



# Qurient

Therapeutics

Investor Relations Guide Book



Innovation for Unmet Medical Needs

Qurient

# ent



## **DISCLAIMER**

본 자료에 포함된 (주)큐리언트 (이하 '회사')의 경영실적 및 재무성과와 관련한 모든 정보는 기업회계기준 및 한국채택국제회계기준에 따라 작성되었습니다. 본 자료는 향후 매출계획 등 미래에 대한 '예측정보'를 포함하고 있습니다. 이는 과거가 아닌 미래의 추정에 기인하여 성장 가능한 목표치를 경영실적으로 반영하고 있으며, '예상', '전망', '계획', '기대', 'E', 'F' 등과 같은 용어를 사용하였습니다. 위 '예측정보'는 경영환경의 변화에 따라 적지 않은 영향을 받을 수 있으며, 이러한 불확실성에 따른 현상은 미래의 경영실적과 중대한 차이가 발생할 수도 있습니다. 또한 각종 지표들은 현재의 시장상황과 회사의 경영목표 및 방침을 고려하여 작성된 것으로 시장환경의 급속한 변화 및 투자환경, 회사의 전략적 목표수정에 의하여 그 결과가 다르게 나타날 수 있습니다. 따라서, 투자자는 투자판단을 내리기에 앞서 반드시 투자설명서 및 회사의 공시사항을 확인하여야 하며, 본 자료에 열거한 사항은 어떠한 경우에도 투자자의 투자결과에 효과를 미치지 못하므로 법적인 책임이 없습니다.

## Discovery to Proof-of-Concept in Human

Cost Effective Innovation through Network R&D Model



### Discovery



### Commercialization

연구기관의 상업화 통로  
글로벌 제약사의 혁신신약 공급원



MAX-PLANCK-GESellschaft



한국파스퇴르연구소



"검증된 PM Specialist"  
"글로벌 전문가 네트워크"  
"글로벌 CRO 네트워크"  
"Qurient Project Management System"

AstraZeneca



NOVARTIS



## 글로벌 임상을 통한 혁신신약 개발 (글로벌 임상 2 / IND 준비 2 / 최적화 연구 2)

|     |                                           |                       | 기초연구                                                                                                                       | 개발후보 선정                         | 전임상 개발    | 임상 1상 | 임상 2상 | 임상 3상 |
|-----|-------------------------------------------|-----------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------|-----------|-------|-------|-------|
| 항암  | 면역항암제<br>Q701                             | First<br>In Class     | <br>독일 막스플랑크 연구소                          | IND 준비 중                        |           |       |       |       |
|     | 면역항암제<br>Q702                             | First<br>In Class     | <br>독일 막스플랑크 연구소                          | IND 준비 중                        |           |       |       |       |
|     | CDK7저해<br>신규항암제                           | First<br>In Class     | <br>독일 막스플랑크 연구소                          | PCC 선정 중                        |           |       |       |       |
| 항생  | 다제내성<br>결핵 치료제<br>Telacebec <sup>1)</sup> | First<br>In Class     | <br>한국파스퇴르연구소<br>Institut Pasteur Korea | 미국/남아공 임상 2a상 (US FDA 희귀의약품 지정) |           |       |       |       |
| 항염증 | 아토피성<br>피부염치료제<br>Q301                    | Drug<br>Repositioning | <br>Qurient<br>Therapeutics             |                                 | 미국 임상 2b상 |       |       |       |
|     | 5LO 저해<br>천식치료제                           | Best<br>In Class      | <br>Qurient<br>Therapeutics             | 최적화                             |           |       |       |       |

1) 2018년 3월 Q203의 USAN, INN 성분명으로 "Telacebec" 확정



## 항암 개발 프로그램

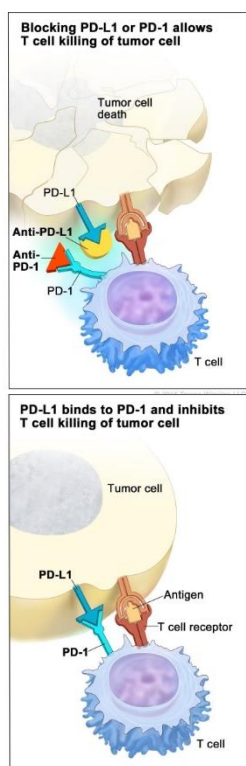
—

1. Q701 : Axl/Mer 저해제
2. Q702 : Axl/Mer/CSF1R 저해제

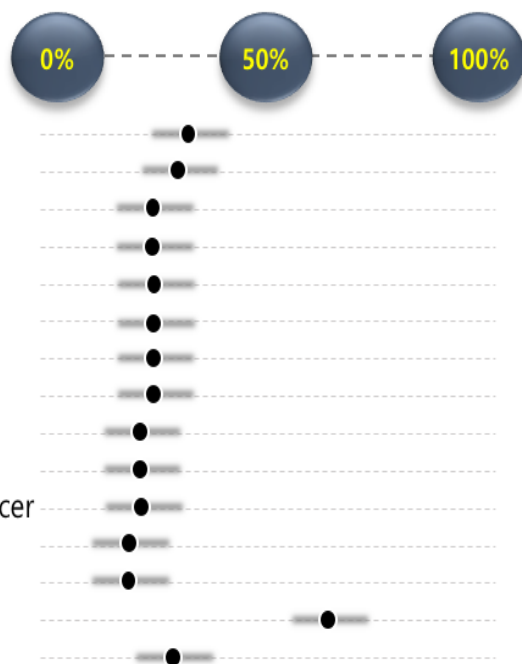
Innovation for Unmet Medical Needs

## 고성장 전망되나 낮은 환자 반응률과 Payer 재정부담

### 면역항암제의 Unmet Medical Needs : 낮은 환자 반응률



Melanoma  
 UBC  
 NSCLC  
 HCC  
 HNSCC  
 RCC  
 SCLC  
 Esophageal  
 TNBC  
 Gastric  
 Ovarian Cancer  
 CRC  
 GBM  
 Hodgkin  
 NHL

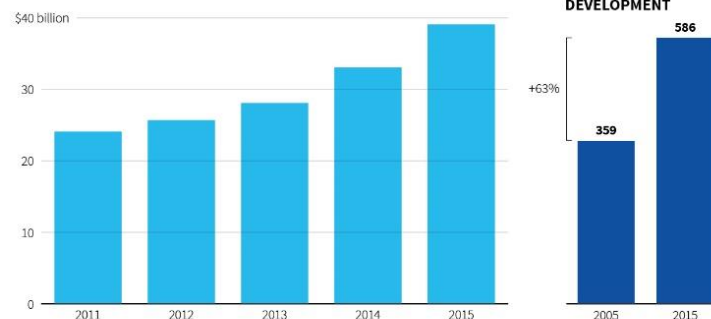


### 면역항암제의 Unmet Medical Needs : Payer 재정 부담

#### Oncology drug prices

Scientific progress, pricing power, drive pharmaceutical companies to emphasize oncology research.

#### U.S. SPENDING ON ONCOLOGY MEDICINES



#### PD1/PDL1 CHECKPOINT INHIBITOR PRICES

Estimated average per month\*

|                                            |                               |                                  |                                        |
|--------------------------------------------|-------------------------------|----------------------------------|----------------------------------------|
| Opdivo<br>BRISTOL-MYERS SQUIBB<br>\$13,100 | Keytruda<br>MERCK<br>\$13,000 | Bavencio**<br>PFIZER<br>\$13,000 | Tecentriq<br>ROCHE HOLDING<br>\$12,500 |
|--------------------------------------------|-------------------------------|----------------------------------|----------------------------------------|

\* Drug price is based on the milligrams of medicine used and varies with the weight of the individual patient.

\*\* Bavencio's price is the wholesale acquisition cost for an average patient.

