



Igniting Fresh Ideas into Reality

Kainos Medicine, Inc.

INVESTOR RELATIONS 2022

Disclaimer

본 자료는 제한된 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서 정보 제공을 목적으로 카이노스 메드 (이하 '회사')에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 이에 대한 재배포는 금지됨을 알려드립니다. 본 Presentation의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며, 제한 사항에 대한 위반은 관련 '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 미래실적은 '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 미래 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 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

본 문서는 주식의 모집 또는 매출, 매매를 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

퇴행성 뇌질환(CNS) 치료제를 개발하는 혁신 신약 개발회사

퇴행성 뇌질환의 근본적 치료를 목표로
차별화된 신약 임상개발 전문 회사



파킨슨병/다계통위축 치료제
연구개발



Exosome 이용 항암제
연구개발



후보물질 최적화
전임상 연구

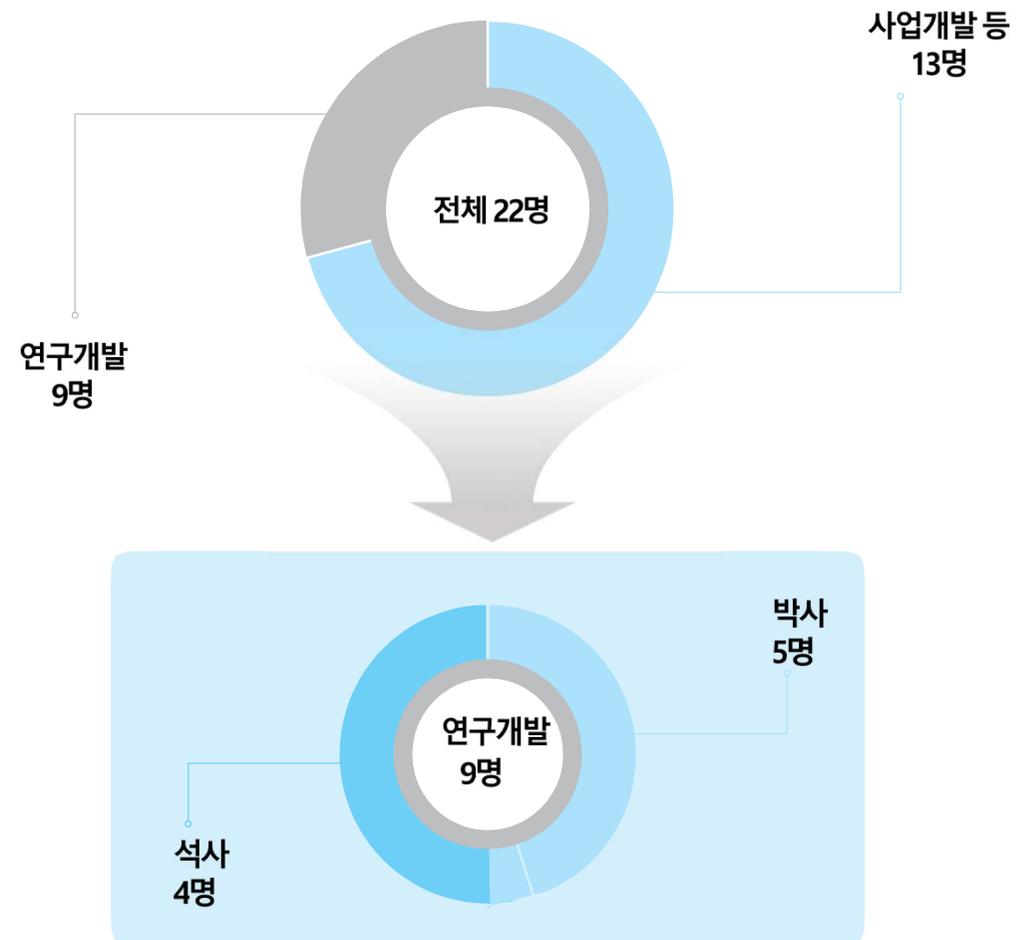
Company Overview

Kainos Medicine, Inc.

Company Profile

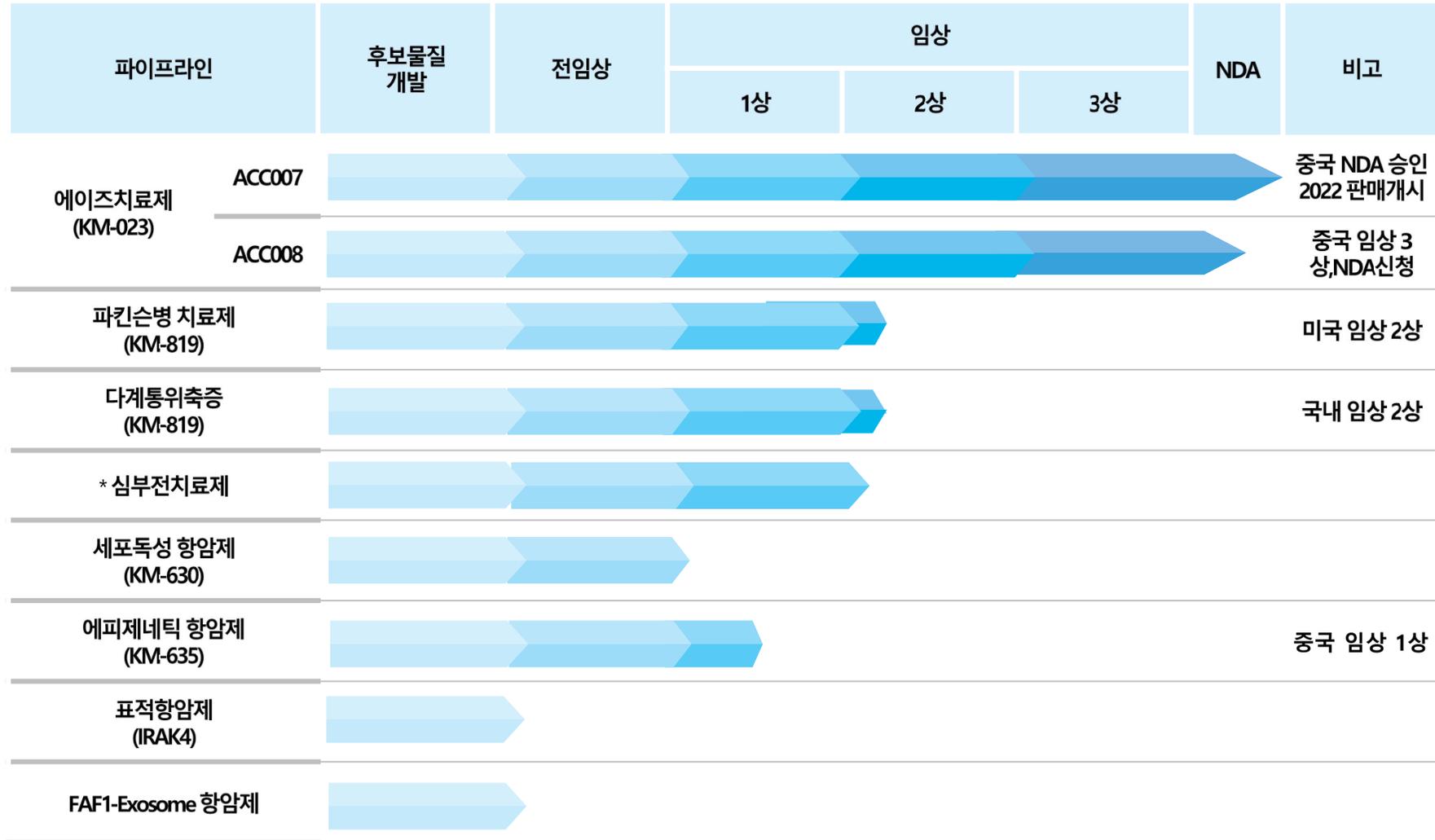
Name	Kainos Medicien Inc
Founded	2007. 6.
대표이사	이기섭
자본금	111.6 억원
임직원수	22명
주요사업	중추신경계, 항바이러스제, 항암제 연구개발
본사 및 기업부설연구소	경기도 성남시 분당구 판교역로 184 JS타워 1101호
홈페이지	www.kainosmedicine.com

