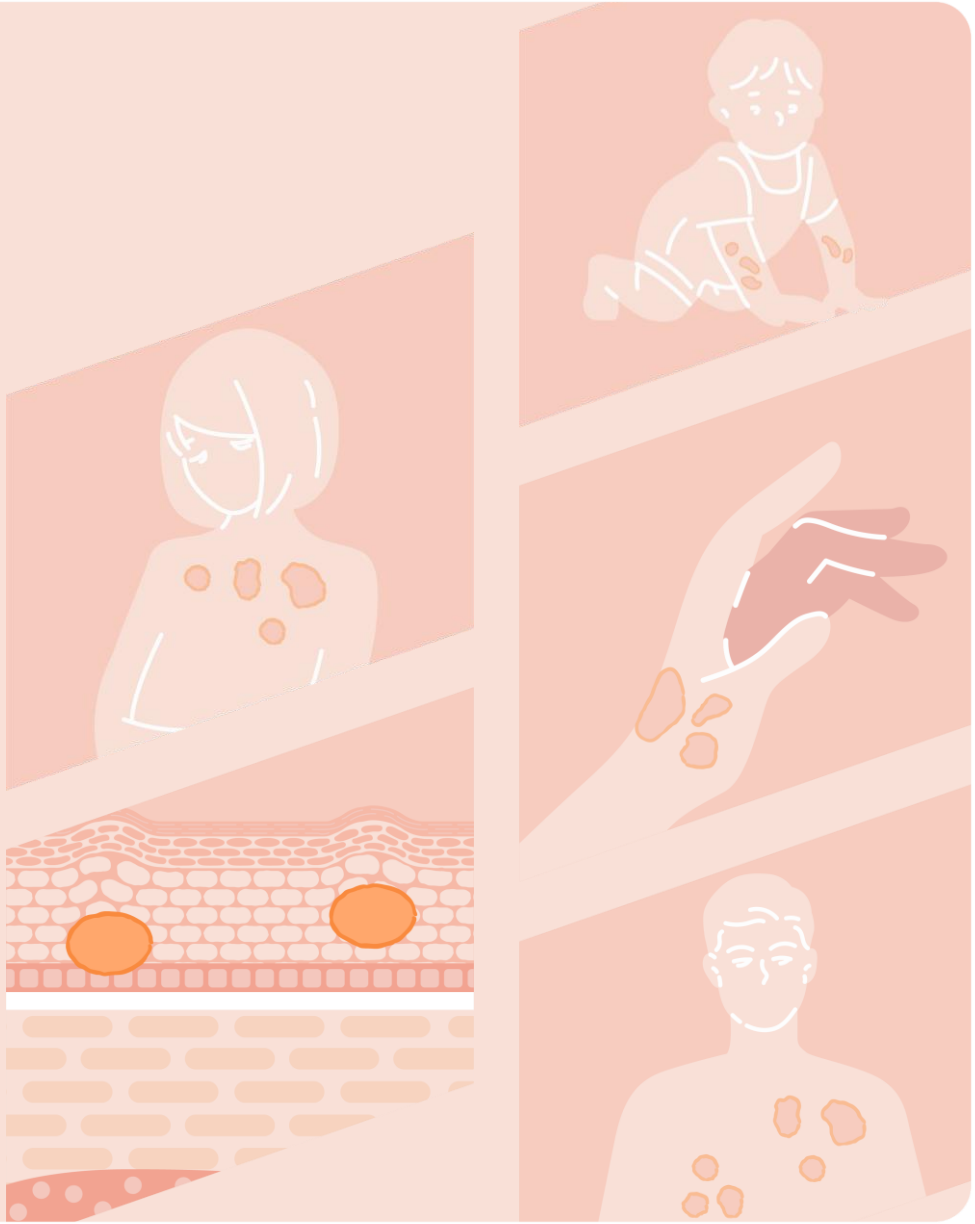
興櫃股票代號：6610

安成生物科技股份有限公司
TWI Biotechnology, Inc.

全球 2/3 期臨床試驗解盲結果報告



2026/10/30

免責聲明

- 本簡報及同時發佈之相關訊息內容，取自於公司內部與外部資料，其中包含產業概況、營運成果及財務狀況等內容。

- 本公司並未發佈財務預測，但本簡報所作之說明，若涉及本公司對未來公司經營與產業發展上之見解，可能與未來實際結果存有差異。此差異其造成之原因可能包括市場需求變化、價格波動、競爭行為、國際濟狀況、匯率波動、上下游供鏈等其他各種本公司所不能掌握之風險因素。

