



POLTREG

prezentacja
dla inwestorów

maj 2022



DISCLAIMER

NINIEJSZY DOKUMENT I INFORMACJE W NIM ZAWARTE MAJĄ CHARAKTER WYŁĄCZNIE INFORMACYJNY. DOKUMENT ZAWIERA STWIERDZENIA DOTYCZĄCE PRZYSZŁOŚCI OBARCZONE RYZYKIEM I NIEPEWNOŚCIĄ. INFORMACJE TE NIE STANOWIĄ WIĄŻĄCYCH PROGNOZ.

Niniejszy dokument został przygotowany przez PolTREG S.A. z siedzibą w Gdańsku („Spółka”) wyłącznie w celach informacyjnych i nie stanowi, nie jest częścią, a także nie może być traktowany jako oferta nabycia, objęcia, zbycia lub subskrypcji jakichkolwiek papierów wartościowych bądź instrumentów finansowych. W szczególności, dokument nie stanowi oferty publicznej w rozumieniu art. 2 lit. d) Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2017/1129 z dnia 14 czerwca 2017 r. w sprawie prospektu, który ma być publikowany w związku z ofertą publiczną papierów wartościowych lub dopuszczeniem ich do obrotu na rynku regulowanym oraz uchylecia dyrektywy 2003/71/WE, ani żadnej innej oferty, w tym oferty w rozumieniu kodeksu cywilnego, ani zaproszenia lub zachęty do objęcia, nabycia, zbycia, subskrypcji lub składania ofert nabycia lub zbycia jakichkolwiek papierów wartościowych ani innych instrumentów finansowych.

Niniejszy dokument nie stanowi informacji o papierach wartościowych ani innych instrumentach finansowych i warunkach ich nabycia lub objęcia, stanowiącej wystarczającą podstawę do podjęcia decyzji o nabyciu, zbyciu lub objęciu tych papierów wartościowych. Informacje przedstawione w niniejszym dokumencie stanowią ogólne, skrócone informacje o Spółce i nie powinny być traktowane jako kompletne i wystarczające źródło wiedzy o Spółce, wystarczającej do podjęcia decyzji inwestycyjnej w zakresie nabycia, objęcia, zbycia lub subskrypcji papierów wartościowych Spółki.

Oświadczenia dotyczące przyszłości zawarte w niniejszym dokumencie, w szczególności takie jak przewidywania co do przychodów czy rozwoju Spółki, zostały ustalone na podstawie szeregu założeń, oczekiwań oraz projekcji, a w związku z tym obarczone są ryzykiem niepewności i mogą ulec zmianie pod wpływem czynników zewnętrznych, jak i wewnętrznych i nie należy traktować ich jako wiążących prognoz. Ani Spółka, ani osoby działające w jej imieniu, w szczególności członkowie Zarządu Spółki, doradcy Spółki, ani jakiegokolwiek inne osoby, nie udzielają zapewnienia, że przewidywania dotyczące przyszłości zostaną spełnione, w szczególności nie gwarantują zgodności przyszłych wyników lub wydarzeń z tymi oświadczeniami, jak również tego, że przyszłe wyniki Spółki nie będą się istotnie różnić od przewidywanych. Informacje zawarte w niniejszym dokumencie nie podają kompleksowej ani pełnej analizy sytuacji finansowo-ekonomicznej Spółki. Informacje zamieszczone w niniejszym dokumencie mogą ulegać istotnym zmianom. Ani Spółka, ani żadna inna osoba nie ma obowiązku ich aktualizowania. Ani Spółka, ani żadna inna osoba nie ponosi jakiegokolwiek odpowiedzialności za jakąkolwiek szkodę poniesioną przez jakąkolwiek osobę w związku z nieścisłościami lub pominięciami w niniejszym dokumencie. Odbiorca niniejszego dokumentu ponosi odpowiedzialność za przeprowadzenie własnej analizy i oceny informacji zawartych lub przywoływanych w niniejszym dokumencie.

Informacje zawarte w dokumencie są aktualne na dzień ich publikacji i mogą być zmieniane bez wcześniejszego powiadomienia, mogą być także niepełne lub skrócone oraz mogą nie zawierać wszystkich istotnych informacji dotyczących Spółki. Odpowiedzialność za sposób wykorzystania informacji zawartych w niniejszym dokumencie spoczywa wyłącznie na osobie korzystającej z tego dokumentu.



SKŁAD ZARZĄDU



PROF. PIOTR TRZONKOWSKI

Prezes Zarządu
Założyciel
Współtwórca terapii TREG

MARIUSZ JABŁOŃSKI

Członek Zarządu,
Partner Paan Capital,
doświadczenie na stanowiskach
kierowniczych w biznesie
farmaceutycznym w globalnych
korporacjach

KAMILLA BOK

Członek Zarządu, Dyrektor
ds. Operacyjnych,
doświadczenie
na stanowiskach
kierowniczych w TFI
oraz w biznesie



JESTEŚMY ŚWIATOWYM LIDEREM TERAPII KOMÓRKOWYCH OPARTYCH NA TREGs

2

rozwijane terapie rozpoczynające etap zaawansowanych badań klinicznych (cukrzyca typu 1 oraz MS) mające potencjał terapii zmieniających przebieg dotychczas nieuleczalnych chorób (*disease-modifying therapies*)

33

członków zespołu – w tym jeden z najlepiej rozpoznawalnych zespołów naukowych na świecie w immunologii i cukrzycy, kierowany przez prof. Piotra Trzonkowskiego

ponad
100
mln zł

na bilansie na koniec 2021 dzięki udanemu IPO dodatkowo około 30 mln zł z tytułu przyznanych i jeszcze niewykorzystanych grantów na koniec 2021

nawet
100+

zidentyfikowanych chorób autoimmunologicznych – szeroki potencjał zastosowania terapii TREG dzięki uniwersalnemu fenotypowi komórek TREG

4

główne projekty w pipeline:

- terapia TREG w cukrzycy typu 1
- terapia TREG w MS
- antygenowo specyficzne TREG (TREG 2.0)
- CAR-TREGs w chorobach neurologicznych o podłożu autoimmunologicznym

17

pacjentów dziecięcych w terapii TREG w ramach wyjątku szpitalnego (27 podań) od początku stosowania terapii w ramach współpracy z UCK

ponad
40
mld USD

łączna wartość rynku podstawowych wskazań, nad którymi pracuje Spółka (13 mld USD – rynek cukrzycy objawowej i przedobjawowej, 28 mld USD – rynek MS)

niedługo ponad
2
lata

do umów partneringowych (na podstawie oczekiwanych wyników badań klinicznych interim)



NAJWAŻNIEJSZE WYDARZENIA OD DEBIUTU NA GPW



rozwój kliniczny

postępujące przygotowania do badań klinicznych – podtrzymany plan rozpoczęcia w 2H 2022



R&D i moce wytwórcze

trwające prace nad rozbudową aktywów wytwórczych i labu w zmodyfikowanym harmonogramie (uruchomienie operacyjne wytwórni w 1H'23)



leczenie ATMP-HE

kontynuacja leczenia w ramach wyjątków szpitalnych w „warunkach pandemii”



CAR-TREGs

samodzielne wyprodukowanie z sukcesem pierwszych konstruktów CAR-TREGs w PoITREG



HR

poszerzenie zespołu o kolejne osoby (biotechnologia i kontrola jakości)



publikacje

artykuły naukowców PoITREG opublikowane m.in. w prestiżowych *Nature Communications* oraz *Diabetes, Obesity and Metabolism*



business development

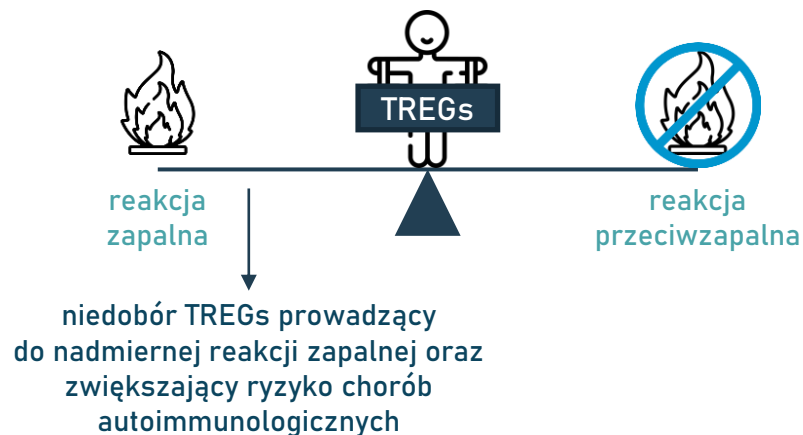
aktywne działania na szczeblu międzynarodowym, w tym w USA, budujące rozpoznawalność Spółki



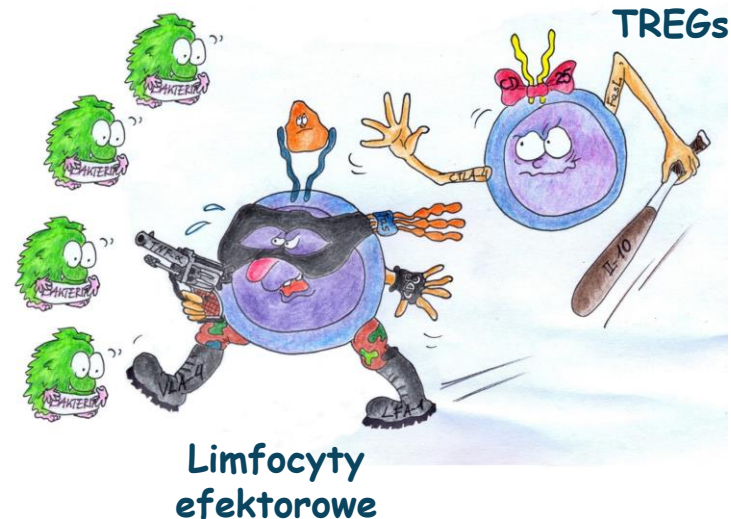
MECHANIZM DZIAŁANIA LIMFOCYTÓW TREG: „ŻYWY LEK” Z OGROMNYM POTENCJAŁEM MEDYCZNYM

CZYM SĄ TREGs?

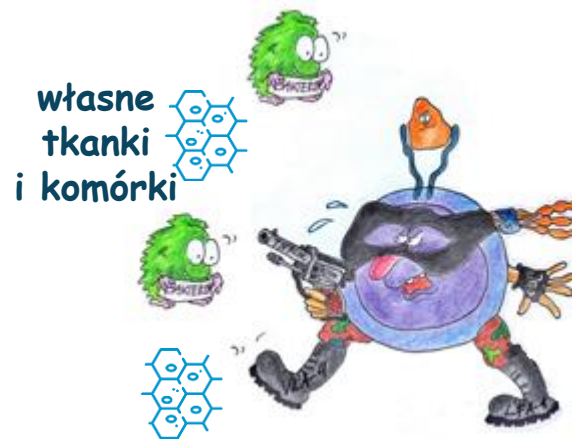
limfocyty T-regulatorowe zapewniają homeostazę reakcji immunologicznej



Limfocyty T-regulatorowe (TREG) to specjalna populacja komórek układu odpornościowego. Choć stanowią mniej niż 1% leukocytów we krwi obwodowej, TREGs regulują odpowiedź immunologiczną, dzięki czemu patogeny są szybko eliminowane, a własne tkanki pozostają chronione. Dzieje się tak, ponieważ TREGs zapobiegają niszczeniu własnych tkanek i narządów przez układ odpornościowy.



