

(주)안트로젠

코스닥 상장사

미충족 수요(Unmet needs)가 높은 질환
및 희귀질환 치료를 위한 솔루션 제공

2020.08.10

미래예측적 진술 (Forward-Looking Statement)

(주)안트로젠은 본 자료가 미래예측적 내용을 포함하고 있음을 상기시켜 드리고자 합니다. 본 자료는 회사의 현재 신념과 기대를 근거로 작성되었습니다. 본 미래예측적/전향적 설명문에는 예상시기, 완료시점, 당뇨병성 족부궤양 (DFU), 이영양성 수포성 표피박리증 (Dystrophic Epidermolysis Bullosa; DEB) 및 화상의 환자 예측 수 등과 같은 정보가 포함되어 있으며 이는 다양한 출처로부터 통계적으로 입수 가능한 데이터를 기반으로 작성된 것입니다.

안트로젠은 미국 내 제 2 상 임상시험 2 건과 한국에서 진행하고 있는 제 3 상 임상시험 2 건을 근거로 하여 FDA와 미국 제 3 상 임상 시험에 대한 검토를 앞두고 있습니다. 이는 미국 FDA로부터 RMAT 지정됨에 따라 신속허가심사제도를 받을 수 있는 가능성을 기반으로 합니다. 현재 진행되고 있는 FDA와 협의할 내용에는 임상시험 대상자 수, 당뇨병성 족부궤양 치료를 위한 ALLO-ASC-Sheet 최종 유효성 평가항목 및 ALLO-ASC-Sheet가 당뇨병성 족부궤양 환자의 치료효과를 통계적으로 유효하게 개선시킬 수 항목 등에 대한 내용이 포함됩니다. ALLO-ASC-Sheet에 대한 첨단재생의학치료제(RMAT)는 2020 년 3 월 19 일에 신청을 진행하였고, 2020 년 5 월 19 일부터 DFU 분야의 RMAT로 지정되었습니다. 안트로젠은 COVID-19 사태가 진정되는 즉시 FDA와 Type B 회의를 진행하여 ALLO-ASC-Sheet 프로그램에 대한 규제 당국과 다음 단계를 논의 할 예정입니다.

본 자료에 포함된 내용은 안트로젠에 의해 계획된 것으로 상황에 따라 변동 가능성이 있음을 알려드립니다. 실제 결과는 안트로젠의 사업에 내재된 위험과 불확실성으로 인하여 본 프레젠테이션에 제시된 것과 다를 수 있습니다. 실제 결과는 안트로젠의 사업에 내재된 위험과 불확실성으로 인해 이 프레젠테이션에 제시된 것과 다를 수 있습니다. 예를 들면, 첨단재생의학치료제(RMAT) 지정은 FDA가 ALLO-ASC-Sheet를 승인하거나 ALLO-ASC-Sheet에 대한 신속검토에 대한 것을 보장하지 않습니다.

따라서 이 미래예측적 진술에 지나치게 의존하지 않도록 주의해야 합니다. 이 진술은 현재 날짜 기준으로만 설명하는 것으로 안트로젠은 이 날짜 이후의 사건이나 상황을 반영하기 위해 본 프레젠테이션을 수정하거나 업데이트할 어떠한 의무도 없습니다. 모든 미래예측적 진술은 본 주의 진술에 의해 전체적으로 자격이 부여됩니다.

본 자료와 관련하여 영문버전과 국문버전간에 일치하지 않는 내용이 있을 경우, 영문 버전의 의미가 우선합니다.

