



# 免责声明



THIS DOCUMENT OR THE INFORMATION CONTAINED HEREIN IS NOT INTENDED TO AND DOES NOT CONSTITUTE ANY OFFER OR INVITATION, SOLICITATION, COMMITMENT OR ADVERTISEMENT OF ANY OFFER FOR SUBSCRIPTION, PURCHASE OR SALE OF ANY SECURITIES, NOR SHALL ANY PART OF THIS DOCUMENT FORM THE BASIS OF OR BE RELIED ON IN CONNECTION WITH ANY CONTRACT OR COMMITMENT WHATSOEVER.

This document is strictly confidential to the recipient only, and may not be copied, reproduced, redistributed, disseminated, or used or disclosed to any other person, or published, in whole or in part, for any other purpose. This document has been prepared by InSilico Medicine Cayman TopCo (the “Company”) but without further investigation and cannot be warranted as to its accuracy or completeness. Neither the Company, its joint sponsors and syndicate banks (the “Syndicates”), nor any of their respective subsidiaries or affiliates, controlling persons, directors, supervisors, officers, partners, agents, employees, advisers, and representatives have verified independently any or all such information or assumptions made, or there may exist other facts, risks or considerations which might be material concerning the information herein. Accordingly, neither the Company, the Syndicates, nor any of their respective subsidiaries or affiliates, controlling persons, directors, supervisors, officers, partners, agents, employees, advisers, and representatives, make any representation or warranty, expressed or implied, with respect to the information or assumptions contained in this document or on which this document is based, or that the information or assumptions remains unchanged after the issue of this document, and will not accept any loss, liability or responsibility whatsoever for the accuracy or completeness of the information or assumptions on which this document is based.

This document does not have regard to the specific investment objectives, financial situation or particular needs of any specific persons who may receive this document. This document is not to be relied upon as such or used in substitution for the exercise of independent judgment. The recipient must make its own assessment of the relevance, accuracy and adequacy of the information contained or assumptions made in this document prior to entering into any transaction or investment.

Certain data in this document was obtained from external data sources, and the Company has not verified such data with independent sources. Accordingly, the Company, the Syndicates, any of their respective subsidiaries or affiliates, controlling persons, directors, supervisors, officers, partners, agents, employees, advisers, and representatives make no representations as to the accuracy or completeness of that data. Such data involves risks and uncertainties and is subject to change based on various factors. The use of registered trademarks, commercial trademarks and logos or photographic materials within this document are exclusively for illustrative purposes and are not meant to violate the rights of the creators and/or applicable intellectual property laws.

Certain statements are set forth in this document with respect to the Company or other events, including but not limited to opinions and forward-looking statements with respect to the future financial condition and results of operations of the Company and certain plans and objects of the management of the Company. Such statements are based on a number of assumptions, including but not limited to the present business strategies of the Company and other matters beyond the control of the Company, such as the political, social, legal and economic environment in which the Company will operate in the future. Such statements are subject to known and unknown risks, uncertainties and other factors which may cause the actual performance or results of operations of the Company to differ materially from such opinions or forward-looking statements or the views, expressed or implied, contained in this document. No reliance should be placed on such statements, which reflect the view of the management of the Company as at the date of this document. Neither the Company, the Syndicates, any of their respective subsidiaries or affiliates, controlling persons, directors, supervisors, officers, partners, agents, employees, advisers, and representatives shall be obliged in any way to update such opinions or forward-looking statements for any event or circumstances that may occur. In any case, past performance is not necessarily an indication of future results. No representation or warranty, express or implied, is or will be given by Company, the Syndicates, or any of their respective subsidiaries or affiliates, controlling persons, directors, supervisors, officers, partners, agents, employees, advisers, and representatives as to the achievement or reasonableness of, and no reliance should be placed on, any forward-looking statements contained in this document.

This document is for information and reference only and does not constitute or form part of and should not be construed as, an offer to sell or issue or the solicitation of an offer to buy or acquire securities (the “Securities”) of the Company in any jurisdiction or an inducement to enter into investment activity nor should it form the basis of, or be relied on in connection with, any contract or commitment or investment decision whatsoever. In particular, this document and the information contained herein are not an offer of the securities for sale in the United States and are not for publication or distribution in the United States. The document is being presented to you on the basis that you have confirmed that you are either (i) a qualified institutional buyer (as defined in Rule 144A under the U.S. Securities Act of 1933, as amended (the “Securities Act”) or (ii) a non-U.S. person (as defined in Regulation S under the Securities Act). This document is not intended for distribution to persons who are not professional investors (as defined in Schedule 1 to the Securities and Futures Ordinance (Chapter 571 of the Laws of Hong Kong)). This document contains no information or material which may result in it being deemed (1) to be a prospectus within the meaning of section 2(1) of the Companies (Winding Up and Miscellaneous Provisions) Ordinance (Chapter 32 of the Laws of Hong Kong) (the “CWUMPO”), or an advertisement or extract from or abridged version of a prospectus within the meaning of section 38B of the CWUMPO or an advertisement, invitation or document containing an advertisement or invitation falling within the meaning of section 103 of the Securities and Futures Ordinance (Chapter 571 of the Laws of Hong Kong) or (2) in Hong Kong to have effected an offer to the public without compliance with the laws of Hong Kong or being able to invoke any exemption available under the laws of Hong Kong. This document does not constitute a prospectus, notice, circular, brochure or advertisement offering to sell or inviting offers to acquire, purchase or subscribe for any securities in Hong Kong or calculated to invite such offers or inducing or intended to induce subscription for or purchase of any securities in Hong Kong. No part of these materials shall form the basis of or be relied upon in connection with any contract or commitment whatsoever.

This presentation and the information contained herein are strictly confidential and are being furnished to you solely for your information and for your use only at the presentation to analysts held by the Company. No part of it may be kept by you upon the completion of the presentation. By attending the meeting where this presentation is made or by accepting a copy of this presentation, you agree to be bound by the foregoing limitations and to maintain absolute confidentiality regarding the information disclosed in this presentation and in particular, you: (a) acknowledge and confirm that you have read, and agree to, the restrictions and observations set out in the research guidelines from Cooley HK (the “Research Guidelines”); (b) agree and undertake not to seek from the Company, its directors or its advisers, whether directly or indirectly, any material information including forward-looking information (whether qualitative or quantitative) concerning the Company that is not: (i) reasonably expected to be included in the prospectus to be issued by the Company; or (ii) publicly available; and (c) are deemed to have agreed to and represented to the Company and the representatives the matters set out in the Research Guidelines.

**THE SECURITIES HAVE NOT BEEN, AND WILL NOT BE, REGISTERED UNDER THE SECURITIES ACT, OR THE SECURITIES LAWS OF ANY STATE OF THE UNITED STATES OR ANY OTHER JURISDICTION AND MAY NOT BE OFFERED OR SOLD WITHIN THE UNITED STATES, EXCEPT IN CERTAIN TRANSACTIONS EXEMPT FROM, OR NOT SUBJECT TO, THE REGISTRATION REQUIREMENTS OF THE SECURITIES ACT. NO PUBLIC OFFERING OF ANY SUCH SECURITIES WILL BE MADE IN THE UNITED STATES OR IN ANY OTHER JURISDICTION WHERE SUCH AN OFFERING IS RESTRICTED OR PROHIBITED.**

# 今日议程



1 公司战略

2 业务亮点

3 AI 平台

4 在研管线

5 商业模式

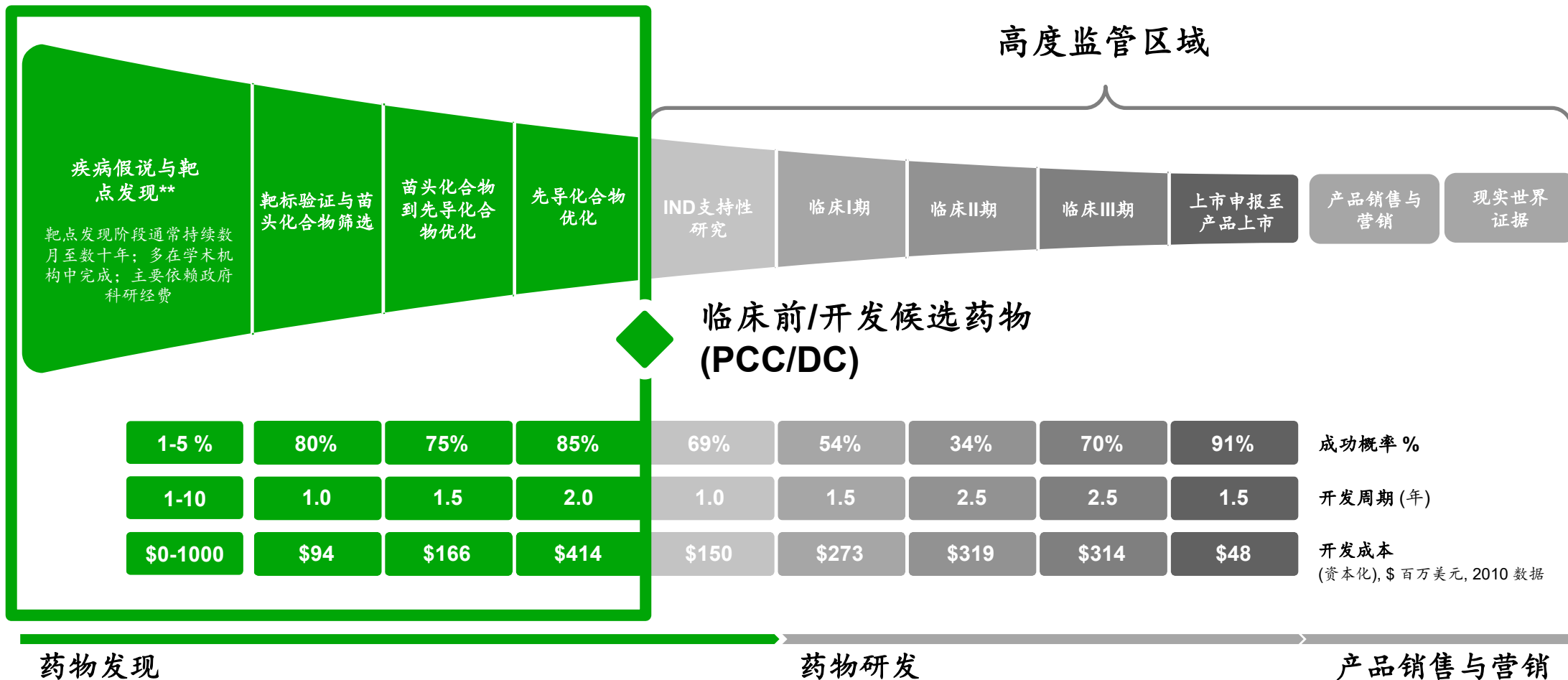
6 财务表现

章节1

# 公司战略



# 传统药物研发耗时超过10年，耗资超过20亿美元\*

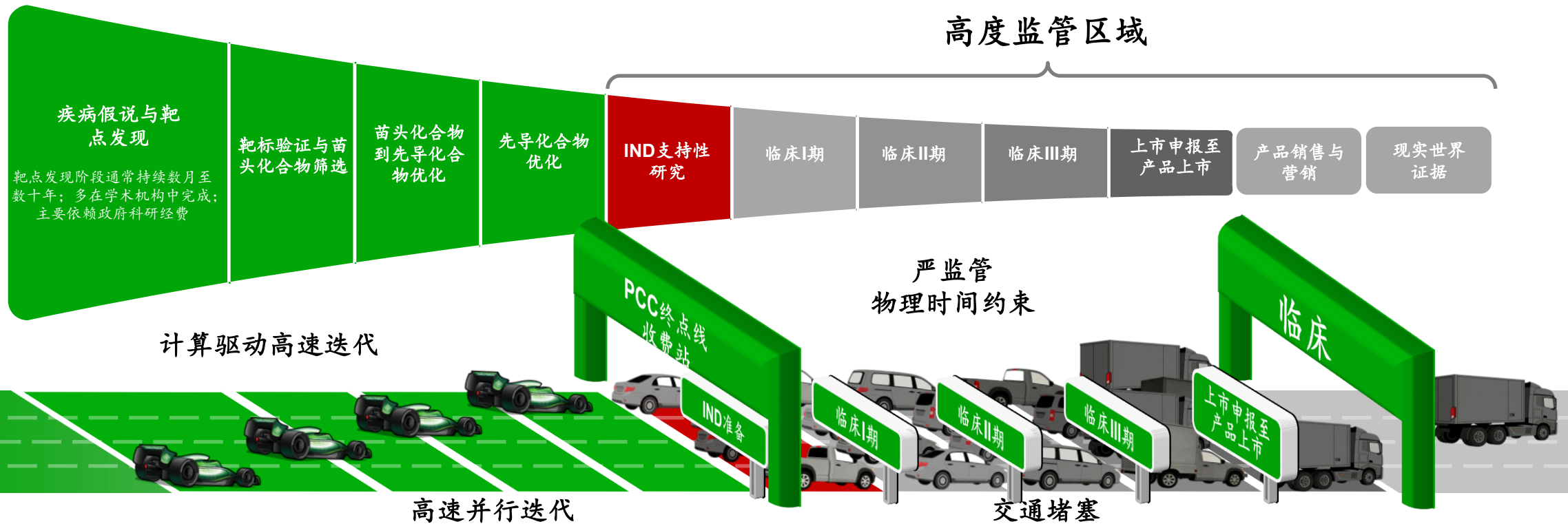


\* 来源于Paul et al, How to improve R&D productivity: the pharmaceutical industry's grand challenge. Nature Reviews Drug Discovery, 2010

