



लिवर रोग के लिए RNA दवाएँ

लिवर की कार्यक्षमता बहाल करें। इलाज के विकल्प फिर से खोलें।

REGEN001

REGEN001 को इस तरह विकसित किया जा रहा है कि क्षतिग्रस्त
लिवर फिर खुद ठीक हो सके।



एक अरब लोग, एक ही बीमारी

- मोटापा

~1 अरब¹
दुनिया भर में

- फैटी लिवर

~2.6 अरब²
दुनिया भर में

- सिरोसिस

~11.2 करोड़³
दुनिया भर में

जहाँ से वापसी नहीं

- लिवर कैंसर

~8.6 लाख⁴
दुनिया भर में

1. विश्व स्वास्थ्य संगठन, मोटापा और अधिक वज़न, 2024।
2. Teng एवं अन्य, NAFLD की वैश्विक घटना-दर और प्रसार, 2023।
3. Luo एवं अन्य, लिवर सिरोसिस का वैश्विक भार, 2025।
4. Li एवं अन्य, लिवर कैंसर का वैश्विक महामारी-विज्ञान 2022, 2024।

लिवर कैंसर के मरीज़ कहाँ अटक जाते हैं

Child-Pugh A

स्कोर 5-6

इलाज के लिए पात्र

पूर्ण इलाज के इरादे से

Child-Pugh B

स्कोर 7-9

इलाज की पात्रता सीमित

उपशामक रास्ता

3 सेमी से छोटे ट्यूमर निकाले जाने योग्य — लिवर की कार्यक्षमता इलाज के विकल्प तय करती है

माधिका जीवित रहना 6-13 महीने

\$150k+ प्रति मरीज़ उपशामक चक्रों में बर्बाद

निकाले जाने योग्य ट्यूमर, और ऐसा लिवर जिसमें इलाज के लिए ज़रूरी भंडार नहीं। रुकावट लिवर का बचा हुआ भंडार है — न ट्यूमर की अवस्था, न शरीर-रचना।

HCC = हेपैटोसेल्युलर कार्सिनोमा। इस उपसमूह का आकार मौजूदा साक्ष्यों से तय नहीं है, और इसे यहाँ समस्त HCC के किसी निश्चित अनुपात के रूप में नहीं दिखाया गया है।

REGEN₀₀₁ को लिवर का भंडार लौटाने और स्वीकृत इलाज के विकल्प फिर से खोलने के लिए बनाया गया है

आज

लिवर का
भंडार कम

8-12 हफ्ते

REGEN₀₀₁ के बाद

लिवर का
भंडार बहाल

REGEN₀₀₁ का मक़सद वह कार्यक्षमता लौटाना है जिसकी ज़रूरत सर्जरी, एब्लेशन, कीमोएम्बोलाइज़ेशन और इम्यूनोथेरेपी सबको होती है, ताकि ये विकल्प फिर से खुल सकें।

एक जीन, धीमा किया गया

REGEN001 एक **GalNAc-संयुग्मित siRNA** है, जो **C/EBP β** को **बंद करता है** — एक जीन, जो लिवर में लिपोटॉक्सिक क्षति चलाता है। GalNAc उसे चुनिंदा ढंग से लिवर कोशिकाओं तक पहुँचाता है, इसलिए दवा वहीं काम करती है जहाँ बीमारी है, और कहीं नहीं।

1

डिलीवरी

GalNAc संयुग्म का निशाना लिवर कोशिकाएँ हैं

2

साइलेंसिंग

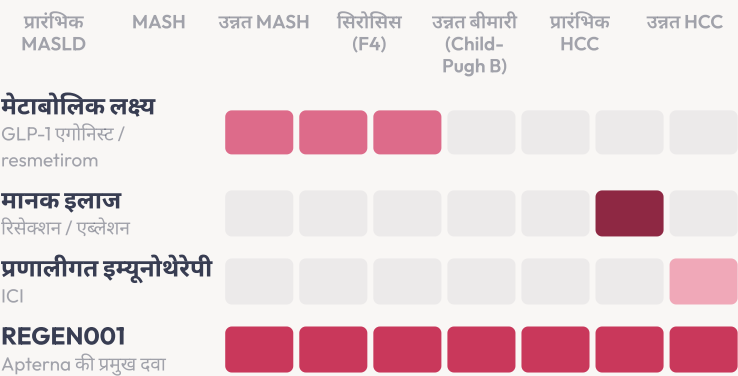
C/EBP β की अभिव्यक्ति घट जाती है

3

बहाली

लिवर अपना कार्यात्मक भंडार खुद फिर से बनाता है

हर चरण पर काम करने के लिए बनाई गई दवा



एक ही लक्ष्य, जिसमें हर चरण पर काम करने की संभावना है: मक़सद है सूजन घटाना, लिवर की कार्यक्षमता बनाए रखना, और लिवर की अपनी मरम्मत की क्षमता को सहारा देना।

