

— 2019 GemVax & KAEL

Investor Relations

Confidential

No part 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 permission of GemVax. This document provides an outline of a presentation and is incomplete without the accompanying oral commentary and discussion.

순서

01/ Introduction

02/ 웨장암

03/ 전립선비대증

04/ 알츠하이머병

05/ R&D Investments & Infra

06/ 필터 사업



Introduction

- 01/ 바이오 전문 기업
- 02/ RIAVAX® (GV1001®)
- 03/ How to Treat Cancer
- 04/ 적응증 확대
- 05/ R&D Pipeline

바이오 전문 기업 — 기존 반도체필터 사업 기반 위에 혁신적인 항암치료제 개발을 통해 바이오 전문 기업으로 도약 중

Company Introduction

회사명	(주)젬박스앤카엘
대표이사	김상재, 송형곤
주주구성	(주)젬앤컴퍼니 외 특수관계인 17.2%
설립일	1998년 3월 10일
자본금	152억원
매출/ 영업이익	440억원/12억원 (2017 개별 기준)
임직원수	157명
사업영역	바이오 사업 필터 사업
주소	본사 : 대전광역시 유성구 테크노 11로 58 바이오사업부 : 경기도 성남시 분당구 운중로 146
홈페이지	www.gemvax.com

Company History

1998	(주)카엘 법인설립
2005	(주)카엘 코스닥 상장
2008	(주)카엘 인수 노르웨이 젬박스 AS 인수 신약개발사업 진입
2009	Teloid Inc. (미국 감염성 질환 DNA 백신 개발사) 인수 ONY-P (전립선암 세포주 백신) 기술 인수
2013	췌장암 글로벌 임상 3상(TeloVac Study) 결과 ASCO 발표
2014	리아백스 췌장암 항암면역치료제 품목허가 승인 삼성제약 인수
2015	췌장암 국내 임상 3상 개시 삼성제약 리아백스 국내 라이선스 계약
2016	전립선비대증 국내 임상 2상 종료
2017	알츠하이머병 국내 임상 2상 개시
2018	췌장암 국내 임상 3상 환자 모집 완료

리아백스®주 (GV1001®) – 인간 텔로머라제 유래 펩타이드

GV1001®



- 인간 텔로머라제 유래 펩타이드
- 인간 텔로머라제 역전사효소(hTERT)중 16개의 아미노산(611~626)으로 구성
- 분자량: 1868.3g
- 2014년 9월 대한민국 식약처 체장암 면역항암제 조건부 허가

<인간 텔로머라제 역전사 효소>

hTERT: Human Telomerase Reverse Transcriptase

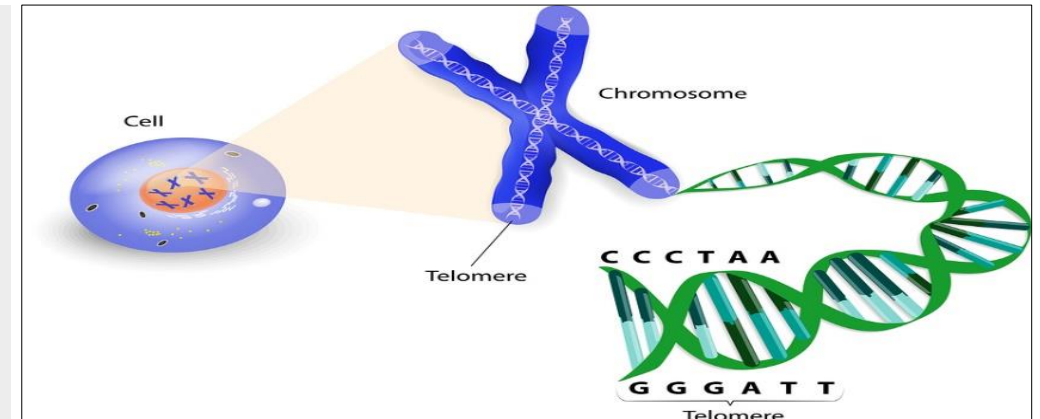
1,132 아미노산

How to Treat Cancer

Telomere & Telomerase

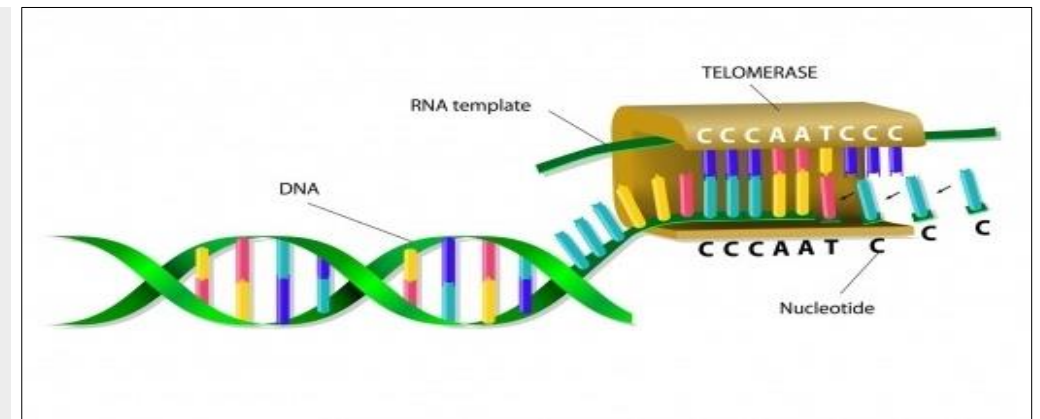
텔로미어 (Telomere)

- 염색체의 끝부분에 있는 단순반복 염기 서열 부위
- 노화 및 수명과 관련이 있는 것으로 규명
- 관련 연구 2009년 노벨 생리의학상 수상



텔로머라제 (Telomerase)

