

GENOME & CO

Corporate Presentation

Investor Relations 2023

2023. 08. 21

Genome & Company



Disclaimer

본 자료는 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 (주)지놈앤컴퍼니(이하 "회사")에 의해 작성되었으며, 이의 반출 · 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려 드리는 바입니다. 본 Presentation에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며, 제한 사항에 대한 위반은 '자본시장과 금융투자업에 관한 법률'에 대한 위반에 해당될 수 있음을 유념해 주시기 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, 본질적으로는 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 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지 하시기 바랍니다.

자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

본 문서는 회사가 발행하는 증권의 모집 또는 매매를 위한 권유를 구성하지 아니하며, 문서의 어떠한 내용도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없습니다.

INVESTOR RELATIONS 2023

Table Of Contents

Chapter 01

**Company
Overview**

Chapter 02

**Core
Technology**

Chapter 03

**Our
Science**

Chapter 04

**Business
Strategy**

Appendix

Pipeline 및 마이크로바이옴 CDMO 사업


- 1) GEN-001, 면역항암 마이크로바이옴
- 2) SB-121, 뇌질환 마이크로바이옴
- 3) GENA-104, 신규타겟 면역항암제
- 4) 마이크로바이옴 CDMO 사업

Chapter 01

Company Overview

- 01. 회사개요
- 02. 주요연혁
- 03. 대표이사 소개
- 04. 핵심인력 소개

회사 개요

 회사명	(주)지놈앤컴퍼니
 대표이사	배지수, 박한수
 설립일	2015.09.24
 자본금	80억원 (2023년 6월 말 기준)
 임직원수	총 112명 (2023년 6월 말 기준)
 소재지	경기도 성남시 분당구 판교로 255번길 35, 판교실리콘파크 B동 8층(삼평동 613번지)
 홈페이지	genomecom.co.kr

연구 영역





재무 부문

일시	진행사항
2016. 12	시리즈 A 투자유치 완료 (60억원)
2018. 07	시리즈 B 투자유치 완료 (150억원)
2018. 12	코넥스(KONEX) 상장
2019. 08	시리즈 C 투자유치 완료 (302억원)
2020. 09	Pre-IPO 투자유치 완료 (200억원)
2020. 12	코스닥(KOSDAQ) 상장
2022. 04	List Biotherapeutics(List Bio) 시리즈 A 투자유치 완료 (586억원)
2022. 09	지놈앤컴퍼니 투자유치 완료 (343억원, 제3자배정 유상증자)
2023. 04	지놈앤컴퍼니 투자유치 완료 (230억원,CB)

R&D/사업개발 부문

일시	진행사항
2015. 09	(주)지놈앤컴퍼니 설립
2019. 12	[GEN-001] 1차 공동개발계약 체결 (고형암, Merck & Pfizer) [GEN-001] 기술이전 (동아시아권, LG화학)
2020. 04	[GEN-001+Avelumab] 임상1/1b상 FDA 승인
2020. 08	Scioto Biosciences 인수
2021. 02	[Antibody] 공동연구계약 체결 (Debiopharm)
2021. 03	[GEN-001] 2차 공동개발계약 체결 (위암, Merck & Pfizer)
2021. 05	[SB-121] 임상1상 FDA 승인
2021. 09	List Biological Laboratory(List Labs) 인수
2021. 10	[GEN-001+Avelumab] 임상2상 식약처 승인 List Biotherapeutics(List Bio) 설립
2022. 03	[GEN-001] 공동개발계약 체결 (담도암, MSD)
2022. 05	[SB-121] 임상1상 성료
2023. 06	[GEN-001+Pembrolizumab] 임상2상 식약처 변경승인

03 대표이사 소개

“차별화된 경영전략을 바탕으로 **신약 글로벌 사업화 주도**, 글로벌 최고수준 유전체 연구를 바탕으로 **혁신신약 개발**”

배 지 수

경영관리부문 | 대표이사(CEO)

서울대학교 의과대학(MD)
듀크대학교 경영대학원(MBA)



박 한 수

연구개발부문 | 대표이사(CTO)

서울대학교 의과대학(MD)
서울대학교 의과대학(Ph.D)



홍 유 석

경영관리부문 | 총괄대표(CEO)

한국외국어대학교 포르투갈어
펜실베이니아대학교
와튼스쿨(MBA)



주요 경력

1998 ~ 2003	서울대학교병원 (정신과 전문의)
2005 ~ 2007	Bain & Company 경영전략컨설턴트
2007 ~ 2008	MSD 대외협력이사
2015.09 ~ 현재	지놈앤컴퍼니 대표이사

주요 경력

2009 ~ 2013	Harvard Medical School 선임연구원
2013 ~ 2015	The Jackson Laboratory 수석팀장
2016 ~ 현재	GIST(광주과학기술원) 교수
2015.09 ~ 현재	지놈앤컴퍼니 대표이사

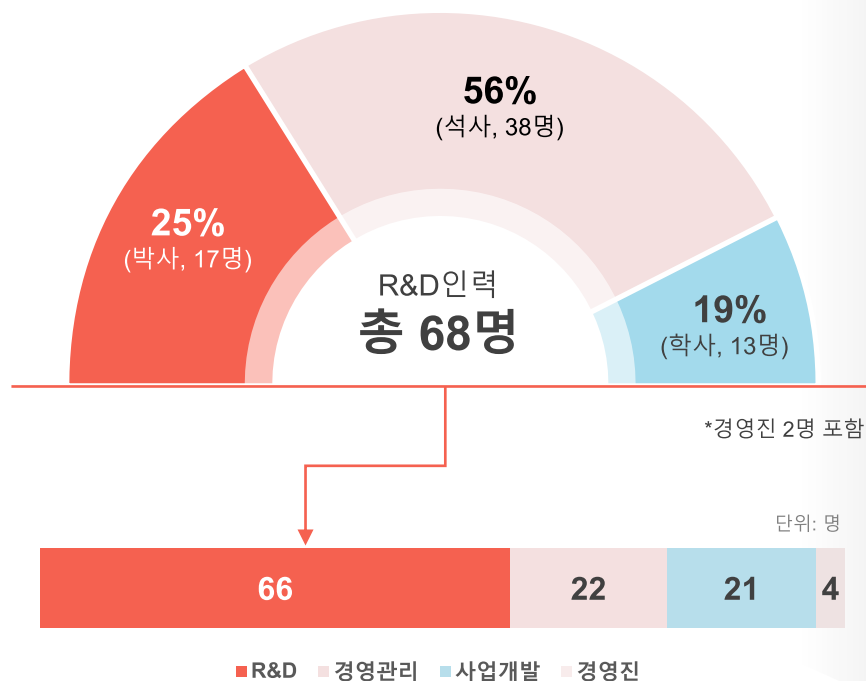
주요 경력

2007 ~ 2013	Eli Lilly 한국법인 대표, 본사 사업개발 및 전략 총괄 임원
2014 ~ 2020	글락소 스미스클라인(GSK) 한국법인 대표, 캐나다 법인대표
2021 ~ 2023	디앤디파마텍 대표이사
2023.05 ~ 현재	지놈앤컴퍼니 총괄대표

04 핵심인력 소개



각 분야별 전문성을 가지고
풍부한 신약 성공사례를 만든 핵심인력



경영 관리



김 상 균 경영관리그룹장/CFO

- 고려대 경영학과
- 삼일회계법인 공인회계사
- 삼성화재 M&A팀 책임
- 넥슨코리아 투자실 차장



박 병 규 커뮤니케이션그룹장

- 미래에셋대우 Equity Sales
- 기손인베스트 이사
- 제이준코스메틱 전략기획본부장



유 성 열 사업개발그룹장

- University of Washington
- 셀트리온헬스케어 유럽사업 팀장
- 삼성바이오에피스 Commercial Strategy팀 그룹장

연구 개발



박 경 미 연구개발부문 부사장/CDO

- 서울대 약학과 (약사, 박사)
- 한미약품 임상개발 이사
- 차바이오텍 개발본부 전무
- 종근당 개발본부 상무



차 미 영 신약연구소장

- 서울대 화학과 박사
- 북경한미약품 연구소장
- 한미약품 글로벌BD 이사
- 에스바이오메딕스 상무



조 은 정 특허그룹장

- 서울대 약학과 (약사, 박사)
- 제일특허법인 변리사
- 중앙국제법률특허사무소 변리사
- 테라IPC특허법률사무소 파트너 변리사



윤 영 광 임상개발그룹장

- 서울대 의학과 박사
- 한미약품 임상팀장
- 서울아산병원 임상의학연구소 실장

Chapter 02

Core Technology

- 01. 글로벌 면역항암제 전문기업 '지놈앤컴퍼니'
- 02. 세대별 항암제 비교
- 03. 차세대 항암제 개발의 필요성
- 04. **GNOCLE™** 플랫폼
- 05. 지놈앤컴퍼니 연구개발 Pipeline

01 글로벌 면역항암제 전문기업 '지놈앤컴퍼니'



02 세대별 항암제 비교

... 의학기술 발전에 힘입어 암치료에 상당한 성과를 달성 ...



1세대 화학항암제



2세대 표적항암제

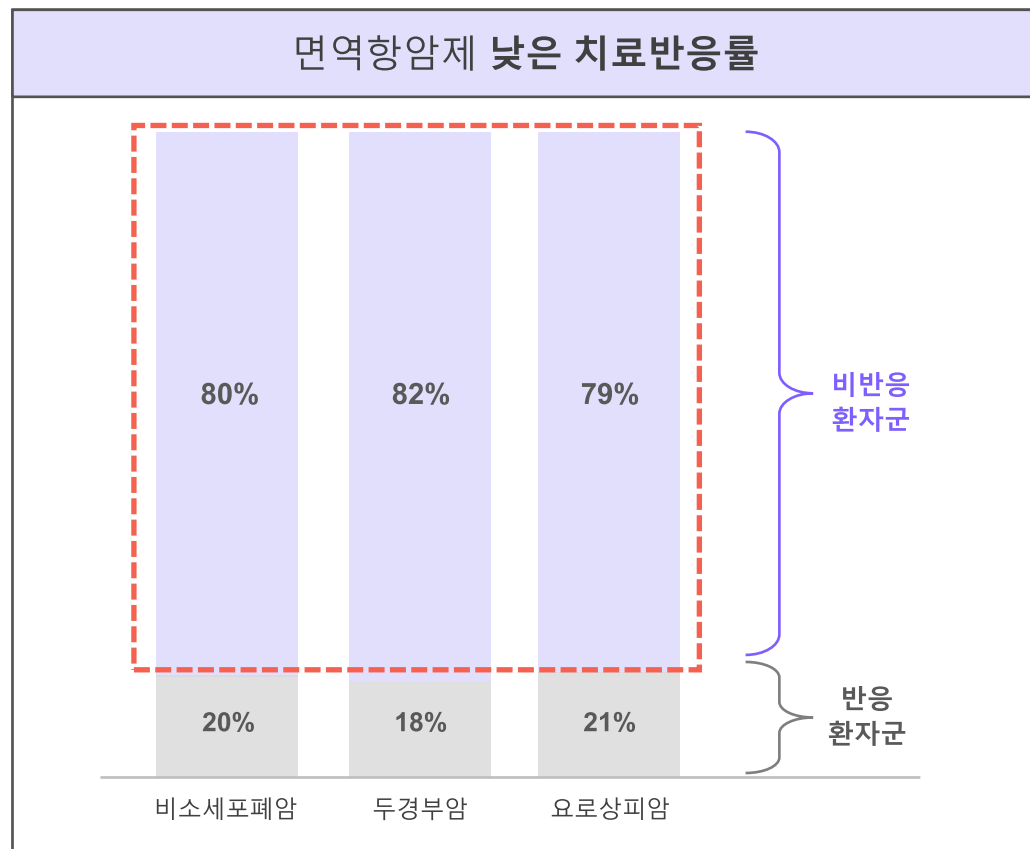


3세대 면역항암제

	1세대 화학항암제	2세대 표적항암제	3세대 면역항암제
출시시기	1950년대	1990년대	2010년대
작용원리	세포 분열을 억제	암세포 증식에 필요한 요인을 억제	면역 세포를 활성화
장점	강한 독성으로 암세포 사멸	정상 세포 훼손 없이 암세포 공격	면역 개선으로 독성 및 내성 최소화
단점	정상 조직 침해, 구토 및 탈모	제한적인 표적, 치료제에 대한 내성 발생	낮은 반응률
주요제품	탁솔(BMS) 등	글리벡(Novartis), 허셉틴(Genentech) 등	키트루다(MSD), 옴디보(BMS) 등

