



Kolon TissueGene

Advanced Cell Therapies

Investor Relations 2018

Disclaimer

본 자료는 주주 및 기관투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 Kolon TissueGene, Inc. (이하 “회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

또한, 본 자료는 의약품에 관한 내용이 포함되어 있으므로 본 자료를 의약품 광고를 위하여 인용, 복제, 가공 등의 방법으로 사용하는 것은 금지됨을 알려드립니다.

본 Presentation에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 ‘자본시장과 금융투자업에 관한 법률’, ‘약사법’ 등에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 ‘예상’, ‘전망’, ‘계획’, ‘기대’ 기타 이와 유사한 단어를 포함합니다.

위 “예측정보”는 향후 경영환경의 변화등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 Presentation 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 의약품 관련 정보는 회사가 알고 있는 범위에서 작성된 것이므로, 작성된 정보의 정확성, 적합성, 완전성, 유용성을 보장하지 않으며 객관적 사실과 다를 수 있음을 알려드립니다.

회사 또는 관계사, 대리인은 구두 또는 서면으로 수시로 발생하는 예측진술을 공개적으로 수정하여야 하는 의무를 부담하지 아니하고, 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다(과실 및 기타의 경우 포함).

본 문서는 주식의 모집 또는 매출, 매매 및 청약을 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.



Table of Contents

Investor Relations 2018

Chapter 1. Phase III in Full Swing

Chapter 2. The Road to Success

Chapter 3. Growth Potential

Appendix



OI

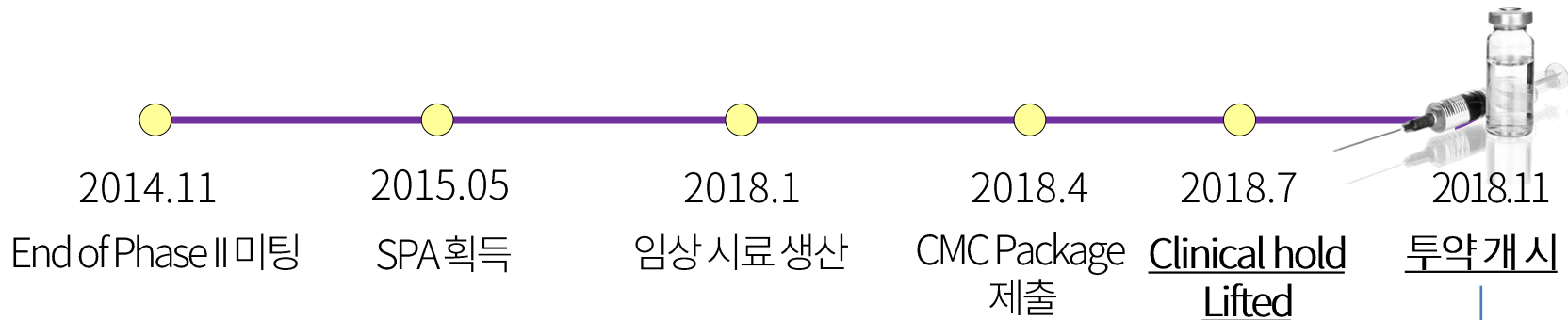
Phase III in Full Swing

NOVEL PARADIGM FOR THE TREATMENT OF OSTEOARTHRITIS

 **KOLON TISSUEGENE**

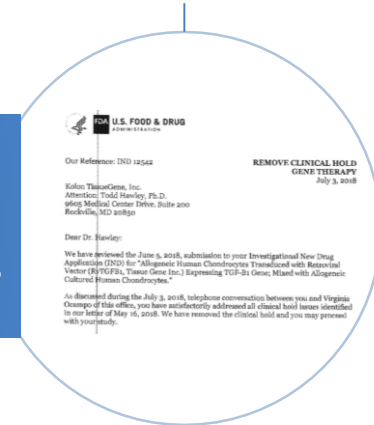
-
1. Phase III Status
 2. Clinical Sites
 3. Clinical Trial Partnership
 4. Timeline

1. Phase III Status



Clinical Hold Lifted : 임상 3상 시료 사용 승인

“ ... you have satisfactorily addressed all clinical hold issues... We have removed the clinical hold and you may proceed with your study ”



Initially enrolling sites

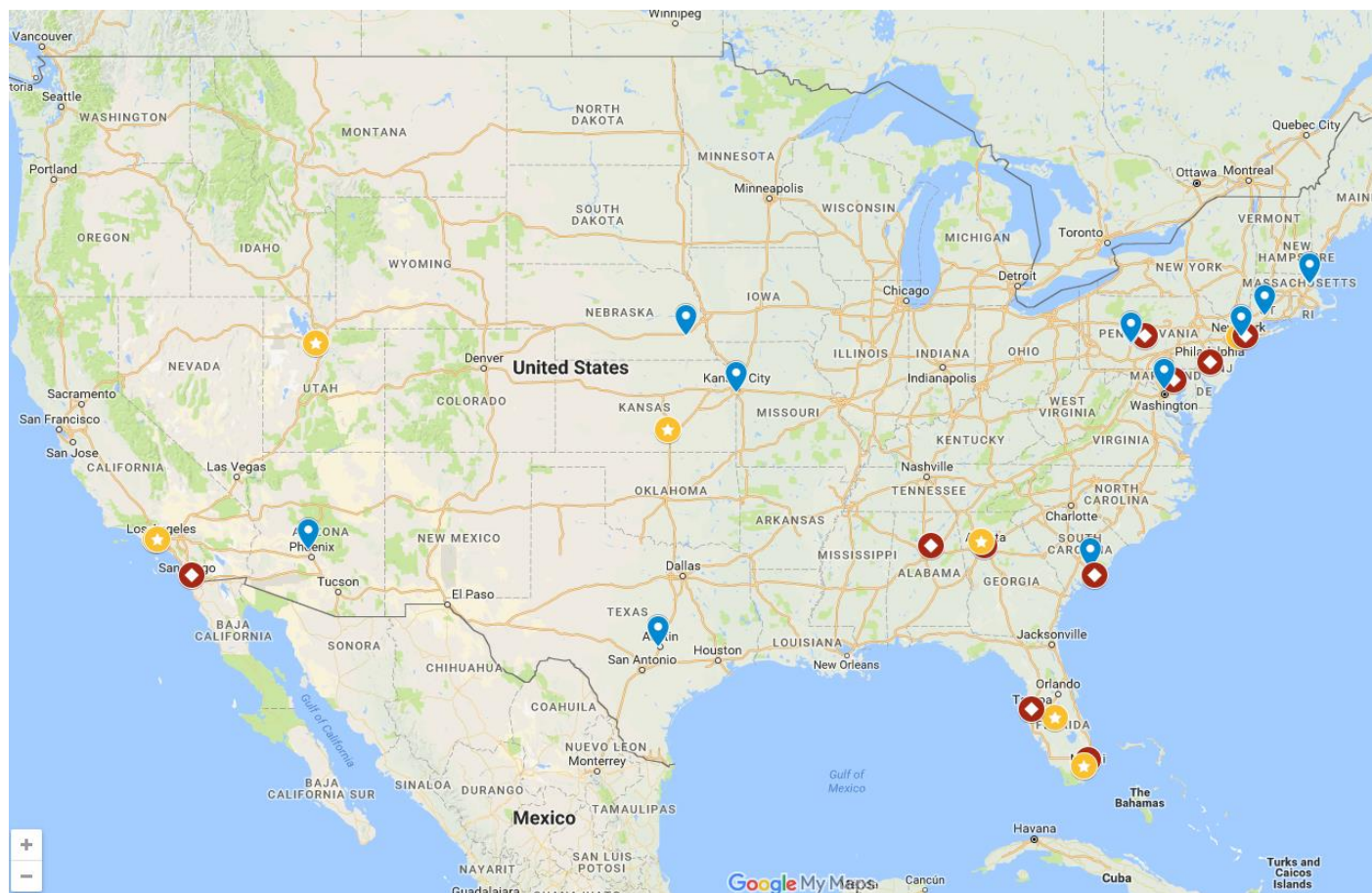
- Dr. Michael Mont, Northwell hospital, NY
- Dr. Alan Kivitz, Altoona Center for Clinical Research, PA
- Dr. John Ervin, The Center for Pharmaceutical Research, MO



