



GC Cell INVESTOR PRESENTATION

Global Creator of Cell & Gene Therapy



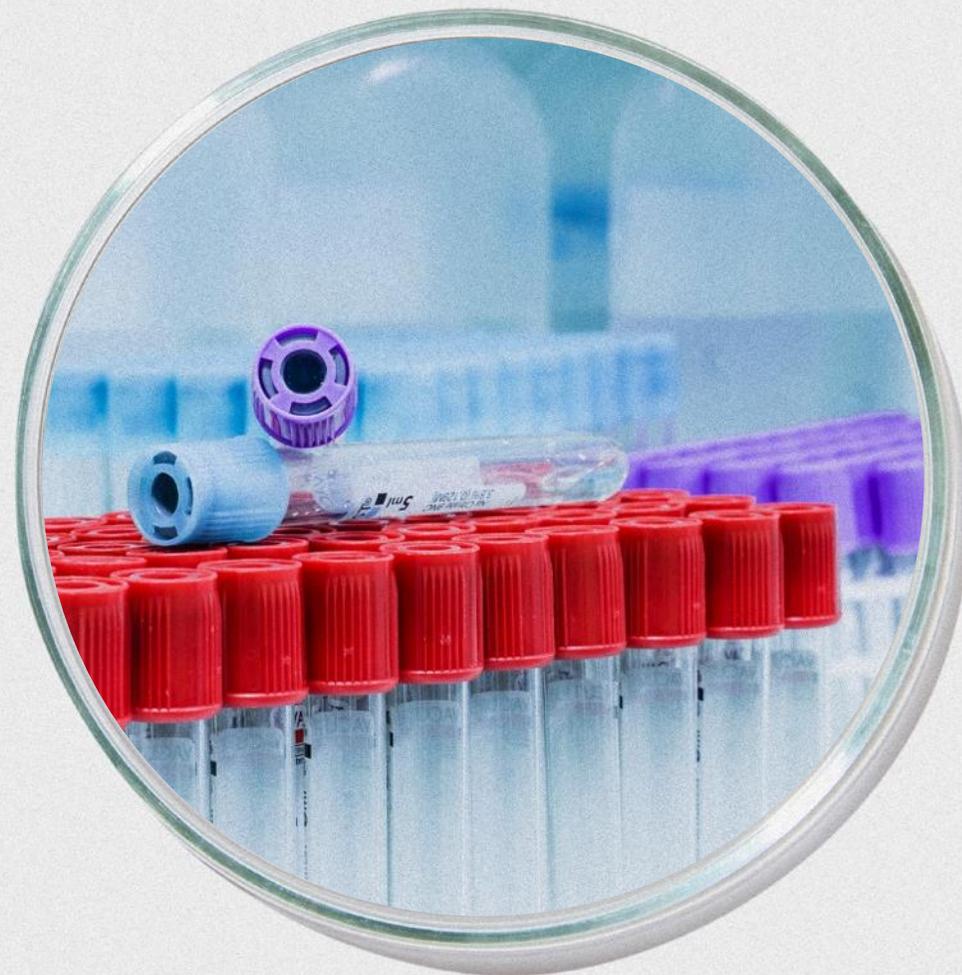
유의 사항 : 본 자료에 포함된 “2023년 1분기 실적”은 외부감사인의 회계감사가 완료되지 않은 상태에서 투자자 여러분의 편의를 위해 작성된 자료이므로, 그 내용 중 일부는 회계감사과정에서 달라질 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

Disclaimer : This document is provided for the convenience of investors only, before the external audit on our Q1 2023 financial results is completed. The audit outcomes may cause some parts of this document to change.

01

ABOUT GC Cell

GC Cell Investor Presentation



회사 개요

주요연혁

대표이사	제임스박	종업원 수	768명 (1Q23Y)
설립일	2011.06.27	시가총액	약 6,304억원 (*07/03기준)

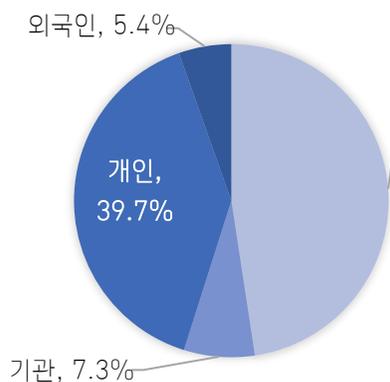
주요 연혁	<p>기반기술 확립 2011.06 녹십자랩셀 설립 2014.12 NK세포 배양방법 특허 출원 2016.02 세포 동결보존 기술 특허 출원 2016.06 코스닥 상장(KQ 144510)</p>
	<p>Global 경쟁력 확보 2018.10 Cell Center 준공 2019.03 Artiva 설립 (미국) 2020.12 Artiva AB-101 1/2상 IND 승인 (미국 FDA) 2021.01 MSD(미국) NK세포치료제 기술 수출 (2조 규모) 2021.11 GC셀(GC Cell) 통합법인 출범</p>
	<p>Global 도약기 2022.01 이문셀엘씨 기술수출 (인도 Rivaara Immune) 2022.04 글로벌 CDMO 진출 (미국 BioCentriq 인수) 2022.09 Artiva AB-201 1/2상 IND 승인 (미국 FDA) 2023.01 AB-101 패스트 트랙 지정 (미국 FDA) 2023.03 Artiva AB-201 희귀의약품지정 (미국 FDA)</p>

주요사업

CGT 연구개발	플랫폼 개발 및 기술 수출(NK, T, Stem Cell 등)
CDMO	세포치료제 제조시설, One-stop Service 제공
이문셀엘씨	'07년부터 현재까지 최소 이상반응, 유효성 데이터 보유
검체검사 서비스	병의원 검체 검사 영업·마케팅·고객관리 등

주주구성

As of 1Q23Y



구분	주식수	비율 (%)
GC녹십자	5,257,712	33.3%
GC	1,339,318	8.5%
자기주식	783,692	5.0%
특수관계인	133,403	0.8%

주요 시설

제조시설(Cell Center)



규모	전체 면적 약 20,806 m ² (지하 2층, 지상 4층)
	GMP 면적 약 11,679 m ² (지상 1층, 2층)
	제조소 10개(이문셀엘씨 4개, CDMO 6개)
품목	이문셀엘씨 제조, CDMO 수주
CAPA	연 18,000 pack (이문셀엘씨 기준)

핵심 역량

- 공정기술과 제조역량을 바탕으로 CDMO 시장경쟁력 확보
- 미 CDMO 사업 진출에 따른 cGMP compliance 노하우 보유

공정기술	제조역량	제조시설
-Allo 플랫폼 기술 -동결기술	-세계최다 제조경험(Auto) -임상시험 수행경험	-Cell Center : 최첨단 세포치료제 제조시설

