



Lin BioScience
仁新醫藥股份有限公司

為無法治癒的疾病帶來希望

2026/07

免責聲明

本份簡報由仁新醫藥(股票代號6696)提供，簡報資料內容並未經會計師或任何獨立公正第三者查閱，使用者在閱讀本簡報資料時，應同時參考仁新醫藥向主管機關所申報的各項公開財務業務資訊。本公司會盡力確保但不保證本簡報資料之正確性、完整性與可靠性；本公司亦不負有因情事變更而需更新或修正本簡報資料之責任。

使用者亦應注意，本份簡報資料可能包含前瞻性敘述。任何非歷史性資料，包括公司經營策略、營運計畫與未來展望等皆屬前瞻性敘述；這些前瞻性敘述受不確定性、風險、推論或其它因素如：法規變化、競爭環境、科技發展、經濟情勢與管理上的改變等影響；致使公司實際營運結果可能與這些敘述有重大差異。

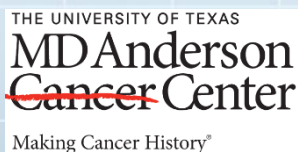
本簡報資料的內容、陳述或主張非為買賣或提供買賣任何有價證券或金融商品的邀約、邀約之引誘或建議。仁新醫藥及其各關係企業代表人無論過失或其它原因，均不對使用或因他人引用本簡報資料、亦或其它因簡報資料導致的任何損害負擔任何責任。

嶄新治療藥物開發 鎖定未被滿足醫療需求的疾病

仁新醫藥為新藥開發公司，鎖定未被滿足醫療需求之重大疾病進行嶄新治療藥物（novel therapeutic candidates）開發，並於取得臨床試驗關鍵數據後授權予國際藥廠進行後續開發或銷售。本集團握有兩大專利平台（RBP4代謝疾病專利平台及CDC7全癌症專利平台）及四項極具潛力的小分子藥物，其中，RBP4技術平台下之治療斯特格病變、視網膜地圖狀萎縮新藥LBS-008及治療非酒精性脂肪肝新藥LBS-009由子公司Belite Bio™所開發，而治療腦癌之LBS-002及CDC7全癌症專利平台治療多種癌症之LBS-007由仁新醫藥開發。

LBS-007是一款非ATP競爭性CDC7抑制劑，預期可治療多種癌症，尤其是針對難以治癒與晚期癌症，例如，急性骨髓性白血病、急性淋巴性白血病、卵巢癌、胰臟癌等，已取得美國食品藥品監督管理局（FDA）授予治療急性淋巴性白血病（ALL）及急性骨髓性白血病（AML）之孤兒藥認證（ODD）；於2024年更獲美國FDA 授予治療AML之快速審查認定（Fast Track Designation）。LBS-007 已於2022年啟動臨床一/二期試驗。

由子公司Belite Bio™所開發的 Tnlarebant (LBS-008)是一款嶄新口服新藥（novel oral therapy），預期可治療斯特格病變與視網膜地圖狀萎縮，並已分別取得美國食品藥品監督管理局（FDA）、歐洲藥品管理局（EMA）、日本醫藥品醫療機器綜合機構（PMDA）及瑞士醫療藥品管理局（Swissmedic）授予治療斯特格病變之孤兒藥認證（ODD/ODS），以及美國FDA頒發的突破性治療認定（BTB）、兒科罕見疾病認證（RPD）及快速審查認定(Fast Track Designation)和日本厚生勞動省（MHLW）授予先驅藥品認證（Sakigake Designation）。LBS-008於2022年啟動斯特格病變之臨床三期試驗，且於2025年Q4完成試驗並公布解盲結果，隨後於2026年Q2向美國FDA完成新藥查驗登記申請滾動式送件（Rolling Submission of NDA）；另於2024年啟動斯特格病變之臨床一b/二/三期試驗。此外，LBS-008已於2023年啟動視網膜地圖狀萎縮之臨床三期試驗，並於2025年Q3完成收案。



產品線

由仁新醫藥開發

癌症用藥

LBS
007

急性白血病 (AML, ALL)

多種實體腫瘤

LBS
002

原發性腦癌 /
轉移性腦癌

由仁新醫藥子公司
Belite Bio™ 開發

RBP4平台

LBS
008

視網膜地圖狀萎縮

斯特格病變 (青少年黃斑部病變)

LBS
009

非酒精性脂肪肝炎 /
第二型糖尿病

探索階段

臨床前期

臨床一期

臨床二期

臨床三期

上市

FDA孤兒藥認證(AML, ALL), FDA快速審查認定(AML)

工業局新興育成計畫補助

美國NIH藍圖計畫首個選入之乾性黃斑部病變藥物

US/EU/JP/CH孤兒藥認證; US突破性治療認定, 快速審查認定, 兒科罕病認證

JP先驅藥品認證

集團董事長

林雨新
醫學博士、工商管理碩士
(董事長)



**10年以上生物科技企業執行
管理職務經驗，4家IPO掛牌
(包括仁新醫藥與Belite Bio)**

多學科專業**臨床培訓與研究**，包含神經科學、心血管與腎臟醫學、腫瘤學與免疫療法

- 醫學博士 - 澳洲雪梨大學; 專科於神經內科與免疫學
- 臨床神經科學專科證書 - 澳洲墨爾本大學; 專科於神經內科
- 臨床醫學碩士 - 澳洲雪梨大學; 專科於多學科醫學與外科手術
- 癌症治療與研究證書 - 哈佛大學醫學院
- 工商管理碩士 - 哥倫比亞大學、倫敦商學院、香港大學

在多個治療領域開發**10多種新藥**，從藥物發現至全球臨床三期，包含眼科、中樞神經系統、心血管、腫瘤、免疫治療等

- 臨床3期 - **RBP4**抑制劑，治療黃斑部萎縮性退化與斯特格病變
- 臨床2期 - **Oubain**拮抗劑，治療原發性高血壓
- 臨床2期 - **SERCA2a**抑制劑，治療急性心力衰竭
- 臨床2期 - **Pan-HER**抑制劑，治療**HER2+**乳癌與胃癌
- 臨床3期 - 抗醣分子主動免疫療法，治療轉移性乳癌
- 臨床3期 - 抗 $\alpha 4$ 整聯蛋白抗體，治療抗藥性與難治療的多發性硬化症
- 臨床2期 - **mTOR**免疫抑制劑，治療周圍神經系統自身免疫性疾病
- **64件**共同發明專利/申請

經營團隊

王正琪
生化博士、工商管理碩士
(總經理&研發長)

- 國立臺灣大學化學系學士，國立臺灣大學生化科學博士，美國史克利普斯機構 (Scripps Institute) 共同指導博士生
- 加州大學聖地牙哥分校(UCSD)工商管理碩士 (EMBA)
- 125件共同發明專利/申請、6篇科學論文著作
- 豐富的臨床前到全球三期臨床試驗的藥物開發經驗
- 豐富新藥研發管理經驗，以及3家IPO掛牌 (包括仁新醫藥與Belite Bio)



“I’ve loved chemistry since I was little. I was dedicated to studying chemistry and scientific research since middle school. And now, I’m working on drug development, doing significant things to improve the lives of human beings.”

Irene Wang, PhD, MBA

President
LIN BIOSCIENCE



經營團隊

陳菟姍
財務長



- 擁有會計師資格，並於國立臺北大學取得會計碩士學位
- 曾任台灣生技公司財務經理，以及台灣勤業眾信查帳部副理
- 具備豐富的上市公司審計與首次公開募股（IPO）經驗（包括仁新醫藥與 Belite Bio）

吳宗竹, PhD
處長, 研究發展處



- 擁有羅格斯大學（Rutgers University）細胞與分子藥理學博士學位
- 具備 10 年於全球製藥與生技產業的研發經驗，曾任職於 Sanofi Genzyme、台灣微脂體公司及英矽智能（Insilico Medicine）
- 擅長帶領研發團隊進行創新研究，並支援多疾病領域之新藥發現與開發工作



LBS-007
治療急性白血病&
實質腫瘤



LBS
007

癌症治療方式

癌症的未被滿足醫療需求 - 次世代化療藥物

基因

免疫

標靶

化療

LBS-007

- 癌症治療像是個金字塔，越往頂尖，副作用雖然越小，但適用族群小，價格也越昂貴。
- 化療藥物是治療所有癌症的基礎療法，而不論是標靶或是免疫療法，皆須搭配化療藥物，且不論是治療後期或是無藥可用，仍需要靠化療藥物來做管理。
- 但化療藥物副作用大，技術卻60年不變，存在著龐大未被滿足醫療需求。

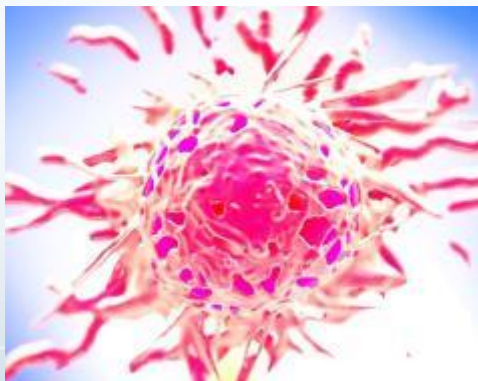
LBS-007: 定位改變癌症治療的創新藥物

LBS
007

非ATP CDC7抑制劑

可治療多種癌症

- 探索階段
- 臨床前
- **臨床一/二期**
- 臨床二/三期
- 上市



市場機會

創新抗癌標靶治療



孤兒藥認證 (ODD)

急性淋巴性白血病: #DRU-2017-6250
急性骨髓性白血病: #DRU-2024-10100

新藥臨床試驗 (IND)

#120774 於 05Oct2024 啟動

快速審查認定 (FTD)

急性骨髓性白血病: 於 26Nov2024 獲認定

市場價值

\$50億美元

急性骨髓性白血病、急性
淋巴性白血病至2026年的
預估市場規模

\$550億美元

胰臟癌、肺癌、卵巢癌至
2023年的預估市場規模

1.7:10萬人⁽¹⁾

4.7:10萬人⁽²⁾

(1) 急性淋巴性白血病罹患率(2016)

(2) 急性骨髓性白血病罹患率(2020)

