

概 要

本概要旨在為閣下提供本文件所載資料的概覽。本節內容僅為概要，並未包括可能對閣下而言屬重要的所有資料。此外，任何[編纂]均存在風險。[編纂]的若干具體風險載於「風險因素」一節。具體而言，我們是一家生物製藥公司，在未能符合《上市規則》第8.05(1)、(2)或(3)條規定的情況下，尋求根據《上市規則》第十八A章於聯交所主板[編纂]。閣下決定[編纂]前，應細閱整份文件。

概覽

我們是一家處於後期階段、臨近商業化的生物製藥公司，專注於為大中華區大量醫療需求未被滿足、醫療健康政策利好的特定內分泌疾病提供創新及潛在同類最佳或同類首創治療方案。

*我們的使命。*我們旨在將全球創新與中國接軌，從而為中國患者帶來拯救生命及改變生活的內分泌療法，以實現及達到更好的治療過程和效果。憑藉我們對本地市場的精準理解，我們正在開發有潛力成為同類最佳或同類首創的候選藥物，以滿足尚未被滿足的龐大醫療需求，同時最大化我們新藥管線的綜合價值。我們成立於2018年11月，致力於打造成為內分泌學領域內公認和領先的具備「端到端」能力的企業，整合研究與發現、臨床開發、商業化、生產及業務發展，並成為擬進入大中華區創新內分泌治療的首選合作夥伴。

*我們的核心產品。*我們的核心產品隆促生長素(lonapegsomatropin)有潛力成為用於治療兒童生長激素缺乏症(「PGHD」)的同類最佳候選藥物，經已完成的全球3期關鍵試驗(該試驗支持了美國食品藥品監督管理局(「FDA」)及歐洲藥品管理局(「EMA」)對其治療PGHD的上市批准)所驗證，隆促生長素(lonapegsomatropin)為唯一一款在與短效(每日注射)人生長激素的陽性藥物對照及平行組試驗比較中顯示出優效性及同等安全性的長效生長激素(「LAGH」)。已完成的中國3期關鍵試驗所公佈的結果持續支持隆促生長素(lonapegsomatropin)與短效(每日注射)人生長激素相比的優越生長特性以及同等安全性。於此項試驗中，於52週時，隆促生長素(lonapegsomatropin)的年生長速率(「AHV」)為10.66厘米／年，而短效(每日注射)人生長激素為9.75厘米／年，p值為0.0010，證實了隆促生長素(lonapegsomatropin)較短效(每日注射)人生長激素具有優效性。隆促生長素(lonapegsomatropin)組於52週時的身高標準差評分(「SDS」)較基線增加了1.01，短效(每日注射)人生長激素組則增加了0.83，p值為0.0015，且從13週(含)開始，統計學顯著性在隆促生長素(lonapegsomatropin)組中得到證實。預計將於2023年向國家藥品監督管理局(「國家藥監局」)提交生物製品上市申請(「BLA」)。

隆促生長素(lonapegsomatropin)提供了方便的每週一次給藥方案，與每日一次人生長激素相比，注射頻率降低86%，並且顯著提高了兒童患者在日常生活中給藥的依從性。因此，在實際情況中，與短效(每日注射)人生長激素相比，其有可能進一步改善治療效果和延長治療時間。憑藉其新穎的分子設計，我們的核心產品是中國唯一已完成3期臨床開發的在每週給藥之間以穩定的方式在體內釋放未經修飾的人生長激素的LAGH。該未經修飾的人生長激素的分子構成與腦垂體分泌的內源性生長激素相同，並保留了其生理的作用機制。

我們可能無法成功開發及／或銷售我們的核心產品。

概 要

內分泌學概覽。內分泌學是一個包含170多種疾病的大治療領域，其中79種（近一半）仍缺乏針對性藥物，表明有龐大的醫療需求未被滿足。內分泌疾病可在全年齡段發生，對新生兒乃至老年患者均產生影響，通常伴有重大的疾病及社會經濟負擔且須接受終身治療。

兒童及成人內分泌學。根據發病年齡，內分泌疾病可分為兒童內分泌疾病及成人內分泌疾病，兩者都有其獨特的特點。兒童患者作為成長中的個體，有著與生長發育有關的特殊需求，因此，他們往往面臨著有限的治療窗口，故迫切需要及時進行治療。治療中的不適和疼痛可能會影響兒童的依從性，造就了開發簡化藥物療法和優化治療體驗的便捷治療方案的巨大需求。成人內分泌失調往往需要接受終身治療，治療方案需要減少依從性負擔且確保其長期的安全性。

市場潛力。根據弗若斯特沙利文的資料，除糖尿病外，中國的內分泌藥物市場規模預計到2025年將增至61億美元，自2021年起的年複合增長率（「CAGR」）為20.2%，並且到2030年將增至121億美元，自2025年起的年複合增長率為14.9%。值得注意的是，受到包括內分泌藥物創新、患者群日益增加、健康意識日益提高及利好的醫療健康政策等多種因素的驅動，中國該市場規模的增長率一直並預計將繼續顯著高於同期全球市場規模的增長率。

利好的醫療健康政策。中國國務院將內分泌疾病指定為國家高度重視的一類慢性病。此外，《健康中國行動（2019-2030年）》宣佈一項國家目標，即到2022年和2030年，全國5歲以下兒童生長遲緩率分別由2013年的8.1%降至7%及5%，充分顯示了國家專注於促進兒童健康及鼓勵兒童用藥的開發。詳情請參閱「行業概覽－利好的醫療健康政策」。

全球開發情況。自成立以來，我們已建立包含三款候選藥物的產品管線，以期滿足特定的內分泌疾病領域尚未被滿足的醫療需求，該等管線均自我們的合作夥伴Ascendis Pharma授權引入。我們的核心產品隆培促生長素(lonapegsomatropin)是第一款且同類唯一一款在美國和歐盟被批准用於治療PGHD的LAGH，已分別於2021年及2022年獲得FDA及EMA的上市批准。我們的兩款關鍵候選藥物TransCon CNP和帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)分別針對兒童和成人內分泌疾病，亦已在全球範圍內進入後期臨床試驗階段。帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)亦正在美國及歐盟接受監管審查。Ascendis Pharma於2022年11月宣佈用於治療甲狀旁腺功能減退症（「HP」）成人患者的帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)已獲FDA對其新藥申請（「NDA」）進行優先審評，並將《處方藥使用者付費法案》（「PDUFA」）目標行動日期設為2023年4月30日。

中國臨床後期候選產品。我們利用自身強大的臨床開發能力，大大加快了大中華區患者獲得改變生活的內分泌解決方案的進程：(i)我們的核心產品隆培促生長素(lonapegsomatropin)已經在中國就PGHD完成了3期關鍵試驗，且預計將於2023年向國家藥監局提交BLA；(ii) TransCon CNP在中國已經進入用於治療軟骨發育不全的2期臨床試驗，而於2023年第一季度，我們將成為該項試驗開放標籤階段的獨家申辦方；及(iii)帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)目前正在中國進行一項3期關鍵試驗的開發並完成了患者入組；雙盲期試驗主要終點結束後，預計將於2023年向國家藥監局提交NDA。詳情請參閱下文及「業務－我們的內分泌藥物產品線」。

概 要

產品線。下文載列我們的候選藥物管線圖：



* 維昇已獲得在大中華區開發、生產及商業化內分泌領域的所有候選藥物的獨家許可權（除若干例外情況外）。

** 維昇計劃於美國FDA批准NDA後向國家藥監局提交NDA。

附註：

- (1) 維昇於2022年4月完成了3期關鍵試驗，已公佈的結果顯示試驗達到主要終點。
- (2) 隆培促生長素(lonapegsomatropin)於2021年8月獲FDA批准及於2022年1月獲EMA批准用於治療PGHD。截至最後實際可行日期，隆培促生長素(lonapegsomatropin)僅於美國上市。
- (3) TransCon CNP在中國已經進入用於治療軟骨發育不全的2期臨床試驗，而維昇將於2023年第一季度成為ACcomplisH China試驗開放標籤階段的獨家申辦方。
- (4) ACcomplisH試驗入組了來自歐洲、北美洲及大洋洲的患者。頂線結果顯示正在進行的2期ACcomplisH試驗已達到主要終點及所有關鍵次要終點。
- (5) 維昇於2022年6月完成了3期PaTHway China試驗的所有患者入組工作，比原先計劃的時間表提前兩週。
- (6) 頂線結果顯示正在進行的3期試驗已達到主要終點及所有關鍵次要終點。Ascendis Pharma於2022年8月為治療患有甲狀旁腺功能減退症的成人患者向FDA提交NDA，並於2022年11月向EMA提交MAA。Ascendis Pharma於2022年11月宣佈用於治療甲狀旁腺功能減退症成人患者的帕羅培特立帕肽(palopecteriparatide)已獲FDA對其NDA進行優先審評，並將PDUFA目標行動日期設為2023年4月30日。

- **隆培促生長素(lonapegsomatropin)**，是我們的核心產品，為一款新型創新分子實體，擁有一種已獲美國、歐盟和中國授予知識產權的新型物質組成。根據世界衛生組織的相關程序，其獲分配推薦的國際非專利名稱為「隆培促生長素(lonapegsomatropin)」。

