

The background features a dark blue gradient. A faint, stylized DNA double helix is visible, with blue spheres representing atoms and lines representing bonds. Overlaid on the right side of the DNA is a white chemical structure consisting of two fused hexagons. The top hexagon is solid white, while the bottom hexagon is outlined with a dashed white line.

Orphinic Scientific

Turning drug development process into
opportunity **through efficiency**

PODSUMOWANIE ROKU 2021

LUTY 2022

Agenda

- Wprowadzenie - model biznesowy i strategia
- Osiągnięcia w roku 2021
- Plany rozwojowe na rok 2022 i kolejne
- Q&A

Orphinic Scientific to przełomowy model biznesowy dla sektora badań i rozwoju, doceniony przez globalnych graczy

Przełomowy model biznesowy

- Zespół Orphinic podejmuje **decyzje strategiczne** z poziomu Grupy, ale również odgrywa kluczową rolę w zarządzaniu spółkami portfelowymi
- Spółki portfelowe koncentrują się na **jednym aktywie**
- Nie kupujemy laboratoriów ani trwałych aktywów - **finansujemy projekty i inwestujemy we własność intelektualną**
- **Zdywersyfikowane** projekty w portfelu Orphinic Scientific S.A. obniżają ryzyko niepowodzenia dla naszych inwestorów.

”

Zupełnie nowy model biznesowy dla firm biotechnologicznych może okazać się przełomowy dla sektora badań i rozwoju (B&R): poszerza paletę form finansowania oraz kształtowania innowacyjnego portfela projektów.

McKinsey
& Company

Światowe spółki porównywalne

	KEY PEER gossamerbio	elevatebio	ROIVANT SCIENCES	bridgebio	Orphinic Scientific
Discovery	2	0	0	0	0
Przedkliniczna	0	6	3	8	✓ 5*
Faza I	1	1	3	3	✓ 2
Faza II	2	4	10	4	0
Faza III	0	1	1	2	✓ 1**
Wartość	\$940m	\$845m	\$7.3mld	\$8.0mld	\$121m***

* Obejmuje dwa urządzenia medyczne w fazie zaawansowanego prototypu

** Projekt w fazie przed-komercyjnej

*** Wartość \$121m to ważone ryzykiem NPV projektów znajdujących się w portfelu Orphinic Scientific S.A.

✓ Podobieństwo do graczy światowych

Osiągamy przewagę dzięki synergii kompetencji członków Komitetu Naukowego w pozyskiwaniu oraz rozwijaniu projektów biotechnologicznych



Adam Kruszewski MD, MBA
CHIEF EXECUTIVE OFFICER

- ✓ Rozwój kliniczny
- ✓ Transakcje wyjścia



Artur Płonowski MD, PhD
CHIEF MEDICAL OFFICER

- ✓ Transakcje wyjścia
- ✓ Strategia projektów



Jarosław Leszczyszyn MD, PhD, MBA
CHIEF SCIENTIFIC OFFICER

- ✓ Strategia projektów
- ✓ Rozwój kliniczny

Komplementarność umiejętności założycieli
zwiększa pewność udanej realizacji projektów

Nasz model biznesowy ułatwia sprawną weryfikację projektów, pozyskiwanie kapitału do finansowania ich dalszego rozwoju oraz skokowy przyrost wartości

