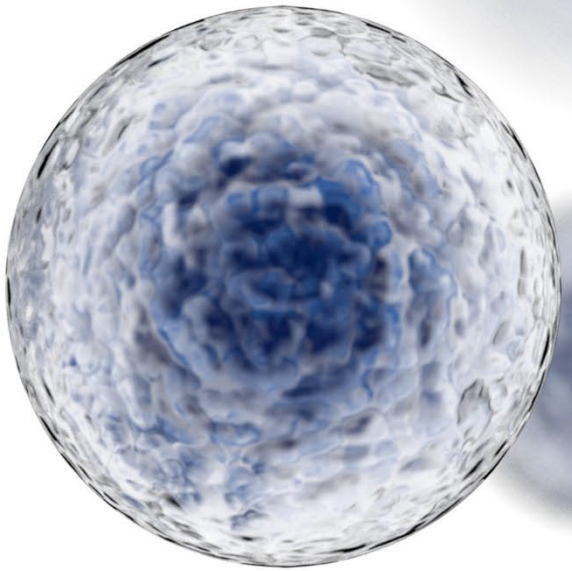
Investor Relations 2022

Biomarker-based innovative drug development company

MEDPACTO



Biomarker-based innovative drug development company

MEDPACTO

Chapter 1.

바이오마커 기반의 신약개발, 메드팩토

1. CEO 및 관계사 소개
2. 회사 연혁
3. 파이프라인 소개
4. 신규파이프라인 소개 (MP2021)
5. Clinical Advisory Board (임상자문위원회)

01. CEO 및 관계사 소개

MEd·PACTO

TGF-β 와 암 연구의 세계적인 석학, 차별적 연구 역량 기반 글로벌 혁신 신약 개발

김 성 진
대표이사

주요 경력

- 2021.09 ~ 현재 : ㈜메드팩토 테라퓨틱스 사내이사
- 2018.09 ~ 현재 : ㈜셀로람 사내이사
- 2016.07 ~ 현재 : ㈜ 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 : ㈜ 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

관계사 현황

MEd·PACTO

100%

MEd·PACTO Therapeutics

Germantown, Maryland, USA

- **First/Best-in-class drug dev.**
- **Clinical trial management.**

24.24%

CELLORAM Advancing Precision Medicine

Cleveland, Ohio, USA

- **Pre-clinical stage Cell therapy, Small molecule etc.**

02. 회사 연혁

MEDPACTO

바이오마커 기반의 혁신 신약 개발 회사로 빠르게 성장, 본격적인 상업화 준비 및 글로벌 기업으로의 도약

Launch Period

2013

Launched Phase I clinical trial of Vactosertib in the US

Established as a spin-out company from TheragenEtex

2017

Initiated several Phase II clinical trials of Vactosertib in various indications

Growth Period

2018

Initiated 4 immune checkpoint inhibitor collaboration trials with big pharma

MSD

AstraZeneca

Established its affiliate, Celloram, US based providing cell therapy for cancer and immune disease

2019

Formed strategic partnerships with renowned global institutes

Expanding indications to demonstrate combination potential with existing anticancer therapies

2021

Completed initial public offering and enlisted on KOSDAQ stock market

Published 4 posters on AACR April, 2021

Commercialization Period

2022

Contracted Phase III immune checkpoint inhibitor collaboration trials of Vactosertib with MSD

MSD

Initiated CDMO projects of 2 internal assets with SBL

SAMSUNG BIOLOGICS

Designated Rare Pediatric Disease from U.S. FDA

Founded 2021.07 U.S.subsidiary MedPacto Therapeutics

Formed Clinical Advisory Board

2023

Dsignated Fast-Track from U.S. FDA (Osteo -sarcoma)

Initiate Phase III MSS CRC

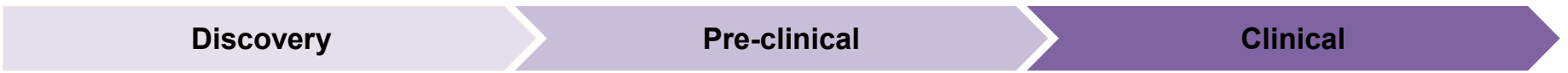
MSD

FPI Osteo -sarcoma

AACR Pancreatic Cancer (IIT)

ESMO MSS CRC(SIT)

바이오 마커 및 유전자 분석 기반의 강력한 First-in-class 파이프라인 보유



Undisclosed

- Focusing on **novel targets** to develop various **first/best-in-class therapeutics** for various indications including **Metabolic disease** and **Auto-immune disease.**

Biologics

- **MP2021:** Osteoporosis, Rheumatoid arthritis

Small-Molecule

- **MP1091:** NASH

Diagnostic Kit

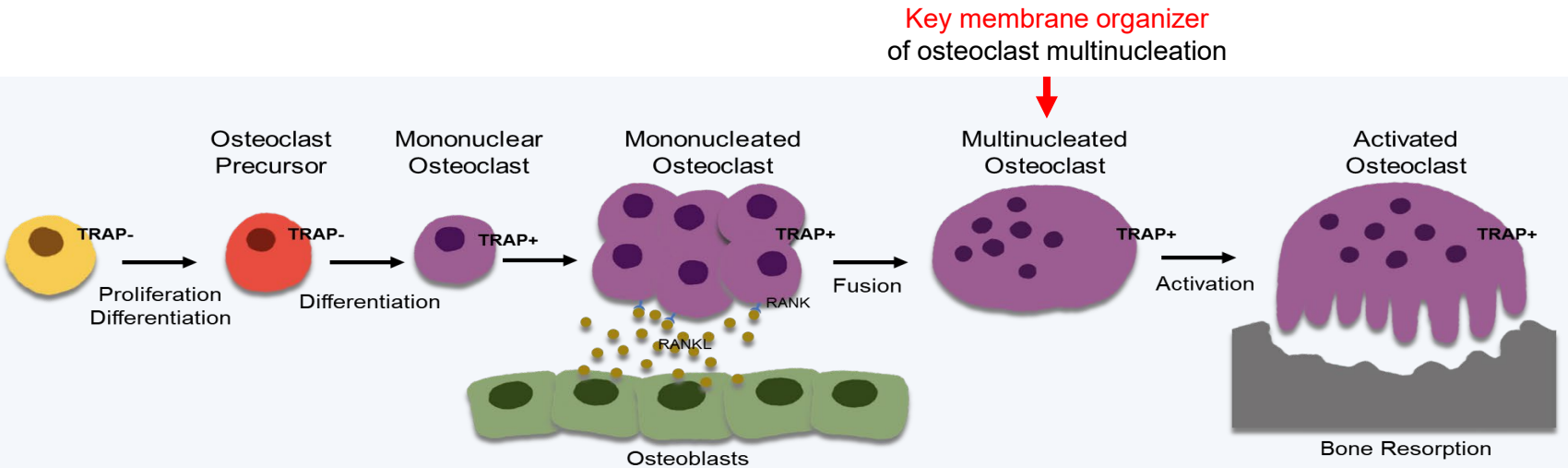
- **MP005D:** Cancer metastasis & recurrence diagnostic

