

推动生物制药 加速发展

与投资者十问十答

• API

• 生物制药

• 病毒载体服务

• 药物早期和后期开发

• 临床试验解决方案

• 物流服务

• 商业化生产

目录

简介	3
商业模式和战略问题	4
1. 您的研究假设是什么？	4
2. 您的商业战略是什么？	5
团队与竞争问题	6
3. 团队创始人是谁？管理团队人员背景如何？	6
4. 您的竞争对手是谁？	7
基础设施与合作伙伴问题	8
5. 您在基础设施上投资了多少？	8
6. 您的开发和生产战略是什么，您的合作伙伴是谁？	9
7. 与您合作的是一家还是多家 CDMO？	10
8. 您如何看待提交给监管机构的数据包？	11
缓解风险与解决问题	12
9. 遇到问题您如何解决？	12
10. 您在项目的下一步中是如何给自己定位的？	13
结论	14
关于我们	15

简介

您在建立新药项目时需要考虑许多重要因素。毋庸置疑，其中一个最关键的因素是项目中下一个里程碑所需的资金问题，当您为解决资金问题而努力时，如果能从投资人的角度思考相关问题，将会对您十分有用。

为什么要从投资者的角度进行考虑呢？因为投资者把赌注压在您身上，他们希望您能有效地进行药物开发，并迅速地行动起来。在编撰本指南时，我们询问了投资界的资深人士和生物制药高管，假设双方坐下来细聊新药项目，他们会问哪些问题（以及他们曾经被问过哪些问题）。如果能认真回答这些问题，您的潜在投资者将更有可能看好您公司发展的前景。

我们还列出了一些您应该避免的“雷区”，有时候清楚地知道潜在投资者为什么迟疑不前，与了解他们很可能会问到的问题同样重要。



商业模式和战略问题

1. 您的项目是什么？

他们为什么要问这个问题？

为了确保为您新兴的制药公司争取资金投入，阐明您的核心理念是至关重要的。如果您能简明扼要地向投资者描述您公司的战略，投资者就能更清楚地判断您的项目是否有价值。尽管您的公司在发展的现阶段所掌握的信息有限，但是您需要让潜在投资者有兴趣进一步了解您的公司。

为什么这个问题很重要？

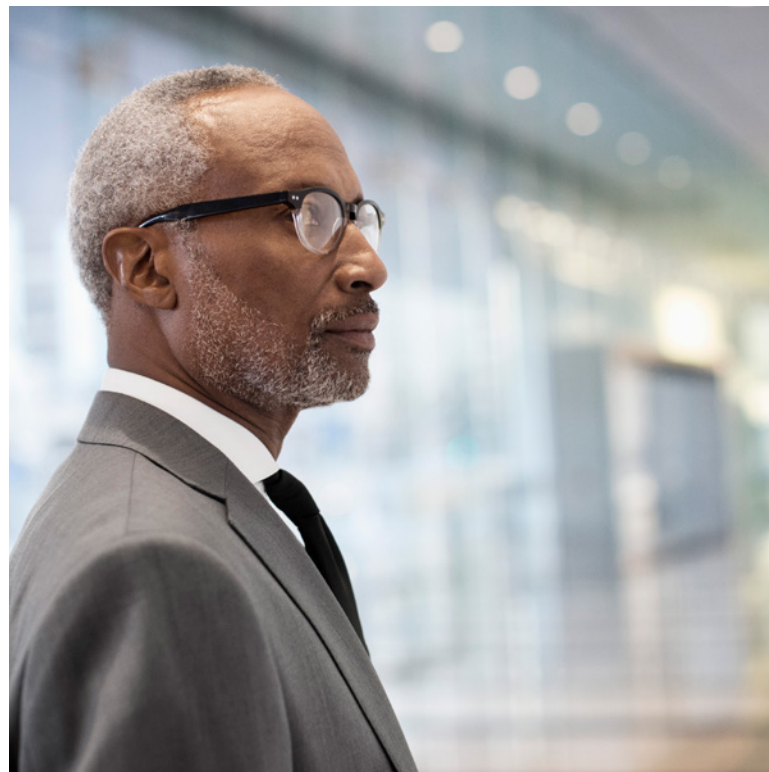
当投资者与您坐下来细聊时，他们会先问自己两个问题：这一项目是否值得冒险？这是否有相应的市场？您所描述的公司核心理念以及适销市场越清晰，您找到认可这个理念的投资者的可能性就越大。

