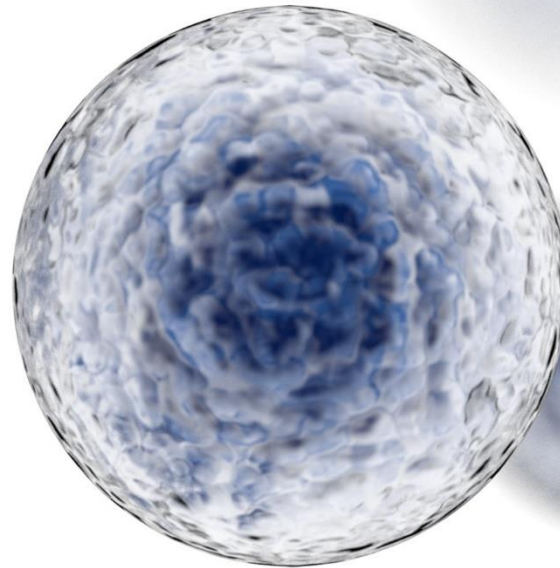




Investor Relations 2022

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 1.

바이오마커 기반의 신약개발, 메드팩토

01. CEO 소개

TGF- β 와 암 연구의 세계적인 석학

300여 편의 논문

네이처 등의 저널에
암, 염증, TGF- β 관련 연구결과 발표

4,200회

TGF- β 연구 논문 인용 횟수한국인 최초
개인 유전체 해독

개인 유전체로 세계 5번째

한국인 위암
유전체 해독한국인의 현미부수체
불안정 위암의 유전체 최초 해독

김성진

대표이사



주요 경력

- 2016.07 ~ 현재 : (주) 메드팩토 대표이사
- 2007.01 ~ 현재 : 미국케이스웨스턴리저브의과대학 초빙교수
- 2021.03 ~ 현재 : 길로 재단, 연구소장
- 2010.04 ~ 현재 : 일본 쓰꾸바 대학 초빙교수
- 2016.07 ~ 2021.02 : 서울대학교 차세대융합기술연구원
정밀의학연구센터 센터장
- 2011.03 ~ 2018.12 : (주) 테라젠이텍스, 부회장
- 2018.01 ~ 2018.12 : 대한암예방학회 회장
- 2010.09 ~ 2016.06 : 차 의과대학교 암연구소 연구소장/연구원장
- 2007.01 ~ 2010.08 : 가천대학교 이길여 암당뇨연구원 원장
- 1987.03 ~ 2007.02 : 미국 국립암연구소 종신수석연구원

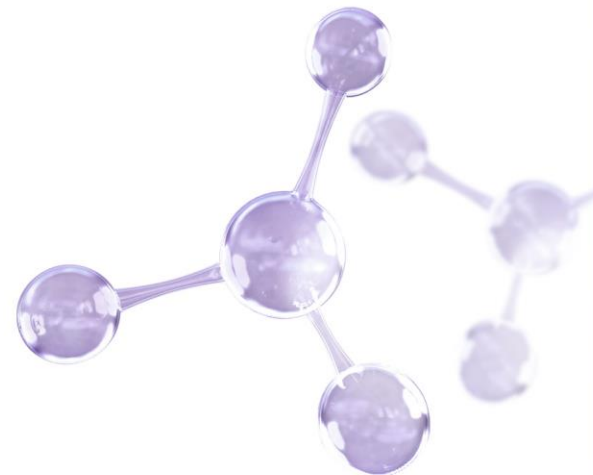
주요 수상 실적

- 호암상 의학상 (2002)
- 자랑스런 강원인상 (2007)
- 상록학술대상 (2008)
- 제6회 동곡학술상 (2011)
- 페루 Congressional Medal (2011)
- 한국분자 세포생물학회
Gold Ribbon Award (2015)
- 일본암학회 국제상 (2017)
(Japanese Cancer Association)



Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 2.

신약 개발 트렌드 변화

- 01. 최근 항암제 개발의 동향
- 02. 항암제 개발 패러다임 변화
- 03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황
- 04. 바이오마커 기반 파이프라인

01. 최근 항암제 개발의 동향

MED·PACTO

암 정복을 위해 기존 항암제의 한계를 극복할 새로운 치료법 개발 필요

의료기술 진화에도 미충족 수요 지속적 발생 (낮은 반응률, 높은 재발률, 내성 발생 등)

기존 항암제	종양만 타겟으로 하는 항암제	환자는 다른데 같은 약을 처방	블록버스터급 단일 신약
	항체치료제, 화학요법제, 표적항암제는 종양세포만을 타겟으로 함	환자의 선별이 없는 평균적인 치료로 인한 낮은 치료율과 높은 부작용	최고 판매량을 달성하는 블록버스터급 신약의 단일 투여
차세대 항암제	종양미세환경의 중요성 (Tumor Microenvironment)	바이오마커가 이끄는 개인 맞춤 치료	병용요법의 새로운 시대
	종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및 진행을 가능하게 하는 환경을 제공 이에, 종양미세환경의 조절을 통해 암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복	암중에 상관없이 바이오마커 발현의 유무로 환자를 선별하여 치료하는 맞춤 치료 시대 도래	최근 항암치료는 종양을 타겟으로 하는 항암제와 종양미세환경을 조절하는 약제의 병용투여에 관심이 많음

종양미세환경
중요성 부각

암은 암 주변의 환경 (종양미세환경)을 조절하여
암의 성장, 전이, 암 줄기세포 형성을 촉진시키고
면역활성을 억제하는 물질을 분비
(대표적인 물질이 TGF- β 1)