\*\*基于对制药行业高管的访谈

# AI加速的核心区间

AI的真实价值主要体现在靶点发现 (Target Discovery) 至临床前候选化合物 (PCC) 阶段。在 PCC 之后的阶段, 研发流程受到严格监管, 时间线高度标准化。



|                            |          |      |       |       |       |       |       |       |      |
|----------------------------|----------|------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|------|
| $p$ (TS)                   | 1-5 %    | 80%  | 75%   | 85%   | 69%   | 54%   | 34%   | 70%   | 91%  |
| 开发周期 (年)                   | 1-10     | 1.0  | 1.5   | 2.0   | 1.0   | 1.5   | 2.5   | 2.5   | 1.5  |
| 开发成本 (资本化), \$ 美元, 2010 数据 | \$0-1000 | \$94 | \$166 | \$414 | \$150 | \$273 | \$319 | \$314 | \$48 |

药物发现

药物研发

# 评估 AIDD 公司

AIDD 公司评估标准：从潜力到证据

$$PI_{AI} = \frac{V_{out} \times N_{target} \times N_{mol} \times P_{trans}}{C_{total} \times T_{avg}}$$

AI Productivity Index

Out-Licensing Value

Target Novelty

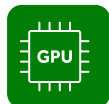
Molecule Novelty

Transition Probability

Total Cost

Average Time

## 早期阶段 评估



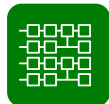
算力



原始数据体量



团队 & 人才



算法专利

## 成熟阶段 评估



从0 到 PCC 所需时间



单个PCC 开发成本



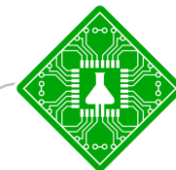
靶点创新性



能力可扩展性



成功对外授权情况 / 临床进展



## 英矽智能数据统计

12-18 月

每个PCC平均  
开发时间



\$3-5M

每个PCC平均  
开发成本



TNIK, PHD1/2, QPCTL



及更多

28

个PCC



10+

项BD交易



1 个临床II期试  
验已完成



# 利用飞轮效应，巩固我们AI平台的领先地位

## PHARMA.AI 软件平台

持续提升PandaOmics, Generative Chemistry, Alchemy, MolSpace 等平台的准确度与能力

2025

上线 Nach01、MDFlow、MolSpace 等

2024

推出模型训练、逆合成、生成式生物学、DORA等

2023

全面升级Pharma.AI平台

在PCC开发过程中生成了1000+项基准测试：  
PCC核心要素、药物化学、合成化学、靶点识别、临床试验结果预测、长寿（抗衰老）

## 药物发现 与开发

- ✓ 完成 1 个 临床IIa期试验
- 2 个 临床II期试验进行中
- 7 个 临床I期试验进行中

2025 – 2026至今

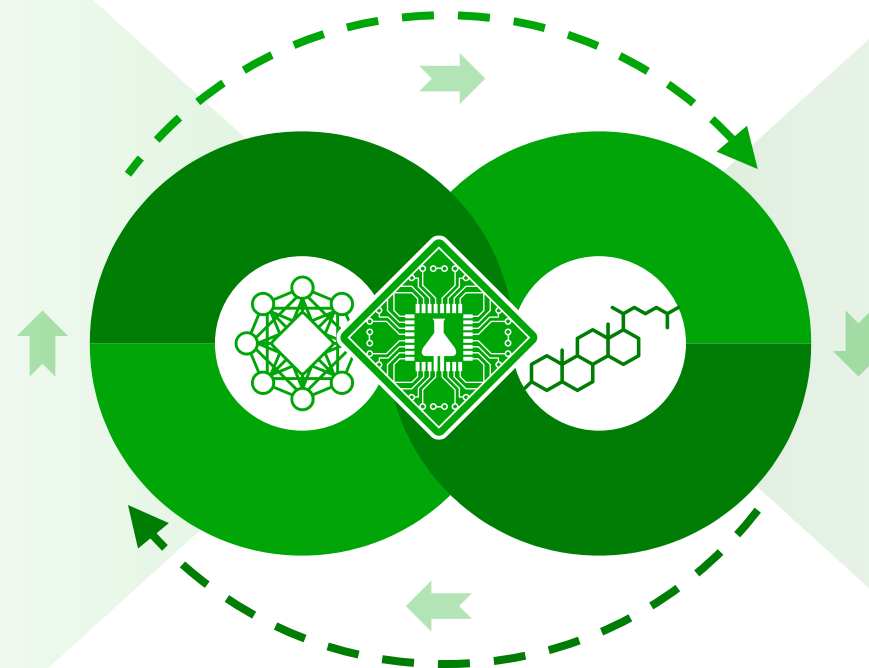
6个PCC

2024

5个PCC

2023

6个PCC

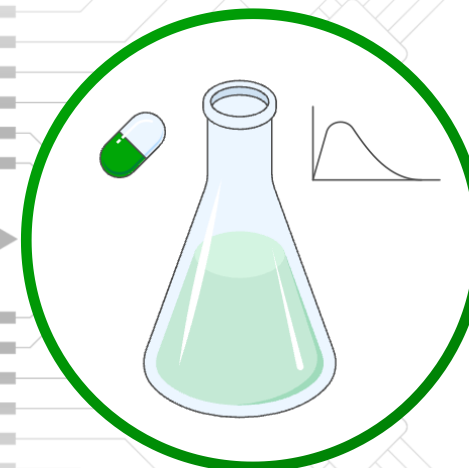
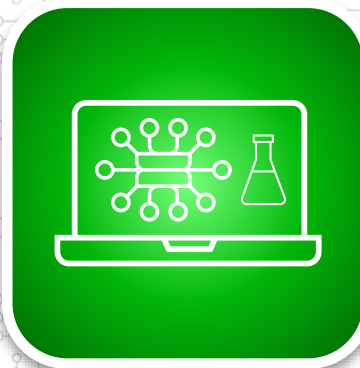


利用专有数据提升AI能力

# 公司战略： 从提示框到制药超级智能

## 制药超级智能

## 创新药



### 秘密配方 — 英矽智能

针对新型化学分子与疾病生物学的专业且高度独特的模型

### Science MMAI Gym

训练前沿模型用于药物发现

### 与前沿模型合作

提供免费标准化 AI 工具

(Prompt Window) 用于基础药物发现

### 下一个 GLP-1R?

章节2

# 业务亮点

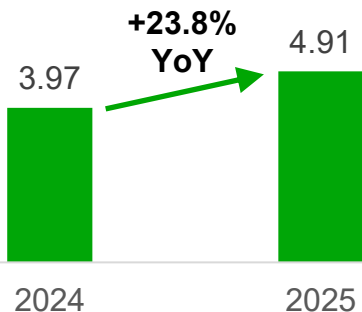
# Pharma.AI – 持续创新与升级

Pharma.AI平台实现强劲收入增长与颠覆性升级

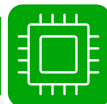
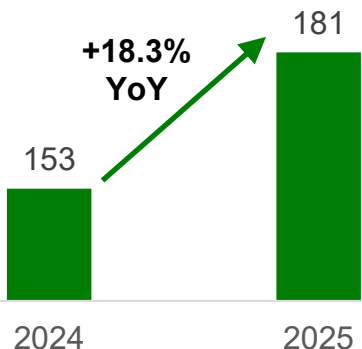


## 软件解决方案收入

百万美元



## 软件客户数



2025和2026年初至今主要进展\*

## Biology42

### PandaOmics

推出全新的靶点与生物标志物发现评分体系，更新了排序框架使靶点选择更加均衡、具备更强临床相关性

### Generative Biologics

肽类工作流程大幅优化，改善3D增强模型训练，推出基于扩散模型的抗体设计引擎，加强与PDB的集成能力

### TargetPro 和 TargetBench

推出 TargetPro（疾病特异性 AI 模型）并发布 TargetBench 1.0，首个用于药物靶点发现的标准化基准测试体系

## Chemistry42 Nach01

### Generative Chemistry

所有模块均实现显著改进，支持蛋白信息引导的药效团生成，Alchemy 2.0 准确率提升最高达 16%，计算速度提升 2-4 倍，拓展至更复杂的药理空间

### Nach01

推出 Nach01，面向化学与药物发现的多模态基础模型

Science42  
**DORA**

Science  
**MMAI GYM**

# 管线进展 – 新提名PCC 推动增长，临床进展彰显信心

## 6个 新提名 PCC

- ISM3830 (CBLB)
- ISM5059 (NLRP3)
- ISM0676 (GIPR)
- ISM6166 (Pan-KRAS)
- 未披露 (Nav1.8)
- 未披露 (GLP-1R)

## 10个 临床阶段管线

### 自有管线

- ISM001-055 (Rentosertib)：在《Nature Medicine》上发表积极的IIa期临床试验结果
- ISM5411 (PHD1/2, 肠道限制性)：在中国启动 IIa 期试验并完成首例患者给药
- ISM3412 (MAT2A)：完成全球多中心 I 期首例患者给药
- ISM6331 (TEAD)：完成全球多中心 I 期首例患者给药

### 合作管线

- MEN2312/ISM5043 (KAT6)：I期临床持续推进
- XL309/ISM3091 (USP1)：I期临床持续推进
- MEN2501/ISM9682 (KIF18A)：完成 I 期首例患者给药
- ISM8969 (NLRP3)：获得 FDA 批准开展 I 期临床
- ISM4808 (PHD1/2, 系统性)：完成 I 期首例受试者给药
- ISM8207 (QPCTL)：I期临床持续推进



### 临床验证


## nature medicine

Article | [Open access](#) | Published: 03 June 2025


**A generative AI-discovered TNK inhibitor for idiopathic pulmonary fibrosis: a randomized phase 2a trial**




### 延伸至其他新分子形式

α-helical Peptides 

ADC 

Nanobodies 

Antibodies 

SiRNA 

PROTAC 

# 业务拓展 - 扩大合作并持续推进里程碑达成



累计合同总价值—— 46+亿美元

新签合同总价值—— 13+亿美元 (增长39%)

新合作伙伴



新合作伙伴

已达成里程碑



已达成里程碑

研究合作



资产对外授权



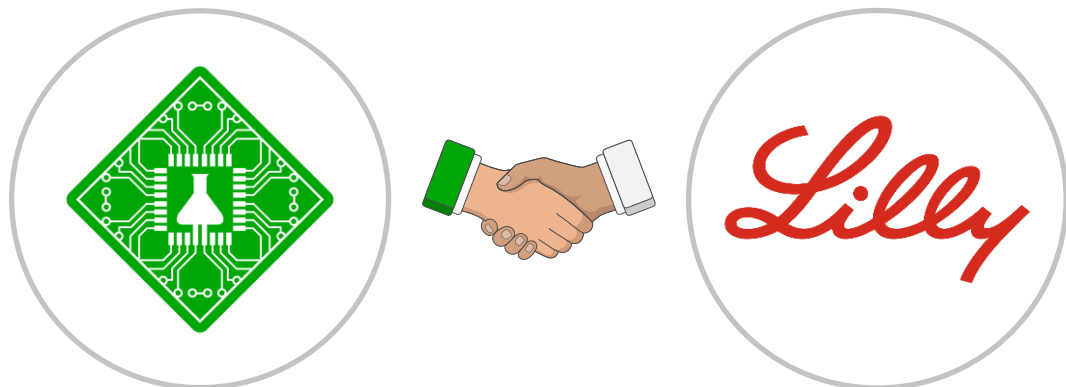
战略合作



AI平台合作



# 英矽智能与礼来达成基于AI驱动的全球研发合作



✓ 获得潜在同类首创、新型口服临床前候选药物针对特定适应症的全球独家许可权益

✓ 合作开发多个礼来指定靶点的研发项目

## 此次合作充分印证了：

- 1) 英矽智能AI制药平台产出的资产具备高质量水准
- 2) 英矽智能AI平台在多治疗领域持续研发全新疗法的能力
- 3) 此次合作展示了长期合作伙伴关系的建立与加深：从软件服务起步，逐步延伸至战略合作、股权投资，再拓展至对外授权与研发合作的全维度伙伴关系

首付款  
**\$1.15亿美元**

里程碑付款  
高达 **\$26.4亿美元**

销售分成

总合同价值  
**~\$2.75B**

章节3

# AI平台

# Science MMAI Gym: 提升前沿基础模型的生物与化学智能

## 基础模型训练流程



### 6 大科学领域

化学, 生物, 临床, 衰老/长寿, 材料科学, 农业



### 500M+数据样本

丰富的精选数据来源



### 1000+ 基准

400+ 体外PD, 100+ 体内PD, 30+ DMPK, 40+ 毒理/选择性



### 300+推理数据集

具备深度推理轨迹与高保真样本数据集



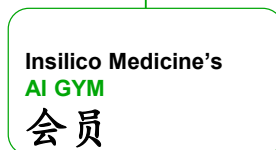
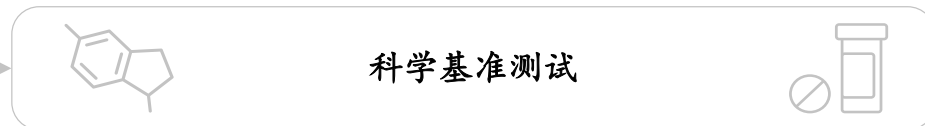
### 700+精选疾病库

