

INVESTOR RELATIONS 2023

강스템바이오텍 기업설명회

- 회사 및 각 파이프라인 임상현황 소개 -



Disclaimer

본 자료는 회사의 영업활동에 대한 이해증진을 위해 (주)강스템바이오텍 이하 “회사”에 의해 작성되었으며, 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다. 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 미래 실적은 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다. 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함) 본 자료는 주식의 매매 및 투자를 위한 권유를 구성하지 아니하며, 자료의 그 어느 부분도 관련 계약 및 투자 결정을 위한 기초 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

TABLE OF CONTENTS



회사소개

파이프라인 소개

퓨어스템-에이디주

퓨어스템-오에이 키트주



Chapter 1.

회사소개



원천기술 및 인프라 확보
R&D 클러스터 조성



글로벌 바이오제약 기업을
향한 제2의 도약

설립자	강경선
설립일	2010.10.29
상장일	2015.12.21 (KOSDAQ)
대표이사	나종천
임직원수	112명

* 2023. 1분기 보고서 기준

Vision

World Top Stem Cell Company

강스템바이오텍은 고객과 시장으로부터 존경 받는
줄기세포연구기업으로 World Top Stem Cell Company가 되기 위해
임직원 모두가 '오늘보다 더 나은 내일'을 준비하고 있습니다.

Mission

혁신적인 신약 개발을 통해
희귀 난치 질환 환자들에게 꿈과 희망을!

아토피피부염, 류마티스 관절염, 골관절염 임상 진행 중



보유 파이프라인

	파이프라인	비임상	임상 1상	임상 2상	임상 3상
 아토피 피부염	'19년 현대바이오랜드 국내 독점판매권 및 기술전수 계약 체결	퓨어스템 - 에이디 주			
 류마티스 관절염	'14년 대웅제약 판권 및 공동개발 계약 체결	퓨어스템 - 알에이 주			
 골관절염	'17년 독일 Heraeus 공동개발 계약 체결	퓨어스템 - 오에이 키트 주			

풍부한 경험과 전문성을 보유한 인력으로 임직원 구성

주요 경영진



강경선 기술고문

- 서울대 수의학 박사
- 강스템바이오텍 Founder
- 한국오가노이드학회 이사장
- 첨단재생의료산업협회 회장
- 한국바이오협회 부회장



나종천 대표이사

- 서울대 약학
- 중앙대학교 대학원 약품물리학 박사
- BMS제약 Regulatory Affairs Manager
- 바이엘코리아 Market Access 부서장
- 건일제약 메디칼본부 본부장
- 한국교와기린 대표이사
- 강스템바이오텍 대표이사



배요한 임상개발본부장

- 경희대 약대 경희대 대학원 약물학
- Alcon APAC RA Regional RA Director
- 한국알콘 Clinical & Regulatory Head
- BMS제약 APAC RA Associate Director
- 한국베링거인겔하임 Head of Regulatory Affairs
- 강스템바이오텍 임상개발본부장



이승희 연구소장

- 서울대 수의학 박사
- 강스템바이오텍 연구부소장/연구기획팀장
- 강스템바이오텍 연구소장



김원균 GMP센터장

- 연세대 생물학
- 플럼라인생명과학 연구개발 이사
- 코오롱 해외사업개발 부장
- 한미약품 품질 총괄팀장
- 강스템바이오텍 출기세포GMP센터장

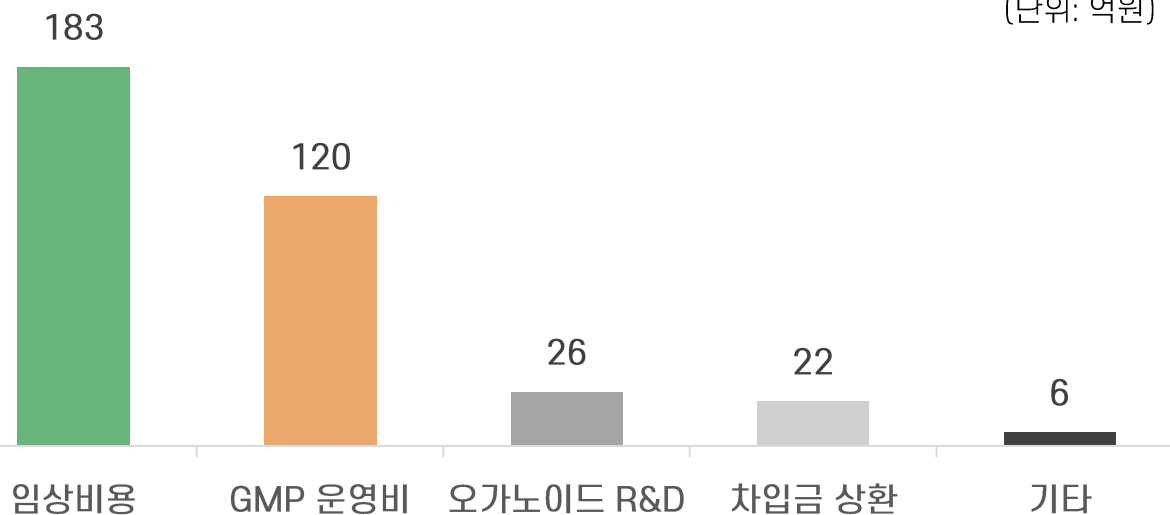


유상증자 현황

유상증자 금액 : 발행예정가 기준 357억원

임상시험 진행 및 장기 추적, 품목 허가 등을 위한 유상증자 진행

(단위: 억원)