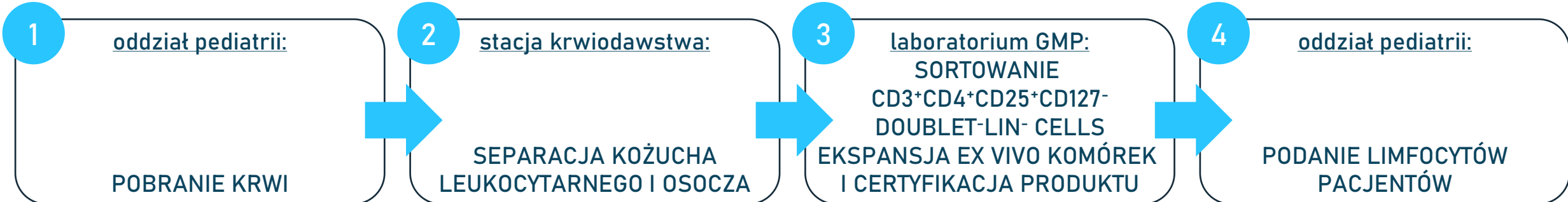
Limfocyty TREG to żandarm w układzie odpornościowym. Pilnują, aby limfocyty efektorowe atakowały wyłącznie patogeny



Gdy zabraknie limfocytów TREG, limfocyty efektorowe przestają odróżniać patogeny od własnych tkanek i zaczynają je atakować (np. niszczą komórki beta w trzustce, produkujące insulinę). Prowadzi to do schorzeń autoimmunologicznych – m.in. cukrzycy typu 1, MS i wielu innych



UNIKALNA METODA NAMNAŻANIA I SORTOWANIA TREGS ROZWINIĘTA IN-HOUSE

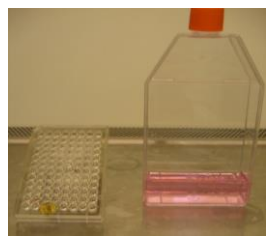


Temperatura

Stabilność autologicznych TREGs podczas namnażania jest zapewniana dzięki obniżeniu temperatury do 33°C. Ten sposób namnażania TREGs podlega ochronie patentowej, dzięki czemu proces jest praktycznie niemożliwy do skopiowania przez konkurencję.



Po pobraniu



Po sorcie

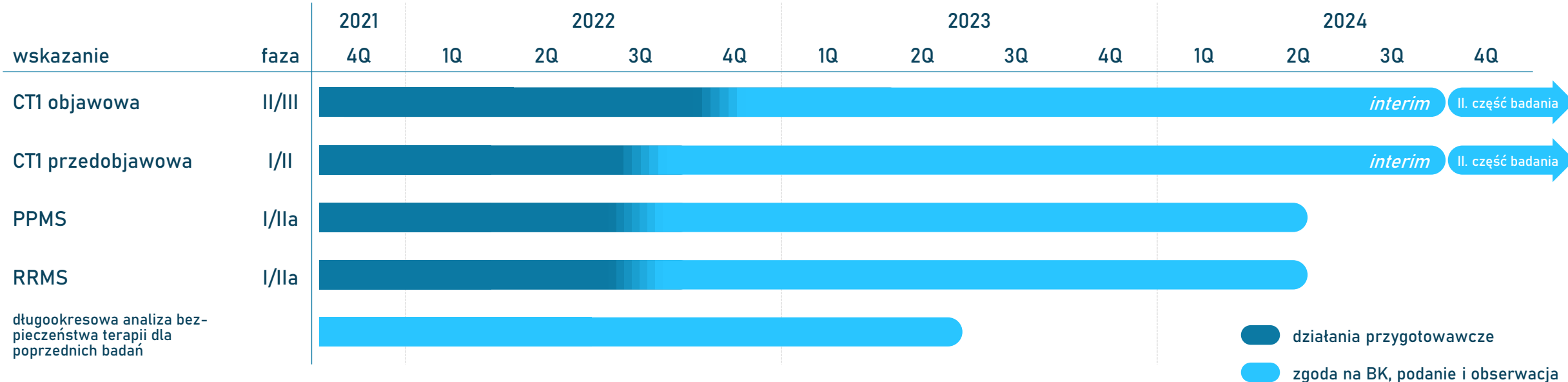


Po namnożeniu

**UNIKALNA TECHNOLOGIA
POLTREGU POZWALA ROZMNOŻYĆ
POPULACJĘ TREGs
W WARUNKACH *EX VIVO* BEZ
ZMIANY ICH WŁAŚCIWOŚCI
(OD 0,5 MLN DO NAWET 4 MLD
KOMÓREK W 10 DNI)**



ZAAWANSOWANE PRZYGOTOWANIA DO KOLEJNYCH FAZ BADAŃ KLINICZNYCH W CT1 ORAZ MS



DZIAŁANIA PRZYGOTOWAWCZE - ZREALIZOWANE

- ✓ wdrożenie zaleceń EMA z SA dot. protokołu badania klinicznego
- ✓ rozpoznanie warunków brzegowych do wyboru CRO
- ✓ wyselekcjonowanie pacjentów do badania CT1 przedobjawowej
- ✓ otwarcie przetargu na wybór CRO w badaniach PPMS i RRMS

DZIAŁANIA PRZYGOTOWAWCZE - W TRAKCIE I ZAPLANOWANE

- wybór i umowa z CRO (w tym w procedurze przetargowej dla 2 badań MS)
- kwalifikacja ośrodków (w Polsce w CT1 objawowej samodzielnie)
- finalizacja protokołów badań i złożenie wniosków o zgody na badania
- otwarcie rekrutacji pacjentów do badań

PRIORYTETY

- jakość badania (bardzo dokładne przygotowanie planu badania)
- optymalizacja budżetu
- optymalizacja harmonogramu

(stąd np. plan samodzielnego prowadzenia ustaleń z polskimi ośrodkami i ustalenie ośrodka wiodącego)

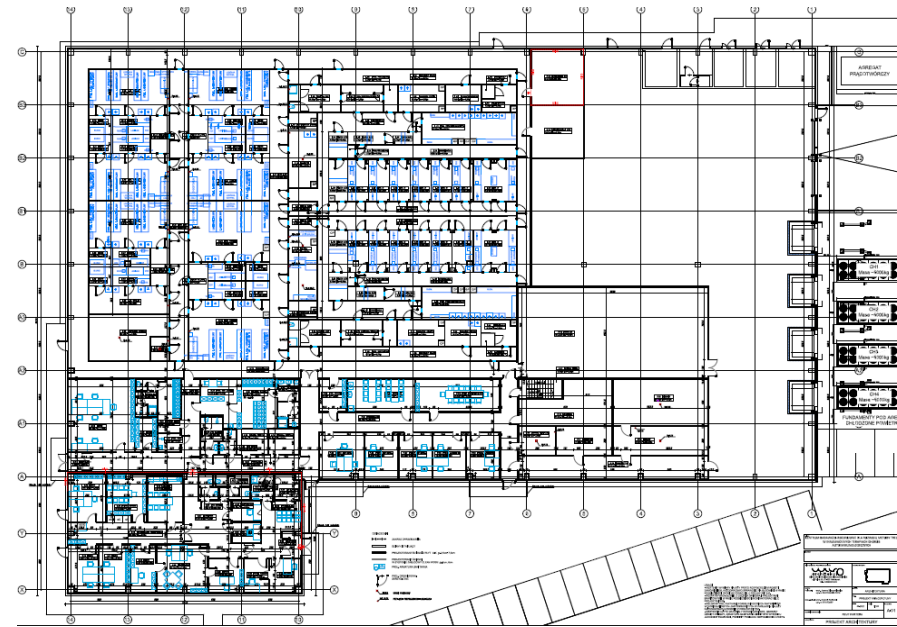
od 3Q'22 istotniejsze wydatki związane z prowadzeniem badań klinicznych



ROZBUDOWA NOWOCZESNYCH MOCY WYTWÓRCZYCH I R&D

- Celem Spółki jest sprawne uruchomienie nowoczesnego centrum R&D i wytwórczego spełniającego normy GLP i GMP (Panattoni Park Gdańsk Airport III)
- obecny status prac:
 - ✓ zawarta umowa najmu oraz umowa na wykonanie dokumentacji i robót budowlanych dla części R&D (13 mln zł netto)
 - ✓ przeprowadzony audyt dokumentacji systemowej w celu dostosowania do wymogów KCBTiK* i GIF (nowe wymagania zw. z wydzieleniem banku tkanek i komórek od wytwórni farmaceutycznej) oraz przygotowana dokumentacja URS (element GMP)
 - ✓ ukończone prace ziemne, w części naziemnej wdrożone modyfikacje w projekcie, które ze względu na formalnych wpłynęły na nieznaczne kilkumiesięczne przesunięcie harmonogramu
 - ✓ dla części wytwórczej ogłoszony przetarg na nabycie i instalację infrastruktury pomieszczeń czystych (tzw. cleanroom'ów)

- zaktualizowany harmonogram budowy laboratorium ze względu na kwestie formalne – w pełni gotowa operacyjnie własna wytwórnia oraz laboratorium R&D w 1H'23
- zmiana bez wpływu na harmonogram badań klinicznych – rozpoczęcie 3 z 4 badań w oparciu o preparaty wytworzone w obecnych laboratoriach na GUMed, badanie objawowej CT1 w pełni w oparciu o nowe laboratorium wytwórcze; ukończenie wszystkich badań w granicach założone wg pierwotnego harmonogramu – kluczowe jest tempo rekrutacji
- zaplanowane i uwzględnione w budżecie badanie analityczne w ramach procesu kontroli jakości związane z 2 miejscami wytwarzania preparatów w całym procesie badań klinicznych (począwszy od fazy I/II badania w CT1 z lat 2010-2020 i fazy I w MS z 2015-2018)



budżet	ok. 39 mln zł netto (w tym 16,7 mln zł dofinansowania; 2 osobne granty)
powierzchnia	4,0 tys. m ² , w tym 2,1 tys. m ² pow. niebiurowej, obejmującej m.in. strefy czyste w lab R&D i produkcyjnym oraz QC
liczba linii wytwórczych	15 autonomicznych linii ze śluzami szczelnymi i automatyką
łącznie moce	do 720 szt. preparatów p.a. (~ 48 szt. preparatów / linia)
docelowe zatrudnienie	50 osób (obecnie ~30 osób)

* Krajowe Centrum Bankowania Tkanek i Komórek



KONTYNUACJA KOMERCYJNYCH PODAŃ TERAPII TREGs W RAMACH WYJĄTKÓW SZPITALNYCH – DODATKOWE ŹRÓDŁO PRZYCHODÓW

- w 2022 YTD podane 4 preparaty w ramach wyjątków szpitalnych (łącznie już 27 podań 17 pacjentom dziecięcym w ramach współpracy z UCK)
- tempo podań determinowane przez wpływ pandemii COVID-19
- obecnie od czerwca 2021 realizowana 2-letnia umowa z Uniwersyteckim Centrum Klinicznym w Gdańsku przewidująca podanie w tym okresie 48 preparatów
- plan podpisywania umów na wyjątki szpitalne z ośrodkami, które zostaną zakontraktowane w badaniach klinicznych (możliwość intensyfikacji tempa pozyskiwania nowych pacjentów)

komercyjne warunki terapii dla pacjenta	
cena terapii	165.000 zł za 1 podanie (w ramach terapii 1 lub 2 podania)
koszt kwalifikacji do terapii	dodatkowo 4.500 zł za terapię



17 pacjentów dziecięcych

otrzymało dotychczas terapię w ramach ATMP-HE
(łącznie 27 podań)

UCK Uniwersyteckie
Centrum Kliniczne

DLA PACJENTÓW

NASZ SZPITAL

JED

TERAPIA TREGS

Informacje na temat wstępnych kryteriów rekrutacji pacjentów z nowo rozpoznaną cukrzycą typu 1 do terapii komórkowej w oparciu o namnożone sztucznie limfocyty T- regulatorowe CD4+CD25+CD127 (terapia Tregs), na podstawie których pacjenci poddani badaniom kwalifikacyjnym w Klinice Pediatrii, Diabetologii i Endokrynologii:

Terapia immunologiczna z użyciem limfocytów T-regulatorowych ma za zadanie hamowanie procesu autoimmunologicznego spowolnienie rozwoju cukrzycy typu 1 poprzez wydłużenie okresu insulinosekrecji i remisji cukrzycy. Jej celem jest złagodzenie naturalnego przebiegu cukrzycy typu 1.