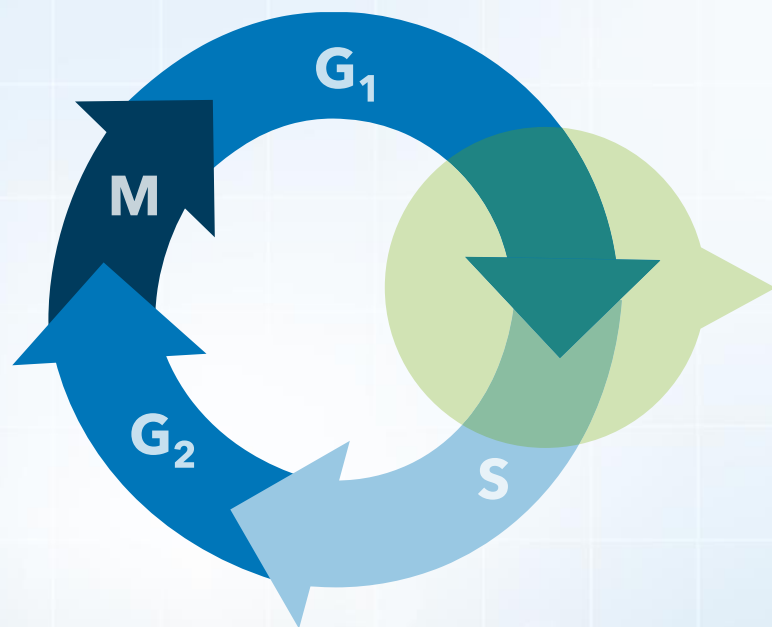
\$60億美元

預估全球市場規模

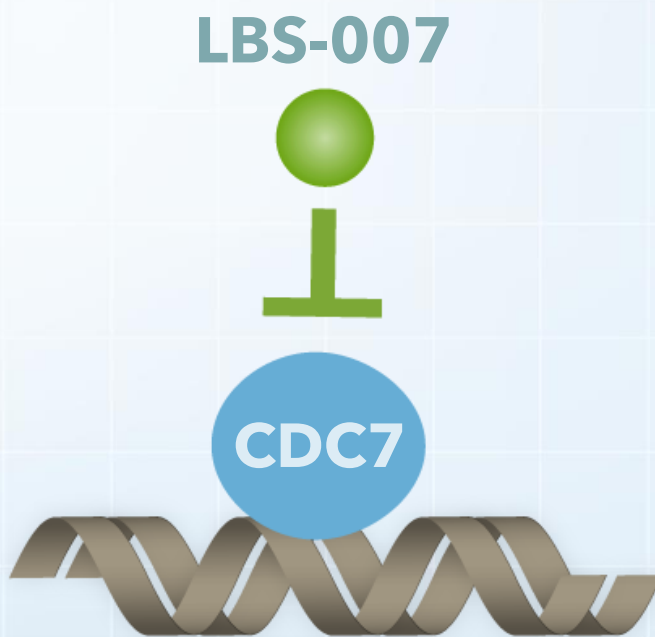
資料來源: Globaldata, Marketwatch, NIH National Cancer Institute

LBS
007

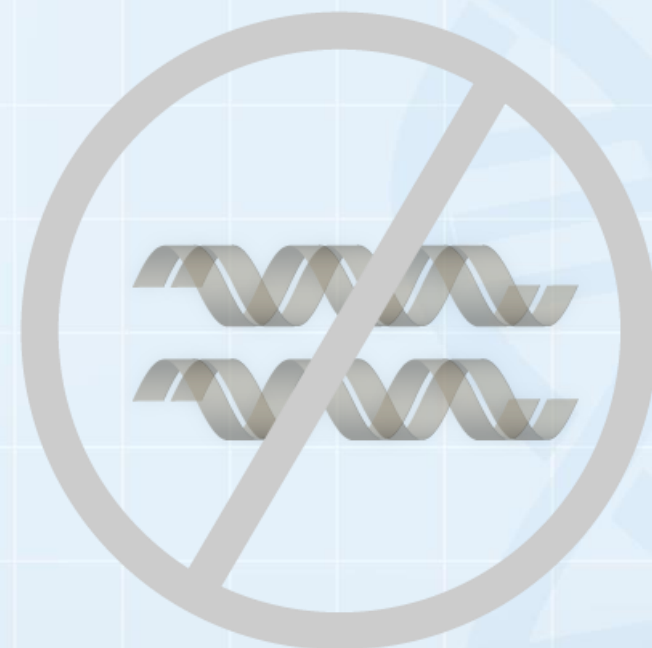
抑制細胞週期中**CDC7**的功能



① 主要影響S階段



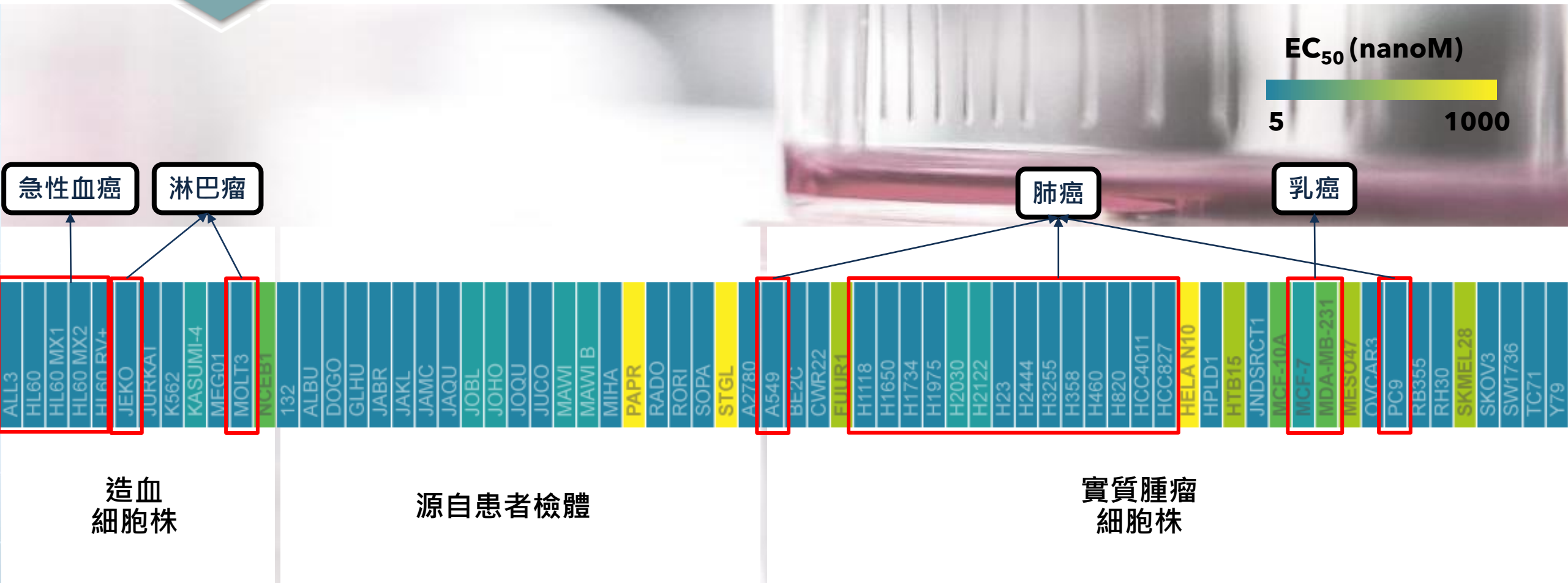
② 抑制**DNA**複製週期中
CDC7的功能



③ 阻礙細胞分裂



LBS-007可有效抑制多種癌細胞株和血癌細胞株的生長

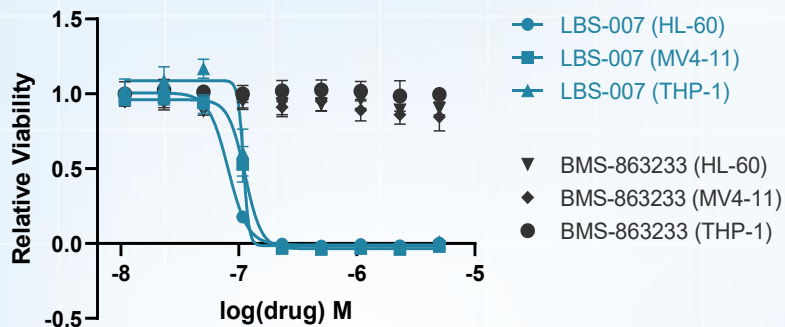




優越奈米莫耳級藥效表現

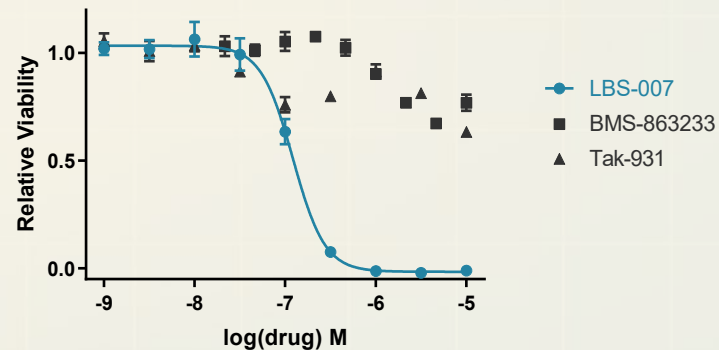
約**0.15**微莫耳濃度的**LBS-007** 已對癌細胞達到治療效果

急性骨髓性白血病



EC ₅₀ (nM)	HL-60	MV4-11	THP-1
LBS-007	83.8	71.5	108
BMS-863233	> 10,000	5,400	> 10,000

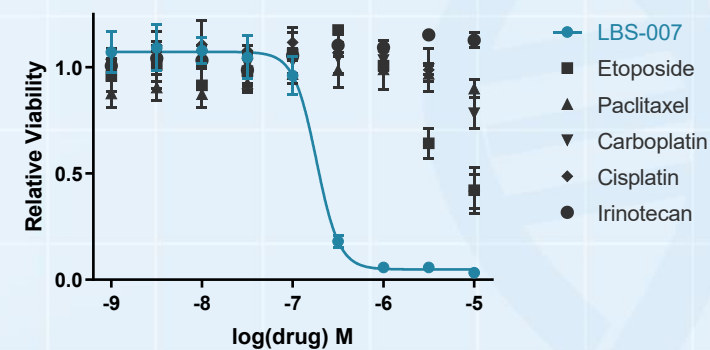
胰臟癌



EC ₅₀ (nM)	Panc-1
LBS-007	127
BMS-863233	1,100
Tak-931	> 10,000

8.6倍藥效

肺癌



EC ₅₀ (nM)	H146
LBS-007	183
Cisplatin	2,800
Etoposide	> 10,000
Irinotecan	> 10,000
Paclitaxel	> 10,000
Carboplatin	> 10,000