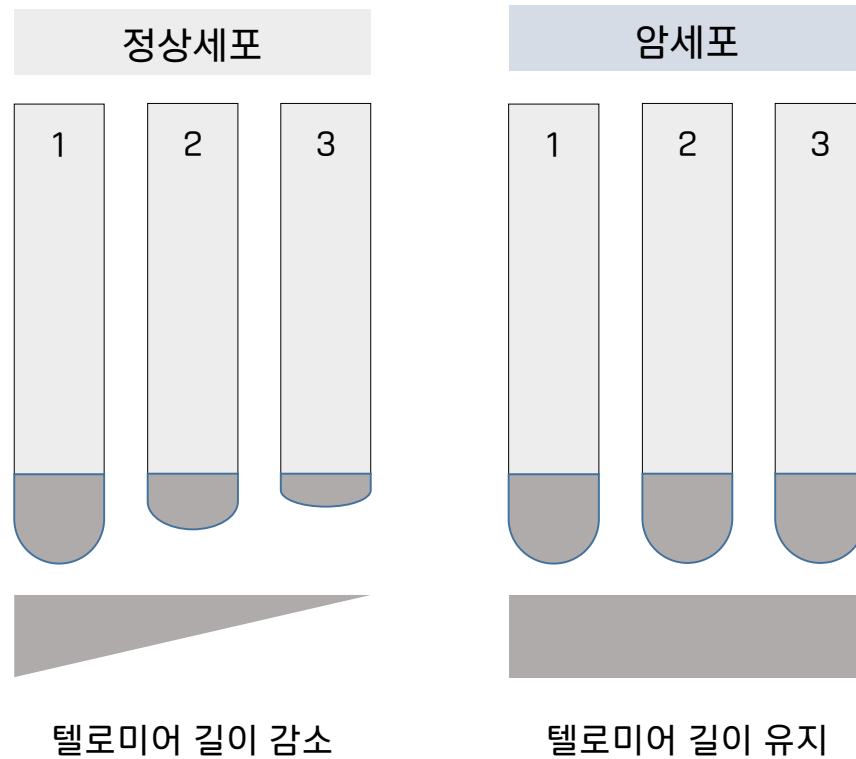
- 세포분열시 텔로미어 길이 유지 기능
- 역전사 효소로 단백질과 RNA로 구성
- RNA가 텔로미어 DNA를 합성하는 기판 역할



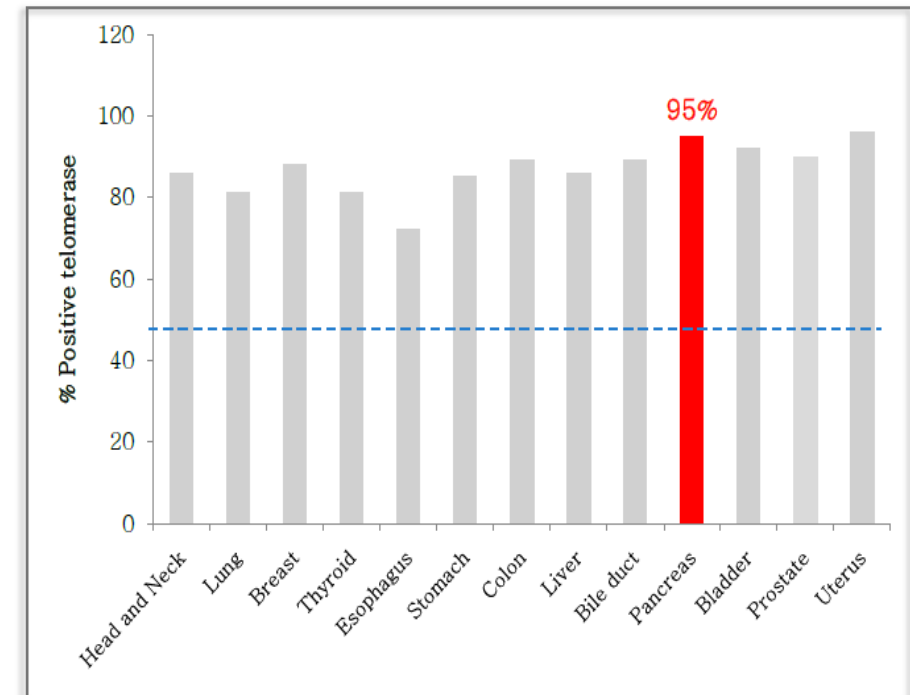
How to Treat Cancer – 암세포 VS 정상세포. 각종 암에서 텔로머라제 활성도가 현격히 높게 관찰됨

Telomerase & Cancer Treatment

정상세포 vs 암세포



Telomerase Activity



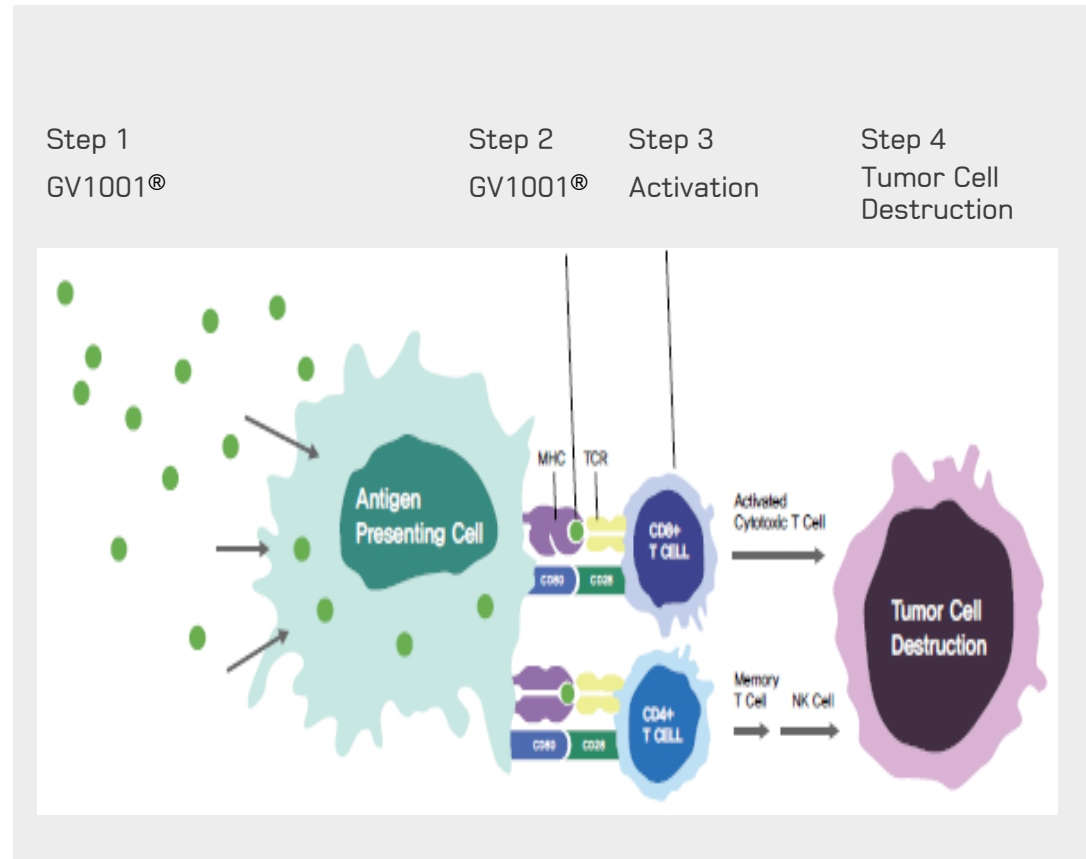
• *Oncogene*, 2012, 21, 643-649

How to Treat Cancer – GV1001®을 항원으로 인식하여 면역체계에 의해 증식된 T cell이 암세포를 선택적으로 제거

MOA for GV1001® for Cancer Treatment

Step	Action
Step 1	- 면역항암치료제 GV1001® 피내 투여 - 수지상세포가 식작용으로 GV1001을 항원으로 인식하여 세포내로 유입 - 항원 정보는 펩타이드의 아미노산 서열
Step 2	수지상세포는 MHC 수용체와 TCR이 결합하는 과정에서 항원(GV1001®)을 CD4+ 또는 CD8+ T cell에 제시
Step 3	수지상세포에 의해 제시된 항원(GV1001®)은 T cell들을 활성화 및 증식
Step 4	활성화된 T cell들은 암세포의 텔로머라제를 인식하고 선택적으로 제거