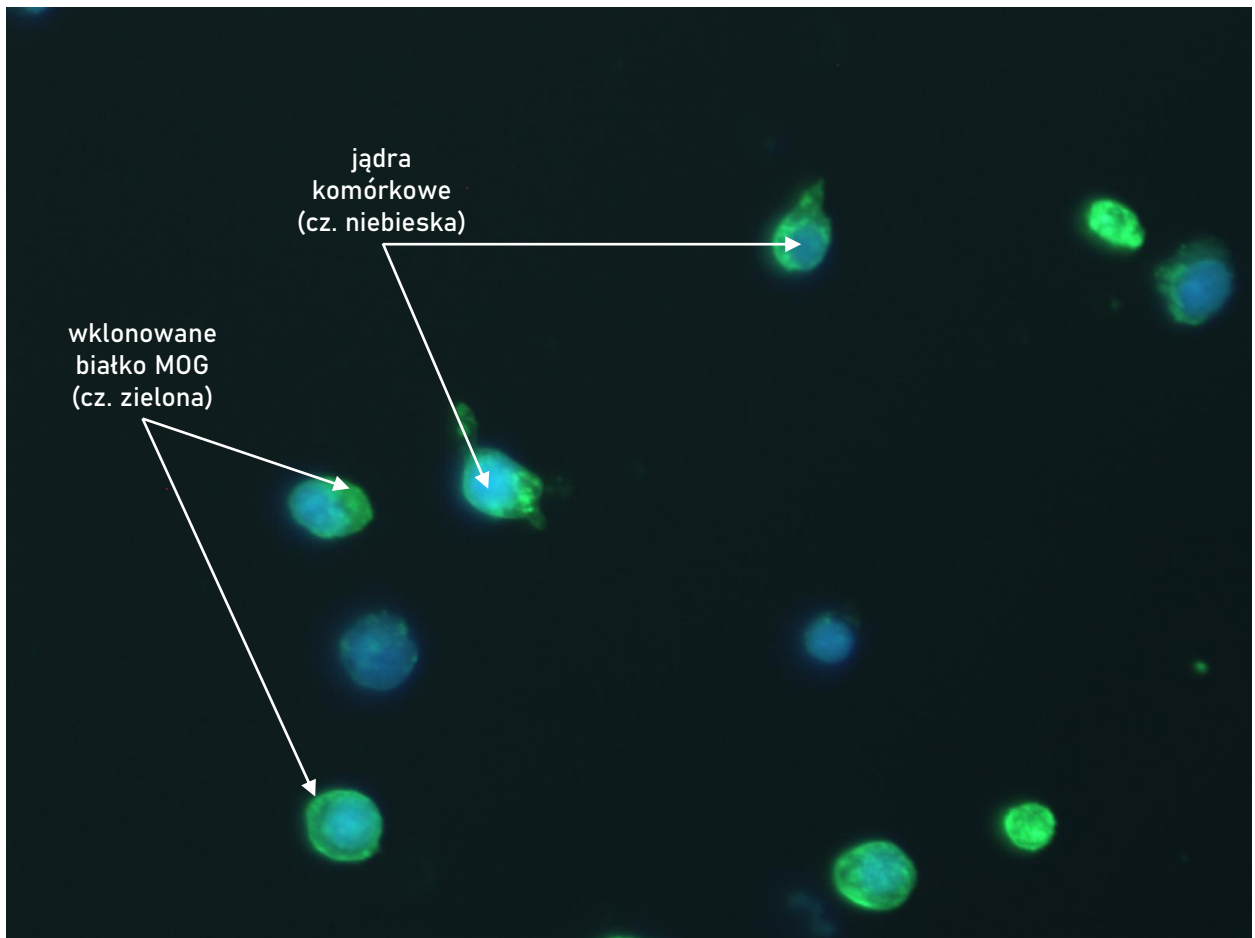
Wstępne kryteria na podstawie których pacjent może zostać poddany badaniom kwalifikacyjnym w Klinice Pediatrii, Diabetologii



POSTĘPY WE WSPÓŁPRACY Z AZ THERAPIES – UZYSKANE PIERWSZE KONSTRUKTY DO CAR-TREGs WŁASNEJ PRODUKCJI

- w partnerstwie z AZ Therapies (USA) naukowcy PolTREG pracują nad platformą CAR-TREG w celu generowania modyfikowanych limfocytów T-regulatorowych w leczeniu chorób neurologicznych – przede wszystkim MS i ALS
- projektowane CAR-TREGs będą specyficzne dla białka glikoproteiny mieliny i oligodendrocytów MOG (ang. *myelin-oligodendrocyte glycoprotein*), które jest kluczowym autoantygenem specyficznym dla chorób ośrodkowego układu nerwowego wpływającym na procesy demielinizacji
- autoreaktywne limfocyty docierają do naczyń krwionośnych ośrodkowego układu nerwowego, a następnie poprzez osłabioną barierę krew-mózg do tkanki mózgowej, powodując procesy zapalne, niszczenie mieliny i neurodegenerację
- celem prac PolTREGu i AZ Therapies jest stłumienie rozwoju choroby i wzmocnienie bariery krew-mózg
- w opinii spółki koekspresja białka FoxP3 z chimerycznym antygenowym receptorem CAR celującym w MOG pozwoli wygenerować wystarczającą liczbę stabilnych limfocytów TREG (MOG-CAR TREGs) lokalizujących się w OUN i zapobiegającym atakom autoimmunologicznym
- w kwietniu 2022 naukowcy PolTREG uzyskali pierwsze konstrukty* MOG-CAR TREGs własnej produkcji

obraz uzyskanych CAR-TREGs na mikroskopie fluorescencyjnym



*konstrukt (wektor) – wytworzony dzięki bioinżynierii fragment materiału biologicznego zawierający określoną informację genetyczną do przeniesienia na komórkę lub tkankę

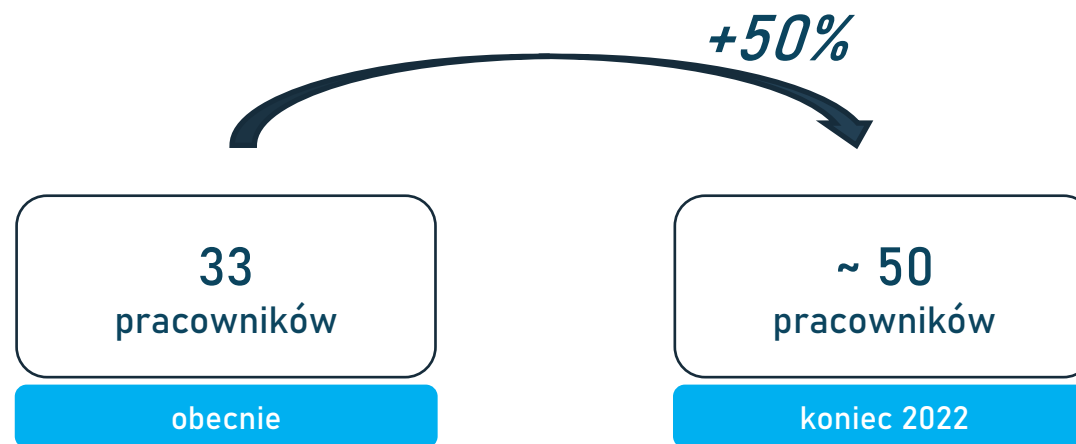


KOLEJNE WZMOCNIENIA KOMPETENCJI ZESPOŁU I PRZYGOTOWANIE DO OKRESU INTENSYWNEGO WZROSTU

- obecnie zespół PolTREG liczy 33 pracowników (+6 YTD), w tym m.in.:

- doświadczonych lekarzy
- biotechnologów
- specjalistów ds. jakości
- wykwalifikowanych techników
- konsultantów ds. regulacyjnych

- plany dalszego wzmacniania kompetencyjnego zespołu w ciągu najbliższych 12 miesięcy, przede wszystkim w obszarze biotechnologii
- plan skompletowania i przeszkolenia zespołu z wyprzedzeniem, przed pełnym uruchomieniem operacyjnym wytwórni oraz laboratorium R&D w 1H 2023
- trwa również rekrutacja naukowców do Rady Naukowej w dziedzinie R&D oraz MS





PUBLIKACJE ZESPOŁU POLTREG W NAJBARDZIEJ PRESTIŻOWYCH CZASOPISMACH NAUKOWYCH NA ŚWIECIE



Nature
Communications,
luty 2022

ARTICLE

<https://doi.org/10.1038/s41467-022-28338-0> OPEN

Mesenchymal stem cells transfer mitochondria to allogeneic Tregs in an HLA-dependent manner improving their immunosuppressive activity

Karolina Piekarska^{1,2}, Zuzanna Urban-Wójciuk³, Małgorzata Kurkowiak³, Iwona Pelikant-Matecka^{4,5,6}, Adriana Schumacher⁷, Justyna Sakowska², Jan Henryk Spodnik⁸, Łukasz Arcimowicz³, Hanna Zielińska², Bogusław Tymoniuk⁹, Alicja Renkielska¹⁰, Janusz Siebert^{1,11}, Ewa Słomińska⁴, Piotr Trzonkowski², Ted Hupp^{3,12} & Natalia Maria Marek-Trzonkowska^{1,2,3}✉

Cell-based immunotherapies can provide safe and effective treatments for various disorders including autoimmunity, cancer, and excessive proinflammatory events in sepsis or viral infections. However, to achieve this goal there is a need for deeper understanding of mechanisms of the intercellular interactions. Regulatory T cells (Tregs) are a lymphocyte subset that maintain peripheral tolerance, whilst mesenchymal stem cells (MSCs) are multipotent nonhematopoietic progenitor cells. Despite coming from different origins, Tregs and MSCs share immunoregulatory properties that have been tested in clinical trials. Here we demonstrate how direct and indirect contact with allogeneic MSCs improves Tregs' potential for accumulation of immunosuppressive adenosine and suppression of conventional T cell proliferation, making them more potent therapeutic tools. Our results also demonstrate that direct communication between Tregs and MSCs is based on transfer of active mitochondria and fragments of plasma membrane from MSCs to Tregs, an event that is HLA-dependent and associates with HLA-C and HLA-DRB1 eplet mismatch load between Treg and MSC donors.

