

# Corporate Presentation

## *Investor Relations Guide Book*

2018 Oct.

**Copyright © 2018 by Abion Inc., ALL RIGHTS RESERVED**

No part of this publication may be reproduced, stored in a retrieval system, or transmitted in any form or by any means – electronic, mechanical, photocopying, recording, or otherwise – without the prior permission of Abion Inc.



## Disclaimer

본 자료에 포함된 에이비온(주) (이하 '회사')의 경영실적 및 재무성과와 관련한 모든 정보는 한국채택국제회계기준에 따라 작성되었습니다.

본 자료는 향후 매출계획 등 미래에 대한 예측정보를 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 예측정보는 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.



**글로벌 시장에서**

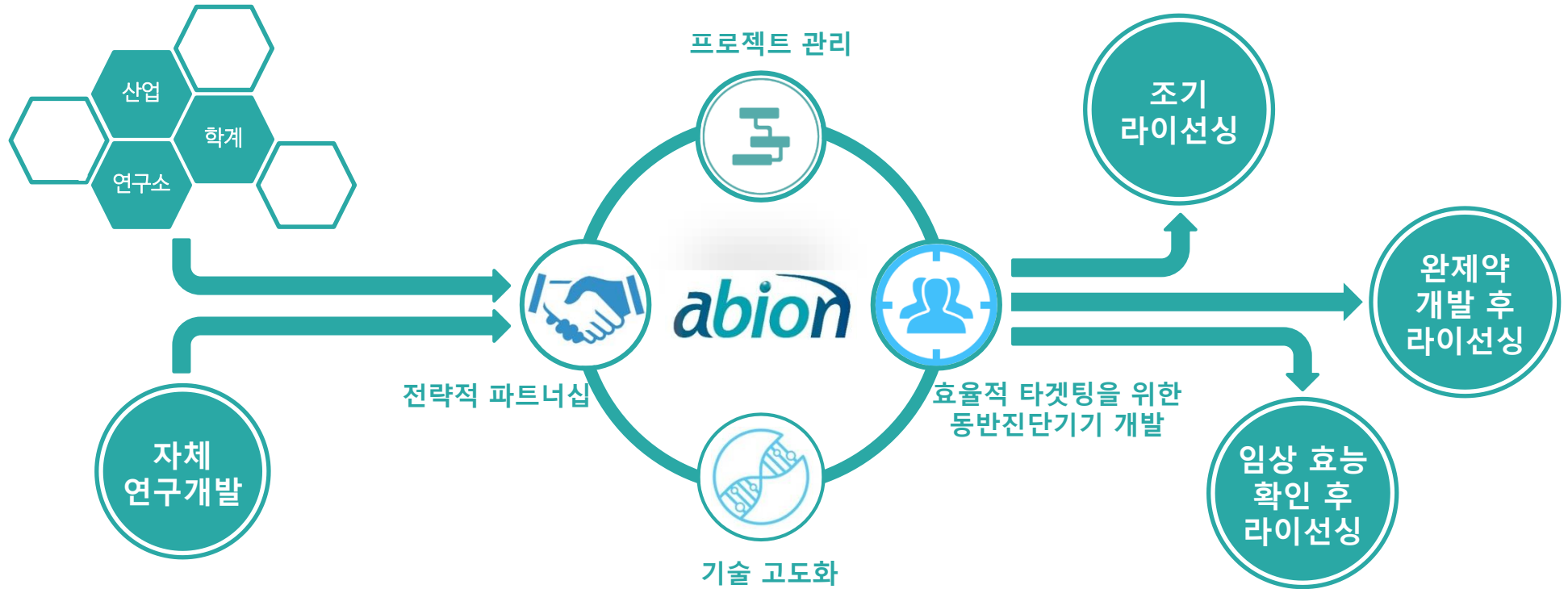
**Best-in-class/ First-in-class를 목표로 하는**

**동반진단 기반의 혁신신약 개발 전문 회사**

# Prologue : 에이비온은...

## C&D(Connect & Develop) 기반의 사업 모델

### Research & Discovery — Innovation Value Circuit — Commercial Development



# Company Overview

(주) 레퍼런스바이오랩  
회사 설립

에이비온(주)  
상호 변경

KONEX 상장



- 라이선싱 인 : 4건 (표준 유전자, 혈중 암세포 분리 칩 기술, NOJ 마우스, c-Met 억제제)
- 라이선싱 아웃: 5건 (혈중암세포\_CTC, 난소암 항체치료제, 두경부암 유전자 치료제 등)
- **2013년: 본격적으로 동반진단 개념을 도입하여 신약개발 시작**
- 2017년: ABN401 비임상시험 (GLP- Tox)
- 2018년: 임상1상 시작 계획 L/O 및 R&D Collaboration 적극 추진 계획\_ABN401, ABN101

- 직원 : 총 21명(박사\_5명, 석사\_8명, MBA\_1명)
- 특허 : 76건 출원 및 등록 PCT, US, EU, CN, KO, JP etc.
- 리더쉽 : CEO 신영기 교수, MD, PhD  
CSO 최준영, PhD

# CEO Introduction



## 신영기 대표이사(M.D., Ph.D.)

- 서울대학교 의과대학 박사
- 서울대학교 약학대학 교수
- 서울대학교 융합기술대학원 분자의학 및 바이오약학과 교수
- 前 항암제 동반진단 사업단 단장
- 前 서울대학교 생명공학공동연구원 부원장

## 주요 연구 분야

- 약물표적 발굴 및 검증, 중개연구, 신약 규제과학, 동반진단

## 학술 연구 및 기업 R&D

- 국내/외 지적 재산권 : 국내 등록 13건, 출원 18건, 해외등록 11건, 출원 39건
- 국외 학술지 논문 : 119편(<http://www.snupharm.ac.kr/molpath/professor/thesis.asp>)
- 식약처 가이드라인 초안관련 과제 2건: 동반진단, NGS-IVD

## Entrepreneurial R&D 성과 예시

- 1. GenesWell™ DX BCT:** 알고리즘 개발에 statistical reasoning을 이용함
  - HR+/HER2- 조기유방암(pN0/1) 환자의 유전자 분석을 통해 환자의 향후 10년간 타 장기 전이가 없는 생존 확률(Distant Recurrence-Free Survival)을 제공.
  - 수술 후 항암화학요법이 필요한 환자를 선별함으로써 환자의 재발 위험을 낮출 수 있는 임상적 활용도가 높은 기술
  - 2016년 식약처 (class III) 인증
- 2. ddPCR 기반의 폐암 EGFR 동반진단: 2017년 식약처 (class III) 인증**
- 3. Carbiferon:** 다발성경화증 치료제인 interferon-β의 biobetter version으로 비임상 개발 중
- 4. Anti-HPV siRNA 치료제:** 두경부암 및 자궁경부암 치료제로 개발 중
- 5. c-Met 억제제:** 위암, 폐암 등 c-Met-addicted cancer 치료제 글로벌 비임상시험 중

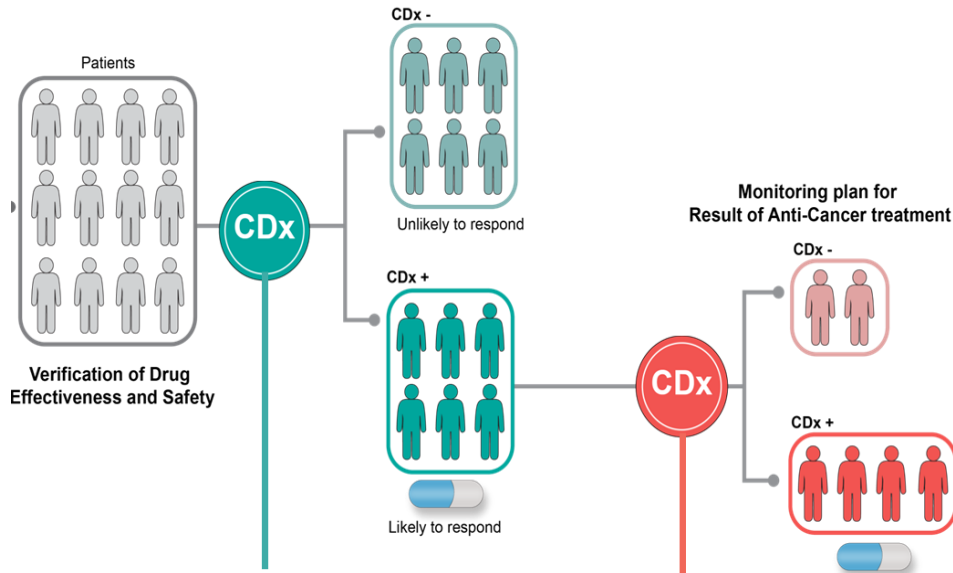
# PRECISION MEDICINE

매일경제 기고문. 2017년 9월 20일

“정밀의료는 같은 질병이라도 유전 정보, 생활 환경, 습관 등 다양한 원인에 대한 과학적인 분석과 검사를 통해 다른 치료법을 제시하는 것이다. 같은 약물을 사용하더라도 환자마다 다른 약물반응의 예측검사를 통하여 약물의 양이나 조합을 다르게 하는 등 정밀한 진단에 그 근거를 두고 있다.”

1. 정밀함이 생명이기 때문에 `동반진단`이라는 개념이 필요하다.
2. `환자중심의료`에 대한 고민이 필요하다.
3. 정부는 정밀의료의 정착을 위해 `규제 완화`가 아닌 `규제 과학화`를 추진해야 한다.
4. `지불자 우선 의료`가 되어야 한다.

# 동반진단(Companion Diagnostics)이란?



⊙ 어떠한 환자에게 이 약을 쓸 것인가?

\* IHC, FISH/SISH, NGS, ddPCR

⊙ 언제까지 이 약을 쓸 것인가?

\* Alternative Treatments

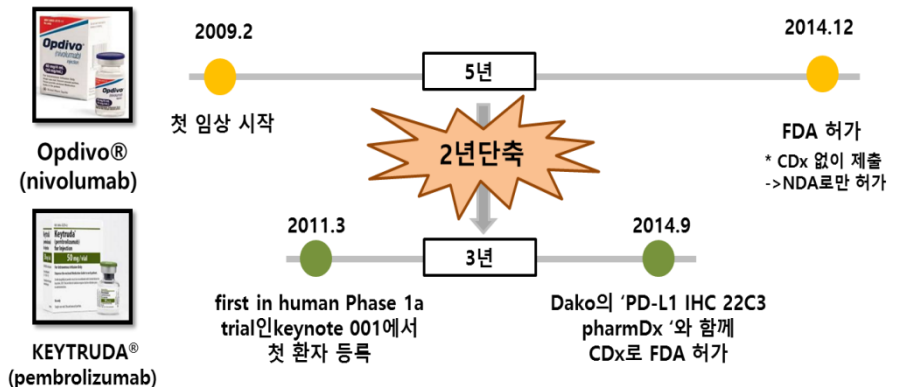
⊙ 어떠한 유전자적 변화가 있을 것인가?

\* ddPCR, NGS

✓ 개별 환자의 특정 바이오마커(biomarkers) 보유 여부를 진단하여 환자 맞춤형 치료를 가능하게 하는 기술  
- 미국 오바마 정부가 주창하는 Precision Medicine의 핵심

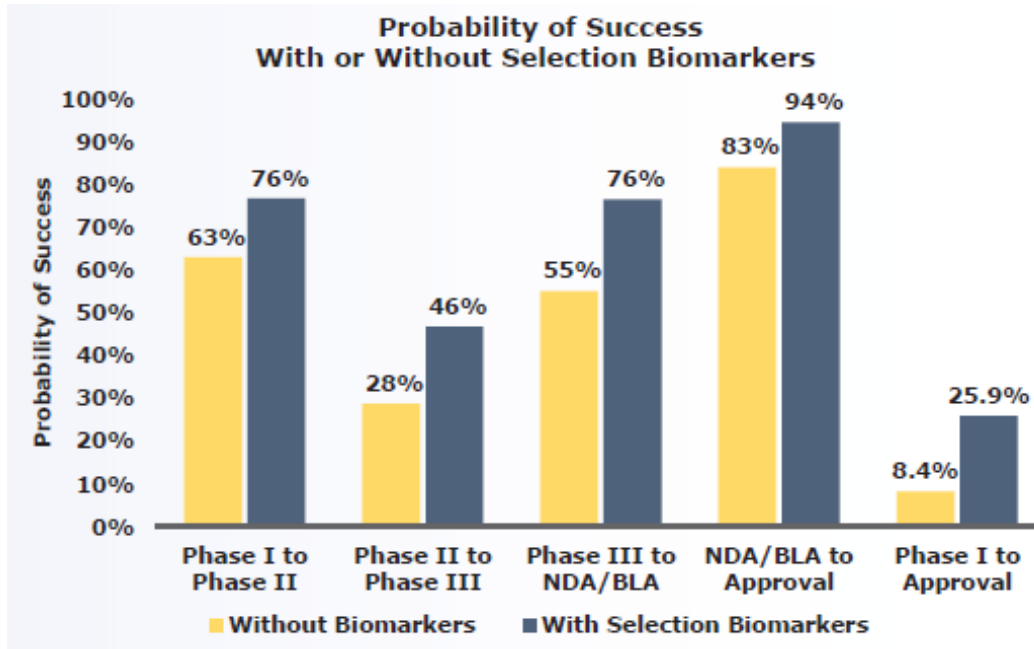
✓ FDA가 2004년 발표한 Critical Path Initiative에서는  
1) 정밀한 환자 타겟팅을 위한 바이오마커 중심 연구와  
2) 동반진단의 임상시험에의 활용을 권고

✓ 동반진단을 활용한 FDA 승인 기간 단축 사례





# 동반진단(Companion Diagnostics)이란? (계속)



- ✓ 신약 개발에 있어 동반진단의 가장 큰 효용은 신약 개발의 리스크를 대폭 낮춰준다는 점
- ✓ 미국 BIO에서 최근 발표한 자료에 따르면, Patient Selection Biomarker 기반의 동반진단을 임상시험에 적용하게 되면 신약 개발의 성공 가능성이 3배 이상 높아짐(ABN 401에 해당)

Source: BIO, Clinical Development Success Rates 2006-2015

# 에이비온 파이프라인

	주요 적응증	유형	개발진도				주요 전략
			R&D	Pre-clinical	PI	PII	
<b>ABN 401</b>	c-Met 변이 폐암 및 위암, 간암	저분자 화합물	■	■	■		동반진단 기반 글로벌 임상시험 (주요 거점: 호주 및 한국)
<b>ABN 101</b>	다발성경화증 (RRMS)	단백질	■	■			바이오메터 컨셉을 활용한 글로벌 임상시험 (주요 거점: 유럽 외)
<b>ABN 201</b>	유방암	Ab-cytokine fusion protein	■				기술이전(L/O) 중
<b>ABN 501</b>	유방암, 난소암	단클론항체	■				개발 중
<b>ABN 601</b>	급성방사능증후군 (ARS)	단백질	■	■	■		한국 임상1상 신청 예정
<b>ABN 701</b>	SEB (슈퍼항원) 감염증	백신	■	■			개발 중