概 要

隆培促生長素(lonapegsomatropin)有潛力成為用於治療PGHD的同類最佳候選藥物，經已完成的全球3期關鍵試驗（該試驗支持了FDA及EMA對其治療PGHD的上市批准）所驗證，隆培促生長素(lonapegsomatropin)為唯一一款在與短效（每日注射）人生長激素的陽性藥物對照及平行組試驗比較中顯示出優效性及同等安全性的LAGH。已完成的中國3期關鍵試驗所公佈的結果持續支持隆培促生長素(lonapegsomatropin)與短效（每日注射）人生長激素相比的優越生長特性以及同等安全性。於此項試驗中，於52週時，隆培促生長素(lonapegsomatropin)的AHV為10.66厘米／年，而短效（每日注射）人生長激素為9.75厘米／年，p值為0.0010，證實了隆培促生長素(lonapegsomatropin)較短效（每日注射）人生長激素具有優效性。隆培促生長素(lonapegsomatropin)組於52週時的身高標準差評分較基線增加了1.01，短效（每日注射）人生長激素組則增加了0.83，p值為0.0015，且從13週（含）開始，統計學顯著性在隆培促生長素(lonapegsomatropin)組中得到證實。預計將於2023年向國家藥監局提交BLA。我們的核心產品提供了方便的每週一次給藥方案，與每日一次人生長激素相比，注射頻率降低86%，並且顯著提高了兒童患者在日常生活中給藥的依從性。因此，在實際情況中，與短效（每日注射）人生長激素相比，其有可能進一步改善治療效果和延長治療時間。隆培促生長素(lonapegsomatropin)用於治療PGHD所獲得的FDA及EMA批准包括了一款方便的自動注射器。根據弗若斯特沙利文的資料，中國的人生長激素市場規模在2021年為15億美元，預計到2025年將增至26億美元，自2021年至2025年的年複合增長率為15.6%，並且到2030年將增至47億美元，自2025年至2030年的年複合增長率為12.7%。

憑藉其新穎的分子設計，隆培促生長素(lonapegsomatropin)是中國唯一已完成3期臨床開發的於每週製劑之間在體內持續釋放未經修飾的人生長激素的LAGH。該未經修飾的人生長激素的分子構成與腦垂體分泌的內源性生長激素相同，並保留了其原始的作用機制。這款療法不同於中國處於開發階段及／或已投入商用的其他LAGH療法，這些LAGH療法的活性成分為已經過修飾的蛋白或多肽，可能會改變人生長激素效價、藥代動力學或藥效動力學、組織滲透和受體結合，並可能對藥物療效及安全性產生不良影響。

- **TransCon CNP**是一款處於開發階段的用於治療兒童軟骨發育不全的潛在同類首創的疾病修正療法，而目前大中華區尚無有效的疾病修正療法獲批。根據弗若斯特沙利文的資料，TransCon CNP旨在以安全和方便的每週一次給藥來優化療效，是中國迄今為止第一款正在進行臨床開發的軟骨發育不全療法。在一項已完成的全球1期臨床試驗中，TransCon CNP展現出可持續提供活性C型利鈉肽（「CNP」）的能力，TransCon CNP對軟骨發育不全疾病修正的能力在該試驗中得到了充分的研究。根據2期ACcomplisH試驗的頂線數據，劑量為100μg/kg／週的TransCon CNP在主要終點（52週AHV）上較安慰劑具有優效性，p值為0.0218。數據顯示，各年齡組及劑量水平的預定分析結果均穩健且一致，支持按選定劑量100μg/kg／週繼續開發。TransCon CNP普遍耐受性良好，注射部位反應頻次低。TransCon CNP在中國已經進入用於治療軟骨發育不全的2期臨床試驗，而於2023年第一季度，我們將成為該項試驗開放標籤階段的獨家申辦方。

概 要

- **帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)**是一款處於開發階段的創新治療解決方案，適用於甲狀旁腺功能減退症。根據世界衛生組織的相關程序，該候選藥物獲分配推薦的國際非專利名稱為「帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)」。甲狀旁腺功能減退症目前的療法因治療效果有限、需高劑量慢性給藥補鈣以及相關併發症風險增加而並不充足。帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)旨在每天24小時恢復甲狀旁腺激素(「PTH」)的生理水平和活性，從而應對疾病各個方面的問題，包括使血鈣、尿鈣以及血磷恢復正常水平。於2022年8月，FDA接受了帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)用於治療患有甲狀旁腺功能減退症的成人患者的NDA申請，且EMA於2022年11月接受了MAA申請。NDA基於全球3期PaTHway試驗及全球2期PaTH Forward試驗的數據以及這兩項試驗正在進行的開放標籤擴展研究數據提出。Ascendis Pharma於2022年11月宣佈用於治療甲狀旁腺功能減退症成人患者的帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)已獲FDA對其NDA進行優先審評，並將PDUFA目標行動日期設為2023年4月30日。值得注意的是，根據26週的頂線數據，PaTHway試驗達到主要及所有關鍵的次要終點：78.7%的接受帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)治療的患者達到主要終點，而對照組只有4.8%的患者達到了主要終點(p值<0.0001)。與對照組相比，所有關鍵的預設次要終點都有統計學意義的顯著改善，且帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)普遍耐受性良好，沒有出現與研究藥物有關的停藥情況。我們正在中國進行一項帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide) 3期關鍵試驗並於2022年6月完成了患者入組。

創新技术。我們的差異化產品線基於創新的暫時連接技術(TransCon)而開發，與永久連接不同，前者使以非活性形式保護原型藥物的前藥輸送到體內後，能夠以可預測的方式釋放未經修飾的原型藥物並恢復其生理活性。FDA及EMA批准隆培促生長素(lonapegsomatropin)用於PGHD，證明了這種暫時連接技術(TransCon)的有效性和巨大潛力，這是由該等技術產生的藥物首次獲得上市批准。

研發執行能力。自我們成立以來，我們的管理層和內部研發團隊開展了廣泛的研發活動。在開展臨床開發業務方面，我們的研發團隊審核了由我們的合作夥伴Ascendis Pharma進行的三款候選藥物全球臨床試驗產生的所有相關臨床數據，並完成了在中國啟動臨床試驗的準備工作。憑藉在特定疾病流行病學、疾病特徵、本地臨床實踐以及該等候選藥物針對的適應症市場現況方面豐富的專業知識，我們的研發團隊為中國的臨床試驗設計了研究方案並付諸實施，大大推動了三款候選藥物的臨床開發。詳情請參閱「業務－我們的內分泌藥物產品線」及「業務－研究及開發」。

概 要

商業化計劃。由於預期我們的候選藥物即將商業化上市，我們開始打造一支高度專注及專業且擁有豐富內分泌學專業知識的商業化團隊。針對產品管線的每款藥物的具體特點及其各自的市況，我們已為商業化、患者認知及市場准入設計了量身定制的方案。針對隆培促生長素(lonapegsomatropin)，我們計劃成立一支兒科內分泌銷售團隊覆蓋公立醫院、與廣泛的私人診所網絡建立合作，並制定一個全面的服務方案以覆蓋隆培促生長素(lonapegsomatropin)的大部分潛在市場，旨在建立其在LAGH市場的領先地位。針對TransCon CNP，我們計劃利用隆培促生長素(lonapegsomatropin)團隊的銷售覆蓋範圍，確立TransCon CNP作為軟骨發育不全的標準治療，促進軟骨發育不全納入中國罕見病名錄，並參與《國家醫保目錄》談判以最大化患者對該藥物的可及性。針對帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)，我們計劃成立一支單獨的成人內分泌銷售團隊，並參與各種活動以提高對該疾病的認知度，推進甲狀旁腺功能減退症診斷和治療，促進甲狀旁腺功能減退症納入中國罕見病名錄，並參與《國家醫保目錄》談判以最大化患者對該藥物的可及性。

本地化生產。儘管我們目前從我們的合作夥伴Ascendis Pharma購買候選藥物，但我們致力於在中國建立隆培促生長素(lonapegsomatropin)的本地化生產能力，以有效地應對大中華區巨大的境內市場潛力，並以此確保本地患者的可持續藥物供應。我們已開始隆培促生長素(lonapegsomatropin)生產工藝的技術轉移，從Ascendis Pharma轉移至中國蘇州工業園區維昇藥業大中華區研發製造基地（「蘇州中心」），同時也在根據所轉移的生產工藝設計蘇州中心。隆培促生長素(lonapegsomatropin)的本地化生產將於技術轉移完成並獲得必要的藥品生產許可證後開始。

許可協議。根據我們與Ascendis Pharma簽訂的各許可協議的條款（經修訂，統稱「獨家許可協議」），我們被授予在大中華區開發、生產及商業化內分泌學領域適用候選藥物的獨家許可（除若干例外情況外）。根據獨家許可協議，我們無須在商業化之前以初始預付款或里程碑付款的名義來支付現金。除商業化外，現金支出主要集中用於臨床開發。此外，在獨家許可協議期限內，我們擁有優先談判權以獲得在大中華區開發和商業化Ascendis Pharma基於創新和經驗證技術所開發內分泌藥物的權利。詳情請參閱「業務－合作」。