<https://www.nature.com/articles/s41467-022-28338-0.pdf>

Rheumatology International
<https://doi.org/10.1007/s00296-022-05103-6>

OBSERVATIONAL RESEARCH




Rheumatology
International,
luty 2022

Cytokines and chemokines multiplex analysis in patients with low disease activity rheumatoid arthritis

Maria Skrzypkowska¹ · Mariusz Stasiak² · Justyna Sakowska¹ · Joanna Chmiel² · Agata Maciejewska¹ · Adam Buciniński³ · Bartosz Słomiński¹ · Piotr Trzonkowski¹ · Piotr Łuczkiwicz²

<https://link.springer.com/content/pdf/10.1007/s00296-022-05103-6.pdf>



ORIGINAL RESEARCH
published: 17 November 2021
doi: 10.3389/fimmu.2021.742834

Frontiers in
Immunology,
listopad 2021

Immune Dysregulation in Patients With Chromosome 18q Deletions— Searching for Putative Loci for Autoimmunity and Immunodeficiency

OPEN ACCESS

Edited by:
Sneha Sawic,
University of Leeds, United Kingdom

Reviewed by:
Catharina Schuetz,
University Hospital Carl Gustav
Carus, Germany
Vita Golubovskaya,
University of Oklahoma Health

Anna Hogendorf^{1*}, *Maciej Zieliński*², *Maria Constantinou*³, *Robert Śmigiel*⁴, *Jolanta Wierzbę*⁵, *Krzyszyna Wyka*⁶, *Anna Wędrzychowicz*⁷, *Anna Jakubiuk-Tomaszuk*⁸, *Edyta Budzinska*⁹, *Małgorzata Piotrowicz*⁹, *Beata S. Lipska-Ziętkiewicz*¹⁰, *Ewa Kaczorowska*¹¹, *Agata Cieslikowska*¹², *Anna Kutkowska-Każmierczak*¹³, *Jolanta Fijał-Moskal*¹⁴, *Monika Kugaudo*¹⁵, *Małgorzata Kosińska-Urbańska*¹⁶, *Agnieszka Szadkowska*^{1*}, *Maciej Borowiec*⁹, *Maciej Niedźwiecki*¹⁷, *Piotr Trzonkowski*² and *Wojciech Młynarski*^{8*}

<https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fimmu.2021.742834/full>

Hindawi
Journal of Immunology Research
Volume 2021, Article ID 5372090, 11 pages
<https://doi.org/10.1155/2021/5372090>



Journal of Immunology
Research,
październik 2021

Review Article
Corneal Allografts: Factors for and against Acceptance

Justyna Sakowska¹, Paulina Glasner^{2,3}, Maciej Zieliński¹, Piotr Trzonkowski¹, and Leopold Glasner³

¹Department of Medical Immunology, Medical University of Gdańsk, Dębinki 7 Street, Building 27, 80-211 Gdańsk, Poland
²Department of Anaesthesiology and Intensive Care, Medical University of Gdańsk, Mariana Smoluchowskiego 17 Street, 80-214 Gdańsk, Poland
³Department of Ophthalmology, Medical University of Gdańsk, Mariana Smoluchowskiego 17 Street, 80-214 Gdańsk, Poland

<https://downloads.hindawi.com/journals/jir/2021/5372090.pdf>



NAJNOWSZA RECENZOWANA PUBLIKACJA ZESPOŁU POLTREG W RENOMOWANYM CZASOPIŚMIE – KWIECIEŃ 2022

DIABETES, OBESITY AND METABOLISM
A JOURNAL OF PHARMACOLOGY AND THERAPEUTICS

ORIGINAL ARTICLE

Combined therapy with CD4 + CD25^{high}CD127⁻ T regulatory cells and anti-CD20 antibody in recent-onset type 1 diabetes is superior to monotherapy – randomized phase I/II trial

Maciej Zieliński PhD, Magdalena Żalińska MD, Dorota Iwaszkiewicz-Grześ PhD, Mateusz Gliwiński MSc, Matylda Hennig MD PhD, Anna Jaźwińska-Curyłło MD, Halla Kamińska MD PhD, Justyna Sakowska MSc, Anna Wołoszyn-Durkiewicz MD, Radosław Owczuk, Wojciech Młynarski, Przemysław Jarosz-Chobot, Artur Bossowski, Agnieszka Szadkowska, Janusz Siebert, Małgorzata Myśliwiec, Natalia Marek-Trzonkowska, Piotr Trzonkowski ✉ ... See fewer authors ^

First published: 19 April 2022 | <https://doi.org/10.1111/dom.14723>



PRZEŁOMOWA PUBLIKACJA ZESPOŁU POLTREG DOCENIONA W ŚWIECIE NAUKI



publikacja zespołu PolTREG uznana przez Fundację na rzecz Nauki Polskiej za jedno z **30 najważniejszych osiągnięć badawczych polskich naukowców w światowej nauce w ostatnich 30 latach**



Publikacja książkowa w PDF na temat osiągnięć naukowych wspieranych przez FNP dostępna pod linkiem:
https://www.fnp.org.pl/assets/Siegajac_srodek.pdf



ELSEVIER

Clinical Immunology

Volume 133, Issue 1, October 2009, Pages 22-26



Rapid Communication

First-in-man clinical results of the treatment of patients with graft versus host disease with human ex vivo expanded CD4+CD25+CD127- T regulatory cells

Piotr Trzonkowski ^a ¹ , Maria Bieniaszewska ^{b, 1}, Jolanta Juścińska ^c, Anita Dobyszuk ^a, Adam Krzystyniak ^a, Natalia Marek ^a, Jolanta Myśliwska ^d, Andrzej Hellmann ^b

Show more

+ Add to Mendeley Share Cite

<https://doi.org/10.1016/j.clim.2009.06.001>

[Get rights and content](#)



DALSZA BUDOWA ROZPOZNAWALNOŚCI MIĘDZYNARODOWEJ – BUSINESS DEVELOPMENT



nawiązywanie relacji
z ośrodkami naukowymi
i zaangażowanie
w inicjatywy
biznesowo-akademickie

- wzrost rozpoznawalności w biznesie – otwarcie drzwi do big pharma i widoczność na kluczowych rynkach
- wymiana doświadczeń i wiedzy w sferze naukowej
- potencjalne finansowanie (m.in. granty)
- wsparcie merytoryczne w badaniach klinicznych
- doradztwo regulacyjne
- employer branding

PolTREG na konferencjach naukowych w 1H 2022

- Therapeutic Tolerance: Lessons Learned, Newcastle University 28.06-01.07 2022
- 8th EUROBIOTECH Congress, Kraków, 20-22.06.2022



PLAN PRZYSPIESZENIA DZIAŁAŃ W OBSZARZE KOMERCJALIZACJI



cel
strategiczny

zawarcie umowy partneringowej do końca 2024 w przynajmniej 1 wskazaniu
(dzięki zgromadzeniu optymalnego na dany moment zestawu danych
umożliwiających uzyskanie jak najlepszych warunków)

scenariusz bazowy:

- rozpoczęcie rozmów i negocjacji z potencjalnymi partnerami planowane na 2H 2023
- finalizacja negocjacji w 2024 na bazie dodatkowego zestawu danych z badań klinicznych (mocny proof of concept)

UPSIDE!

scenariusze uzupełniające lub alternatywne:

- możliwość wcześniejszego otwarcia okna transakcyjnego (w 2023) i zawarcia umowy partneringowej o innej konstrukcji upfront i milestones
- zaangażowanie renomowanego funduszu zagranicznego (pożądany z USA), który m.in. wzmocni Spółkę finansowo i relacyjnie oraz wesprze w zawarciu umowy partneringowej np. w modelu JV (spółka córka SPV) w USA

rozpoczęte i planowane działania (od 2022):

- uzupełnienie zespołu o specjalistę z obszaru komercjalizacji
- zbudowanie Advisory Board – uzupełnienie o doradców i key opinion leaders z obszaru chorób neurologicznych (MS i ALS)
- pozyskanie doradcy w zakresie M&A
- identyfikacja i mapowanie potencjalnych partnerów do komercjalizacji



WYBRANE DANE FINANSOWE

P&L (mln zł)	2020	2021
przychody ze sprzedaży	0,7	1,1
koszt własny	-3,9	-7,4
pozostałe przychody operacyjne	2,2	2,9
wynik na działalności operacyjnej	-1,0	-3,5
wynik netto	-0,9	-3,7

- przychody z tytułu podania pacjentom preparatów w ramach wyjątku szpitalnego (udzielona sublicencja do UCK)

- koszty operacyjne obejmują głównie świadczenia pracownicze (wynagrodzenie kadry naukowej i administracji) i usługi obce, w tym koszty specjalistycznych usług doradczych i prawnych związanych z rozwojem terapii; w 2021 usługi doradcze uwzględniają również koszty zw. z IPO

- pozostałe przychody operacyjne obejmują głównie przychody z tytułu dotacji

bilans (mln zł)	2020	2021
aktywa trwałe	0,7	3,2
aktywa obrotowe	15,6	106,0
- środki pieniężne	15,1	103,9
kapitał własny	12,8	103,0
zobowiązania ogółem	3,4	6,1
- przychody przyszłych okresów	2,3	3,0
- dług finansowy	0,8	0,2

bardzo komfortowa sytuacja gotówkowa i zabezpieczone finansowanie planów rozwojowych:

- **103,9 mln zł gotówki na bilansie**

- + **około 30 mln zł** z tytułu przyznanych i jeszcze niewykorzystanych grantów (wg stanu na koniec grudnia 2021)

przepływy pieniężne	2020	2021
z działalności operacyjnej	-2,8	-3,8
z działalności inwestycyjnej	0,4	-0,5
z działalności finansowej	12,3	93,2



PLANOWANE WYDATKI – PRZYSPIESZENIE ROZWOJU I REALIZACJA PIWOTALOWYCH BADAŃ, KLUCZOWYCH DLA PARTNERINGU

W latach 2022-2025 PolTREG planuje łączne nakłady około 170 mln zł z przeznaczeniem na:

- badanie kliniczne CT1 objawowa
- badanie kliniczne CT1 przedobjawowa
- badanie kliniczne RRMS
- badanie kliniczne PPMS
- rozwój technologii TREG 2.0
- laboratorium – budowa i wyposażenie
- kapitał obrotowy

źródła finansowania nakładów w tym okresie:

- środki własne z emisji akcji
- dotacje i granty publiczne (krajowe i zagraniczne)
- inne wpływy (m.in. przychody z wyjątku szpitalnego oraz środki z uczelni)

na koniec 2021 Spółka posiadała

ponad **100** mln zł

środków pieniężnych

dodatkowo Spółce przyznano dotacje w łącznej kwocie

ponad **37** mln zł (**9,3** mln zł po IPO), z czego do końca

grudnia 2021 wykorzystane około 7 mln zł

w 4Q'21 Spółka zrealizowała zakup 1 z 2 planowanych sorterów komórek (kluczowe wyposażenie laboratorium) za kwotę 1,7 mln zł; trwa przetarg na drugie urządzenie

zapewnienie ciągłości finansowej w dalszej perspektywie dzięki planom zawarcia umów partneringowych
- celem jest zawarcie umów do końca 2024