(주)안트로젠의 현재

미충족 수요(Unmet needs)가 높은 질환 및 희귀질환 치료의 솔루션을 개발하는 글로벌 제약 회사

- **전문적이고 발전하는 조직**

- ✓ 본사 : 서울 가산동에 위치
- ✓ 신축 cGMP 시설 : 서울 마곡지구에 위치 (현재 건설 중이며 미승인 상태임)
- ✓ 일본과 기술이전을 통한 연구 협업

- **의약품 개발 경험**

- ✓아시아와 미국에서 미충족 수요 (unmet needs) 의약품 개발 및 상용화에 대한 전문 지식을 갖춘 리더십 팀 보유

- **매우 유망한 두 가지 치료제 개발**

- ✓당뇨병성 족부궤양 치료를 위한 ALLO-ASC-Sheet 개발 (한국 3상 임상, 미국 2상 임상 진행 중)
- ✓이영양성 수포성 표피박리증 (Dystrophic Epidermolysis Bullosa) 치료를 위한 ALLO-ASC-Sheet 개발 (한국 1/2상 임상 진행 중, 일본1/2상 완료, 미국 1상 임상 승인)

(주)안트로젠 최종목표

치료제가 없는 질병으로 고통 받고 있는 환자에게 해결책을 제공하는 것이 최종목표입니다.

- 우리는 우리가 목표로 하는 분야에서 과학, 의료 및 상업적으로 업계 최고의 제품을 개발합니다.
- 업계 최고의 제품 개발을 통해 환자와 그 가족의 삶의 질을 향상시키기 위해 최선을 다하고 있습니다.

(주)안트로젠 개발 Pipeline

제형	적응증	전임상	1상	2상	3상	비고
시트형 줄기세포치료제	당뇨병성 족부궤양 치료제	국내 임상 3상 진행중 미국 2상 진행 중				첨단재생의학치 료제(RMAT)로 지정
	이영양성 수포성 표피박리증 치료 제	국내 임상 1/2a상 진행중 미국 1상 임상 승인 (not activated)				희귀질환치료제 지정 (한국, 미국)
		일본 임상 1/2상 완료 PMDA 승인을 위한 확증 임상시험(Pivotal Study) 설계 논의 중				
	심재성 2도 화상 치료제	국내 임상 2상 진행 중				
주사형 줄기세 포치료제	퇴행성 관절염 치료제	전임상				

당뇨병성 족부궤양 & 이영양성 수포성 표피박리증

• 당뇨병성 족부궤양 (Diabetic Foot Ulcer ;DFU)

- ✓ 당뇨병환자 25% 가 당뇨병성 족부궤양 발병의 위험을 가지고 있습니다.
- ✓ 미국에서는 대략 500만명의 환자가 당뇨병성 족부궤양으로 고통 받고 있습니다.
- ✓ 당뇨병성 족부궤양은 선진국과 개발 도상국 등의 나라에서 점점 더 중요한 공중 보건 문제로 자리잡고 있습니다.



• 이영양성 수포성 표피박리증 (Dystrophic Epidermolysis Bullosa ;DEB)

- ✓ 발병은 출생과 동시에 일어나지만 유년기 또는 청소년기에도 관찰이 되기도 합니다.
- ✓ National Epidermolysis Bullosa Registry (NEBR) 에 따르면 2002년 DEB의 총 유병률은 백만명 당 3.26명입니다. .
- ✓ 미국 전체 인구를 고려할 때 DEB의 최대 유병률은 2002 년 기준 1,043 명입니다.



새로운 치료제 개발이 시급하게 필요한 질환입니다.