임상비용
183억

임상 규모 확대 및 임상 후속 단계
진행을 위한 임상 비용 증가

GMP 운영비
120억

임상용 약물제조에 필요한 직,간접적인 비
용

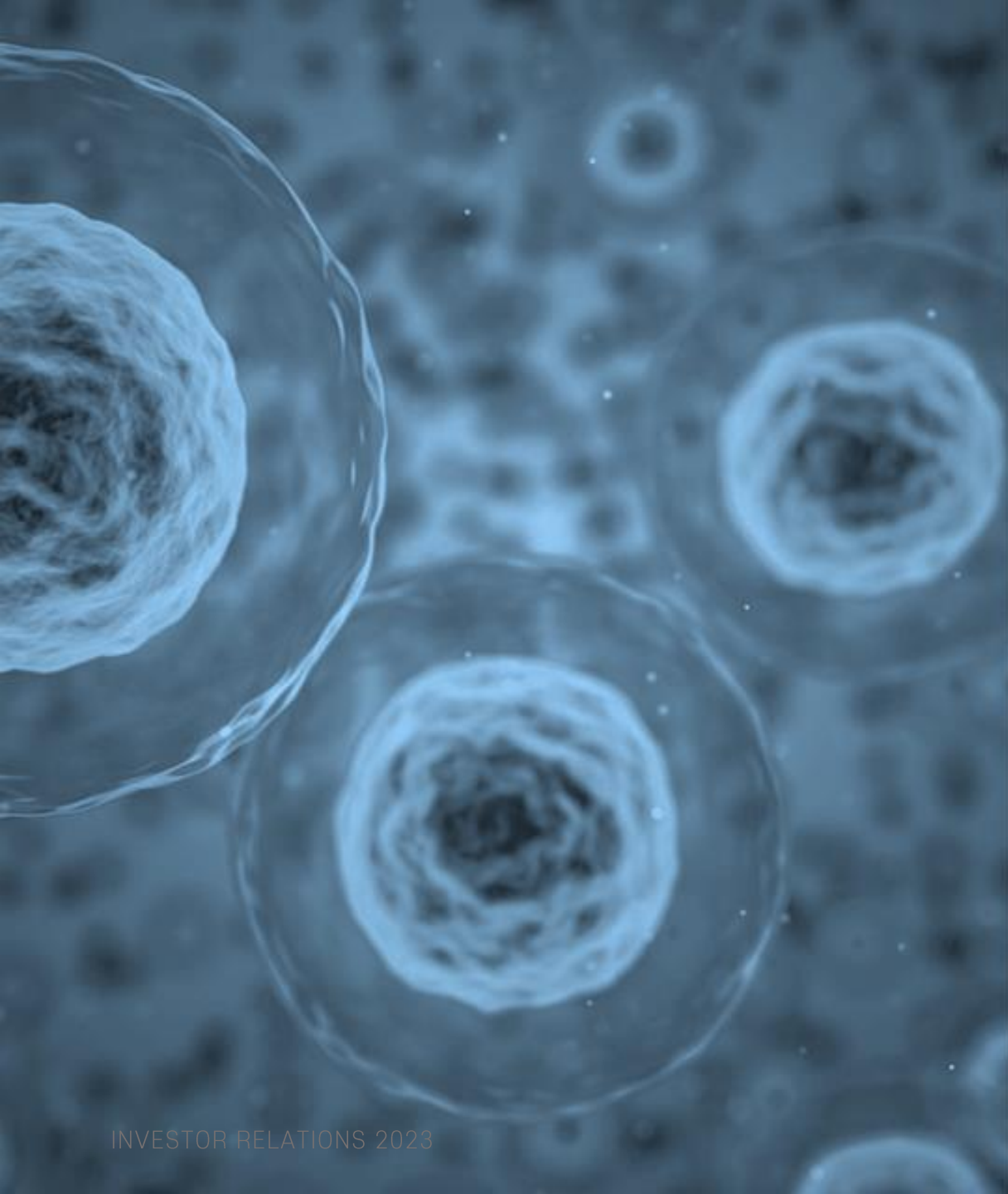
오가노이드 R & D
26억

피부 및 체도 오가노이드 개발을 위한 임상 전
연구소의 연구인건비 및 재료비 등 개발비용

차입금 상환 22억
기타 6억

부채 및 이자비용 감소를 통한 재무구조 개선
유상증자를 위한 발행 제비용

재무적 안정 강화 : 유증 완료후 현금성 자산 4~500억원 (리스크 제거 통한 기업가치 업그레이드 기반 구축)



Chapter 2.

파이프라인 소개

우수한 면역조절 능력을 지닌 제대혈 줄기세포

제대혈 줄기세포



탯줄 혈액 내 줄기세포

가장 어린, 노화를 겪지
 않은 줄기세포

고순도 분리
 대량 배양

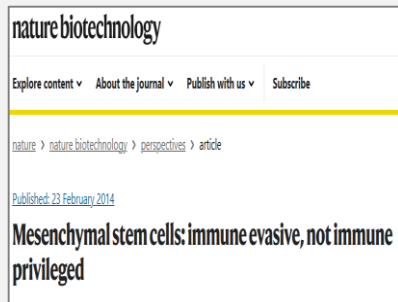


줄기세포

탁월한 증식능,
 분화능, 면역조절능

동종 줄기세포의 장점

면역 거부 부작용 없음



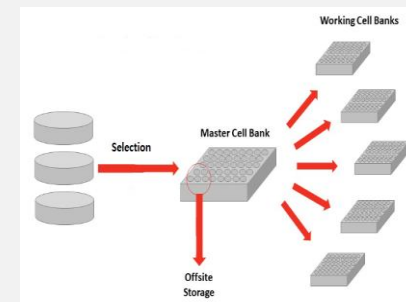
- 면역거부반응을 일으키는 MHC 항원 발현 없음.
- IDO, PGE2 등 면역조절인자를 분비해 면역반응 억제 가능