ISTOTNE KAMIEienie MIŁOWE W KOLEJNYCH LATACH

2022	2023	2024-2025
<ul style="list-style-type: none">• uzyskanie zgód na badanie kliniczne w CT1 i MS• podanie pierwszej terapii w ramach badań klinicznych w CT1 przedobjawowej Ph I/II• podanie pierwszej terapii w ramach badań klinicznych w PPMS i RRMS (Ph I/IIa)• rozpoczęcie dialogu z FDA dot. CT1	<ul style="list-style-type: none">• podanie pierwszej terapii w ramach badań klinicznych w CT1 (objawowej Ph II/III)• ukończenie i uruchomienie własnego centrum R&D i laboratorium• opracowanie TREGs modyfikowanych (TREG 2.0), potwierdzenie ich bezpieczeństwa• ukończenie długookresowej analizy bezpieczeństwa terapii TREGs dla pacjentów leczonych w poprzednich badaniach klinicznych	<ul style="list-style-type: none">• ukończenie pierwszej części badań klinicznych w CT1 (objawowej i przedobjawowej) i wyniki „interim”• ukończenie badań klinicznych w PPMS i RRMS• pozyskanie partnera i umowa partneringowa dla CT1• pozyskanie partnera i umowa partneringowa dla MS• rozpoczęcie badań klinicznych dla TREGs 2.0 (2024-2025)
<p>INTENSYWNE PRZYGOTOWANIE I ROZPOCZĘCIE PIWOTALOWYCH BADAŃ KLINICZNYCH</p>	<p>KOLEJNY PROGRAM W BADANIACH KLINICZNYCH</p>	<p>PRZEŁOMOWY ROK DLA ROZWOJU</p>

• kontynuacja leczenia w ramach wyjątku szpitalnego

DZIĘKUJEMY ZA UWAGĘ





ISTOTNY POTENCJAŁ WARTOŚCI



CEL

Rozwój i komercjalizacja objętej patentami metody TREG
Osiągnięcie pozycji lidera w terapiach TREG i terapiach skojarzonych z wykorzystaniem TREGs przy udziale partnera lub partnerów strategicznych



MISJA

Opracowanie skutecznych, opartych na komórkach T-regulatorowych terapii leczenia chorób autoimmunologicznych, które staną się leczeniem pierwszego wyboru w skali świata oraz poprawią życie pacjentów i ich rodzin

Najbardziej zaawansowana spółka w pracach nad terapiami komórkowymi TREGs na świecie

Szansa na terapię *first-in-class* w cukrzycy typu 1 i na przełomowe terapie w stwardnieniu rozsianym

Bardzo obiecujące wyniki dot. bezpieczeństwa i skuteczności terapii TREGs (ukończone badania kliniczne fazy I/II w CT1 oraz fazy I w RRMS)

Zaawansowane przygotowanie fazy II/III dla CT1 po scientific advice, wyniki interim w 2024 bazą do partneringu lub wręcz warunkowej rejestracji

Ogromny potencjał rynku dla partneringu: na CT1 (objawowa i przedobjawowa) łącznie blisko 14 mld USD, dla MS 28 mld USD

Wyniki rozpoczynającej się w 2022 fazy I/II dla terapii na MS (planowane ukończenie w 2024) podstawą do partneringu

Bardzo perspektywiczna współpraca z AZTherapies w obszarze rozwoju przełomowej technologii CAR-TREGs w chorobach autoimmunologicznych o podłożu neurologicznym

Dalszy potencjał wzrostu: nowe generacje TREGs (TREG 2.0 – antygenowo specyficzne TREGs, CAR-TREGs) i nowe obszary terapeutyczne (IBD, RZS, inne)



ZESPÓŁ UZNANYCH SPECJALISTÓW W OBSZARZE TREGS I AUTOIMMUNOLOGII

TWÓRCY METODY TREG



PROF. PIOTR TRZONKOWSKI
ZAŁOŻYCIEL, PREZES ZARZĄDU

INDEKS H: 30
LICZBA CYTOWAŃ: 3500



PROF. NATALIA MAREK-TRZONKOWSKA
CZŁONEK ZESPOŁU B+R

INDEKS H: 19
LICZBA CYTOWAŃ: 1650



PROF. MAŁGORZATA MYŚLIWIEC
CZŁONEK ZESPOŁU W ZAKRESIE BADAŃ KLINICZNYCH NAD CUKRZYCĄ TYPU 1

INDEKS H: 20
LICZBA CYTOWAŃ: 1600



DR HAB. KAMIL CHWOJNICKI
CZŁONEK ZESPOŁU W ZAKRESIE BADAŃ KLINICZNYCH NAD MS

INDEKS H: 8
LICZBA CYTOWAŃ: 250

77 ŁĄCZNY INDEKS HIRSCHA

7.000 ŁĄCZNA LICZBA CYTOWAŃ

ZESPÓŁ NAUKOWY

16 LICZBA CZŁONKÓW

2 Z NICH TO WSPÓŁTWÓRCY PATENTÓW W OBSZARZE TREG 2.0

- Dr Dorota Iwaszkiewicz-Grześ
Lider ds. Badań i Rozwoju
- Dr Mateusz Gliwiński
Biotechnolog

8 Z NICH JEST WYSPECJALIZOWANYCH W NAMNAŻANIU TREGs

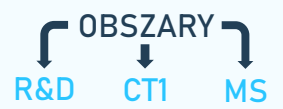
- Dr Dorota Iwaszkiewicz-Grześ
- Dr Mateusz Gliwiński
- Dr Maciej Zieliński
- Dr Ewa Szmit-Kosińska
- Mgr Justyna Sakowska
- Mgr Magdalena Piotrowska
- Mgr Agata Maciejewska
- Mgr Adam Szpała

Kierownik Zespołu ds. Badań Klinicznych TREGs
Mgr Marta Druch

RADA NAUKOWA

11 LICZBA CZŁONKÓW

ŚWIATOWEJ SŁAWY SPECJALIŚCI, W TYM CAMILLO RICORDI, M.D.



TRWA REKRUTACJA KOLEJNYCH CZŁONKÓW

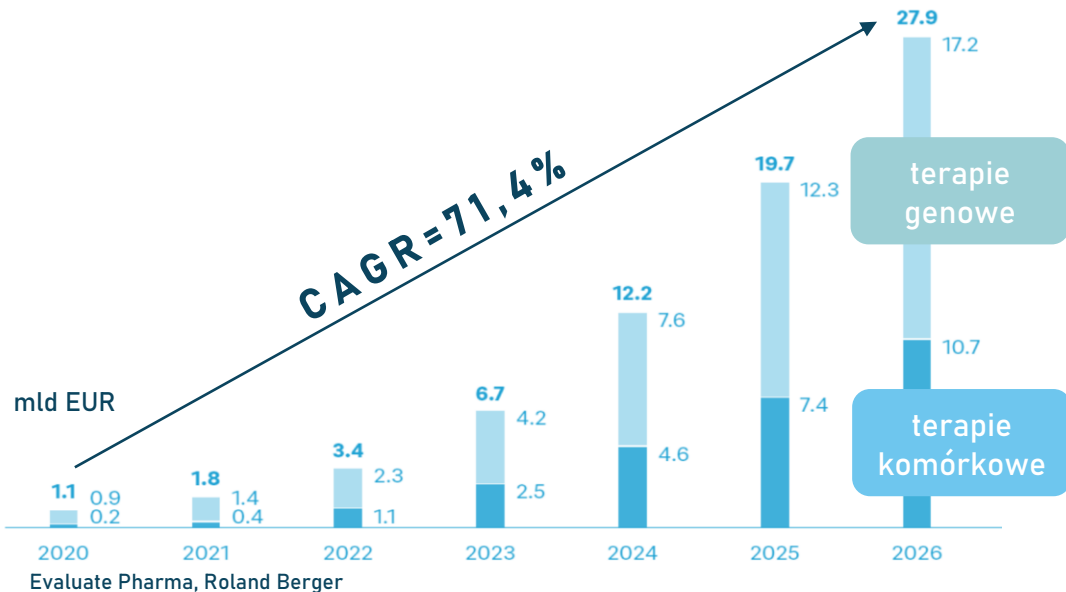


GWAŁTOWNY WZROST RYNKU TERAPII KOMÓRKOWYCH I WZMOŻONE ZAINTERESOWANIE ZE STRONY INWESTORÓW

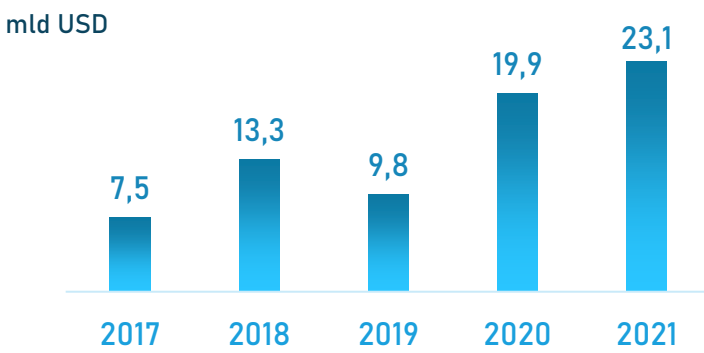
Terapie CGT stanowią ok. 1% dopuszczonych na głównych rynkach, ale aż 12% pipeline badań klinicznych i 16% badań przedklinicznych (estymacja, niedoszacowana)

Obecnie na świecie prowadzonych jest ok. 2,3 tys. badań klinicznych z zakresu medycyny regeneracyjnej, z czego łącznie 15% w neurologii i leczeniu cukrzycy (odpowiednio 2. i 3. najpopularniejszy obszar terapeutyczny)

Szacuje się, że sprzedaż terapii CGT osiągnie 1,8 mld EUR w 2021 r. i 27,9 mld EUR w roku 2026. FDA spodziewa się rejestrować 20-25 produktów CGT rocznie od 2025. Oczekuje się także, że 5 obecnych terapii osiągnie roczną sprzedaż przekraczającą 1 miliard USD



INWESTORZY CORAZ CHĘTNIEJ WSPIERAJĄ ROZWÓJ CGT



w 2021 spółki rozwijające terapie komórkowe i genowe pozyskały 23,1 mld USD (+16% r/r)

Cell&Gene State of the Industry Briefing, Alliance for Regenerative Medicine, 2022

DUŻY KAPITAŁ NA ROZWÓJ TERAPII TREG



265 mln USD w ramach rundy B w sierpniu 2021 r.

- Całość finansowania od początku istnienia spółki: 335 mln USD
- Praca nad 3 terapiami CAR-TREG: CT1, RZS (aktualnie IND-enabling), IBD - na etapie wczesnego rozwoju lub etapie przedklinicznym
- Zamierza rozpocząć fazę I/II dla CT1 w najbliższym czasie



157 mln USD w ramach rundy A w sierpniu 2021 r.

- Całość finansowania od początku istnienia spółki: 177 mln USD
- 3 projekty modyfikowanych TREGs na etapie wczesnego rozwoju przedklinicznego w CT1, PBC i V-ARDS
- współpraca z CDMO Forge Biologics w obszarze produkcji GMP i rozwoju procesu umieszczania wektora wirusa w TREG



156 mln USD w ramach rundy B w listopadzie 2021 r.

- Całość finansowania od początku istnienia spółki: 240 mln USD
- badania nad modyfikowanymi TREGs (3 programy)
- Uzyskana zgoda od MHRA (UK) na rozpoczęcie badania klinicznego z wykorzystaniem CAR-TREG w przeszczepach wątroby; Podanie terapii pierwszemu pacjentowi zaplanowane na 1H 2022



CUKRZYCA TYPU 1: CO WARTO WIEDZIEĆ?

BRAK TERAPII LECZĄCEJ/ZMIENIAJĄCEJ CHOROBE

Cukrzyca typu 1 (CT1) to poważny problem medyczny, na który nie ma dostępnego leczenia przyczynowego (leczenie objawów CT1 polega głównie na podawaniu egzogennej insuliny) ani skutecznego sposobu na zatrzymanie postępu choroby we wczesnym stadium.



WCZESNE POCZĄTKI CHOROBY

CT1 często rozwija się w dzieciństwie, a początkowe objawy mogą być ciężkie, w tym cukrzycowa kwasica ketonowa lub śpiączka.