股東構成。我們的創始股東包括Ascendis Pharma（通過其附屬公司）、Vivo Capital及Sofinnova。自成立以來，我們已從創始股東籌集了約40百萬美元，且隨後又從一眾具有戰略意義、專注於生命科學且支持我們使命的機構投資者中額外籌資150百萬美元，該等戰略機構投資者包括我們的創始股東、Sequoia China、奧博資本、Sherpa Healthcare Partners、Cormorant、HBM Healthcare Investments、Pivotal bioVenture Partners China、Logos Capital及CDG Capital。

概 要

我們的優勢

我們認為以下優勢有助於我們取得成功並從競爭對手中脫穎而出。

- 基於創新和經驗證技術的後期管線，擁有快速接近創收的高度確定性；
- 創新隆培促生長素(lonapegsomatropin)於龐大且快速增長的中國市場中，有潛力成為PGHD同類最佳的長效人生長激素替代療法；
- TransCon CNP有潛力成為大中華區用於軟骨發育不全的同類首創的疾病修正療法；
- 帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)有潛力成為同類最佳的甲狀旁腺激素替代療法，針對治療甲狀旁腺功能減退症的根本病因；
- 在開發我們的候選藥物管線產品方面的強大臨床及註冊事務能力有良好的往績記錄；及
- 具有深厚的商業化能力的一流管理團隊及股東和投資者的鼎力支持。

詳情請參閱「業務－我們的優勢」。

我們的戰略

為完成我們成為在大中華區開發和商業化創新內分泌療法的領先生物製藥公司的使命，我們計劃採取以下戰略。

- 迅速推進我們核心產品監管審批及其他管線候選藥物的臨床開發和監管審批；
- 我們的核心產品商業化上市前，建立以患者支援和市場准入為支撐的商業化能力，並為未來候選藥物的商業化奠定基礎；
- 建立本地化的生產能力，確保我們的核心產品及未來潛在候選藥物在大中華區的供應；

概 要

- 擴大我們核心產品、兩款關鍵候選藥物及基於暫時連接技術(TransCon)的潛在新藥所涵蓋的內分泌疾病適應症；
- 通過戰略性授權引入、合作及夥伴關係，進一步擴展我們的管線組合，引進尋求進入大中華區的創新內分泌療法；及
- 打造成為大中華區內分泌學領域內公認和領先的具備「端到端」能力的企業。

詳情請參閱「業務－我們的戰略」。

研究及開發

研發團隊及能力

我們擁有一支強大的以楊軍博士為首並由經驗豐富的管理團隊領導的位於中國的內部臨床研發團隊，他們於全球生物製藥開發、醫療實踐及戰略規劃方面具有強大治療領域專業知識及經驗。此外，我們已組建在臨床開發、臨床運營、監管及醫學事務以及化學、生產及控制過程（「CMC」）方面擁有豐富專業知識的高級研發人員。我們的研發能力還得到了由內分泌學及兒科知名關鍵意見領袖組成的科學顧問委員會的支持。

我們的研發團隊在臨床科學、監管、臨床運營、質量保證、藥物警戒及數據管理、統計學及醫學事務等方面擁有豐富的專業知識，從而使我們能夠更高效且有效地領導及指導外部合同研究組織（「CRO」）及合作夥伴。截至最後實際可行日期，我們的研發團隊由53名全職僱員組成，約32%擁有博士學位或醫學博士學位。隨著我們繼續進行開發活動，我們預期將擴大研發團隊。幾乎所有研發團隊成員均擁有精深的行業知識及在跨國企業從事臨床開發的經驗。我們的研發團隊在創新藥物及／或內分泌療法的臨床開發方面擁有平均超過12年經驗，其中部分人員在內分泌學及相關領域擁有豐富的專業知識，並從事過其他內分泌藥物的臨床開發。

迄今為止，我們的研發團隊已在優化中國的研究設計及開發戰略方面展現出了強大的能力，這使得我們能夠將我們的候選藥物直接推進至關鍵研究階段，與我們的合作夥伴無縫合作，並以高效的方式開展臨床執行工作。憑藉在內分泌學領域的洞見及強大的專業知識，我們能夠在中國的研究、開發、監管及商業化領域順利發展，並尋求機遇，將我們各項管線資產及未來內分泌候選藥物的價值最大化。

概 要

臨床開發計劃

我們致力於在大中華區建立潛在同類首創或同類最佳的內分泌療法管線。我們認為，成功的臨床開發項目（涵蓋準備、設計及執行）對我們未來的增長及在中國生物製藥市場保持競爭力的能力至關重要。

自我們從Ascendis Pharma授權引入候選藥物以來，我們的高級管理層一直領導內部臨床研發團隊，並與我們的科學顧問委員會及行業領先的CRO緊密合作開展研發活動。我們的研發團隊審核了由Ascendis Pharma進行的三款候選藥物全球臨床試驗產生的所有相關臨床數據，並完成了在中國啟動臨床試驗的準備工作。憑藉在特定疾病流行病學、疾病特徵、本地臨床實踐以及該等候選藥物針對的適應症市場現況方面豐富的專業知識，我們的研發團隊為中國的臨床試驗設計了研究方案並付諸實施，並大大推進了試驗進展。

研究設計已同時考慮：(i)科學原理（如作用機制、成熟的臨床前數據、最新全球臨床數據、全球研究方案及本地臨床實踐）；及(ii)中國的市場機遇（如目標患者群體、每款候選藥物的產品定位及競爭格局）。

我們的臨床研發團隊與科學委員會的關鍵意見領袖舉行了多次會議，以優化針對候選藥物的研究設計。此外，我們的研發團隊還與國家藥監局進行試驗性新藥申請（「IND」）前溝通，並向國家藥監局提交多項IND申請，且就全部候選藥物獲得了IND批准。

我們的研發團隊管理我們試驗的所有關鍵方面，監督臨床開發工作，並履行以下職能：(i)臨床開發戰略；(ii)市場評估及需求分析；(iii)試驗建議及方案設計，包括研究目標及主要／次要終點；(iv)臨床研究中心選址、啟動、管理及監測；(v)生物統計學，包括數據管理及程序設計；(vi)藥物警戒；(vii)質量保證；(viii)研究人員與研究中心合同；(ix)醫療及安全監測；(x)臨床數據收集及統計分析；及(xi)監管提交及溝通。如上所述，我們已擁有臨床開發所需的各項獨立核心功能，且僅利用我們的外部CRO進行臨床試驗。我們採取多項措施以指導CRO，包括試驗實施前整體計劃、定期溝通及工作進展質量檢查、基於質量保證檢查的里程碑項目及供應商管理體系。

概 要

研發開支

截至2020年及2021年12月31日止年度以及截至2021年及2022年7月31日止七個月，我們的研發開支總額分別為人民幣65.2百萬元、人民幣274.3百萬元、人民幣150.5百萬元及人民幣78.1百萬元。

截至2020年12月31日止年度至截至2021年12月31日止年度增加人民幣209.1百萬元主要歸因於：(i)與第三方及關聯方簽訂合同的成本增加人民幣22.4百萬元；(ii)2021年的招聘活動以及薪酬及社會保險支付費用增加，導致員工成本增加人民幣14.9百萬元；(iii)我們於2021年授出受限制股份單位，令以股份為基礎的付款開支增加人民幣112.7百萬元；及(iv)我們在2021年與Ascendis Pharma Endocrinology Division簽署的成本分攤及產量承諾協議產生的成本增加人民幣74.1百萬元。

截至2021年7月31日止七個月至截至2022年7月31日止七個月減少人民幣72.4百萬元主要歸因於：(i)我們於2022年4月完成了隆培促生長素(lonapegsomatropin)的3期關鍵試驗導致合同成本減少；及(ii)以股份為基礎的付款減少，因為與我們授予僱員的受限制股份單位有關的大部分開支於2021年授出之後便已經確認。

於2020年、2021年以及截至2021年及2022年7月31日止七個月，我們在開發用於治療PGHD的隆培促生長素(lonapegsomatropin)方面分別產生了人民幣49.7百萬元、人民幣194.2百萬元、人民幣98.6百萬元及人民幣37.4百萬元的費用。詳情請參閱「財務資料」。我們預期，隨著未來臨床及開發項目的推進，我們的總體研發開支將增加。

商業化計劃、患者支援及市場准入

隨著我們預期我們的候選藥物獲得BLA批准及隨後進行的商業化上市，我們開始打造一支高度專注及專業且擁有豐富內分泌學專業知識的商業化團隊，以推動大中華區市場的銷售及營銷。於2021年4月，陳軍博士加入我們的管理團隊擔任首席商務官，以加強我們的商業化能力。陳博士在醫療保健行業擁有超過25年經驗及在內分泌產品（包括生長激素）商業化方面擁有超過20年經驗。陳博士的加入使我們能夠於2021年啟動產品上市團隊的發展，包括承擔醫學事務、政府事務和市場准入（「GAMA」）、營銷及銷售等方面的職責。我們認為，我們的主要商業化領導成員具備與我們在研候選藥物相關的豐富經驗及卓越往績記錄，能夠發揮其專業知識在大中華區推出創新的內分泌藥物。