Mechanism of Action



적응증 확대 - GV1001®은 오랜 기초 연구를 통해 항암 뿐만 아니라 항염, 항노화 등의 기능이 확인되어 적응증 확대 중

텔로머라제 기능 및 GV1001® 적응증 확대

Functions				Indications	Current Pipelines
텔로머라제	주 기능	• 텔로미어 길이 유지	항 암	• 췌장암 • 대장암 • 전립선암: 14년 국내 3상 허가. 잠정중단 • 비소세포성폐암: 미국 2상 추진 중 잠정중단 • 악성흑색종: 국외 2상 완료. 추가임상 예정	• 췌장암 국내 3상 진행 중 • 대장암 연구자 임상 진행 중
	부가 기능	• 세포보호효과 • 항노화 효과 • 항염효과 • 항산화 효과 • 줄기세포 가동화 효과	항 염	• 알츠하이머병 • 전립선비대증 • 항바이러스 제제 • 류마티스 관절염	• 알츠하이머병 국내 2상 진행중 및 미국 2상 FDA IND 신청 진행중 • 전립선비대증 국내 3상 IND 진행중

R&D Pipeline – 췌장암, 전립선비대증, 알츠하이머병

R&D Highlights

Indications	Current Stage	History & Timeline	Market
췌장암	국내 3상 진행 중 환자모집 완료	07 TeloVac 영국 임상 3상 진행 14.09 리아백스® _주 식약처 품목허가 승인 15.03 국내 3상 임상 개시	국내: 1천억원/18천명 글로벌: 2조원
전립선비대증	국내 2상 임상 완료 2018년 3월 국내 2상 결과 유럽학회 (EAU) 발표	15.12 국내 2상 임상시험 IND 승인 17.05 국내 2상 임상시험 완료 19.1H 국내 3상 임상시험 예정	국내: 2천억원/85만명 글로벌: 2.5조원
알츠하이머병	국내 2상 임상 진행 중 미국 2상 FDA IND 신청 중	16.12 국내 2상 임상시험 IND 승인 17.09 국내 2상 임상시험 개시 19.1H 미국 FDA IND 신청 예정	국내: 2천억원/65만명 글로벌: 5조원/840만명

출처: Globaldata, IMS data, 건강보험심사평가원

— 채장암

01/ 채장암

02/ 응급임상

췌장암 — 리아백스® 주 2014년 국내 식약처 품목허가 승인. 현재 국내 3상 임상시험 진행중

췌장암 주요 연구 이력

Period	Study	Phase	Summary
2006.06 ~ 2008.05	Primovax	Phase III	해외 12개국 82개 Site. 347명 대상 GV1001® +Leukine® Vs Gemcitabine
2007.03 ~ 2011.05	TeloVac	Phase III	영국 52개 Site. 1062명 대상 Gem+Cap Vs GV1001® + Seq. Gem+Cap + Leukine® Vs GV1001® + Con. Gem+Cap + Leukine® Lancet Oncology 및 ASCO 결과 발표
2015.05 ~ 2019.11	KG4	Phase III	국내 16개 Site. 148명 대상 Gem+Cap Vs GV1001® + Con. Gem+Cap + Leukine®

췌장암

TeloVac Study - 췌장암 3상 임상시험. The Royal Liverpool Univ. Hosp. 2007~2011



Lancet Oncol 2014; 15:829-40

• Results

구분	중앙생존기간(월)	1년 생존율(%)
Arm1	7.89	33.7
Arm3	8.36	32.3

Gem: Gemcitabine

Cap: Capecitabine

PD: Progression of Disease. 병변진행

- **Study Design**

* *MPACT Study: New England J. of Medicine* 2013. 아브락산은 미국 FDA로 부터 2013년 9월 젬시타빈 병용요법으로 췌장암 1차 치료제로 승인
* *Gem Vs Gem+Cap Study: J. of Oncology.* Oct 2009

구분	중앙생존기간(월)				1년 생존율(%)			
	TeloVac (GV1001®)	MPACT (아브락산)	차이	Gem/Cap	TeloVac (GV1001®)	MPACT (아브락산)	차이	Gem/Cap
	Gem/Cap	Gem		Gem	Gem/Cap	Gem		Gem
시험군	8.4	8.5	-0.1	7.1	34	35	-1	24
대조군	7.9	6.7	+1.2	6.2	32	22	+10	22
차이	+0.5	+1.8	-	0.9	+2	+13	-	2

