



DEVELOPMENT OF INNOVATIVE NEW DRUGS

Pursuit for improved quality of the life and patient happiness

2021. 04.

Disclaimer

본 자료는 기관투자자를 대상으로 하는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 (주)지트리비엔티(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

Contents

Development of Innovative New Drugs

- 01 회사 개요
- 02 바이오 사업
- 03 백신도매업



설립일

2000년 6월



주요 사업

- 바이오&제약사업
 - 안과 및 희귀질환 신약개발
 - 백신도매
 - 전자사업



직원수

- 직원수 : 100명
- 글로벌 신약개발 : 30여명



대표이사

양 원 석

사업장

본 사 | 경기도 성남
지 점 | 경북 칠곡, 경기도 구리
해 외 | 미국 New Jersey

- ReGenTree, LLC
- Oblato, INC
- Lenus Therapeutics, LLC

Web Sites

www.gtreebnt.com
www.regentreellc.com



주주구성

총주식수 : 27,088,019주

* 지트리홀딩스 : 1,053,890주 / 3.89%

국민연금공단 : 1,076,920주 / 3.98%

KB자산운용 : 369,650주 / 1.36%

* 자기주식(309,638주) + 12CB(2,257,107주)
→ 3,620,635주 (12.34%)

The patient's healthy

life and happiness



100명의 구성원



Since 2000 Corporation History



- 2021** 최대주주 변경 (양원석 외 2인 → 지트리홀딩스 / 주식양수도 계약체결)
- 2020**
 - 교모세포종 치료제 Ph2, 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 교모세포종 치료제 Ph1, 2020 ASCO 초록 채택
 - 산재적 내재성 뇌교종 희귀소아질환 지정 승인
 - 최대주주 변경 (유양디앤유 → 양원석 대표이사 / 유양디앤유의 보유지분 매각)
- 2019** Lenus Therapeutics 美 비영리단체 DEBRA 선정 21ST Annual Benefit 수상
- 2018**
 - 안구건조증 치료제 Ph3, ARISE-3 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 교모세포종 치료제 병용임상 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 미국 내 자회사 Lenus Therapeutics, LLC 설립
 - 주식회사 와이에스팜 합병
- 2017** 최대주주 변경 (지트리1호조합 → 유양디앤유 / 조합해산 및 주식양수도 계약체결)
- 2016**
 - 교모세포종 치료제 파이프라인 도입(OMRF)
 - 안구건조증 치료제 Ph3, ARISE-2 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 교모세포종 치료제 미국 FDA 희귀의약품 지정
- 2015**
 - RegeneRX와 미국 내 JV 설립 계약 체결
 - 안구건조증 치료제 Ph2b/3, ARISE-1 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 신경영양성각막염 치료제 Ph3, SEER-1 임상시험계획 미국 FDA 승인
 - 미국 내 100% 자회사 Oblato, Inc 설립
- 2014** 現 양원석 대표이사 취임 / 미국 RegeneRX와 신약공동개발 체결
- 2013** 최대주주 변경 (유티씨앤컴퍼니 → 지트리1호조합 / 주식양수도 계약체결)
- 2008** 코스닥시장 신규상장

II

Contents

Development of Innovative New Drugs

01 회사 개요

02 바이오 사업

03 백신도매업

- **VRDO** (Varified Research Development Only) 사업 모델로 증명된 연구결과를 통해 개발에 집중하는 전략
- 미국에서 검증된 연구기관이 개발한 성공가능성 높은 파이프라인을 Scouting 해서 부가가치 창출
- 임상 또는 NDA 단계에서 전략적 제휴 (License-Out 포함) 통한 성과 도출

임상 및 인허가

License-in

- ✓ 초기 임상을 통해 안전성과 효능이 검증된 신약파이프라인 **License-In**

- 시장분석과 성공가능성을 검토할 수 있는 파이프라인 선별 능력 극대화
- 블록버스터 마켓 및 Best in Class / First in Class 신약 위주 접근
- 3~5년 이내 LO 가능

- ✓ 개발에 특화된 글로벌 역량 확보 및 조직구성으로 **부가가치 창출**

- 글로벌 역량을 갖춘 전문인력 구성
- 파이프라인별 Opinion leader 구성
- 글로벌 CMO, CRO, 컨설팅 등 파트너쉽 구성
- 개발 Risk 최소화