03 차세대 항암제 개발의 필요성

●● 마이크로바이옴 및 신규 약물표적('타겟') 기반 First-in-Class 항암제에 대한 관심 증가 ●●



면역항암제 비반응 환자를 위한 새로운 치료제 개발

모든
면역항암제
병용 가능



기존 면역항암제와 병용하여 낮은 반응률을 높임



마이크로-
바이옴 치료제
(GEN-001)

신규
면역항암제
시장 창출



기존 면역항암제 비반응 환자 대상 새로운 약물표적 발굴

신규타겟 면역항암제 개발
(GENA-104)



Note: 반응군(Response) 비율은 특정 임상 결과의 ORR 수치를 참고함; 잠재시장 규모는 3개 암종

Source: Santini, F. and Hellmann, M., Cancer J. 2018 Jan-Feb; 24(1): 15-19. (PMCID: PMC5784866); Grun, J. et al., Cancers (Basel). 2019 Apr; 11(4): 472. (PMCID: PMC6521064); Fan, Z. et al., Onco Targets Ther. 2019; 12: 1791-1801. (PMCID: PMC6404681)

The copyright is owned by Genome & Company. Its purpose is solely for the discussion with our current and potential partners. It is not to be shared with any 3rd party or copied to other file without Genome and Company's prior written consent. Copyright © Genome & Company. All Rights Reserved.



●●● 마이크로바이옴 치료제 및 신규 약물표적(‘타깃’) 기반 First-in-Class 면역항암제 개발 ●●●

마이크로바이옴							
구분	파이프라인	적응증 (임상연구코드)	탐색	전임상	임상1상	임상2상	파트너사
면역항암	GEN-001	위암(Study 201)	<div></div>				
		담도암(Study 202)	<div></div>				
뇌질환	SB-121	자폐 스펙트럼 장애	<div></div>				 Scioto Biosciences 자회사
희귀질환		신생아괴사성장염	<div></div>				
산과질환	GEN-004	난임	<div></div>				
피부질환	GEN-501	항암발진, 아토피피부염	<div></div>				

신규타깃 항암제							
구분	파이프라인	적응증	탐색	전임상	임상1상	임상2상**	파트너사
신규타깃 면역항암제	GENA-104	고형암					
	GENA-105	고형암					
	GENA-111(ADC)	고형암					Debiopharm WE DEVELOP FOR PATIENTS

Chapter 03

Our Science

01. 마이크로바이옴

02. 신규타깃 면역항암제

Chapter 03 Our Science

1) 마이크로바이옴

01. 왜 마이크로바이옴인가?

02. Pipeline

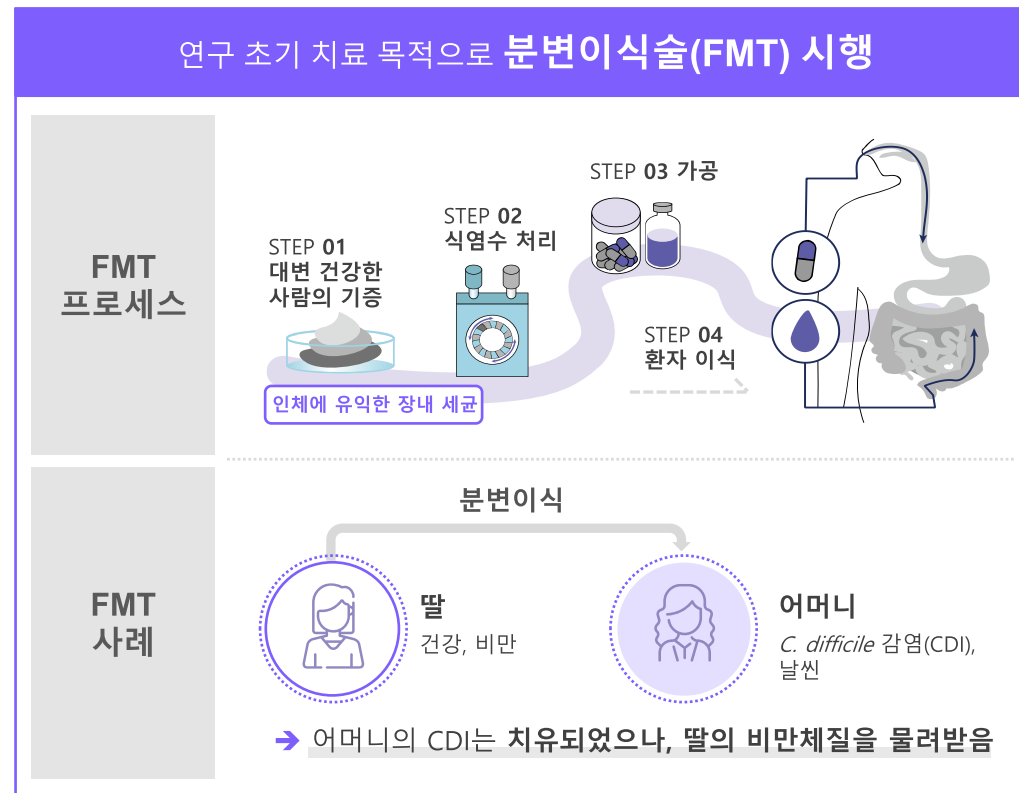
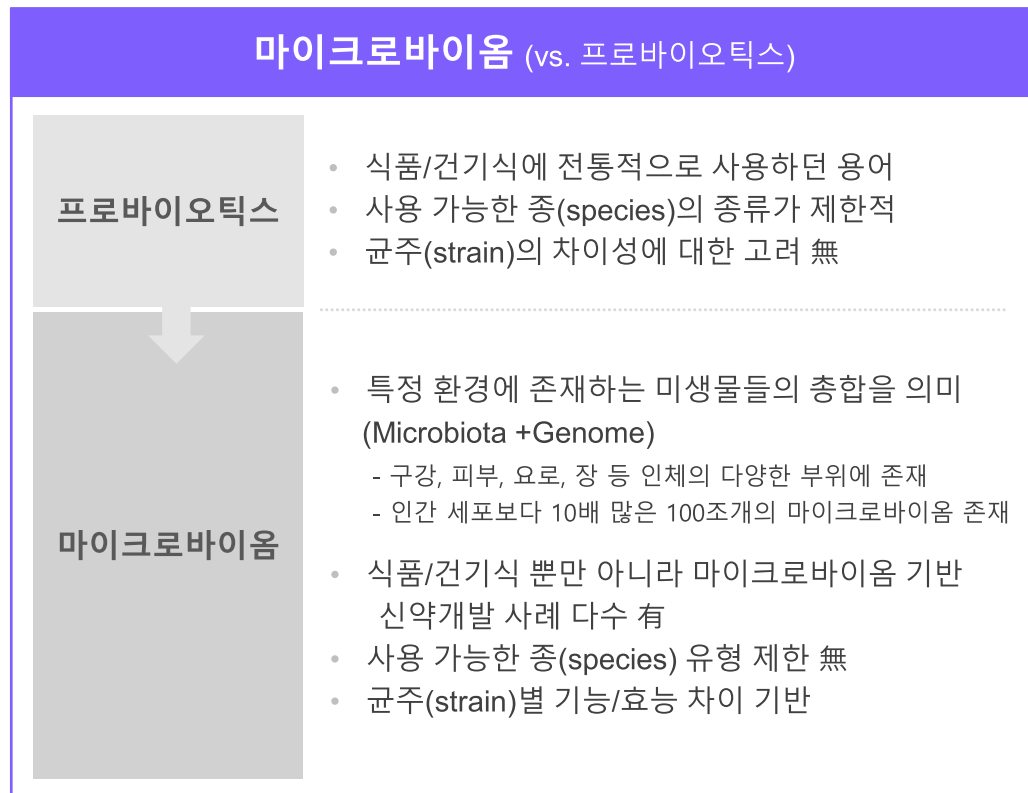
03. GEN-001 개발 전략

04. Peer Group

01 왜 마이크로바이옴인가? (1)



●●● NIH*의 휴먼 마이크로바이옴 프로젝트 이후 인체 내 미생물에 대한 본격적인 연구가 시작됨 ●●●



질환 치료의 효과는 극대화하되 부작용은 최소화 할 수 있도록 특정 미생물을 활용하는 방안을 연구

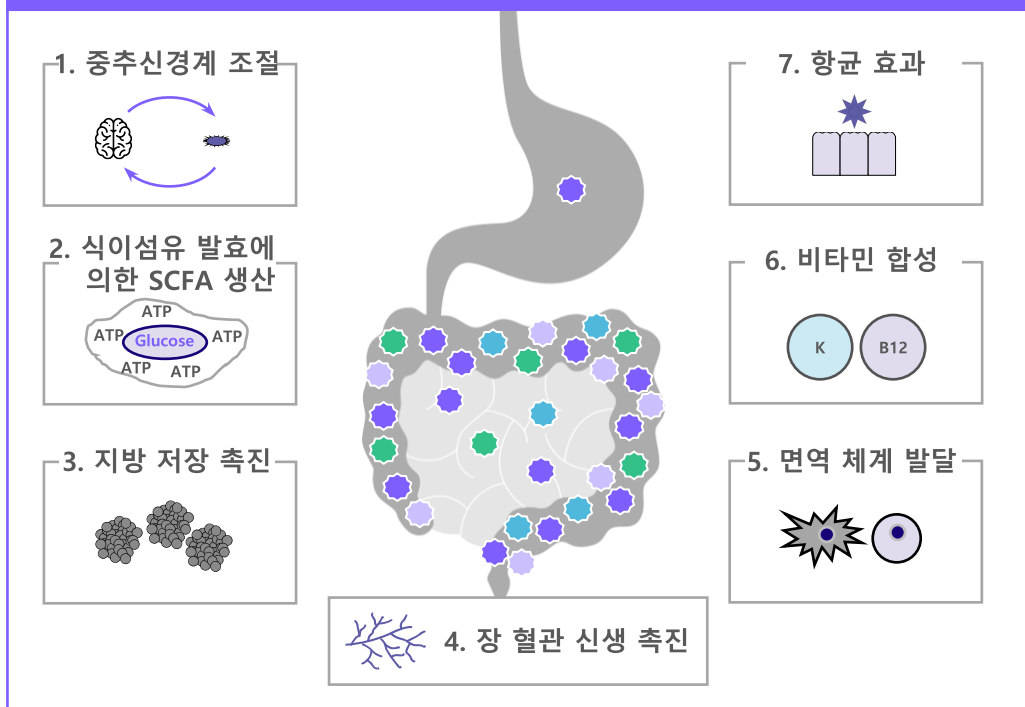
Source : 자사 자료, NHI : National Institutes of Health 미국 국립 보건원

The copyright is owned by Genome & Company. Its purpose is solely for the discussion with our current and potential partners. It is not to be shared with any 3rd party or copied to other file without Genome and Company's prior written consent. Copyright © Genome & Company. All Rights Reserved.