最好的回答是什么？

简明扼要地写出您的回答，并记下来。例如，如果您项目的作用机制是某特定抗体的作用机理可以治疗罕见疾病，请用最简练的文字来说明。

雷区：没有准备电梯游说内容

制药和生物技术投资者会定期参加会议，期间会有数十家满怀抱负的公司在会上发表简短的推介演讲，这一流程通常称为“极速配对”环节，如果您无法用一两句话说明您的治疗方法、技术的重要性和价值，投资者就会质疑您的项目。大多数投资者不是科学研究人员，如果您无法简明扼要地阐述您的公司将为世界所创造的价值，他们很可能就忽略了您的项目。最好的建议就是您在接触投资者之前，要充分准备好 15 秒的电梯游说。



2. 您的商业战略是什么？

投资者为什么要问这个问题？

风险投资和大型制药公司要对投资者和股东负责，而且投资者和股东往往关注的是他们多快能看到投资回报。他们其实很清楚，大部分投资未必会成功，所以投资者和股东想的是在这一项目投资“快速失败”之后，如有必要，再转而投资下一个有前途的公司。他们可能也会给您的公司进行一次里程碑投资，看看您计划如何完成这个里程碑目标。

为什么这个问题很重要？

对于投资者来说，了解规定项目进度中的各种风险是至关重要的。如果您的研究假设进行验证需要 500 万美元，那么投资者就会想知道您如何落实您的项目计划，以及您多久可以得出结果。

最好的回答是什么？

您不仅要向投资者阐明当前的详细战略，还要提供未来三到五年的详细战略，包括关于中途退出的战略。投资人认为详细了解每一步的战略规划是很有必要的，这样他们才有可能对下一步的投资感兴趣。

例如，您可能计划将一种药物用于临床，一旦其影响的患者群体规模日益扩大时，就出售给制药公司或其他收购实体。另一方面，您可能计划建立一个可持续性发展的、综合性的生物制药公司，并准备 IPO 上市。或者计划与一家大型制药公司合作，推动药物的商业化。这三个方向都是合法的，关键是您要能清楚地阐述出您所设想的未来。

雷区：不切实际的进度安排或预算

尽管投资者们本身可能不是科学研究人员，不过大多数投资者都会聘请科学专家作为顾问，根据顾问给的建议去斟酌、筛选投资候选人。候选人的自信是给投资者留下好印象的关键，投资者也能意识到这些公司往往只介绍最为理想化的项目进程，但是候选人如果对进入临床阶段的时期过于自信，则会适得其反。

坐在您对面的很可能就是商业大佬，所以您最好告知投资者您有十足把握的方面，勇于承认您能力有待完善的方面，药物进入临床阶段的预算如果低估了诸如特殊原料、原料药 (API) 处方、病毒载体生产或生产冗余等成本，可能就会让您陷入困境。同样，如果场地、设备和昂贵的人工等前期投入太多，也会让您举步维艰。

团队与竞争问题

3. 团队创始人是谁？管理团队人员背景如何？

投资者为什么要问这个问题？

虽然大多数投资者会事先研究这个话题，但他们还是想亲耳听您讲讲自己的业绩，了解您的领导团队在事业方面取得的成就，以及他们在新公司的表现。现阶段您的公司可能不是一家设立了董事会的上市公司，但投资者仍然想知道谁是您的关键意见领袖 (KOL)，谁在为您提供指导？不管您是遭遇了各种问题，还是最后成功了，KOL 将如何帮助您确定发展方向？投资者也希望他们所听到的计划与战略内容前后一致，条理清晰。有人曾引用一家大型制药公司领导者的话：“当与别人面谈的时候，要问每个人同样的问题，您要确保您得到的答案是一致的”。