2. Clinical Sites (ACTIVION-I)

미국 전역 30개 기관 진행 예정

Pin- Rheumatologist sites Star-Pain Specialist Sites Diamond-Orthopedic Sites



TGC12301 Site List

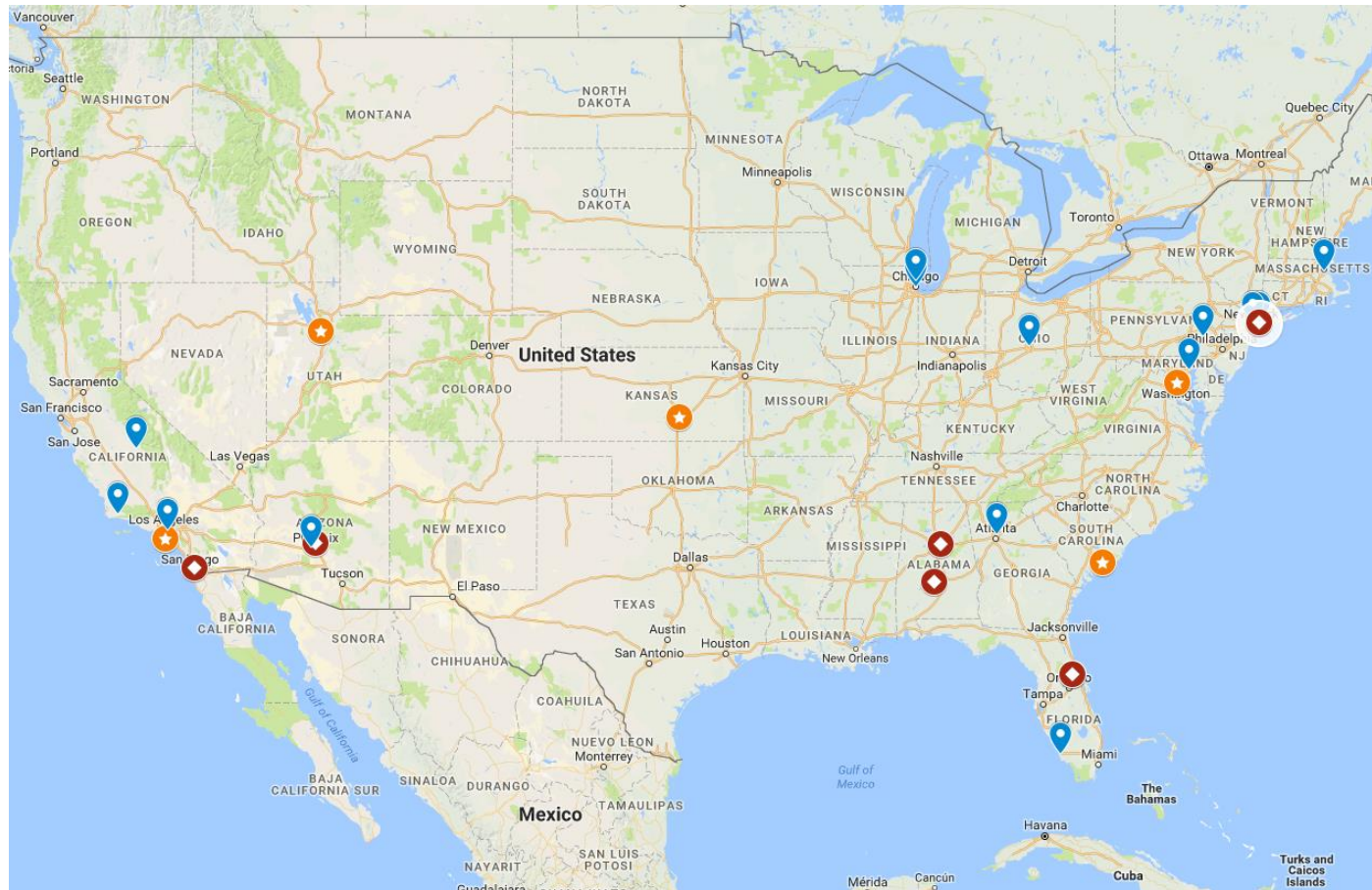
- Atlanta Orthopaedic Institute, LLC
- Arizona Arthritis & Rheumatology Research Center
- Physician Research Collaboration
- Orthopedic Pain Specialists - Office of Dr. Michael J. Freeman
- Sinai Hospital of Baltimore - Rubin Institute for Musculoskeletal Rehabilitation
- The Center for Rheumatology and Bone Health
- Arthritis & Osteoporosis Center, P.C.
- Low Country Rheumatology, PA
- Heartland Research Associates, LLC
- University Orthopedics Center
- The Center for Pharmaceutical Research
- Alabama Clinical Therapeutics - Research
- Institution Ainsworth Institute of Pain Management
- Physicians' Research Options, LLC - Research
- M&M Medical Center, Inc.
- North Shore Long Island Jewish Health System
- Altoona Center for Clinical Research
- TriWest Research Associates, LLC
- Clinical Research of West Florida, Inc.
- University Orthopedics Center - Orthopedics
- Boston University School of Medicine
- North Shore-Long Island Jewish - Lenox Hill Hospital
- Rothman Institute - Center City Philadelphia
- Lowcountry Orthopaedics and Sports Medicine
- Tekton Research Inc.
- Shrock Orthopaedic Research, LLC
- Osteoporosis Medical Center
- Drug Studies America
- Elite Clinical Research
- Tufts Medical Center

