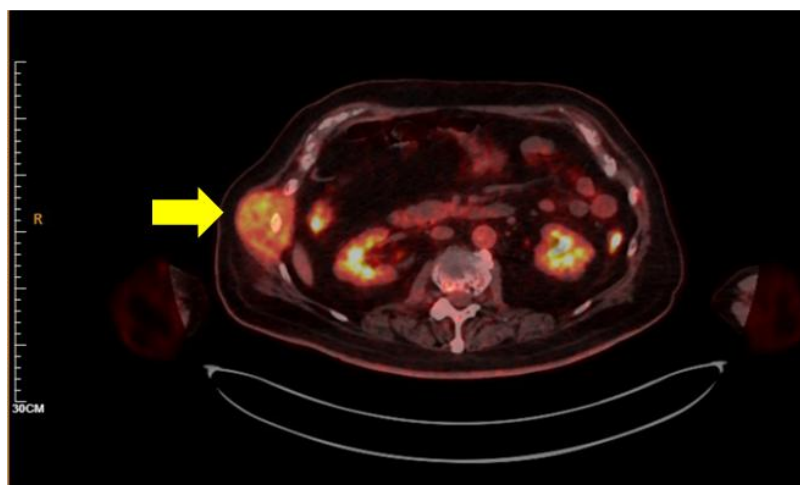
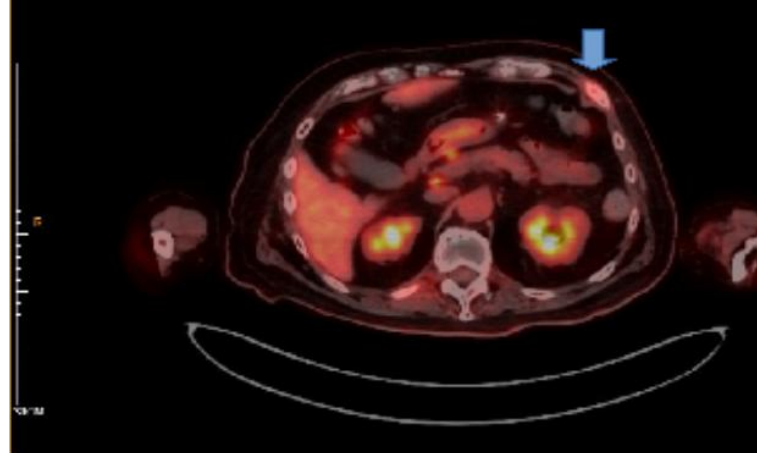
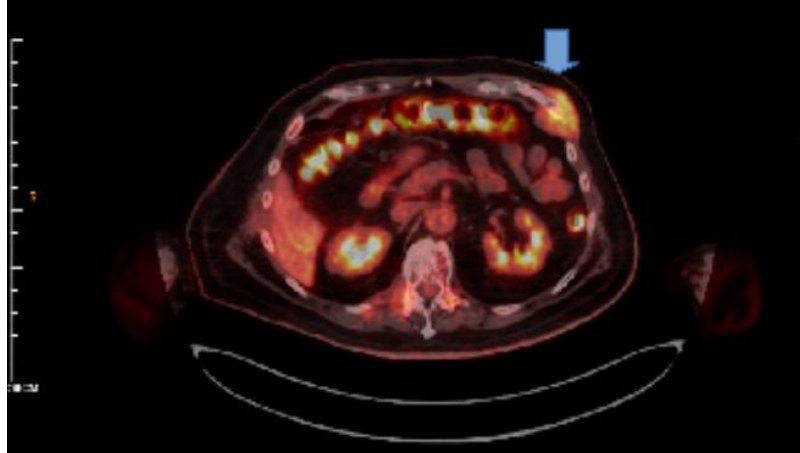
ADC: antibody drug-conjugate; TCE: T-cell engager

BCMA CAR-T 體外效果媲美美國國際藥廠



多發性骨髓瘤細胞株毒殺效果比較

- 目前FDA僅核准兩款 BCMA CAR-T 產品 (ide-cel, cilta-cel) 上市
- 體外實驗證實 PL003 於**低劑量具強烈毒殺效果**，與 Commercial BCMA 無顯著差異
- PL003 動物實驗已啟動



