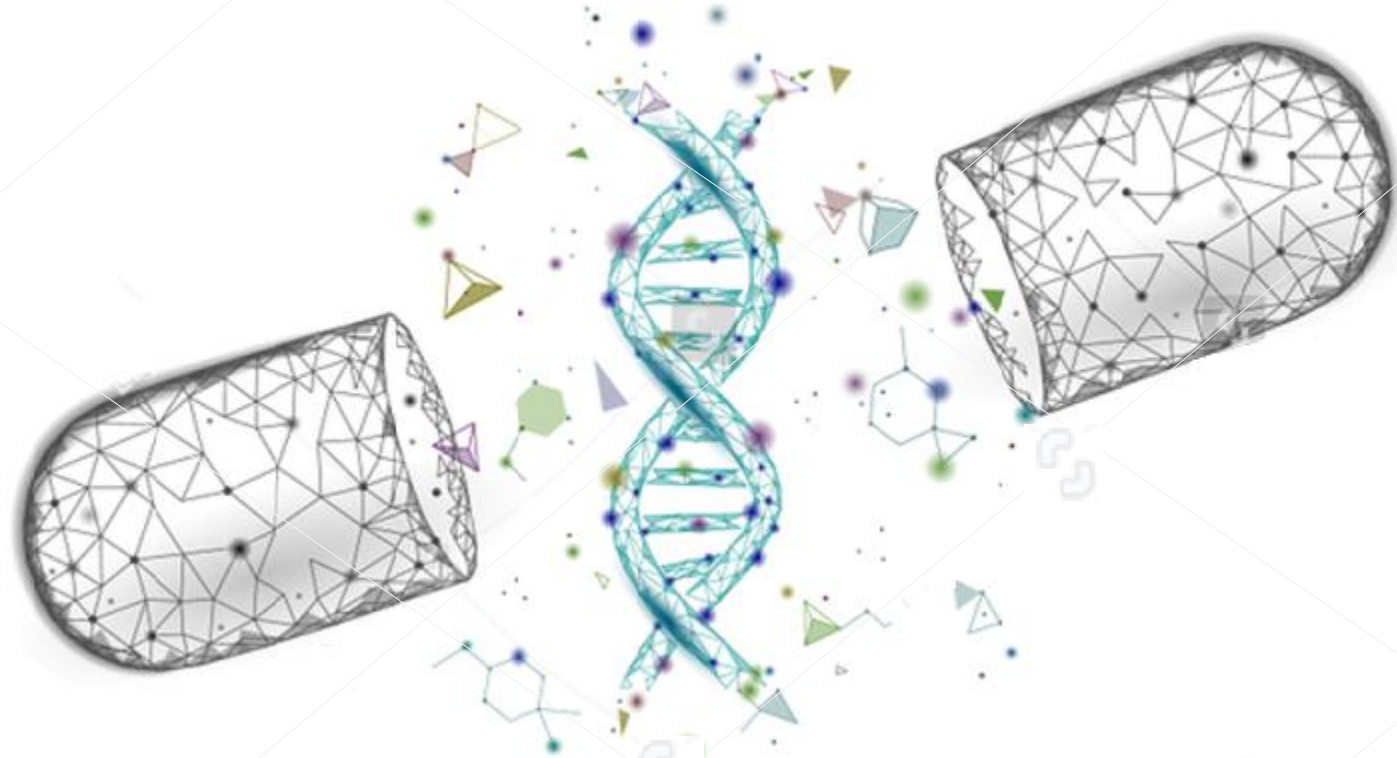


Gene and Vaccine for Life

Genexine

Investor Relations 2022



• 투자자 유의사항

This Presentation has been prepared by Genexine Inc. for the purpose of setting out certain confidential information in respect of Genexine's business activities and strategy. References to this Presentation include any information which has been or may be supplied in writing or orally in connection with this Presentation or in connection with any further inquiries in respect of this Presentation. This Presentation is for the exclusive use of the recipients to whom it is addressed.

This Presentation and the information contained herein may be confidential. In addition to the terms of any confidentiality undertaking that a recipient may have entered into with Genexine, by its acceptance of this Presentation, each recipient agrees that it will not, and it will procure that each of its agents, representatives, advisors, directors or employees (collectively, "Representatives"), will not, and will not permit any third party to, copy, reproduce or distribute to others this Presentation, in whole or in part, at any time without the prior written consent of Genexine, and that it will keep confidential all information contained herein not already in the public domain and will use this Presentation for the sole purpose of setting out [familiarizing itself with] certain limited background information concerning Genexine and its business strategy and activities. This Presentation is not intended to serve as basis for any investment decision. If a recipient has signed a confidentiality undertaking with Genexine, this Presentation also constitutes Confidential Information for the purposes of such undertaking.

While the information contained in this Presentation is believed to be accurate, the Preparers have not conducted any investigation with respect to such information. The Preparers expressly disclaim any and all liability for representations or warranties, expressed or implied, contained in, or for omissions from, this Presentation or any other written or oral communication transmitted to any interested party in connection with this Presentation so far as is permitted by law. In particular, but without limitation, no representation or warranty is given as to the achievement or reasonableness of, and no reliance should be placed on, any projections, estimates, forecasts, analyses or forward looking statements contained in this Presentation which involve by their nature a number of risks, uncertainties or assumptions that could cause actual results or events to differ materially from those expressed or implied in this Presentation. Only those particular representations and warranties which may be made in a definitive written agreement, when and if one is executed, and subject to such limitations and restrictions as may be specified in such agreement, shall have any legal effect. By its acceptance hereof, each recipient agrees that none of the Preparers nor any of their respective Representatives shall be liable for any direct, indirect or consequential loss or damages suffered by any person as a result of relying on any statement in or omission from this Presentation, along with other information furnished in connection therewith, and any such liability is expressly disclaimed.

Except to the extent otherwise indicated, this Presentation presents information as of the date hereof. The delivery of this Presentation shall not, under any circumstances, create any implication that there will be no change in the affairs of Genexine after the date hereof. In furnishing this Presentation, the Preparers reserve the right to amend or replace this Presentation at any time and undertake no obligation to update any of the information contained in this Presentation or to correct any inaccuracies that may become apparent.

This Presentation shall remain the property of Genexine. Genexine may, at any time, request any recipient, or its Representatives, shall promptly deliver to Genexine or, if directed in writing by Genexine, destroy all confidential information relating to this Presentation received in written, electronic or other tangible form whatsoever, including without limitation all copies, reproductions, computer storage devices or written materials which contain such confidential information. At such time, all other notes, analyses or compilations constituting or containing confidential information in the recipient's, or their Representatives', possession shall be destroyed. Such destruction shall be certified to Genexine by the recipient in writing.

Neither the dissemination of this Presentation nor any part of its contents is to be taken as any form of commitment on the part of the Preparers or any of their respective affiliates to enter any contract or otherwise create any legally binding obligation or commitment. The Preparers expressly reserve the right, in their absolute discretion, without prior notice and without any liability to any recipient to terminate discussions with any recipient or any other parties.

This Presentation does not constitute or form part of any offer or invitation to sell, or any solicitation of any offer to purchase any shares in Genexine, nor shall it or any part of it or the fact of its distribution form the basis of, or be relied on in connection with, any contract or commitment or investment decisions relating thereto, nor does it constitute a recommendation regarding the shares in Genexine.

No securities commission or regulatory authority in any country has in any way opined upon the accuracy or adequacy of this Presentation or the materials contained herein. This Presentation is not, and under no circumstances is to be construed as, a prospectus, a public offering or an offering memorandum as defined under applicable securities laws and shall not form the basis of any contract.

The distribution of this Presentation in certain jurisdictions may be restricted by law and, accordingly, recipients of this Presentation represent that they are able to receive this Presentation without contravention of any unfulfilled registration requirements or other legal restrictions in the jurisdiction in which they reside or conduct business.

개요

Genexine

*"Focused on the Development of Innovative biologics
and Saving the Lives of Patients."*



설립자/회장	• 성 영 철 Ph.D.
대표이사/사장	• Global CEO • 우 정 원 Ph.D.
설립/상장	• 1999년 포스텍 학내벤처 (주)제넥신 설립 • 2009년 코스닥 시장 상장
핵심 기반기술	• hyFc 항체 융합 기술 • DNA 백신 기술
중점 개발분야	• 면역항암제 • 희귀질환 치료제
임직원 수	• 약 110명 • 연구개발 60.7% (MD 1, Ph.D 19, MS 40)
시가총액	• 1조 2,200억원 (2022년 1월)

거버넌스: 투명 경영관리

◆ 엄격한 내부통제 및 높은 경영투명성 유지

높은 경영 투명성을 통한
안정 성장기반 확보

내부회계관리제도 구축 및 실행

- 경영/회계관리 시스템(ERP)의 접근 권한 통제 및 수시 내부감사 실시

R&R의 명확화를 통한 업무 권한 분리

- 거래 기록, 거래 승인, 자산의 보관에 대한 책임을 분리해 프로세스상 투명 이상 거래 관리

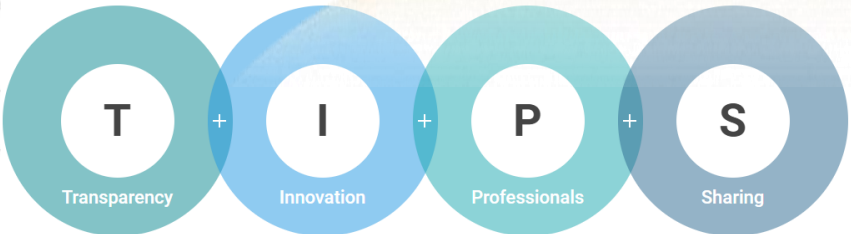
국제회계기준에 충실한 회계처리 및 감사 진행

- 손익인식 방법, 연구개발비 계상, 재고자산 관리 등

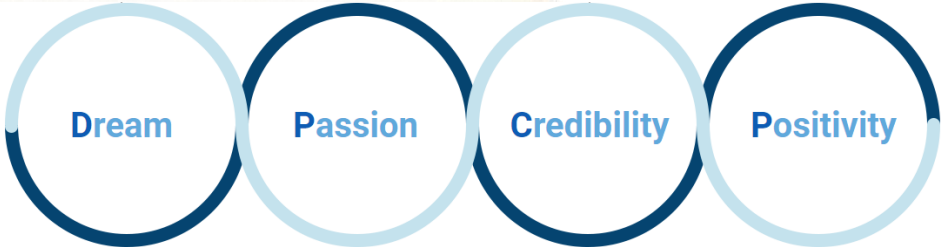
공시의무 충실, 정확하고 적시성 있는 정보 제공

- 경영성과 및 연구현황에 대한 신속하고 투명한 공개

경영원칙



핵심가치



거버넌스: 이사회

◆ 후보물질 발굴부터 임상, 사업화 까지 신약개발 전문 리더십



성영철

연세대학교 생화학과
미네소타 대 분자생물학
하버드 대학교 병리학 박사
포항공대 생명과학과 교수
포스텍-가톨릭대 의생명공학연구원장
前 제넥신 대표이사



우정원

서울대학교 약대 석사
코넬대학교 미생물학 박사
하버드의대 박사후 과정
삼성생명과학연구소
서울성모병원 연구교수
現 제넥신 대표이사



홍성준

연세대학교 경영학 석사
밴더빌트 로스쿨 법학 석사
대우자동차, 필립모리스, 나이키 코리아,
한독 CFO
로키텔스케어 총괄사장
제넥신 CFO, COO, 부사장



김영진

연세대학교 경영학
인디애나대학교 MBA
한독 대표이사, 회장



Neil K. Warma

토론토대학교 HBSc
파리국립대 상업대학원
뉴욕대 국제 MBA
바이론 테라퓨틱스 CEO
오펙사 테라퓨틱스 CEO
바이오헬스케어 CEO
릿지라인 테라퓨틱스 위원장
아이맵 바이오파마



신의철

(IBS 내규상 사임 예정)

연세대학교 의대
연세대 미생물학 박사
NIH 박사 후 연구원
KAIST 의과학대학원교수
IBS 바이러스 면역연구
센터장



이혁종

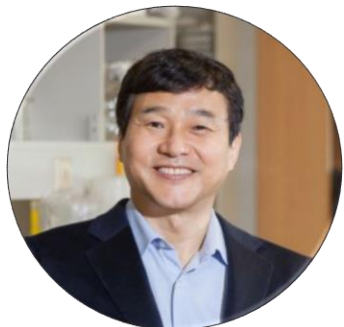
서울대 경영학
UC 버클리 MBA
골드만삭스, 대우증권
바이넥스 대표이사



...

과학 자문 위원회

◆ 글로벌 Top 바이오 신약개발 전문가 자문단



성영철 교수
포항공대 생명과학과 교수
포스텍-가톨릭대
의생명공학연구원장



신희섭 박사
KIST 뇌과학연구소장
IBS 연구단장



신의철 박사
KAIST 교수
IBS 바이러스 면역연구센터장



강진형 교수
성모병원 중양내과장
폐암센터장



유명희 교수
청와대 미래전략기획관
KIST 연구단장



안미정 변리사
특허법인 이룸 대표변리사
SL 바이젠 대표이사



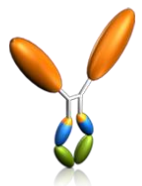
강문석
前 동아제약 대표이사



제넥신 혁신 신약 플랫폼

- ◆ 2가지 플랫폼 기반 혁신신약 파이프라인 보유, 대한민국 대표 바이오기업
- ◆ 글로벌 임상 3상 진행중, Bio Better 파이프라인 본격 상업화 시동

hyFc™ (지속형 단백질 치료제)



다양한 약물과 융합해
체내 반감기를 극대화할 수 있는
지속형 플랫폼 기술

First-in-Class

- GX-I7 : 면역항암제
- GX-P1: 면역억제제

Best-in-Class

- GX-H9: 성장호르몬결핍증
- GX-E4: 만성신부전증 빈혈증
- GX-G3: 호중구감소증

DNA 백신 (항암치료/감염예방)