- **당뇨병성 족부궤양 (Diabetic Foot Ulcer ;DFU)**

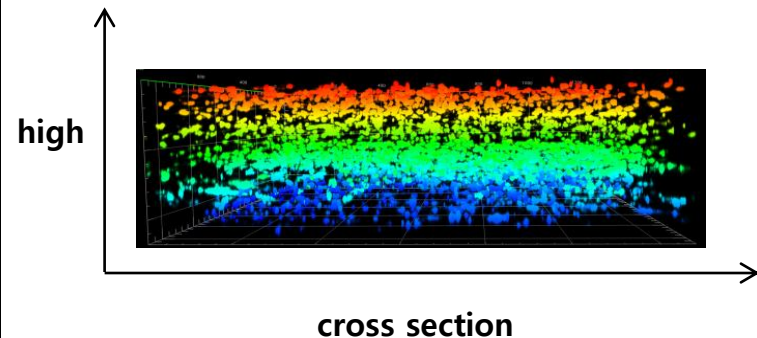
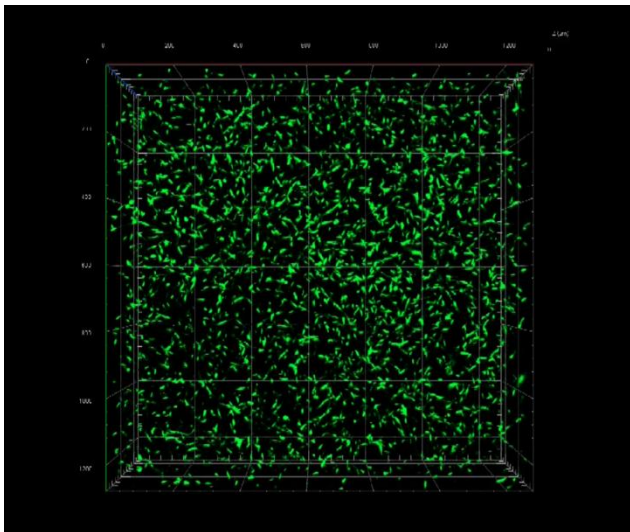
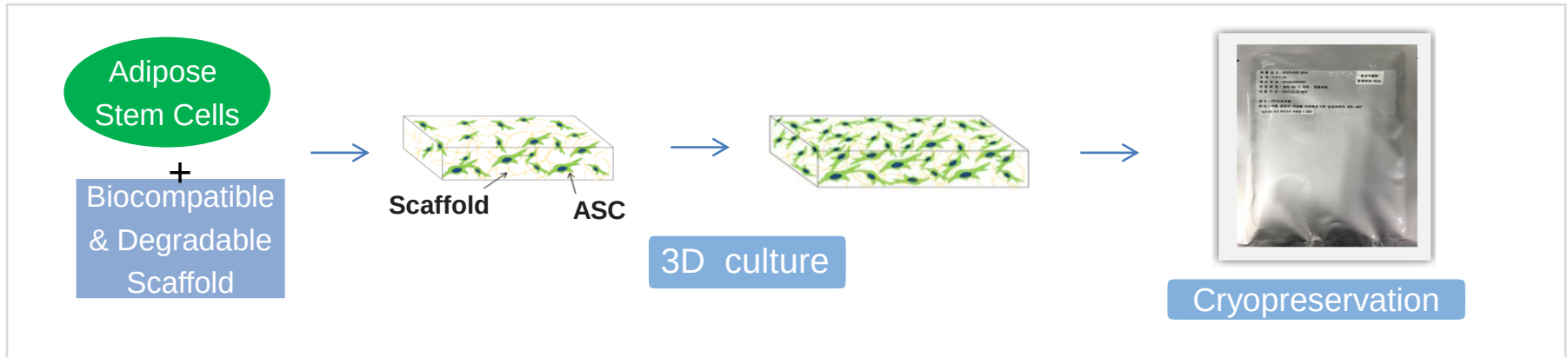
- ✓ Wag grade II 환자의 DFU는 안트로젠의 지식에 미국 FDA가 정식으로 승인한 의약품이 없으며 제어되지 않고 있습니다.
- ✓ 입원의 주요 원인이자 당뇨병 환자의 하지 절단의 주요 원인입니다.
- ✓ 전체 DFU 환자 중 최대 24%가 하지절단을 하고 시간당 열명의 미국인이 당뇨병으로 인하여 하지를 절단합니다.
- ✓ 절단 수술을 받은 DFU 환자의 39-80%가 수술 후 5년 이내에 사망한다고 알려져 있습니다.

- **이영양성 수포성 표피박리증 (Dystrophic Epidermolysis Bullosa ;DEB)**

- ✓ 치료제는 없으며, 21 CFR 316.20에 따라 미국에서 유병율 20만명 미만의 질병은 희귀 질환으로 지정됩니다.
- ✓ 영양실조, 빈혈, 편평상피암 유발, 손과 손톱의 심각한 변형 및 합지증 등 심각한 합병증을 일으킵니다.
- ✓ 유아기와 소아기의 사망 위험이 높습니다.
- ✓ 환자는 일생에 걸친 지속적인 치료가 필요하며 이는 환자 가정의 삶의 질에 영향을 줍니다.