투약 편의성

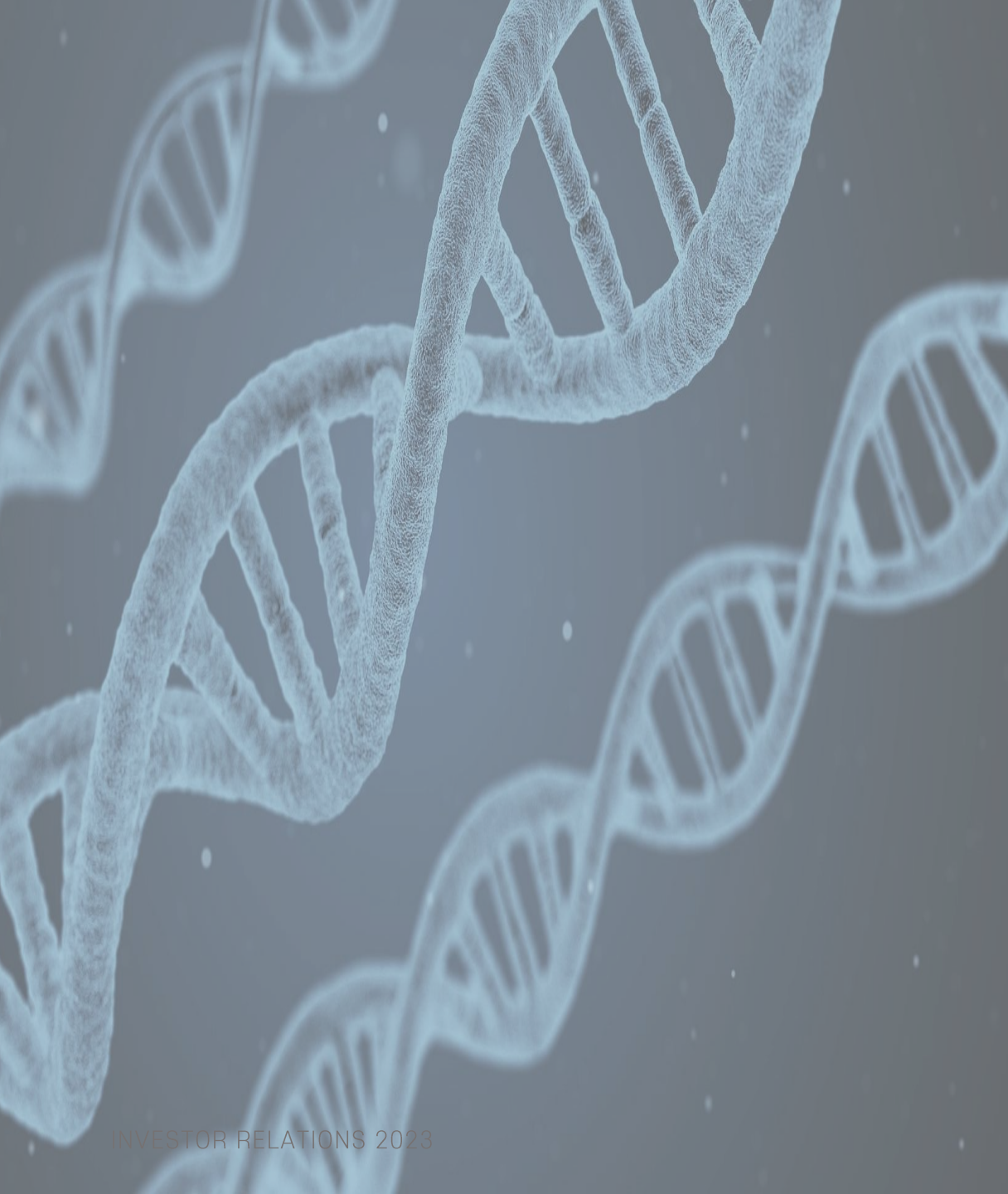


- 자가 줄기세포 채취 불필요
- 신속하고 간편 투약 가능
- 투약가능 환자 제한 없음

대량 생산, 가격 경쟁력



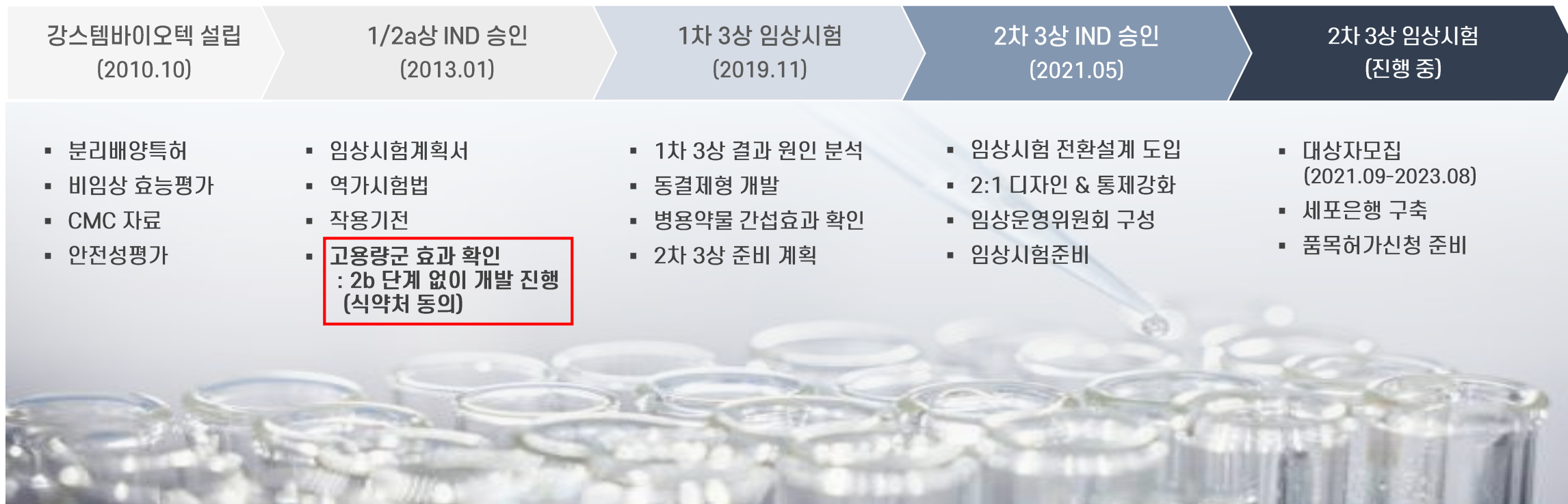
- 셀 बैं킹 구축하여 생산성 향상
- 글로벌 진출 필수요건 충족 (FDA, 첨바법)



Chapter 3.

퓨어스텝-에이디주

강스템바이오텍의 아토피 치료제 개발과정



임상 1/2a상에서 아토피 피부염 측정 지수의 유의미한 감소 확인

- ✓ 줄기세포 단회투여에 의해 가역적인 아토피 치료가 가능하다는 가능성 제시
- ✓ 식약처로부터 2a 임상결과를 바탕으로 바로 3상 임상시험으로 직행 가능하다는 과학적 근거
- ✓ 이후 진행된 장기추적조사결과 효과가 장기간 유지될 수 있다는 점이 확인
- ✓ 줄기세포의 안전성 확인하는 계기

 임상 1/2a상 자료


- FURESTEM-AD® Inj.의 안전성 및 유효성 평가 중등도~중증 아토피 피부염 환자 대상(AD)
- 임상시험 기간 : 12주, 전체 대상 수: 32명, 임상 1상 : 6명 대상, 임상 2a상 : 26명 대상

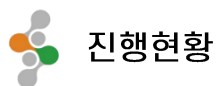
[Dose-dependent effectiveness]

