



TELEKONFERENCJA INWESTORZY 25.03.2020

2019... krok do tyłu, 2020 - 3 do przodu

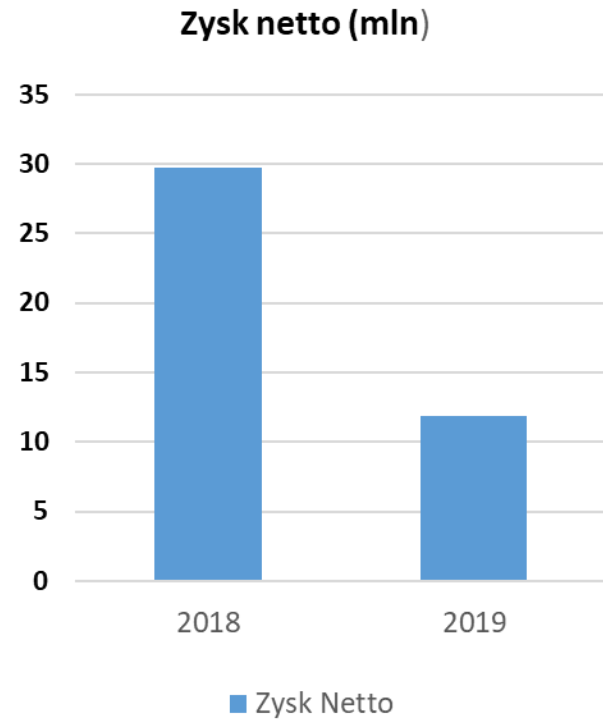
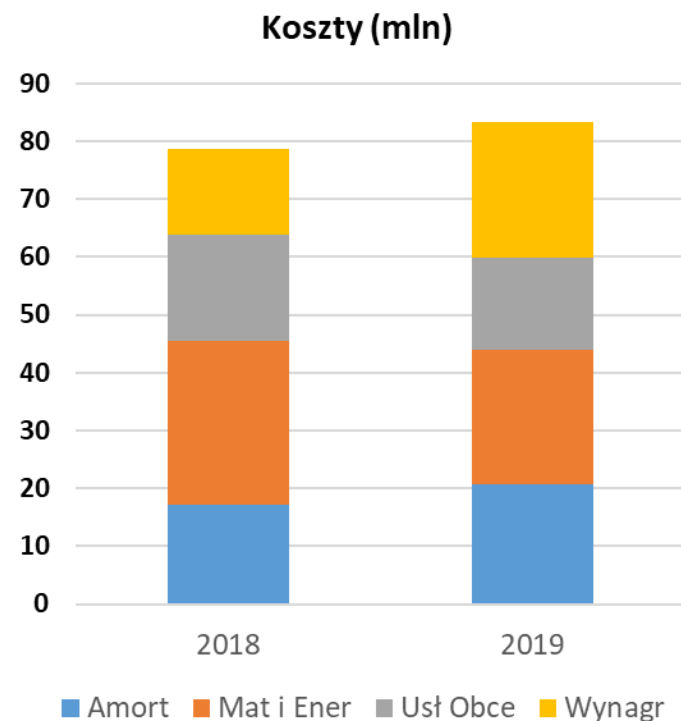
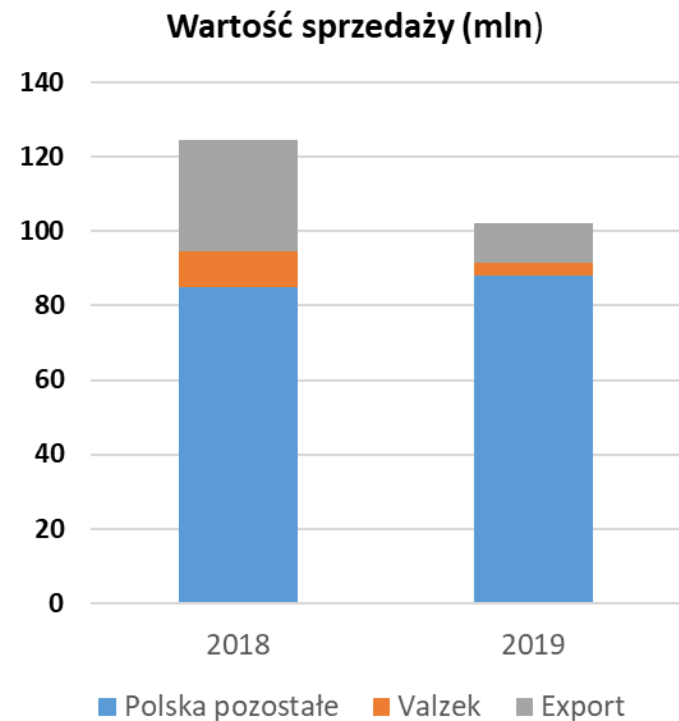
Podsumowanie 2019 oraz strategiczne plany biznesowe Spółki na 2020 r.