License out

- ✓ 임상진행 또는 신약 허가 단계에서 글로벌 빅파마 대상 **L/O 성과도출**

- 빅파마 대상 L/O 추진
- 자체 Network 및 전문 컨설팅 활용
- 최고의 밸류에이션으로 부가가치 극대화

초기 자금 투입

투자금 회수

SAVE



+



+



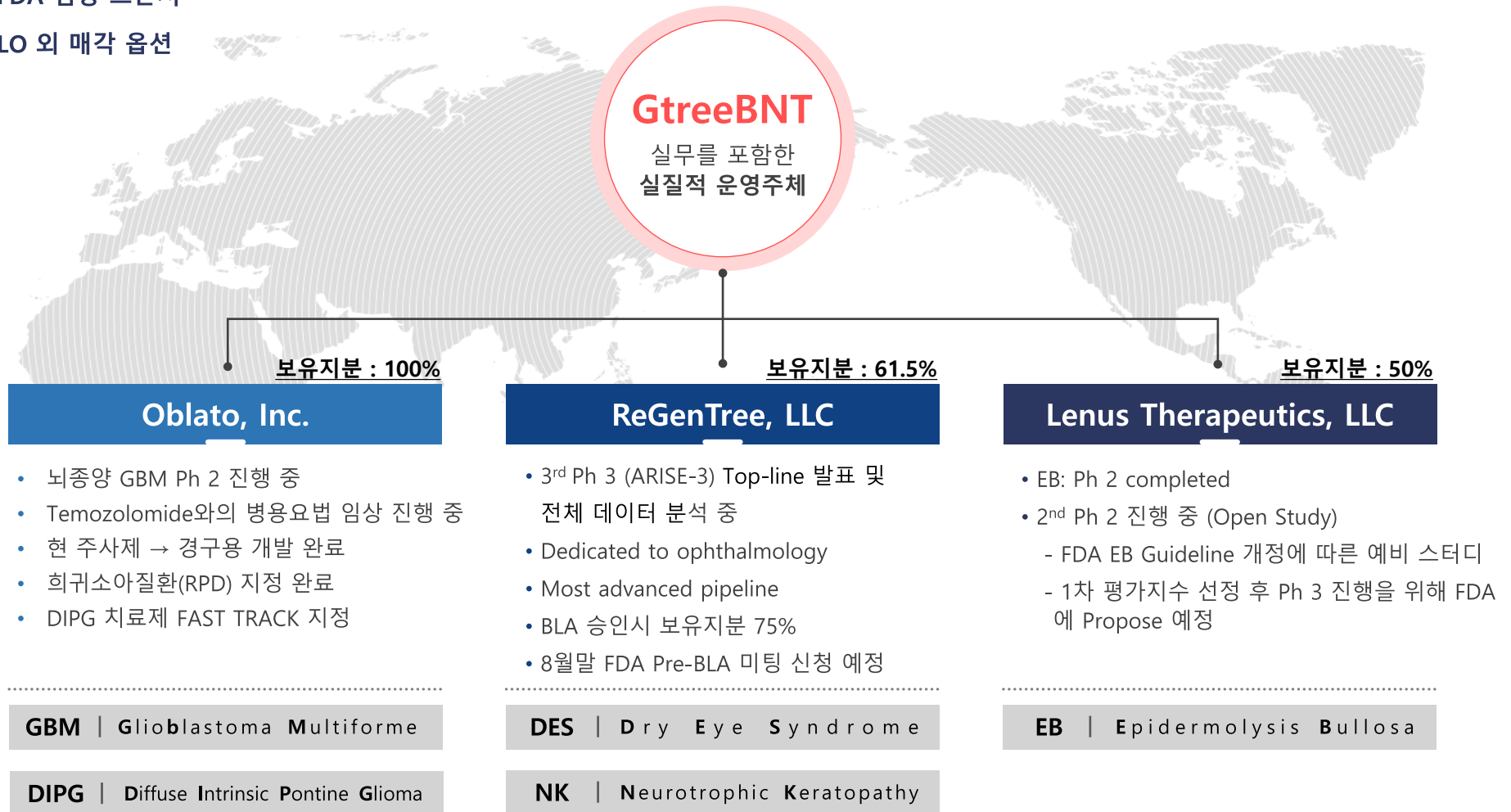
전문영역별
분업화로 효율성 제고



부가가치 극대화

✓ FDA 임상 스폰서

✓ LO 외 매각 옵션





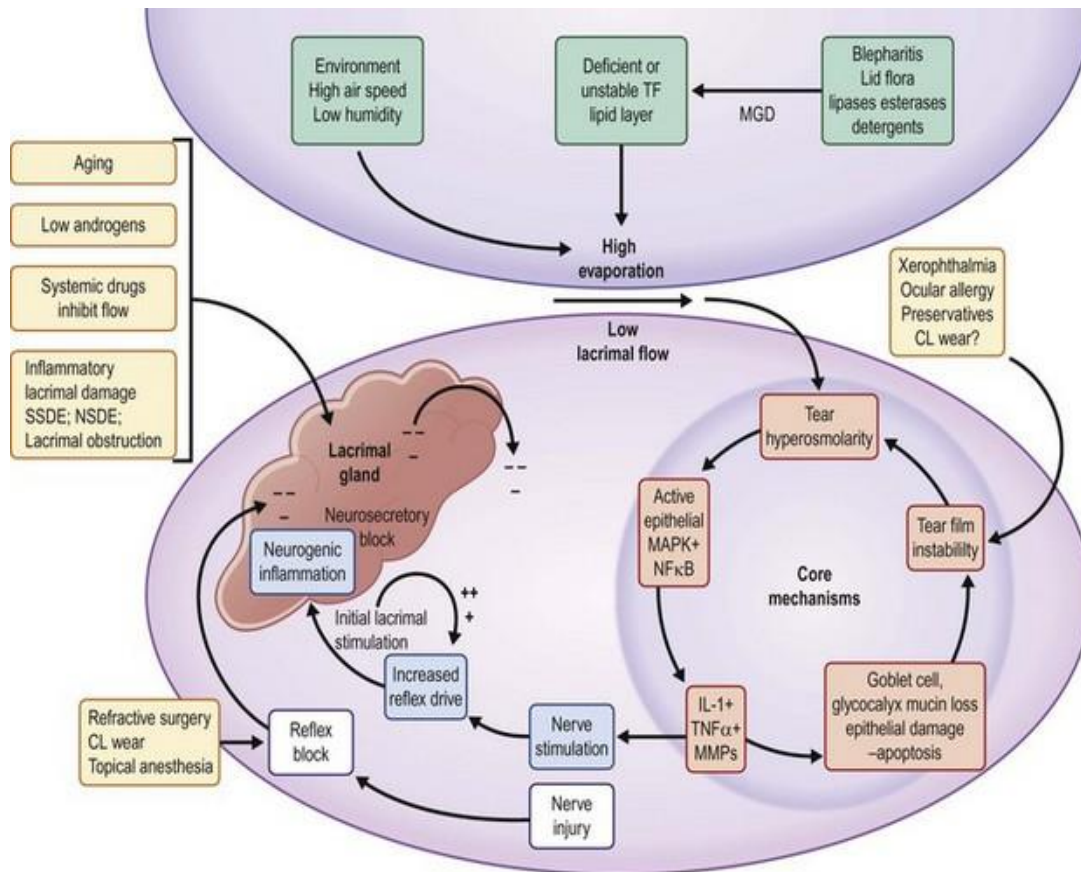
안정적인 파이프라인 보유



신약개발 성과 및 LO 가시화 시점 도래

치료분야	Pipeline	적응증	Market	초기 개발	임상 1상	임상 2상	임상 3상	비 고
Ophthalmology (안과질환)	RGN-259 (GBT-201)	Dry Eye Syndrome (안구건조증, DES)						• ARISE-1 완료* • ARISE-2 완료 • ARISE-3 투약 종료 및 FDA Pre-BLA 미팅 신청을 위한 전략 수립 중 • Best in class
		Neurotrophic Keratopathy (신경영양성각막염, NK)	미국, 캐나다 및 아시아 태평양 28개국					• SEER-1(1st Ph3) 완료 • Best in class
Dermatology (피부질환)	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 (뇌종양)	OKN-007	희귀질환의약품 (Orphan Drug Designation)	Glioblastoma Multiforme (교모세포종, GBM)					• Ph1b 완료 • Ph 2 진행 중 • Temozolomide와의 병용임상 진행 중 • Best in class
			Diffuse intrinsic pontine glioma (산재적 내재성 뇌교종, DIPG)					• Ph 1 계획 중 • RPD 지정 승인 • Fast Track 지정 • First in class
기타 암		고형암 등으로 적응증 확대 (폐암 등)	-					• 비임상 효력 study 중 • 단독/병용투여 전략

- 안구건조증(Dry Eye Syndrome, DES)은 눈물 결핍이나 과도한 눈물 증발로 인한 눈물막의 장애로 안구표면의 손상을 가져와, 이에 따른 여러 증상이 발생하는 질병으로 안구건조감, 시력저하, 이물감, 작열감, 통증 등을 초래하는 질환



안구건조증에 대한 정의 변천

2007년 TFOS(Tear Film and Ocular Surface Society)

“안구건조증은 눈물과 안구 표면의 다인성 질병으로 안구 불편감, 시각장애, 눈물막 불안정, 안구 표면의 잠재적 손상을 유발하며, 이는 눈물막의 삼투압 증가와 안구 표면의 염증을 동반한다.”