WYNISZCZAJĄCA CHOROBA

Jedna z najbardziej wyniszczających chorób wieku dziecięcego - główna przyczyna ślepoty, schyłkowej niewydolności nerek, amputacji i przedwczesnej śmierci.



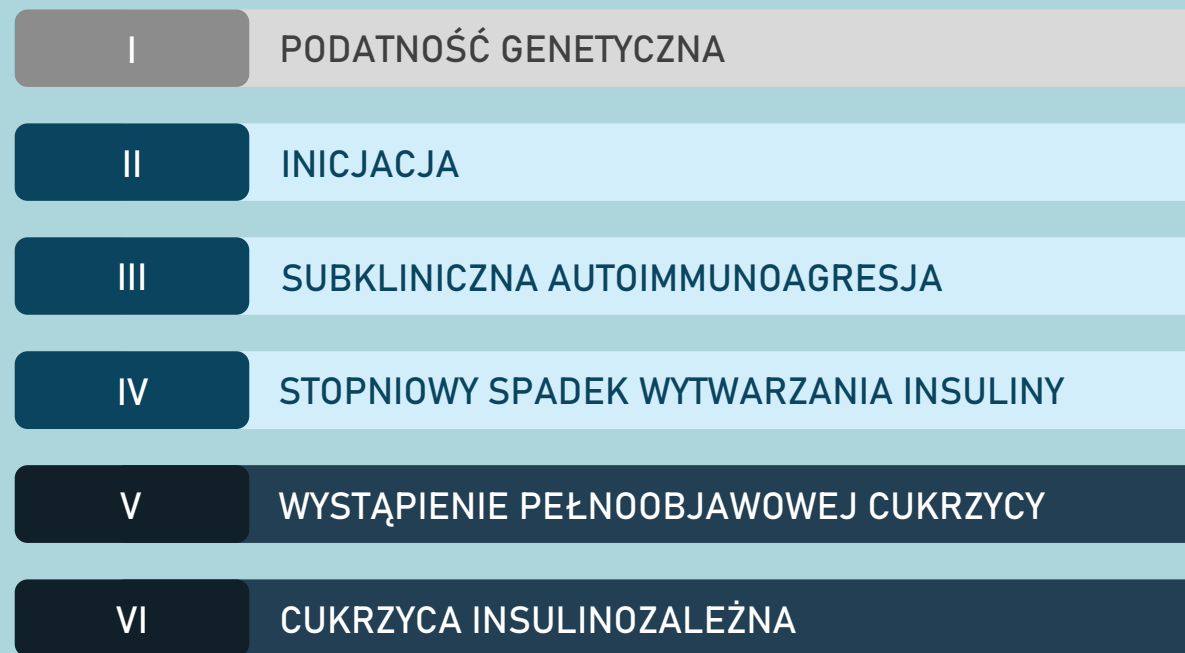
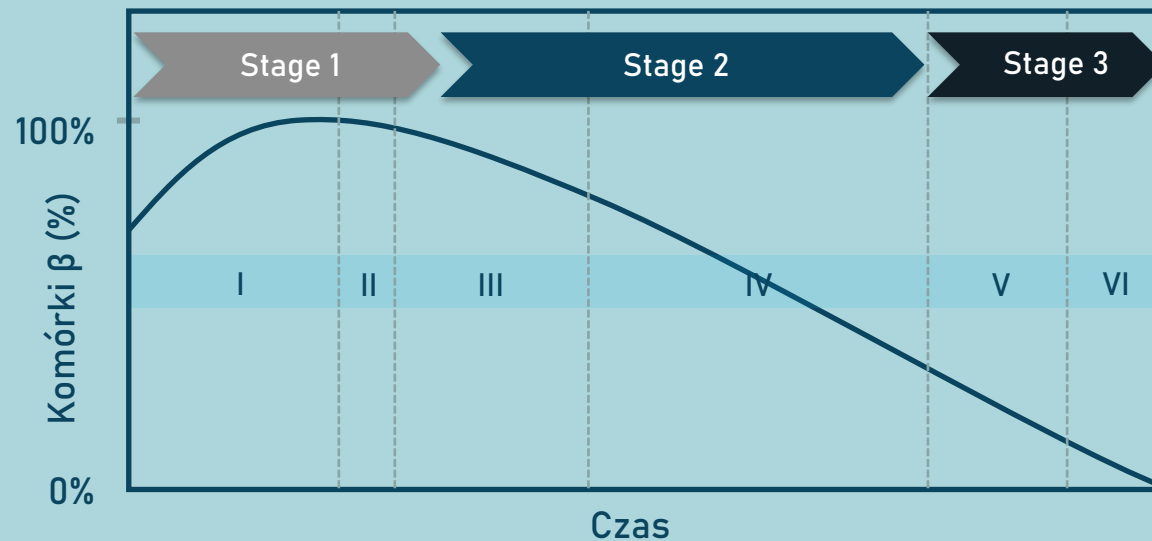
TERAPIE

Przeszczep trzustki lub wysp trzustkowych

Terapie insulinowe

Terapie komórkowe

STADIA ROZWOJU CUKRZYCY TYPU 1





CT1: OGROMNY NIEZASPOKOJONY RYNEK

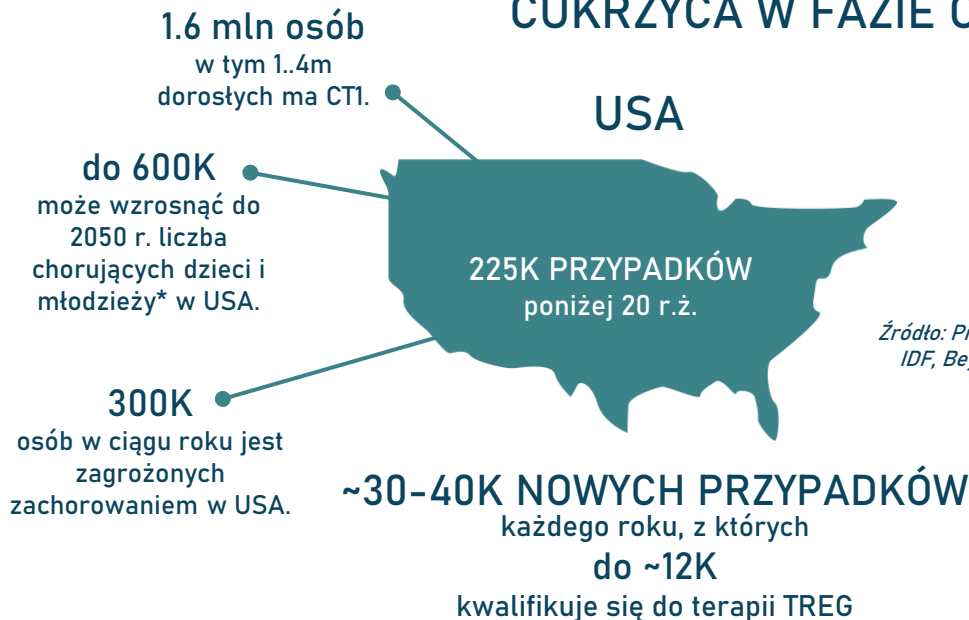
CT1 NA ŚWIECIE

1,1 mln
dzieci i młodzieży* ze
zdiagnozowaną CT1 na całym
świecie.

130K
nowo zdiagnozowanych
pacjentów z CT1 wśród dzieci i
młodzieży*

* osoby poniżej 20 roku życia
Źródło: Provention Bio, Center for Disease
Control and Prevention, Beyond Type 1, IDF

CUKRZYCA W FAZIE OBJAWOWEJ



Źródło: Provention Bio,
IDF, Beyond Type 1

dostępne dane ~20k przypadków w roku 2009-10, szacunki Emitenta na stan
obecny ok. 40k nowych przypadków
Źródło: IDF, Diabetes Research Institute, Beyond Type 1, prace naukowe



region Europy wg International Diabetes Federation
Źródło: IDF, DiabetesUK, Beyond Type 1

ZACHOROWALNOŚĆ NA
CT1 W WYBRANYCH
KRAJACH EUROPEJSKICH
(na 100k mieszkańców)



CUKRZYCA W FAZIE PRZEDOBJAWOWEJ

DOSTĘPNOŚĆ TERAPII = WCZEŚNIEJSZE LECZENIE

Obecnie brak badań przesiewowych w celu wczesnego wykrycia CT1, mimo iż jest to proste i tanie – z uwagi na brak możliwości pomocy osobom ze zdiagnozowaną chorobą.

4x POSZERZENIE RYNKU DZIĘKI BADANIOM PRZESIEWOWYM

Rutynowa diagnostyka CT1 zwiększyłaby rynek dla dostępnej terapii czterokrotnie w stosunku do rynku samych chorych objawowych.

~200-600k
potencjalnych
pacjentów

Każdy spośród ponad ok. 4m (1.6m USA i ponad 2.5m Europa) obecnie chorych i 60-70k nowych chorych co roku w USA i Europie ma krewnych (powyżej 1), spośród których statystyczne ryzyko zachorowania na CT1 wynosi ok. 5-15%