인력현황



연구개발 Pipeline

Kainos Medicine, Inc.



*KM-819 적응증 확대

CNS 치료제 KM-819

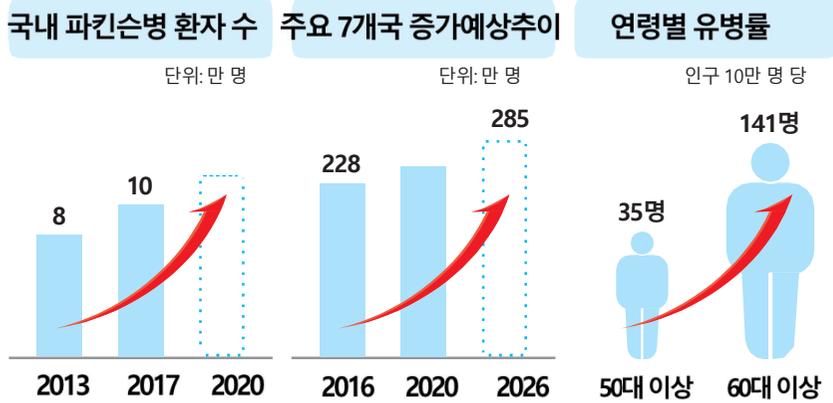
(적응증 : 파킨슨병)



01 | 시장개요

중추신경계 노인성 질환, 알츠하이머 다음으로 많음 (65세 이상의 2-3%)
 전세계 고령화로 커지고 있는 파킨슨병 치료제 시장
 도파민 신경세포의 비정상적 사멸에 의한, 치료제 전무

지속적인 환자의 증가 추이



경쟁업체 파킨슨병치료제 개발 현황

구분	이름	기작	임상진행사항
카이노스메드	KM-819	FAF1 저해제	임상 2상
Denali Therapeutics	DNL151	LRRK2 저해제	임상 1b상
디앤디파마텍	NLY01	GLP-1 agonist	임상 2상
UCB/Neuropore	UCB0599	a-Syundein 응집 저해	임상 2상
Roche/Prothena	RO7046015 PRX-002	a-Syundein 응집 저해	임상 2b상 (2a상에서 1차 평가 지표 미충족)

글로벌 주요 7개국 파킨슨병 치료제 시장 규모 (증상완화제)



출처: Global Data, 2021

질병조절치료제 개발의 필요성과 의학적 미충족 수요가 큼

- 기존 증상완화제가 시장을 차지하고 근본적인 치료제는 전무함
- KM-819 개발 단계는 경쟁개발 업체와 비슷
- 대부분 글로벌 제약사는 알파시누클레인 응집저해를 타겟으로 한 치료제 개발
- 알파시누클레인을 직접 타겟하는 Biogen, GS 를 타겟하는 Sanofi의 임상 2상 자발적 중단 이후 KM-819와 같은 신경세포보호/알파시누클레인 동시 접근 방식 주목받고 있음



치료제 시장: 10조 이상 가능

03 | KM-819의 작용기전: 도파민신경세포보호 및 α -synuclein 제거 Kainos Medicine, Inc.

FAF1 (FAS-Associated Factor 1) 을 타겟으로하는 새로운 기전의 근본적 치료제

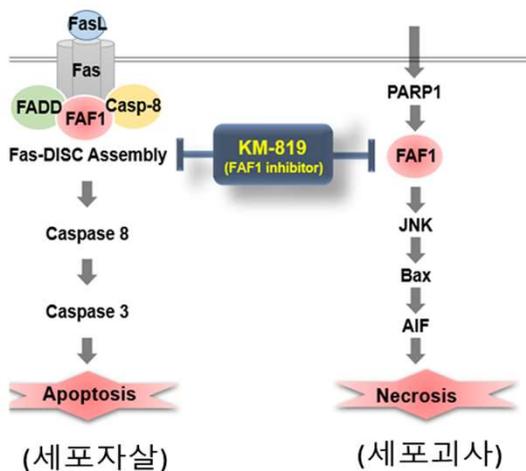
FAF1 : 세포사멸 촉진

- ✓ FAF1은 세포자살, 세포괴사의 두 pathway에 관여해 세포의 죽음을 촉진
- ✓ FAF1의 비정상적인 과발현, 과활성화는 비정상적 세포죽음 야기
→ 퇴행성 뇌질환의 원인
- ✓ 파킨슨병 환자의 뇌조직은 FAF1이 정상보다 과발현되어 있음이 논문을 통해 밝혀진 바 있어 파킨슨병과 FAF1의 상관관계가 규명되었음
- ✓ 카이노스메드의 FAF1 저해제는 신경세포의 사멸을 막음으로 관련 질환의 근본적 치료제가 될 수 있음

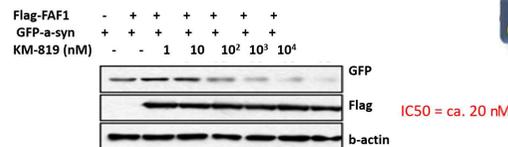
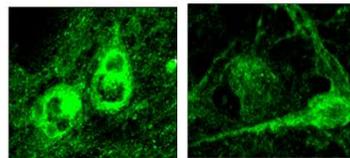
FAF1 : Autophagy 활성화 감소

- ✓ Autophagy는 기능이 저하된 세포소기관, a-Synuclein 같은 변형된 단백질을 제거하는 인체의 시스템
- ✓ FAF1의 과발현 → Autophagy의 활성화 감소 → a-Synuclein 분해 저해
→ a-Synuclein 축적 → 파킨슨병 발병
- ✓ FAF1 저해제를 통해 Autophagy 활성화로 a-Synuclein 분해 촉진