차세대 항암 신약 개발기업

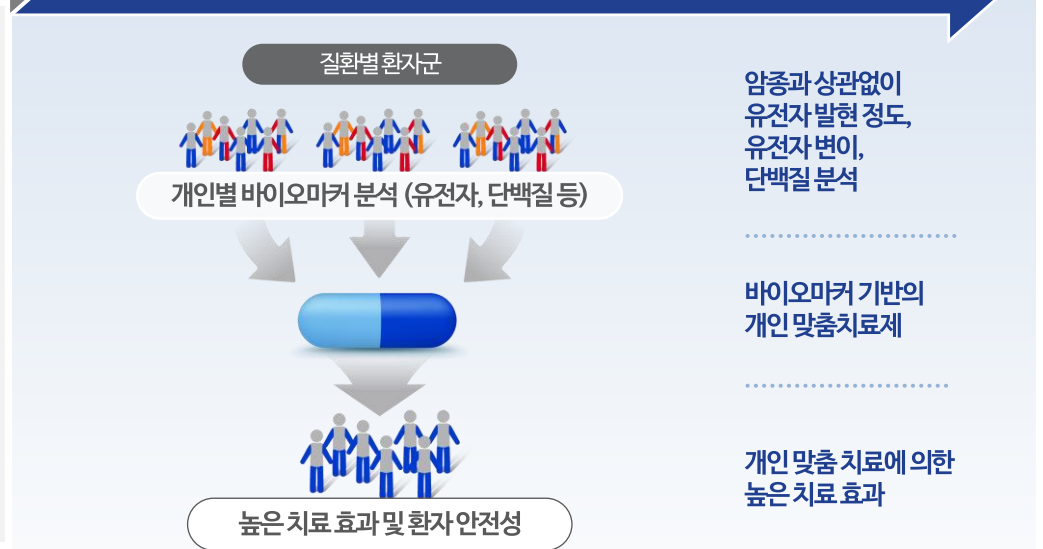
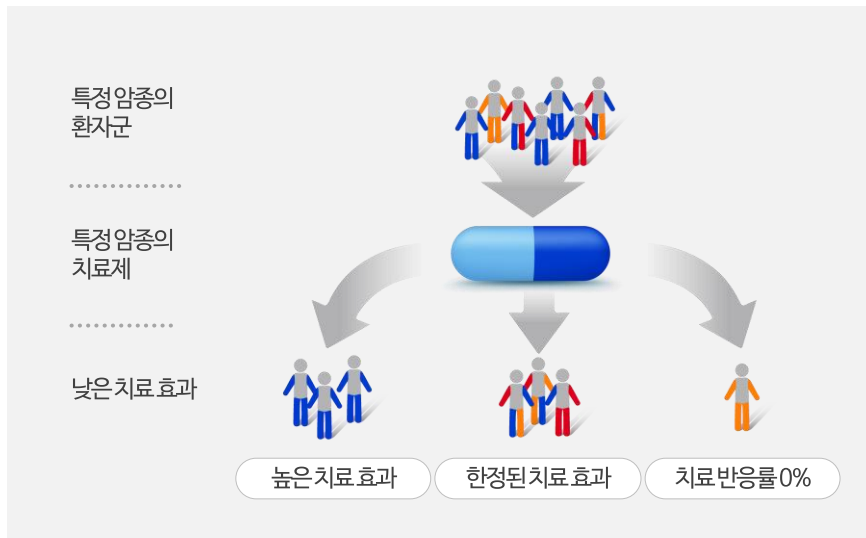
MED·PACTO

02. 항암제 개발 패러다임 변화

1 바이오마커 기반의 치료는 개인 맞춤의학의 핵심

전통적 암치료법 : 암종별 낮은 치료 반응을

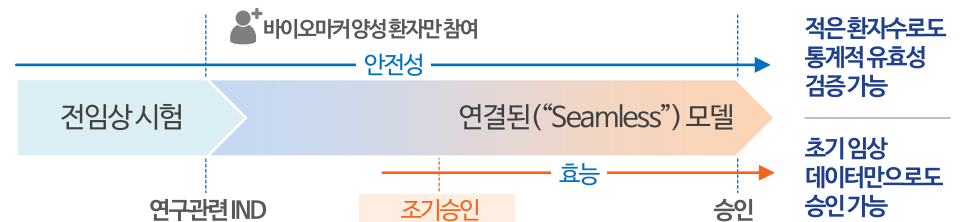
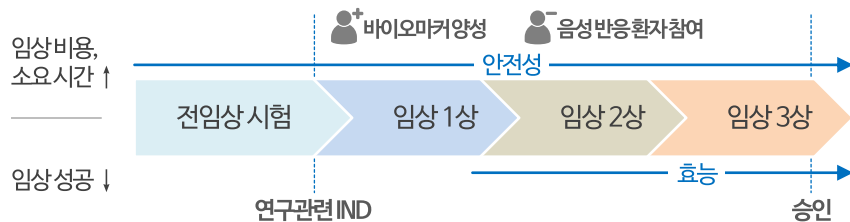
새로운 치료 패러다임 : 바이오마커에 기반한 맞춤의학



2 바이오마커 기반의 신약개발은 항암제 가치 극대화

이전 임상 모델

연결된 ("Seamless") 모델



03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황

암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 치료하는 혁신 신약 출시 본격화

혁신 신약의 가치

특정 유전자의 변이를 타겟으로 하는 항암제가
시장의 판도 변화 주도 전망



“조기 판매 승인 절차를 통해 암종과 무관하게 특정 유전자의
변이 (바이오마커)를 가지고 있는 환자만을 선별하여 치료할 수
있도록 이를 타겟으로 하는 혁신 신약에 대한 개발 장려”

바이오마커 기반의 신약 품목허가 현황 (총 3건의 FDA 승인)

제약사	상품명 (성분명)	바이오마커	임상환자 수	FDA 허가현황	비고
MSD	키트루다 (펨브롤리주맙)	MSI-H (현미부수체불안정) 또는 dMMR/ TMB-H (종양변이부담 $\geq 10\text{mut/Mb}$)	149명 (5개 임상)	2017. 5 18개의 암, 32개의 적응증 (2021년 현재)	2022년 글로벌 항암제 매출 1위(197억 달러) 전망 (2019년 111억 달러, 2020년 144억 달러)
LOXO ONCOLOGY	비트락비 (라로트렉티닙)	ETV6-NTRK 융합유전자	효능: 55명 안전성: 176명 (3개 임상)	2018. 11 Lilly	80억 달러 (9조원) 인수 결정
Roche	로즐리트렉 (엔트렉티닙)	NTRK 융합유전자	54명 (3개 임상)	2019. 8 abbvie NOVARTIS Pfizer	AstraZeneca AstraZeneca Johnson & Johnson 다수 글로벌 제약사들의 후보물질 도입과 기업 인수 추진 확대

04. 바이오마커 기반 파이프라인

암종과 무관한 바이오마커 기반의 혁신 신약 파이프라인

바이오마커에 따라 모든 암종으로 적응증 확대 및 모든 항암제와 병용투여 가능

파이프라인	종류	바이오마커	작용기전
백토서팁	항암제 (저분자화합물)	TBR5	TGF- β 1형 수용체 억제제
MA-B2	항암제 (항체)	혈중 BAG2 단백질	항 BAG2 항체
MO-B2	진단키트	혈중 BAG2 단백질	혈중 BAG2진단 키트
MU-D201	항암제 (저분자화합물)	EZH2유전자변이, 감마델타 T-세포 수용체 변이	DRAK2 저해제

목표 적응증	백토서팁	MA-B2	MO-B2	MU-D201
폐암				
유방암				
간암				
췌장암				
식도암				
두경부암				
난소암				
림프종				
백혈병				
다발성골수종				
골수이형성증후군				
골수증식증양				
위암				
신장암				
자궁암				
대장암				
방광암				
기타암				