Small-Molecule

- **Vactosertib:** leading pipeline targeting **TGF-β receptor kinase**
- **12 Active clinical trials** are ongoing.
- Designated programs for treating osteosarcoma from U.S. FDA
  - **Fast Track Designation**
  - **Rare Pediatric Designation**
  - **Orphan Drug Designation**
- **A global phase III clinical trial** will be initiated in 2023.

04. 신규 파이프라인 소개 (MP2021)

뼈 질환을 야기하는 다핵 파골세포의 생성을 억제 시킴으로써 기존 뼈 질환 치료제 대비 뛰어난 효과와 안전성과 기대



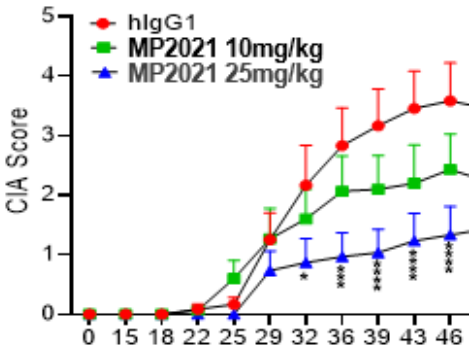
√ 기존 뼈 질환 치료제 대비 뛰어난 효과 기대

구분	기존 뼈/자가면역 질환 치료제들의 unmet needs	MP2021
효과	염증억제 효과가 있으나 소실된 뼈/연골에 직접적으로 작용하지 않음	염증 억제 뿐 아니라 뼈 소실을 직접적으로 억제함으로써 소실된 뼈와 연골 회복, 뼈의 골밀도를 증가시킴
한계	파골세포의 분화 과정의 초기단계부터 작용함으로써 발생하는 부작용 이슈, 내성 문제 등으로 지속적인 투여가 어려움	파골세포의 분화 과정 중 later stage인 다핵파골세포 형성을 억제함으로써 보다 안전하고 부작용이 적음

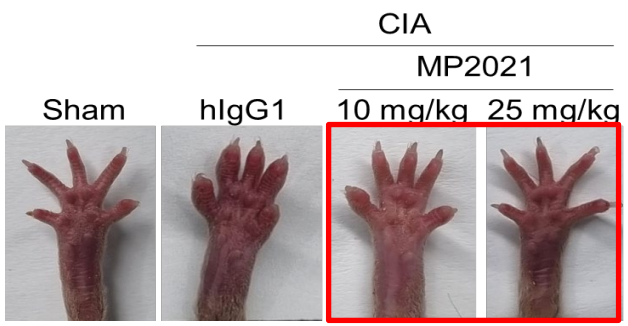
04. 신규 파이프라인 소개 (MP2021)

류마티스 관절염 유도 동물 모델에서 염증 억제 및 뼈와 연골의 회복 효과 확인

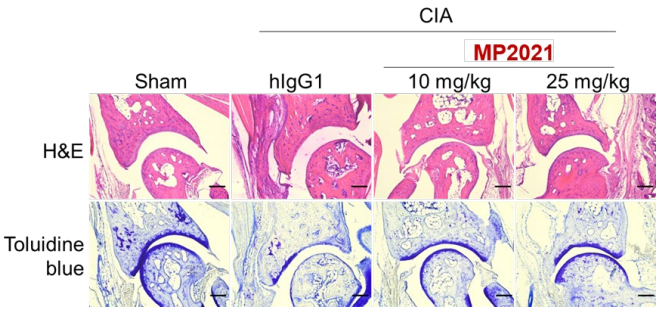
Collagen-induced Arthritis Model
MP2021 단독투여 결과

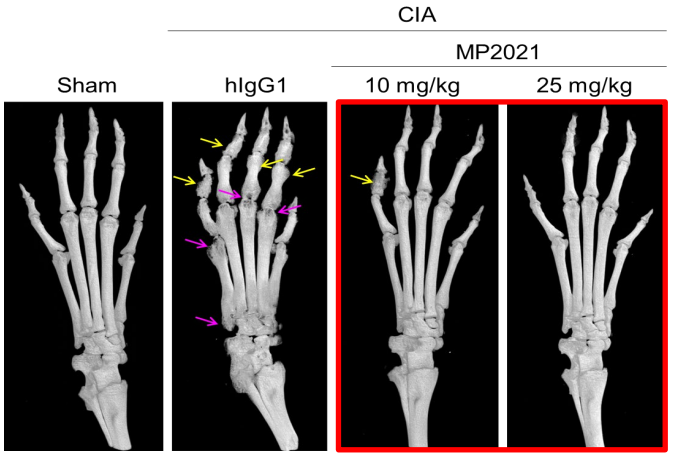


염증 억제 효과 확인



Collagen-induced Arthritis Model
연골조직염색 및 micro CT 결과

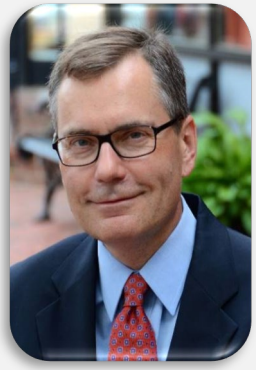




05. Clinical Advisory Board (임상자문위원회)

글로벌 임상 전략 및 사업 개발을 위한 학계 최고의 글로벌 전문가들로 구성

Clinical Advisory Board



Dr. Greg Licholai, M.D., MBA

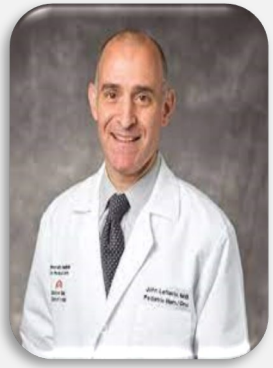
- **23 years of clinical experience**

Dr. Greg Licholai, MD, is the former President of rare diseases of **Moderna** Therapeutics and the Vice President of **McKinsey & Co**. He is currently serving as the Chief Medical & Innovation Officer of **ICON plc.**, and Teaching Faculty of **Harvard Business School** and **Yale School of Management**.