概 要

隆培促生長素(lonapegsomatropin)

我們商業化初步重點鎖定矮小症患者及PGHD的確診患者。我們的隆培促生長素(lonapegsomatropin)的商業目標分為兩方面：(i)加速市場從短效生長激素每日給藥到長效生長激素每週給藥的轉變；及(ii)確立隆培促生長素(lonapegsomatropin)在LAGH中的領先地位。

隆培促生長素(lonapegsomatropin)將定位於為患者帶來益處。為了最大限度地覆蓋到這一客戶細分市場，我們已經鎖定約1,000家公立醫院作為我們的目標市場，包括所有主要兒童醫院、所有主要的三級醫院及部分兒科部門規模可觀的二級醫院。我們計劃在大部分省份大規模地對這些醫院進行直銷，除此之外亦與分銷商及／或合同銷售組織（「CSO」）攜手建立對外合作關係，通過擴大對中國各地醫院的覆蓋，加速患者可及性。通過銷售覆蓋、與醫生進行有效的醫療溝通並為患者和照料者提供強大的價值，我們希望說服處方醫生相信隆培促生長素(lonapegsomatropin)比其他上市生長激素產品更具優勢，從而實現廣泛的市場接受度。

除了公立醫院的直銷覆蓋，我們還計劃與私立醫院／診所建立廣泛的合作關係，為患者補充處方藥物及持續服務提供便捷通道。對於接受隆培促生長素(lonapegsomatropin)治療的患者，我們計劃提供多種患者支援項目，包括全面的患者入門套件、專業服務團隊的協助以及數字化的患者服務平台。數字化的患者服務平台包括社交媒體及應用程序，提供注射指導、常見問題解答、處方藥物補充服務及虛擬教室。該平台創建了一個連接患者、照料者和醫生的生態系統、改善了治療體驗，並優化了依從性及治療效果。

TransCon CNP

TransCon CNP的商業目標是加強軟骨發育不全的認知度，確立TransCon CNP作為軟骨發育不全的標準治療，並建立患者對該藥物的可及性。

我們已於2020年與中國罕見病聯盟成立戰略聯盟，並支持其多中心患者登記研究，該研究於2021年4月啟動，旨在獲得中國特有的軟骨發育不全流行病學數據，包括疾病患病率、疾病負擔以及當前診斷和治療狀況。我們還支持制定中國首個軟骨發育不全診斷及治療專家共識，該專家共識於2021年7月發表在《中華兒科雜誌》上。

概 要

我們計劃支持全體利益相關方將軟骨發育不全納入中國罕見病名錄的工作，以進一步提高公眾意識。正在進行的多中心患者登記研究將生成流行病學數據，這將有助於政府了解患者的負擔並有可能促進有關TransCon CNP列入《國家醫保目錄》的進一步討論，最終使中國大部分軟骨發育不全的患者受益。

軟骨發育不全是遺傳性兒童生長失調的一種形式且通常由一小群專門從事內分泌學或遺傳病的兒科醫生治療。由於這種醫生群體很大程度上與隆促生長素(lonapegsomatropin)的目標醫生重疊，我們計劃充分利用這兩款產品在醫學教育及直銷範圍中的協同作用。我們計劃將隆促生長素(lonapegsomatropin)與TransCon CNP共享銷售團隊。等到TransCon CNP商業化上市後，我們預計軟骨發育不全將會有更高的認知度及診斷率。當這些因素與需要在患者進入青春期前接受治療的緊急性，以及患者有望獲得具有實現軟骨發育不全突破性治療效果的TransCon CNP相結合，我們預計TransCon CNP的銷售將迅速增長。

帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)

帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的商業化計劃包括市場開發、患者教育、患者可及性及建立甲狀旁腺功能減退症治療中心。

我們已經計劃多個市場開發活動，包括加大對內科醫生及甲狀旁腺功能減退症患者的教育投入、發表甲狀旁腺功能減退症白皮書，並促進更新甲狀旁腺功能減退症診斷及治療指南以反映新的治療目標及治療方法，及支持將甲狀旁腺功能減退症納入中國罕見病名錄。

我們亦計劃通過患者宣傳及社交媒體進行廣泛的患者教育活動，以提高對甲狀旁腺功能減退症及其疾病負擔的認知，最終提高診斷及治療率。我們亦制定了一個樣本計劃，為患者提供較常規療法更好的替代治療方案。

Pathway R研究是中國首個甲狀旁腺功能減退症登記研究，於2022年1月啟動。該研究旨在生成甲狀旁腺功能減退症在中國的流行病學數據，包括目前的臨床實踐及疾病負擔，以協助市場開發並支持通過談判將帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)列入《國家醫保目錄》的報銷範圍。

帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的定價將體現其卓越的臨床價值，並為列入《國家醫保目錄》作準備。我們計劃以軸輻式模型部署我們的商業資源。我們計劃憑藉甲狀旁腺功能減退症治療專業知識為數十家大型醫院提供支持，以建立甲狀旁腺功能減退症卓越中心，作為全中國的「樞紐點」。甲狀旁腺功能減退症患者能夠在這些「樞紐點」得到高質量的診斷及關鍵治療決策。此外，我們計劃覆蓋數百家地區醫院作為「非樞紐點」。「非樞紐點」醫院能夠辨別潛在甲狀旁腺功能減退症患者，引導他們前往「樞紐點」獲取關鍵治療決策，同時為患者補充處方藥物及正在進行的甲狀旁腺功能減退症治療提供便捷通道。由於大多數甲狀旁腺功能減退症患者接受成人內分泌專科醫生的治療，我們計劃部署單獨的成人內分泌專科銷售團隊及醫學聯絡員（「MSL」）團隊以覆蓋這些醫院。軸輻式模型使我們能夠利用一支小型精英銷售團隊來覆蓋廣闊的地理區域及龐大的患者群。

概 要

CMC及生產

在Ascendis Pharma的支持下，我們的CMC團隊主要負責所有CMC相關的活動，包括工藝、分析及劑型開發，以及臨床前、臨床及商業供應生產支持。根據獨家許可協議，我們擁有在大中華區生產所有候選藥物的獨家權利（除若干例外情況外），但我們目前從我們的合作夥伴處購買藥物製劑用於中國的臨床開發。有關臨床供應協議的詳情，請參閱「與控股股東的關係」及「關連交易」。我們亦在與Ascendis Pharma就隆培促生長素(lonapegsomatropin)在中國的潛在商業供應進行協商。詳情請參閱「關連交易」。

我們致力於打造成為內分泌學領域內公認和領先的具備「端到端」能力的企業，整合研究與CMC開發、臨床開發、商業化、生產及業務發展，並成為擬進入大中華區創新內分泌治療的首選合作夥伴。我們致力於建立我們一款或可能更多款候選藥物的內部商業化生產的能力。為實現該目標，我們已開始隆培促生長素(lonapegsomatropin)生產工藝的技術轉移，從Ascendis Pharma轉移至蘇州中心，同時也在根據所轉移的生產工藝設計蘇州中心。隆培促生長素(lonapegsomatropin)的本地化生產將於技術轉移完成並獲得必要的藥品生產許可證後開始。

我們亦獲得了建設蘇州中心的關鍵許可，包括土地證、建設用地規劃許可證、建設工程規劃許可證及建設工程施工許可證。我們將就隆培促生長素(lonapegsomatropin)的本地化生產積極推動技術轉移。

我們相信，依託中國全面整合的平台及對當地市場的深入了解，除了生產能力以外，將研發能力納入蘇州中心將使我們能夠更加深入地探索中國龐大的人生長激素市場規模，截至2021年，該市場份額已經超過15億美元，過去五年內的年複合增長率超過30%。日後，隨著我們業務的拓展和產品管線更加豐富，蘇州中心還將為更多新產品的商業化提供研發以及生產服務。將我們的供應鏈過渡到利用自有設施自主生產亦可能使本公司能夠更好地控制藥物製劑供應的質量及一致性，並提高生產的確定性和成本效益。該進展證明了我們對中國市場的投入。

概 要

合作

與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議

於2018年11月，我們分別就隆培促生長素(lonapegsomatropin)、TransCon CNP及帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)與Ascendis Pharma訂立三份獨家許可協議，該等協議隨後於2021年1月進行了修訂。根據各協議的條款，除若干例外情況外，Ascendis Pharma就其擁有或控制的適用專利及其他知識產權授予我們獨家免特許權使用費許可，可於大中華區開發、生產及商業化內分泌領域的適用候選藥物。此外，於獨家許可協議期限內，就Ascendis Pharma或其聯屬人士授予第三方許可可以於大中華區開發或商業化相關獨家許可協議涵蓋的內分泌藥物的權利（我們稱之為ROFN機遇），在其與該第三方進行實質性討論之前，Ascendis Pharma必須先通知我們。倘我們告知Ascendis Pharma，我們有意就該ROFN機遇磋商協議，則Ascendis Pharma與我們應進行真誠協商以最終確定相關許可協議。有關我們與Ascendis Pharma合作的詳情，請參閱「業務－合作－與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議」。根據協議，我們並無義務支付任何特許權使用費或里程碑付款，而是向Ascendis Pharma A/S的三家全資附屬公司發行了合共40,000,000股A輪優先股作為其訂立該等協議及相關臨床供應協議的對價。Ascendis Pharma為我們的創始股東之一。詳情請參閱「歷史、發展及公司架構－本集團的主要公司發展及股權變動」。