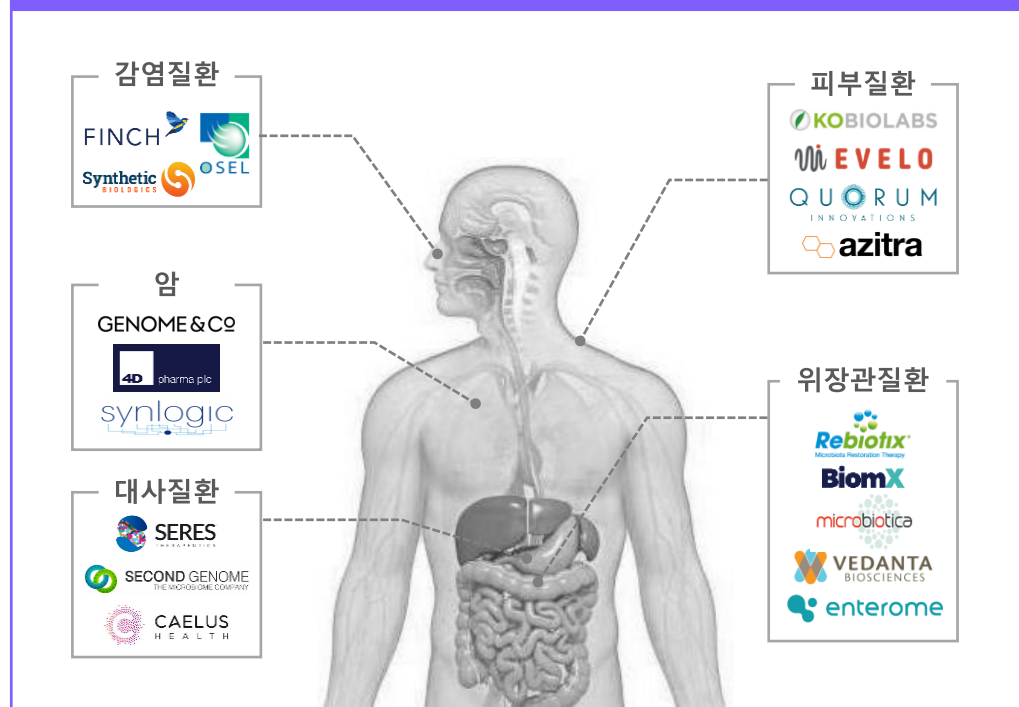
01 왜 마이크로바이옴인가? (2)

●●● 특정 미생물을 활용해 다양한 질환을 치료하는 컨셉의 '마이크로바이옴 신약' 개발 중 ●●●

인체 내 마이크로바이옴의 역할



다수 기업들이 마이크로바이옴 신약개발 중



마이크로바이옴 기반의 새로운 치료제 패러다임을 제시

Source: Protima Amon, and Ian Sanderson Arch Dis Child Educ Pract Ed 2017;102:257-260

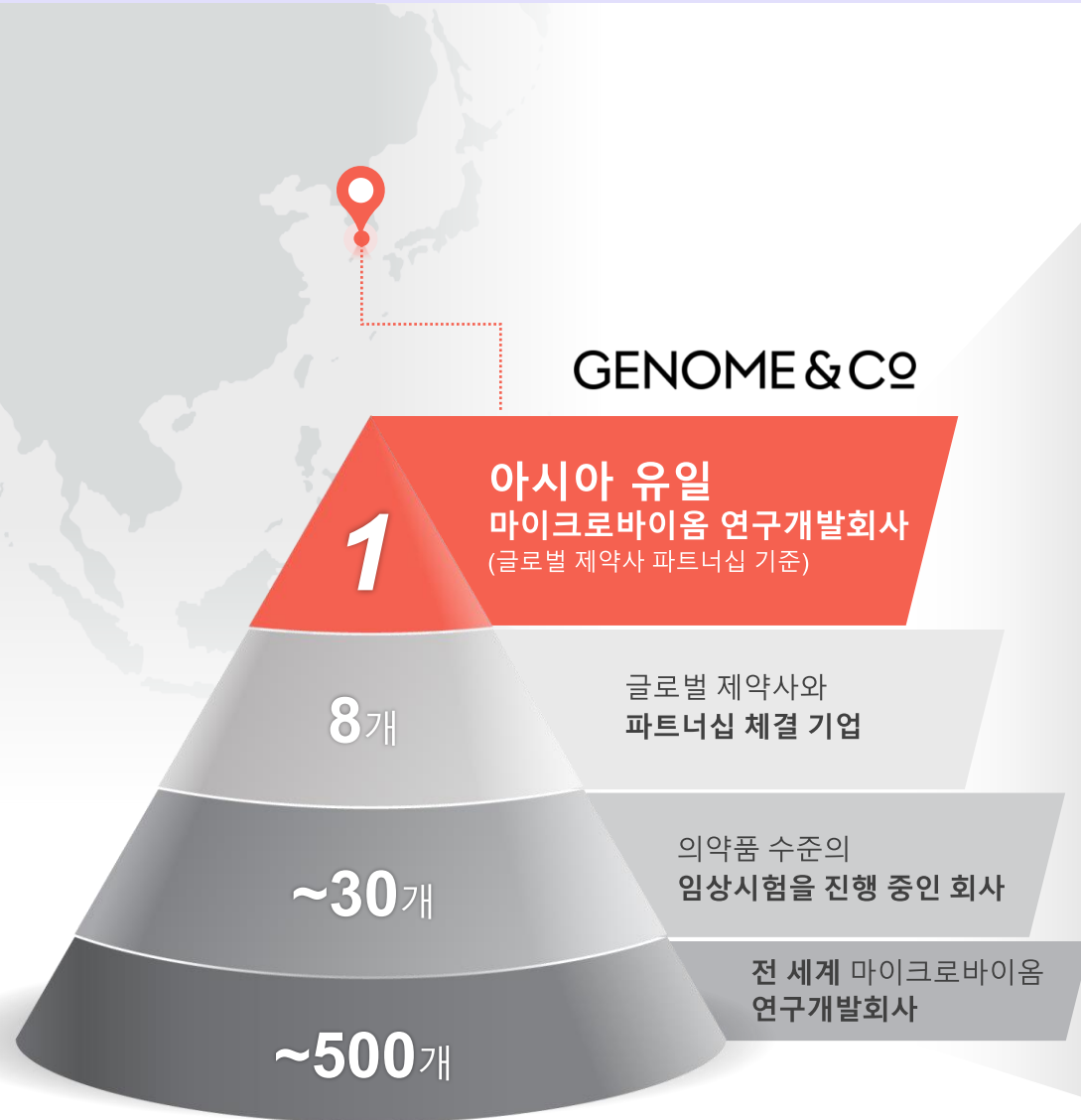
The copyright is owned by Genome & Company. Its purpose is solely for the discussion with our current and potential partners. It is not to be shared with any 3rd party or copied to other file without Genome and Company's prior written consent. Copyright © Genome & Company. All Rights Reserved.



●● 지놈앤컴퍼니는 마이크로바이옴 면역항암·뇌질환·산과질환·피부질환 치료제를 연구개발 중 ●●

질환	파이프라인	적응증 (임상연구코드)	탐색	전임상	임상1상	임상2상	파트너사
면역항암	GEN-001	위암 (Study 201)	<div></div>				<div>MERCK</div> <div>LG화학</div> <div>MSD</div>
		담도암 (Study 202)	<div></div>				
뇌질환	SB-121	자폐 스펙트럼 장애	<div></div>				<div>Scioto Biosciences</div> <div>자회사</div>
소화기질환		신생아괴사성장염	<div></div>				
산과질환	GEN-004	난임	<div></div>				
피부질환	GEN-501	항암발진 아토피 피부염	<div></div>				

03 Peer Group



글로벌 제약사 파트너십 사례 (면역항암)

마이크로바이옴 개발사

글로벌 제약사

GENOME & CO





Chapter 03 Our Science

2) 신규타겟 면역항암제

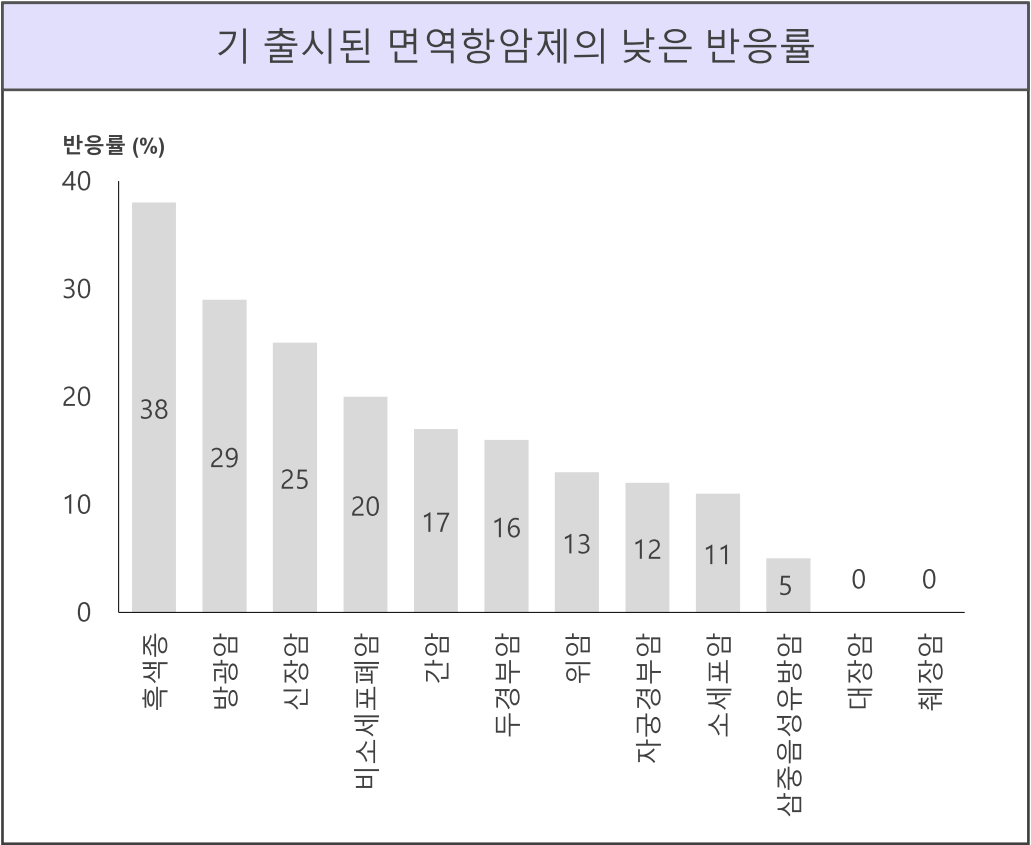
01. 신규타겟 발굴의 중요성

02. **Pipeline**

03. **Peer Group**

01 신규타깃 발굴의 중요성

●● 현재 면역항암제는 치료반응률이 낮아 신규타깃 기반 면역항암제 개발수요가 높음 ●●



Note: 신장암은 옴디보, 다른 암종은 키트루다 반응률
Source: Science, 각 사 보도자료

신규타깃 기반 면역항암제 파트너십 사례			
구분	파트너십 내용	개발단계 (파트너십 시점)	계약금액
	신규 면역항암 세포치료제 공동개발	탐색단계	<ul style="list-style-type: none">계약금 ~\$50M총계약규모 \$550M
	신규면역항암타깃 공동개발	탐색단계	<ul style="list-style-type: none">계약금 ~\$125M지분투자 \$20M타깃 당 \$410M계약규모 (최대15개)
	신규 면역항암 타깃 치료제 기술이전	전임상단계	<ul style="list-style-type: none">계약금 ~\$40M총 계약규모 \$625M
	신규 면역항암 타깃 공동개발	전임상단계	<ul style="list-style-type: none">계약금 ~\$100M타깃당 \$400M계약규모(최대3개)