수행 실적

구분		종류	비고
국내	A사	Gene Therapy	IND, 임상 1상, 임상 2상
	B사	CAR-T	비임상, IND
	C사	Stem Cell, Cell Therapy	비임상
해외	D사	Cell Therapy	임상 1/2a 상

※ 첨단재생바이오법 허가 완료('21Y): 인체세포등 관리업, 첨단바이오의약품 제조업, 첨단바이오의약품 품목허가, 첨단재생의료 세포처리시설

성장 전략

Global Creator of Cell & Gene Therapy

1. Platform Discovery

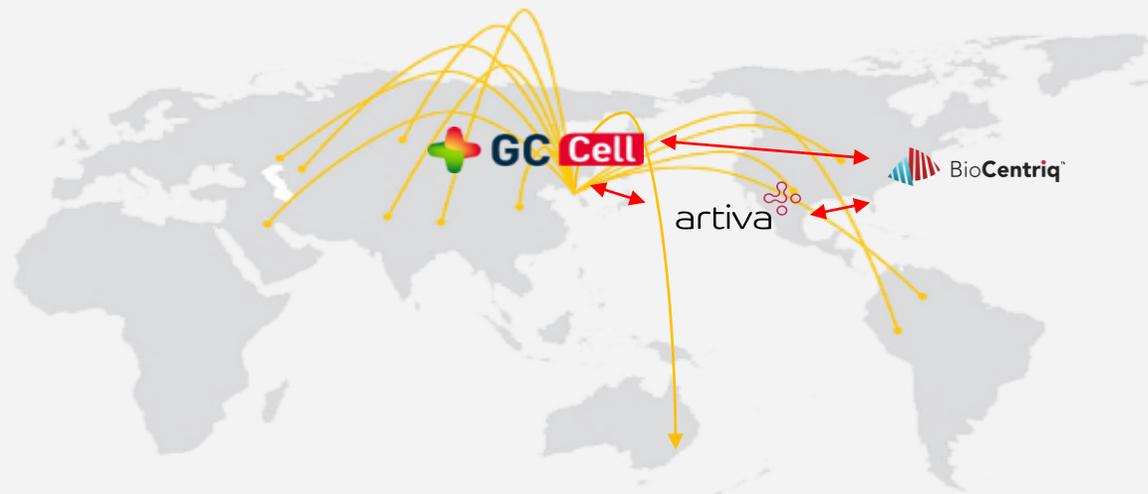
- AlloNK/CAR-NK 기반기술 고도화
- 이문셀엘씨 업그레이드 및 공정 변경

2. Pipeline Expansion

- 항체병용(Rituxan, Herceptin, etc.)
- NK Engager / gene Editing

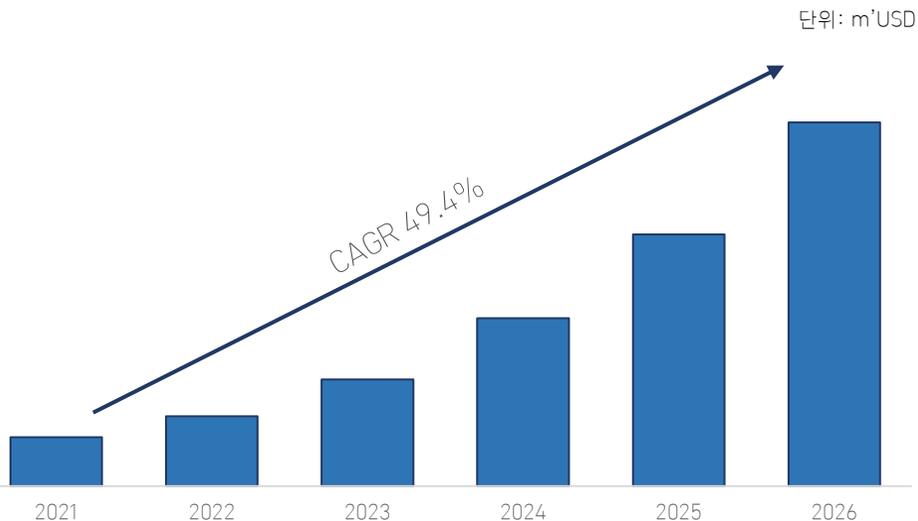
3. Business Development

- 글로벌 기술 이전 및 도입
- 빅파마와의 전략적 파트너십 구축



CGT 시장분석

글로벌 CGT 시장 규모

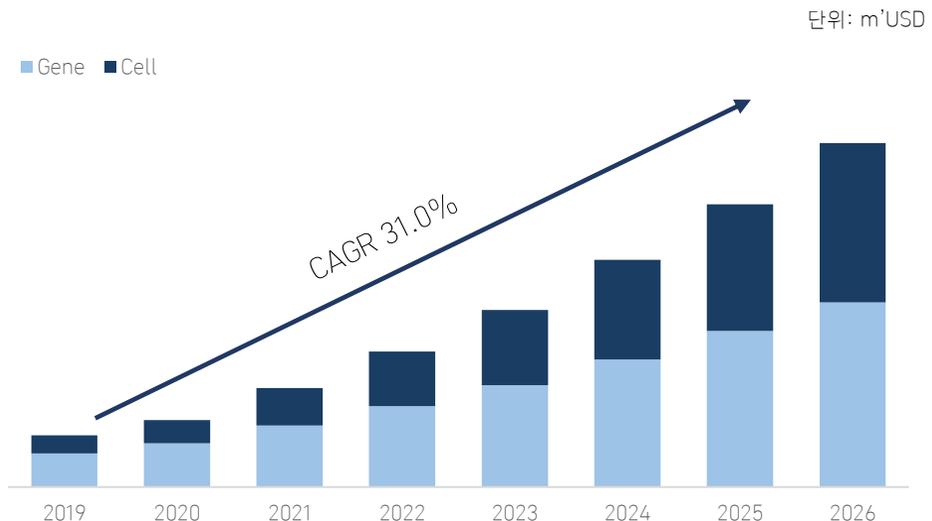


출처 : Evaluate Pharma, 2022.2

▶ 세포치료제 시장

- `26년까지 73조원 규모 성장 예상
- 전세계적 세포 및 유전자 치료제 시장의 관심 집중
: 2,220개 임상 진행 중(북미 43%, 아시아태평양 38%), *`23년 1월 기준
- 활발한 M&A를 통해 기업 규모와 경쟁력 강화 중

글로벌 CGT CDMO 시장 규모



출처 : Frost & Sullivan, 2020.10

▶ 미래성장산업

- `26년까지 12조원 규모 성장 전망
- 공정기술, 제조역량 등 End-to-End 노하우 필수
: 위탁 생산에서 연구개발까지 전주기 서비스로 확장
- 경쟁력 강화 위해 M&A 및 시설투자 적극 추진