Sources: QuintilesIMS Institute ; Reuters

C. Chan 30/03/2017

REUTERS

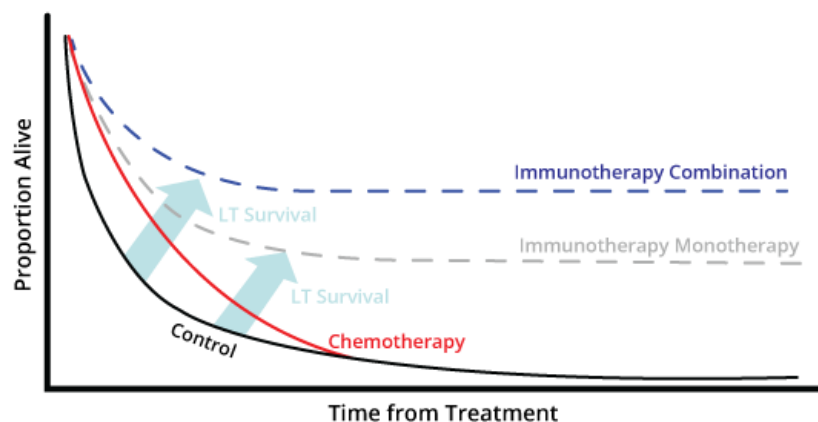
### Payer (의료 보험 및 당국)의 딜레마

약 20-30% 환자에게 탁월한 치료 효과 vs. 약 70~80% 환자에게는 치료비용 낭비

## 새로운 면역항암제와 combination을 통해 극복 시도

### 면역항암제의 Unmet Medical Needs 극복 목표

Figure 2. The promise for immunotherapy in oncology

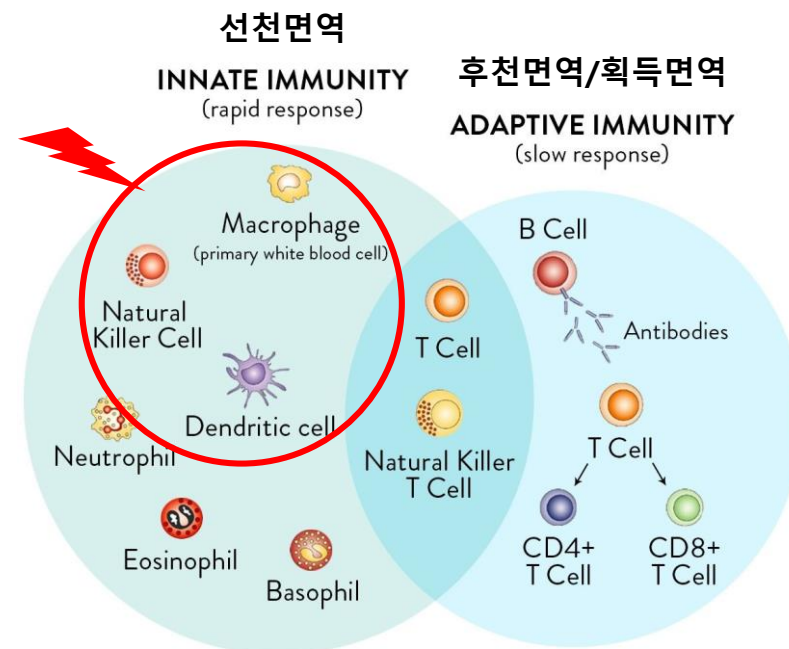


For many disease states, the tail of the survival curve with immunotherapy represents a significant improvement over controls, with combination regimens providing an even greater advantage. Nevertheless, long-term survivors are still in the minority. Given the high cost of these agents, discovery of biomarkers is essential to mitigate the amount of resources wasted on ineffective therapy.



Credit: Michael Kolodziej, MD, National Medical Director for Oncology Solutions, Aetna

### 면역항암제의 Unmet Medical Needs 극복 방법



## 현 T세포 면역관문 치료제와 상보적인 기전에 집중

선천면역 활성화를 통한 T세포 면역관문 치료제 반응을 개선을 시도하는 것이 세계적 추세

## 글로벌 면역항암제 개발 방향은 T세포 면역관문억제제의 반응을 향상에 주력

선천면역관문억제제를 통한 단독 투여 및 병용 투여에서의 항암 면역 활성화

|          |    | IDO inhibitor                                                                     | CD122 agonist                                                                     | CSF1R Inhibitor                                                                               | Axl Inhibitor                                                                       | Axl/Mer/CSF1R Inhibitor                                                             |
|----------|----|-----------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|
| 회사       |    |  |  |  Plexxikon |  |  |
| 과제       |    | Epacadostat                                                                       | NKTR-214                                                                          | Pexidartinib                                                                                  | Bemcentinib (BGB324)                                                                | Q701/702                                                                            |
| 개발 단계    | 단독 | 임상 1상                                                                             | 임상 1상                                                                             | 임상 3상                                                                                         | 임상 1상                                                                               | 전임상                                                                                 |
|          | 병용 | 임상 2상                                                                             | 임상 1/2상                                                                           | 임상 1/2상                                                                                       | 임상 2상                                                                               | 전임상                                                                                 |
| 동물 시험 결과 | 단독 | 일부 효능                                                                             | 일부 효능                                                                             | 일부 효능                                                                                         | 일부 효능                                                                               | 완전 효능                                                                               |
|          | 병용 | 시너지                                                                               | 시너지                                                                               | 시너지                                                                                           | 시너지                                                                                 | 시너지                                                                                 |
| 기업가치     |    | 15 조원<br>(나스닥)                                                                    | 9 조원<br>(나스닥)                                                                     | 1 조원<br>(다이어찌산쿄 인수)                                                                           | 3200 억원<br>(노르웨이)                                                                   | 2000억원<br>(코스닥)                                                                     |

## 면역항암제 병용처방 개발의 패러다임 변화

### PD-1/PD-L1 항체 개발 당시 패러다임

Figure 20: Anti-tumor response in a syngeneic mouse tumor model of M38 colon adenocarcinoma when treated with anti-mouse-PD-1 mAb

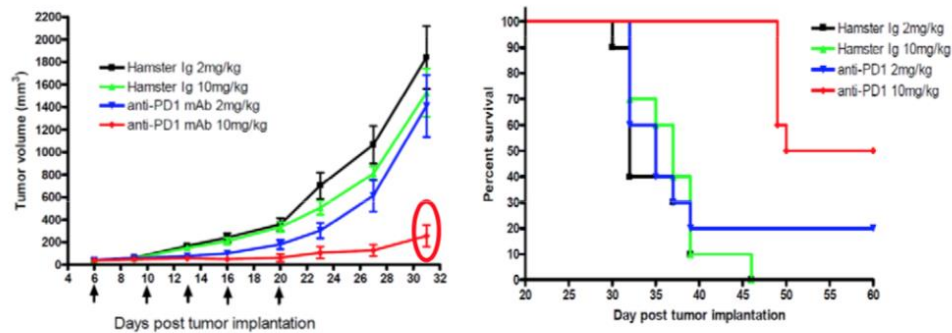
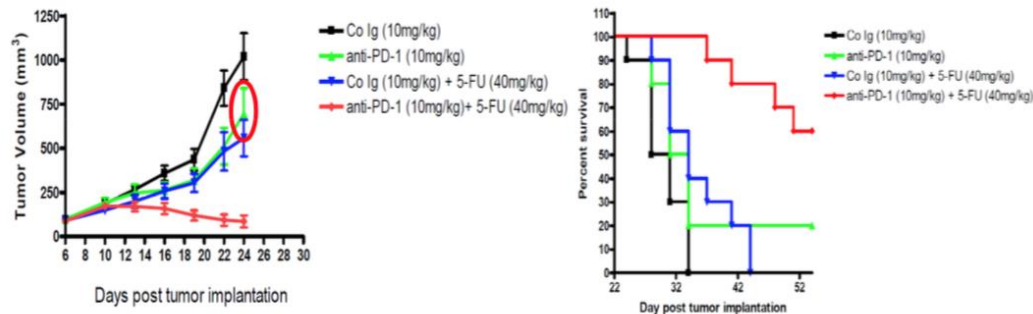


Figure 21: Anti-tumor response in a syngeneic mouse tumor model of M38 colon adenocarcinoma when treated with mouse-anti-PD-1 mAb plus 5-FU



