

药明巨诺(2126.HK)

2021 年度全年业绩
投资者演示材料

Disclaimer 免责声明

This presentation may contain forward-looking, confidential and/or proprietary information including without limitation to JW Therapeutics' manufacturing process, pipeline, business development and third party collaboration, etc, which are provided on as-is basis, and/or based on management's current expectations, strategies and beliefs as of the date of this presentation, therefore shall not be regarded as commitment or guarantee from JW and/or either of JW Therapeutics' directors.

本演示稿可能包含药明巨诺的前瞻性、保密及/或专有信息，包括但不限于药明巨诺的生产工艺、管线、业务发展和第三方合作等，这些信息基于事实情况提供及/或是管理层在截至本次演示之日的现有期望、策略和信念，因此不代表公司或任何董事的承诺或保证。

The aforesaid information might be subject to a number of risks, uncertainties and assumptions that could cause actual results to differ materially from those described, and be subject to modification or adjustment, from time to time, without prior or further notice. Except as required by law, JW Therapeutics undertakes no obligation to update or revise publicly any information, whether as a result of new information, future events or otherwise, and/or to further explanation.

前述信息在实际运营中可能受一些风险、不确定性和假设的影响，从而导致实际结果在实质上与所描述的有所区别。除法律规定外，我们没有义务公开有关于前述任何信息的更新或修改，无论是由于做出该等陈述之日后出现的新资讯、未来事件或其他原因，亦或是为了反映意外事件的发生，亦没有义务对此进行进一步的解释。

No copying, photocopying, video recording, broadcasting or any adjustment or modification to the contents of this presentation is allowed, without prior written consent of JW Therapeutics.

未经公司事先书面确认，请勿私自进行复制、影印、录影、传播或对内容进行任何调整或修改。

JW Therapeutics is a leading cell therapy company listed in HKEx (stock code: 2126.HK). A Cautionary Statement required by Rule 18A.05 of the Rules Governing the Listing of Securities of Hong Kong Exchanges and Clearing Limited: JW Therapeutics cannot guarantee that it will be able to develop, or ultimately market its products successfully. Shareholders and potential investors of JW Therapeutics are advised to exercise due care when dealing in the shares of JW Therapeutics.

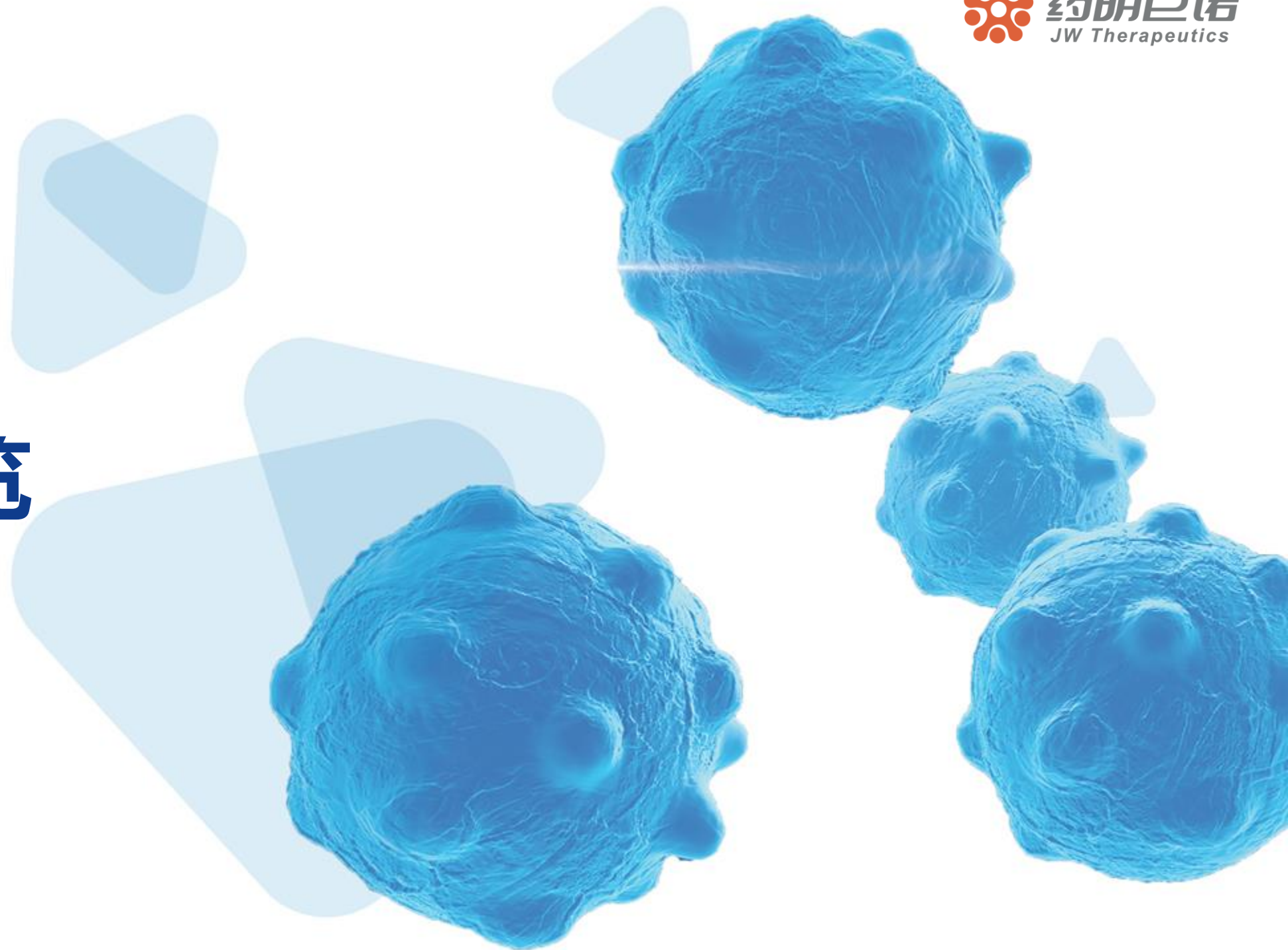
药明巨诺是一家在香港上市的细胞免疫治疗公司(股票代码：2126.HK)。香港交易所证券上市规则第18A.05条规定的警示声明：药明巨诺无法确保药明巨诺将能成功开发及最终成功销售其产品。药明巨诺股东及潜在投资者在买卖药明巨诺股份时务请审慎行事。