* ACTIVION: Assessment of Clinical Treatment Innovation In OA of the Knee

2. Clinical Sites (ACTIVION-II)

미국 전역 30개 기관 진행 예정

Pin- Rheumatologist sites Star-Pain Specialist Sites Diamond-Orthopedic Sites

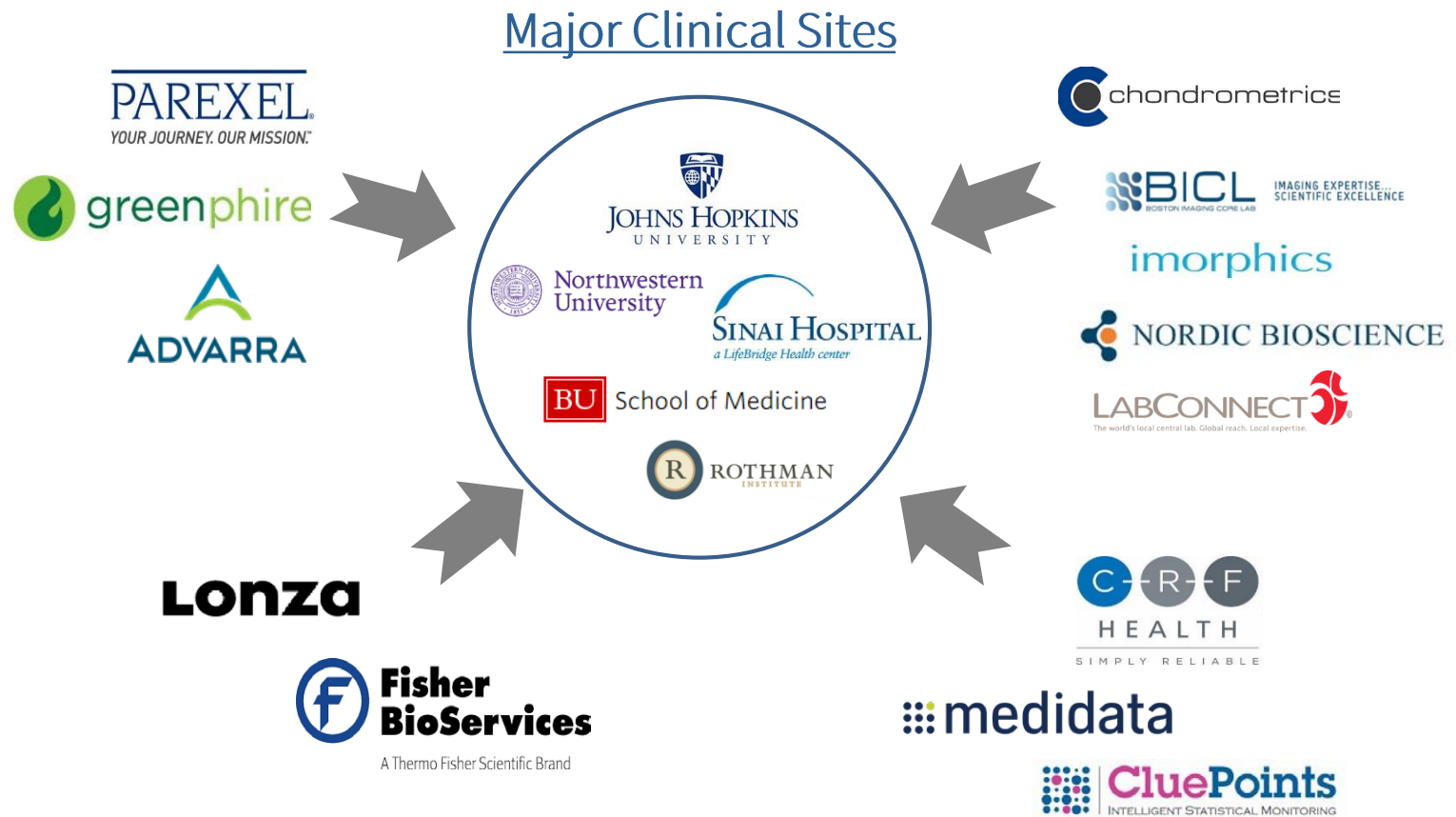


TGC15302 Site List

- Physicians' Research Options, LLC
- Jeffrey Alper M.D. Research
- Hans Richard Barthel, M.D., Inc.
- Johns Hopkins University
- Rush University Medical Center
- Alabama Orthopaedic Surgeons
- Central Research Associates, Inc
- International Spine, Pain & Performance...
- Arizona Research Center
- Clinical Research Center Of Reading LLC
- BioSolutions Clinical Research Center
- Florida Orthopaedic Associates, P.A.
- Infinite Clinical Research
- Massachusetts General Hospital
- Medvin Clinical Research
- Heartland Research Associates, LLC
- NYU Langone Rheumatology Associates...
- University Orthopaedic Associates at Gr...
- Riverside Methodist Hospital
- New York University Langone Medical C...
- Northwestern University
- Osteoporosis Medical Center
- Arthritis & Rheumatology of Georgia, P.C.
- Clinical Trials of South Carolina
- Arizona Arthritis & Rheumatology Resear...

