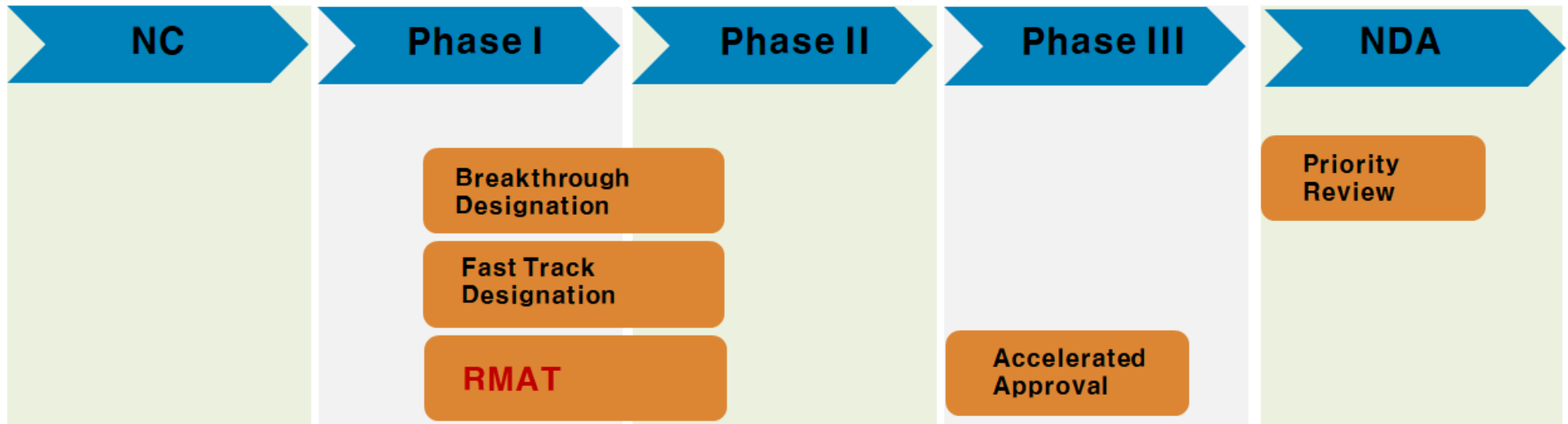


The Unique Regulatory Track, RMAT of FDA, for Cell and Gene Therapy Program



Use of Expedited Program

- Address unmet medical needs in the treatment of **a serious or life-threatening condition**



Which products are eligible?

A drug is eligible for designation if:

(A) The drug meets the definition of RMT

(B) The drug is intended to treat, modify, reverse, or cure a **serious or life-threatening disease** or condition; and

(C) Preliminary clinical evidence indicates that the drug has the potential to address unmet medical needs for such disease or condition

- ✓ A description of the investigational product, including a rationale for the investigational new drug meeting the definition of a regenerative medicine therapy;
- ✓ A discussion to support that the disease or condition, or the aspect of the disease or condition, that the product is intended to treat is serious;
- ✓ A summary of the risks and benefits associated with the therapies, if any, currently available for this condition;
- ✓ A description of the unmet medical need that the product has the potential to address;
- ✓ The preliminary clinical evidence that the product has the potential to address the specified unmet medical need for this serious condition.

- **Preliminary clinical evidence**

- ✓ the rigor of data collection
- ✓ the consistency and persuasiveness of the outcomes
- ✓ the number of patients or subjects, and the number of sites contributing to the data and the severity, rarity, or prevalence of the condition
- ✓ the potential that bias (e.g., bias in the study design, treatment assignment, or outcome assessment) the conditions for product administration, outcome assessment, and patient monitoring;
- ✓ a description of the patients and their outcomes, including the number of patients who have received the drug;
- ✓ the design, conduct, and analyses of any clinical investigations

Review Time

- ✓ Within 60 calendar days after receipt of the designation request
- ✓ CBER will notify the sponsor as to whether the regenerative medicine therapy has received the RMAT designation.

RMAT grant status

Cohort: December 13, 2016 - September 30, 2021

Total 64

Data as of June 30, 2021

Fiscal Year	Total Requests Received	Granted	Denied	Withdrawn
2017	31	11	18	2
2018	47	18	27	2
2019	37	17	18	2
2020	34	12	22	0
2021	21	6	11	2

* RMAT designation was enacted in the 21st Century Cures Act on December 13, 2016.

* Requests that are still pending a decision are included in the total requests received column.

장기보관, 지속성, 주사형 3차원 배양 줄기세포치료제를 이용한 퇴행성 관절염 치료제 개발 개요

퇴행성관절염이란?