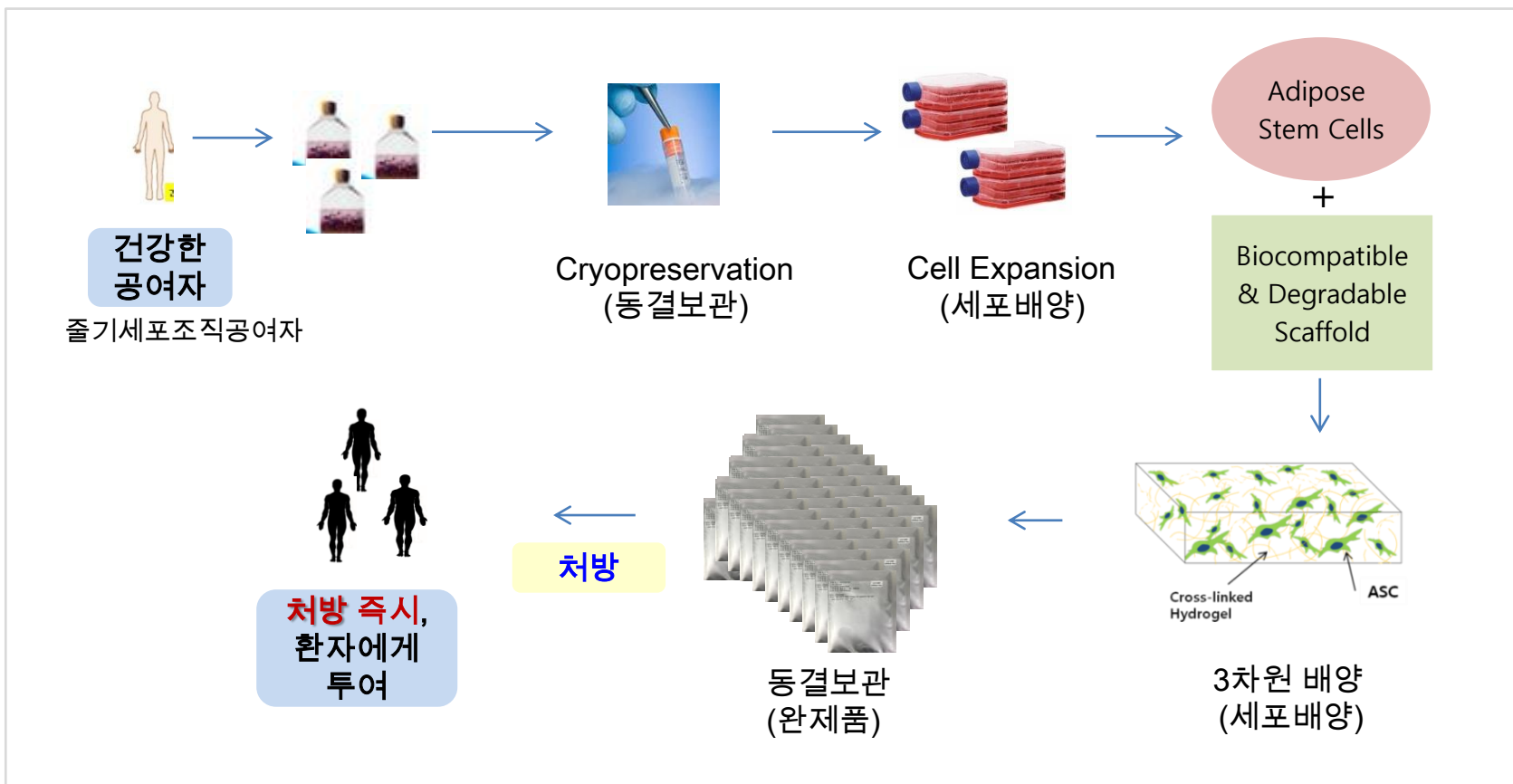
ALLO-ASC-Sheet 제품 개요

- 줄기세포를 지지체와 함께 3차원 배양



ALLO-ASC-Sheet 제조방법

- ALLO-ASC-Sheet 제조방법



국내 제 3상 임상시험 개발 단계

당뇨병성 족부궤양 (Diabetic Foot Ulcer ;DFU)