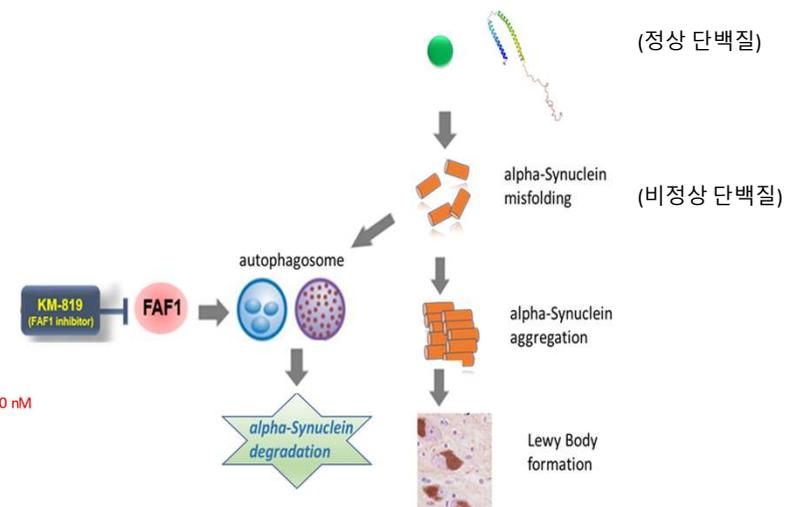
신경세포보호 (신경세포 사멸 저해)



Non-PD PD(파킨슨환자)



알파시누클레인분해 (축적 저해, 오토파지 증가)

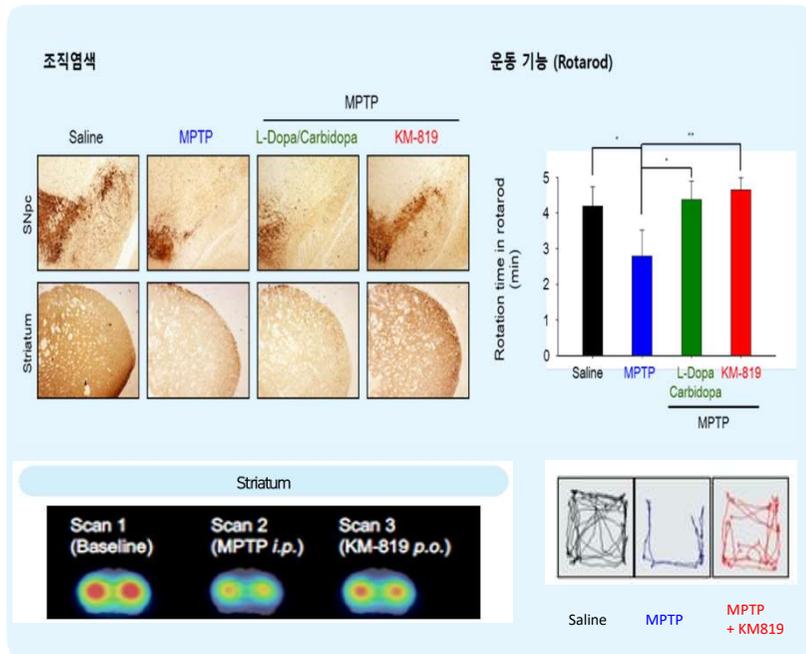


출처: FAF1 is overexpressed in PD patients' brain, substantia nigra neurons. Neurobiol. Dis(2008) 31;309-15

04 | 효능 결과 - 전임상 및 임상1상

🧬 동물실험에서 효능 확인

- ✔️ MPTP 동물모델에서 신경세포 보호 효능 확인
- ✔️ MPTP 동물모델에서 행동저해 증상 개선 효능 확인

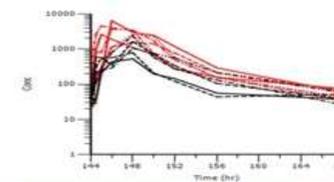


신경세포 보호 효능 : 50-100% 효과
알파시뉴클라인 축적 저해 효능
IC₅₀=20 nM 로 매우 강함

🧬 임상 1상 ('18.6월 Final Report Issued)

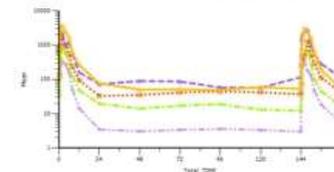
- ✔️ 투여량에 따라 노출(Cmax, AUC)이 비례하여 증가
- ✔️ 노인층에서 비교적 높은 혈중농도 관찰
- ✔️ 중대한 이상반응이나 이로 인한 중도탈락 없음

젊은층과 노인층의 PK 비교



	Young	Elderly
Cmax(ng/mL)	1111	3231
AUC0-t(17ng·h/mL)	8023	16250

반복투여군의 KM-819 Plasma 농도



파킨슨병 발현이 높은 노인층에서 높은 혈중농도
(환자에서의 효능 기대가 큼)

우수한 안전성 확보
(장기 복용 가능)

KM-819의 뛰어난 임상 PK 및 안전성 확인
적정 투여량 결정

임상2상 준비

2021.10 ~ 2022.03

2021년 10월 美FDA IND 신청
2021년 11월 美FDA IND 승인
임상 개시 준비(Cohort 선정 등)

1차 투여량 결정 시험

2022.7 ~ 2022.12

용량증가 시험 (임상1상 안전성 우월)
건강한자(18명) 및 파킨슨병 환자(24명)을
대상으로 200mg / 400mg / 800mg
(하루 한번 7일간 구강 복용)
환자 스크리닝: 2022.07
약물투여: 2022.08 (2022.08.09 투여 시작)

2차 파킨슨병 환자 대상 투여

2023.1~2025.4

환자대상 약물 치료시험
파킨슨병 환자 288명 대상, 2년간 투여 (글로벌 파마 수준의 임상,
통계적 유의성 결론 가능)
GBA변이 환자 20~50% 포함 예정
- GBA변이 환자와 일반환자의 비교(GBA변이의 경우 희귀질환 치료제
가능)
UPDRS 등 여러 endpoint 설정
글로벌파마의 **Wearable App** 을 endpoint/biomarker 로 도입 추진

CNS 치료제 KM-819

(적응증 : 다계통위축증; MSA)