Dr. Hyun Bae, M.D.

- **27 years of clinical experience**

Dr. Hyun Bae, MD is a spine fellowship and trained board-certified orthopedic surgeon practicing of **Spine-center at Cedars-Sinai Medical Center** and the **Spine Institute in Santa Monica** CA.



Dr. John Letterio, M.D.

- **30 years of clinical experience**

Dr. John Letterio, MD, is the Director of the **Angie Fowler Adolescent & Young Adult Cancer Institute**. He is also serving as the Associate Director of the **Seidman Cancer Center at the University Hospitals**, **Case Western Reserve University.**

Dr. Issac Kim, M.D., Ph.D.,MBA

- **20 years of clinical experience**

Dr. Isaac Kim, MD is a urology oncologist currently serving as a professor of urology and the Chair at **Yale University School of Medicine**. Prior to this, he served as a urologic oncology research fellowship of the **National Cancer Institute** and as the Executive Director of the **Cancer Institute.**

Biomarker-based innovative drug development company

MEDPACTO

Chapter 3.

혁신 신약, 백토서팁

1. 최근 항암제 개발의 동향
2. 종양 미세환경에서 TGF-β1의 역할
3. 백토서팁 작용 기전
4. . TGF-β1: 발견에서 치료까지
5. 블록버스터 면역항암제와 공동임상
6-1 '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인_Astrazeneca
6-2 '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인
6-3 '백토서팁' 위암 임상 유효성 확인
7. 임상 파이프라인 현황

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 타깃으로 하는 항암제

항체치료제, 화학요법제, 표적항암제는
종양세포만을 타깃으로 함

환자는 다른데 같은 약을 처방

환자의 선별이 없는 평균적인 치료로 인한
낮은 치료율과 높은 부작용

블록버스터급 단일 신약

최고 판매량을 달성하는
블록버스터급 신약의 단일 투여

차세대 항암제

종양미세환경의 중요성 (Tumor Microenvironment)

종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및
진행을 가능하게 하는 환경을 제공

이에, 종양미세환경의 조절을 통해
암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복

바이오마커가 이끄는 개인 맞춤 치료

암종에 상관없이
바이오마커 발현의 유무로 환자를
선별하여 치료하는 맞춤 치료 시대 도래

병용요법의 새로운 시대

최근 항암치료는 종양을 타깃으로 하는
항암제와 종양미세환경을 조절하는
약제의 병용투여에 관심이 많음

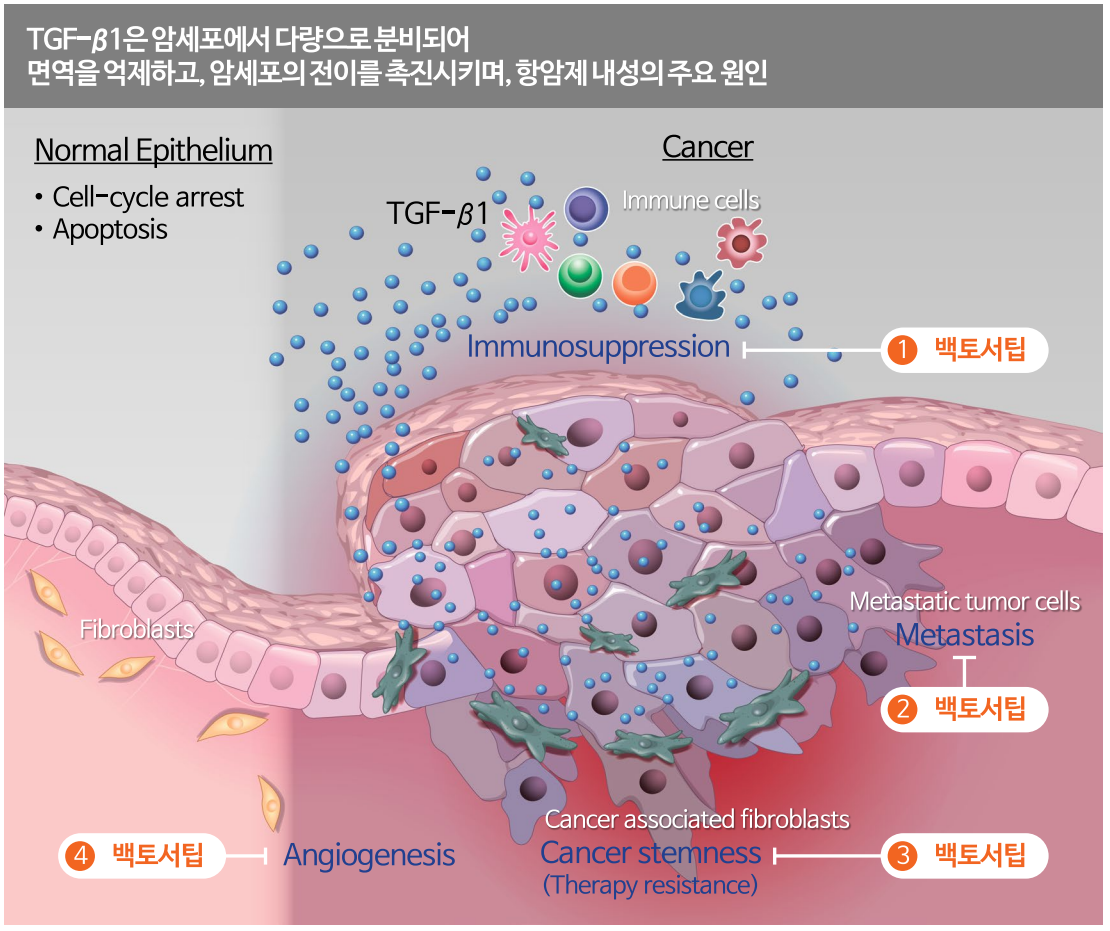
종양미세환경 중요성 부각

암은 암 주변의 환경 (종양미세환경)을 조절하여
암의 성장, 전이, 암 줄기세포 형성을 촉진시키고
면역활성을 억제하는 물질을 분비
(대표적인 물질이 TGF-β1)