02

PERFORMANCE

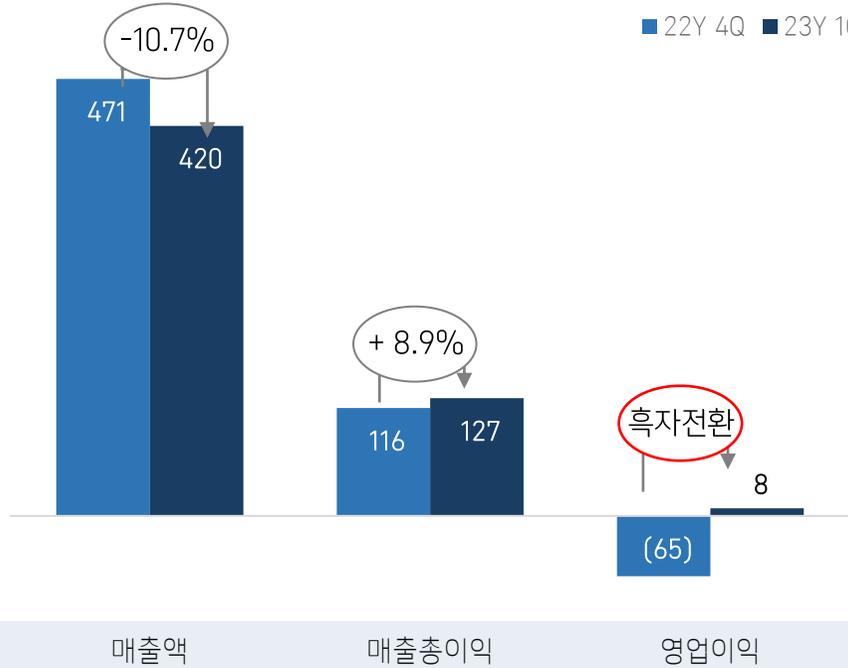
GC Cell Investor Presentation



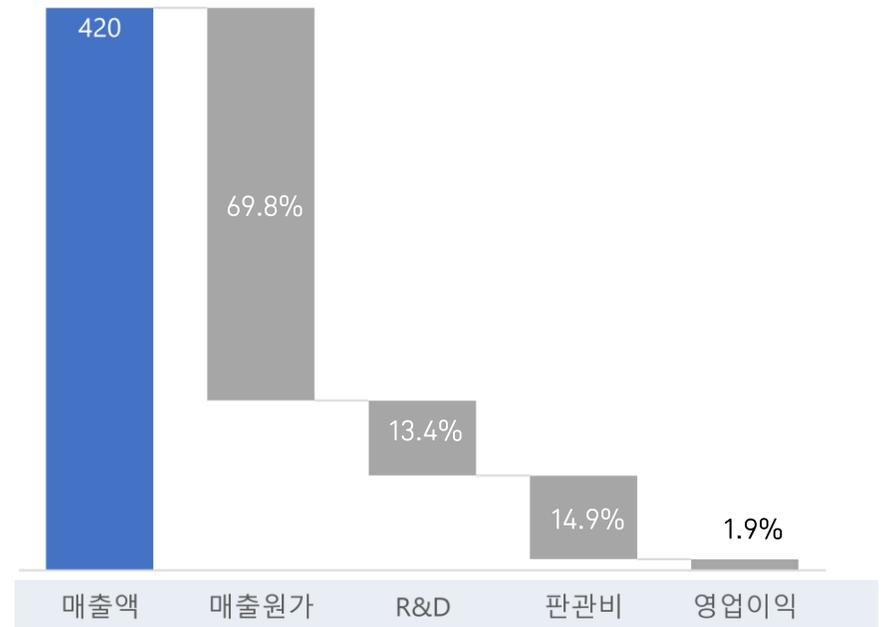
실적 증감

매출액(QoQ)

■ 22Y 4Q ■ 23Y 1Q



영업이익



Q1 전년동기比 매출액 -10.7%, 영업이익 흑자전환

검체검사사업 중 코로나19 관련 매출 감소에 따른 매출 변동

03

R&D

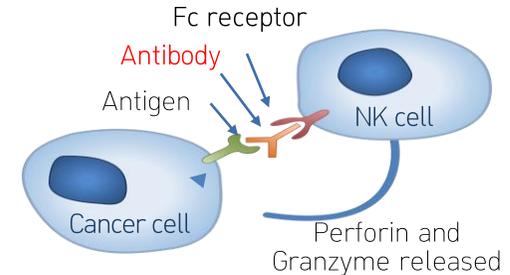
GC Cell Investor Presentation



주요 기술

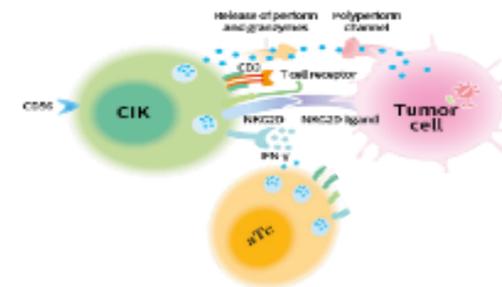
1. ADCC Enhancers(Allo-NK)

- NK 대량 배양 핵심 기술인 자체 e-feeder cell system 보유
- 동결 후 2년 이상 장기보관 가능(해동 후 NK 살상능력 >90% 유지)
- NK 핵심 활성화 수용체 고발현(NKG2D 발현>80%, CD16 발현 >90%)
- 항체(Rituxan, Herceptin, Cetuximab etc.), NK engager 병용



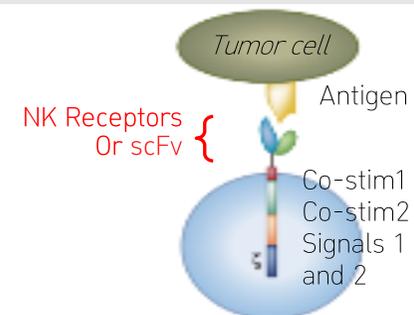
2. T Cell platform(Auto-T)

- PH III, PH IV, Real World 임상 자료 보유
- 최소의 이상반응, 축적된 유효성 데이터
- 첨단바이오의약품 재허가 ('21.08)
- 간암 외 췌장암 3상 임상시험 진행 중



3. Targeted CAR

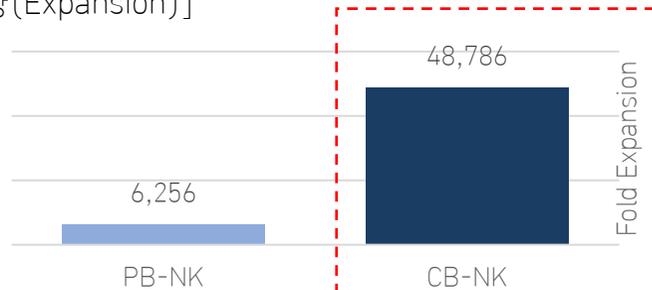
- NK 특화 CAR structure 보유(scFv, NCR, etc.)
- 3세대 CAR(CD28-OX40L-CD3z) 특허 보유
- IL-15 추가한 4세대 Armored IL-15 CAR-NK 개발 중
- 임상시험과 상업화 가능한 규모의 제조 플랫폼 보유



