



DEVELOPMENT OF INNOVATIVE NEW DRUGS

Pursuit for improved quality of the life and patient happiness

—
2019. 04

Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 하는 기업설명회에서 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 (주)지트리 비엔티(이하 '회사')에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드립니다.

본 자료의 열람은 위 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 '자본시장과 금융투자업에 관한 법률'에 대한 위반에 해당될 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', '(E)' 등과 같은 단어를 포함합니다. 위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 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 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 Representative들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.(과실 및 기타의 경우 포함)

본 자료는 어떤 경우에도 투자자의 투자결과에 대한 법적 책임 소재의 입증자료로써 사용될 수 없습니다.

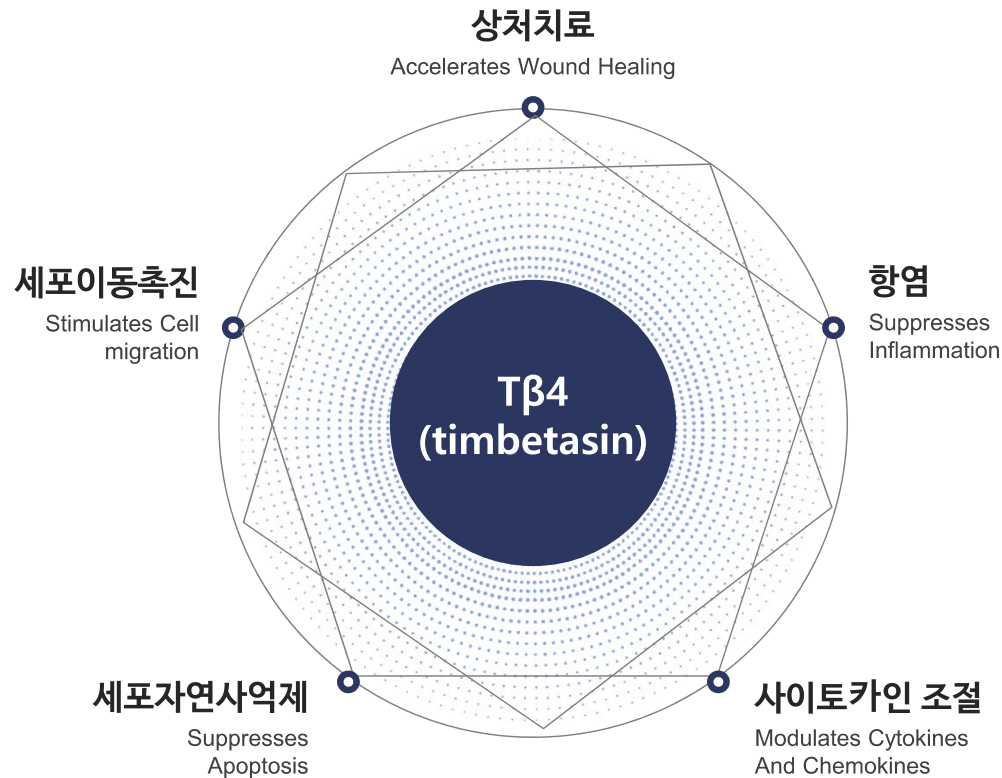
I

COMPANY OVERVIEW

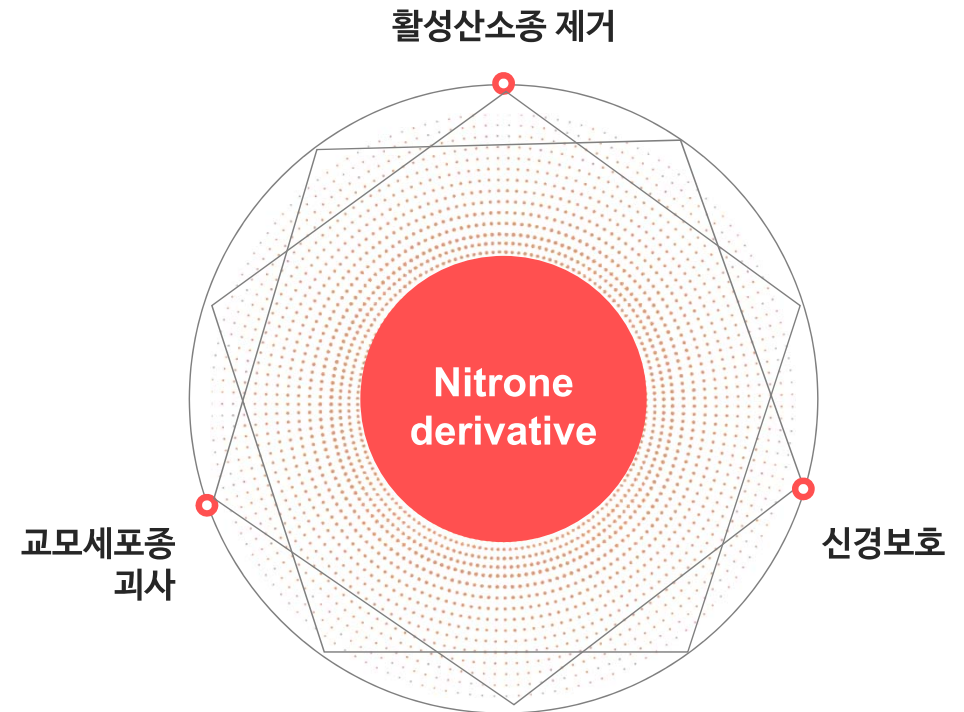
Development of Innovative New Drugs

- 01 Two Proprietary Compounds
- 02 Pipeline 개발현황
- 03 미국 자회사 현황

01 Two Proprietary Compounds



From RegeneRx



From OMRF

(Oklahoma Medical Research Foundation)