लिवर रोग में एक संभावित बड़ा बाज़ार

1 इलाज की पात्रता का खुलना शुरुआती फ़ोकस (SOM)

1-2 लाख मरीज़ | £500M-£1.5B चरम सालाना राजस्व

दुनिया भर में। निकट भविष्य में हमारा व्यावहारिक लक्ष्य।

2 सिरोसिस एवं प्रत्यारोपण से बचाव सटा बाज़ार

1.2-1.6 लाख मरीज़ | £1.2B-£2.24B प्रत्यारोपण बाज़ार से अनुमान

प्रत्यारोपण से बचाव और लिवर की कार्यक्षमता बनाए रखना, दोनों शामिल।

3 फैटी लिवर एवं मोटापा GLP-1 से सटा बाज़ार

2.1-2.8 अरब मरीज़ | आज £5.9B, अनुमानित £23.9B-£69.5B

सबसे बड़ी परत, और सबसे तेज़ी से बढ़ते दवा-वर्ग से जुड़ी हुई।

कुल संभावित बाज़ार आज £11.2B-£14.9B, 2035 तक £37B से ज़्यादा

बड़े आँकड़े पूरी श्रेणी की ऊपरी सीमा हैं। निकट भविष्य का व्यावहारिक अवसर £500M-£1.5B का है — इलाज की पात्रता का खुलना, जहाँ अत्यधिक ज़रूरत वाले ऑफ़न इंडिकेशन में त्वरित स्वीकृति तीसरे साल तक बेचने का अधिकार दिला सकती है, यानी मानक पंजीकरण से कई साल पहले।

निवेश किन कामों में लगेगा

सीड राउंड 2026

लीड कैंडिडेट का अनुकूलन और इन विट्रो / एक्स विवो में अवधारणा की पुष्टि

28 दिन का GLP विषाक्तता अध्ययन (कृतक और NHP)

GMP निर्माण और विश्लेषणात्मक विकास

CTA / IND के लिए ज़रूरी नियामक कार्य और वैज्ञानिक सलाह

सीड राउंड के अंत में REGEN₀₀₁ IND के लिए तैयार होगा, और क्लिनिकल ट्रायल का आवेदन दाखिल हो चुका होगा। राउंड का आकार और आवंटन माँगने पर उपलब्ध हैं।

ये लोग पहले भी कंपनियाँ बनाकर बेच चुके हैं

नागी हबीब एमडी, सीएचएम, एफ़आरसीएस

सह-संस्थापक, चेयरमैन & सीईओ

- HPB सर्जरी के प्रोफ़ेसर और लिवर सर्जरी विभाग के प्रमुख, Imperial College London
- EMcision की स्थापना की, जो 2018 में Boston Scientific को बिकी
- MiNA Therapeutics के सह-संस्थापक — Eli Lilly (\$1.25bn), Boehringer Ingelheim, Servier और BioMarin के साथ लाइसेंस सौदों से \$100M से ज़्यादा जुटाए

डेक्लन डूगन एमडी, एफ़आरसीपी

चीफ़ मेडिकल ऑफ़िसर

- Pfizer में वैश्विक दवा विकास के पूर्व प्रमुख
- Biohaven के सह-संस्थापक और चेयरमैन, जो Pfizer को \$11bn से ज़्यादा में बिकी

जॉन रॉसी पीएचडी

सह-संस्थापक • खोज एवं विकास

- Dicerna के सह-संस्थापक, जो Novo Nordisk को \$3.3bn में बिकी
- चेयरमैन एवं प्रोफ़ेसर, Beckman Research Institute of City of Hope

Joanna Nicholls — चीफ़ ऑपरेटिंग ऑफ़िसर, EMcision और MiNA Therapeutics की सह-संस्थापक

Kai-Wen Huang, MD, PhD — इन विवो ऑन्कोलॉजी, National Taiwan University



सिद्ध प्लेटफ़ॉर्म, साफ़ अधूरी ज़रूरत, और एक तय रास्ता

यहाँ से क्लिनिक तक एक तय रास्ता।



प्रो. Nagy Habib

nagy@apterna.com

Apterna Ltd

लंदन, यूनाइटेड किंगडम