⇒ 염증치료에 **Focusing** (항염기전의 약물 사용)

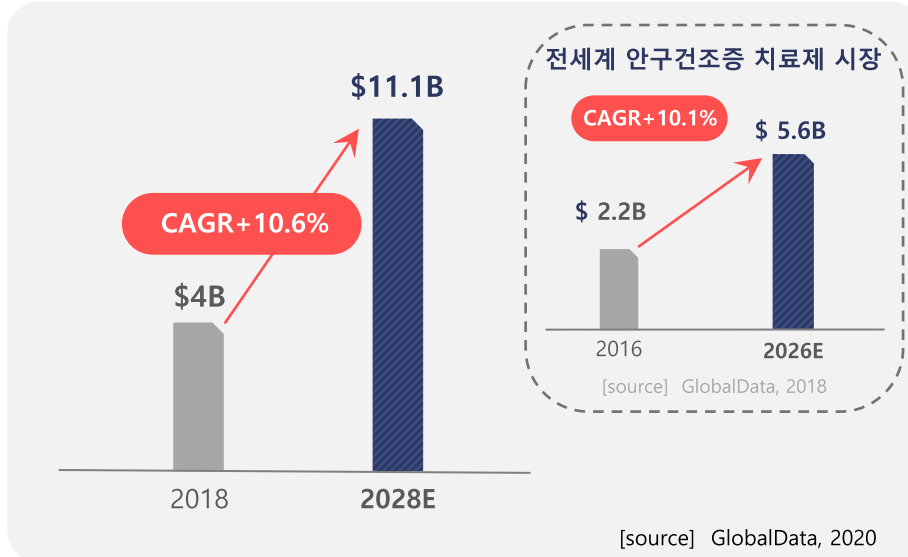
2017년 TFOS(Tear Film and Ocular Surface Society) DEWS II

“안구건조증은 안구 표면의 다인성 질환으로, 눈물막의 항상성이 손상되며 동반되는 눈물막 불안전성과 삼투압 농도의 증가 그리고 안구표면의 염증으로 인한 손상을 일으키는 질환. 안구건조증 관리의 궁극적인 목표는 안구건조증을 발생시키는 악순환을 깨뜨림으로써 손상된 안구표면과 눈물막 항상성을 회복시키는 것”

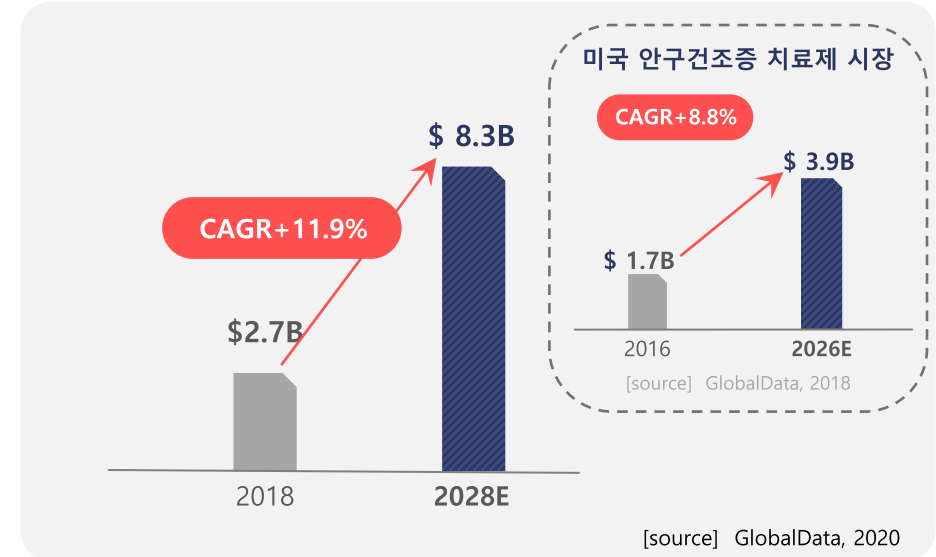
⇒ 염증치료뿐만 아니라 손상된 안구표면과 눈물막 항상성 회복이 모두 필요 (**Multi Function** 약물의 필요성)

환경변화로 인한 성장가능성 高 / 항염 단일기전의 처방약만 존재해서 High medical unmet need 시장

안구건조증 치료제 시장 (9 개 key markets)



미국 안구건조증 치료제 시장



- 노령화, 대기오염, 컴퓨터 스마트 폰 사용 증가로 급격히 성장
- 현재 출시된 치료제에 대한 환자들의 compliance 가 낮음
- 새로운 파이프라인에 대한 Unmet need 존재
- RGN-259 Novel MOA 로 significant market share 예상 (1조 2천억 매출)
- Xiidra 와 Restasis 항염 치료제 기전의 처방약만 출시
- 전세계 시장에서 미국 시장이 차지하는 비중은 74% in 2028 (66% in 2018)
- 2019년 5월 노바티스가 다케다 Xiidra \$5.3B 에 인수

06 Potential Revenue from 8 markets (by Global Data)

- 해외 분석기관인 Global Data는 현재 상업화 된 안구건조증 치료제와 개발 중인 치료제 중 RGN-259가 2026년 기준 매출 Top이 될 것으로 예측

Company	Marketed Drugs	Late-Stage Drugs	Early-Stage Drugs	2016 8MM Sales for DES (\$M)	2026 8MM Sales for DES (\$M)	
Allergan	Restasis, Refresh Optive Mega-3 OTC	N/A	Cortisol Analog	\$1418	\$172	Restasis (6개월치료, 항염단일기작, 점안감불량)
Santen	Hyalein, Diquas, Ikervis, Cationorm, Hyprosan, Oftagel	N/A	Cyclokat	\$253	\$357	산텐 Diquas (일본, 한국만 승인, 판매 중)
Shire	Xiidra	N/A	SHP659	\$54.2	\$487	Xiidra (3개월치료, 항염단일기작, 점안감불량)
Sun Pharmaceutical	Seciera (Pre-registration)	N/A	N/A	N/A	\$506	Restasis 개량신약
RegeneRx	N/A	RGN-259	N/A	N/A	\$1050	ReGenTree/GtreeBNT (2주치료, multiple functions, 점안감우수)
Aldeyra	N/A	Reproxalap	N/A	N/A	\$484	2상완료, 앞으로 3상 3~4회 해야 함
Sylentis	N/A	Tivanisiran	N/A	N/A	\$469	2상 완료, 1차 3상 진행 중
Novartis	Aciclovir, Viscotears Gel Liquido, Viscotears, Physiotears, Tears Naturale, Tears Naturale II, Tears Humectante, Oculotect	ECF-843	N/A	N/A	\$161	
Dompe	N/A	ECF-843, cenegermin	N/A	N/A	\$35	