覆盖所有治疗领域



### 专有指标

ChemCensor™ 合理性评分, Solvability+, Clinical Target Retrieval@K



MMAI Gym利用领域数据+领域基准测试为科学基础模型训练提供助力

# MMAI Gym: 迈向化学与生物超级智能

经过 MMAI Gym 训练后，通用基础模型在关键药物发现基准测试上的表现最高可提升10倍，而在训练前，通用基础模型在约75%–95%的任务上无法成功完成

## 在靶点检索基准上

通用基础模型经过Gym训练的模型进步显著

Qwen3-4B 在 MMAI Gym进行一次训练后，在靶点检索方面表现优于所有前沿的基础模型。

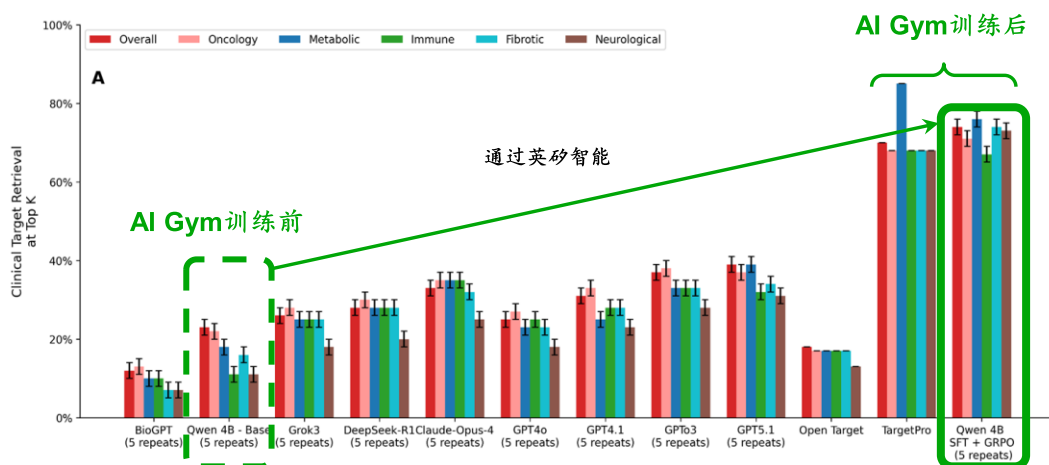


图 1.基于TargetBench基准测试集的各项评测指标\*

\* <https://doi.org/10.1101/2025.08.06.668866>

## 在化学合成基准上

通用基础模型经过Gym训练的模型进步显著

经MMAI Gym训练后，LFM2-2.6B在单步逆合成任务中，性能超越所有前沿基础模型及各细分领域专用模型。

AI Gym 训练后

| 传统单步逆合成 (SSRS) 模型 |            |          |             |          |          |       |      |            |
|-------------------|------------|----------|-------------|----------|----------|-------|------|------------|
| LFM2-MMAI         | LocalRetro | RetroKNN | Graph2Edits | R-SMILES | MHNreact | MEGAN | GLN  | Chemformer |
| [1]               | 2.16       | 2.14     | 2.13        | 2.11     | 2.10     | 2.08  | 1.97 | 1.77       |
| [2]               | 1.90       | 1.87     | 1.86        | 1.81     | 1.87     | 1.86  | 1.76 | 1.02       |

| 前沿基础模型 |                |          |           |                 |          |       |                   |         |              |              |      |
|--------|----------------|----------|-----------|-----------------|----------|-------|-------------------|---------|--------------|--------------|------|
|        | Gemini 3.1 Pro | Grok 4.1 | Kimi K2.5 | Claude 4.6 Opus | Qwen 3.5 | GLM 5 | Claude 4.6 Sonnet | GPT 5.2 | MiniMax M2.5 | DeepSeek 3.2 | LFM2 |
| [1]    | 1.96           | 1.90     | 1.73      | 1.73            | 1.57     | 1.50  | 1.26              | 0.85    | 0.64         | 0.51         | 0.00 |
| [2]    | 1.72           | 1.59     | 1.42      | 1.39            | 1.08     | 1.06  | 0.77              | 0.47    | 0.28         | 0.35         | 0.00 |

AI Gym 训练前

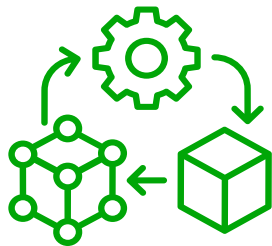
[1] 各靶点平均 CC 值、最大 CC 值 [2] 各靶点平均CC值和、TOP3最高CC值

图2: URSA-expert-2026基准数据集评测指标\*\*

\*\* <https://arxiv.org/abs/2602.03554>

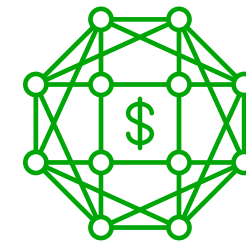
Science MMAI Gym: 专为特定领域打造的训练环境，旨在将任意通用或前沿基础模型，转化为可高效执行真实药物研发任务的高性能引擎。

## MMAI GYM 的 科学“会员”



- 灵活的会员式合作框架
- **模型训练** - 为合作方基础模型提供定制化训练优化，按项目定价
- **教师模型 / 训练数据许可** - 授权使用专有训练数据与预训练教师模型采用年度订阅与固定许可费用模式

## 商业化通过MMAI Gym研发的模型



- 灵活的授权使用收费模式
- **年度许可模式** - 以年度许可费的形式授权模型使用（联合开发的模型进行收益分成，自主开发的模型收益全部自留）
- **按 Token 付费授权模式** - 通过云端市场提供，以按 Token 计费的方式授权使用所开发的模型

# Life Star 2: AI 驱动的自动化实验室加速药物发现与开发

靶点发现与靶点验证

药物开发与转化医学

算法验证

## AI 模块

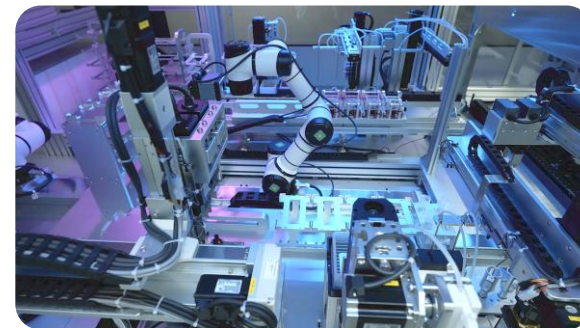
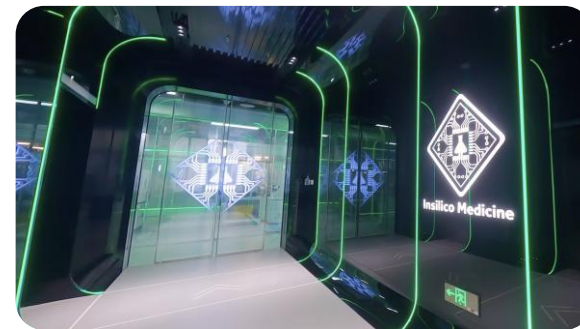
pandaOmics

Chemistry42



## 自动化模块

- ✓ 样本自动登记
- ✓ 化合物管理
- ✓ 细胞培养
- ✓ 高通量筛选
- ✓ 二代测序
- ✓ 高内涵成像



# Life Star 2: 多功能技术平台

类器官与高通量安全性评估平台

基因编辑平台

靶点验证与药物发现

高通量筛选平台

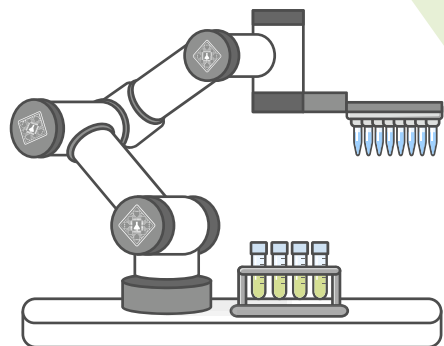
靶点验证与药物发现

高内涵成像筛选平台

靶点验证与药物发现

多组学平台

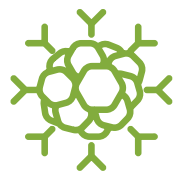
推断潜在疾病靶点及生物标志物发现



## Life Star 2 自动化实验室

# Life Star 2: 可应用在多种疾病领域的药物发现

靶点验证、药物发现、适应症拓展及作用机制研究



肿瘤

研发能力



代谢疾病

研发能力



抗衰老

研发能力



自免与炎症

研发能力



皮肤病

研发能力

章节4

# 在研管线



# 生成式AI平台已发现近30条资产管线，其中一款资产全球同业领先



## 研发战略

1



发现创新靶点

2



优化现有靶点/药物

## 治疗管线

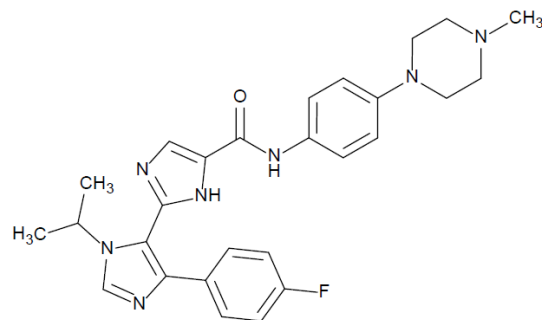
### 开发阶段

| 靶点       | 适应症                    | 开发阶段                 |             |             |        |       |    |     | 合作伙伴 |                                  |
|----------|------------------------|----------------------|-------------|-------------|--------|-------|----|-----|------|----------------------------------|
|          |                        | 靶点识别                 | 从靶点到活性化合物筛选 | 从活性化合物到先导药物 | 先导药物优化 | IND准备 | I期 | II期 |      | III期                             |
| TNIK     | 特发性肺纤维化                | 中国 (NMPA)            |             |             |        |       |    |     |      | 中国IIa期已完成                        |
|          | 特发性肺纤维化 (吸入型)          | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| PHD1/2   | 炎症性肠病                  | 中国 (NMPA)            |             |             |        |       |    |     |      | 澳洲和中国I期已完成                       |
|          | 慢性肾脏病相关贫血              | 中国 (NMPA)            |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| USP1     | BRCA突变肿瘤               | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      | 大中华权益授权太景生物                      |
| QPCTL    | 肿瘤免疫治疗                 | 中国 (NMPA)            |             |             |        |       |    |     |      | EXELIXIS<br>FOSUN PHARMA<br>复星医药 |
| KAT6     | ER+/HER2- 乳腺癌          | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      | MENARINI group                   |
| MAT2A    | MTAP <sup>-/-</sup> 癌症 | 美国 (FDA) & 中国 (NMPA) |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| TEAD     | 间皮瘤与实体瘤                | 美国 (FDA) & 中国 (NMPA) |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| KIF18A   | 实体瘤                    | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      | MENARINI group                   |
| ENPP1    | 实体瘤                    | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| NLRP3    | 帕金森病等                  | 美国 (FDA)             |             |             |        |       |    |     |      | 深圳衡泰生物                           |
|          | 炎症性疾病                  |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| Nav1.8   | 急性和慢性疼痛                |                      |             |             |        |       |    |     |      | 大中华权益授权未披露合作伙伴                   |
| CBLB     | 肿瘤免疫治疗                 |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| GLP-1R   | 代谢                     |                      |             |             |        |       |    |     |      | 全球权益授权未披露合作伙伴                    |
| GIPR     | 肥胖及代谢性疾病               |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| Pan-KRAS | KRAS突变实体瘤              |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| Lp(a)    | 代谢性疾病                  |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| VAV1     | 炎症性疾病                  |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| APJ      | 肥胖及代谢性疾病               |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| CDK4     | HR+/HER2- 乳腺癌          |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |
| NR3C1    | 代谢性疾病及肿瘤               |                      |             |             |        |       |    |     |      |                                  |

纤维化 肿瘤学 免疫学 其他

注：  
1. 除另有说明外，所有项目均设计为口服给药  
2. FDA已授予ISM001-055针对IPF适应症的孤儿药认定，并授予ISM6331针对间皮瘤的孤儿药认定。  
3. 所有研发管线均为公司自主研发成果，拥有全球权益，且未从其他制药公司引进任何靶点或化合物