Pozyskiwanie projektów

Medyczne DD

Finansowe i prawne DD

Decyzja Komitetu Naukowego

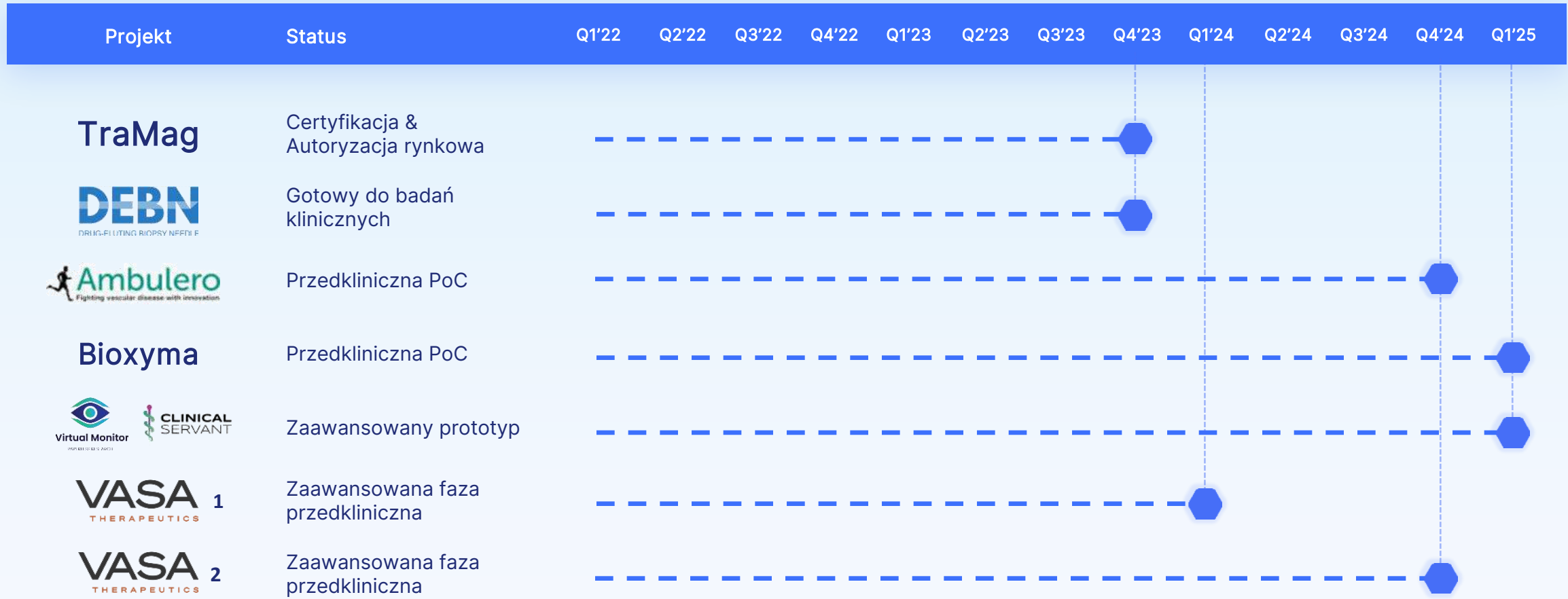
Alokacja zasobów

Prowadzenie projektu

Transakcja wyjścia

- Dzięki globalnej sieci kontaktów oraz rozwiązaniom wykorzystującym sztuczną inteligencję przeanalizowaliśmy **86 projektów w 2021 roku**
- **Zespół medyczny** weryfikuje potencjał komercjalizacji projektu
- **Zespół medyczny** weryfikuje potencjał komercjalizacji projektu
- **Zespół prawno-finansowy** weryfikuje założenia i wycenę oraz ryzyka prawne projektu
- Pozytywnie zaopiniowane projekty trafiają pod ocenę **Komitetu Naukowego**
- Forma spółki akcyjnej jako spółki holdingowej pozwala na elastyczne pozyskanie finansowania bezpośrednio na realizację potrzeb kapitałowych konkretnych spółek celowych oraz odpowiednią alokację Członków Zespołu do realizacji projektu
- Prowadzimy projekt do fazy przed komercjalizacją, a następnie realizujemy zyski przez sprzedaż dużym firmom farmaceutycznym

Rozbudowany pipeline z pierwszymi transakcjami sprzedaży planowanymi na Q4 2023 gwarantuje długofalowy wzrost wartości spółki