●●● 신규타겟 기반 First-in-Class 면역항암제 개발 ●●●

구분	파이프라인	타겟 밸리데이션 & 후보물질 도출	물질 최적화 & 후보물질 선정	전임상 (CMC, PHARMACOLOGY, TOXICOLOGY)	임상 1상	파트너사
New Biologics for Cancer Treatment	GENA-104				'23 진행 예정	
	GENA-105					
	GENA-119					
	GENA-111 (ADC)					



Chapter 04

Business Strategy

01. 사업화 로드맵

02. 비전

01 사업화 로드맵



~ 2020년

성장기반 확보

면역항암
(Microbiome)

- [GEN-001] 머크/화이자 공동개발 계약 (1/1b상)
- [GEN-001] LG화학 기술이전 계약(동아시아)

뇌질환
(Microbiome)

- 미국 Scioto Biosciences 인수
- [SB-121] IND승인

면역항암
(Antibody)

- [GENA-104] 효능평가완료

전사

- 2020.12 코스닥 이전상장



2021년~2023년

글로벌 혁신 바이오텍



- [GEN-001] 머크/화이자 추가 적응증(위암) 대상 공동개발 계약('21)
- [GEN-001] MSD 담도암 대상 공동개발 계약('22)
- [GEN-001] 고형암 대상 임상1b상 및 위암(Study201), 담도암(Study202) 대상 임상2상 개시('23)
- [GEN-001] 병용임상 중간결과 확인('23~)
- [GEN-001] 글로벌 기술이전('23)

- [SB-121] 자폐 스펙트럼 장애 임상시험 개시('21)
- [SB-121] 자폐 스펙트럼 장애 임상2상 개시('23)
- [SB-121] 추가 적응증 임상시험 개시('23) (신생아괴사성장염)

- [GENA-111] 디바이오팜 ADC 공동연구 계약('21)
- [GENA-104] 전임상 기반 기술이전('23~)
- [GENA-111] 공동개발 or 기술이전('23~)
- [GENA-104] 전임상 완료 및 임상시험 개시('23)

- 마이크로바이옴 글로벌 생산거점 확보('21~)
- 신규 파이프라인 전임상시험 진행('21~)
- 전략적 파트너 확보('22~)



2024년~



완전통합형 제약·바이오 기업

- [GEN-001] 후기 임상 및 신약허가
- 마이크로바이옴 면역항암제 파이프라인 확대

- [SB-121] 후기임상 및 글로벌 기술이전
- 추가 적응증 대상 파이프라인 연구개발 확대

- [GENA-104] 안전성 및 유효성 확인
- [GENA-104] 글로벌 기술이전 및 상업화
- 신규타겟 면역항암제 파이프라인 확대 (적응증 및 작용기전 다변화)

- 마이크로바이옴 상업생산 및 위탁생산사업 확대
- 마이크로바이옴/신약 포트폴리오 구축
- 국내외 자체상업화 역량확보

02 향후 지놈앤컴퍼니의 글로벌 포지션

연구 개발

마이크로바이옴 면역항암제

GENOME & CO → MERCK

GENOME & CO → MSD

VEDANTA
BIOSCIENCES

Bristol-Myers Squibb

4D
pharma plc

MSD

4D
pharma plc

MERCK Pfizer

synlogic

Roche
Genentech

“마이크로바이옴 글로벌 선두 그룹”

신규 타깃 면역항암제

GENOME & CO → Global
Big Pharma

PIONYR
IMMUNOTHERAPEUTICS

GILEAD
Creating Possible

Immatics

gsk

TANGO
therapeutics

GILEAD
Creating Possible

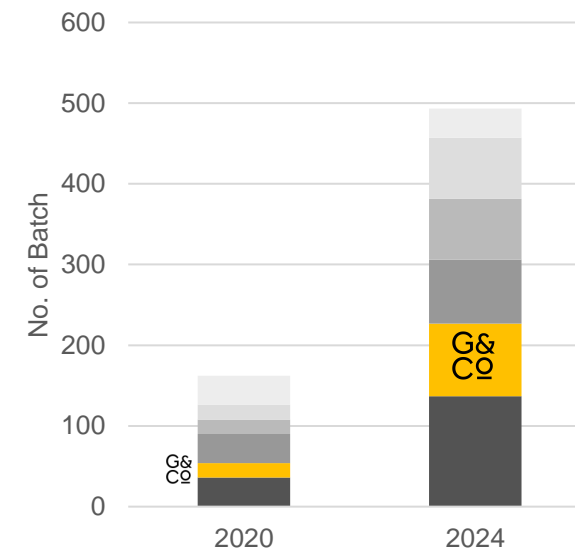
argenx

abbvie

“글로벌 빅파마 라이선싱”

생산

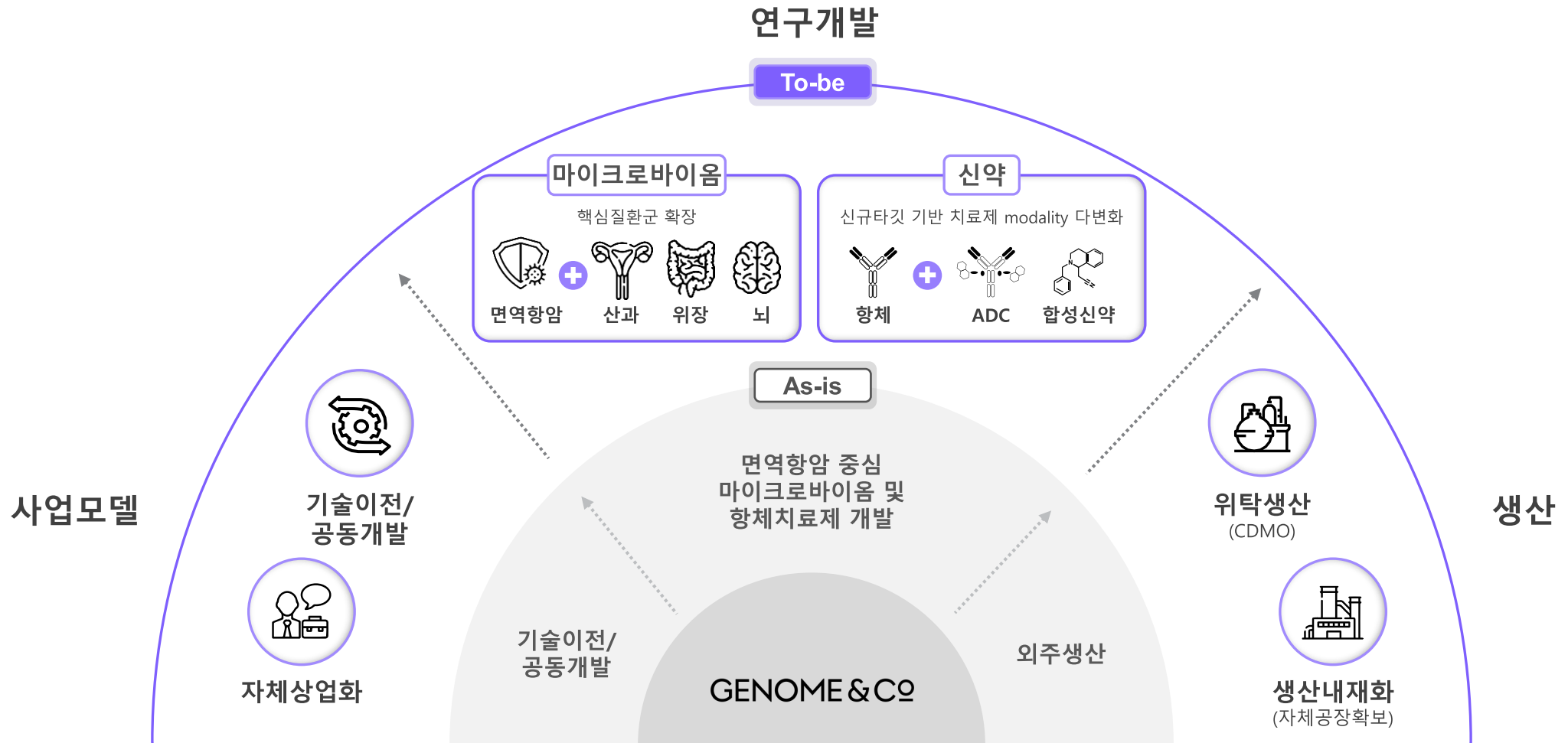
마이크로바이옴 CDMO



“Market Share Top 3”

혁신신약 연구개발 뿐만 아니라 글로벌 생산역량을 갖춘 완전통합형 제약·바이오 기업

●● 밸류체인 및 사업화 영역 확장을 통한 완전통합형 제약 바이오 기업 구축 ●●



Appendix

Pipeline 및 마이크로바이옴 CDMO 사업

- 01. **GEN-001**, 면역항암 마이크로바이옴
- 02. **SB-121**, 뇌질환 마이크로바이옴
- 03. **GENA-104**, 신규타겟 면역항암제
- 04. 마이크로바이옴 CDMO 사업

Appendix. Pipeline 및 마이크로바이옴 CDMO 사업

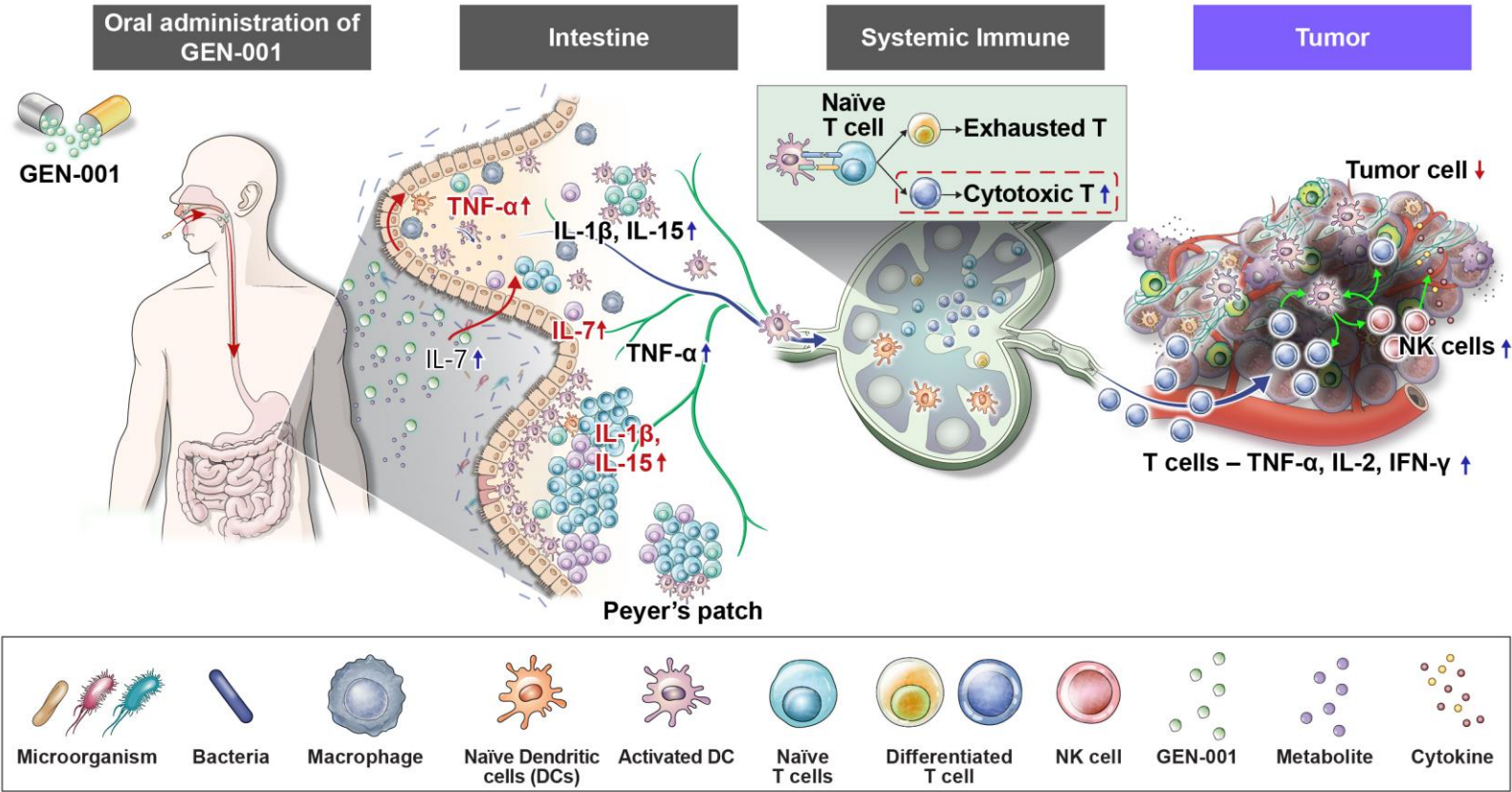
1) GEN-001 면역항암 마이크로바이옴 치료제

- 01. 기술소개
- 02. 전임상결과
- 03. 사업성과
- 04. [GEN-001] 임상 진행 현황
- 05. [GEN-001] 위암 대상 임상2상
- 06. [GEN-001] 담도암 대상 임상2상
- 07. [GEN-001] 임상계획 및 개발전략