강력한 T세포 면역반응으로
예방+치료 백신으로 사용가능한
DNA 백신 플랫폼 기술

First-in-Class

DNA 항암 치료 백신

- GX-188E
: 자궁경부암, 두경부암

First-in-Class

DNA 예방 백신

- GX-19N
: 코로나19 예방 백신

주요 파이프라인 임상개발 현황

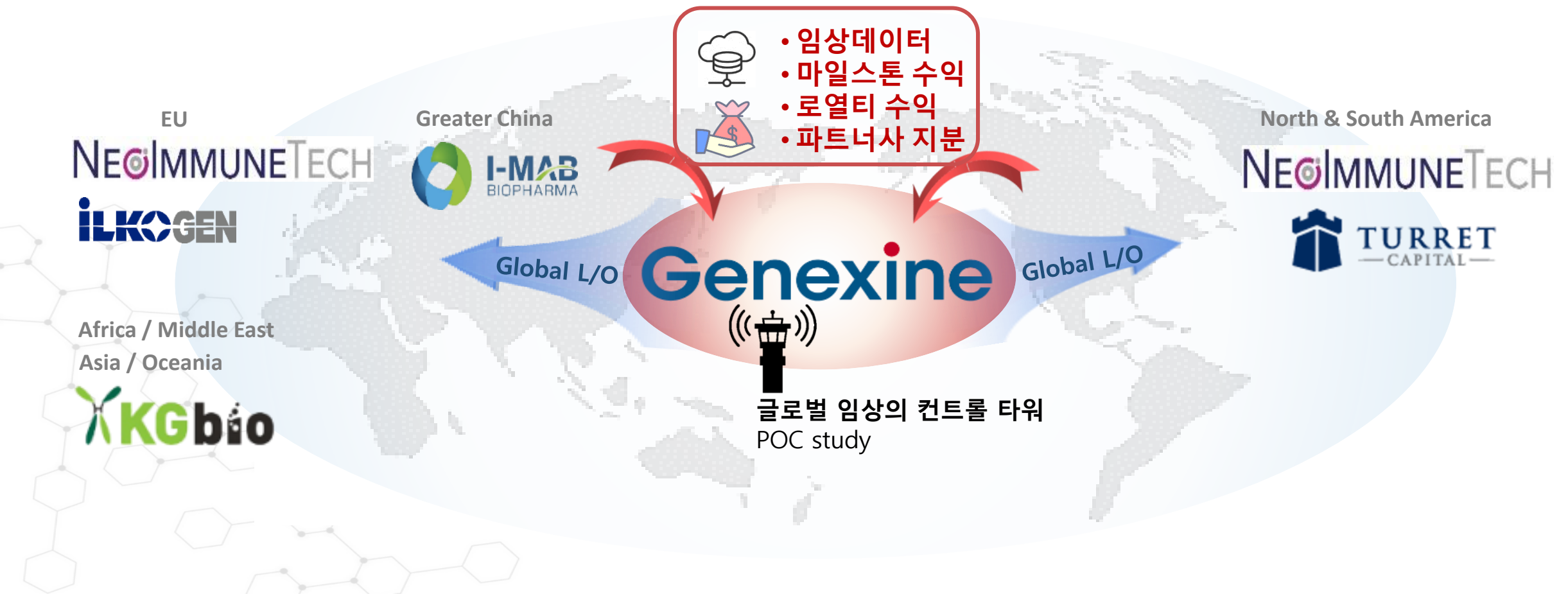
제품	적응증	임상단계			주관기관	임상 파트너
		Phase 1	Phase 2	Phase 3		
 GX-I7	삼중음성유방암, GBM, 고위험피부암 등	Phase 1~2 in KR/US/CN			제넥신, 네오이문텍, I-MAB	 MERCK  Roche  Bristol Myers Squibb
	COVID-19 치료제	Phase 2 in Indonesia			제넥신, KG Bio	
 GX-188E	자궁경부암	Phase 2 in KR			제넥신	 MERCK
 GX-19N	COVID-19 백신 부스터샷	Phase2a in KR			제넥신, Kalbe	
 GX-E4	지속형 EPO	Phase 2 in KR			KG Bio	제넥신
 GX-H9	소아용 성장호르몬 (PGHD)	Phase 2 in KR/EU			한독, I-MAB	제넥신
	성인용 성장호르몬 (AGHD)	Phase 2 in KR/EU			제넥신, 한독	
 GX-G3	호중구감소증	Phase 2 in EU			제넥신, Ilkogen	

완료

진행중

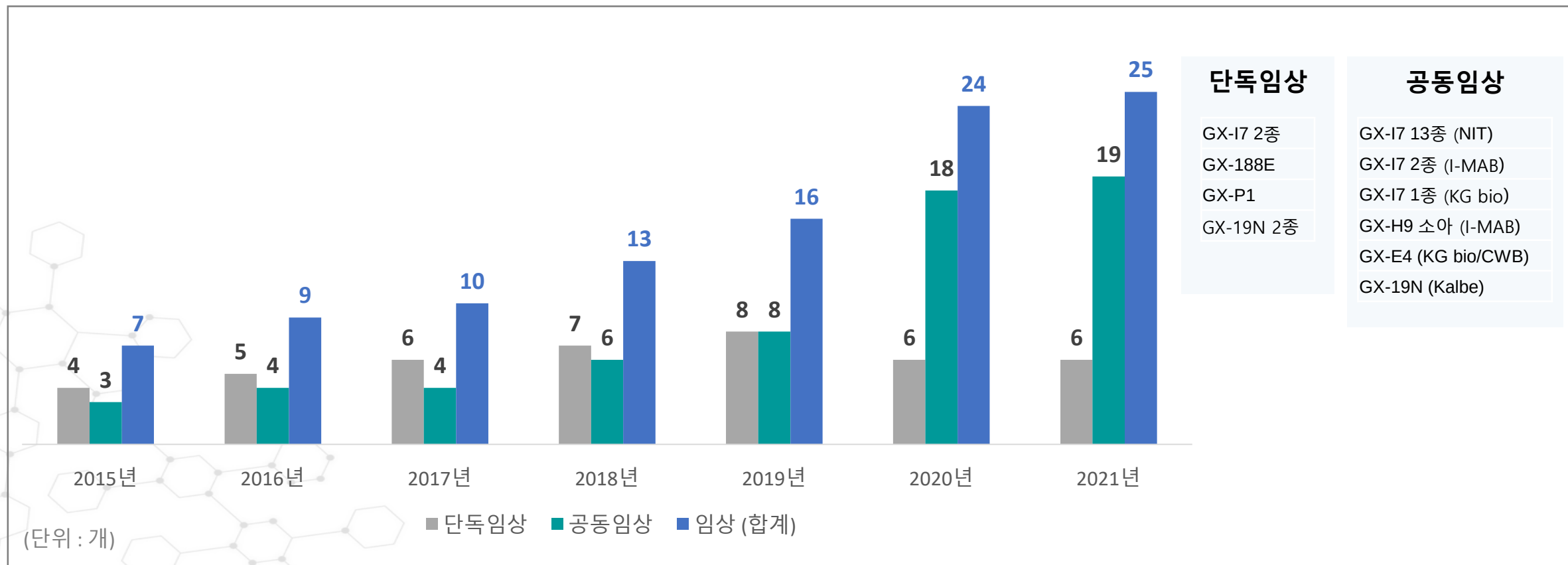
글로벌 임상개발 전략

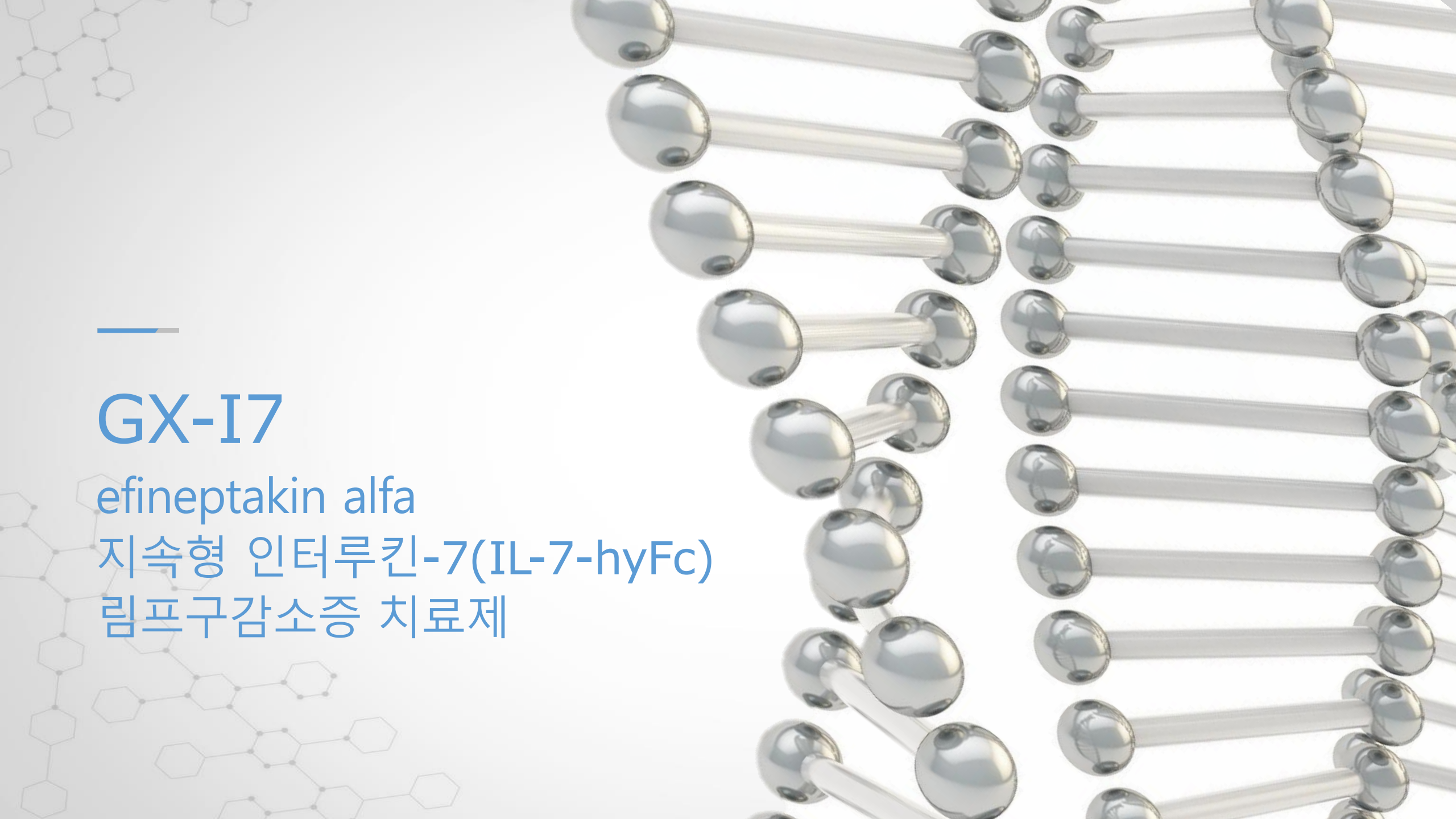
- ◆ **임상개발 컨트롤타워**: 해외 임상 데이터 공유 → 연구개발비 절감
- ◆ 서브 L/O, 마일스톤, 로열티, IPO 통한 지분 가치상승 ↑



오픈이노베이션 임상 개발: 저비용, 고효율

- ◆ 글로벌 임상 확대 및 데이터 공유: 2021년 총 25개의 임상 진행중 (2015년 대비 3.5배)
- ◆ 임상개발비용 최소화: 2017년 이후 연구개발비 연간 400억원 수준 유지





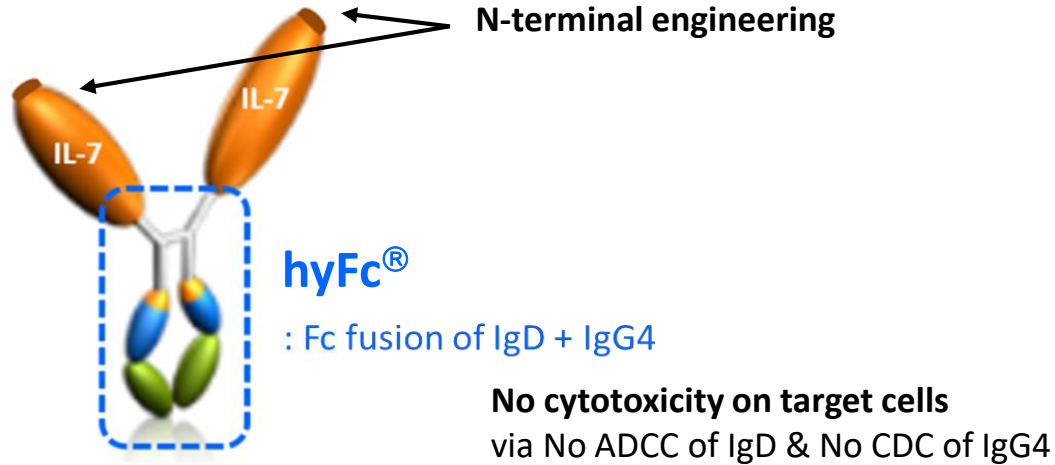
GX-I7

efineptakin alfa

지속형 인터루킨-7(IL-7-hyFc)

림프구감소증 치료제

GX-17: 유일한 T세포수(ALC) 증폭 면역항암제



Higher protein stability



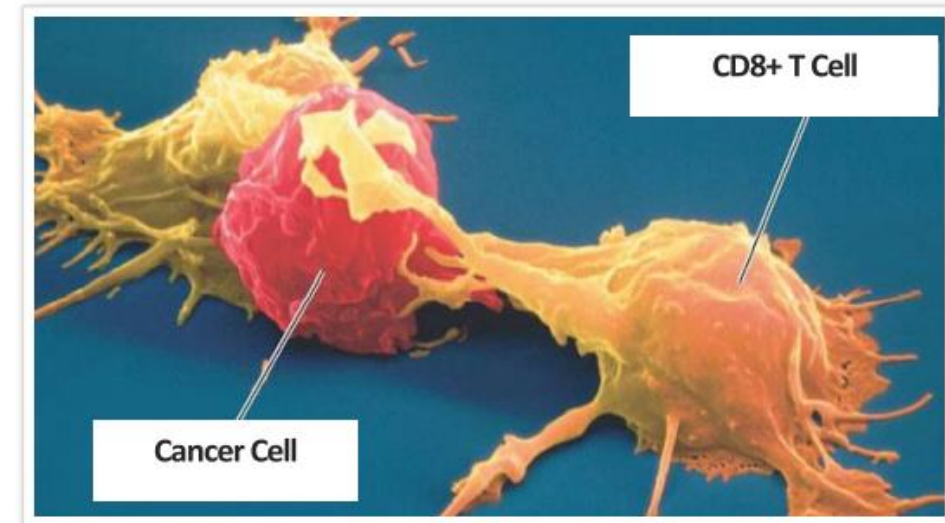
Higher productivity



Longer *in vivo* half-life

T cell Amplifier

Interleukin-7
Long-acting Interleukin-7



T cell Activator

- Cancer vaccine
- IL-2, IL-15, IFN-alpha
- CD137 L, OX40 L, ICOSL
- TLR agonists, etc

T cell Suppressor blockade

- anti-PD-1, anti-PD-L1
- anti-CTLA4
- anti-TIM-3, anti-TIGIT
- anti-TGF-beta

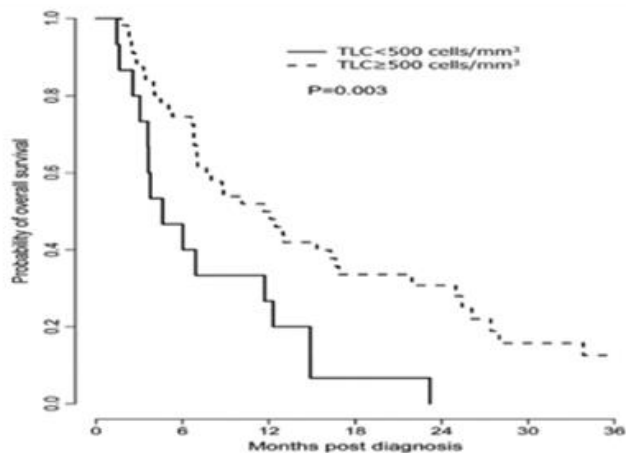
높은 ALC 수치와 OS(Overall Survival)의 상관관계

◆ ALC 수치가 낮은 환자는 항암 효능 낮아 → ALC 수치를 높여 다양한 항암 치료 효과 증가

Chemo/Radiotherapy

GBM, New/Elderly

mOS 4.6m vs 11.6m

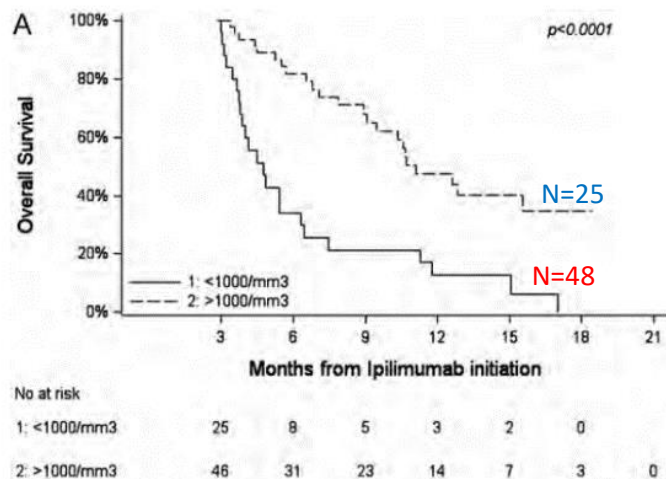


Mendez J. et. Al. J Neurooncol.
2016 Apr;127(2):329-335.

anti-PD-1/PD-L1

Melanoma (ALC < 1000/mm³)

73 unresectable Stage III and IV melanoma patients receiving four courses of ipilimumab q3w