Source: GlobalData, Pharma Intelligence Center (Accessed: 3 May 2018)

8MM = US, France, Germany, Italy, Spain, UK, Japan, China

- 총 1,618명 대상 피험자 모집 및 투약 완료
- 2021년 3월 Top-line 결과 발표, 4월 전체 결과 분석 후 FDA Pre-BLA 미팅 신청 예정

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

ARISE-1

2015년 9월 ~ 2016년 2월
317명 대상 임상완료

ARISE-2

2016년 11월 ~ 2017년 7월
601명 대상 임상완료

ARISE-3

2019년 5월 ~ 2020년 11월
700명 대상 피험자 모집 및 투약 완료
전체 데이터 분석 중

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

- 뛰어난 효능 (Fast Onset) 및 위약과 동일한 수준의 안정성

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

- 2020년 12월, FDA에서 최초로 안구건조증 치료제 개발에 대한 가이드라인 발표

『 FDA recommends that the sponsor demonstrate one of the following:

- A statistically significant difference between the investigational treatment and vehicle for at least one objective prespecified sign of dry eye (mean group score of test versus vehicle) and at least one subjective prespecified symptom of dry eye (mean group score) 』

(Source: FDA Dry Eye: Developing Drugs for Treatment Guidance for Industry, December 2020)

- 안구건조증은 내외부의 다양한 요인들이 복합적으로 작용해 나타나는 질환
- FDA 가이드라인 상의 안구건조증 치료제에 대한 평가 기준 : 사전에 설정된 Sign 평가지표와 Symptom 평가지표에서 통계적 유의차 입증
- ARISE-1, ARISE-2 임상에서, 사전에 설정된 다수의 평가 변수에서 유효성 확인
- 미국 전문가 그룹들과 긴밀한 협의와 자문을 통해 FDA Pre-BLA 미팅 추진에 대한 전략 수립 예정



RGN-259 (ReGenTree)

- 2035년까지 RGN-259 점안제 조성물, 치료 방법, 제조공정 등에 대한 특허 권리 확보
- 적응증 확장 가능한 치료 방법 특허권 확보 (만료: 2035년)
- 특허 권리 연장을 위해 지속적인 특허 출원 중
- 신약 허가 시 PTE 제도를 통한 특허 기간 확대 시도를 통한 독점 기간 연장 예정: 임상기간만큼 특허기한 연장 신청 가능
- BLA 신약 제품 Market exclusivity 기간 12년 확보 (2022년 허가 시 2034년 신약독점권 만료)

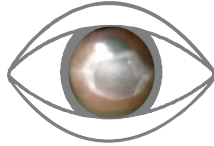
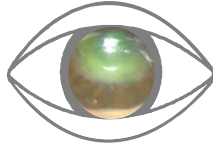
Xiidra (Novartis)

- 신약 Market exclusivity는 2021년 7월 만료 예정
- 조성물 특허 및 제형과 관련된 주요 특허 2024년 만료 예정
- 물질특허 2026년 만료
- 합성 용이, Generic challenge 예상됨
- 프로세스 특허 2033년 만료 예상

Restasis (Abbvie)

- 신약 Market exclusivity 만료
- 주요 특허 대부분 특허권 만료 상태
- 2024년에 DES 관련 제형, 방법 특허 등 대부분의 특허 만료 예정이며, 안약 용기에 대한 특허만 남게 됨

각막의 상피 손상 (Corneal epithelial breakdown), healing 장애, 각막 궤양, melting, 천공 발생 등으로 인한 3차 신경 분포 장애에 의해 생기는 희귀 퇴행성 각막 질환

단계	Stage 1	Stage 2	Stage 3
증상			
	✓ 약하게 상처가 생겨 뿌옇게 구름낀 듯한 각막 형태	✓ 지속적인 상피 손상 보임. 각막 염증 증상은 보이지 않음	✓ 중증의 각막 궤양, melting, 천공
치료법	• 보존제 없는 인공눈물	• Tarsorrhaphy (눈꺼풀봉합) • Conjunctival flap (결막편)	• Keratoplasty (각막이식술) • Amniotic membrane transplantation (양막이식) • 치료용 Contact lens
특이사항	• 단순 대증요법	• 수술치료가 요구되는 단계 : 지속적 상피 조직 결함을 막고, 중증 궤양 회복 목적	• 방치 시 심각한 Corneal Perforation (각막천공) 발생
추정 환자수	50,000명	5,000명 이상	3,500명~5,000명

- Dompé 사 Oxervate NK 치료제로 최초 승인 – 미국에서 5번째 고가 의약품 (연간 약 \$600,000)

□ Multi-Center, Randomized, Double Masked, Placebo Controlled Study

□ 46명 모집 계획 / 18명 모집

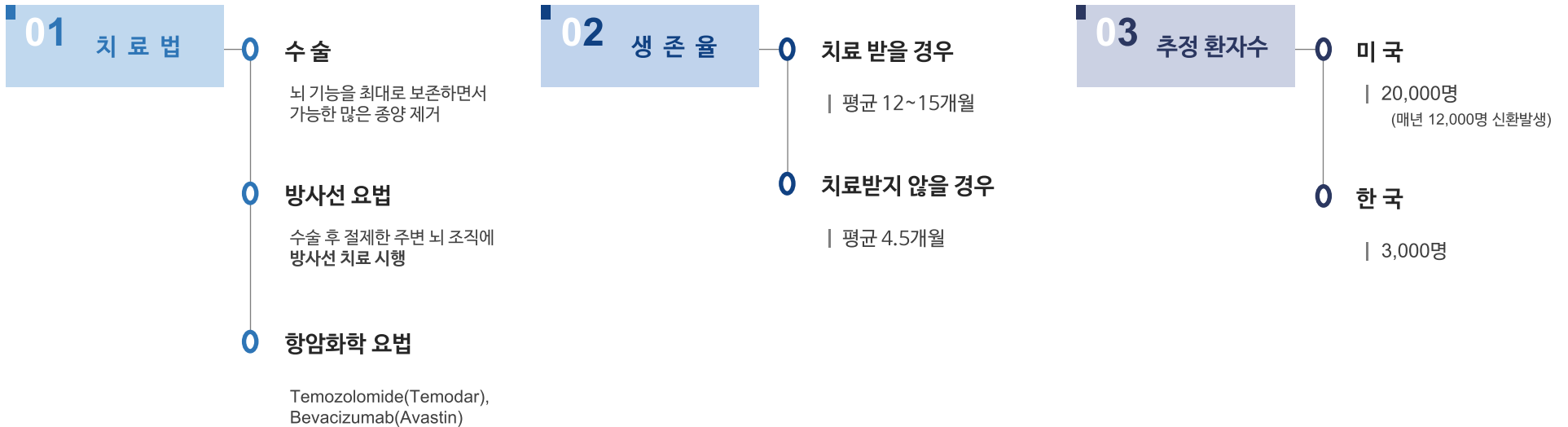
- 0.1% RGN-259 (10-patient) or placebo (8-patient) group
- 임상 중단 이유: i) 희귀 질환 환자 모집 난제 and ii) 안구건조증과 동일 제형 사용으로 인한 전략적 선택 필요