동물모델에서의 일부 효능으로 진행 가능

### 단독 투약 완전 효능이 필수?

Partial 단독처방 효능 & 병용처방 시너지

병용처방 임상 성공

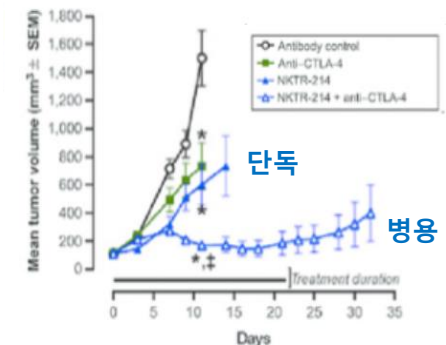
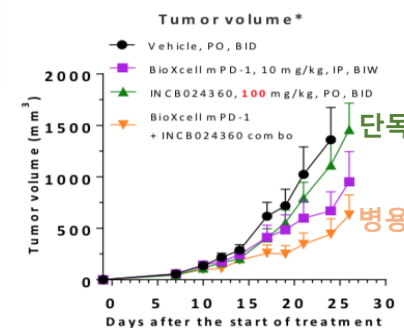
Incyte wipes out late-phase epacadostat program after pivotal failure of Keytruda combination

by Nick Pizzi | May 1, 2018 9:23am



Nektar slips on reduced response rates for Opdivo combination

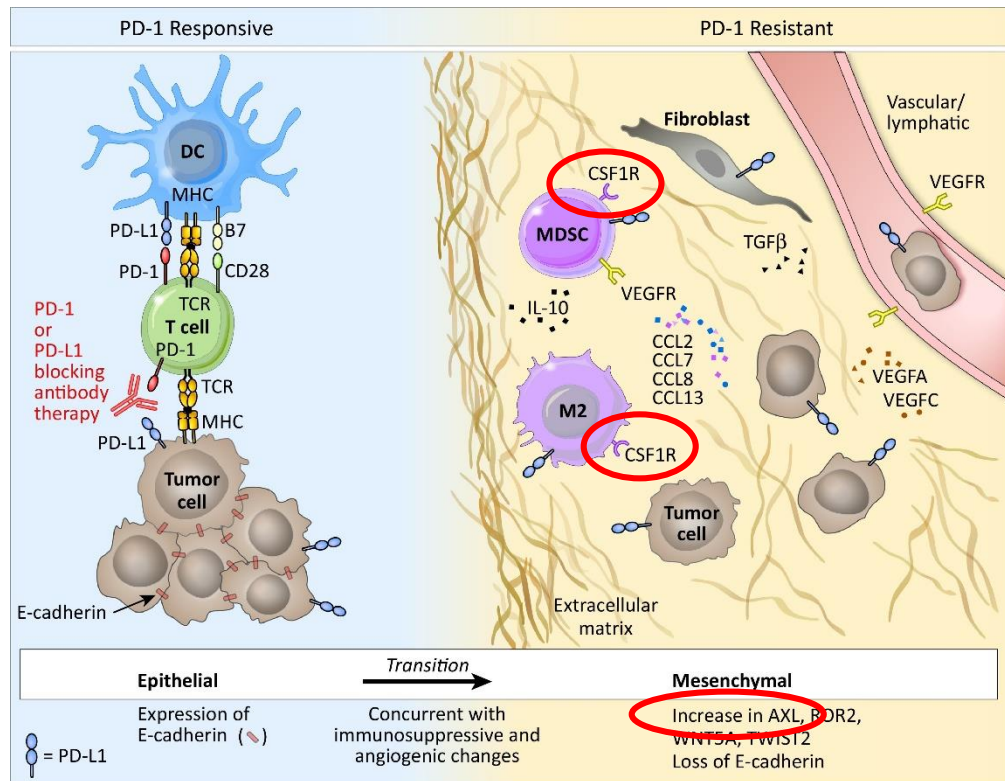
by Andrew A. Weiss | May 12, 2018 11:00am



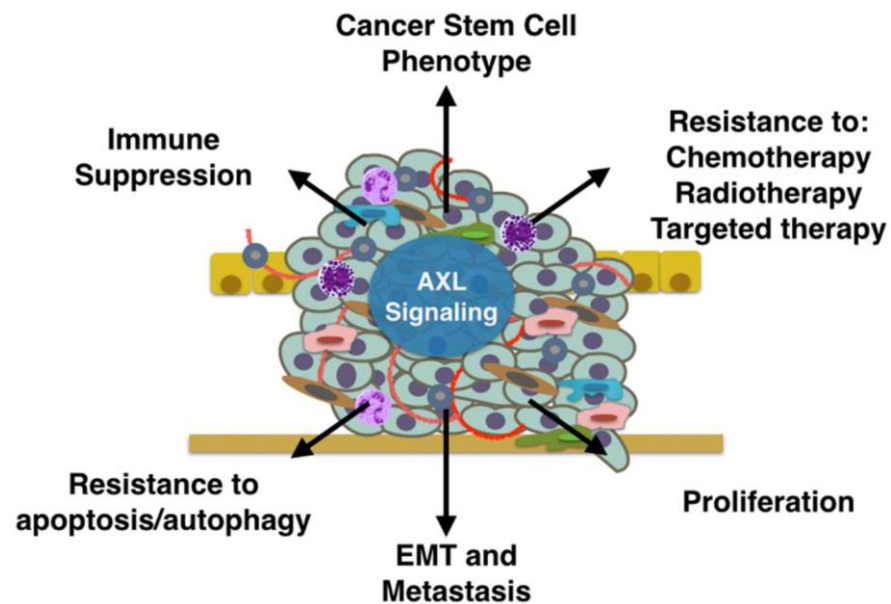
## 세계적 면역항암제 개발 방향: Q701/702 Positioning

**Q701/702: 면역관문억제제 저항성을 극복할 수 있는 복수 기전의 First-in-Class Drug**

### Axl/Mer/CSF1R Inhibitor



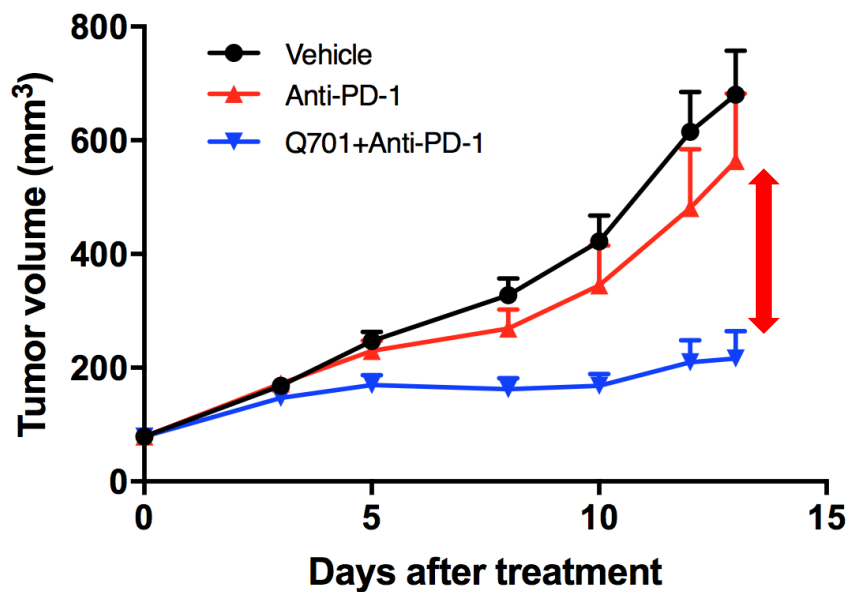
Trends in Molecular Medicine



## Q701/702: 병용투여시 면역관문억제제 PD-1 항체의 효능이 없는 모델에서 시너지 효과 확인

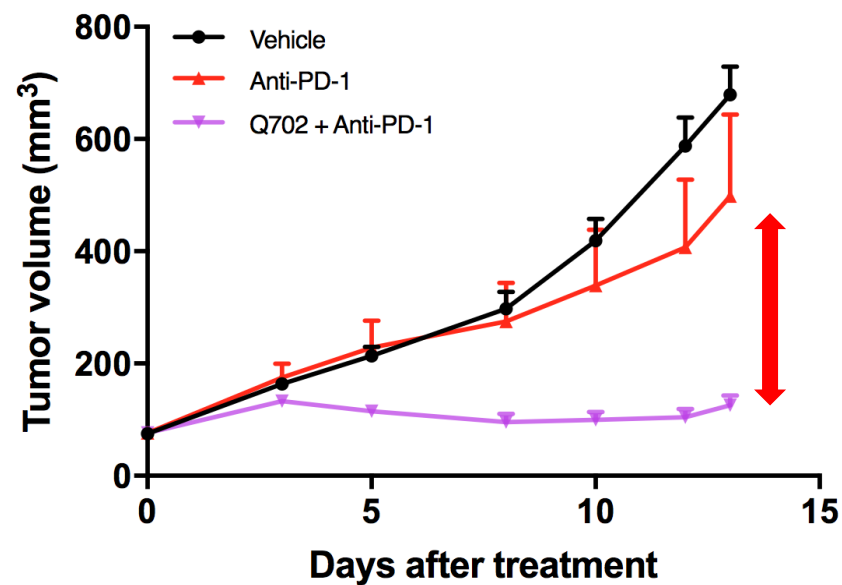
Q701

삼중 음성 유방암 (TNBC)