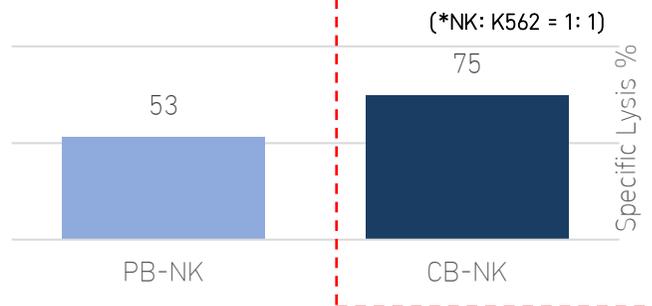
Why? Cord blood NK cells

[Cord Blood NK vs. Peripheral Blood NK]

[배양(Expansion)]



[효능(Efficacy)]



- 동결제형, 동종(allogeneic) off-the-shelf 세포치료제 개발
- 말초혈액 대비 빠른 증식력과 살상 능력 확인
- 엄격한 기준의 제대혈 선별로 암 억제 효능 극대화

1. 안정적 공급망

- 국제 수준의 제대혈 공급망 보유
- FDA 승인 CBU's Public banks 로부터 원활한 공급

2. 최적의 세포 선별

- 항체 친화성 높은 CD16와 158V/V 유전자형 선별
- 고효율 세포 선별을 위해 공여자 스크리닝 실시

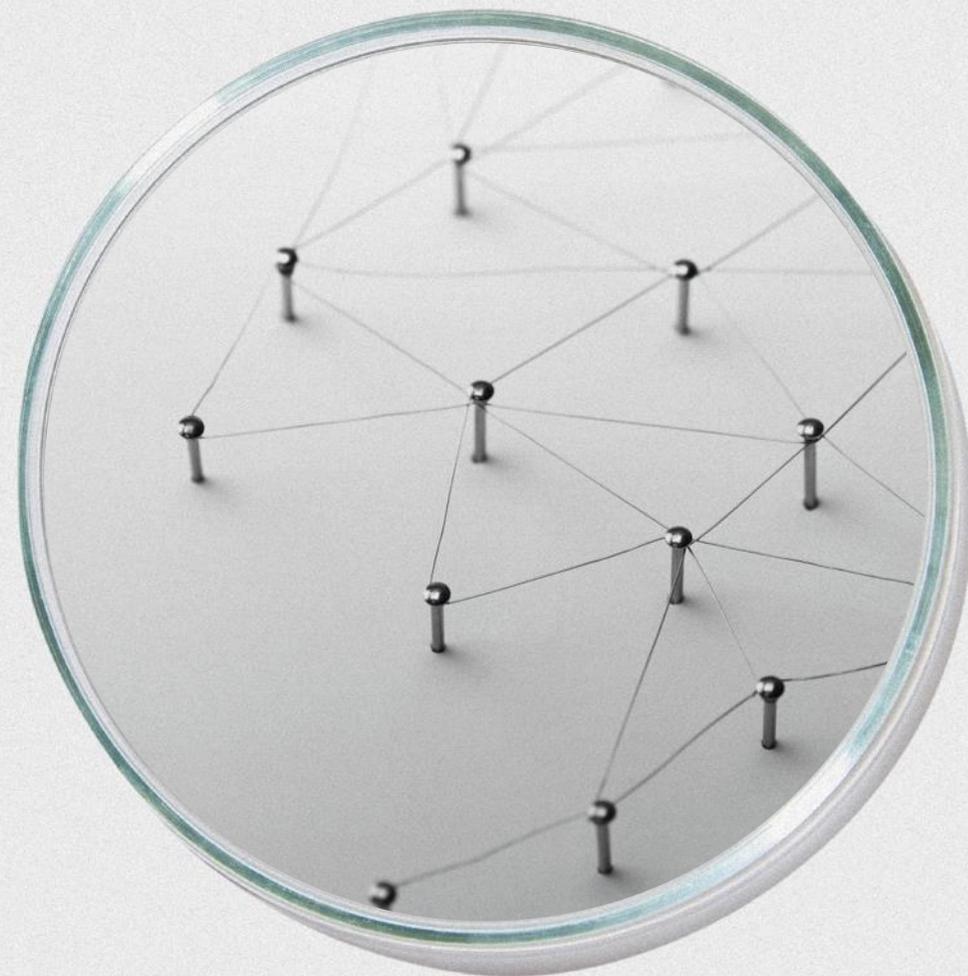
3. 고효율 세포치료제 생산

- 높은 증식 능력, 우월한 살상 효력
- 낮은 편차의 품질, 'off-the-shelf 방식' 가능

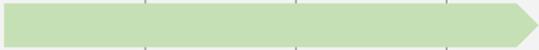
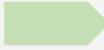
04

PIPELINE

GC Cell Investor Presentation

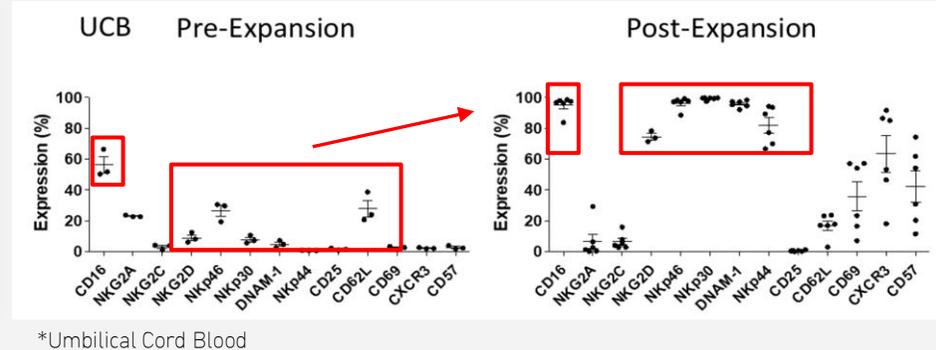


R&D 파이프라인

Type	Product	Indication	Pre-clinical	Phase I	Phase II	Phase III	NDA	Sponsor	Remark
약재	CBNK	AB-101 + Rituximab	r/r Lymphoma						임상 1/2a상 진행 중 *초기 데이터 발표('23.06)
	CAR-CBNK	HER2 CAR-NK (AB201)	HER2+ Solid Cancers						IND (US FDA) 승인 ('22.09)
		CD19 CAR-NK (AB202)	B Cell Lymphoma						공정개발, 비임상 시험 단계
		CD5 CAR-NK (AB205)	T Cell Lymphoma						IND 준비 중
		Merck Projects	Solid Cancers						항체 1개 선정 완료 : 공정개발, 비임상 시험 단계
									