□ 28일 (4주)간 1일 5회 투여 + 14일 (2주) 투여 후 follow-up

□ 임상 결과

- 1차 평가 변수: 4주 투여 후 각막 상처가 완치된 환자 비율(%)
- 4주 투여 후 RGN-259 투여군 - 10명 중 6명 각막 상처 완치 / placebo 투여군 - 8명 중 1명 완치
- 1차 평가 변수: $p = 0.0656$ (Fisher's exact test), $p = 0.0400$ (Chi square test)
- 2차 평가 변수: 2주 follow-up 후 완치환자 비율에서 통계적 유의차 보임 ($p = 0.0359$ (Fisher's exact test))
NK 등급 개선 등의 다른 2차 평가 변수에서도 강한 효과를 보임
- 안전성 및 내약성 문제 없음 (중대이상반응 발생 없음)

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



OKN-007

- 활성산소종 제거를 통한 교모세포종 **괴사 및 종양세포 증식 감소**
- 아스트라제네카에서 뇌졸중으로 3상까지 완료한 후 Drug Reposition 약물로 **안전성 이슈 해소**
- **FDA 희귀질환 치료제 지정** (2016.8)
- Small Molecule
- Oklahoma 대학병원 Stephenson Cancer Center에서 Phase 1b 완료
- GBM Indication 으로 FDA 2상 진입 승인
- 다른 암으로 Indication expansion 검토 중



- Recurrent GBM 환자 대상 : OKN-007 & Temozolomide Combination Therapy 통해 2상에서 조건부 승인 목표
- Naïve GBM 환자 대상 : Combination Therapy 임상을 진행하며 개발 전략 수립

1상 완료 (미국)

1상 결과

A. SIT (의뢰자 주도임상) : OKN-007 단독 투여, Recurrent GBM 환자 대상

- 15명 환자대상 임상 (3개 dose 시험)
- 최고용량 (60mg/kg) 투여군 Overall Survival : 21개월**
(Avastin OS 9.1개월)
- 안정성 : 최고 투여용량에서도 용량제한독성(Dose-Limiting Toxicity : DLT) 확인되지 않음**, 임상약과 관련된 Grade 4,5 독성 없음
- 최장 44개월까지 생존, 현재 42개월 짜 환자 생존 중

B. IIT (연구자 주도 임상) : OKN-007 + Temozolomide, naïve GBM 환자 대상

- 1주 OKN-007 3회 투여군에서 안정성 확인 후 다수의 환자에서 효과 확인하는 디자인
- 현재까지 5명 환자 모집
- 1명 18개월 이상의 암의 무진행 상태 지속, 투여 진행 중

2상 IND 승인 (미국) 2020년 4월

2상 진행

Recurrent GBM 환자 대상, OKN-007 + Temozolomide 병용투여

- 환자 : 과거 방사선 치료와 TMZ 투여 후 재발한 Grade 4 GBM 환자 60명 대상
- Dosing regimen : TMZ (4주간 1 cycle: 5일 투여 + 23일 휴지 기간) + OKN-007 (60mg/kg, 주당 3회 투여 (12주간) -> 주당 2회 투여 (12주간) -> 주당 1회 투여
- 생존기간(OS), 무진행 생존기간(PFS), 반응률(overall response rate) 등 평가**
- OKN-007 과 TMZ의 약동력학 (pharmacokinetics) 평가 병행
- 임상사이트 : 미국 8개 병원에서 진행
- 임상일정 : 첫 피험자 투약(2020 3Q), Topline Data 발표(2022 3Q 목표)

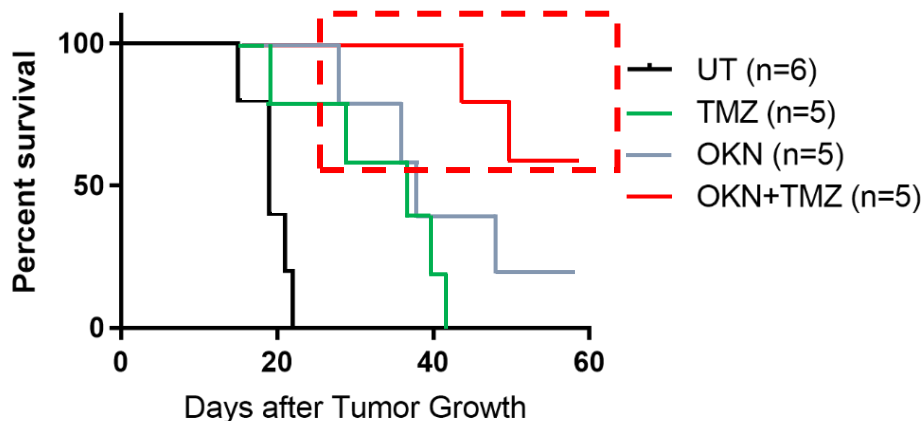
15 GBM 뇌이식 마우스 모델에서 OKN-007과 Temozolomide 병용효과

OKN-007 과 표준 치료제인 Temodar (Merck) 를 병용 투여한 군에서 가장 크게 종양부피의 감소와 생존기간의 증가를 보임 (생존 기간과 Tumor volume 에서)