PL003 BCMA CAR-T 治療多發性骨髓瘤

工作項目	2025 年度	2026 年度				2027 年度				2028 年度				2029 年度			
	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
臨床設計及相關文件準備																	
IND 申請																	
第一/二期臨床試驗																	

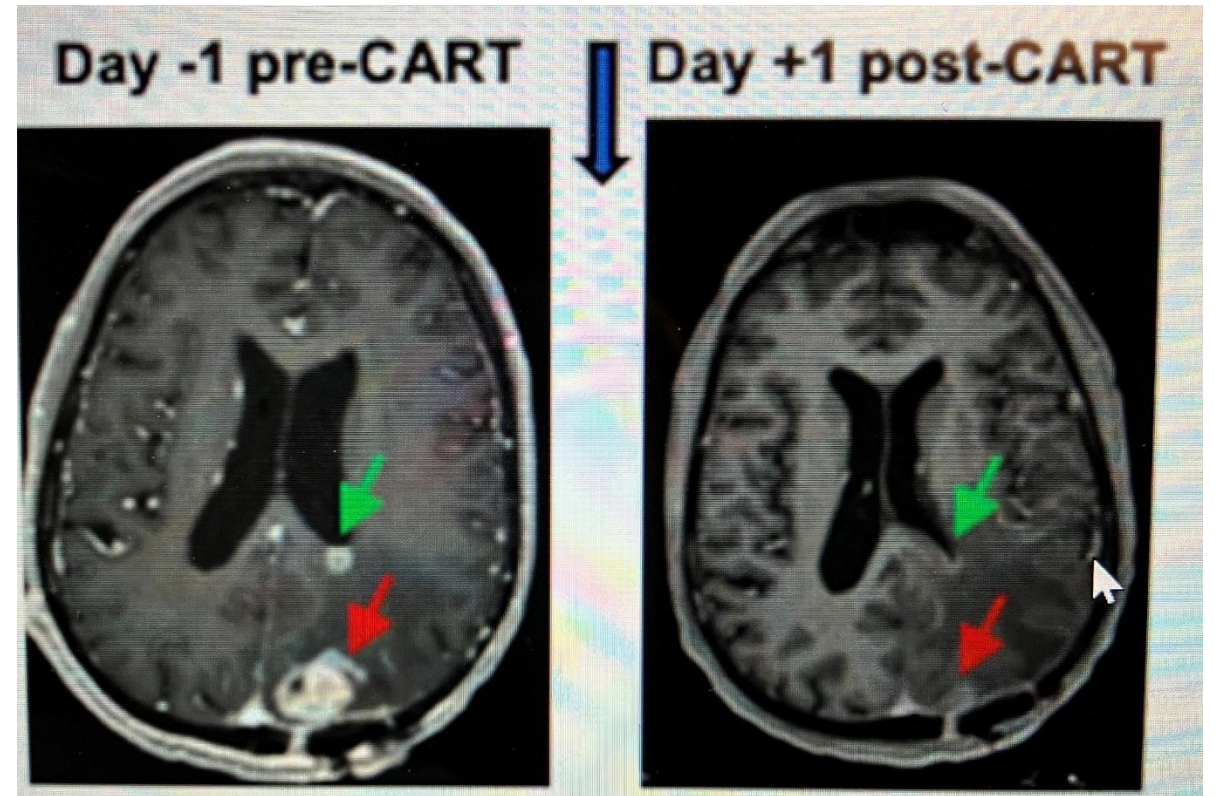
註：相關時程將依實際臨床進度調整，並依相關規定辦理公告申報。

火熱的醫藥市場 – 還會再燙20+年

2024/03

波士頓麻省總醫院和賓州大學醫學院使用嵌合抗原受體T細胞(CAR-T)

-- 對抗難以治療的腦癌膠質母細胞癌(Glioblastoma)