15倍藥效

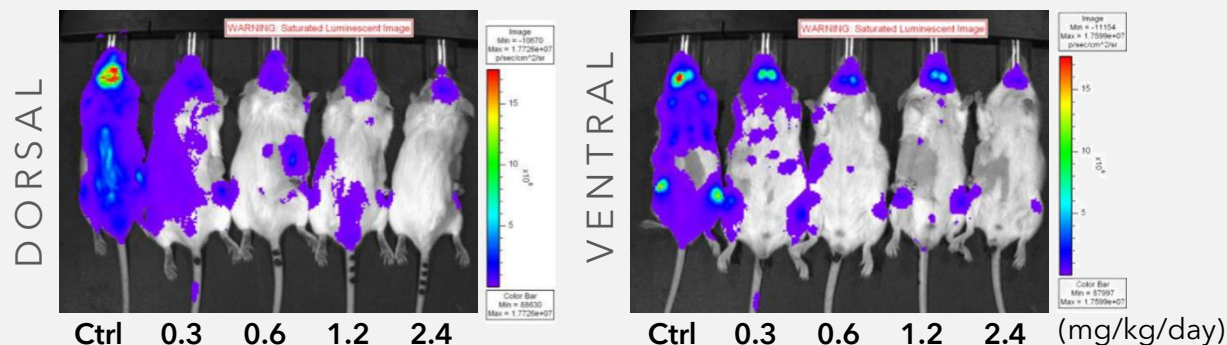
50+倍藥效

LBS
007

有效治療抗藥性白血病與實體腫瘤

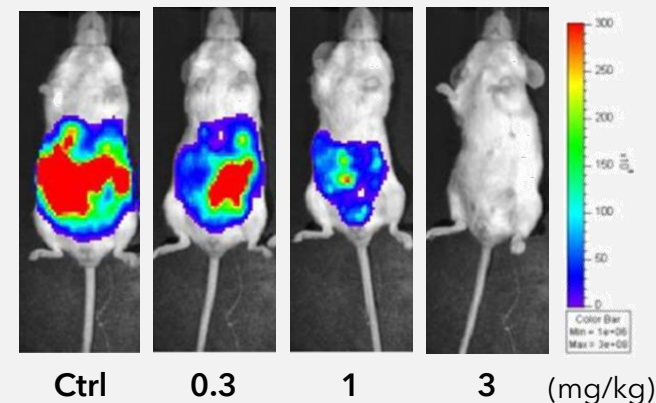
小鼠實驗證實**LBS-007**可有效毒殺急性淋巴性白血病以及實質腫瘤癌細胞

急性淋巴性白血病



- ✓ 小鼠體內癌細胞隨劑量增加而減少
- ✓ 可清除高達95%癌細胞 (2.4 mg/kg/day)
- ✓ 該治療劑量下無明顯器官功能障礙或毒性

卵巢癌



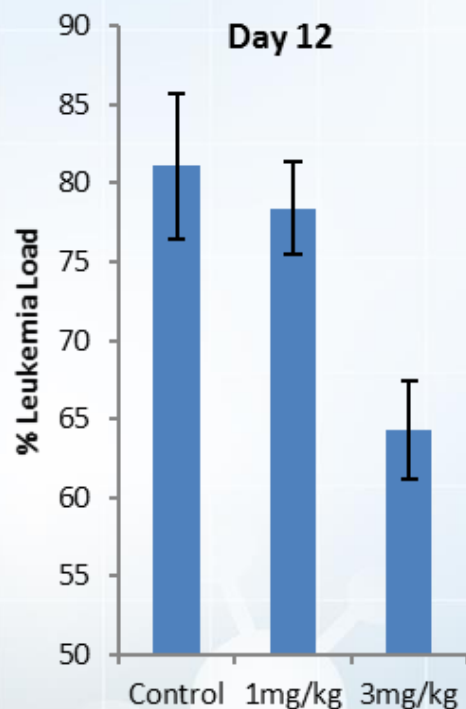
- ✓ 小鼠體內癌細胞隨劑量增加而減少
- ✓ 有效抑制小鼠體內癌細胞增長
- ✓ 長期存活率得到顯著改善

LBS
007

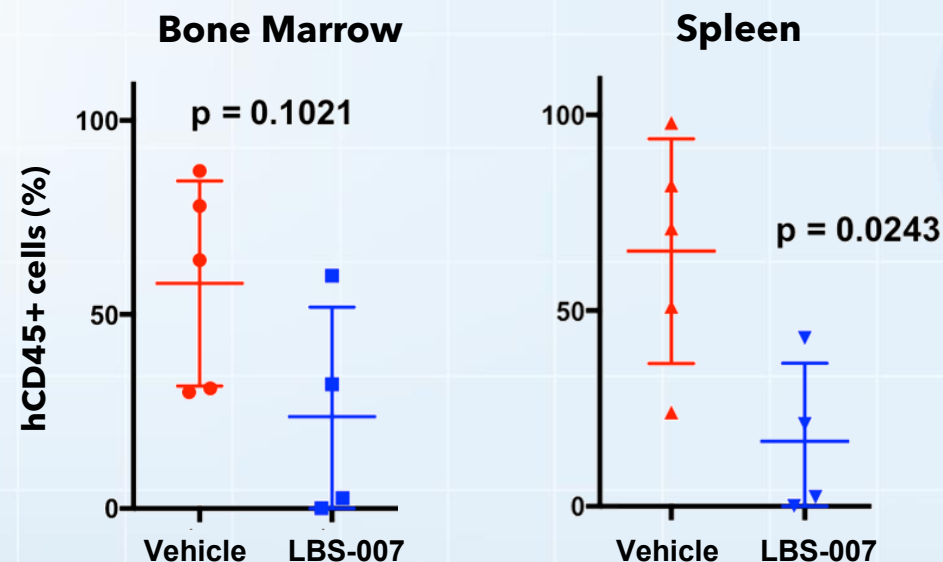
有效治療抗藥性白血病與實體腫瘤

小鼠實驗證實**LBS-007**可有效毒殺急性骨髓性白血病癌細胞

惡性**AML**小鼠模型 (**MLL-AF9**)



AML患者來源腫瘤異種移植 (**PDX**) 小鼠模型



- ✓ AML的小鼠模型中，腫瘤負擔在 3 mg/kg 劑量下顯著減少
- ✓ LBS-007成功抑制AML癌細胞在小鼠中的生長

LBS
007

臨床開發路徑

藥物探索

臨床前

臨床一期

臨床二期

臨床三期

	LBS-007-CT01
臨床階段	第1/2期 (在一期確定最佳劑量後，二期進行劑量擴展)
收案	預計收90名病患
實驗區域	澳洲、台灣、美國和中國
遮盲	開放性
治療期間	每28天為一週期的7天連續給藥
主要觀察指標	安全性、耐受性、藥物動力學特性和LBS-007最佳劑量
其他指標	LBS-007的初步療效
主要收案條件	年齡 ≥ 18 歲，患有急性骨髓性白血病(AML)或急性淋巴性白血病(ALL)且不符合標準療法的成人患者，不符合接受標準療法的條件且ECOG 評分為 0 至 2



重要里程碑

開啟癌症治療新紀元

- **2023/02/10** 仁新醫藥(6696)旗下全癌症候選新藥LBS-007通過澳洲CALHN人類研究倫理委員會(Central Adelaide Local Health Network Human Research Ethics Committee)核准進行急性白血病 (包括急性骨髓性白血病ALL、急性淋巴性白血病AML) 之第一/二期臨床試驗，搶攻癌症用藥未被滿足醫療市場。
- **2023/08/11** 仁新醫藥(6696)旗下全癌症候選新藥LBS-007通過台灣衛生福利部食品藥物管理署(TFDA)核准進行急性白血病 (包括急性骨髓性白血病ALL、急性淋巴性白血病AML) 之第一/二期臨床試驗。
- **2024/10/05** 仁新醫藥(6696)旗下治療急性白血病之新藥LBS-007通過美國食品藥物管理局 (FDA) 人體臨床試驗審查 (IND) 審核，隨即啟動美國臨床一/二期試驗。
- **2024/11/26** 仁新醫藥(6696)旗下治療急性骨髓性白血病之新藥LBS-007獲美國食品藥物管理局 (FDA) 授予快速審查認定 (Fast Track Designation) 。
- **2025/07/22** 首個美國臨床試驗中心啟動訪視 (Site Initiation Visit, SIV) 已完成。
- **2025/09/29** 仁新醫藥(6696)旗下治療急性白血病之新藥LBS-007通過中國國家藥品監督管理局藥品審評中心 (NMPA) 核准在中國進行急性白血病之第一/二期臨床試驗。
- 於臨床一期證實LBS-007之安全性與有效性後，將同步開展治療其他難以治癒癌症的臨床試驗 (胰臟癌、小細胞肺癌、卵巢癌等) 。



TINLAREBANT (LBS-008)

治療視網膜地圖狀萎縮& 斯特格病變





Tinlarebant

○ 斯特格病變 (STGD1)

- 二期，為期2年的試驗，已完成（共13名受試者）
- 三期，為期2年的全球試驗（“DRAGON”研究）已完成（共104名受試者）
- 二/三期，為期2年的全球試驗（“DRAGON II”研究）正在進行中（已完成招募，共73名受試者）
- 完成向US FDA新藥查驗登記申請滾動式送件

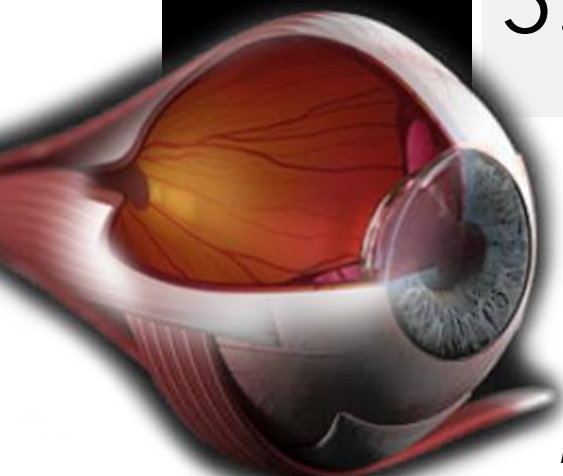
○ 視網膜地圖狀萎縮(GA)

- 三期，為期2年的全球試驗（「PHOENIX」研究）正在進行中（已完成招募，共530名受試者）

- **Tinlarebant (LBS-008)** 是一種每日服用一次的口服藥物，主要作用機轉是抑制血清視黃醇結合蛋白 4 (**RBP4**)，達成有效減少視黃醇傳遞到視網膜。此機轉有助於減緩或阻止在視覺週期中形成的有毒視黃醇衍生代謝物的生成，這些代謝物與 **STGD1** 和 **GA** 的病程相關。
- Belite Bio認為，直接介入視網膜病變的根本致病原因，即由雙視黃醛 (bisretinoids) 所介導的毒性，而非補體活化 (complement activation)，將是減緩 STGD1 與 GA 疾病進展的最佳方法。
- **未滿足的市場機會:** 目前尚無獲FDA批准的斯特格病變治療方法及視網膜地圖狀萎縮口服治療藥物
- 已分別取得美國FDA、歐洲EMA、日本PMDA及瑞士Swissmedic授予治療斯特格病變之孤兒藥認證 (**ODD/ODS**)、美國FDA頒發的突破性治療認定 (**Breakthrough Therapy Designation**)、兒科罕見疾病認證 (**RPD**) 及快速審查認定(**Fast Track Designation**) 和日本厚生勞動省 (MHLW) 授予先驅藥品認證 (**Sakigake Designation**)。
- **14個專利家族**；組合物 (composition of matter) 專利在未進行專利期限延長的情況下至少可持續到**2040年**。

Tinlarebant (LBS-008)

- 探索階段
- 臨床前
- 臨床一期
- 臨床二期
- 臨床三期
- 上市



斯特格病變

1 / 8,800^(1,2)