퇴행성관절염 : 대표적인 노인성 질환 (만성질환)



- 진통소염제

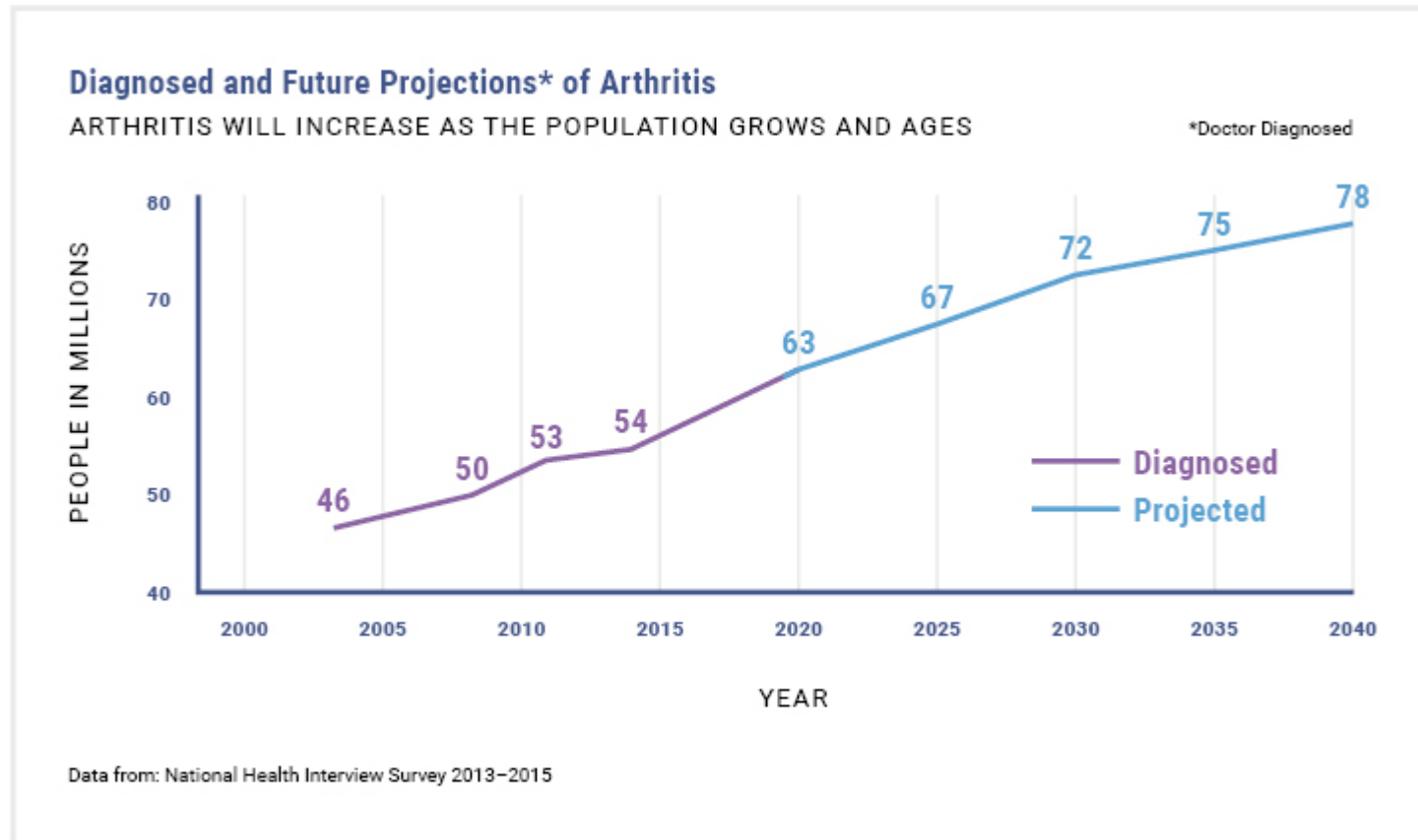
- 히알루론산 치료법

- 자가세포치료제

- 줄기세포 치료제

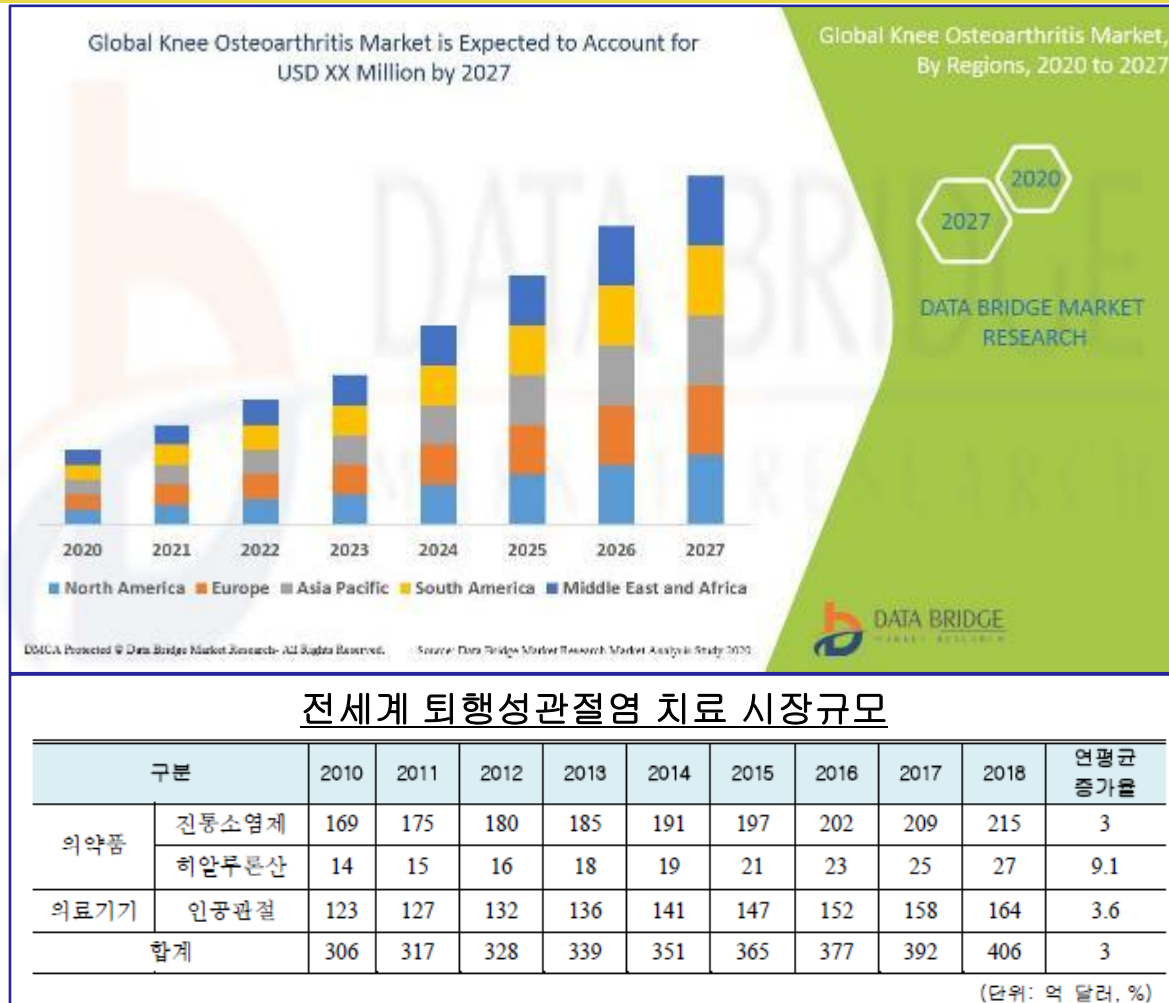
- 인공관절 수술

전세계 퇴행성 관절염 환자수



- 현재 전세계 인구의 약 7% (5억명 이상)
- 고령화로 매년 급속도로 성장 추세

전세계 퇴행성 관절염 시장규모



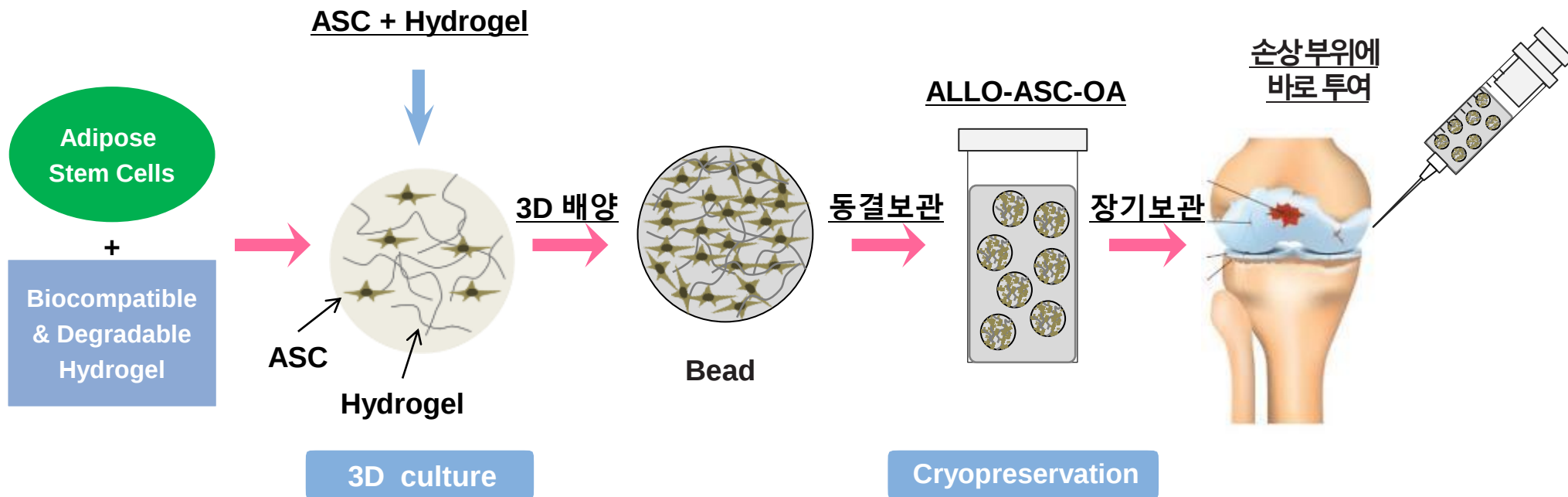
- 2018년 기준 **406억 달러** (45조 6천억)
- 전세계적으로 시장 규모는 급속 성장 (**CAGR: 8.7%**)

퇴행성관절염 치료제 현황 치료법 및 한계

	진통소염제	히알루론산	자가세포치료제 (카티셀, 콘드론등)	줄기세포치료제 (카티스템 등)	인공관절 치환술