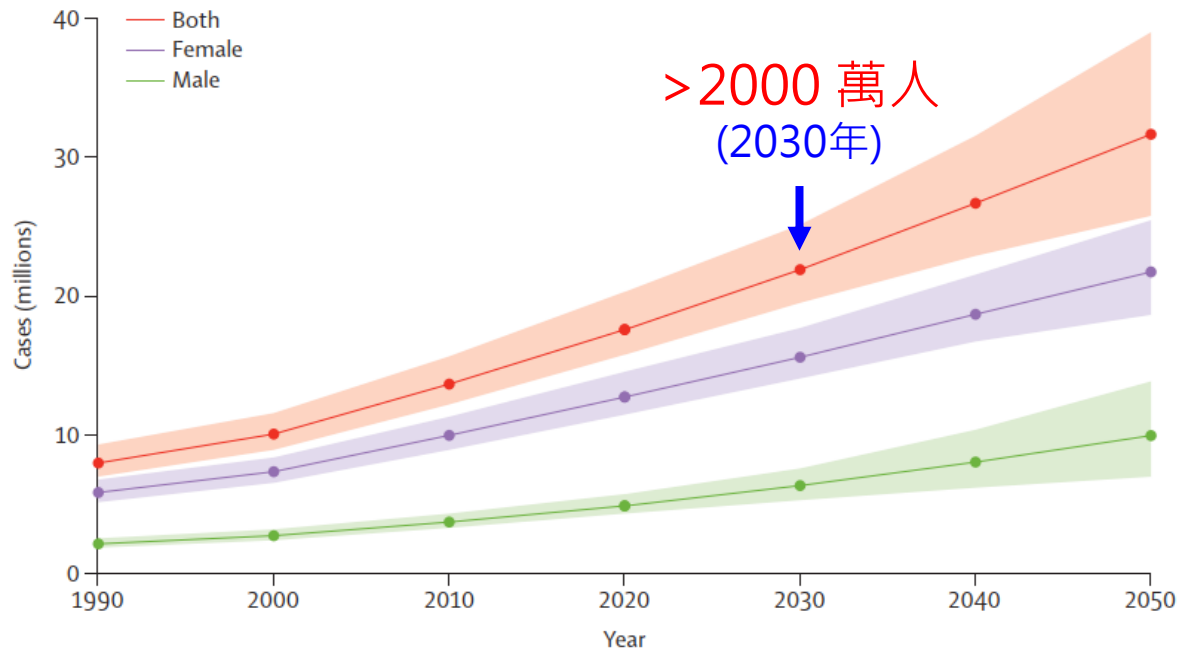
打CAR-T的
前一天

打完CAR-T
的第二天

PP011

新型胜肽治療類風濕性關節炎

2030 年全球類風濕性關節炎病例總數 預計超過 2000 萬人



類風濕性關節炎(Rheumatoid Arthritis: RA) 全球藥物市場

Study Period	2020-2032	CAGR	4.9%
Historical Period	2020-2022	Forecast Period	2024-2032
Base Year	2023	Base Year Market Size	USD 67.9 billion
Forecast Year	2032	Forecast Year Market Size	USD 104.5 billion
Largest Market	Asia-Pacific	Fastest Growing Market	North America

2023 年全球類風濕性關節炎藥物市場規模約為 **\$679億美元**

2023-2032 年複合年增長率為 4.9%。

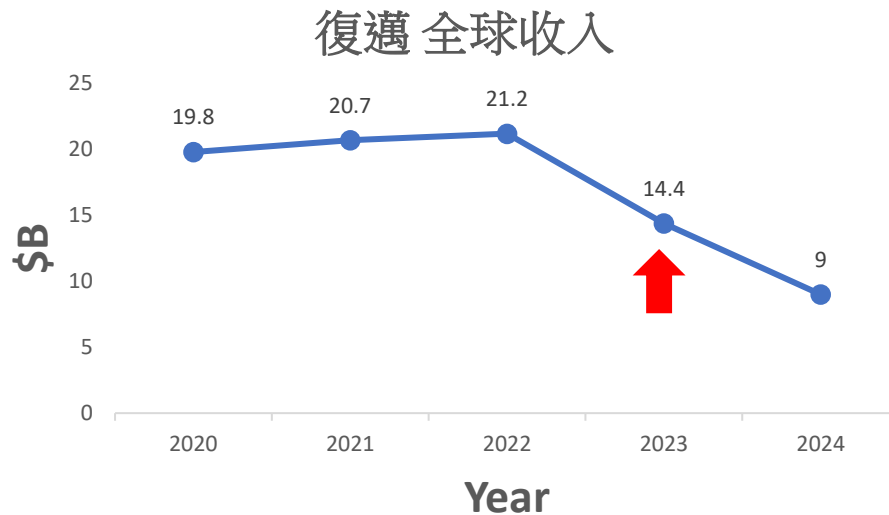
市場規模預計於 **2032 年將達 1,045億美元**

資料來源：

- <https://straitresearch.com/report/rheumatoid-arthritis-market>
- Lancet Rheumatol 2023; 5: e594–610