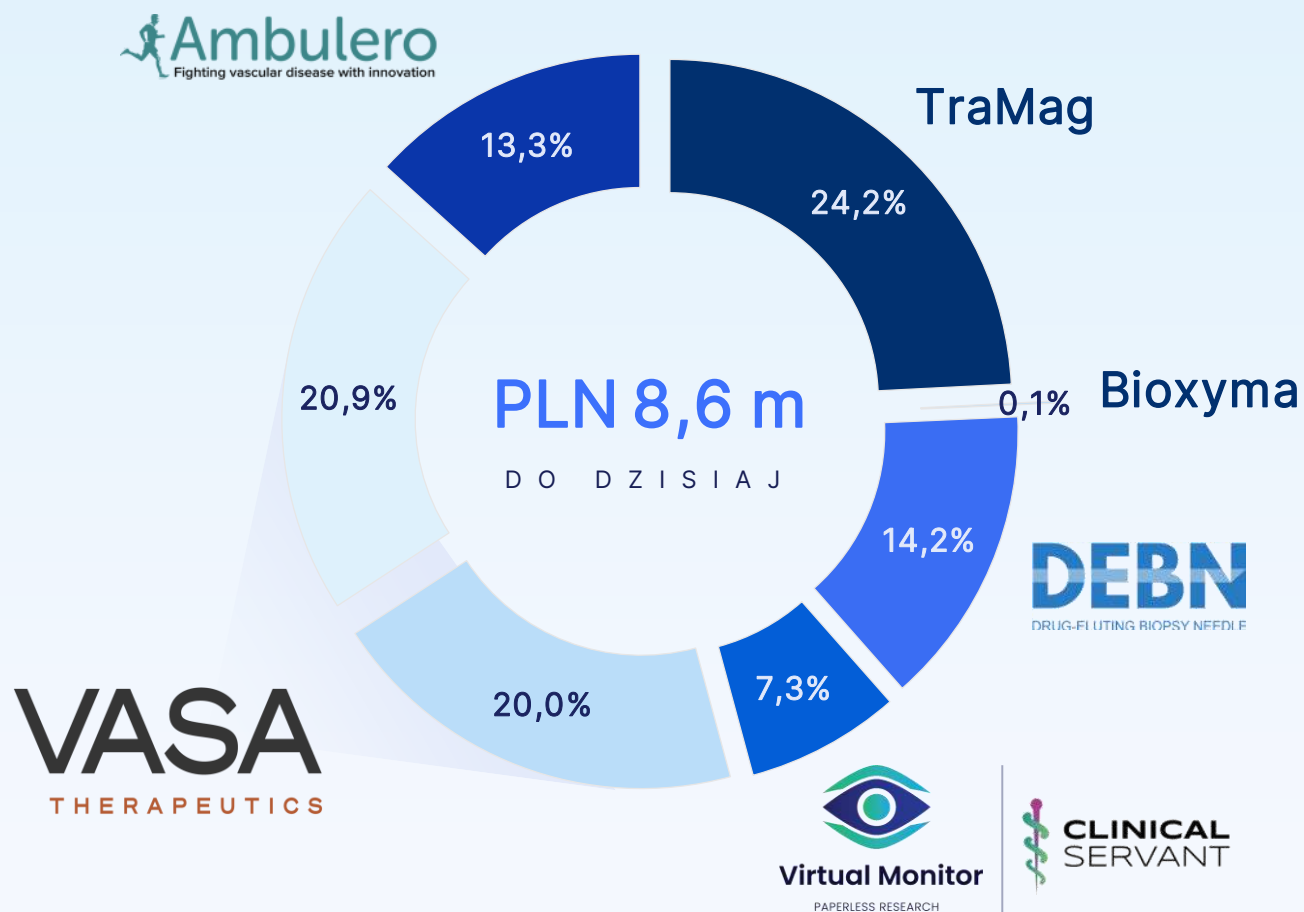


Światowej klasy zespół z sukcesami w realizacji inwestycji gwarantuje pomyślny rozwój projektów...



¹ Źródło: raport Bluestar BioAdvisors; ² Opracowanie własne spółki

...przy odpowiednio zdywersyfikowanych nakładach na poszczególne projekty



1. Do tej pory sfinansowaliśmy rozwój projektów portfelowych w łącznej kwocie PLN 8,6 m.
2. TraMag oraz DEBN, projekty najbliższe transakcji sprzedaży, wymagały ok. 38% wykorzystanych funduszy.
3. Dwa programy VASA stanowiły ok. 41% wykorzystanych funduszy.
4. Wewnętrznie rozwijany projekt VMCS skonsumował do tej pory 7.3% wykorzystanych funduszy.