치료 기전	일시적 통증 완화	윤활제	연골생성가능	연골생성가능	통증원인 제거
치료 단계	초기	초기	중기	중기	말기
가격 경쟁력	높음	낮음	낮음	낮음	낮음
치료 한계	- 장기 복용시 부작용 - 통증완화 (치료 X)	- 연속 투여 필요 - 장기 사용시 연골 변성 - 통증완화 (치료 X)	- 수술적 치료 - 재활시간 부담 - 정상연골 손상유발 - 섬유연골 재생 경향 - 대량생산 불가	- 수술적 치료 - 재활시간 부담 - 짧은 사용기한 - 가격 경쟁력 낮음	- 수술적 치료 - 재활 시간부담 - 재치환 수술 고려

“ALLO-ASC-OA” 개요

Ready-made 줄기세포 관절염 치료제 개발



- ▶ 특허 등록 : 10-1613478
- ▶ 특허 출원 : 10-2019-0032490
- ▶ PCT/KR2020/003878

연구목표

제 1상 임상시험 개시



퇴행성 관절염 치료제
XFM ALLO-ASC-OA

높은 세포
활성

지속적인
paracrine
효과

자체개발
XFM 사용

장기보관
가능

주사제로
사용편리

XFM ALLO-ASC-OA
제조공정 확립

XFM ALLO-ASC-OA
기준 및 시험방법 확립

XFM ALLO-ASC-OA
생체 내/외 효력평가

XFM ALLO-ASC-OA
안정성 및 안전성 시험

XFM ALLO-ASC-OA의 혁신성

First in Class! Best in Class!

혁신성 1

기존 치료제의 한계를 극복하고 안트로젠의 Xeno-free 배지를 사용하여 안전성 및 치료효과 향상

혁신성 2

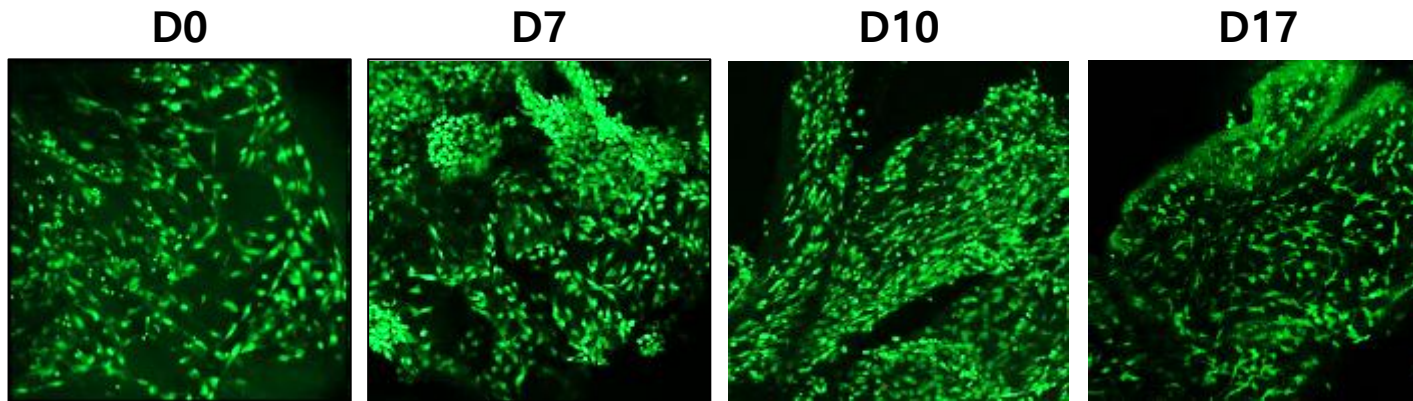
생체적합성 하이드로겔을 활용하여 이식효율과 지속적인 효과, 사용의 편리성 개선