Zastrzeżenia prawne

Informacje zamieszczone poniżej zostały przygotowane przez Celon Pharma S.A. („Spółka”) wyłącznie w celu informacyjnym na potrzeby prezentacji dla inwestorów oraz analityków rynku. („Prezentacja”). Poprzez udział w spotkaniu, na którym Prezentacja jest przedstawiana lub przez zapoznanie się z treścią poniższej Prezentacji zgadzają się Państwo na poniżej określone ograniczenia i zastrzeżenia. Niniejsza Prezentacja nie stanowi ani nie jest częścią i nie powinna być traktowana jako oferta albo jako propozycja dokonania zapisów na, gwarantowania zakupu lub dokonania w inny sposób nabycia jakichkolwiek papierów wartościowych któregośkolwiek z podmiotów Spółki. Niniejsza prezentacja ani żadna jej część nie mogą stanowić podstawy ani nie można na nich polegać w związku z jakimkolwiek zapisem na jakiegokolwiek papierze wartościowym Spółki, lub ich nabyciem. Niniejsza Prezentacja ani żadna jej część nie mogą stanowić podstawy ani nie można na nich polegać w związku z jakąkolwiek umową albo zobowiązaniem lub decyzją inwestycyjną dotyczącą papierów wartościowych Spółki. Niniejsza Prezentacja nie stanowi rekomendacji dotyczącej jakichkolwiek papierów wartościowych spółek Spółki. Żadne oświadczenie ani zapewnienie, wyraźne jak i dorozumiane, nie zostało złożone przez, ani w imieniu Spółki, ani żadnego z akcjonariuszy Spółki, członków organów, członków kadry kierowniczej, pracowników, przedstawicieli lub doradców ani żadnej innej osoby, co do prawdziwości, kompletności lub rzetelności informacji lub opinii przedstawionych w niniejszej Prezentacji. Kwestie omawiane w niniejszej Prezentacji mogą stanowić stwierdzenia dotyczące przyszłości. Stwierdzenia dotyczące przyszłości różnią się od stwierdzeń dotyczących faktów historycznych. Stwierdzenia zawierające słowa „oczekuje”, „zamierza”, „planuje”, „uważa”, „planuje”, „przewiduje”, „będzie”, „ma na celu”, „może”, „byłoby”, „mogłoby”, „kontynuuje” oraz podobne o charakterze dotyczącym przyszłości stanowią wyznaczniki takich oświadczeń dotyczących przyszłości. Oświadczenia dotyczące przyszłości zawierają oświadczenia na temat wyników finansowych, strategii biznesowej, planów i celów Spółki w zakresie jej przyszłej działalności (włącznie z planami rozwoju dotyczącymi Spółki). Wszystkie stwierdzenia dotyczące przyszłości zawarte w niniejszej Prezentacji dotyczą kwestii wiążących się ze znanymi i nieznanymi ryzykami, sprawami niemożliwymi do przewidzenia oraz innymi czynnikami, w wyniku których faktyczne wyniki i osiągnięcia Spółki mogą być istotnie różne od przedstawionych w oświadczeniach dotyczących przeszłości oraz wyników i osiągnięć Spółki w przeszłości. Oświadczenia dotyczące przyszłości zostają złożone na podstawie różnorodnych założeń w zakresie przyszłych wydarzeń, włącznie z wieloma założeniami dotyczącymi aktualnych i przyszłych strategii biznesowych Spółki oraz przyszłego otoczenia działalności. Chociaż Spółka uważa, że przyjęte dane szacunkowe i założenia są uzasadnione, mogą one okazać się nieprawidłowe. Informacje, opinie i stwierdzenia dotyczące przyszłości zawarte w niniejszej Prezentacji są aktualne wyłącznie w dacie niniejszej Prezentacji i mogą zostać zmienione bez zawiadomienia. Spółka i jej odpowiedni doradcy nie mają obowiązku przekazywania do publicznej wiadomości aktualizacji i zmian informacji, danych oraz oświadczeń znajdujących się w niniejszej Prezentacji na wypadek zmiany strategii albo zamiarów Spółki lub wystąpienia nieprzewidzianych faktów lub okoliczności, które będą miały wpływ na tę strategię lub zamiary Spółki, chyba że obowiązek taki wynika z przepisów prawa. Spółka zwraca uwagę osobom zapoznającym się z niniejszą Prezentacją, że jedynym wiarygodnym źródłem danych dotyczących wyników finansowych Spółki oraz spółek Spółki, prognoz, zdarzeń oraz wskaźników dotyczących Spółki i spółek Spółki są raporty bieżące i okresowe przekazywane przez spółki Spółki w ramach wykonywania obowiązków informacyjnych wynikających z prawa polskiego. Ani Spółka, ani żaden z akcjonariuszy spółek Spółki, członków organów, członków kadry kierowniczej, pracowników, przedstawicieli lub doradców ani żadna inna osoba nie ponosi odpowiedzialności z tytułu jakiegokolwiek szkody wynikającej z powodu wykorzystania niniejszej Prezentacji lub jej treści albo w jakimkolwiek inny sposób wynikających w związku z niniejszą Prezentacją. Ani Spółka, ani żaden z akcjonariuszy spółek Spółki, członków organów, członków kadry kierowniczej, pracowników, przedstawicieli lub doradców, ani żadna inna osoba nie są zobowiązani zapewnić odbiorcom niniejszej Prezentacji jakichkolwiek dodatkowych informacji ani aktualizować niniejszą Prezentację. Niniejsza Prezentacja zawiera informacje dotyczące przemysłu farmaceutycznego w Polsce i na świecie, w tym informacje dotyczące udziału Spółki oraz jej wybranych konkurentów w rynku. Źródło pochodzenia informacji zostało każdorazowo wskazane w niniejszej Prezentacji, a Spółka ani jakikolwiek inny podmiot działający na zlecenie Spółki nie dokonywał niezależnej weryfikacji danych, o których mowa powyżej. Niniejsza Prezentacja nie podlega dystrybucji ani wykorzystaniu przez żadną osobę ani jakikolwiek podmiot w jakiegokolwiek jurysdykcji, gdzie taka dystrybucja lub wykorzystanie byłoby sprzeczne z przepisami prawa miejscowego lub zobowiązywałoby Grupę albo którykolwiek z jej podmiotów powiązanych do uzyskania autoryzacji, licencji albo uzależniało od wymogów rejestracyjnych wynikających z obowiązujących przepisów prawa. Niniejsza Prezentacja ani żadna jej część lub kopia nie może być wprowadzona ani przesłana na terytorium Stanów Zjednoczonych Ameryki, ani nie może być rozpowszechniania, bezpośrednio lub pośrednio, w Stanach Zjednoczonych Ameryki. Nieprzestrzeganie tego ograniczenia może stanowić naruszenie amerykańskich przepisów dotyczących papierów wartościowych. Osoby, które wejdą w posiadanie niniejszej Prezentacji powinny przestrzegać wszystkie powyższe ograniczenia.