차세대 항암 신약 개발기업

MEd·PACTO

TGF-β1은 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-β1에 의한 암줄기세포의 생성을 억제 (예: Paclitaxel 및 Imatinib 등 화학치료제의 주요 내성 원인)

4 혈관생성 억제

백토서팁은 기존의 모든 암치료제와 병용 가능

- TGF-β1은 암조직 주변의 기질세포에 작용하여 기질을 대량으로 생산해 암을 둘러싼 벽을 생성
  → 항암제나 면역세포가 암조직에 침투하지 못하게 하는 역할
- TGF-β1 신호전달 억제제인 백토서팁은 암 조직 주변의 기질 벽의 생성을 억제
  → 다양한 암 치료제가 암세포를 공격할 수 있도록 도움을 줌

04. TGF-β1: 발견에서 치료까지

MEd·PACTO

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

TGF-β1 발견 및 작용기전 규명

~1980 년

TGF-β1 발견
Sporn & Roberts
(미국 국립 암 연구소)

- 단백질 분리와 특성분석
- TGF-β의 항암활성 발견
- 면역세포에서의 기능 발견

1987~2007 년

1987 김성진 대표 미국 국립 암 연구소 합류

- 암세포에서 TGF-β1 분비 기전규명
- TGF-β 수용체의 유전체 결손을 암에서 처음으로 발견
- 면역항암제 내성원인 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)

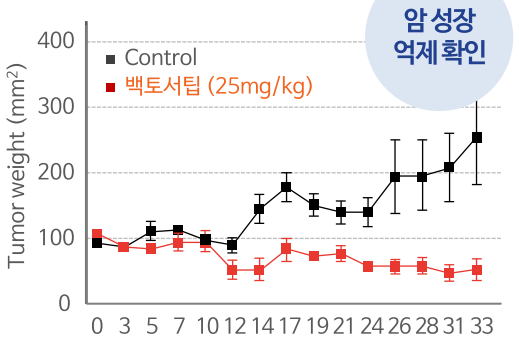
05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상

MEDPACTO

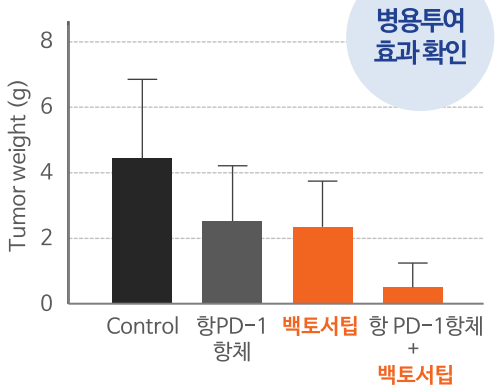
독성이 낮고 우수한 효능을 가진 백토서팁, 글로벌 제약사의 면역항암제와 병용 임상 진행

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

MSD

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

AstraZeneca

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

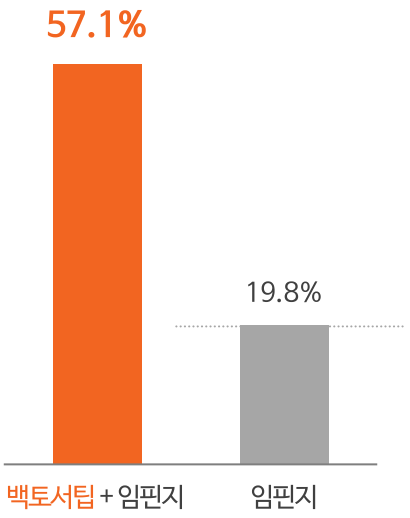
06-1. '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인 _ AstraZeneca

MEDPACTO

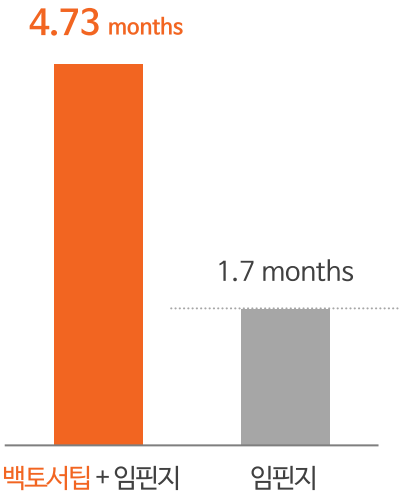
비소세포폐암에서 임핀지와 임상2a상 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

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	-

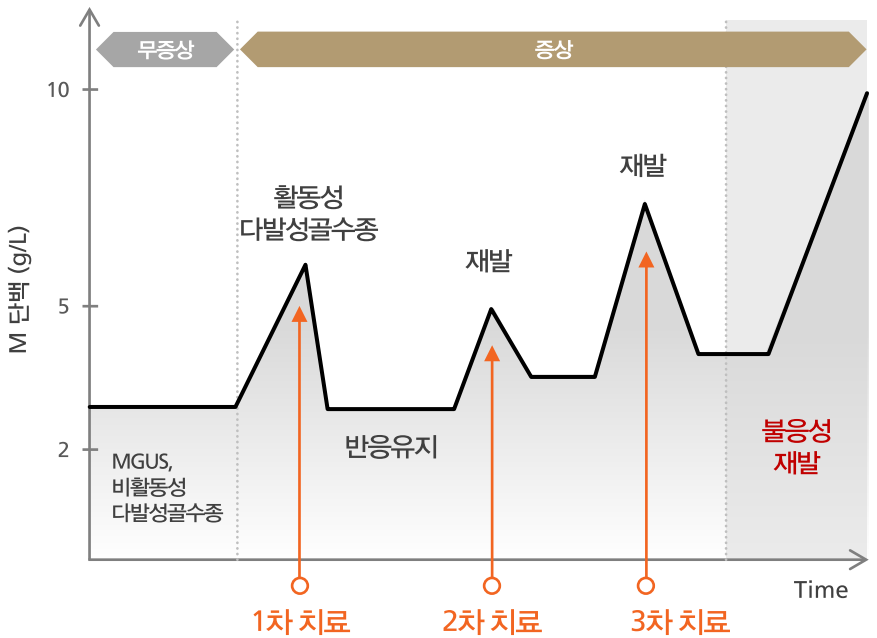
자료 : Vactosertib Study MP-VAC-203: Cho BC et al. SITC 2020, #P363
Durvalumab Study 1108: Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
Pembrolizumab Keynote 010: Herbst et al. The Lancet 2016;387:1540-50
Atezolizumab Oak: Rittmeyer et al. The Lancet 2017;389:255-265