혁신성 3

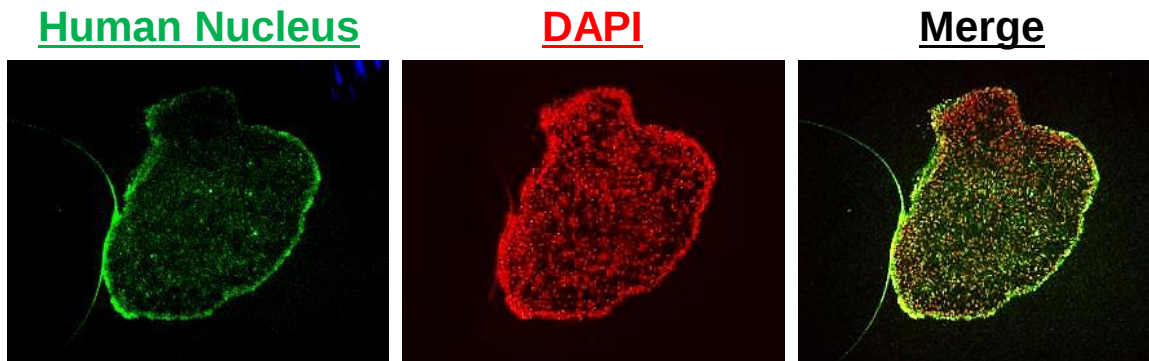
대량생산, 우수한 동결 보관/장기보관 기술
: Ready-made 제품

투여부위에서의 지속효과

- 토끼 슬관절 손상 모델에서 ALLO-ASC-OA의 잔존 확인

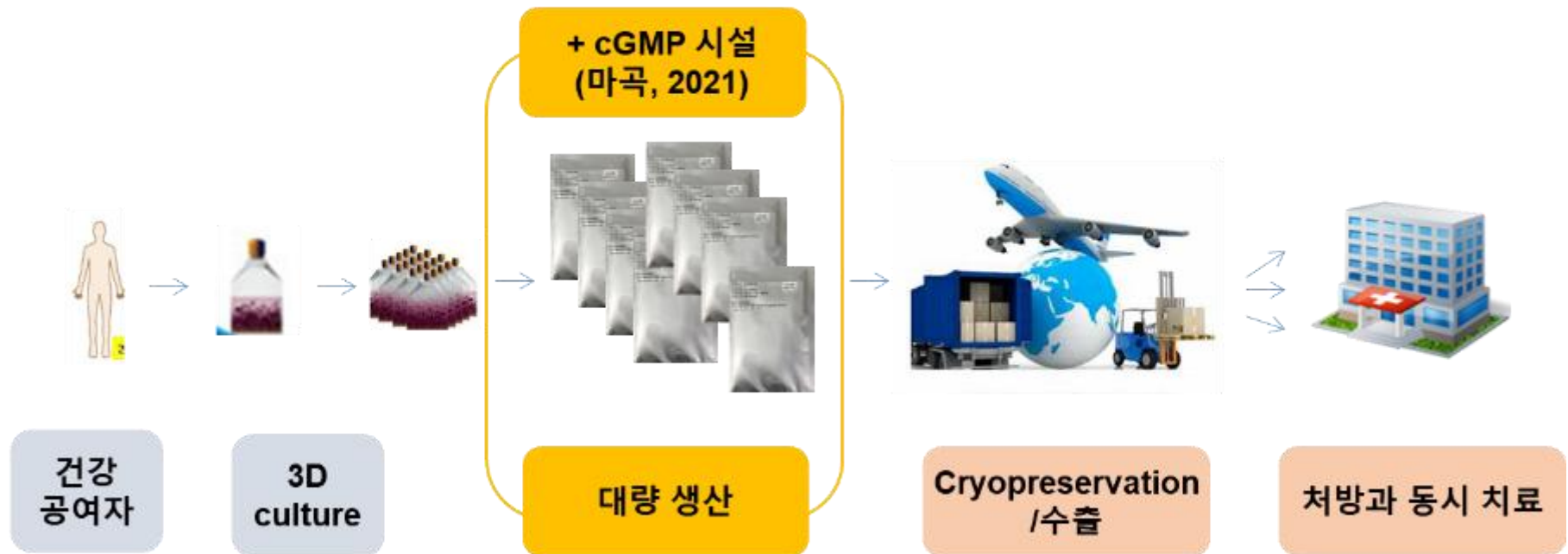


→ 투여부위에서 장기생존



XFM ALLO-ASC-OA의 글로벌시장 진출

“Ready-made Product” ➡ 국내생산 완제 수출의약품 개발



➔ -80°C 에서 최소 1년 보존 가능

(주)안트로젠

DFU, DEB 임상진행 현황

August 2021

본 자료는 (주)안트로젠이 투자자들에게 당사 사업 전망과 예측에 관한 정보를 제공하기 위한 목적으로 제작되었으며, 본 자료는 당사의 허락 없이 무단 복제 및 배포할 수 없습니다. 본 자료에 수록된 내용은 신뢰할만한 자료 및 합리적 가정에 의하여 성실히 작성되었으나 본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래실적은 예측정보에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 따라서 본 자료는 투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.

'안트로젠'은?

법 인 명	주식회사 안트로젠
대표자	이 성 구
주요사업	줄기세포를 이용한 세포치료제, 희귀의약품 연구 및 개발 줄기세포배양액 화장품 제조 판매
본사	서울특별시 금천구 디지털로130, 405호 (가산동, 남성프라자)