안과질환

① 안구건조증 (DES) ② 신경영양성각막염 (NK)

피부질환

③ 수포성표피박리증 (EB)

뇌종양

④ 교모세포종 (GBM)

FDA Orphan Drug Designation : NK, EB, and GBM



안정적인 후기 파이프라인 보유



신약개발 성과 및 LO 가시화 시점 도래

임상개발 현황

치료분야	Pipeline	적응증		Market	초기 개발	임상 1상	임상 2상	임상 3상	비고
Corneal Wound Healing (안과질환치료)	RGN-259 (GBT-201)	Dry Eye Syndrome (안구건조증, DES)		미국, 캐나다 및 아시아 태평양 28개국					• ARISE-1 완료* • ARISE-2 완료 • ARISE-3 시작 • Best in class
		희귀의약품 (Orphan Designation)	Neurotrophic Keratopathy (신경영양성각막염, NK)	미국, 캐나다 및 아시아 태평양 28개국					• SEER-1(1 st Ph3) 진행 중
Dermal Wound Healing (상처치료)	RGN-137 (GBT-101)		Epidermolysis Bullosa (수포성표피박리증, EB)	미국, 캐나다, 유럽, 한국, 일본, 호주					• 2nd Ph2 진행 중 • Ph3 계획 중 • First in class
Brain Cancer (뇌암치료)	OKN-007		Glioblastoma Multiforme (교모세포종, GBM)	전세계					• Ph1b 완료 • Temozolomide와의 병용임상 진행 중

Phase 3 Clinical Trial Name for Dry Eye

*A Phase III Study of RGN-259 Identifying Safety and Efficacy

ARISE-1 Phase 2b/3 study **completed**
ARISE-2 Phase 3 Study **completed**
ARISE-3 Phase 3 Study **just started**

✓ FDA 임상 스폰서

✓ LO 외 매각 옵션

GtreeBNT

실무를 포함한
실질적 운영주체

Oblato, Inc.