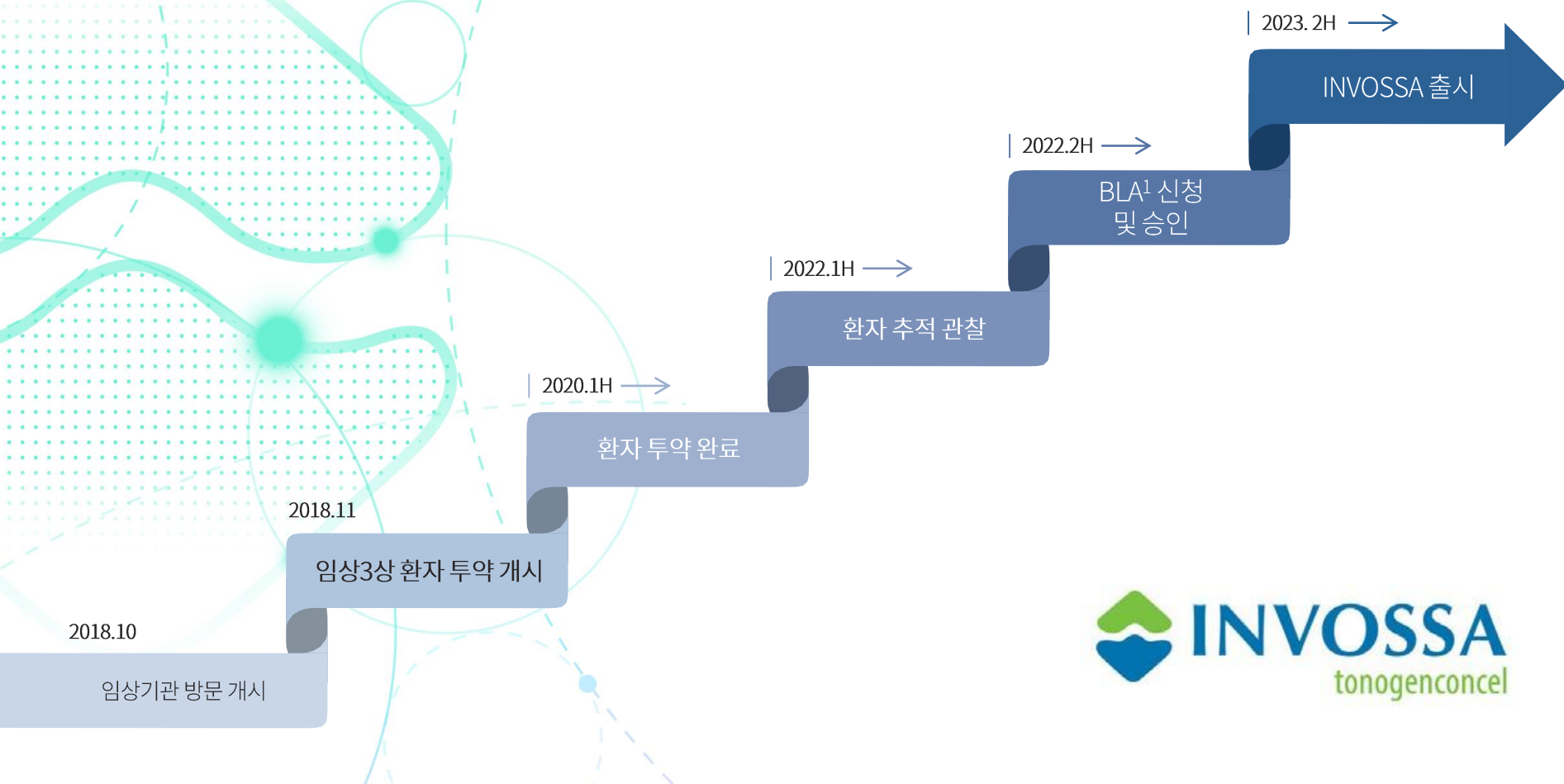
3. Clinical Trial Partnership

성공적인 임상 진행을 위한 전문기관과의 Network 확립



4. Phase III Timeline

2022년 1H 임상 완료 및 2023년 2H INVOSSA 출시



주1) BLA (Biologics License Applications) 생물약품 품목허가 신청



02

The Road to Success

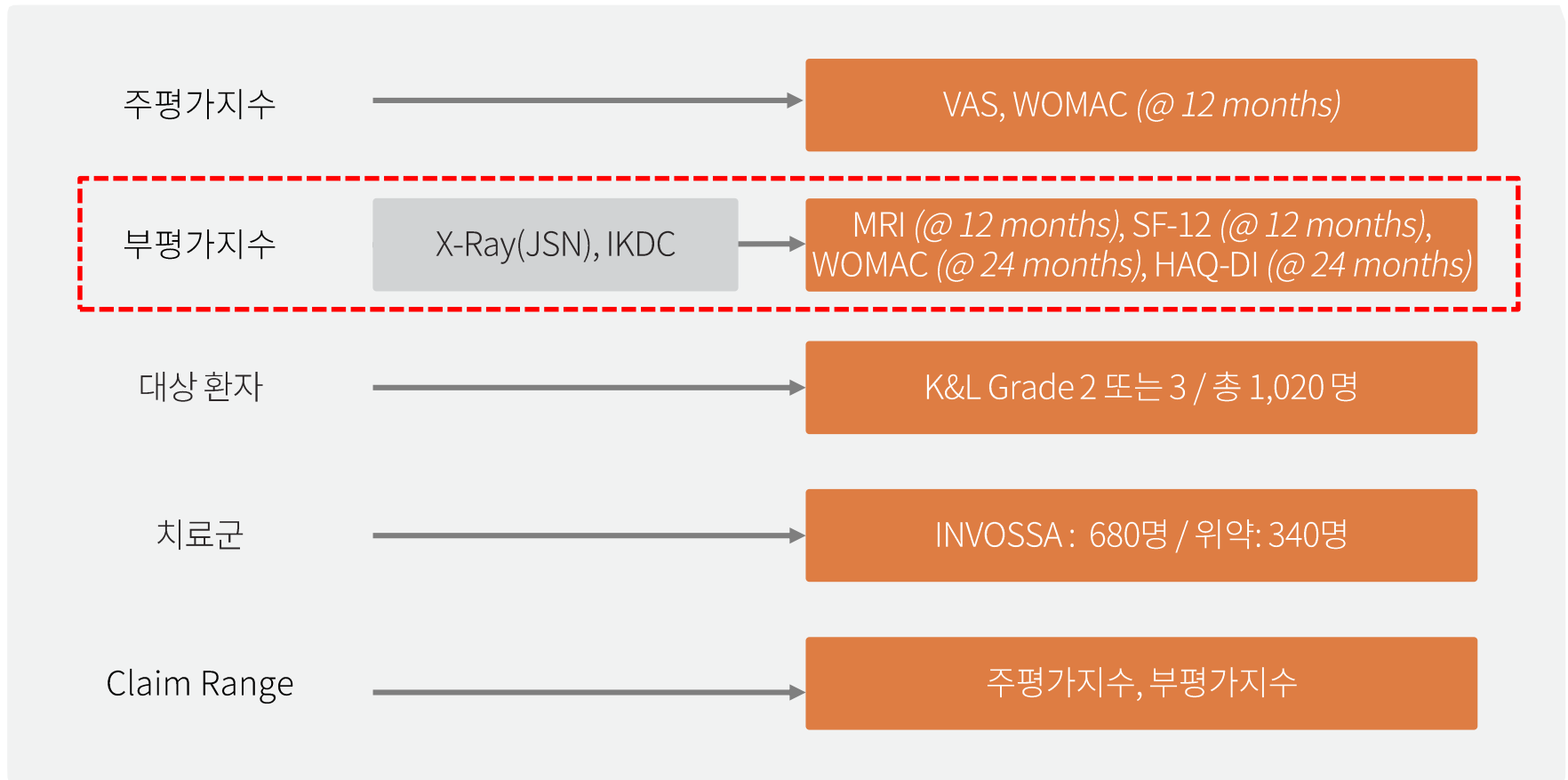
NOVEL PARADIGM FOR THE TREATMENT OF OSTEOARTHRITIS

 **KOLON TISSUEGENE**

1. Phase III Design
2. FDA New Guidance
3. Game-changing Potential(DMOAD)
4. Reinforced DMOAD Potential

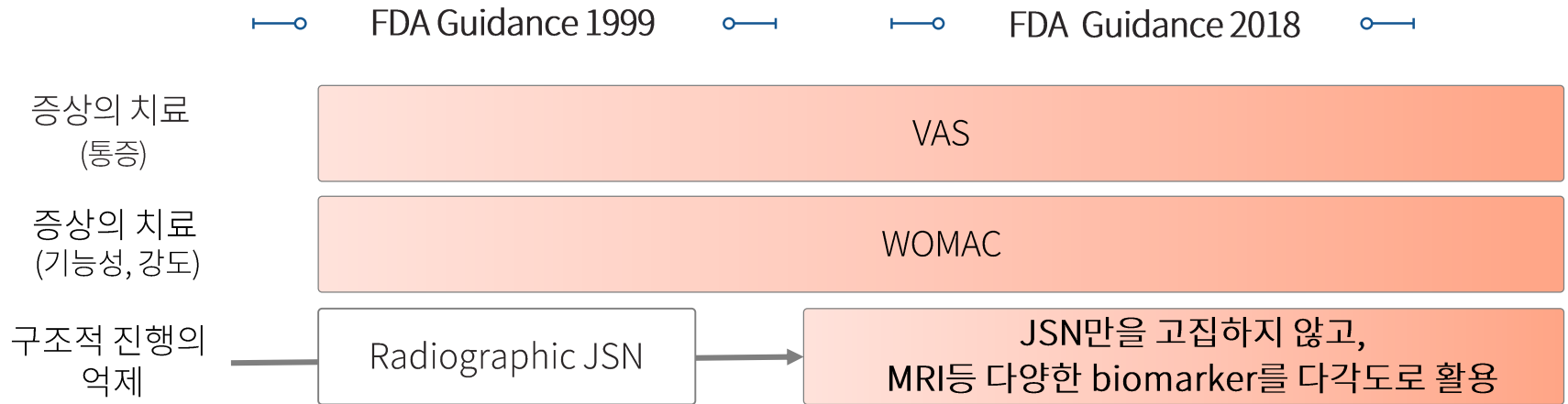
1. Phase III Design (amended)

MRI를 부평가지수의 최상위 지표로 상향 조정 ⇒ DMOAD 획득 가능성 제고



2. FDA New Guidance

美 FDA, DMOAD 평가기준의 다양성 인정



New FDA
Guidance

Osteoarthritis: Structural Endpoints for the Development of Drugs, Devices, and Biological Products for Treatment Guidance for Industry (2018.07)

"The previous draft guidance published July 15, 1999, has been withdrawn"

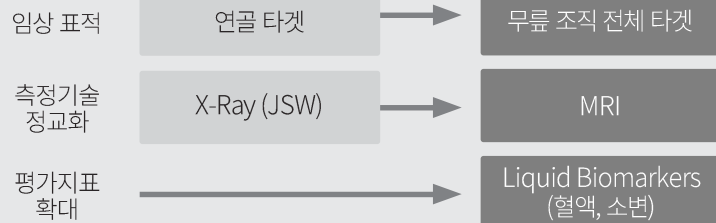
Now, FDA addressed the structural and functional improvement evaluated as addressed by sponsors.

3. Game-changing Potential

FNIH 멤버 참여를 통해 DMOAD 지표 재정립을 위한 활동 수행



DMOAD 지표 재정립



KOLON TISSUEGENE

FNIH OA Biomarker Consortium support

OA Biomarker Consortium Co-chairs &
Kolon TissueGene Scientific Advisory Board



David Hunter, M.D.