類風溼性關節炎兩大暢銷藥物全球收入 (2020 – 2024)

藥物名稱	Humira (adalimumab) (復邁注射劑)	Xeljanz (Tofacitinib) (捷抑炎膜衣錠)
藥廠名稱	美商艾伯維 (AbbVie)	美商輝瑞 (Pfizer)
專利到期	2023	2025
收入急遽下降	專利到期，學名藥 (生物相似藥) 於2023 年上市	<ul style="list-style-type: none"> ● FDA (2021): 增加心臟疾病與癌症的副作用發生率 ● 同類型機轉多項藥物已上市 ● 專利即期 (2025) · 學名藥競爭激烈

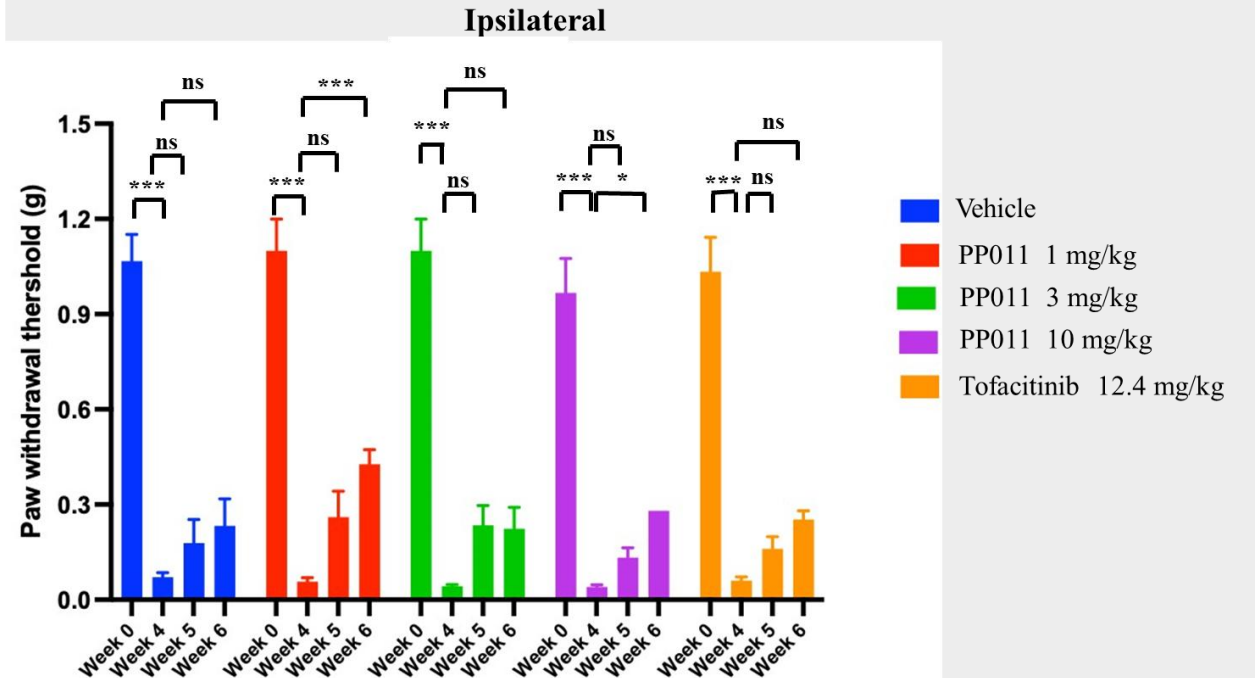
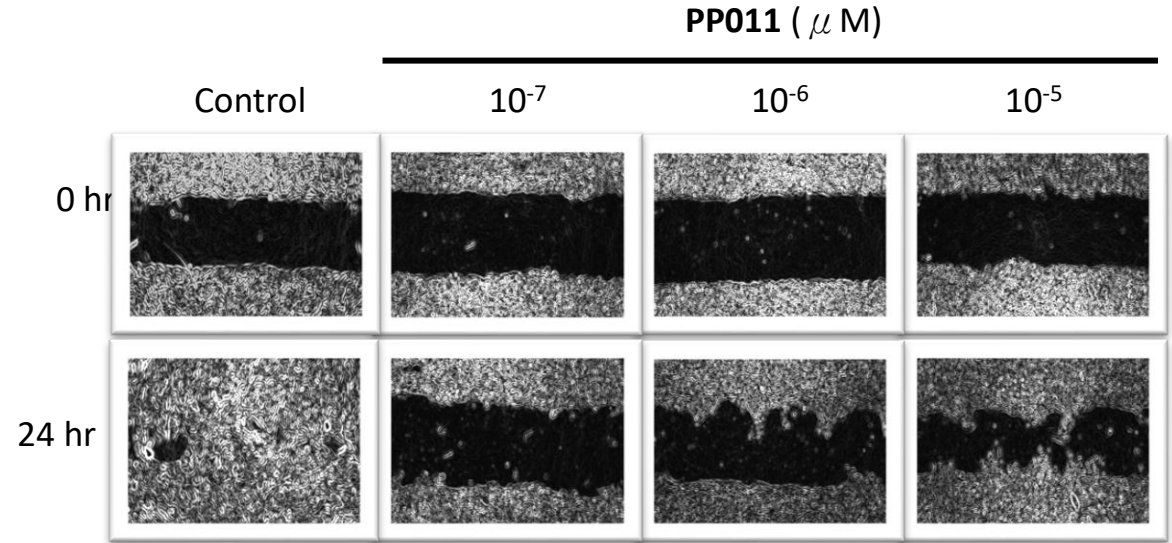