- 뇌종양 GBM Ph 1b completed in Oklahoma Medical Center - 미국 중추신경암학회 임상결과 발표
- Temozolomide와의 병용요법 임상 진행 중
- 현 주사제 → 경구용 개발 중 (Global 연구기관)

GBM | Glioblastoma Multiforme

ReGenTree, LLC

- Two Ph 3 (ARISE-1, 2) studies completed
- 3rd Ph 3 (ARISE-3) study just started
- Dedicated to ophthalmology
- Most advanced pipeline

DES | Dry Eye Syndrome

NK | Neurotrophic Keratopathy

Lenus Therapeutics, LLC

- EB: Ph 2 completed
- 2nd Ph 2 진행 중 (Open Study)
 - FDA EB Guideline 개정에 따른 예비 스터디
 - 1차 평가지수 선정 후 Ph 3 진행을 위해 FDA에 Propose 예정

EB | Epidermolysis Bullosa

II

연구건조증

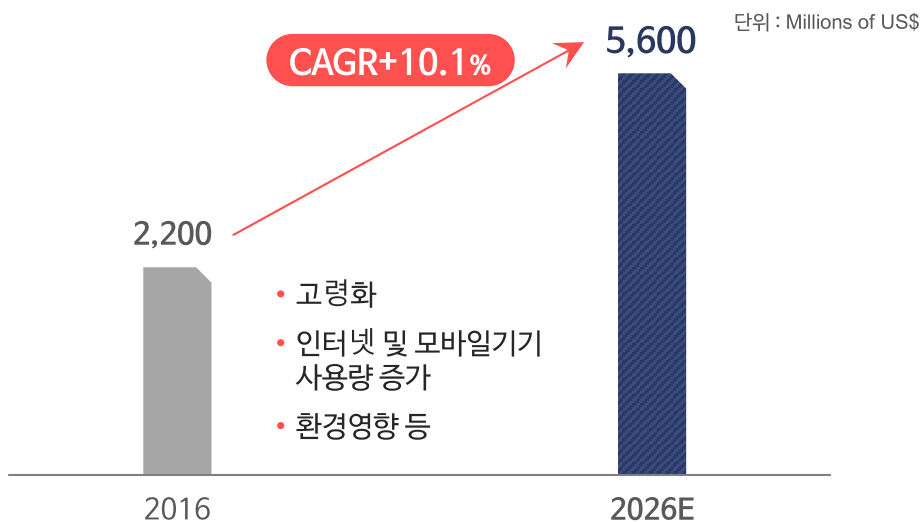
Development of Innovative New Drugs

01 / 시장현황

02 / 경쟁현황

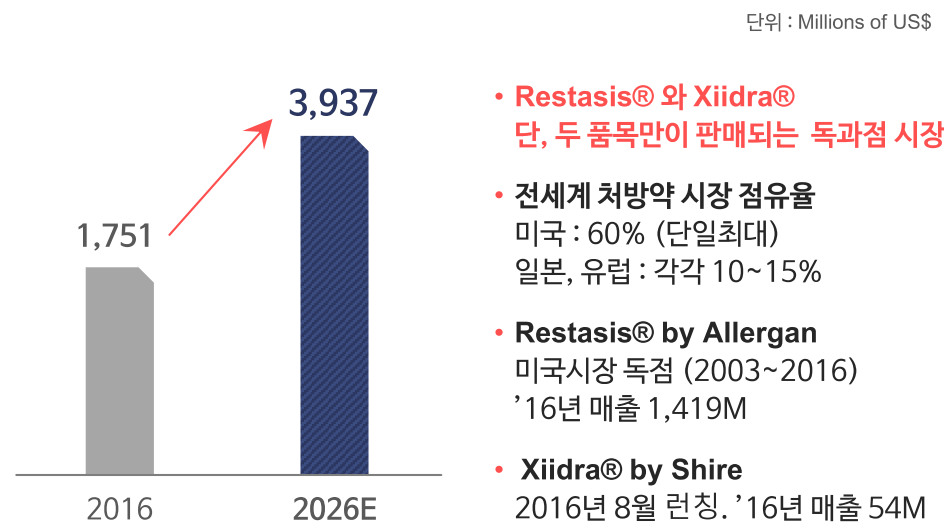
03 / 개발현황

전세계 안구건조증 치료제 시장



[참조] GlobalData, 2018 : 2026년 5.6B으로 성장전망. CAGR 10.1%

미국 안구건조증 치료제 시장



전세계 안구건조증 처방약 시장

Global 시장에서 단 2개의 처방약만이 주요 사용되고 있음 (Blue Ocean)