06-2. '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인

MEDPACTO

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

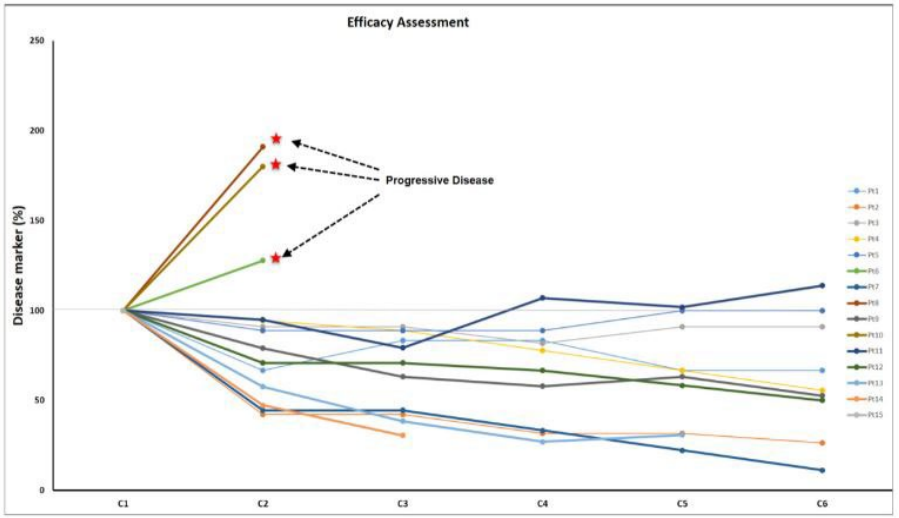
재발/불응 다발성골수종의 질환 경과



화학요법에 민감도	높음	낮음(내성)	낮음(내성)
이상반응 위험도	낮음	높음	높음

병용투여 임상1b상 결과 무진행생존율 80%

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



임상결과	백토서팁 병용	ELOT +Pd	DARA +Pd	POM+ DEXA(Pd)	POM
6개월 무진행 생존율, PFS	80%	62%	58%	40%	20%

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

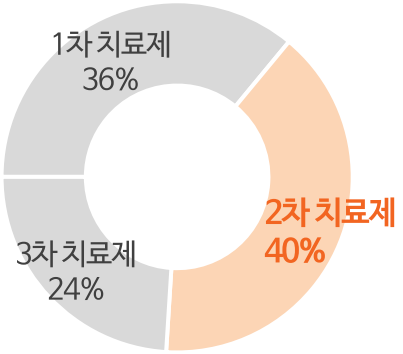
06-3. '백토서팁' 위암 임상 유효성 확인

MEDPACTO

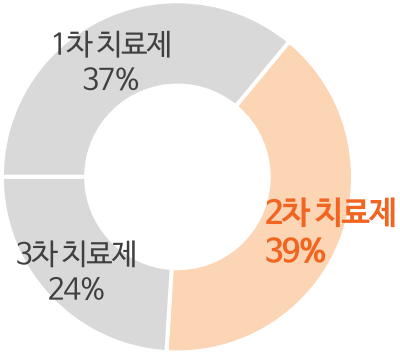
진행성 위암의 파클리탁셀 병용투여 임상 결과 단독 대비 2배 이상의 획기적인 치료 효과 입증

2차 치료제 사용빈도*

국소적 재발



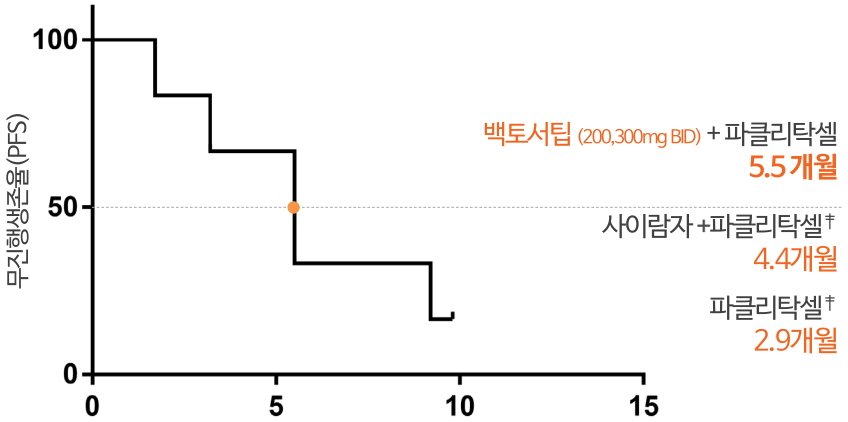
4기 전이 및 원격 재발 환자



자료 : *Datamonitor 2016 Gastric Cancer Database
주: 2차 치료제 간의 점유율은 고려하지 않음

위암 병용투여 임상 (1b상 진행 결과)

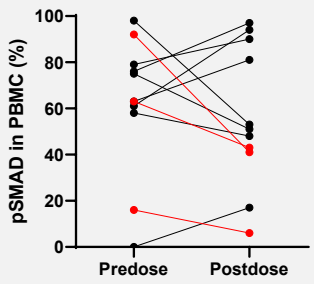
무진행생존율 (PFS) †



자료 : †메드팩토 ESMO 2020 포스터, ‡Lancet Oncol. 2014 Oct;15(11):1224-35
주 : 병용투여 임상 결과와 사이람자 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님