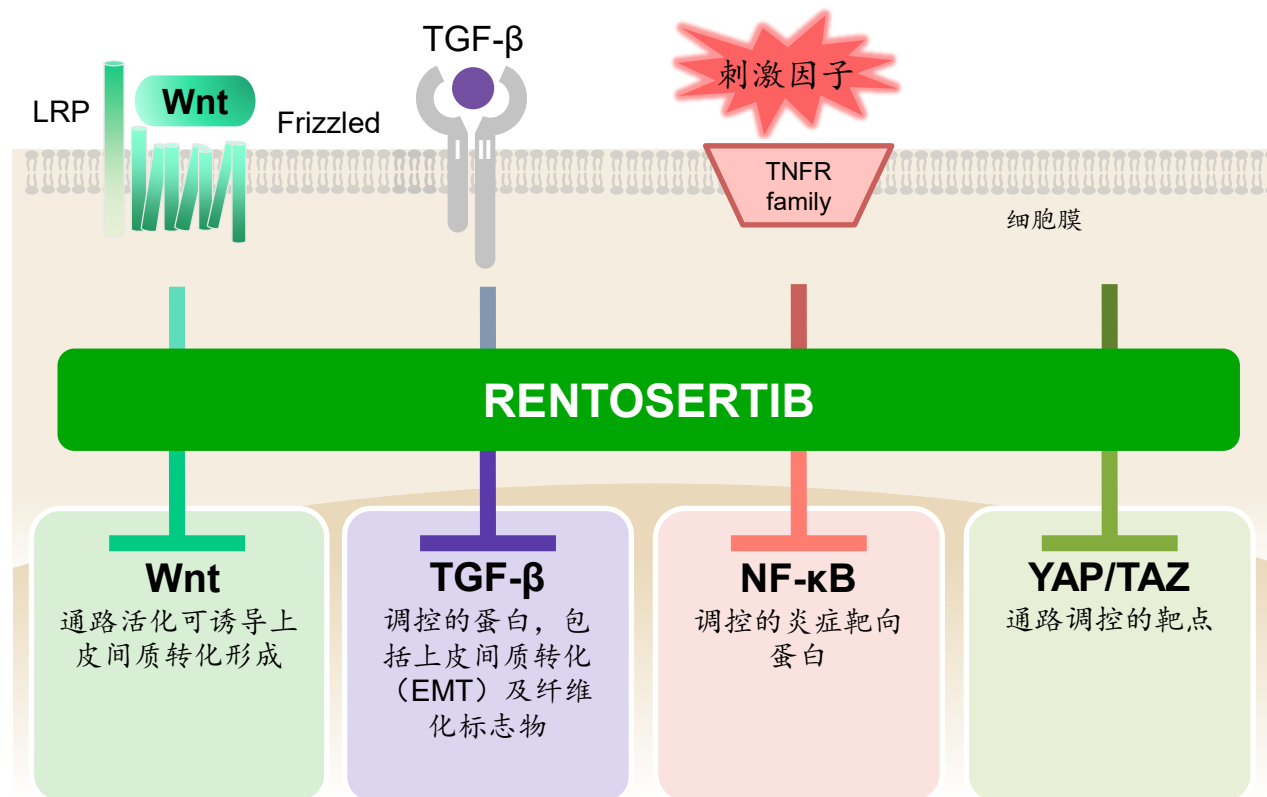
# Rentosertib: 由英矽智能Pharma.AI平台发现用于治疗IPF的同类首个抗纤维化小分子TNIK抑制剂



- ✓ 强效 ATP 竞争性 TNIK 抑制剂
- ✓ 以高亲和力结合 TNIK,  $KD=4.32$  nM
- ✓ 可抑制 TNIK 及其他促纤维化激酶

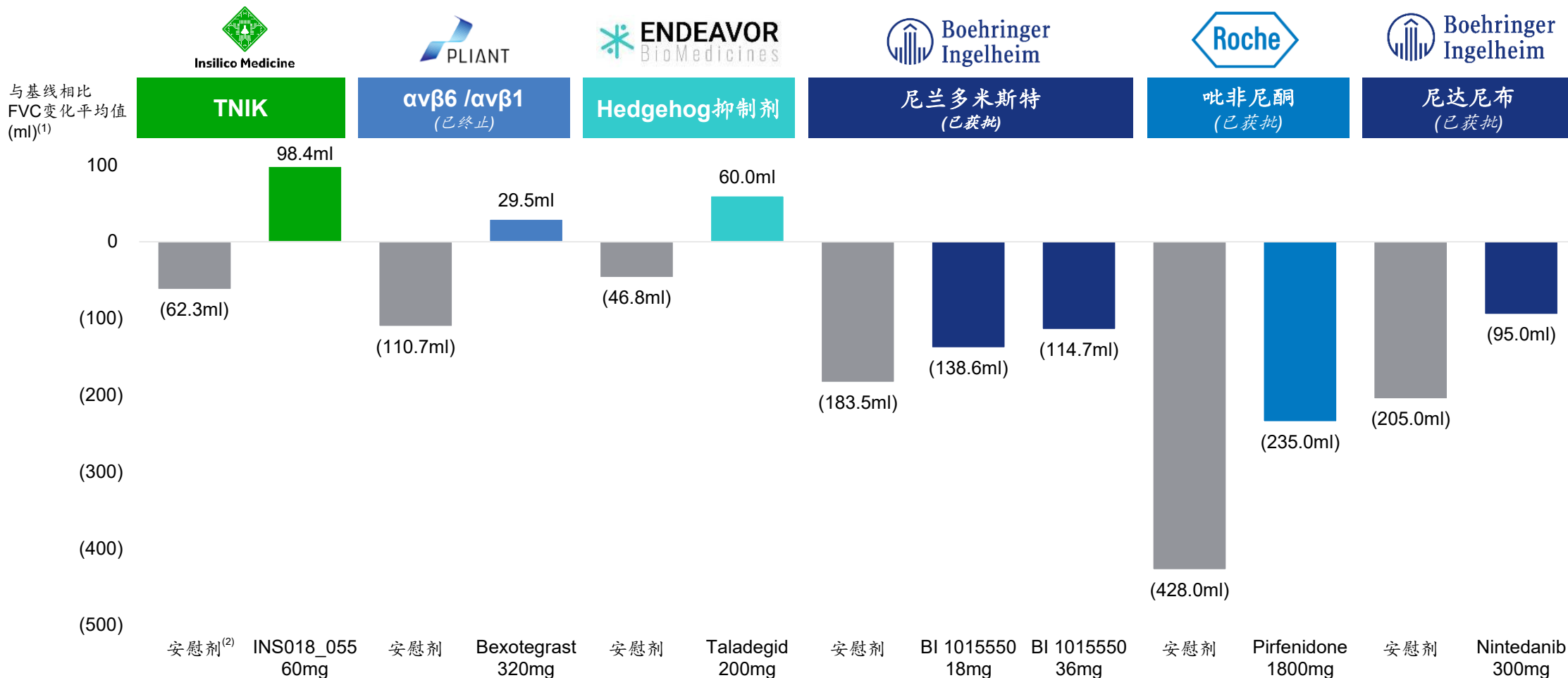
靶向 TNIK, rentosertib 抑制:

- ✓ TGF- $\beta$  依赖性纤维化进程, 以及上皮间质转化 (EMT) / 成纤维细胞向肌成纤维细胞转化 (FMT)
- ✓ NF- $\kappa$ B 信号通路, 发挥抗炎作用
- ✓ YAP/TAZ 的下游基因及相互作用蛋白, 据报道可促进纤维化进程



Ren et al. *Nat Biotech* 2024; 43: 56-75

# 在跨试验数据比较中，ISM001-055的表现优于其他在研药物



资料来源：Pliant Therapeutics海报、ICLAF 2024演讲、Richeldi, L., Azuma, A., Cottin, V., Hessleringer, C., Stowasser, S., Valenzuela, C., Wijsenbeek, M. S., Zoz, D. F., Voss, F., & Maher, T. M. (2022). Trial of a preferential phosphodiesterase 4B inhibitor for idiopathic pulmonary fibrosis. *New England Journal of Medicine*, 386(23), 2178–2187. <https://doi.org/10.1056/nejmoa2201737>、FDA获批药物标签、Boehringer Ingelheim网站

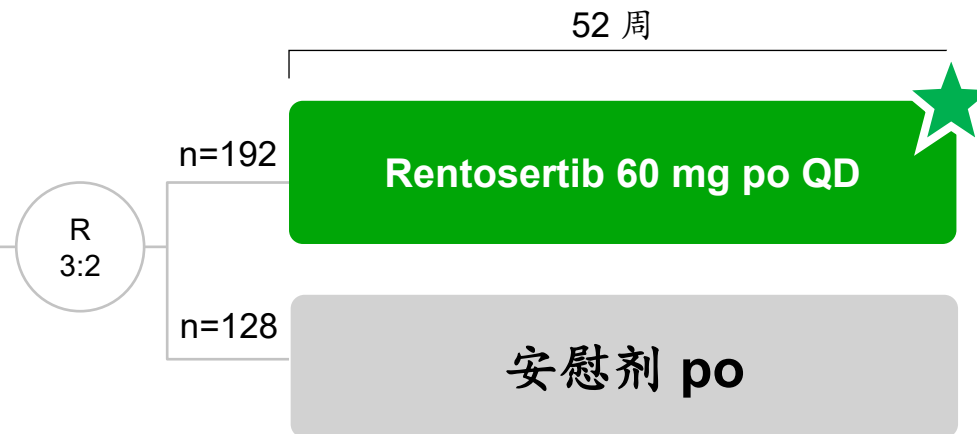
注：  
 1. 对于临床阶段药物，数据来源于第12周公布的2期研究结果；对于已获批药物，数据来源于第52周公布的3期研究结果  
 2. 其中一个异常值被随机分配到安慰剂组，并在分析中剔除

# III期临床试验 GENESIS-IPF-3 将验证 Rentosertib 对特发性肺纤维化 (IPF) 患者的疗效与安全性



## 主要入组标准

- 年龄  $\geq 40$
- IPF 诊断
- FEV1/FVC  $> 0.7$
- FVC  $\geq 40\%$  预计值
- $25\% \leq \text{DLCO} < 80\%$
- $\pm$  稳定的抗纤维化标准治疗



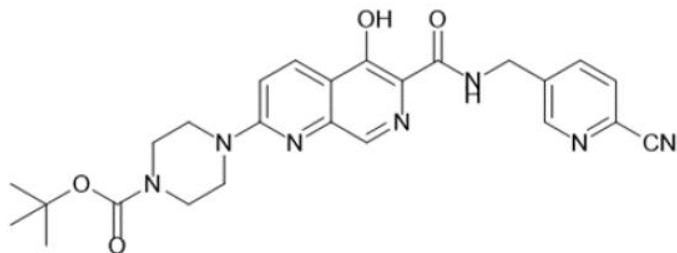
## 主要终点

52周用力肺活量(FVC)较基线变化值(毫升)

- 受试者可继续使用背景抗纤维化药物
- 预计2026年首例患者入组；预计2029年获得顶线数据

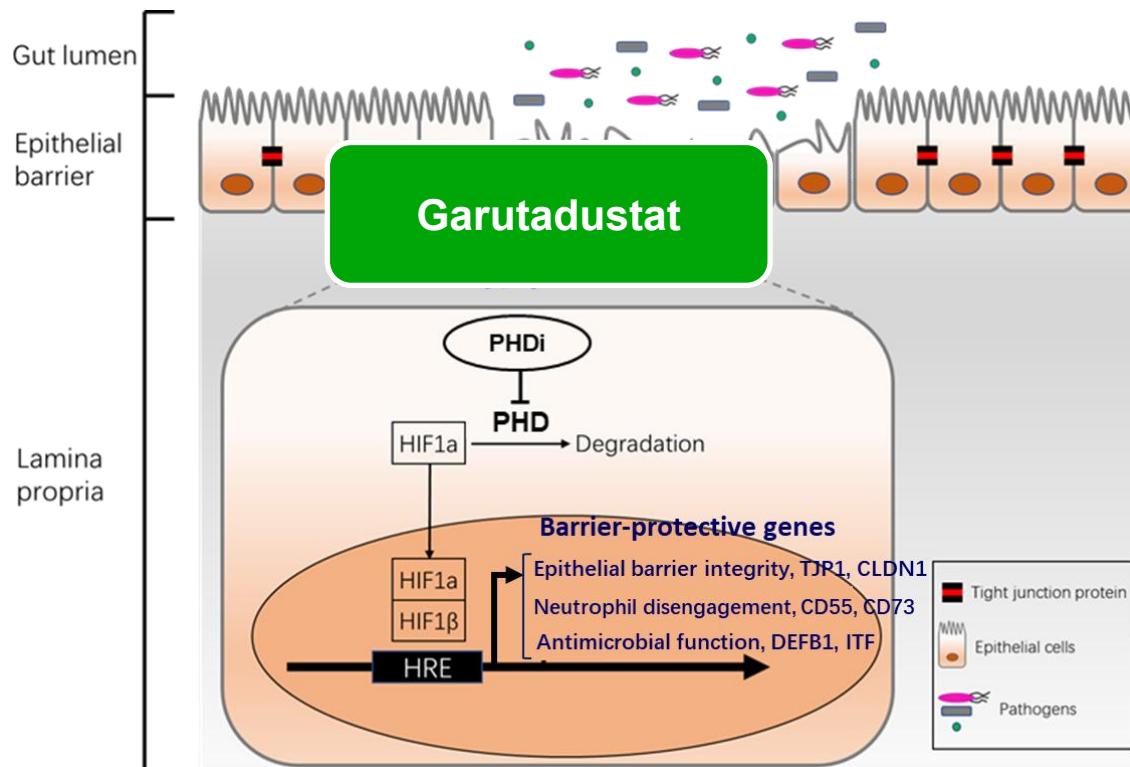
DLCO, 一氧化碳弥散量; HBcAb, 乙肝核心抗体; HBV, 乙型肝炎病毒; IPF, 特发性肺纤维化; FEV1, 第一秒用力呼气容积; QD, 每日一次; SOC, 标准治疗方案

# Garutadustat: 潜在全球首创、肠道限制性缺氧诱导因子脯氨酰羟化酶抑制剂, 用于炎症性肠病治疗



- ✓ 口服肠道限制性暴露
  - 结肠/血浆浓度比值高
  - 结肠组织分布远高于全身循环
- ✓ 抗炎及上皮屏障修复作用
- ✓ 有望缓解溃疡性结肠炎(UC)或克罗恩病(CD)肠道相关症状
- ✓ 研发进展: 澳大利亚、中国I期临床已完成; IIa期临床进行中

肠道限制性脯氨酰羟化酶(PHD)抑制剂garutadustat可稳定缺氧诱导因子1 $\alpha$ (HIF-1 $\alpha$ )蛋白, 进而保护肠道屏障功能。



图片改编自 Van Welden S, et al. Nat Rev Gastroenterol Hepatol 2017;14:596-611.