면역항암 마이크로바이옴 주요 작용기전 규명

●●●
Target
Product Profile

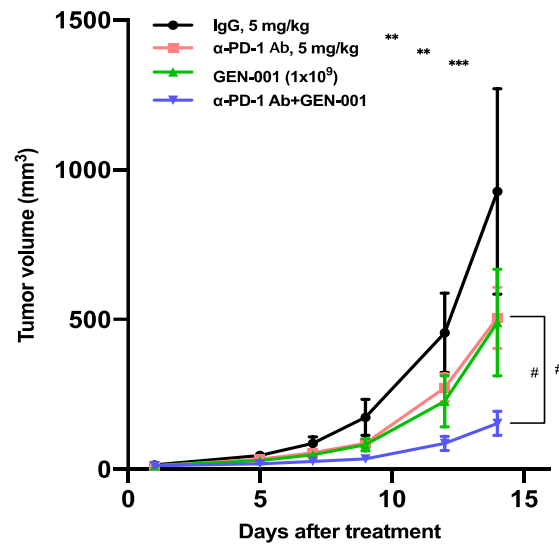
구분	상세
균주원천	건강인의 장에서 분리 동정한 <i>Lactococcus lactis</i>
투여경로	경구투여 (장용캡슐)
효능	PD-(L)1 억제제 내성 및 불응 고형암 치료
작용기전	체내 선천면역 및 적응면역 활성화
안전성	타 면역항암제 병용약물 대비 부작용 적음
임상단계	임상 2상 진행 중 (한국)



02 전임상결과

●●● 우수한 면역항암효능 뿐만 아니라 안전성 입증 ●●●

유효성 (항암효과)

GEN-001 단독 및 α -PD-1 병용 투여 시 항암 효과

유효성 및 안전성
모두 입증

안전성 (독성평가)

GEN-001에 대한 인체 안전성 및 동물독성 확인

인체적용시험

	대조군	GEN-001
부작용	설사, 접촉성 피부염 등	인후염, 설사 등
약물연관성	없음	

동물독성시험 (비글견)

단회 독성 (GLP)

14일 반복 독성 (Non-GLP)






28일 반복, 14일 회복 독성 (GLP)



GEN-001
연관 부작용 없음

03 사업성과



... 글로벌 기업들과의 협업 및 기술이전 계약을 통해 사업성 입증 ...

미국/유럽	GENOME & CO	아시아
<ul style="list-style-type: none"> ✓ 임상2상 공동개발(1/1b상 조기종료) 	 성과	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 동아시아권 기술이전 
<ul style="list-style-type: none"> ✓ 임상약물 무상공급에 따른 경제적 효익 최소 200억원 	 경제적 효익	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 개발 및 상업화 권리 이전에 따른 수백~수천억 원 규모의 경제적 효과 발생 (로열티 포함) ✓ 후기임상 및 상업화 시, GEN-001 생산관련 추가 수익창출 가능
<ul style="list-style-type: none"> ✓ 글로벌제약사의 개발노하우 획득 ✓ 향후 글로벌 기술이전 가능 (계약서 명시) ✓ 암 적응증 추가 확장 가능성 高 	 기타 효익	<ul style="list-style-type: none"> ✓ 상업화 파트너 확보로, GEN-001 개발안정성 제고

04 [GEN-001] 임상 진행 현황



독일 머크, 미국 MSD와 각각 위암, 담도암 대상 임상2상 진행 중

Project	Disease	Combo Drug	Country	No. of Sites	No. of Target Pts.	Status		Clinical Trial Collaboration
STUDY 201	Gastric cancer (IO naïve & Treated, ≥ 3 rd line)	Avelumab (바벤시오®)	Korea	5	42	• Ongoing	• FPI : Mar 2022 • IA: May 2023 • Subject recruitment ongoing	
STUDY 202	Biliary Tract Cancer (2 nd , 3 rd line, IO naïve, IO treated)	Keytruda (키트루다®)	Korea	8	120	• IND Cleared	• Protocol amendment • Start up phase	

* CSR: clinical study report, 임상시험결과 보고서 FPI: first patient in, 첫 환자 등록 IA: interim analysis, 중간 분석 IIT IO: immuno-oncology, 면역항암제

05 위암 대상 표준치료법 업데이트

●●● 면역항암제 병용 요법 1차 표준치료법으로 승인 ●●●

업데이트 전	
1 st line of therapy	Platinum containing Chemotherapy
2 nd line of therapy	Ramucirumab + Paclitaxel
3 rd line of therapy	TAS-102

업데이트 후			
HER2 negative		HER2 positive	
Nivolumab + Chemotherapy (CheckMate-649)		Pembrolizumab + Trastuzumab + Chemotherapy (KEYNOTE-811)	
Ramucirumab + Paclitaxel (RAINBOW)		Fam-trastuzumab deruxtecan-nxki (DESTINY-Gastric01)	
TAS-102		TMB-H	MSI-H or dMMR
		Pembrolizumab (KEYNOTE-158)	Pembrolizumab (MSI-H Trials)

05 [GEN-001] 위암 대상 임상2상 중간 분석 결과



IDMC RECOMMENDATION FORM

Genome & Company Gen001-201

Independent Data Monitoring Committee (IDMC) Recommendation Form for Data Review

From: IDMC Chairperson
To: Genome & Company

Recommendation types may require customization based on study design and objectives
Based on our review, we recommend:

- ☒ 1. The study may continue without modifications
- ☐ 2. The study may continue with modifications (see comments)
- ☐ 3. The study should be terminated (see comments)
- ☐ 4. The study should be temporarily suspended (see comments)
- ☐ 5. Other changes (see comments)

Comments:

Signature:

- 계획된 중간 분석 목표 달성
- 2단계 진행 및 총 42명 환자 모집 진행
- 최종 분석 목표 달성에 대한 기대감 높임

05 [GEN-001] 위암 대상 임상2상 디자인 및 최종 분석 주요 내용

●●● 임상 성공 시 3차 표준치료법 포지셔닝 가능 ●●●

임상 디자인(안)

Regardless of previous IO treatment

Regardless of previous IO treatments, PD-L1+ GC/GEJ with disease progression after 2 or the beyond prior therapy (n=42)

Initially 21 pts to be enrolled

Continuous 21 pts to be enrolled

Exploring 3rd line of therapy

- ① Interim analysis will be performed when initially enrolled 21 patients have response assessment available.
- ② The stopping criterion is that there is >95% chance that the ORR per RECIST of GEN-001 in combination with avelumab is <5% (If ≤ 1 patient experience CR or PR) by the Investigator among 21 patients.

- ① Final analysis will be performed In total 42 patients.
- ② The primary end-point is that there is >95% chance that the ORR per RECIST of GEN-001 in combination with avelumab is >18% (If ≥ 5 patient experience CR or PR) by Central review among 42 patients.

최종 분석 목표: 유효성 (ORR) 근거

- 2차 표준 치료에 실패한 위암 환자 대상, 선행 임상시험의 ORR
 - 1) Opdivo (항 PD-1 주사용 항체): ORR 11%
 - 2) Keytruda (항 PD-1 주사용 항체): ORR 15.5% (PD-L1 양성)/ORR 11.6% (전체)

06 담도암 대상 표준치료법 업데이트

●●● 면역항암제 병용 요법 1차 표준치료법으로 승인 ●●●

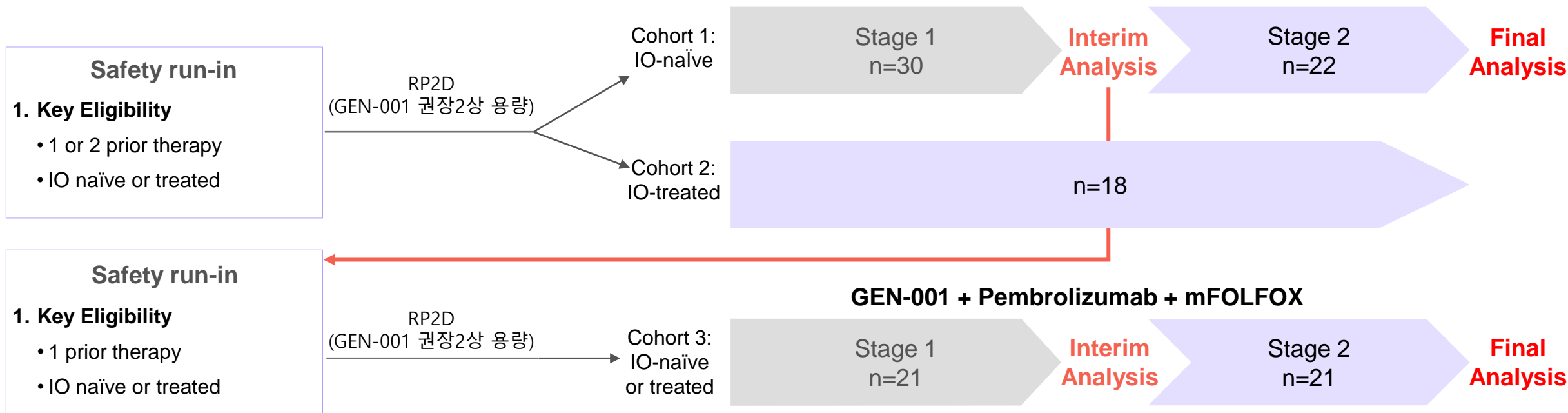
개정 전	
1 st line of therapy	Gem + Cis or Oxaliplatin remains the standard-of-care with ORR of 26.1%, median PFS of 8.0 months and median OS of 11.7 months* (화학항암제 병용 투여)
2 nd line of therapy	No global standard-of-care. With mFOLFOX, ORR is 5% and median PFS is 4.0 months**

개정 후		
Biomarker negative		Biomarker positive
Durvalumab + Gemcitabine + Cisplatin (TOPAZ-1)		
No global standard-of-care, but the option of physician's choice can be mFOLFOX (ABC-06).	FGFR rearrangement	IDH1 mutation
	Pemigatinib (FIGHT-202)	Ivosidenib (ClarIDHy)
	Infigratinib (Phase 2)	

06 [GEN-001] 담도암 대상 임상2상 디자인 최종안

... 3개 그룹으로 환자모집, 임상 성공 시 2차 표준치료법 포지셔닝 가능 ...