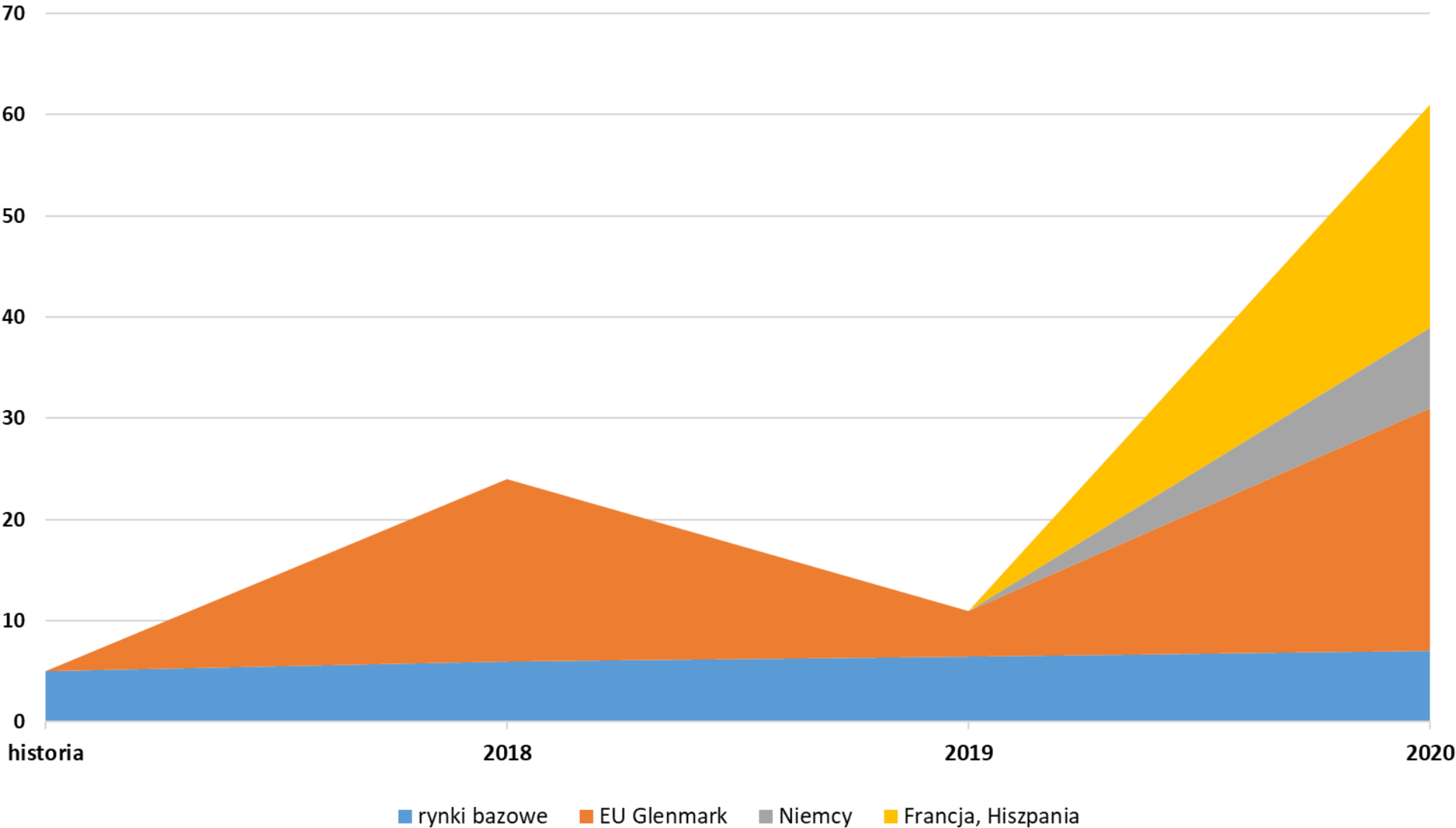
Wyniki 2019

- Salmex Export 
- Valzek 
- Sprzedaż Polska pozostałe 
- Projekty R&D / Dofinansowania 



Salmex Export 2018-2019-2020