目录

- 01 2021年公司概览
- 02 商业化进展
- 03 产品及管线更新
- 04 财务概况
- 05 未来发展战略

01

2021年公司概览



药明巨诺— 领先的细胞治疗企业

潜在卓越的靶向CD19细胞治疗产品, 倍诺达®

- 被国家药监局授予新药申请优先审查资格
- 潜在的拥有**最佳安全性及疗效的产品**
- **中国首个**获批为1类生物制品的CAR-T产品, 也是**全球第六款**获批的CAR-T产品

细胞治疗领域最佳的管理团队及人才

- 经验丰富且进取的管理团队
- 研发项目拥有跨领域的研发专家



健全的管线储备

- 全面覆盖**血液癌症**及**实体瘤**
- 雄厚的**商业拓展**及**内部研发能力**, 以持续地丰富我们的管线

端到端的平台

- 内部临床发展和法规事务的构建, 与监管机关形成紧密协作
- 健全的开发流程以及领先的生产工艺
- 于商业化及早期研发领域延伸我们的能力

2021年是药明巨诺历史上的重要里程碑

1st
(倍诺达®)

中国首个获批为1类生物制品的CAR-T产品

54

处方数量

55.6%

完全缓解率

30.8

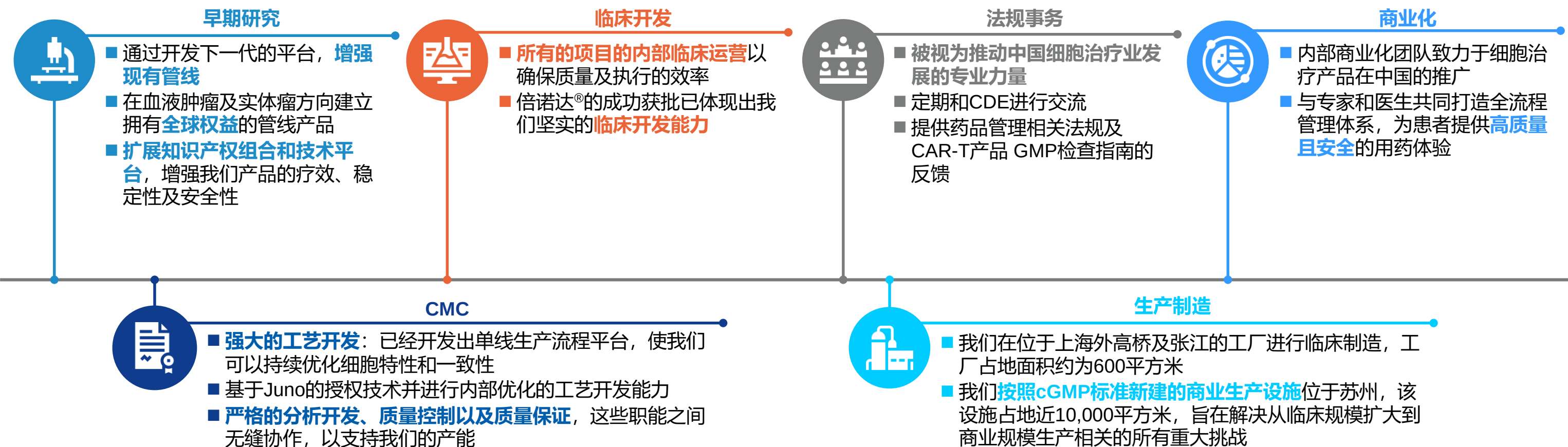
收入 (单位: 人民币 百万)

临床进展	商业化	运营表现	财务数据更新
■ 三线FL预期将是倍诺达®获批的第二个适应症，补充新药申请已经提交 ■ 针对其他B细胞恶性肿瘤的试验正在有序进行，其中包括:r/r MCL (预计2023年提交补充新药申请)、2L LBCL和pALL IND已提交 ■ 实体瘤的开发正在有序进行：生产流程的开发和厂房的升级已完成	■ 为了确保及时和安全的配送，我们建立了端到端的全流程管理体系 ■ 已被纳入44个商业保险产品以及16个城市级的惠民保项目 ■ 与主要淋巴瘤专家建立了首个CAR-T指导原则，以规范医生的临床应用	■ 强化研发能力，这将在我们寻求业务拓展时产生极大助力 ■ 继续保持着极高的生产成功率，可达99% ■ 为2022年下半年落实的成本削减计划成功地打好了基础	■ 期内收入为人民币3,080万元 ■ 2021年度亏损为人民币7.02亿元，比2020年同期亏损减少9.62亿元 ■ 现金余额为人民币18.34亿元

注：根据倍诺达®商业化后治疗医生有关最佳反应评估的报告，在首批27名可评估患者中，CRR为55.6%。

完全一体化的细胞治疗创新及商业化平台

我们拥有独特的一体化的平台能力涵盖早期研究、分析开发、工艺开发、临床研究及法规事务，同时拥有符合GMP标准的生产设施和专有的商业化能力



经验丰富的管理团队

经验丰富的管理团队



李怡平 医生

联合创始人、董事长兼首席执行官



傅欣

首席财务官



林立源 博士

首席技术官



Mark Gilbert 医学博士

首席医学官



吴琼

首席商务官



Raymond J. Hage, Jr.