한국에서는 2개의 제 3상 임상시험이 진행 중 입니다.

- **301 임상시험:**

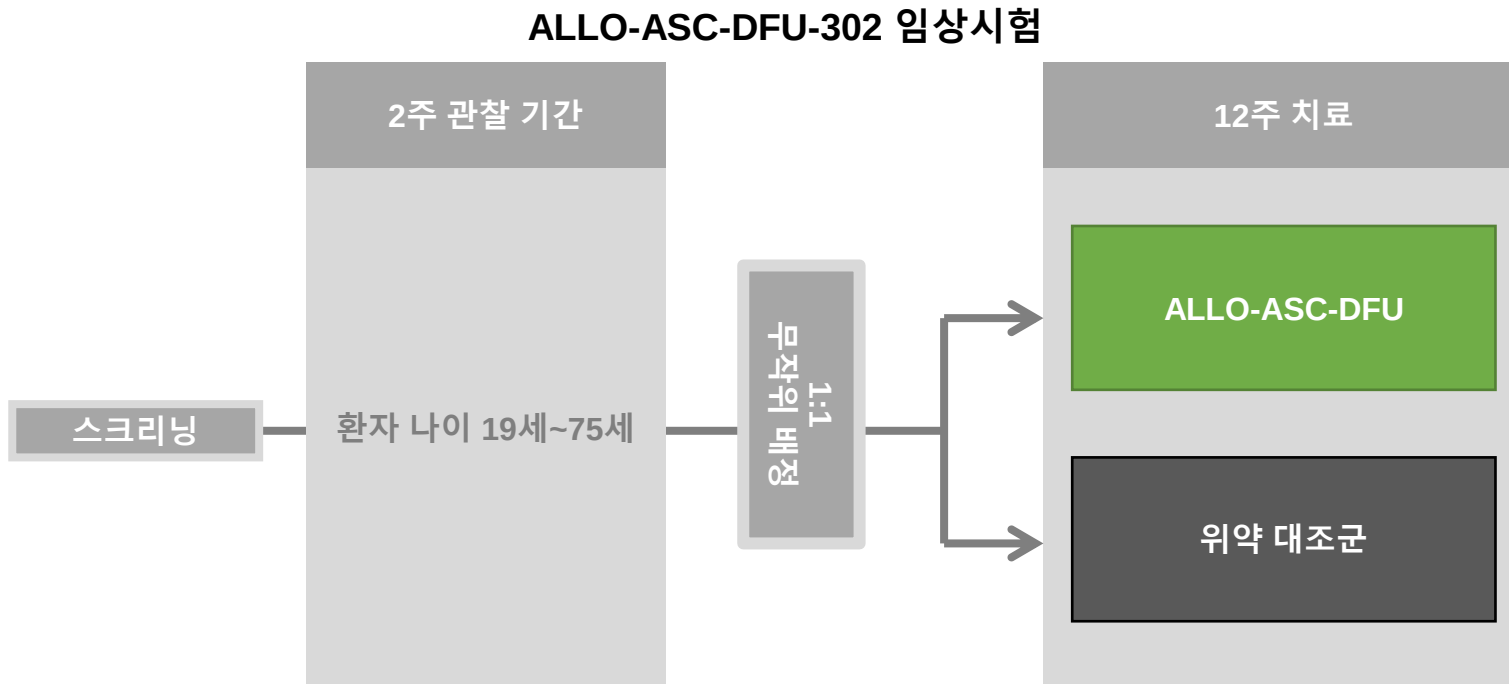
- ✓ 등록 기준: Wag I 과 II DFU 환자
- ✓ 전체 대상 환자수: 164명 (실험군 82 명, 위약군 82명)
- ✓ 일차 평가 변수: 완전한 상처 봉합이 있는 환자 수
- ✓ 이차 평가 변수: 상처 봉합 완료 시간
- ✓ 등록 현황: 연구종결
- ✓ Wag I 과 II 환자 비율: Wag I 환자의 등록율이 높음
- ✓ 후속조사(303 study) & 감시: 진행 중