# Garutadustat IIa 期 BETHESDA 研究：用于修复肠道结构缺陷与异常的屏障强化疗法



- 已在澳洲 (N=76) 和中国 (N=48) 完成I期临床试验
- 中国IIa 期临床试验在2025年12月启动

## 主要入组标准

活动性溃疡性结肠炎患者

- 背景治疗剂量稳定，包括
  - 口服 5 - 氨基水杨酸 (5-ASA) ± 糖皮质激素

R  
1:1:1:1



## 主要终点

主要: 安全性与耐受性  
次要: 血浆/肠道PK特征

探索:

- 临床缓解/临床应答
- 内镜改善/黏膜愈合/组织学缓解
- 生物标志物变化

2025年12月完成首例患者入组  
预期2027年读出顶线数据

# ISM6331: 潜在最佳的靶向Hippo通路 Pan-TEAD 抑制剂

## 机理与市场需求

NF2 缺失 / LATS1/2 突变



# ISM6331

满足约**40%**的恶性胸膜间皮瘤患者，以及非小细胞肺癌/小细胞肺癌亚组的临床需求

### 关键市场空白：

目前尚无已获批疗法针对这一依赖性节点

## 从药代动力学特性到患者价值的完整价值链

优化的PK特征

约21小时的半衰期表现良好，成功避免了该类别早期药物出现的7-10倍体内蓄积现象。

持续每日口服  
一次给药


无需采用复杂、间歇性的“给药/停药”循环给药方案。

适用于长期疾病

显著提升患者依从性，使其成为长期联合治疗的理想候选药物。

评估

ISM6331 概况 

传统药物问题 

机理

广谱 Pan-TEAD 覆盖

TEAD4 活性较弱，或仅作用于 TEAD1 单一亚型

安全性

安全窗清晰，耐受性良好  
(已完成4个剂量组爬坡)

因QT间期延长、严重蛋白尿及药物相互作用 (DDI) 风险而终止开发

给药频率

持续口服 (每日一次)

因药物过度蓄积，需采用间歇性给药方案 (如给药2周/停药2周)

# ISM6331进入临床疗效获证的高价值去风险期，催化剂在即



## 早期临床验证

### 确证的临床疗效

在经多线治疗（4-5线既往治疗）的恶性间皮瘤患者中，观察到**确证的部分缓解（PR）与高疾病控制率**，广谱抗肿瘤活性得到验证。

### 安全性优势得到验证

耐受性表现良好；正在进行的临床剂量爬坡已顺利完成4个队列，治疗相关不良事件严格限于1级。

## 战略性联用基础药物

### 与标准疗法整合

有望成为**核心骨架药物**，与EGFR抑制剂（如泰瑞沙）、ADC或KRAS抑制剂联用，**有效阻断旁路耐药**。

### “双钳制”协同效应

具备Hippo通路与代谢通路联合用药潜力。将ISM6331与公司MAT2A抑制剂ISM3412联用，有望针对恶性间皮瘤与恶性外周神经鞘膜瘤（MPNST）打造**独家、首创（first-in-class）**的精准治疗定位。

进行中



### Phase 1 剂量爬坡

广谱抗肿瘤活性与安全性数据。

2H 2026



### 学术会议

详细临床疗效及定量剂量爬坡数据  
将提交会议报告。

4Q 2026 / 1Q 2027



### Part 2 剂量优化

推进优化注册剂量并确认扩展疗效信号。

# ISM6166 – 口服 Pan-KRAS (ON/OFF) 抑制剂



## 可作用于激活态与非激活态的KRAS突变体

- ✓ 对结合GDP与GTP状态的KRAS蛋白均具有高结合亲和力
- ✓ 可覆盖所有主要KRAS突变类型，包括G12C、G12D、G12V及野生型KRAS扩增



## 相对于HRAS/NRAS具有高度选择性

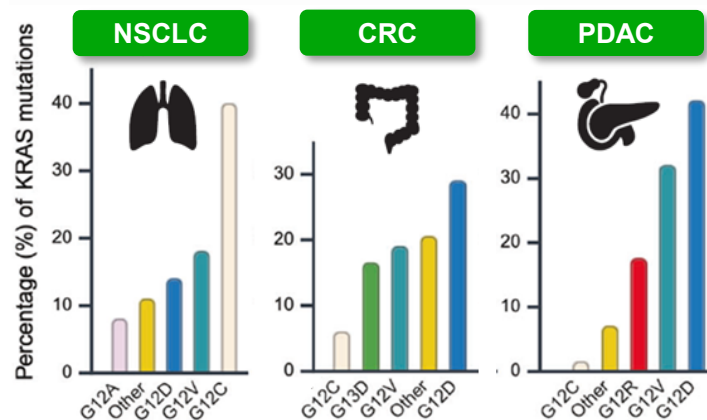
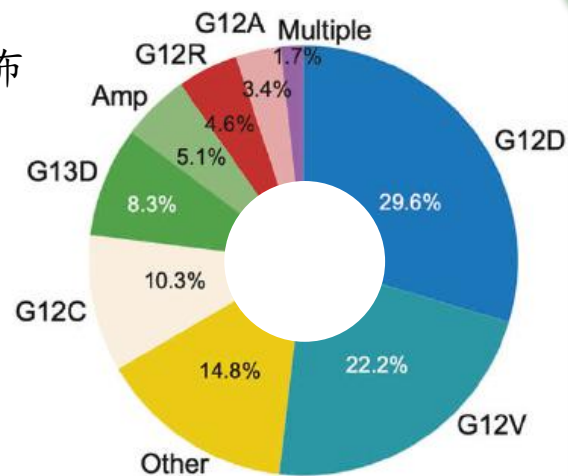
- ✓ 以超 100 倍的选择性保留关键必需的HRAS 和 NRAS 功能，避免潜在不良反应
- ✓ 在 KRAS 非依赖细胞及正常细胞中，选择性较 **RMC-6236** 高出10 倍以上



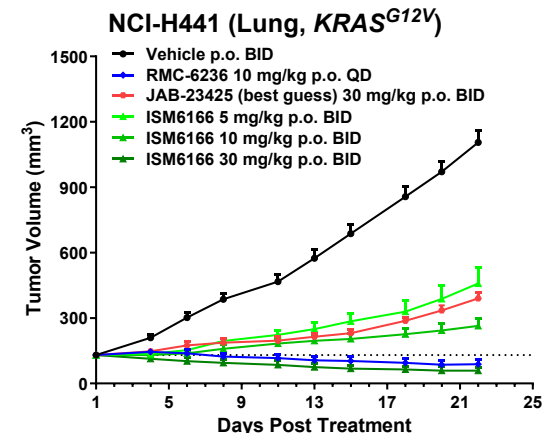
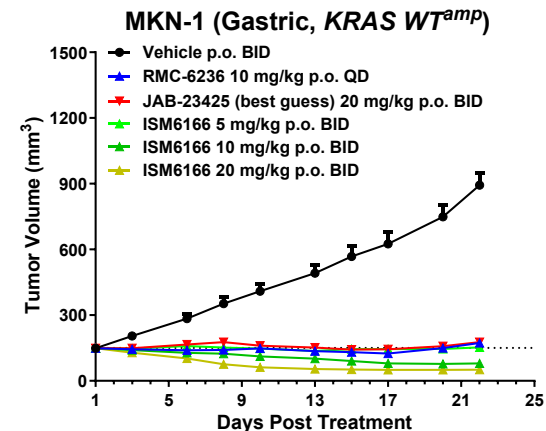
## 成药性特征均衡

- ✓ 在多种临床前物种中展现良好药代动力学特征，清除率低于肝血流量，且生物利用度达到两位数水平
- ✓ 性质均衡，使其体内疗效**优于其他泛KRAS 抑制剂**

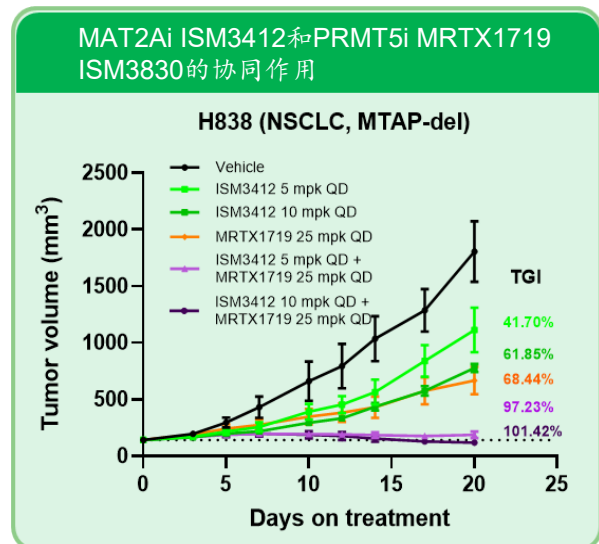
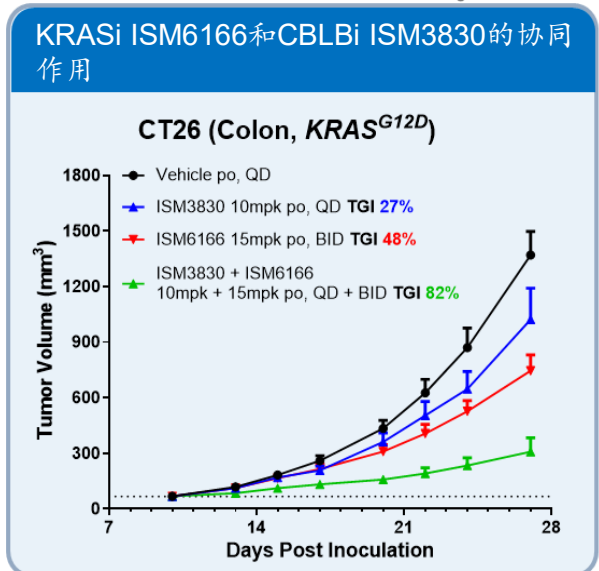
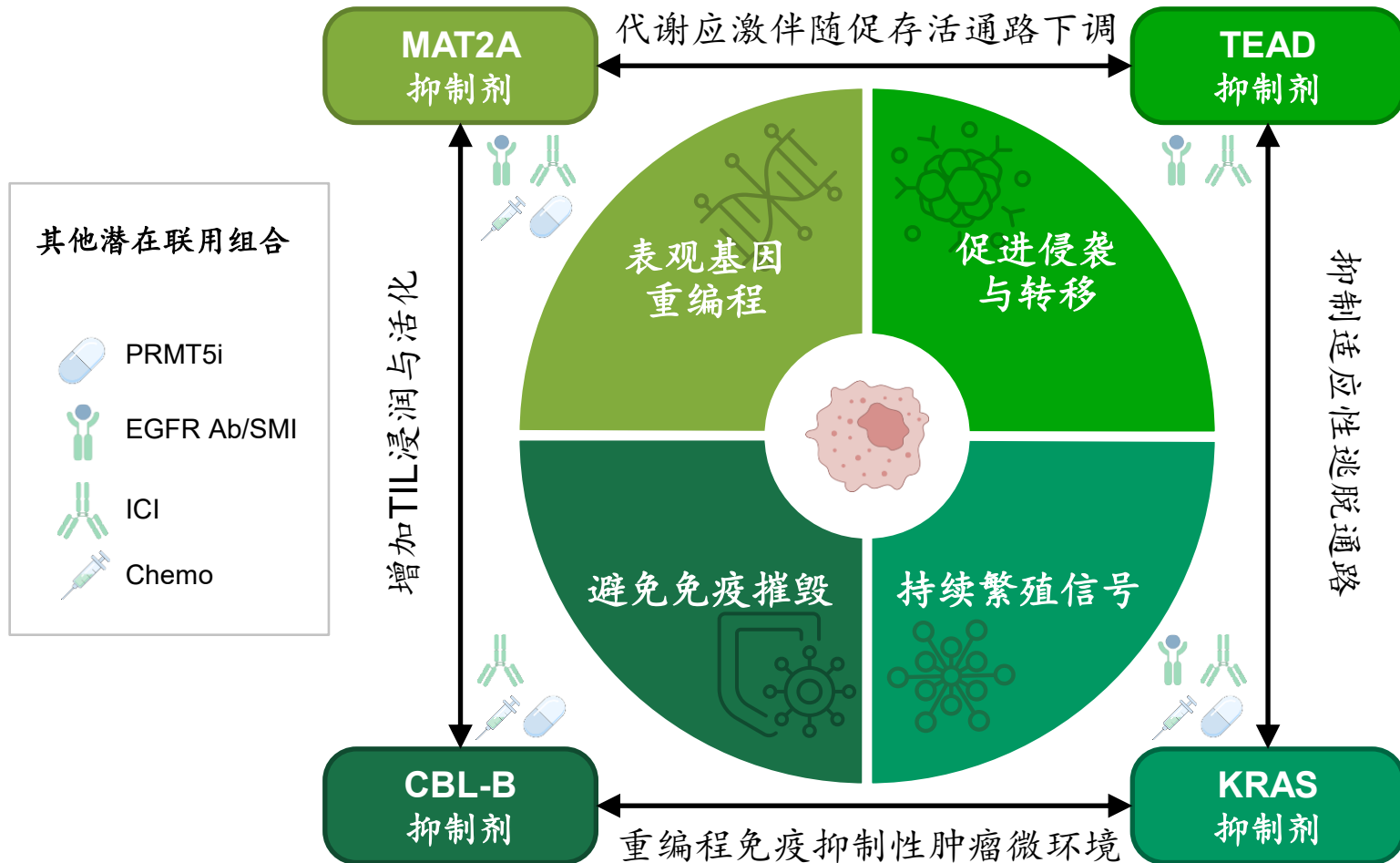
## KRAS 突变分布