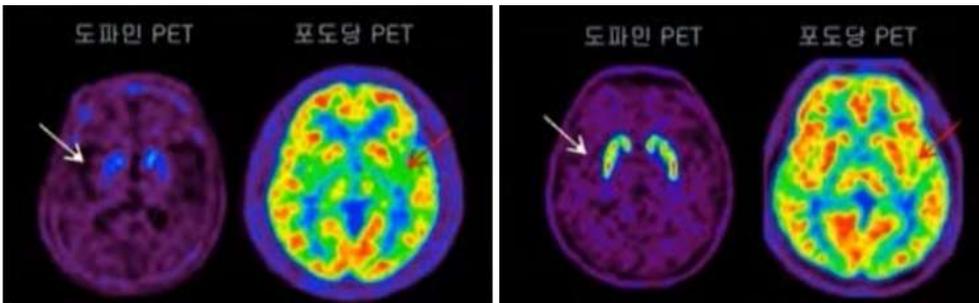
01 | 질환 개요

다계통 위축증(Multiple System

- ✓ 신경세포를 지원하는 **신경(아)교세포**의 소멸로 발생 (Striatum)
- ✓ a-Syundein의 과발현이 신경조직의 탈수초화(Demyelination) 및 세포 사멸에 영향
- ✓ 운동장애(파킨슨 증상)과 자율신경계 증상 (MSA-P 타입), 소뇌장애 증상 (MSA-C 타입)의 조합이 특징

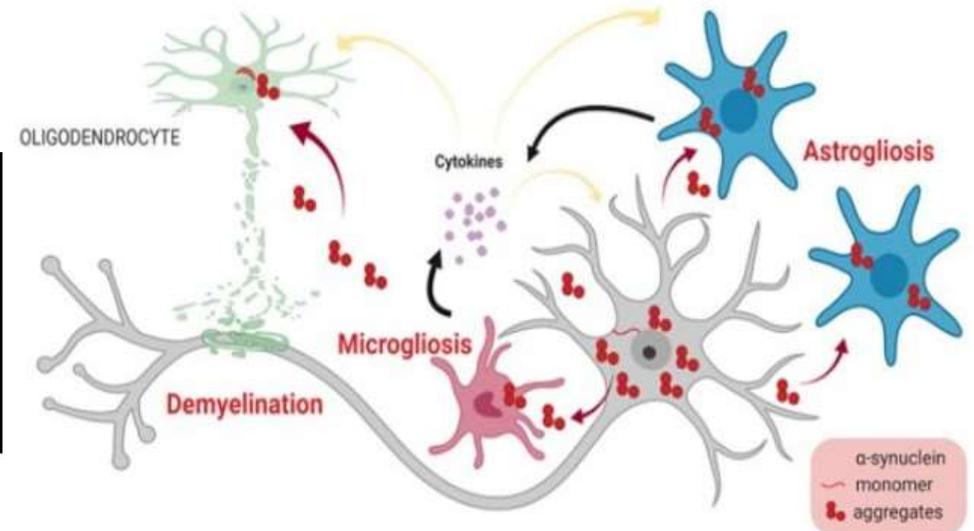
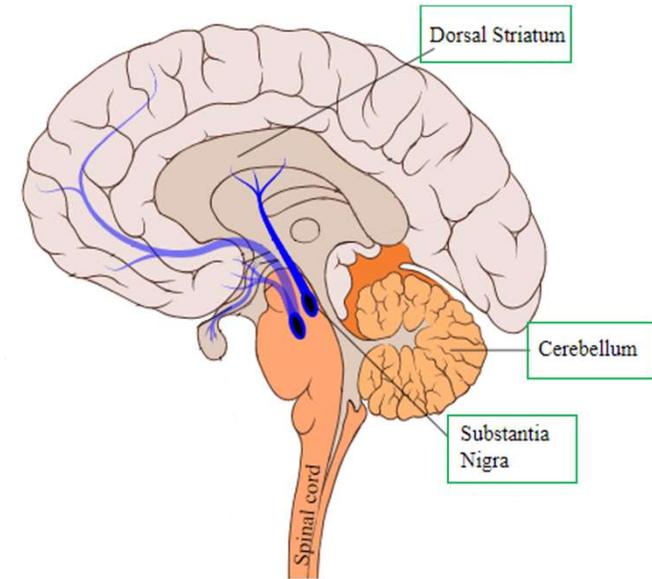
특발성 질환 (Idiopathic)

- ✓ a-Synudein 축적 외 다른 원인이 밝혀지지 않은 특발성 질환
- ✓ 초기 증상이 파킨슨병과 유사하여 구분이 어려움
- ✓ 일반적으로 파킨슨병 약물이 효과가 없음
- ✓ 파킨슨병 대비 증상 진행이 빠르고 첫 징후 증상 이후 평균 8년 생존



< MSA 환자 >

< 정상인 >



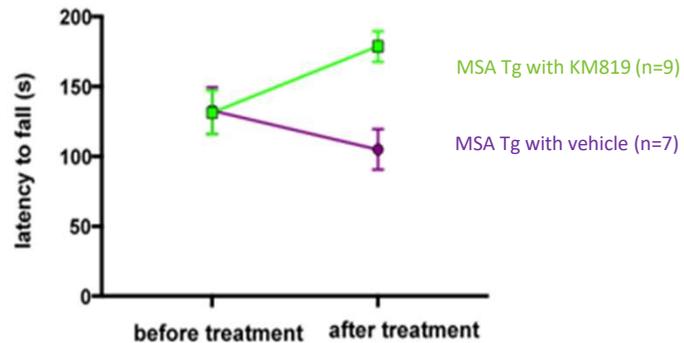
출처: Models of multiple system atrophy. Experimental & Molecular Medicine, 18 Nov 2019, 51(11):1-10

02 | 효능 결과 - 전임상 (MSA 동물모델)

Kainos Medicine, Inc.

▶ KM-819가 다계통 위축증으로 인한 행동장애를 개선시킬 수 있다는 상관관계를 동물 모델을 통해서 확인

<회전대 테스트 (Rotarod)>



KM-819 처리군이 대조군에 비해 60% 이상의 차이로 유의미한 행동개선을 보임

<alpha-synuclein 감소 (>70%)>

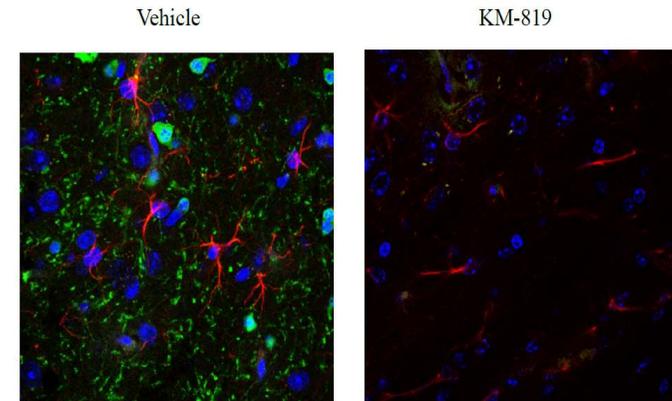
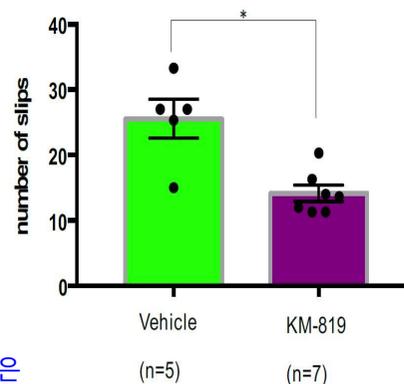