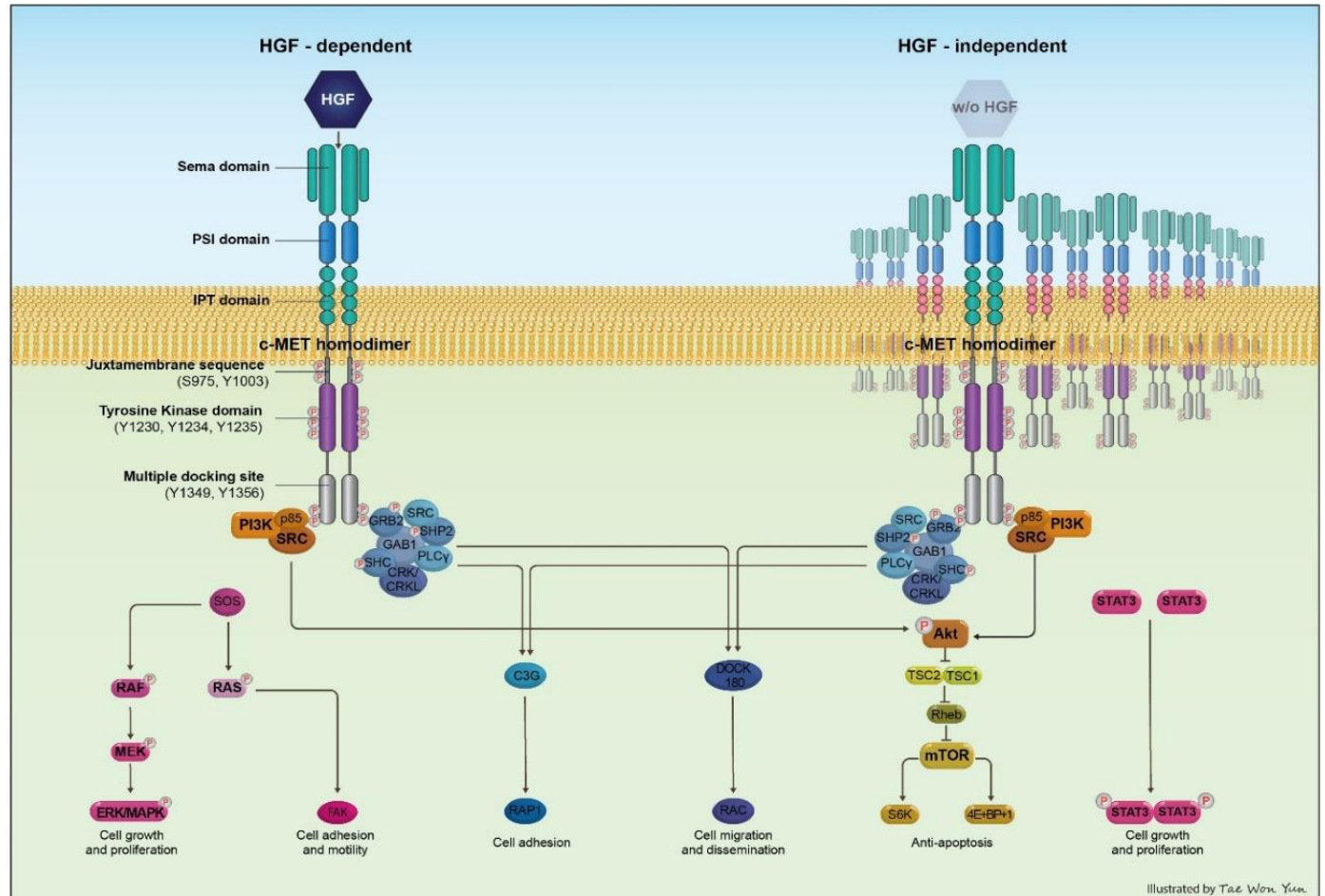
Best-in-class 표적 항암제

# ABN 401

# c-Met이라는 타깃

## c-Met이란?

- ✓ MET 유전자에 포함된 단백질의 일종으로 암의 유발과 전이에 관여하는 것으로 알려져 있음
- ✓ 간세포성장인자 리셉터(HGFR, Hepatocyte Growth Factor Receptor) 혹은 MET 이라고도 불림
- ✓ 주로 위암, 대장암, 간암 등 여러 고형암에서 과발현(over-expression) 되어 있는 것이
- ✓ 발견됨

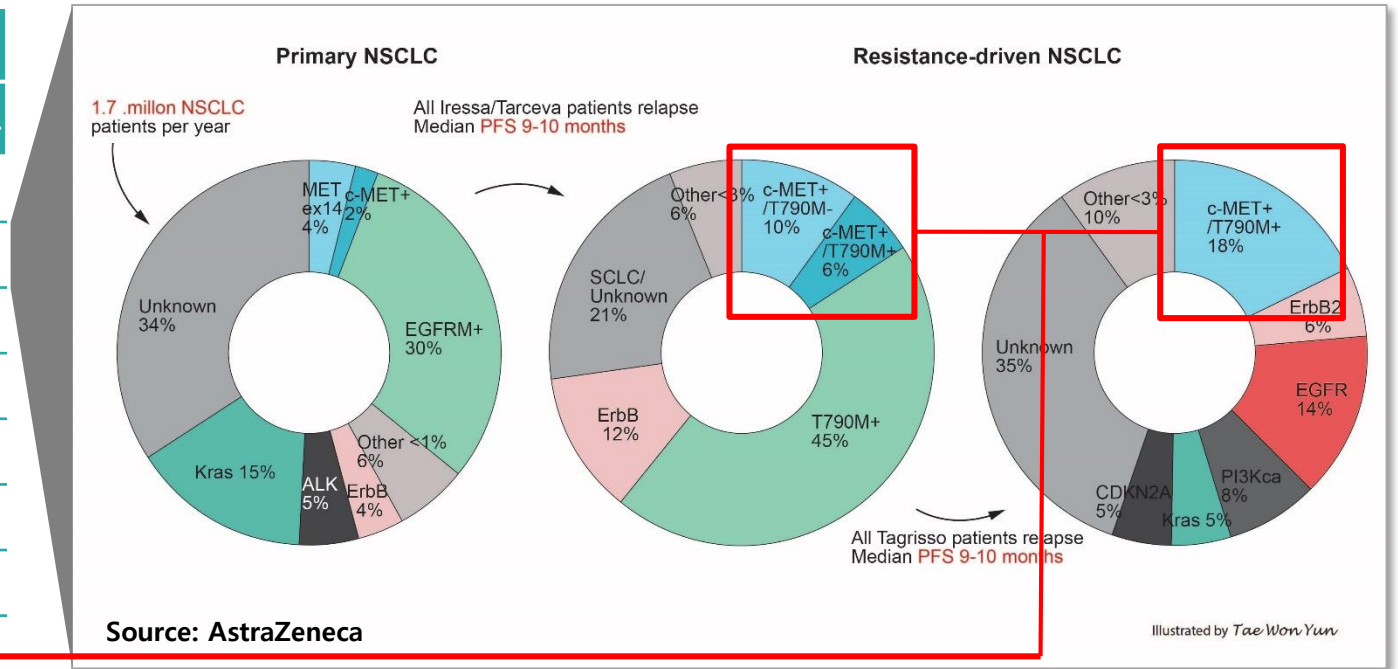


# 왜 c-Met인가?

## 다양한 암종에서의 c-Met 변이

c-MET			
Tumor	Amp.	Mut.	Overexp.
Stomach	10%	1%	41%
<b>Lung (NSCLC)</b>	<b>8-10%</b>	<b>8%</b>	<b>67%</b>
Head & Neck		11%	46%
Colorectal	10%		65%
PRCC	40-70%	100%	
ccRCC			79%
Esophagus	8%		92%

Source: Chi-med (HMP)









\* EGFRM(+) NSCLC 환자 중 1세대 TKI를 처방 받은 환자 뿐만 아니라 최근 EGFRM(+) NSCLC의 1차 치료제로 승인 받은 Targrisso를 처방 시에도 c-Met 변이가 약물 저항 반응이 주요 원인 중 하나임

Source: Y. Wang et. Al. Lung Cancer 2018

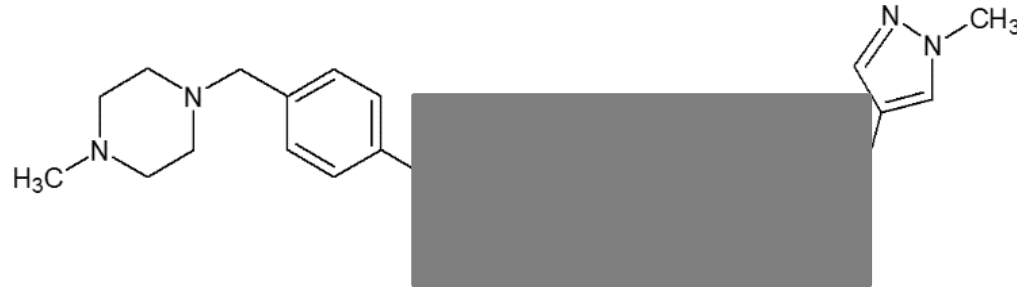
# c-Met 억제제, 실패의 역사

## c-Met 억제제 개발에 실패한 기업들과 그 이유

기업	시점	공식 발표된 실패 이유	에이비온의 관점
	임상 1상 ('08)	✓ 2개의 불용성 metabolite 생성으로 인한 신장 독성(renal toxicity) 유발	1 <sup>st</sup> generation: 신장독성을 유발하는 특정 구조가 포함된 Molecular Design 이슈
	임상1상 ('12)	✓ 내부 의사결정에 의해 종료	
	임상1상 ('13)	✓ 신장 독성(renal toxicity) 유발 ✓ Minimal PD activity에 따른 조기 종료	
	임상3상 ('14)	✓ Primary Endpoint 미충족 - Overall Survival(OS) 증가 확인 실패	2 <sup>nd</sup> generation: 바이오마커 중심의 신약개발 및 동반진단의 부재로 인한 현상
	임상 2상 ('17)	✓ 임상 시험에 적합한 환자군 identification 어려움에 따른 종료 결정 (단독투여 시험)	
	임상 3상 ('17)	✓ Primary Endpoint 미충족 - Overall Survival(OS) 증가 확인 실패	

# ABN 401, 동반진단 기반의 Best-In-Class c-Met 억제제

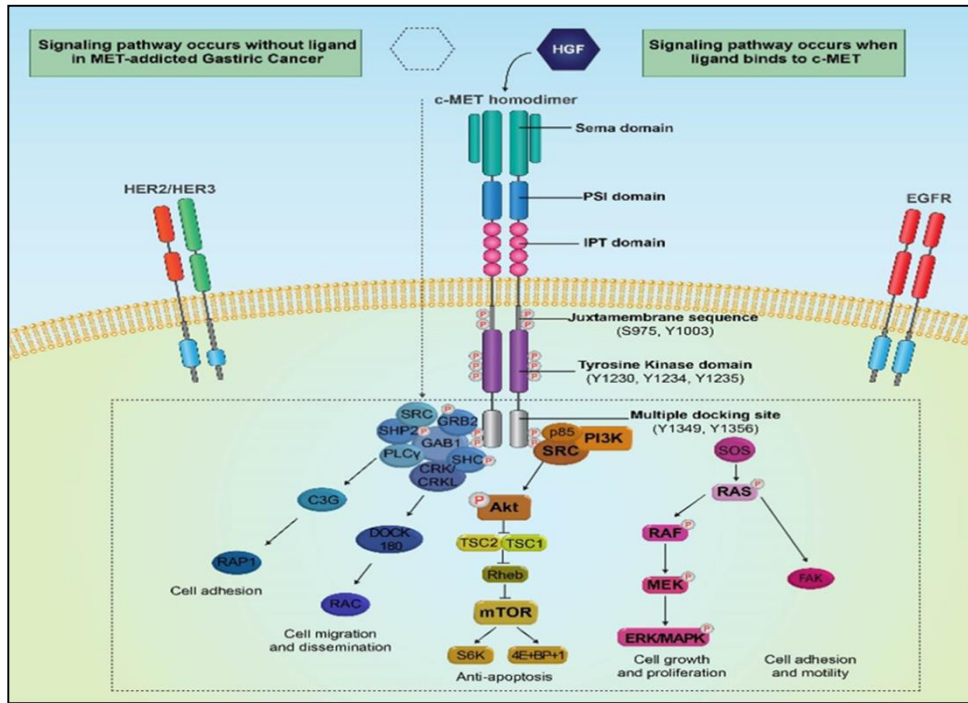
## ABN 401이란...



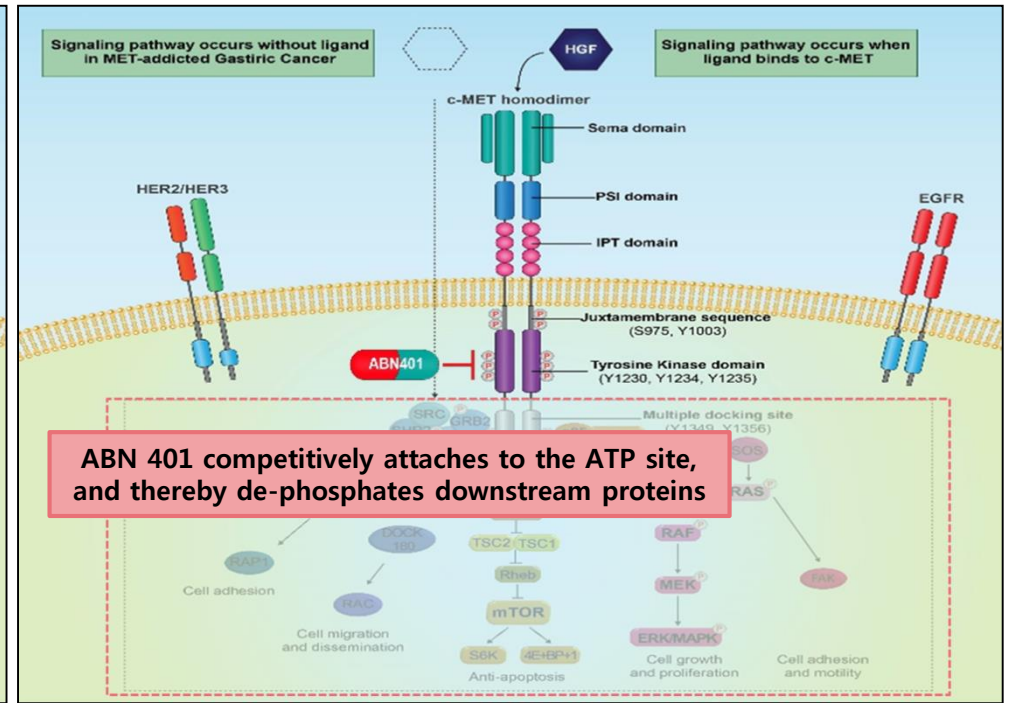
- ✓ c-Met만을 특이적으로 억제하는 저분자 화합물(small molecule)
- ✓ 주요 적응증: c-Met 유전자 변이와 관련된 각종 암(위암, 폐암, 신장암 등)
- ✓ 동반진단 바이오마커: c-Met 유전자 증폭, 엑손 14번 결실
- ✓ 1세대 c-Met 억제제의 가장 큰 실패 원인으로 꼽히는 신장독성(renal toxicity)을 최초 디자인 단계에서부터 근본적으로 배제시킴
- ✓ 범부처신약개발사업단(KDDF) 선정 과제