## 更好的体内活性



# 英矽智能全面的肿瘤产品组合，拥有广泛的联合用药机会

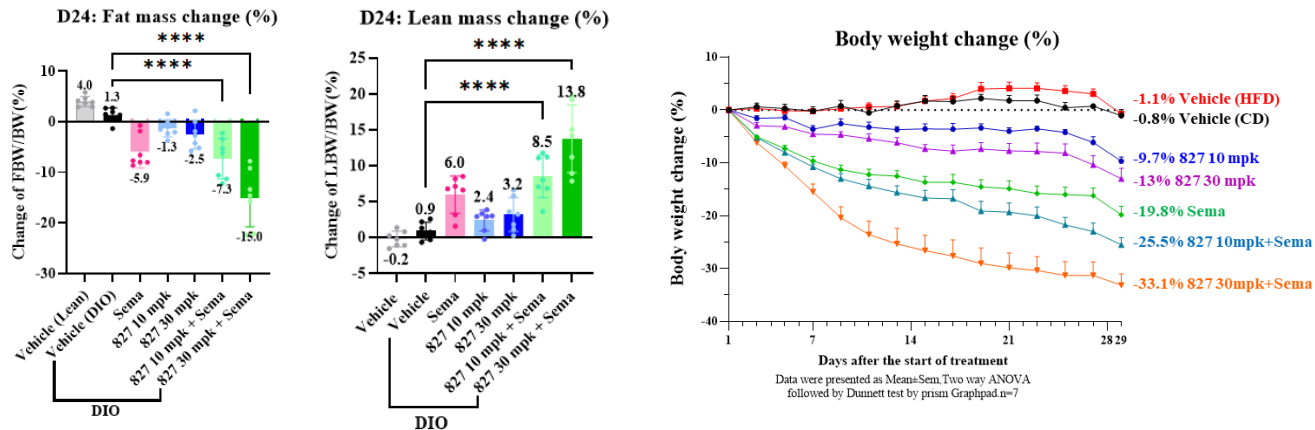


# 肠促胰素后时代的代谢疾病项目亮点

减重的同时保存肌肉

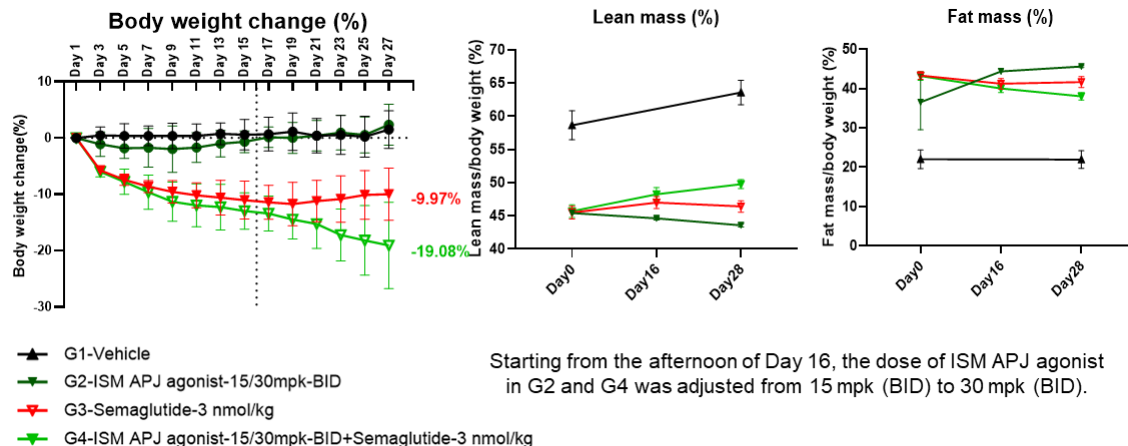
## 潜在同类最优GIP受体拮抗剂

- ✓ 剂量依赖性协同效应，有望突破GLP-1受体激动剂减重平台期
- ✓ 瘦体重/体重比值改善
- ✓ 药物相互作用风险降低
- ✓ 优异的药物代谢动力学特征



## G 蛋白偏向性 APJ 激动剂

- ✓ 口服给药
- ✓ 减重效果更显著
- ✓ 与司美格鲁肽联用时，可提升瘦体重/体重比值



# 同类最优、新型非成瘾性镇痛药

## 最佳 Nav1.8 抑制剂

- ✓ 更优的成药性，包括更高的溶解度
- ✓ 更优的安全性特征，无 CYP 酶诱导
- ✓ 体内疗效优于 Journavx (VX-548)

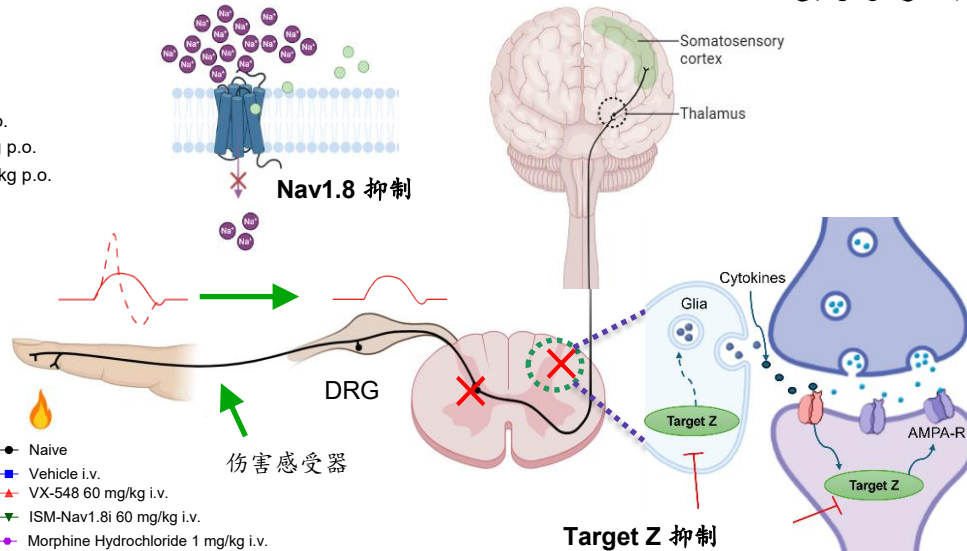
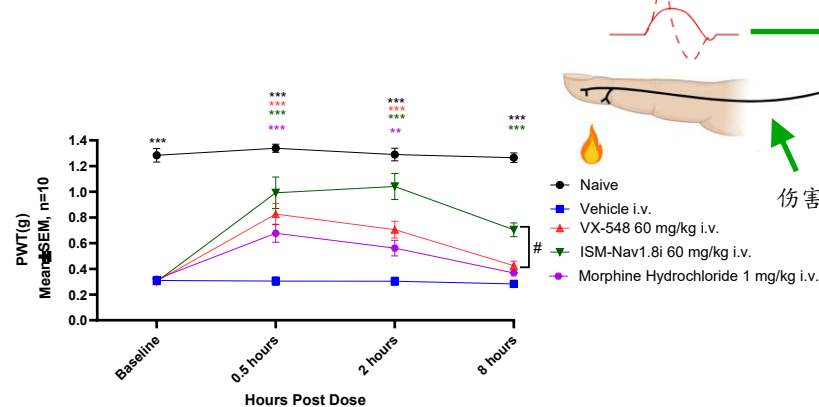
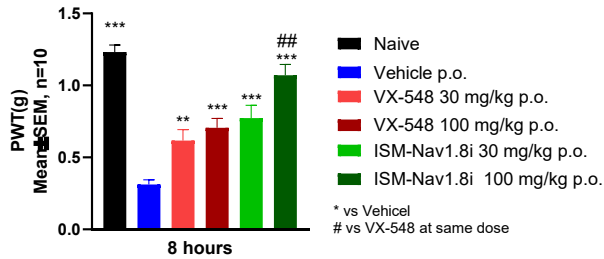
新型靶点Z抑制剂通过以下机制阻断疼痛信号传导：

- ✓ 调控神经元受体膜转运
- ✓ 减轻胶质细胞炎症反应

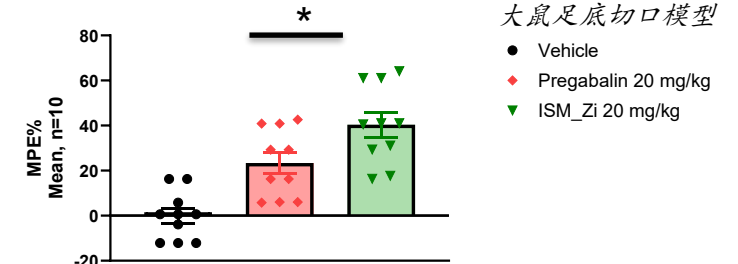
新型靶点Z抑制剂表现出

- ✓ 剂量依赖性镇痛效果
- ✓ 起效迅速且疗效优于普瑞巴林

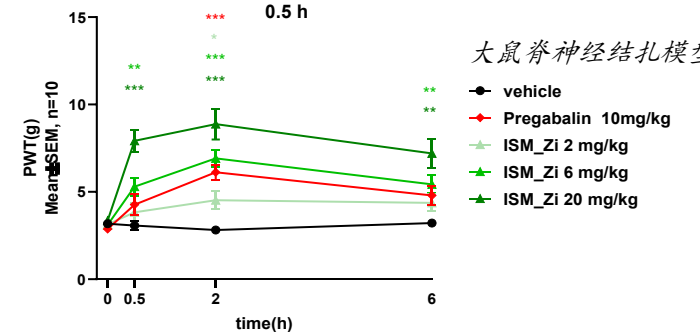
小鼠坐骨神经损伤模型



大鼠足底切口模型



大鼠脊神经结扎模型



# 炎症与自身免疫疾病中的靶向蛋白降解策略

### IRAK4: Inhibition is not enough

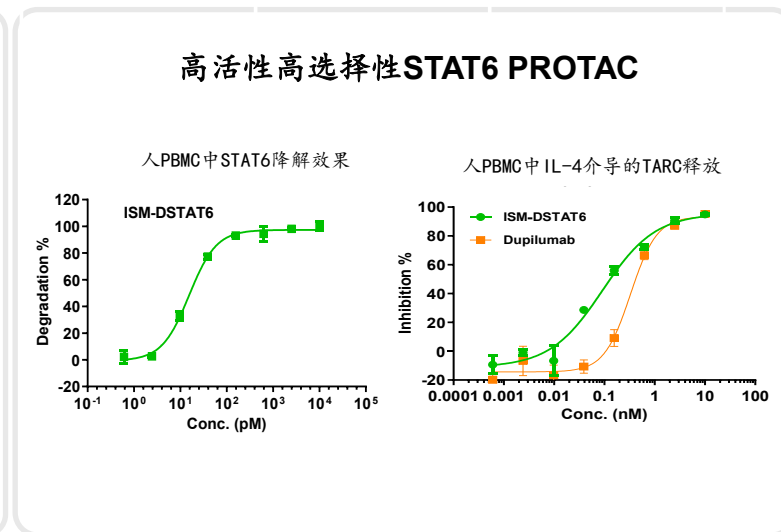
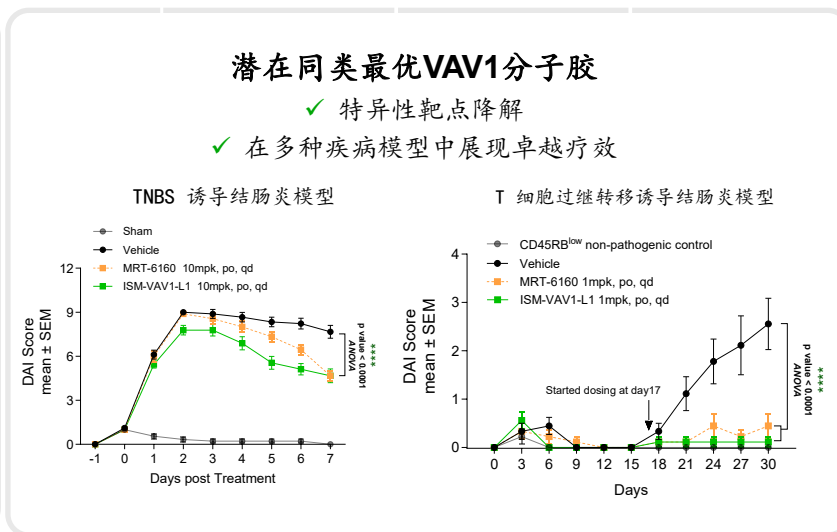
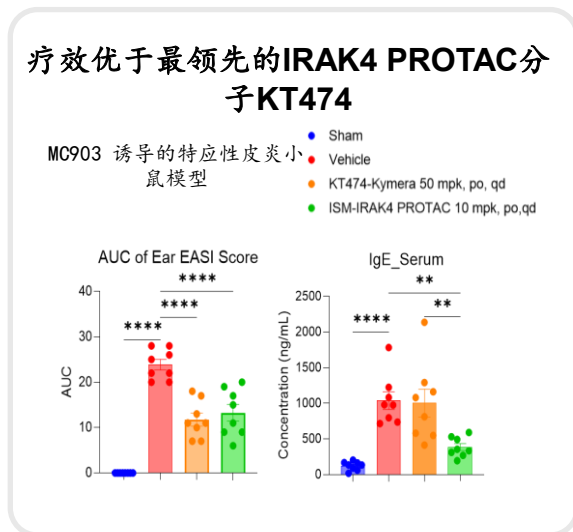
"Kinase-dead" IRAK4 still drives robust inflammatory signaling through its structural scaffolding function.