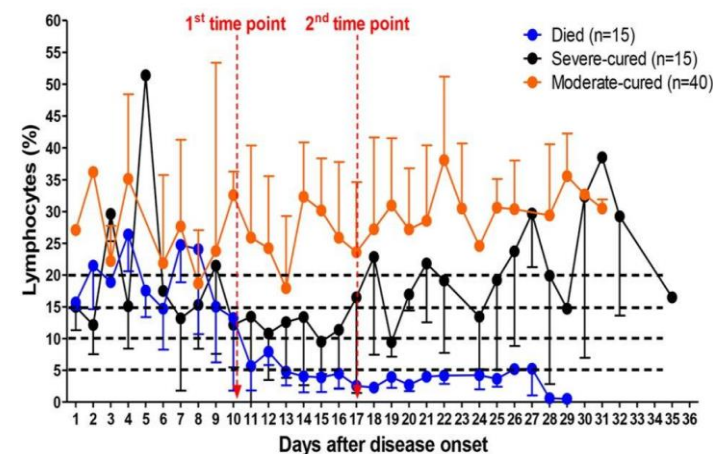


Delyon et al. Annals of Oncology, 2013

Infectious Disease

COVID-19

Establishment and validation of Time-LYM% model (TLM)



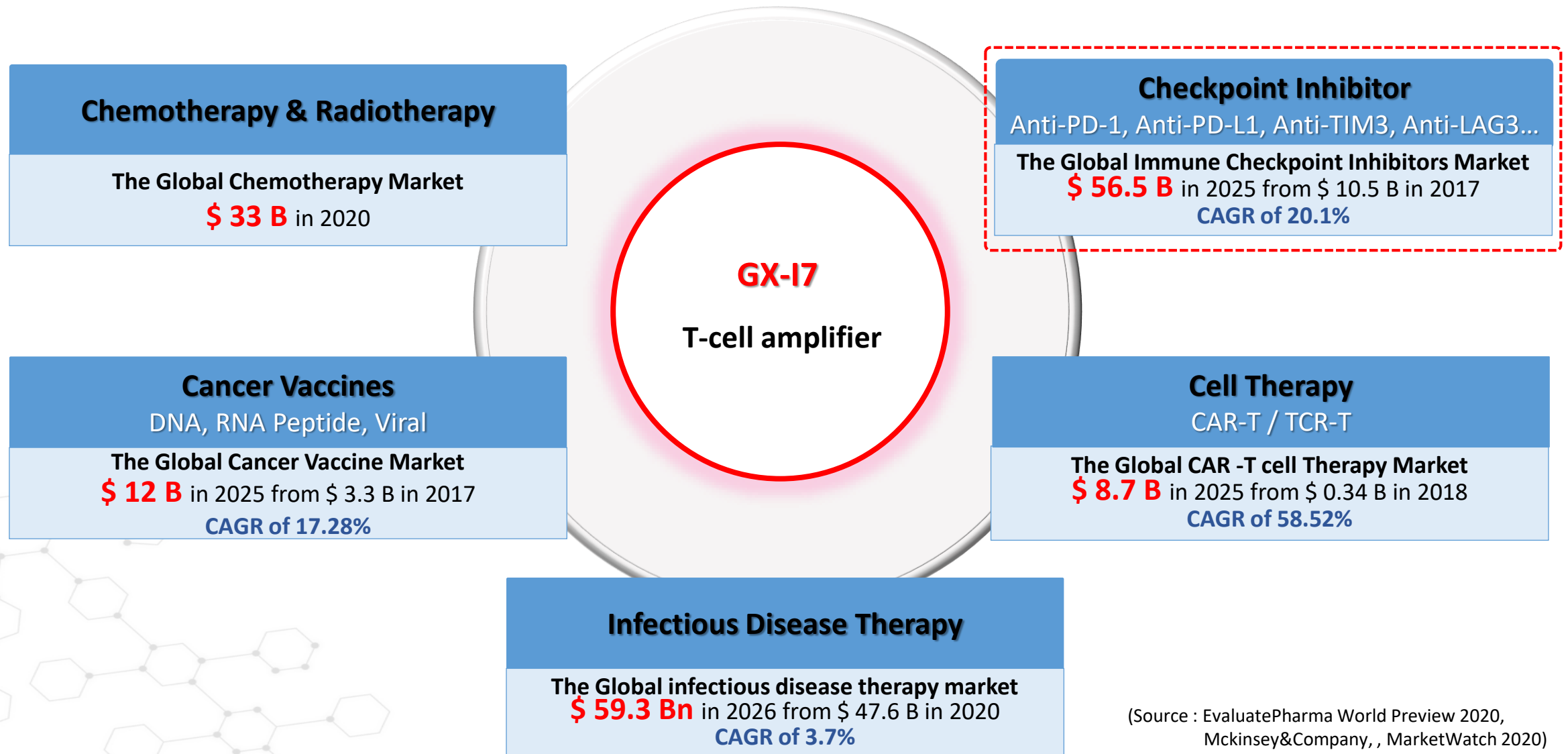
Li Tan et al., Signal Transduct Target Ther. 2020 Apr 29;5:61.

GX-17: 차세대 면역항암제 시장 공략

◆ 혈액 세포 타겟 제품 수 조원 시장 형성 but... 림프구 수의 개선을 위해 개발된 제품은 없음

적혈구 Erythrocyte EPO(Erythropoietin) 빈혈치료제 Epogen: Amgen Mircera: Roche 글로벌 빅파마 최초 개발한 블랙버스터 바이오신약 현재 특허 만료로 수많은 바이오시밀러 출시, 치열한 경쟁중 Global Market 10.7bn\$ in 2025 from 7.3bn\$ in 2018	혈소판 Platelet TPO(Thrombopoietin) 혈소판감소증치료제 Nplate: Amgen Promacta: Novartis Global Market 3.3bn\$ in 2025 from 3.0bn\$ in 2018	호중구 Neutrophil G-CSFs 호중구감소증치료제 Neupogen: Amgen Neulasta: Amgen Global Market 15.4bn\$ in 2025 from 11.3bn\$ in 2018	림프구 Lymphocyte Efineptakin alfa 림프구감소증치료제 GX-17 (NT-17 / TJ-107) 제넥신이 최초 개발중인 First-in-Class / 신약 Global Market
---	--	--	---

GX-17: 잠재적 시장 규모

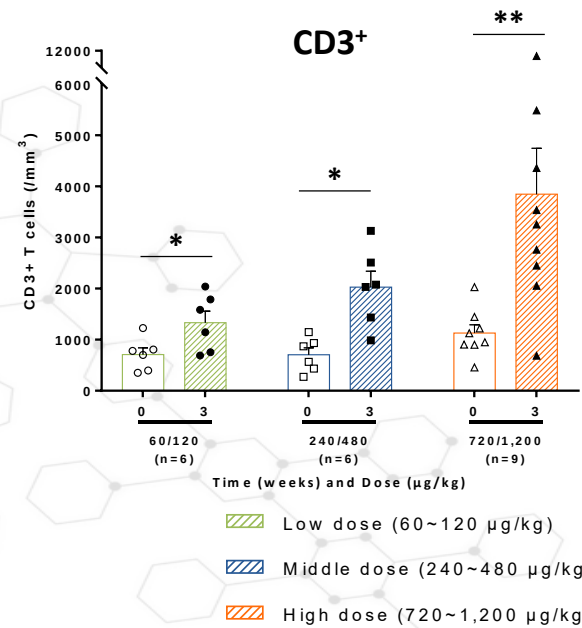
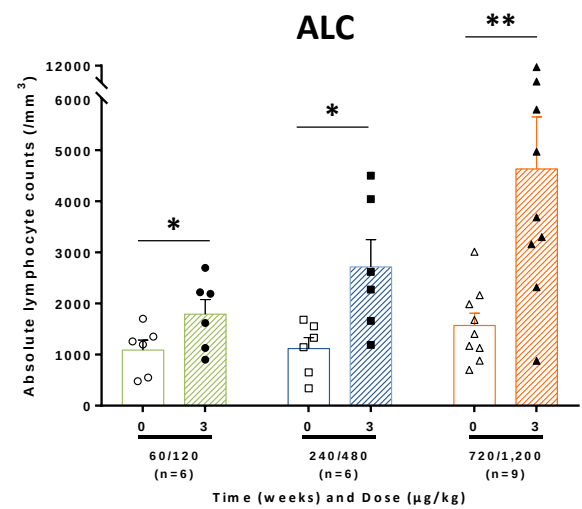


(Source : EvaluatePharma World Preview 2020,
Mckinsey&Company, , MarketWatch 2020)

GX-I7(NT-I7/TJ-107): 임상개발 현황

Field	Type	Treatment	Indication	Preclinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3	Conducting company	Partner
Oncology	COM	KEYTRUDA®	삼중음성유방암 	Phase 1b/2, KEYNOTE-899				Genexine	 
	COM	Avastin	재발성 교모세포종	Phase 2				Genexine	
	Mono	-	고형암	Phase 1/2a (STM101)				I-MAB	
	COM	Temozolomide	교모세포종	Phase 2 (GBM201)				I-MAB	 
	COM	Pembrolizumab	삼중음성유방암, 두경부암 등	Phase 2 (STM202)				I-MAB	
	Mono	-	교모세포종 (n=75)	Phase 1 (NIT-104, Single dose)				NeolImmuneTech	
	COM	Temozolomide	교모세포종 (n=46)	Phase 1/2 (NIT-107)				NeolImmuneTech	
	COM	Tecentriq®	고위험 피부암	Phase 1b/2a (NIT-106)				NeolImmuneTech	 
	COM	KEYTRUDA®	삼중음성유방암, (비)소세포폐암, 췌장암, 대장암, 난소암 등	Phase 1b/2a (NIT-110), KEYNOTE-A60				NeolImmuneTech	
	COM	Opdivo®	위암, 위식도접합부암, and 식도암	Phase 2 (NIT-109)				NeolImmuneTech	
	COM	Tecentriq®	비소세포폐암 (1L)	Phase 2 (NIT-119)				NeolImmuneTech	
	Mono	-	재발성 두경부암	Phase 1 (NIT-115)				NeolImmuneTech	
	Mono	-	카포시 육종	Phase 1 (NIT-108)				NeolImmuneTech	
	COM	Kymriah®	미만성 거대B세포림프종	Phase 1b (NIT-112)				NeolImmuneTech	
Infectious Disease	Mono	-	특발성 CD4 ⁺ T림프구감소증	Under IND submission (NIT-114)				NeolImmuneTech	
	COM	Vaccine	예방백신 (고령 암 환자 대상)	Phase 1a/1b (NIT-105)				NeolImmuneTech	
	Mono	standard	코로나19 치료제	Phase 1b				Genexine	
	Mono	standard	코로나19 치료제	Phase 2				Genexine/KGbio	
	Mono	standard	코로나19 치료제	Phase 1 (NIT-116)				NeolImmuneTech	 
	Mono	-	진행성 다소성 백질뇌염	Phase 1 (NIT-113)				NeolImmuneTech	

PoC: ALC 증가 및 병용 항암 효과 확인



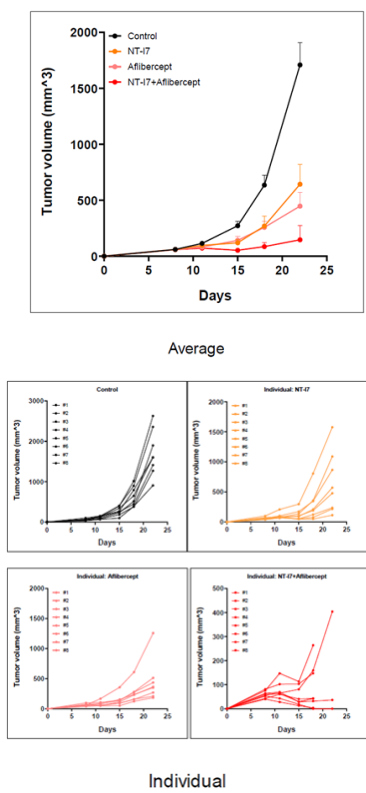
재발성/전이성 TNBC 환자 GX-I7+Keytruda 병용 대비 Keytruda 임상 효과 비교

	GX-I7 (Genexine)	KEYTRUDA (MSD)	
≥ 2L	Keynote-899 Ph1b/2, combo with Pembro(N=18,, Ph2) 1,200µg/kg	[Keynote-086] Ph2, Pembro mono N=170 (Cohort A)	[Keynote-119] Ph3, Pembro vs chemo N=622
NCT No.	NCT03752723	NCT02447003	NCT02555657
Prior CTx.	1st ~ 3rd line	≥ 1 st line	1 st – 2 nd line
ORR	27.8 %	5.3 % (PD-L1+ 5.7%)	9.6 % vs 10.6% (CPS≥1 12.3% vs 9.4%)
DCR	44.4 %	7.6 % (PD-L1+ 9.5%)	12.7% vs 18.7%
Study Start to End	Mar 27, 2019 – July 2021	Jun 11, 2015 – Feb 18, 2019	Oct 13, 2015 – Apr 11, 2019
Status	Clinical trial ongoing (2021)	FDA approved (2020) Ann Oncol. 2019 Mar 1;30(3):397-404.	FDA approved (2020) Lancet Oncol. 2021 Apr;22(4):499-511.

재발성 교모세포종 Avastin 병용 효능

- ◆ 서울성모병원 동정적 사용 임상 결과, Roche 와 공동 임상 협약 체결
 - mPFS from recurrence: 233 일(range 39 - 400) grade III 이상 부작용 없음
- ◆ IND 승인 (2021/07/05), 1st amendment (2021/09/02)

Preclinical: GX-I7/Aflibercept Combo



Clinical: Compassionate Use

	GX-I7 (Genexine)	AVSTIN (Roche)	
≥ 2L	Compassionate Use GX-I7/TMZ or Avastin or PCV (N=18)	AVF3708g Friedman HS et al (2009) JCO GBM (N=167)	EORTC 26101/MO22968 Wick W et al (2017) NEJM GBM (N=437)
NCT No.	NCT04289155	NCT00345163	NCT01290939
Prior CTx.	Relapsed (1st/2nd)	Relapsed (1st/2nd)	Relapsed (1st)
mPFS	7.6m (range 55-726 days)	Bev+IRI vs Bev: 5.6m (4.4–6.2) vs 4.2 (2.9–5.8) (F/U: min 6m for all patients)	Bev+LO vs LO: 4.2 vs 1.5 (401 progression events)
mOS	12.5m (range 107-864 days) vs 5.6m (historical control) P value	Bev+IRI vs Bev: 8.7m (7.8–10.9) vs 9.2m (8.2–10.7) (F/U: min 8m for all patients)	Bev+LO vs LO: 9.1m (8.1–10.1) vs 8.6m (7.6–10.4) (329 events)

*GX-I7 (NT-I7, TJ107): 10mpk (I.M)
Aflibercept (VEGF inhibitor): 10 mpk (I.V)

2021 글로벌 파트너사 임상개발 현황

◆ 글로벌 파트너사 지속적 긍정적 임상 개발 결과로 사업화 가능성 ↑

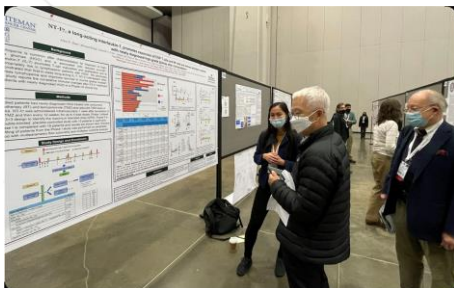
NEOIMMUNETECH

◆ 글로벌 학회 발표:

SITC 2021(포스터 발표), SNO 2021(구두 발표)

- Tscm 50배 증가: 면역항암물질 중 최고 수준으로 현재까지 보고된 유일한 물질
- 교모세포종, 대장암, 췌장암 임상결과 → Cold tumor 및 난치성적응증 대상 의미 있는 결과
- 향후임상계획 → 다른 CPI combo 임상 진행: 피부암, 위식도암, 폐암1차 치료등

