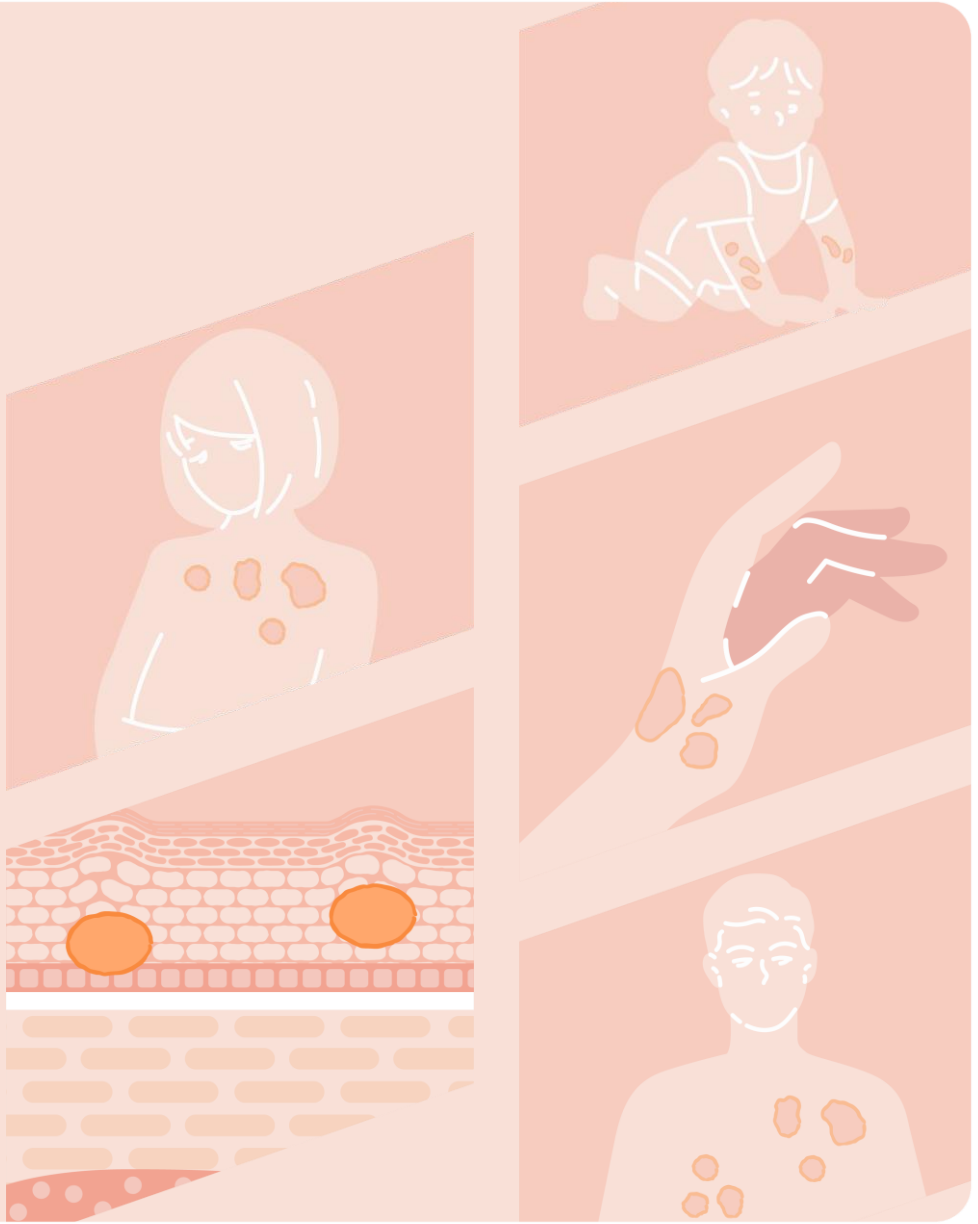
安成生物科技股份有限公司
TWI Biotechnology, Inc.

全球 2/3 期臨床試驗 (EBShield Study) 解盲報告



興櫃股票代號：6610

2026/10/19

主講人



吳怡君

董事長



蔡承恩 醫師/博士

總經理兼醫務長



林俞妤 博士

醫藥研究處 代理處長



陳姿璇 博士

商業開發處 代理處長

全球 2/3 期臨床試驗 (EBShield Study)重點結果摘要

全球多國多中心樞紐臨床試驗，在19個國家，37個試驗中心

主要療效指標(IGA達到0-1分)的比率，雖未達統計顯著，但**優於安慰劑**

關鍵生活品質指標疼痛與搔癢和安慰劑相比，雙雙達到**統計顯著**

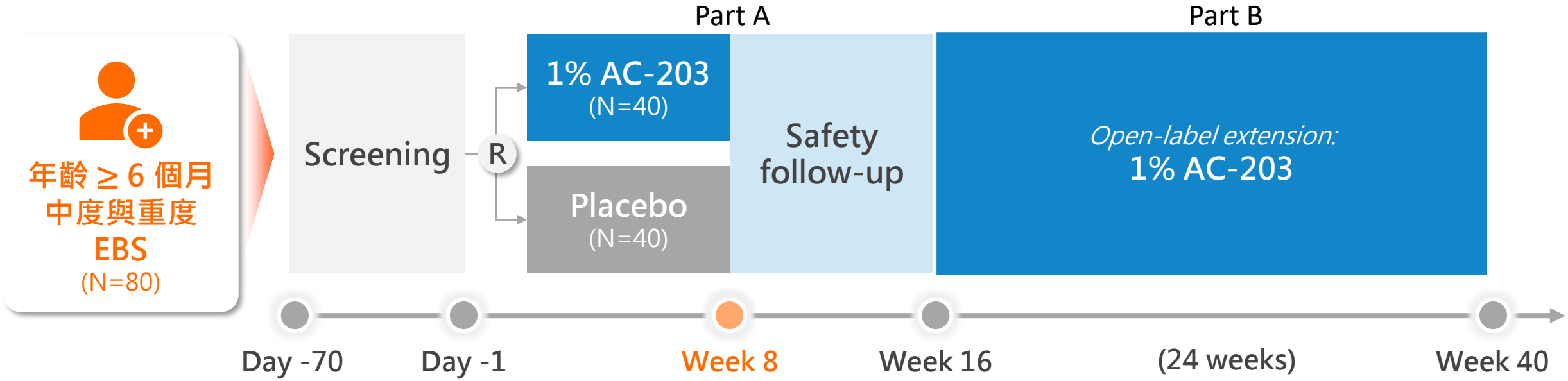
安全性整體良好，**未觀察**到與藥物相關的嚴重不良反應事件



目標**2027年第一季**與美國FDA和EMA召開會議，
溝通目前數據的價值以及未來法規路徑

IGA: Investigator’ s Global Assessment（皮膚水皰、糜爛與痂皮之嚴重程度評分）

AC-203 治療EBS 全球 2/3 期臨床試驗 (EBShield Study)



