

華安醫學股份有限公司

109 年度辦理學術徵案提案說明

華安醫學股份有限公司開發的 ENERGI 小分子藥物平台，迄今已通過兩件台美 FDA 核准的臨床二期試驗，試驗解盲結果皆符合實驗預期設計，並持續規劃全球三期臨床試驗。ENERGI 分子的特色為快速提升生物體內 ATP 水平，應用於促進傷口癒合及延緩老化等適應症已證實功效，基於目前已知的 ENERGI 分子特色，特此廣邀學界眾位先進，踴躍參與華安醫學辦理的學術徵案活動，根據使用的藥物來源，分為(1) ENERGI 委託研究案及(2) 合作開發案，提案說明簡述如下：

1. ENERGI 委託研究案：以華安醫學提供的活性成分 ENERGI，根據該藥物特性，指定適應症疾病模式種類如下：
 - (1) 帕金森氏症 (Parkinson's disease)；
 - (2) 阿茲海默症 (Alzheimer's disease)；
 - (3) 器官損傷後纖維化 (Fibrosis)；
 - (4) 乾眼症 (Dry eye syndrome)；
 - (5) 細胞激素風暴 (Cytokine Release Storm)；
 - (6) 口腔黏膜炎 (Oral Mucositis)；
 - (7) 其他 (Others)。
2. 合作開發案：
 - (8) 藥品新適應症開發；
 - (9) 冠狀病毒藥物開發。

◆提案說明(1)：帕金森氏症

- I. 本委託研究案主要目的，為驗證華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，用於減緩帕金森氏症疾病進程之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- II. 申請團隊需提供下列任一種帕金森氏症實驗動物模型，包括基因遺傳或腦部注射 pre-formed fibrils 誘發腦部蛋白質不正常堆積路易體之實驗動物，主持人應具備

帕金森氏症之研究能量，評估帕金森氏症疾病程度的行為測量經驗及相關研究的論文發表記錄。

- III. 申請團隊具備帕金森氏症體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(2)：阿茲海默症

- I. 本委託研究案主要目的，為驗證華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，用於減緩阿茲海默症疾病進程之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- II. 申請團隊需提供阿茲海默症之實驗動物模型，包括誘發腦部蛋白質不正常堆積的阿茲海默症基因遺傳實驗動物、評估疾病程度的測量經驗及相關研究的論文發表記錄。
- III. 申請團隊具備阿茲海默症體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(3)：器官損傷後纖維化

- I. 臨床缺血再灌注、敗血症、感染發炎反應等眾多因素，將導致多重器官損傷而逐漸纖維化，本委託研究案主要目的，為驗證華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，用於減緩器官損傷後纖維化進程之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- II. 申請團隊需提供器官損傷後纖維化之實驗動物研究模型，包括至少一種器官損傷後纖維化疾病動物模式、評估疾病程度的測量經驗及相關研究的論文發表記錄。
- III. 申請團隊具備器官損傷體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(4)：乾眼症

- I. 淚液分泌不足或淚液蒸散過度，將導致乾眼症候群。本委託研究案主要目的，為評估華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，用於加速受損角膜、結膜修復之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- II. 申請團隊應提供下列任一種研究乾眼症實驗動物模型，包括基因遺傳、環境或藥物誘發之實驗動物，評估疾病程度的測量經驗及相關研究的論文發表記錄。
- III. 申請團隊具備乾眼症體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(5)：細胞激素風暴

- I. 重度發炎、感染或體外大量移植細胞等因素，造成免疫系統過度活化，將導致生物體內產生細胞激素風暴。本委託研究案主要目的，為評估華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，用於減緩生物體發生細胞激素風暴之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- II. 申請團隊應提供細胞激素風暴之實驗動物模型，包括至少一種誘發細胞激素風暴疾病動物模式、評估疾病程度的測量經驗及相關研究的論文發表記錄。
- III. 申請團隊具備細胞激素風暴體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(6)：口腔黏膜炎

- I. 臨床化學藥物治療或放射線治療過程，將導致患者口腔與腸道的黏膜受損、發炎、潰瘍。本委託研究案主要目的，為評估華安醫學提供小分子化合物 ENERGI，加速黏膜傷口癒合之非臨床動物確效試驗，關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥

物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。

- II. 申請團隊應提供下列任一種口腔黏膜炎之實驗動物模型，包括基因遺傳、環境或藥物誘發之實驗動物、評估疾病程度的測量經驗及相關研究的論文發表記錄。
- III. 申請團隊具備口腔黏膜炎體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(7)：其他

- I. 本項委託研究案邀請有意參與 ENERGI 開發的計劃主持人，自訂擅長的動物疾病研究模型，參與本項提案計劃，動物適應症種類不限，敝司根據該類適應症在全球藥物市場上的未滿足需求(Unmet need)，評估計劃執行的可行性。
- II. 關於 ENERGI 的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，請計劃主持人電洽華安醫學業務負責人，根據擅長的動物研究模型，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- III. 申請團隊應具備自訂動物疾病研究模型之基礎研究能量，包括動物模式、評估疾病程度的測量經驗，及相關研究的論文發表記錄。
- IV. 申請團隊具備自訂動物疾病研究模型體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(8)：新適應症開發(申請團隊自行提供藥物來源)

- I. 本項合作開發案主要目的，為鼓勵計畫團隊提出老藥新用 (drug repurposing/repositioning) 的研究計畫，計畫團隊應自行指定目標化合物新式作用機制，針對可能具有潛力之適應症進行基礎研究設計，指定目標藥物新式作用機制，須符合該適應症在藥物市場的未滿足需求，試驗結果供做臨床前有效性數據，以支持未來臨床使用的合理性。為避免雙方未簽約前機密資訊揭露，計畫團隊得以針對目標化合物使用代號，然而目標化合物的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，仍請提供足夠資訊作為計畫審查用途。
- II. 申請團隊應針對標的藥物，提供合理的適應症動物模式及有效評估疾病程度的指標。計畫主持人若需要實驗動物類型選擇、疾病評估指標、試驗設計或全球藥品市場評估等建議，請電洽華安醫學業務負責人，根據擅長的動物研究模型，於計畫申請書內調整合理的試驗設計。
- III. 申請團隊具備自訂動物疾病研究模型體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。

◆提案說明(9)：冠狀病毒藥物開發

- I. 著眼於全球新興冠狀病毒疫情持續擴大，全球藥物市場的冠狀病毒藥物研發，仍以老藥新用為主，藉此快速進入臨床試驗，現階段仍缺乏專一且有效的治療藥物。本公司指定針對各類冠狀病毒，進行藥物前導開發研究，依據冠狀病毒生命週期在感染、擴增、組合、釋放等層次，邀請國內先進提供合宜藥物研發策略，以符合未來藥物市場的未滿足需求，試驗結果供做臨床前有效性數據，以支持未來臨床使用的合理性。為避免雙方未簽約前機密資訊揭露，計畫團隊得以針對目標化合物使用代號，然而目標化合物的預期治療標靶藥理作用、藥物作用機轉、使用劑量及途徑，仍請提供足夠資訊作為計畫審查用途。

- II. 申請團隊應針對標的藥物，提供合理的試驗模式及有效評估疾病程度的指標。計劃主持人若需要下列建議，包括實驗類型選擇、疾病評估指標、試驗設計或全球藥品市場評估，請電洽華安醫學業務負責人，根據擅長的研究模型，於計劃申請書內調整合理的試驗設計。
- III. 申請團隊具備自訂疾病研究模型體內/體外(*in vivo/in vitro*)藥理試驗測試平台優先考慮，本公司可協助分析藥物之作用機轉。