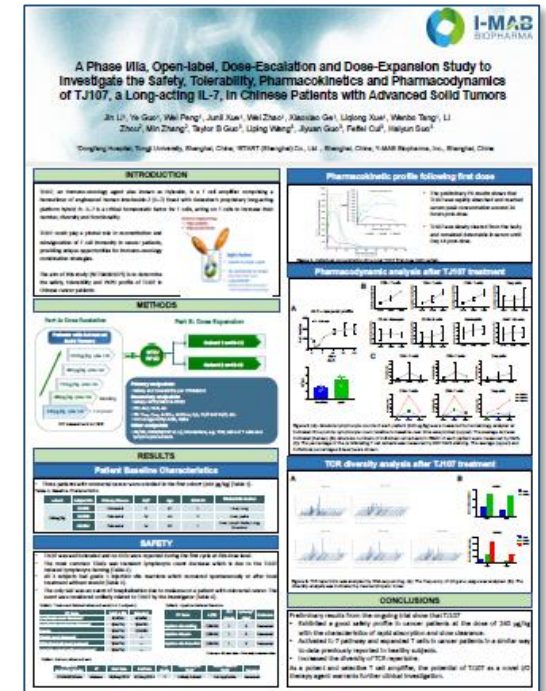
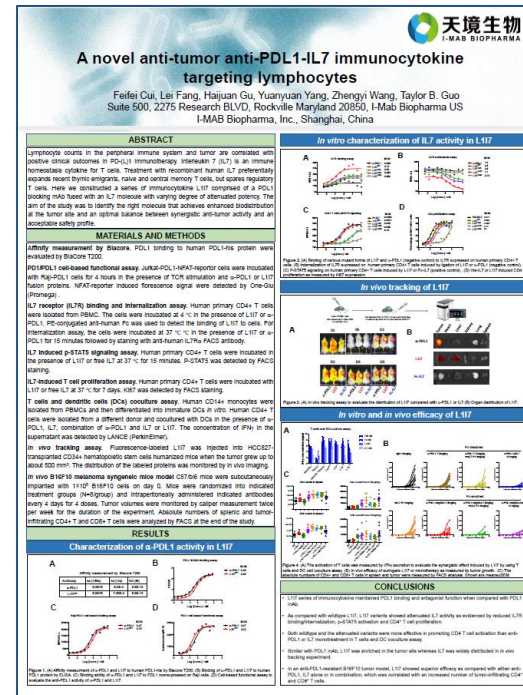
◆ 글로벌 빅파마 들과 지속적인 사업화 미팅 진행: AMGEN, Pfizer, Roche, Merck, BMS.



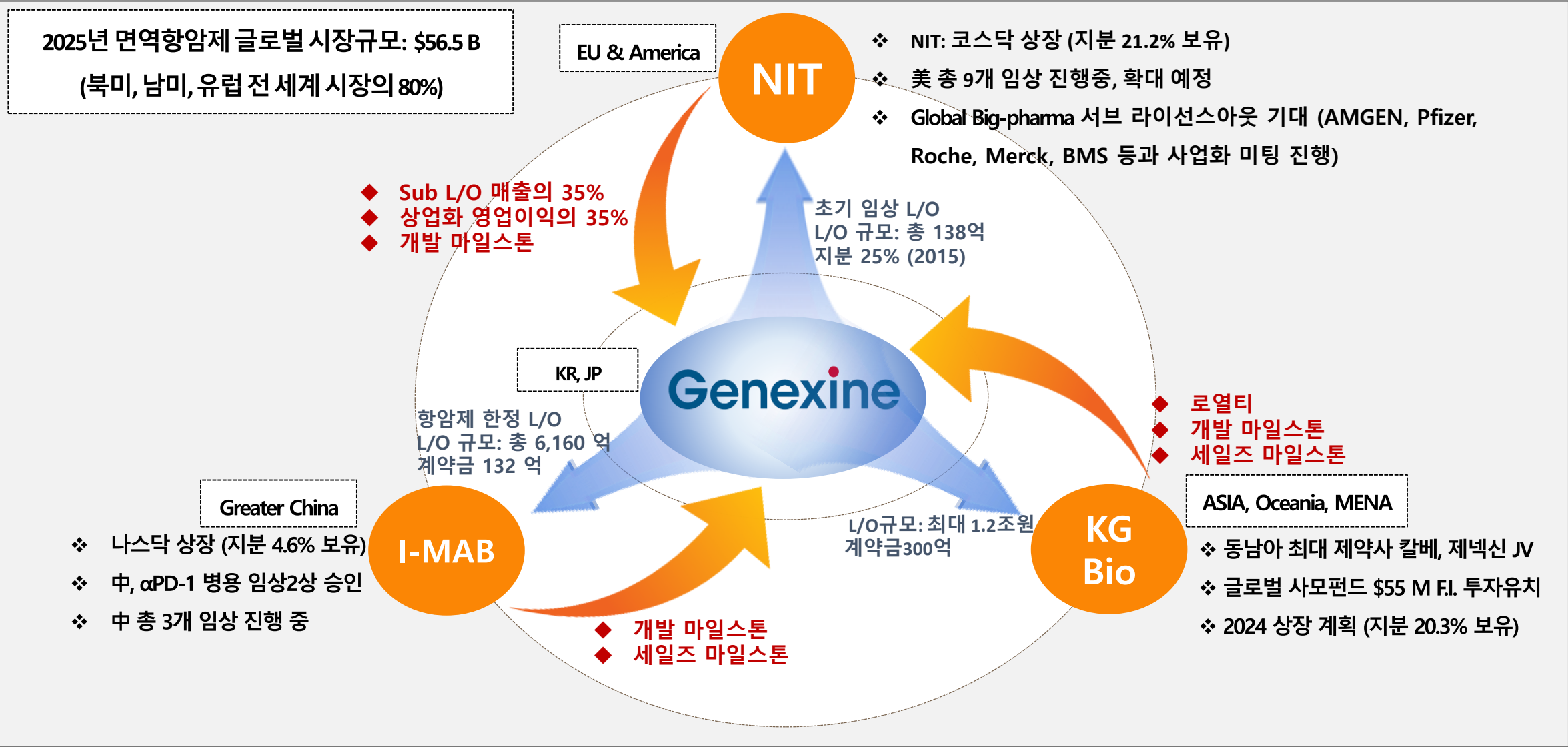
SITC 2021



- ◆ 중국 GX-I7 + PD-1 병용 임상 2상 승인: 말기 고형암 TNBC, 두경부암
- ◆ 중국 GX-I7 GBM 환자 대상 임상 2상 첫 환자 투약 완료

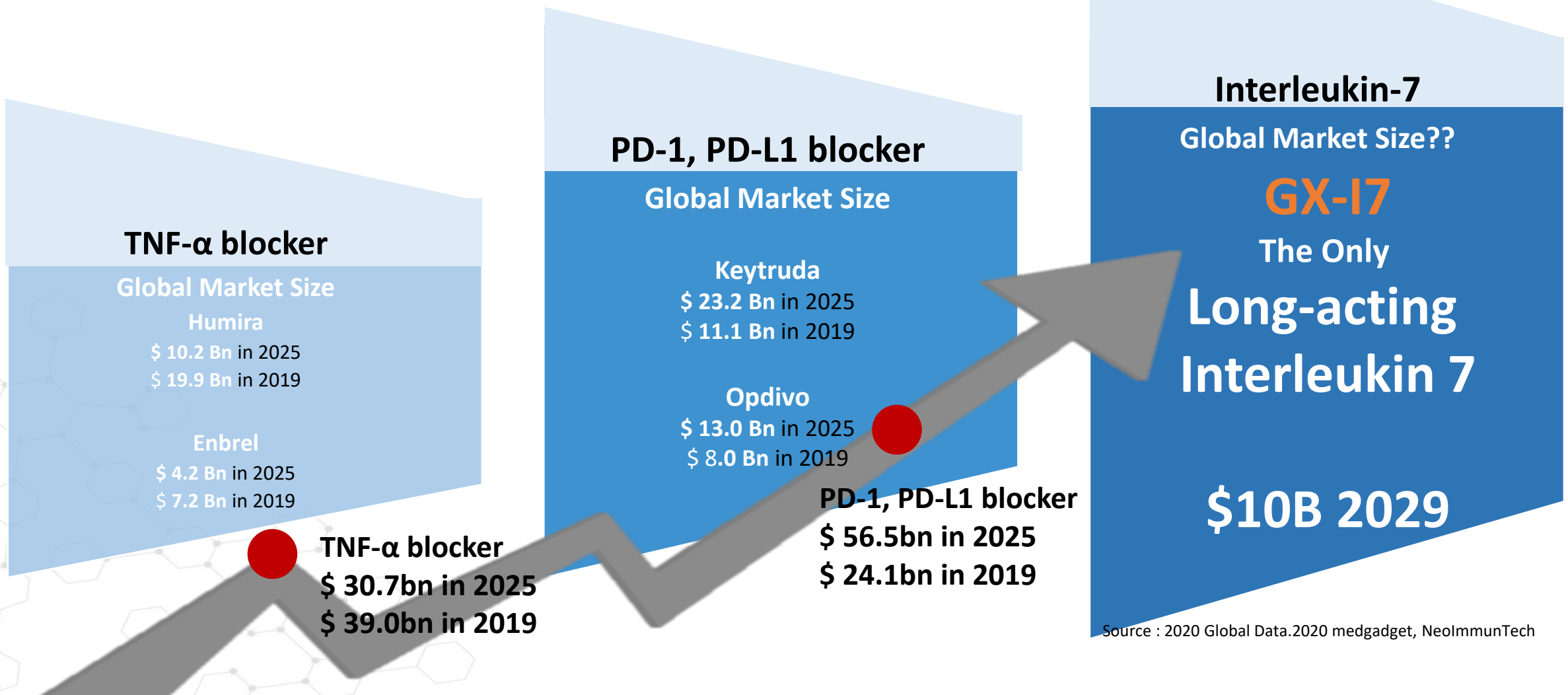


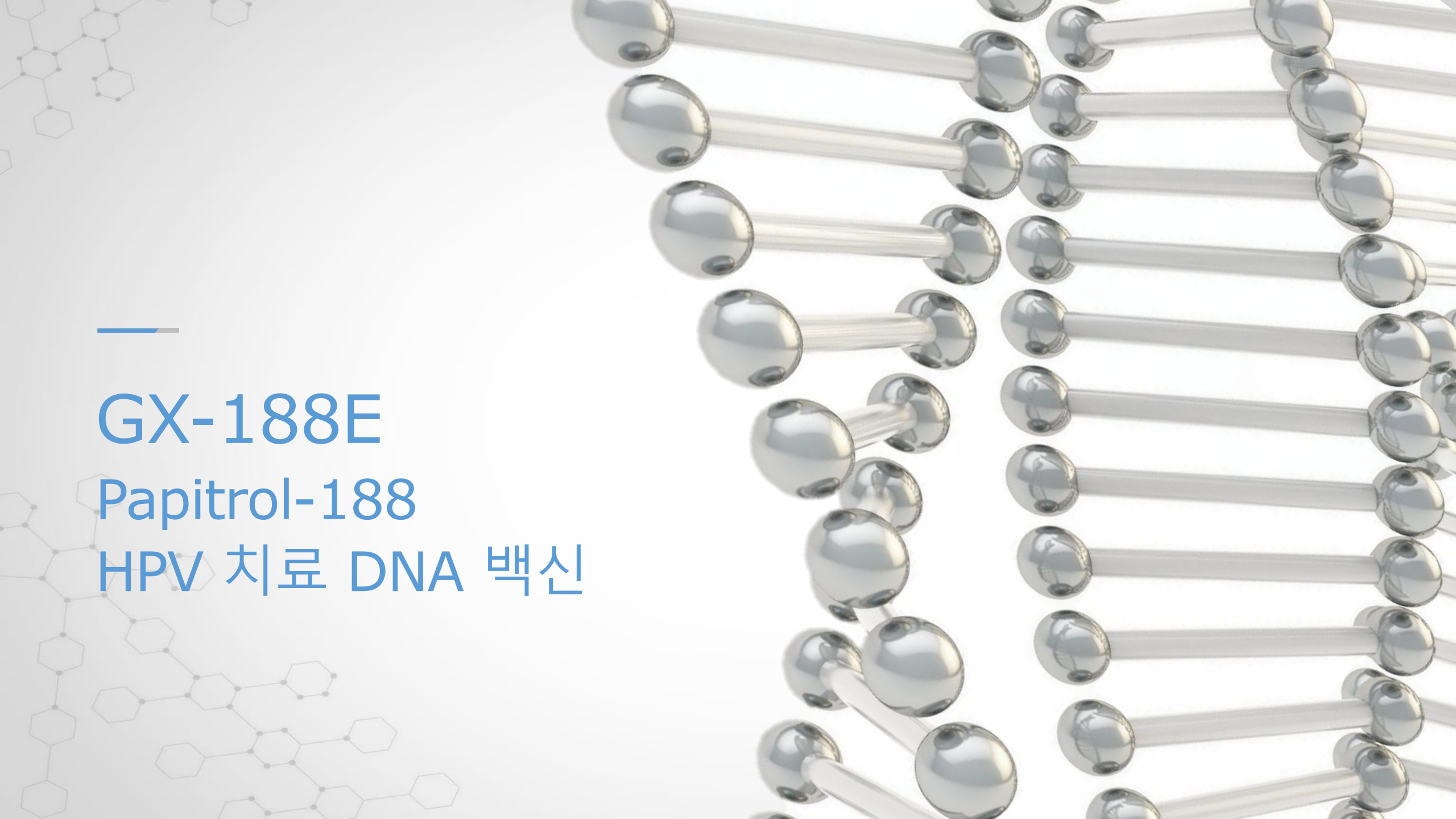
GX-17 글로벌 개발 전략



GX-17 차세대 면역항암제, 넥스트 키트루다 블록버스터

◆ 블록버스터 면역항암제 시장 성장, 차세대 히어로는 누구?