- 本簡報中對未來的展望，反應本公司迄今對未來的看法。對於這些看法未來若有任何改變或調整時，本公司並不負責隨時提醒或更新。

AC-203 治療 EBS 全球 2/3 期臨床試驗解盲結果摘要

多國多中心隨機雙盲試驗 (EBShield Study)，19個國家，37個試驗中心

分為Part A及Part B ，總共治療81名病患

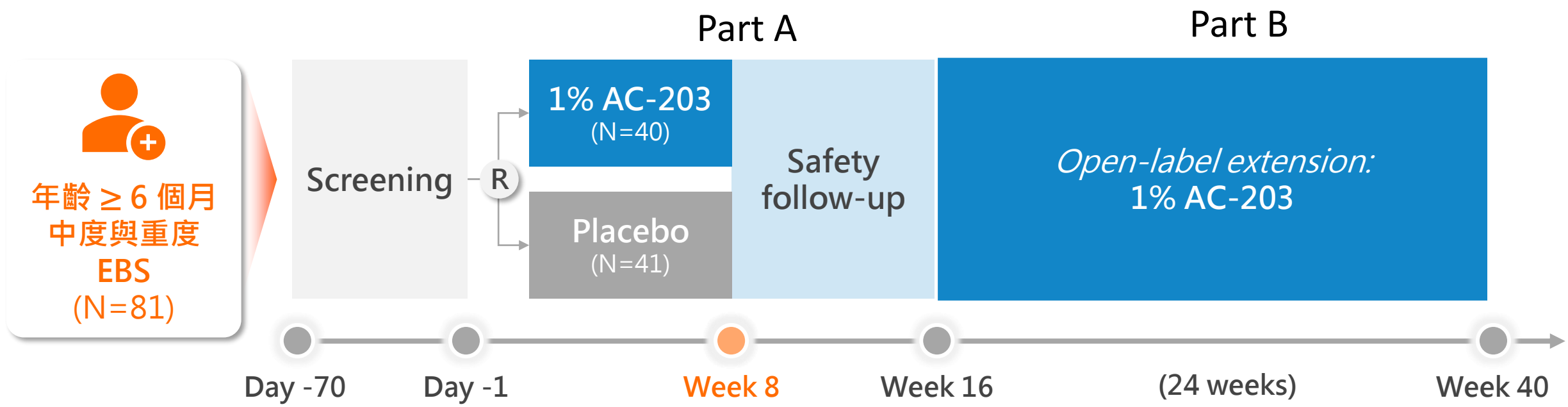
主要療效指標(IGA達到0-1分)雖未達到統計顯著，但**優於安慰劑**

影響生活品質兩項關鍵指標**疼痛**與**搔癢**，雙雙達到**統計顯著**

安全性良好，未觀察到與藥物相關的嚴重不良反應事件

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

EBShield Study 試驗設計



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

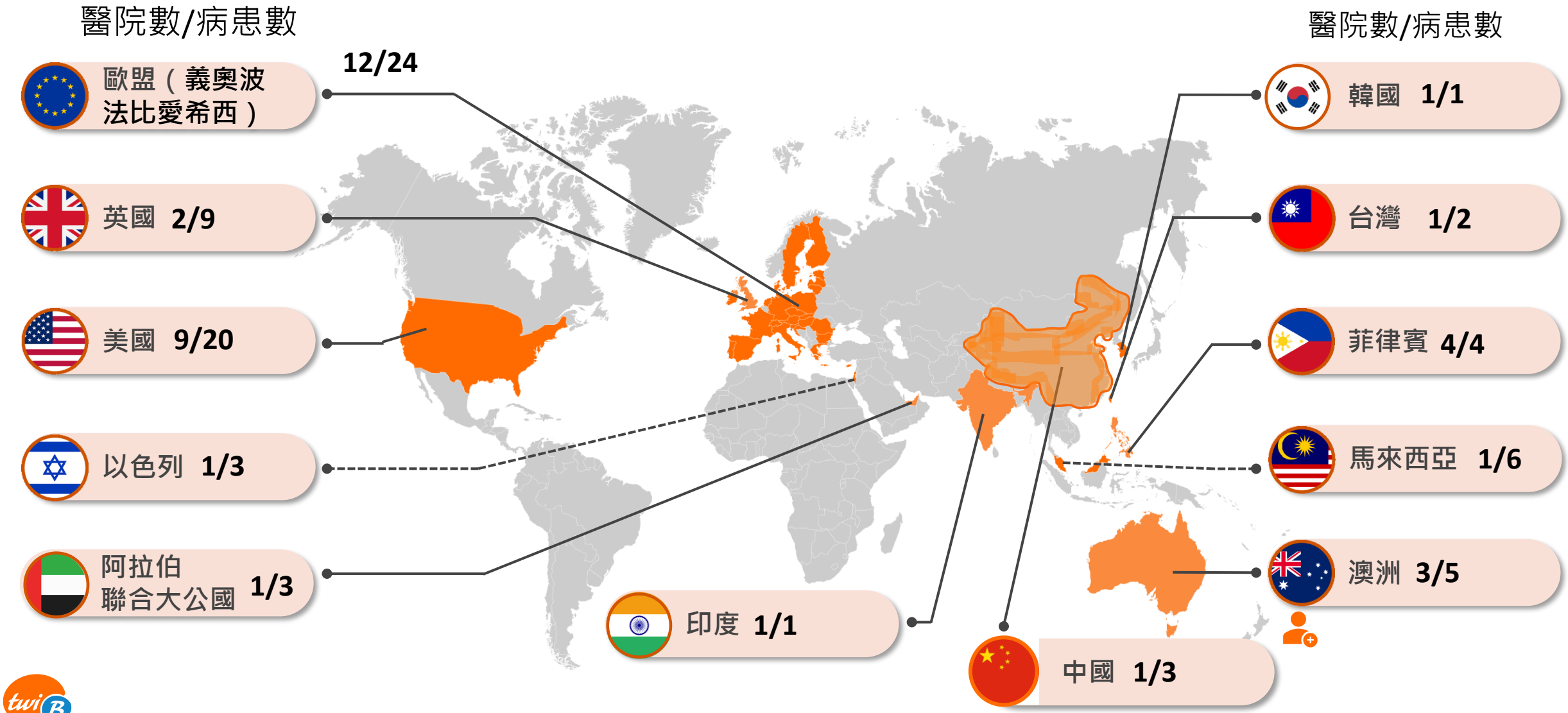
次要試驗指標

- 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）

全球醫院與病患分佈圖

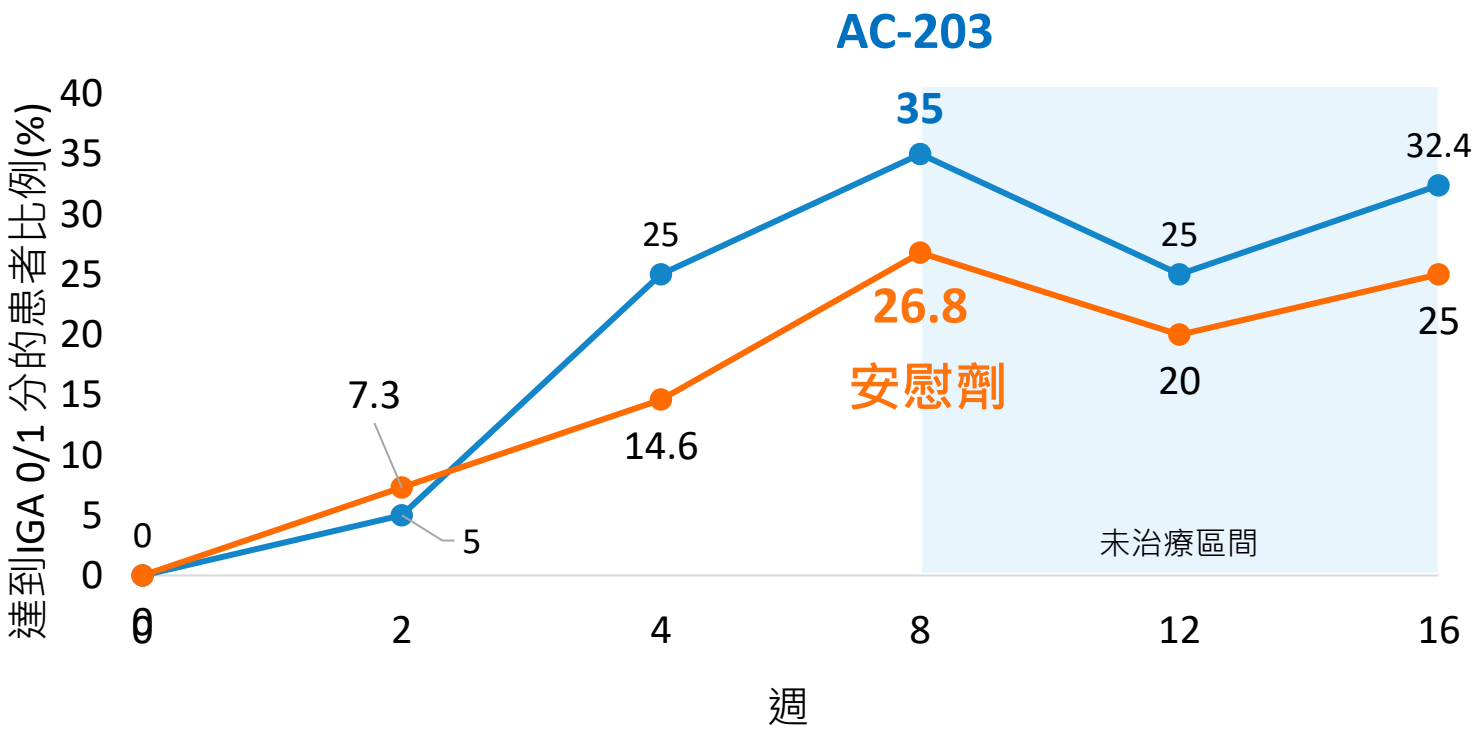

醫院數/病患數
歐盟（義奧波法比愛希西） 12/24
英國 2/9
美國 9/20
以色列 1/3
阿拉伯聯合大公國 1/3
印度 1/1
醫院數/病患數
韓國 1/1
台灣 1/2
菲律賓 4/4
馬來西亞 1/6
澳洲 3/5
中國 1/3

兩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IGA評分	3.45 (0.50)	3.34 (0.48)	3.40 (0.50)
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)
基線疼痛評分	3.59 (2.71)	4.00 (2.89)	3.79 (2.78)
基線搔癢評分	3.63 (2.47)	3.64 (2.39)	3.63 (2.42)

主要療效指標 (IGA)雖未達統計意義，但優於安慰劑

IGA達到0-1的患者比例在各週的變化 (Part A)



