



درمان‌های RNA برای بیماری کبد

بازگرداندن عملکرد کبد. گشودن دوباره گزینه‌های درمان.

REGEN001

REGEN001 طراحی شده است تا بگذارد کبد آسیب‌دیده بار
دیگر خود را ترمیم کند.



دور بذری 2026

یک میلیارد نفر، یک بیماری

● چاقی

~1 میلیارد

در سراسر جهان

● کبد چرب

~2.6 میلیارد

در سراسر جهان

● سیروز کبدی

~2 میلیون

در سراسر جهان

نقطه بی بازگشت

● سرطان کبد

~860 هزار

در سراسر جهان

1. سازمان جهانی بهداشت، 2024، Obesity and overweight.
2. Teng و همکاران، 2023، Global incidence and prevalence of NAFLD.
3. Luo و همکاران، 2025، Global burden of liver cirrhosis.
4. Li و همکاران، 2022، 2024، Global epidemiology of liver cancer.

جایی که بیماران سرطان کبد گیر می افتند

Child-Pugh B

نمره 7-9

گزینه های درمانی محدودتر
مسیر تسکینی

Child-Pugh A

نمره 5-6

واجد شرایط درمان
با قصد درمان قطعی

تومورهای زیر 3 سانتی متر قابل برداشت — و عملکرد کبد تعیین می کند چه درمانی می توان پیشنهاد کرد

میانۀ بقا 6-13 ماه

هدررفته در چرخه های
تسکینی

بیش از 150 هزار دلار به ازای هر بیمار

توموری قابل برداشت، و کبدی که ذخیره لازم برای درمان را ندارد. مانع، ذخیره کبدی است — نه مرحله تومور، نه آناتومی.

HCC، کارسینوم سلول کبدی. اندازه این زیرگروه با شواهد موجود تعیین نشده است و در اینجا به عنوان نسبتی ثابت از کل HCC نشان داده نشده است.

REGEN001 طراحی شده است تا ذخیره کبدی را بازگرداند و گزینه‌های درمانی تأیید شده را بازگشاید

پس از REGEN001

بازگشت
ذخیره

12-8 هفته

امروز

ذخیره
کبدی
پایین

هدف REGEN001 بازگرداندن همان عملکردی است که جراحی، ابلیشن، کموآمبولیزاسیون و ایمنی درمانی همگی به آن نیاز دارند، تا آن گزینه‌ها دوباره باز شوند.

یک ژن، کاهش یافته

REGEN001 یک siRNA کونژوگه شده با GalNAc است که C/EBP β را خاموش می‌کند — ژنی که در کبد آسیب ناشی از سمیت لیپیدی را پیش می‌راند. GalNAc آن را به طور اختصاصی به سلول‌های کبدی می‌رساند، پس دارو تنها همان‌جا که بیماری هست اثر می‌کند.

1 رسانده شده

کونژوگه GalNAc سلول کبدی را هدف می‌گیرد

2 خاموش شده

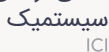
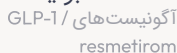
بیان C/EBP β کاهش می‌یابد

3 بازسازی شده

کبد ذخیره عملکردی خود را باز می‌سازد

طراحی شده تا در هر مرحله اثر کند

MASLD
اولیه



هدفی واحد که بالقوه می‌تواند در هر مرحله اثر کند: به‌منظور کاهش التهاب، حفظ عملکرد کبد و حمایت از توان ترمیم خود کبد.

پتانسیل بازاری بزرگ در بیماری کبد

1 گشودن دروازه درمان تمرکز نخست (SOM)

200-100 هزار بیمار | اوج درآمد سالانه £1.5B-£500M
در سراسر جهان. هدف واقع‌بینانه کوتاه‌مدت ما.

2 سیروز و اجتناب از پیوند بازار هم‌جوار

160-120 هزار بیمار | شاخص جان‌نشین بازار پیوند £1.2B-£2.24B
هم اجتناب از پیوند و هم حفظ عملکرد کبد را در بر می‌گیرد.

3 کبد چرب و چاقی هم‌جوار GLP-1

2.8-2.1 میلیارد بیمار | اکنون £5.9B، پیش‌بینی £23.9B-£69.5B
بزرگ‌ترین لایه، هم‌جوار رده دارویی با سریع‌ترین رشد.

کل بازار قابل دسترس اکنون £14.9B-£11.2B، و بیش از £37B تا 2035

ارقام بزرگ، سقف کل این دسته‌اند. فرصت واقع‌بینانه کوتاه‌مدت همان گشایش واجد شرایط شدن برای درمان است، به ارزش £1.5B-£500M — جایی که تأیید تسریع‌شده در اندیکاسیونی یتیم با نیاز درمانی بالا می‌تواند مجوز فروش را تا سال سوم فراهم کند، سال‌ها زودتر از ثبت استاندارد.

آنچه سرمایه تأمین می‌کند

دور بذری 2026

بهینه‌سازی کاندیدای پیشرو و اثبات مفهوم در مطالعات
برون‌تنی / برون‌بدنی

سم‌شناسی 28 روزه تحت GLP (جوندگان و NHP)

تولید تحت GMP و توسعه روش‌های تحلیلی

امور رگولاتوری لازم برای CTA / IND و مشاوره علمی

در پایان دور بذری، REGEN001 آماده IND است و
درخواست کارآزمایی بالینی ارائه شده است. اندازه دور و
تخصیص آن در صورت درخواست ارائه می‌شود.

این را پیش‌تر ساخته‌اند و فروخته‌اند

MD, ChM, FRCS **پروفسور Nagy Habib**

هم‌بنیان‌گذار، رئیس هیئت‌مدیره و مدیرعامل

- استاد جراحی کبد، پانکراس و مجاری صفراوی و رئیس بخش جراحی کبد در Imperial College London
- بنیان‌گذار EMcision که در سال 2018 به Boston Scientific فروخته شد
- هم‌بنیان‌گذار MiNA Therapeutics — جذب بیش از \$100M از محل قراردادهای لایسنس با Eli Lilly (\$1.25bn)، Boehringer Ingelheim، BioMarin و Servier

MD, FRCP **دکتر Declan Doogan**

مدیر ارشد پزشکی

- رئیس پیشین توسعه جهانی دارو در Pfizer
- هم‌بنیان‌گذار و رئیس هیئت‌مدیره Biohaven که Pfizer آن را به بیش از \$11bn خرید

PhD **پروفسور John Rossi**

هم‌بنیان‌گذار • کشف و توسعه دارو

- هم‌بنیان‌گذار Dicerna که Novo Nordisk آن را به \$3.3bn خرید
- رئیس و استاد در Beckman Research Institute of City of Hope

Joanna Nicholls — مدیر ارشد عملیات، هم‌بنیان‌گذار EMcision و MiNA Therapeutics

Kai-Wen Huang, MD, PhD — انکولوژی درون‌تنی، National Taiwan University



پلتفرمی اثبات شده، نیازی آشکارا برآورده نشده، و مسیری مشخص

مسیری مشخص از اینجا تا بالین.



پروفسور Nagy Habib

nagy@apterna.com

Apterna Ltd

لندن، بریتانیا