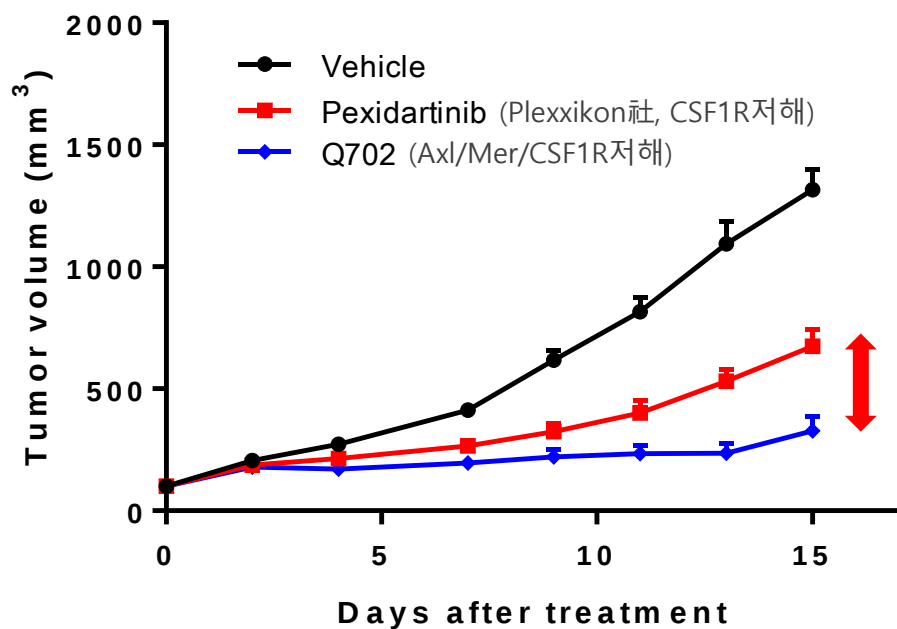
Q702

삼중 음성 유방암 (TNBC)

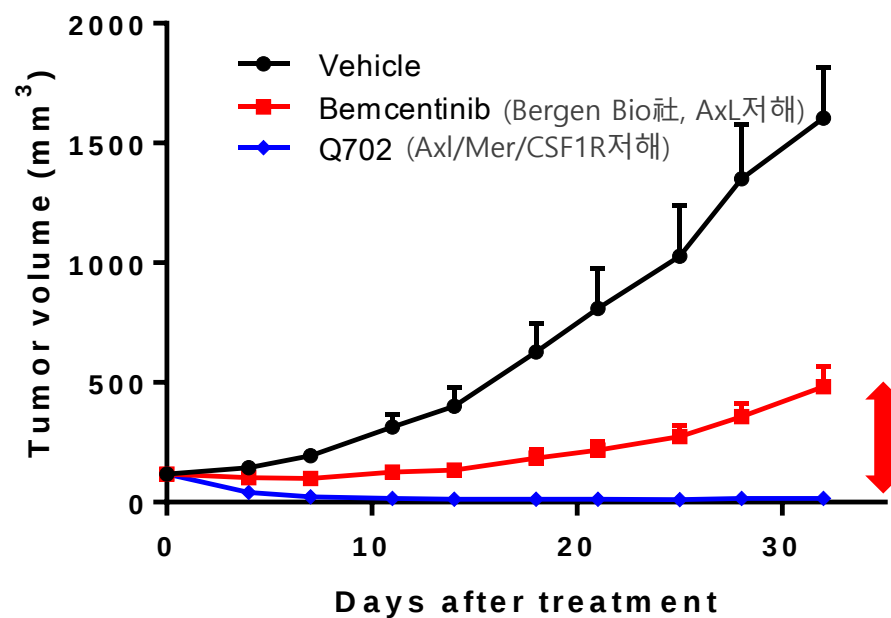


## Q701/702: 단독투여시 개발 중인 경쟁 선천면역 관문억제제 대비 우월한 효능

삼중 음성 유방암 (TNBC)



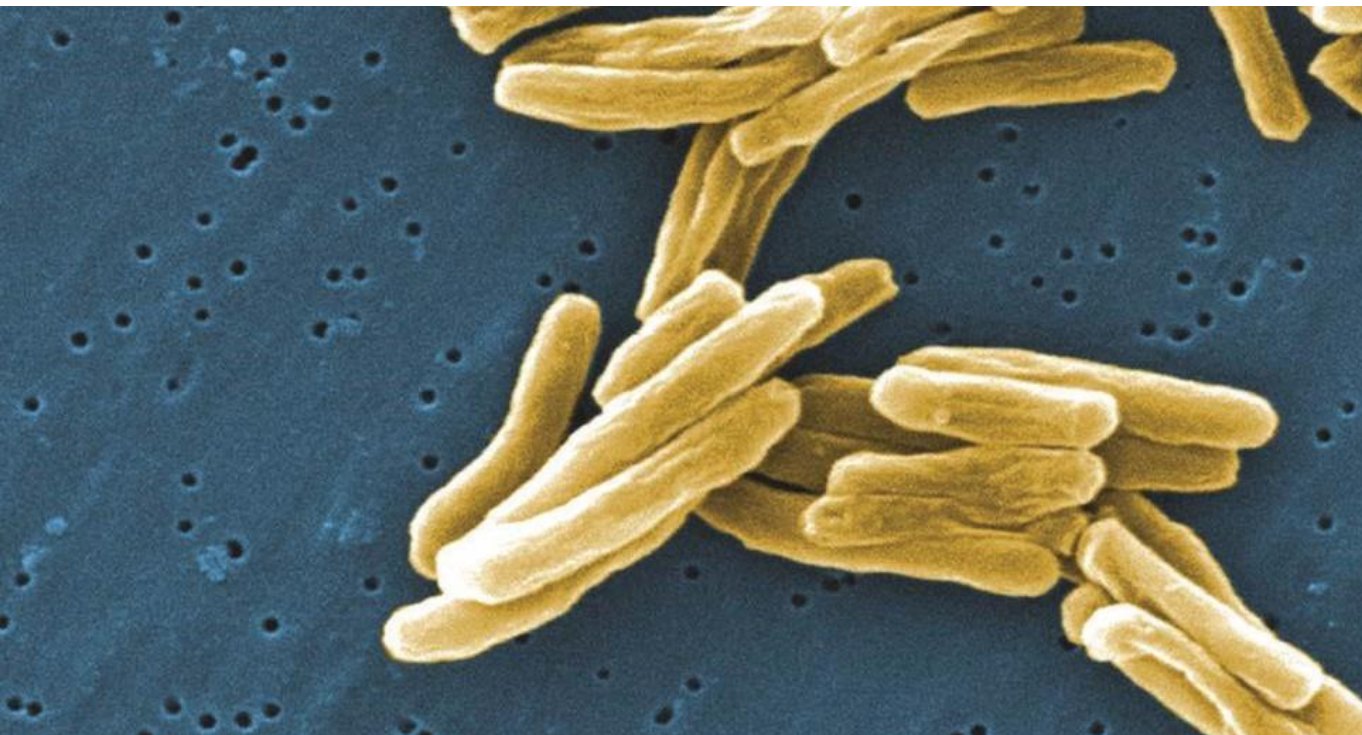
급성 골수성 백혈병 (AML)