Sprzedaż eksportowa (mln zł)



Salmex Export 2020

Rynki

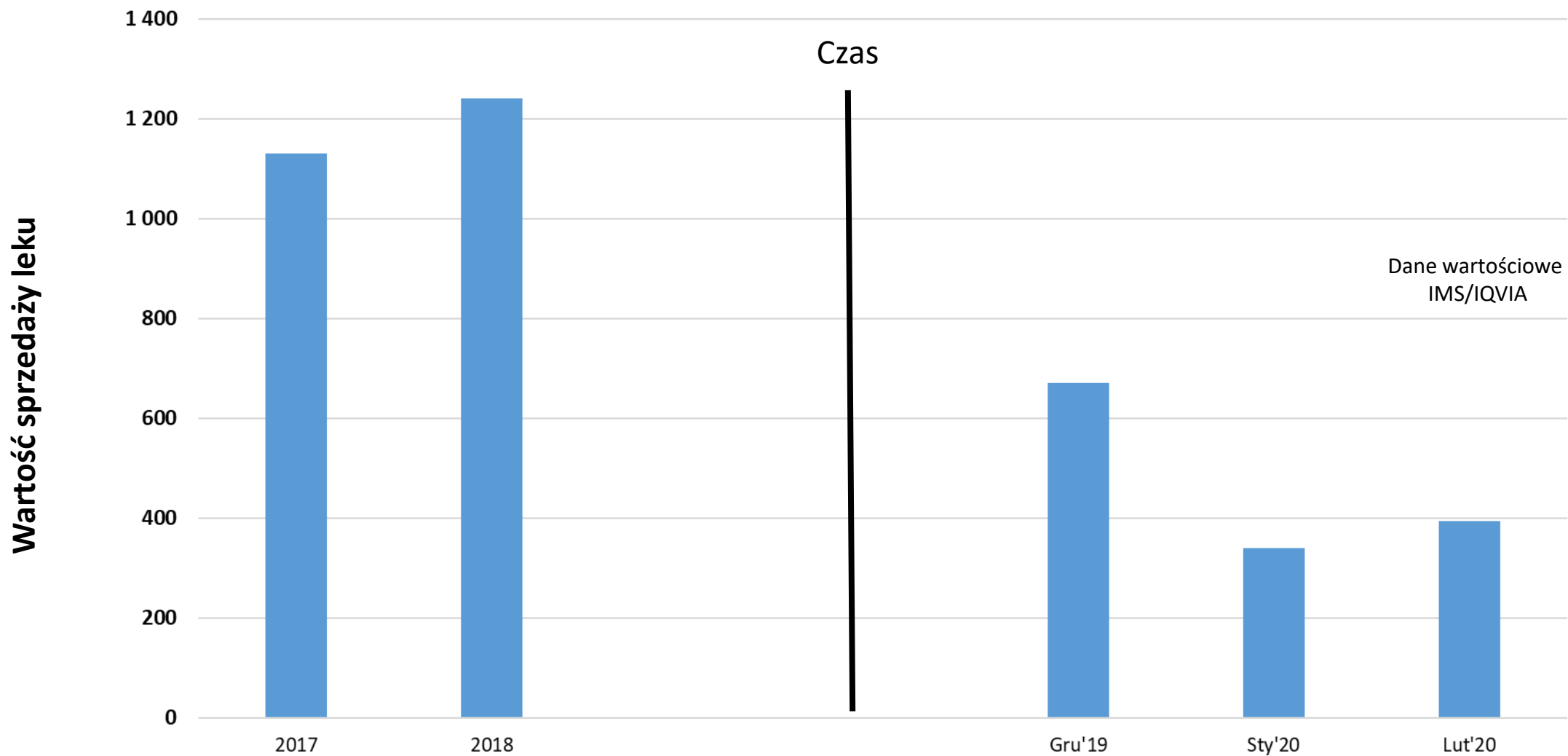
- bazowe
- EU Glenmark (15 krajów)
- Hiszpania
- Francja