Orphinic 2021 w liczbach

86

Przeanalizowanych
projektów

3

Nowo pozyskane projekty
do portfela

7

Projektów w portfolio

12

Docelowa liczba projektów
w modelu biznesowym
portfela

10m+

Zebranego kapitału w
kolejnych rundach
inwestycyjnych (PLN)

20m+

Finansowanie publiczne¹ w
spółkach projektowych
(PLN)

\$121m

NPV ważone ryzykiem dla
całego portfolio

4

Nowe funkcje w strukturze
organizacyjnej kluczowe z
perspektywy
funkcjonowania Grupy

¹ Zawiera finansowanie NCBiR, PARP, TISE

Poszerzyliśmy portfel do 7 projektów i wzmocniliśmy naszą pozycję dzięki współpracom z partnerami w regionie CEE oraz w USA

Poszerzenie portfela do 7 z docelowych 12 projektów

- W styczniu 2021 pozyskaliśmy dwa strategiczne projekty do naszego portfolio **VASA Therapeutics Program 1** oraz **Ambulero** – terapia genowa rozwijana w USA.
- W grudniu 2021 nabyliśmy **Program 2 VASA Therapeutics**, pierwszy w swojej klasie lek na chorobę naczyń obwodowych.



Współpraca z globalnymi graczami

- Współpraca z **Google for Startups CEE** zapewnia dostęp do atrakcyjnych projektów medtech i digital health w regionie.
- Współpraca z **ArchAngels Fund Chicago** i Washington pozwoli na dalsze budowanie sieci kontaktów w USA.
- **TriNetX** został kluczowym partnerem technologicznym dla Orphinica w zakresie projektowania oraz realizacji badań klinicznych.



Osiągnięcia 2021 umożliwiają szybki rozwój spółki z kolejnymi kamieniami milowym już w 2022...

4

Nowe projekty w portfolio
– 200 do
przeanalizowania



Ścisła współpraca przy
rozwoju Virtual Monitor



Wejście na rynek
amerykański i dostęp do
kapitału

Pre-IPO

Zebranie rundy
pre-IPO w USA



Niezależna wycena
projektów portfelowych



Partnerstwo w rozwoju
ekosystemu medtech i
digital health



Zaawansowane rozmowy
z inwestorami
instytucjonalnymi z Polski
i USA



Zaawansowanie prac w
kierunku wejścia
na Nasdaq

...oraz dwoma planowanymi transakcjami sprzedaży w 2023 roku

TraMag

Q4 2023
Transakcja sprzedaży

- Po rejestracji w PL/EU-oraz zaakceptowaniu IND w USA przewidujemy **transakcję sprzedaży w Q4 2023**.
- Szacowana roczne przychody ze sprzedaży, które osiągnie TraMag to ~ **\$186m rocznie** według niezależnego doradcy Bluestar.



Q4 2023
Transakcja sprzedaży

- Po zakończonych badaniach II fazy klinicznej w Q2 2023 przewidujemy **transakcję sprzedaży w Q4 2023**.
- Szacowana roczne przychody ze sprzedaży, które osiągnie DEBN to według niezależnego doradcy Bluestar to ~ **\$62m rocznie**

Fuzja z VASA Therapeutics przekształci Orphinic w firmę globalną z centrum strategicznym w USA i operacyjnym w CEE



1. Podpisaliśmy list intencyjny ze spółką portfelową VASA Therapeutics w celu potencjalnej fuzji spółek.
2. Transakcja pozwoli na dostęp do amerykańskiego rynku kapitałowego i uzyskanie wyższej wyceny w planowanej rundzie finansowania pre-IPO.
3. Ze strategicznego punktu widzenia po fuzji, Orphinic Scientific zostanie amerykańską spółką czerpiącą korzyści z silnej sieci kontaktów oraz rozpoznawalności w Europie Środkowo-Wschodniej.
4. Rozpoczęliśmy rozmowy z doradcami prawnymi i podatkowymi w celu zaprojektowania optymalnej struktury transakcji.

Akcjonariusze Orphinic Scientific uczestniczą we wzroście szybko rozwijającej się spółki

2021 — Przełomowe znaczenie w budowaniu długofalowej wartości spółki Orphinic Scientific SA

- Pozyskanie silnego portfela projektów i stworzenie strategii rozwoju spółki
- Stworzenie struktury do efektywnego i skutecznego zarządzania projektami

2022 — Kontynuacja wzrostu wartość spółki poprzez:

- Zamknięcie obecnej rundy 40m PLN finansującej szybki postęp prac w obecnych projektach portfelowych
- Przygotowanie wyjścia z 2 projektów oraz nabycie 4 nowych
- Lewarowanie arbitrażu wyceny i rundę pre-IPO na rynku amerykańskim





**Orphinic
Scientific**

Dziękujemy za uwagę!



