



علاج مرض الكبد بالحمض النووي الريبي

استعادة وظيفة الكبد. إعادة فتح خيارات العلاج.

REGEN001

صُمِّمَ REGEN001 لِيُتيحَ لكبد متضرّر أن يُصلح نفسه من جديد.



جولة تأسيسية 2026

مليار شخص، ومرض واحد

● السُّمنة

~1 مليار¹

حول العالم

● كبد دهني

~2.6 مليار²

حول العالم

● تشمّع الكبد

~112 مليون³

حول العالم

----- نقطة اللاعودة -----

● سرطان الكبد

~860 ألف⁴

حول العالم

1. منظمة الصحة العالمية، السُّمنة وزيادة الوزن، 2024.

2. Teng وآخرون، الحدوث والانتشار العالمي لـ NAFLD، 2023.

3. Luo وآخرون، العبء العالمي لتشمّع الكبد، 2025.

4. Li وآخرون، الوبائيات العالمية لسرطان الكبد 2022، 2024.

مرضى سرطان الكبد يتوقفون هنا

Child-Pugh B

الدرجة 7-9

يضيّق نطاق الأهلية للعلاج
المسار التلطيفي

Child-Pugh A

الدرجة 5-6

مؤهّل للعلاج
بقصد الشفاء

أورام دون 3 سم قابلة للاستئصال — ووظيفة الكبد تحدّد ما يمكن
عرضه من علاج

متوسّط البقاء 6-13 شهرًا

\$150k+ لكل مريض تُهدّر في دورات تلطيفية

ورم قابل للاستئصال، وكبد دون الاحتياطي الذي يتطلّب
العلاج. العائق هو الاحتياطي الكبدي — لا مرحلة الورم، ولا
التشريح.

HCC: سرطان الخلية الكبدية. وحجم هذه الفئة الفرعية غير مثبت بقاعدة الأدلة الحالية، ولا يُعرّض هنا بوصفه نسبة ثابتة من مجمل حالات HCC.

صُمِّمَ REGEN001 لاستعادة الاحتياطي الكبدي وإعادة فتح خيارات العلاج المعتمدة

بعد REGEN001

الاحتياطي
مستعاد

8-12 أسبوعًا

اليوم

احتياطي
كبدي
منخفض

يهدف REGEN001 إلى استعادة الوظيفة التي تتطلبها الجراحة، والالتهابات، والإصمام الكيميائي، والعلاج المناعي جميعًا، لتنتج تلك الخيارات من جديد.

جين واحد، مُخَفِّضُ التعبير



— REGEN001 هو **siRNA مُقْتَرِن بـGalNAc يُسَكِّت C/EBP β** وهو جين يدفع أذى السُّمِّية الدهنية في الكبد. ويحمّله GalNAc إلى خلايا الكبد تحديداً، فيعمل الدواء في موضع المرض وحده.

الإيصال

1

مُقْتَرِن GalNAc يستهدف الخلايا الكبدية

الإسكات

2

يُخَفِّضُ تعبير C/EBP β

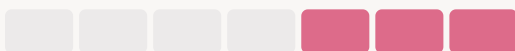
الاستعادة

3

يعيد الكبد بناء احتياطيّه الوظيفي الخاص

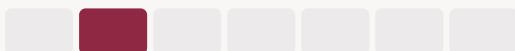
مُصمَّم ليؤثّر في كل مرحلة

HCC متقدّم HCC مبكّر مرض متقدّم (Child-) (F4) (Pugh فئة B) تشمّع كبدي (F4) MASH متقدّم MASH MASLD مبكّر



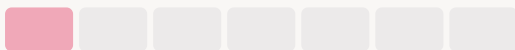
أهداف أيضاً

ناهضات / GLP-1
resmetirom



معيّار الرعاية

الاستئصال / الاجتثاث



العلاج المناعي الجهازي

ICI



REGEN001

دواء Aterna الرائد

هدف واحد يُحتمل أن يؤثّر في كل مرحلة: الغاية منه تخفيف الالتهاب، وحفظ وظيفة الكبد، ودعم قدرة الكبد الذاتية على إصلاح نفسه.