主要試驗指標

- IGA 分數減少至少 2 分並符合 0-1 分的受試者比率

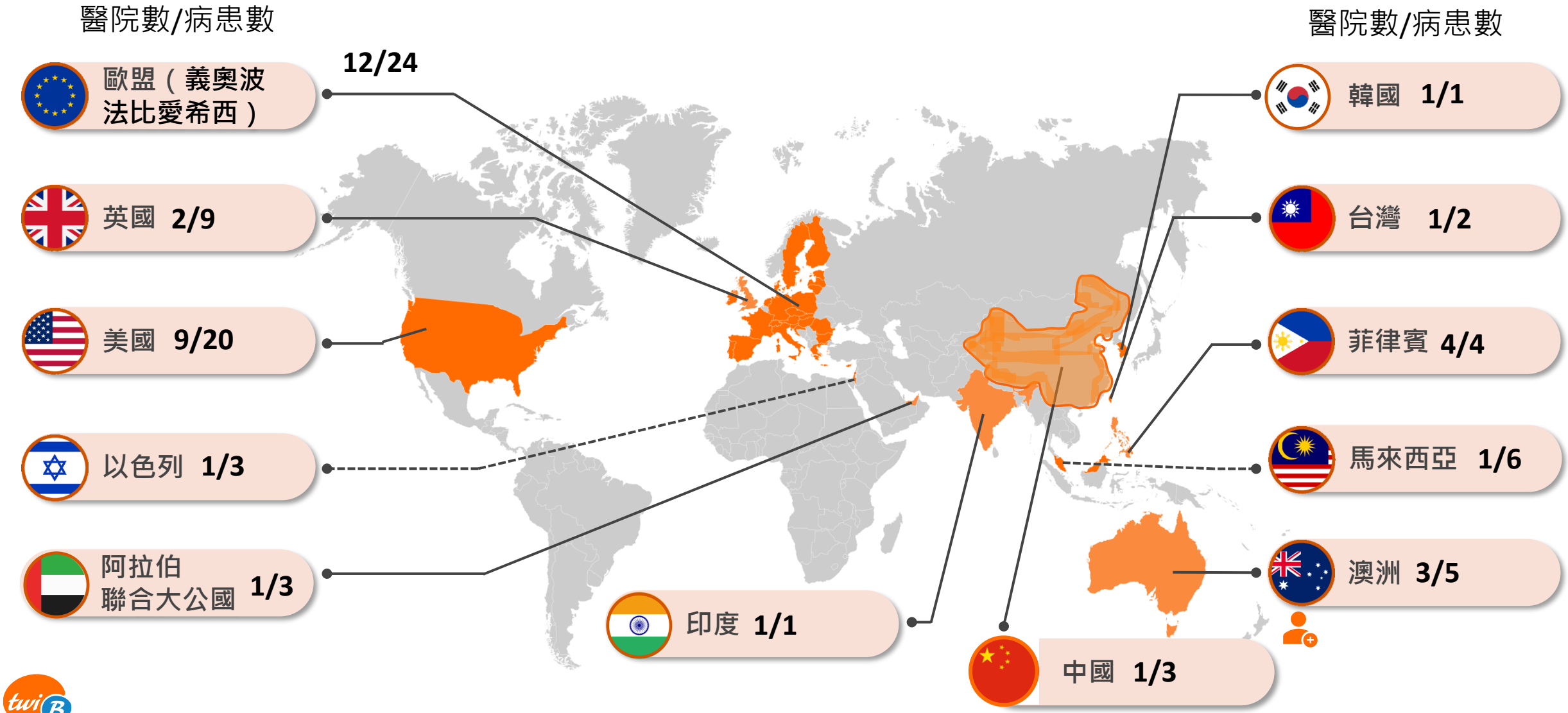
次要試驗指標

- 患部 BSA 改變量
- 疼痛指數改變量、發癢指數改變量
- QOLEB 改變量、EBDASI 分數改變量

*試驗編號 NCT06073132

BSA: body surface area; **EBS:** epidermolysis bullosa simplex; **EBDASI:** EB disease activity and scarring index（EB 嚴重程度評分）; **IGA:** Investigator’ s Global Assessment（皮膚水皰、糜爛與痂皮之嚴重程度評分）; **QOLEB,** quality of life in EB（EB 患者生活品質自評問券）