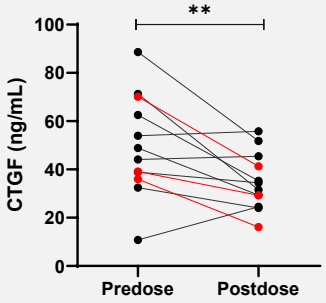
약력학적 마커

pSMAD

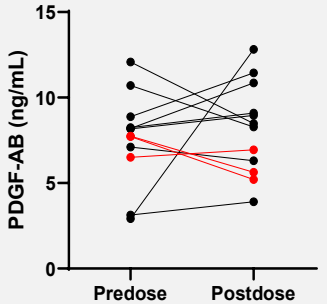


- TGF-β의 신호전달의 주된 마커인 SMAD의 인산화 감소

CTGF



PDGF



- TGF-β 신호전달경로의 타겟 유전자 발현의 감소

07. 임상 파이프라인 현황

MEDPACTO

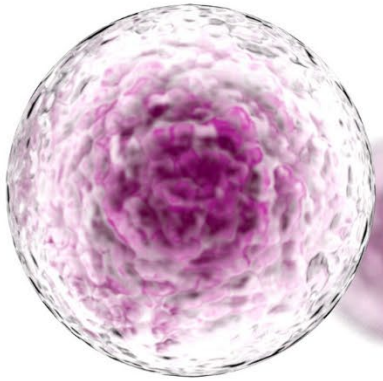
다수의 임상을 통해 백토서팁의 확장성과 모든 항암제와의 병용 효과 입증

SIT IIT

구분		암종	목표 환자수	[국가] 치료요법	임상시험 개발 진행현황
					Preclinical / Phase 1 / Phase 2 / Phase 3
고형암	백토서팁 단독	골육종	54	[한국, 미국] 백토서팁 단독요법	
	화학 요법 병용 임상	위암	43	[한국] + 파클리탁셀 +라무시루맙	
		췌장암	36	[한국] + 폴폭스	
			24	[한국] + 5FU/LV/오니바이드	
			준비중	[한국, 미국] SERVIER	
	표적항암제 병용 임상	데스모이드 종양 (침윤성 섬유종증)	33	[한국] + 이마티닙	
	NK세포치료제 병용 임상	대장암/혈액종양	12	[미국] + NK세포치료제+인터루킨(IL-2)	
	면역항암제 병용 임상	대장암	67	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) MSD	
		대장암	준비중	[한국, 미국] + 키트루다 (anti-PD-1) MSD	
		대장암 neoadjuvant	19	[미국] + 키트루다 (anti-PD-1)	
		비소세포폐암 1L	55	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) MSD	
		비소세포폐암 2L	63	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1) AstraZeneca	
		방광암	48	[미국] + 임핀지 (anti-PD-L1) AstraZeneca	
		위암	55	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1)	

Biomarker-based innovative drug development company

MEDPACTO



Chapter 4.

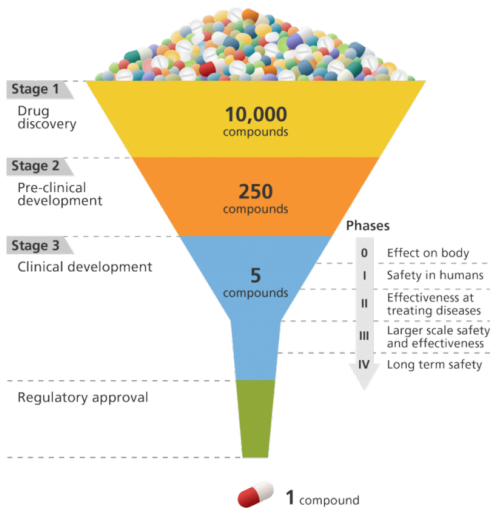
향후 전략

1. 백토서팁 개발 전략
2. 선택과 집중 암종 선정_대장암, 골육종, 췌장암
   2-1) 대장암(MSS형) 임상 결과 비교
   2-1) 백토서팁' 대장암 임상 바이오마커 발굴 성과
   2-2) 골육종 임상 진행 현황
   2-2) FDA 프로그램 비교

01. 백토서팁 개발 전략

MEd·PACTO

빠른 시장 진입을 위해, FDA로부터 신속히 판매 허가를 받을 수 있는 우선순위 임상 선택



확장 단계 임상 (2018~2021)

1) 모든 암종으로의 확장 가능성 2) 모든 항암제와의 병용투여 가능성 증명

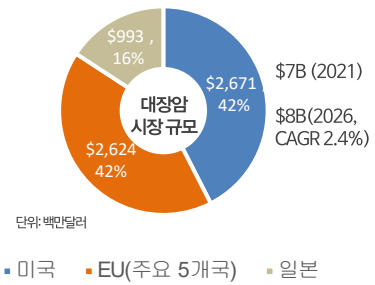
- 위암, 대장암, 췌장암, 비소세포 폐암 등 다양한 암종에서, 화학요법제, 표적항암제, 면역항암제 등 다양한 암 치료제와의 병용 투여 효과 발표

상업화 단계 임상 (2022~)

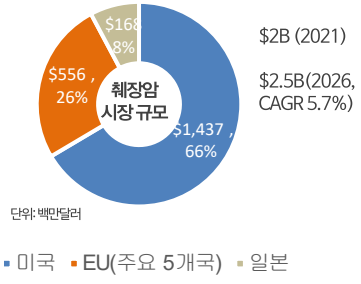
1) 사업성의 타당성 2) 임상의 효율성 3) 빠른 시장 진입의 가능성 비교

- 실제 시장에서 약이 판매되었을 때, 충분한 Market Pie를 기대할 수 있는가?
- 임상에 소요되는 비용과 시간이 적은 적응증인가?
- FDA 프로그램 지정 / 글로벌 Big Pharma들과의 파트너십으로 시판허가까지의 기간을 단축 시킬 수 있는가?