구분	용량	환자 수	EASI-50 점수 감소율 (평균)
고용량군	50,000,000 (5.0×10^7 cells)	12	55%
저용량군	25,000,000 (2.5×10^7 cells)	14	36%

- 두 용량에 대한 아토피 피부염 측정 지수의 유의미한 감소 확인
- 저용량군 대비 고용량군(5.0×10^7 cells)에서 유의미한 감소 확인
- Confirmed dose-dependent effect

Clinical Trial of Human Umbilical Cord Blood-derived Stem Cells for the Treatment of Moderate-to-Severe Atopic Dermatitis: Phase I/IIa Studies, Stem Cells (2016)

2024년 초 임상 3상 완료 목표



항목	시기	진행여부
3상 임상시험 승인	2021. 05. 08	V
최초 대상자 투약완료	2021. 09. 10	V
총 315명 대상자 투약완료	2023. 08. 23	V
임상완료시점	2024. 02	
DB Lock	2024. 04	
임상시험보고서 완료	2024. 06	

1차 3상 임상시험을 보완해 2차 3상 임상시험 진행

지난 임상시험과의 비교

지난 1차 3상 시험(K0102)

- Live cell 임상시험용의약품 사용 – 출고후 48시간의 짧은 유효기간
- 임상약품 세포활성 저하
: GMP 출고후 투약까지 시간의 지연
(1/2a 상의 경우 6시간 이내 vs 3상의 경우 평균 24시간 이상)
- 약물-약물 상호작용에 대한 충분한 이해부족
- 대규모 3상 임상수행의 경험부족
: 1/2a는 1개 기관에서 30명 대상자에서 수행된 반면,
3상 임상 11개 기관에서 200명 대상자에서 수행



이번 3상 시험(K0106)에서 주요변화

- 동결보관 임상시험용의약품(SELAF System)
: 투약직전 해동 사용 세포활성유지
- 철저한 임상시험용의약품 공급관리체계 구축
- 임상개발본부 인적보강
- 획기적 임상시험 디자인 개선
- 임상시험 통제 강화 – 병용약물/허용약물 관리
- 임상시험 준비에서 효율성 및 전문성 강화
: 임상운영위원회/ 대한아토피학회 중심의 PI 선정
- 최상의 임상시스템 도입: Medidata Rave/eCOA

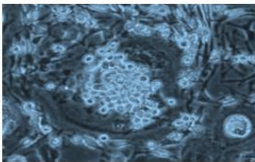
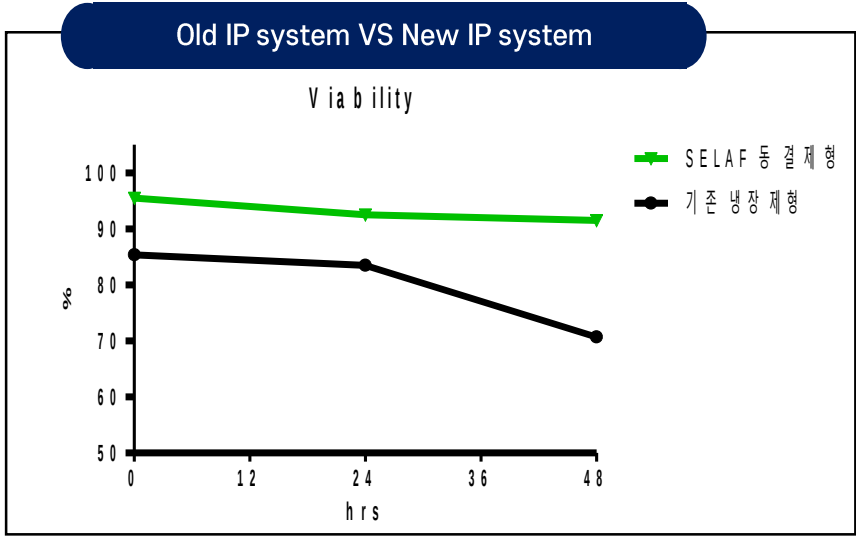


획기적으로 개선된 임상시험의약품 'SELAF SYSTEM'

IP 시스템 비교

항목	이전 IP 시스템 (냉장 보관)	현재 IP 시스템 (극저온 보관)	기대효과
유효기간	출고 후 48 시간	질소탱크(LNT) 하에서 36 개월 (-130℃) 이상	장기간 보관 가능에 따라 사업성이 크게 확장
IP 공급방식	투여계획 전일 생산 및 출고	냉동조건(-70℃)으로 IP를 공급 & 투여직전 해동 후 투약	임상수행에 유연성 확보
해외임상 IP 공급	IP 공급을 위해서는 해외 제조소 필요 - 고비용 및 관리의 어려움	단순한 공급관리(보관 및 공급을 위한 창고) - 저비용 및 상대적 고효율성	해외임상 비용의 절감 및 효율적 IP 관리 도모
세포활성	출고 후 투약 시 세포활성이 시간 에 비례하여 급속하게 떨어짐	거리에 관계없이 해동 후 투여를 통해 최적의 세포활성의 유지가 가능	임상시험 및 상업화에 유리한 환경 구축
세포은행	세포은행의 미구축	MCB 구축에 따라 최대 300만 바이알 생산가능	우수한 세포활용에 따른 효과증 진 및 원가절감/상업화