중앙연구소	서울특별시 강서구 마곡중앙2로 65
연락처	02-2104-0391~5 (대표 번호)
설립일	2000년 3월 16일 (상장일 2016년 2월 15일)

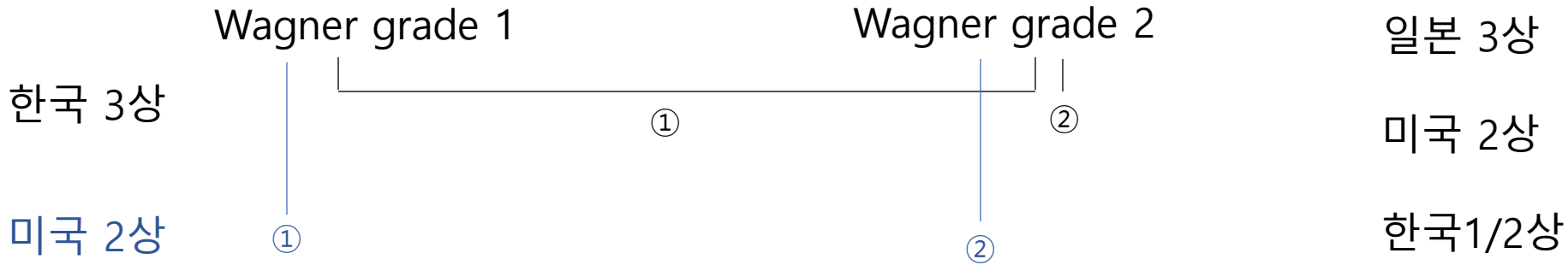


본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
 투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

- **STATUS:** 임상시험 진행현황 (DFU; 당뇨병성족부궤양, DEB; 이영양성 수포성 표피박리증)

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

• ALLO-ASC-SHEET



본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

미국의 당뇨병성 족부궤양 환자의 dominant type 은 Wag 1 입니다.

Wagner grade 1 = 67.5%

Wagner grade 2 = 12.9%

Wagner grade 3 = 18.6%

Wagner grade 4 = 1.0 %

Wagner grade 5 = 0%



Reference: A Comparison of Two Diabetic Foot Ulcer Classification Systems, DIABETES CARE, VOLUME 24, NUMBER 1, JANUARY 2001

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

미국의 당뇨족부궤양은 이렇게 임상 유효율이 낮습니다.