〈대장암 시장 규모〉



〈췌장암 시장 규모〉



우선순위 임상선정

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

02-1. 대장암(MSS형) 임상 결과 비교

MEd·PACTO

MSS형 대장암 표준 치료제 및 진행 중인 연구 임상 결과 대비 월등한 데이터 확보

대장암 표준요법 대비 MP-VAC-204 비교 | **대장암(MSS형) 임상 진행 또는 완료**

구분	MP-VAC-204 (백토서팁+키트루다)		Regorafenib mono CORRECT	Lonsurf mono	Avastin+Lonsurf (Sunlight Study)	Atezolizumab + cobimetinib	Pembrolizumab mono	M-7824	Regorafenib + Avelumab	Pembrolizumab + Lenvatinib	Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab	Regorafenib + Nivolumab
mOS (Median Overall Survival)	**15.8 months** (200 BID)	**17.35 months** (300 BID)	6.4 months	7.1 months	10.8 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)** (200 BID)	**18.2% (33/59)** (300 BID)	1% (5/505)	1.6% (9/534)	TBD (490)	2.7% (5/183)	0.0% (0/18)	3.4% (1/29)	0% (0/43)	22% (7/32)	0% (0/15)	7.1% (5/70)

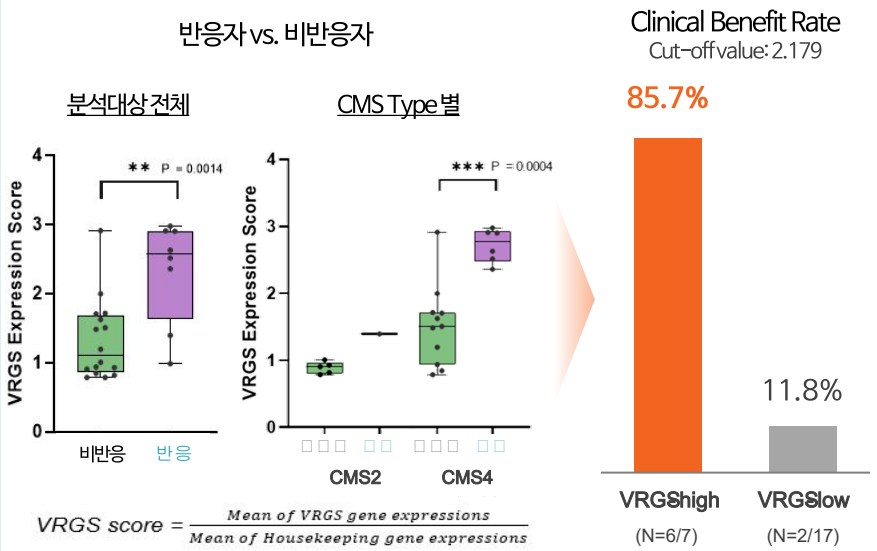
자료 : Vactosertib Study MP-VAC-204
GI ASCO: Trifluridine/tipiracil plus bevacizumab for third-line treatment of refractory metastatic colorectal cancer: The phase 3 randomized SUNLIGHT study.
Regorafenib(Stivarga) mono : Highlights of prescribing information, Revised 09/2012
Lonsurf mono : Mayer RJ, Van 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 : PD-1 Blockade in tumors with Mismatch-Repair Deficiency May 30, 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

02-1. '백토서팁' 대장암 임상 바이오마커 발굴 성과

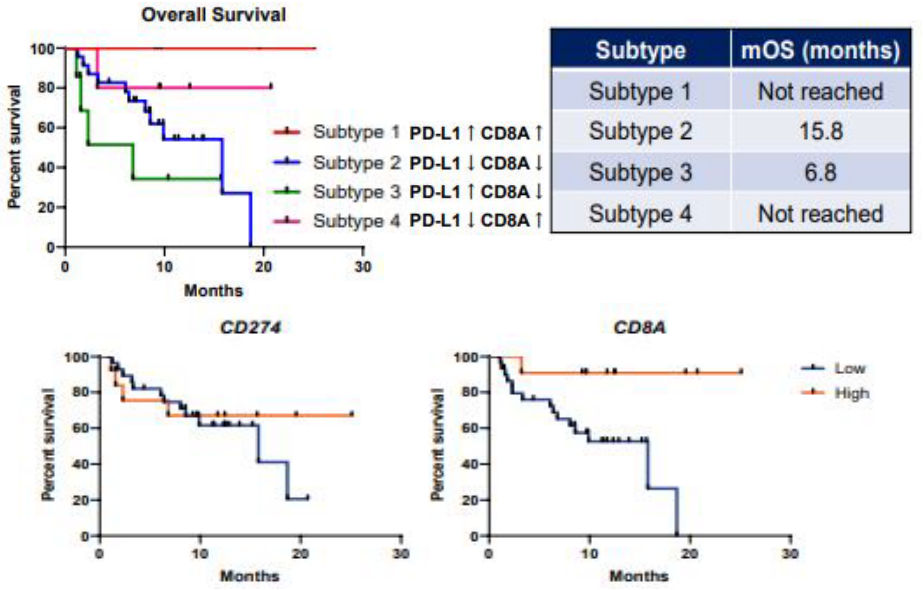
MEDPACTO

진행성 대장암에서 VRGS 분석 결과 및 TME 면역 타입별 Survival Analysis

VRGS 분석 결과 및 CBR 비교



TME 면역 타입별 Survival Analysis



Subtype	mOS (months)
Subtype 1	Not reached
Subtype 2	15.8
Subtype 3	6.8
Subtype 4	Not reached

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 반응환자와 높은 상관관계가 있음을 확인하였음. VRGS-high 환자군은 VRGS-low 환자군 대비 획기적인 CBR (Clinical Benefit Rate)을 보였으며, 백토서팁+키트루다 반응환자를 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 진행 할 수 있으며, 이 경우 높은 치료 효과 기대

02-2. 골육종 임상 진행 현황

MEDPACTO

치료제가 없는 골육종에서 FDA로 부터 동정적 사용 (Compassionate Drug Use) 승인
희귀의약품(ODD), 소아 희귀질환 의약품(RPD), 신속 심사(Fast-Track) 지정

We have investigated the efficacy of an orally available small molecule inhibitor of TGF-beta Type 1 Receptor, Vactosertib, in treating advanced Osteosarcoma as monotherapy. Our preclinical data have allowed the issuance of ODD by the FDA in 2021, and IND approval for a Phase I clinical trial in August 2022. The trial is being sponsored by MedPacto, with Rainbow as the primary trial site and several other institutions are planning to join this trial as consortium sites. We are seeing preliminary encouraging data through compassionate use basis."

관련종목▶ 메드팩토(235980)

[파이낸셜뉴스] 미국인 A군(14)은 5세였던 지난 2014년 경골 원위부(정강이뼈) 국소 골육종 진단을 받았다. 골육종은 일반적으로 만 15세에 진단이 이뤄진다. A군은 상당히 이른 시점에서 진단을 받은 것이다.