Niższa Baza Kosztowa

- 1 typ inhalatora niezależnie od rynku
- Granulaty ~ **-20%**
- Substancje czynne ~ **- 15%**
- Wytwarzanie w dużej, zautomatyzowanej skali (próbkowanie, kontrola m/y operacyjna, analizy jakościowe, wydajność)
- Amortyzacja per inhalator

VALZEK - powrót

Miesięczne wartości sprzedaży leku Valzek (tyś.zł)



Dynamika sprzedaży sprzed okresu NDMA

Aktualna dynamika sprzedaży po wyeliminowaniu ryzyka
jakościowego



TELEKONFERENCJA INWESTORZY 25.03.2020

R+D

Podsumowanie 2019 oraz strategiczne plany biznesowe Spółki na 2020 r.

Esketamine DPI e-smart

Rozpędzony program kliniczny i technologii

- **Badanie fazy II w depresji jednobiegunowej:** Wszyscy pacjenci zrandomizowani, ukończyli otrzymywanie leku. Spodziewane wstępne wyniki w ciągu najbliższych 2-3 tygodni.
- **Badanie fazy II w depresji dwubiegunowej:** w 35% kompletne. Spodziewane wyniki pierwszorzędnego punktu końcowego – III kwartał 2020.
- **Technologie e-smart i cyfrowe inhalatora oraz mobilna aplikacja na etapie weryfikacji:** Badania typu „human factor studies” na zdrowych ochotnikach ruszą wkrótce.
- **Przygotowany program kliniczny fazy III (wspólnie z Parexel).** Gotowe synopsisy. Szczegółowe protokoły i pozostała dokumentacja badawcza w trakcie tworzenia.
- **Pozytywny Scientific Advice w EMA:** Listopad 2019 - Luty 2019.
- **Pozytywny feedback ze spotkania w FDA 5 Marca 2020.** Czekamy na oficjalny dokument.

Główne cele obu doradztw to:

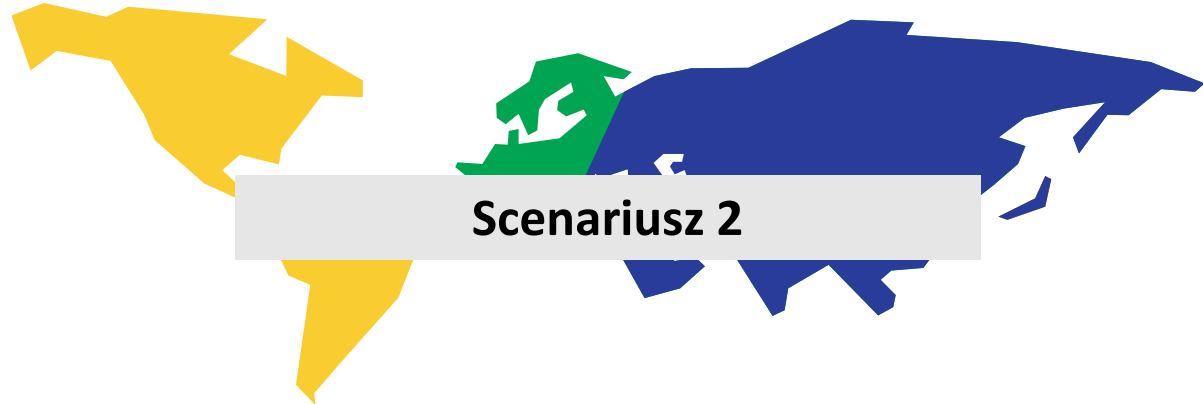
- Akceptacja/bądź wskazanie niezbędnych elementów zmiany programu rozwoju w celu uzyskania statusu samo administracji leku w domu w leczeniu podtrzymującym,
- Akceptacja programu klinicznego III fazy w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa,
- Akceptacja wstępnej propozycji REMS (*Risk Evaluation and Mitigation Program*).