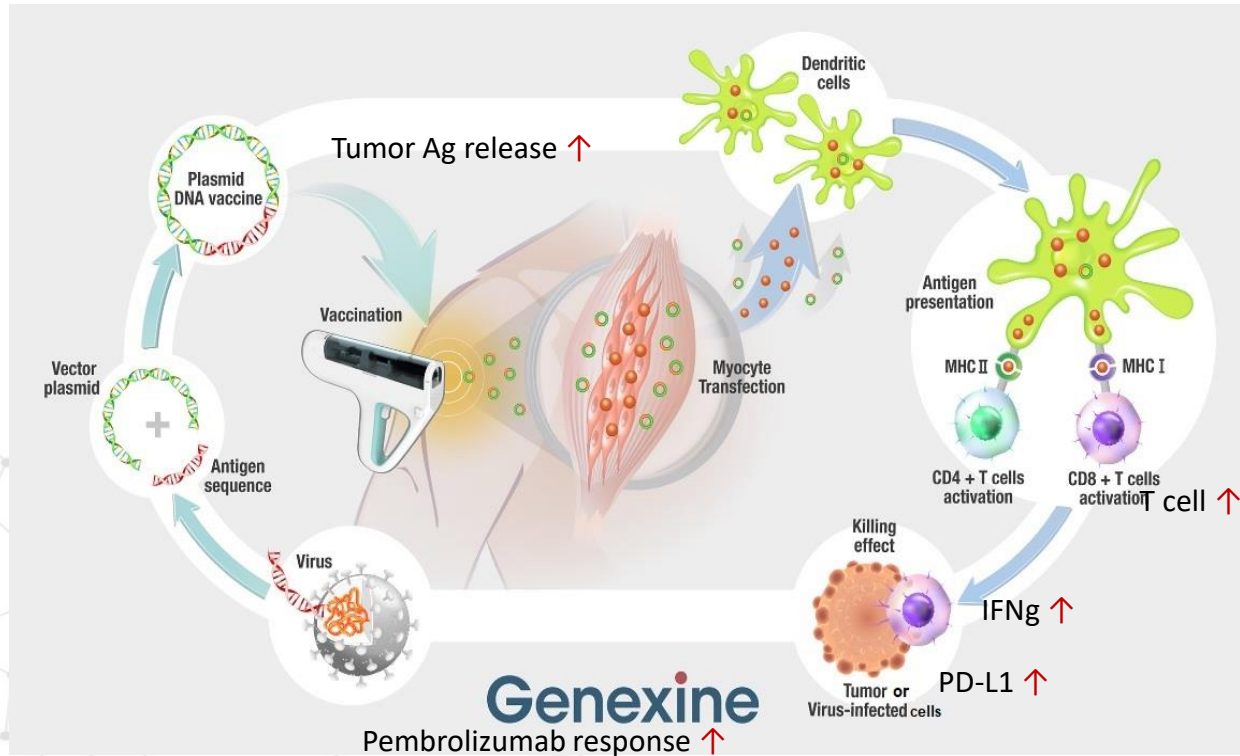
GX-188E

Papitrol-188

HPV 치료 DNA 백신

GX-188E : 자궁경부암 치료 DNA백신

- ◆ 플라스미드 DNA 기반의 유전자 면역치료 백신
- ◆ 자궁경부암 원인의 >70% 인 HPV(human papilloma) 16/18 바이러스 특이적 T세포의 면역반응 선택적 유도
- ◆ CIN3 임상결과: CR 78% (7/9), 67% (35/52) histological regression, 52% (27/52) patients clinical regression HPV clearance



Source; TJ Kim et al, Nat Commun.; YJ Choi et al, Clin Cancer Res., 2020; JW Youn et. al, Lancet Oncol, 2020

선행 CIN3 임상결과 주요 학술지 발표

Nature Communications & Clinical Cancer Research

nature COMMUNICATIONS

ARTICLE

Received 9 May 2014 | Accepted 19 Sep 2014 | Published 30 Oct 2014

DOI: 10.1038/ncomms6317 OPEN

Clearance of persistent HPV infection and cervical lesion by therapeutic DNA vaccine in CIN3 patients

Tae Jin Kim^{1,*}, Hyun-Tak Jin^{2,*}, Soo-Young Hur³, Hyun Gul Yang⁴, Yong Bok Seo⁴, Sung Ran Hong⁵, Chang-Woo Lee⁶, Suhyeon Kim⁶, Jung-Won Woo², Ki Seok Park², Youn-Young Hwang², Jaehan Park², In-Ho Lee¹, Kyung-Taek Lim¹, Ki-Heon Lee¹, Mi Seon Jeong⁷, Charles D. Surh^{4,8}, You Suk Suh², Jong Sup Park³ & Young Chul Sung^{2,4}

Clinical Cancer Research

Home About Articles For Authors Alerts News

Research Article

A phase 2, prospective, randomized, multicenter, open-label study of GX-188E, an HPV DNA vaccine, in patients with cervical intraepithelial neoplasia 3

Youn Jin Choi, Soo Young Hur, Tae-Jin Kim, Sung Ran Hong, Jae Kwan Lee, Chi-Heum Cho, Ki Seok Park, Jung Won Woo, Young Chul Sung, You Suk Suh, and Jong Sup Park

GX-188E 임상 2상 진행 경과

- 48 명 분석 결과 BORR 33.3% (16/48) DCR 50.0 % (24/48)
- PD-L1 positive 환자, BORR 41.7 % (15/36) DCR 61.1 % (22/36)
- 최근 PD-L1 negative 환자에서 반응률 증가, regardless PD-L1 가능성↑**

Ph2 Interim analysis

BOR N (%)	Efficacy set ^a (N=56)	Efficacy set ^a (N=56)		Keytruda mono (KEYNOTE-158, N=98)
		PD-L1 status (Average)		
		Positive (N=36/38)	Negative (N=12/13)	
CR	6 (12.5)	6 (16.7)	0 (0.0)	Total ORR : 12.2% PD-L1-positive : ORR 14.6% PD-L1-negative : ORR 0%
PR	10 (20.8)	9 (25.0)	1 (8.3)	
SD	8 (16.7)	7 (19.4)	1 (8.3)	
PD	24 (50.0)	14 (38.9)	10 (83.4)	
BORR	16 (33.3)	15(41.7/39.5)	1 (8.3/7.7)	
DCR	24 (50.0)	22(61.1/57.9)	2 (16.7/15.4)	

임상결과 발표: The Lancet Oncology, ASCO2021

THE LANCET
Oncology

Submit Article
Claim

Log in Register Subsc

ARTICLES | VOLUME 21, ISSUE 12, P1653-1660, DECEMBER 01, 2020

Pembrolizumab plus GX-188E therapeutic DNA vaccine in HPV-16-positive or HPV-18-positive advanced cervical cancer: results of a single-arm, phase 2 trial

Jin Won Youn, PhD [†], Soo-Young Hur, MD [†], Jung Won Woo, PhD [†], Yong-Man Kim, MD [†], Sang Yoon Park, MD [†], et al. [Show all authors](#) [Show footnotes](#)

Published: December, 2020 • DOI: [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(20\)30486-1](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(20)30486-1)

Journal of Clinical Oncology
An American Society of Clinical Oncology Journal

Enter words / phrases / DOI / ISBN / authors / keywords / etc.

Newest Articles Issues Special Content Authors Subscribers About ASCO

Journal of Clinical Oncology > List of Issues > Volume 39, Issue 12, suppl. >

Meeting Abstract | 2021 ASCO Annual Meeting I
GYNECOLOGIC CANCER

Efficacy and safety results of GX-188E, a therapeutic DNA vaccine, combined with pembrolizumab administration in patients with HPV 16- and/or 18-positive advanced cervical cancer: Phase II interim analysis results (KEYNOTE-567).

[Check for updates](#)

[Jong Sup Park, Soo-Young Hur, Myoung Chol Lim, Yong Man Kim, Jae Hong No, Byoung-Gil Kim, ...](#)
[Show More](#)

[Abstract Disclosures](#)

Abstract

5511

Background: Pembrolizumab was approved for the treatment of recurrent or metastatic cervical cancer, based on 14.3% of objective response rate (ORR) in patients with PD-L1 expression (CPS≥1). GX-188E vaccination has been shown to induce human papillomavirus (HPV) E6- and E7-specific T-cell responses. We aimed to investigate whether a combination of GX-188E (Tirvalimogene

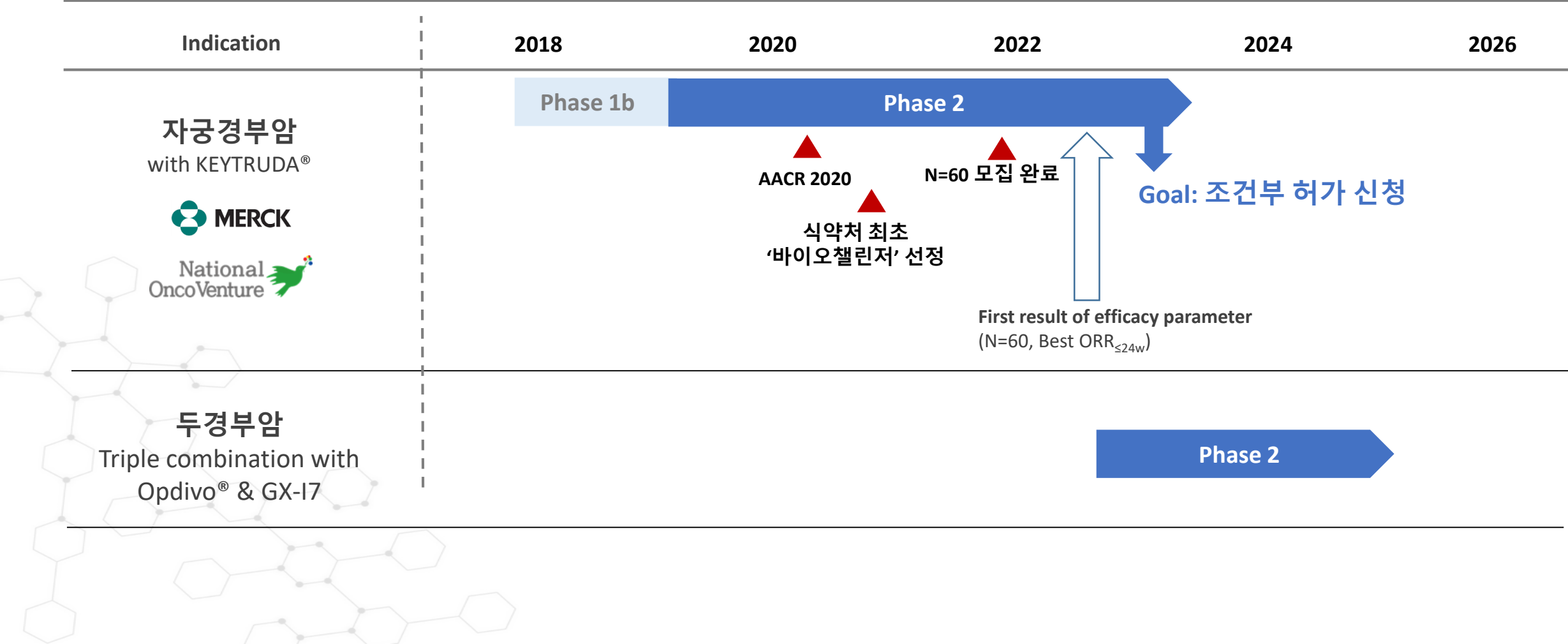
Summary

Background

Survival outcomes for patients with recurrent or advanced cervical cancer are poor. Pembrolizumab has been approved for the treatment of recurrent or metastatic cervical cancer, with an objective response rate of 14.3%. GX-188E vaccination has been shown to induce human papillomavirus (HPV) E6-specific and E7-specific cell responses and cervical lesion regression in patients with precancer. We aimed to investigate whether a combination of GX-188E therapeutic DNA vaccine plus pembrolizumab showed

GX-188E: 임상개발 계획

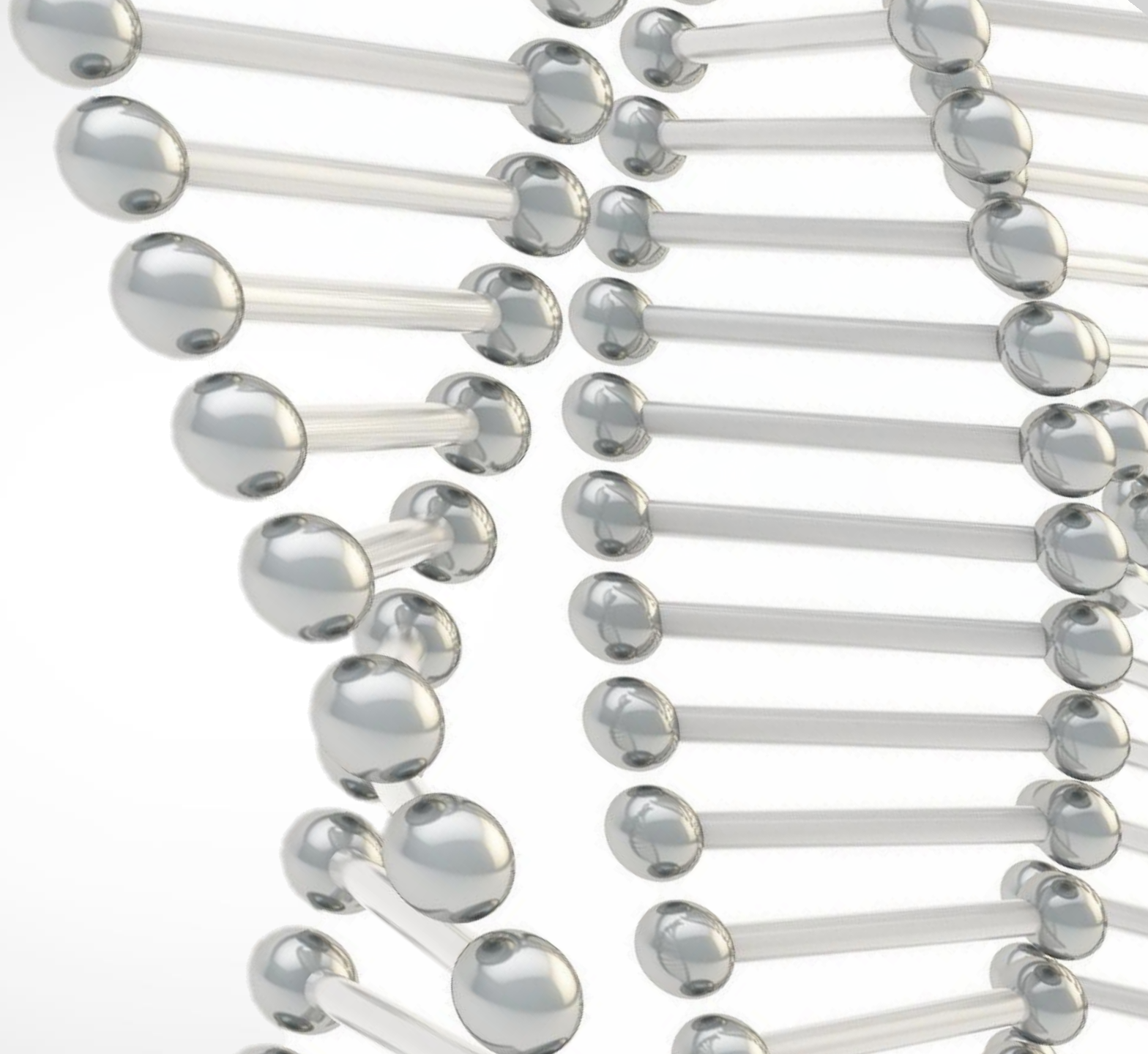
- 식약처 바이오챌린저 프로젝트: 자궁경부암 치료백신 조건부 허가 신청 목표
- 두경부암 적응증 확대 계획: HPV induced head and neck cancer



GX-19N

SARS-CoV-2

예방 DNA 백신



GX19N: 다양한 변이체 대응가능한 T세포면역 백신

- ◆ IBS 신의철 교수, "오미크론 변이에서도 T세포 항원결정기(Epitopes)는 85~90% 유지된다"
- ◆ 항체 유효성 지속기간은 3~6개월, 오미크론과는 결합력 10배 이상 감소
- ◆ T세포의 면역 능력은 항체와 달리 오미크론 변이에 대해서도 유지

코로나19 백신 맞아도 효능 있는 이유는 T세포 면역 반응,
기초과학연구원 최초 규명



❖ GX-19N: Non-spike 단백질 뉴클레오캡시드 추가

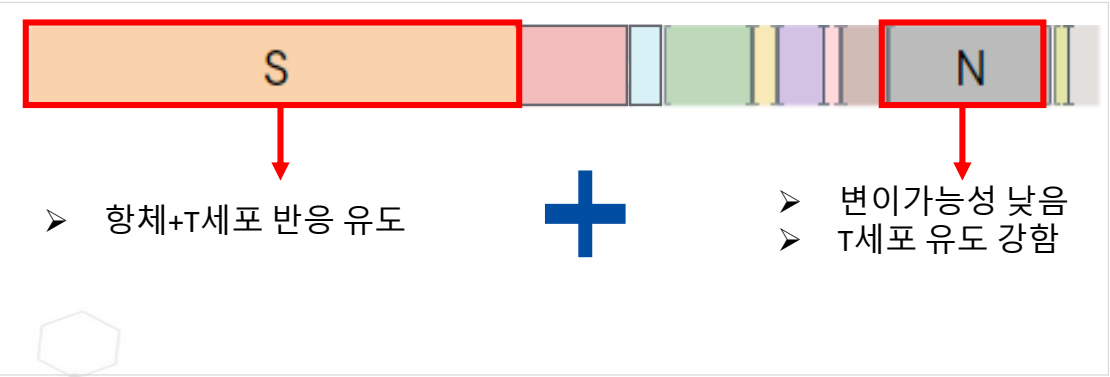
	Completely conservation rate of T cell epitopes	
	Spike	Non-spike
CD8+ epitopes (Tarke et al. [2])	88.4%	98.3%
CD8+ epitopes (Saini et al. [3])	88.9%	98.1%
CD4+ epitopes (Tarke et al. [2])	80.4%	94.7%