임상 디자인



중간분석 목표: 유효성 (ORR) 근거

- 1차 또는 2차 표준 치료에 실패한 담도암 환자 대상, 선행 임상시험의 ORR
 - mFOLFOX (주사용 항암화학요법): ORR 5%
 - Pembrolizumab (항 PD-1 항체): ORR 5.4%

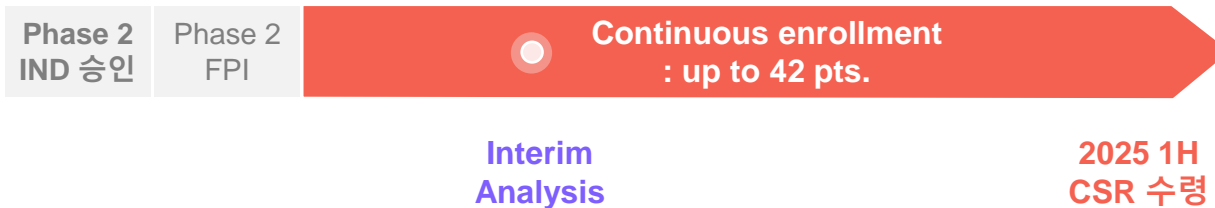
07 [GEN-001] 임상계획 및 개발전략

●● 위암, 담도암 대상 임상2상을 통해 GEN-001 유효성 검증 ●●

Project	2021				2022				2023		2024		2025		GEN-001 개발 전략
	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	1H	2H	1H	2H	1H	2H	

STUDY 201
(Phase 2, 위암)

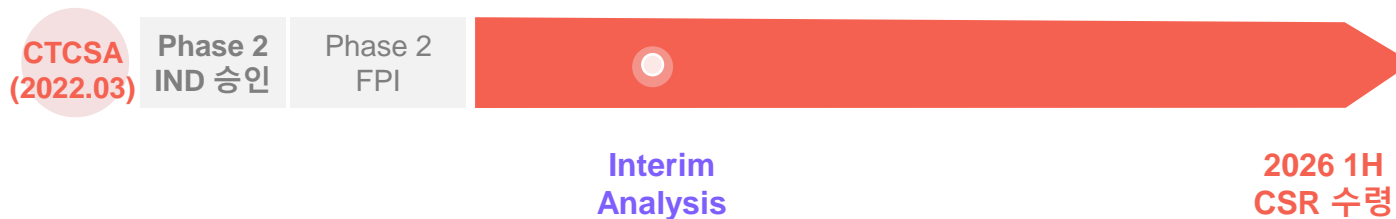
2차
CTCSA
(2021.03)



PD-L1 양성 위암 환자군
(면역항암제 非투여 & 투여)

→ 새로운 3차 치료
옵션 탐색

STUDY 202
(Phase 2, 담도암)



담도암 환자군
(면역항암제 非투여 & 투여)

→ 새로운 2차 치료
옵션 탐색

*CTCSA: 공동개발계약, Clinical Trial Collaboration and Supply Agreement CSR: 임상시험결과 보고서, Case Study Report FPI: 첫 환자 등록, First Patient In Interim Analysis: 중간결과 PoC: 개념 증명, Proof of Concept
RP2D: 임상2상 권장용량, Recommended Phase 2 Dose



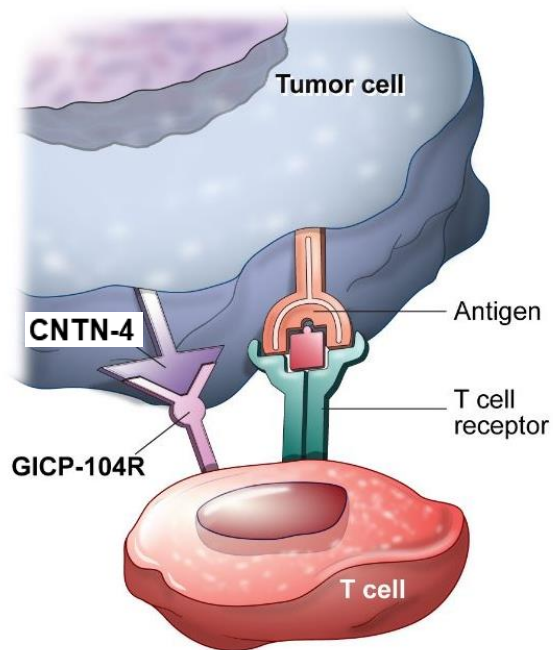
Appendix. Pipeline 및 마이크로바이옴 CDMO 사업

3) **GENA-104** 신규타겟 면역항암제

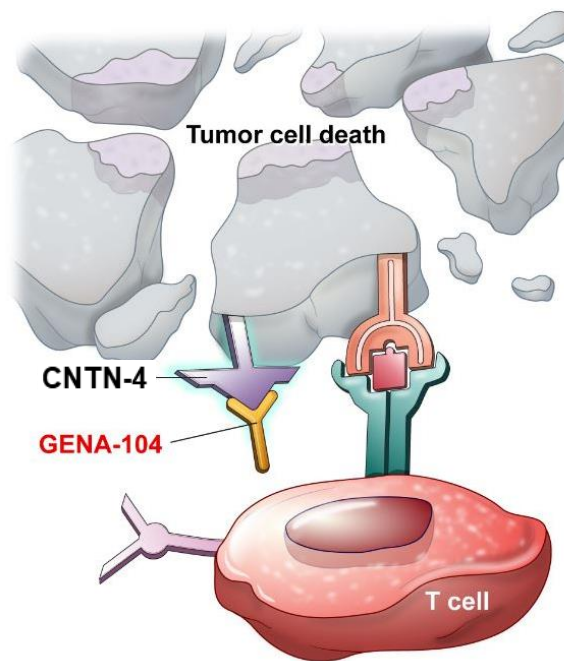
- 01. 기술소개
- 02. 임상결과
- 03. **AACR 2021, 2022 presentation**
- 04. **ADC : 디바이오팜 공동연구계약 체결**
- 05. 시장성
- 06. 개발계획

●●● GENA-104는 암세포에 발현하는 신규타깃(CNTN-4)기반 First-in-Class 면역항암제 ●●●

신규타깃(CNTN-4)의 암세포 활성화 작용



GENA-104에 의한 암세포 사멸효과

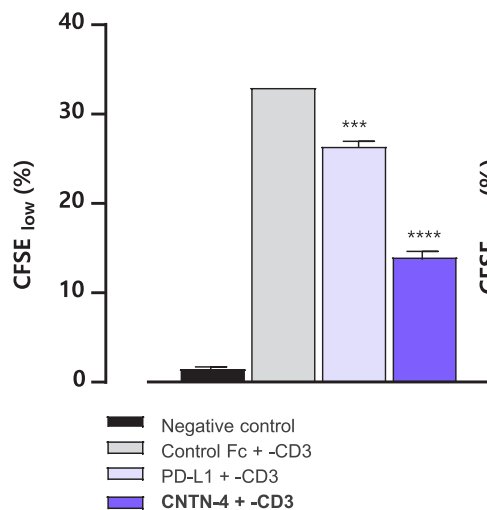
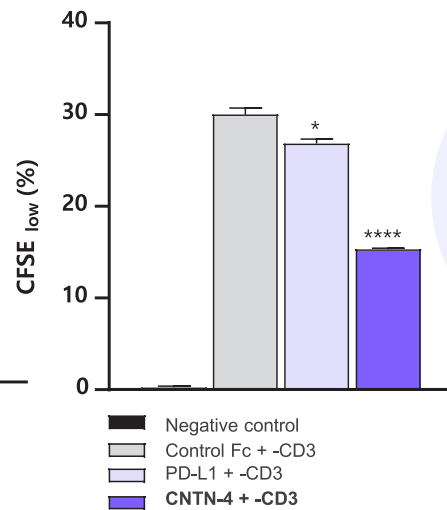