企业发展负责人



Shaun Paul Cordoba 博士

首席科学官



徐格

质量负责人



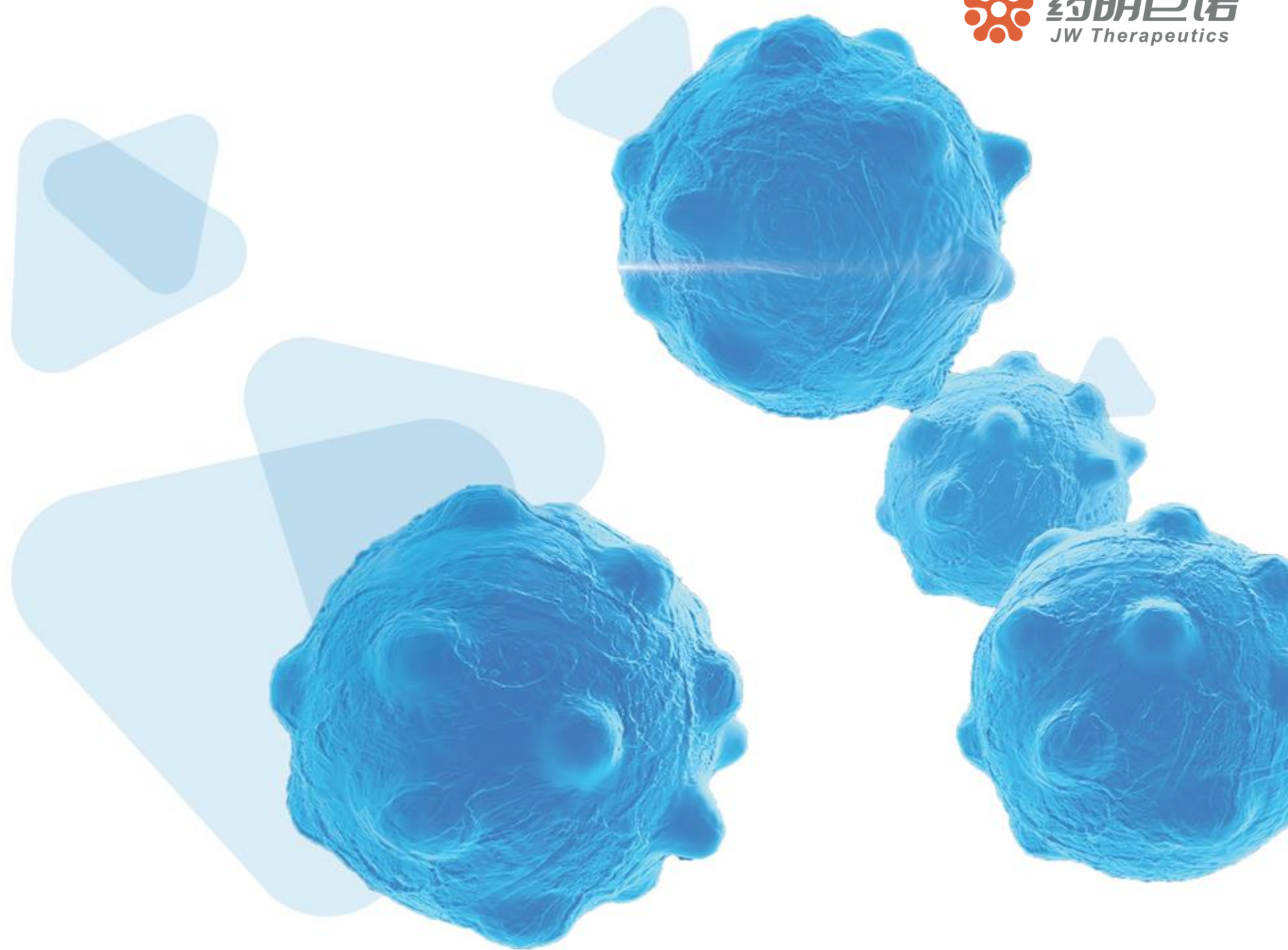
朱立红

产品线组合和项目管理负责人



02

商业化进展



迅捷高效的商业化落地能力

快速 完成首个患者治疗

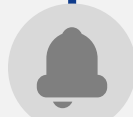
快速 占领市场

2021.9.1



被国家药监局批准上市

2021.9.3



国家药监局批准公告

首张处方产生



首个商业化订单



2021.9.8



首个商业化单采

于公告日后5天

2021.10.3



首例商业化回输

批准上市后一个月

于2021年，开出

54

张处方

于2021年，完成

30

次回输

清晰的产品定位和策略是商业化成功落地的关键，同时也是未来持续发展的重要基石

“同类最佳” 产品定位

更显著的疗效，更卓越的安全性



SOLO



卓越的商业化策略



吴德沛教授
苏州大学
附属第一医院

“瑞基奥仑赛的获批为中国R/R LBCL患者带来了全新的治疗选择，同时也是中国创新药取得里程碑式突破的范例。”



周剑峰教授
华中科技大学
同济医学院
附属同济医院

“倍诺达®在真实世界中显示出卓越的安全性，整个治疗过程也很好，病人不会感觉很痛苦。”



宋玉琴教授
北京大学
肿瘤医院

“长期的无病生存是医生和患者共同追求的目标，RELIANCE 研究显示患者一年生存率达到76.8%，对于医生和患者来说都是非常满意的结果。”

建立全流程管理的生态系统服务于患者

打造生态链为客户提供全流程优效服务



全流程管理



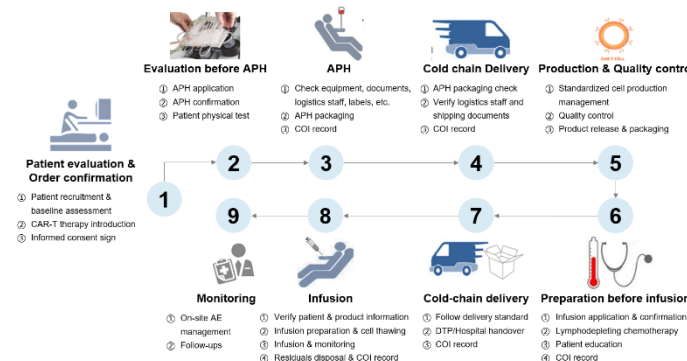
CAR-T 顾问



创新支付



临床指导原则



白血病·淋巴瘤 2022年1月第31卷第1期 Journal of Leukemia & Lymphoma, January 2022, Vol. 31, No. 1

瑞基奥仑赛注射液临床应用指导原则
(2021年版)

中国临床肿瘤学会(CSCO)淋巴瘤专家委员会 中华医学会血液学分会 中国医师协会血液科医师分会
通信作者: 马军, 哈尔滨血液病肿瘤研究所, 哈尔滨 150010, Email: majun0322@126.com;
朱军, 北京大学肿瘤医院暨北京市肿瘤防治研究所淋巴瘤内科 恶性肿瘤发病机制及转化研究教育部重点实验室, 北京 100142, Email: zhu-jun2017@outlook.com