鑒於概無里程碑付款或特許權使用費形式的階段性付款，Ascendis Pharma的利益與我們的利益高度一致。有關我們與Ascendis Pharma間的互補關係，請參閱「與控股股東的關係」。

與中國罕見病聯盟戰略合作就中國軟骨發育不全進行全國患者登記及診斷共識研究

我們通過與全國性、非營利性罕見病合作交流平台中國罕見病聯盟訂立捐贈協議，於2019年6月支持成立了軟骨發育不全顧問委員會，該委員會由中國罕見病聯盟管理，隨後於2020年12月與中國罕見病聯盟進行為期五年的戰略合作，於中國進行軟骨發育不全的全國患者登記及診斷共識研究。

與北京大學醫學部戰略合作，就甲狀旁腺功能減退症進行隊列研究

於2021年7月15日，我們與北京大學醫學部訂立戰略合作協議，以啟動PaTHway R研究，這是中國首個關於甲狀旁腺功能減退症患者的登記研究，也是全球關於該疾病的最大的隊列研究之一。PaTHway R研究旨在增強公眾及專業人士對於甲狀旁腺功能減退症的病因學、治療方案及疾病負擔的了解，並已於2022年1月啟動。

概 要

業務發展

我們將繼續甄選、開發並營銷有潛力的創新性治療藥物以滿足目前尚未被滿足的醫療需求。我們旨在為全球創新搭建橋樑，從而為中國患者帶來拯救生命及改變生活的內分泌療法，並計劃成為大中華區內分泌領域的首選合作夥伴。迄今為止，我們與Ascendis Pharma的合作往績已經獲得驗證，突顯我們在全球生物製藥及生物技術公司中的超卓信譽，並為長期合作奠定基礎。我們計劃通過與Ascendis Pharma及其他生物製藥公司的戰略性授權引入、合作和夥伴關係擴展產品管線組合。根據與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議，我們擁有Ascendis Pharma未來若干產品在大中華區分泌疾病領域的優先談判權。這將使我們能夠採購、開發及商業化更多基於獨特暫時連接技術(TransCon)的候選藥物，並有望成為高度差異化的內分泌療法。我們擬與Ascendis Pharma合作評估未來潛在候選藥物，並就滿足尚未被滿足的醫療需求及在大中華區擁有強大商業潛力的產品行使我們的權利。詳情請參閱「業務－合作－與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議」。

除Ascendis Pharma以外，我們計劃利用本身的平台及網絡，致力尋求與其他潛在生物製藥合作夥伴的業務發展機會，期望對方的內分泌藥物、候選藥物或技術及平台可與我們的產品組合及／或能力具有協同效應或互補作用。我們認為與股東及一眾具有戰略意義並專注於生命科學領域的資深投資者的關係，將有助於我們成功獲得可創造價值的合作夥伴。長遠而言，我們計劃利用我們在內分泌學領域的基礎設施及「端到端」的能力，成為擬進入大中華區創新內分泌治療的首選合作夥伴。

我們計劃充分利用我們在內分泌學領域的豐富知識及對醫療需求和技術的深度理解，並通過發現及落實有吸引力的許可和合作機會，或通過併購，與其他擁有可能與我們的產品組合具有協同效應或互補作用的內分泌藥物、候選藥物或技術的潛在生物製藥企業合作，尋求業務發展機會，從而進一步擴展我們的產品管線。

我們的規模化運營及平台，結合一支針對同一批內分泌專業醫生和拜訪對象的商業團隊，具有高度協同性和強大運營槓桿，可最大化進入大中華區的其他內分泌產品的價值：

- 具有同類首創或者同類最佳潛力的協同臨床階段產品。我們根據藥物或候選藥物臨床概況、新穎性及有效性程度、技術差異及目標疾病尚未被滿足的醫療需求以及各自在大中華區的商業潛力，優先引進藥物或候選藥物。

概 要

- 僅需輕度推廣的已上市內分泌產品以及具有吸引力的現金流或利潤率。我們從戰略上尋求授權引入或獲取在美國及歐盟等受監管市場已上市或處於後期開發階段藥物的權利，這可能與我們的產品管線具有協同效應或互補作用。

作為補充措施，當產品的目標或作用機制符合我們的整體產品管線並具有龐大的目標市場機遇時，我們將在合同開發及生產機構（「CDMO」）的支持下或通過併購以研究為導向的生物技術公司，擇機建立創新療法的內部開發管線。

知識產權

我們的在研候選藥物的所有知識產權均由Ascendis Pharma獨家授權。截至最後實際可行日期，我們於大中華區擁有Ascendis Pharma獨家授權的20項已發佈專利及16項待審批專利申請。我們的專利及專利申請組合包括下列各項：

隆培促生長素(lonapegsomatropin)。我們於大中華區擁有Ascendis Pharma獨家授權的與隆培促生長素(lonapegsomatropin)相關的四項已發佈專利及四項專利申請。該等已發佈專利預計將於2029年到期。

TransCon CNP。我們於大中華區擁有Ascendis Pharma獨家授權的與TransCon CNP相關的11項已發佈專利及三項專利申請。該等已發佈專利預計將於2037年到期。

帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)。我們於大中華區擁有Ascendis Pharma獨家授權的與帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)相關的五項已發佈專利及九項專利申請。該等已發佈專利預計將於2037年到期。

在中國，已發佈專利可進行專利延期且在中國的專利申請可進行專利期限調整，目前，我們並無於大中華區以外任何司法管轄區擁有或持有任何針對隆培促生長素(lonapegsomatropin)、TransCon CNP及帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)專利或專利申請的獨家授權。

關於我們與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議的詳情，請參閱「業務—合作—與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議」。在與Ascendis Pharma訂立許可協議之前，我們對他們的知識產權進行了盡職調查，但我們不能保證該等權利不會受到挑戰，亦不能保證該等權利將提供有意義的排他性或競爭優勢，或者能使我們成功地開發許可的候選藥物。請參閱「風險因素—與我們的業務、業務運營、知識產權、我們的候選藥物的監管批准、商業化及財務前景有關的主要風險—我們授權引入的專利及專利申

概 要

請或我們未來擁有或授權引入的任何專利及專利申請可能會面臨優先權糾紛或發明權糾紛及類似訴訟。如果我們或我們的授權方於該等訴訟中的任何一項敗訴，我們或需自第三方處獲得授權，惟可能無法按商業上合理的條款取得該等授權甚至可能根本無法取得授權，或者導致停止開發、生產及商業化我們的一款或多款候選藥物」。

專利期限取決於其發佈國的法律。專利期限通常為自非臨時專利申請的最早申請日起20年。根據《中華人民共和國專利法》，專利保護期自申請之日起計算。發明相關專利自申請之日起20年內有效，實用新型專利及外觀設計專利分別自申請之日起10年及15年內有效。專利補償機制於2021年6月1日開始實施，中國已發佈的專利可從中受益。就獲批在中國上市的新葯專利而言，其專利期限可應專利持有人要求，由專利主管部門決定最長延長5年，以補償藥品上市註冊及審批程序所用的時間，且在補償後，相關新葯上市批准後的專利期限不得超過14年。

我們主要以「維昇葯業」為品牌名稱開展業務。截至最後實際可行日期，我們於中國擁有120個註冊商標及於大中華區擁有30個待審批商標申請。我們擁有一個域名，即 *visenpharma.com*。

有關與我們的知識產權有關的其他風險的詳情，請參閱「風險因素－與我們的知識產權有關的其他風險」，有關我們知識產權的詳情，請參閱「附錄四－法定及一般資料－B.有關我們業務的進一步資料」。

董事確認，截至最後實際可行日期，我們並非就任何知識產權或其他涉及任何重大法律或行政流程的當事方。就我們所知，有關政府部門或第三方無計劃提出會對我們的業務產生重大不利影響的任何申索或訴訟。請參閱「業務－法律訴訟及合規」。

供應商

根據行業慣例，我們使用數量有限的高信譽CRO支持我們在中國的臨床研究。我們通過考慮CRO的學術資格、行業聲譽、對相關監管機構的依從性及成本競爭力，選擇我們的CRO。我們目前從Ascendis Pharma進行採購，以滿足我們的內分泌候選藥物生產需求。

概 要

截至2020年及2021年12月31日止年度以及截至2022年7月31日止七個月，我們向五大供應商採購的總額分別佔總採購的69%、66%及46%，而我們單獨向最大供應商作出的採購分別佔總採購的32%、45%及23%。採購包括用於研發目的的第三方承包服務、設備、建設與改造及行政服務。於往績記錄期間，除Ascendis Pharma外，我們的五大供應商均為獨立第三方，且據董事所知，董事、他們各自的聯繫人或於最後實際可行日期擁有我們已發行股本5%以上的任何股東概無於往績記錄期間於我們五大供應商中擁有任何權益。