Biomarker-based innovative drug
development company

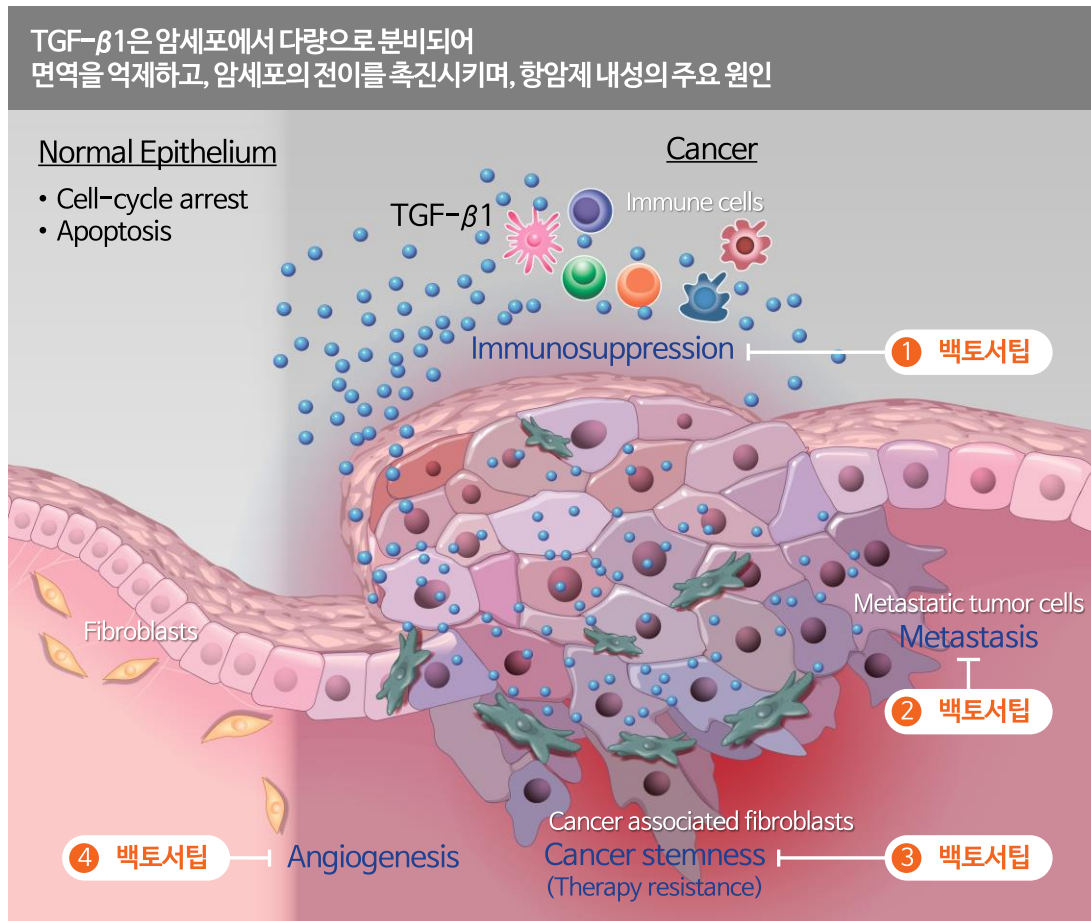
MEDPACTO



Chapter 3.

혁신 신약, 백토서팁

- 01. 종양 미세환경에서 TGF- β 1의 역할
- 02. 백토서팁 작용 기전
- 03. TGF- β : 발견에서 치료까지
- 04. 백토서팁의 시장성
- 05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상
- 06-1. '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인_AstraZeneca
- 06-2. '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인
- 06-3. 위암 임상1b상 유효성 확인
- 07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행

TGF- β 1은 종양 미세환경을 조절하여 암의 전이나 성장을 촉진

백토서팁 주요 기능

1 면역세포의 암세포 사멸 활성 촉진

- T 세포와 NK 세포들이 효능을 발휘할 수 있게 함
- 조절 T 세포의 활성 억제
- T 세포 고갈 방지

2 전이 억제

- 상피간엽전환 (EMT), 세포 이동, 전이 억제

3 암줄기세포 생성 억제

- TGF- β 1에 의한 암줄기세포의 생성을 억제 (예: Paclitaxel 및 Imatinib 등 화학치료제의 주요 내성 원인)

4 혈관생성 억제

백토서팁은 기존의 모든 암치료제와 병용 가능

- TGF- β 1은 암조직 주변의 기질세포에 작용하여 기질을 대량으로 생산해 암을 둘러싼 벽을 생성
→ 항암제나 면역세포가 암조직에 침투하지 못하게 하는 역할
- TGF- β 1 신호전달 억제제인 백토서팁은 암 조직 주변의 기질 벽의 생성을 억제
→ 다양한 암 치료제가 암세포를 공격할 수 있도록 도움을 줌



03. TGF- β 1: 발견에서 치료까지

35년간 TGF- β 연구 성과의 결실, TGF- β 신호전달 억제제 백토서팁

TGF- β 1 발견 및 작용기전 규명

~1980 년

TGF- β 1 발견
Sporn & Roberts
(미국 국립 암 연구소)

- 단백질 분리와 특성분석
- TGF- β 의 항암활성 발견
- 면역세포에서의 기능 발견

1987~2007 년

1987 김성진 대표
미국 국립 암
연구소 합류

- 암세포에서 TGF- β 1 분비 기전 규명
- TGF- β 수용체의 유전체 결손을 암에서 처음으로 발견
- 면역항암제 내성 원인 발견

2013년 메드팩토 설립 : TGF- β 신호전달 억제제 개발

2013 ~ 2015

- 미국 임상 1상 승인 및 완료 (안전성, 내약성 확보)

2016 ~ 2021

- 미국 임상 2상 승인
- 병용투여 임상 진행 중 (키트루다, 임핀지)

가치

글로벌 시장 내 가장 앞서있는
TGF- β 신호전달 억제제, 백토서팁

MED·PACTO

First-in-Class 백토서팁 (저분자화합물)

EMD
SERONO

M7824 (아중용합단백질)