# 작용 기전(Mode of Action)

## Downstream Signal-On



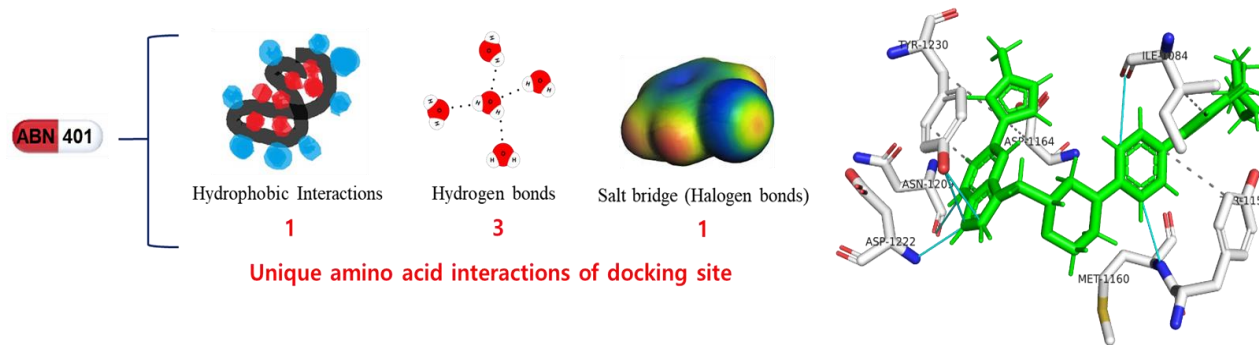
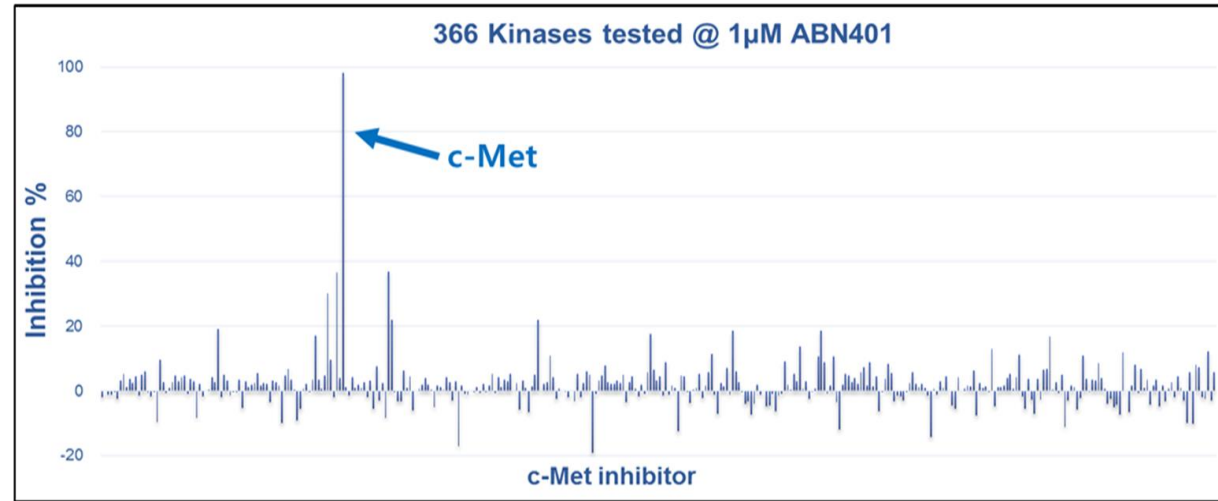
## Downstream Signal-Off





# 주요 데이터

## c-Met에 대한 탁월한 선택성

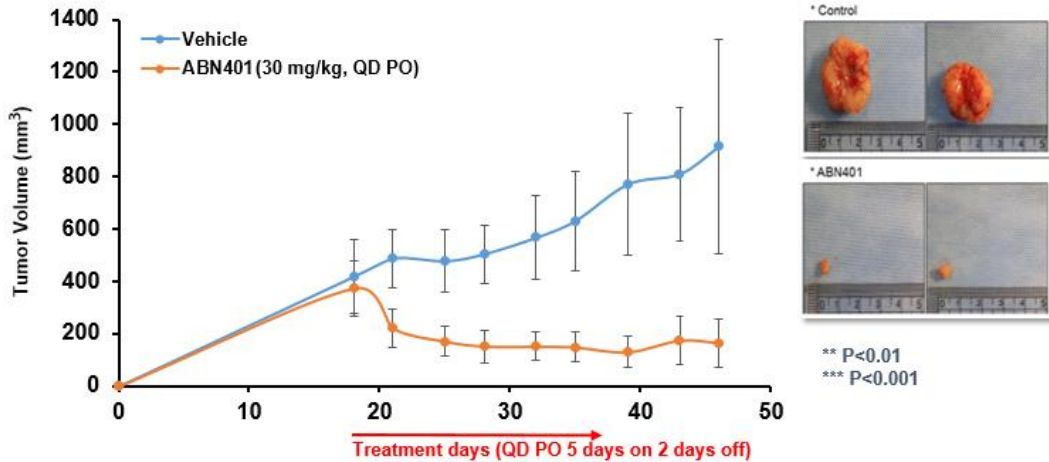


- ✓ Wildtype c-Met에 대해 98% 이상의 억제율 (366개의 키나제 중에서)
- ✓ c-Met에 대한 ABN 401의 탁월한 선택성은 추후 후기 임상시험에서 약물의 병용투여로 인한 독성 리스크를 경감시켜줄 것으로 기대됨
- ✓ ABN 401은 타 경쟁약물 대비 높은 선택성 / 특이성을 가지는 구조적 특징이 있음을 확인

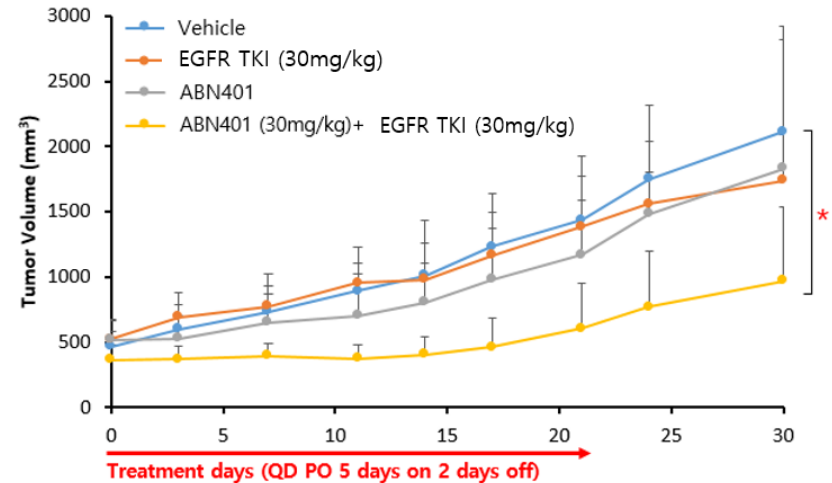
# 주요 데이터

## ABN 401 Efficacy: Xenograft Models

**Gastric Cancer**  
(MET Amp. + c-Met Overexpression)



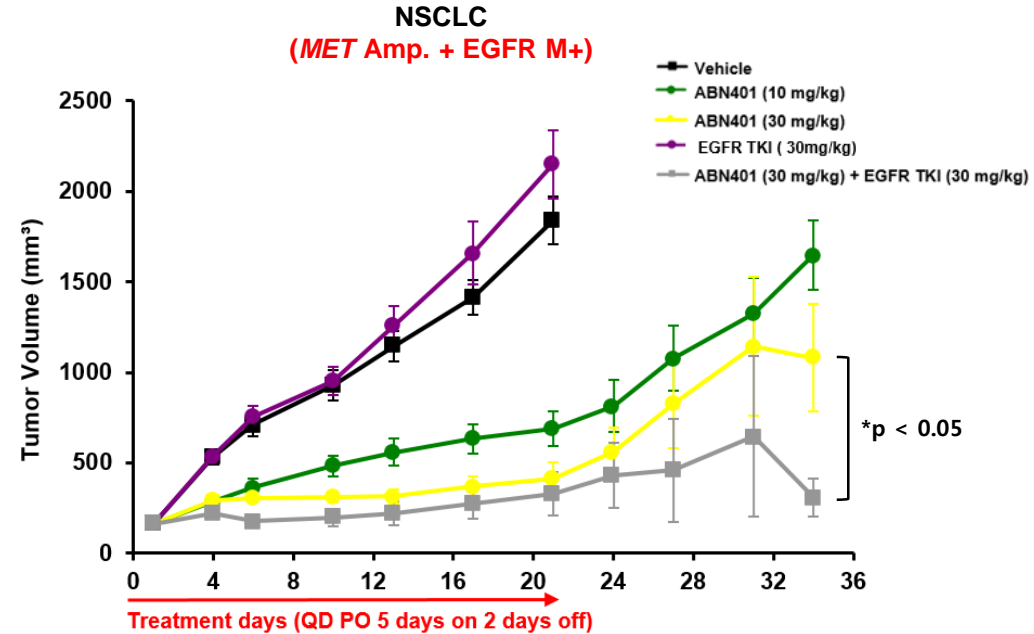
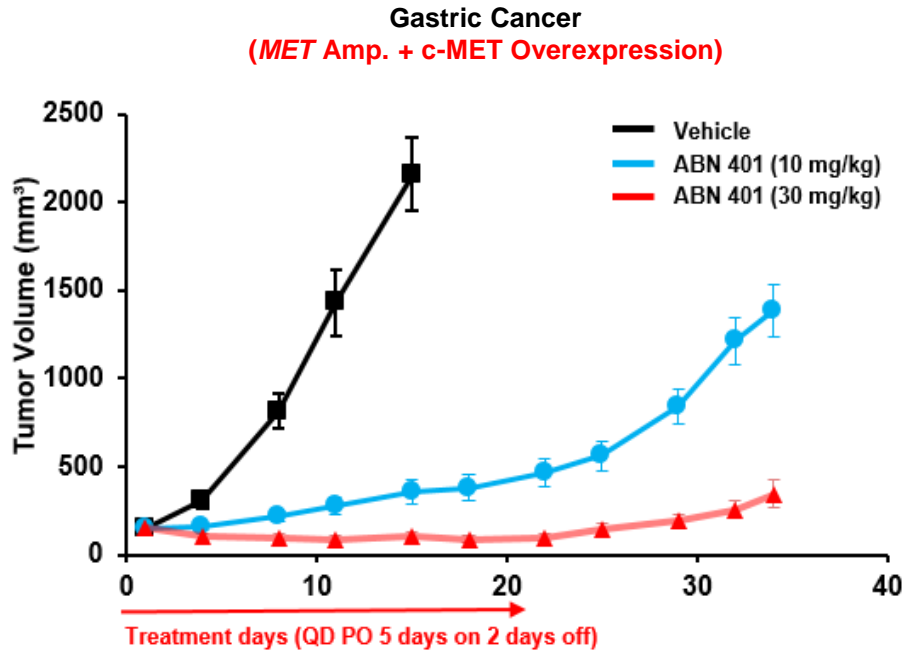
**NSCLC**  
(Constitutive Activation of c-Met and EGFR)



**Treatment of ABN 401 shows significant tumor reduction in high MET Amp and c-Met overexpression in Gastric Cancer and NSCLC xenograft models**

# 주요 데이터

## ABN 401 Efficacy: PDX models



Treatment of ABN 401 shows significant tumor reduction in high MET Amp and synergistic inhibitory effects in combination with EGFR TKI in NSCLC

# 주요 데이터 - 비임상시험

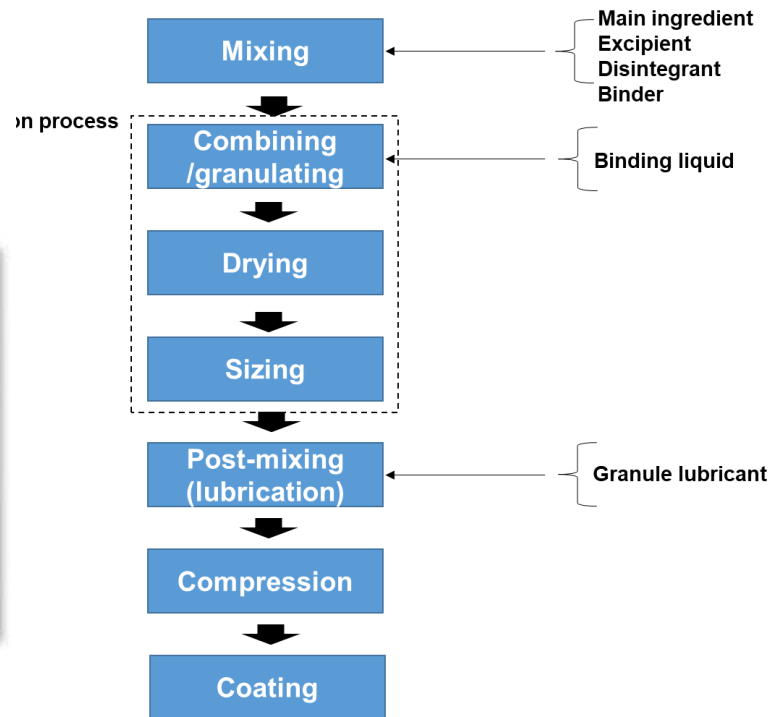
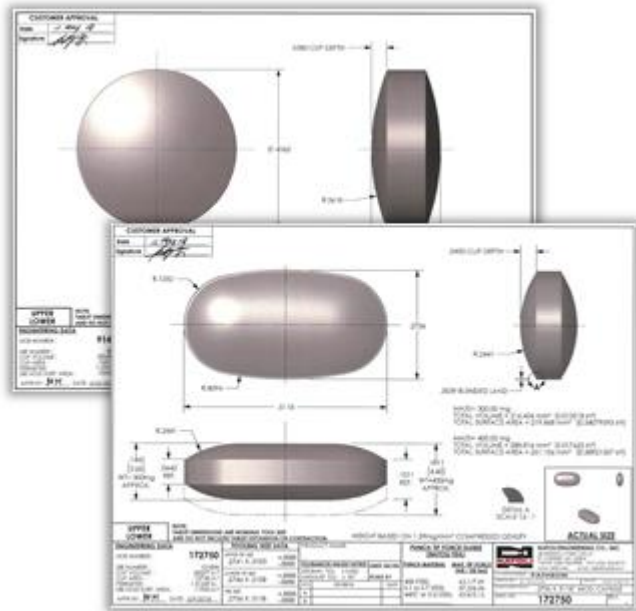
## Toxicity study

Toxicity Study		Dose (mg/kg/day)	Results	Note
Rodent (SD rat)	Acute toxicity	200, 500, 1000, 2000	<ul style="list-style-type: none"> <li>No unscheduled death</li> <li>Body weight loss at 1000 and 2000</li> <li>Clinical observations at 2000</li> </ul>	Non-GLP
	4 week repeat dose + 2 week recovery	0, 25, 50, 100	<ul style="list-style-type: none"> <li>Classified data</li> </ul>	GLP
Non-rodent (Beagle dog)	Acute toxicity	50, 150, 300, 600	<ul style="list-style-type: none"> <li>No moribundity or mortality</li> <li>No test article related effects on body weight or food consumption</li> </ul>	Non-GLP
	4 week repeat dose + 2 week recovery	0, 10, 25, 50	<ul style="list-style-type: none"> <li>Classified data</li> </ul>	GLP