Figure 6. Immunohistochemistry for synuclein in MSA transgenic mice with vehicle or KM-819 (Anti alpha-syn: green, anti GFAP: red, DAPI: blue)

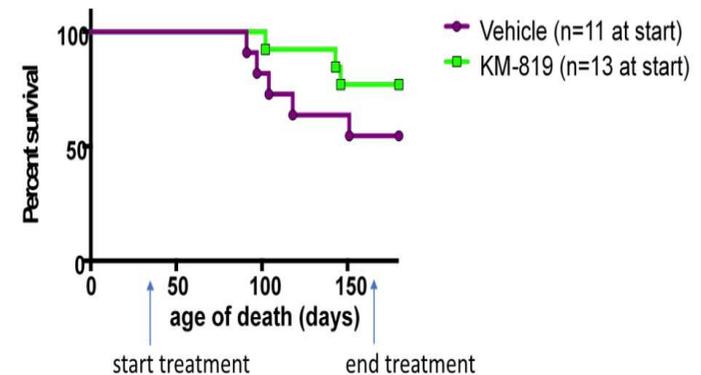
<빔균형 테스트 (Balance Beam)>



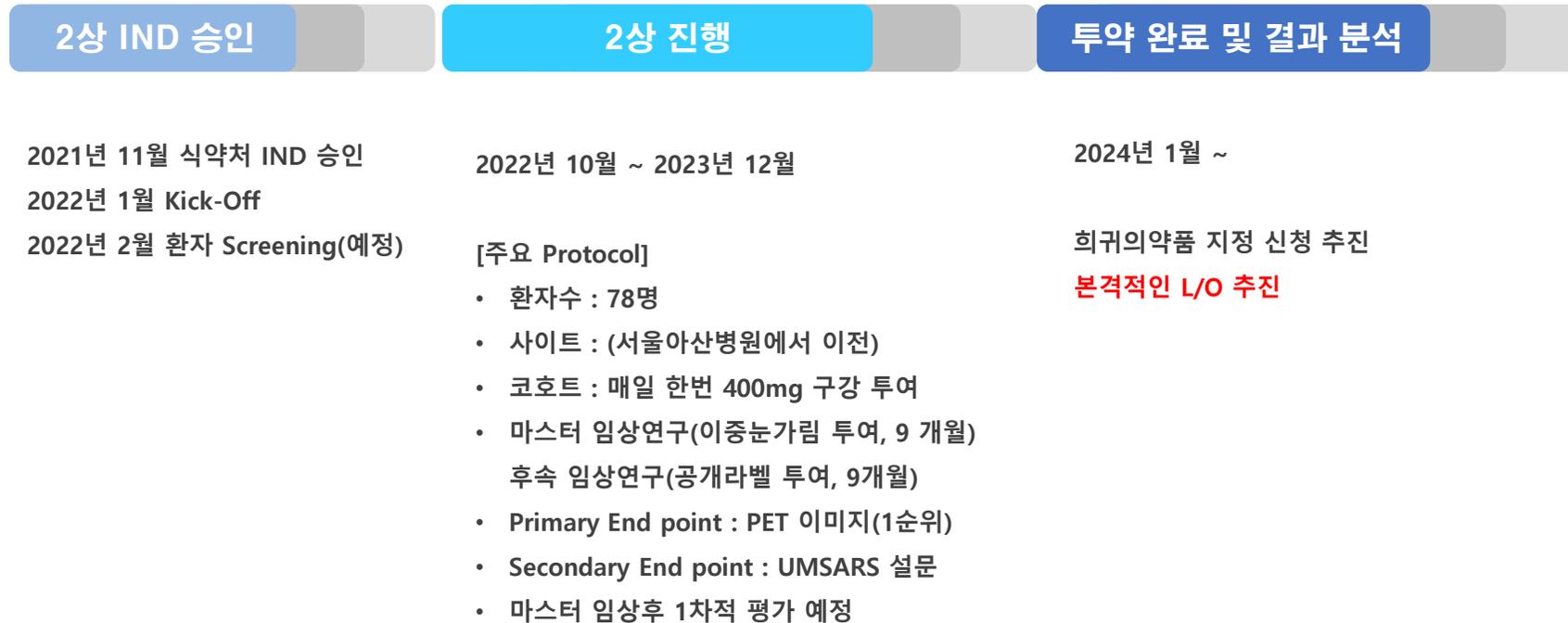
빔 균형 테스트에서 KM-819처리군은 대조군에 비해 45% 정도의 행동개선을 보임



<수명연장>



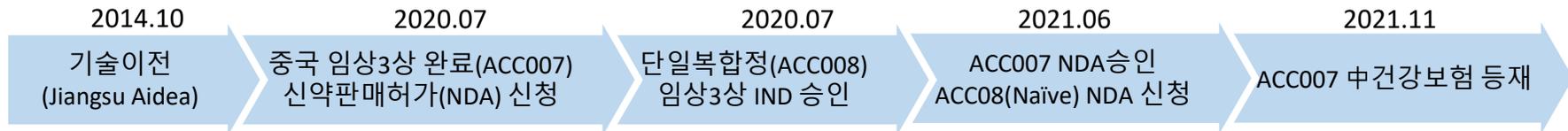
파킨슨병 치료제 KM819의 적응증 확대 / 희귀질환으로 빠른 임상 진행 가능



에이즈 치료제 KM-023



임상1상 후 2014년에 중국 'Jiangsu Aidea Pharmaceutical'로 기술이전 중국 정부 "에이즈, 4대 중증 질환"...Fast-Track Review 지정으로 빠른 임상 진행



🧬 KM-023 임상3상 완료(2020. 07)...NDA(2021.06)

- ✓ 시험군: KM-023(ACC007) 150 mg/3TC 300 mg/TDF 300mg
- ✓ 대조군: EFV 600mg/3TC 300 mg/TDF 300mg
- ✓ 피시험자수: 에이즈 환자 630명 대상
- ✓ 유효성 평가 변수(대조군 대비 비열등성 조건과 안전성 결과) 충족 → 국가약품감독관리국(NMPA), NDA 승인(2021. 06)

🧬 단일복합정 3상 임상시험 (2021. 10)

- ✓ 에이즈 환자 대상으로 단일복합정의 안전성과 유효성을 대조군과 비교
- ✓ 시험군: KM-023 150 mg/TDF 300mg / 3TC 300 mg (ACC008, STR)
- ✓ 대조군: DTG 50mg/ABC 600 mg/ 3TC 300mg
- ✓ 피험자수: 에이즈 환자 총 762명
- ✓ 투여기간: blind 48주 후 NDA 제출, 추가로 open label 48주

🧬 KM-023 유형별 진행 현황

구분	상태	임상 대상자 범위	승인 이후 의사가 처방하는 범위
ACC007 (아이노베린정)	NDA 승인(2021.06) 판매개시 (2022.01)	치료 경험 없는 환자	모든 환자
ACC008 (생동성 시험 완료)	NDA 신청(2021.05)	치료 경험 없는 환자	모든 환자
ACC008 (임상 3상 완료)	NDA 신청 (2022.02 for Supp)	치료 경험 있는 환자	모든 환자