为什么这个问题很重要？

投资者认可您组建了一支优秀的团队，这点很重要，这支团队需要掌握运营专长、具备富有洞察力的科学思维、创业创新领导力，以及不断积累 CMC 专门技术/知识。根据投资者的投融资模式，他们可能还想确定您是否愿意与他们合作，组建一支更完整的团队，通常投资者会以其精准的商业敏感度完善您现有的科学技术/知识，比如投资者或风险投资公司可能会给您推荐一名 CEO。

最好的回答是什么？

强调您和您的团队成员在过去所取得的成绩，因为投资者相信，已有的成功会带来更多的成功。切记还要提到您在科技与资金方面所具备的实力。如果投资者知道他们不是因为您没有说服其他投资人投资而不得不加大投资力度的唯一投资方时，他们的担忧与疑虑会减少一些。

雷区：太过自负

作为一名成功的学术型研究人员，您可能取得了医学博士学位，担任过一家知名实验室的责任研究人员，还可能发现过某种分子，并且还可能成立了自己的公司，您甚至还可能在一家大型制药公司领导过某个治疗方面的完整项目。总之，您可能习惯于被认为是您所在团队中最聪明的人。您的自信可以让投资者看到并认同您对项目的愿景，但许多风险投资者并不看好项目负责人过度的傲慢与自负，如果您已经 15 年没说服任何投资者对您的项目投资时，过度自负尤为要不得。

投资者寻找的是有斗志的企业家，这样的企业家知道如何完成项目，知道如何更高效地取得最优异的成果。另一方面，投资者会密切关注那些声称自己几乎不需要他人帮助即可独立完成所有事情的初创企业，并保持警惕。新一代生物技术风险投资公司更注重协作、携手共进的公司发展和创建过程。如果您的治疗方法或药物可以挽救患者的生命，颇具声望的公司也会帮助您取得成功。傲慢是寻找投资者的大忌，谦逊才是最好的战略。

投资者更希望听到的是：“我不知道如何回答它，但我知道其重要性，这是我如何考虑的。”

4. 您的竞争对手是谁？

投资者为什么要问这个问题？

每个投资者都希望确定您不是剽窃了市场上已有的想法。即使市面上已经有许多竞品，投资者也想知道您在应对这些竞争压力的优势是什么。比如说：您的产品与其他竞品相比主要优势是什么——耐用性、功效、剂量或其他方面？为什么您的项目具备其他项目所不具备的临床价值呢？

为什么这个问题很重要？

如果十家公司对一个问题提出了相同的研究假设和解决方法，且如果您的竞争对手在这一方面要比您研究得更为深入，那么这将削弱您公司的价值，因为投资者希望他们所做出的决策是明智的。

最好的回答是什么？

在您说服投资者投入资金之前，请尽可能地彻底研究竞争对手。如果有人已经提出过与您类似的研究假设，请准备好向投资者阐述您的方法的独特之处。花时间进行尽职调查，并准备好捍卫您所具备的独特竞争力，无论是治疗方法、原材料的使用（和冗余供应）、CMC 要求、放大工艺，还是其他任何可以证明投资您的公司是一种科学合理的商业投资行为的特质。

雷区：“我们没有竞争对手”

一些创新者认为，他们的创新解决方案是新颖的或独一无二的。除非这种疗法是一种基因疗法，而且没有其他创新者涉足这种特定适应症的研究，否则就会存在竞争。



基础设施与合作伙伴问题

5. 您在基础设施上投资了多少？

投资者为什么要问这个问题？

您在药物发现研究中需要完成的大部分工作现在都可以外包，如果您计划购买大量设备或雇用大量科学人员来解决项目的核心问题（研究项目取得了成果/停滞不前的问题），那么这种战略很可能会遭到投资者的质疑。

为什么这个问题很重要？

投资者正在寻找能够高效运营的新兴企业，而这些企业往往没有老旧企业出现的基础设施负担过重的问题，正因如此而激起了他们的投资兴趣。正如 CRO 行业的发展是为了完善（在许多情况下是为了取代）制药公司进行自主试验一样，CDMO 行业为新兴药物的开发和生产提供了更为经济和科学的有利模式。如果您将工作的重中之重放在内部基础设施之上，且高于评估数据与跟进项目进度所需的内部基础设施与技术专长的基本水平，您可能需要提供强有力的证据来证明您这样做所能创造的价值。