最常見的遺傳性視網膜失養症

斯特格病變病患人口:

5.3萬⁽²⁾

美國

10.9萬⁽²⁾

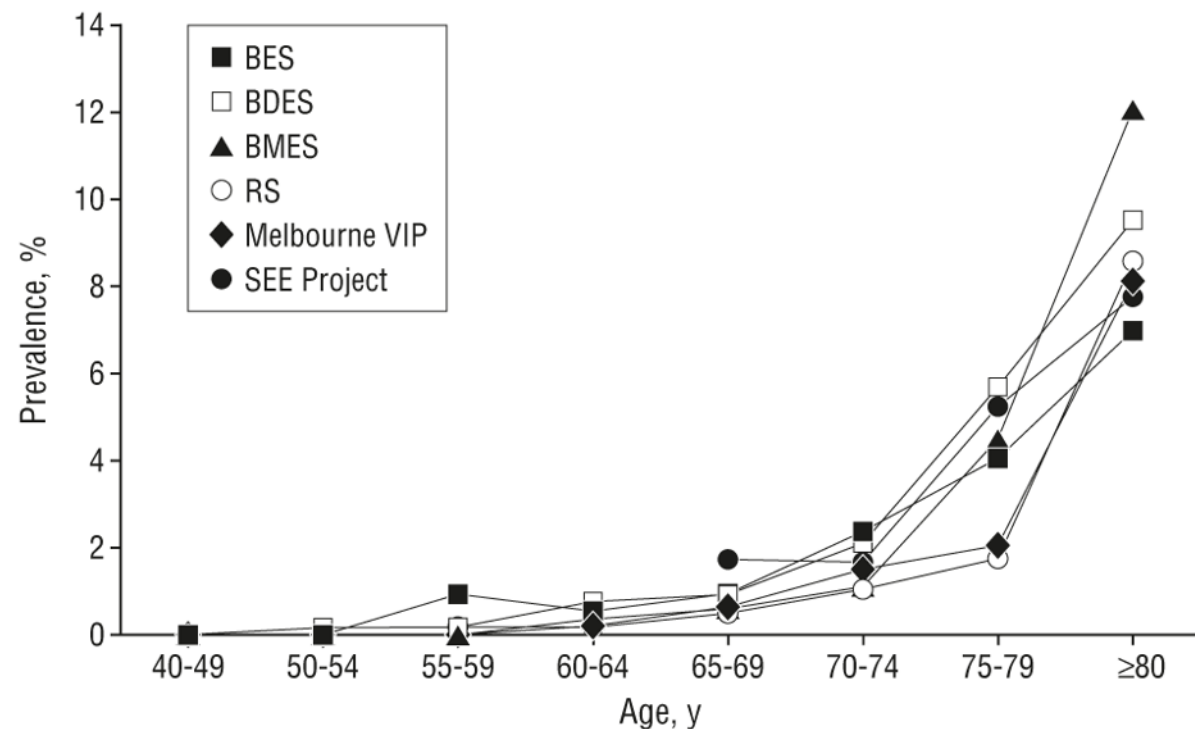
中國

獲 **Columbia University + NIH Blueprint** 認可

“具減緩或阻止乾性黃斑部病變進展的惡化之市場首見口服治療藥物”

龐大市場機會

視網膜地圖狀萎縮



- 美國估計約 **97.3** 萬人至少有一隻眼睛罹患視網膜地圖狀萎縮⁽³⁾，而全球患者人數則約為 **500** 萬人⁽⁴⁾。

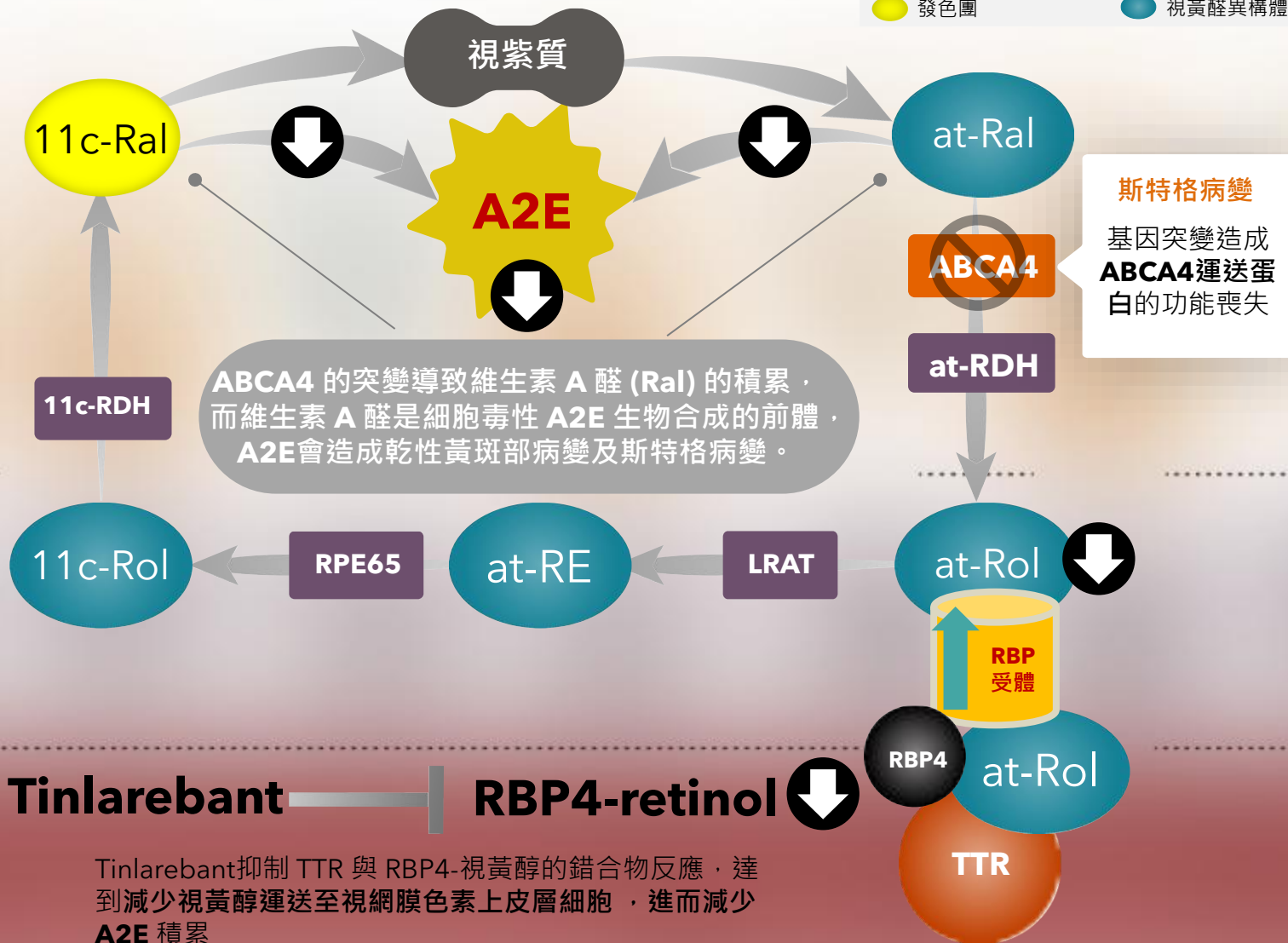


Tinlarebant作用機轉

感光細胞
(PR)

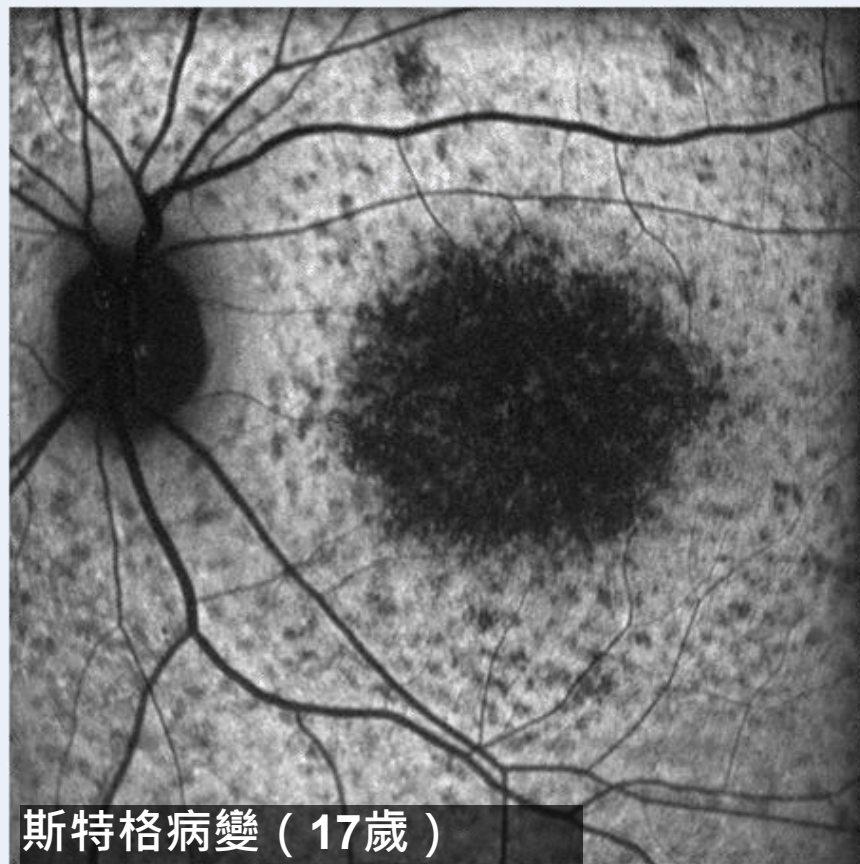
視網膜色素上皮層細胞
(RPE)

血管



STGD1 和 GA 的病理生理特徵相似

- **STGD1** 和 **GA** 具有相似的疾病表現，均為視網膜中央區域（即黃斑部）的視網膜色素上皮細胞（RPE）與感光細胞逐漸喪失，最終導致視力喪失。
- 眼底自發熒光影像（Fundus autofluorescence imaging）可顯示視網膜色素上皮中雙視黃醛（bisretinoids）的累積情形。在退化病變區域，可觀察到自發熒光訊號減弱；而在病灶周邊區域，則可見自發熒光訊號增強。
- **Tinlarebant** 的預期效用是減緩或阻止視網膜病灶的擴散。