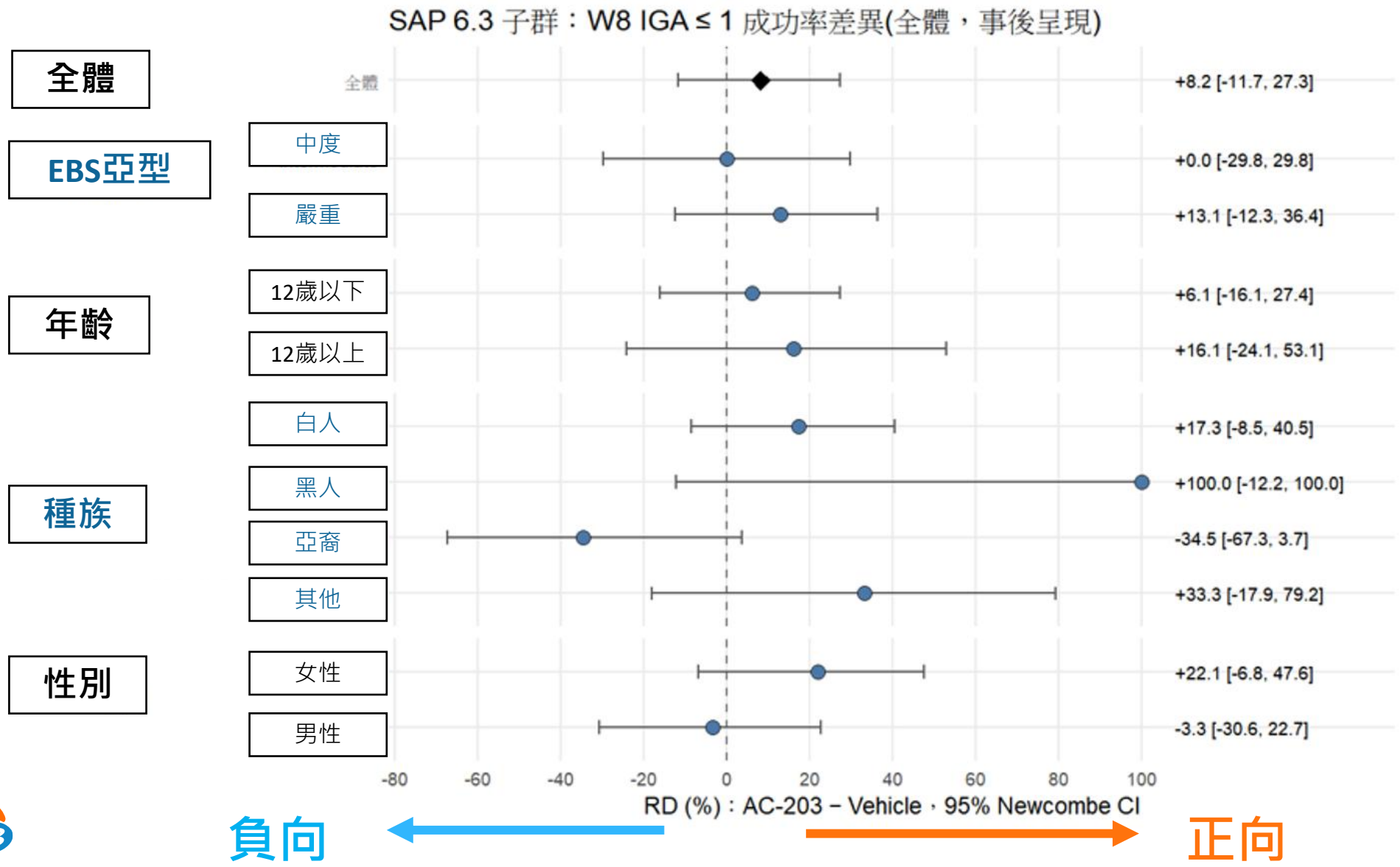
用藥組達到IGA 0-1分比率優於對照組比率： 8.2%

P=0.426

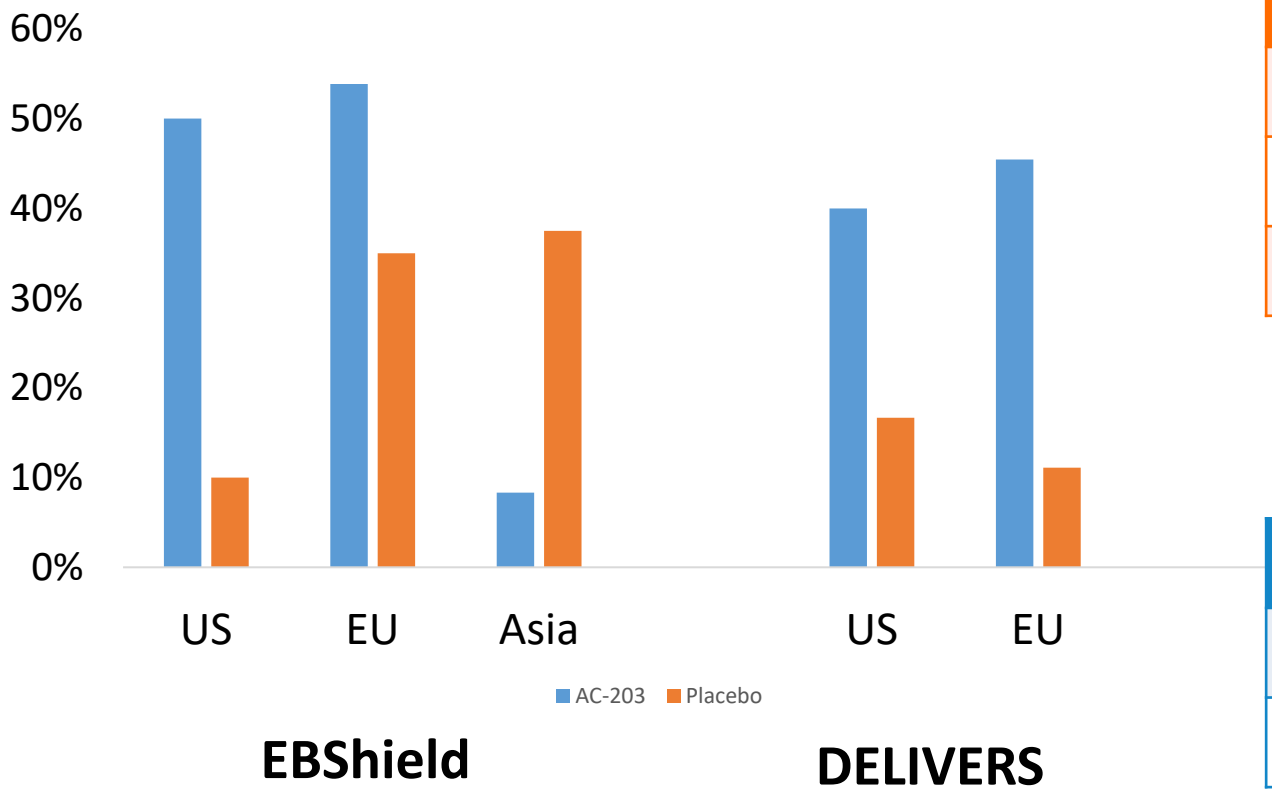
IGA 達到0/1 分的患者比率 (%)(治療成功)			
週	AC-203	安慰劑	整體受試者分析 P值
0	0	0	
2	5.0	7.3	
4	25.0	14.6	
8	**35.0**	**26.8**	0.426
12	25.0	20.0	
16	32.4	25.0	