- ✓ 기존 IP 24시간 경과 후 세포활성도의 급격한 저하 (80% 미만)
- ✓ 현재 동결제형 IP 세포활성 유지



Selected Cell



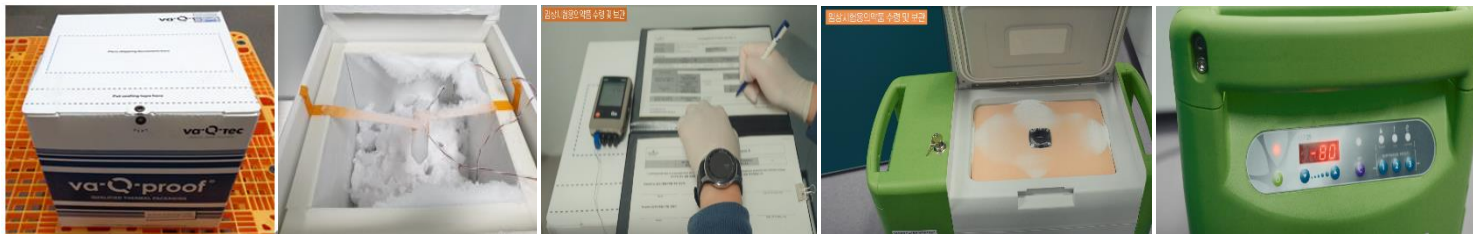
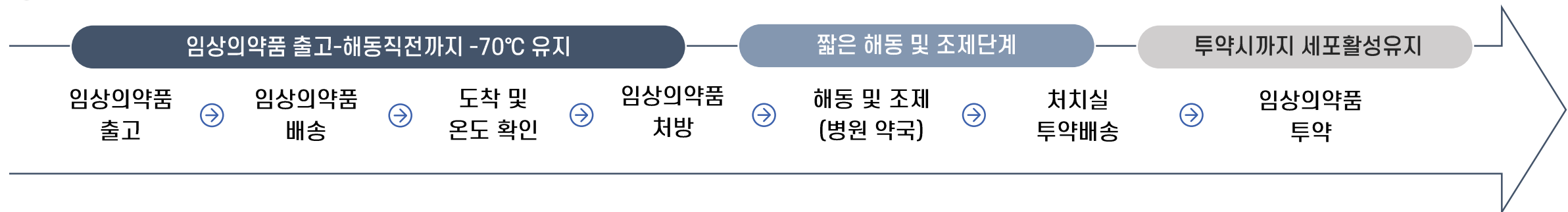
Large Scale



Freezing Technology

임상시험용의약품의 공급 - 온도관리 & 세포활성 최적유지

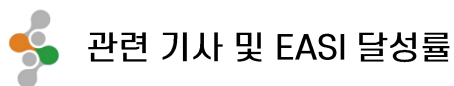
임상시험용의약품 공급 단계



Purple Vie
해동시 물이 필요 없는
전용해동기 공동개발

- ✓ 12주 위약대비 EASI50 달성율에서 통계적 유의성 확보
- ✓ 매우 안전한 약물: 본 임상 및 5년 장기추적조사결과 (총노출환자 약 500명 이상)
- ✓ 효과 지속성 및 환자 투약편의성: 년 1회 피하주사를 통해 아토피 피부염 관리가능
- ✓ 효과 지속성
 - 12주 이후 (14주, 16주, 20주, 24주) EASI50 달성율 지속적 증가
 - 장기추적조사 12개월 방문 EASI50 달성율 64%(최대 70%) 및 EASI75 달성율 42%*
 - MoA가 비교적 잘 규명된 세포치료제 가능성 높음

퓨어스팀-에이디주, 전 임상 대비 안전성 및 유효성 향상



관련 기사 및 EASI 달성률



MTN 뉴스

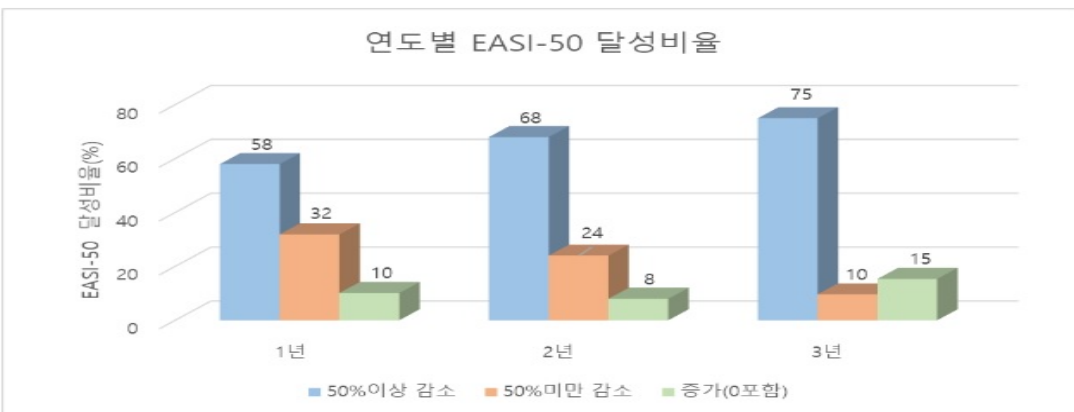
증권

강스템바이오텍 "퓨어스팀-에이디주 장기추적 결과, 안전성·유효성 입증"

아토피피부염 줄기세포 치료제 세계 최초 장기추적 결과 발표

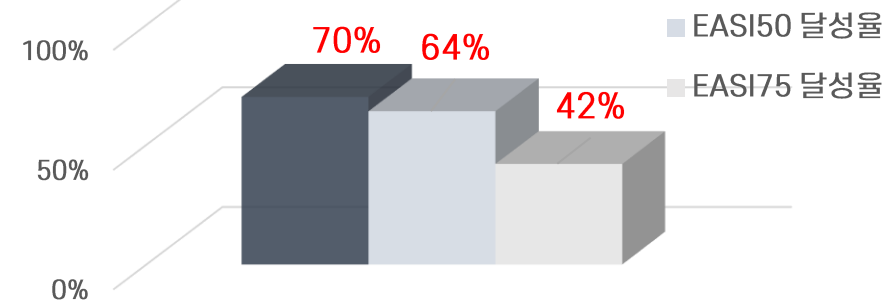
문정우 기자

입력 2022-08-24 09:07:36



▲2019년 1차 3상 결과

[12개월 시점 EASI 달성율]



2023.09.04 기준

64 ~70% 달성 기대
(전 임상 대비 +6~12%)

- ✓ 업그레이드된 장기지속효과
- ✓ 기존임상대비 향상된 EASI50 달성율
- ✓ 시판 중인 항체치료제 수준의 EASI75 달성율

3상 임상시험 후 L/O 가능성

- ✓ 기존 시판중인 아토피 치료제와는 전혀 다른 기전
- ✓ 효과의 지속성 및 투약의 편의성
- ✓ 뛰어난 안전성
- ✓ cGMP 수준의 제조 및 품질에 대한 신뢰
- ✓ 가격경쟁력 – 세포은행구축 및 대량생산능력 (SELAF System)

2025년 내 '퓨어스텝-에이디주' 품목 승인 예정



장기 지속 치료효과로 2,000억원 국내 시장 도전

퓨어스템AD의 가격경쟁력 발생 원인

- ✓ 부작용이 거의 없는 질병에 대한 근본적 치료 방법
- ✓ 단회투여 장기간 효과 지속 → 투약횟수의 현저한 감소
- ✓ 항체치료제대비 연간 단위 환자부담 치료비 낮음(비급여기준 50% 이상 가격경쟁력 발생)

중등도 이상 성인 환자

[Moderate to Severe]