此外，我們認為有足夠的替代供應來源，我們已為該等替代供應制定了替代採購戰略。我們將根據供應連續性進行風險評估，與其他來源建立必要聯繫。除與某些CRO簽訂的協議外，我們基於採購訂單訂購供應品及服務，並建立了CRO招投標及管理流程，以使我們能夠獲得更好的條款及條件。

競爭

製藥行業競爭激烈且可能迅速發生重大變化，我們預計會與其他組織形成直接競爭：

隆培促生長素(lonapegsomatropin)。我們的核心產品隆培促生長素(lonapegsomatropin)的競爭對手包括推廣或開發LAGH療法的公司（如金賽藥業、天境生物、安徽安科），及推廣短效（每日注射）人生長激素的公司，包括生物製藥公司（如金賽藥業、安徽安科及上海聯合賽爾）及跨國公司諾和諾德。目前僅有一款LAGH療法在中國獲得上市批准，部分LAGH療法目前正處於臨床開發階段。在中國唯一上市的LAGH及所有處於臨床開發階段的LAGH候選藥物中，隆培促生長素(lonapegsomatropin)是中國唯一已完成3期臨床開發的在體內釋放未經修飾的人生長激素的LAGH，其分子形式與腦垂體分泌的內源性生長激素相同，並保留了其原始的作用機制。這款療法不同於中國處於開發階段及／或已投入商用的其他LAGH療法，這些LAGH療法的活性成分為已經過修飾的蛋白或多肽，可能會改變人生長激素效價、藥代動力學或藥效動力學、組織滲透和受體結合，並可能對藥物療效及安全性產生不良影響。此外，在中國所有處於臨床階段的LAGH中，除安徽安科的PEG-rhGH於2018年完成3期試驗後尚未獲得上市批准外，隆培促生長素(lonapegsomatropin)的開發狀態最為臨近後期。

TransCon CNP。中國目前尚無已獲批的針對軟骨發育不全的有效的疾病修正療法。

帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)。中國尚無獲批准用於治療甲狀旁腺功能減退症的甲狀旁腺激素替代療法。帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)是唯一一款已在中國開始臨床開發的甲狀旁腺激素替代療法。中國境外，由Shire-NPS Pharmaceuticals（該公司隨後於2019年被Takeda Pharmaceutical Company（「Takeda」）

概 要

收購)開發的Natpara(甲狀旁腺激素(1-84))在2015年獲FDA的上市批准，批准每日一次皮下注射，用以給甲狀旁腺功能減退症患者補充維生素D及鈣，於2019年9月，因可能形成橡膠微粒而被從美國市場召回。於2022年10月，Takeda宣佈，由於該產品特有的供應問題尚未解決，其將於2024年底在全球範圍內停止生產Natpara，且不會在美國重新商業化Natpara。此外，截至最後實際可行日期，EB612(由Entera Bio開發)、CLTX-305(由Calcilytix Therapeutics開發)及AZP-3601(由Amolyt Pharma開發)正在進行2期全球臨床試驗；MBX2109(由MBX Biosciences開發)及EXT608(由Extend Biosciences開發)正在進行1期全球臨床試驗。這些候選藥物都未在中國開展臨床活動。

有關我們的候選藥物的競爭格局的詳情，請參閱「行業概覽」、「業務－我們的內分泌藥物產品線」及「業務－競爭」。

股東資料

截至最後實際可行日期，Ascendis Pharma A/S通過其全資附屬公司Ascendis Pharma Endocrinology Division、Ascendis Pharma Growth Disorders及Ascendis Pharma Bone Diseases(統稱「Ascendis附屬公司」)於本公司合共約39.95%的股份中間接擁有權益。緊隨[編纂]完成後(假設[編纂]未獲行使且並無根據[編纂]股份獎勵計劃發行股份)，Ascendis Pharma A/S(通過Ascendis附屬公司)將於本公司約[編纂]%的股份中間接擁有權益。因此，Ascendis Pharma A/S、Ascendis Pharma Endocrinology Division、Ascendis Pharma Growth Disorders及Ascendis Pharma Bone Diseases將於[編纂]後構成本公司的一組控股股東。詳情請參閱「與控股股東的關係」。

自本公司成立以來，我們已完成兩輪由創始股東及[編纂]投資者(包括一眾具有戰略意義、專注於生命科學且支持我們使命的機構投資者)發起的[編纂]投資。本公司通過[編纂]投資中籌集的資金總額約為190百萬美元。本公司的資深投資者包括Sofinnova、Sequoia China、奧博資本及Sherpa Healthcare Partners，於[編纂]完成後(假設[編纂]未獲行使且並無根據[編纂]股份獎勵計劃發行股份)，分別持有本公司已發行股本總額的[編纂]%、[編纂]%、[編纂]%及[編纂]%。詳情請參閱「歷史、發展及公司架構－[編纂]投資」。

持續關連交易

本公司已與控股股東訂立並將繼續與其進行若干交易，該等交易將於[編纂]後構成持續關連交易。就該等持續關連交易而言，我們已申請及聯交所[已批准]我們豁免嚴格遵守《上市規則》第十四A章所載的若干規定，包括對期限超過三年的持續關連交易的豁免。詳情請參閱「關連交易」。

概 要

主要財務資料概要

下文所載財務資料的歷史數據概要乃摘錄自本文件附錄一會計師報告所載合併財務報表（包括隨附附註），以及「財務資料」所載資料，並應一併閱讀。我們的財務資料乃根據《國際財務報告準則》編製。

綜合損益及其他全面收益表摘要

目前，我們的產品尚未獲准進行商業銷售且並未從產品銷售產生任何收入。自成立以來的各年度內及於往績記錄期間，我們均產生經營虧損。截至2020年及2021年12月31日止年度以及截至2021年及2022年7月31日止七個月，我們的全面虧損總額分別約為人民幣99.0百萬元、人民幣484.9百萬元、人民幣274.2百萬元及人民幣130.5百萬元。我們的絕大部分經營虧損乃由：(i)研發開支；及(ii)行政開支所致。

我們預期在至少未來幾年會產生大量開支及經營虧損，乃由於我們進一步進行臨床研發活動、繼續進行候選藥物的臨床開發並尋求監管批准、將管線產品商業化以及增聘必要人員以經營我們的業務。於[編纂]後，我們預期會產生與作為[編纂]公司經營業務相關的成本。由於候選藥物的開發狀況、監管批准時間表以及審批後我們候選藥物的商業化，我們的財務表現預期將在不同期間有所波動。

下表載列我們於所示期間的綜合損益及其他全面收益表，乃摘錄自本文件附錄一會計師報告所載綜合損益及其他全面收益表：

	截至12月31日止年度		截至7月31日止七個月	
	2020年	2021年	2021年	2022年
	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元 未經審計	人民幣千元
其他收入	393	1,251	254	1,830
其他收益及虧損淨額	(14,531)	(21,525)	(5,255)	41,585
研究及開發成本	(65,197)	(274,277)	(150,452)	(78,147)
行政開支	(15,821)	(174,349)	(109,170)	(93,801)
融資成本	(305)	(734)	(373)	(407)
[編纂]	[編纂]	[編纂]	[編纂]	[編纂]
稅前虧損	(98,971)	(484,776)	(274,253)	(130,387)
所得稅開支	—	—	—	—
年內／期內虧損	(98,971)	(484,776)	(274,253)	(130,387)
換算海外業務財務報表 的匯兌差額	—	(169)	5	(68)
年內／期內全面虧損總額	(98,971)	(484,945)	(274,248)	(130,455)

概 要

綜合財務狀況表摘要

下表載列截至所示日期我們綜合財務狀況表的節選資料，有關資料摘錄自本文件附錄一會計師報告：

	截至12月31日		截至7月31日
	2020年	2021年	2022年
	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元
非流動資產			
物業、廠房及設備	3,044	3,793	8,428
使用權資產	8,953	10,223	16,847
無形資產	312	2,138	1,652
預付款項及其他應收款項	5,358	19,163	7,192
非流動資產總值	17,667	35,317	34,119
流動資產			
預付款項及其他應收款項	2,341	12,418	14,269
現金及現金等價物	158,084	882,653	795,360
流動資產總值	160,425	895,071	809,629
流動負債			
貿易及其他應付款項	23,109	45,169	50,406
遞延收入	—	2,900	2,900
應付關聯方款項	955	23,164	10,519
租賃負債	3,099	4,663	4,853
流動負債總額	27,163	75,896	68,678
流動資產淨值	133,262	819,175	740,951
資產總值減流動負債	150,929	854,492	775,070
非流動負債			
租賃負債	6,447	6,497	3,183
非流動負債總額	6,447	6,497	3,183
資產淨值	144,482	847,995	771,887
權益			
本公司擁有人應佔權益			
股本	55	77	77
庫存股份	—	(13)	(13)
儲備	144,427	847,931	771,823
權益總額	144,482	847,995	771,887

概 要

相較於截至2021年12月31日的流動資產淨值人民幣819.2百萬元，我們截至2022年9月30日（即於本文件中披露流動性的最後實際可行日期）的流動資產淨值為人民幣668.9百萬元。該變動主要是由於與我們於蘇州中心的日常研發活動及固定資產投資有關的運營成本導致現金及現金等價物減少。