DRAGON & DRAGON II

斯特格病變臨床試驗

LBS
008

斯特格病變**DRAGON & DRAGON II** 臨床試驗概述

美國FDA接受**STGD1**與**GA**的主要療效指標為透過視網膜影像量測視網膜萎縮(**DDAF**)範圍的擴大速度

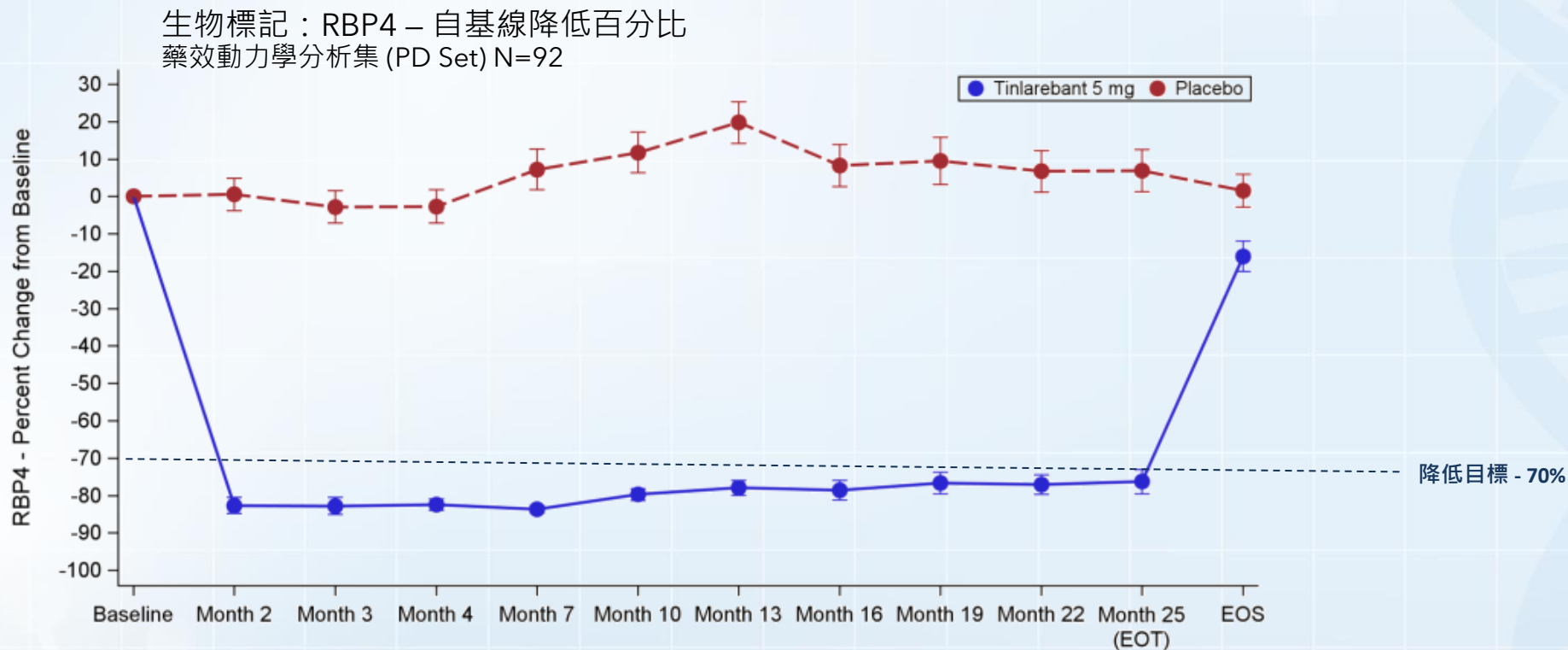
	斯特格病變 “ DRAGON ” 臨床3期 ⁽¹⁾	斯特格病變 “ DRAGON II ” 臨床1b/2/3期
收案	104 位受試者 (有DDAF)	60 位受試者 (有 DDAF)
實驗區域	全球	日本、美國、英國
隨機分配比例	2:1 隨機 (Tinalrebant : 安慰劑)	1:1 隨機 (Tinalrebant : 安慰劑)
遮盲	雙盲	
治療期間	2 年	
主要療效指標	觀察DDAF增大速度來確定療效, 同時觀察其安全性及耐受性	
其他觀察指標	QDAF、視力、光學相干斷層掃描、微視野計	
期中分析	有	
主要收案條件	12至20歲，診斷為STGD1，且在ABCA4基因中至少發現1個突變，萎縮病變範圍不超過3個視盤面積（7.62 mm ² ），最佳矯正視力（BCVA）為20/200或更好	

(1) FDA 可能要求額外一項臨床試驗，取決於正在進行的 3 期研究的數據。

LBS
008

治療效果

服用 **TINLAREBANT** 使 **RBP4** 降低幅度約為基線的**80%**，遠高於**70%**的目標*

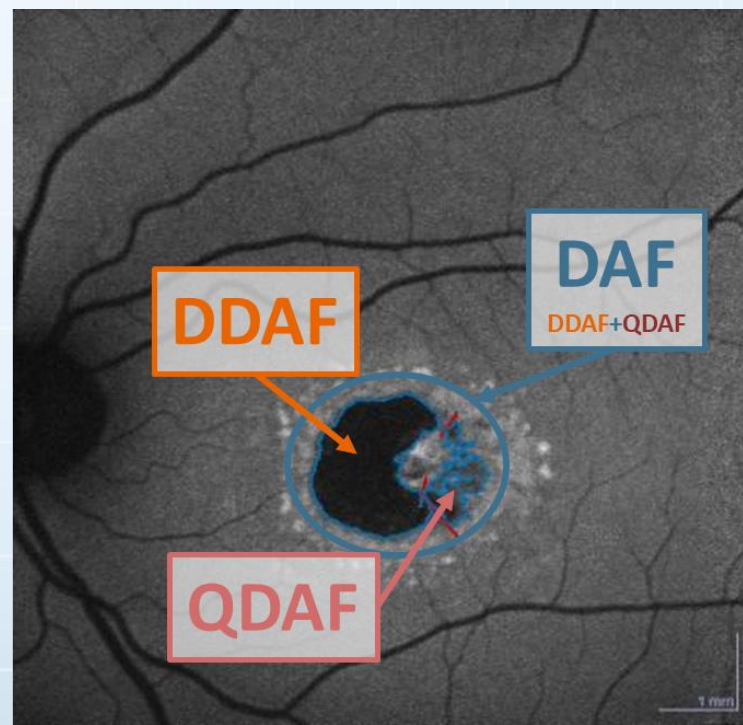
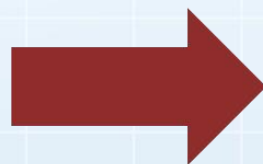
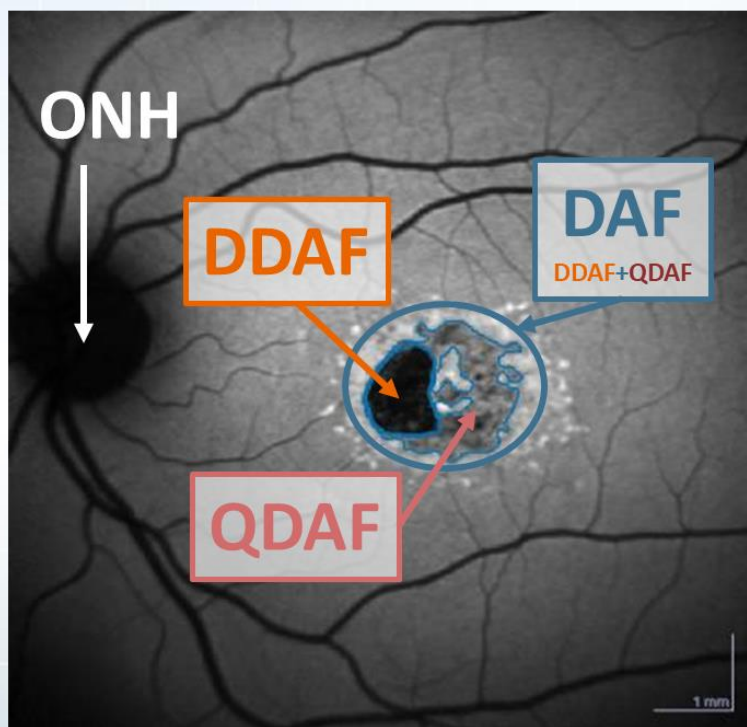


* 在一項針對視網膜地圖狀萎縮 (Geographic Atrophy) 患者使用替代性 RBP4 拮抗劑 (fenretinide) 的先前研究中，RBP4 降低幅度達 70% 以上 ($\geq 70\%$) 與病灶增長速度減緩有統計學上的顯著相關。[Mata et al., Retina. 2013; 33(3): 498-507.]

每日服用 5 毫克 Tinlarebant 使血漿中 RBP4 濃度平均降低 80%，且於試驗結束 (EOS) 時，RBP4 濃度回升至基線值的 84%。

DDAF 代表具明確邊界的視網膜色素上皮 (RPE) 完全喪失的區域，且其擴大具可預測性，使**DDAF**成為可獲准的主要療效指標。

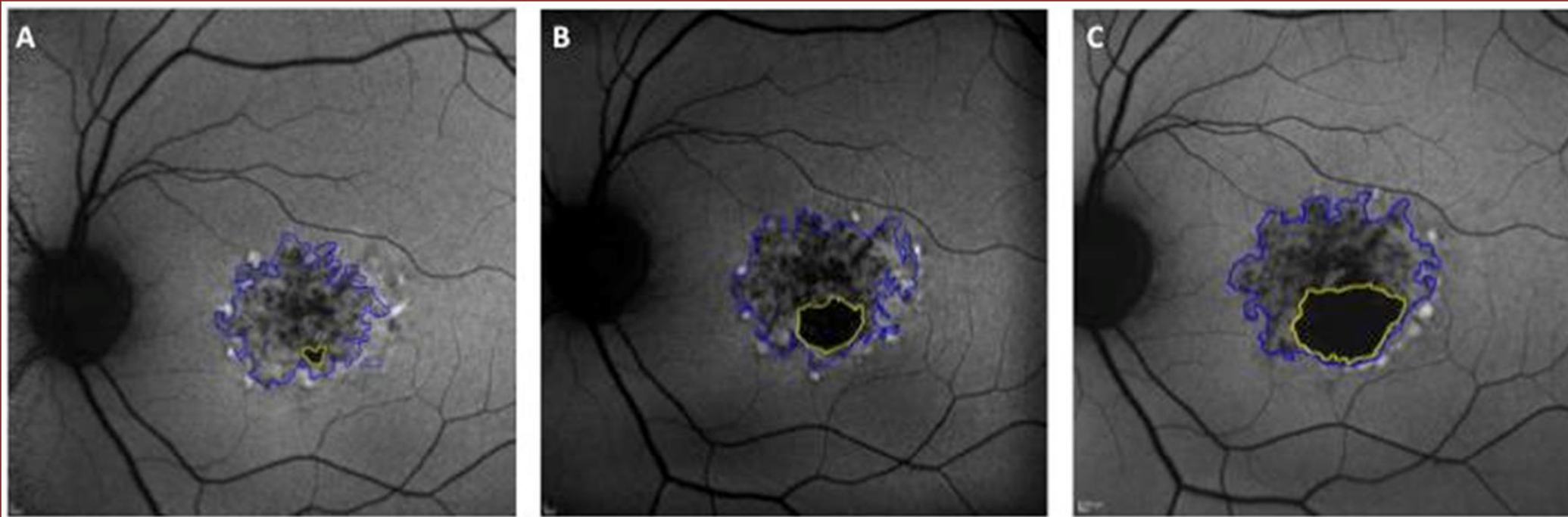
- **DDAF** (視網膜萎縮區域)：相對於視神經盤 (ONH)，其黑暗程度接近 100% (至少 90%)
- **QDAF** (自發熒光病變區域)：黑暗程度介於 50% 至 90% 之間
- **DAF** (減緩自體熒光)：DDAF 與 QDAF 的總和