- 국내 성인 환자 약 25만명 추산
(출처 : 건강보험심사평가원)

목표 시장 침투율 10% 이상

- 주요 타겟 환자
 - 보험비급여 환자 (가격경쟁력)
 - 항체치료제 불응환자, 내성, 불응환자
 - 단회치료 선호군

예상 매출액 2,000억원 시장 추산

- 1 vial 판매가 : 800만원(가정)
- 대상 환자수 : 25만명
- 투약 환자수 : 2.5만명 (25만명*10%)
- 2000억원 매출규모 추산(800만원*2.5만명)
 - 신규환자유입, 제품 Life Cycle Mgt.로
연간매출 규모 유지

글로벌 아토피치료제시장 약 20조 [출처 : Spherical Insights 등] : 항체치료제 출현 前 8조 규모에서 3배 성장, 줄기세포 치료제는 또 다른 시장 창출 가능

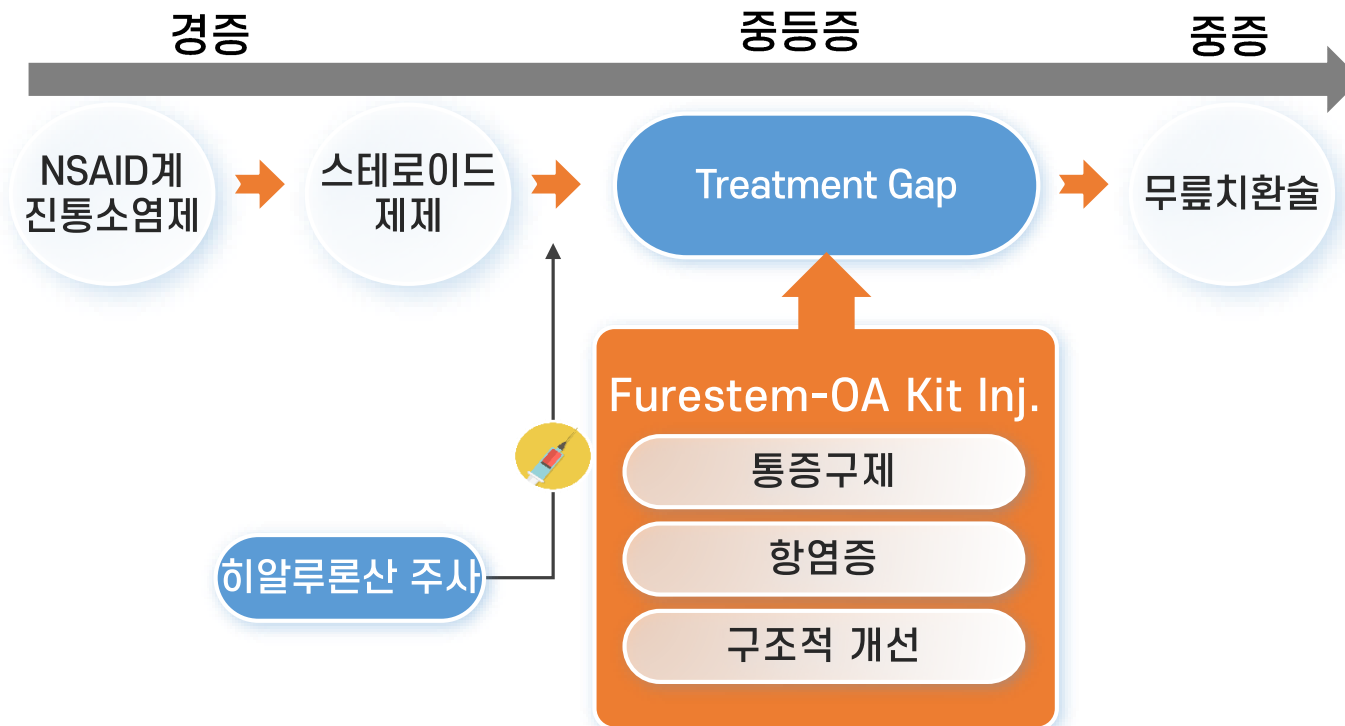


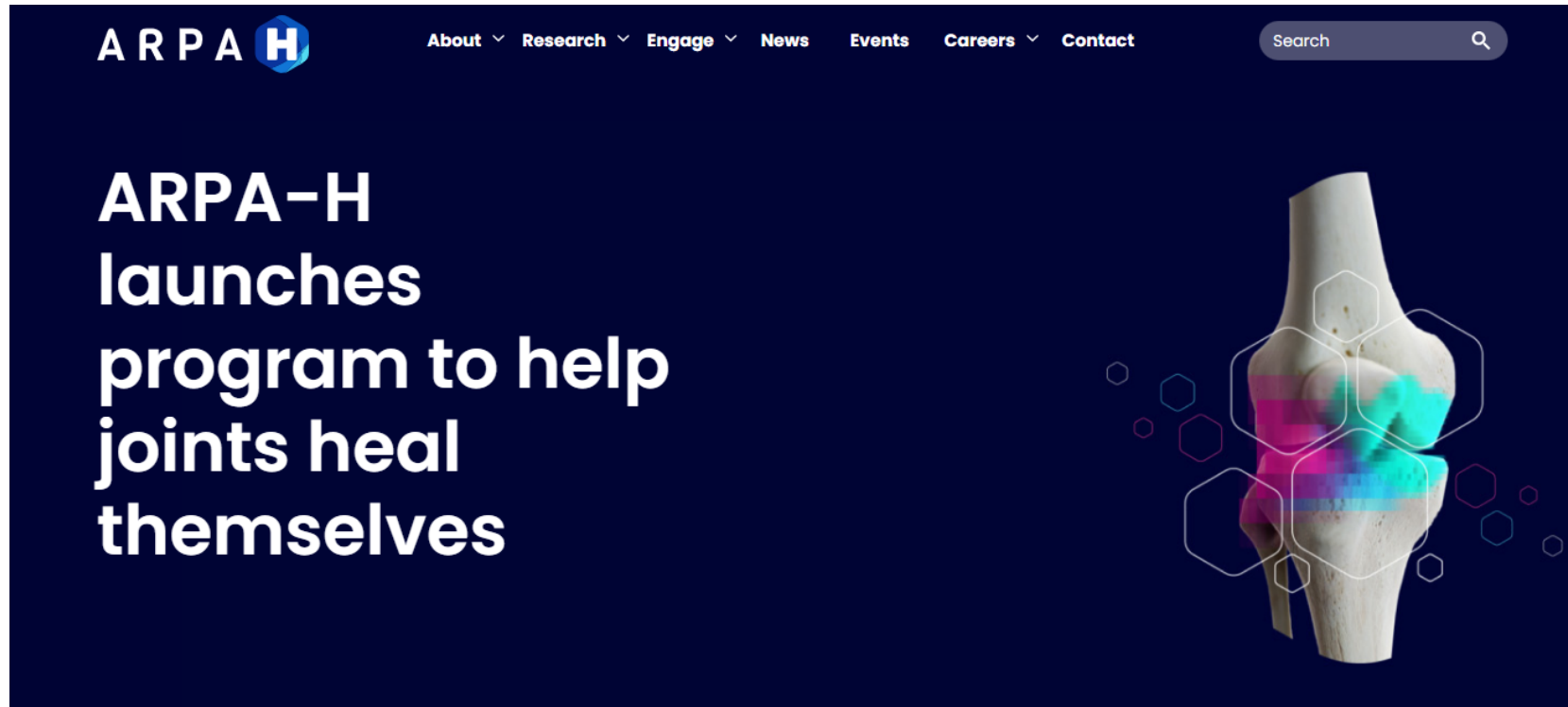
Chapter 4.