Lilly

LY3200882 (저분자화합물)

abbvie

SANOFI

NOVARTIS

ISARNA
THERAPEUTICS

GILEAD

Pfizer

2010 년 ~

다수의 글로벌 제약사들이 다양한
TGF- β 신호전달 억제제 개발 중

~ 전임상

임상 1상

임상 2상

임상 3상

04. 백토서팁의 시장성

MED·PACTO

글로벌 시장에서 주목받는 TGF- β 신호전달 저해제, 백토서팁

기술적 진입장벽을 통해 장기간의 시장 독점 지위 유지

물질 특허
20년

특허 추가를 통한 기간 연장

- 병용 요법
- 적응증 확대
- 제형 다양화
- 공정 개발



글로벌 스탠다드 충족의 임상 시스템 구축

다국적 제약사
기준에 부합하는
임상 디자인약물안전감시,
임상약리 연구
시스템 구축바이오마커
기반의 임상
설계 능력EMD Serono + GSK
기술제휴 계약 체결
(TGF- β x PD-L1 이중항체)37억 유로
(4조 8천억 원)

라이센싱

MED·PACTO

글로벌 시장을 타깃하는
바이오마커 기반의 혁신신약

“백토서팁”

길리어드 + 스콜라락
TGF- β 저해제 공동 개발14억 2500만 달러
(1조 6천억 원)

M&A

비공개

BMS 인수
(포비우스, TGF- β 기술 보유)7억 7300만 달러
(8천억 원)MSD 인수
(틸로스 테라퓨틱스,
TGF- β 기술 보유)

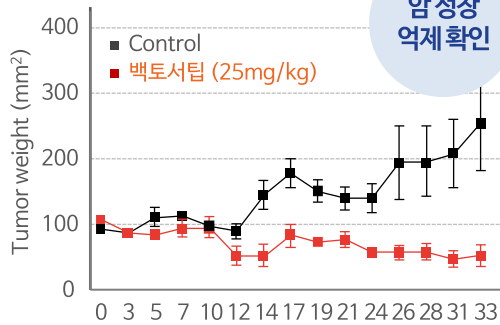
05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상

MEDPACTO

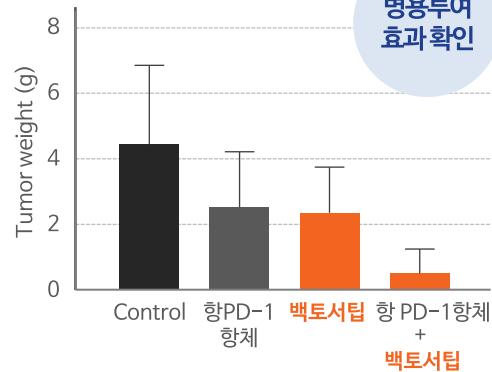
독성이 낮고 우수한 효능을 가진 백토서팁, 글로벌 제약사의 면역항암제와 병용 임상 진행

전임상 결과

위암 세포 이용한
단독투여 동물실험 결과



위암 세포 이용한 항-PD1 항체와의
병용투여 결과



미국 임상 1상 결과

진행성
고형암

단독 투여 임상 결과
높은 안전성

- 고농도 임상에서도 독성 안전성 확보
- 현재 병용 투여에서도 안전성 확보

공동임상 진행



키트루다 (항 PD-1항체)
대장암

동일 계열 중 가장 많은
적응증 확보 치료제

키트루다 (항 PD-1항체)
비소세포폐암 1L

2021년 글로벌
항암제 매출 1위 전망



임핀지 (항 PD-L1항체)
비소세포폐암 2L

아스트라제네카의
주력 면역항암제

임핀지 (항 PD-L1항체)
방광암

단시간 내 블록버스터
항암제 합류 전망

면역항암제 개발 글로벌 제약사와
공동임상 진행

면역항암제 (키트루다, 임핀지) 무상 공급
임상시험 전략 및 디자인 공동 개발

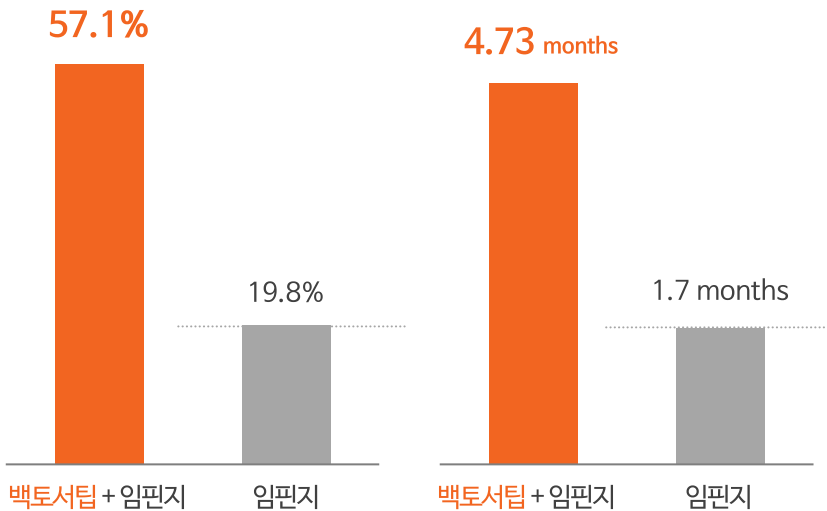
06-1. '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인 _ AstraZeneca

비소세포폐암에서 임핀지와 임상2a상 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

비소세포폐암 병용투여 임상 (2a상 중간결과)

반응율 (ORR)

무진행생존율(PFS)



자료 : AstraZeneca ORR, PFS 데이터, Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
 주 : 병용투여 임상 결과와 AstraZeneca의 임핀지 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님.

비소세포폐암 임상 결과 비교

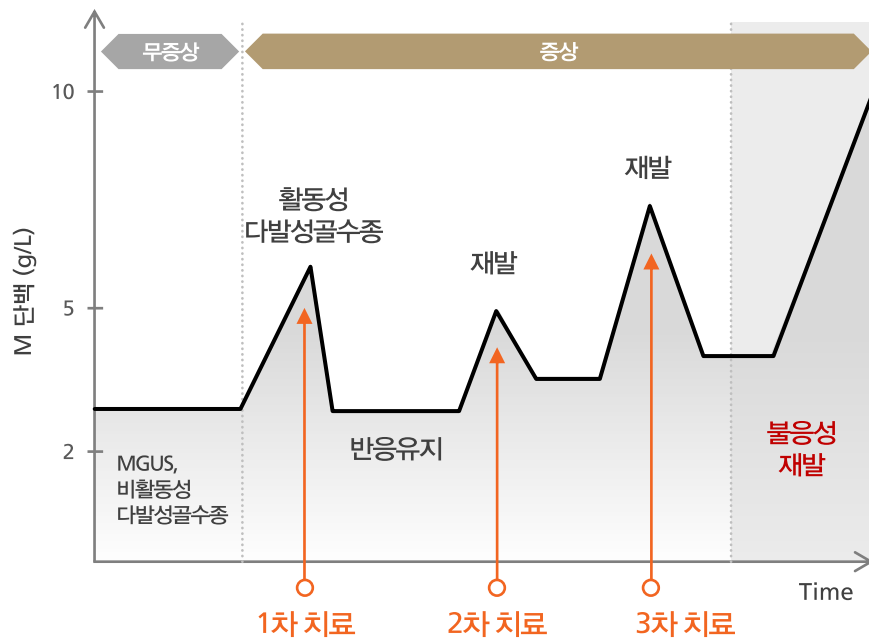
		백토서팁	임핀지	키트루다	티센트릭
임상단계		2a	I/II	II/III	III
PD-L1		>1%	Any	>1%	Any
ORR (ITT)	PD-L1 ≥ 1%	33.3% (10/30)	-	18% (62/344)	-
	PD-L1 < 25%	12.5% (2/16)	5.1% (5/98)	-	-
	PD-L1 ≥ 25%	57.1% (8/14)	19.8% (21/106)	-	-
	PD-L1 < 50%	22.2% (4/18)	-	9.8% (20/205)	12.6 (35/288)
	PD-L1 ≥ 50%	50.0% (6/12)	-	30.2% (42/139)	30.6 (22/72)
mPFS		4.73 months	1.7 months	4.0 months	-