斯特格病變之 DDAF 增長速率

斯特格病變之疾病自然史研究(ProgStar)

ProgStar 研究群體在 24 個月期間的整體 DDAF 增長速率： $0.74 \text{ mm}^2/\text{年}$
(信賴區間： $0.64 - 0.85 \text{ mm}^2/\text{年}$)



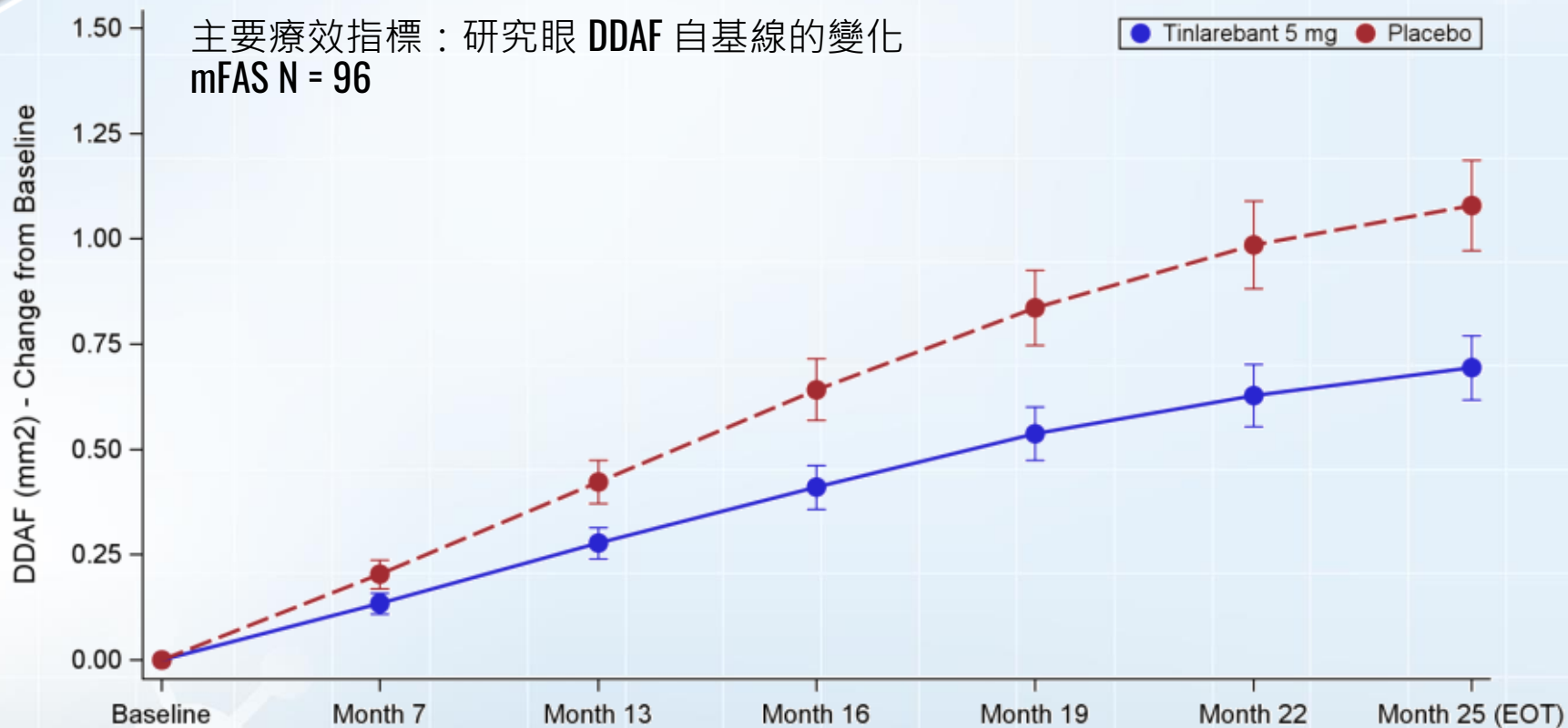
主要療效指標：研究眼的 **DDAF** (自基線的變化)

- 透過眼底自發熒光影像評估，自基線起至第 25 個月的視網膜萎縮區域(DDAF) 的年化病灶增長速率。
- 數據自改良全分析集 (mFAS)彙整，該分析集包含所有隨機分配接受試驗藥物，且至少接受過一次試驗用藥的受試者。此外，mFAS 受試者在基線時必須具有符合納入標準的明確 DDAF 病灶，且至少進行一次基線後的評估。
- 數據分析採用重複測量混合模型 (MMRM) 以評估研究眼 DDAF 自基線的變化，包含治療、訪視時間點、治療與訪視時間點的交互作用、基線時的病灶數 (focality)，以及基線 DDAF 病灶大小。
- 統計分析計畫 (SAP) 指定 MMRM 使用非結構化共變異數矩陣 (unstructured covariance matrix)。此外，委託研究機構 (CRO) 亦使用一階自迴歸共變異數矩陣 (first-order autoregressive covariance matrix) 進行事後分析 (post-hoc analysis)，以考量數據的縱向特性，同時在樣本數相對較小的試驗 (如DRAGON) 維持模型穩定性。

LBS
008

治療效果

主要療效指標顯示具統計學顯著性且具臨床意義的結果



採用非結構化共變異數矩陣分析，與安慰劑相比，治療效果為 **35.7%**，**P = 0.0033**。

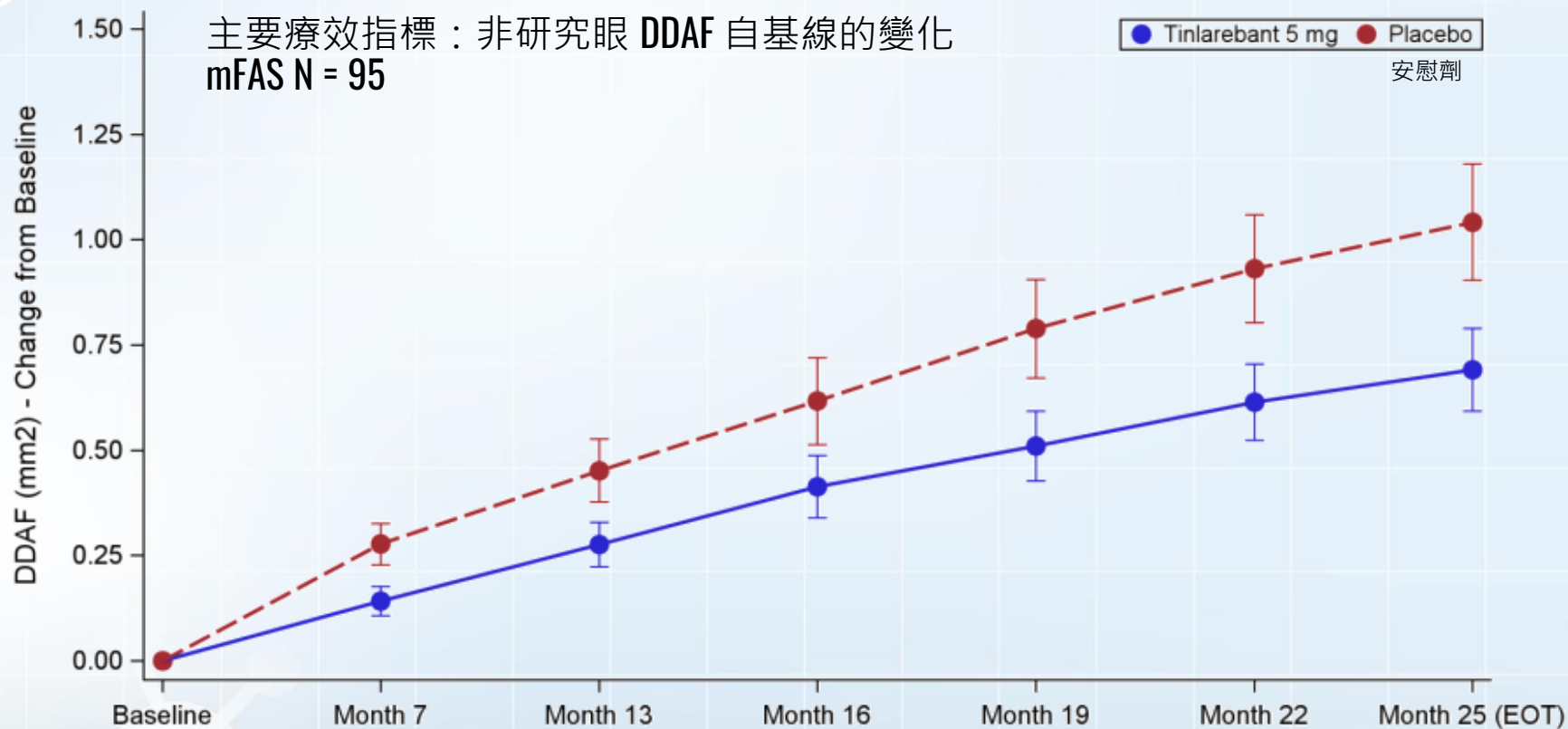
採用一階自迴歸共變異數矩陣分析，治療效果維持一致 **35.4%**，且 **P < 0.0001**。

DDAF 病灶增長速率減緩至 **0.38 mm²/年**，相較於安慰劑組的 0.59 mm²/年，以及 ProgStar 研究中觀察到的 0.74 mm²/年。