而且别忘了，与信誉良好的 CDMO 协作，您的 CMC 团队将会为公司锦上添花，而非形同虚设。

最好的回答是什么？

态度诚实，并拿出强有力的证据，说明您为什么必须对药物发现和开发项目的某些要素进行内部控制。如果您认为通过与一家综合型的 CDMO 合作可以降低风险，请尝试采用这种战略方法。

雷区：太关注效率，而不注重创新

追求更高的效率，降低工程等领域的成本，在大型成熟公司中可能是有用的，但在新兴的生物技术公司中往往不能推动价值创造。如果您供职的公司是一家注重节约成本的大型公司，而在一个新成立的公司里宣称要提高效率，那么对投资者来说，这听起来就很离谱。没有人想刚当上 CMC 业务的副总裁就对董事会说：“我以为我可以节省 50 万美元，但是现在这个项目已经延迟 6 个月了。”



6. 您的开发和生产战略是什么，您的合作伙伴是谁？

投资者为什么要问这个问题？

投资者想了解您的临床开发战略，而该战略是基于确保可靠的产品供应所需的高现金消耗率和供应链能力，尤其是在细胞和基因治疗这样高度复杂的领域。新药化学、制造与控制 (CMC) 技术也越来越重要，因为大多数投资者明白，出色的临床数据本身并不足以支持扩大产品的生产规模和获得监管机构的批准。表征分析和了解工艺、产品质量才是至关重要的。

投资者知道，大多数小型公司既没有规模也没有资源来开发和生产自己的药物，所以他们也需要了解您的外包战略。与小分子药物相比，生产大分子药物的难度更大、成本更高，因此，与一家有威望的、殊勋茂绩的 CDMO 建立牢固的生产关系，对投资者来说才是重要的。按理说，投资者更有可能认可过去与他们有良好合作关系的 CDMO。

为什么这个问题很重要？

投资者想知道，您是否将使用一种较为成熟的方法来推动产品的商业化进程。新兴公司需要可靠的、优质的合作伙伴，他们不仅要开展药物开发和生产工作，还要帮助阐释病理报告和 DMPK 研究结果。好的合作伙伴还能预测到上游开发和生产决策对下游的影响，并能帮助您向 FDA 等监管机构提交它们所要求的数据包。

最好的回答是什么？

如果您需要依靠占地 15,000 平方英尺的工厂所具备的产能来生产足够的产品，从而实现创收潜力，请确保您已检查过相关数据。无论您计划如何解决内部建设、外包或综合策略等问题，投资者都希望您能证明您了解供应链的要求。

根据一系列影响绩效结果的关键因素，谨慎选择您的 CDMO 合作伙伴。向投资者解释您所做出的决定是根据以下因素：

- **业绩**
 - 公司是否成功将某产品商业化？
- **质量工艺**
 - 选择这家公司是否会有风险？
 - 根据这家公司过去所完成的项目，可能会存在检查问题吗？
 - 之前是否获得过 FDA 的批准？
 - 产品在注册批准前检查中的结果如何？
- **知名度**
 - 公司是广为人知，还是名不见经传？

思考如何用最佳方式来阐述您正在关注实现下一个里程碑的最有效途径，但您也希望获得关键的基础性投资，使您在下一个阶段可以更快地取得成功。这二者之间是很难达到平衡的，所以在向投资者推介之前，要与您的团队和合作伙伴一起制定应对措施。

雷区：言过于实或“干不擅长的领域”

在您游刃有余的科学领域表现出十足的信心和信念是好事，但是在您不擅长的领域也同样如此的话，则不可取。例如，如果您还没有真正制定您的 CMC 战略，您最好大大方方地承认这一点，而不是试图含糊其辞、顾左右而言他。如果您开始侃侃而谈“我们真的要打破 CMC 的定式思维，进行创新”或“是的，我们可以生产产品；不用担心这个问题”，那就会有一些人瞠目结舌。风险投资人并不期望一个分子生物学家能解决所有问题，但对一个分子生物学家来说可以与其他拥有这方面专业知识的人协作，这一点至关重要。

7. 与您合作的是一家还是多家 CDMO?