✓ Rat 및 Beagle dog을 활용한 비임상 시험 완료

# 주요 데이터 - 임상시료 제조

## DP manufacturing

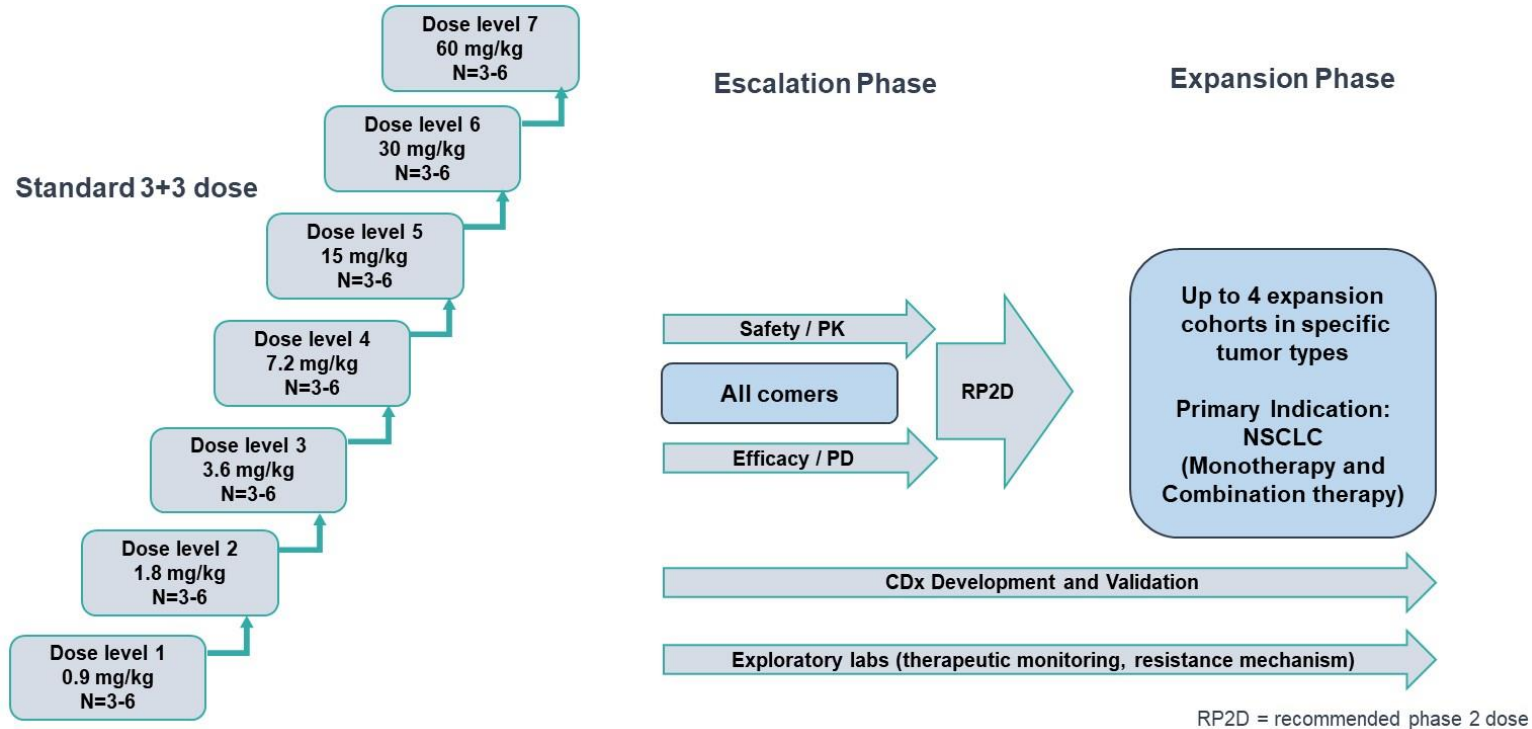


Manufacturing process of the ABN401 immediate release oral tablet

- ✓ 복미 소재의 CMO에서 cGMP process 를 통해 임상시험용 DS 및 DP 시료 제조

# 임상 디자인

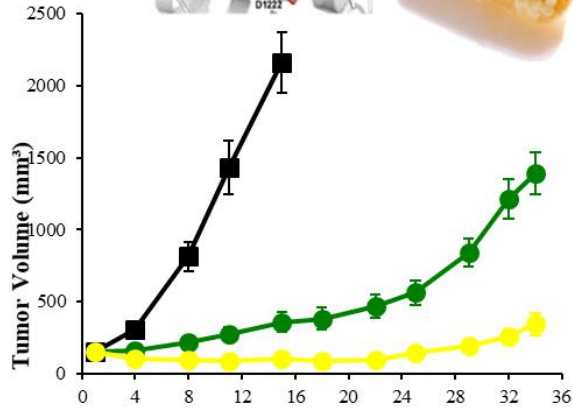
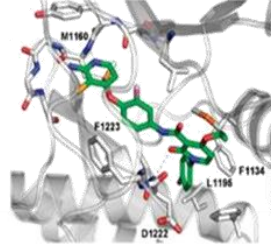
## Planned first-in-human trial



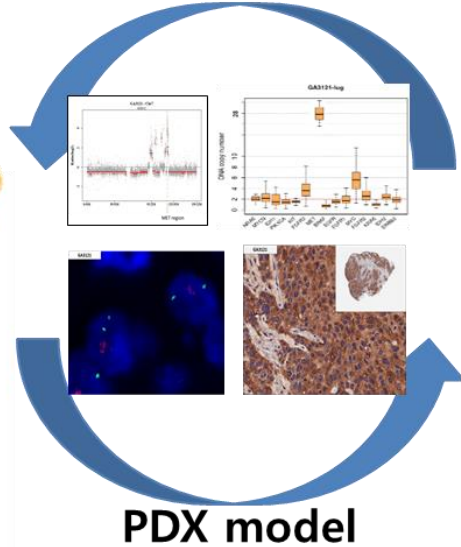
- ✓ 임상 1상에서는 Solid tumor 환자를 대상으로 Dose escalation study를 진행하여 안전성, PK 및 임상 2상 투여량을 결정
- ✓ 임상 2상에는 비소세포폐암 환자를 우선적으로 하여 단독 또는 병용 투여 진행

# ABN401-동반진단 개발 전략

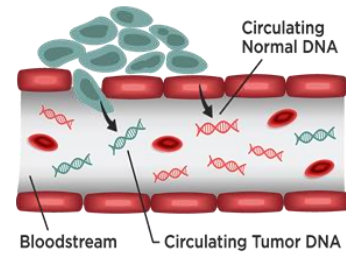
## Highly selective C-MET Inhibitor (ABN401)



- Group 1, Vehicle 1, 0 mg/kg, 5D+/2D- x 3 weeks, p.o., Vehicle 2, 0 mg/kg, QW x 3 weeks, i.v.
- Group 2, ABN401, 10 mg/kg, 5D+/2D- x 3 weeks, p.o.
- Group 3, ABN401, 30 mg/kg, 5D+/2D- x 3 weeks, p.o.



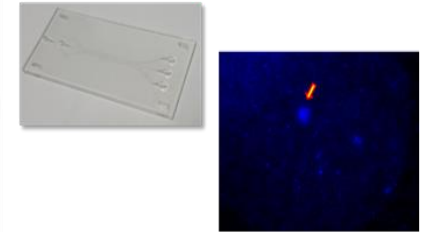
## Liquid Biopsy - cell-free tumor DNA



EGFR  
KRAS  
c-Met  
PIK3C  
A



- C-Met CTC Cell Sorting  
- C-Met expression

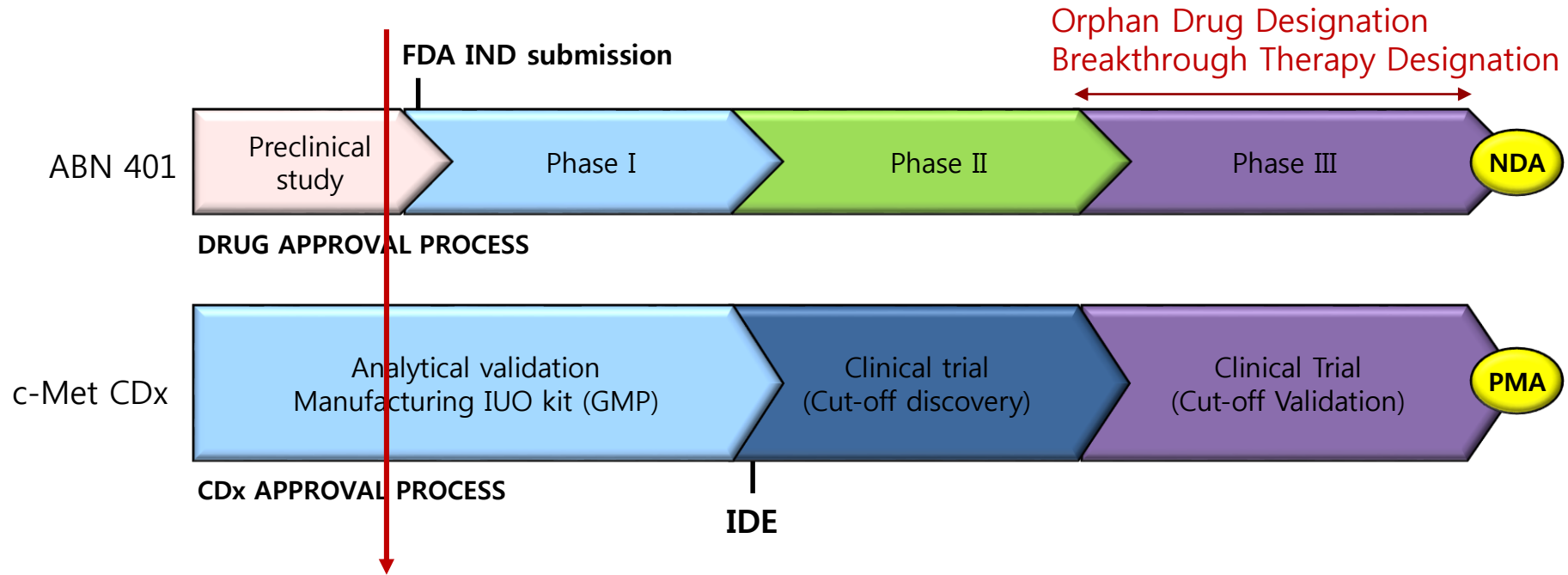


• For a novel therapeutic product, an IVD companion diagnostic device should be developed and approved or cleared contemporaneously to support the therapeutic product's safe and effective use  
- Guidance for Industry and USFDA Administration Staff - In Vitro Companion Diagnostic Devices(July 14,2011) -



# 임상 개발 전략

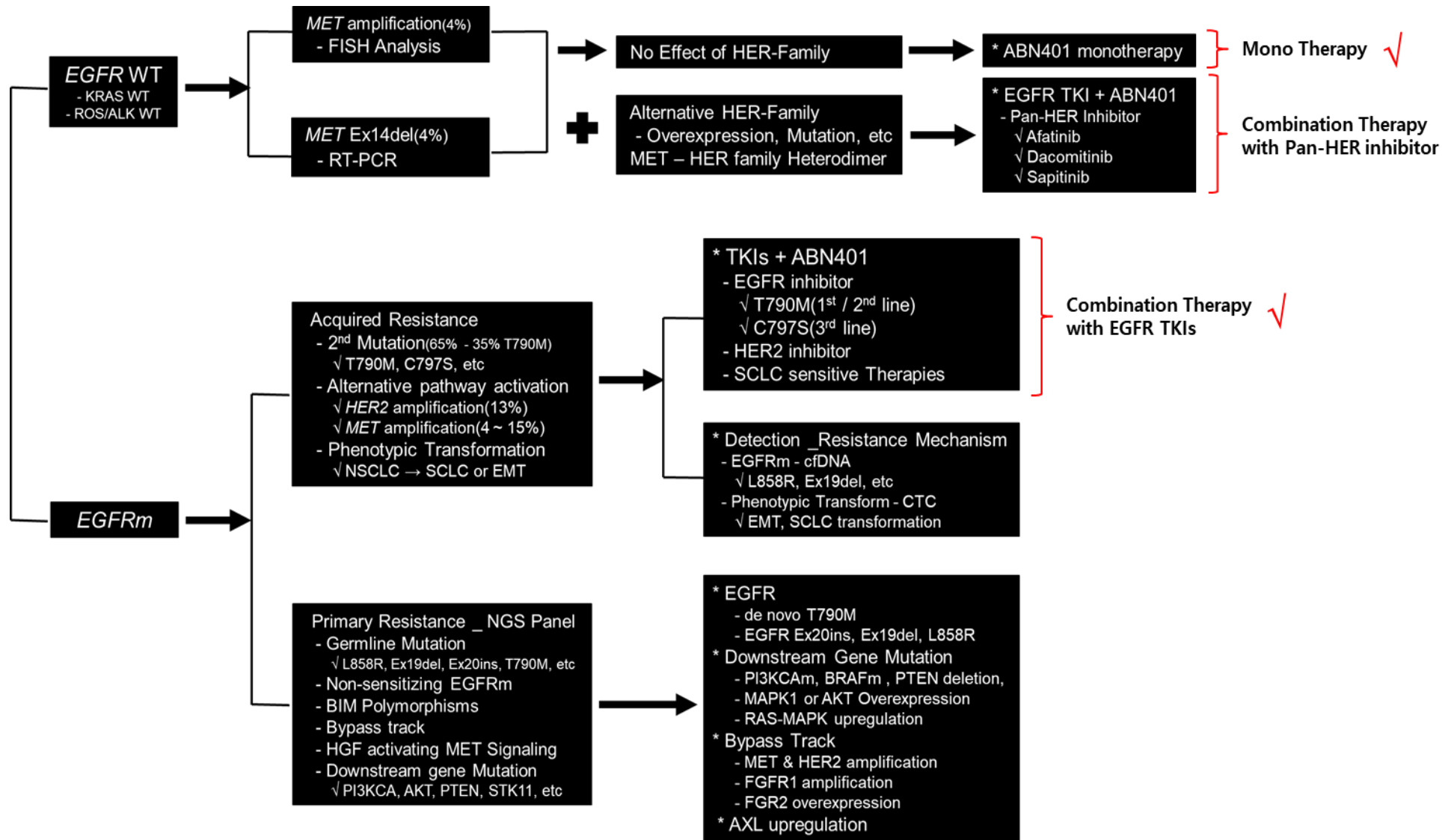
## Prospective Clinical Trial (Multi-arm Design)