장수아이디 “진단과 치료의 통합’ 서비스...빠른 시장 점유율 확대”

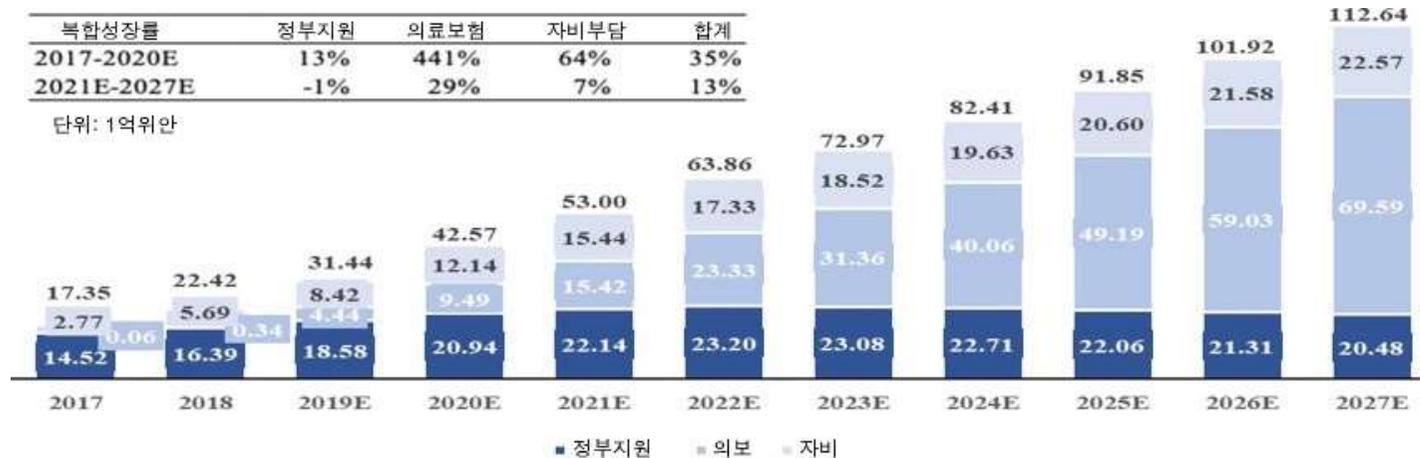


- 2017년부터 Abbott社의 진단장비 및 시약 사업 진행
- 중국 12개 성에 에이즈 관련 유통망을 구축, 자사를 통한 진단 치료 일원화 체계를 구축
- 중국에서 개발된 최초의 경구형 에이즈치료제로서의 경쟁력

중국내 HIV 항바이러스 치료제 시장 규모 전망

복합성장률	정부지원	의료보험	자비부담	합계
2017-2020E	13%	441%	64%	35%
2021E-2027E	-1%	29%	7%	13%

단위: 1억위안



출처: IMS Health & Quintiles / Jiangsu Aidea Pharmaceutical

2022년 중국 HIV 항바이러스 치료제 시장은 약 1.1조원 규모 예상

21년 11월에 ACC007이 의료보험대상으로 등록, 되어 22년부터 실제 매출 발생

중국 에이즈 시장의 40% 목표. 카이노스메드 로열티 약 50-100 억원 예상

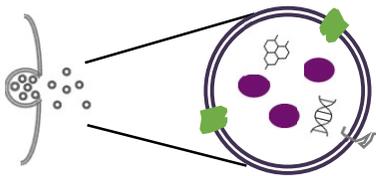
FAF1 항암제



01 | 엑소좀 치료제 시장 규모 및 전망

엑소좀: 차세대 약물전달 플랫폼

- 40-150nm 크기의 세포 외 소포체
- 천연의 세포간 신호전달 물질
- 줄기세포와 LNP의 대체재
- 엑소좀 치료제 시장 연평균 성장률 (CAGR) 22%



엑소좀 기반 치료제의 특징점

엑소좀

- 효율적인 침투율
- 높은 생체 안정성
- 낮은 부작용

VS

Stem cell therapy

- 낮은 생체 안정성
- 비효율적인 침투율

Gene therapy

- 예측 불가능한 부작용

Lipid nanoparticle

- 면역원성
- 생체내 불안정성

엑소좀 치료제 기술거래 현황

date	partnership	Billion \$
21.11. 03.	CODIAK → Lonza	0.06
20. 06. 22.	CODIAK → SAREPTA	0.7
20. 06. 09.	EVOX → Eli Lilly	12.3
20. 03. 26.	EVOX → Takeda	8.8
19. 01. 04.	CODIAK → Jazz Pharm	2.8
18. 04. 20.	PURETECH → Roche	10.0

- 초기 개발 단계에서 5년간 총 3.8조원 규모의 기술거래가 이루어짐

국내외 엑소좀 치료제 개발 진척도



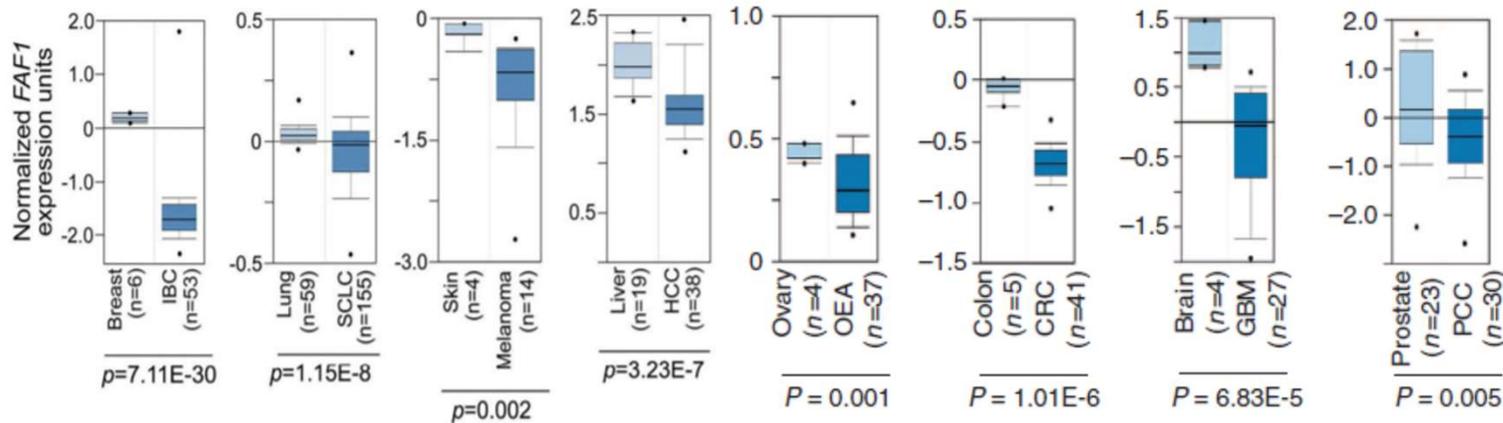
⇒ 글로벌 경쟁사와 개발 시점의 간극이 크지 않음

🧬 FAF1: Wishlist for cancer therapeutics

- ✓ apoptosis & necrosis ✓ anti-angiogenesis
- ✓ cell cycle arrest ✓ autophagy suppression
- ✓ anti-inflammation ✓ anti-metastasis