EBShield Study於全球19個國家、37個試驗中心執行

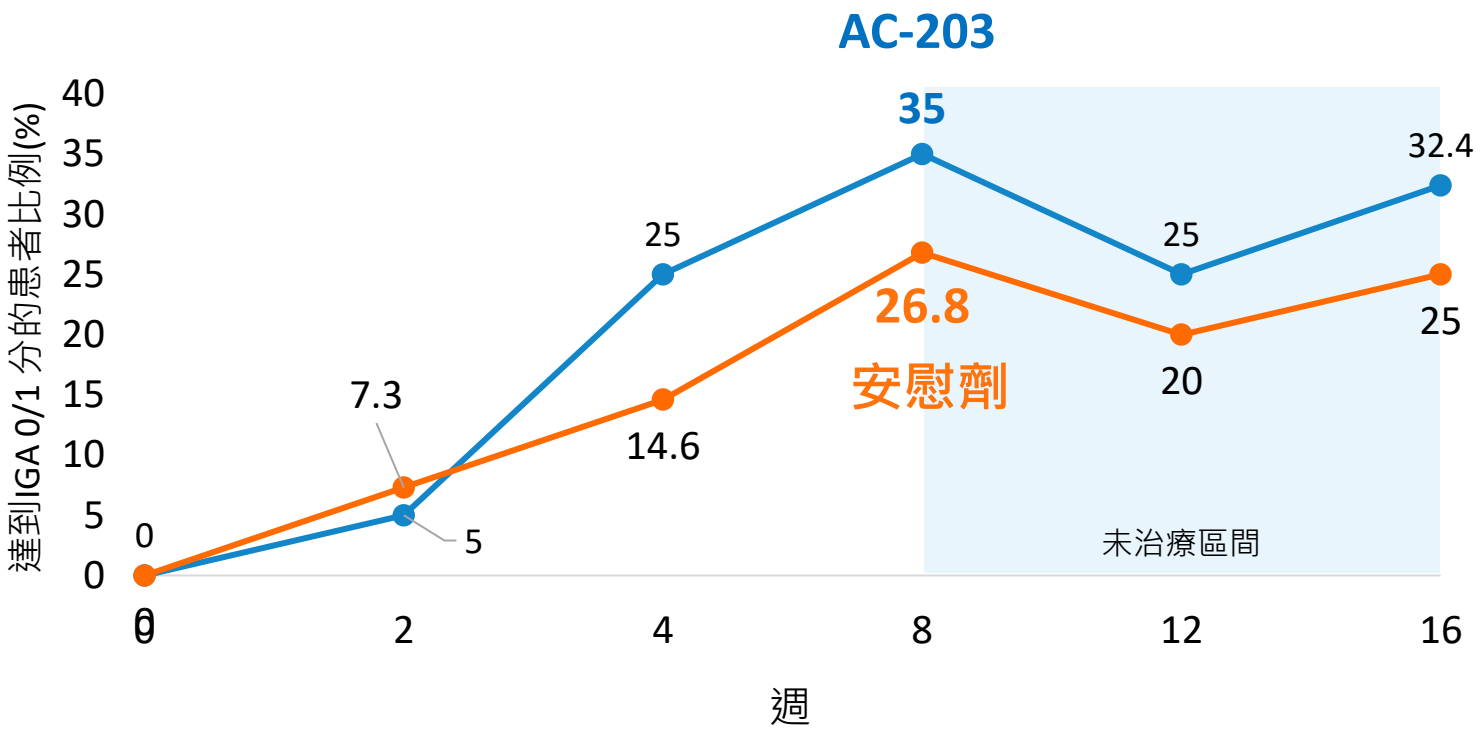


各組患者基線特徵均衡，且疾病嚴重程度相仿

病患特徵	AC-203 (人數=40)	安慰劑組 (人數=41)	總人數 (人數=81)
EBS 亞型, 病患數 (%)			
中度	15 (37.5)	15 (36.6)	30 (37.0)
重度	25 (62.5)	26 (63.4)	51 (63.0)
基因突變型, 病患數 (%)			
KRT5	14 (35.0)	18 (43.9)	32 (39.5)
KRT14	24 (60.0)	23 (56.1)	47 (58.0)
KRT5 與 KRT14 兩者兼具	2 (5.0)	0	2 (2.5)
基線IGA評分, 病患數 (%)			
3 分	22 (55.0)	27 (65.9)	49 (60.5)
4 分	18 (45.0)	14 (34.1)	32 (39.5)
基線治療區域內的傷口體表面積(%)	10.9 (11.7)	12.8 (10.9)	11.8 (11.3)
身高 (公分)	114.7 (28.4)	114.1 (31.4)	114.4 (29.8)
體重 (公斤)	25.9 (20.8)	27.2 (21.5)	26.6 (21.0)
身體質量指數(BMI), kg/m²	17.2 (5.1)	17.8 (4.8)	17.5 (4.9)

主要療效終點 (IGA)雖未達統計意義，但仍優於安慰劑

IGA達到0-1的患者比例在各週的變化 (Part A)



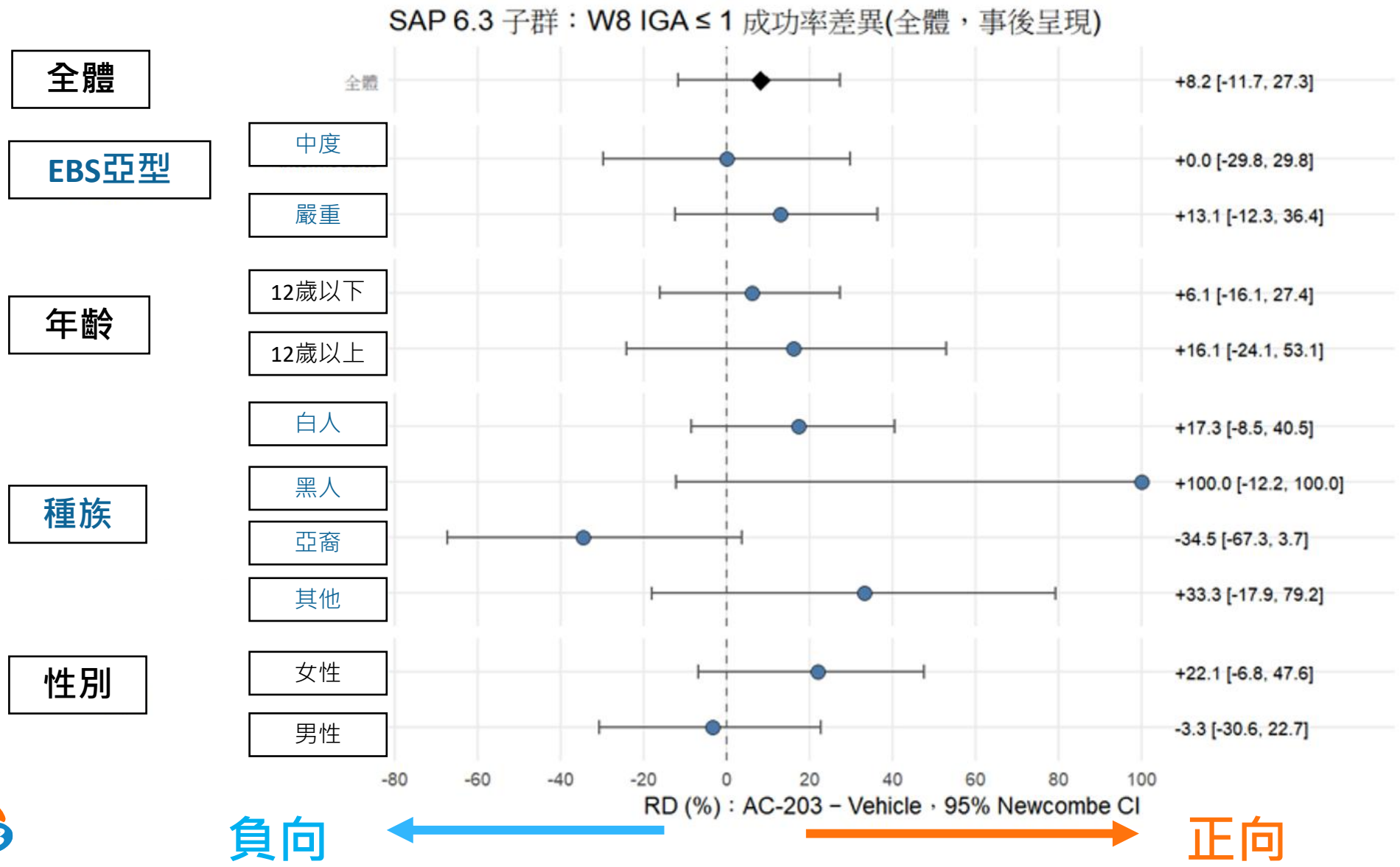
用藥組達到IGA 0-1分比率優於對照組比率： 8.2%

P=0.426

IGA 達到0/1 分的患者比率 (%)(治療成功)			
週	AC-203	安慰劑	整體受試者分析 P值
0	0	0	
2	5.0	7.3	
4	25.0	14.6	
8	**35.0**	**26.8**	0.426
12	25.0	20.0	
16	32.4	25.0	