자가	PBCIK	Immuncell-LC	Pancreatic Cancer						임상 3상 진행 중 *HCC 첨단바이오횰약품 재허가 ('21.08)
	CAR-T	CT207A	Pancreatic Cancer						공정개발, 비임상 시험 단계

동종 제대혈 유래 자연살해세포 (CBNK)

- 잠재력이 높고 일정한 생산성 보유 세포 원료 사용
- 50L 이상의 bioreactor 를 이용한 효율적인 대량 생산 과정
- 낮은 공여자 편차, 일정한 품질
- 높은 생존율과 강력한 항암 활성을 보이는 고순도 NK



CBNK + 리툽시맙(AB-101)_림프종

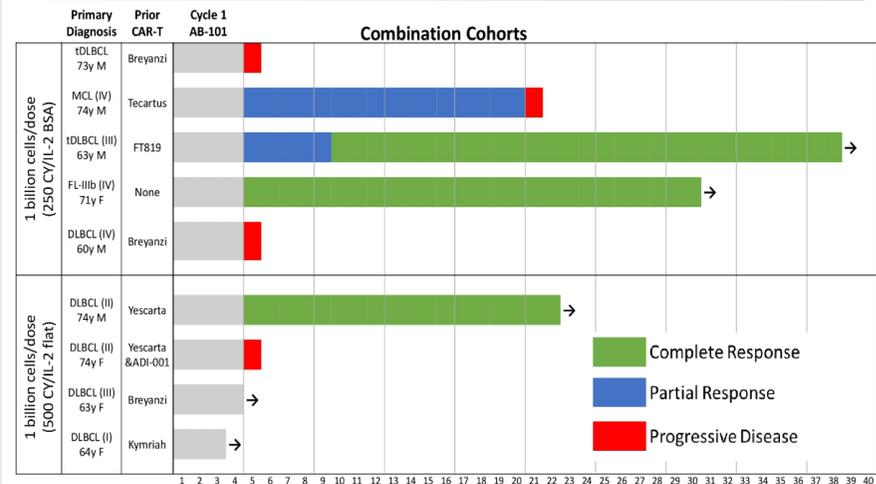
- 제대혈 유래 Allogenic(동종) NK세포치료제
- 항체 병용투여 시 항암효과 증가

20년 12월 P1/2 IND 승인 (US)
P1 24년 말 임상 완료 목표

임상 개요

적응증	B세포 비호지킨 림프종(B-cell lymphoma)
임상단계	1/2a상
진행현황	<ul style="list-style-type: none"> - FDA IND 승인(`20.12) - 첫환자 모집(`21.03) - 단독 / 병용치료 진행 중
디자인	<ul style="list-style-type: none"> - 모집 목표 환자수 80명 - 1주 간격 4회 AB-101 투여, 2주 간격 3회 Rituximab 투여 (One cycle) *3~4차 Cycle까지 가능 (w/o 림프구제거술)
실시기관	미국, 다기관 (14개 병원)
비고	<ul style="list-style-type: none"> - 미국면역항암학회(SITC) 전임상 데이터 발표(`22.11) - 미FDA 패스트트랙 지정(`23.02) - 임상 1/2상 초기 데이터 발표(`23.06)

임상 데이터

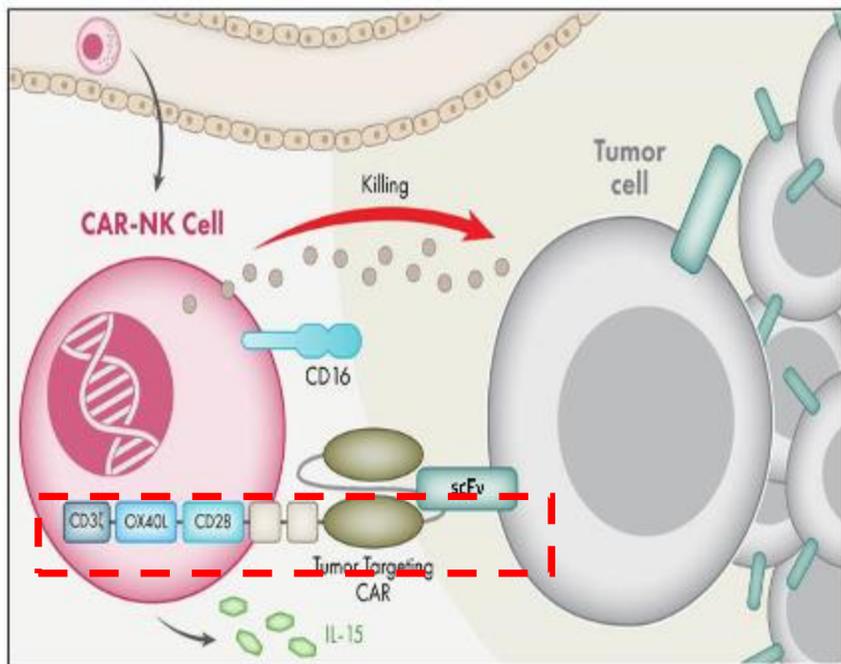


- AB-101(10억 Cells/dose) 병용 환자 대상 객관적 반응을 확인
: 객관적 반응률(ORR) 57.1%(CR 3명, PR 1명)
: 5,7,9 개월 동안 치료 효과 지속 확인
- `23년 하반기부터 AB-101(40억 Cells/dose) 병용 환자 모집 예정

동종 제대혈 유래 CAR 자연살해세포 (CAR-NK)

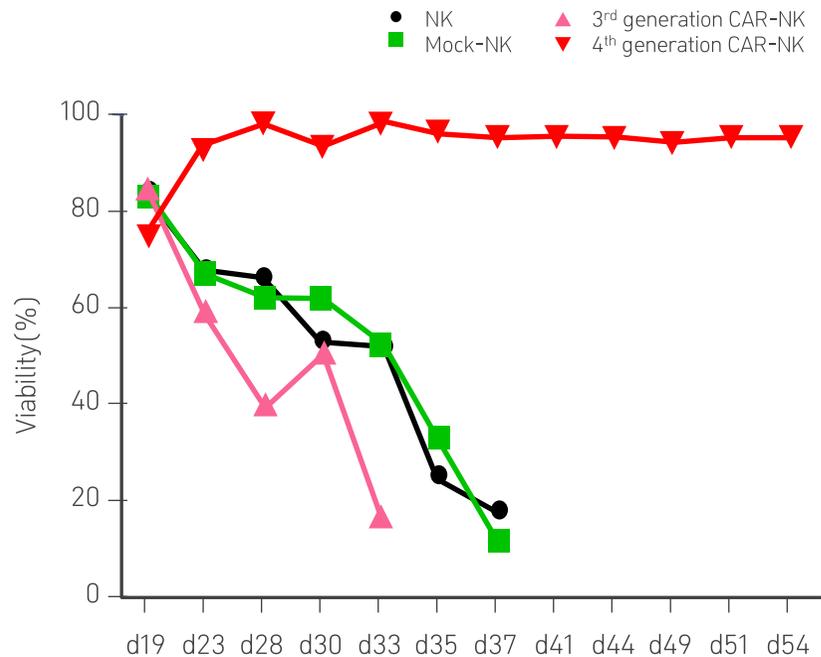
- NK 특이적 공동 신호도메인 독점 보유 (IP)
- 독점적으로 종양 표적 항체 (scFv) 결합 도메인 보유
- 임상시험과 상업화 가능한 규모의 제조 플랫폼 보유
- IL-15 사이토카인 공동 발현 (4세대 CAR), 생존 능력 증가