復邁 2002-2022營業額 2,080億美元

PP011 抑制關節滑液囊膜細胞增生

PP011 阻止關節滑液囊膜細胞移行

PP011 顯著抑制類風溼性關節炎的發炎腫脹程度，與捷抑炎（輝瑞）抑制療效相當

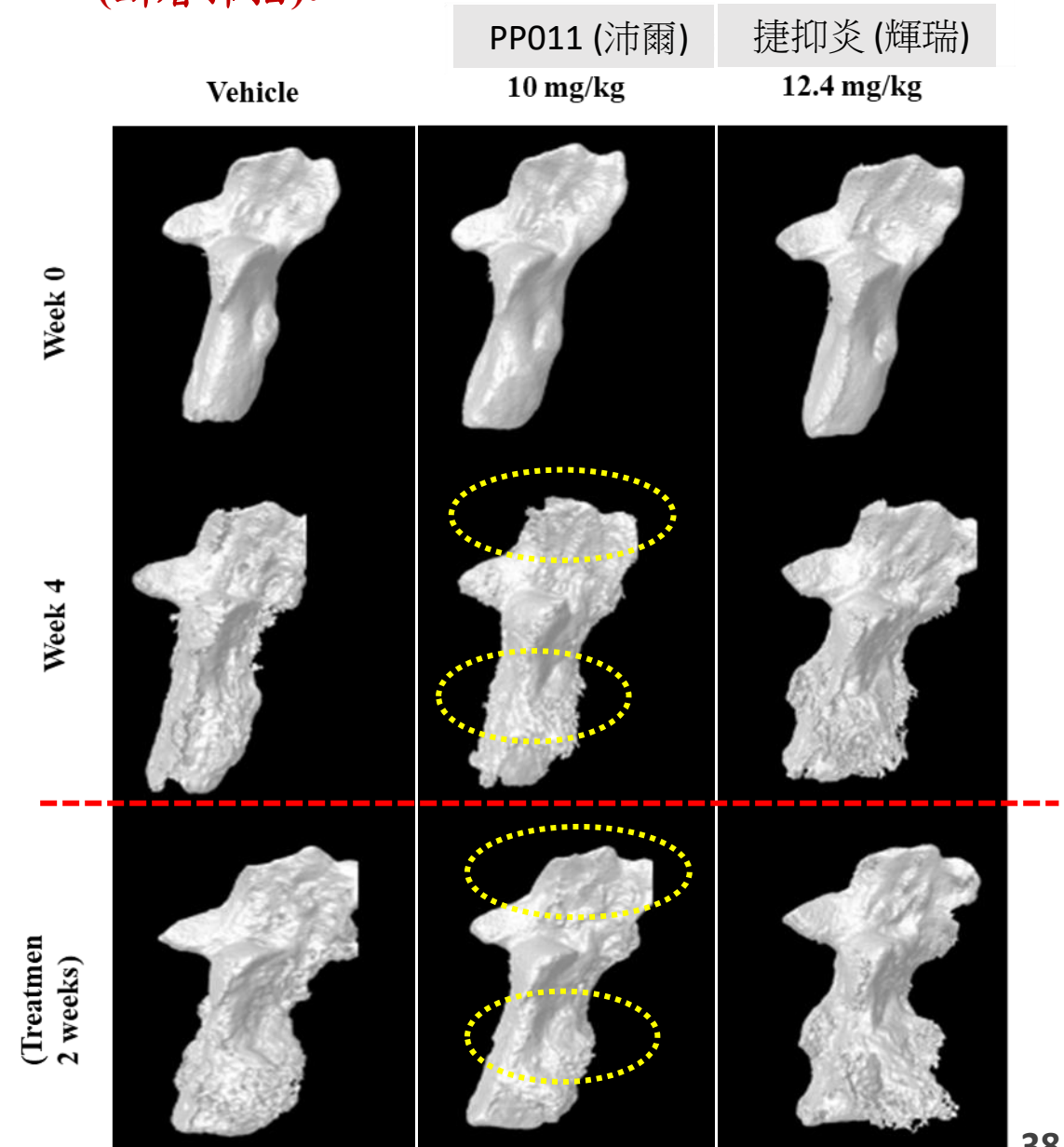