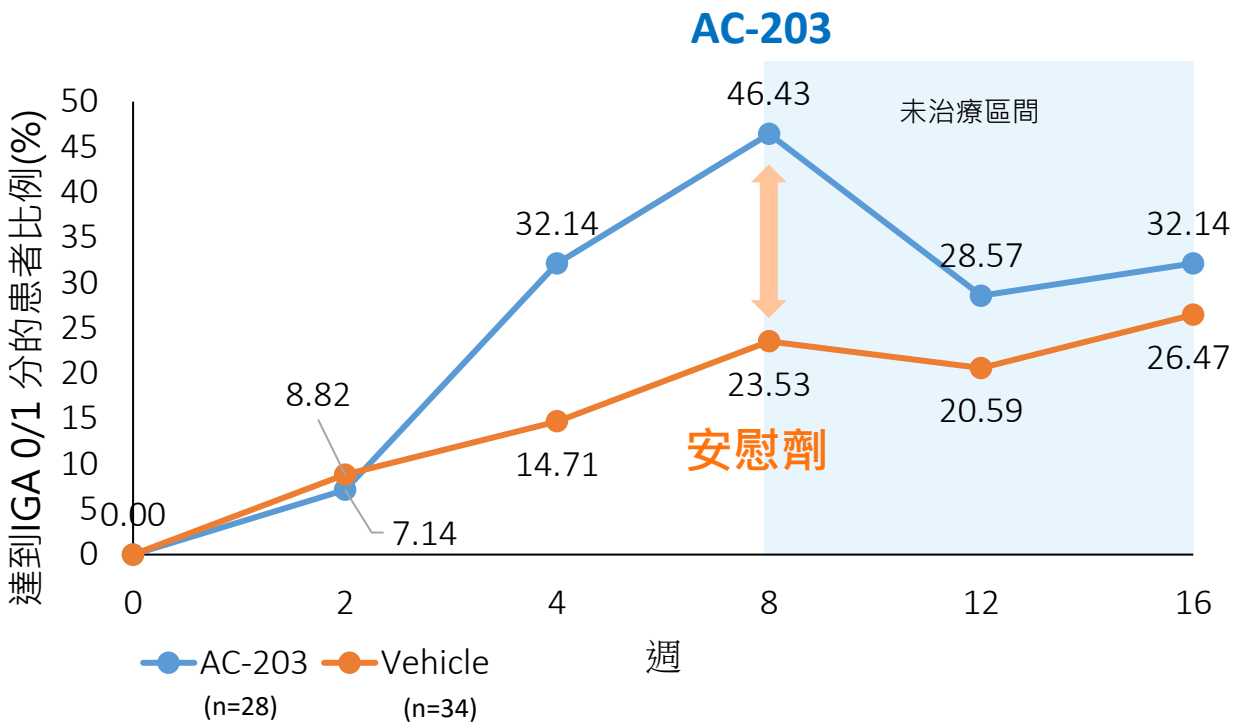
整體受試者分析:納入所有隨機分派的病人，評估整體治療效果

IGA 次族群分析，AC-203組整體優於安慰劑組

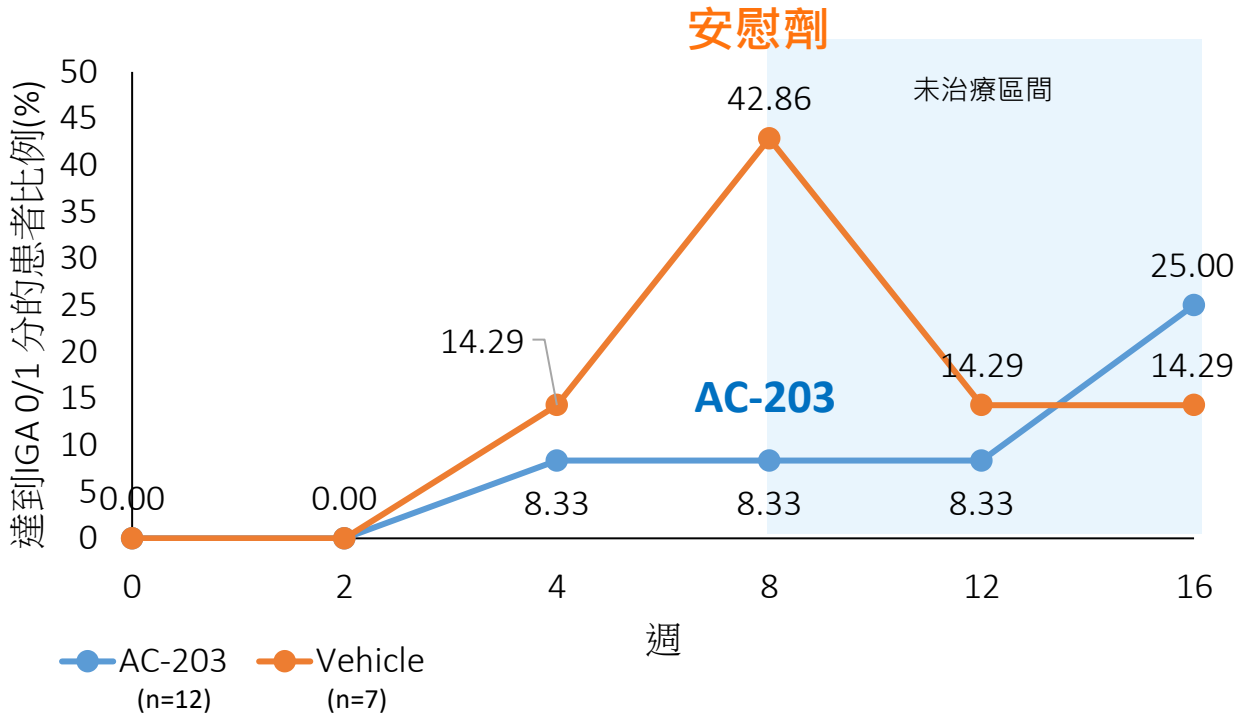


IGA 次族群分析，顯示非亞裔病人相對有效

IGA達到0/1的患者比率在各週的變化 (**非亞裔**病患; n=62)



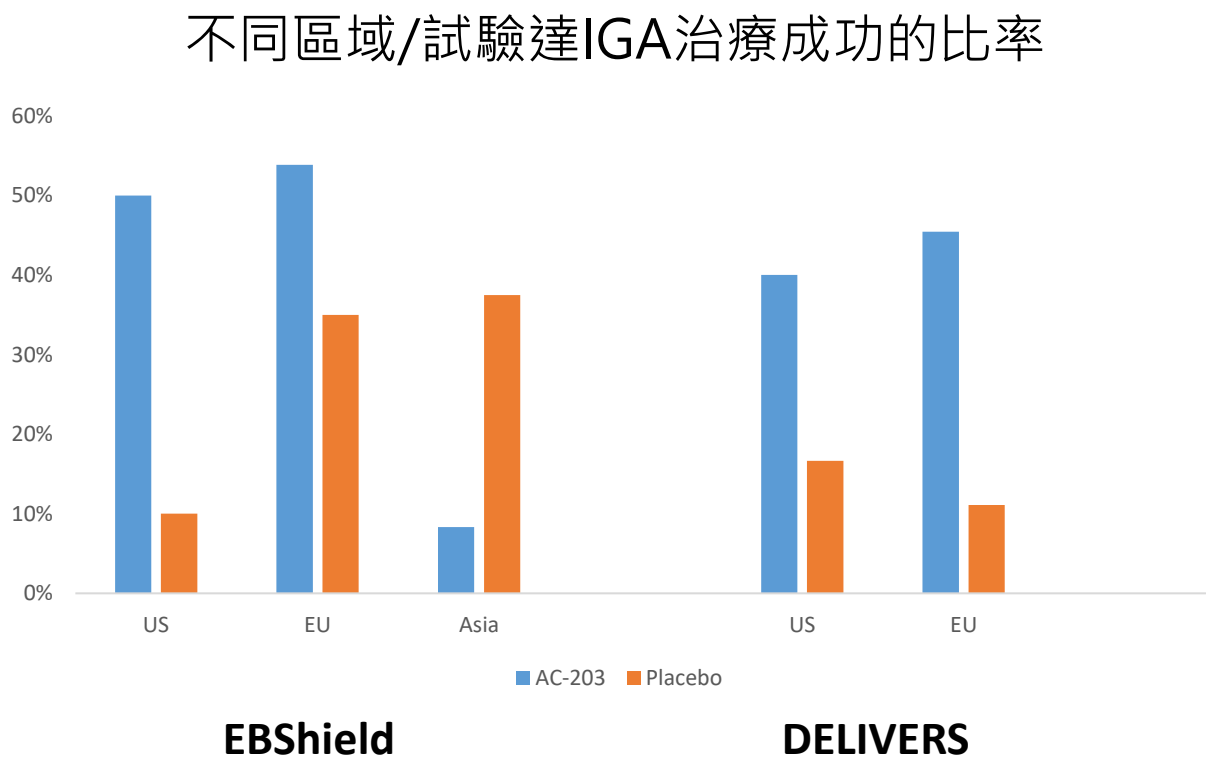
IGA達到0/1的患者比率在各週的變化 (亞裔病患; n=19)