我們的流動資產淨值由截至2020年12月31日的人民幣133.3百萬元增至截至2021年12月31日的人民幣819.2百萬元。該人民幣685.9百萬元的增加主要歸因於(i)現金及現金等價物增加人民幣724.6百萬元；及(ii)預付款項及其他應收款項增加人民幣10.1百萬元，部分被(i)貿易及其他應付款項增加人民幣22.1百萬元；(ii)遞延收入增加人民幣2.9百萬元；(iii)應付關聯方款項增加人民幣22.2百萬元；及(iv)租賃負債增加人民幣1.6百萬元所抵銷。

綜合現金流量表摘要

下表載列於所示年度／期間我們的現金流量摘要：

	截至12月31日止年度		截至7月31日止七個月	
	2020年	2021年	2021年	2022年
	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元	人民幣千元
			未經審計	
經營活動所用現金流量淨額	(90,677)	(226,478)	(75,236)	(73,766)
投資活動所用現金流量淨額	(2,118)	(13,585)	(2,045)	(9,813)
融資活動(所用)／所得現金流量淨額	(1,512)	964,801	967,923	(3,646)
現金及現金等價物(減少)／增加淨額	(94,307)	724,738	890,642	(87,225)
年初／期初現金及現金等價物	252,391	158,084	158,084	882,653
年末／期末現金及現金等價物	158,084	882,653	1,048,731	795,360

概 要

現金消耗率指月均(i)經營活動所用現金淨額，包括臨床開發及業務開發活動；(ii)資本開支；及(iii)租賃付款。截至2022年7月31日，我們的現金及現金等價物為人民幣795.4百萬元。假設無[編纂]獲行使且假設[編纂]為每股[編纂]港元(即本文件[編纂]的低位數)，我們估計在扣除我們在[編纂]中應付的[編纂]費用及開支後，我們將獲得約[編纂]港元的[編纂]，相當於人民幣[編纂]元。我們估計，截至2022年7月31日的現金及現金等價物可使我們維持[編纂]的財務可行性，或如計及估計[編纂]的[編纂]% (即分配作營運資金及其他一般公司用途的部分)，可使我們維持23個月的財務可行性，或如我們亦計及估計[編纂]，則可使我們維持58個月的財務可行性。我們將繼續密切監察經營所得現金流量，如有需要，預期會進行下一輪融資，緩衝期至少為12個月。

主要財務比率

下表載列截至所示日期本集團的流動比率：

	截至12月31日		截至7月31日
	2020年	2021年	2022年
流動比率 ⁽¹⁾	5.91	11.79	11.79

附註：

(1) 流動比率等於流動資產除以截至同日的流動負債。

從2021年12月31日至2022年7月31日的流動比率保持穩定，原因是該期間的流動資產及流動負債保持穩定。

從2020年12月31日至2021年12月31日的流動比率增加，主要歸因於現金及現金等價物增加人民幣724.6百萬元，這主要由於我們於2021年籌集150百萬美元的B輪融資。

概 要

近期發展

公佈我們在中國完成的隆培促生長素(lonapegsomatropin) 3期關鍵試驗結果

於2022年5月，我們公佈了中國已完成的隆培促生長素(lonapegsomatropin) 3期關鍵試驗的頂線結果。於2022年11月，我們進一步公佈了來自該項試驗的詳細結果，如下所述。

有效性結果。已完成的3期關鍵試驗所公佈的結果支持每週一次隆培促生長素(lonapegsomatropin)在主要終點(52週AHV)上較每日一次人生長激素具有非劣效性及優效性。隆培促生長素(lonapegsomatropin)於52週的經調整協方差分析(「ANCOVA」)的最小二乘平均AHV為10.66厘米／年，而短效(每日注射)人生長激素為9.75厘米／年， p 值為0.0010。估計治療差異為0.91厘米／年，95%置信區間為0.37 ~ 1.45厘米／年。從13週(含)開始，治療差異達到統計學顯著性。多項預先指定的敏感性分析已完成，並鞏固了該等結果的穩健性。

隆培促生長素(lonapegsomatropin)組於52週時的身高標準差評分較基線增加了1.01，短效(每日注射)人生長激素組則增加了0.83， p 值為0.0015，且從13週(含)開始，統計學顯著性在隆培促生長素(lonapegsomatropin)組中得到證實。該等結果與Ascendis Pharma進行的支持FDA及EMA批准的隆培促生長素(lonapegsomatropin)全球3期項目的有效性結果一致。

已公佈的結果顯示，於52週內，隆培促生長素(lonapegsomatropin)及短效(每日注射)人生長激素的平均胰島素樣生長因子-1(「IGF-1」)標準差評分均在正常範圍內普遍增加，而隆培促生長素(lonapegsomatropin)的平均IGF-1標準差評分相對高於短效(每日注射)人生長激素(於52週內0.76至1.45對比-0.3至0.3)，這與隆培促生長素(lonapegsomatropin)相較於短效(每日注射)人生長激素所觀察到的良好生長結果一致。

安全性及耐受性結果。已公佈的結果表明隆培促生長素(lonapegsomatropin)總體安全且耐受性良好，不良事件(「AE」)與使用短效(每日注射)人生長激素療法所觀察到的類型及頻次一致，且試驗組之間具有可比性。在服用隆培促生長素(lonapegsomatropin)或短效(每日注射)人生長激素的患者中發生的最常見不良事件為上呼吸道感染。報告的嚴重不良事件(「SAE」)及與隆培促生長素(lonapegsomatropin)及短效(每日注射)人生長激素有關的嚴重不良事件並不常見，且於試驗組之間類似。兩名患者出現了導致停用隆培促生長素(lonapegsomatropin)的不良事件，但據研究人員判斷，僅有一名患者與隆培促生長素(lonapegsomatropin)有關。兩組均無死亡報告。在整個試驗過程中，血糖大致穩定，且兩組均保持在正常範圍內。其他實驗室參數於試驗組之間亦類似。此項中國3期關鍵試驗的安全性及耐受性結果與支持FDA及EMA批准的隆培促生長素(lonapegsomatropin)全球3期項目的安全性及耐受性結果一致。

概 要

完成正在中國進行的帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide) 3期關鍵試驗患者入組

於2022年6月，我們完成了正在進行的帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide) 3期關鍵試驗的患者入組。我們比原計劃時間表提前兩週完成了入組，這突顯我們的管理層及臨床研發團隊強大的執行能力。

無重大不利變動

董事確認，直至本文件日期，我們的財務或貿易狀況自2022年7月31日（即本集團最新綜合財務資料的編製日期）起並無重大不利變動，且自2022年7月31日以來並無任何事件會對本文件附錄一會計師報告所載合併財務報表列示的資料造成重大影響。

COVID-19疫情的影響

引起COVID-19的新型冠狀病毒疫情的爆發對全球經濟產生重大不利影響。自2020年第四季度以來，在包括中國在內的許多國家發現了新的COVID-19變異株，如Beta、Delta和Omicron，其中Omicron和Delta被發現與原始病毒株相比更具侵略性、傳播性，並能引起更嚴重的疾病。自2021年11月，COVID-19疫情在中國的多個省份出現反覆。

截至最後實際可行日期，我們尚未經歷，且預計不會因為COVID-19疫情導致我們的候選藥物在註冊事務方面出現重大延誤，或對我們的運營產生任何長期影響或偏離我們的整體發展計劃。基於以下幾點，COVID-19疫情不太可能對我們的業務、財務狀況或經營業績造成重大不利影響：

- **臨床試驗。**我們核心產品的3期關鍵試驗的患者入組工作由於COVID-19導致臨床試驗中心被封鎖而暫停了幾個月。儘管遭遇了COVID-19疫情導致的中斷及臨床研究中心的封鎖，我們依然按照原目標時間表完成了這項試驗的患者入組。同樣，儘管COVID-19於2022年初在中國出現反覆，但我們於2022年4月成功完成了核心產品的3期關鍵試驗。關於帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的3期關鍵試驗和TransCon CNP的2期試驗，我們通過採取遠程隨訪、制定業務連續性計劃、採用直接面向患者（「DTP」）將研究產品從研究中心運送至患者、修改協議和知情同意書以接受當地評估和DTP等措施，盡最大努力降低COVID-19的潛在風險和影響，確保患者的安全。於2022年6月，儘管疫情仍在持續，我們比原計劃時間表提前兩週完成了正在進行的帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的3期關鍵試驗的患者

概 要

入組。COVID-19疫情沒有導致我們的臨床試驗提前終止，也沒有導致任何入組臨床試驗的患者提前退出。為了管理與COVID-19疫情有關的風險，我們採取了各種措施，如與臨床試驗中心合作，為入組患者提供口罩等個人防護設備，與主要研究者進行頻繁溝通，以確定和解決可能出現的任何問題，建議研究人員與入組患者溝通，在必要時到當地有資質的醫院進行後續評估。