LBS
008

治療效果

在非研究眼亦觀察到主要療效指標具統計上顯著的療效

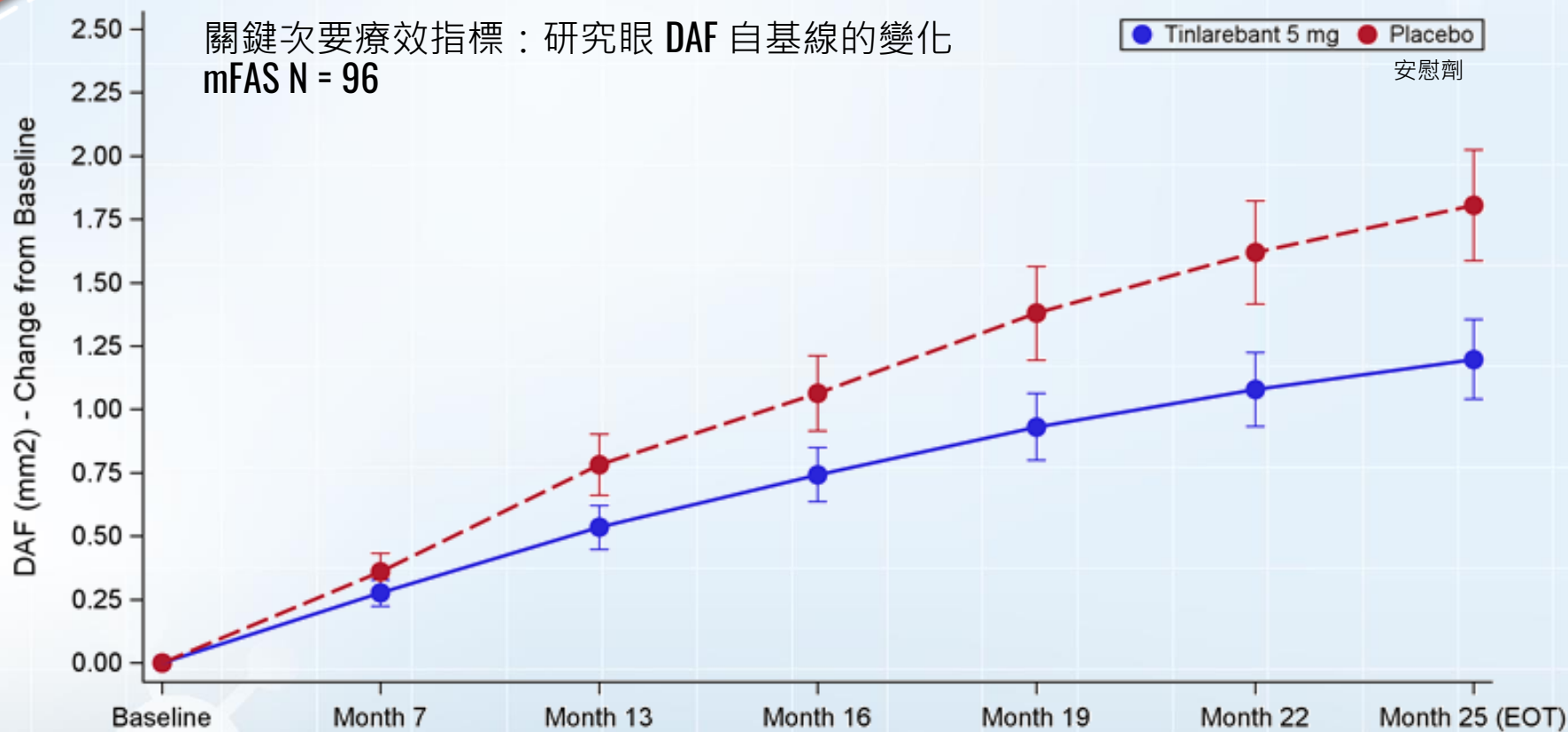


相較於安慰劑，**Tinlarebant** 使非研究眼的 **DDAF** 病灶增長速率減緩**33.6%** (**P = 0.041**)。

LBS
008

治療效果

TINLAREBANT 使研究眼中關鍵次要療效指標**DAF** 之病灶增長速率減緩 **33.7%**

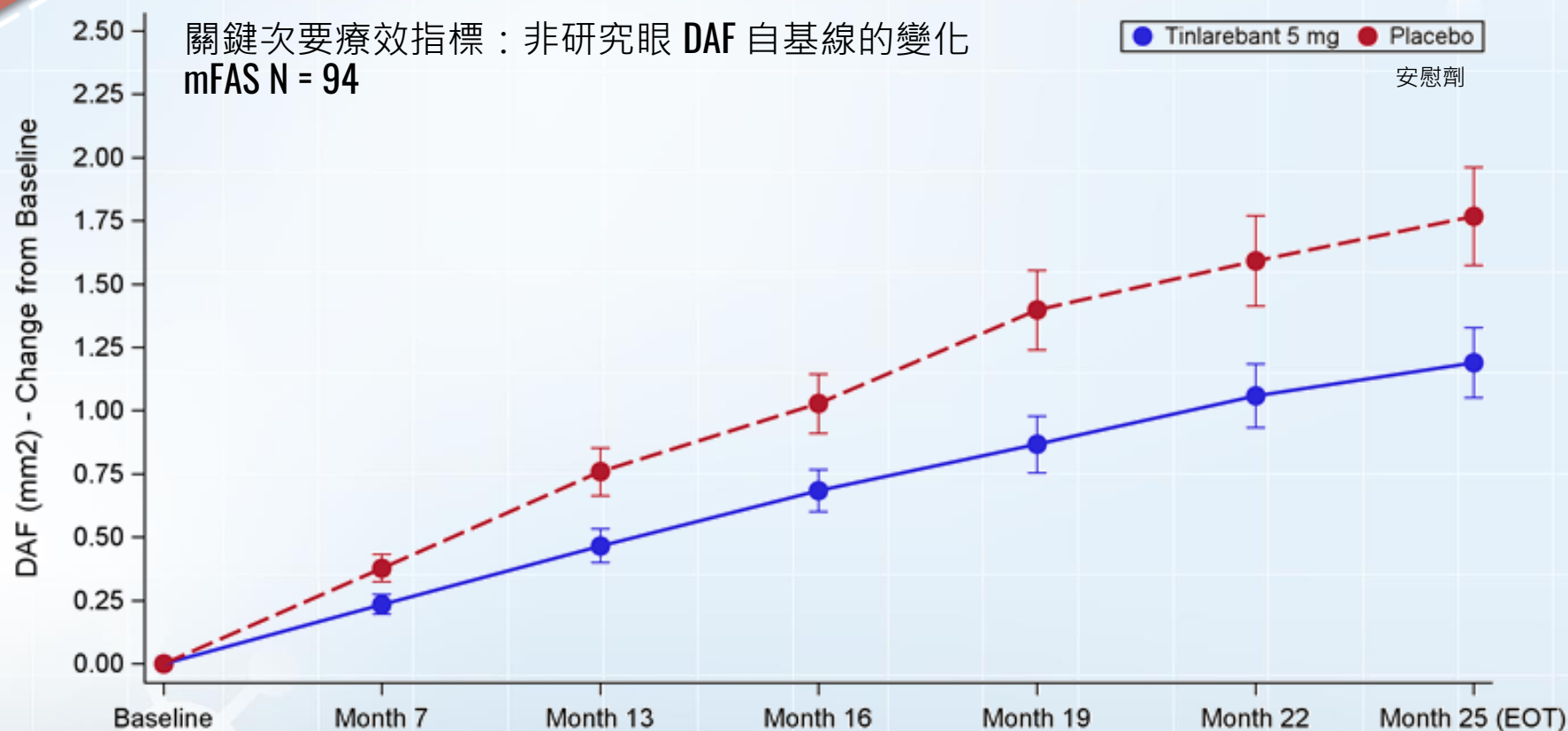


相較於安慰劑，**Tinlarebant** 使 **DAF** 病灶增長速率減緩 **33.7% (P = 0.027)**。

LBS
008

治療效果

TINLAREBANT 亦使非研究眼中關鍵次要療效指標**DAF** 病灶擴大速率減緩 **32.7%**



相較於安慰劑，**Tinlarebant** 使非研究眼 **DAF** 病灶增長速率減緩 **32.7% (P = 0.017)**。

治療效果

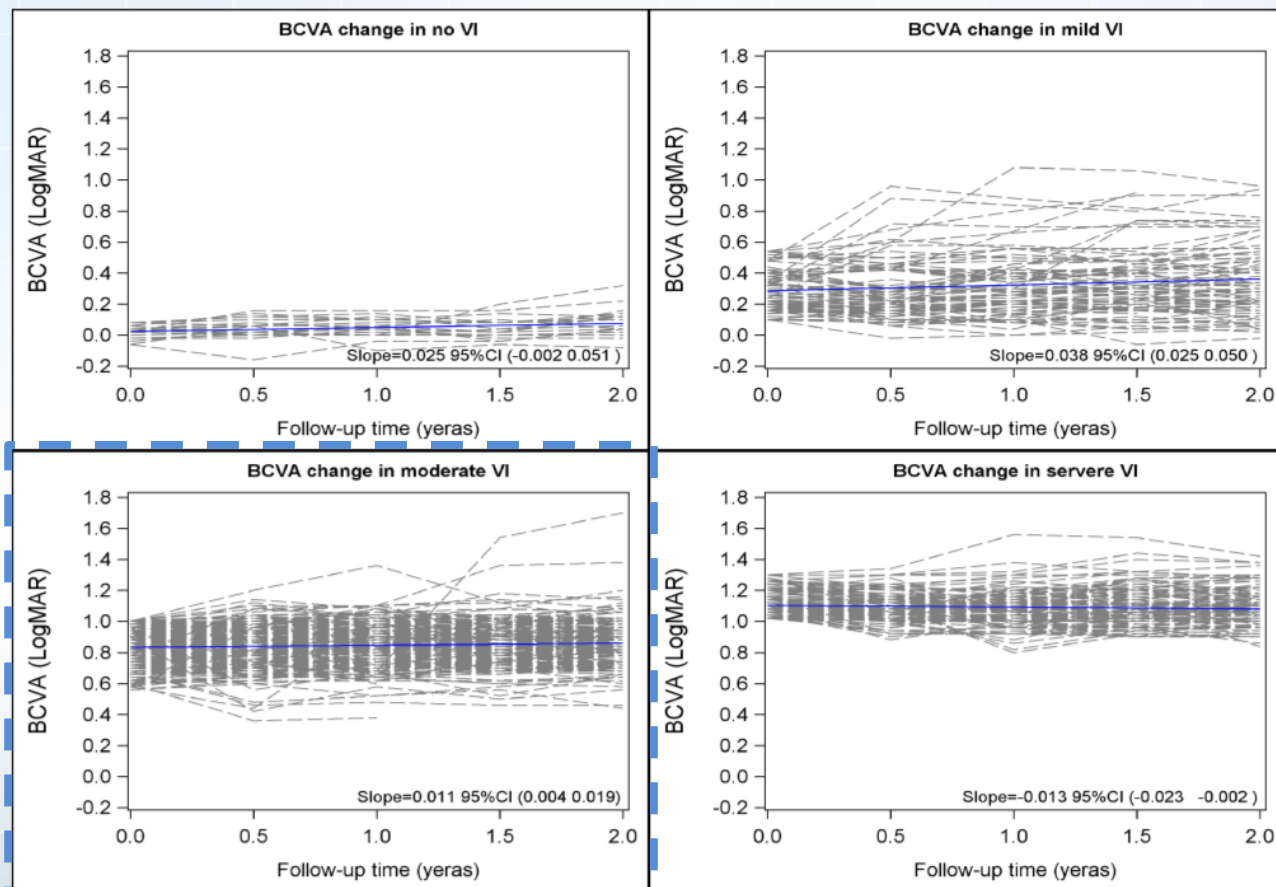
研究眼的最佳矯正視力 (BCVA) 如預期未顯示任何顯著變化

	Tinlarebant	安慰劑
基線時的最佳矯正視力 (BCVA)	39.9	39.4
試驗結束時 (EOS) 的最佳矯正視力 (BCVA)	39.7	40.0

- 在 24 個月期間，試驗組及安慰劑組之最佳矯正視力 (BCVA) 相對於基線無顯著變化。
- 已知斯特格病變患者的 ETDRS 視力變化分數，再測試變異性 (Test-retest variability) 的重複性係數約為 8 個字母 ⁽¹⁾。
- 兩年內平均視力無顯著變化，符合斯特格病變的自然病程，且在 ProgStar 研究中亦觀察到相同現象。

(1) Parker MA, Choi D, Erker LR, Pennesi ME, Yang P, Chegarnov EN, Steinkamp PN, Schlechter CL, Dhaenens CM, Mohand-Said S, Audo I, Sahel J, Weleber RG, Wilson DJ. Test-Retest Variability of Functional and Structural Parameters in Patients with Stargardt Disease Participating in the SAR422459 Gene Therapy Trial. Transl Vis Sci Technol. 2016 Oct 1;5(5):10.