→ Versatile anti-Cancer Agent

🧬 High clinical relevance: 다양한 암종에서 FAF1 발현이 유의적으로 저하되어 있음



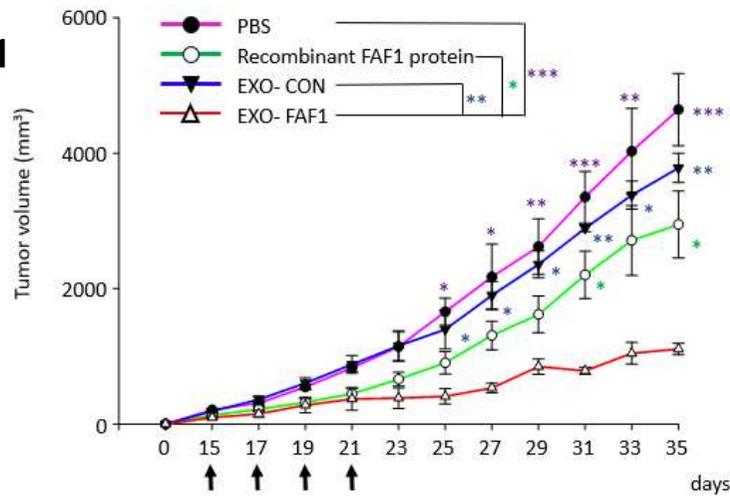
🧬 암세포에서 FAF1의 수준을 증가하여 암세포 사멸을 유도할 수 있음.
 암세포 실험에서 증명하는 결과를 획득하였음

02 FAF1 탑재 엑소좀의 항암 효능의 동물 실험

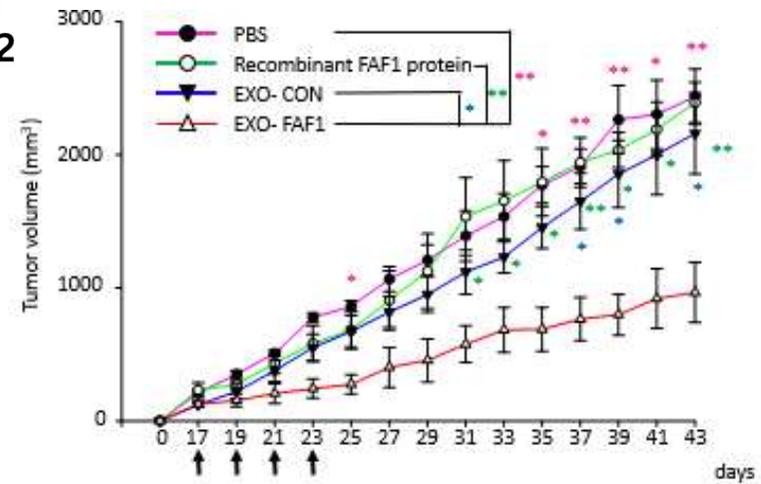
Kainos Medicine, Inc.

다양한 종류의 암 실험에서 (xenograft) 매우 우수한 효능을 보임

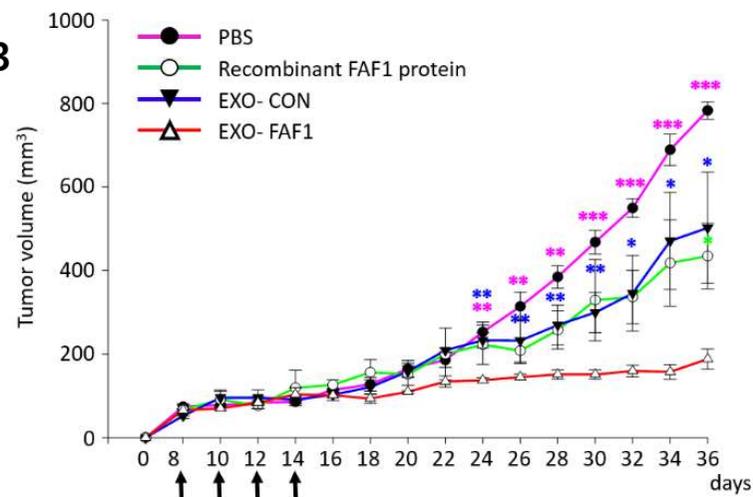
종양
type 1



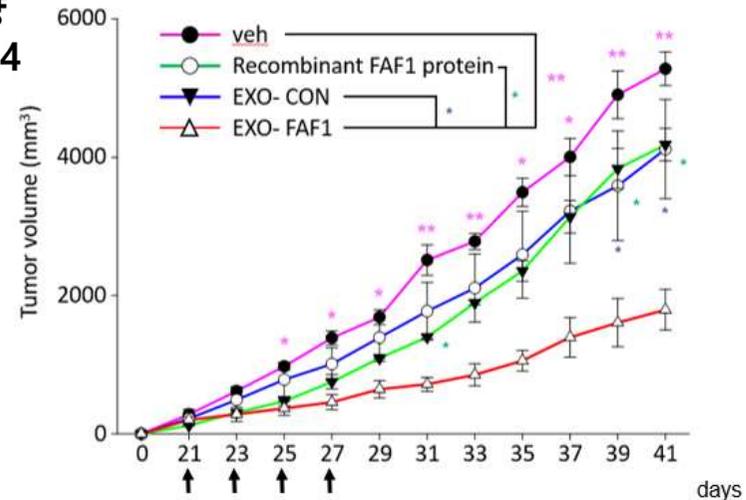
종양
type 2



종양
type 3



종양
type 4



04 | FAF1 항암제 개발계획

국가신약개발사업 선정(Kainos-충남대)



2021.09.01

✓ **엑소좀 치료제 개량 및 플랫폼 구축**

- 표적종양 타겟팅 기능 추가
- 생체 잔여 시간 향상
- Process development
- 엑소좀 분리 방법 확립
- Master cell banking (GMP)
- Formulation study

공동 연구개발 (Kainos-MDimune)



2021.10.28

✓ **전임상 실험 단계 돌입 및 IND 자료 준비**

- PK&PD data 도출
- Toxicity data 도출
- 임상 설계



선도

후보

전임상

IND

임상

03 | 지적재산권 특허현황

Kainos Medicine, Inc.