Temodar (Temozolomide, TMZ) – 병용투여 근거

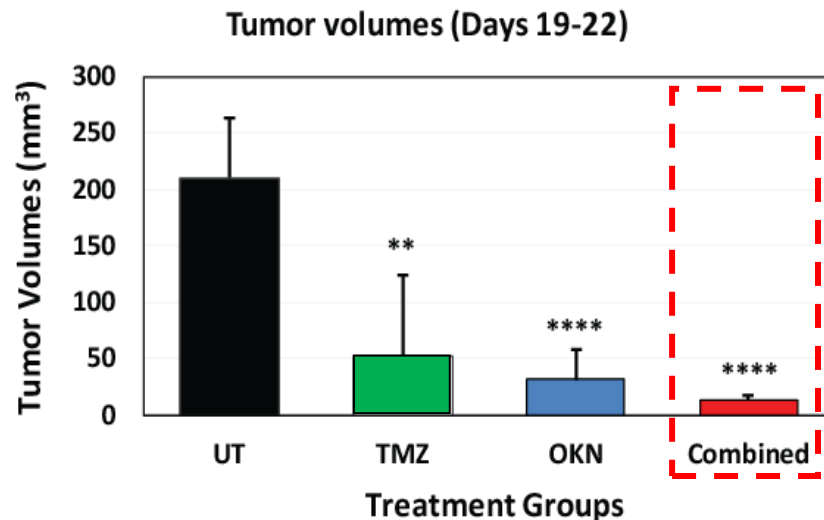
- Standard treatment for GBM patients
- Only effective in ~50% GBM patients
- Due to tolerance to TMZ, most tumors reoccur and are resistant to chemotherapy
- Key factors in its resistance: MGMT, APNG, BER

OKN-007 Increased % survival after tumor detection



Towner RA et al., *Trans. Oncol.* 2019;12(2),320-335

OKN-007 decreased tumor volume

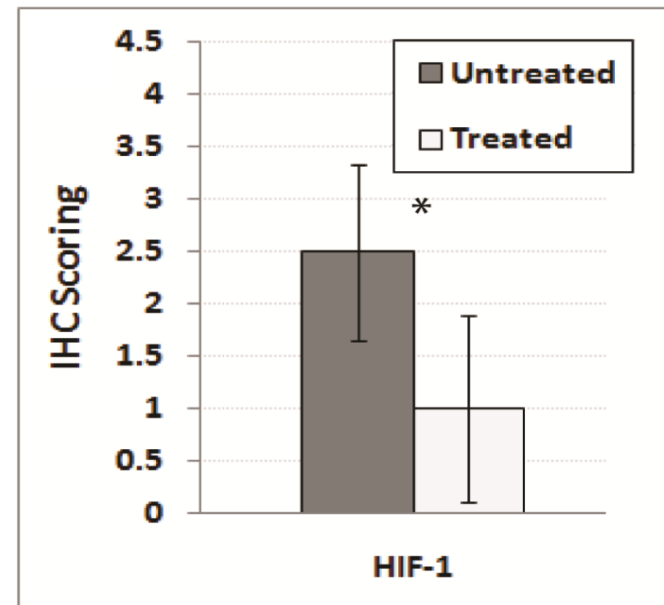
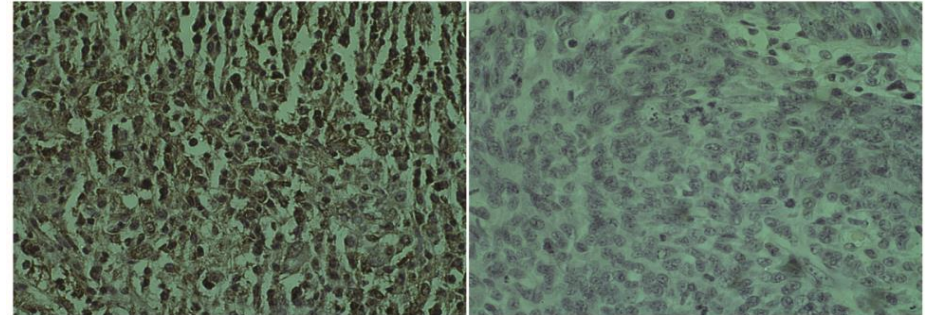
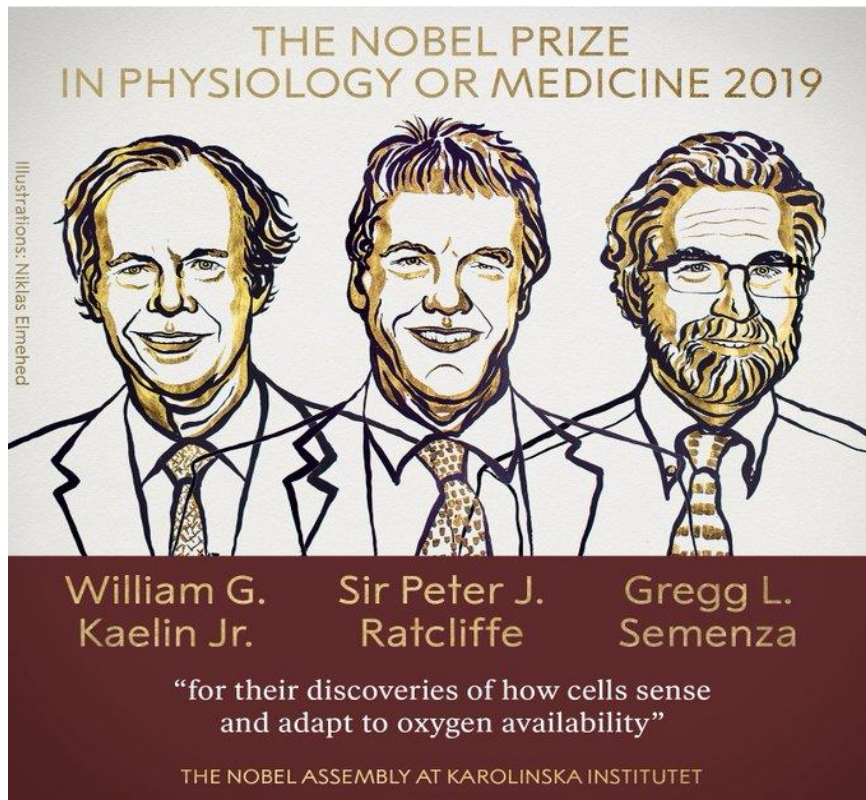


(** $p < 0.01$; **** $p < 0.0001$)

MGMT: O6-methylguanine-DNA methyltransferase , APNG: alkylpurine-DNA-N-glycosylase , BER: base excision repair