퓨어스템-오에이 키트주

왜 무릎 골관절염인가?

증상완화 이외에는 효과적인 치료제가 부재한 중등증 (K&L Grade 2-3)
무릎골관절염 환자에게 근본적인 치료의 기회를 제공하고자 함

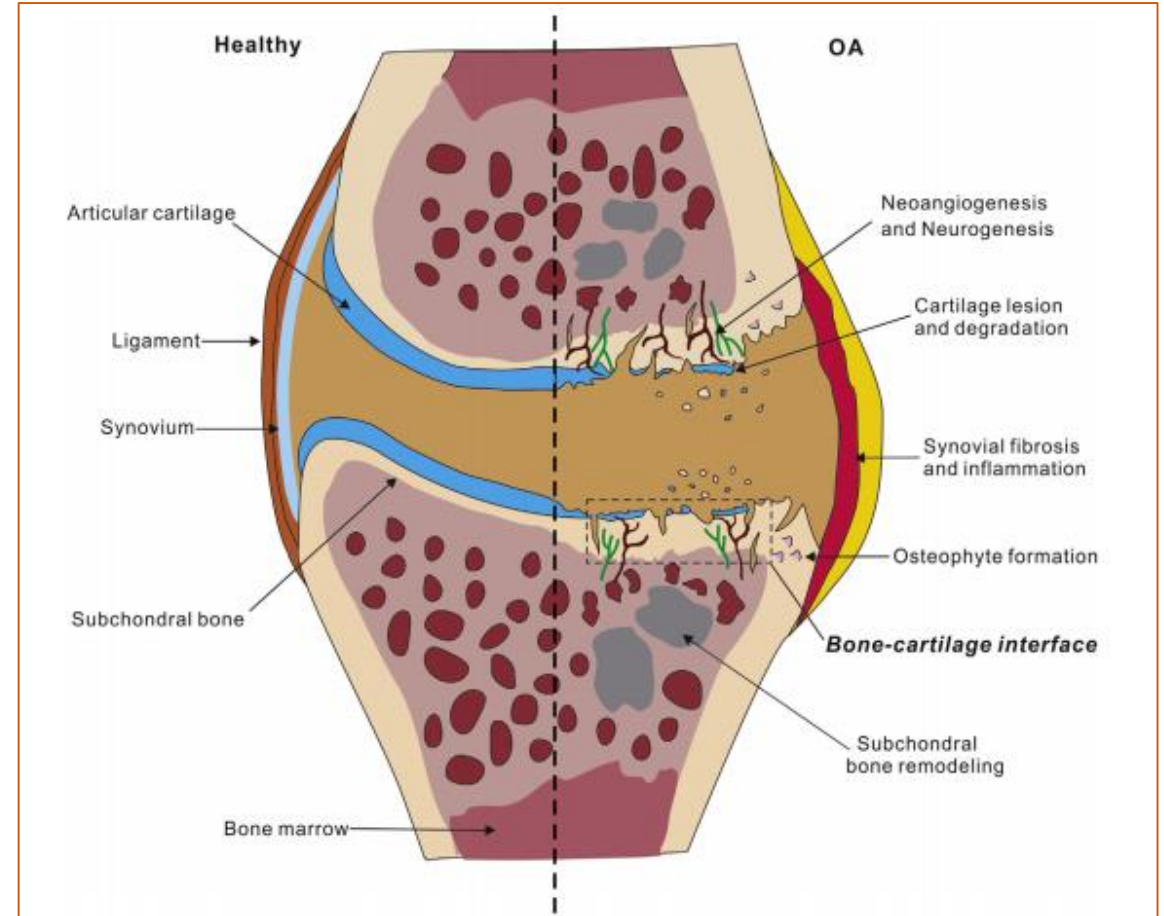




Biden Harris Administration's ARPA-H initiative launches new program to help joints heal themselves

ARPA-H's first program seeks innovative proposals to reverse osteoarthritis

무릎 관절의 구조와 골관절염 환자의 특징



퓨어스텝 오에이 키트의 주요 특징

뛰어난 연골재생능력과 연골주변부 구조개선을 통한 근본적인 골관절염 치료
(DMOAD, Disease Modifying OsteoArthritis Drug)

 퓨어스텝 오에이 키트

줄기세포기반의 융복합 DMOAD

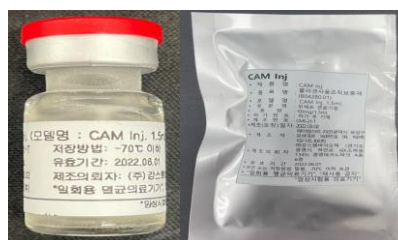
Solution 1



Furestem-OA Inj.

동종 제대혈유래
중간엽줄기세포

Solution 2



CAM Inj.