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組整體療效優於安慰劑組



IGA反應率在各區域呈現不同樣態



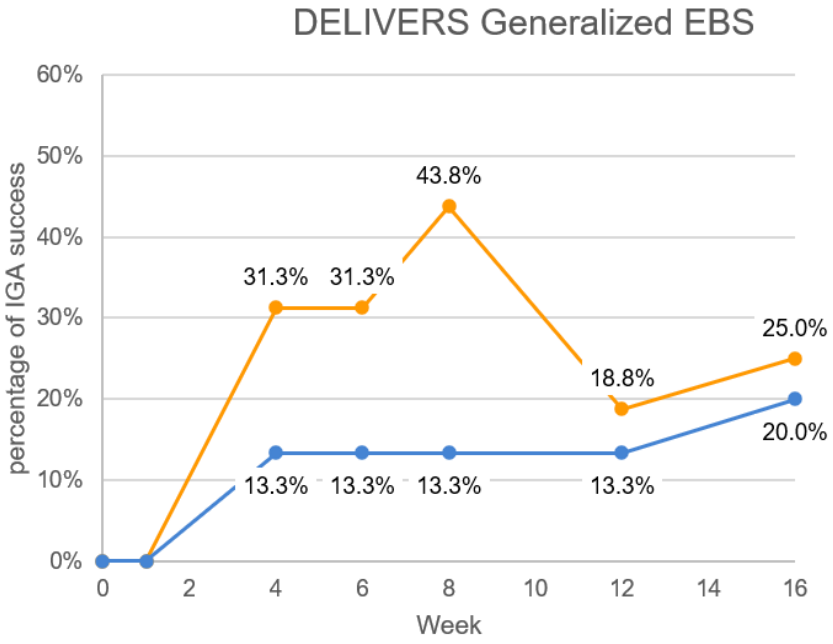
EBShield – 各地區治療反應率

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%

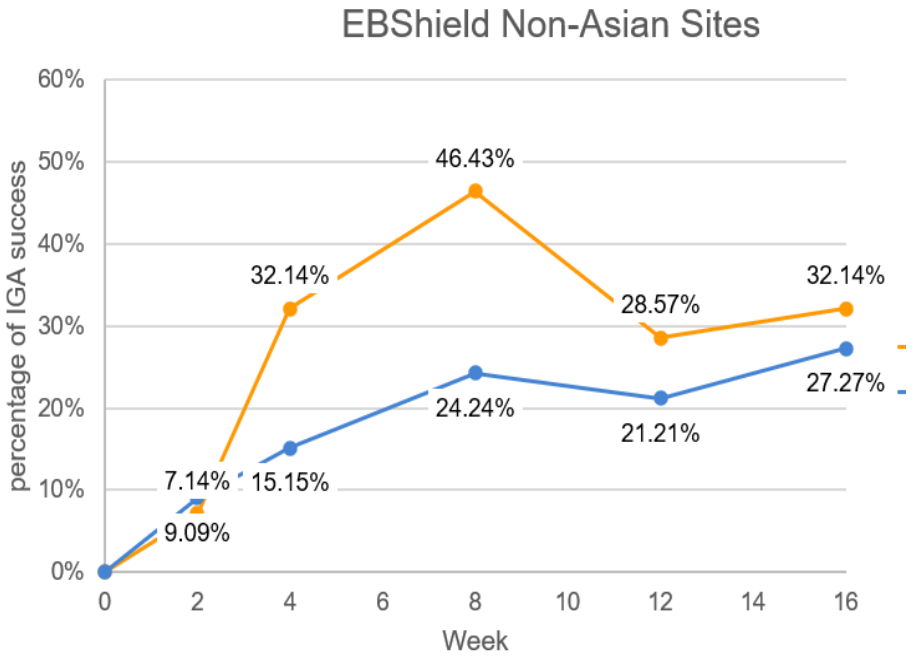
DELIVERS – 各地區治療反應率

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與DELIVERS試驗結果大致相符



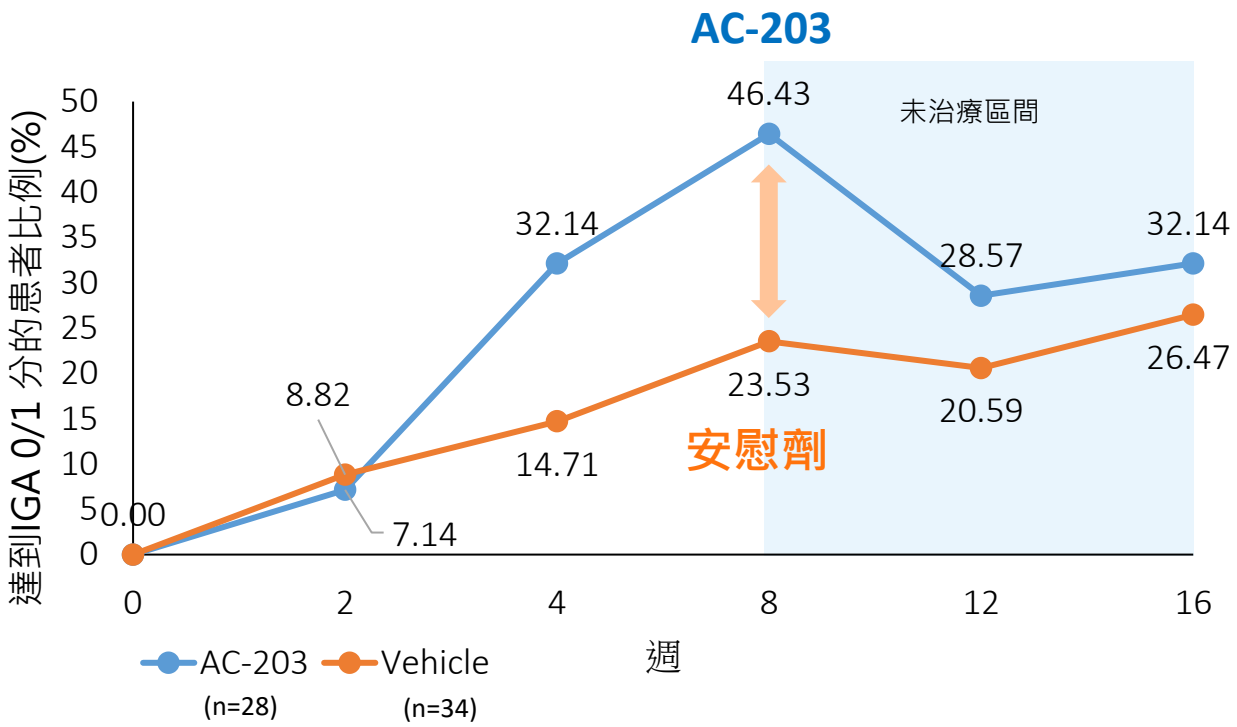
非亞洲與DELIVERS相同國家比較:
AC-203組的比率相似(13/28);
安慰劑略高(8/33)



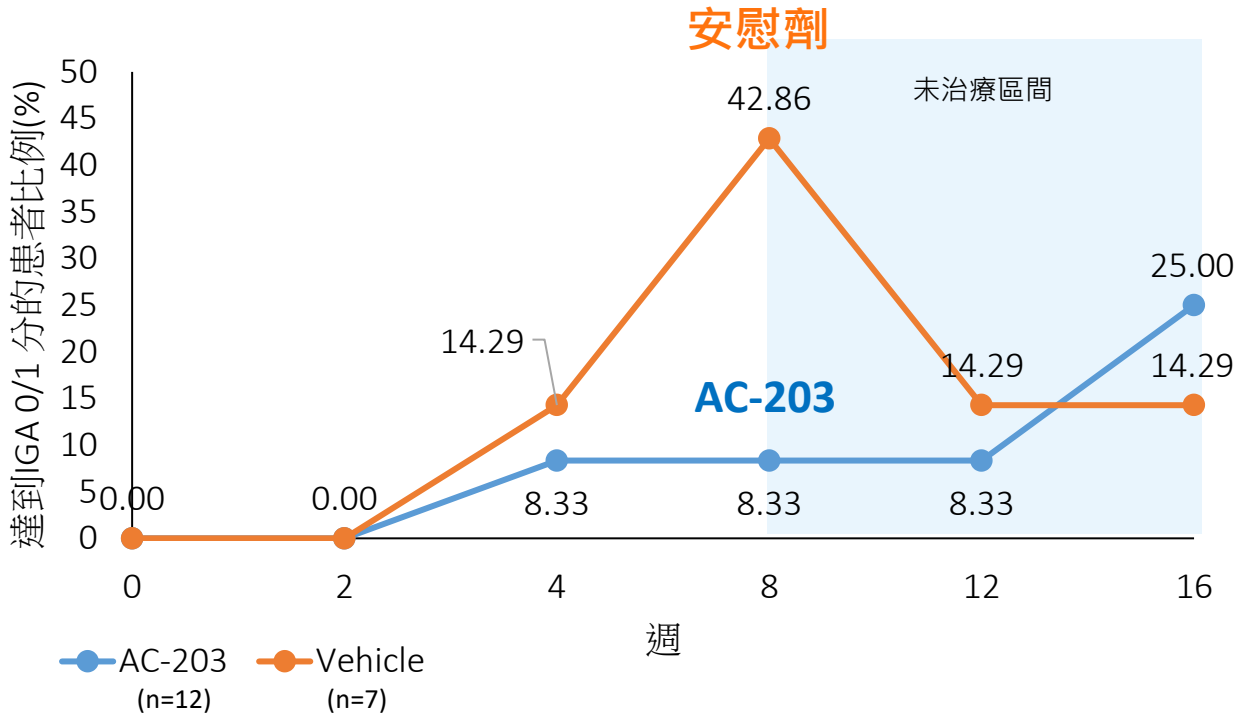
EBShield Study 和DELIVERS Study 在相同試驗區域產生的療效類似