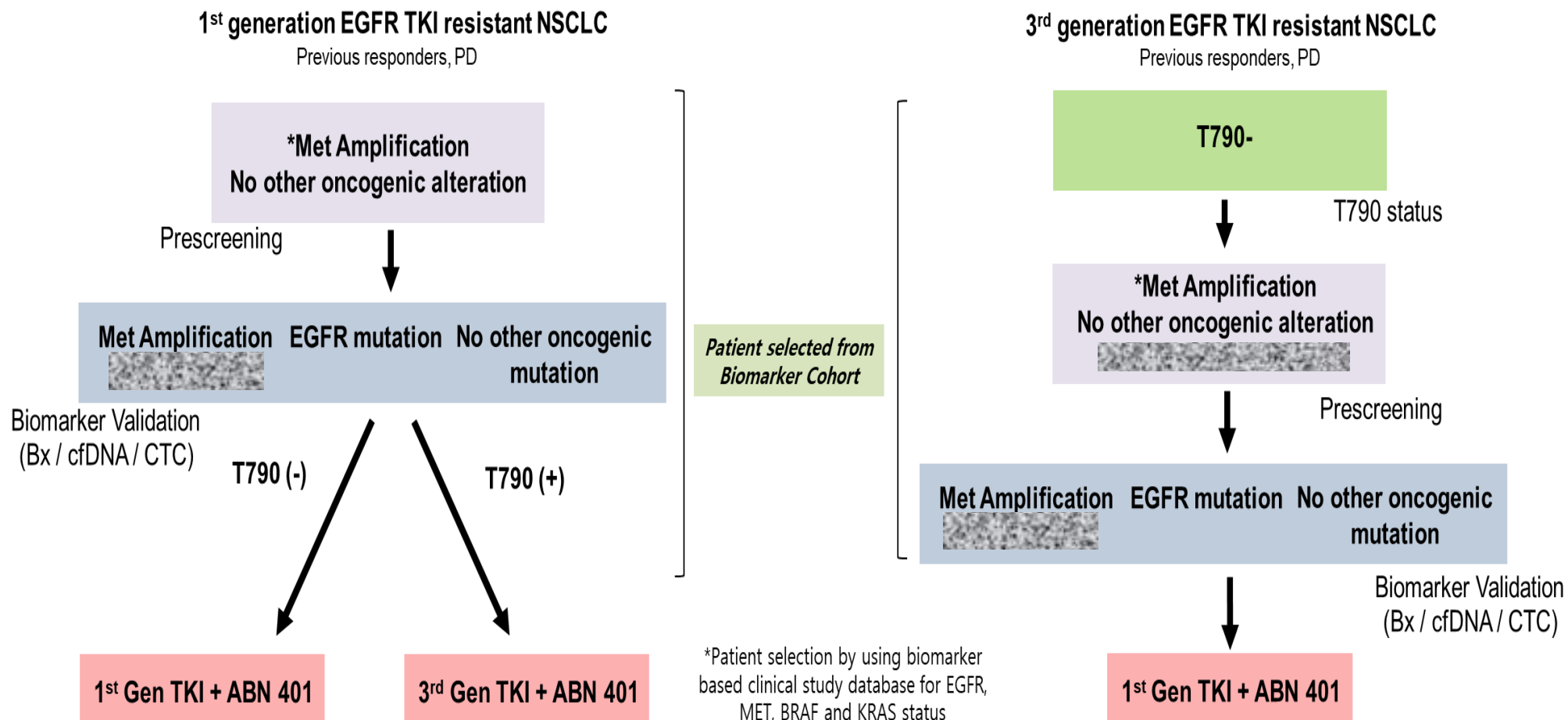
- ✓ Phase I,II는 호주, 미국을 중심으로 하는 Global Study
- ✓ 폐암(NSCLC), 신장암(PRCC), 위암(Gastric) 중 선택
- ✓ Bx 뿐 만 아니라, Liquid Bx 에 의한 CDx 고려 중



# 임상 개발 전략

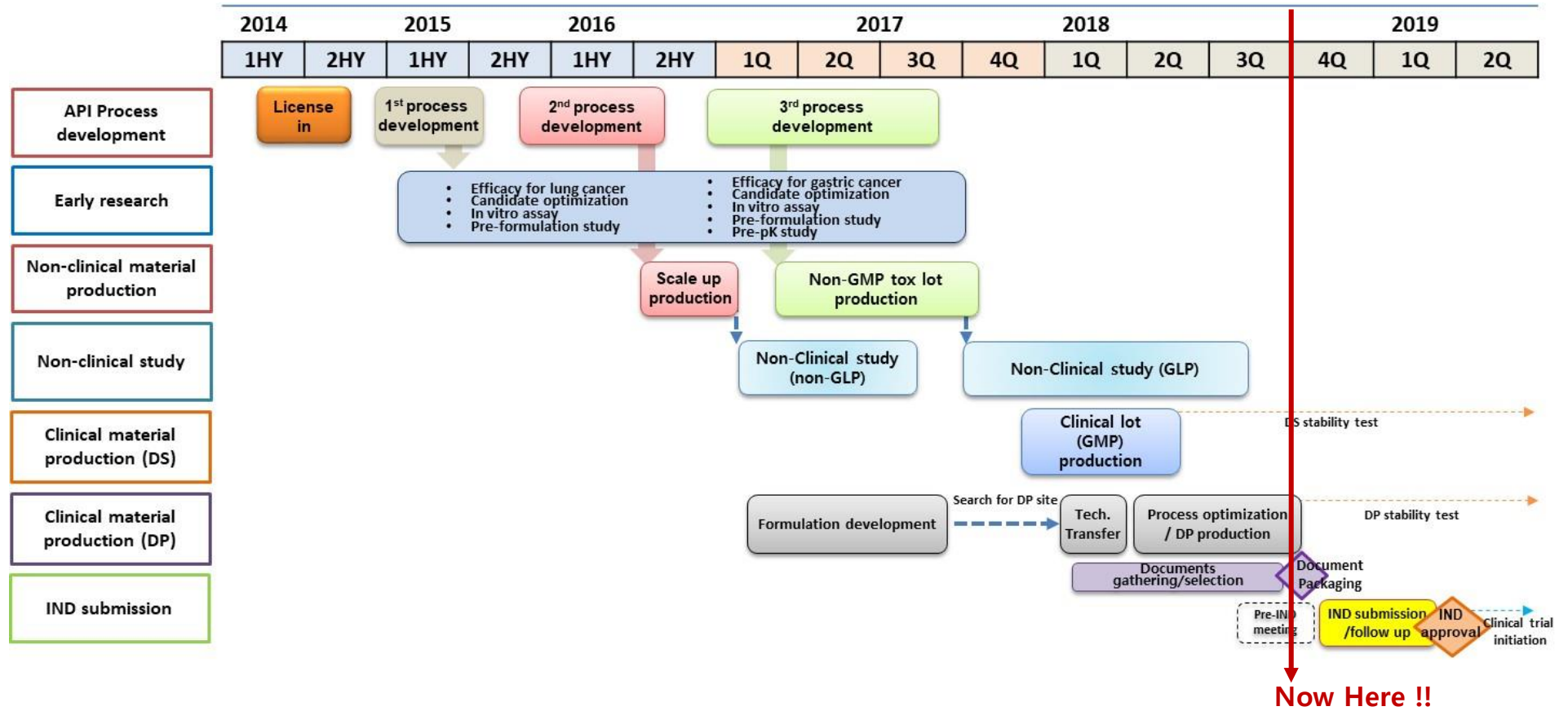


# Expansion Cohort: NSCLC Combination Therapy



# Timeline

## 개발 진행 현황



- ✓ 신속한 임상시험 진행이 가능한 호주에서 임상 1상을 수행
- ✓ 안전성이 확인되면 FDA에 승인 요청하고 임상 2상 (Dose expansion)은 한국과 미국에서 진행

# 임상 개발 전략

## 글로벌 1상 실시 국가 : Australia

	Benefits											
<b>비용 경쟁력 (cost efficiency)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>임상시험 등의 R&amp;D 수행 바이오기업에 호주정부에서 세제 혜택 부여</li> <li><b>세금의 최대 45% 환급</b>이 가능 (미국 대비 28% 낮은 세전 혜택, 60% 낮은 세후 혜택 제공)</li> </ul> <table border="1"> <thead> <tr> <th>연간 총 매출액 (aggregated annual company turnover)</th> <th>2천만 달러 (AUD) 이하</th> <th>2천만 달러 (AUD) 이하</th> <th>2천만 달러 (AUD) 이상</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td rowspan="2">회사 세금 상태</td> <td>손실일 경우 45% 현금 환급</td> <td>수익인 경우 45% 세금 상제</td> <td>손실 혹은 수익 40% 세금 상제</td> </tr> <tr> <td>환급 가능</td> <td>환급 불가능</td> <td>환급 불가능</td> </tr> </tbody> </table> <p style="text-align: right;">출처: Frost &amp; Sullivan (2016)</p>	연간 총 매출액 (aggregated annual company turnover)	2천만 달러 (AUD) 이하	2천만 달러 (AUD) 이하	2천만 달러 (AUD) 이상	회사 세금 상태	손실일 경우 45% 현금 환급	수익인 경우 45% 세금 상제	손실 혹은 수익 40% 세금 상제	환급 가능	환급 불가능	환급 불가능
연간 총 매출액 (aggregated annual company turnover)	2천만 달러 (AUD) 이하	2천만 달러 (AUD) 이하	2천만 달러 (AUD) 이상									
회사 세금 상태	손실일 경우 45% 현금 환급	수익인 경우 45% 세금 상제	손실 혹은 수익 40% 세금 상제									
	환급 가능	환급 불가능	환급 불가능									
<b>규제 속도 (Regulatory speed)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>호주의 모든 임상시험은 임상시험 통지계획 (Clinical Trial Notification, CTN)에 따라 실시</li> <li>윤리위원회 (Ethics Committees, EC)에서 CTN의 유효성, 의약품의 안전성 및 유효성, 임상시험 절차의 윤리적 수용성 및 임상시험 계획서의 승인 여부를 평가</li> <li>미국 FDA IND 대비 승인 절차 및 <b>서류가 간소하고 검토 속도가 빠름 (1~2개월 이내)</b></li> </ul> <div style="text-align: center;"> <p><b>STEP 1</b>                      <b>STEP 2</b>                      <b>STEP 3</b>                      <b>STEP 4</b>                      <b>STEP 5</b></p> <pre> graph LR     S1[STEP 1: Prepare Documentation] --&gt; S2[STEP 2: Submit Documents to Ethics Committee]     S2 --&gt; S3[STEP 3: EC Review Time Private EC - 1 month Public EC - 2 months]     S3 --&gt; S4[STEP 4: Notify TGA Submit CTN form to TGA to notify the study is starting]     S4 --&gt; S5[STEP 5: TGA Review 5 days STUDY START]             </pre> </div>											
<b>임상시험의 질 및 유연성 (clinical trial quality and flexibility)</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>질 높은 임상 데이터 수용력 및 인프라, 네트워크 구축 등 초기 임상 연구를 위한 생태계 정비 잘 되어 있음</li> <li>호주에서 수행되는 임상 연구 결과는 <b>국제적 기준에 부합</b>하며 이를 토대로 다국적 임상 전개 용이</li> </ul>											

✓ **비용 및 규제 유연성을 고려**하여 글로벌 임상 1상 진입국을 호주로 변경, 여기에서 확보된 안전성 결과를 가지고 미국 및 다국적 임상을 진입하는 것이 유리

# 목표시장 예측 (US)

## Combination therapy

Assumptions	
NSCLC	100%
NSCLC EGFR mutation	15%
1st Line 1st Gen EGFR TKI resistance MET Amp	의 16%
2nd Line 3rd Gen EGFR TKI resistance MET Amp	의 18%
1st line 3rd Gen EGFR TKI resistance MET Amp	의 30%
Reference drug retail price per year - Crizotinib	\$115,000

#1 : 1<sup>st</sup> line 으로 1세대 EGFR TKI (Iressa/Taceva) 를 투여한 경우

	2015	2017	2019	2021	2023	2025
비소세포폐암(NSCLC) 진단 환자 수	179,349	181,665	185,296	190,625	197,469	204,768
NSCLC EGFR 변이 환자 수	26,902	27,250	27,794	28,594	29,620	30,715
① --- 1 <sup>st</sup> line 에서 1세대 EGFR TKI 투여 시, MET Amp.에 의한 resistance 환자 수 (2 <sup>nd</sup> line 대상 환자)	4,304	4,360	4,447	4,575	4,739	4,914
② --- 2 <sup>nd</sup> line에서 3세대 EGFR TKI 투여 시, MET Amp.에 의한 resistance 환자 수 (3 <sup>rd</sup> line 대상 환자)	2,179	2,207	2,251	2,316	2,399	2,488
ABN401 투여 대상 환자 (①+②)	6,483	6,567	6,698	6,891	7,139	7,402
연간 판매액 (USD) <sup>1)</sup>	745,598,630	755,226,821	770,321,796	792,475,781	820,928,000	851,271,768

#2 : 1<sup>st</sup> line 부터 3세대 EGFR TKI (Tagrisso) 를 투여한 경우

	2015	2017	2019	2021	2023	2025
비소세포폐암(NSCLC) 진단 환자 수	179,349	181,665	185,296	190,625	197,469	204,768
NSCLC EGFR 변이 환자 수	26,902	27,250	27,794	28,594	29,620	30,715
1 <sup>st</sup> line 에서 3세대 EGFR TKI 투여 시, MET Amp.에 의한 resistance 환자 수 (2 <sup>nd</sup> line 대상 환자)	8,071	8,175	8,338	8,578	8,886	9,215
연간 판매액 (USD) <sup>1)</sup>	928,131,075	940,116,375	958,906,800	986,484,375	1,021,902,075	1,059,674,400

<sup>1)</sup> 기허가된 경쟁약물 (crozotinib, USD 115,000/년) 기준  
Reference : Globla data 2016, Diagnosed NSCLC in US

# 목표시장 예측 (US)

## Mono therapy

Assumptions	
NSCLC	100%
Adenocarcinoma NSCLC	57%
Exon 14 del w/o onogenic mutations	2.5%
Reference drug retail price per year - Crizotinib	\$115,000

	2015	2017	2019	2021	2023	2025
비소세포폐암(NSCLC) 진단 환자 수	179,349	181,665	185,296	190,625	197,469	204,768
선암 (Adenocarcinoma) 환자 수	102,229	103,549	105,619	108,656	112,557	116,718
ABN401 투여 대상 환자 (Exon 14 결실 외 다른 발암성 변이 없음)	2,556	2,589	2,640	2,716	2,814	2,918
연간 판매액 (USD) <sup>1)</sup>	293,940,000	297,735,000	303,600,000	312,340,000	323,610,000	335,570,000

1) 기허가된 경쟁약물 (crizotinib, USD 115,000/년) 기준

Reference : Globa data 2016, Diagnosed NSCLC in US

✓ 단독 및 병행치료에 대한 미국 허가시 연간 1.2조의 매출발생이 예상됨

A detailed illustration of a neuron, showing its cell body (soma) and branching dendrites. The neuron is rendered in a semi-transparent, greyish-white style against a light background. Several small, bright red circular spots are scattered across the neuron, particularly along the axon and within the cell body, suggesting areas of interest or damage. The overall aesthetic is clean and scientific.