세포를 제거한
연골 세포외기질



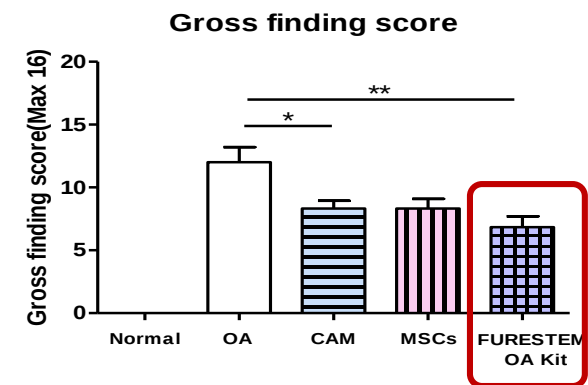
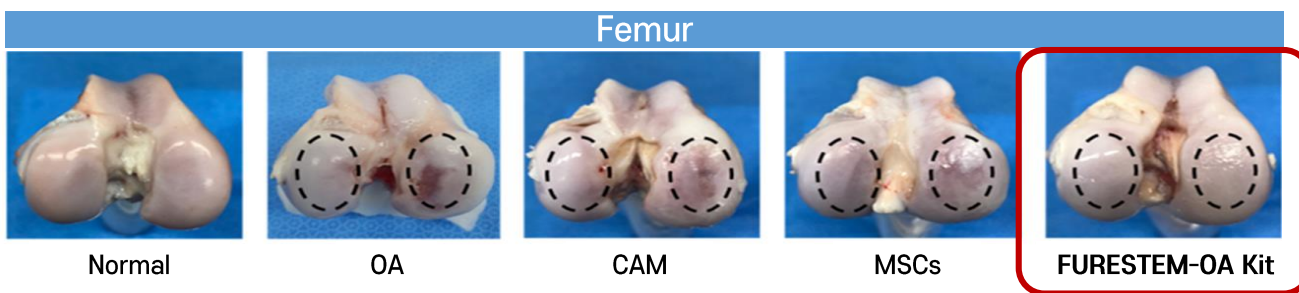
치료학적 효과 – 대동물 관절의 구조적 개선

퓨어스템 오에이 키트 주 투여 후 6개월 및 12개월 시점에서 유의한 육안 총괄평가점수 (Gross finding score)의 개선

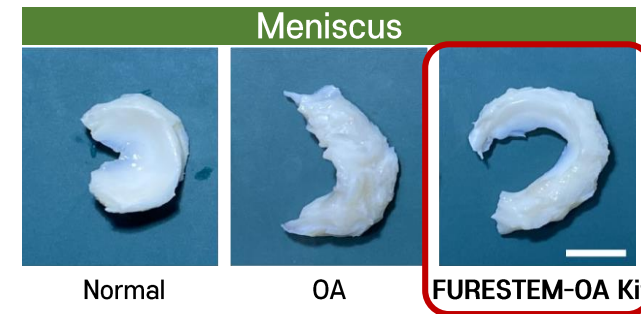
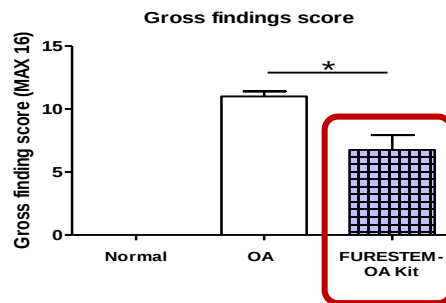
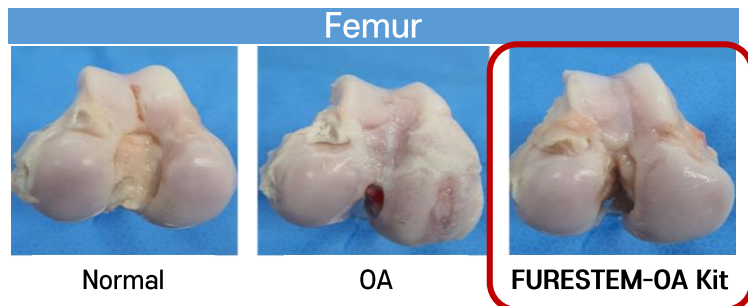
염소 ACLT+MMX 모델 실험 결과

염소
ACLT+MMX 모델

6 month F/up



12 month F/up



치료학적 효과 – 걸음걸이 행동 및 통증 구제

투여 후 12개월 시점에서 염소의 걸음걸이 행동(Lameness Score)에서 유의한 개선을 확인함

염소 ACLT+MMX 모델 실험 결과

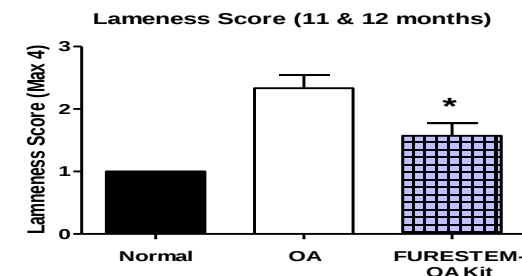
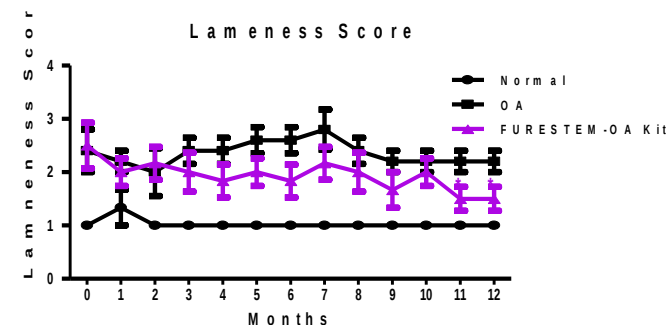
염소
ACLT+MMX 모델



Normal Goat



Osteoarthritis Goat



➤ Showed exactly same score trend on 11 and 12 months

Kim et al., TERM 2022

1상 임상시험의 목표

✓ 중등도 무릎 골관절염 환자에서 시험약의 안전성 확인 (저/중/고용량)

- DLT/MTD 확인
- 6개월 안전성 – 영상의학데이터 판독 포함

✓ 유효성 탐색 – 대동물 비임상 결과 재현

- 통증완화
- 기능개선
- 삶의 질
- 영상의학적 평가를 통한 구조적 개선 (MOCART & WORMS)
- 7종 Biomarker의 변화수준과 유효성 연계

- ✓ **1상 결과로 글로벌 빅파마 L/O 가능성 고조**
- ✓ **사람에서 연골재생 & 연하골 구조개선이 확인**
- ✓ **줄기세포 기반 융복합제제 – 지적재산권, 특허보호 유리**
- ✓ **MoA에 대한 명확한 규명 – MRI/biomarker 근거**
- ✓ **우수한 제조품질 – SELAF System & Cell banking**