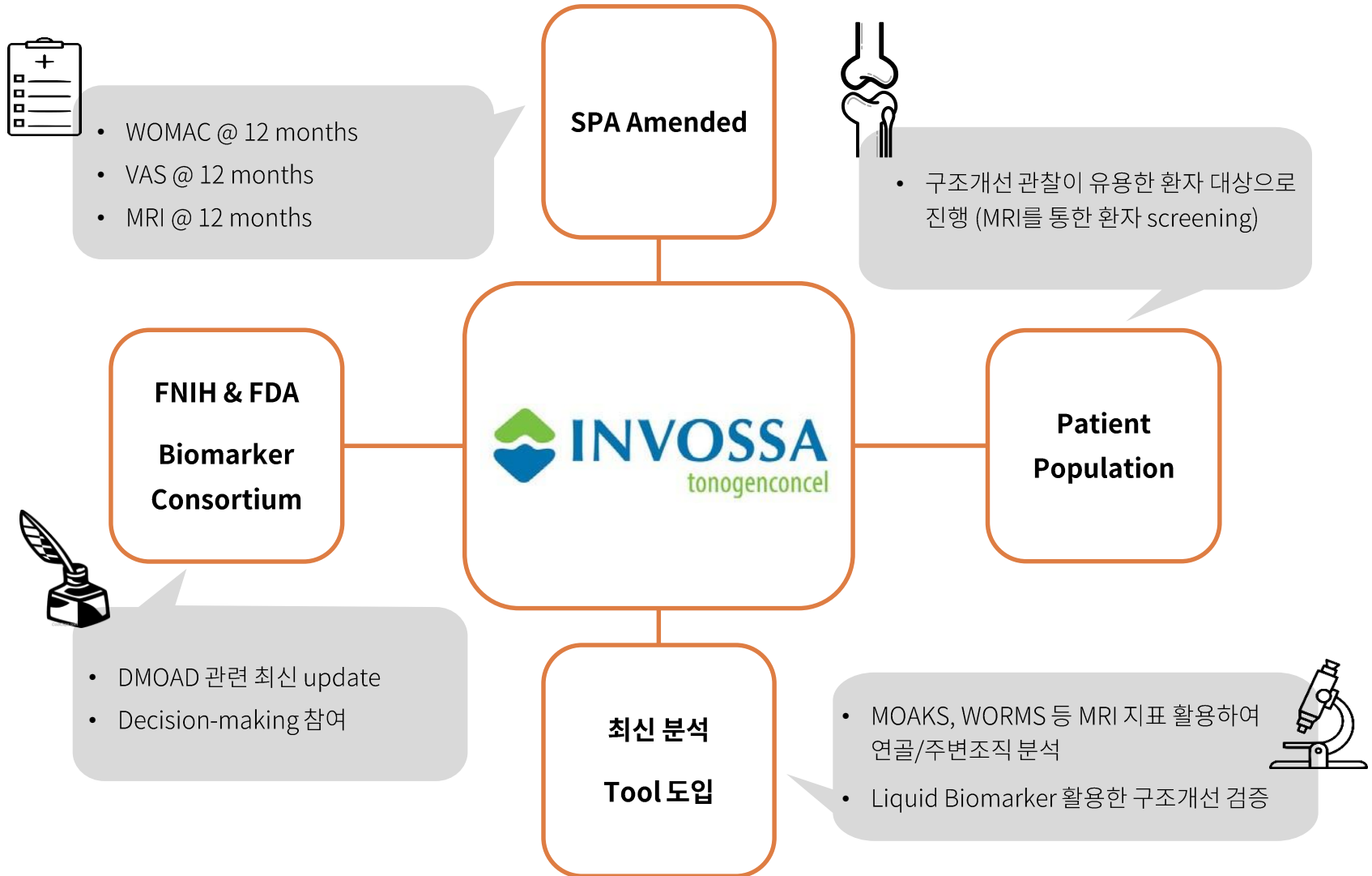


Virginia B. Kraus, M.D.

Progress & Timeline

- Leadership in the progress : INVOSSA 임상자료 제공 (미국/한국), 재정지원 \$450K
- FNIH, FDA와의 정례적 Conference 참여 및 Biometrics 업무 지원
- DMOAD 선정을 위한 Biomarker endpoint 분석 및 對FDA 제안 준비
- Project 완료 목표: 2019.3Q