GENA-104는 T 세포 활성을 유도하여 암세포 사멸

02 전임상결과

●●● 신규타겟(CNTN-4)이 발현되는 암환자에게 새로운 치료법 제공 가능 ●●●

CNTN-4 경쟁력

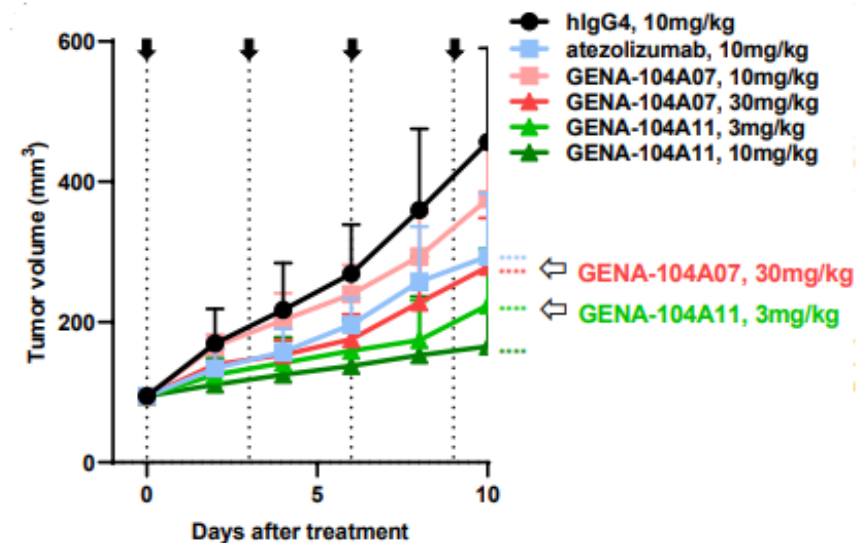
Human CD4⁺ T cellHuman CD8⁺ T cell

높은 면역 억제력
및 우수한 항암
효과 확인

기존 면역 관문 억제제의 PD-L1보다 높은 면역 억제력

GENA-104 면역항암 효능

CT26 Mouse Syngeneic Tumor Model



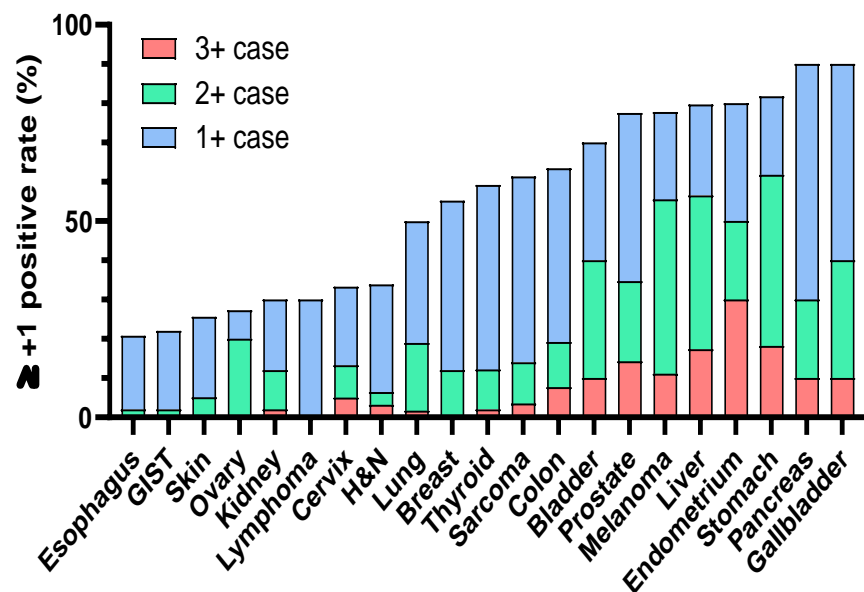
GENA-104A11의 용량 의존적 면역 항암 효능 확인

GENA-104 물질 최적화 완료 및 전임상 진행 중

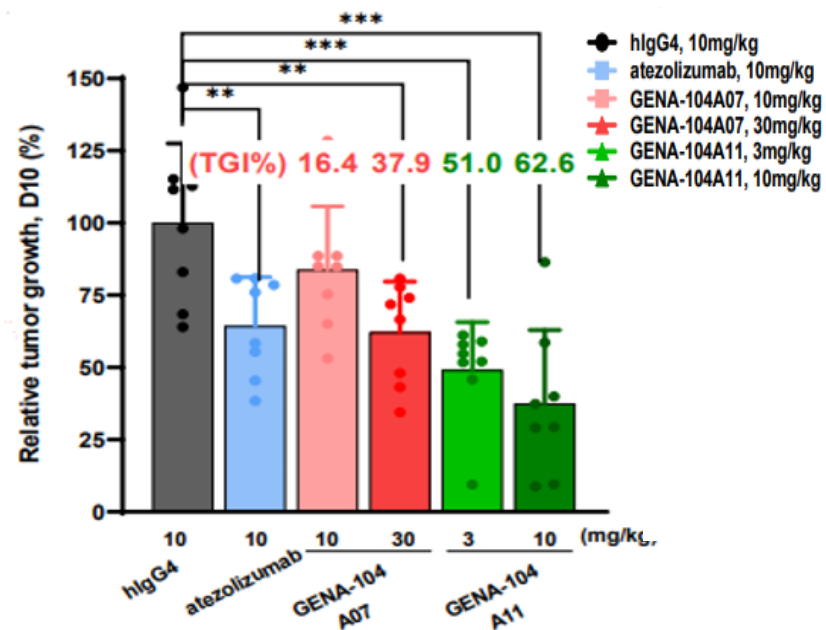
03 AACR 2021 Presentation

●● AACR 2021에서 신규 표적 CNTN-4 및 Anti-CNTN-4 항체(GENA-104)의 효능 및 작용기전 발표 ●●

다양한 암종에서 CNTN-4 발현



GENA-104 면역항암 효능

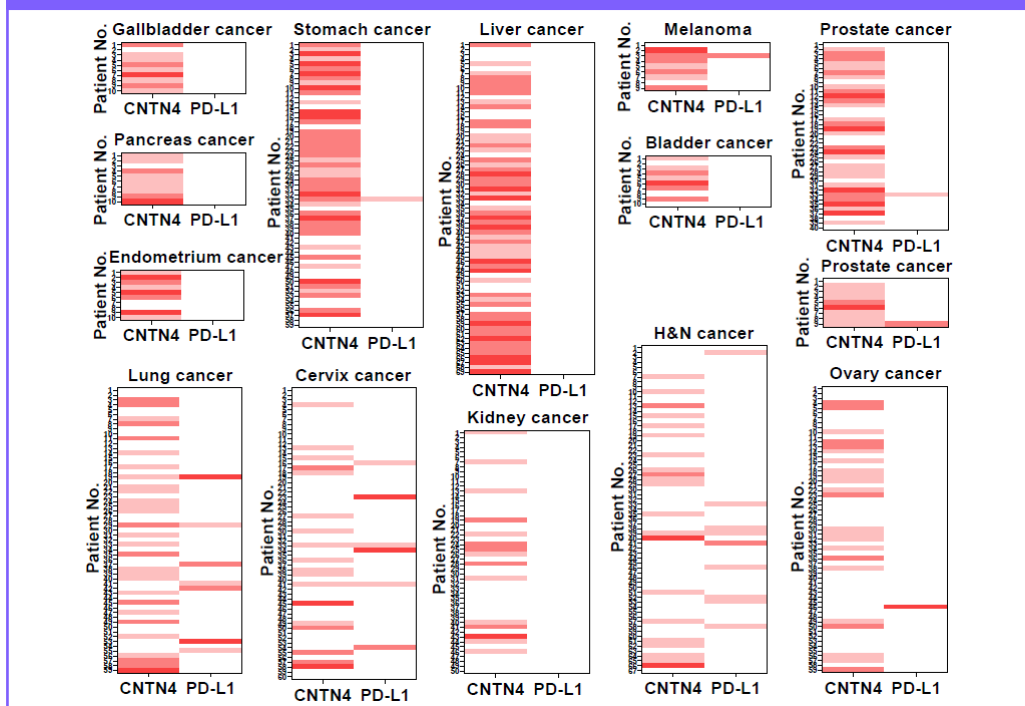


암환자에게 새로운 치료 방안 제시

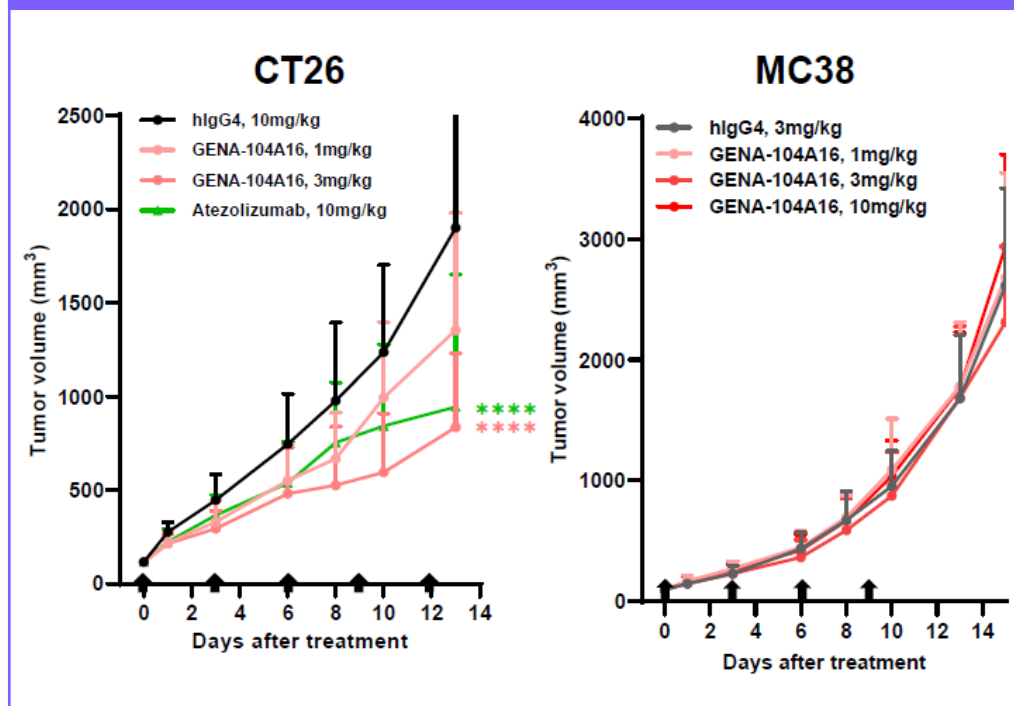
03 AACR 2022 Presentation

●● AACR 2022에서 신규 표적 CNTN-4 및 Anti-CNTN-4 항체(GENA-104)의 후속 실험 결과 발표 ●●

다양한 암종에서 CNTN4의 높은 발현 확인



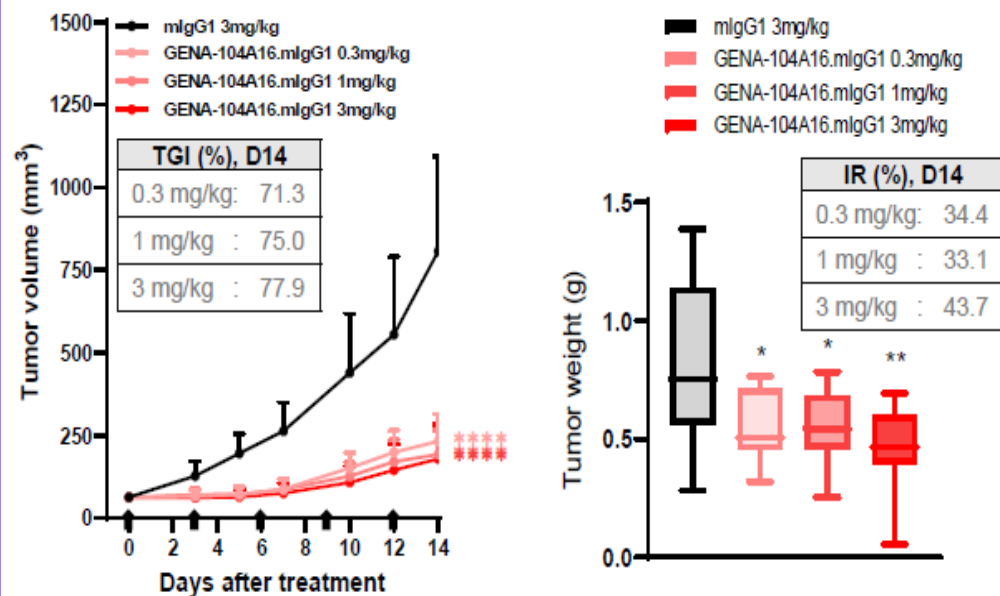
GENA-104A16 면역항암 효능



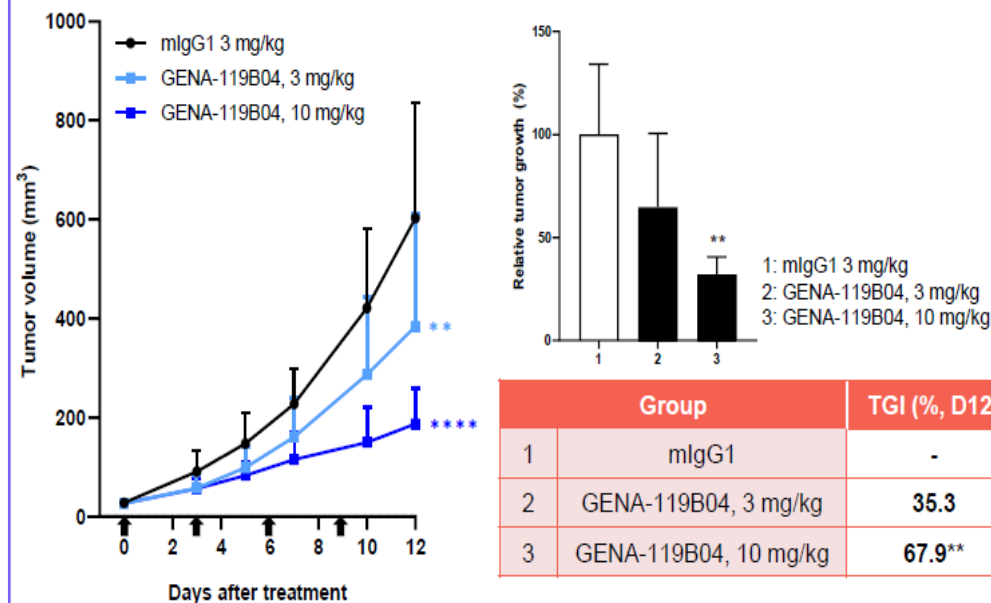
최적화된 GENA-104A16의 면역항암 효능 확인

●● AACR 2023에서 GENA-104 및 상호 결합하는 APP 관련 전임상결과 발표 ●●

GENA-104A16 전임상 결과



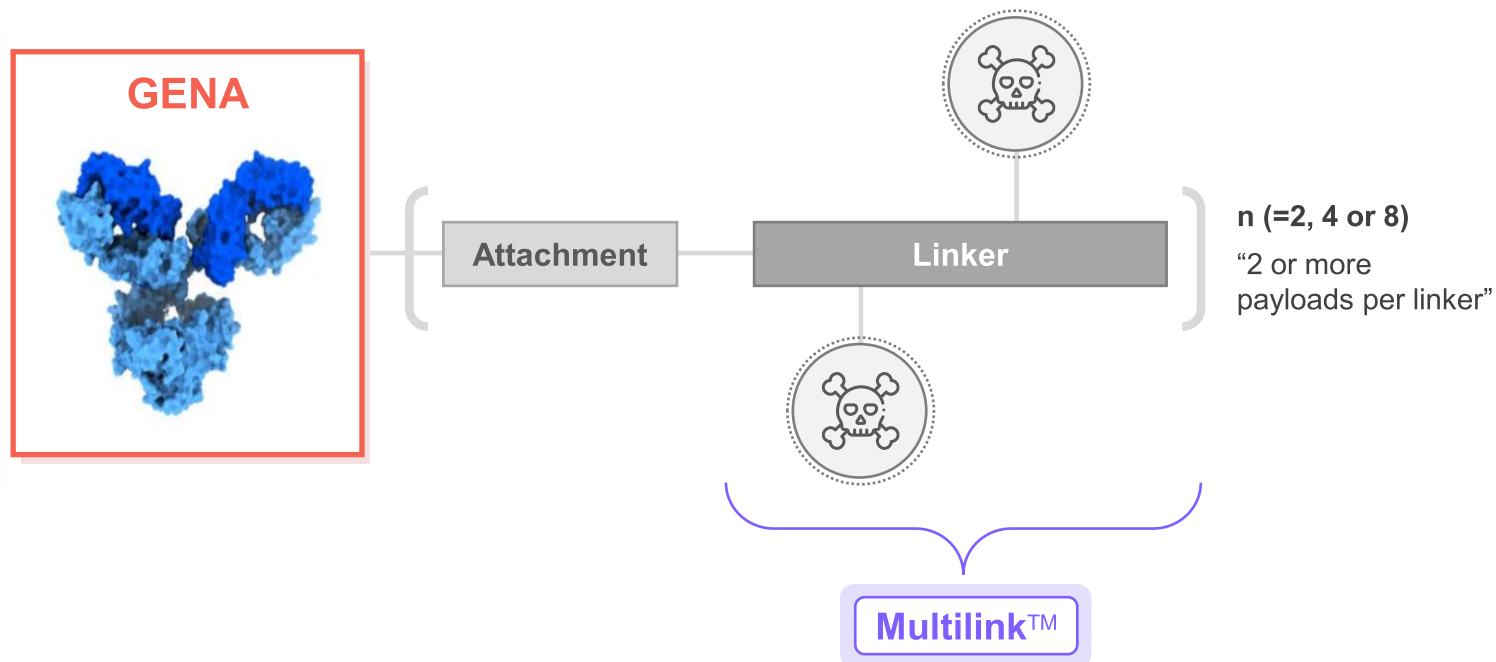
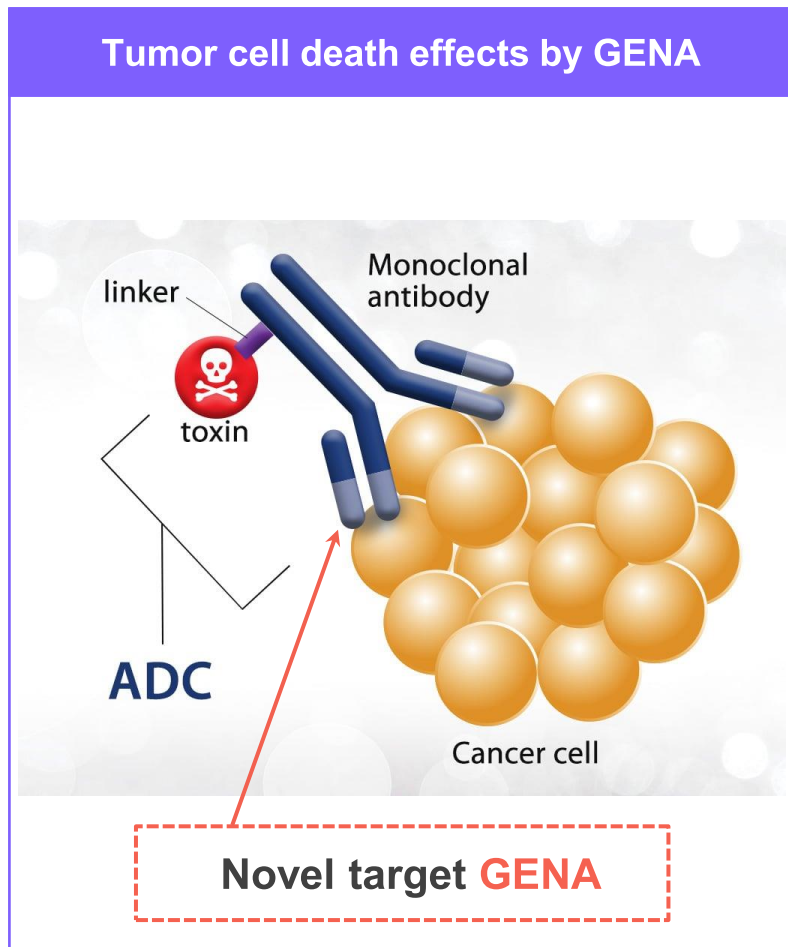
CNTN-4와 상호 결합하는 APP 전임상결과



3년 연속 해외 학회(AACR)를 통해 GENA-104 전임상결과 발표

04 ADC : 디바이오팜 공동연구계약 체결

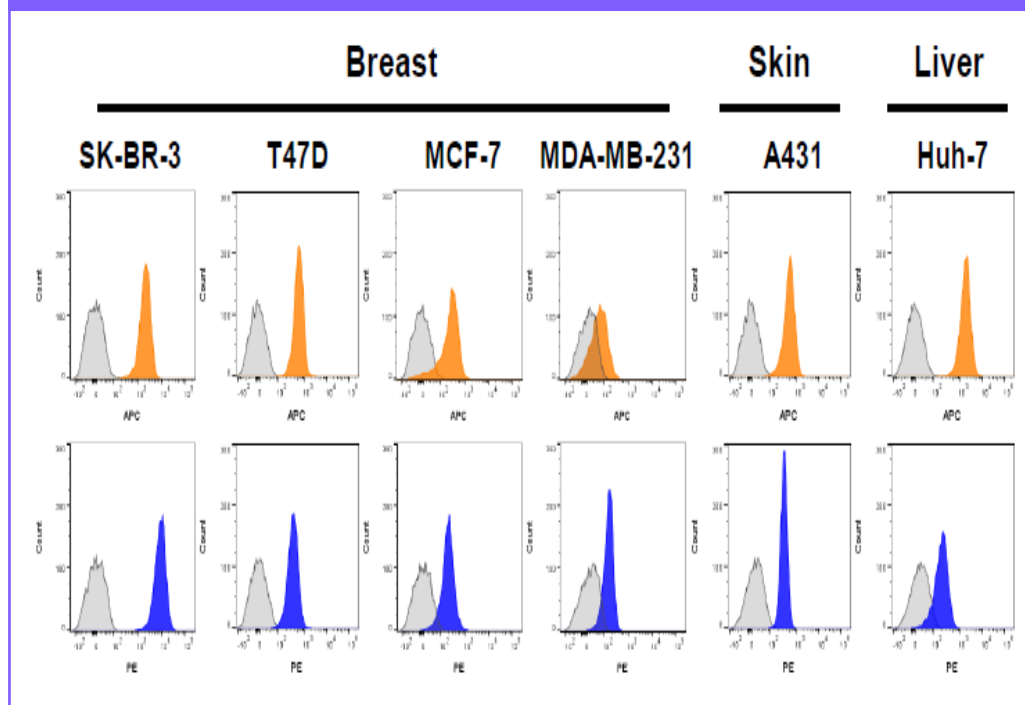