协同战略伙伴为患者保驾护航



医院培训



医院认证



模拟演练



多学科
会诊平台

完成培训、模拟演练
以及认证了

61家

中国顶级血液肿瘤医院

55.6% CRR 体现在首批27名可评估患者中, 与临床试验中显示的结果 (51.7%) 基本一致

构建CAR-T治疗多层次保障体系，提高药品可负担性



44 个商业保险产品

16 个惠民保

2月21日，首位患者获得
西湖益联保100%赔付

西湖益联保

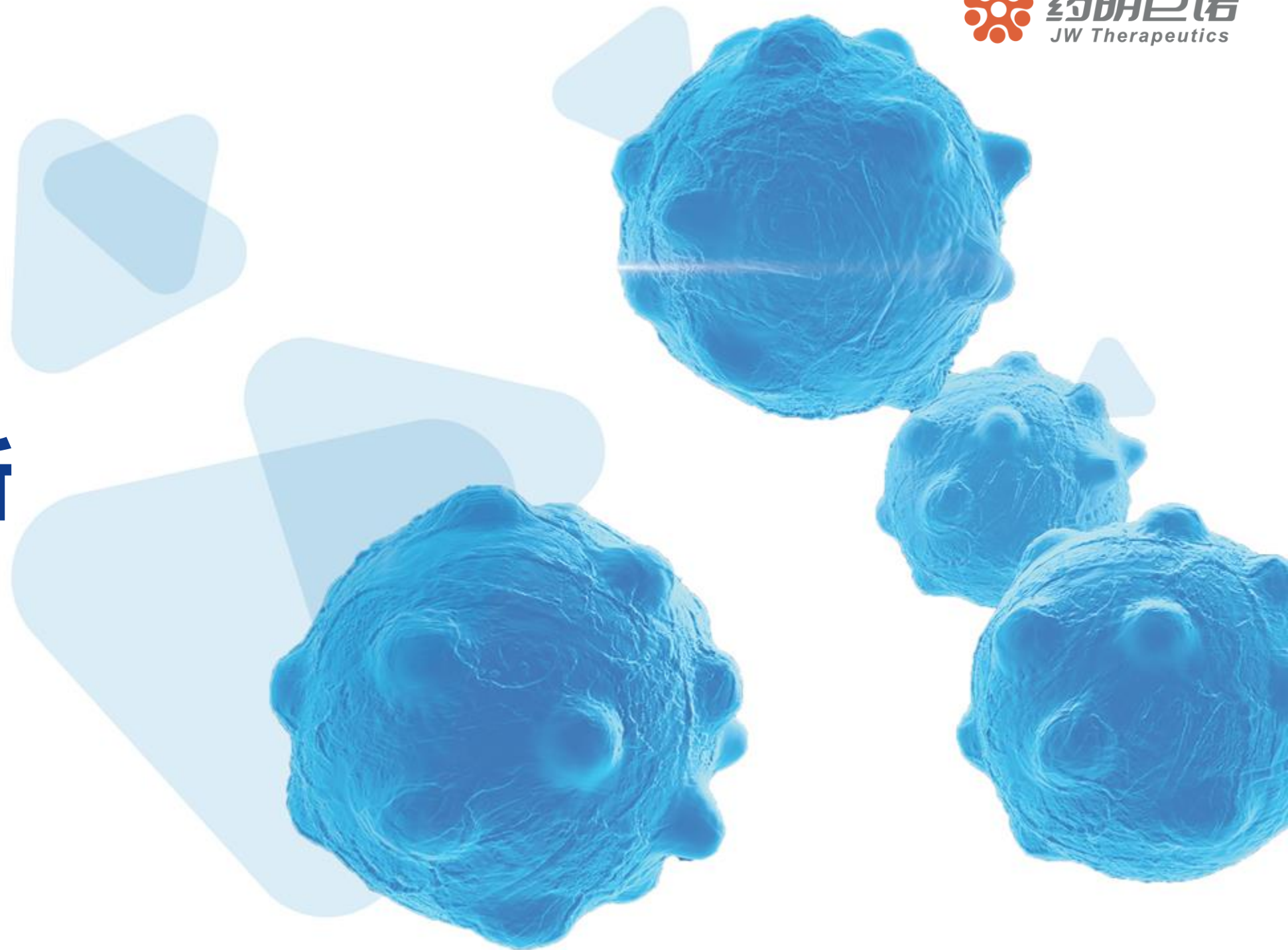
300万医疗保额

老少均价一年150元

- 政府指导可信赖
- 参保门槛无限制
- 保障全面起付低
- 自付自费广覆盖
- 医保个账保全家
- 一站结算赔付快

03

产品及管线更新



我们健全且差异化的细胞治疗管线

产品	靶点	适应症	商业化权利	临床前	IND	I期	关键/ II/III 期	新药申请	新药上市	国家药监局分类	合作伙伴
血液恶性肿瘤	JWCAR029 / 瑞基奥伦赛注射液(relma-cel) **1	CD19	3L LBCL	中国内地、中国香港及中国澳门*						1类	
			3L FL	中国内地、中国香港及中国澳门*					注册试验		
			3L MCL	中国内地、中国香港及中国澳门*				注册试验			
			2L LBCL	中国内地、中国香港及中国澳门*				注册试验			
			3L ALL	中国内地、中国香港及中国澳门*							
			3L CLL	中国内地、中国香港及中国澳门*							
	JWCAR129 ²	BCMA	r/r MM	中国内地、中国香港及中国澳门*						1类	
实体瘤	Nex-G	CD19	NHL	中国内地、中国香港及中国澳门*						1类	
	JWATM203	AFP	HCC	中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾及东盟成员国*						1类	
	JWATM213 ³	AFP	HCC	中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾及东盟成员国*						1类	
	JWATM204	GPC3	HCC	中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾及东盟成员国*						1类	
	JWATM204	GPC3	Basket	中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾及东盟成员国*						1类	
	JWATM214 ³	GPC3	HCC	中国内地、中国香港、中国澳门、中国台湾及东盟成员国*						1类	

缩写: LBCL = 大B细胞淋巴瘤; FL = 滤泡性淋巴瘤; MCL = 套细胞淋巴瘤; ALL = 急性淋巴细胞白血病; CLL = 慢性淋巴细胞白血病; MM = 多发性骨髓瘤; NHL = 非霍奇金淋巴瘤; HCC = 肝细胞癌; NSCLC = 非小细胞肺癌; AFP = 甲胎蛋白; GPC3 = 磷脂酰肌醇蛋白聚糖-3; r/r = 复发或难治; 3L = 三线; 2L = 二线; Basket = 篮式设计, 入组多种实体瘤

** 指核心候选产品。

1 Relma-cel以与Juno的产品lisocabtagene maraleucel(「Breyanzi」或「lisocabtagene」或「liso-cel」) 相同的CAR结构体为基础, 于2021年2月获得美国食品药品监督管理局的批准。

2 JWCAR129以与Juno的产品orva-cel相同的CAR结构体为基础。

3 使用Lyell技术开发中。

4 JWATM204 正于中国进行I期研究者发起的试验。与JWATM203 及JWATM204相同的CAR结构的优瑞科的产品, 目前由优瑞科在美国根据IND申请进行I/II期试验。于2021年11月, 美国FDA授予优瑞科的JWATM203的对应产品用于治疗儿童患者肝母细胞瘤(「HB」) 及HCC的对应快速通道评审认定, 以及用于治疗HB的「罕见儿童疾病资格认定」。于2022年2月, FDA授予优瑞科的JWATM203及JWATM204的对应产品孤儿药资格认定。