سوق كبيرة محتملة في مرض الكبد

1 توسيع نطاق الأهلية للعلاج التركيز الأولي (SOM)
| مريض 100k-200k ذروة الإيراد السنوي £500M-£1.5B
 حول العالم. هدفنا الواقعي في المدى القريب.

2 تشمّع الكبد وتفادي زراعته سوق مجاورة
| مريض 120k-160k مؤشّر بديل لسوق زراعة £1.2B-£2.24B الكبد
 تجمع بين تفادي زراعة الكبد والحفاظ على وظيفته.

3 الكبد الدهني والسّمنة سوق مجاورة GLP-1
| مريض £2.8B-£2.1B-£69.5B اليوم، والمتوقّع £23.9£-£5.9B
 أكبر الطبقات، ومجاورة لأسرع فئات الأدوية نموًا.

إجمالي السوق القابلة للاستهداف £11.2B-£14.9B اليوم، وأكثر من £37B بحلول 2035

الأرقام الكبيرة هي سقف الفئة بكاملها. والفرصة الواقعية على المدى القريب هي فتح الأهلية للعلاج بقيمة £500M-£1.5B — إذ يمكن لاعتماد مُعجّل في استئطاب يتيم ذي حاجة ماسّة أن يمنح حقّ البيع بحلول السنة الثالثة، قبل سنوات من التسجيل المعتاد.

ما الذي يموله الاستثمار

رحلة تأسيسية 2026

تحسين المرشح الرائد وإثبات المفهوم في المختبر / خارج الجسم الحي

دراسات السُمِّية وفق GLP لـ 28 يومًا (قوارض وNHP)

التصنيع وفق GMP والتطوير التحليلي

عمل تنظيمي ومشورة علمية تمهيدًا لـ IND / CTA

في نهاية الرحلة التأسيسية يكون REGEN001 جاهزًا لـ IND، وقد قدّم طلب التجربة السريرية. حجم الرحلة وتوزيعها متاحان عند الطلب.

لقد بنوا هذا وباعوه من قبل

MD, ChM, FRCS **البروفيسور Nagy Habib**

شريك مؤسس، رئيس مجلس الإدارة والرئيس التنفيذي

- أستاذ جراحة الكبد والبنكرياس والصفراويات ورئيس قسم جراحة الكبد في Imperial College London
- أسس EMcision، واستحوذت عليها Boston Scientific عام 2018
- شارك في تأسيس MiNA Therapeutics — وقد جمعت أكثر من 100 مليون دولار عبر صفقات ترخيص مع Eli Lilly (1.25 مليار دولار) وBoehringer Ingelheim وServier وBioMarin

MD, FRCP **الدكتور Declan Doogan**

المدير الطبي التنفيذي

- الرئيس السابق للتطوير الدوائي العالمي في Pfizer
- شريك مؤسس ورئيس مجلس إدارة Biohaven، واستحوذت عليها Pfizer بأكثر من 11 مليار دولار

PhD **البروفيسور John Rossi**

شريك مؤسس • الاكتشاف والتطوير

- شارك في تأسيس Dicerna، واستحوذت عليها Novo Nordisk مقابل 3.3 مليار دولار
- رئيس وأستاذ في Beckman Research Institute of City of Hope

Joanna Nicholls — المديرية التنفيذية للعمليات، وشاركت في تأسيس MiNA Therapeutics وEMcision

Kai-Wen Huang, MD, PhD — علم الأورام في الجسم الحي، National Taiwan University



منصة مُثبتة، وحاجة واضحة غير ملبّاة، ومسار محدّد

مسار محدّد من هنا إلى العيادة.



البروفيسور Nagy Habib

nagy@apterna.com

Apterna Ltd

لندن، المملكة المتحدة