-
- ❖ T 세포 epitope는 오미크론을 포함한 다양한 변이에서 동일한 수준으로 반응
 - ❖ GX-19N 강력한 T세포 면역반응 유도해 다양한 변이 방어 가능

GX-19N 부스터샷 개발 전략

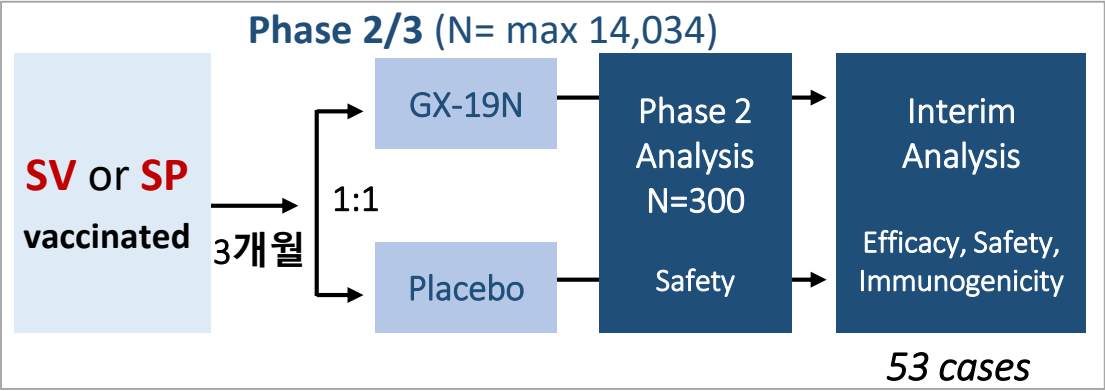
◆ 기존 백신 대비 **최상의 안전성 임상 결과 & 폭넓고 강력한 T세포 유도**로 변이체 방어 가능성 높아

S+N 단백질: 폭넓은 면역반응 유도



면역원성	• Broad & Strong T 세포 반응 • 부스터 접종시 향상된 중화 항체 반응 유도
안전성	• DNA 백신 플랫폼 활용해 우수한 안전성 확보
안정성	• 2~8도에서 최대 36개월 및 상온에서 3개월 • 보관 및 운송 용이

GX-19N 부스터샷 개발 계획



Development Timeline	
Ph2/3 IND 승인	• 2021.07.07
Ph2/3 IND 변경 신청-부스터샷	• 인도네시아 EC 변경 승인 (2021.09.15) → IND 변경 신청 • 아르헨티나 EC 승인 (2021.10.15) → IND 신청 • 중간 분석 (53 cases) 통해 방어 효능에 대한 PoC 확인 • 타백신 플랫폼으로 임상 확대 예정

T세포 면역반응 비교: AZ & 부스터 백신 효과

◆ SARS-CoV-2 특이적 T 세포 면역반응:

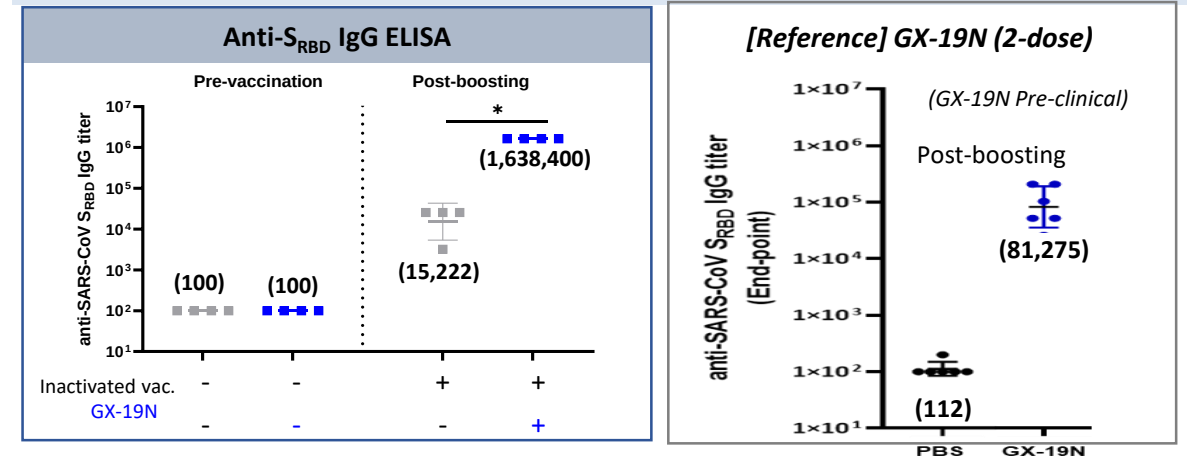
❖ 제넥신 (HV=53) vs AZ (HCW=15)

❖ IFN- γ ELISPOT (MabTech Kit) 결과

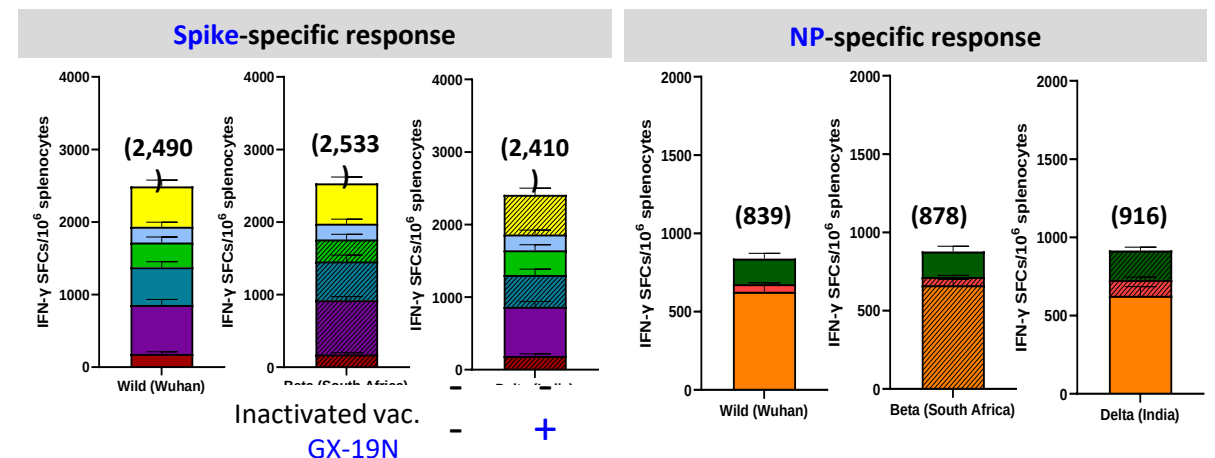
- PBMC : sampling 2 weeks after 2nd vaccination in both
- OLP pool : WT SARS-CoV-2 (vaccine sequence; S1~6. N1~N3)
- 24 h incubation

(SFU) IFN γ / 10 ⁶ PBMCs	GX-19N	AZ	P value
S	529	172	p<0.0001
S+N	727	242	p<0.0001

- SinoPharm/GX-19N 중화항체 최대 20배 증가 (vs 19N/19N)



- SinoPharm/GX-19N T세포 면역반응 (vs 19N/19N)

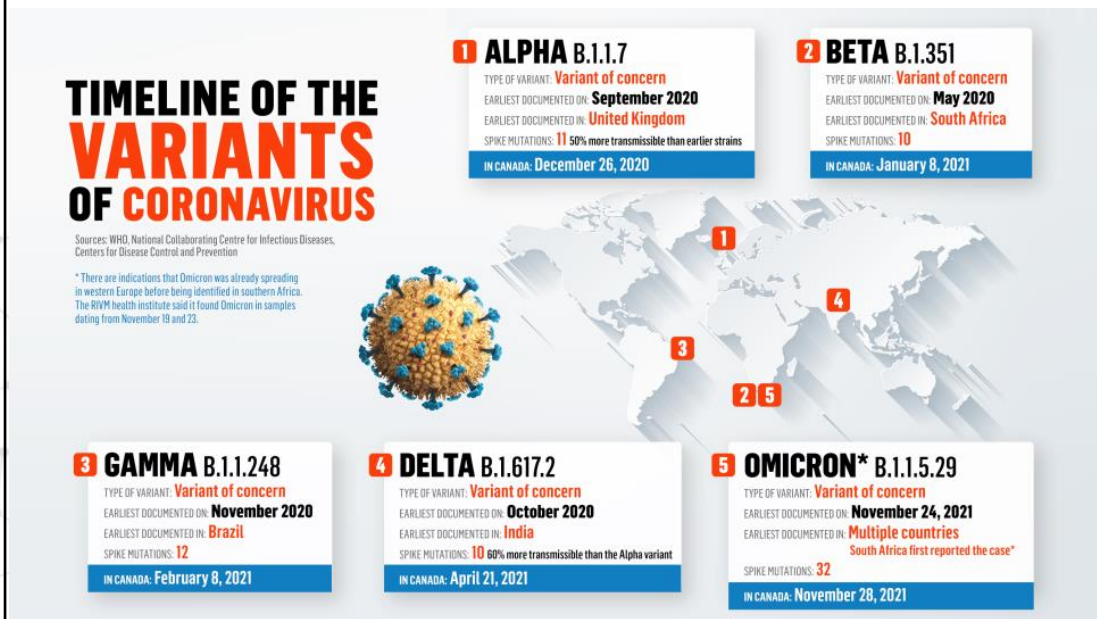


포스트 팬데믹 시대의 T세포 백신 필요

- ◆ 중화 항체의 감소, 중화 항체 회피 변이의 출현 → 변이에 대응 가능한 T세포 백신 필요
- ◆ 부작용 없는 안전한 백신 필요: 심근염, 아나필락시스, 혈소판감소증+혈전증, 갈랑-바레 증후군, 심각한 부작용 사례 여전

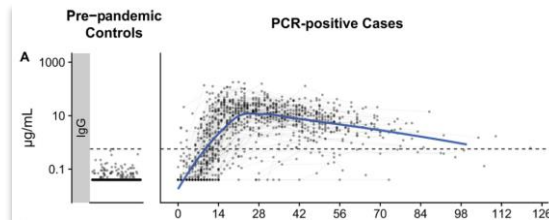
T cell Efficacy to Variants

- ◆ 중화항체 회피 변이체 발생: 기존백신 유도 중화 항체 방어능 최대100배 감소
- ◆ 글로벌 제약사 및 연구진, T세포 면역반응 기반 백신개발: Univ. College of London & Duke, GSK, Vaxart, Nottingham Univ. etc.



T cell Duration vs Ab

- ◆ 백신 유도 중화 항체 6개월 이후 대부분 감소



- ◆ 회복기 환자 10개월 간 추적 관찰결과 T세포 면역 장기간 유지

nature reviews immunology

Explore content v About the journal v Publish with us v

nature > nature reviews immunology > comment > article

Comment | Published: 08 September 2021

T cell-oriented strategies for controlling the COVID-19 pandemic

Ji Yun Noh, Hye Won Jeong, Jerome H. Kim & Eui-Cheol Shin

Nature Reviews Immunology 21, 687–688 (2021) | Cite this article

16k Accesses | 4 Citations | 134 Altmetric | Metrics

SARS-CoV-2와 75% 유사한 SARS-CoV 감염 후 T세포 면역 17년 유지

<https://doi.org/10.1038/s41577-021-00625-9>



GX-E4

Long-acting EPO
Best-in-Class Products

Phase 3 : GX-E4 (지속형 EPO)

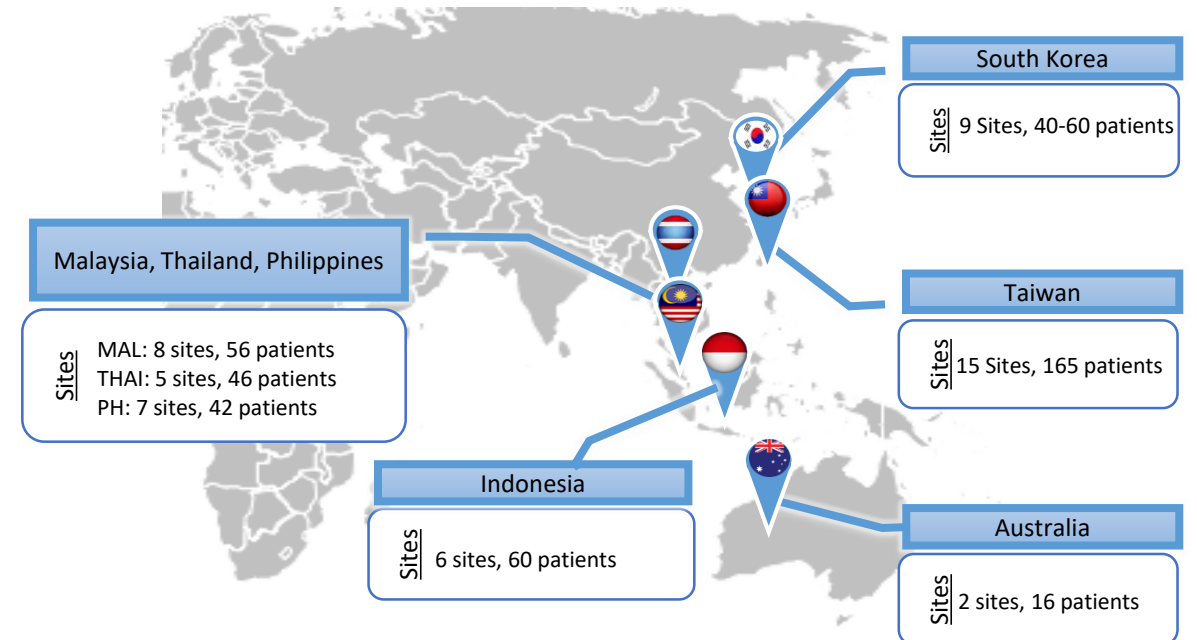
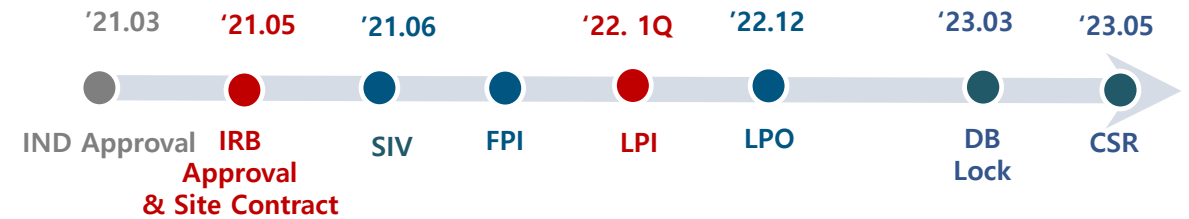
EPO(Erythropoietin) 빈혈치료제

1세대 주 3회 투여	2세대 주 1회 투여	✓3세대 2주1회/월1회 투여
Epogen(Amgen) • 주 3회 주사 • 낮은 투약편의성	Aranesp(Amgen) • 주1회 주사제 • 투약편의성	Mircera(Roche) • 2주1회/1달 1회주사 • 높은 비용