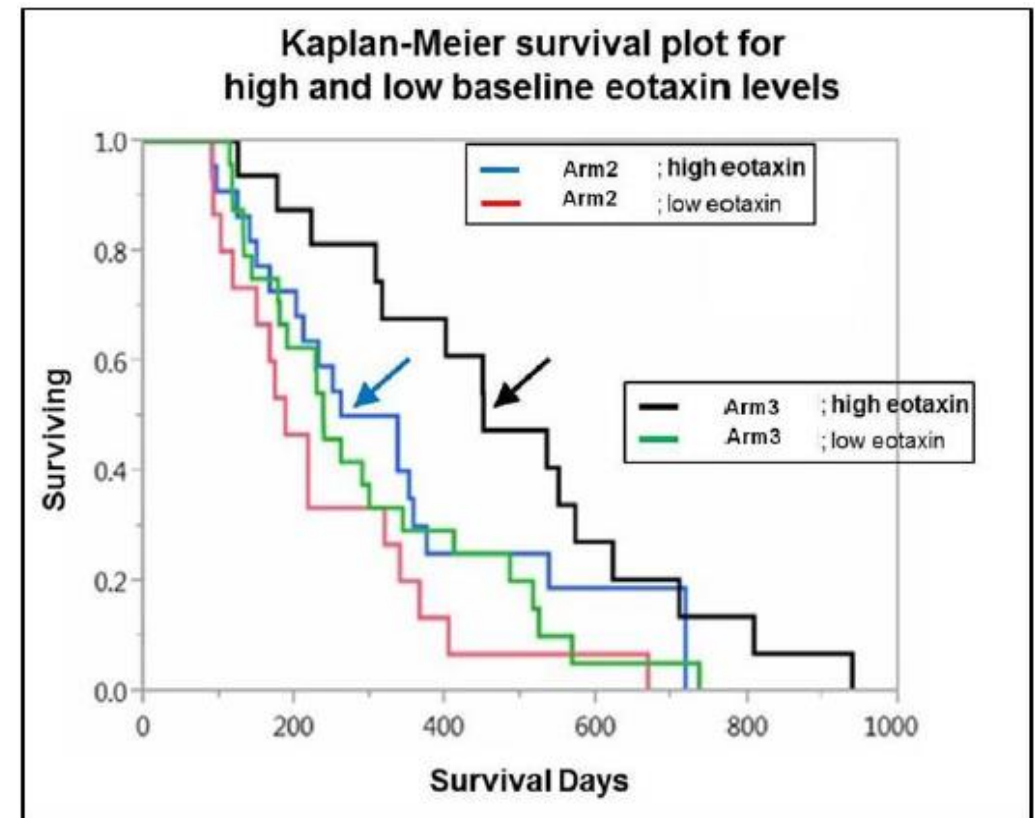
췌장암

TeloVac Study - 이오타신(Eotaxin) 바이오마커 규명. 2014 미국임상종양학회(ASCO) 발표

- 환자의 혈중 이오타신(Eotaxin) 수치와 생존율과의 상관관계 입증
- Eotaxin이 높은 환자들에게 GV1001® 투여시 현저한 생존기간 향상 확인

Results

Unit: months	High Eotaxin	Low Eotaxin
Arm3	14.8	7.9
Arm2	9.8	6.2



췌장암

리아백스(GV1001®) 대한민국 식약처 품목허가 승인. 2014. 9. 15

성분 및 함량	1 바이알 중 tertomotide HCl 0.97mg (tertomotide 0.84mg)
효능 효과	혈청 Eotaxin 농도가 81.02pg/mL 초과인 국소 진행성 또는 전이성 췌장암 환자의 치료
용법 및 용량	- Gemcitabine/Capecitabine과 병용하여 투여 - GV1001® 투여 전 면역보조제 Leukine® (sargramostim, rhGM-CSF) 0.15mL (75mcg, 0.42×10^6 IU/day, 0.5mg/mL)를 하복부에 피내 주사 10-15분 후 GV1001® 0.2mL (0.56mg, 2.8mg/mL)을 동일한 부위에 피내 투여 - 첫째 주는 주 3회(1,3,5) 투여하고, 2,3,4,6주 째에 각 1회 (8,15,22,36일 째), 이후 4주마다 1회 투여. 매 회 같은 위치에 투여

젬백스앤카엘 식약처 품목허가: 2014.09.15.

삼성제약 식약처 품목허가: 2015.04.29

췌장암

췌장암 국내 3상 임상시험

연구 제목	국소진행성 및 전이성 췌장암 환자를 대상으로 gemcitabine/capecitabine 투여 대비 gemcitabine/capecitabine 과 병용투여한 GV1001® 의 유효성 및 안전성을 평가하기 위한 전향적, 무작위 배정, 공개, 다기관, 평행설계, 제 3상 임상시험
대조군 시험군 시험방법	- 대조군: gemcitabine/capecitabine 투여 시험군: GV1001® 0.56mg 피내 투여 + gemcitabine/capecitabine - GV1001™ 투여 전 면역보조제 Leukine® (sargramostim, rhGM-CSF) 0.15mL (75mcg)를 하복부에 피내 주사 첫째 주는 주 3회(1,3,5) 투여하고, 2,3,4,6주 째에 각 1회 (8,15,22,36일 째), 이후 4주마다 1회 투여. 매 회 같은 위치에 투여 1차 평가변수: 전체 생존기간(OS) 2차 평가변수: 종양진행까지 시간, 반응률 등
병원 및 대상자 수	연세대학교 세브란스 병원 포함 총 16개 병원. 148명(대조군 74, 시험군 74). 현재 환자모집 완료
임상시험 기간	2015. 05 - 2019. 11(54개월), 2015.11.06 1st Patient In.

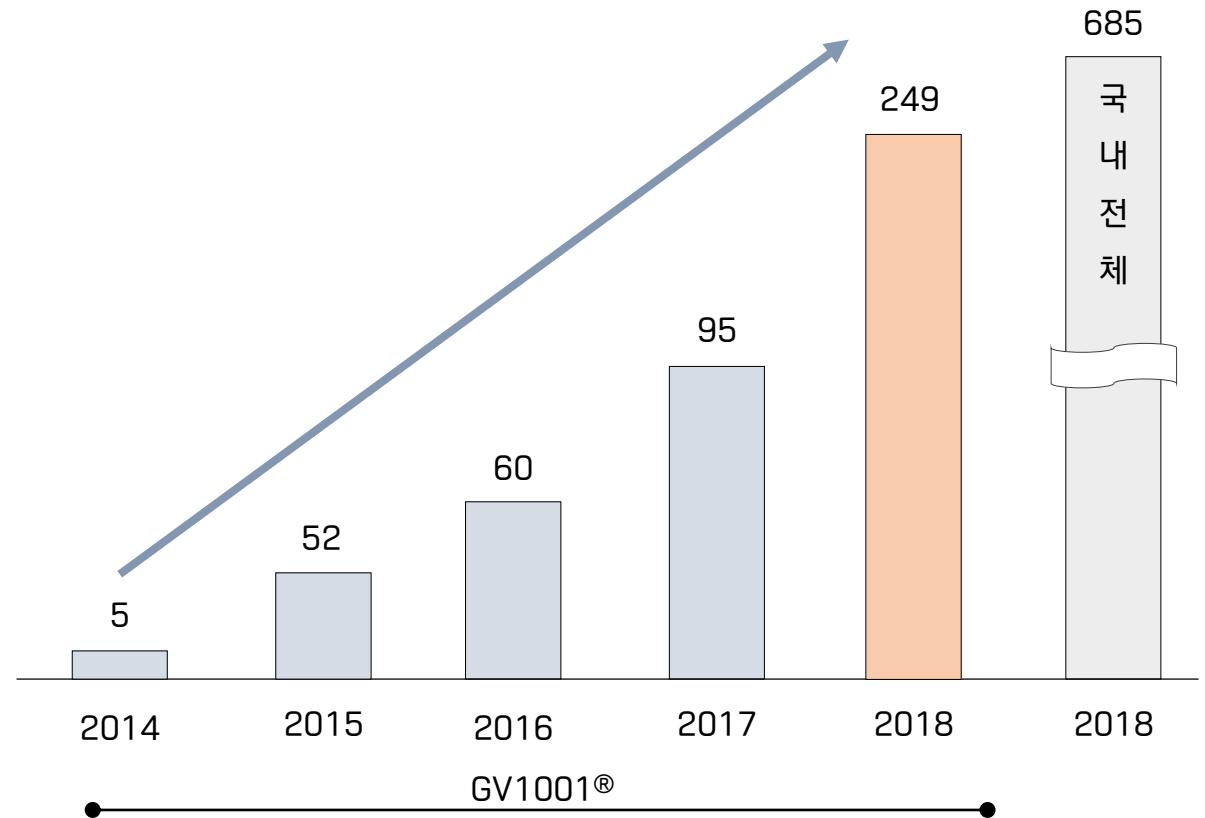
응급임상 - GV1001® 응급임상 건수는 2014년 5건을 시작으로 2018년 연간 기준 249건으로 급증 추세