投资者为什么要问这个问题?

每个投资者都希望尽可能地确保其投资具有前瞻性。如果您的公司与多个 CMO 或 CDMO 签订了原料药、药物、临床试验和其他服务相关的合同,那么很可能每一个新团队都需要重新开始每一个步骤。

为什么这个问题很重要?

投资者更希望您继续专注于完成下一个里程碑,而不是将精力用在规培新供应商和管理多种关系上,尤其是在新供应商和现有供应商存在相互竞争关系的情况下。

最好的回答是什么?

请记住,作为一家新兴的生物制药公司,您必须用有限的预算和资源快速推进项目的进程,才能进行新药首次人体临床试验,从而进行概念验证。如果您目前的项目有多个合作伙伴一同协作,这可能会增加项目的风险,所以您需要拿出一个强有力的证据,证明您的项目不会遭遇道这样的大风险。您也可以考虑收集规模较大的、综合型的 CDMO 所提出的方案,由此一来,您就可以减少协商条款、监督细节和在各合作伙伴之间走流程所需的时间。

雷区: 分散精力

投资者更希望您专注于科学和开发,而不是担任多个 CDMO 合作关系的项目经理。与多个 CDMO 合作也可能增加风险,造成项目延误。如果您的注意力被过多的外包合作伙伴所分散,那么您可能会被问到为什么不考虑与一个可以代替您监督项目的、规模更大的、综合型合作伙伴进行合作。



8. 您如何看待提交给监管机构的数据包?

投资者为什么要问这个问题?

尽管这似乎是一个下游需要考虑的因素,但是在收到I期临床试验结果之后, FDA 常常会为了加速药物认证进程而很快要求提交其他相关资料,这会使许多细胞和基因治疗初创公司措手不及。FDA 预测,到 2025 年之前, FDA 将每年批准 10 到 20 种细胞和基因治疗产品¹,因此,提前考虑需要向监管机构提交的资料是很重要的。

为什么这个问题很重要?

一个丰富、高质量的数据包是快速、成功向监管机构提交资料的关键。当您与一家综合型 CDMO 合作时,所有的信息和经验都在专注于您计划的团队间共享。如果您的研究项目被细分给多个 CMO 或 CDMO 同时完成,投资者可能不得不投入时间和金钱来帮助整合数据包。投资者认为这无法很好地利用其宝贵资源。

最好的回答是什么?

在您向投资者推介之前,请与一些专家讨论您获得清晰且合规的综合数据包。如果与一家综合型 CDMO 合作只是解决方案的一部分,请将其整合到您的规划过程之中。



缓解风险与解决问题

9. 遇到问题您如何解决？

投资者为什么要问这个问题？

如果您尚未进入到新药临床试验申请 (IND) 阶段，投资者不太可能询问您对非常具体的问题的应对办法。对于这样的问题，投资者可能是想确定您是如何考虑应对问题或制定 B 计划的，这两者都是建立投资者信心的重要考虑因素。鉴于目前新冠疫情尚在全球流行的大背景，新的考虑因素也出现了。例如，如果由于封锁限制，您无法考察位于欧洲的 CDMO，您将如何确保高质量？

为什么这个问题很重要？

问题和挑战是生物制药业务与生俱来的一部分特质，所以投资者希望深入了解您的思维过程。从他们的角度来看，他们不希望参与您的这个项目是被拉进来砸更多的资金（甚至是更多的时间）来助您完成项目。

最好的回答是什么？

事先考虑您的项目可能会面临的不同类别的问题，以及您将如何解决这些问题。例如，如果生产问题是在研发项目的关键路径上，您可以考虑控制生产冗余。您也可以考虑选择一个生产合作伙伴，该合作伙伴需要能够识别生产过程中出现偏差的根本原因，并有覆盖广泛的资源网，可以帮助您应对偏差。当出现问题时，最好的解决办法就是表达出：“我们想合作的那家 CDMO 最适合我们的产品，它有能力扩大产能，并且拥有覆盖广泛的资源网。我们可以利用它在此地的资源进行分销。它有丰富的合规经验。鉴于这一切，我们的 CDMO 可以帮助我们管控可能出现的任何问题。”