PP011 抑制類風溼性關節炎造成的**骨頭破壞**，效果與捷抑炎(輝瑞)相當

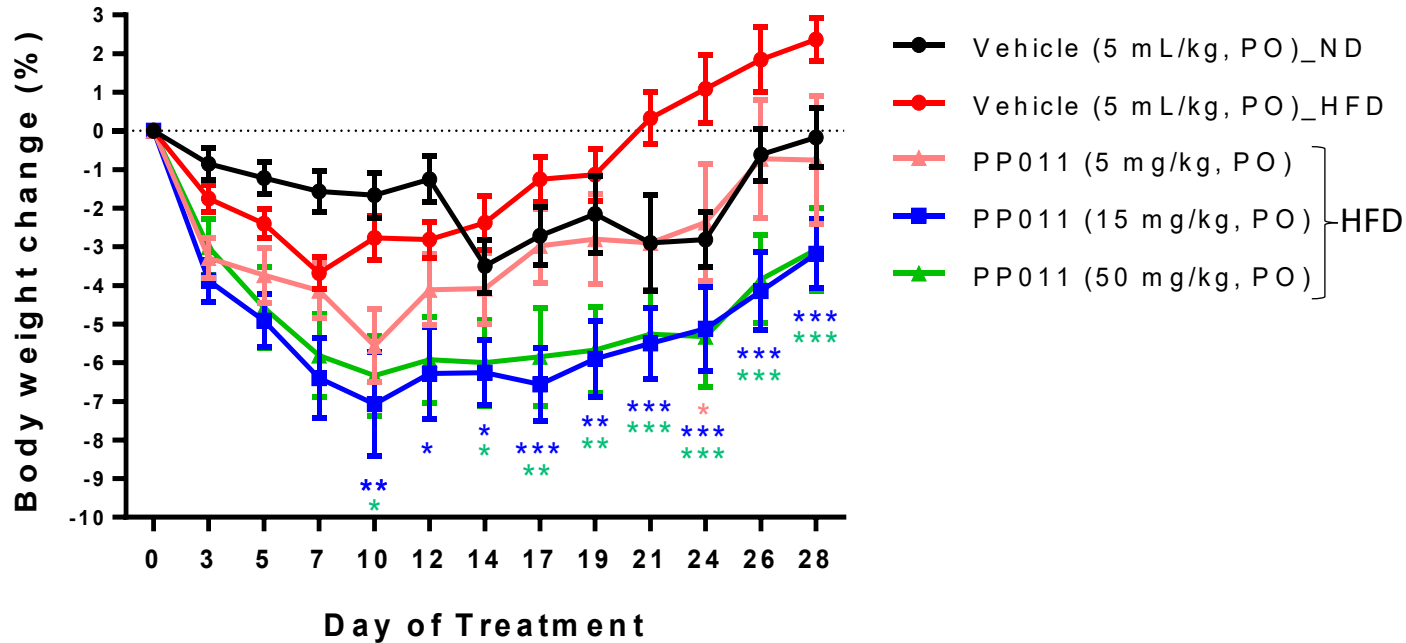
PP011 顯著恢復類風溼性關節炎**骨密度**，療效較捷抑炎(輝瑞)更顯著