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-203: Cho BC et al. SITC 2020, #P363
 Durvalumab Study 1108: Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
 Pembrolizumab Keynote 010: Herbst et al. The Lancet 2016;387:1540-50
 Atezolizumab Oak: Rittmeyer et al. The Lancet 2017;389:255-265

06-2. '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인

치료 대안이 없는 재발/불응 다발성골수종의 포말리스트와 병용투여 임상 결과 획기적인 치료 효과 입증

재발/불응 다발성골수종의 질환 경과

화학요법에
민감도

높음

낮음(내성)

낮음(내성)

이상반응
위험도

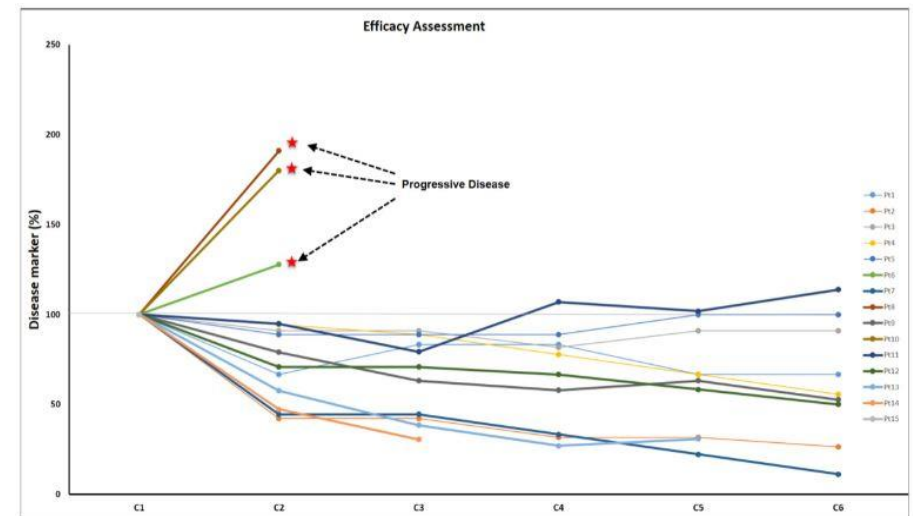
낮음

높음

높음

병용투여 임상1b상 결과 무진행생존율 80%

기존 치료(포말리스트와 스테로이드 제제인 덱사메타손)에
비반응 다발성 골수종 환자 대상의 임상1b상 결과



임상결과

백토서팁 병용

ELOT
+PdDARA
+PdPOM+
DEXA(Pd)

POM

6개월 무진행
생존율, PFS

80%

62%

58%

40%

20%

주 : 다라투마브 임상 출처 (Chari et al. (2017) Blood. 130:974)

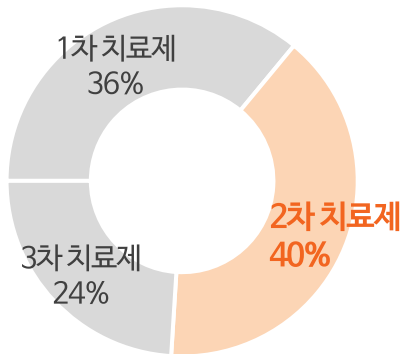
06-3. 위암 임상1b상 유효성 확인

MEDPACTO

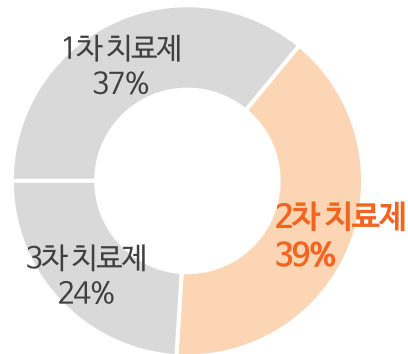
진행성 위암에서 파클리탁셀과 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

2차 치료제 사용빈도*

국소적 재발

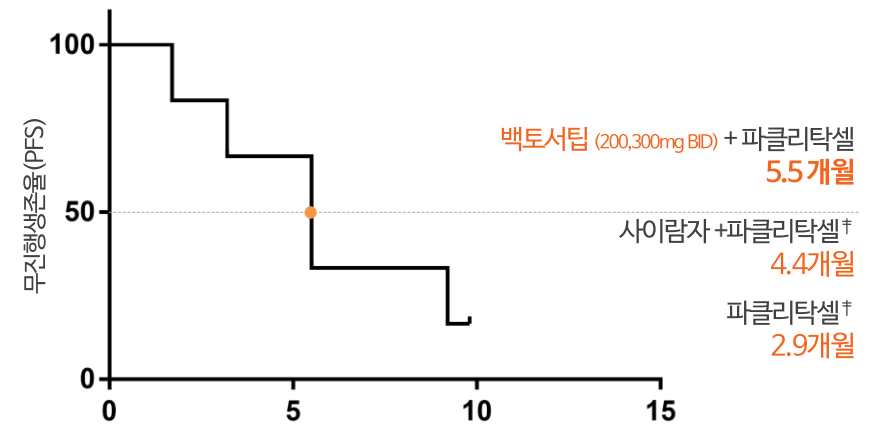


4기 전이 및 원격 재발 환자



위암 병용투여 임상 (1b상 진행 결과)