PROGSTAR : 24 個月期間的視力變化 前瞻性分析群體 (N=434)



- 兩年期間的最佳矯正視力 (BCVA) 整體喪失率為 0.55 個字母/年。
- 基線 BCVA 介於 20/70 至 20/200 之間的研究眼，其 BCVA 下降速率為 0.6 個字母/年。



安全性數據

LBS
008

安全性數據

TINLAREBANT 展現良好的安全性與耐受性

安全性分析集 (SAFETY SET) N = 104

至少發生過一次治療期間非眼科不良事件 (TEAE) 的受試者人數，N / (%)

類別	Tinlarebant 5 毫克 (N=69)	安慰劑 (N=35)
治療期間不良事件 (TEAE)	59 (85.5%)	27 (77.1%)
重度TEAE	2 (2.9%)	1 (2.9%)
嚴重TEAE	2 (2.9%)	4 (11.4%)
與試驗藥物相關TEAE	14 (20.3%)	4 (11.4%)
與試驗藥物相關TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)
導致停止使用試驗藥物之 TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)
導致退出試驗之 TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)
導致死亡之 TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)

- 試驗中總計通報 6 起嚴重不良事件 (SAEs)，皆為非眼科不良事件，其中 4 起判定為與試驗治療無關，另外2 起判定為與試驗治療極低可能相關。
- 最常通報的非眼科不良事件 (AEs) 包括：鼻咽炎（所有案例均被判定為與治療無關或極低可能相關）、頭痛及痤瘡；大多數事件均屬輕微，且多數在試驗期間已自行改善。

LBS
008

安全性數據

多數眼科不良事件 (**OCULAR AES**) 為輕度

安全性分析集 (SAFETY SET) N = 104

至少發生過一次治療期間眼科不良事件 (**Ocular TEAE**) 的受試者人數，N (%)

類別	Tinlarebant 5 毫克 (N=69)	安慰劑 (N=35)
治療期間不良事件 (TEAE)	53 (76.8%)	8 (22.9%)
重度TEAE	2 (2.9%)	0 (0.0%)
嚴重TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)
與試驗藥物相關TEAE	49 (71.0%)	8 (22.9%)
與試驗藥物相關TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)
導致停止使用試驗藥物之 TEAE	4 (5.8%)	0 (0.0%)
導致退出試驗之 TEAE	2 (2.9%)	0 (0.0%)
導致死亡之 TEAE	0 (0.0%)	0 (0.0%)

- 最常通報的眼科不良事件 (**Ocular AEs**) 包括黃視症 (**xanthopsia**) 、暗適應延遲 (**Delayed dark adaptation**) 及夜間視力減退 (**Night Vision Impairment**) 。
- 大多數事件均屬輕微，且多數在試驗期間已自行改善。
- 未觀察到嚴重的治療期間眼科不良事件 (**Ocular TEAEs**) ；共有 4 起 TEAEs 導致研究藥物停用，另有 2 起 TEAEs 導致受試者退出研究。

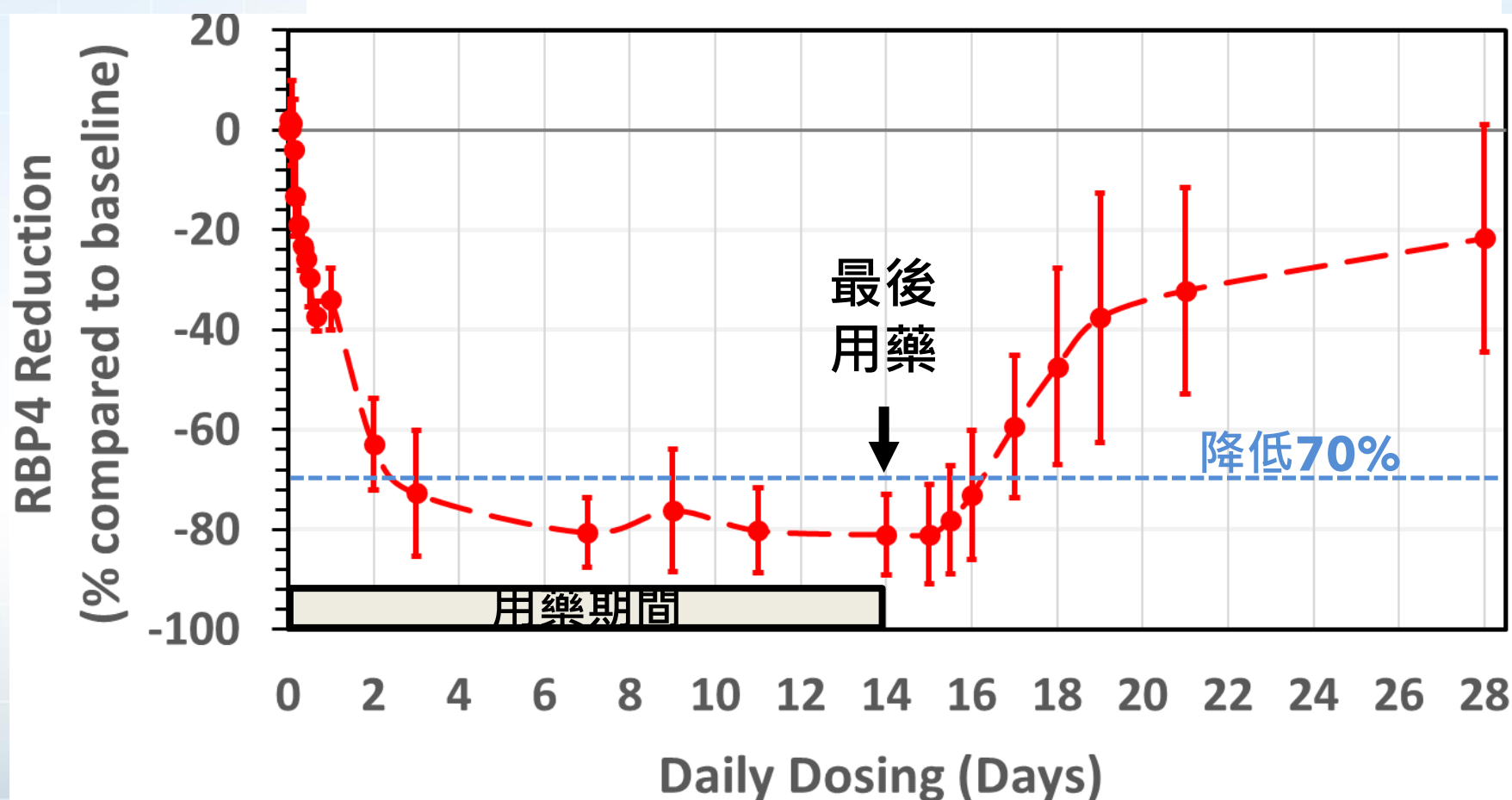


視網膜地圖狀萎縮臨床三期試驗

LBS
008

TINLAREBANT: RBP4濃度至少降低70%

招募健康人進行臨床1期, 每日用藥5毫克達到降低RBP4濃度 (無安慰劑)



LBS
008

視網膜地圖狀萎縮臨床試驗概述

- **已確立的療效指標** - 以視網膜成像技術觀察病灶增長減緩，為FDA所接受的主要療效指標
- **早期治療** - 鎖定病灶較小的病患，在病情早期病患的病灶增大可望獲得減緩
- **每日一次口服藥物** - 適合需要長期治療的慢性病
- **擴大適用族群** - 首先專注於視網膜地圖狀萎縮；深具潛力治療更早期的乾性黃斑部病變

	視網膜地圖狀萎縮臨床三期試驗 "Phoenix" ⁽¹⁾
收案	530 名受試者
試驗區域	全球
遮盲	雙盲
安慰劑	2:1 隨機 (Tinalarebant : 安慰劑)
治療期間	2年
主要療效指標	觀察病灶增長速率來確定療效, 同時觀察其安全性及耐受性
其他觀察指標	視力、光學相干斷層掃描、微視野計
期中分析	有

⁽¹⁾預計在 NDA 提交之前需要再進行一個額外的臨床三期試驗



TINLAREBANT 總結

LBS
008

DRAGON 試驗結果總結

- **DRAGON 試驗達成其主要療效指標**：與安慰劑相比，每日口服 5 毫克 Tnlarebant 的受試者，其 DDAF 病灶增長速率顯著減緩，且具統計顯著性。
- **治療效果為 36%**，被認為具有**臨床意義**。
- 該治療效果亦獲得**非研究眼數據及關鍵次要療效指標（DAF 增長面積降低）**的支持。
- 試驗組與安慰劑組的**最佳矯正視力（BCVA）**變化均極小，且與**自然病程數據**一致。
- 作為 Tnlarebant 治療的生物標誌，**RBP4 降低幅度穩定維持約 80%**，且變異性極低。
- **Tnlarebant（5 毫克，每日口服）**在青少年 STGD1 患者中顯示良好的耐受性。

LBS
008

TINLAREBANT 具有潛力成為首個獲准用於治療斯特格病變的藥物。

- 在視網膜退化性疾病中，首個證實**臨床上顯著減緩神經退化進程**的口服療法。
- **DDAF 病灶增長速率降低 36%**，顯示在斯特格病變中具有穩健且可重現的治療效果。
- 在為期兩年的治療期間內，展現**極佳的安全性與耐受性**。
- 在目前尚無核准療法的情況下，**針對疾病的根本致病機轉**（雙視黃醇的累積）提供一個合理、可改變疾病進程的治療方法。
- **適用於廣泛的病程階段**，涵蓋自早期 ABCA4 導致的變異至較晚期的視網膜萎縮。
- **個人臨床觀點**：在照護這類患者超過 20 年後，這是一項真正的突破性療法——我有信心將 Tinalarebant 推薦給所有斯特格病變患者*。

* 引述自 Belite Bio 醫務長 Hendrik Scholl 醫學博士，基於其作為眼科醫師治療 STGD1 患者的個人臨床經驗



Lin BioScience

為癌末及失明的患者帶來希望

info@linbioscience.com