倍诺达®:潜在卓越的靶向CD19的CAR-T细胞产品

- ✓ 中国首个获批为1类生物制品的CAR-T产品
- ✓ 在注册II期临床试验中，倍诺达®已证实其卓越的疗效和安全性

与同类产品疗效相当¹

*非头对头的对照研究

	ORR	CRR
倍诺达®	77.6%	51.7%

已上市CAR-T产品

	ORR	CRR
Yescarta	72%	51%
Kymriah	50%	32%
Breyanzi	73%	54%

更优越的安全性¹

*非头对头的对照研究

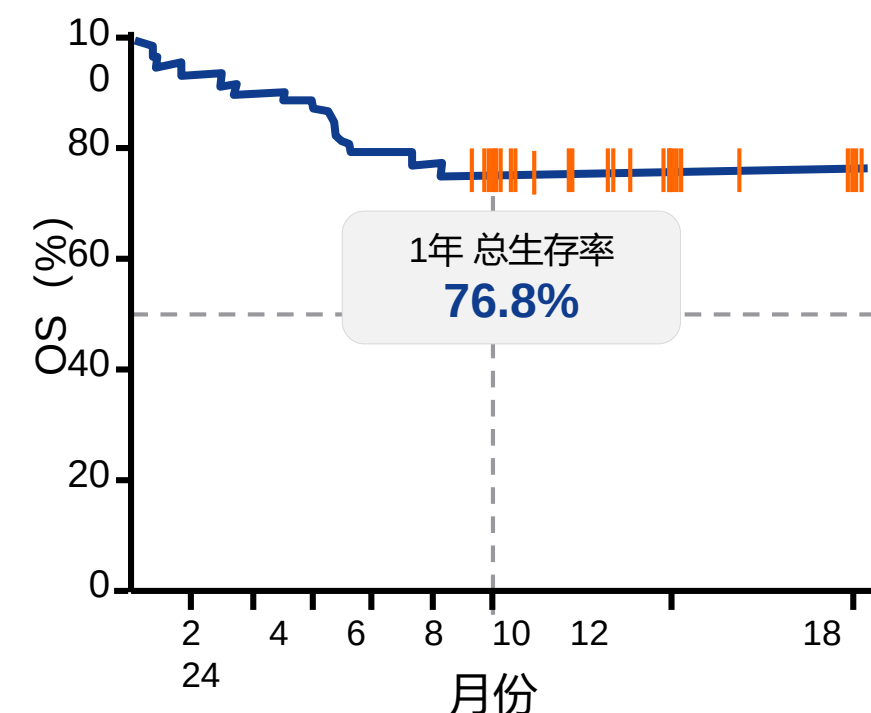
	适应症	NT (Any)	sNT (≥Grade 3)	CRS (Any)	sCRS (≥Grade 3)
倍诺达®	r/r LBCL	20.3%	3.4%	47.5%	5.1%

已上市CAR-T产品

	适应症	NT (Any)	sNT (≥Grade 3)	CRS (Any)	sCRS (≥Grade 3)
Yescarta	r/r LBCL	87%	31%	94%	13%
Kymriah	r/r LBCL	58%	18%	74%	23%
Breyanzi	r/r LBCL	35%	12%	46%	4%

卓越的长期疗效: 一年总生存率 76.8%

中位随访时间: 17.9个月, 中位总生存率还未达到



显著的一年总生存率及KM曲线表明倍诺达®具有潜在的“治愈患者”的可能。

数据来源:
 1 以上临床数据来自于每个产品的产品说明书, 倍诺达®的数据截至2020年12月31日
 缩写: ORR=最佳客观缓解率; CRR=最佳完全缓解率; NT=神经毒性; sNT=严重神经毒性;
 CRS=细胞因子释放综合症; sCRS=严重细胞因子释放综合症; r/r = 复发或难治; LBCL = 大B细胞淋巴瘤

倍诺达® 预计将成为中国首个获批用于治疗三线FL的CAR-T产品

- ✓ 于2020年9月，被国家药监局授予突破性治疗药物认定
- ✓ 于2021年年中完成II期关键临床试验
- ✓ 新适应症上市许可申请已于2022年第一季度获得国家药监局受理

与同类产品的疗效和安全性对比

* 非头对头的对照研究

疗效对比

	ORR	CRR
倍诺达®	100%	92.6%
Yescarta	91%	60%
Kymriah	86%	69%

安全性对比

	适应症	NT (Any)	sNT (≥Grade 3)	CRS (Any)	sCRS (≥Grade 3)
倍诺达®	3L FL	18%	4%	43%	0
Yescarta	3L FL	77%	21%	84%	8%
Kymriah	3L FL	4%	1%	49%	0

数据来源:

数据来自于ASH 2021以及Yescarta 产品说明书

缩写: ORR=最佳客观缓解率; CRR=最佳完全缓解率; NT=神经毒性; sNT=严重神经毒性;

CRS=细胞因子释放综合症; sCRS=严重细胞因子释放综合症; r/r = 复发或难治; FL = 滤泡性淋巴瘤; 3L=三线

倍诺达®：进一步探索其在前线治疗和其他适应症上的临床应用潜力

为了充分探索倍诺达®的临床应用的潜力，我们正开发倍诺达®应用于一系列其他血液肿瘤适应症，包括2L LBCL、MCL、pALL以及CLL

二线 LBCL

- 开展一项比较倍诺达®与二线LBCL标准治疗的多中心，随机II期注册临床试验
- 旨在为二线LBCL患者建立新的标准治疗方案并进一步影响临床实践
- **IND预期将于2022年第二季度获批，首例患者入组预期将在2022年第三季度完成**

MCL

- 入组患者既往标准治疗失败或耐药，或标准治疗后仅极短缓解期后即复发
- **单臂II期关键临床试验已经启动，患者入组预期将在2022年第四季度完成**
- 将进一步评估使用BTK抑制剂治疗失败的MCL患者

pALL

- 初始化疗失败或复发后的患者往往具有极差的预后，在成年患者中中位生存期低于一年
- 首个在儿童患者中进行的注册试验
- IND获批以及首例患者入组预期将于2022年第二季度完成

CLL

- 部分CLL亚型预后极差
- 将对使用BTK抑制剂药物失败的高危的CLL患者进行评估
- **单臂I/II期临床研究将于2022年开展**

作用机制

HCC肿瘤细胞

GPC3

GPC3

激活

增强

JWATM204 T细胞

我们的优势

- ✓ **GPC3**在约**80%的肝癌患者**中均有表达，同时在其他实体瘤例如部分胃癌亚型及非小细胞肺癌的亚型中也有高表达
- ✓ 使用ARTEMIS技术平台可能产生**更有效及安全**的T细胞治疗
- ✓ JWATM214和Lyell技术的结合可能会**提升T细胞功能以及减少T细胞耗竭**