10. 您在项目的下一步中是如何给自己定位的？

投资者为什么要问这个问题？

药物开发为一家年轻的生物制药公司带来了许多选择，包括您所选择的合作伙伴以及他们可能引导您做出的决定。例如，如果您正在开发一种小分子药物，您将为您的原料药 (API) 选择什么样的开发道路呢？

为什么这个问题很重要？

投资者希望知道，您已经把今天可以控制的所有风险都排除在外了。在上一段所列举的原料药例子中，您可能会在处方中选择纯度而非收率，但是不对分子进行充分地表征分析并研究处方和溶解度。如果这会影响下游的生物利用度并增加成本，那么就下一步而言，这可能是一个目光短浅的决定。然而，如果您的 CDMO 同时整合了原料药和制剂的能力，这种情况就不太可能发生。

最好的回答是什么？

确保您已经深入了解了开发决策对下游的影响以及潜在合作伙伴的远见。如果您与投资者详谈之前，就已经考虑过这些问题，这样您会给投资者留下深刻的印象。



结论

显然，在向投资者说明情况时，您需要考虑很多方面。在推介前得到基本问题的答案，您的成功机会就会更大。

- 我的概念是什么？
- 具备什么优势？
- 验证假设需要多少费用？
- 我怎样才能使我的药物开发和生产尽可能快地成功？

还要确保您与具备相应必须技能和经验的 CDMO 合作，他们能给予您相应的关怀和项目管理支持，尽可能多地整合开发和生产步骤，明确你们的合作方式，并能帮助您从战略上考虑商业供应问题。

如果您能证明您已经认真考虑了生产问题，一些投资者将更愿意给您一个更高的估值，并提供更多的资金。一旦如此，您就更有可能获得投资，向给患者带来福音的愿景更近了一步。

“当与别人面谈时，要问每个人同样的问题，您要确保您得到的回答是一致的。”

——一家大型制药公司的领投者

投资类型

种子轮融资：

借助朋友和家人的资金初步落实想法

A 轮融资：

风险投资资金来启动您的公司，最好是让您完成药物发现并进入临床阶段

B 轮融资：

风险投资资金通过临床试验确保您项目的安全性、有效性和对大规模患者有疗效

夹层融资：

额外的风险投资资金，以弥补预算的不足或资助额外的必要研究，实现您的目标

IPO 融资：

公开融资，让您的公司被广大投资者所知道

关于我们

坚守质量承诺、具备强烈个人责任感与道德感、先进专业技术的员工是赛默飞宝贵的财富，也是赛默飞坚持不懈践行对服务、科学和过程工程承诺的源源不竭的动力。

赛默飞通过旗下的 Patheon™ 品牌在药物开发、临床试验物流、商业化生产等领域为广大客户提供行业领先的制药服务解决方案。我们在全球各地拥有超过 55 个分支机构，在药物开发的各个阶段为客户提供一体化的、端对端的产品和服务，涵盖了原料药 (API)、生物制药、病毒载体、cGMP 质粒、处方开发、临床试验解决方案、物流服务、商业化生产和包装等多个领域。我们能够为广大制药公司和生物科技公司提供一个覆盖美洲、欧洲、亚洲和澳洲的全球性资源网，包括多家工厂与多名技术专家。

我们在科学和技术上的卓越成就与声誉，造就了我们的全球领导地位，通过 Quick to Care™ 项目，我们能够根据您的药物开发计划，为您量身定制一体化的集成式药物开发和临床服务，助您成功。作为一家行业领先的制药服务供应商，我们可以为客户提供最优质、最可靠、最合规的产品与服务，并始终与广大客户携手并进，致力于快速将制药行业的各种可能性转变为现实。





关注赛默飞 Patheon™ 中国
获取更多资源

+86 21 6865 4588 • pharmaservices@thermofisher.com • www.patheon.cn

© 2021 赛默飞世尔科技(中国)有限公司保留所有权利。
发布日期: 2021/09

ThermoFisher
SCIENTIFIC