- **運營。**政府封鎖及其他限制性措施大幅降低了僱員流動性，導致大部分僱員於COVID-19疫情初期遠程工作。因此，我們根據相關法規政策實施各種預防措施，並調整僱員工作安排，從而能夠留住充足數量的現場人員以繼續我們的研發活動。為符合政府指引，我們密切跟蹤僱員的衛生與健康狀況，我們定期在僱員進入辦公場所或設施前檢測其體溫。自2020年第二季度起及截至最後實際可行日期，我們的所有中國僱員已恢復日常運營。為了防止COVID-19在我們的辦公室傳播，我們採取了一些預防措施，如定期對我們的辦公室進行消毒和通風，每天檢測僱員體溫，跟蹤僱員的旅行史和健康狀況，並為我們辦公室的出勤僱員提供口罩和消毒劑。
- **供應鏈及與第三方的合作。**在某種程度上，COVID-19疫情導致的中國及全球的運輸減少以及生產及物流網絡中斷影響了我們供應商生產及運輸我們運營所必需耗材及其他用品的能力。然而，截至最後實際可行日期，我們大部分供應商已恢復正常營運，且於COVID-19疫情期間，我們尚未出現任何重大的供應中斷或短缺。
- **註冊事務。**據我們所知，在COVID-19疫情的早期階段，國家藥監局對申請的受理和審評過程比平時要慢，但於2020年5月，國家藥監局恢復正常的審查過程並提供靈活的方式以對解決尚未被滿足的醫療需求的項目加速審批。我們預計，我們與國家藥監局的溝通和申報將不會受到COVID-19疫情的實質性影響。

尚不確定COVID-19疫情是否將加劇。我們計劃繼續實施預防及減少COVID-19疫情對我們運營影響所必要的現有補救措施或其他措施。然而，概無法保證我們日後將不會發生COVID-19導致的中斷，其可能對我們現有及未來候選藥物的業務及臨床試驗產生不利影響。詳情請參閱「風險因素－與我們的業務營運有關的風險－COVID-19疫情可能對我們的業務（包括我們的臨床試驗）產生不利影響」。

概 要

[編纂]

概 要

股息

於往績記錄期間，我們從未就普通股份或任何其他證券宣派或派付股息。我們目前擬保留所有可供使用的資金及盈利（如有），以為我們的業務發展及擴張提供資金，而我們預期不會在可見將來派付任何現金股息。[編纂]不應以收取現金股息的預期購買我們的普通股份。

任何未來股息的派付將由董事或股東於股東大會酌情決定，並可能基於許多因素，包括我們日後的營運及盈利、資本要求及盈餘、一般財務狀況、合同限制及董事可能認為相關的其他因素。據開曼群島法律顧問告知，根據開曼群島法律，公司可自利潤或股份溢價賬中宣派及派付股息，而在任何情況下，如宣派或派付股息會導致公司在日常業務過程中無法償還到期債務，則不得宣派或派付股息。[編纂]不應以收取現金股息的預期購買股份。

[編纂]

[編纂]主要包括已付及應付予專業人士的法律及其他專業費用、應付予[編纂]的佣金以及他們就[編纂]及[編纂]而提供服務的印刷及其他開支。假設並無根據[編纂]發行股份且並無根據[編纂]股份獎勵計劃發行股份，[編纂]的[編纂]估計約為[編纂]港元（包括[編纂]佣金，假設[編纂]為每股股份[編纂]港元，即[編纂]每股股份[編纂]港元至[編纂]港元的中位數），約佔我們預期從本次[編纂]中收到的[編纂]的[編纂]%。截至2020年12月31日止年度，人民幣[編纂]元（約[編纂]港元）已確認並於綜合損益及其他全面收益表扣除，截至2021年12月31日止年度確認人民幣[編纂]元（約[編纂]港元），及截至2022年7月31日止七個月確認人民幣[編纂]元（約[編纂]港元）。於2022年7月31日後，預計約[編纂]港元將從我們的綜合損益及其他全面收益表扣除，而約[編纂]港元預計將於[編纂]後自權益扣除。上述[編纂]乃最新的實際可行估計，僅供參考，實際金額可能與此估計有所不同。

概 要

[編纂]用途

假設[編纂]為[編纂]港元（即[編纂]的中位數），經扣除與[編纂]及[編纂]有關的估計[編纂]費用和估計[編纂]後，我們估計[編纂]合共約為[編纂]港元（倘[編纂]未獲行使）或[編纂]港元（倘[編纂]獲悉數行使）。

為與我們的戰略保持一致，我們擬將從[編纂]中獲得的[編纂]用作以下用途，惟可能會根據我們不斷發展的業務需求及不斷變化的市況而發生變動：

估計[編纂]的分配	擬作主要用途
[編纂]%或[編纂]港元	用於為我們核心產品隆培促生長素(lonapegsomatropin)的研發（包括(i)籌備監管申報；及(ii)適應症擴展的未來臨床試驗）及商業化（一經批准）以及生產設施建設提供資金；
[編纂]%或[編纂]港元	用於為帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的研發（包括正在進行的臨床試驗及監管申報準備）以及帕羅培特立帕肽(palopegteriparatide)的商業化（一經批准）提供資金；
[編纂]%或[編纂]港元	用於為正在進行的用於治療軟骨發育不全的TransCon CNP 2期臨床試驗（ACcomplisH China試驗）提供資金；
[編纂]%或[編纂]港元	用於為我們的業務開發活動（包括潛在授權引入及其他交易）提供資金以擴展我們的管線組合；及
[編纂]%或[編纂]港元	用作營運資金及其他一般公司用途。

詳情請參閱「未來計劃及[編纂]用途」。

概 要

風險因素

我們認為，我們的經營涉及若干風險，其中許多風險超出我們的控制範圍。詳情請參閱「風險因素」。我們面臨的若干主要風險包括：

- 我們的經營歷史有限，沒有獲准用於商業銷售的產品，也從未產生過任何收入，並且未來可能會蒙受重大損失，導致難以評估我們的未來發展潛力。我們業務涉及的風險可能導致潛在[編纂]失去其於我們業務的絕大部分[編纂]。
- 我們自成立以來的各年度均有產生虧損。我們預計在未來幾年將繼續產生虧損，並且可能永遠不會實現或維持盈利。
- 我們的所有候選藥物均處於臨床開發階段。倘我們無法通過臨床開發來推進我們的候選藥物、取得監管批准及最終實現候選藥物商業化，或上述事項出現重大延遲，則我們的業務及盈利將嚴重受損。
- 我們的候選藥物可能導致不希望看到的不良事件或具有其他特性，該等不良事件或特性可能延遲或妨礙監管批准，限制獲批藥品說明書的商業前景，或導致在獲得監管批准（如有）後出現嚴重負面後果。倘我們的任何候選藥物獲得上市批准，並隨後引起不良副作用，則可能影響該等候選藥物的上市能力。
- 我們開發、生產及商業化候選藥物的權利受限於Ascendis Pharma授予我們的許可條款及條件。倘我們未能遵守與Ascendis Pharma訂立的獨家許可協議中的義務，我們可能會失去開發、生產和商業化候選藥物的權利，並須支付經濟損害賠償，這可能對我們的業務運營造成重大不利影響。
- 我們的成功取決於我們和Ascendis Pharma為我們的候選藥物及其基礎技術獲得、維持、保護和強制執行知識產權保護的能力。倘我們或Ascendis Pharma無法獲得和維持對我們的候選藥物的知識產權保護，或倘所獲得的有關知識產權範圍不夠廣泛，則第三方可開發和商業化與我們相似或相同

概 要

的產品和技術並與我們直接競爭，且我們成功將任何產品或技術進行商業化的能力可能會受到不利影響。倘在法院或監管機構受到質疑，我們授權引入的涉及我們一款或多款候選藥物的專利和專利申請可能會被認定為無效或無法執行。

- 我們授權引入的專利及專利申請或我們未來擁有或授權引入的任何專利及專利申請可能會面臨優先權糾紛或發明權糾紛及類似訴訟。如果我們或我們的授權方於該等訴訟中的任何一項敗訴，我們或需自第三方處獲得授權，惟可能無法按商業上合理的條款取得該等授權甚至可能根本無法取得授權，或者導致停止開發、生產及商業化我們的一款或多款候選藥物。
- 藥品的研究、開發及商業化在所有重大方面均受到嚴密監管。
- 國家藥監局及其負責審評審批的監管機構的監管審批程序存在不確定性且耗時較長，並可能隨著時間的推移而變化。倘我們的候選藥物最終無法獲得監管批准，我們的業務可能因此受到嚴重損害且閣下可能會損失對我們的[編纂]。
- 即使我們的候選藥物取得監管批准，亦可能永遠無法獲得市場認可或成功商業化，這在一定程度上取決於醫生、患者、第三方付款人及醫療界的認可程度。
- 生物技術及生物製藥行業的競爭非常激烈，我們的競爭對手可能會發現、開發或商業化比我們的產品更安全有效、能更有效地營銷或成本更低，或更早地取得監管批准或進入市場的產品。倘我們無法有效競爭，我們的業務、經營業績及前景將受到損害。
- 我們在大中華區推出及推廣候選藥物方面並無經驗。倘若我們無法有效建立及管理我們的銷售網絡或受益於第三方合作商的銷售網絡，我們可能無法賺取任何收入。