用藥組達到IGA 0-1分比率優於對照組比率： 22.9%
P=0.049*

*依計畫書分析集所計算之P值: 納入符合預定分析條件、無影響療效評估之重大計畫書偏差的病人，評估依計畫書執行下的治療效果

IGA的反應率在各個國家亦呈現不同的樣態



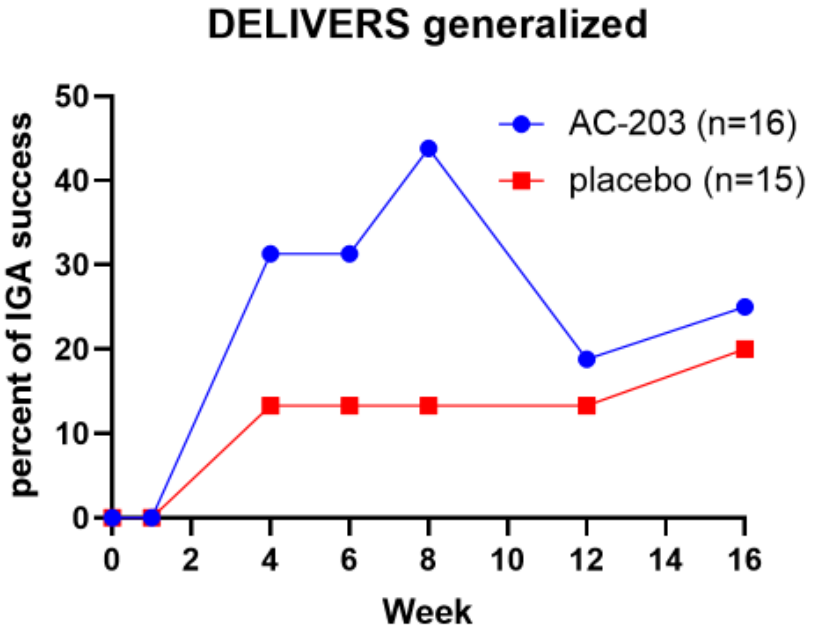
EBShield – 各地區治療反應率

地區	AC-203	Placebo	反應率差異
美國	50% (5/10)	10% (1/10)	+40%
歐洲	54% (7/13)	35% (7/20)	+19%
亞洲	8% (1/12)	38% (3/8)	−29%