- **302 임상시험:**

- ✓ 등록 기준: Wag II DFU 환자
- ✓ 전체 대상 환자수: 104명 (실험군 52명, 위약군 52명)
- ✓ 일차 평가 변수: 완전한 상처 봉합이 있는 환자 수
- ✓ 이차 평가 변수: 상처 봉합 완료 시간
- ✓ 등록 현황: 6개 사이트에서 개시

국내 Wagner II DFU 환자를 대상으로 진행하는 제 3상 임상 시험은 2021년 2분기에 환자 모집을 완료할 계획입니다.

- 2022년 2분기에 예상되는 최상위 DFU 데이터



미국 제 2상 임상시험 개발 단계

당뇨병성 족부궤양 (Diabetic Foot Ulcer ;DFU)

미국에서는 제 2상 임상시험이 진행 중입니다.

- **102 임상시험:**

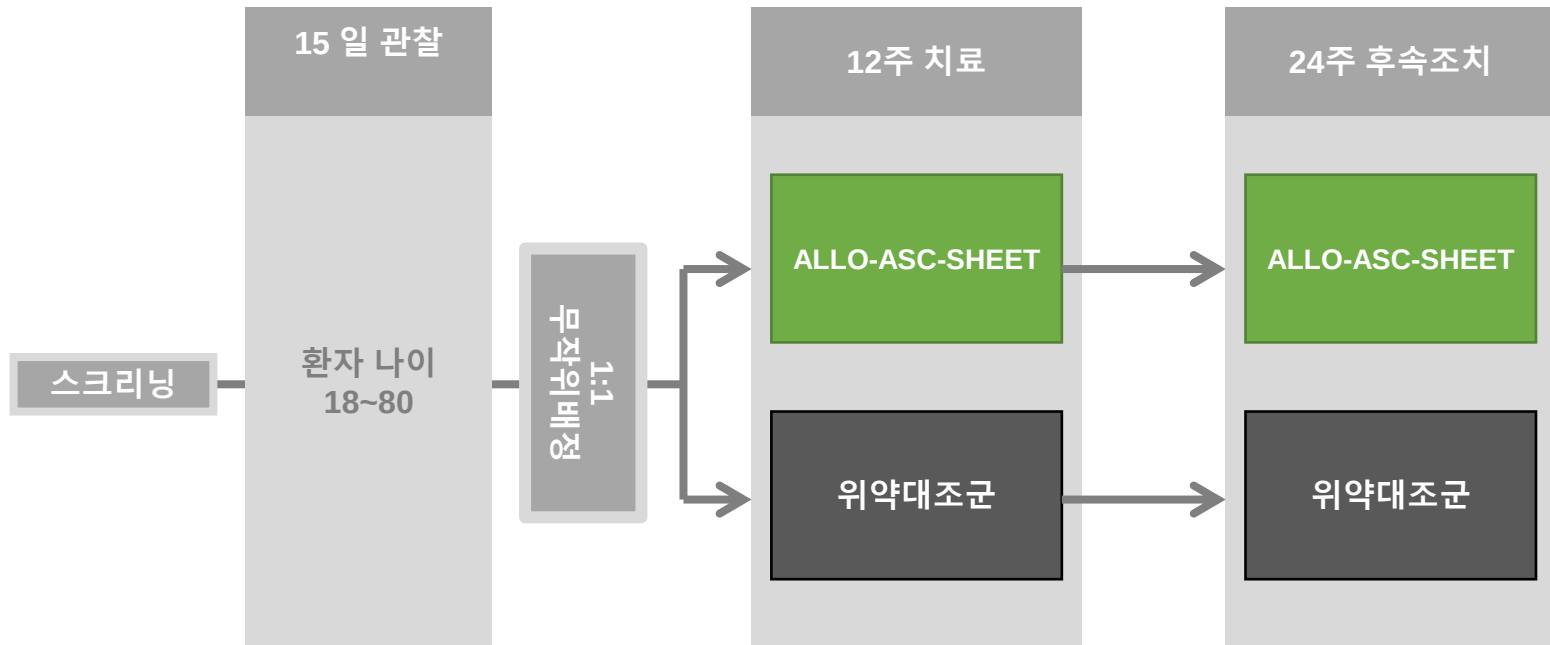
- ✓ 등록 기준: Wag I DFU 환자
- ✓ 전체 대상 환자수 : 56명 (실험군 28명, 대조군 28명)
- ✓ 일차 평가 변수 : 완전한 상처 봉합이 있는 환자 수
- ✓ 이차 평가 변수: 상처 봉합 완료 시간
- ✓ 등록 현황: 진행중
- ✓ 후속 조치: 24주간