구분	특허명	PCT, 등록번호	등록/출원 현황
파킨슨병	아미노피라졸 유도체, 이의 제조 방법 및 이를 함유하는 허혈성 질환의 예방 또는 치료용 조성물	PCT/KR/2007/005311	19개국 등록
파킨슨병	Modulators of alpha-synudein (알파시누클레인의 조절 인자, Use Patent)	PCT/US18/38239	14개국 출원
파킨슨병	Salt forms of organic compound (유기화합물의 염화)	PCT/US19/15890	10개국 출원 미국 특허 등록
에이즈	신규 HIV 역전사 저해제	PCT/US2008/007925	10개국 등록
에이즈	HIV역전사저해제의 제조 방법	PCT/KR2010/000464	미국 등록
에피제네틱 항암제	암 치료 및 예방 할 수 있는 성분으로 조성된 브로모도메인 저해제 조성물	PCT/KR2015/003530	17개국 등록/1개국 출원
세포독성 항암제	암 치료를 위한 단쇄 지방산과 사이노 사이타라빈으로 조성된 상호작용 프로드럭	PCT/KR2014/010972	18개국 등록/3개국 출원
비만/당뇨	Compounds as inhibitors of Diacylglycerol o-acyltransferase type 1 enzyme	PCT/KR2013/000954	PCT 출원
항암제	Novel N-(1H-imidazol-2-yl)Benzamide compounds and pharmaceutical composition containing the same as an active ingredient	PCT/KR2020/013397	12개국 출원
항암제	PYRIDINE DERIVATIVES AS IMMUNOMODULATORS	PCT/KR2021/006886	PCT 출원
FAF1-Exosome	FAF1(Fas-associated factor 1)이 탑재된 엑소좀 및 이의 항암제로서의 용도	PCT/KR2022/004475	PCT 출원

Appendix

- 01. 기술이전 및 공동 연구 실적
- 02. 주주구성협력 연구 국내외 파트너사
- 03. 주주구성
- 04. 요약재무제표



01 | 기술이전 및 공동연구 실적

Kainos Medicine, Inc.

구분	파트너사	파이프라인/년도	권리범위	규모(만 달러)
기술이전 및 공동연구	Jiangsu Aide a Pharmaceuti cals	에이즈 치료제 (KM-023)/2014년	중국시장에 대한 전용실시권 부여 글로벌 시장 실시권 보유	170 (로열티 총 매출액 2%)
		에피제네틱 항암제 (KM-635)/2015년	중국시장에 대한 전용실시권 부여 글로벌 시장 실시권 보유	150 (로열티 순 매출액의 10%)
		세포독성 항암제 (KM-630)/2015년	중국시장에 대한 전용실시권 부여 글로벌 시장 실시권 보유	250 (로열티 순 매출액의 10%)
기술이전 및 공동연구	Crown Bio	비만/ 당뇨 치료제 (KM001)/2014년	중국시장에 대한 전용실시권 부여 글로벌 시장 실시권 보유	360 (로열티 순 매출액의 10%)
공동연구/개발	PICC	파킨슨병 치료제 (KM-819)/ 2018년	공동연구/ 공동임상 개발	-
공동연구/개발	UCSD	파킨슨병 치료제 (KM-819)/ 2018년	공동연구	-
공동연구	신테카바이오	파킨슨병 치료제 (KM-819)/ 2018년	공동연구	-
기술이전 및 공동연구	Emmaus	급성백혈병치료제 (KM-10544)/2021년	미국, 유럽, 영국 지역에 대한 전용실시권 이전	150
기술이전 및 공동연구	엠디문	파킨슨병 치료제 항암제 (FAF1-exosome)/2021년	전세계 통상 실시권 확보	-

02 | 협력 연구 국내외 파트너사

Kainos Medicine, Inc.

성공적인 개발과 개발 기술의 가치를 높이기 위해 국내외 협력체제 구축

국내 임상개발 협력기관



PICC와 임상 공동연구 글로벌 파트너



후보물질 공동연구 및 기술도입 연구기관



해외 파킨슨병 치료제 개발 협력기관



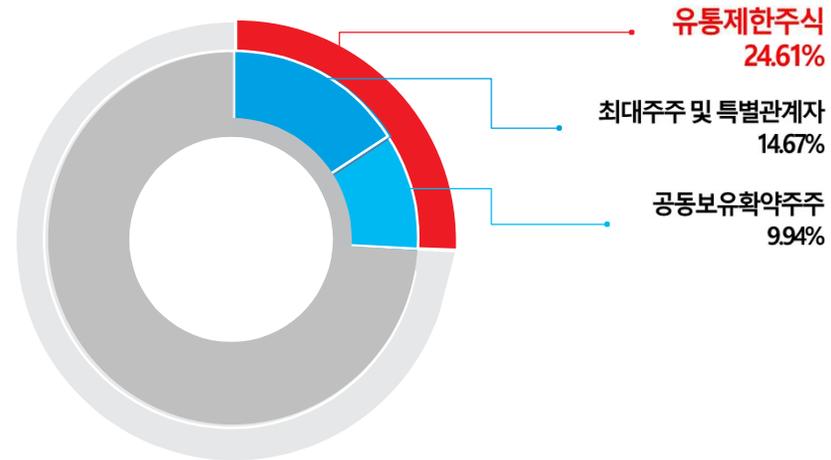
후보물질 창출 공동연구 대학



China Partner



 주주구성



구분		유통제한수량	지분율	보호예수기간
최대주주 등 (특별관계자)	10인	3,275,069	14.67%	36개월(~2023.6.7)
공동보유확약주주	3인	2,217,994	9.94%	
합계		5,493,063	24.61%	

04 | 요약재무제표 (2022.2Q)

Kainos Medicine, Inc.

요약 재무상태표

단위: 백만원

구분	2022 2Q	2021	2020
유동자산	32,160	36,872	31,986
비유동자산	7,375	5,084	2,792
자산총계	39,535	41,956	34,778
유동부채	26,434	25,655	4,167
비유동부채	337	1,701	17,591
부채총계	26,771	27,356	21,758
자본금	11,161	11,028	10,494
주식발행초과금	79,266	76,913	63,951
기타자본구성요소	14,221	9,460	6,995
결손금	(91,884)	(85,298)	(69,087)
자본총계	12,764	14,600	13,020

요약 손익계산서

단위: 백만원

구분	2022 2Q	2021	2020
매출액	28	1,662	-
매출원가	8	2	-
매출총이익	20	1,660	-
판매비와 관리비	5,369	12,879	9,385
영업이익	(5,349)	(11,219)	(9,385)
금융 기타수익	536	336	1,515
금융 기타비용	1,785	5,342	4,892
법인세 차감전 순이익	(6,598)	(16,224)	(12,763)
법인세비용	1	1	(1,315)
당기순이익 (손실)	(6,599)	(16,225)	(11,448)

*코스닥 기술특례상장(2020)으로 재무요건에 관한 상장관리 유예 적용

2024년까지 매출액 30억원 미만 요건 면제

2022년까지 법인세비용차감전계속사업손실 요건 면제

장기영업손실 요건은 계속 면제(기술성장기업)

Kainos Medicine, Inc.

INVESTOR RELATIONS 2022



INVESTOR RELATIONS 2022