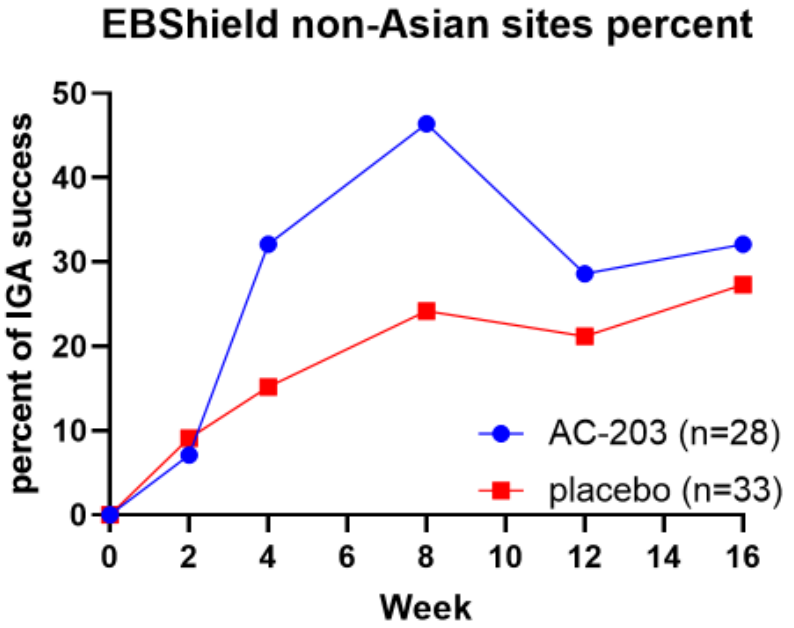
DELIVERS – 各地區治療反應率

地區	AC-203	Placebo	反應率差異
美國	40% (2/5)	17% (1/6)	+23%
歐洲	45% (5/11)	11% (1/9)	+34%

EBShield試驗重複DELIVERS試驗之結果

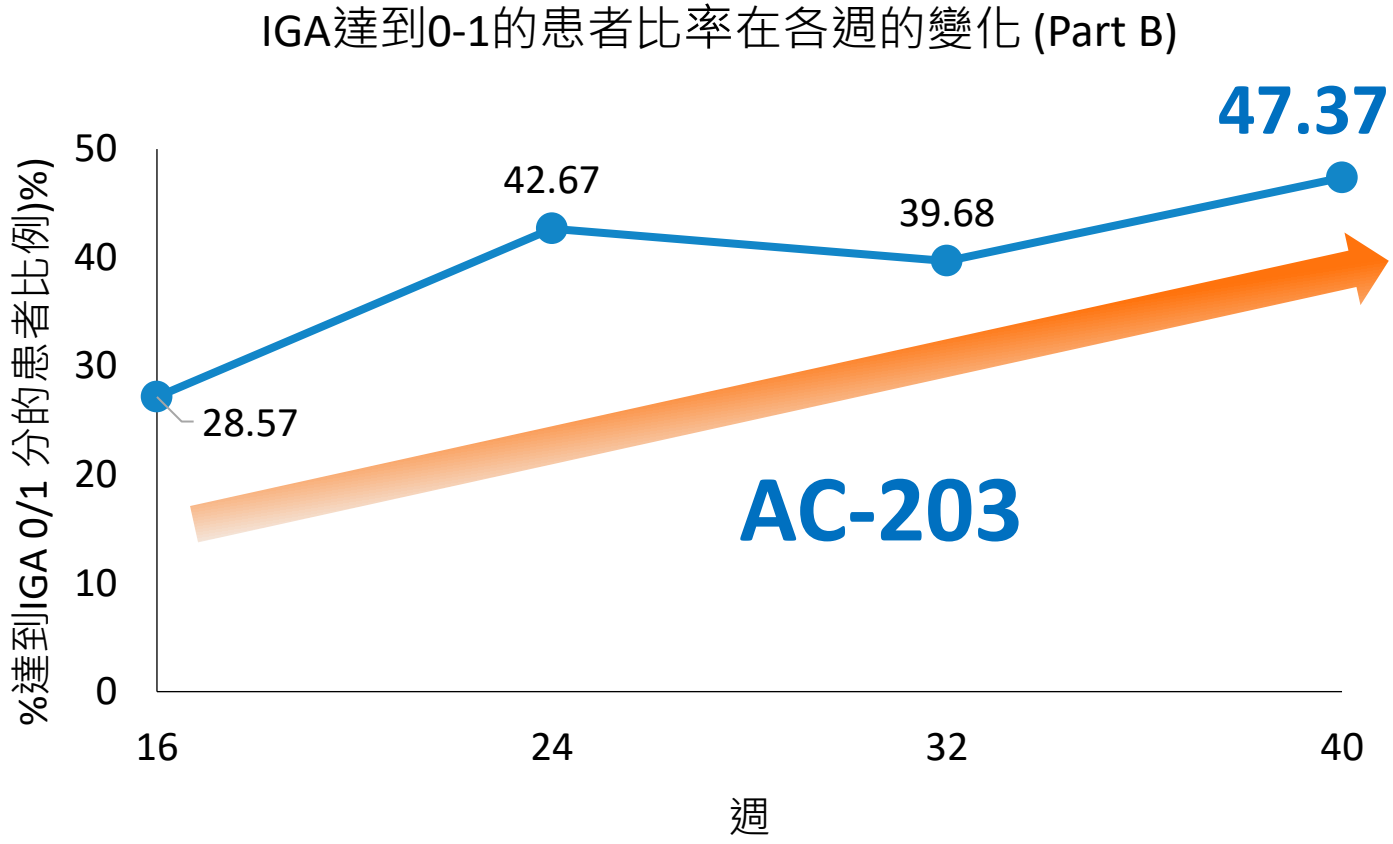


非亞洲與DELIVERS相同試驗中心比較:
AC-203組的比率相似(13/28);
安慰劑略高(8/33)