무진행생존율 (PFS) †



자료: *Datamonitor 2016GastricCancerDatabase

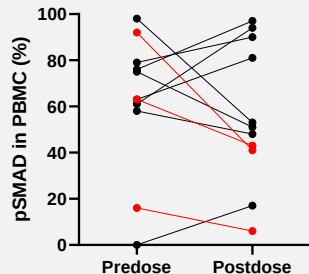
주: 2차 치료제 간의 점유율은 고려하지 않음

자료: †메드팩토 ESMO 2020 포스터, †Lancet Oncol. 2014Oct;15(11):1224-35

주: 병용투여 임상 결과와 사이람자 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님

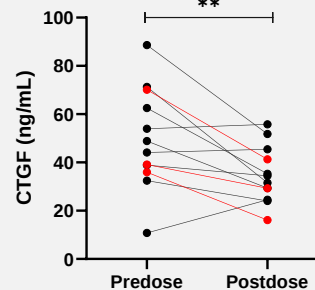
약력학적 마커

pSMAD

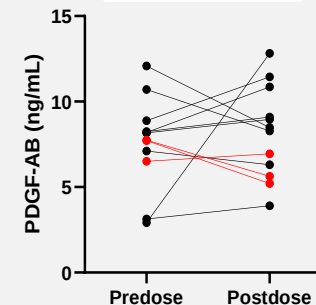


• TGF- β 의 신호전달의
주된 마커인 SMAD의
인산화 감소

CTGF



PDGF



• TGF- β 신호전달경로의
타겟 유전자 발현의 감소

07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행

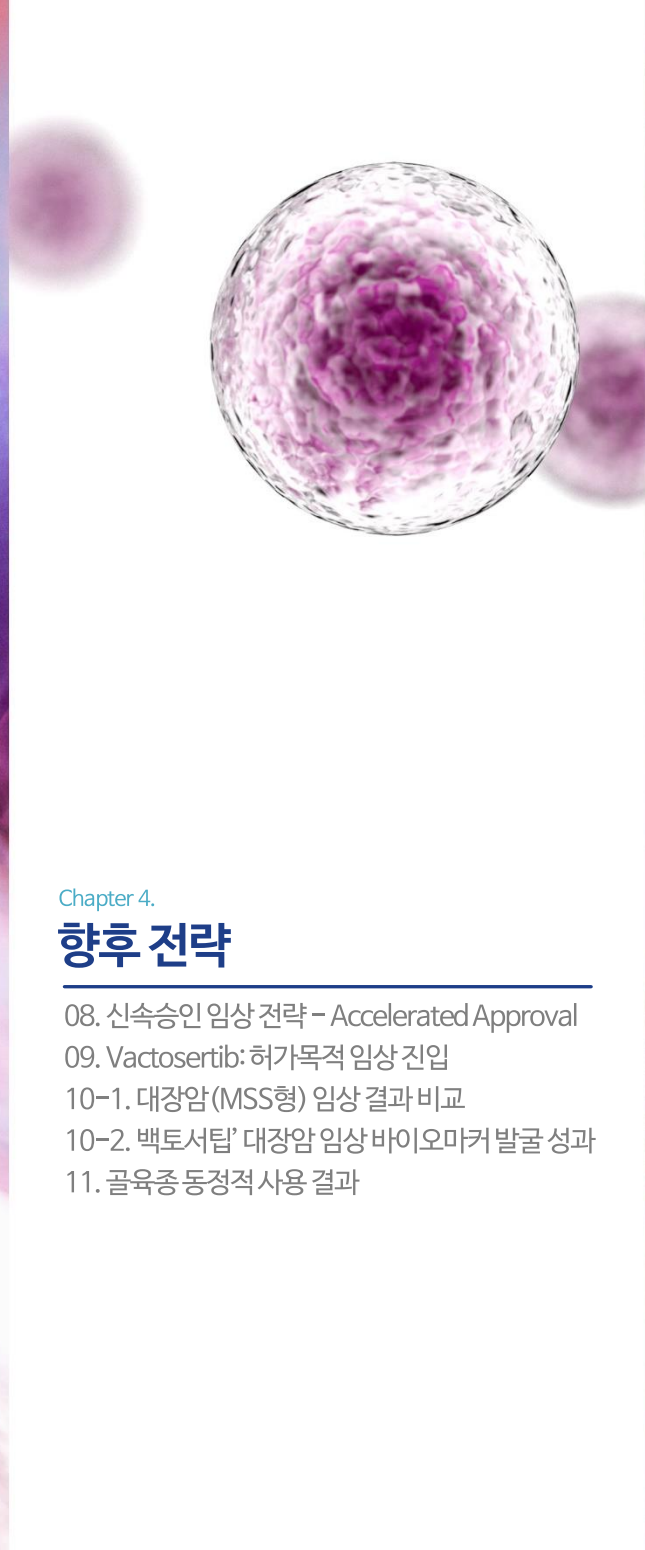
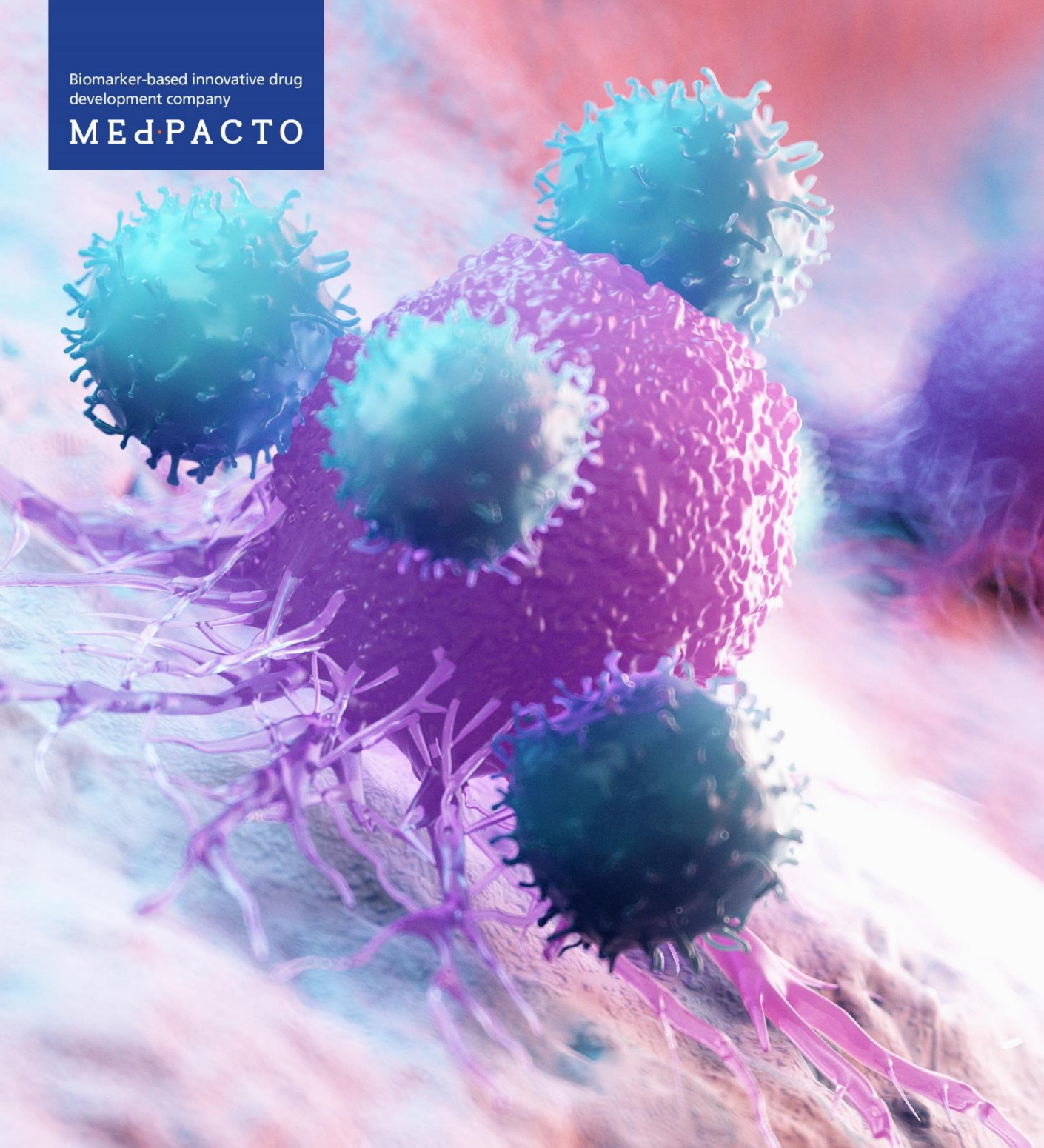
백토서팁의 가치를 높이기 위해 기존의 모든 암치료와 병용 가능성을 증명하는 다수의 임상 진행 중