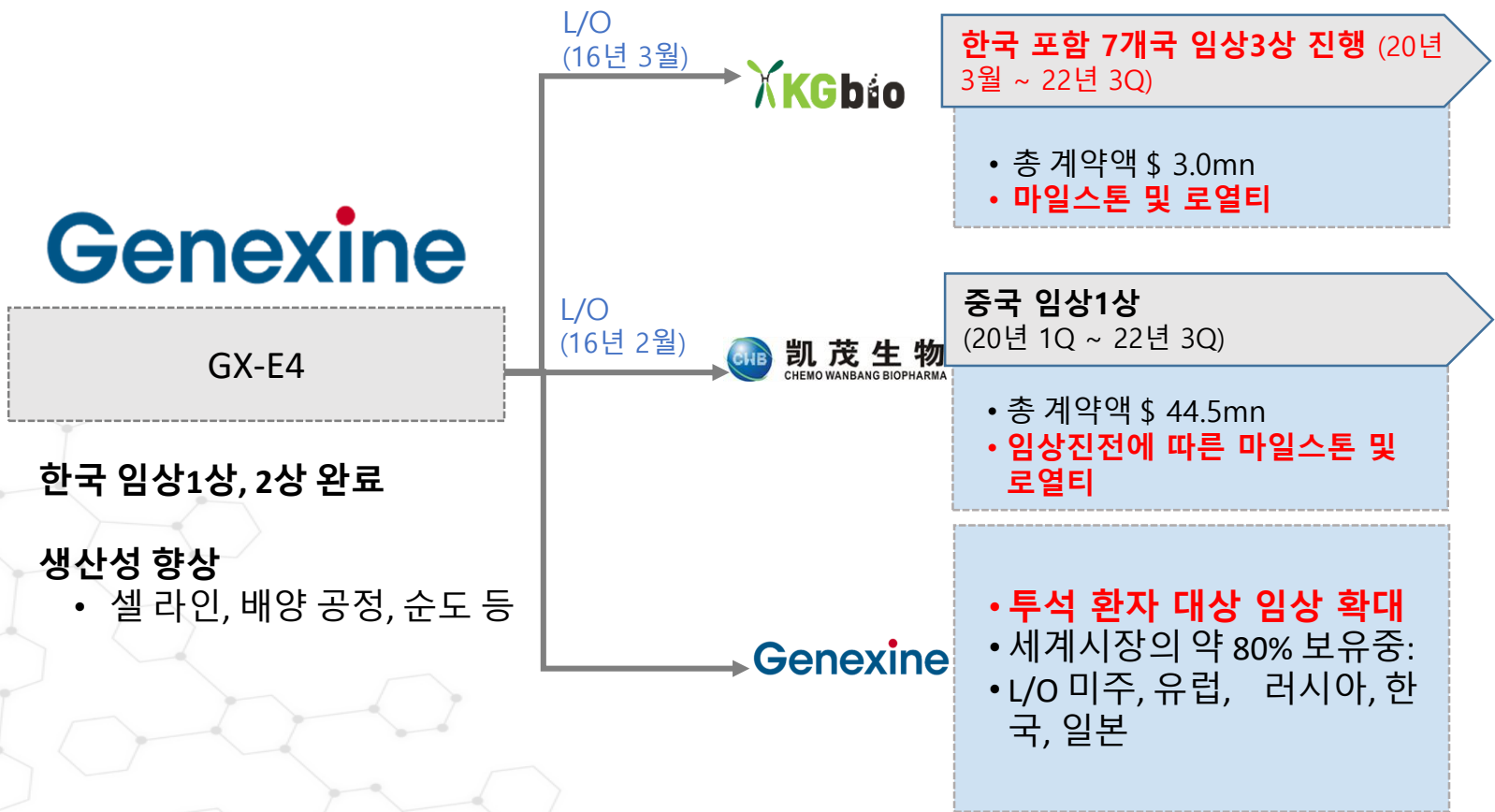
임상 3상

- **총 7개 국가에서 임상3상 진행중 (2020년 3월 ~)**
 - 적응증 : 비 투석 CKD-induced Anemia
 - 한국, 호주, 대만, 인도네시아, 말레이시아, 필리핀, 태국
 - 임상모집인수 : 386명중 331명 모집(1월 기준)**
 - **한국 임상: 9개 사이트 총 40~60명 목표**
 - Mircera 대비 비열등성 효과 검증 중

글로벌 7개국 임상 진행 현황



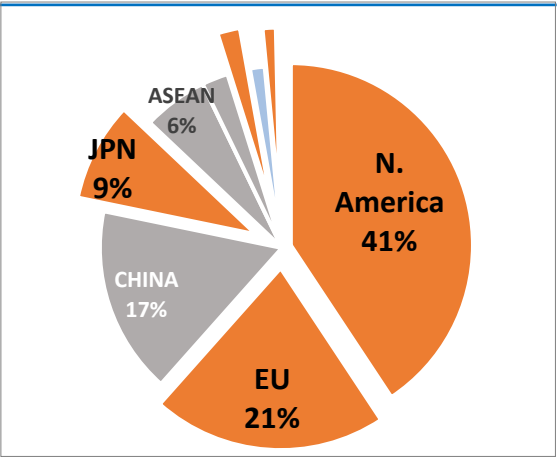
GX-E4 (지속형 EPO) Business Structure



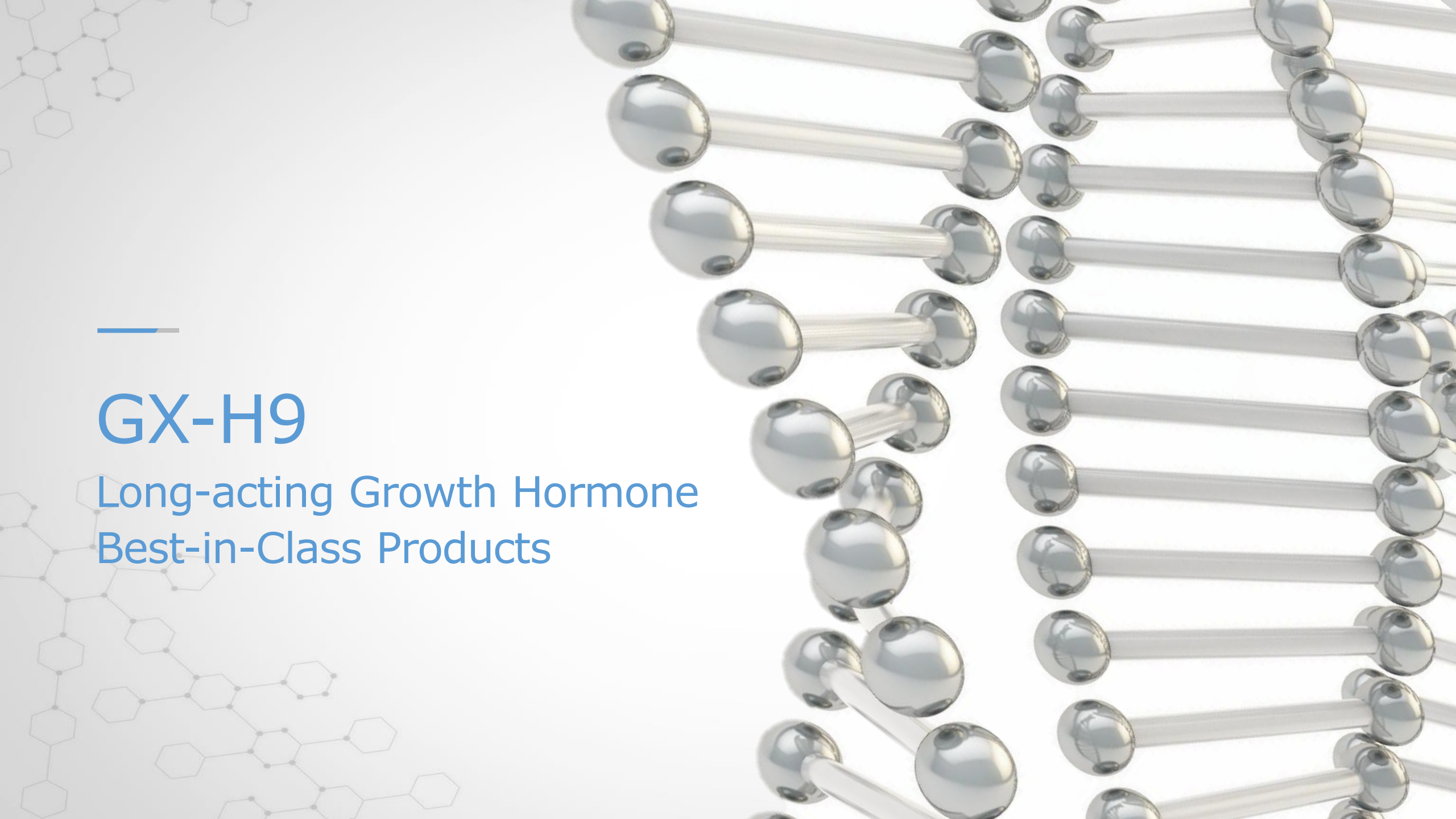
아세안, MENA, 호주, 뉴질랜드

중국
(홍콩, 마카오, 대만 제외)

글로벌 CKD Anemia 2027
제넥신 Territory



Reference: IMS(~2017) + Global Data(HIF-PHi) + Roche Data Base + VIFOR annual report + Amgen annual report



GX-H9

Long-acting Growth Hormone
Best-in-Class Products

Phase 3 : GX-H9 (지속형 성장호르몬결핍증 치료제)

투약 편의성 ↑ = 환자 삶의 질 개선 → 성장률 증가 ↑

연간 365샷



소아 환자 1일 1주사?

- 투여시기 불이행
- 매일 주사의 고통
- 치료효과 감소

Unmet
needs
편의성
지속력

연간 26/52 샷



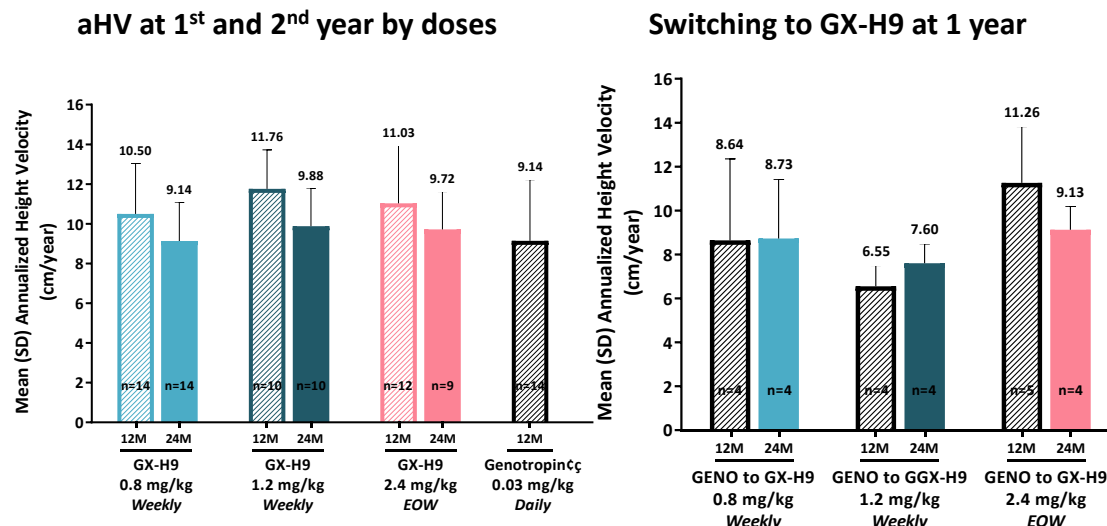
1주/2주 1회 주사

- 매일 주사의 부담감 해소
- 편리성 증대 및 삶의 질 개선
- 치료 효과 향상

● 중국 소아용 성장호르몬 임상3상 진행중

- 3상 승인 : 2020년 10월
- 첫환자투여 : 2021년 2월
- BLA제출 : 2023년 예정
- 임상모집인수 : 165명중 114명 모집(10월말 기준)
- 미국 및 유럽 ODD(희귀의약품) 지정

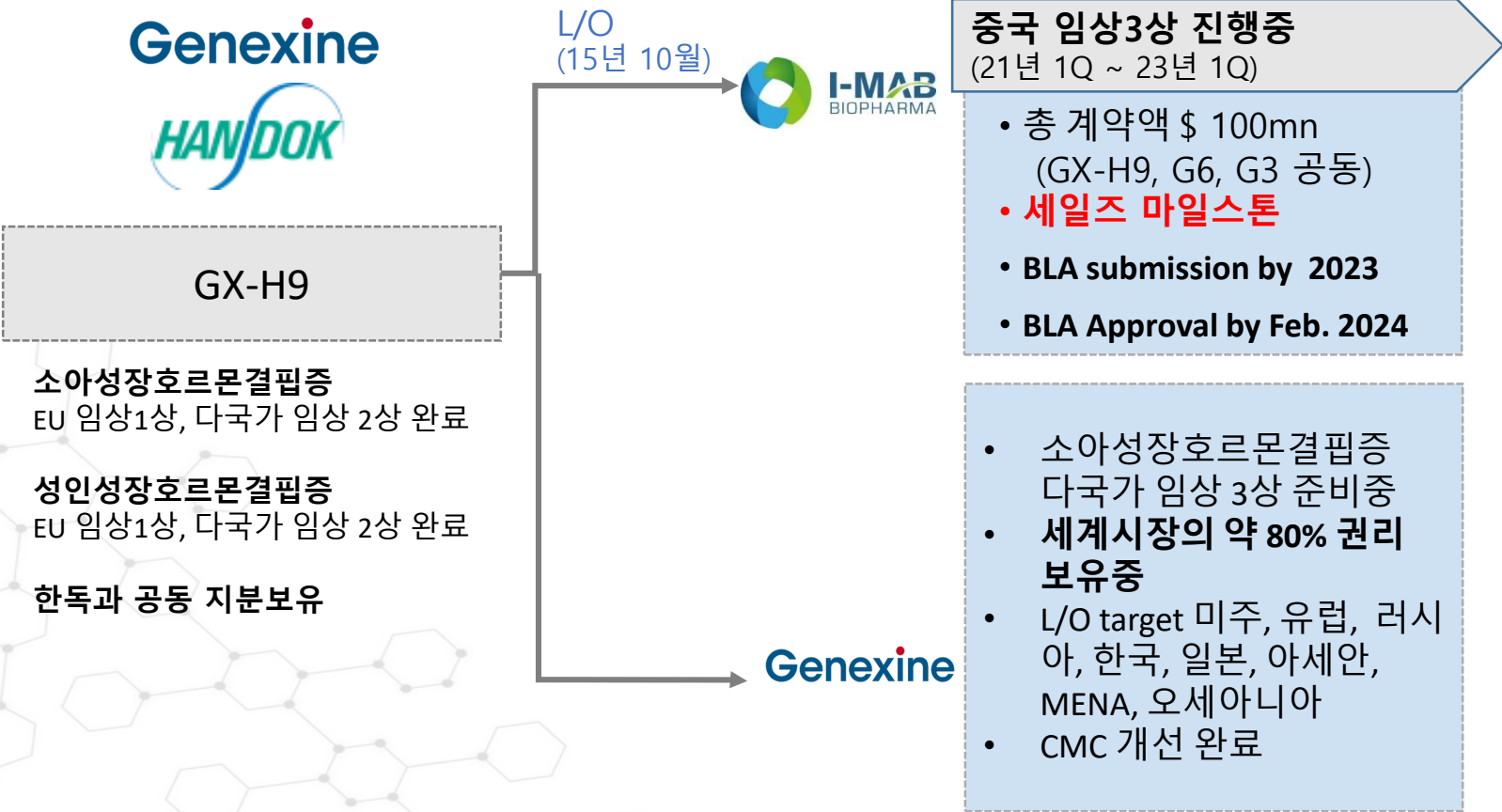
1년과 2년 연평균 키 성장 데이터



- 5~12세 환자 대상 지속형 성장호르몬 주1회 또는 **2주1회 투여**
- 타성장호르몬 → **GX-H9 전환 시 동등 이상 성장성 유지**
- **접종 편의성 위해 펜 타입 주사기 개발**