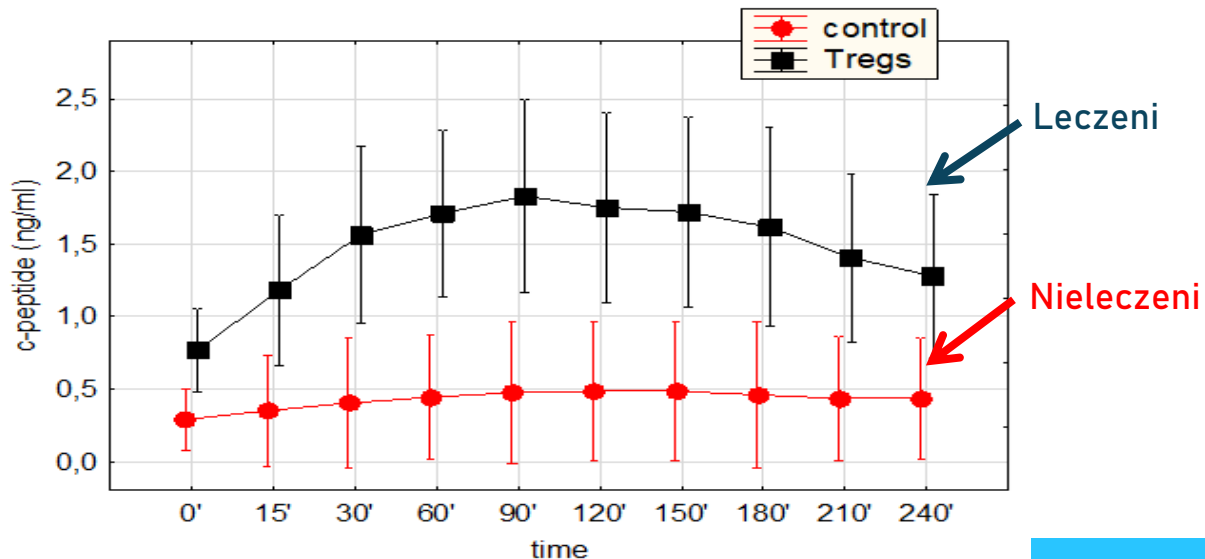


CT1: WYNIKI I FAZY BADAŃ KLINICZNYCH - SKUTECZNOŚĆ

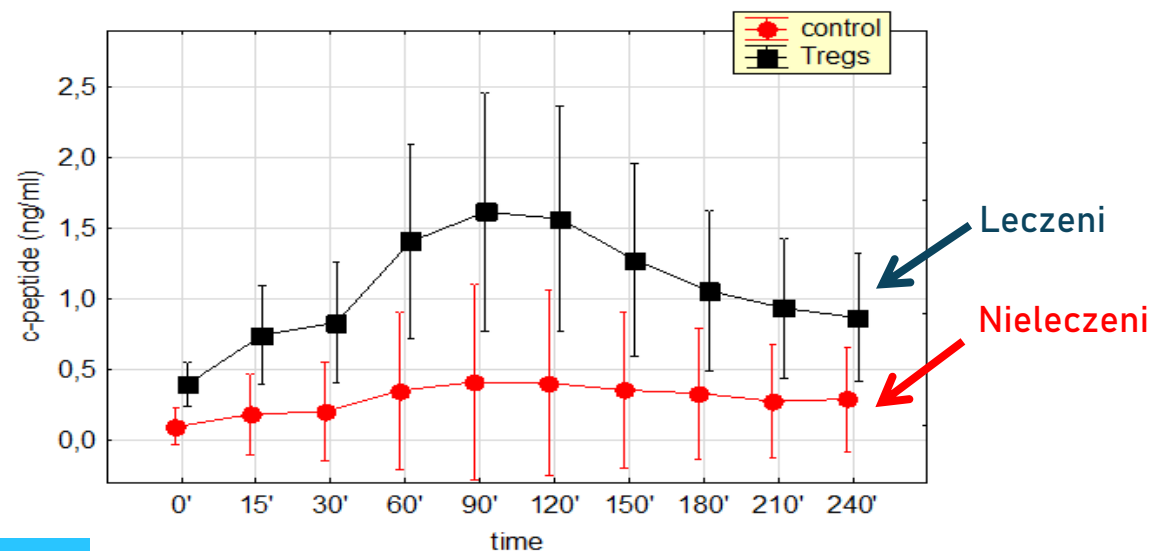
Test funkcjonalny oceniający pozostałą produkcję insuliny, tzw. MMTT (*Mixed Meal Tolerance Test*), wykazał po dwóch latach od podania TREGs, że pacjenci leczeni (n = 12) nadal wydzielają insulinę, podczas gdy nieleczeni kontrolni (n = 10) już nie.

Test funkcjonalny MMTT został powtórzony pięć lat po podaniu TREGs i potwierdził, że pacjenci leczeni (n=8) nadal wydzielają insulinę, podczas gdy nieleczeni kontrolni (n=8) już nie.

MMTT 2 LATA PO PODANIU TREGS



MMTT 5 LAT PO PODANIU TREGS



WNIOSKI



Pacjenci leczeni TREGs wymagają **mniejszych dawek insuliny**, a część z nich pozostaje **insulinoniezależna** przez kilkanaście miesięcy.

12 PACJENTÓW było poddanych leczeniu.

10 PACJENTÓW liczyła grupa kontrolna.

WYNIKI 12-MIESIĘCZNEJ OBSERWACJI:



2 PACJENTÓW całkowicie niezależnych od insuliny.

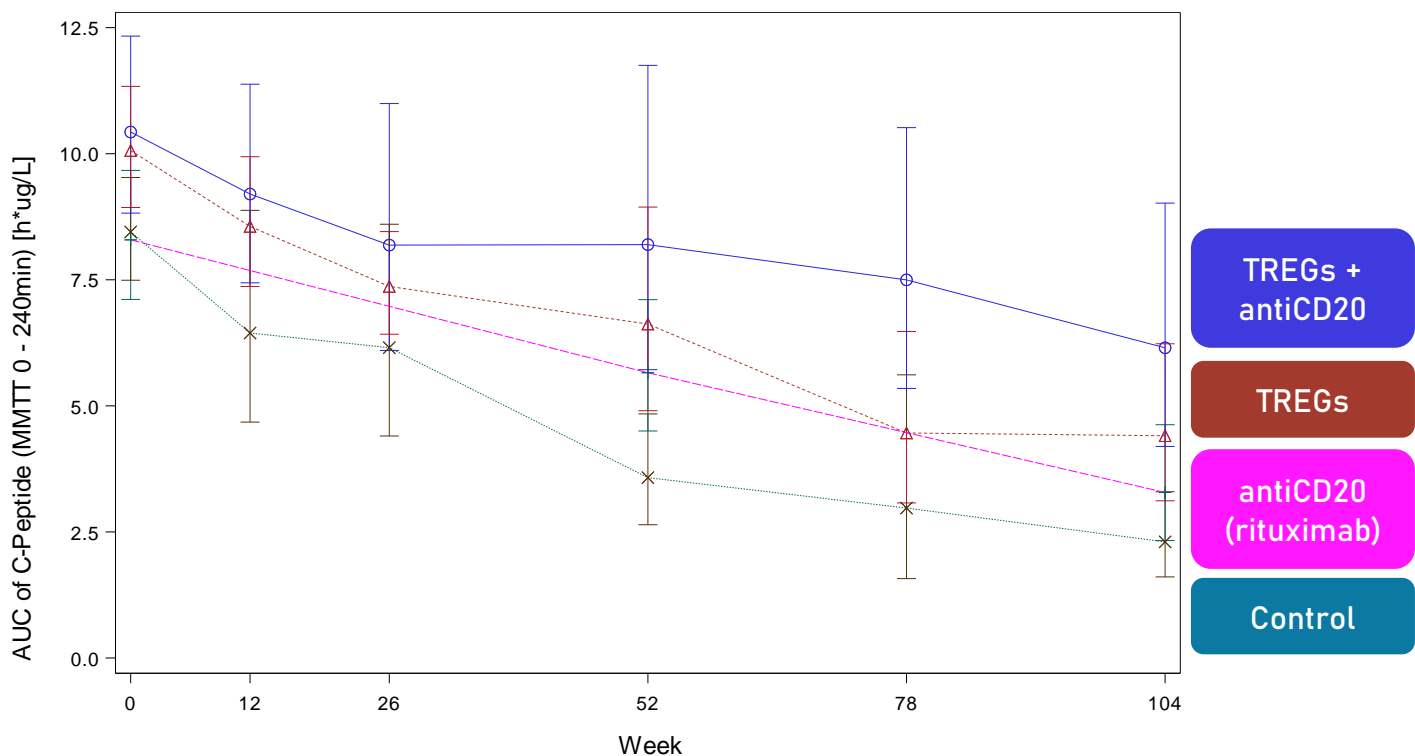


WSZYSCY PACJENCI wykazywali oznaki poprawy.



CT1: WYNIKI II FAZY BADAŃ - MMTT

Wyniki fazy II pokazują, że **terapia kombinowana (antyCD20 + TREGs)** pozwala na utrzymanie wysokiego i trwałego **poziomu** wydzielanej insuliny, istotnie wyższego niż w **grupie kontrolnej** i wyższego niż w przypadku **samych TREGs**.



Zieliński M et al. In press

PACJENCI:

22

PACJENTÓW

było poddanych leczeniu.

11

PACJENTÓW

liczyła grupa kontrolna.



MODYFIKACJA PRZEBIEGU CHOROBY

Terapia oferowana przez PoITREG działa przyczynowo, czyli modyfikuje przebieg choroby – zatrzymuje proces niszczenia komórek produkujących insulinę.

W zależności od stopnia zaawansowania cukrzycy pacjent może:

- uniezależnić się od insuliny przez okres kilkunastu miesięcy, lub
- być w stanie przyjmować niższą dawkę insuliny, zachowując częściowe wydzielanie własnej insuliny w wyniku terapii TREG.

Nawet w tym drugim przypadku rokowanie i jakość życia pacjentów będą znacznie lepsze niż w przypadku pacjentów całkowicie uzależnionych od egzogennej insuliny.



STWARDNIENIE ROZSIANE: INFORMACJE W PIGUŁCE

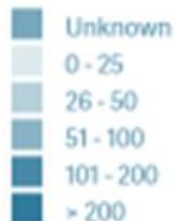
CZYM JEST STWARDNIENIE ROZSIANE?

Stwardnienie rozsiane (MS) jest przewlekłą i postępującą chorobą demielinizacyjną ośrodkowego układu nerwowego.

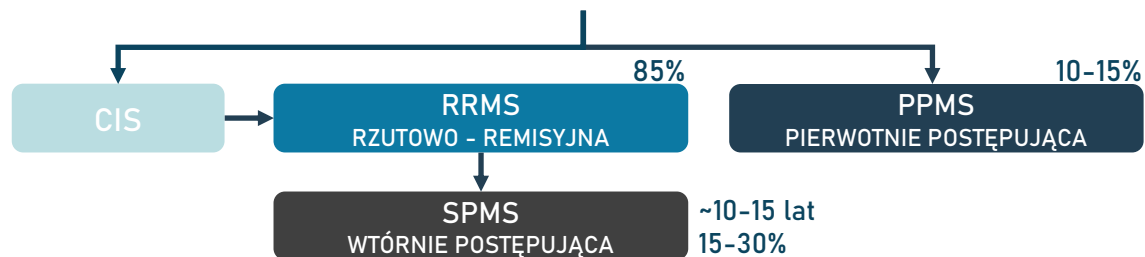
Istotą choroby jest wieloogniskowe (rozsiane) uszkodzenie mózgu i rdzenia kręgowego polegające na zaniku osłonek mielinowych włókien nerwowych (demyelinizacja), które powoduje występowanie zróżnicowanych objawów neurologicznych w postaci rzutów i/lub stałego postępu choroby.

WYSTĘPOWANIE MS

Number of people with MS.
Prevalence per 100,000 people



POSTACIE MS



CO MOŻE POMÓC W WALCE ZE STWARDNIENIEM ROZSIANYM?

W ostatnich latach za niezwykle prawdopodobne uznaje się, że za ograniczanie zapalenia i okresy remisji odpowiadają TREGS, które migrują do ognisk zapalnych i hamują aktywność limfocytów uczulonych na własne tkanki. Jest to hipoteza potwierdzona w zwierzęcym modelu MS.

2,8 MILIONA LUDZI CHORYCH NA MS NA ŚWIECIE



BRAK TERAPII MS

zatwierdzone leki mają na celu zmniejszenie ryzyka nawrotów i progresji niepełnosprawności.



WZROST RYNKU

Allied Market Research prognozuje, że światowy rynek terapii stwardnienia rozsianego osiągnie poziom 28 mld USD w 2026.



ZAINTERESOWANIE DUŻYCH GRACZY

W umowy partneringowe w MS zaangażowały się już takie firmy, jak Bayer, Biogen, Novartis czy Sanofi.

UWARUNKOWANIA GEOGRAFICZNE



Kraje Europy oraz Ameryki Północnej charakteryzują się wysoką częstotliwością występowania MS i dostępem do terapii DMT.



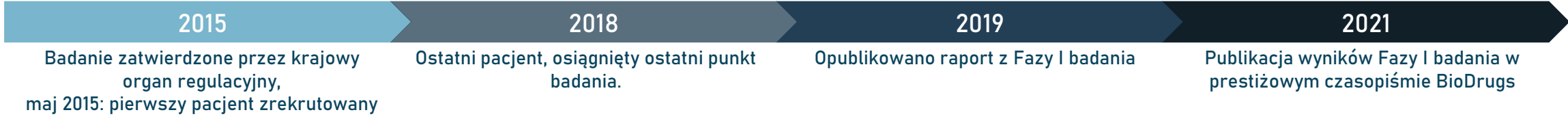
Możliwe do uzyskania ceny różnią się w zależności od kraju, jednak ta sama logika, która odnosi się do CT1, rządzi ustalaniem cen i kolejności wprowadzania na rynek terapii MS.