	Grafix	Dermagraft	Apligraf
% complete closure	62% vs 21%*	30% vs 18%*	56% vs 38%*

시험군 vs. 대조군
Int Wound J 2014; 11:554-560

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

- STATUS: 임상시험 진행현황 (KEY)

당뇨병성족부궤양 (한국 2상 임상시험 결과, 12주 시점 유효율)

Wagner Grade	Treatment (%)	Control (%)
Wagner grade 1	12/14 (85.7)	8/11 (72.7)
Wagner grade 2	6/8 (75.0)	1/6 (16.7)

Reference: Diabetes Volume 68, April 2019

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

미국의 당뇨족부궤양은 이렇게 임상 유효율이 낮습니다.

	Grafix	Dermagraft	Apligraf
% complete closure	62% vs 21%*	30% vs 18%*	56% vs 38%*

시험군 vs. 대조군
Int Wound J 2014; 11:554-560

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

- **STATUS: 임상시험 진행현황 (KEY)**

당뇨병성족부궤양 (한국 2상 임상시험 결과, 12주 시점 유효율)

Wagner Grade	Treatment (%)	Control (%)
Wagner grade 1	12/14 (85.7)	8/11 (72.7)
Wagner grade 2	6/8 (75.0)	1/6 (16.7)

Reference: Diabetes Volume 68, April 2019

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

• STATUS: 임상시험 진행현황 (KEY)

안트로젠의 당뇨병성 족부궤양 치료제 임상현황 (한국)

- 3상 임상시험 1개 완료, 1개 진행 중

과제명	대상자	목표환자수	등록환자분포	임상기관수	유효율 ¹ (자료점검 완료 & 맹검해제전)	진행현황
DFU-301	Wag 1&2	164명	Wag1 : 106명 Wag2: 44명	9개 기관	일차 유효성 평가율 - mITT ² Wag 1: 62/106 (58.5%) Wag 2: 19/44 (43.2%) - pp ³ Wag 1: 54/84 (64.3%) Wag 2: 17/33 (51.5%)	통계분석 전 데이터 정리 중 (cleaning)
DFU-302	Wag 2	104명	-	5개 기관	-	환자 등록 중

¹ Data cleaning 완료 전으로, 변동 가능성 있음, 2021년 7월 자료 기준 결과임

² 1회 이상 IP 첩부한 대상자, 완료 & 중도탈락 포함

³ mITT 군에 포함되면서, 중대한 계획서 위반이 없는 대상자

안트로젠의 당뇨병성 족부궤양 치료제 임상현황 (미국)

과제명	적응증	개발단계/ 목표환자수	임상사이트 수	유효율 (맹검해제전)	진행현황
DFU-102	Wag 1	2상/56명	- 10개 기관 (7개 + 3개 추가됨) - 1개 기관 추가를 위해 SQV 완료	mITT: 51.2% ¹	40 명 이상 등록 완료, 환자 등록중
DFU-103	Wag 2	2상/ 64명	- 현재 7개 기관 - 4개 기관 추가 예정 (3기관 SIV, 1기관 SQV 완료)	-	환자 등록중

¹ 변동 가능성 있음, 2021년 7월 자료 기준 결과임

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

이영양성수포성표피박리증 : 일본&미국

• 일본: Pivotal 3상 진행 중; 일본으로의 수출 임박 예상

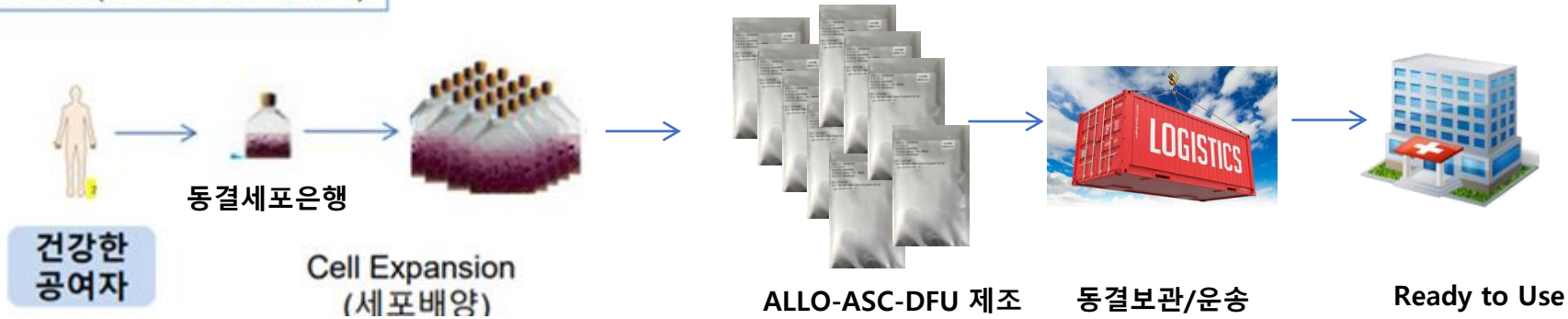


과제명	개발단계	목표환자수	임상사이트 수	진행현황
DEB-JP	3상	6명	- 3개 기관	- 2021.7.2 첫 번째 환자 처치 - 2021년 말 등록완료 목표
DEB-US	2상	6명	- 2개 (계획)	- 임상기관 선정