다발성경화증 치료제의 새로운 패러다임

**ABN 101**

# 다발성경화증(Multiple Sclerosis)이란?

## 다발성경화증이란?

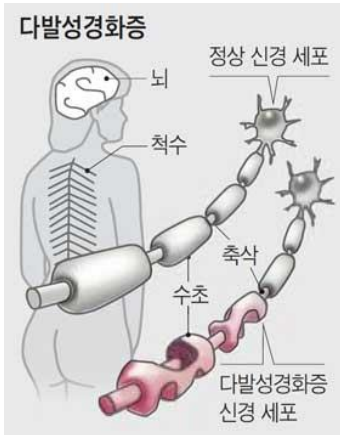


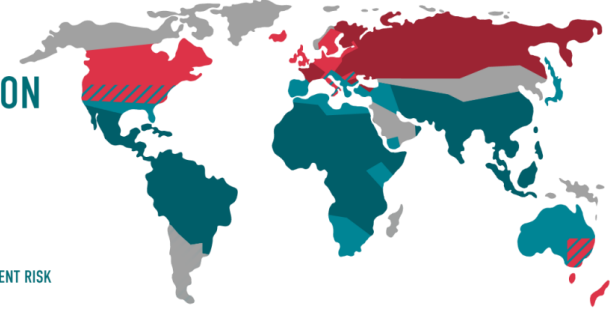
Image Source: 헬스조선

- ✓ 중추신경계 질환의 하나로 신경세포를 둘러싼 수초가 탈락되는 만성 질환
- ✓ 20~40대 에서 주로 발병
- ✓ 재발과 완화가 반복되며, 재발이 반복되면 장애가 남음
- ✓ 증상: 감각 장애, 운동 장애시 야 흐림 등

## 다발성경화증 글로벌 분포

### GLOBAL DISTRIBUTION OF MS

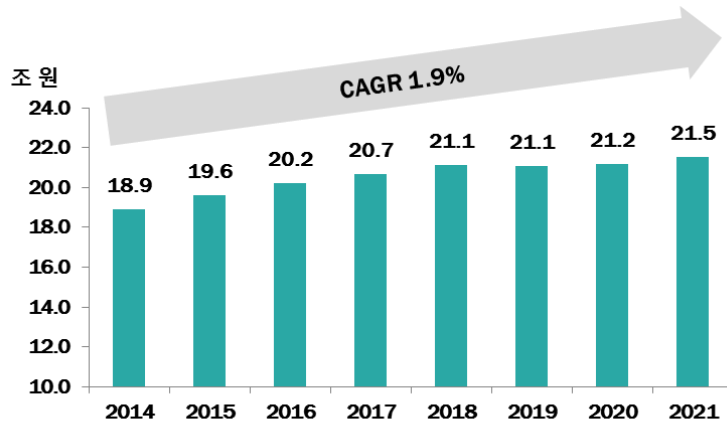
- HIGH RISK
- PROBABLE HIGH RISK
- LOW RISK
- PROBABLE LOW RISK
- NORTH-SOUTH GRADIENT RISK
- OTHER RISK



- ✓ 전 세계적으로 250만 명에게서 발병
- ✓ 동양인과 흑인 보다는 유럽계 백인에게서 주로 발병

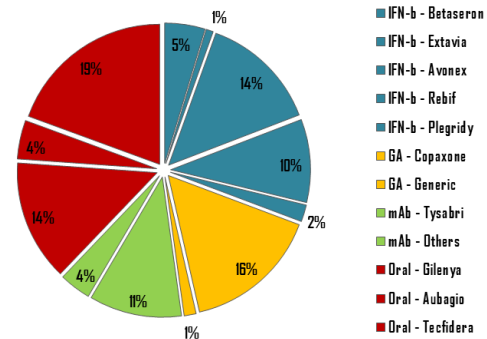
# 다발성경화증 치료제 시장 현황

## 다발성경화증 치료제 시장 규모



Source: 글로벌데이터(Global Data)

## 다발성경화증 치료제 시장 점유율 (2015년)



Source: 글로벌데이터(Global Data)

- ✓ 인터페론 베타 계열이 전체 시장의 31%를 차지



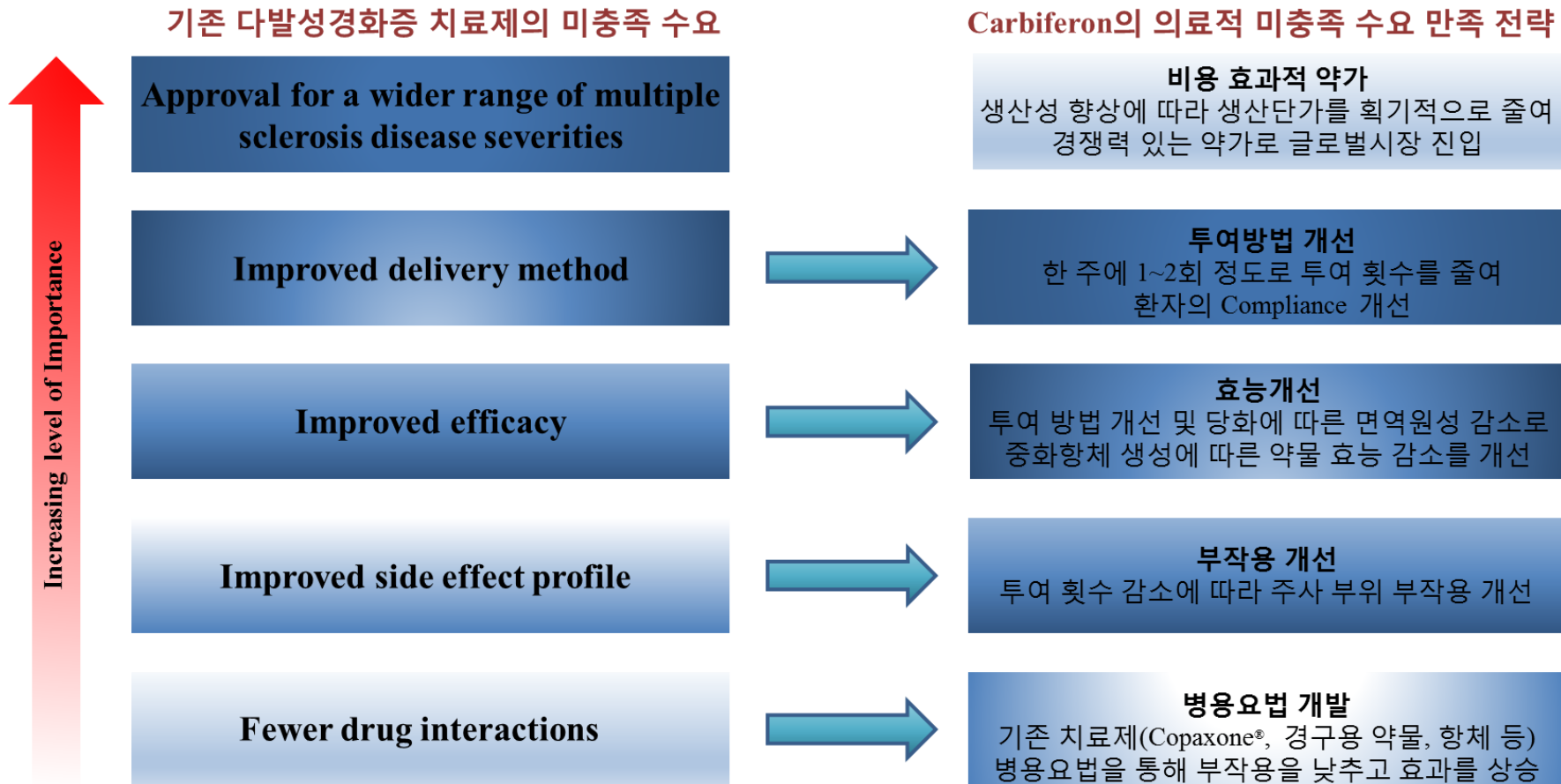
# 인터페론 바이오베터

## ABN 101



- ✓ 기존 인터페론 베타에 당쇄를 추가하여 생산성, 용해도, 안정성, 약동성(PK)을 개선한 제품
- ✓ 주요 적응증: 재발 완화성 다발성경화증(RRMS), 임상적 독립 증후군(CIS)
- ✓ 2차 적응증: 바이러스성 질환(B형 간염, SARS 등), 항암제 어쥬반트(adjutant), 척수염, 신경염 등의 탈수초성 질환
- ✓ 범부처신약개발사업단(KDDF) 선정 과제

# ABN101의 의료적 미충족 수요 만족 전략

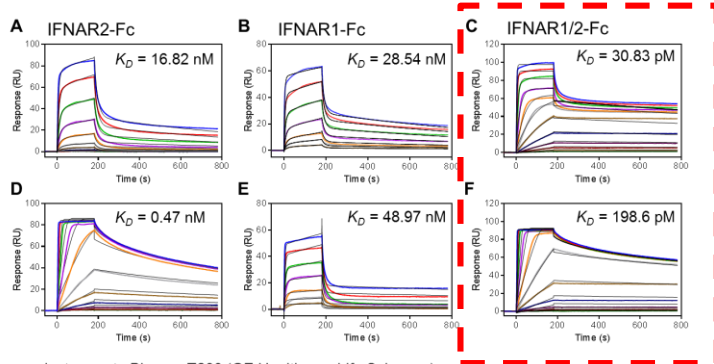


Ref: Datamonitor(2009)

# ABN101의 경쟁력

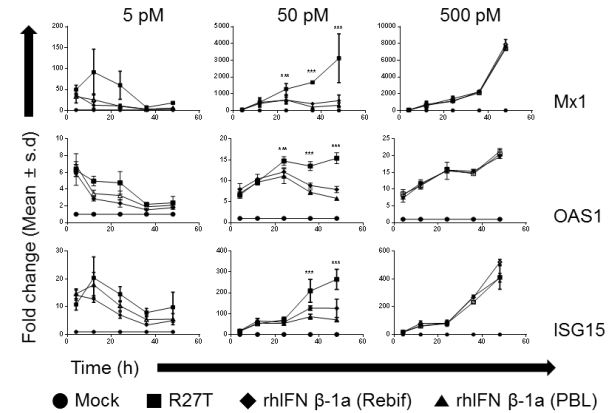
## ABN101 MOA

- ✓ 기존 인터페론 베타 대비 추가적인 당화에 의하여 IFNAR1/2에 대한 affinity가 크게 증가함

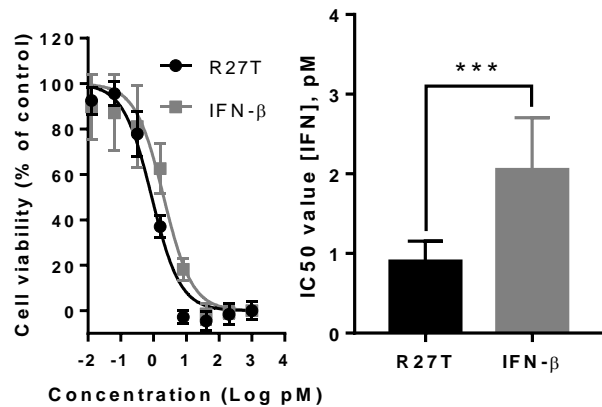


Instrument : Biacore T200 (GE Healthcare Life Sciences)  
 Analyte : R27T (A~C), Rebif (D~F)  
 Ligands : IFNAR2 (A, D), IFNAR1 (B, E), IFNAR1/2 (C, F)

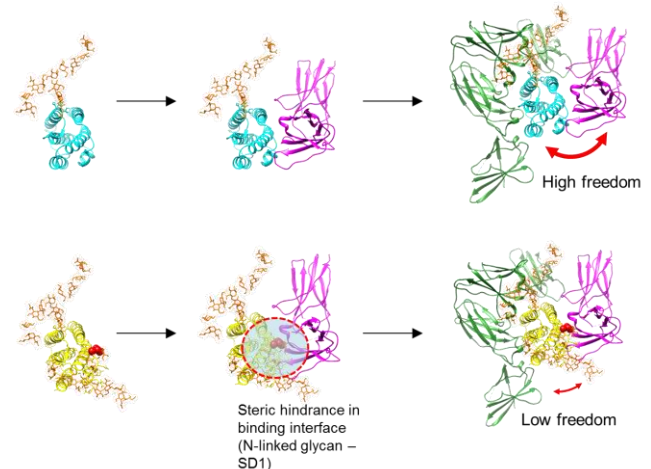
- ✓ IFNAR에 대한 affinity의 변화가 생김으로 인하여, 이후 IFN-β에 의한 signal의 지속성이 좋아짐