專利名稱	已取得專利國家	專利審查中國家
肽及其作為製備治療發炎性疾病及疼痛的藥物的用途	中華民國、澳洲、中國、日本、歐盟	美國

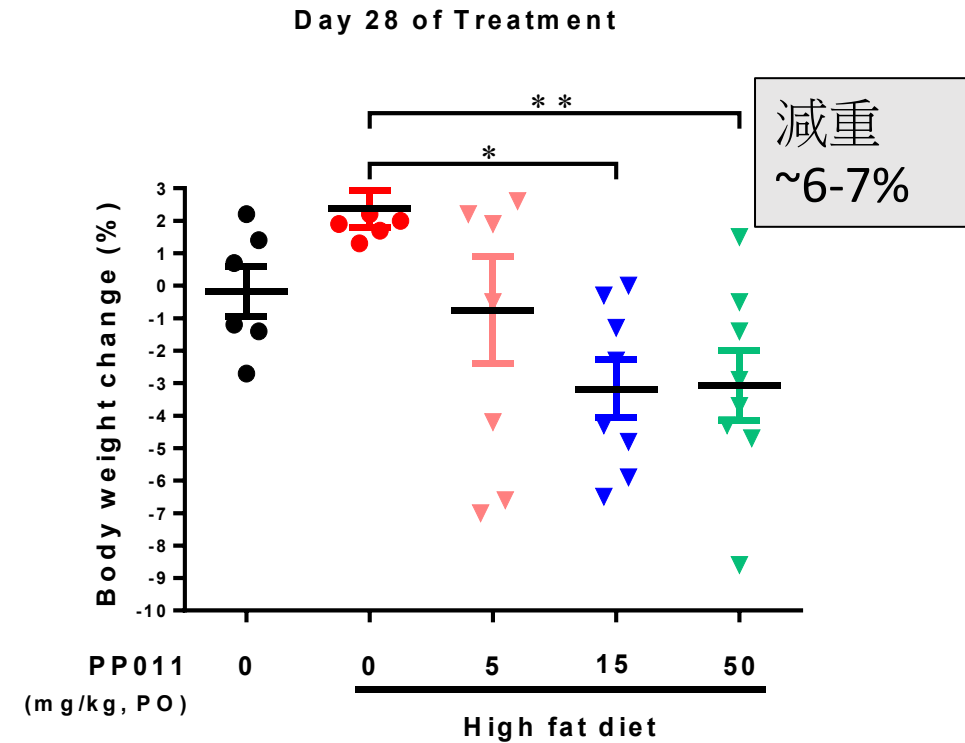
(斷層掃描):