GC셀의 CAR-NK



OX40리간드 삽입 및 IL-15 자가 생성

Cell Viability in Culture without IL-2 Support



동종 HER2 CAR-NK(AB-201)_위암/유방암 등

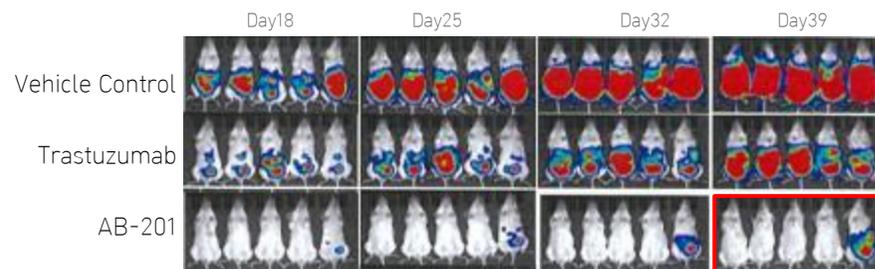
- 암세포 제거 및 종양 억제력 탁월한 것으로 나타남
- IL-15 추가한 4세대 Armored IL-15 CAR-NK

22년 9월 P1/2 IND 승인 (US)

임상 개요

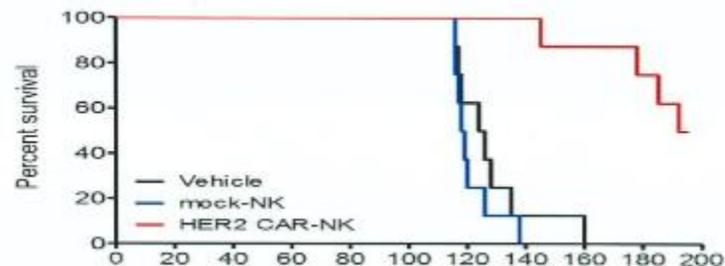
적응증	진행성 HER2 양성 유방암 혹은 위암/위식도접합부암
임상단계	1/2a상
진행현황	<ul style="list-style-type: none"> - FDA IND 승인(`22.09) - 글로벌 임상 개시 위한 사이트 선정 중
디자인	<ul style="list-style-type: none"> - 모집 목표 환자수 133명 - 단회투여
실시기관	다국적 (International), 다기관 (임상 1상: 5~10 기관, 임상 2상: 최대 20 기관)
비고	- 미FDA 희귀의약품지정_위암/위식도접합부암 (`23.03)

유방암 마우스 모델



마우스 체내 종양 관찰 안 됨(CR)

위암 마우스 모델

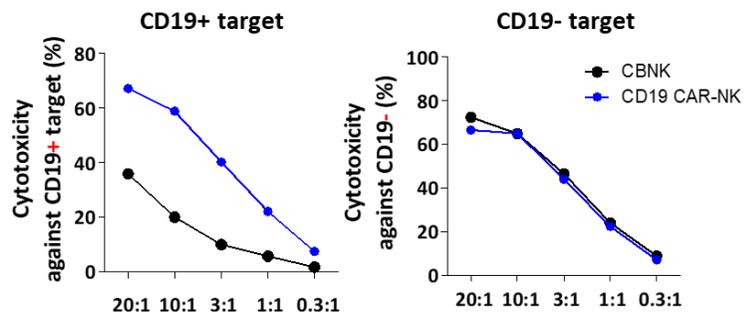
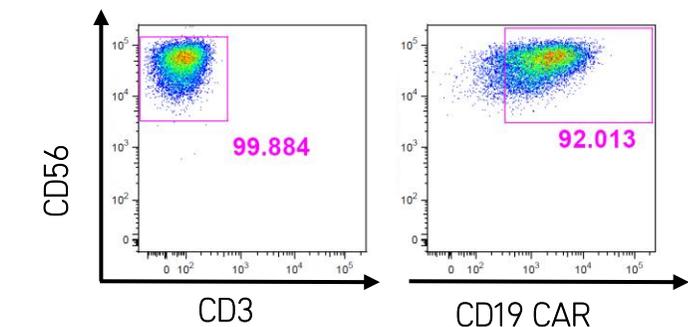


동종 CD19 CAR-NK(AB-202)_림프종

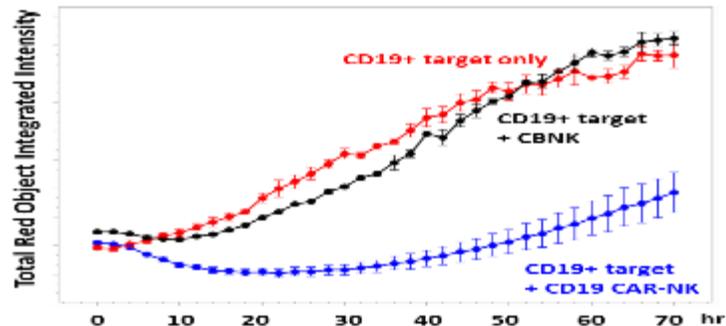
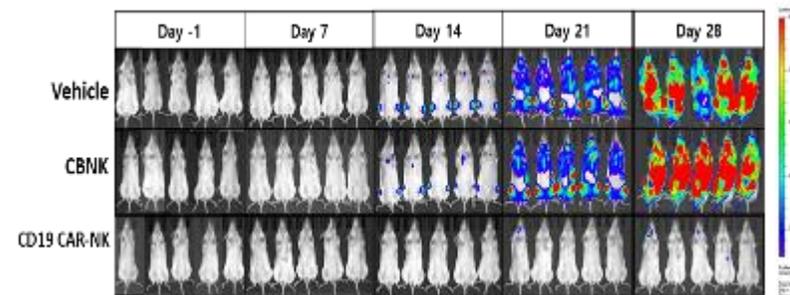
- NK 세포 표면 위 높은 CD19 CAR 발현
- 강한 종양 살상능 (in vitro short-term, long-term), 탁월한 종양 억제능 (in vivo)