### VAV1: Dual-Pathway Signaling

VAV1 acts as both an enzyme and a scaffold in T-cell and B-cell receptors.

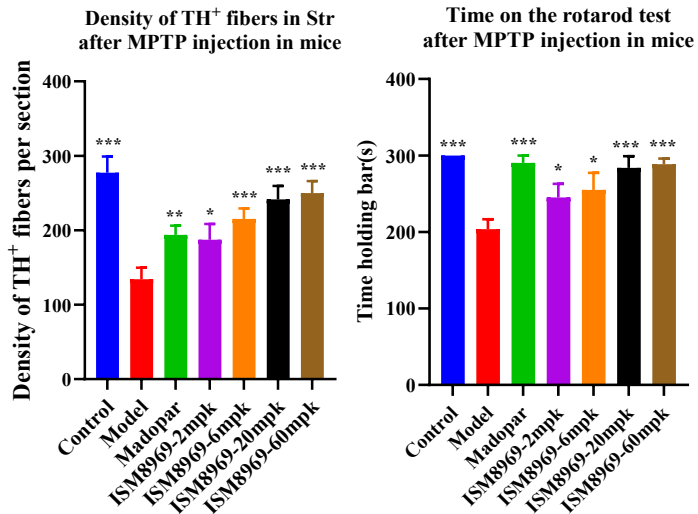
### STAT6 Protac-口服度普利尤单抗研发策略

Broad transcriptional suppression by degrading STAT6, the compound shuts down Th2 mediated inflammation.



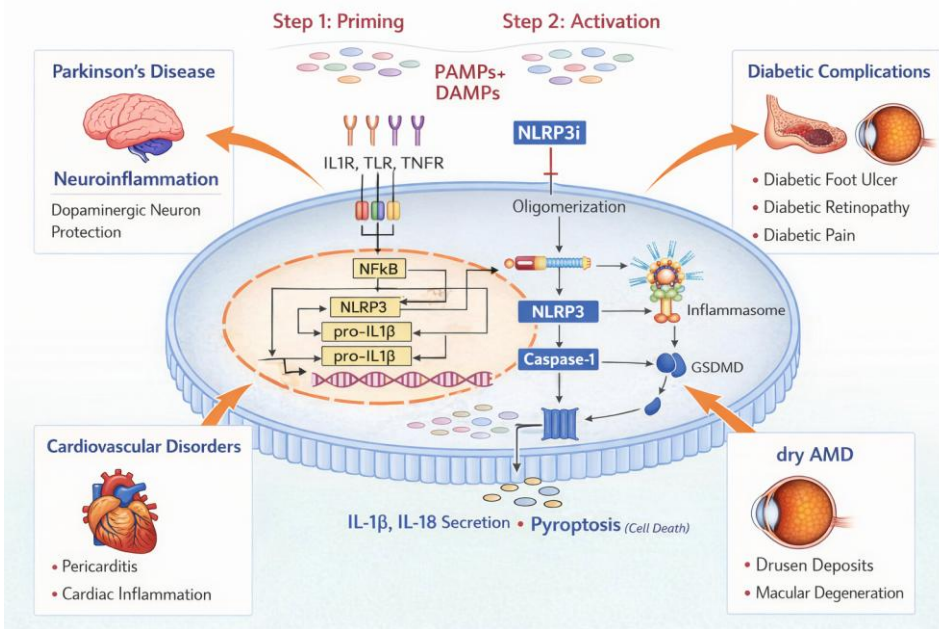
# NLRP3 抑制剂 - “单一药物管线”

## MPTP 诱导帕金森病模型



在帕金森病小鼠模型中展现显著剂量依赖性疗效。

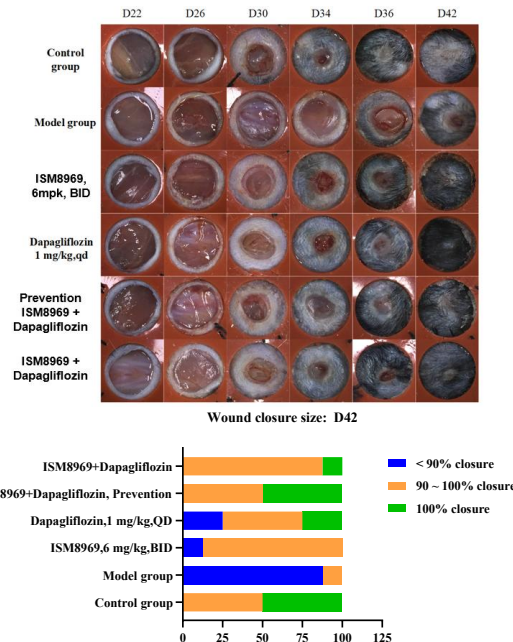
在STZ诱导的糖尿病足溃疡小鼠模型中，显著加速伤口愈合，并与达格列净展现协同增效作用。



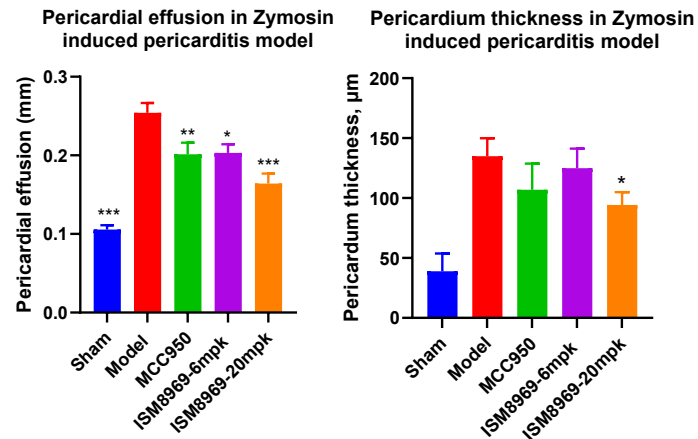
在酵母聚糖诱导心包炎模型中，显著减少心包积液并降低心包厚度。

在干性AMD模型中，口服或滴眼给药均可改善视力，疗效优于阳性对照。

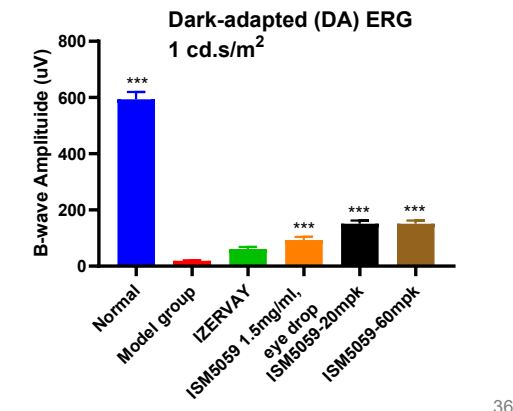
## 链脲佐菌素诱导糖尿病足溃疡模型



## 酵母聚糖诱导心包炎模型



## 碘酸钠诱导dry-AMD模型

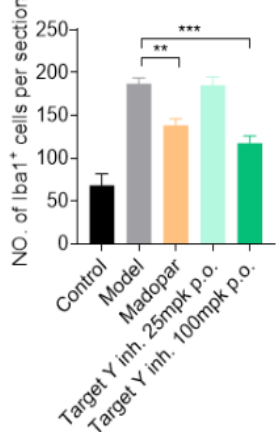


# 靶点Y – 首创项目，新一代“单一药物管线”

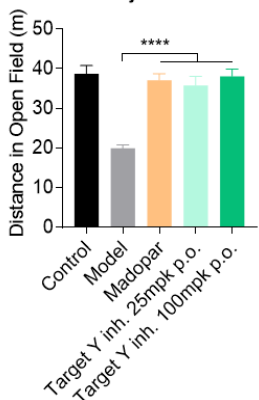
在帕金森病小鼠模型中展现显著剂量依赖性疗效。

在干性AMD模型中，口服给药可改善组织病理学及视力。

Number of Iba1<sup>+</sup> cells in SN



Distance in open field after MPTP injection in mice



Parkinson



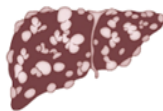
Dry AMD



Obesity

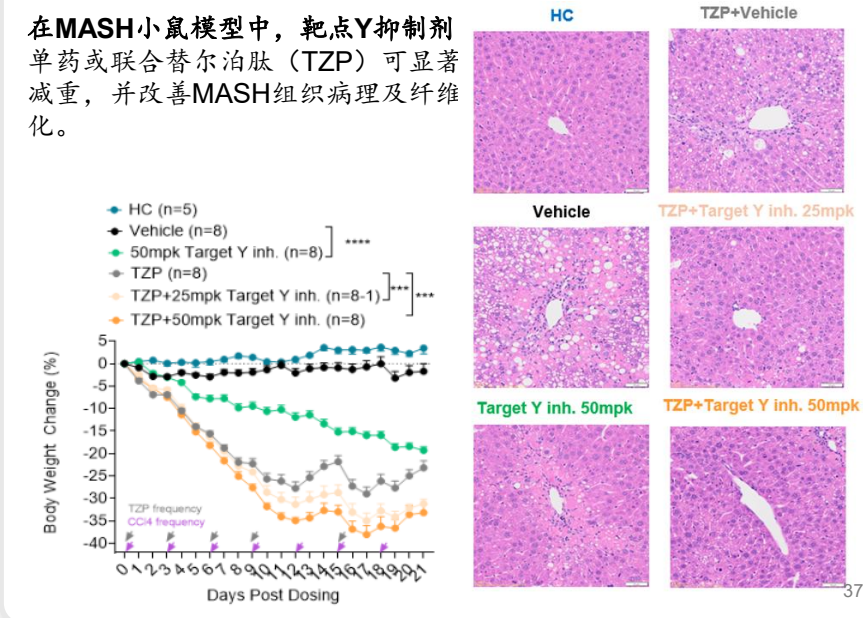
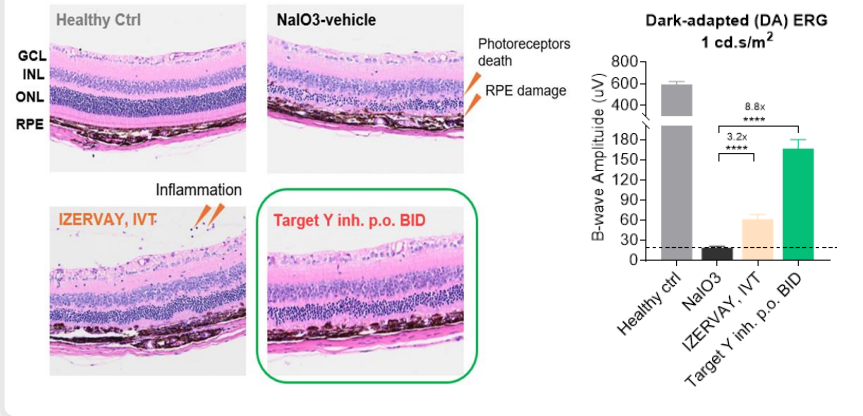
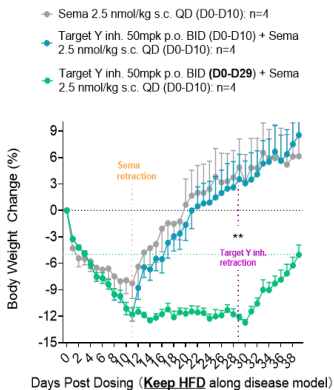
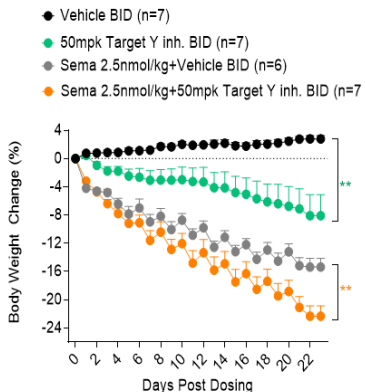