GV1001® 응급임상

응급임상

- 말기 암 등으로 생명이 위급하거나 다른 치료방법이 없는 환자에게 치료기회를 제공하기 위해 원칙적으로 임상시험용만으로 사용할 수 있는 의약품의 품목 허가를 받기 전에 사용할 수 있도록 승인하는 제도
- 출처: 식약처 온라인의약품도서관 > 임상시험승인정보 > 치료목적 사용승인현황. <http://drug.mfds.go.kr>
- 사이트에 공개된 자료는 2016년 1월 1일 이후 승인된 현황이며, 2017년 12월 13일 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 개정으로 기존 '응급상황 사용 승인 신청'이 '치료목적 사용승인'으로 통합

GV1001® 응급임상 적용 건수 추세



* 출처: 식약처 온라인의약품도서관

응급임상 – GV1001® 응급임상 건수는 2014~2018 누적 461건 기록

GV1001® 응급임상 기관별 적응증별 현황 (2018년 연간 누적)

#	신청인(의료기관)	2018년 사용승인	변경승인	합계
1	건양대학교병원	106 명	20	126 명
2	연세대학교의과대학세브란스병원	46 명	12	58 명
3	의료법인 삼성의료재단 강북삼성병원	12 명		12 명
4	삼성서울병원	11 명	2	13 명
5	화순전남대학교병원	10 명	2	12 명
6	연세대학교의과대학 강남세브란스병원	3 명	1	4 명
7	서울대학교병원	3 명		3 명
8	인하대학교의과대학부속병원	2 명		2 명
9	인제대학교 해운대백병원	2 명		2 명
10	연세대학교 원주세브란스기독병원	2 명		2 명
11	국립암센터	3 명		3 명
12	한림대학교성심병원	1 명		1 명
13	칠곡경북대학교병원	1 명		1 명
14	충남대학교병원 소화기내과	1 명		1 명
15	충남대학교병원	1 명		1 명
16	전북대학교병원	1 명		1 명
17	이화여자대학교의과대학부속목동병원	1 명		1 명
18	의료법인중앙의료재단중앙병원	1 명		1 명
19	순천향대학교 부천병원	1 명		1 명
20	부산대학교병원	1 명		1 명
21	박혜의원	1 명	1	2 명
22	CHA의과대학고분당차병원	1 명		1 명
	합계	211 명	38	249 명

#	질환구분	건 수		합 계
		사용승인	변경승인	
1	췌장암	94	16	110
2	유방암	56	12	68
3	간내담관암	12		12
4	바티팡대부암 / 총담관암	6	2	8
5	침샘암	5	2	7
6	위암	5	1	6
7	결장암 / 대장암	4		4
8	육종	3		3
9	자궁암 / 난소암	6		6
10	직장암	2		2
11	신장암	2	2	4
12	머리악성종양 / 두경부암	2		2
13	알츠하이머	2		2
14	폐암	4		4
15	코의악성종양	1		1
16	소세포폐암	1		1
17	식도암	1	1	2
18	요관암	1		1
19	갑상선암	1		1
20	골육종	1		1
21	신장암	1		1
22	특발성폐섬유증	1	1	2
-	기타		1	1
	합 계	211	38	249

* 출처: 식약처 온라인의약도서관

— 전립선비대증

01/ 전립선비대증

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

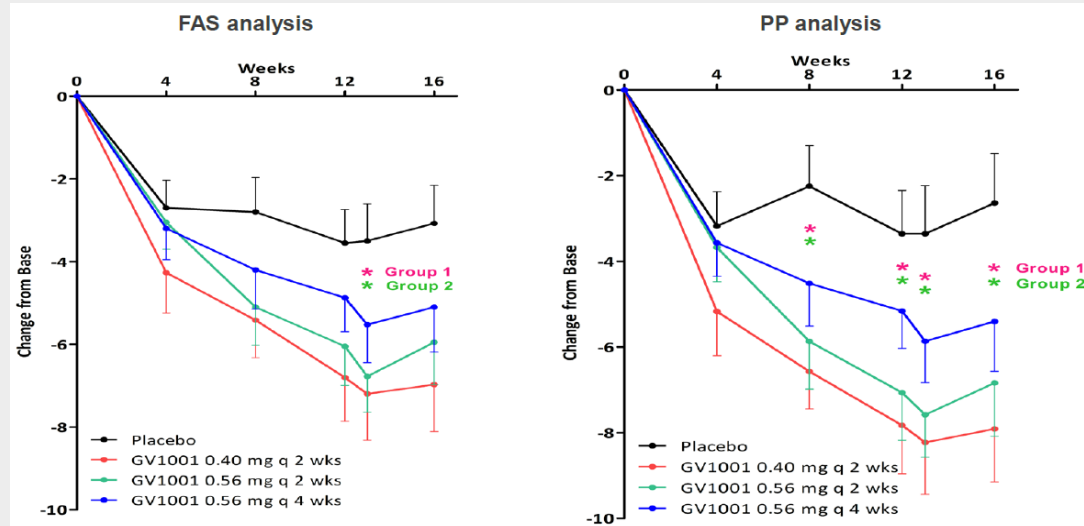
전립선비대증 2상 임상시험 개요

연구 제목	양성전립선비대증(BPH) 환자에게 GV1001®의 유효성 및 안전성을 평가하기 위한 무작위배정, 위약대조, 단일눈가림, 평행설계, 다기관, 2상 임상시험
대조군 시험군 시험방법	- 대조군: 생리식염수 - 시험군 1: GV1001® 0.4mg 2주 간격 피내 주사 - 시험군 2: GV1001® 0.56mg 2주 간격 피내 주사 - 시험군 3: GV1001® 0.56mg 4주 간격 피내 주사 1차 평가변수: IPSS (국제전립선증상지수) 2차 평가변수: 전립선용적(TRUS), 잔뇨량, 최대요속(Q_{max}), 발기능지수(IIEF), 전립선 특이항원(PSA) 변화량 등
병원 및 대상자 수	- 동국대 경주병원 포함 8개 병원 161명 대상
임상시험 기간	2015. 10 ~ 2016. 11