IND enabling
24년 IND (예정)

CD19 CAR 발현 정도 / 살해능력 (In vitro)



CD19 CAR 세포의 종양억제력

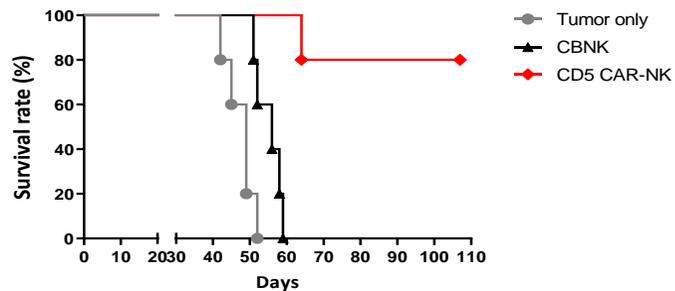
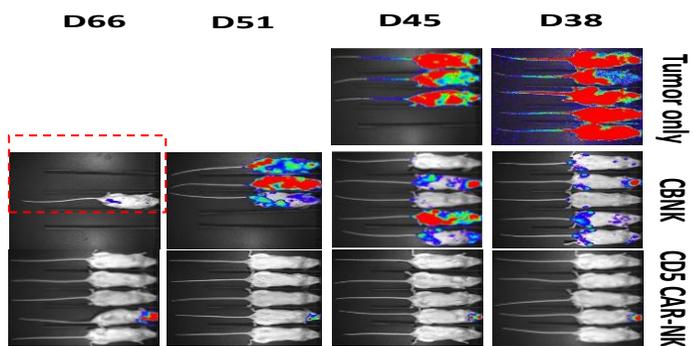


동종 CD5 CAR-NK(AB205)_T세포 림프종

- 치료 옵션이 없는 희귀 혈액암 치료를 위한 신약 개발
- 국내 기업 최초 CAR-NK 세포치료제 임상진입 목표

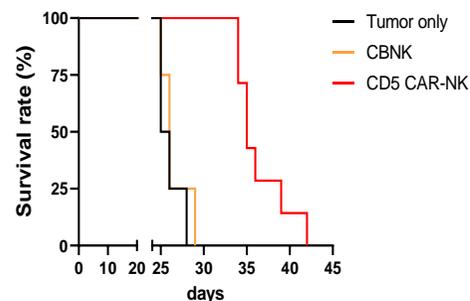
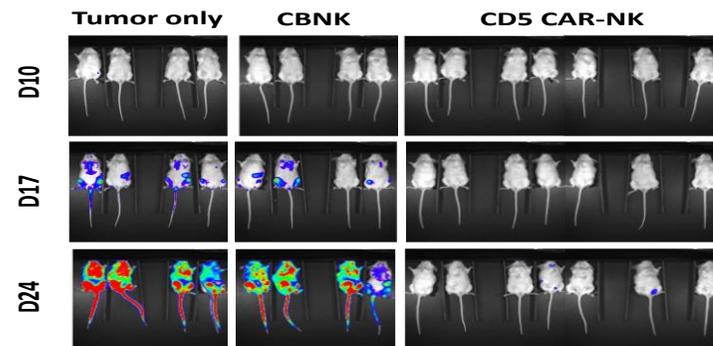
IND enabling
24년 IND (예정)

종양형성 억제능 향상 및 생존률 증가 확인



$p < 0.005$, Log-rank (Mantel-Cox) test

생존률 향상 및 체내 지속성 확인

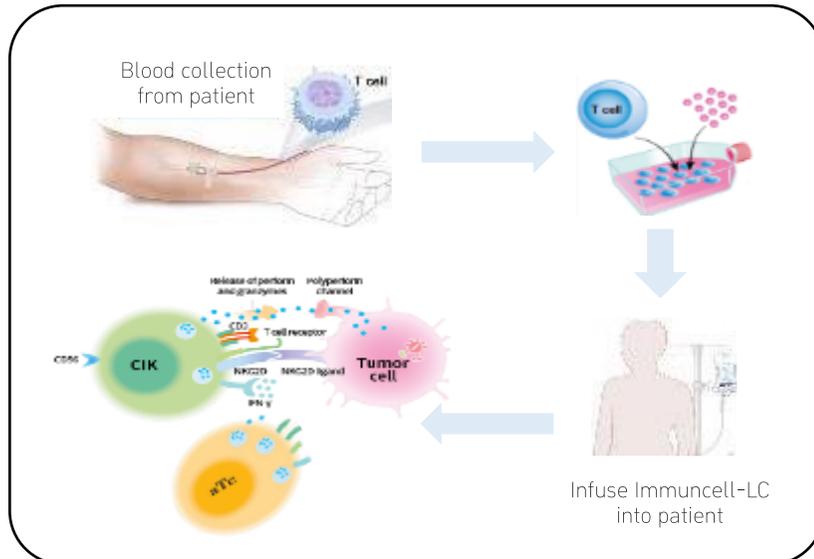


Immuncell-LC(Autologous CIK)

- 최소의 이상반응, 축적된 유효성 데이터
- PH III, PH IV, Real World 임상 자료 보유

- 전세계 최대 제조 기록 보유(Autologous CIK)
- 첨단바이오의약품 재허가 ('21.08)

작용 기전



이문셀엘씨(CIK + aTc)

CIK(Cytokine induced killer) : CD3⁺CD56⁺ (NK-like T cell)

aTc(activated cytotoxic T cell) : CD3⁺CD8⁺

임상 결과

- Liver cancer - Approved by MFDS (2007)
- Phase III (230 patients, Gastroenterology)



- Phase IV F/U clinical trial



- Real-world data (118 patients, BMC Cancer)



Immuncell-LC(Autologous CIK)_철헤장암

- 철헤관선암(철헤장암) 절제 수술 후 쟤몐시타빈(Gemcitabine) 표준치료 환자 대상
- 이몐셀엘씨 병용 치료군과 쟤몐시타빈 단뎡 치료군의 유효성 및 안전성 평가