- 2019 노벨생리의학상 - 저산소증에 대한 암 조직 대사연구
- OKN-007 치료군에서 HIF-1 α 감소 확인

Nobel prize in medicine awarded to **hypoxia** researchers - 2019



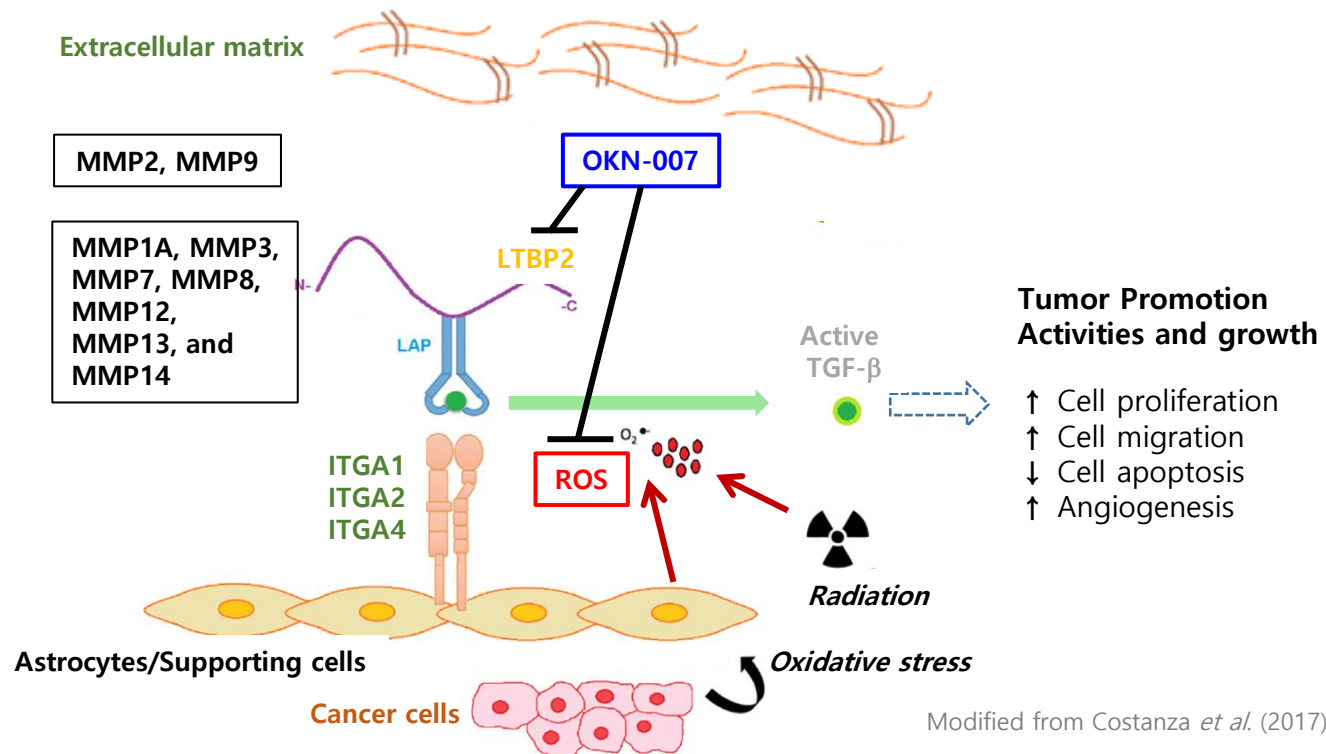
Towner *et al.*, Neuro-Oncol 2013

종양 미세 환경에서 TGF- β 의 활성화

- 암세포의 산화스트레스로 인해 활성화된 성상세포(astrocytes)에서 Reactive Oxygen Species (ROS) 발생
- 발생한 ROS는 latency-associated peptide (LAP) domain을 산화시켜 TGF- β 를 배출
- MMP2와 MMP9으로 인한 latent transforming growth factor- β binding protein (LTBP)가 가수분해되어 TGF- β 를 배출
- 배출된 TGF- β 가 receptor에 binding하여 암세포의 증식, 이동, 자연사, 혈관생성 등에 관여

Based on microarray, RT-PCR, ELISA and IHC data from the rat F98 glioma model, OKN-007 mainly affects the TGF- β 1 pathway through LTBP2 and reducing ROS resulting in reduced tumor growth.

Towner RA *et al.*, *Trans. Oncol.* 2019;12(2),320-335

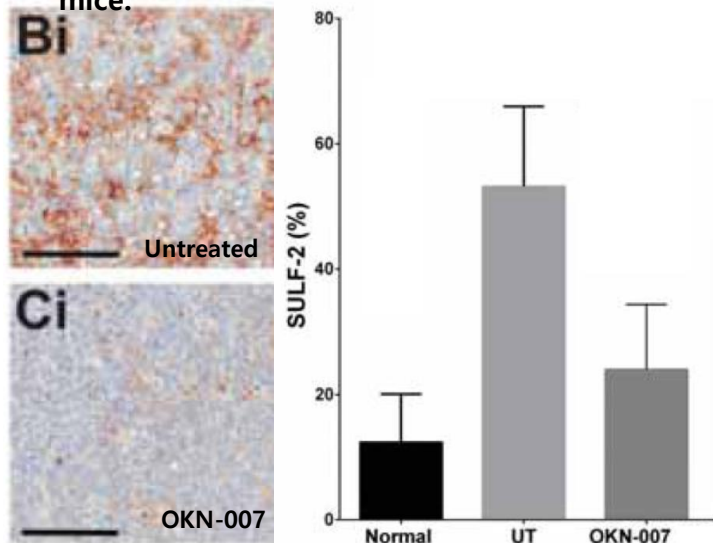


Modified from Costanza *et al.* (2017)

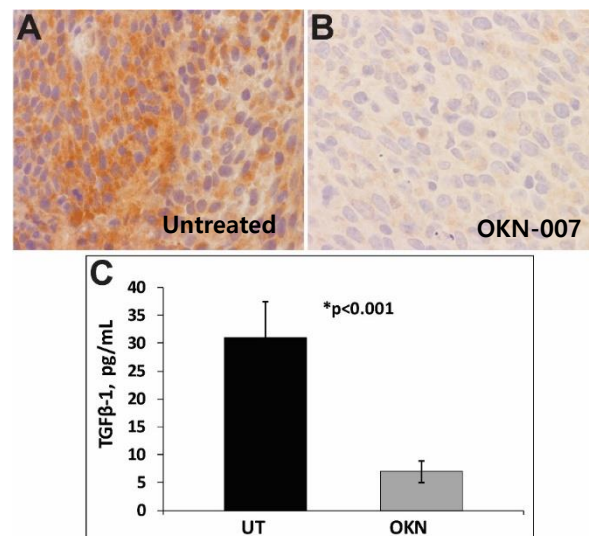
기존 항암제와의 병용요법으로 효과 상승 및 내성 저하 기대

- **Sulf-2 발현 억제** : 암세포의 성장과 이동 감소, 일부 고형암에서 기존 항암제의 감수성 증가 확인
- **TGF- β 발현 억제** : 암 미세환경에서의 TGF- β 발현 억제 확인 : 일부 TGF- β 저해제들이 면역항암제 (PD-1/PDL1 저해제)의 반응을 증가 보임
- **HIF-1 α 발현 억제** : 암 미세환경에서의 암세포 성장 저해 및 항암제의 내성 억제
- **VEGFR2 발현 억제** : 암조직 주변의 신생혈관 생성 저해

Effect of OKN-007 on the immunoexpression of SULF2 in IC3752 pGBM tumor bearing mice.