The map for Scenario 1 shows the entire world in orange, indicating global coverage.

Scenariusz 1



The map for Scenario 2 shows North America in yellow, Europe and Africa in blue, and Asia in green, indicating regional coverage.

Scenariusz 2

- Oba scenariusze nadal aktualne.
- Oczekiwana wartość transakcji w milestonech (całkowite 200-300mln USD). Plus COS + royalties na 2-cyfrowym poziomie.
- 2 aktywnych partnerów zainteresowanych nabyciem praw na cały świat. Obaj, to duże firmy międzynarodowe.
- 2 partnerów z US i 2 partnerów z Azji zainteresowanych nabyciem praw lokalnie wg scenariusza 2.



CPL'36 Inhibitor PDE10a w zaburzeniach neuropsychiatrycznych

Ukończona faza I (jedno i wielokrotne podanie plus wpływ pokarmu na farmakokinetykę):

Bardzo dobrze tolerowany (łagodne bóle, zawroty głowy, senność). Liniowa farmakokinetyka, wysoka biodostępność.

best in class

- systematycznie wykazywana efektywność w modelach in vivo na zwierzętach (zarówno psychotycznych, jak i dyskinezowych),
- wysoka potencja (wyższa od MP-10, porównywalna z TAK-087),
- wysoka selektywność,
- szeroki, różny od MP-10 i i TAK-087 profil modulacji transkrypcyjnej,
- wysoka biodostępność, liniowa farmakokinetyka, umożliwiająca kliniczną inhibicję PDE10a w 80-90% vs wyłącznie 40-50% dla związków konkurencyjnych.

POC II fazy:

- schizofrenii (na grupie ok 160 pacjentów, 2 dawki CPL vs placebo, 4 tyg. obserwacja)
- dyskinezy polewodopowe w Chorobie Parkinsona (ok. 110 pacjentów, 2 dawki vs. placebo, 4 tyg. obserwacja).
- Długość badań to 15-18 miesięcy.

Silne zainteresowanie in-licencjonowaniem na rynek USA



CPL'110, Inhibitor FGFR

Badanie kliniczne 01FGFR2018 (faza I i Ib)

- Kilkunastu pacjentów zeskrinowanych, 6 otrzymało lek;
- Brak ostrych toksyczności, brak niepokojących sygnałów związanych z bezpieczeństwem podawania terapii
- Większość pacjentów otrzymało więcej niż 1 cykl leczenia (28 dni);
- Jeden pacjent z płaskonabłonkowym, zaawansowanym (po wielu liniach leczenia) rakiem płuc miał długoterminową stabilizację choroby trwającą wiele miesięcy;
- Brak ostrych toksyczności, brak niepokojących sygnałów związanych z bezpieczeństwem podawania terapii;
- Wstępne dane farmakokinetyczne wskazują na znaczącą ekspozycję w dawce 25mg/dzień;
- Rozpoczęcie fazy Ib planowane w II połowie roku tego roku;
- Przedłużono finansowanie projektu z NCBiR do końca 2021r. (obejmuje fazy kliniczne I i II).



CPL'280 Agonista GPR40 w cukrzycy, neuropatii cukrzycowej i innych zaburzeniach metabolicznych

- Ukończone badania toksykologiczne: 2 gatunki (szczury, małpy), brak sygnałów toksyczności, w tym wątrobowej w szerokim zakresie dawek, w tym w stężeniach znacząco wyższych od fasiglifamu.
- Złożono wnioski o rozpoczęcie rozwoju klinicznego (I faza na zdrowych ochotnikach) CPL'280 ER – Grudzień 2019.
- Podawanie leku w ramach I fazy od kwietnia'19;
- Planowane badania POC II fazy (cukrzyca, neuropatie cukrzycowe: III kwartał 2020- II kwartał 2021).

CPL'116 Inhibitor JAK/ROCK w zaburzeniach autoimmunologicznych i z podłożem fibrotycznym

- W trakcie badania toksykologiczne (na ukończeniu, pozostało 2 tygodnie z 12 tyg. obserwacji zwierząt): 2 gatunki (szczury, psy), przewidywalna toksyczność, typowa dla klasy związków, brak niepokojących sygnałów.
- W trakcie, przygotowanie dokumentacji o rozpoczęcie badań klinicznych I fazy na zdrowych ochotnikach. Planowane złożenie II kwartał 2020.
- Planowane badania II fazy POC (RZS u pacjentów z podwyższonym ryzykiem kardio, Idiopatyczne zwłóknienie płuc).
- Nowe atrakcyjne wskazanie - nadciśnienie płucne POC - w trakcie analiz.