EBShield 試驗和DELIVERS 試驗在相同試驗區域所產生的療效類似

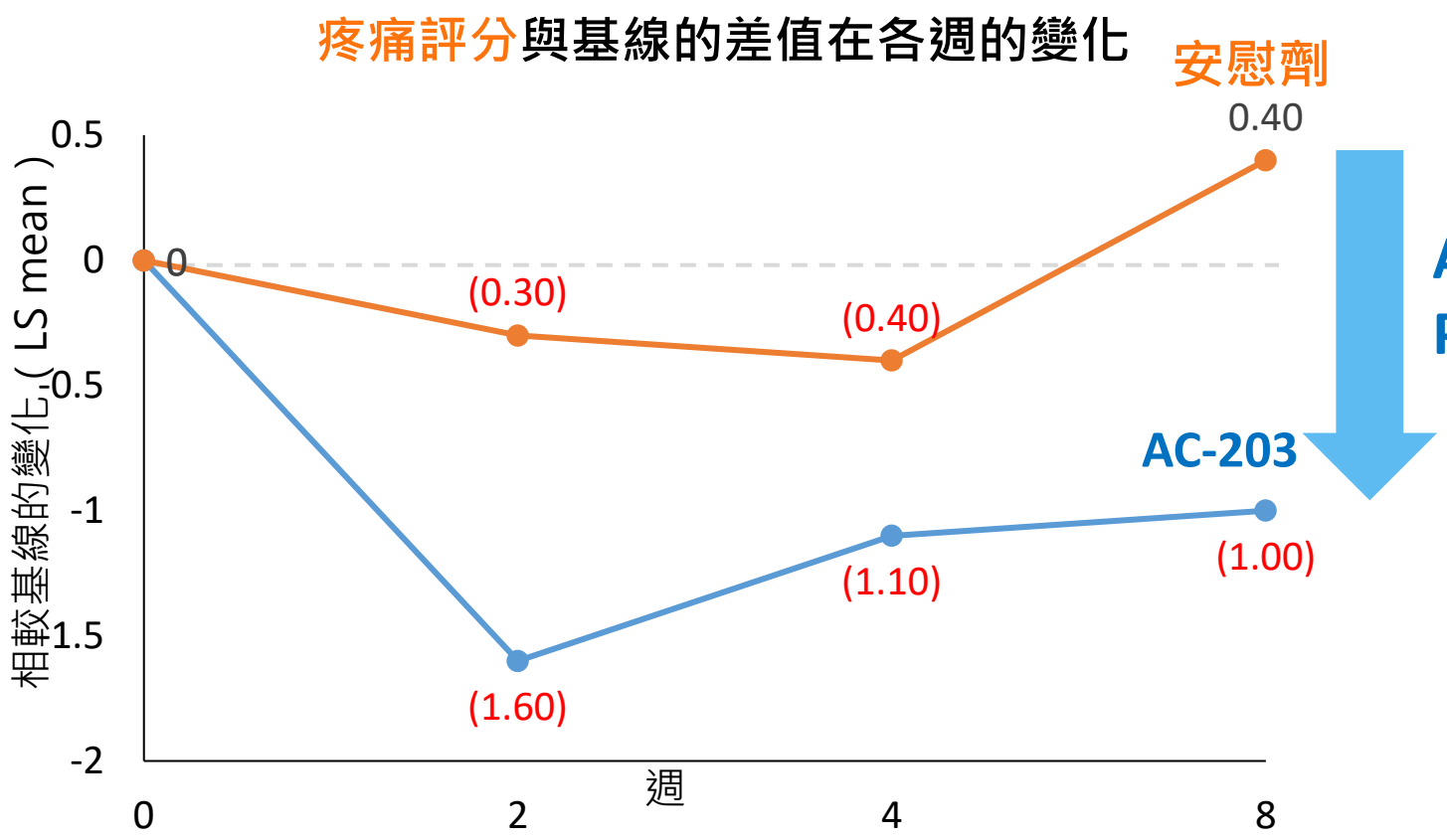
持續進行中的開放標籤試驗(Part B)，治療成功近50%



病患於Part B開放標籤延伸試驗，繼續接受6個月的治療，

其中達到IGA 0–1分(表示治療成功)患者比率將近50%

次要療效終點:相較安慰劑，AC-203可顯著降低疼痛評分



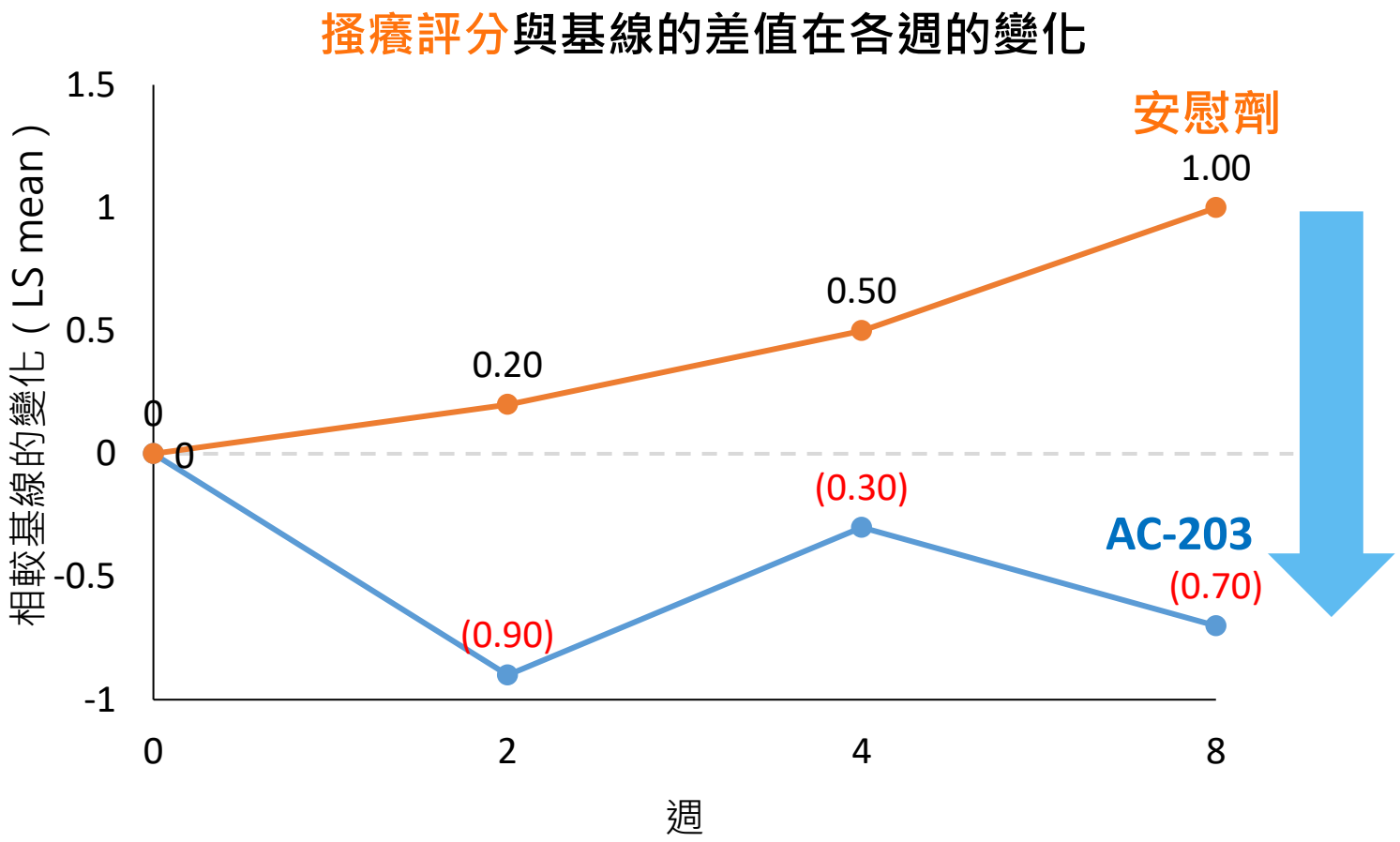
AC-203組比安慰劑組下降 1.4分
P=0.025

疼痛評分與基線的差值在各週的變化				
時間點	AC-203*	安慰劑*	組間差異	P值
第2週	−1.6 (±0.35)	−0.3 (±0.36)	−1.3 (±0.47)	**0.007**
第4週	−1.1 (±0.44)	−0.4 (±0.45)	-0.7 (±0.60)	0.273
第8週	−1.0 (±0.45)	0.4 (±0.45)	−1.4 (±0.61)	**0.025**

*LS mean (SE)

註：疼痛評估適用於 ≥3 歲受試者

次要療效終點:相較安慰劑，AC-203可顯著降低搔癢評分



AC-203組比安慰劑組下降 1.7 分
P=0.023

搔癢評分與基線的差值在各週的變化				
時間點	AC-203*	安慰劑*	組間差異	P值
第2週	−0.9 （±0.46）	0.2 （±0.43）	−1.1 （±0.62）	0.077
第4週	−0.3 （±0.55）	0.5 （±0.51）	-0.8 （±0.74）	0.306
第8週	−0.7 （±0.54）	1.0 （±0.49）	−1.7 （±0.72）	**0.023**

*LS mean (SE)

註：搔癢評估適用於 ≥6 歲受試者

其餘次要指標之結果

在治療八週後其餘次要療效指標與基線的差值，和安慰劑相比，未達統計顯著

- 病灶所佔體表面積(BSA)百分比： P = 0.785
- 表皮分解性水皰症疾病活動度評分EBDASI： P = 0.759
- 患者生活品質評估QOLEB Score： P = 0.465

AC-203試驗過程中整體安全性良好

安全性項目（第1天至第12週）	AC-203（N=40）	安慰劑（N=41）
任何TEAE	25（62.5%）	31（75.6%）
與試驗藥品相關的TEAE	3（7.5%）	3（7.3%）
重度TEAE	0	1（2.4%）
嚴重不良事件（SAE）	0	2（4.9%）
與試驗藥品相關的SAE	0	0
因TEAE停止治療	1（2.5%）	0
因TEAE退出試驗	0	0
死亡	0	0
特別關注不良事件	0	1（2.4%）

1. **雙盲期(Part A)**：為用藥8週加停藥後4週，共12週。
   - AC-203組TEAE發生率為62.5%
   - 安慰劑組TEAE發生率為75.6%
   - 與試驗藥品相關的TEAE比率相近（7.5% vs. 7.3%）。

2. **AC-203組無重度或嚴重不良事件**：僅1人因藥品相關TEAE停止治療，但未退出試驗。

3. **不良事件的程度與嚴重性**：
   - 大多數TEAE為輕度或中度。
   - AC-203組未發生重度TEAE或嚴重不良事件。
   - 安慰劑組有1人發生重度TEAE，另有2人發生SAE。

TEAE：治療期間出現之不良事件。

FDA 罕見疾病框架倡議 (Rare Disease Framework Initiative)

FDA於2026 年 10 月 14 日發布罕見疾病框架倡議，目標建立更符合不同罕見疾病特性、患者需求及可取得臨床證據的藥物開發與審查框架，同時維持 FDA 的安全性與有效性標準。

將患者的實際疾病經驗，納入藥物開發及 FDA 審查決策，協助判斷哪些療效與風險對患者真正重要。

- **Disease burden (疾病負擔) :**了解疾病對日常生活、功能及生活品質的實際影響。
- **Benefit-risk priorities (效益與風險優先考量):** 了解患者如何看待治療效益與副作用風險，以及哪些改善最值得追求。
- **Meaningful measures of progress (具臨床意義的改善指標) :** 協助辨識哪些症狀或功能改善對患者最重要，可作為療效評估的參考。

https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-launches-rare-disease-framework-initiative-develop-holistic-fit-purpose-framework-rare-disease

罕見疾病藥物具有法規彈性

對於罕見疾病，FDA和EMA提供了相當的法規彈性。下表摘要三期樞紐試驗主要療效指標未達顯著差異，但在充分與法規單位溝通後，利用其他支持性證據或上市後承諾仍取得藥證之案例。