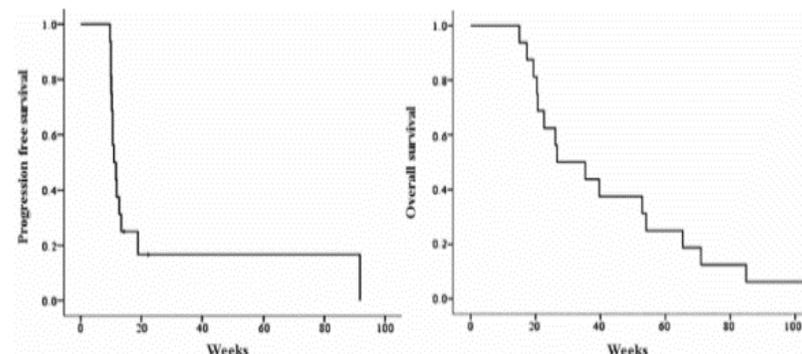
20년 12월 MFDS P3 IND 승인

임상 개요

적응증	근치적인 절제술 이후 철헤관선암
임상단계	3상
진행현황	- MFDS IND 승인(`20. 12) - 첫환자 모집(First Patient In)(`21. 09)
디자인	- 모집 목표 환자수 408명 - 이몐셀엘씨주 16회(1주간격 4회, 2주간격 4회, 4주간격 4회, 8주간격 4회), 쟤몐시타빈 6회 병용 투여
실시기관	국내, 다기관(서울대학교병원 외 13개 병원)
비고	- 연구자 주도 임상 결과 논문 발표(`14.06) - 중간분석 필요레수(124명) 등록 완료(`22.12)

연구자 주도 2상 결과

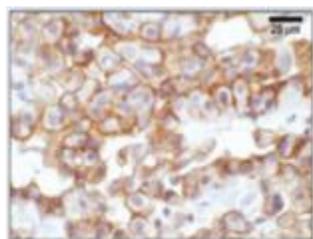
- 진행성 철헤장암 환자에서 쟤몐시타빈 치료에 실패한 환자
- 논문 게재 SCI 저널
‘Cancer Immunology, Immunotherapy’ (`14.6.)
: 치료 반응률 25% 기록, 삶의 질(QoL) 개선효과
- 질병 진행 없는 생존 중앙값 11.0주 (95 % CI 8.8-13.2 weeks)
- 전반적 생존 중앙값 26.6주 (95 % CI 8.6-44.6 weeks)



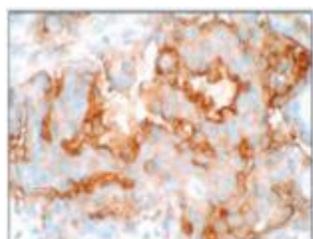
업그레이드 MSLN CAR-T_고형암 타겟 강화 전략

- 적응증이 넓고 의학적 미충족 수요가 있는 메소텔린 (Mesothelin, MSLN)을 타겟 함
- 자사 고유의 메소텔린 타겟 항체절편 (Single-chain variable fragment, scFv) 보유, 종양 특이성 및 안전성 확보
- MSLN CAR-T의 체내 지속성 향상 및 미세 종양 환경 내 생존율 및 효능 증대를 위한 신규 플랫폼 개발

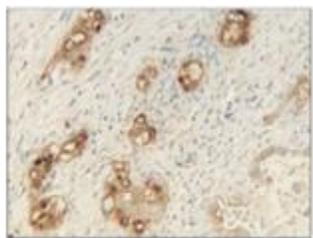
메소텔린 발현률



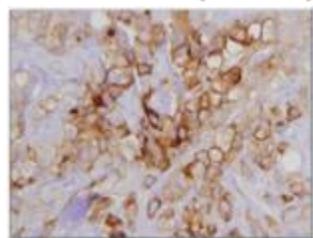
Mesothelioma (85-90%)



Ovarian cancer (60-65%)

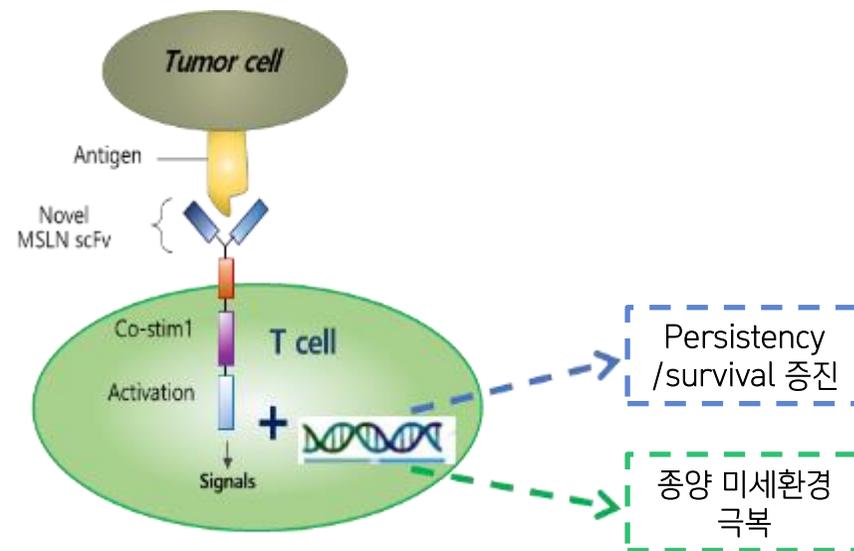


Pancreatic cancer (80-85%)



Lungcancer (60-65%)

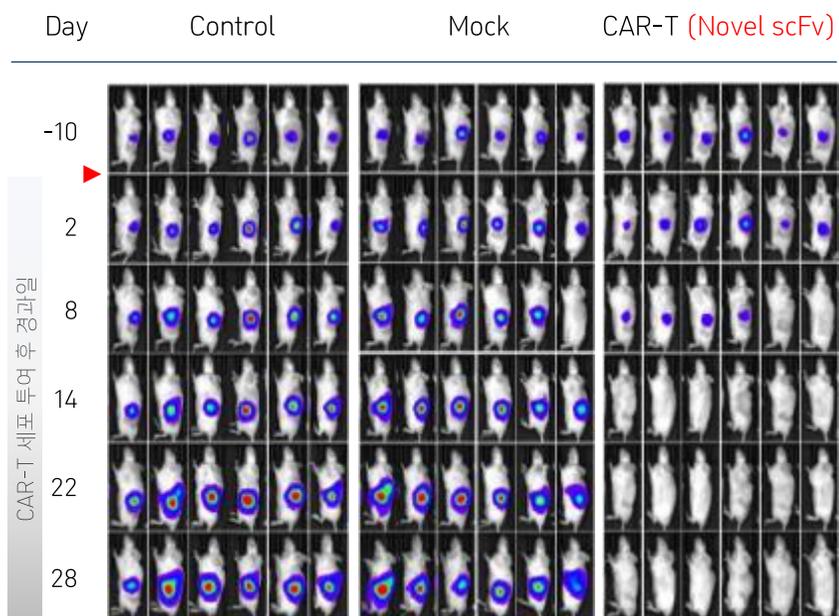
MSLN CAR-T



2세대 MSLN CAR-T_철헤장암

- 2세대 MSLN CAR-T로 철헤장암 동소이식 마우스 모델에서 조직 내 종양 억제 및 완전관해 확인
- 암세포 제거 및 조직 내 T 세포의 침윤이 나타남

철헤장암 마우스 모델에서 Auto MSLN CAR-T 효력



마우스 모델의 암 조직 분석 결과 (Day 10)