## 유사 파이프라인 개발 현황

### Axl/Mer/CSF1R 삼중 억제제는 큐리언트가 유일: 차별성 확보

| 제품                    | 제약사                   | 작용기전                  | 개발 상황   | 적응증 비교                                                                                                                | 비고                                                                                                       |
|-----------------------|-----------------------|-----------------------|---------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Q701/702              | 큐리언트                  | Axl, Mer, CSF1R       | IND 준비  | <ul style="list-style-type: none"> <li>삼중 음성 유방암 (TNBC)</li> <li>비소세포성폐암 (NSCLC)</li> <li>급성 골수성 백혈병 (AML)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>유일한 삼중 억제제</li> <li>단독 면역항암 효과</li> <li>뛰어난 병용투여 항암 효능</li> </ul> |
| Bemcentinib<br>BGB324 | BerGenBio<br>(노르웨이)   | Axl                   | 임상 1/2상 | <ul style="list-style-type: none"> <li>EGFR TKI 내성 비소세포성폐암 (NSCLC)</li> <li>급성 골수성 백혈병(AML)</li> </ul>                | <ul style="list-style-type: none"> <li>Axl 저해제 중 Front Runner</li> <li>Axl을 주요 타겟으로 Mer 저해 약함</li> </ul> |
| Pexidartinib          | Plexxikon<br>(미국)     | CSF1R                 | 임상 1/2상 | <ul style="list-style-type: none"> <li>비소세포성폐암 (NSCLC)</li> <li>희귀암</li> </ul>                                        | <ul style="list-style-type: none"> <li>다이하이드록시산염에 인수됨</li> </ul>                                         |
| ONO7475               | ONO Pharma.<br>(일본)   | Axl, Mer              | 임상 1상   | <ul style="list-style-type: none"> <li>급성 골수성 백혈병(AML)</li> </ul>                                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>옵디보 원개발사</li> </ul>                                               |
| TP0903                | TOLERO Pharma<br>(미국) | Multi-kinase          | 임상 1상   | <ul style="list-style-type: none"> <li>고형암</li> </ul>                                                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>다이니폰스미토모에 인수됨</li> </ul>                                          |
| RXDX106               | Ignitya<br>(미국)       | Tyro3, Axl, Mer, cMet | 비임상     | <ul style="list-style-type: none"> <li>비소세포성폐암</li> <li>유방암</li> </ul>                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>로슈에 인수됨</li> </ul>                                                |
| -                     | AbbVie<br>(미국)        | Mer                   | 연구      | <ul style="list-style-type: none"> <li>항암 면역</li> </ul>                                                               | <ul style="list-style-type: none"> <li>동아ST에서 도입</li> </ul>                                              |
| INCB81776             | Incyte<br>(미국)        | Axl, Mer              | 연구      | <ul style="list-style-type: none"> <li>고형암</li> </ul>                                                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>최근에 공개된 프로그램</li> </ul>                                           |

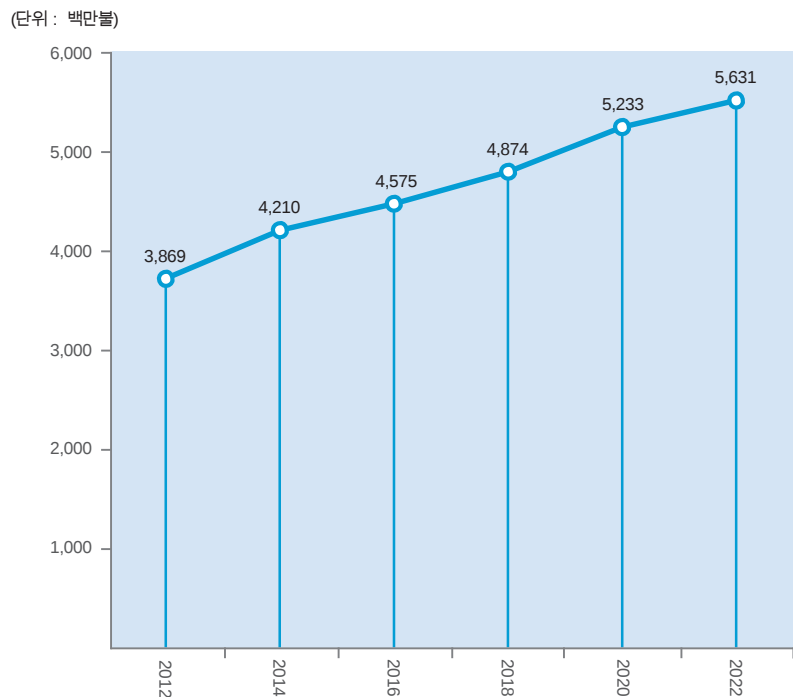


## 임상 프로그램

- 
1. Q301 - 아토피성 피부염 치료제
  2. Telacebec - 다제내성 결핵 치료제
-

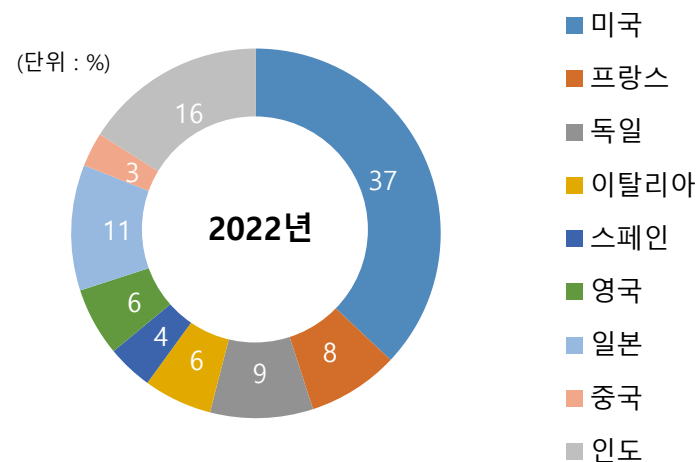
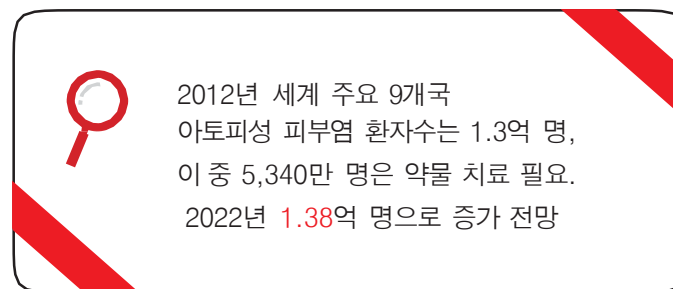
## 아토피성 피부염은 지속 성장하는 시장으로 선진국 비중이 큰 시장

### 아토피성 피부염 치료제 시장규모 현황 및 전망



\* 자료 : GlobalData 'ATOPIC DERMATITIS - GLOBAL DRUG FORECAST AND MARKET ANALYSIS TO 2022' (2013.11) 보고서 - 생명공학정책연구센터 재구성

### 아토피성 피부염 환자 발생 현황 및 전망



\* 자료 : GlobalData 'ATOPIC DERMATITIS - GLOBAL DRUG FORECAST AND MARKET ANALYSIS TO 2022' (2013.11) 보고서 - 생명공학정책연구센터 재구성

## Q301: 검증된 신규 기전의 비스테로이드성 아토피성 피부염 치료제

|            | 스테로이드                  | 엘리델/프로토픽                    | 두피센트                       | 유크리사                        | Q301                               |
|------------|------------------------|-----------------------------|----------------------------|-----------------------------|------------------------------------|
| <b>기전</b>  | ▪ 전반적 염증 억제            | ▪ 칼시뉴린 저해                   | ▪ IL4/IL13 저해              | ▪ PDE4 저해                   | ▪ 류코트리엔 생성 저해                      |
| <b>환자군</b> | ▪ 경/중증 환자              | ▪ 경/중증 환자                   | ▪ 중증환자                     | ▪ 경증환자                      | ▪ 경증환자                             |
| <b>특징</b>  | ▪ 부작용으로 1주 이상 연속 처방 불가 | ▪ 소아 발암이슈로 "Black Label" 경고 | ▪ 고가의 주사제                  | ▪ 최근 출시된 외용제                | ▪ 20여년 간 경구용 천식치료제 사용으로 안전성 검증된 성분 |
| <b>경제성</b> | ▪ 경제적 약가               | ▪ 높은 원료 생산 단가               | ▪ 높은 약가<br>▪ 시린지 당 \$1,500 | ▪ 높은 약가<br>▪ 60g 튜브 당 \$650 | ▪ 스테로이드 수준의 생산 단가 예상               |