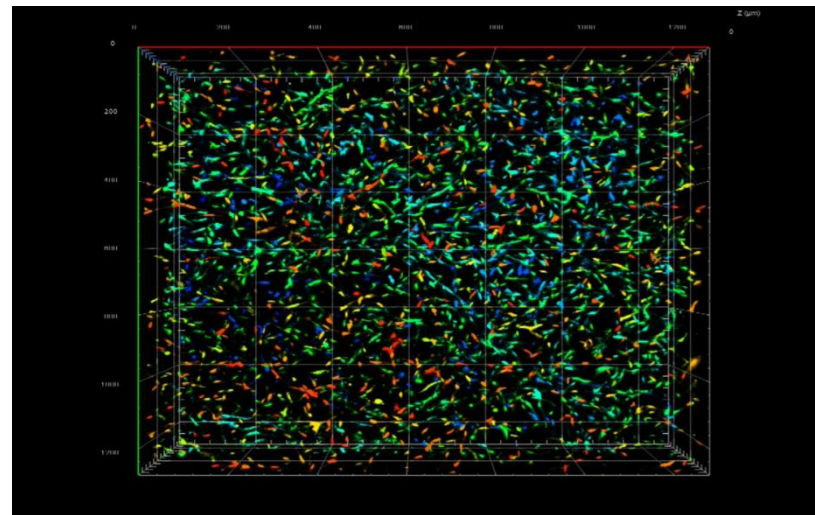
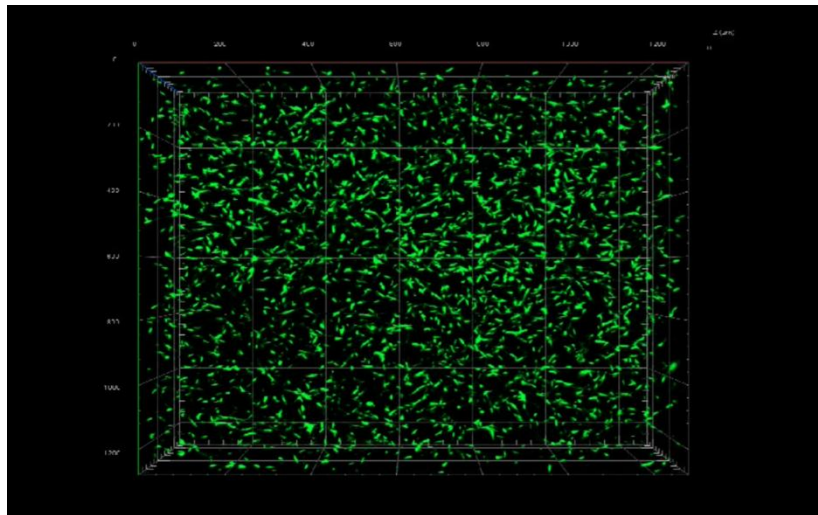
본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다

• ALLO-ASC-SHEET

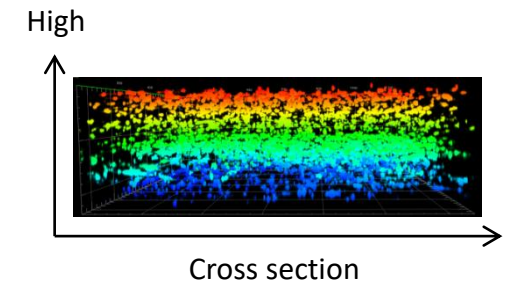
Allogenic product(동종유래줄기세포)



- 동종 (off the shelf)
- 지방유래 줄기세포
- 3D 배양기술
- 첩부제 (동결: 24개월 안정)



Patent 10-1495281
PCT/KR2014/006068



본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다



본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다



안트로젠은 지속적인 연구개발을 통해
생명공학의 미래를 이끌어가는
글로벌리더가 되기 위해 노력하고 있습니다.

주소 (본사) 서울특별시 금천구 디지털로130, 405호 (가산동, 남성프라자)

(중앙연구소) 서울특별시 강서구 마곡중앙2로 65

홈페이지 <http://anterogen.com>

대표번호 02-2104-0391

본 자료에 포함된 예측정보는 경영환경의 변화, 시장상황의 변화, 전략 수정 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있습니다.
투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다