**Orphinic
Scientific**

Załącznik

Orphinic Scientific S.A. został utworzony w 2019 roku jako pierwszy polski holding biofarmaceutyczny tworzący innowacyjne rozwiązania dla chorób sierocych (rzadkich) i innych wskazań o znaczących niezaspokojonych potrzebach medycznych (Therapeutics, MedTech i eHealth).

Podstawowy zespół naukowy Orphinic składa się z ekspertów z ponad 20-letnim doświadczeniem w procesie badań klinicznych i komercjalizacji projektów medycznych. Kompetencje Spółki w zakresie rozwoju klinicznego są dodatkowo wzmacniane poprzez współpracę z dużym CRO działającym w Europie Środkowo-Wschodniej, co ułatwia dostęp do zróżnicowanych populacji pacjentów, szybką rekrutację do badań klinicznych wspierających nasze projekty oraz znacznie skraca czas trwania poszczególnych faz.

Orphinic ma obecnie w swoim portfolio 7 projektów, od fazy przedklinicznej po etap zatwierdzania do wejścia na rynek, we wszystkich trzech segmentach opieki zdrowotnej: Therapeutics, MedTech i eHealth.

Orphinic aktywnie pozyskuje nowe projekty poprzez globalne kontakty z uniwersytetami, think-tankami i akceleratorami oraz rozwiązania AI. Przejmuje je i doprowadza do fazy komercjalizacji





TraMag

- Obszar terapeutyczny: **leczenie bólu przewlekłego**
- Lek przeciwbólowy pozwalający na zmniejszenie dawki substancji aktywnej przy utrzymanej efektywności i zmniejszeniu ryzyka efektów ubocznych.

Osiągnięcia w 2021r.

- Zaawansowanie procedury rejestracyjnej w URPL i EMA.
- Rozpoczęcie prac rejestracyjnych w USA
- Opracowanie metod analitycznych i zakup substancji czynnych do produkcji serii pilotażowej

Dlaczego wybraliśmy TraMag?

- Innowacyjny produkt odpowiadający niezaspokojonym potrzebom medycznym w leczeniu bólu przewlekłego
- Istniejące wyniki badań klinicznych potwierdzają hipotezę terapeutyczną i nowy mechanizm działania

Co się wydarzy w 2022 r.

- Rozpoczęcie produkcji i badań stabilności (luty 2022)
- Etap Rejestracyjny w URPL
- Złożenie dossier rejestracyjnego w FDA

Aktualizacja rynkowa

- Szacowana sprzedaż w USA wg niezależnych konsultantów Bluestar na poziomie \$186m rocznie¹

¹ Źródło: raport Bluestar BioAdvisors



DEBN

- Obszar terapeutyczny: urologia i onkologia
- Nowatorskie urządzenie medyczne do biopsji prostaty o zminimalizowanym ryzyku powszechnie występujących powikłań infekcyjnych

Osiągnięcia w 2021r.

- Dostosowanie protokołu badania klinicznego do nowych zaleceń Europejskiego Towarzystwa Urologicznego
- Pivot produktu do wymagań EMA
- Pozytywne testy HPLC nowej formułacji i pozytywne testy zamienników opakowań, opracowanie dokumentacji technicznej

Dlaczego wybraliśmy DEBN?

- Znaczna poprawa wyników leczenia pacjentów i obniżenie kosztów opieki zdrowotnej
- Projekt zaawansowany w momencie zakupu w skali TRL – 5.

Co się wydarzy w 2022 r.