4. Reinforced DMOAD Potential





03

Growth Potential

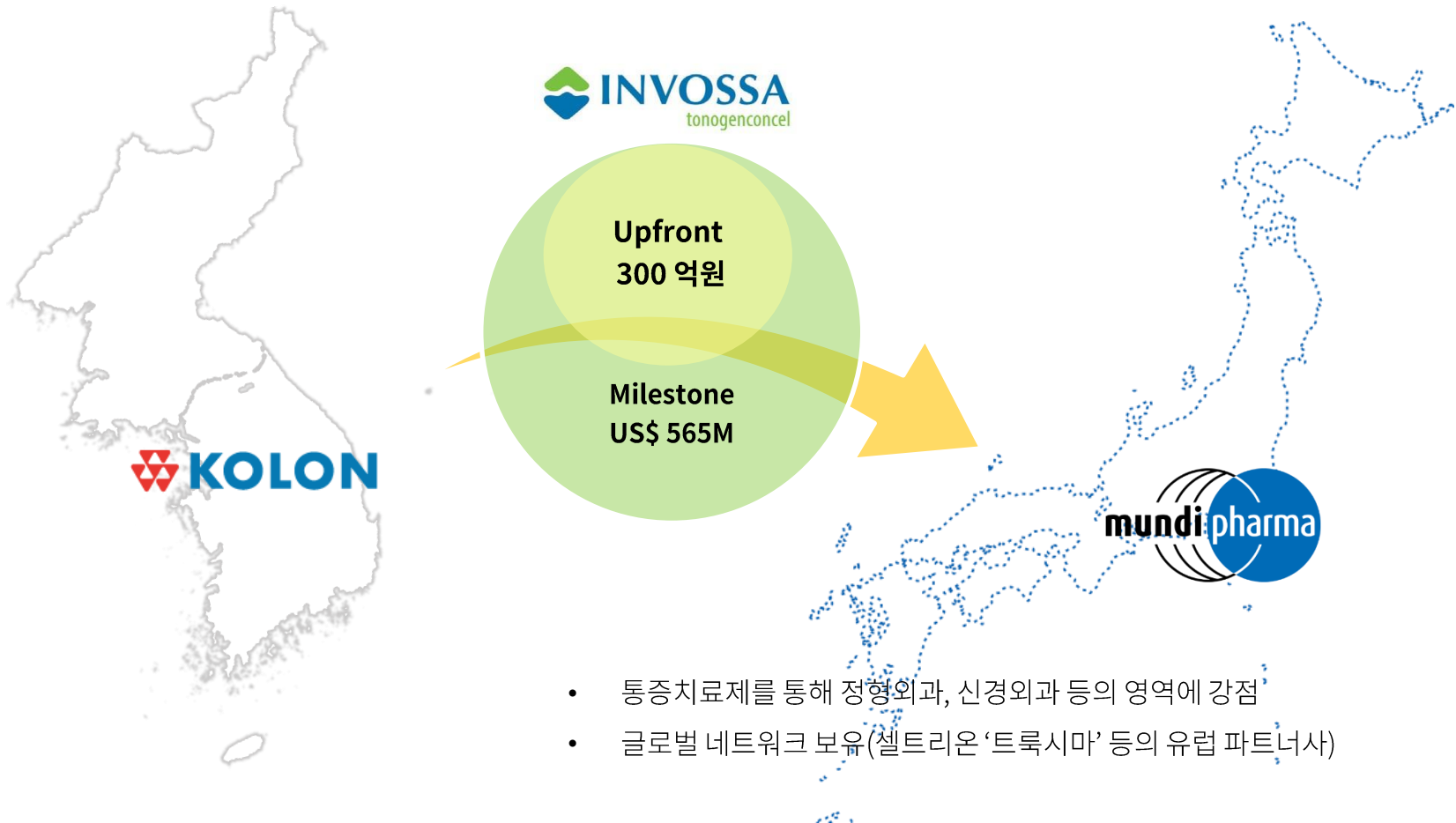
NOVEL PARADIGM FOR THE TREATMENT OF OSTEOARTHRITIS

 **KOLON TISSUEGENE**

-
1. Global Market Expansion
 2. Expanded Indications
 3. Vision

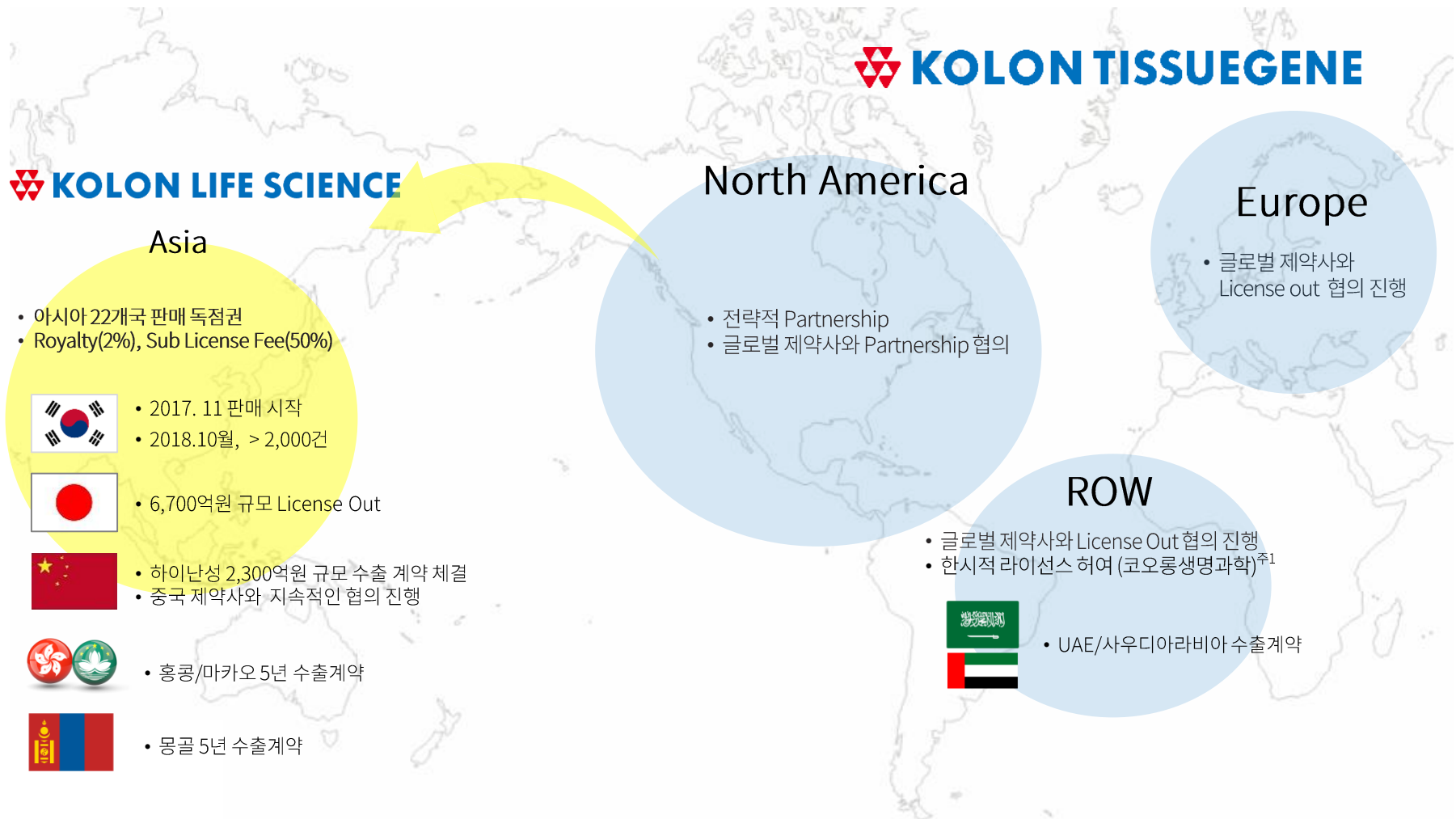
1. Global Market Expansion

일본, 새로운 기술 수출 계약으로 재진출 성공



1. Global Market Expansion (계속)

국가별 사업화 전략 및 글로벌 진출



주1. '18. 6월 코오롱생명과학에 한시적(5년) 라이선스 추가 허여

2. Expanded Indications

산학협력을 통한 적응증 및 파이프라인 확대 추진

구 분	연구개발	전임상	임상 1상	임상 2상	임상 3상	BLA 신청	주요 협력기관
Knee OA							       
Hip OA				IND '19			
Back Pain							
동물의약품							

3. Vision

INVOSA
Global Blockbuster!



환자 투약 개시



DMOAD 가능성 제고



파이프라인 확대



APPENDIX

NOVEL PARADIGM FOR THE TREATMENT OF OSTEOARTHRITIS

 **KOLON TISSUEGENE**

1. Company Overview
2. Executive Management
3. INVOSSA
4. Competitiveness of INVOSSA
5. Clinical Trial Results
6. DMOAD
7. Blockbuster!
8. Financial Statement

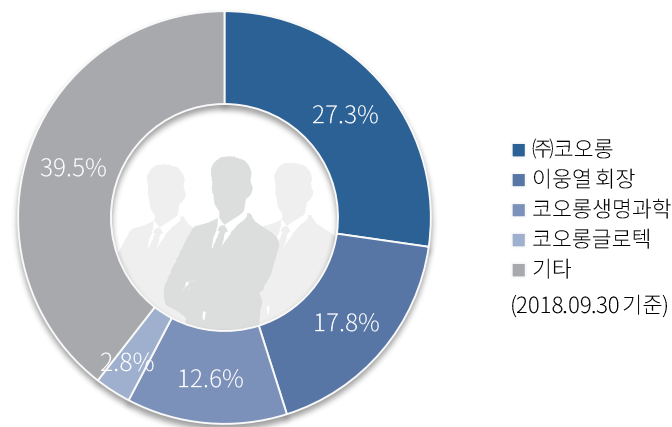
1. 회사소개

Advanced Cell Therapies, Kolon TissueGene

회사 개요

회사명	Kolon TissueGene, Inc.
대표이사	이 범 섭 / 이 우 석
설립일	1999년 06월 09일
임직원수	79명 (2018.09.30기준)
본사	9605 Medical Center Dr. Suite 200, Rockville, MD 20850, USA
사업영역	세포유전자 치료제 개발, 드럭스토어 운영, 화장품 판매 등

주주 현황



주요 연혁

Kolon TissueGene, Inc. 설립

설립기 (1999~2002)

- '01.10 INVOSSA 관련 기술 미국특허 최초 획득 (TGF-β1를 사용하는 유전자 요법)
- '00.06 코오롱생명과학과 License Agreement 체결
- '99.06 TissueGene 설립

INVOSSA 초기 임상

개발기 (2003~2012)

- '12.10 미국 임상2상 환자 투여 완료
- '10.11 미국 임상2상 승인
- '09.04 미국 임상1상 환자 투여 완료
- '06.12 미국 임상1상 승인
- '05.08 한국산업자원부 국책과제 선정
- '04.09 미국특허 추가획득 (혼합세포 유전자요법)

INVOSSA 미국 임상 및 사업화

도약기 (2013~현재)

- '18.07 미국 임상3상 치료사용 승인
- '18.03 사망변경
- '17.11 코스닥시장상장
- '07 코오롱생명과학, 한국식약처 품목 허가
- '04 기술성 평가 등급 AA 획득 (NICE평가정보)
- '16.05 한국수출입은행 제3자 배정방식 투자유치
- '15.11 글로벌 첨단바이오의약품 기술개발사업연구기관 선정
- '15.05 미국 임상3상 승인 (SPA)

2. 경영진 소개

세포 유전자 치료분야 세계 최고 수준의 핵심인력 보유

대표 이사



이범섭 대표이사

- '17~現 Kolon TissueGene Inc. CEO
- '14~'17 Kolon TissueGene Inc. COO
- '11~'17 코오롱생명과학 부사장
- '04~'11 Takeda Pharma 근무
- '00~'04 Mitokor Inc. 근무
- '95 아이오와주립대 약리학 박사
- '85 서울대학교 수의학 학사



이우석 대표이사

- '13~現 Kolon TissueGene Inc. CEO
- '12~現 코오롱생명과학 CEO
- '08~現 코오롱제약 CEO
- '00~'15 코리아이플랫폼 CEO
- '80~'00 산업자원부 근무
- '88 캘리포니아주립대 경영학 석사
- '79 서울대학교 경제학 학사

주요 핵심인력



Moon Jong Noh, Ph.D. (Chief Technology Officer)

- INVOSSA US FDA 임상1, 2상 완료
- 서울대 미생물학 학사 ('89) / 카이스트 생명과학 박사 ('95)



Charles Nye (VP of Manufacturing)

- Shire Regenerative Medicine, Lonza Biologics Inc.
- BA in Chemistry & Biology, SUC at Potsdam, NY



Benjamin Lewis, PharmD, Ph.D. (VP of Regulatory Affairs)

- Mitsubishi Tanabe, Prestwick Pharma, FDA
- BS, MS, Pharmacy, Auburn Univ. / PharmD / Ph.D, Health Svcs. Mgmt, Century Univ. / Postgraduate Studies, Johns Hopkins Univ.