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

전립선비대증 2상 임상시험 결과

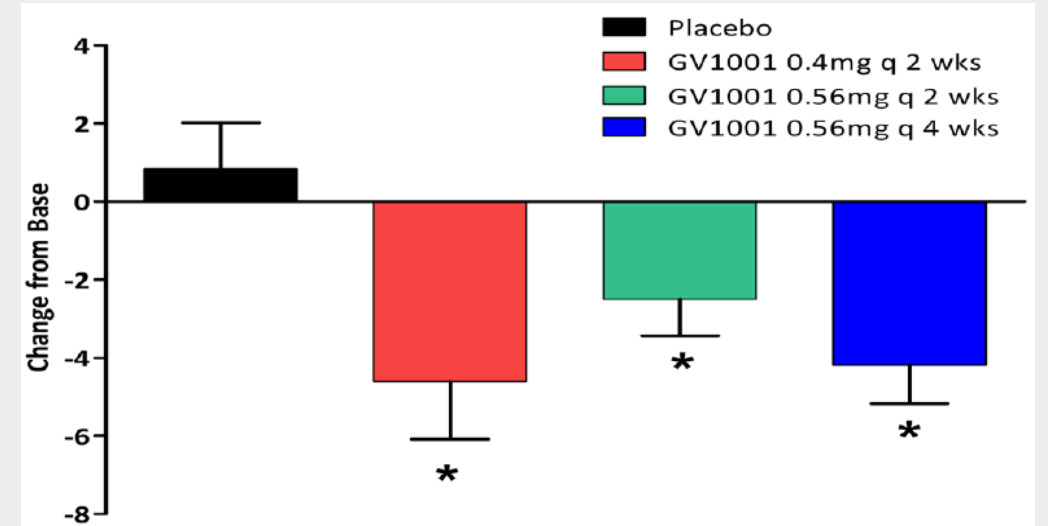
IPSS



- 위약군 대비 3가지 GV1001® 투여군 모두 IPSS 점수 호전을 보임
- 특히 GV1001® 투여 Group1과 2에서는 위약군 대비 통계적 유의성 확인

IPSS: International Prostate Symptom Score. 국제전립선증상지수

Volume of Prostate gland by TRUS



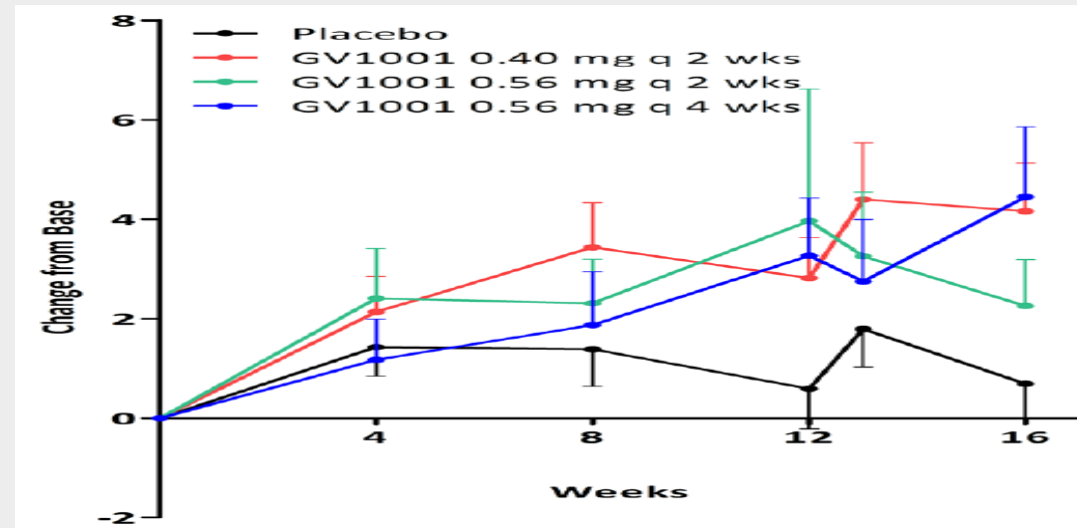
- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 통계적으로 유의한 전립선 용적 감소 확인

TRUS: Transrectal Ultrasonography. 직장경유초음파촬영술

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

전립선비대증 2상 임상시험 결과

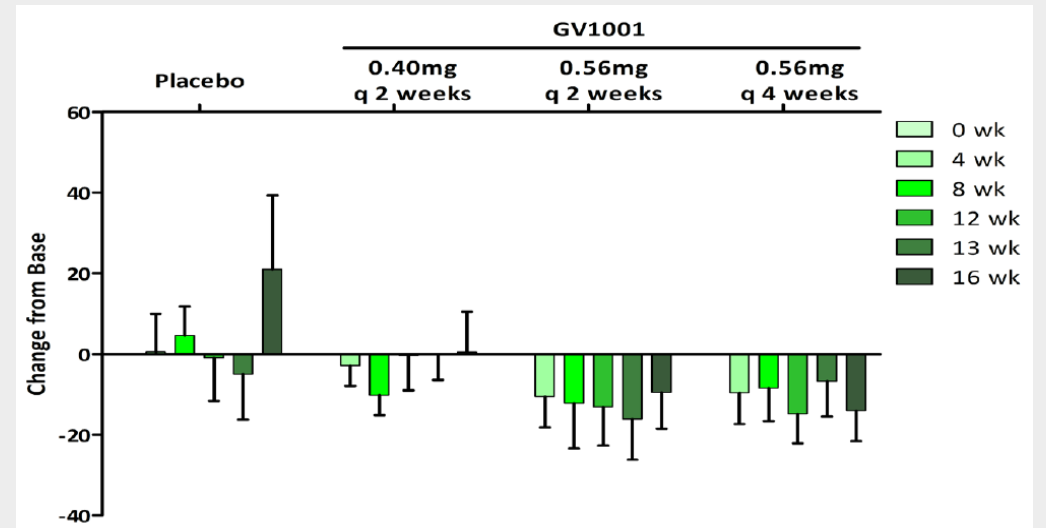
Q_{max} (Maximum Flow Rate)



- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 최고 요속의 증가를 보임

Q_{max} : Maximum Flow Rate. 최고 요속

Residual Urine Volume



- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 잔뇨량의 감소를 보임

Residual Urine Volume: 잔뇨량

전립선비대증 – GV1001® 기존 치료제 대비 동등 이상의 효과. 특히 부작용 측면에서 강점 보유

GV1001® Competitiveness

구분	알파차단제	5 α -환원효소 억제제	GV1001®
기전	알파수용체 차단	5 α -환원효소 억제	호르몬조절 항염 및 항산화 작용
장점	증상완화가 비교적 빠름	전립선 크기 감소	증상호전 전립선 크기 감소
단점	전립선 크기를 줄이지 못함	최소 6개월 복용 필요	주사제(?)
부작용	어지러움, 혈압저하	성기능 장애	거의 없음