TELEKONFERENCJA INWESTORZY 25.03.2020

COVID-19 i programy antywirusowe

**Plany dotyczące rozwoju strategicznego Spółki w obszarach:
diagnostycznym, rozwoju leków przeciwwirusowych.**



COVID-19 i programy antywirusowe

W obliczu rozwijającej się pandemii koronawirusa SARS-CoV-2 oraz wprowadzonego na terytorium Polski stanu zagrożenia epidemicznego, działając w celu zwiększenia bezpieczeństwa zdrowotnego pacjentów, uwzględniając wytyczne i wymogi Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) oraz biorąc pod uwagę posiadane i rozwijane zasoby Spółka zdecydowała się podjąć kilka strategicznych inicjatyw:

1) Usługa wykonywania testów rtPCR

wdrożenie do oferty spółki usług komercyjnej diagnostyki na obecność RNA wirusa SARS-CoV-19 w dostarczonym materiale biologicznym,

2) Wytwarzanie i sprzedaż testów rtPCR

opracowanie, certyfikacja CE IVD i wdrożenie do oferty Spółki testów diagnostycznych opartych o metodę sRT-PCR do diagnozowania obecności wirusów w materiale biologicznym,

3) Program rozwoju terapii

Opracowania efektywnego schematu terapeutycznego dla dostępnych obecnie czy rozwijanych (przez spółkę) leków (repozycjonowanie obecnych leków) oraz poszukiwanie innowacyjnych efektywnych struktur celujących w replikację wirusa oraz housekeepingowe białka/enzymy wirusa.



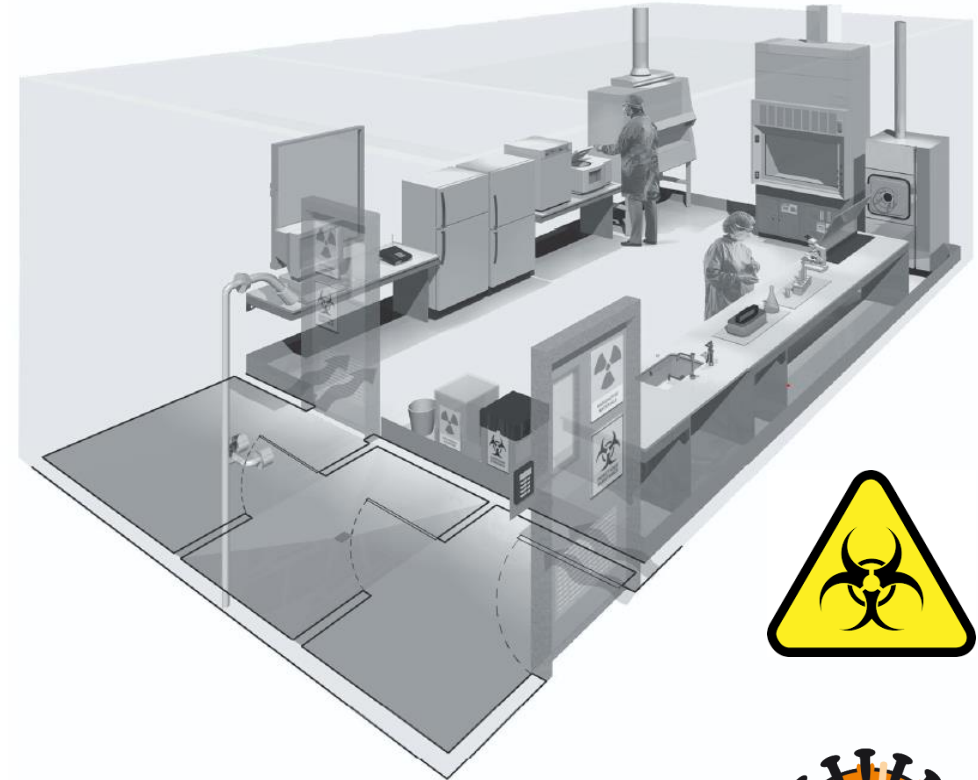
Wdrożenie usług komercyjnej diagnostyki SARS-CoV-19

W celu wdrożenia do oferty spółki usług komercyjnej diagnostyki na obecność RNA wirusa SARS-CoV-19 spółka zainicjowała i prowadzi szereg prac:

- przeprowadzono analizę i przygotowano plany adaptacji obszaru nowego Centrum Badawczo Rozwojowego – pod powiększone laboratorium pracujące w standardzie BSL-3,
- na potrzeby powiększonej strefy BSL-3 przeznaczono 200 m² powierzchni laboratoryjnych,
- rozpoczęto prace adaptacyjne, technologiczne oraz zakupy ścianek farmaceutycznych oraz niezbędnego wyposażenia – zakupy przewidziane zostały i realizowane są z projektu budowy infrastruktury CBR,
- rozpoczęto konsultacje kluczowych rozwiązań technicznych z zewnętrznymi ekspertami w obszarze konstrukcji stref BSL-3,
- rozpoczęto gromadzenie i przygotowanie dokumentacji certyfikacyjnej dla strefy,