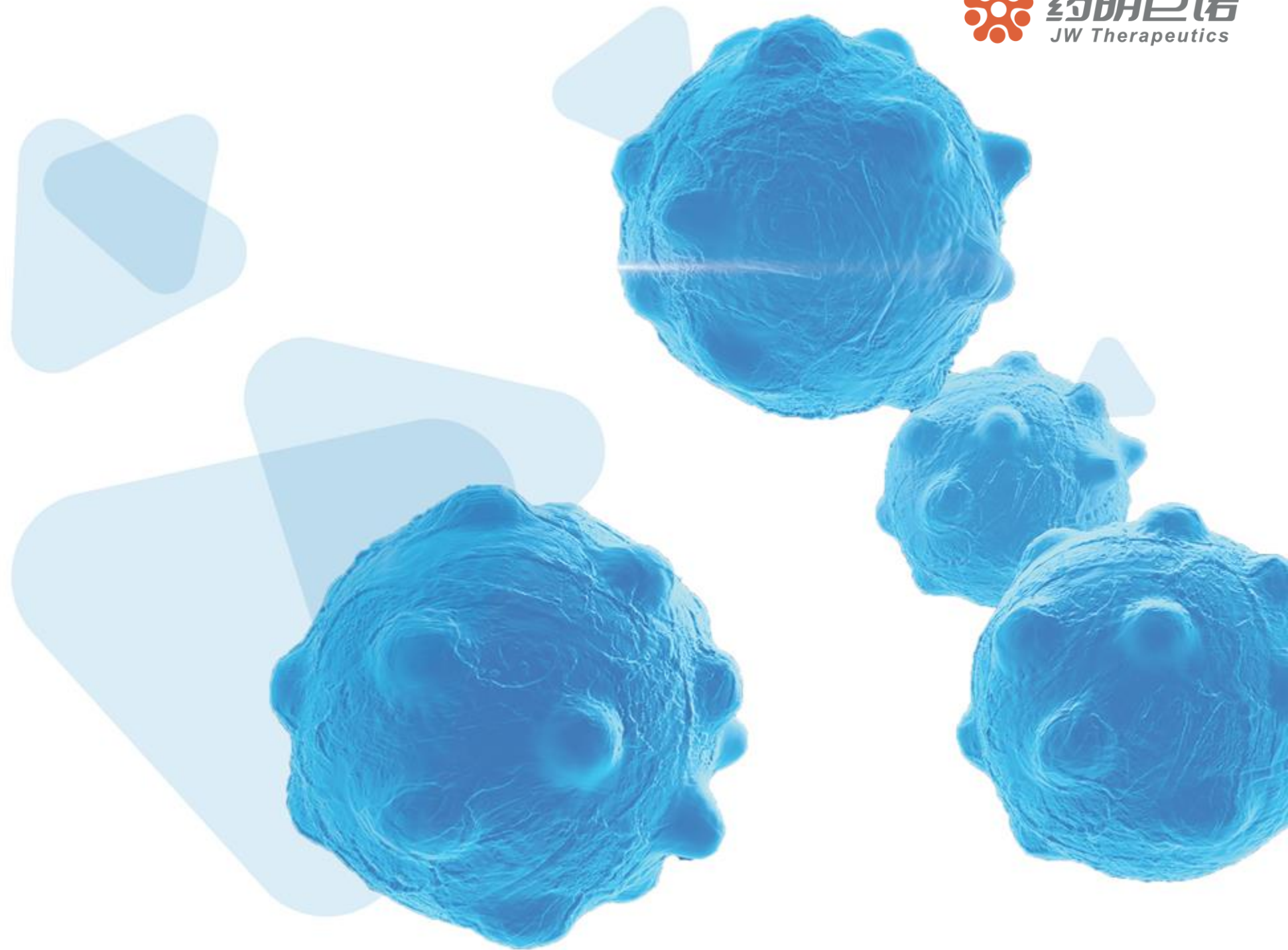
临床开发计划

- 将在晚期HCC患者中开展一项I期剂量爬坡研究以确证JWATM204的安全性和II期研究推荐剂量，首例患者将在2022年第2季度完成回输
- 另外一项I期剂量爬坡研究将在实体瘤患者中进行，以探索除肝癌外其他可能适用的实体瘤，首例患者将在2022年第3季度完成入组
- 进一步的研究计划包括扩展至HCC更前线的治疗，单药或与TKI和免疫治疗联合。并在其他实体瘤适应症中开展关键性临床研究

2021				2022			
Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
		CMC 工艺锁定			生产就绪并完成 HCC I期研究的FPI		篮式实体瘤I期研究FPI

04

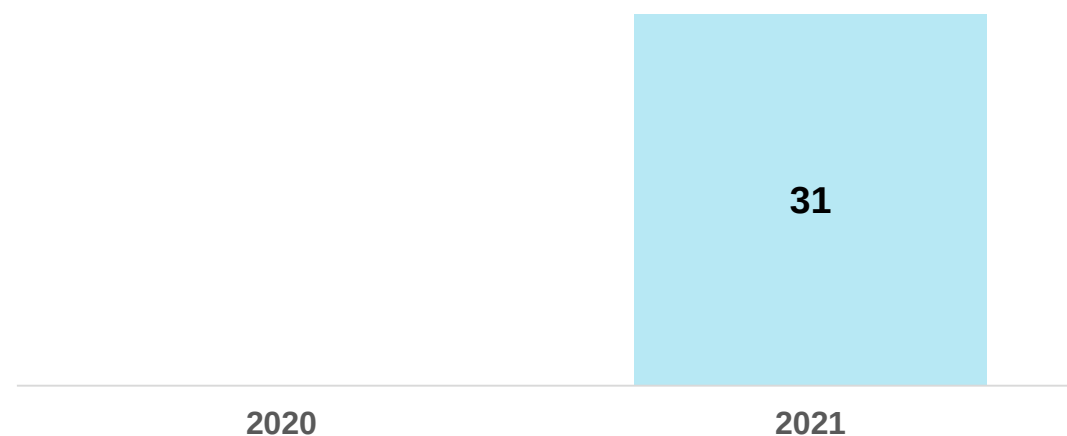
财务概况



财务摘要

收入

(人民币百万元)