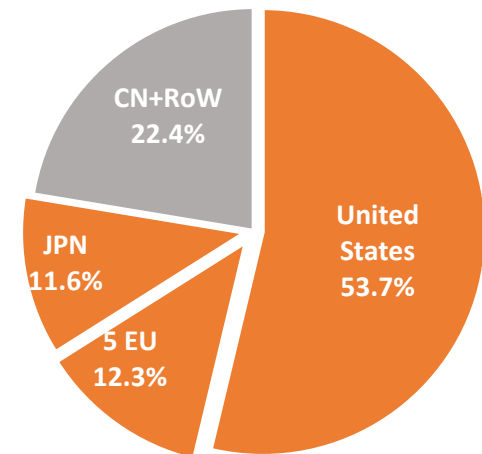
* EOW : Every Other Week

GX-H9 Business Structure

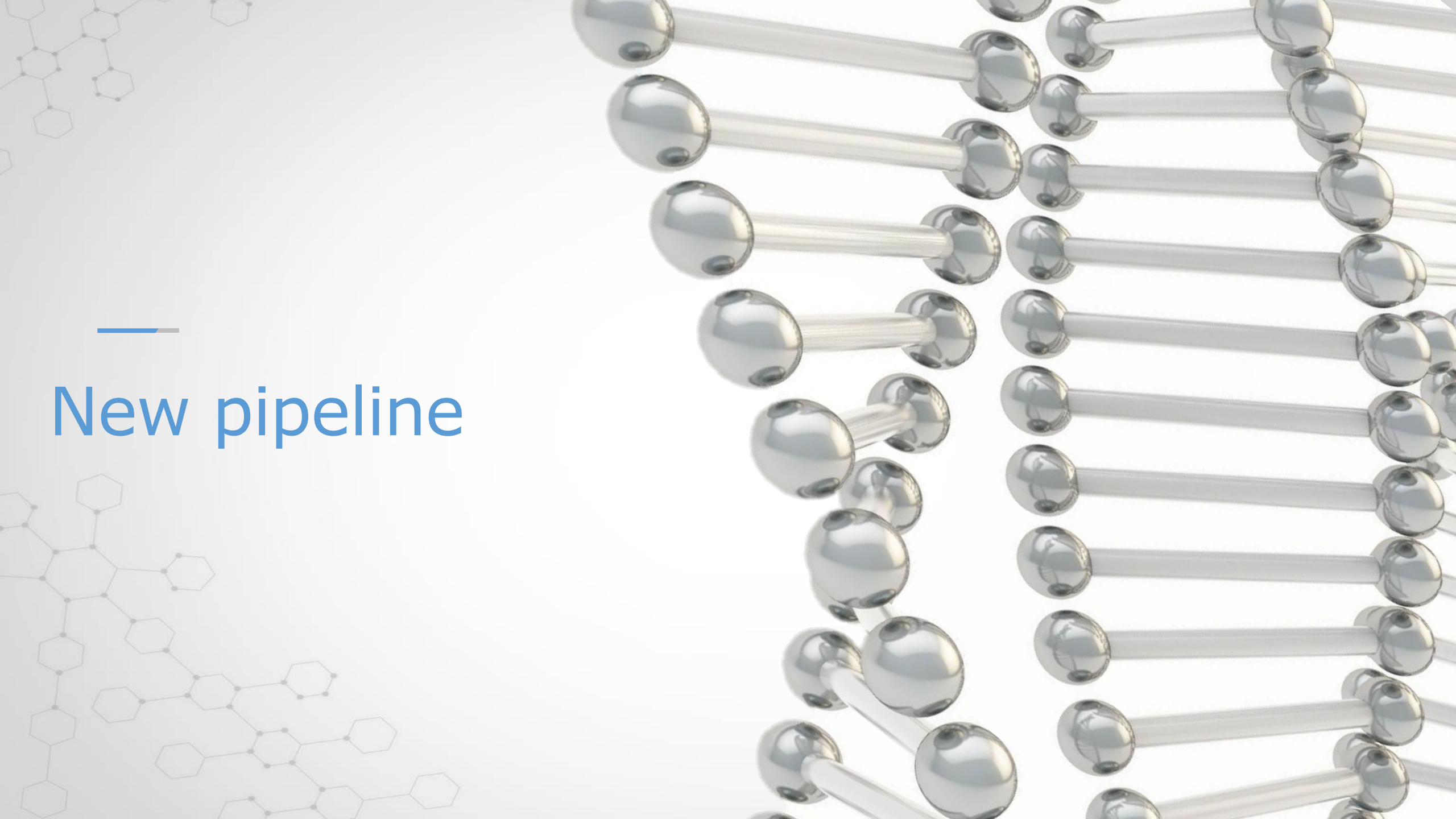


- **중국**
(홍콩, 마카오, 대만 제외)
- **Jumpcan과 상업화 위한 전략적 제휴**(21년 11월)
중국 상업화 가속 전망

Global growth hormone deficiency market 2026



Reference: Global Data + evaluate pharma

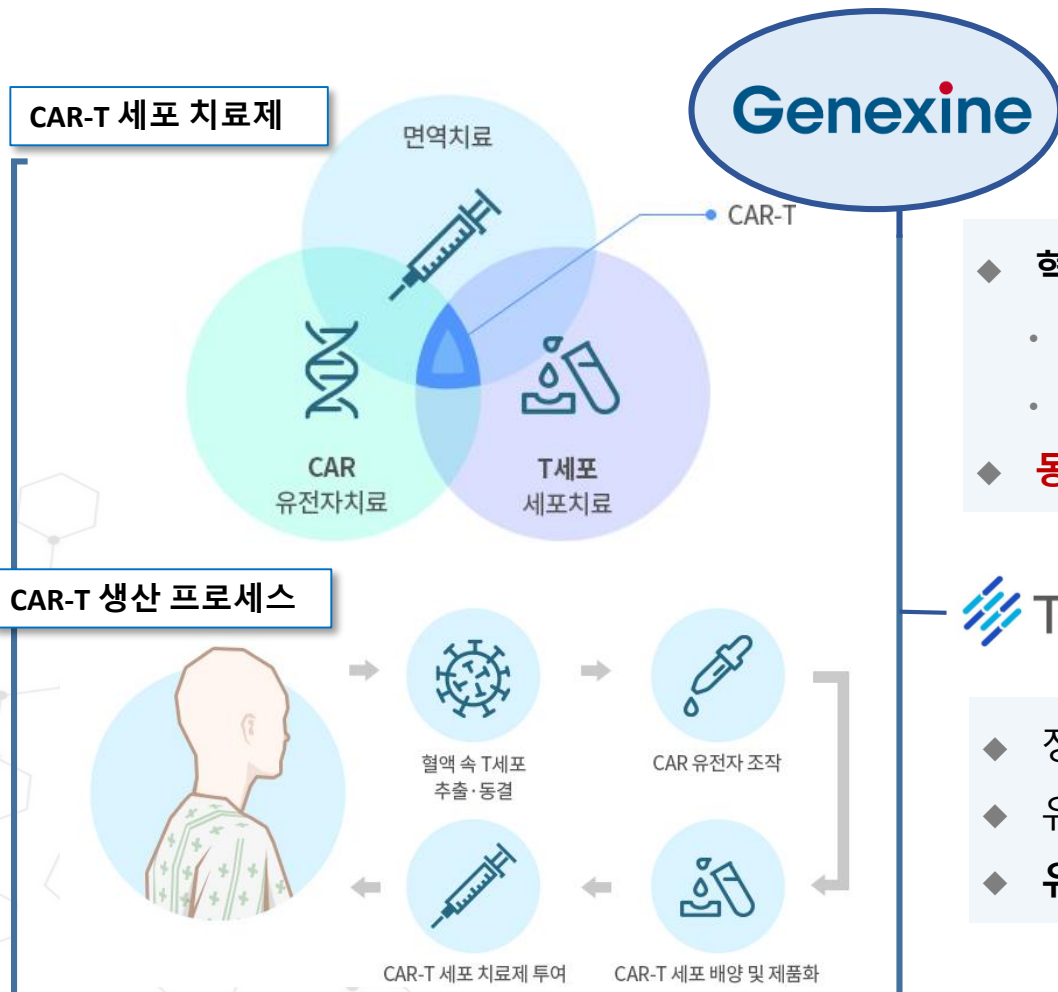


—

New pipeline

신성장 파이프라인의 개발 전략

- Genexine & ToolGen: CRISPR-Cas9기술 활용한 차세대 CAR-T 세포유전자치료제 신약 개발



Genexine

혁신 면역항암제 개발 전문 기업

임상 + 후보 물질 발굴, CMC생산 등 Know-How 보유

- ◆ 혁신 면역항암제 GX-17의 POC 임상 항암효과 입증
 - T_{scm} 50배 이상 증식 (NeoImmuneTech, 2021 SITC)
 - T_{scm} : CAR-T, Autologous T cell, TIL therapy 개발에 가장 중요
- ◆ 동물실험을 통해 CAR-T 와 병용 효능 확인



ToolGen 글로벌 최고 수준의 CRISPR/Cas9 유전자 교정 기술 보유

- ◆ 정확하게 유전자를 교정 (Knock-in/Knock-out)
- ◆ 유전자 고장에 의한 질병의 근본적 치료 가능
- ◆ 유전 질환, 난치병 치료제, 면역항암제 등 다양한 활용



Business Strategy

Investment Highlights: 글로벌 바이오텍 기업으로 제2의 도약



혁신 면역 항암제 GX-17의 폭발적 가능성

- ❖ 글로벌 파트너사와 빅팜(MSD, Roche, BMS)의 3대 면역항암제 병용임상 결과 기대
- ❖ 지속적인 글로벌 기술 수출 도전 ("BIG Deal")



DNA 항암치료 백신 및 바이오-벡터 파이프라인의 상용화

- ❖ 자궁경부암 치료백신 조건부 승인 신청을 목표로 임상 2상 인원 모집 완료
- ❖ GX-E4, H9의 상용화에 한걸음 다가서며 마일스톤과 로열티 수익 목표



신성장 파이프라인 및 안정적 경영전략

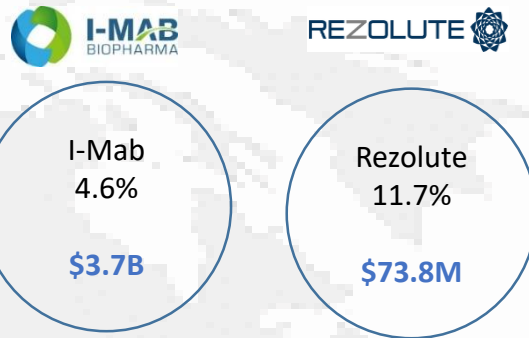
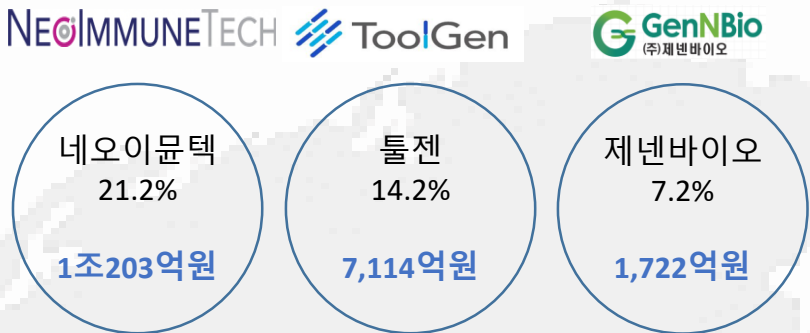
- ❖ 글로벌 전문경영인 체제로 전반적인 경영체계 전환
- ❖ CAR-T 및 새로운 Novel pipeline 개발

글로벌 전략적 파트너십

KOSDAQ

NASDAQ

Listed

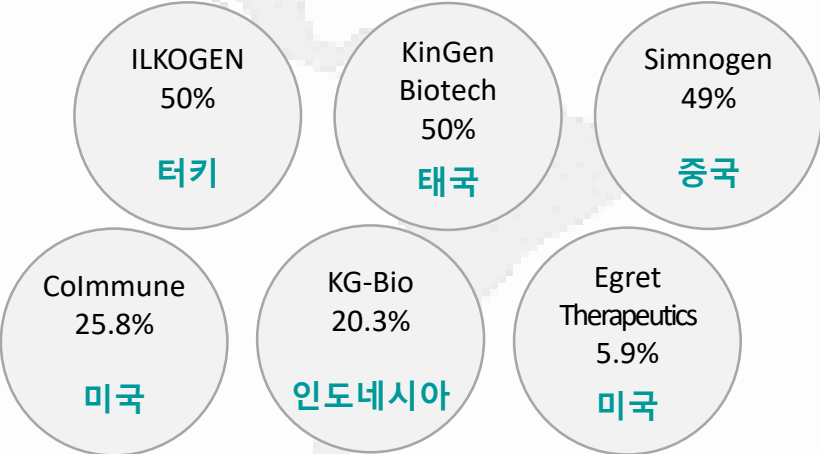
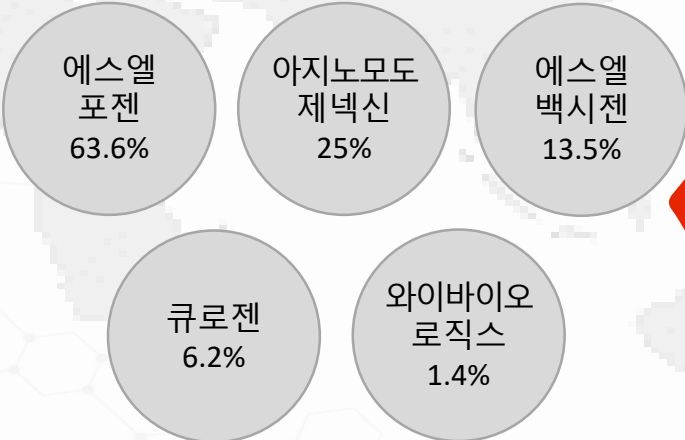


Genexine

제넥신의
오픈이노베이션

제넥신 보유 상장사 지분가치 약 5,443억원
(12월 말 기준)

Unlisted



(As of Nov. 19, 2021, 환율 1.180원)

L/O History

계약일	파트너사	품목	대상지역	총계약액
2014.07	BSK	GX-188E	중국	\$ 5.0mn
2015.06	NeImmuneTech	GX-I7	유럽/미국	\$ 12.5mn
2015.10	I-Mab(Tasgen)	GX-H9, GX-G6, GX-G3 등	중국	\$ 100.0mn
2016.02	CWB	GX-E4	중국	\$ 44.5mn
2016.03	KG BIO	GX-E4	아세안지역	\$ 3.0mn
2017.12	I-Mab	GX-I7	중국	\$ 560.0mn
2020.01	제넨바이오	GX-P1, GX-P10	전세계	\$ 173.6mn
2020.12	Turret Capital	GX-P1	전세계	이그렛 테라퓨틱스 발행주식 5% + \$200mn
2021.02	KG BIO	GX-I7	아세안, MENA, 오세아니아 등	\$ 1,100.0mn

제넥신 기술이전 총액 약 2조 4천억원

임상 개발 목표

- ❖ GX-I7: GX/NIT/I-Mab 조건부 허가를 가장 빠르게 받을 수 있는 적응증에 집중하여 협업
- ❖ GX-188E: 국내 조건부 승인 신청
- ❖ GX-H9 /GX-E4: BLA 허가 신청

Year	Pipeline	Indication	Goal	Current status
2022	GX-188E + Keytruda®	자궁경부암	조건부 승인 신청	한국 임상 2상
	GX-19N	코로나19 예방	53명 중간 결과 도출	인니/아르헨 임상2/3상 신청
2023	GX-I7 +Avastin®	재발성 교모세포종	임상 결과 발표	한국 임상 2상
	GX-I7 + Keytruda®	대장암, 췌장암	임상 결과 발표	NeolImmuneTech 미국 임상 1/2상
2024	GX-E4	만성신장질환으로 인한 빈혈증	BLA 허가	7개국 임상 3상
	GX-H9	성장호르몬 결핍증	BLA 허가	I-Mab 중국 임상 3상
2025	GX-I7 + CCRT/Temozolomide	신환 교모세포종	조건부 승인 신청	I-Mab 중국 임상 2상

The background of the slide is a 3D-rendered abstract pattern. It consists of numerous metallic, reflective spheres connected by thin, cylindrical rods. These elements are arranged in a complex, overlapping, and somewhat chaotic manner, creating a sense of depth and movement. The lighting is soft, highlighting the metallic texture and the reflective surfaces of the spheres.

감사합니다

Genexine, Inc.

Contact

IR/PR

Jongsoo.lee@genexine.com

+82-31-628-2274