PODSUMOWANIE:

- koszty rozbudowy strefy to ok 3 mln zł,
- termin oddania i uzyskania funkcjonalności strefy Q3 2020,
- możliwości operacyjne strefy:
 - możliwość izolacji RNA wirusów z dowolnego materiału biologicznego,
 - przystosowanie do badania efektywności rozwijanych cząsteczek o potencjale przeciwwirusowym w standardzie BSL-3 w testach: biochemicznych oraz in vitro – z użyciem aktywnych wirusów dla około 100 – 500 molekuł tygodniowo w zależności od techniki,
 - możliwość prowadzenia testów komercyjnych z wydajnością maksymalną do **384 testów w ciągu zmiany 8 godzinowej** lub **1536 testów w ciągu 24 godzin**.



Wdrożenie wytwarzania testów diagnostycznych na obecność RNA wirusa SARS-CoV-19

Opracowanie, certyfikacja CE IVD i wdrożenie do oferty Spółki testów diagnostycznych opartych o metodę sRT-PCR do diagnozowania obecności wirusów w materiale biologicznym. W tym celu spółka podjęła następujące aktywności:

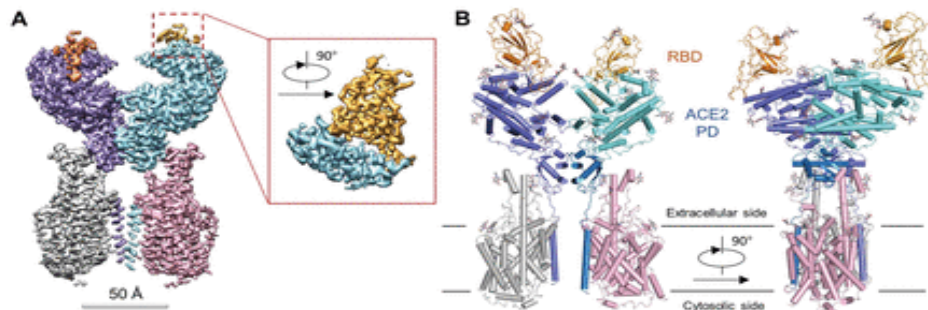
- przeprowadzono analizę potencjału rejestracyjnego i wdrożenia własnych testów CE IVD,
- dokonano identyfikacji kluczowych dostawców oraz wytwórców,
- zdecydowano się na samodzielne wytwarzanie elementów testów – bufor reakcyjny, ATP, dNTP oraz enzymy reakcyjne,
- oceniono potencjał wytwórczy dla komercyjnych testów,
- **PODSUMOWANIE:**
 - oceniono iż wykorzystaniu obecnych mocy produkcyjnych spółka będzie w stanie wytwarzać do 200 tys. testów certyfikowanych IVD rocznie,
 - spółka będzie w stanie produkować na potrzeby odbiorców komercyjnych oraz agencji rządowych,
 - szacuje się iż zdolność produkcyjna wyniesie ok. 20 tys. testów miesięczne,
 - jeden test pozwoli na analizę od 12 do 64 pacjentów po przeformatowaniu.



Rozwój terapii przeciwko wirusowi SARS-CoV-19

Celem rozwoju efektywnej terapii przeciwko wirusowi SARS-CoV-19 spółka podjęła szereg strategicznych działań:

- zainicjowano i nawiązano współpracę z największą siecią badawczą w Polsce – Sieć Badawcza Łukasiewicz oraz prof. Marcinem Drągiem z PW – osobą odpowiedzialną za charakteryzację jednego z kluczowych enzymów wirusa SARS-CoV-19 – M^{pro},
- trwają rozmowy w WIHE Puławy – instytut posiada dwa z trzech laboratoriów pracujących w systemie BSL-3 i prowadzi izolacje wirusa z krajowej populacji – co umożliwi testy na szczepach wyizolowanych lokalnie,
- dokonano identyfikacji kilkuset struktur znanych leków które podane zostaną testom in vitro (repozycjonowanie obecnych leków),
- zidentyfikowano 4 cele molekularne o wysokim hamowaniu replikacji wirusa, przeanalizowano możliwość rozwoju w tym wskazaniu rozwijanych struktur w projektach JAKson, GATE oraz PIKCEL w celu poszukiwania innowacyjnych efektywnych struktur celujących w housekeepingowe białka/enzymy wirusa w podaniu inhalacyjnym.





TELEKONFERENCJA INWESTORZY 25.03.2020

Zapraszamy do zadawania pytań.