年内亏损

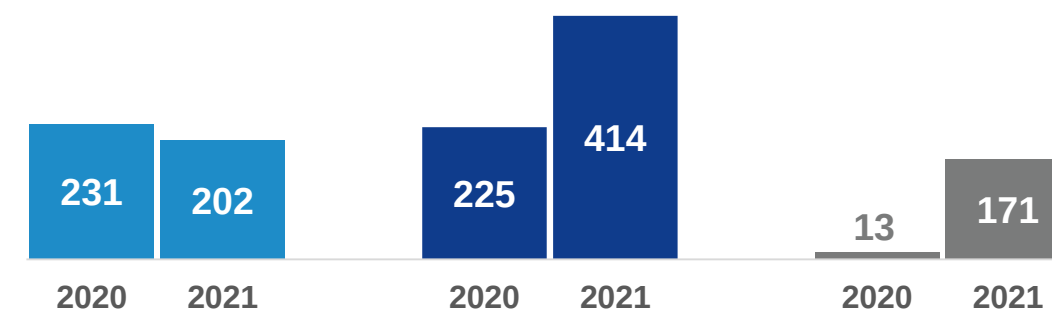
(人民币百万元)



经营开支

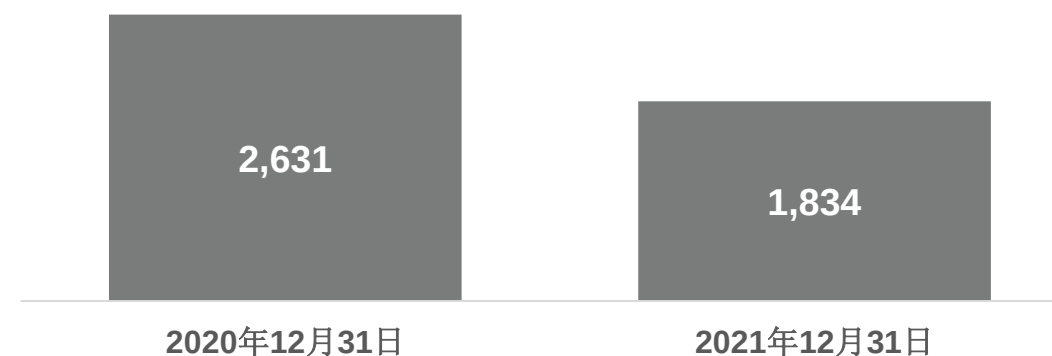
(人民币百万元)

■ 一般及行政开支
■ 研发开支
■ 销售开支

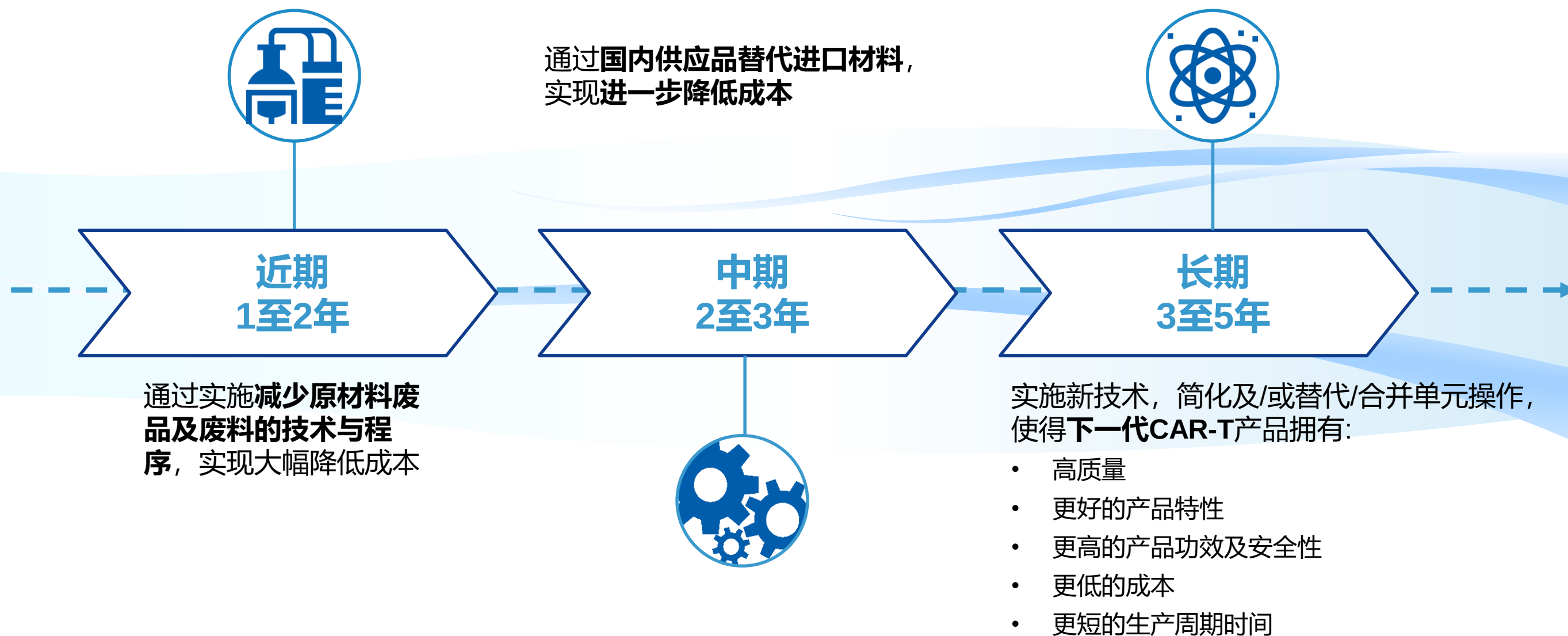


现金及现金等价物

(人民币百万元)