RESTASIS®
(Cyclosporine)
by Allergan

Xiidra®
(Lifitegrast)
by Shire

Allergan의 RESTASIS : 출시 14년 된 Old Product
Shire의 Xiidra : 2016년 Approval 된 후 급성장 제품

- ✓ DES를 적응증으로 승인 받은 제품은 Xiidra가 유일함
- ✓ 두 제품 모두 동일 치료기작 : Anti-Inflammation
전체 Dry Eye 환자 중 반응율 20~25%
- ✓ RGN-259의 Multiple Mechanism of Action
: 독보적 Market Position 기대



다인성질환인 안구건조증 치료에 적합한 'Multi-function' 치료제

구 분	RGN-259	Xiidra	Restasis
Active Ingredient	Thymosin β 4 (T β 4)	Lifitegrast	Cyclosporine A
MOA	Multi-functions • 항염, 항균 • 상처치료 • 세포보호 • 세포 이동촉진 (재생피화) • 세포자연사억제	Single-function • 항염	Single-function • 항염
이상반응	• 위약과 동일한 수준	• 안구 작열감, 이상 미각 등 • 부작용이 Label에 명기되어 있음	• 안구 작열감 • 충혈, 시력장애 (시야혼탁)등 • 부작용이 Label에 명기되어 있음
Global Effect in Sign & Symptom	• Sign과 Symptom에서 매우 강한 Global Effect 입증(ARISE-2) • 다인성질환인 안구건조증 치료에 매우 적합	• 매우 한정적인 Global effect	• 거의 없음
Onset Time	• 2 weeks	• 12 weeks	• 12~24 weeks
시험자군 (임상디자인)	• ARISE-1 과 ARISE-2 완전하게 동일	• 시험자 선정기준 및 평가변수가 각 3상마다 다름	-

Pooled Data (ARISE-1&ARISE-2) Top-line Summary

01 Sign과 Symptom에서의 Global Effect 확보

- ✓ Sign과 Symptom의 여러 Parameters(평가변수)에서의 통계적 유의차 확보
- ✓ 탁월한 점안감(인공눈물) / 안전성 / 내약성
- ✓ Pooled Data의 재현, 반복 경향 확인

02 Licensing out의 높은 가능성



- ✓ Sign과 Symptom 모두에서 차별화된 Fast-onset 효과 확인
- ✓ 기 승인 제품 대비 우위: Global Effects, 안전성, 점안감 → LO에 대한 Strong Position 확보



계 획

P L A N

2019년 피험자 약 700명 대상 ARISE-3 (Phase 3) 진행

III

희귀의약품

Development of Innovative New Drugs

- 01 / 희귀의약품 시장
- 02 / 수포성표피박리증(EB) · 개요
- 03 / 수포성표피박리증(EB) · 현황 및 계획
- 04 / 교모세포종(GBM) · 개요
- 05 / 교모세포종(GBM) · 현황 및 계획



01

급성장 블루칩시장

- 희귀의약품은 각 나라마다 **파격적인 혜택 제공**
- '14년 \$97.0B규모에서 향후 **연평균성장률 (CAGR 2014-20E) 10.6%**
- 제약산업의 **새로운 블루칩시장으로 급성장하고 있음**



02

높은 신약 승인율

- FDA 승인품목 중 '15년 약 37%, '16년 약 47%를 희귀의약품이 차지
- 3상 단계 희귀의약품 **성공 가능성은 약 89%로 상당히 높음**



03

미국 시장에서의 희귀질환 치료제 개발 편익

- 자료독점권, 마케팅 권한 **7년 보장**
- 신속 심사기간 적용으로 **6개월 이내로 심사기간 단축**(보통 1년~1년 6개월 이상)
- 임상 2상 단계에서 **조건부판매 가능**
- 2백만 달러에 달하는 **심사비용 면제, 임상비용의 50%까지 세금 면제**
- Niche 마켓으로 **경쟁이 없음**
- 판매 인프라, 영업 네트워크가 필수적이지 않아 **License-Out 후보자 다수 존재**
- 희귀질환에 대한 지속적인 **정부지원 강화**