商品名	公司	批准時間	適應症
Forzinity	Stealth	FDA: 2025/09/19 (加速核准)	Barth syndrome 患者的肌力改善
Elevidys	Sarepta	FDA: 2023/06/22 (加速核准)	杜興氏肌肉失養症（DMD）
Besremi	藥華藥	EMA: 2019/02/15 FDA: 2021/11/12	成人真性紅血球增多症
Raxone	Chiesi	EMA: 2015/09/08	Leber 遺傳性視神經病變（LHON）所致視力障礙

安成生技會就目前數據積極與法規溝通，探詢所有可能性。

目標**2027年第一季與FDA和EMA召開諮詢會議**

與全球的罕病協會(DEBRA)保持密切關係

debra International

debra
because the cost of doing nothing is too great

EB RESEARCH PARTNERSHIP













twiB
安成生物科技股份有限公司
TWi Biotechnology, Inc











☑ 贊助病友會活動

AC-203 法規策略

- **2027年Q1**與美國FDA/歐盟EMA進行 **Pre-NDA & SA 會議**
- 如果法規單位**反應結果正向**，計畫向美國FDA及歐盟EMA**提交藥證申請**

主要策略方向

- 安成生技將以**不另做一個試驗為目標**，基於以下證據跟法規單位爭取
  - 目前已達顯著之次要療效指標(搔癢和疼痛)
  - 主要療效終點IGA之次族群分析
  - 開放標籤試驗的病患改善情況

其他面向

- 泡泡龍症為罕見疾病迄今無藥可醫
- 偕同罕病團體聲援訴求

*FDA: Food and Drug Administration; NDA: New Drug Application; EMA: European Medicines Agency

AC-203 法規時程規劃

2026Q4

- 持續進行Part B開放標籤試驗
- 解盲結果數據分析
- 準備FDA/EMA法規諮詢會議

2027H1

- **FDA/EMA 送件前法規諮詢會議**
- Part B試驗完成
- 準備申請藥證的完整數據和文件

2027 H2

- 如果諮詢會議結果正向，計畫向FDA和EMA遞交**藥證申請**
- **目標完成AC-203全球授權**

2028

- 目標於美國和歐盟**取得藥證**
- 在藥證獲批後，取得優先審查券**PRV進行交易**

*FDA: Food and Drug Administration; NDA: New Drug Application; EMA: European Medicines Agency

未來發展規劃

推動AC-203法規諮詢

- 2027年Q1與美國FDA/歐盟EMA進行**Pre-NDA & SA 會議**
- 如果法規單位**反應結果正向**，計畫向美國FDA及歐盟EMA提交藥證申請

AC-1101 圓禿症二期試驗

- 2026Q2 開展 AC-1101 **圓禿症**於台灣進行**2a期臨床試驗**申請。
- 2027Q3預計會有初步療效數據

NORA520 憂鬱症二期試驗

- **2026H2** 開展**劑量確認研究**
- **2027年**開展**重度憂鬱症二期臨床試驗**

開發新產品、新適應症

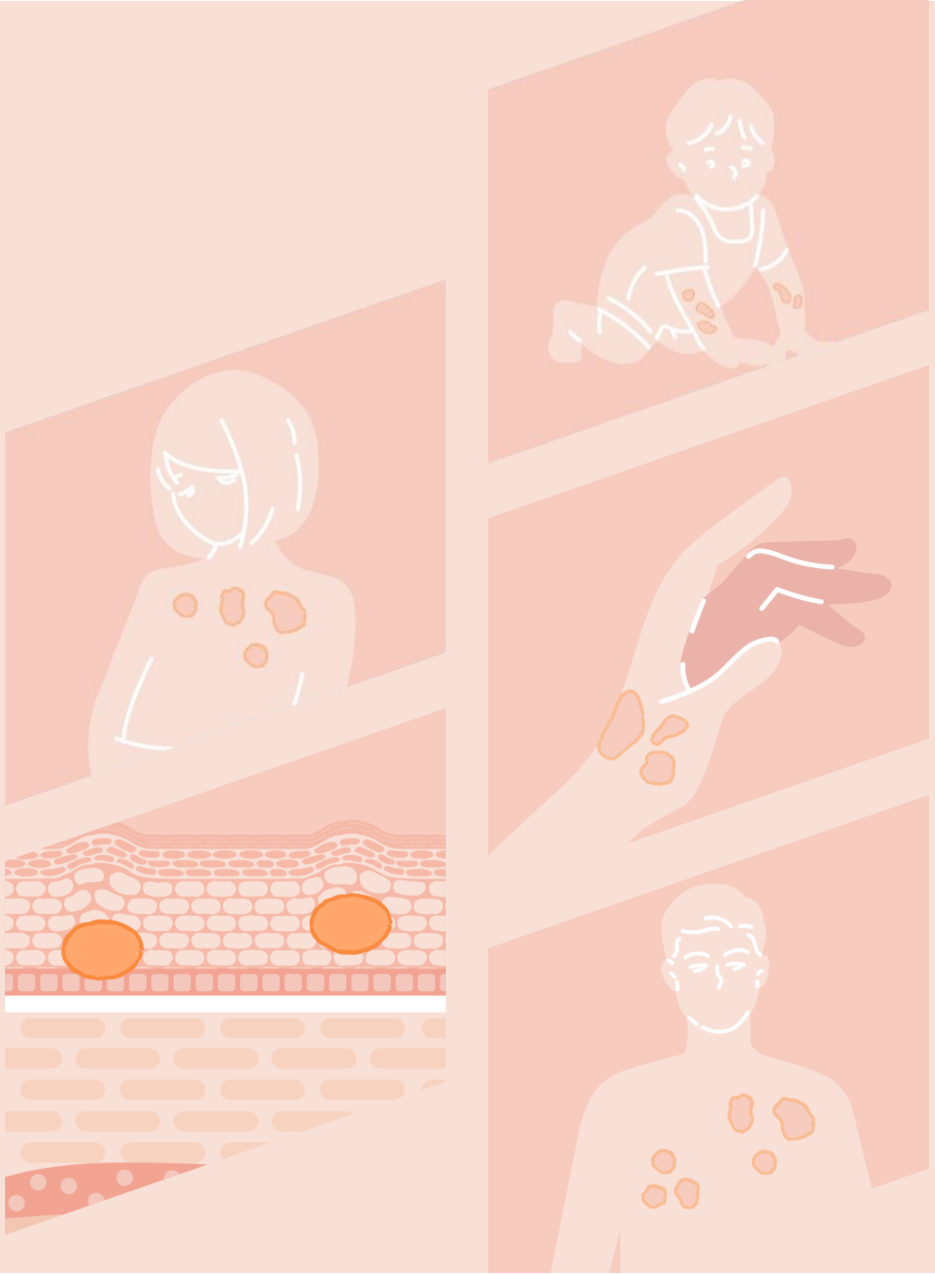
- 就現有各項藥品**開發新適應症**
- 持續開發**技術門檻高、市場潛力大**的新產品

全力進行商業授權

- 在世界各地尋求商業夥伴
- **2026年**全力推動 **AC-203 、 AC-1101 、 NORA520 全球及區域授權**

申請股票上市櫃

- 完成任一款新藥全球授權後，立即啟動以**科技事業**申請**股票上市櫃**相關作業



Thank you