- Produkcja igieł powlekanych na potrzeby testów walidacyjnych
- Produkcja igieł do badania klinicznego
- Rozpoczęcie badania klinicznego w 6 ośrodkach w Polsce i dwóch ośrodkach zagranicznych (we Włoszech lub Węgrzech)

Aktualizacja rynkowa

- Przewidywany wzrost rynku biopsji prostaty do \$380m w latach 2020-2024 (CAGR 11%).¹
- Co roku w USA i UE wykonuje się ponad 4m biopsji prostaty.¹
- Szacowana sprzedaż w USA wg niezależnych konsultantów Bluestar na poziomie \$62m rocznie.²

**Virtual Monitor**

PAPERLESS RESEARCH



Virtual Monitor & Clinical Servant

- Obszar terapeutyczny: zarządzanie badaniami klinicznymi
- System do automatycznego monitorowania badań klinicznych oraz kontroli dystrybucji i obiegu substancji medycznych w badaniach klinicznych przy wykorzystaniu dedykowanego zasobnika SCCT (Smart Container for Clinical Trials)

Osiągnięcia w 2021r.

- Złożenie wniosków patentowych i uruchomienie procedury międzynarodowej dla systemu Virtual Monitor
- Pozyskanie dofinansowania od NCBiR
- Termsheet z MediVenture
- Nawiązanie ścisłej współpracy z CRO Clinmark i partnerstwo z TriNetX
- Opracowanie dokumentu wymagań, makiet systemu oraz założeń dla konstrukcji zasobnika i schematów procesu badania klinicznego

Dlaczego rozwijamy VM/CS?

- Zmniejszamy koszty CRO o c.10% (VM) i rewolucjonizujemy sposób obiegu substancji medycznych podczas badań klinicznych (CS)

Co się wydarzy w 2022 r.

- Wykonanie oraz wdrożenie MVP VM oraz systemu TriNetX w ośrodkach badawczych
- Budowa demonstratorów technologicznych zasobnika SCCT do wykorzystania w eksperymencie w warunkach rzeczywistych
- Rozpoczęcie testowo badania klinicznego z wykorzystaniem opracowanych systemów i urządzenia

Aktualizacja rynkowa

- Wartość globalnego rynku CRO wynosi \$39.6bn¹
- Rynek CEE stanowi około 15% rynku globalnego ²



VASA Program 1

- Obszar terapeutyczny: układ sercowo-naczyniowy
- Pierwszy w swojej klasie mechanizm terapeutyczny do leczenia rozkurczowej niewydolności serca

Osiągnięcia w 2021r.

- Wybór związku VS-041 spełniającego kryteria kandydata klinicznego
- Rozpoczęcie syntezy wielkoskalowej VS-041 do badań skuteczności terapeutycznej i toksykologii
- Złożenie wniosku patentowego oraz prace nad drugim wnioskiem

Dlaczego wybraliśmy VASA 1?

- Niezaspokojona potrzeba - chorzy z niewydolnością serca z zachowaną frakcją wyrzutową (HFpEF) po pierwszej hospitalizacji, dla których obecnie nie ma standardu postępowania

Co się wydarzy w 2022 r.

- Ocena skuteczności terapeutycznej w modelach zwierzęcych
- Badania toksykologiczne
- Przygotowanie produktu do badania klinicznego 1 fazy w roku 2023

Aktualizacja rynkowa

- Całkowity amerykański rynek terapii niewydolności serca jest wart > \$40bn¹
- Wydatki tych pacjentów stanowią 2-3% całkowitych wydatków na opiekę zdrowotną w Stanach Zjednoczonych²



VASA Program 2

- Obszar terapeutyczny:
układ sercowo-naczyniowy/utrata masy mięśniowej związana ze starzeniem się organizmu
- Nowatorska terapia dla rozkurczowej niewydolności serca. Innowacyjny lek na chorobę niedokrwienia kończyn oraz na choroby powodujące utratę masy mięśniowej

Osiągnięcia w 2021r.

- Negocjacje i zawarcie umowy o ekskluzywne i globalne prawa IP
- Przejęcie portfola związków o dużej aktywności i rozpuszczalności

Dlaczego wybraliśmy VASA 2?

- Innowacyjny mechanizm działania, atrakcyjna postać farmaceutyczna (lek o przedłużonym działaniu do podawania raz w tygodniu)
- Potencjalnie wiele dodatkowych zastosowań, poza niedokrwieniem kończyn i sarkopenia (np. niewydolność serca, niewydolność nerek)
- Olbrzymi potencjał komercyjny

Co się wydarzy w 2022 r.