- ✓ IFN-β에 의한 signal의 지속됨에 따라 항증식작용이 기존 인터페론 베타 대비 좋아짐

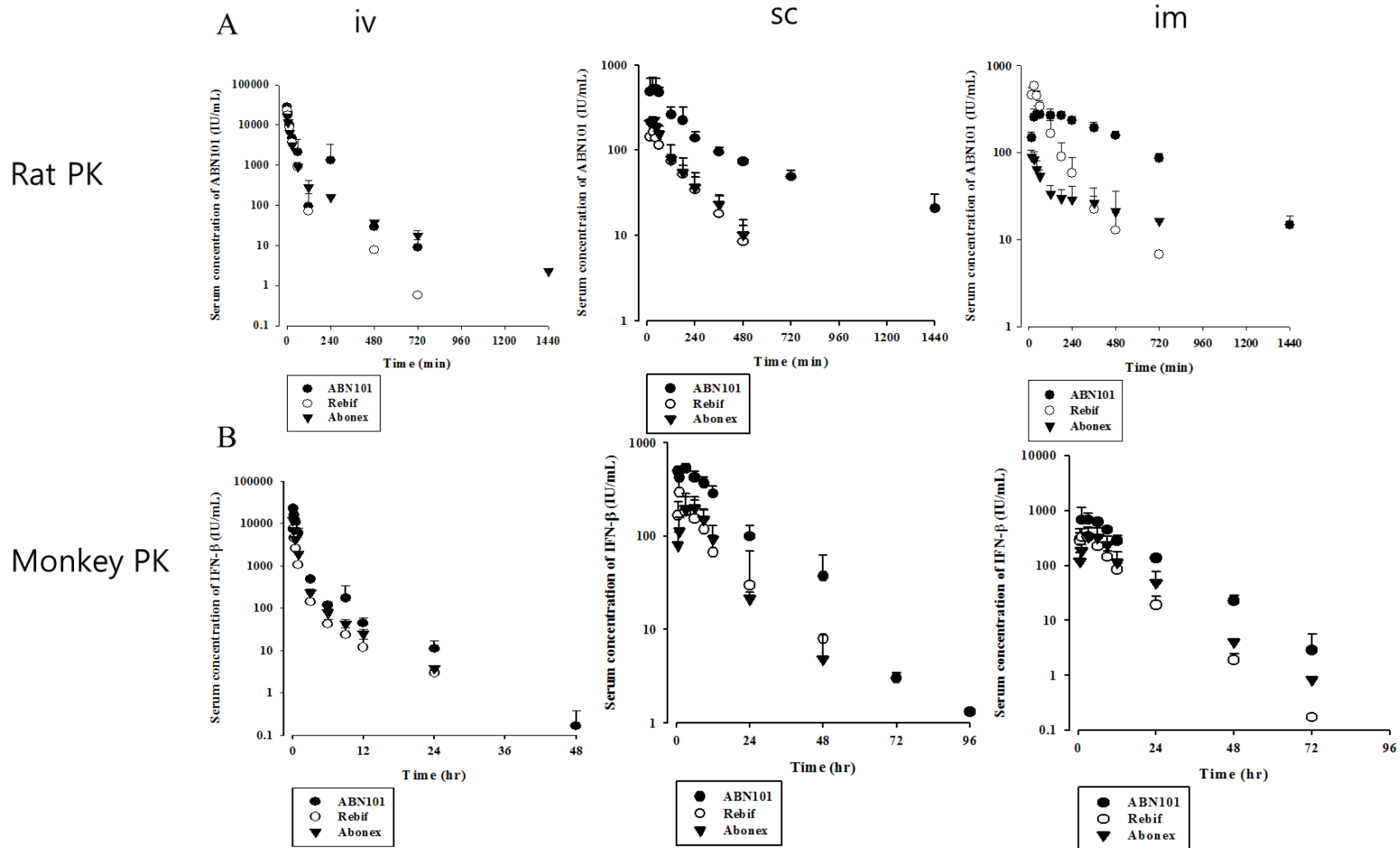


- ✓ ABN101의 구조분석을 통하여, 기존 인터페론 베타 대비 IFNAR의 결합력 변화 규명 완료



# 대표 경쟁 물질(Rebif, Avonex)과의 약동력학 비교

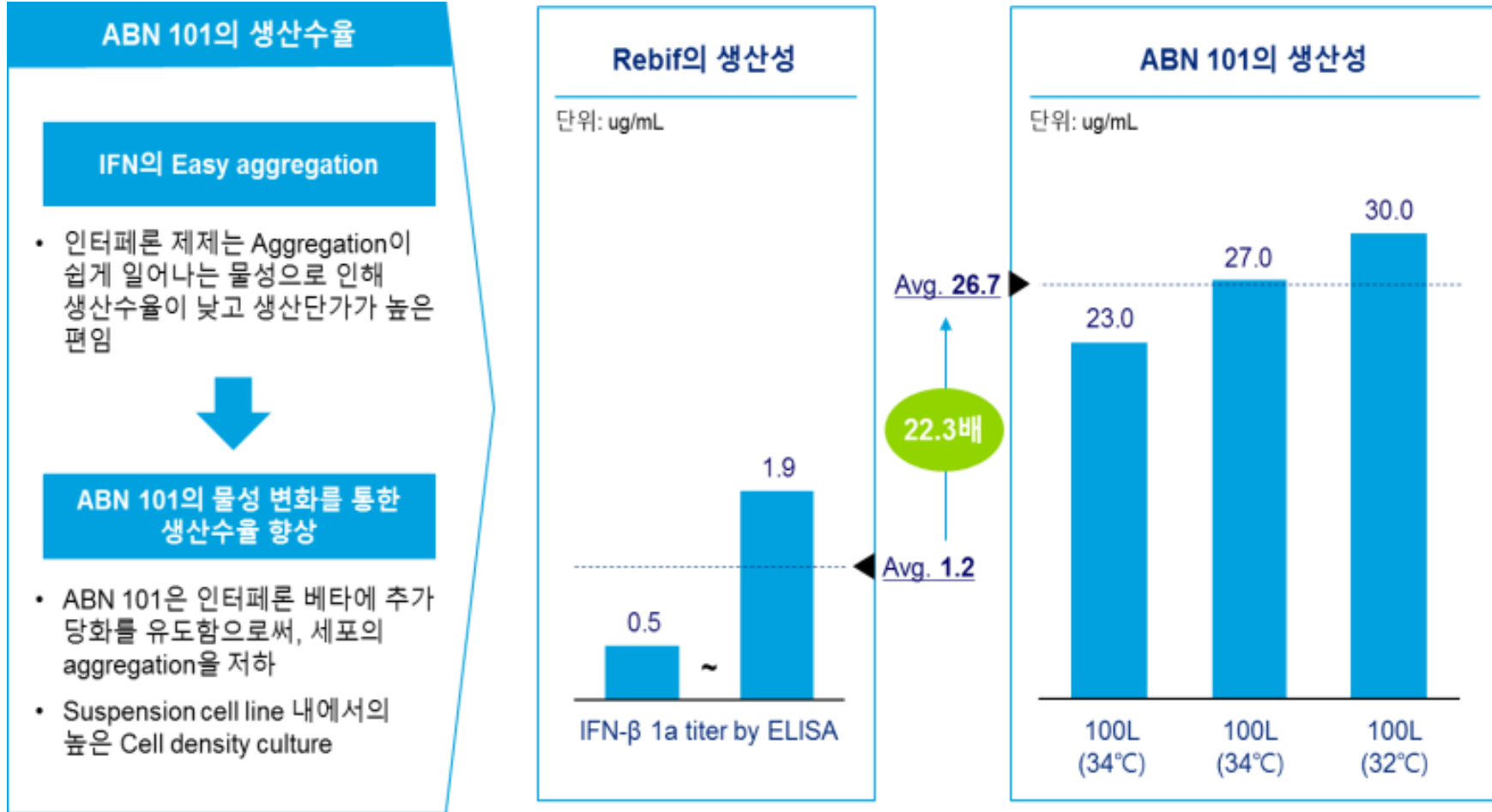
## Rat과 monkey에서의 PK 비교 data



✓ 기존 인터페론 베타 대비 생체내 우수한 생체 안정성 및 이용율

# 대표 경쟁 물질(Rebif)과의 생산성 비교

## 기존 인터페론 베타 대비 비교우위성



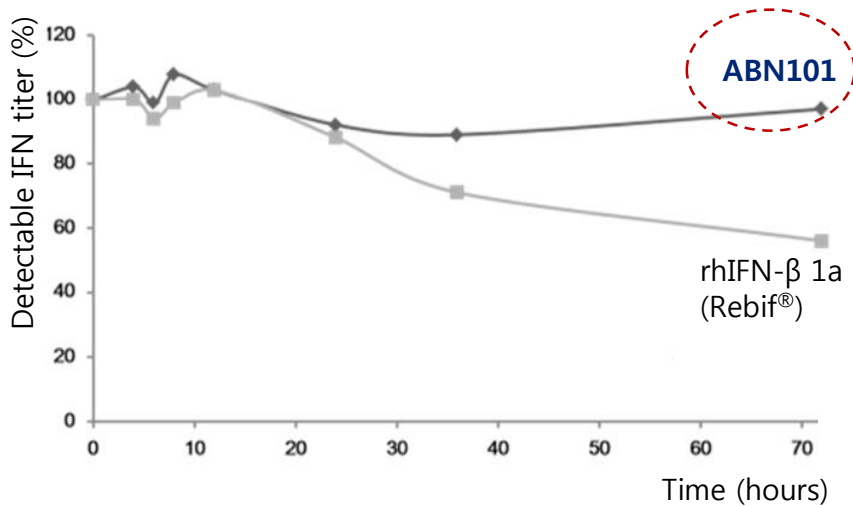
✓ 기존 인터페론 베타 대비 생산성이 최소 20배 이상 높음

# 대표 경쟁 물질(Rebif)과의 안정성 비교

## 기존 인터페론 베타 대비 비교우위성

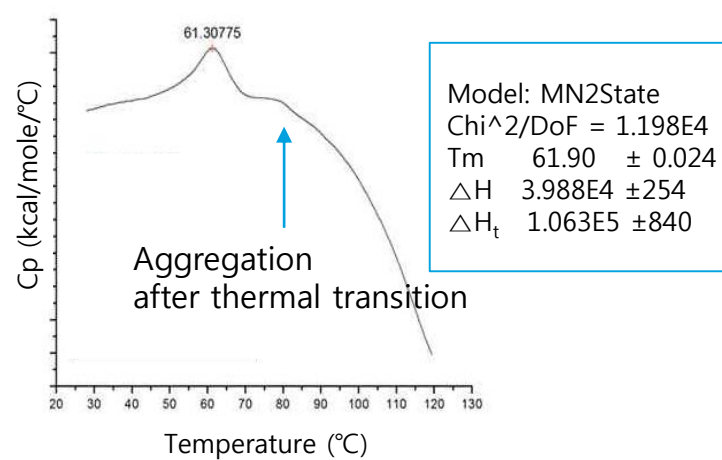
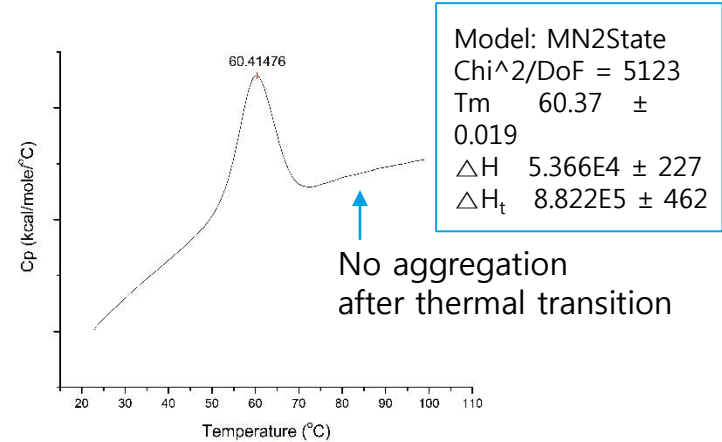
### • Thermodynamic Stability

Cytopathic effect (CPE) assay was conducted in the incubation at 37°C for 72 hours. The result showed the higher conformational stability of ABN101



ABN101

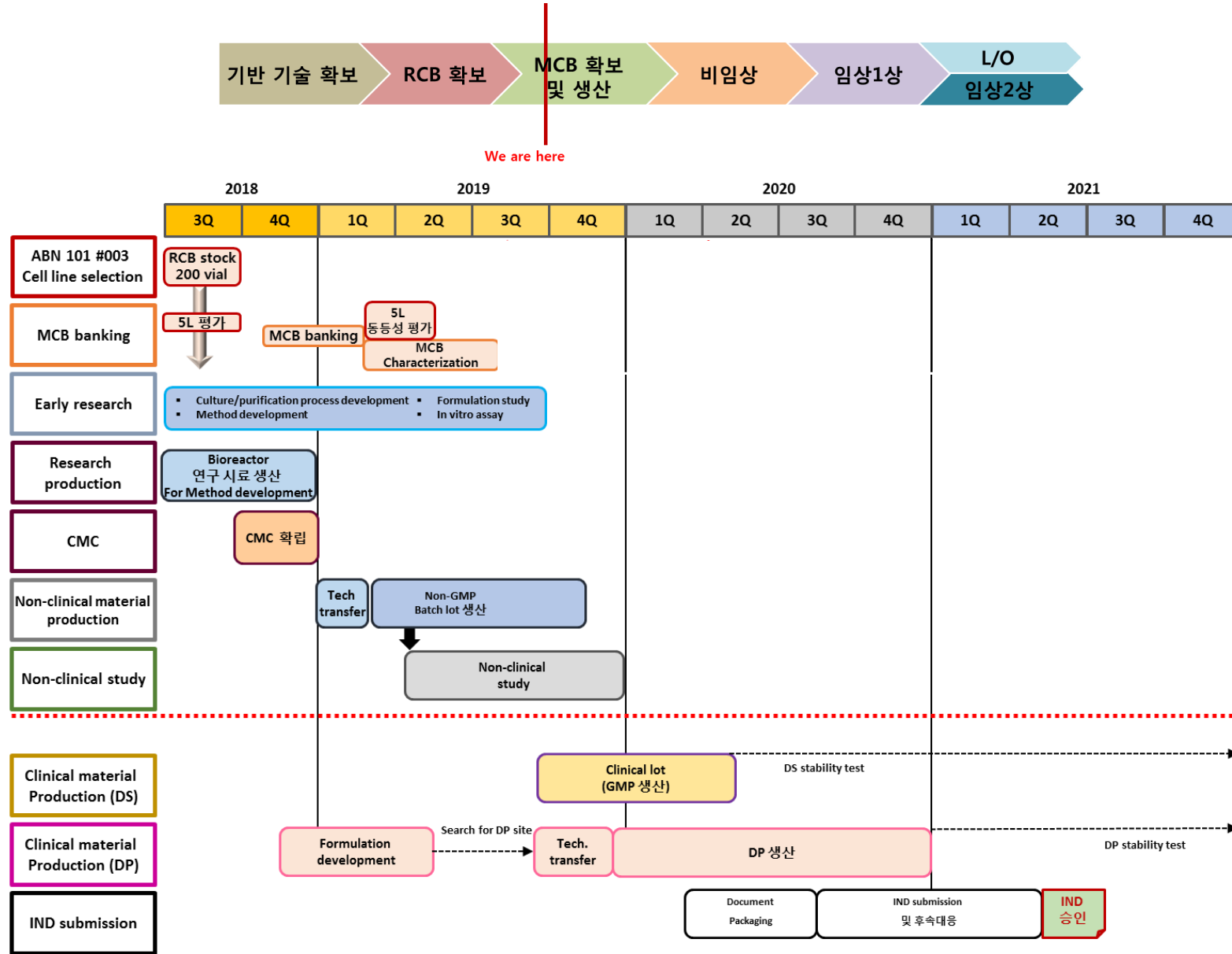
rhIFN-β 1a (Rebif)