MASH



## 靶点Y抑制剂在DIO小鼠模型

- ✓ 单药可减重并改善胰岛素抵抗；
- ✓ 与司美格鲁肽联用进一步减重；
- ✓ 可抑制停用司美格鲁肽后的体重反弹。



章节5

# 商业模式



# 多支柱商业模式，实现长期增长

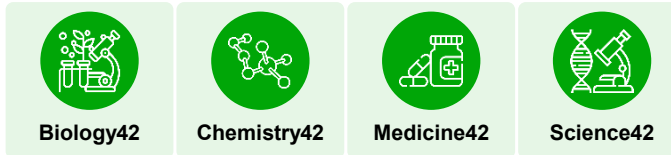


## 药物发现及管线开发

- 已生成~30项管线资产
- 10+项资产对外授权及合作研发项目，合约总价值>46亿美元
- 2025年，与75名客户合作开展药物发现业务



## 软件解决方案



## 非制药领域的其他发现

使用Pharma.AI于非医药行业发现新分子

加速发现新型、环保的农作物保护产品，在防治病虫害的同时保护生态系统



与全球性能源公司合作



开发下一代营养保健食品

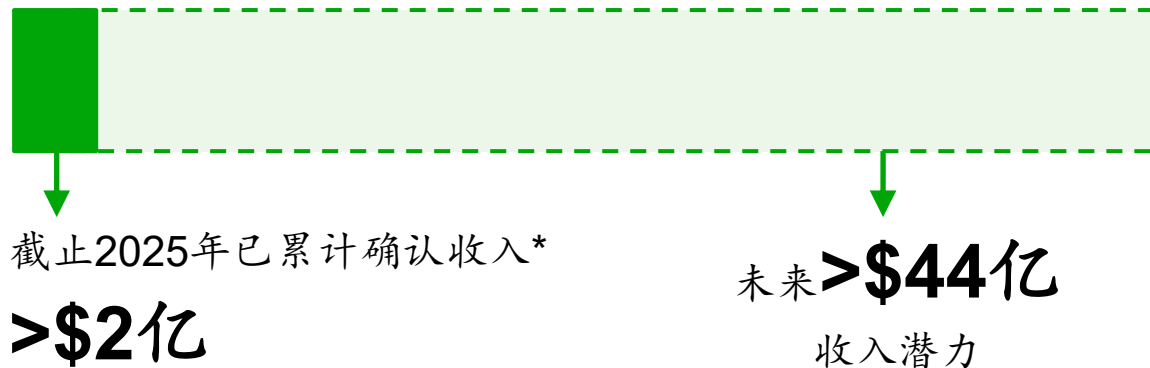


# Pharma.AI 独有生成式AI平台

# BD交易稳步落地，里程碑与首付款持续兑现

示意图

**>\$46亿** 总签约金额



及更多...

对外授权/共同开发

EXELIXIS®

MENARINI group

MENARINI group

TaiGen Biotechnology

FOSUN PHARMA

深圳衡泰生物

FOSUN PHARMA

sanofi

Lilly

SERVIER\*

齐鲁制药 QILU PHARMACEUTICAL

CMS 康哲药业 CHINA MEDICAL SYSTEM

合作研发

- ✓ XL309 /ISM3091 (USP1) 收到\$8000万首付款+\$1000万里程碑
- ✓ MEN2312 /ISM5043 (KAT6) 收到\$1200万首付款及里程碑
- ✓ MEN2501 /ISM9682 (KIF18A) 收到\$2000万首付款+ \$800万里程碑
- ✓ 多项研发合作开发取得里程碑进展

...

# 自2021年以来，与顶尖生物和医药公司达成多项合作及对外许可



**FOSUN PHARMA**

2021

QPCTL共同开发  
& 4个合作靶点

1,300万美元首付款 +  
1,500万美元股权投资

总交易价值最高为  
8,200万美元

**sanofi**

2022

最多2+4个  
合作靶点

首付款 + 靶点提名费  
2,150万美元

总交易价值最高为12亿美元，  
外加许可权使用费

**EXELIXIS**

2023

USP1  
对外授权

首付款8,000万美元  
外加里程碑付款

总交易价值接近10亿美元，  
外加特许权使用费

**MENARINI**  
group

2023

KAT6  
对外授权

首付款1,200万美元  
外加里程碑付款

总交易价值超过5亿美元，  
外加特许权使用费

**MENARINI**  
group

2024

KIF18A  
对外授权

首付款2,000万美元  
外加里程碑付款

总交易价值超5.5亿美元，  
外加特许权使用费

**Lilly**

2025

合作研发

总交易金额超过1亿美元，  
外加许可权使用费

**TaiGen**  
Biotechnology

2025

PHD1/2  
大中华权益对外授权

总交易金额为数千万美元，  
外加特许权使用费

**SERVIER**

2026

合作研发

首付款及近期研发款项3200  
万美元，另加里程碑付款

交易总价值超过8.88亿美元，  
外加许可权使用费

深圳衡泰生物

2026

NLRP3  
共同开发

首付款1,000万美元  
外加里程碑付款

总交易价值超6,600万美元，  
外加特许权使用费

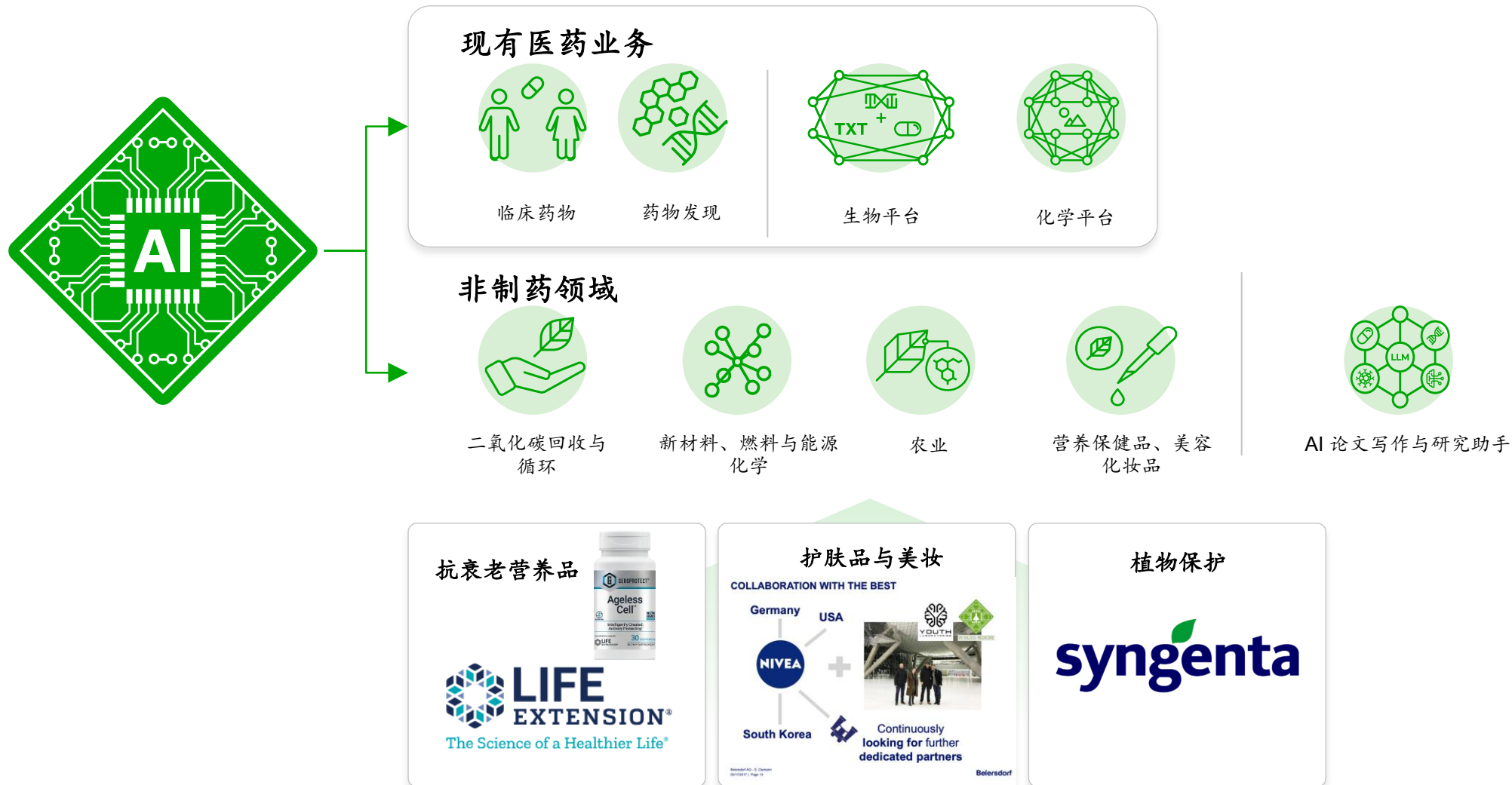
**齐鲁制药**  
QILU PHARMACEUTICAL

2026

合作研发

总交易金额近1.2亿美元，  
外加许可权使用费

# 科学领域的生成式AI：凭借化学与生物通用人工智能，拓展至其他行业



章节6

# 财务表现

# 2025年最大港股生物科技 IPO – 英矽智能 (3696.HK)

2026年3月9日纳入港股通



第一家依据港交所主板第8章上市  
规则挂牌的AI药物研发公司



2024年以来，非 A/H模式香港  
最大医疗健康 IPO



2025年香港非18A 医疗健康 IPO 中，  
机构认购倍数最高的项目



2025年香港非18A 医疗健康 IPO 中，  
零售认购（公开发售）金额最高的项目

# 损益表与现金状况



|   | 截至12月31日止年度     |                  |
|---|-----------------|------------------|
|   | 2024<br>USD'000 | 2025<br>USD'000  |
| 收入  | 85,834          | 56,239           |
| 成本  | (8,257)         | (10,391)         |
| 毛利润   | 77,577          | 45,848           |
| 销售及营销开支   | (5,532)         | (6,328)          |
| 研究与开发开支   | (91,895)        | (81,379)         |
| 行政开支  | (17,487)        | (17,416)         |
| 上市开支  | (176)           | (5,274)          |
| 其他收入  | 10,633          | 8,001            |
| 其他收益及亏损 (净额)                                      | 1,025           | 1,913            |
| 财务成本  | (91)            | (209)            |
| 按公允价值计量且其变动计入当期损益 (“FVTPL”) 的金融负债公允价值变动 (亏损) / 收益 | 9,004           | (296,701)        |
| 金融资产减值亏损 (包括减值亏损拨回或减值收益)                          | 7               | (711)            |
| <b>除税前亏损</b>                                      | <b>(16,935)</b> | <b>(352,256)</b> |
| 所得税开支   | (161)           | (60)             |
| <b>年内亏损 (IFRS 准则)</b>                             | <b>(17,096)</b> | <b>(352,316)</b> |
| 非国际财务报告准则计量调整项                                    | (5,569)         | 308,482          |
| <b>年内亏损 (非IFRS 准则)</b>                            | <b>(22,665)</b> | <b>(43,834)</b>  |

**收入：**2025 年收入同比下降 2,960 万美元至 5,624 万美元，主要由于管线开发业务收入减少，而该减少受到新交易谈判节奏的影响。软件解决方案收入同比增长 23.8%。

**营业成本：**2025 年营业成本小幅增加 213 万美元至 1,039 万美元，主要由于收入结构变化，其中合作研发业务产生的第三方外包成本及人工成本增加。

**毛利率：**2025 年毛利率小幅下降至 81.5%，主要由于合作研发业务收入占比上升。

**销售及市场推广费用：**2025 年销售及市场推广费用小幅增加 80 万美元至 633 万美元，主要归因于以股份为基础的薪酬费用增加。

**研发费用：**2025 年研发费用减少 1,052 万美元，降至 8,138 万美元，主要由于内部管线资源配置效率提升。

**行政费用：**2025 年行政费用保持稳定。

**其他收入：**2025 年其他收入减少 263 万美元，降至 800 万美元，主要由于银行利息收入及补助收入减少所致。

**按公允价值计量且其变动计入损益的金融负债公允价值变动：**2025 年录得 2.967 亿美元亏损，主要由于公司上市时，前期融资轮次发行的优先股按上市股价转换为普通股而产生的亏损。该项目为基于会计计量口径的非现金项目。

**年度亏损 (IFRS 准则)：**2025 年按 IFRS 计量的年度亏损增加 3.352 亿美元，增至 3.523 亿美元，主要归因于按公允价值计量且其变动计入损益的金融负债公允价值变动产生的亏损。

**年度亏损 (非IFRS 准则)：**2025 年按非 IFRS 计量的年度亏损增加 2,117 万美元，增至 4,383 万美元，主要由于收入下降，并部分被研发开支减少所抵销。

**现金余额：**截至2025年12月31日银行存款及现金余额为 3.933 亿美元。

# 2026年技术平台与药物研发管线关键里程碑



## 管线开发

### 2026 1H

- ✓ ISM6331 (TEAD) I期临床试验初步安全性、有效性及生物标志物数据
- ✓ Rentosertib (吸入剂型) 获中国 IND 批准, 用于治疗特发性肺纤维化 (IPF)
- ✓ ISM8969 (NLRP3) 澳大利亚 I 期临床试验首例受试者给药 (FPI)
- ✓ ISM8969 (NLRP3) I 期临床试验在中国获 IND 批准

### 2026 2H

- ✓ Rentosertib 中国 III 期临床试验启动并完成首例受试者给药
- ✓ ISM8969 (NLRP3) 中国 I 期临床试验首例受试者给药
- ✓ ISM3412 (MAT2A) I 期临床试验剂量递增阶段最后一例受试者给药
- ✓ ISM6331 (TEAD) I 期临床试验剂量递增阶段最后一例受试者给药



推进多个新 PCC + 多个 IND



继续达成新 BD 交易

## AI 平台

每季度 Pharma.AI 研发日, 推出新生成式 AI 平台



继续拓展 MMAI Gym 合作