A군은 항암 치료를 진행했지만 종양 괴사가 심해 오른쪽 다리를 절단할 수밖에 없었다. 수술 후 종양 조직을 살펴본 의료진은 화학요법에 대한 반응이 좋지 않다는 것을 확인했다. 이는 암 재발 위험이 상당히 크다는 의미다. 모든 치료를 마친 3년 뒤인 2018년 의
전이된 것

A군의 주치의 알렉스 황 미국 레인보우소아병원 소아면역 치료센터 소장(케이스웨스턴리저브대학 교수)은 "백토서팁은 현재 치료 옵션이 거의 없는 진행성 골육종 환자에게 유망한 무독성 경구용 치료 옵션이 될 수 있다"고 설명했다.

골육종은 뼈
육종암 중
소아암 중
골육종이 폐로 전이된 환자는 사망 위험이 매우 높다.

폐 전이가 확인된 후 거의 2년간 골육종과 사투를 벌인 A군. 하지만 2020년 A군에게 청천벽력 같은 소식이 전해졌다. 폐에 이어 뇌에서도 전이가 확인된 것이다. 짧은 그의 인생 반 이상을 암과 싸워왔지만 정강이뼈에서 시작된 골육종은 재발은 물론 폐, 뇌까지 전이됐다.

컴퓨터 있는 사람이면 무
조건 해야 하는 게임!

FDA U.S. FOOD & DRUG ADMINISTRATION

Food and Drug Administration
10903 New Hampshire Avenue
WO32- 5295
Silver Spring, MD 20993

MedPacto, Inc.
267 Kentland Blvd
Gaithersburg, MD 20870

Attention: Ebla Ali Ibrahim, M.S
Director, Regulatory Affairs
ebla.alibrahim@medpactotx.com

Re: Designation request # RPD-2022-660
Dated: July 11, 2022
Received: July 14, 2022

Dear Mr. Ibrahim:

This letter responds to your request for rare pediatric disease designation of vactosertib (TEW-7197) for "treatment of recurrent, refractory or progressive osteosarcoma."

We hereby grant your request and designate vactosertib for *treatment of osteosarcoma (OS)* as a drug for a "rare pediatric disease," as defined in section 529(a)(3) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act (FD&C Act) (21 U.S.C. 360ff(a)(3)). Please note that the designation granted is broader than the indication proposed in your designation request. We determined that OS meets the definition of a rare pediatric disease based on the information you submitted and reliance upon additional supportive information.

Based on the information you provided and additional information from the literature, there is sufficient information to demonstrate that most patients with OS receive treatment to

FDA U.S. FOOD & DRUG ADMINISTRATION

IND 162575

GRANT FAST TRACK

MedPacto, Inc.
c/o MedPacto Therapeutics, Inc.
Attention: Ebla Ali Ibrahim
Director, Regulatory Affairs
267 Kentlands Blvd #4080
Gaithersburg, MD 20878

Dear Ms. Ibrahim:

Please refer to your investigational new drug application (IND) submitted under section 505(i) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act for vactosertib.

We also refer to your November 15, 2022, request for Fast Track designation. We have reviewed your request and concluded that it meets the criteria for the Fast Track designation. Therefore, we are designating as a Fast Track development program the investigation of vactosertib as a single agent in adolescent and adult patients with recurrent, refractory, or progressive osteosarcoma. Please note that if the clinical development program you pursue does not continue to meet the criteria for Fast Track designation, the application will not be reviewed under the Fast Track program.

For further information regarding Fast Track Drug Development Programs, please refer to the guidance for industry *Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics*.[1] This document may be requested from the Office of Communications, Division of Drug Information at 301-796-3400 or 1-888-463-6332.

We remind you that under section 561A(f)(2) of the FD&C Act (§21 U.S.C. 360bbb-0)

02-2. FDA 프로그램 비교

MEDPACTO

	ODD (Orphan Drug Designation)	RPDD (Rare Pediatric Designation)	FTD (Fast Track Designation)	BTD (Breakthrough Therapy Designation)
Qualifying Criteria	• A drug or biological product to prevent, diagnose or treat a rare disease or condition	• The drug must be intended for the prevention or treatment of a rare pediatric disease. • Adequate documentation or prevalence data must demonstrate that the intended pediatric disease or condition is rare. • There must be supportive data suggesting that the drug may be effective in the rare pediatric disease or condition.2	• Showing superior effectiveness, effect on serious outcomes or improved effect on serious outcomes • Avoiding serious side effects of an available therapy • Improving the diagnosis of a serious condition where early diagnosis results in an improved outcome • Decreasing a clinical significant toxicity of an available therapy that is common and causes discontinuation of treatment • Ability to address emerging or anticipated public health need	• An effect on an established surrogate endpoint • An effect on a surrogate endpoint or intermediate clinical endpoint considered reasonably likely to predict a clinical benefit (i.e., the accelerated approval standard) • An effect on a pharmacodynamic biomarker(s) that does not meet criteria for an acceptable surrogate endpoint, but strongly suggests the potential for a clinically meaningful effect on the underlying disease • A significantly improved safety profile compared to available therapy (e.g., less dose-limiting toxicity for an oncology agent), with evidence of similar efficacy
Benefits	• Exemption from user fees • Reduced fees for regulatory activities • Tax credits for qualified clinical trials • Potential seven years of marketing exclusivity after approval	• Additional incentives for obtaining FDA approval of such products beyond the incentives offered by the orphan drug designation (ODD) program • Speed the review and potential approval of treatments • PRV(priority review voucher)	• More frequent meetings with FDA to discuss the drug's development plan and ensure collection of appropriate data needed to support drug approval • More frequent written communication from FDA • Eligibility for Accelerated Approval and Priority Review • Rolling Review	• All Fast Track designation features • Intensive guidance on an efficient drug development program, beginning as early as Phase 1 • Organizational commitment involving senior managers
When to submit request	• With IND or after • Ideally, no later than the end-of-phase 2meeting	• With IND or after * For PRV : Before filing of a marketing application for the drug for the orphan use	• The sponsor should ordinarily discuss the possibility of accelerated approval with the review division during development, supporting, for example, the use of the planned endpoint as a basis for approval and discussing the confirmatory trials, which should usually be already underway at the time of approval	• With IND or after • Ideally, no later than the pre-BLA or pre-NDA meeting