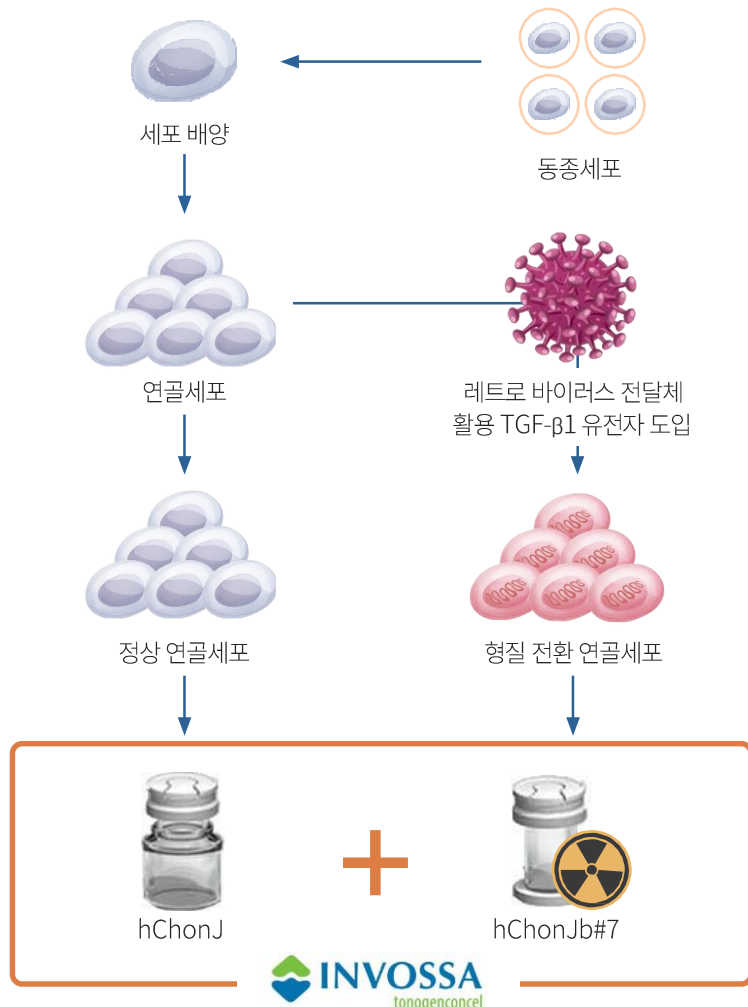
Robert Casper (Sr. Director of Clinical Operations)

- Director, Clinical Operations, Cerecor, Baltimore, MD
- MS in Clinical Community counseling, Johns Hopkins University ('06)

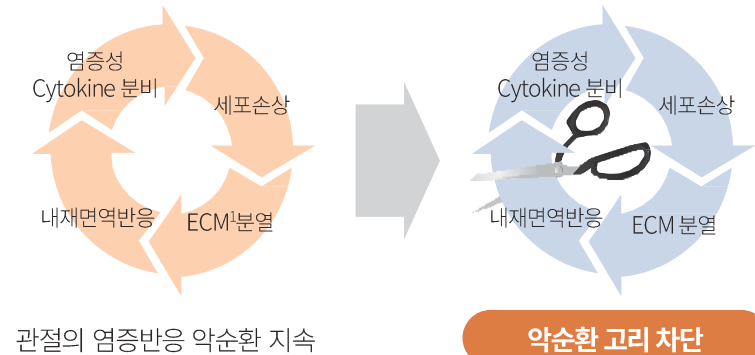
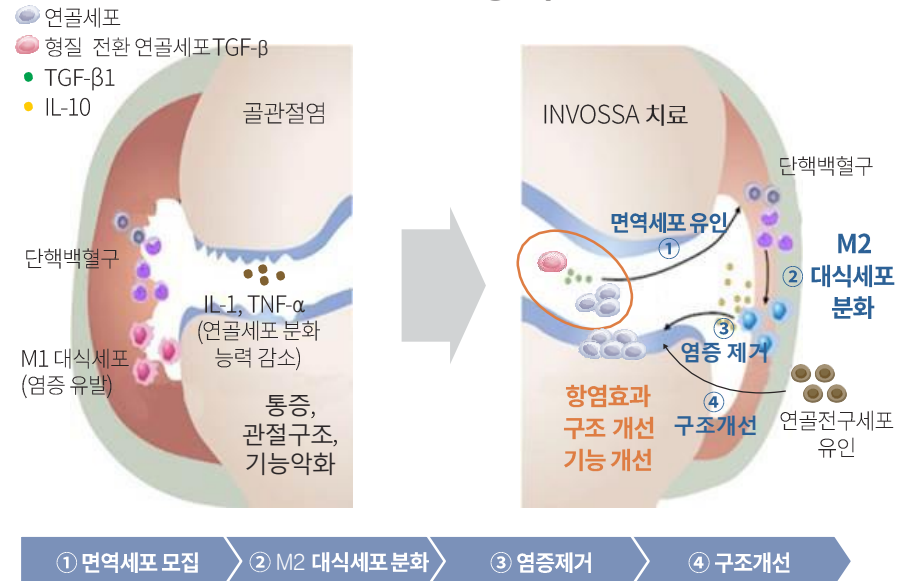
3. INVOSA란?

INVOSA, 세계 최초의 골관절염 세포유전자 치료제

INVOSA 소개



INVOSA 작용 기전



주1) ECM (ExtracellularMatrix):연골기질분자

4. INVOSSA의 차별화된 경쟁력

Unmet Medical Needs 충족 및 높은 시장성 보유

INVOSSA 경쟁력

뛰어난 약효 및 안전성 (Efficacy and Safety)



통증 완화 및 기능성 개선

골관절염의 근본적 증상인
통증 및 기능저하를 완화시킴



질병진행지연

골관절염 진행 및 수술시기를
획기적으로 지연



안전성

임상 중 특별히 발견된
약물관련 부작용 없음



Quality of Life

수술없이 단회투여로
환자 삶의 질을 개선



우수한 상업성 (Marketability)



Unmet Medical Needs 충족

환자 및 의사에게 새로운
치료법 제공



First in Class

글로벌 혁신 의약품으로
시장 선점효과



높은 시장 잠재력

2030년 노령인구
14억명 전망



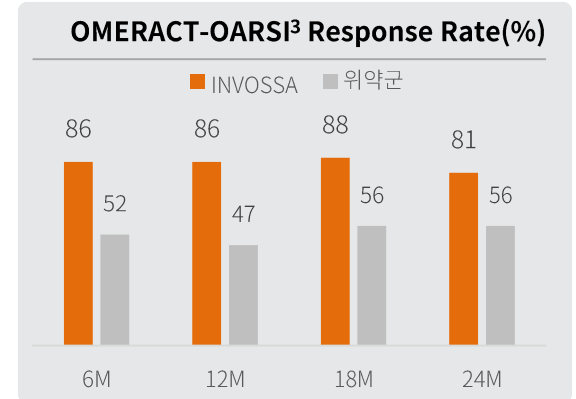
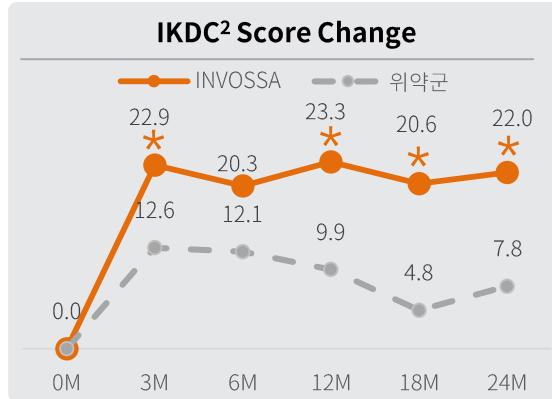
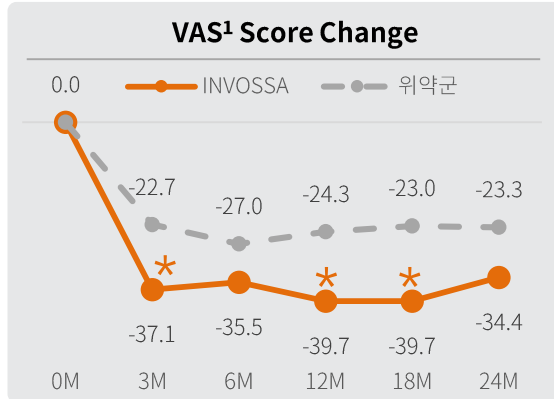
대량생산 가능