●● 지놈앤컴퍼니 신규타겟 기반 항체(GENA)와 디바이오팜 ADC 기술(Multilink™) 접목해 새로운 ADC 후보 탐색 ●●



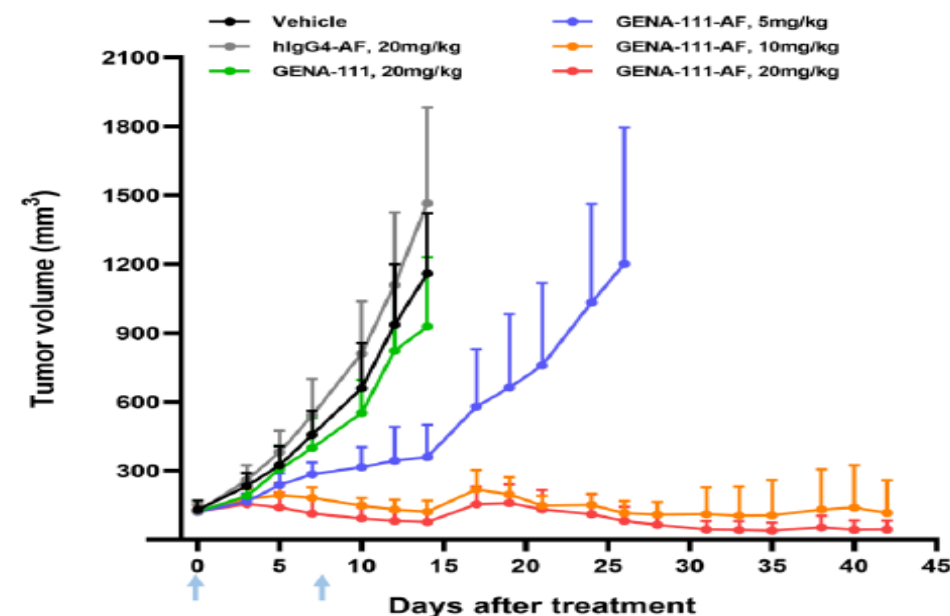
04 ADC : AACR 2022 Presentation

●● AACR 2022에서 신규 표적 CD239 및 ADC 치료 물질 GENA-111AF 실험 결과 발표 ●●

암세포주 표면에서 CD239 분포 확인



GENA-111AF 항암 효능



신규 타겟 CD239 항체 기반 ADC 치료 물질 개발 가능성 제시



기존 항암 치료요법이 가지고 있는 미충족 수요(Unmet Needs)에 대한 해결 방안 제시

구분	GENA-104	GENA-111(ADC)
신규타깃	CNTN4	CD239(BCAM)
발현 세포	종양세포(Tumor cell)	종양세포(Tumor cell)
해외 학회 참석	2021, 2022, 2023 AACR	2022 AACR
신규타깃 관련 실험 결과	<div>Expression of CNTN4 and PD-L1 in tumors</div> <div>ANOVA and student's t-test</div>	<div>BCAM expression on human cancer cells</div> <div>A</div> <div>Breast</div> <div>SK-BR-3</div> <div>T47D</div> <div>MCF-7</div> <div>MDA-MB-231</div> <div>Skin</div> <div>A431</div> <div>Liver</div> <div>Huh-7</div>

BCAM expression on human cancer cells

A

Breast

Skin

Liver

SK-BR-3

T47D

MCF-7

MDA-MB-231

A431

Huh-7

06 개발계획



●●● GENA-104뿐 아니라, 다수 신규타겟 발굴기반으로 다양한 항체/ADC 파이프라인 개발 중 ●●●

구분	파이프라인	타겟 밸리데이션 & 후보물질 도출	물질 최적화 & 후보물질 선정	전임상 (CMC, PHARMACOLOGY, TOXICOLOGY)	임상 1상	파트너사
New Biologics for Cancer Treatment	GENA-104				'23 진행 예정	
	GENA-105					
	GENA-119					
	GENA-111 (ADC)					 Research Collaboration

GENOME & CO

Thank you

지놈앤컴퍼니 (gnc-ir@genomecom.co.kr)