Immunohistochemistry (IHC) and ELISA confirms that OKN-007 decreases protein levels of TGF- β 1 in a rat F98 glioma model



- 소아 희소암으로 희귀소아질환 완료에 따른 Priority review Voucher 취득 시 매각 가능
(유사한 PRVs deals 사례 : \$100m ~ 300 m 규모로 거래)

□ 질환관련

- 소아의 뇌간에서 발생하는 희소암으로 주로 5세에서 7세 사이에 발병해, 음식을 삼키거나 말하는 것이 어려워지며 시력을 잃기도 하는 질환으로 어린이 뇌종양 중 약 10~15% 를 차지
- 환자의 약 90%가 진단 후 24개월 이내에 사망하고 수술 및 항암제 치료가 어려워 방사선 치료를 통한 일시적 효과 이외에 치료제가 없음
- 미국과 유럽에 약 600명 환자가 있으며, 1인당 연간 약제비는 약 \$300,000 ~ \$500,000

□ 개발전략

1. **기획** : 희귀 소아질환으로 지정 (Rare Pediatric Disease Designation) 받은 후 NDA 제출시 해당 프로그램의 기준에 따라 희귀 소아질환 우선 심사(Rare Pediatric Disease Priority Review) 로 지정될 경우 NDA 제출시 해당 프로그램의 기준에 따라 희귀소아질환치료신약의 허가 특례 인정하는 바우처 (Rare Pediatric Disease Priority Review Vouchers) 취득 예상
 - FDA 2019년 7월 '소아희귀질환 우선검토 Draft 가이드라인' 에 따라 2020년 9월 30일까지 희귀소아질환으로 지정 받은 경우에 바우처 발행 가능
 - 바우처 취득시 Priority Review (단기승인) 또는 바우처 매각 가능 (PRVs Deal 예 : \$100m~ \$300m 규모로 거래)
 - 2021년 3월 3일, DIPG 치료제 OKN-007 FDA Fast Track 지정
2. **당사 개발 전략**
 - 교모세포종 치료제로 개발 중인 OKN-007 로 DIPG 환자를 대상으로 한 임상 진입 계획 수립
 - 희귀소아질환 지정 완료에 따른 NDA 신청시 PRV 수령예정

- 희귀의약품의 경우 높은 FDA 승인율을 바탕으로 미국과 선진국에서 다양한 개발편익 제공
- FDA Orphan Drug Designation : NK, EB, and GBM



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**

III

Contents

Development of Innovative New Drugs

- 01 회사 개요
- 02 바이오 사업
- 03 백신도매업

- 지트리비앤티는 2018년 9월 의약품을 공급하는 유통기업 '와이에스팜'을 흡수 합병
- **백신사업부** 주력품목은 독감백신, 폐렴구균백신, 자궁경부암백신 등 **백신 전문 유통기업**
- 서울 및 수도권 전지역 프리베나(폐렴구균) 현물유통사업 진행으로 수도권 전지역 유통망 확보
- 서울 & 경기 로컬 / 전국 보건소 / 인구보건협회, 산업보건협회 전지회 백신공급
- 성장성이 높은 백신사업부 흡수합병을 통해 **안정적인 재무구조 확보**

주요사업현황

- 2019년 소아독감접종 (인플루엔자 3가 0.25ml, 0.5ml) 조달계약
- 19년 인구보건복지협회 인플루엔자 3가/4가, 조스타박스 연간계약
- 19년 대한산업보건협회 독감 전량계약
- 19년 프리베나 서울&경기 전 지역 현물계약 유통중
- 19년 Hib백신, B형간염 (성인/소아) 조달계약
- 19년 수두 조달계약
- 2021년 코로나19 아스트라제네카 백신 전국 유통 계약
- 전국 백신 공급업체로 Cold Chain 완비



- 2021년 1월 26일, 아스트라제네카 사의 코로나19 백신의 전국 유통 전담 계약 체결
- 콜드체인 시스템 구축을 통한 백신 전국 유통 개시

단일판매 · 공급계약체결		
1. 판매 · 공급계약 내용		백신 유통 관리 업무 위수탁계약 체결
2. 계약내역	조건부 계약여부	해당
	확정 계약금액	-
	조건부 계약금액	9,092,083,900
	계약금액 총액(원) 9,092,083,900	
	최근 매출액(원)	58,966,186,158
3. 계약상대방		에스케이바이오사이언스(주)
-최근 매출액(원)		183,937,702,390
-주요사업		백신 및 바이오의약품의 연구개발, 생산, 판매 및 관련된 지식재산권의 임대
-회사와의 관계		-
-회사와 최근 3년간 동종계약 이행여부		미해당
4. 판매 · 공급지역		대한민국
5. 계약기간	시작일	2021-01-25
	종료일	2021-12-31
6. 주요 계약조건		-
7. 판매 · 공급방식	자체생산	미해당
	외주생산	미해당
	기타	-
8. 계약(수주)일자		2021-01-25
9. 공시유보 관련내용	유보기한	-
	유보사유	-
10. 기타 투자판단에 참고할 사항		
- 본 계약의 유통관리 대상백신은 계약 상대방이 의뢰한 코로나19 백신입니다.		

- 백신 : 코로나19 백신, 프리베나13, 가다실9, 수두박스 등
- 독감 : 3가 소아, 3가 성인, 4가
- 백신 외 : 의약외품, 일반의약품 등
- 마스크 : 더 조은 황사마사크 KF94등

• 최근 3년 매출실적

(단위 : 백만원)

	2020년	2019년	2018년
백신	12,547	17,902	18,534
독감	11,895	22,819	20,173
백신 외	1,556	4,182	128
마스크	5,774	682	37
합계	31,772	45,585	38,872

- **코로나19 백신 유통 사업**

- 2021년 1월, 아스트라제네카 코로나19 백신 전국 유통 전담 계약 체결

- **거래처 관리**

- 전국 보건소 및 협회 백신공급 경험과 완벽한 콜드 체인 시스템 완비

- **유토티핀 사업방향**

- 인구보건협회 부산지회에서 유토티핀 사업 진행시작
- 2020년 전국 13개 지회로 확대되어 유토티핀 사업진행 예정
- 인구보건협회를 시작으로 현재 로컬 거래처에서도 유토티핀 사업 진행예정
- 안정적인 전국 유통사업을 통해 매출 증대예상

