

SMART-ACT™ (SACT)

罕见病摘要

罕见病类型	7,000 以上
FDA批准的罕见病药物	770
缺乏治疗的罕见病	95%
罕见病临床试验数目	600
市场规模	2,230 亿美元
罕见病总发病率 (美国)	10%
罕见病药物销售复合年增长率 (19-24)	12%
非罕见病药物销售复合年增长率 (19-24)	6%

APTORUM 系统化解解决罕见病

非罕见病药物平均开发成本	2.9亿美元
SMART-ACT™ 平均药物开发成本	2-4千万美元
SMART-ACT™ 形态种类	小分子旧药新用
SACT-1 适应症	神经母细胞瘤

ALS-4 (MRSA 菌血症)

ALS-4

形态种类	小分子
机制	口服, 非抗生素, 创新药
市场规模	40亿美元 (2025)
MRSA 菌血症发病率(美国)	>130,000

抗传染病药物交易

84亿美金- 默克(Merck)收购 Cubist Pharmaceuticals (2014)
6.6亿美金- Roivant 引进 Intron 临床一期药物 (2018)

Claves (药物治疗微生物平台)

疾病 (70+ 适应症)

疾病 (70+ 适应症)	市场规模
1. 肥胖 (CLS-1)	60亿美元
2. 糖尿病	220亿美元
3. 心血管疾病	1,300亿美元
4. 肾功能衰竭	930亿美元
5. 阿兹海默症 (老年痴呆)	180亿美元

市场预测 (美国患病人口)

SACT-1	2018	2035 (预测)	ALS-4	2018	2035 (预测)	CLS-1	2018	2035 (预测)
美国总人口 (亿)	3.28	3.63	MRSA 菌血症	136,967	172,451	肥胖人口 (亿)	1.27	1.41
神经母细胞瘤病例	2,612	2,891	MRSA 肺炎	136,967	172,451			
其中属高危病例	1,175	1,301	MRSA 心内膜炎	68,484	86,226			
			MRSA 骨及关节感染	8,950	11,269			
			免疫功能低下患者	一千万以上	一千万以上			

关于潜在市场总量, 价格, 市场占有率和高峰销售量的假设摘要

	开发阶段	临床阶段	发病率	平均售价	预计	2024 预计	2024 预计	2030 预计	2030 预计
		成功几率	(2020, 美国)	(美元)	推出年份	市场占有率	销售量 (亿美元)	市场占有率	销售量 (亿美元)
SACT-1 (神经母细胞瘤)	(旧药新用) 临床二/三期	24.6%	2,612	204,900	2022	25%	0.43	50%	1.1
ALS-4 (MRSA 菌血症)	临床前	69.5%	136,967	14,639	2022	25%	2.84	75%	12.5
CLS-1 (肥胖)	临床前	61.1%	127,335,000	513	2024	10%	0.3	20%	10.3
DOI (更年期综合症)	功能性保健产品	不适用	36,520,000	200	2020	1%	0.52	5%	3.6

最新项目进展:

→ 先导项目

→ 其他候选产品

→ 预计时间表

注: 所有预计时间均指所示阶段的预计开始时间

研究性新药(IND) 505(b)(2)申请²

项目	适应症	作用机制	电脑计算已批药物 对接和靶点发现	体外验证	现有临床 一/二期数据 ¹	体内验证	桥接研究	小规模 临床二/三期 ³
SACT-1	神经母细胞瘤	旧药新用	→	→	→	→ 2019 第4季	→	准备2020下半年 进入临床阶段
SACT-2	尚未披露	旧药新用	→	→	→	→	→	
SACT-3	尚未披露	旧药新用	→	→	→	→	→	

项目	适应症	作用机制	靶点发现	先导化合物优化	筹备新药 临床研究申请	临床一期	临床二/三期
ALS-4	金黄色葡萄球菌 (包括耐甲氧西林菌)	抗毒力	→	→ + 口服制剂	→ 2019 第3季	→ 2020 下半年	LPAD监管途径 ⁴
CLS-1	肥胖	药物治疗 微生物群	→	→	→ 2019 第4季	→ 2020 第2季	→ 2020 第4季

项目	形态种类	适应症	配方	商业化
DOI (NLS-2)	功能性保健产品	更年期综合症 ⁵	→	→ 2020 第1季

可根据要求提供行业数据, 市场规模和财务预测的来源。有关我们项目的详细说明, 请到 ir.aptorumgroup.com

- 指先前由第三方进行的临床一/二期安全性数据。不涉及或代表Aptorum进行的临床试验
- 在获得FDA逐案批准的情况下, 505(b)(2)可以部分依赖已批准药物的现有数据(例如FDA先前关于安全性和功效的发现)或公共领域的的数据
- 须经FDA批准
- ALS-4 有可能符合申请FDA监管途径LPAD的资格。若经批准会促进临床阶段所需时间。在临床二期针对其他适应症可能会影响估值, 确定适应症后可申请QIDP监管途径
- 英国广播公司新闻: “激素替代疗法的全国短缺增加了更年期的压力” 2019年8月