02 | 수포성표피박리증(EB) · 개요

EB | Epidermolysis Bullosa

GBM | Glioblastoma Multiforme

표피와 표피-진피 경계부 등을 구성하는 단백질을 만드는 유전자 변이에 의해, 가벼운 외상에도 쉽게 물집이 발생되어 피부와 점막에 통증이 생기는 희귀한 유전성 질환

현재 FDA 승인
치료제 없음



Source | InTech



- ✓ 40%가 Dystrophic EB와 Junctional EB 환자로 대부분 10세 이전 사망
- ✓ 생명이 위태로운 희귀질환으로서 고가의 치료비용 발생

- ✓ 단순 피부에서 나타나는 증상 치료비용만 대략 연간 \$50,000 초과
- ✓ 연간 약제비 (희귀질환) \$50,000/인 이상 가능

경쟁현황

• Amryt Pharma

시장규모

• 글로벌 \$1.0B ('15 by Amicus)

Deal 사례

- Target: Scioderm / Acquirer: Amicus
- Phase 3
- Value: \$ 847M ('15 by Amicus)

FDA 합의 · 실질적 3상 진입 승인

01 3상 진입 동의
(2017년 1월 FDA Meeting)

02 기존 2상 임상 결과
(제형 등) 승인



- ✓ 피험자 약 150명 대상(미국 및 유럽 20개 사이트 예상)
- ✓ 동일 피험자(약 15명) 대상 Open Study 선행
- ✓ Phase2 study data 보완 및 개발전략 완료 (GtreeBNT & KOLs)



- ✓ 시장영역 확장(미국, 유럽, 일본, 한국, 호주, 캐나다)
- ✓ Orphan drug 특성상 높은 영업이익 기대
- ✓ 유양디앤유와 Global 임상 공동개발 및 투자계약 체결

계 획

P L A N

2019년 2상 Open Study 진행 및 Phase3 계획

뇌 조직에 존재하는 신경교세포에서 기원한 종양을 의미하며, 뇌종양 중에서도 가장 악성인 질환

01 치료법

- **수술**
뇌 기능을 최대한 보존하면서 가능한 많은 종양 제거
- **방사선 요법**
수술 후 절제한 주변 뇌 조직에 방사선 치료 시행
- **항암화학 요법**
Temozolomide(Temodar), Bevacizumab(Avastin)

02 생존율

- **치료 받을 경우**
| 평균 12~15개월
- **치료받지 않을 경우**
| 평균 4.5개월

03 추정 환자수

- **미 국**
| 20,000명
(매년 12,000명 신환발생)
- **한 국**
| 3,000명

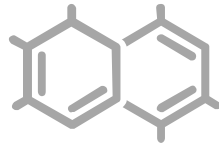
OKN-007

- ✓ 활성산소종 제거를 통한 교모세포종 **괴사 및 종양세포 증식 감소**
- ✓ 뇌졸중으로 3상까지 완료한 후 Drug Reposition 약물로 **안전성 이슈 해소**
- ✓ **FDA 희귀질환 치료제 지정 (2016.8)**



01

- ✓ Small Molecule 신 물질 / Very safe



- ✓ Recurrent GBM 환자 대상
시험자 15명 투여

03



TARGET

T I M E L I N E

02

- ✓ Oklahoma 대학병원 Stephenson Cancer Center에서 Phase 1b 완료



- ✓ 병용요법(Combination Therapy) 진행 중

04

- 기존 항암제(Temodar)+OKN-007 병용요법 미국 임상 시작

(대상: Newly Diagnosed Glioblastoma)

- 계획: 경구용 Single therapy(OKN-007) 1/2상 미 FDA 승인

(대상: Recurrent High-grade Glioma)



DEVELOPMENT OF INNOVATIVE NEW DRUGS

Pursuit for improved quality of the life and patient happiness