- Złożenie wniosku o grant SBIR w USA (złożony w styczniu 2022 r.)
- Zaawansowanie etapu badań przedklinicznych
- Nominacja kandydata do rozwoju klinicznego.

Aktualizacja rynkowa

- Bardzo nieliczne leki w badaniach klinicznych, nie ma żadnego leku o takim samym profilu działania.
- Wskazania posiadają duży rynek, który stanowi starzejąca się populacja, z szacowanym potencjałem sprzedaży globalnej **\$5mld rocznie.**¹

¹ Opracowania własne spółki

Ambulero



- Obszar terapeutyczny: **układ sercowo-naczyniowy**
- Pierwsza w swojej klasie terapia genowa w krytycznym niedokrwieniu kończyn u pacjentów bez innych opcji leczenia zachowawczego w przebiegu choroby Buergera lub miażdżycy drobnych naczyń

Osiągnięcia w 2021r.

- Zaawansowanie badań przedklinicznych
- Uzyskanie desygnacji leku sierocego w chorobie Buergera (BD) z FDA

Dlaczego wybraliśmy Ambulero?

- Brak zadowalającej metody leczenia krytycznego niedokrwienia kończyn (CLI) chroniącego przed amputacją
- Unikalny konstrukt AAV jest chroniony patentem
- Mechanizm działania stymulujący powstawania krążenia obocznego udowodniony w modelu zwierzęcym oraz u ludzi

Co się wydarzy w 2022 r.

- Rozpoczęcie badań toksykologicznych
- Produkcja materiału do badań klinicznych

Aktualizacja rynkowa

- Status leku sierocego pozwala na wczesną komercjalizację w BD (nieplanowana faza III)
- Amputacja i opieka po amputacyjna generują większość kosztów w leczeniu BD (c. \$2bn)¹
- Szacuje się, że rynek choroby Buergera będzie rósł rocznie ~3,1% (CAGR 2018-2023) i osiągnie wartość \$383m w 2023²



Bioxyma

- Obszar terapeutyczny: **leczenie bólu**
- Silna formuła przeciwbólowa zaprojektowana by przeciwdziałać uzależnieniom i redukować ryzyko przedawkowania przez chronicznie chorych pacjentów

Osiągnięcia w 2021r.

- Złożenie wniosku o dofinansowanie w konkursie Innoglobo
- Przeprowadzenie analizy potencjału komercyjnego na rynku USA w oparciu o feedback lekarzy i ubezpieczycieli

Dlaczego wybraliśmy Bioxymę?

- Innowacyjny w leczeniu silnego bólu przewlekłego.
- Bioxyma oferuje rozwiązanie kryzysu nadużywania silnych leków opioidowych, zwłaszcza w społeczeństwie USA.
- Projekt otrzymał dofinansowanie NCBiR w wysokości PLN 10m

Co się wydarzy w 2022 r.

- Opracowanie prototypowego leku do badań przed-rejestracyjnych
- Wyłonienie dostawców substancji czynnych i producenta leku do badań klinicznych
- Przeprowadzenie badań do patentu ADF oraz złożenie wniosku patentowego

Aktualizacja rynkowa

- Według raportu opublikowanego przez CDC (2019), 65% Amerykanów w wieku >65 cierpi z powodu przewlekłego bólu¹
- Globalny rynek bólu nowotworowego wygenerował \$5.3mld w 2017 roku. Przewiduje się, że osiągnie \$7.5mld w 2025, i.e. CAGR 4.5% (2018-2025)²

Postęp portfolio w kolejnych latach

	2022	2023	2024	2025
Planowane sprzedaży do Big Pharma		 TraMag	  	 Virtual Monitor PAPERLESS RESEARCH  Bioxyma
Nowe projekty zasilające portfel	4	2	3	2

W kolejnych latach planujemy utrzymywać stały portfel na poziomie 12 niezależnych projektów.

The background of the image features a dark blue gradient with a faint, repeating pattern of molecular structures. These structures consist of small spheres (atoms) connected by thin lines (bonds), arranged in a way that suggests a crystalline or molecular lattice. The pattern is most visible on the left and right sides, fading towards the center where the text is located.

Orphnic Scientific