○ SIT ○ IIT

구분	암종	목표 환자수	[국가] 치료요법	임상시험 개발 진행현황			
				Predclinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3
고형암	백토서팁 단독	54	[미국] 백토서팁 단독요법			○	
	화학요법 병용 임상	62	[한국] + 파클리탁셀			○	
		43	[한국] + 파클리탁셀 + 라무시루맵			○	
		36	[한국] + 폴폭스		○		
		24	[한국] + 5FU/LV/오니바이드 		○		
		준비중	[한국, 미국]			○	
	표적항암제 병용 임상	33	[한국] + 이마티닙			○	
	NK세포치료제 병용 임상	12	[미국] + NK세포치료제+인터루킨 (IL-2)		○		
		67	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 			○	
		준비중	[한국, 미국] + 키트루다 (anti-PD-1) 			○	
		19	[미국] + 키트루다 (anti-PD-1)			○	
		55	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 			○	
		63	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 			○	
		48	[미국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 			○	
		55	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1)			○	

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 4.

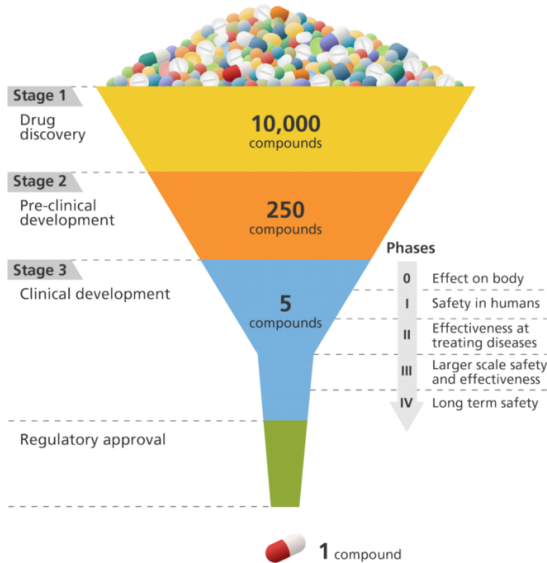
향후 전략

- 08. 신속승인 임상 전략 - Accelerated Approval
- 09. Vactosertib: 허가목적 임상 진입
- 10-1. 대장암(MSS형) 임상 결과비교
- 10-2. 벡토서팁® 대장암 임상바이오마커 발굴 성과
- 11. 골육종 동정적 사용 결과

08. 신속승인 임상 전략 - Accelerated Approval

MEDPACTO

“신속 승인” 절차를 통해 최대한 빨리 미국 FDA에서 판매 승인을 받을 수 있는 임상에 집중



1 단계 임상 (2018~현재)

모든 암종으로 적응증 확대 및 모든 항암제와 병용 투여 가능성을 증명하는 임상

- 암종: 위암, 대장암, 췌장암, 침윤성섬유종증, 비소세포 폐암, 방광암, 다발성 골수종.
- 병용항암제: 화학요법제, 표적항암제, 면역항암제, 세포치료제 (NK 세포), 면역조절제

2 단계 임상 (2022~)

신속 승인은 다른 치료 옵션이 없을 때 환자가 유망한 신약을 받을 수 있는 한 가지 방법

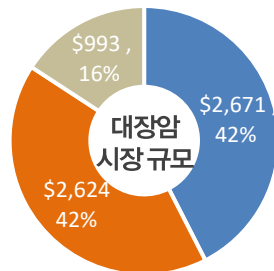
- 암종: 대장암 (MSS 형), 췌장암, 골육종
- 병용항암제: 화학요법제 (Onyvide), 면역항암제
- Vactosertib 단독: 골육종

09. Vactosertib: 허가목적 임상 진입

대장암/췌장암/골육종 허가목적 임상 진입

파이프라인	암종	치료요법	stage	타겟국가
백토서팁	대장암	키트루다 병용	3상	미국/EU/한국
	췌장암	오니바이드 병용	2상	미국/한국
	골육종	백토서팁 단독	1/2상	미국

〈대장암 시장 규모〉

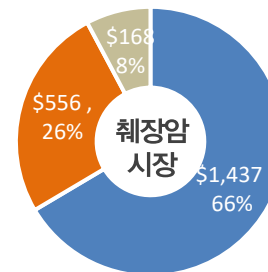


21년도말 기준 \$7.0B
 26년도 기대시장규모
 \$8.1B(CAGR 2.4%)

단위: 백만달러

■ 미국 ■ EU(주요 5개국) ■ 일본

〈췌장암 시장 규모〉



21년도말 기준 \$2.2B

26년도 기대시장규모
 \$2.5B(CAGR 5.7%)

단위: 백만달러

■ 미국 ■ EU(주요 5개국) ■ 일본

10-1. 대장암(MSS형) 임상 결과 비교

대장암(MSS형) 임상 결과 비교

대장암 표준요법 대비 MP-VAC-204 비교

대장암(MSS형) 임상 진행 또는 완료 (2021 ASCO 포함)