Kraje z największą liczbą przypadków MS to USA, Niemcy, kraje skandynawskie i Włochy.



STWARDNIENIE ROZSIANE: FAZA I BADAŃ



STUDY DESIGN

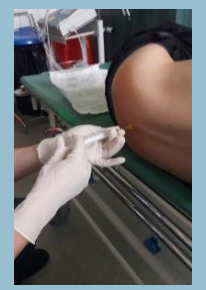
TREGS PODAWANE DOŻYLNIE

12 PACJENTÓW



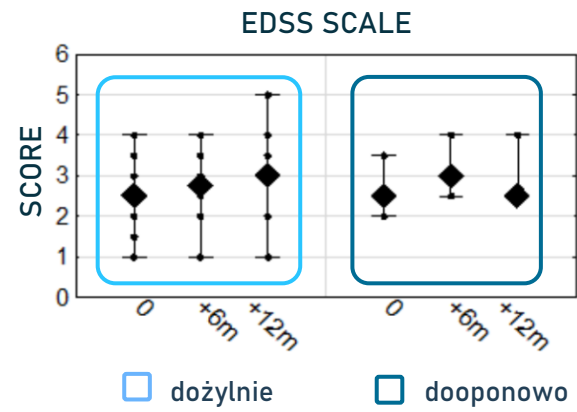
TREGS PODAWANE DOOPONOWO

3 PACJENTÓW

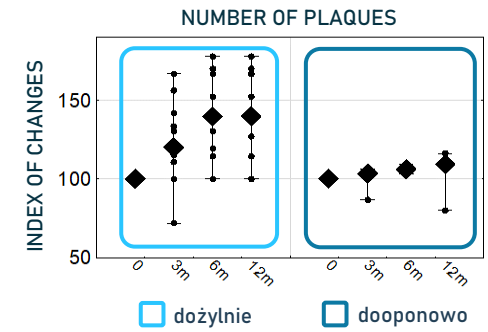
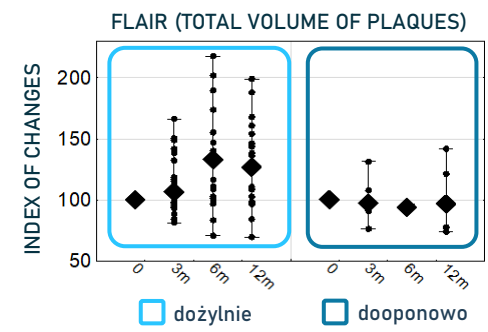


RRMS

SKUTECZNOŚĆ



Kliniczna progresja choroby określona skalą EDSS nie została zaobserwowana u pacjentów leczonych dooponowo.



Badanie MRI potwierdziło zatrzymanie progresji u pacjentów leczonych dooponowo.

Dooponowe podanie preparatu pozwala ominąć barierę krew-mózg blokującą przepływ TREGs znajdujących się we krwi pacjenta do ognisk zapalnych w obrębie układu nerwowego.

BEZPIECZEŃSTWO

5 PACJENTÓW leczonych dożylnie doświadczyło rzutów MS.

0 ŻADEN PACJENT leczony dooponowo nie zgłosił żadnych zdarzeń niepożądanych.



TREG 2.0 – NOWA GENERACJA LEKÓW – MEDYCYNA PRZYSZŁOŚCI

CZYM JEST TREG 2.0?

Jest to nowatorska terapia oparta na podawaniu pacjentowi antygenowo specyficznych limfocytów T-regulatorowych, otrzymywanych dzięki:

- izolowaniu i namnażaniu antygenowo specyficznych (wyspecjalizowanych) TREGs obecnych we krwi pacjenta,
- genetycznej modyfikacji komórek (CAR-TREGs, TCR-TREGs).

DZIĘKI TREG 2.0 MOŻLIWE BĘDZIE:

- Dostosowanie terapii do indywidualnych potrzeb pacjenta
- Znaczące zwiększenie skuteczności preparatu przeciw konkretnej chorobie
- Uniknięcie skutków ubocznych występujących w obecnie stosowanych preparatach

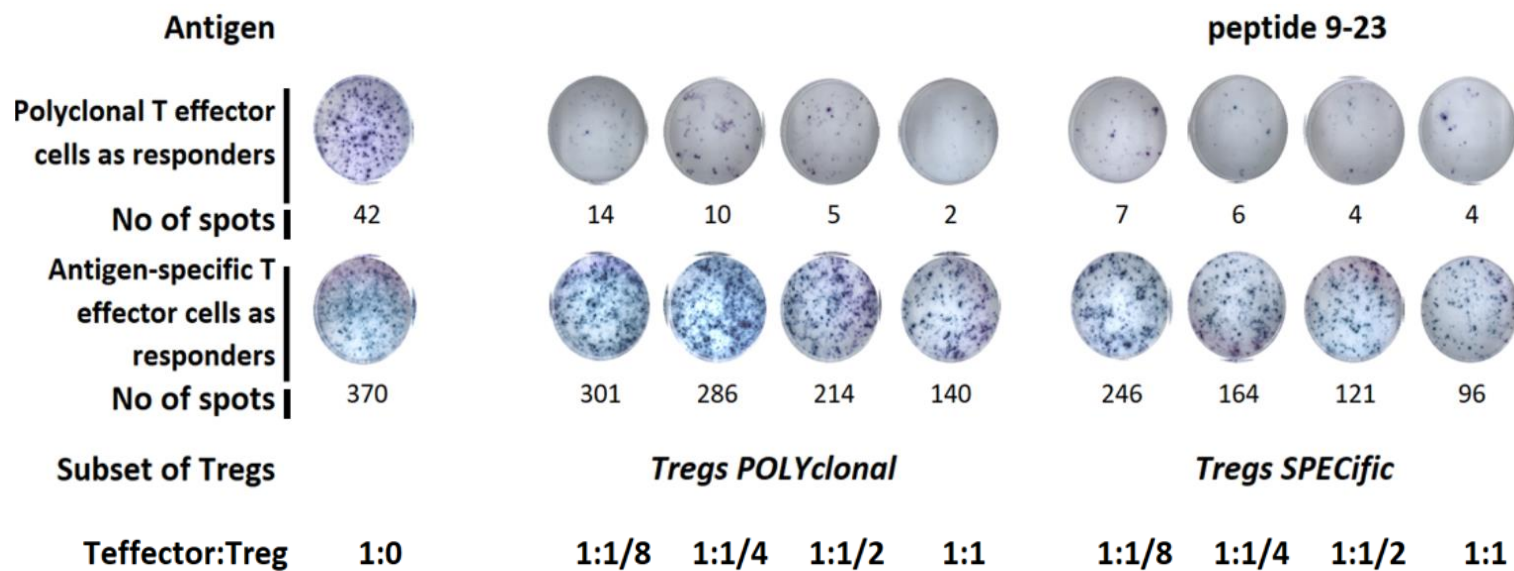
PLANY POLTREG WOBEC TREG 2.0

do końca 2023 R.

Potwierdzenie bezpieczeństwa stosowania TREG 2.0

2024 R.

Przygotowanie dokumentów umożliwiających otwarcie fazy 1 badań.



Iwazkiewicz-Grześ D et al. Cytotherapy 2020



SPÓŁKI W OBSZARZE TREG I TERAPII KOMÓRKOWYCH



- Runda B 265 mln USD pozyskana w sierpniu 2021 r. (całość finansowania od początku 335 mln USD)
- Praca nad 3 terapiami: CT1, RZS, IBD na etapie przedklinicznym (zamierza rozpocząć fazę I/II dla CT1 w najbliższym czasie)



- Przedkliniczne badania na TREGs, w tym modyfikowanych TREGs
- Finansowanie 20 mln USD od OrbiMed, Novartis Venture itd., kolejna runda 157 mln USD w sierpniu 2021
- Współpraca z Seattle Children's Research Institute, Benaroya Research Institute i MIGAL Galilee Research Institute



- Badania nad modyfikowanymi TREGs na potrzeby przeszczepów organów i chorób autoimmunologicznych, 1 program rozpoczął rekrutację do badania klinicznego („Liberate”), 2 programy na etapie przedklinicznym
- Runda A w 2019 r., 84 mln USD, Runda B w 2021 r. 156 mln USD



- Badania nad terapiami genowymi oraz Zinc Finger Proteins
- Praca nad terapią CAR-TREG na MS (etap preclinic), rozpoczęte badanie kliniczne w CAR-TREG w przeszczepie nerki (1. podanie w marcu 2022)
- Spółka publiczna, mcap: 600 mln USD, liczne partneringi z big pharma m.in.: Biogen, Novartis, Sanofi, Pfizer
- TXCell przejęte za 84 mln USD



- Plan rozpoczęcia 3 badań klinicznych do 2025, w tym CT1 i zapalenie mięśni z ciałami wtrętowymi
- Runda A 95 mln USD



- Badania nad terapiami komórkowymi w zakresie immunoterapii chorób autoimmunologicznych, guzów litych, nowotworów hematologicznych, w tym badania nad MS (faza kliniczna 1b)
- Spółka publiczna, mcap 640 mln USD



- Badania nad terapiami chorób nowotworowych oraz zapalnych z zastosowaniem technologii mapowania TREGs (LeadOp); współpraca z Janssen
- Rundy A w czerwcu 2021 i marcu 2022, łącznie 85 mln USD



- Badania nad zastosowaniem TREGs w terapii chorób autoimmunologicznych
- Pandion Therapeutics przejęty przez Merck w lutym 2021 r. za 1,85 mld USD



ROSNAĄCA LICZBA TRANSAKCJI PARTNERINGOWYCH W TERAPIACH KOMÓRKOWYCH - PRZYKŁADY

obszar terapeutyczny	spółki partnerujące	rok	wartość transakcji	faza rozwoju leku w momencie dealu
współpraca w rozwoju terapii komórkowych				
onkologia (allogeniczne anti-CD19 CAR-T)	 	2018	do 3,1 mld USD (150 mln USD upfront + milestones)	przedkliniczna
onkologia (allogeniczne CAR T-cells)	 	2020	nieujawniona	przedkliniczna
onkologia (allogeniczne CAR T-cells)	 	2020	60 mln USD upfront, do 610 mln USD milestones, niskie dwucyfrowe % royalties	przedkliniczna
autoimmunologia anti-CD19 CAR-T (platforma CRISPR/Cas9)	 	2022	nieujawniona + jednocyfrowe % royalties	przedkliniczna
współpraca w rozwoju terapii TREG				
autoimmunologia	 	2017	do 775 mln USD (300 mln USD upfront + milestones)	przedkliniczna
modyfikowane genetycznie TREGs	 	2020	nieujawniona	przedkliniczna
autoimmunologia (syntetyczne TREG - platforma synReg T-cell)	 	2020	17,5 mln USD upfront, do 570 mln USD milestones	przedkliniczna
immunologia i choroby zapalne (platforma TRex Deep Biology)	 	2022	nieujawniona	przedkliniczna

ZAPRASZAMY DO KONTAKTU

PolTREG S.A.
Wały Piastowskie 1 lok. 1508
80-855 Gdańsk

inwestorzy instytucjonalni i sell-side

Katarzyna Mucha
+48 697 613 712
+48 22 440 1 440
katarzyna.mucha@ccgroup.pl

media i inwestorzy indywidualni

Michał Wierzchowski
+48 531 613 067
+48 22 440 1 440
michal.wierzchowski@ccgroup.pl



facebook.com/Poltregetech/