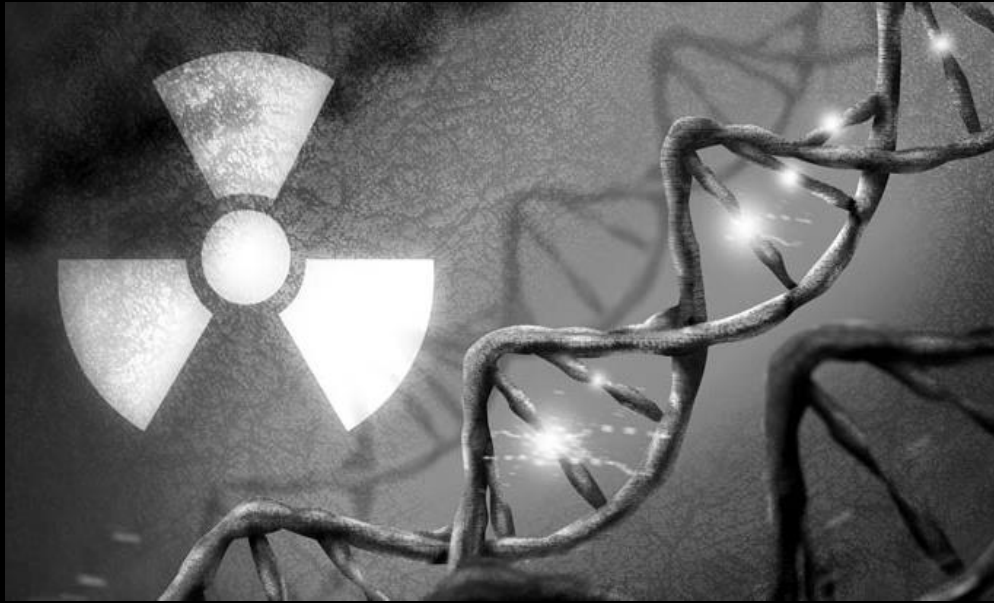


✓ 기존 인터페론 베타 대비 약물의 안정성이 높고 응집 현상이 낮음

# ABN101 Time line

## Time line





방사능 치료제 연구

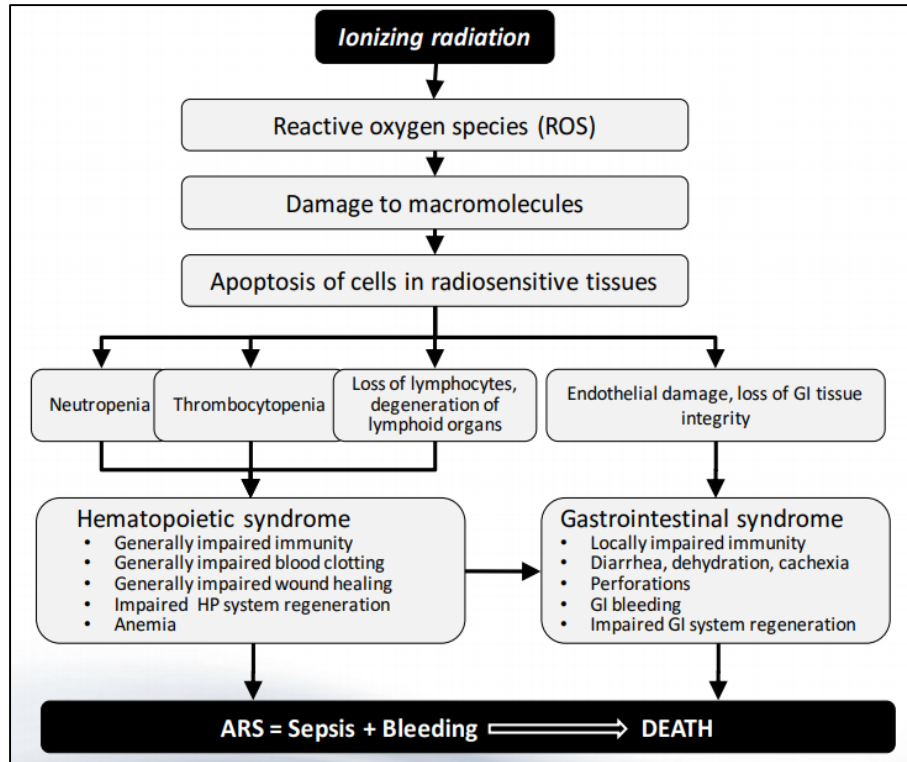
**ABN 601**





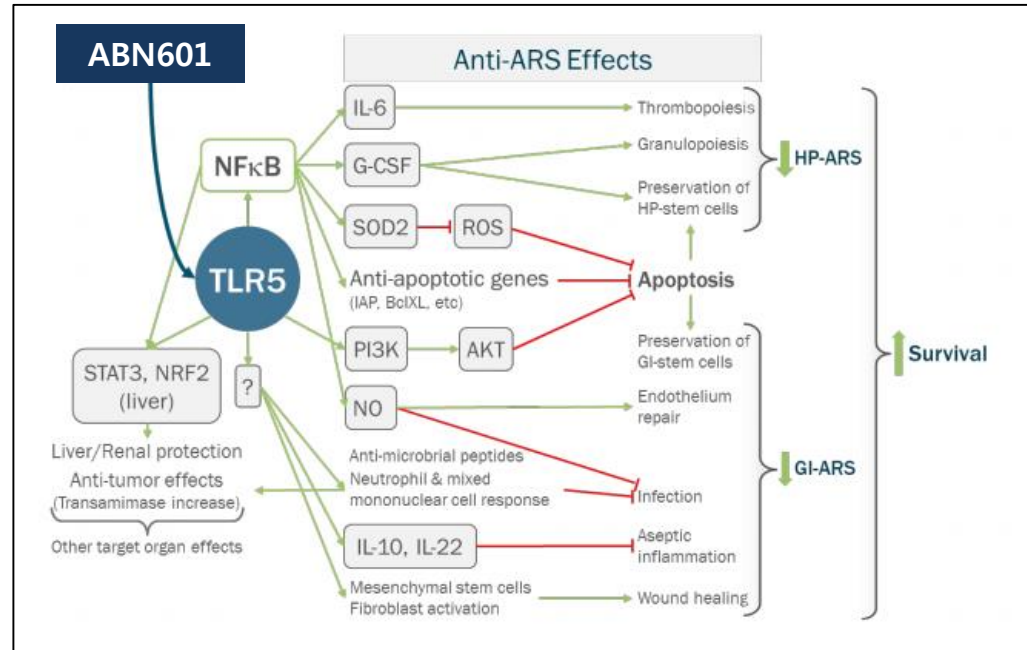
# Acute Radiation Syndrome (ARS)

## 급성 방사능 증후군



- ✓ 핵폭발이나 원전 등의 사고로 다량의 방사능에 노출되었을 때, 생기는 증후군.
- ✓ 방사능에 노출되면 활성산소들이 생성되어, macromolecule들이 데미지를 입으며, 방사능에 노출된 조직의 세포들이 apoptosis가 일어나게 됨.
- ✓ 면역시스템이 모두 망가지며, ARS는 결국 패혈증과 출혈로 인해 사망하게 됨.

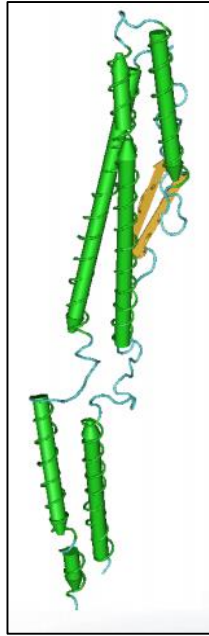
## 급성 방사능 증후군 치료제: ABN 601



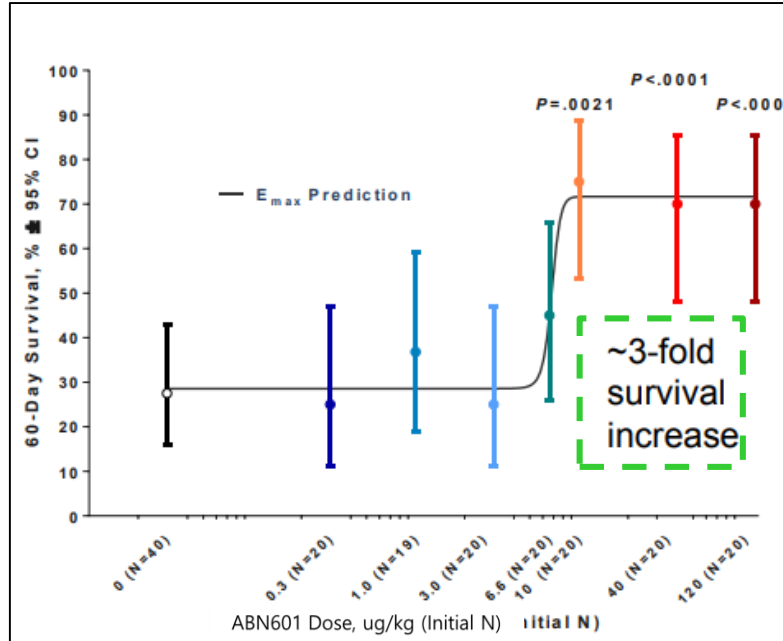
<Mechanism of action-ABN 601>

- ✓ TLR5 아고니스트 단백질로, acute radiation syndrome의 치료제로 알려져 있음.
- ✓ C사에서 개발 중인 물질로 현재 미국에서 animal rule에 의해 개발된 약물임.
- ✓ 방사능에 피폭되었을 때, 우리 몸의 면역 시스템을 보호해주는 약물임.

# ABN 601



<ABN 601 구조>



<ABN 601효과>

피폭군을 대상으로  
수행한 연구에서  
비투여 그룹대비 3배의  
생존개선효능 확인

- ✓ 임상 2상은 할 수 없기 때문에 임상 1상 후, 허가를 목표로 하고있으며, 비축을 통한 판매를 목적으로 하고있음.
- ✓ 현재 ABN 601의 마케팅 전략은 non-military use로 먼저 접근하기로 하였음. non-military use의 수요처는 방사선을 취급하는 모든 병원이나 원자력 발전소 등이 될 수 있음.
- ✓ 항암 활성 및 백신 면역증강제로 활용 가능하여 현재 관련 글로벌 임상을 진행중임.
- ✓ 한국에서 급성방사선증후군 치료제 허가를 위한 임상 1상 예정

# ABN 601

## 임상 계획

### · 임상시험 명

: 건강한 한국인 자원자를 대상으로 ABN601의 약동학/약력학적 특성 및 안전성/내약성을 평가하기 위한 단일 기관 / 부분 공개 / 용량 증량 / 단회 근주투여 임상시험

### · 임상 1차 목적

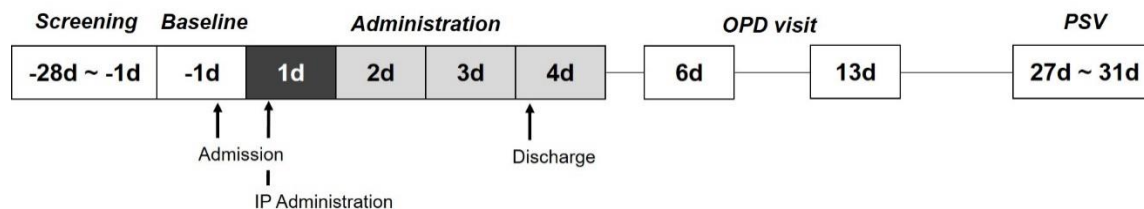
: 건강한 한국인을 대상으로 ABN601 의 단회 근주 투여 후의 약동학적/약력학적 특성 평가.

### · 임상 2차 목적

: 건강한 한국인에서 ABN601 의 단회 근주 투여 시의 안전성/내약성 평가.

용량군	투여 용법
A	ABN601 2 µg, 단회 근주 투여
B	ABN601 6 µg, 단회 근주 투여
C	ABN601 12 µg, 단회 근주 투여
D	ABN601 24 µg, 단회 근주 투여
E	ABN601 35 µg, 단회 근주 투여
F	ABN601 50 µg, 단회 근주 투여

## <ABN601 Phase I study schedule>



## ※ 기타 Pipeline summary

### ABN 201

차세대 항체-사이토카인  
융합단백질

- 물질설명 : 인터페론베타의 항암활성에 물성 및 생산성이 개선된 **ABN101**을 도입한 차세대 면역 항암제
- 장점 : 1) 단일 생산 공정 2) 혈중 유리 없는 안전성 3) 결합 위치 조절을 통한 확장성 4) 기술 원천성
- 사업화 상황 : 현재 국내 'G사'에 **기술이전 중**

### ABN 501

Anti CLDN3 단클론 항체

- 물질설명 : 난소암 등 주요 암 특이 단백질 표적인 **클라우딘3(Claudin 3, CLDN3)** 타겟 치료용 항체
- 장점 : 1) 높은 특이성 2) 높은 세포내 투과성 및 항체접합 기술을 통한 다양한 약물접합체(ADC) 구현 가능
- 사업화 상황 : 고유 ADC 선도 물질 도출 및 비임상 예정

### ABN 701

슈퍼항원(SEB) 백신

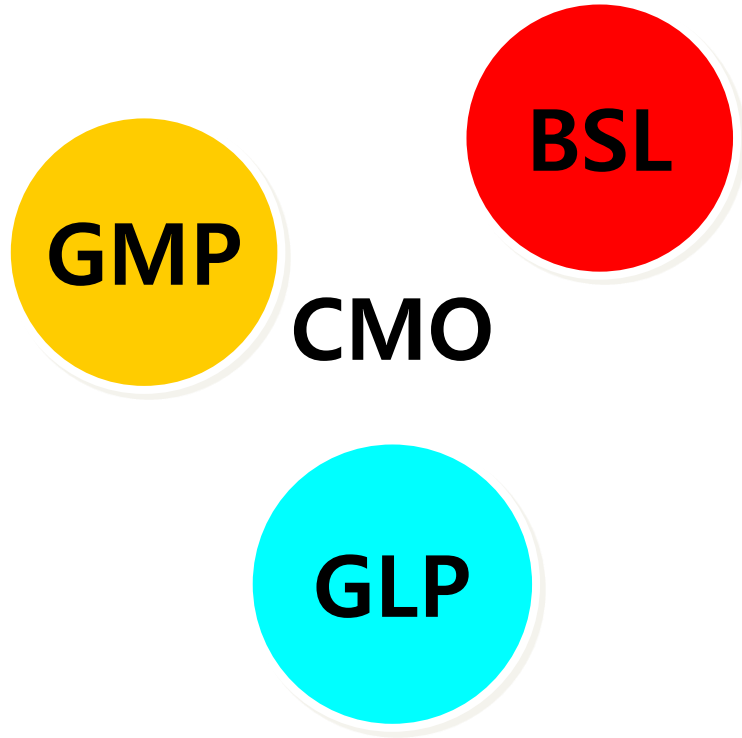
- 물질설명 : 생물재난을 유발할 수 있는 SEB(황색포도상구균 내독소 B형) 예방용 백신
- 장점 : 1) 경쟁약물 대비 우수한 효과 2) 생체내외 무독성 확인 3) 특허침해 이슈 없음
- 사업화 상황 : 생산공정 구축 완료, **2019년 말 비임상 예정**

### ABN 90X

해독제 약물 군

- 물질설명 : 생물재난 대응 백신(단백, DNA/RNA), 치료용 중화항체, 항혈청
- 장점 : 1) 생물재난 물질별 다수의 후보물질 발굴 2) 관련된 축적된 연구 경험으로 개발 노하우 보유
- 사업화 상황 : 한국형 바이오셀드 프로젝트 형태의 다양한 매출 발생 및 순차적인 사업화

## ※ 에이비온(주) Biotech Facilities



GMP: Good Manufacturing Practice  
BSL: Biosafety Level  
GLP: Good Laboratory Practice  
CMO: Contract Manufacturing Organization



- **ABION Inc. Biotech Facilities : 오송 바이오헬스 과학단지(원형지)**
  - GMP와 BSL을 준수하는 바이오의약품 생산시설과 GLP와 연구개발 시설 구축
  - R&D, 공정개발부터 생산, 무균충전까지 바이오의약품 생산개발지원 서비스 제공
  - 임상제품에서 상업용제품에 이르는 바이오의약품 CMO 서비스 제공
- **R&D, 인허가, 생산의 최적의 입지조건 :**
  - 식품의약품안전처, 질병관리본부, 식품의약품안전평가원, 국립보건연구원 등 보건의료 국가기관 위치
  - 신약개발지원센터, 임상시험신약생산센터, 실험동물센터 등 국가 핵심연구개발시설 위치
  - 국립인체자원중앙은행, 고위험병원체특수센터, 국립의과학지식센터 등 국가바이오메디컬시설 위치
  - 생명공학기업, BT관련 대학 및 연구소 입주

## 요약 재무 손익 현황

에이비온은 관련 기술의 사업화를 통해 신약개발에 필요한 자금을 창출하고, R&D 비용을 경상적 비용으로 처리해 오고 있습니다.

(단위: 백만원)

회계연도	2018(7/31)	2017	2016	2015
자산	12,023	8,353	12,952	12,781
부채	5,293	5,445	7,588	6,607
자본	6,730	2,907	5,364	6,174
<b>부채비율</b>	<b>78%</b>	<b>187%</b>	<b>141%</b>	<b>107%</b>
매출액	696	1,828	3,810	4,626
영업이익	(3,105)	(10,271)	(7,163)	(5,047)
당기순이익	(3,202)	(9,461)	(7,681)	(6,655)

# 주주 현황

2018년 10월 기준

주주명	지분율		비고
	주식수	%	
(주) 케이피엠테크	5,659,963	46.11%	최대주주
신영기 대표이사	2,204,466	17.54%	창업자
한국산업은행 고유계정	213,675	1.74%	보통주
LB크로스보더펀드II (LB인베스트먼트)	210,000	1.71%	
KDBC 특허사업화 투자조합 2호 (산은캐피탈)	141,000	1.15%	
미래창조 UQIP 투자조합	56,481	0.46%	
KDBC고유계정	47,000	0.38%	
미래창조 LB선도기업 투자펀드 20호	44,987	0.37%	
퀄컴-컴퍼니케이 모바일생태계 상생펀드	44,987	0.37%	
기타	3,636,489	29.63%	
<b>합계</b>	<b>12,274,528</b>	<b>100.00%</b>	



# NEW PARADIGM FOR DRUG DEVELOPMENT

# Q&A

박근 팀장 [rootkid@abionbio.com](mailto:rootkid@abionbio.com)