

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	抗毒力小分子
机制	口服, 非抗生素·创新药
市场规模	40亿美元(2025)
MRSA菌血症发病个案(美国)	>130,000

第三方传染病药物或公司相关的并购交易

84亿美金-默沙东(Merck)收购Cubist Pharmaceuticals (2014)
6.58亿美金-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)

1. 肥胖症(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

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	肥胖症患者人口(亿)	1.27	1.41
神经母细胞瘤病例	2,612	2,891	MRSA 肺炎	1,969	2,479			
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	临床阶段成功几率	发病个案 (2020,美国)	平均售价 (美元)	预计推出年份	2024预计市场占有率 (亿美元)	2024预计销售量 (亿美元)	2030预计市场占有率	2030预计销售量 (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 (肥胖症)	临床前	61.1%	127,335,000	513	2024	10%	0.30	20%	10.3
NativusWell® (更年期综合症)	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<sup>1</sup>

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<sup>2</sup>

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 <sup>1</sup>	体内验证	试验用新药准备和提交	小规模临床二/三期 <sup>3</sup>
SACT-1	神经母细胞瘤	旧药新用	→	→	→	→	→	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	→	→				
SACT-COV19	新冠肺炎	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)	口服抗毒力小分子	→	→	+ 口服制剂 →	2020 下半年	LPAD监管途径 <sup>4</sup>

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
CLS-1	肥胖症	药物治疗微生物群	→	→	2020	2021	

项目	形态种类	目标客户	配方	商业化
NativusWell® DOI (NLS-2)	保健产品	绝经前后女性	→	2020年在香港推出

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, 请访问ir.aptorumgroup.com

1. 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  
2. 在获得FDA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)或公共领域的数据库  
3. 须经FDA批准  
4. 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

免责声明与前瞻性陈

本文件包含有关知临集团及其未来预期、计划和前景的陈述。这些陈述构成1995年「私人证券诉讼改革法案」界定的「前瞻性陈述」。为此目的, 此包含的任何非历史事实的陈述均可被视为前瞻性陈述。在某些情况下, 您可以通过诸如「可以」、「应该」、「预期」、「计划」、「预计」、「可能」、「打算」、「目标」、「项目」、「考虑」、「相信」、「估计」、「预测」、「潜在」或「继续」, 或者这些术语及其他类似表达的否定形式来识别前瞻性陈述。知临集团的这些前瞻性陈述, 其中包括有关申请提交、试验及商业化的预计时间表陈述、相关产品的市场潜力、主要基于其目前的预期及其对可能影响其业务、财务状况和经营业绩的未来事件和趋势的预测, 这些前瞻性陈述仅反映截至本文件发布之日的资讯, 并受若干风险、不确定性和假设的影响, 包括但不限于其宣布的管理和组织变更相关的风险、关键人员的持续服务和可用性、其通过其他消费者细分市场提供额外产品而扩充产品线的能力、开发结果、公司预期的成长策略、业务中的预期趋势和挑战、其对供应链的期望及供应的稳定性, 以及知临集团的20-F表格和未来知临集团可能向SEC提交的其他文件中更加充分披露的风险。因此, 这些前瞻性陈述中包含的预测可能会发生变动, 知临集团不承担因新资讯、未来事件或其他原因而更新本文件中包含的任何前瞻性陈述的义务。