PP011 減肥效果



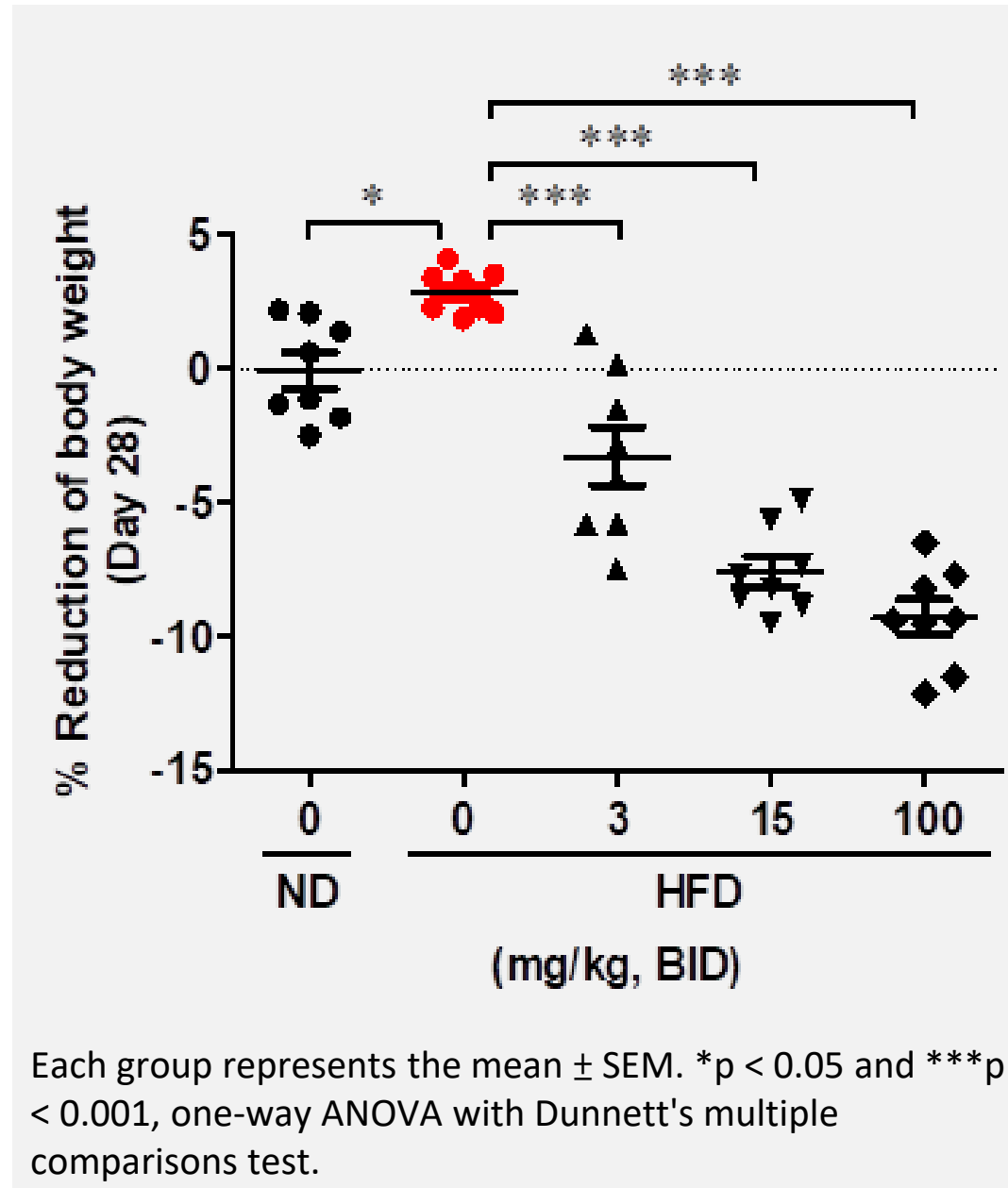
Each group represents the mean \pm SEM. * $p < 0.05$, ** $p < 0.01$, and *** $p < 0.001$, two-way RM ANOVA with Bonferroni's post hoc test.



Each group represents the mean \pm SEM. * $p < 0.05$ and ** $p < 0.01$, one-way ANOVA with Dunnett's multiple comparisons test.

NOTE: In the diet-induced obesity (DIO) mouse model, Liraglutide (37.5 $\mu\text{g}/\text{kg}$) was administered subcutaneously once daily. This treatment resulted in an approximately 10% reduction in body weight.

Nat Metab 2020 May ; 2(5): 413–431.



Each group represents the mean \pm SEM. * $p < 0.05$ and *** $p < 0.001$, one-way ANOVA with Dunnett's multiple comparisons test.

減重
~9-10%

PP011 短鏈胜肽治療類風濕性關節炎

工作項目	2025 年度	2026 年度				2027 年度				2028 年度				2029 年度			
	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
臨床設計及相關文件準備																	
IND 申請																	
第一期臨床試驗																	
第二期臨床試驗申請																	
第二期臨床試驗																	

註：相關時程將依實際臨床進度調整，並依相關規定辦理公告申報。

Thank You