전립선비대증 - 국내 2상 임상 결과 2018년 5월 Nature Reviews Urology 게재

학회, 논문 발표, 특허출원, 추가임상

학회발표	• 2017.10. 아시아태평양 전립선 학회(Asia Pacific Prostate Society) Oral Speech. 이경섭 교수 • 2018.03. 유럽전립선학회(EAU: European Association of Urology) Oral Speech. 이경섭 교수
논문발표	• 2018.04. British Journal of Urology 논문 게재. 이경섭 교수 • 2018.05. Nature Reviews Urology 게재. Review 논문 • 2018.06. International Journal of molecular medicine 게재. 김형식 교수 • 2018.11. Endocrine-Related Cancer 논문 게재. 강건욱 교수
특허출원	• 한국: 등록번호 10-1691479. 2016.12.26 등록. 전립선비대증 치료 및 예방용 조성물 • 미국: 등록번호 9,572,858. 2017.02.21. 등록. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 호주: 등록번호 2014337805. 2018.06.28 등록. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 캐나다: 등록번호 2926183. 2018.07.03 Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 러시아: 등록번호 2016113055 2018.08.17 Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 일본: 등록번호 6382972. 2018.08.10. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 중국, 유럽, 인도, 말레이시아, 브라질, 홍콩 등에 출원완료 후 등록 심사 중
추가임상	• 국내 3상 임상시험 2019년 하반기 시작 예정 • 국외(일본) 2상 임상시험 타당성 검토 중

— 알츠하이머병

01/ 알츠하이머병



알츠하이머병 – GV1001®의 세포모델 및 동물모델 기반의 기초 연구를 통해 알츠하이머병 치료를 위한 가능성 확인

알츠하이머병 GV1001® MOA 기초 연구

세포 모델

- 아밀로이드 베타에 의해 유도되는 뇌세포 사멸 감소
- 아밀로이드 베타에 의해 생성되는 활성산소의 수준 저하
- 아밀로이드 베타에 의한 신경줄기세포 증식능력의 손상 보호
- 아밀로이드 베타에 의한 신경세포의 세포자멸사를 다양한 기전을 통해 효과적으로 억제

동물 모델

- 알츠하이머병 원인의 하나인 아밀로이드 베타의 양을 현저히 감소시킴
- 타우 단백질의 비정상적인 변화로 인한 neurofibrillary tangle의 형성을 억제
- 성상교세포(astrocyte)의 활성화에 따른 astrogliosis를 저해함과 동시에 신경세포재생(neurogenesis) 촉진

뇌기능의 회복 및 재활에 큰 역할을 할 수 있을 것을 시사
다양한 작용 기전을 갖는 새로운 개념의 알츠하이머병 치료제로서 가능성 확인

알츠하이머병 - 국내 2상 임상시험 진행 중

알츠하이머병 2상 임상시험 개요

연구 제목	알츠하이머병 환자에서 GV1001® 0.56 또는 1.12mg/day의 피하 투여 시 질환의 중증도, 질환의 경과 조절 또는 증상 완화를 위한 치료적 임상시험
대조군 시험군 시험방법	- 대조군: 생리식염수 + Donepezil - 시험군 1: GV1001® 0.56mg 1주 간격 4회, 이후 2주 간격 10회, 총 14회 피하 투여 + Donepezil - 시험군 2: GV1001® 1.12mg 1주 간격 4회, 이후 2주 간격 10회, 총 14회 피하 투여 + Donepezil 1차 평가변수: SIB 2차 평가변수: K-MMSE, NPI, GDS, CDR-SOB, CIBIC-Plus 등
병원 및 대상자 수	- 한양대 구리병원 포함 12개 병원 90명 대상
임상시험 기간	2017. 09 ~ 2019. 09.