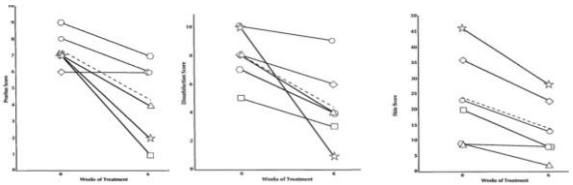


- 2016년 Pfizer가 Anacor 인수
- Eucrisa FDA 승인
- 인수금액 5.2 bil USD



- 2016년 Medimetriks가 오츠카 기술도입 (미국판권)
- 임상 2상 과제 (PDE4 저해)
- Upfront 22 mil USD

## 효능, 안전성 및 경제적인 약가 확보 / 효율적인 제품개발 전략

| Unmet medical Needs                                                                                                                                                                                | R&D Background                                                                                                                                                                                                                 | R&D Strategy                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>● 스테로이드 제제<br/>부작용으로 1주 이상 연속 처방 불가</li> <li>● 칼시뉴린 제제<br/>소아 발암 이슈로 "Black Label" 경고</li> <li>● 신규 출시 : Dupixent, Eucrisa<br/>높은 약가로 범용적 처방 제한적</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>● 1997년 출시된 경구용 천식치료제의 주성분</li> <li>● 연구자 임상을 통한 아토피성 피부염에서의 효능 확인</li> <li>● 외용제로 개발 성공</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>● 상업화 제형 개발 ----- 완료</li> <li>● 스테로이드 수준의 경제성 ----- 완료</li> <li>● FDA 505B(2) 개발 Track을 통한 임상 1상 면제 ----- 완료</li> <li>● 인체 효능 확인을 위한 임상 2a상 -- 완료</li> <li>● 타겟환자 대상 임상 2b상 ----- 진행</li> </ul>  |
| <p>특히, 영유아 환자 비중이 높은<br/>아토피 치료를 위해<br/>안전하고 경제적인 치료법 필요</p>                                                                                                                                       | <p>20년 처방으로 검증된 안전성<br/>효능에 대한 학술적 논리<br/>Zyflo 기회와 위기의 역발상</p>                                                                                                                                                                | <p>질루톤 효능 + 경피제 안전성<br/>Drug Repositioning으로<br/>효율적인 제품 개발</p>                                                                                                                                                                                                                                                             |

## 임상 2a상에서 효능 확보 후 임상 2b상 진입 예정

### Phase 2a 결과

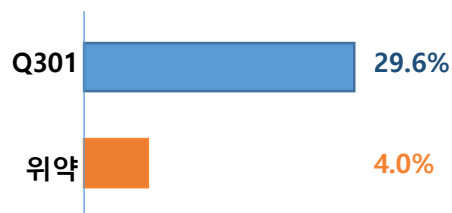
### Phase 2b 전략

#### 임상 디자인

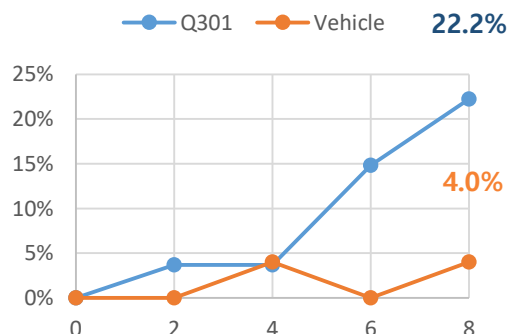
- 미국 FDA Pre IND 미팅 결과 임상 1상 면제 후 임상 2a상 착수
  - Go/No Go 결정을 위한 극한 디자인
- 대상 환자 (52명):
  - 18세 이상 성인 아토피 Moderate to Severe (IGA\* 3-4)환자
  - Q301 투약군(27명) vs. 위약 투약군(25명)
- 약효 End point :
  - Primary : 8주간 IGA Score 0 ~ 1로 개선된 환자 비율
  - Secondary : 8주간 EASI score 변화

#### 임상 결과

Primary End Point: IGA 완치율



Secondary End Point: EASI90 변화



#### 후기 임상 개발을 위한 준비

- FDA협의 완료
- 상용화 제형 개발 완료 (공정, 안정성 확보)

#### 2B 임상 디자인

- 대상 환자 (240명)
  - 12세 이상 아토피 Mild to Moderate (IGA 2~3)
  - 북미 지역 20여개 임상 센터
- 약효 End Point
  - 북미 등록을 위한 IGA score 적용
  - 유럽 EMA 등록을 위한 EASI score 적용
- 미국 내 KOL 임상 참여를 통한 인지도 확보

상용용 제형  
실제 타겟 환자군을 대상으로 유의적  
효능 확인 및 용량 확정 목표

**결핵: 연간 6백만명 발생, 150만명 사망**  
**다제내성 결핵 환자 중 47% 이상 중국, 인도, 러시아 신흥 경제대국에 집중**

■ 전세계 결핵 환자 발생 현황



- 세계 인구의 30% 추정

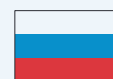


- 보균자 중 면역 저하 시 발병
- 결핵 확진 시 장기 투약



- 긴 투약기간으로 내성발생 증가
- 치사율 30~50% 수준

■ 다제내성 결핵 환자 현황



러시아

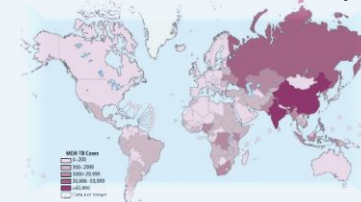


중국



인도

- 다제내성 환자 중 47%는 러시아, 중국, 인도



미국

- 지정된 희귀질환(다제내성결핵 포함) 개발 독려를 위한 우선 심사권 부여



한국



북한

- 한국은 OECD 국가 중 다제 내성 환자수 1위
- 북한은 한국의 4~5 배 수준

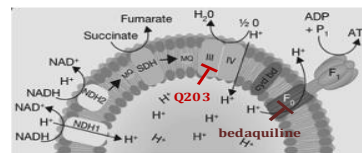
First in Class 신약, 희귀의약품으로 Fast Track으로 개발하여 상업화와 PRV(우선심사권) 수익 창출

| Unmet medical Needs | R&D Background | R&D Strategy |
|---------------------|----------------|--------------|
|---------------------|----------------|--------------|

- 기존 표준치료법 내성발생 위험  
1차 : 4종 약물 6개월 복용  
2차 : 주사제 포함 20~24개월 치료
- 40년 만에 출시된 신약의 한계  
얀센 '서투러' Black label 경고  
임상 중 사망률 11.4%(위약 2.5%)  
오스카 '델티바' 미국 승인 보류
- 내성 치료제만으로 구성된 Regimen  
부재

● 결핵균 호흡을 저해하는 신규 기전

< Complexes of Mycobacterial respiratory chain and targets of drugs >



● 결핵균에만 작용하여 부작용 최소화

Table 4. MICs of compounds tested against *M. tuberculosis* H37Rv (log2)

| No. | Structure             | MICs |
|-----|-----------------------|------|
| 1   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 2   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 3   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 4   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 5   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 6   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 7   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 8   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 9   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 10  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 11  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 12  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 13  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 14  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 15  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 16  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 17  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 18  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 19  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 20  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 21  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 22  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 23  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 24  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 25  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 26  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 27  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 28  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 29  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 30  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 31  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 32  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 33  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 34  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 35  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 36  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 37  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 38  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 39  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 40  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 41  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 42  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 43  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 44  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 45  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 46  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 47  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 48  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 49  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 50  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |

Table 5. MICs of compounds tested against *M. tuberculosis* H37Rv (log2)

| No. | Structure             | MICs |
|-----|-----------------------|------|
| 1   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 2   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 3   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 4   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 5   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 6   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 7   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 8   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 9   | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 10  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 11  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 12  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 13  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 14  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 15  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 16  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 17  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 18  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 19  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 20  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 21  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 22  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 23  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 24  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 25  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 26  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 27  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 28  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 29  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 30  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 31  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 32  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 33  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 34  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 35  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 36  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 37  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 38  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 39  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 40  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 41  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 42  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 43  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 44  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 45  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 46  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 47  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 48  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 49  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |
| 50  | M. tuberculosis H37Rv | 1024 |