次族群分析顯示AC-203治療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)

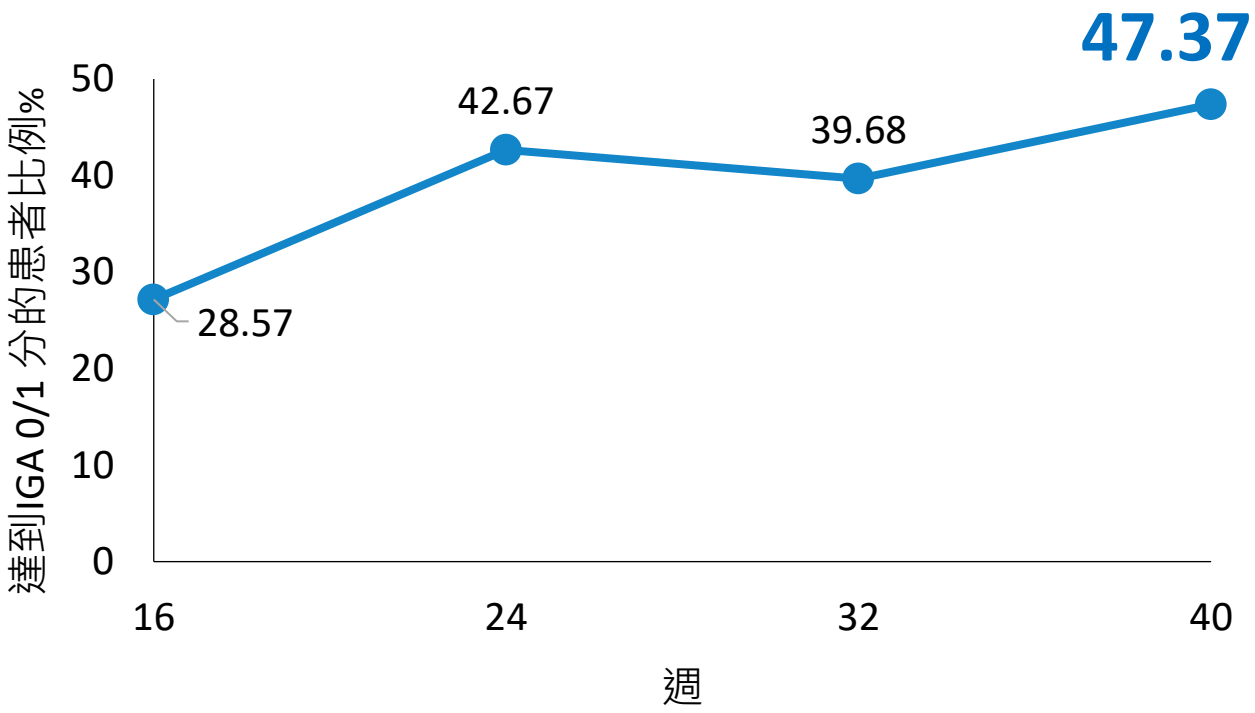


用藥組達到IGA 0-1分比率優於對照組比率： 22.9%
P=0.049*

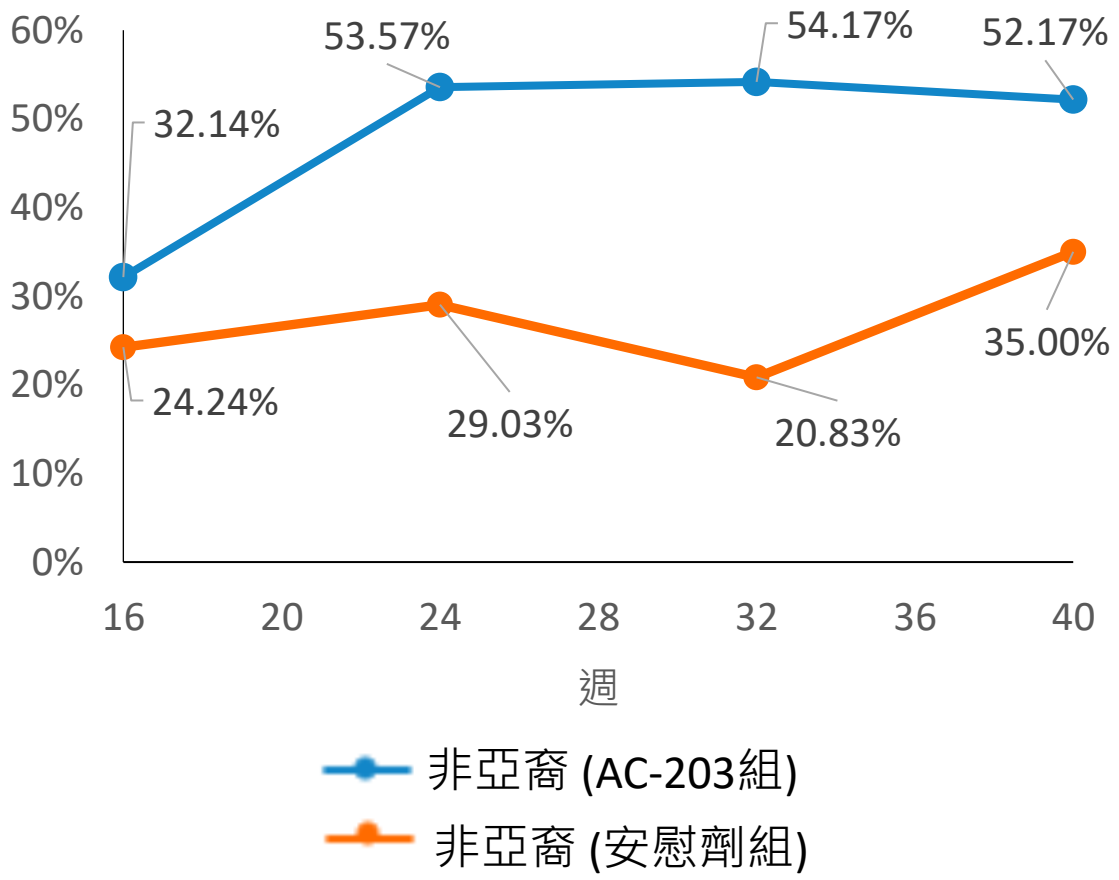
*依計畫書分析集所計算之P值: 納入符合預定分析條件、無影響療效評估之重大計畫書偏差的病人，評估依計畫書執行下的治療效果