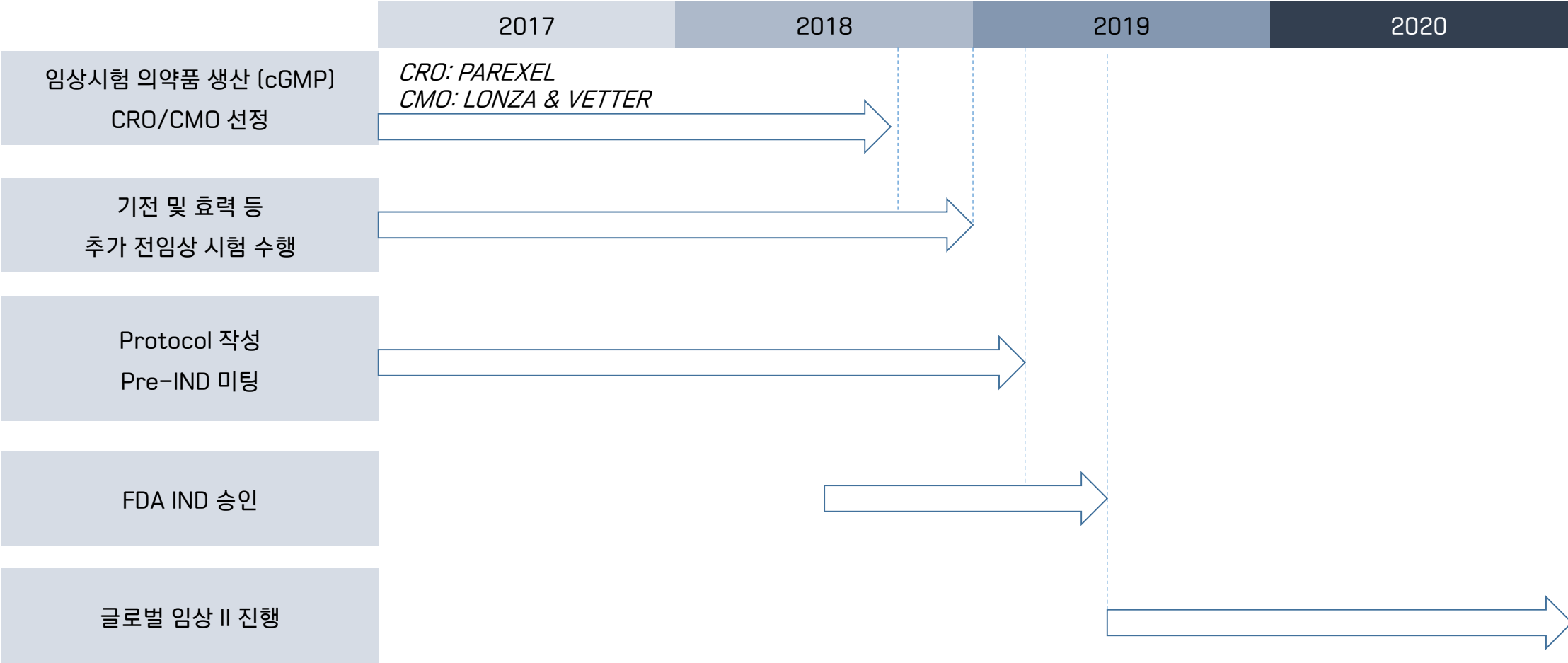
알츠하이머병 – 국책연구 성공적 종료, 미국 및 한국 특허등록 완료

국책연구, 논문 발표, 특허출원

국책연구	• 2017.02 ~2018.01 범부처 전주기 신약개발사업. 조기 종료 및 차기 단계 진입 준비 중 • 2017.01 보건복지부 보건의료기술 연구개발사업 신청
논문발표	• 2014 Neurobiology of Aging 논문 게재. 고성호 교수 • 2016 Neurotoxicology 논문 게재. 고성호 교수
특허출원	• 한국: 등록번호 10-1685551 2016.12.06. 중추 또는 말초 신경계 질환의 치료용, 예방용 또는 개선용 조성물 • 미국: 등록번호 9,540,419 2017.01.10 Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 중국: 등록번호 ZL201380036639.9 2018.06.05. Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 대만: 등록번호 I640632 2018.11. Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 그 외 유럽 등에 출원 완료 후 등록 심사 중

알츠하이머병 - 2019년 미국 2상 임상시험 IND 승인 목표

알츠하이머병 글로벌 2상 임상시험 로드맵





R&D Investments

01/ R&D Investments & Infra

R&D Investments & Infra – 2008년 이후 누적 투자 1,500억원. 풍부한 글로벌 네트워크 및 임상 경험 보유

공격적 R&D 투자 및 양질의 연구 인프라 확보

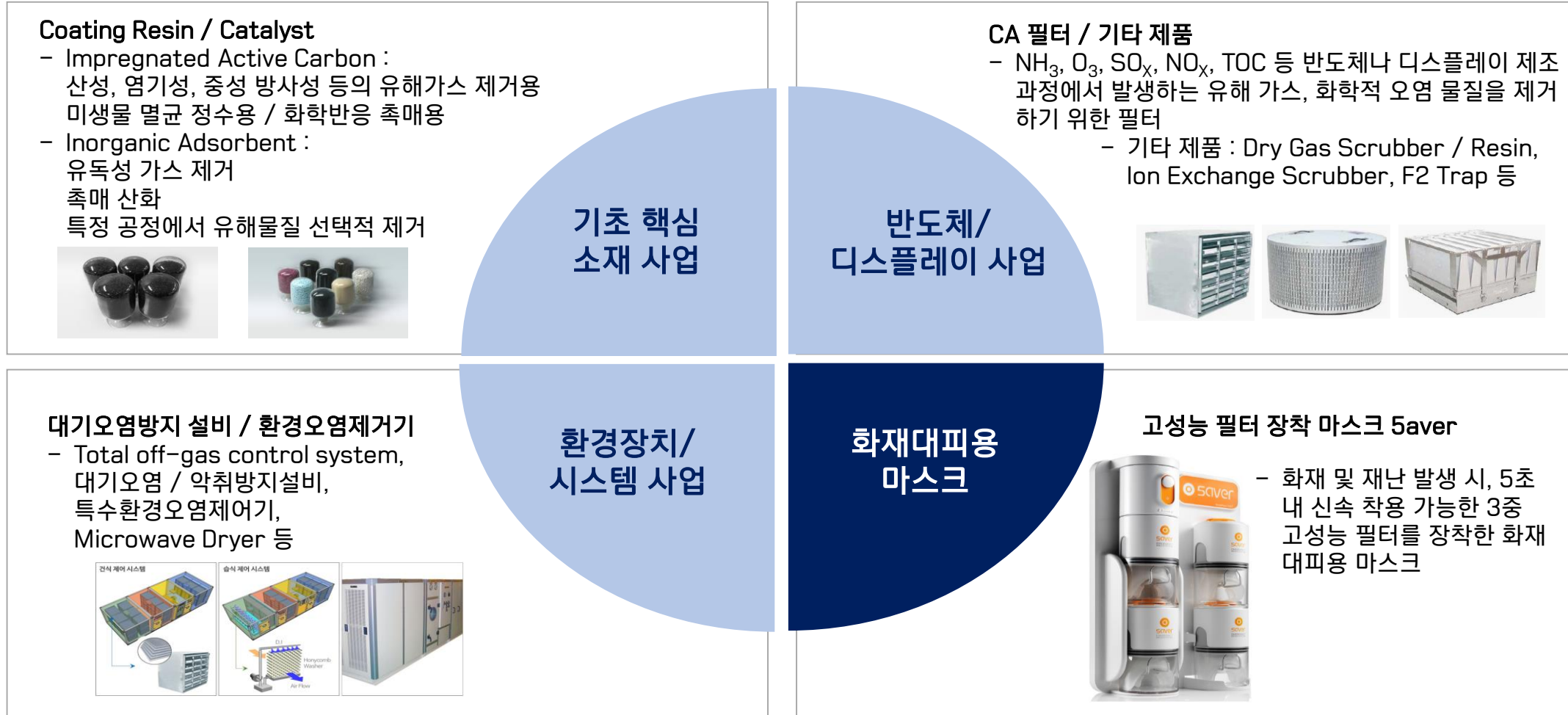


— 필터사업부

01/ 필터사업

필터 사업 - CA 필터가 주력 사업으로, 환경장치 및 시스템, 화재대피용 마스크 등으로 사업 영역 확대

Filter Business



필터 사업 - 전방산업 신규 투자 증가로 필터사업 안정적 매출 성장

Financial Results

(단위 : 억원)

구분	연결			개별		
	2016	2017	2018.3분기	2016	2017	2018.3분기
매출	284	478	311	262	440	299
영업이익	-62	-14	-36	-49	12	-21
세전이익	-157	-304	-36	-146	-207	-54
당기순이익	-408	-124	-36	-146	-207	-54

* 2017 주요 영업외손실

- 파생상품 평가손실 75억원(일회성)
- 무형자산손상 35억원. GV1001 개발비 전액 상각(일회성)
- 종속회사 제외에 따른 처분 손실 72억원(1회성)
- 지분법 손실 30억원, 이자비용 53억원

— Thank you.

Confidential

No part 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 permission of GemVax. This document provides an outline of a presentation and is incomplete without the accompanying oral commentary and discussion.