동종세포를 활용한
대량생산 용이

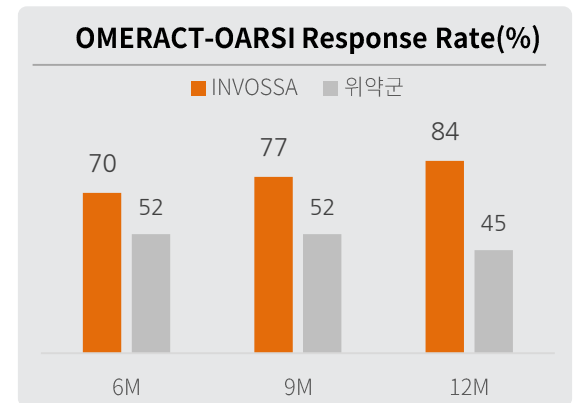
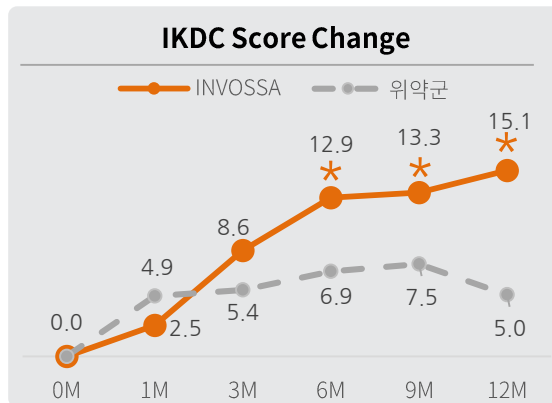
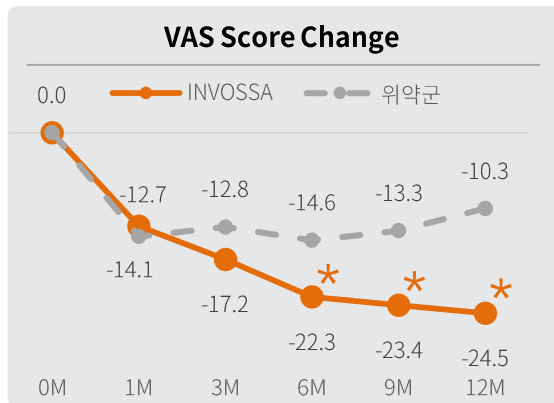
5. 미국 임상 2상 및 한국 임상 3상 결과_주평가변수

미국 임상 2상 결과, 2년간 통증 완화 및 기능 개선의 통계적 유의성 확인

미국 임상 2상 통증 및 기능성 평가 결과



한국 임상 3상 통증 및 기능성 평가 결과



*INVOSSA투여군 내 P-value<0.05

주1) VAS (Visual Analog Scale): 통증의 강도를 측정하는 평가 지표

주2) IKDC (InterNational Knee Documentation Committee): 골관절염 분야의 운동성 및 기능성 평가 지표

주3) OMERACT-OARSI (Outcome Measures in Rheumatology): 증상개선 반응을 평가

6) DMOAD 정의

골관절염의 원인을 치료하는 근본적 치료제

DMOAD 란?

- DMOAD: Disease Modifying Osteoarthritis Drugs
- 관절 조직의 구조적 개선 또는 질병 진행 억제를 통하여 임상증세를 개선 (통증완화, 기능성 개선) 하는 골관절염 치료제
- 기존 골관절염 치료제의 대체 뿐 아니라 인공관절 수술을 지연 시킬 수 있는 혁신적 치료제로서 높은 시장 잠재력 보유

환자 증상

통증 완화

기능성 향상

DMOAD Range

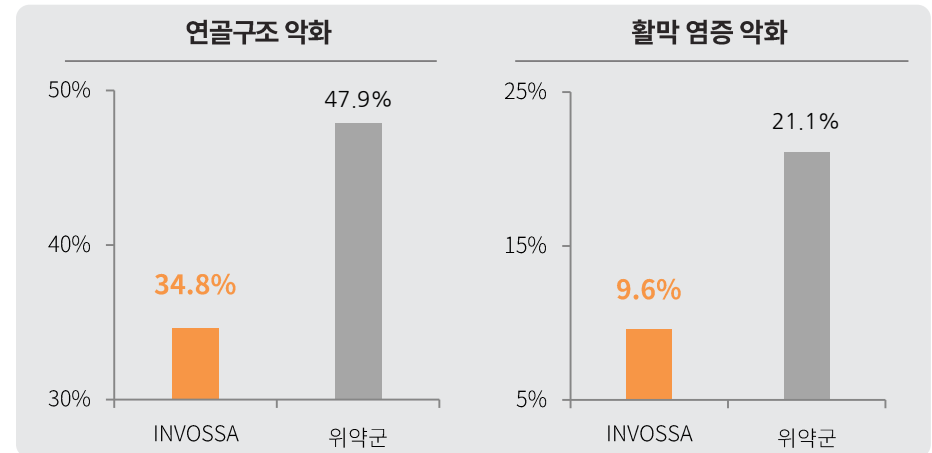
활막 염증 완화

연골 재생

골극 생성 제어

연골하골조직 염증 완화

미국 임상 2상 MRI WORMS¹ 결과

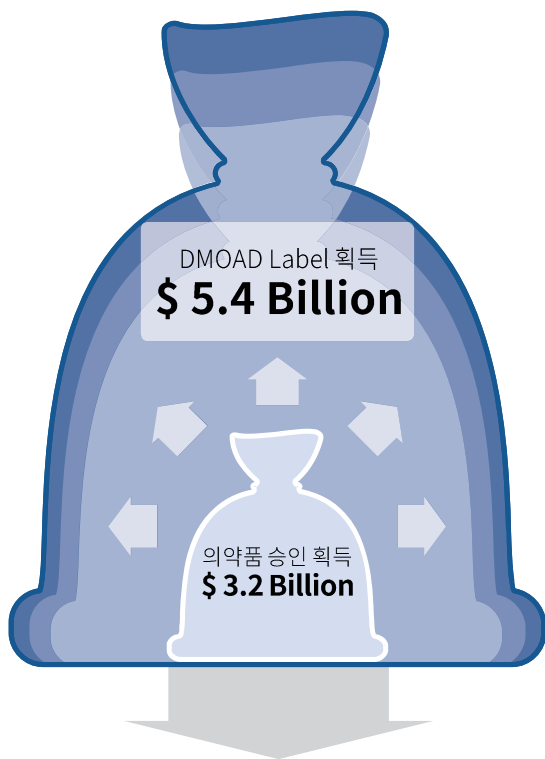


주1) WORMS (Whole Organ MRI Score): 전체 조직체계 MRI 평가지표



7) Blockbuster!

INVOSSA의 미국시장 매출전망 (연간)



**DMOAD Label 획득 시,
INVOSSA 잠재적매출 상승**

상장 후 주가 변동 추이



2018. 10월 말 기준, 시가총액 약 2.1조원

출처: L.E.K. Interviews and Analysis (Peak Revenue 기준)

요약 재무제표 _ 별도기준

요약 재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2018 3분기	2017	2016
유 동 자 산	189,350	189,350	24,144
비 유 동 자 산	38,816	38,816	18,080
자 산 총 계	228,166	228,166	42,224
유 동 부 채	12,927	12,927	3,078
비 유 동 부 채	19,492	19,492	17,527
부 채 총 계	32,419	32,419	20,605
자 본 금	3	3	87
자 본 잉 여 금	271,646	271,646	86,068
기 타 포 괄 손 익 누 계 액	118	118	(1)
결 손 금	(76,020)	(76,020)	(64,535)
자 본 총 계	195,747	195,747	21,619

요약 손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2018 3분기	2017	2016
매 출 액	2,973	3,192	13,295
매 출 원 가	1,839	1,667	-
영 업 이 익	(12,032)	(15,141)	6,005
기 타 수 익	115	410	38
기 타 비 용	430	(1,125)	(91)
금 용 수 익	2,030	534	3
금 용 원 가	784	(758)	(497)
법 인 세 차 감 전 순 이 익	(11,101)	(16,080)	5,458
법 인 세 수 익	(21)	3,751	1,852
당 기 순 이 익	(11,122)	(19,831)	7,310

※ 원화 환산시 재무상태표의 경우 각 사업연도별 기말 환율, 손익계산서의 경우 각 사업연도별 평균환율 적용