持續進行中的開放標籤試驗(Part B)，治療成功率近50%

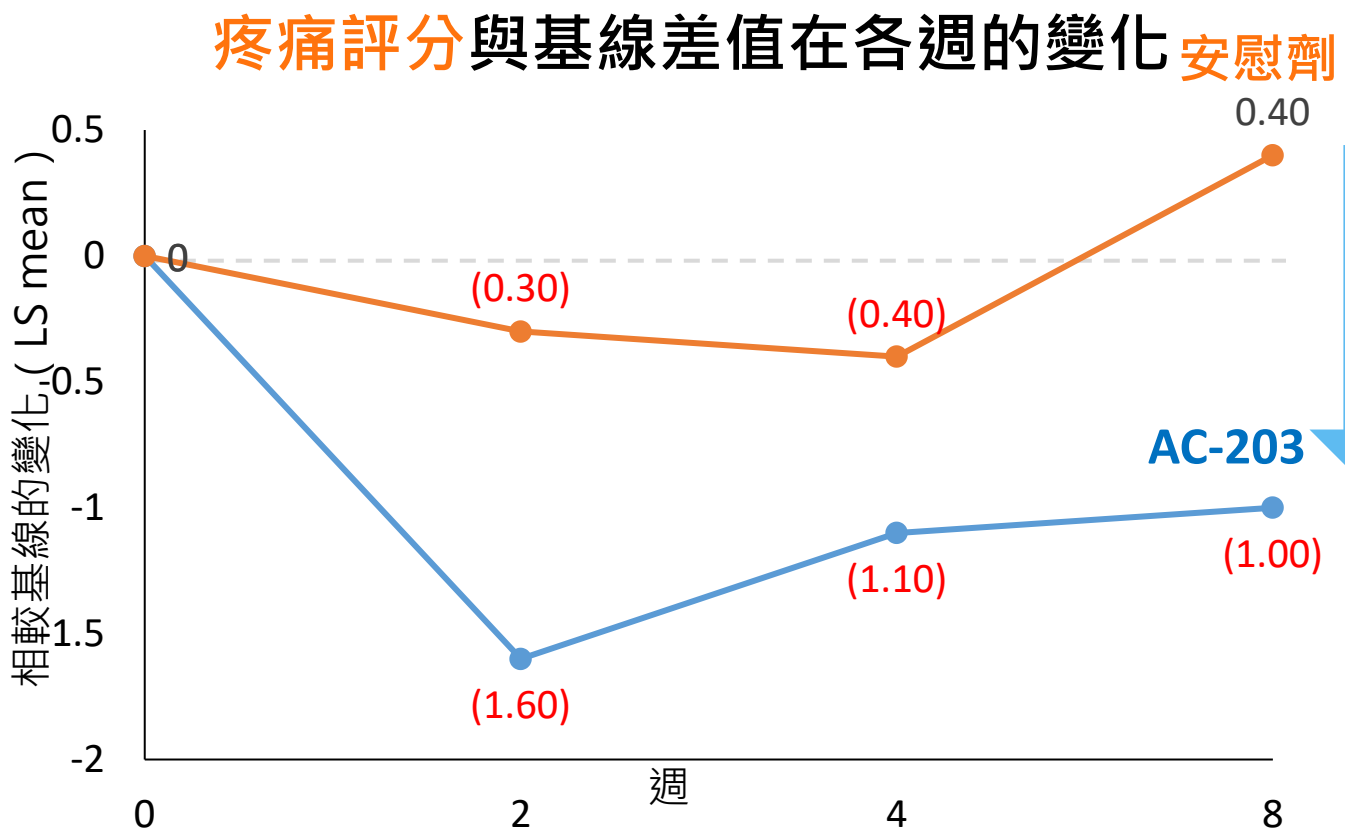
IGA達到0-1的患者比率在各週的變化 (Part B, 全部)



IGA達到0-1的患者比率在各週的變化 (Part B非亞裔)