- **103 임상시험:**

- ✓ 등록 기준: Wag II DFU 환자
- ✓ 전체 대상 환자수: 64명 (실험군 32명, 대조군 32명)
- ✓ 일차 평가 변수: 완전한 상처 봉합이 있는 환자 수
- ✓ 이차 평가 변수: 상처 봉합 완료 시간
- ✓ 등록 현황: 2020년 7월부터 시작
- ✓ 후속 조치: 24주간

미국 Wagner I & Wagner II DFU 환자를 대상으로 진행하는 제 2상 임상시험
은 2021년 2분기에 환자 모집을 완료할 계획입니다.

ALLO-ASC-SHEET-102 & -103 임상시험



글로벌 임상개발 프로그램

- 이영양성 수포성 표피박리증
(Dystrophic Epidermolysis Bullosa ;DEB)
 - ✓ 일본에서 1/2상 임상 시험 완료
 - ✓ 파트너 회사가 PMDA와 함께 향후 3상 임상 시험(Pivotal study)에 대해 논의 진행 중
 - ✓ (주)안트로젠은 파트너 회사에 임상시험용의약품 공급에 대해 논의 진행 중
 - ✓ DEB에 대한 3상 연구 개시 시기는 2020년 3분기에 발표 예정
 - ✓ (주)안트로젠은 **1/2상 면제를 목표로** 일본에서 진행한 임상시험보고서를 미국 FDA에 제출 **예정**
 - ✓ 1/2상이 면제되고 미국에서 2/3상으로 승인되면 (주)안트로젠은 미국에서 임상 시험을 시작할 것임

규제 사항 – DFU

FDA

미국 (UNITED STATES)

- ✓ 2상 임상 시험(102 및 103 승인)
- ✓ **RMAT** : 2020년 5월 19일 지정

MFDS

한국 (KOREA)

- ✓ 3상 임상 시험(301 및 302 승인)

규제 사항 – DEB

FDA

미국 (UNITED STATES)

- ✓1상 임상 시험 승인
- ✓2018년 10월 25일 희귀의약품 지정 승인

MFDS

한국 (KOREA)

- ✓1/2 상 임상 시험 승인
- ✓2016년 5월에 희귀의약품 지정 승인

PMDA

일본 (JAPAN)

- ✓ 1/2 임상시험 완료
- ✓3상 임상시험 논의 진행 중

제품 제조

- ✓ 2020년 9월말까지 건물 건설 완료 예정
- ✓ 2020년 9월말까지 cGMP 시설 완료 예정
- ✓ 2020년 10월에 R&D 센터 및 공장 준공 예정
- ✓ 2021년 10월말까지 GMP 시설에 대한 검증 완료 예상

마곡 R&D 센터 및 공장 신축 현장



마곡 cGMP 설비 현장