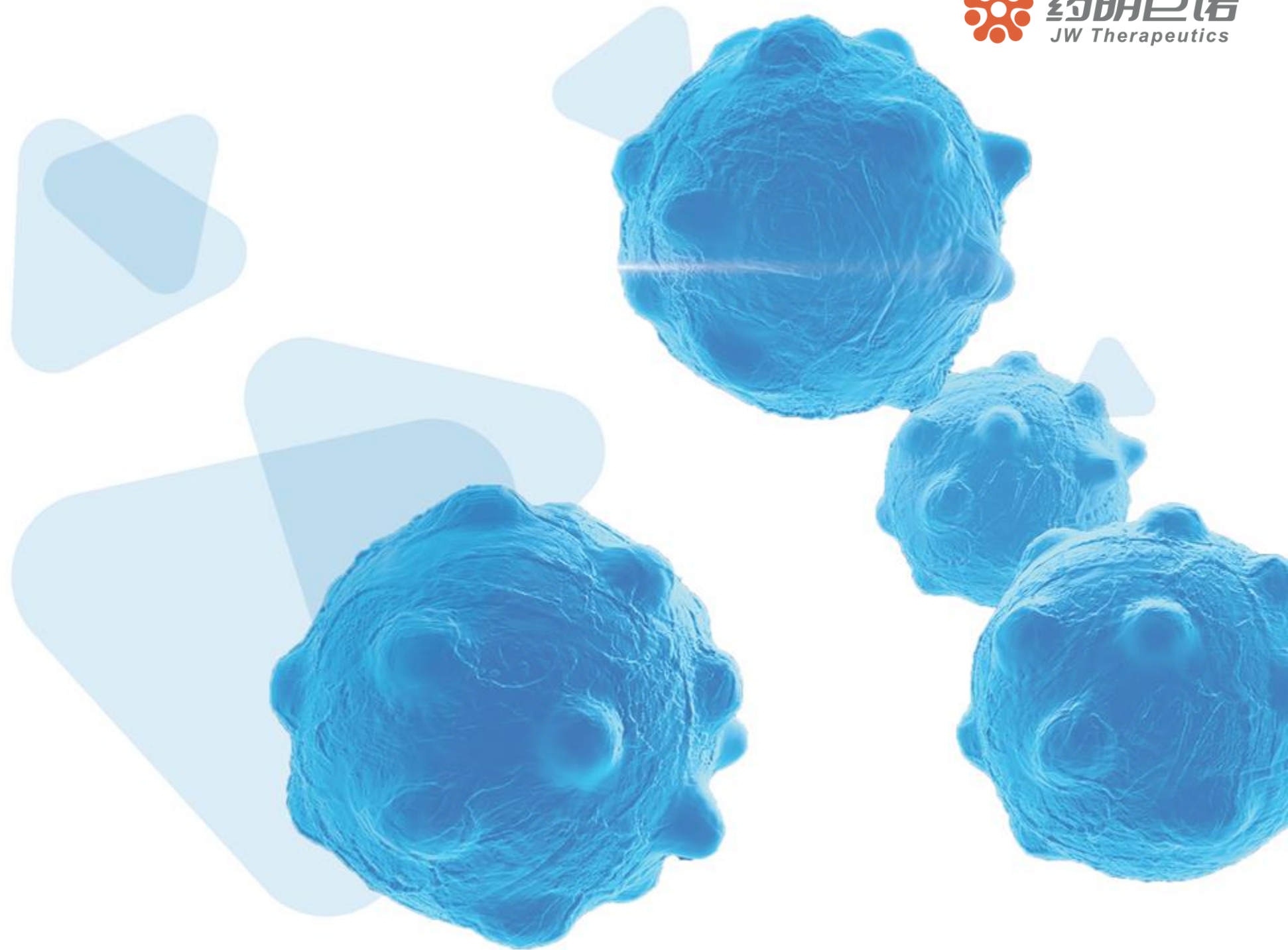


生产及技术改革——从成本降低到价值创造



05

未来发展战略



我们的战略



把握重要先机驱动倍诺达®的全面商业化



通过不断开发倍诺达®的早期治疗和其他适应症，以及其他新产品的临床开发，巩固我们在血液癌症的领导地位



利用我们的综合细胞治疗平台拓展新兴实体瘤市场



通过创新及规模效益持续提升我们的产能及降低成本



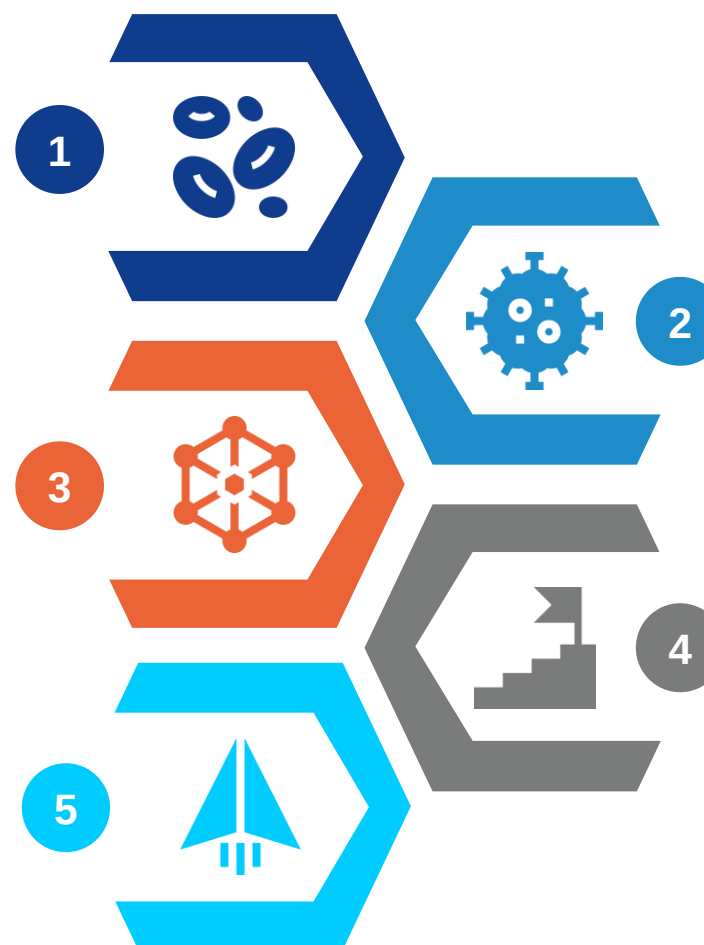
通过授权许可机会、伙伴合作与选择性收购以及内部研发促进业务增长

药明巨诺的管线建设将通过授权许可机会、伙伴合作与选择性收购以及内部研发来进行

血液癌症：通过倍诺达®及下一代的产品，保持在血液肿瘤CAR-T产品上的领先地位。扩大产品组合，通过新的技术、合作开发、授权许可机会或者商业化的合作，增加我们在BCMA或其他靶点上的机会。

平台技术：在世界一流的科学领导者带领下，建立药明巨诺的细胞治疗平台技术，包括通用型技术，转导和增强模块。

病毒载体生产能力：提高早期研发的技术创新能力，并在整个生命周期管理中建立载体生产设施。



实体瘤：根据现有的项目以及依靠新的内部自研能力，拓展公司的实体瘤管线。

业务拓展：利用药明巨诺在商业化、临床开发及生产上的优势，吸引新的技术、平台及合作伙伴，去拓展我们涵盖中国和亚洲地区的实体瘤及血液肿瘤的管线。

Become an Innovation Leader in Cell Immunotherapy

以创新为先导 成为细胞免疫治疗引领者