次要療效指標: 相較於安慰劑，AC-203顯著降低疼痛評分



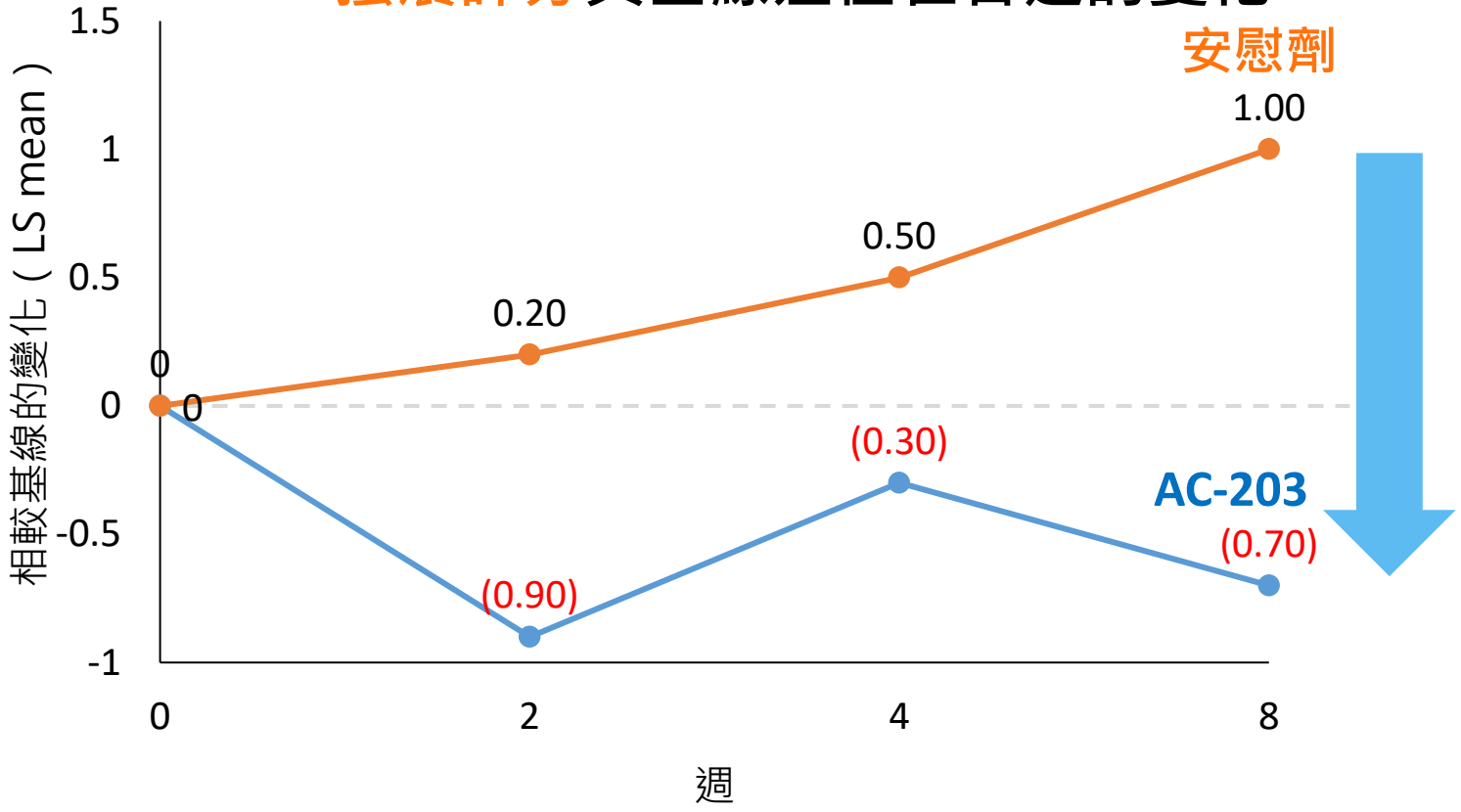
AC-203組比安慰劑組下降 1.4分
P=0.025

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

次要療效指標:相較於安慰劑，AC-203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

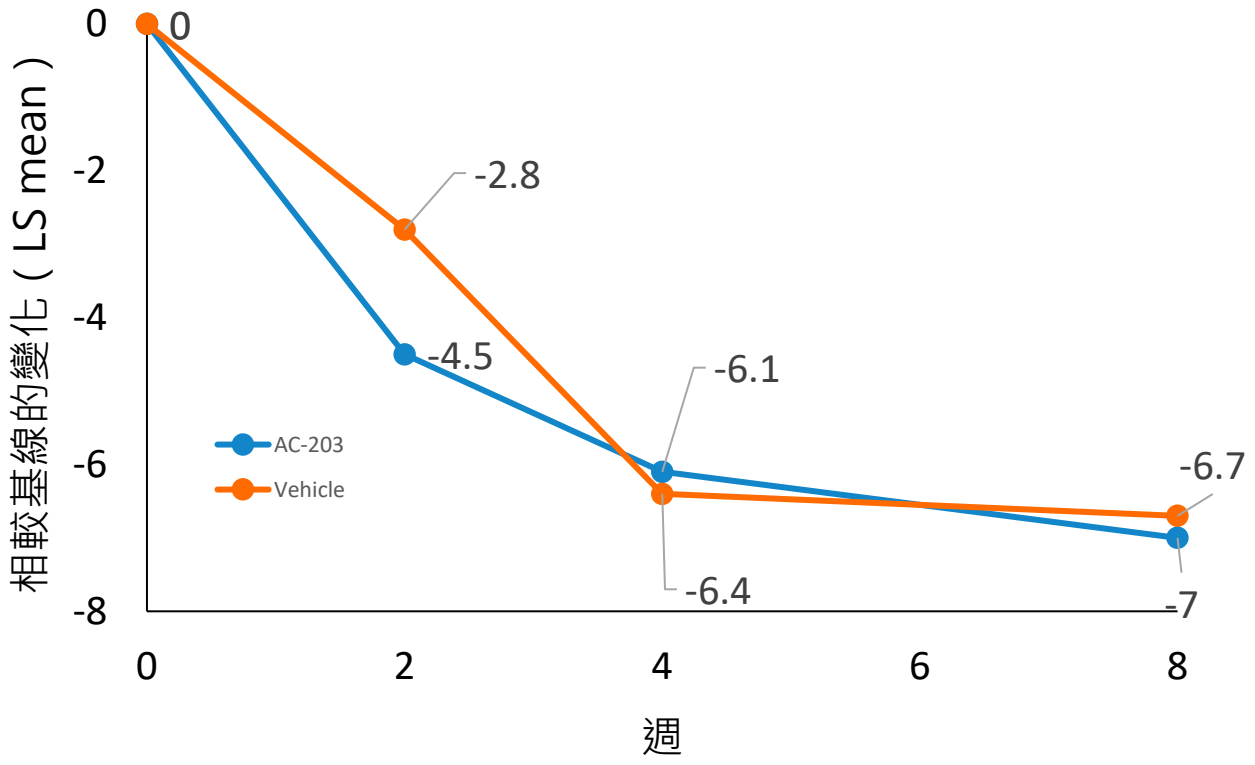
時間點	AC-203*	安慰劑*	組間差異	P值
第2週	−0.9 （±0.46）	0.2 （±0.43）	−1.1 （±0.62）	0.077
第4週	−0.3 （±0.55）	0.5 （±0.51）	-0.8 （±0.74）	0.306
第8週	−0.7 （±0.54）	1.0 （±0.49）	−1.7 （±0.72）	**0.023**

*LS mean (SE)

註：搔癢評估適用於 ≥6 歲受試者

次要療效指標BSA(病灶面積)：AC-203未顯著優於安慰劑，但 AC-203 組更多患者達 BSA ≤0.5%（改善 >80%）

%BSA與基線差值在各週的變化



病灶面積(%BSA)與基線差值在各週的變化				
時間點	AC-203*	安慰劑*	組間差異	P值
第2週	−4.5（±0.86）	-2.8（±0.84）	−1.6（±1.09）	0.146
第4週	−6.1（±0.72）	−6.4（±0.70）	0.3（±0.87）	0.730
第8週	−7.0（±0.85）	−6.7（±0.82）	−0.3（±1.07）	0.785

第8週	AC-203（n=40）	安慰劑（n=41）	RR
BSA ≤0.5%	10/40（25.0%）	3/41（7.3%）	**3.4**
BSA ≤1.0%	13/40（32.5%）	6/41（14.6%）	2.2

LS mean (SE)
RR: Risk ratio

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

- 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

• EBDASI 量表用於量化評估泡泡龍症（EB）的疾病嚴重程度，分別評分當前疾病活動與累積損傷，以追蹤病情變化及治療效果。

• QOLEB 是泡泡龍症（EB）專用的生活品質問卷，透過患者自評疾病對日常功能與情緒的影響，量化其生活品質負擔，包含社交活動、日常生活、經濟負擔等17項，疼痛只占其中一項。

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%）

TEAE：治療期間出現之不良事件。

癢和痛是EBS患者的生活日常



Dr. Amy S. Paller *：癢和痛影響EB病患生活品質，特別是無止盡的搔癢，並非一般抗組織胺能夠解決。

*美國西北大學費恩伯格醫學院皮膚科暨小兒科教授

EBS患者的心聲

Sarah Kay

DEBRA UK, EBS

- 與 EB 共存，連走路這樣簡單的日常活動，都因**疼痛而需要事先謹慎規劃**。
- **持續不斷的疼痛**，容易讓我陷入負面情緒。

Nicole Ramsey

DEBRA US, EBS

- 我曾經刻意隱藏疼痛，不讓教練和隊友知道自己患有 EB。

Nisha

EBRP, EBS

- 在成長過程中，我面臨了許多挑戰：水泡、即使輕微摩擦也會造成的疼痛傷口、疤痕，以及持續不斷的搔癢。

https://www.debra.org/personal-stories/bowen-kim
https://www.debra.org.uk/sarahs-story/
https://www.ebresearch.org/nisha.html

病友於2018 Debra Care Conference 闡述疾病的痛苦



改善疼痛和搔癢對於EBS病患至關重要

Dr. Jemima Mellerio 聖約翰皮膚科研究所
倫敦國王學院

疼痛與搔癢是我們已知 EB 病患生活中最大的問題……但若考量到 EB 病患極度脆弱的皮膚背景，你最不希望做的事就是搔抓，因為那會造成更多的傷害、長出更多水皰與傷口。

Dr. Michael Lavery 美國佛羅里達大學

總結來說，搔癢非常令人痛苦……若演變成慢性搔癢，會對生活品質、睡眠產生極大影響，並顯著干擾傷口癒合……

2022 年針對 EBS 病患進行的生活品質調查，共收集 214 位病患的回饋。結果顯示，**高達 74% 的病患受到疼痛困擾，55% 的病患認為搔癢是最重要的問題**。

https://www.youtube.com/watch?v=ru-BfRI7_Fw
https://www.youtube.com/watch?v=m2wr_71N5Eo
https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35841105/

Jemima Mellerio教授接受Debra UK的採訪



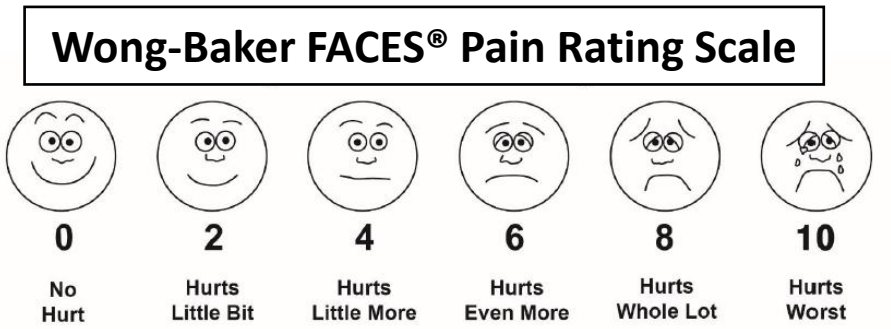
搔癢和疼痛變異大且挑戰性高，因此未採納為主要療效指標

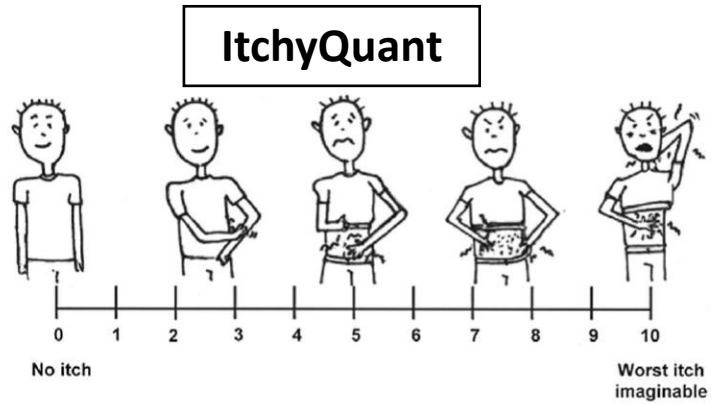
- 疼痛以Wong-Baker FACES® Pain Rating Scale量(0-10)表來評分，用於3歲以上的病患。
- 搔癢以ItchyQuant量表(0-10分)來評分，用於6歲以上的病患。