구분	MP-VAC-204 (백토서티브 +키트루다)	Regorafenib mono CORRECT	Lonsurf mono	Atezolizumab + cobimetinib	Pembrolizumab mono	M-7824	Lonsurf + Nivolumab	Regorafenib + Avelumab	Pembrolizumab + Lenvatinib	Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab	Regorafenib + Nivolumab
mOS (Median Overall Survival)	15.8 months	6.4 months	7.1 months	8.9 months	5.0 months	-	-	10.8 months	7.5 months	5.7 months	11.9 months
ORR (Overall Response Rate)	16.0% (8/50)	1% (5/505)	1.6% (9/534)	2.7% (5/183)	0.0% (0/18)	3.4% (1/29)	0% (0/35)	0% (0/43)	22% (7/32)	0% (0/15)	7.1% (5/70)

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-204

Regorafenib(Stivarga) mono : Highlights of prescribing information, Revised 09/2012

Lonsurf mono : Mayer RJ, Van Cutsem E, Falcone A, et al. Randomized Trial of TAS-102 for Refractory Metastatic Colorectal Cancer. NEJM. 2015;372:1909-1919.

Atezolizumab+cobimetinib : The Lancet Oncology June 2019, Pages 849-861

Pembrolizumab : Le et al. New Eng J MED(2015)

M-7824: Oncology 2018 36:4_suppl, 764-764

Lonsurf + Nivolumab : 10.1200/JCO.2019.37.8_suppl.48 Journal of Clinical Oncology 37, no. 8_suppl (March 10, 2019) 48-48

Regorafenib+Avelumab : Cancer Treat Rev. 2018 Jan;62:61-73. doi: 10.1016/j.ctrv.2017.10.011. Epub 2017 Nov 10.

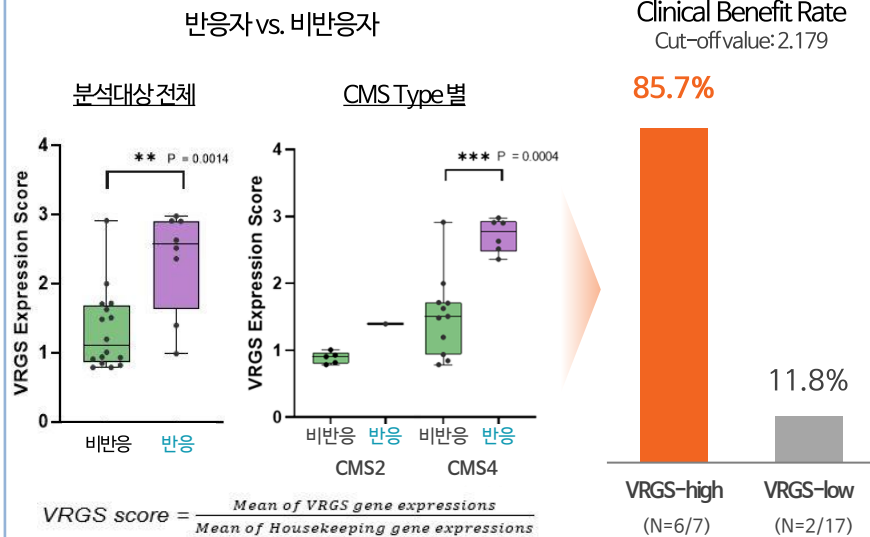
Pembrolizumab+Lenvatinib : 2021 ASCO Gastrointestinal Cancers Symposium

Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab, Regorafenib+Nivolumab : 2021 ASCO Abstract

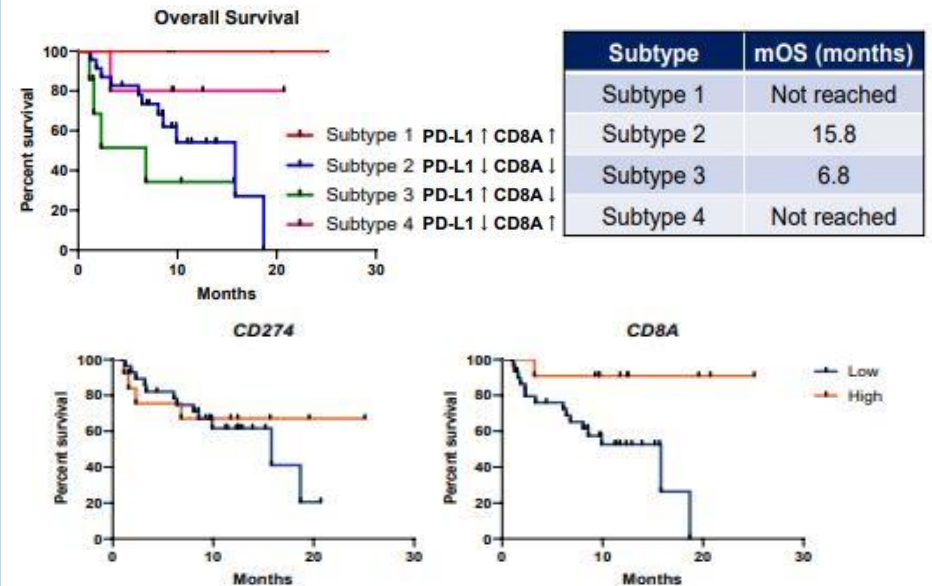
10-2. '백토서팁' 대장암 임상 바이오마커 발굴 성과

진행성 대장암에서 VRGS 분석 결과 및 TME 면역 타입별 Survival Analysis

VRGS 분석 결과 및 CBR 비교



TME 면역 타입별 Survival Analysis



바이오마커 분석 성과 및 향후 계획

- VRGS (Vactosertib Response Gene Signature)는 MSS형 대장암 환자군에서 백토서팁+키트루다 병용 치료 목적의 예측 바이오마커로 개발 중에 있으며, 백토서팁+키트루다 반응자와 높은 상관관계가 있음을 확인하였음. VRGS-high 환자군은 VRGS-low 환자군 대비 획기적인 CBR (Clinical Benefit Rate)을 보였으며, 백토서팁+키트루다 반응자를 예측하는데 약 88%의 정확도를 보임
- PD-L1 및 CD8A 발현도에 따라 환자의 전체생존기간과 상관관계가 있음을 확인하였으며, 백토서팁 + 키트루다 병용요법은 PD-L1 및 CD8A 발현이 높을수록 전체생존기간을 높일 수 있음.
- 향후 대장암 임상에 있어 Validation 단계를 거쳐 선별된 임상을 진행할 수 있으며, 이 경우 높은 치료 효과 기대