- 미국FDA 희귀의약품 지정 ----- 완료
- 임상 1상으로 안전성 확인 ----- 완료
- 임상 2상 완료 후 출시 ----- 예정  
질환 심각성을 고려한 US FDA 및 각국  
정부 특혜
- 기존 치료제와의 병용처방으로  
효과 극대화 Regimen 개발 ---- 진행
- 임상 2b상 완료후 PRV 확보 ---- 예정  
PRV가치 :1,800억원 수준



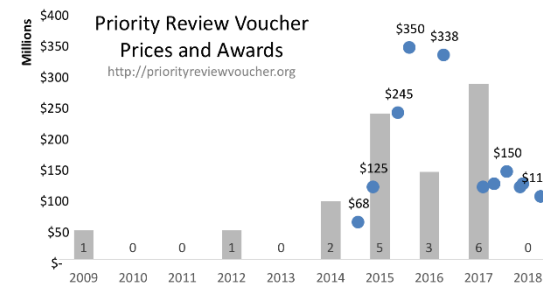
장기투약, 부작용 극복을 위한  
신약 Regimen개발 절실  
“Telacebec: New Regimen 구성  
후보 중 Front Runner”

효능과 부작용을 동시에  
해결할 수 있는  
First in Class 신약 후보

FDA 혜택 활용 Fast Track 개발  
주요시장(러/중/인)에서 상업화 성과  
임상 2상 완료 후 PRV 확보

## 임상 2상 완료 후 1,800억원 가치의 우선심사권(PRV-Priority Review Voucher) 확보

- ▶ 2007년 미국 FDA, 미국 내 지정된 소외질병에 대한 의약품 개발 독려 차원의 PRV 제도 도입
- ▶ 희귀 / 난치성 질환치료제 개발 시, 개발사의 타 의약품의 허가기간을 6개월로 단축, **다제내성 결핵 해당**
- ▶ 획득한 바우처는 다른 회사로 **판매** 가능
- ▶ 지금까지 전세계적으로 20개 발행, 현재 평균 판매가치 **1,800억 원 이상**



### Priority Review Voucher 획득현황

| 연도   | 병명                        | 신약명                               | 회사                         | 획득 후 상황                   |
|------|---------------------------|-----------------------------------|----------------------------|---------------------------|
| 2009 | 말라리아                      | Coartem (artemether/lumefantrine) | Novartis                   | 자체적으로 사용                  |
| 2012 | 결핵                        | Sirturo (bedaquiline)             | Janssen(Johnson & Johnson) | 자체적으로 사용                  |
| 2014 | 모르쿠오A 증후군                 | Vimizim (elosulfase alfa)         | BioMarin                   | 약 700억 (\$67.5M USD)에 판매  |
| 2014 | 레슈마니아시스                   | Impavido (miltefosine)            | Knight                     | 약 1,400억 (\$125M USD)에 판매 |
| 2015 | 희귀담즙생성질환                  | Cholbam                           | Asklepiion                 | 약 2,700억 (\$245M USD)에 판매 |
| 2015 | 고위험 뇌암                    | Unituxin (dinutuximab)            | United Therapeutics        | 약 3,800억 (\$350M USD)에 판매 |
| 2015 | 유전적 오로산뇨증                 | Xuriden                           | Wellstat                   | *                         |
| 2015 | 저인산증                      | Strensiq (asfotase alfa)          | Alexion                    | *                         |
| 2015 | 리포좀산 리파제 결핍증              | Kanuma (sebelipase alfa)          | Alexion                    | *                         |
| 2016 | 콜레라                       | Vaxchora                          | PaxVax                     | *                         |
| 2016 | 듀켄씨근이영양증                  | Exondys 51 (eteplirsen)           | Sarepta                    | 약 1,400억 (\$125M USD)에 판매 |
| 2016 | 척수성 근위축                   | Spinraza (nusinersen)             | Biogen                     | *                         |
| 2017 | 듀켄씨근이영양증                  | Emflaza (deflazacort)             | Marathon                   | *                         |
| 2017 | 바텐병                       | Brineura (cerliponase alfa)       | BioMarin                   | 약 1,400억 (\$125M USD)에 판매 |
| 2017 | 샤가스                       | Benznidazole                      | Chemo Research             | 미사용                       |
| 2017 | B세포 급성림프구성 백혈병            | Tisagenlecleucel                  | Noavrtis                   | 미사용                       |
| 2017 | IV형 점액다당류증                | Mepsevii                          | Ultragenyx                 | 약 1,400억 (\$130M USD)에 판매 |
| 2017 | Biallelic RPE65 변이 망막이영양증 | Luxtruna                          | Spark                      | 약 1,200억 (\$110M USD)에 판매 |
| 2018 | X-linked 저인산혈증            | Crysvita                          | Ultragenix                 | 미사용                       |
| 2018 | 회선사상충증                    | Moxidectin                        | Medicines Development      | 미사용                       |

\* 출처 : <http://priorityreviewvoucher.org>

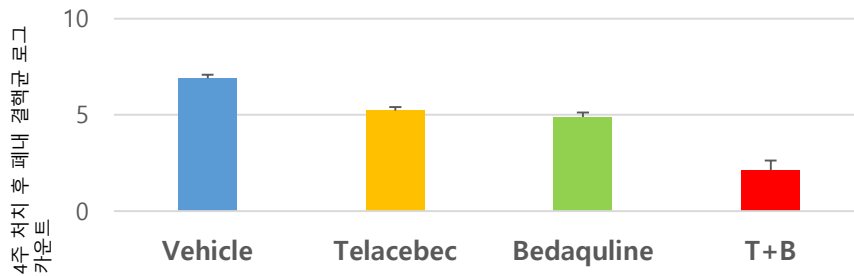
\* Anonymous companies have sold several vouchers, including one sold to Viiv for \$130 MM and another to Teva for \$150MM in 2018.

## 효능(동물시험) 및 부작용(P1) 확인 완료 / 임상 2상 착수 예정

### 텔라세벡 (Q203) 효능 검증

#### 베다퀼린(안센社 서튜러)과의 시너지

- 병용처방시 치료효과 개선 확인 → 새로운 Regimen 가능



#### Telacebec의 완전내성 결핵 (TDR-TB)에서의 효능

- 현재 완전 내성 결핵 치료제는 존재하지 않음

TDR-TB (결핵치료에 사용되는 14개 항생제에 모두 내성을 가진 결핵)

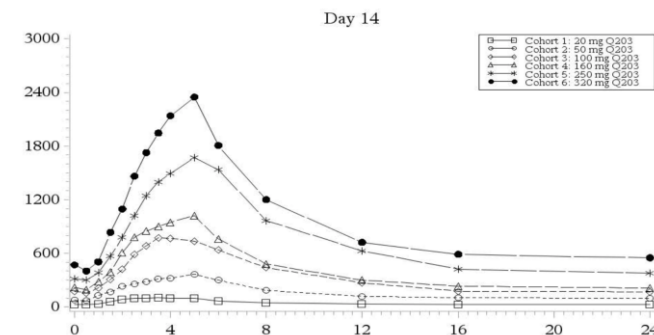
| Isolate Type | INH | RFP | OFX | MXF | LEV | SM | KM | CPM | AMK | EMB | PTH RIF | CS | PAS | PZA | Q203 MIC <sub>50</sub> (nM) |
|--------------|-----|-----|-----|-----|-----|----|----|-----|-----|-----|---------|----|-----|-----|-----------------------------|
| TDR02        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | R  | R   | R   | 0.6                         |
| TDR26        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | S  | R   | R   | 0.7                         |
| TDR27        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | S  | R   | R   | 2.0                         |
| TDR32        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | S  | R   | R   | 1.0                         |
| TDR41        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | R  | R   | R   | 0.1                         |
| TDR51        | R   | R   | R   | R   | R   | R  | R  | R   | R   | R   | R       | R  | R   | R   | 1.6                         |
| TDR58        | R   | R   | R   | R   | R   | S  | R  | R   | R   | R   | R       | S  | S   | R   | 0.8                         |

INH : Isoniazid, REP : Rifampicin, OFX : Ofloxacin, MXF : Moxifloxacin, LEV : Levofloxacin, SM : Streptomycin, KM : Kanamycin, CPM : Capreomycin, AMK : Amykacin, EMB : Ethambutol, PTH : Prothionamide, CS : Cycloserine, PAS : para-aminosalicylic acid, PZA : Pyrazinamide R : Resistant S : Sensitive TDR: Totally drug resistant