以上兩個指標都涉及病患主觀判斷，且人數不多，達到**顯著差異很困難**。

1. **個體間差異大**，增加治療效果估計的不確定性
2. **兒童理解能力**可能構成額外變異來源

在設計之初本想列為主要療效指標，但考量很難控制，改列次要指標。因此EBShield Study中可以觀察到疼痛和搔癢的改善達顯著，具有**重要的臨床意義**。





罕見疾病藥物享有具彈性的審查機制

- 重視患者觀點與具臨床意義的治療效益
- 具備加速核准(Accelerated Approval)與優先審查 (Priority Review)的法規途徑
- 在充分的溝通和輔助證據下，法規單位**可以接受以替代指標批准藥物**
- 長期的開放標籤試驗中的療效證據對於法規單位具有意義
- AC-203的對於疼痛和癢達到統計顯著，是和法規單位溝通的重要利基。

罕見疾病藥物具有法規彈性的實際案例

對於罕見疾病，國外法規單位FDA和EMA均展現相當彈性。下表摘要三期樞紐試驗主要療效指標未達顯著差異，但利用其他支持性證據或上市後承諾仍取得藥證之部分案例。

商品名	公司	批准時間	適應症
Forzinity	Stealth	FDA: 2025/09/19 (加速核准+PRV)	Barth syndrome 患者的肌力改善
Elevidys	Sarepta	FDA: 2023/06/22 (加速核准+PRV)	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

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

安成生技與世界各地罕病協會(DEBRA)保持密切聯繫

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











twiB

☑ 贊助病友會活動

AC-203 法規策略

- **預定2027年Q1**與美國FDA/歐盟EMA進行 **法規諮詢會議**
- 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**

- 安成生技將以**不做另一個試驗為目標**，基於以下訴求與法規單位溝通：
  - ✓ 主要療效指標IGA之次族群分析
  - ✓ 次要療效指標(搔癢與疼痛)達統計顯著差異
  - ✓ 開放標籤試驗(OLE)展現之臨床療效
- 其他面向
  - ✓ EBS 為罕見疾病，迄今無藥可醫
  - ✓ 尋求意見領袖與罕病團體聲援

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

AC-203 未來時程規劃

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

- 如果諮詢結果正向，計畫向FDA和EMA遞交**藥證申請**
- **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**

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

近期工作重點

- 進行多面向數據分析，包含次族群分析、基因型分析、開放標籤試驗，以及前期試驗數據等，力求**建立完善的證據鏈**。
- 與多家美國法規策略顧問接洽，將聘請具有多年法規實務與專業資源的事務所或顧問團隊，協助完善法規策略。
- 聯繫外部統計專家，意見領袖與病友團體。
- 持續與潛在商業夥伴保持對話。
- 綜合各方意見和協助，目標於**2027年第一季**與美國及歐洲法規單位溝通。

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**法規諮詢會議**
- 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

- **2027年**開展**重度憂鬱症二期臨床試驗**

開發新產品、新適應症

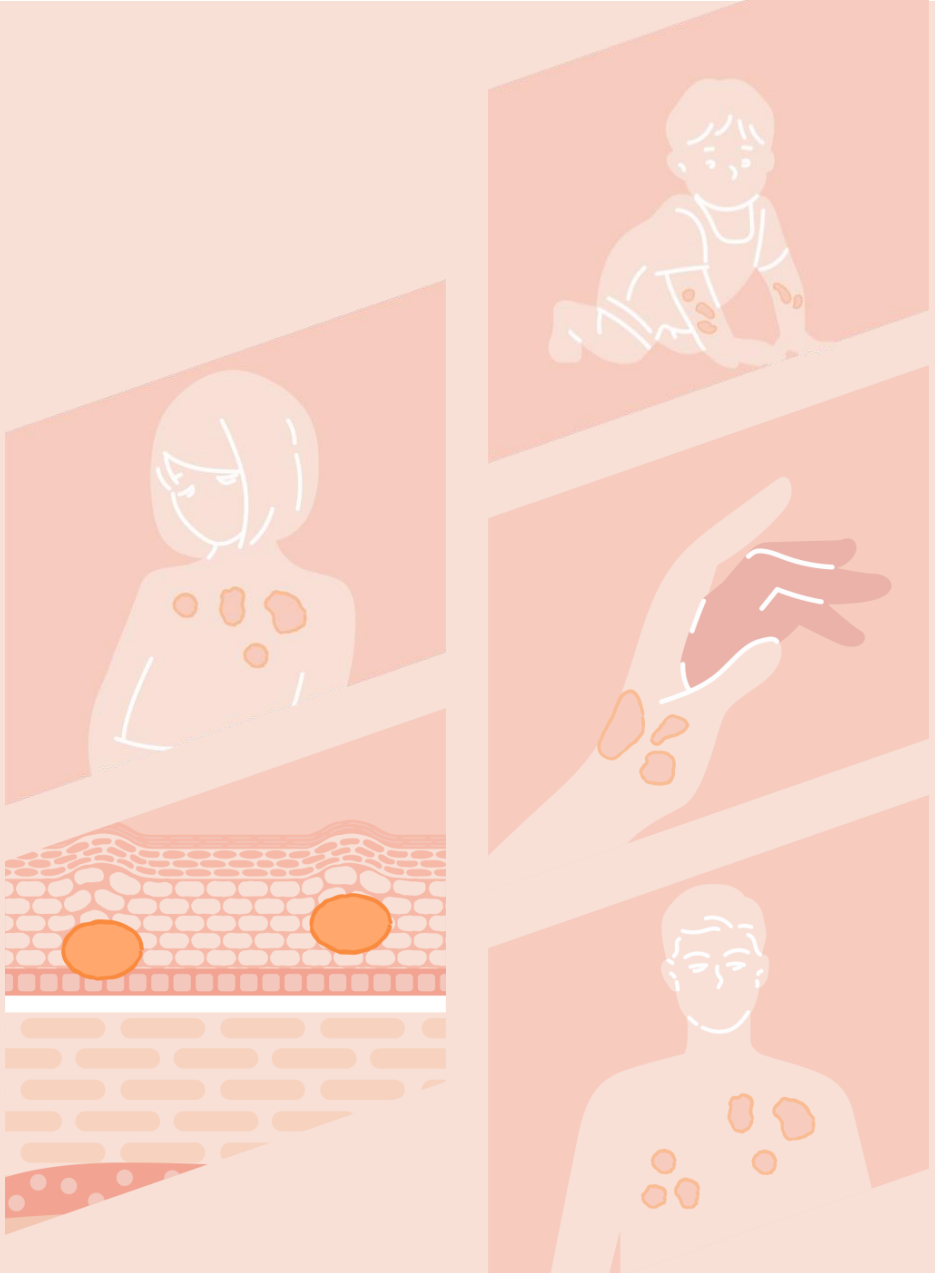
- 就現有各項藥品**開發新適應症**
- 持續開發**技術門檻高、市場潛力大**的新產品

全力進行商業授權

- 在世界各地尋求商業夥伴
- **2027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



Q & A

Thank you