### Phase 1 결과 및 Phase 2 전략

#### 임상 1상 결과

- 정상인 총 47명 투약
- 투여 농도 의존적인 혈중 농도 증가 확인 (20~320mg)
- 모든 투여 농도에서 안전성 입증 (부작용 발생 없음)



#### 임상 2상 전략

- 약제 감수성 결핵 환자를 대상 3개 농도투약 (100,200,300mg)
- Telacebec 14일 반복 투여를 통한 약효 측정 (EBA\*)
- 세계적 KOL의 임상 참여 : TASK/UCT (남아공)



## 투자 참고 사항

—

1. 파이프라인 가치 비교
2. 지적재산권 현황
3. 주요 재무제표

## ▶▶ 투자 참고 사항 – 파이프라인 가치비교

| Q701/702                                                                                                                                                                                                                                             | Q301                                                                                                                                                                                                                               | Telacebec                                                                                                                                                              |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>• Q701 Axl/Mer 타겟 IND 준비</li> <li>• Q702 Axl/Mer/CSF1R 타겟 IND 준비</li> </ul> <p>✓ 단독/병용 투약 모두 동물모델 효능 확인</p>                                                                                                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Q301 류코트리엔 타겟 임상 2b상</li> </ul> <p>✓ 임상 효능 및 원가 경쟁력 확보</p>                                                                                                                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Q203 cytochrome bc1 타겟 임상 2a상</li> </ul> <p>✓ 부작용 개선 및 완전내성 치료효능 확인</p>                                                       |
|  <p><b>Plexxikon</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Pexidartinib</li> <li>• CSF1R 타겟</li> <li>• 전임상</li> </ul> <p><b>매각금액 1조원</b><br/>(2011년)</p>     |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Eucrisa</li> <li>• PDE4 타겟</li> <li>• 임상3상 완료</li> </ul> <p><b>매각금액 5조원</b><br/>(2016년)</p>            |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• 2013년 출시</li> <li>• FDA PRV 획득</li> </ul> |
|  <ul style="list-style-type: none"> <li>• Bemcentinib</li> <li>• Axl 타겟</li> <li>• 임상 1/2상</li> </ul> <p><b>단일 타겟</b><br/><b>시가총액 3,200억원</b><br/>(2018년 06월)</p> |  <ul style="list-style-type: none"> <li>• OPA-15406</li> <li>• PDE4 타겟</li> <li>• 임상 2B상 완료</li> </ul> <p><b>Upfront 250억원</b><br/>(2016년)</p> |  <p><b>Priority Review Voucher</b></p> <p><b>평균 거래금액 1,800억원</b></p>              |

글로벌 혁신신약 전략을 뒷받침하기 위하여 주요특허는 20개국 이상의 개별국 진입과 특허 포트폴리오 구축을 두 축으로 하여 지적재산권 관리 中

현재까지 특허 **157**건 출원, **72**건 등록

| 파이프라인                                 | 출원국      | 출원일        | 출원번호                | 진행상황             | 등록현황                                  |
|---------------------------------------|----------|------------|---------------------|------------------|---------------------------------------|
| <b>Q301</b><br>아토피성<br>피부염치료제         | 대한민국     | 2013-10-30 | 10-2013-0130165     | 대한민국 등록 심사       | 대한민국 등록 완료                            |
|                                       | 국제(WIPO) | 2014-08-13 | PCT/KR2014/007525   | 15 개 국가에서 등록 심사  | 미국, 호주, 러시아, 일본, 싱가포르<br>등록 완료        |
| <b>Telacebec</b><br>약제내성<br>결핵치료제     | 국제(WIPO) | 2011-03-18 | PCT/EP2011/001345   | 20 개 국가에서 등록 심사  | 대한민국, 미국, 유럽 등<br>총 14개국 등록 완료        |
|                                       | 국제(WIPO) | 2014-08-01 | PCT/EP2014/066614   | 12 개 국가에서 등록 심사  | 대한민국, 미국 등록 심사중                       |
| <b>Q701 / Q702</b><br>항암면역/내성암<br>항암제 | 국제(WIPO) | 2009-04-16 | PCT/EP2009/002798   | 7 개 국가에서 등록 심사   | 대한민국, 미국, 유럽, 싱가포르, 일본,<br>이스라엘 등록 완료 |
|                                       | 국제(WIPO) | 2010-10-16 | PCT/EP2010/006525   | 5 개 국가에서 등록 심사   | 미국, 호주 등 총 5개국 등록 완료                  |
|                                       | 국제(WIPO) | 2011-08-26 | PCT/EP2011/004451   | 21 개 국가에서 등록 심사  | 대한민국, 미국, 유럽 등<br>총 17개국 등록 완료        |
|                                       | 국제(WIPO) | 2016-04-14 | PCT/EP2016/058284   | 19 개 국가에서 등록 심사  | 미국, 유럽 등록 심사 중                        |
| <b>5LO 저해</b><br>천식치료제                | 국제(WIPO) | 2012-04-02 | PCT/IB2012/001722   | 미국, 대한민국에서 등록 심사 | 미국 등록 완료                              |
|                                       | 대한민국     | 2014-07-03 | 10-2014-0083210외 9건 | 등록 심사 중 10 건     | 8 개국 등록 완료                            |
|                                       | 국제(WIPO) | 2015-07-31 | PCT/EP2015/067644   | 13 개 국가에서 등록 심사  | 미국, 유럽 등록 심사 중                        |
| <b>CDK7 저해</b><br>항암제                 | 국제(WIPO) | 2013-03-01 | PCT/EP2013/054224   | 15개 국가에서 등록 심사   | 대한민국, 미국, 유럽 등<br>총 7 개국 등록 완료        |
|                                       | 국제(WIPO) | 2013-03-01 | PCT/EP2013/054225   | 미국 등록 심사         | 미국 등록 완료                              |

## 요약 재무상태표

(단위 : 백만원)

| 구분        | 2015     | 2016     | 2017     |
|-----------|----------|----------|----------|
| <b>자산</b> |          |          |          |
| 유동자산      | 3,346    | 25,779   | 15,187   |
| 비유동자산     | 512      | 460      | 491      |
| 자산총계      | 3,858    | 26,239   | 15,678   |
| <b>부채</b> |          |          |          |
| 유동부채      | 928      | 1,792    | 1,133    |
| 비유동부채     | 36       | 99       | 13       |
| 부채총계      | 964      | 1,891    | 1,146    |
| <b>자본</b> |          |          |          |
| 자본금       | 2,817    | 3,614    | 3,783    |
| 자본잉여금     | 31,376   | 62,399   | 63,769   |
| 기타자본      | 312      | 1,063    | 1,521    |
| 결손금       | (31,611) | (42,728) | (54,541) |
| 자본총계      | 2,894    | 24,348   | 14,532   |
| 부채 및 자본총계 | 3,858    | 26,239   | 15,678   |

## 요약 손익계산서

(단위 : 백만원)

| 구분        | 2015    | 2016     | 2017     |
|-----------|---------|----------|----------|
| 매출액       | -       | -        | -        |
| 매출원가      | -       | -        | -        |
| 매출총이익     | -       | -        | -        |
| 판매비와관리비   | 8,230   | 11,077   | 12,724   |
| 영업이익      | (8,230) | (11,077) | (12,724) |
| 영업외수익     | 196     | 541      | 578      |
| 영업외비용     | 1,268   | -        | 37       |
| 이자비용      | 1,254   | -        | -        |
| 파생상품평가손실  | -       | -        | -        |
| 법인세차감전순이익 | (9,302) | (10,536) | (12,183) |
| 법인세등      | -       | -        | 13       |
| 당기순이익     | (9,302) | (10,536) | (12,196) |

## Innovation for Unmet Medical Needs

---

[www.qurient.com](http://www.qurient.com)



### [Address](#)

C-dong 8th Floor, 242, Pangyo-ro, Bundang-gu, Seongnam-si, Gyeonggi-do, 13487, Korea  
TEL : +82.31.8060.1600 | FAX : +82.31.8060.1649  
E-Mail : [info@qurient.com](mailto:info@qurient.com)