

INVESTOR RELATIONS 2023

강스템바이오텍 기업설명회

- at GMP -



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



회사 소개

GMP (SELAF)

오가노이드 기술

임상
(Furestem - AD, OA, RA)



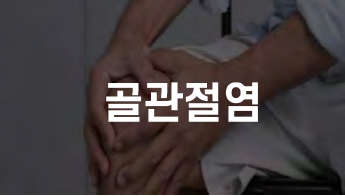
INVESTOR RELATIONS 2023

Chapter 1.

회사소개

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



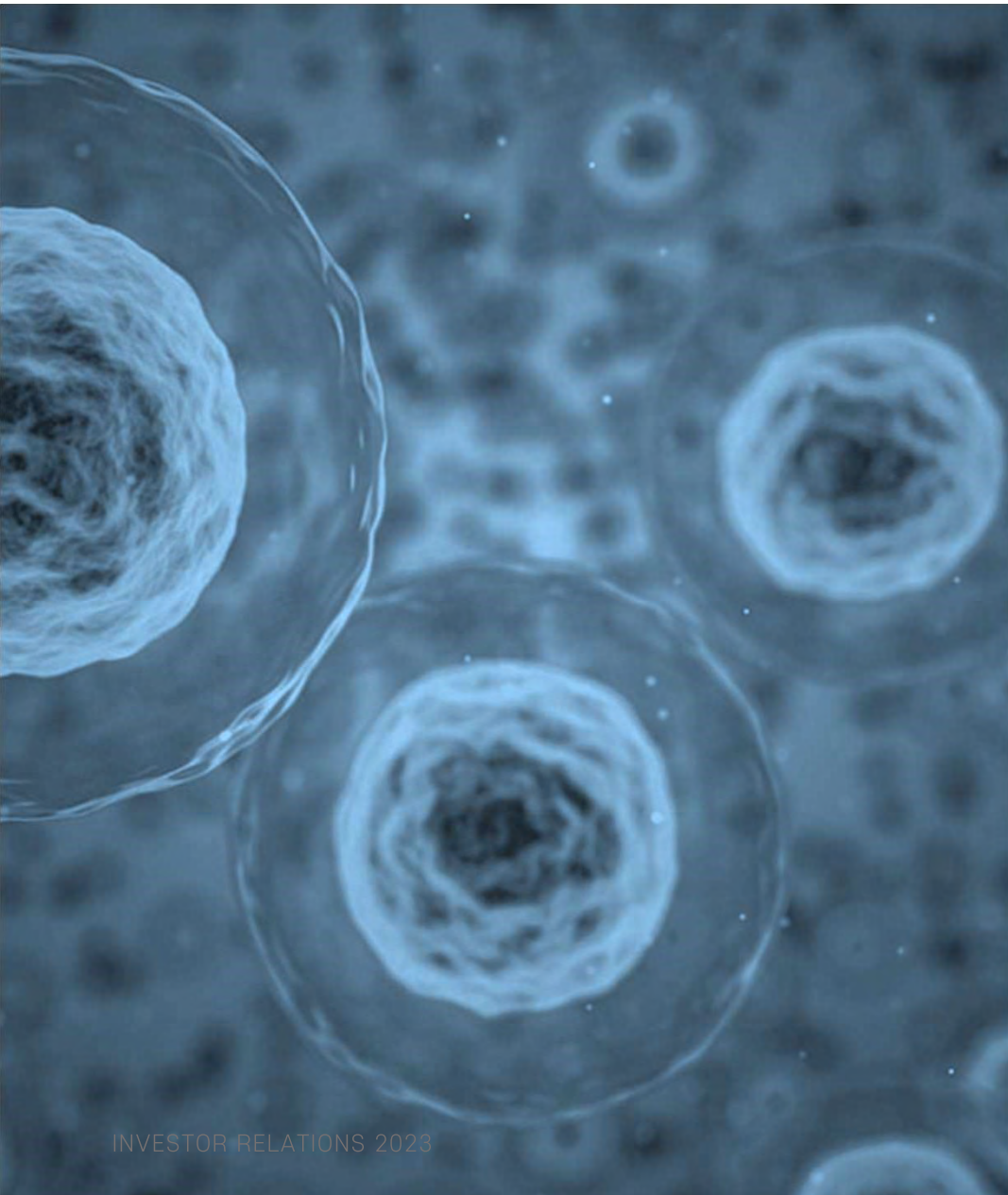
이승희 연구소장

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



김원균 GMP센터장

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



INVESTOR RELATIONS 2023

Chapter 2.

GMP (SELAF)

제대혈 500 건 × 20개 시험, 500건 기증자 적합성 시험



1차 선별 140 lot 140 lot * (2명 * 10hr) = 2,800hr



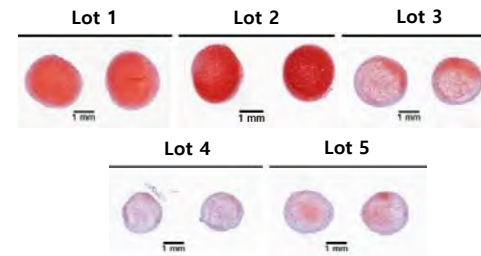
2차 선별 (저장) 28 lot 28 lot * (8명 * 13hr) = 2,900hr



특성분석 5 lot 분석항목(22가지 항목)
성장특성, 연골분화능, 증식능, 면역조절능, 노화,
외래성오염인자(해외 인증기관 1.5억)

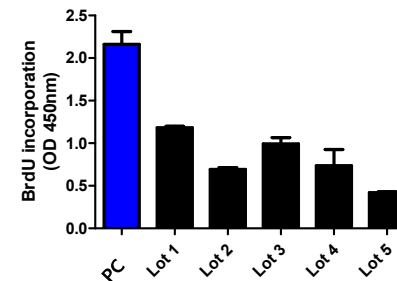
MCB 5 Cell line MCB로 적합한 5 Cell line 확보

연골분화능



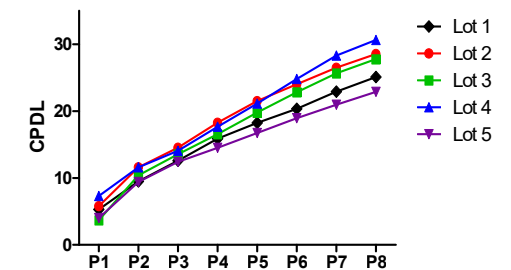
- 연골분화 후 Safranin O Staining 결과,
- 붉은색으로 염색된 정도에 따라, 연골분화능 평가
- 퓨어스템 오에이 키트 주 선별 기준

면역조절능



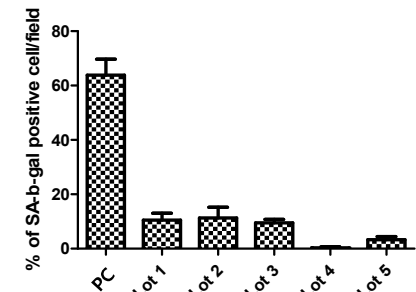
- Positive control (PC, blue bar) 대비, 유의적 면역세포증식 억제능 확인
- 퓨어스템 에이디 주 및 오에이 키트 주 선별 기준

증식능

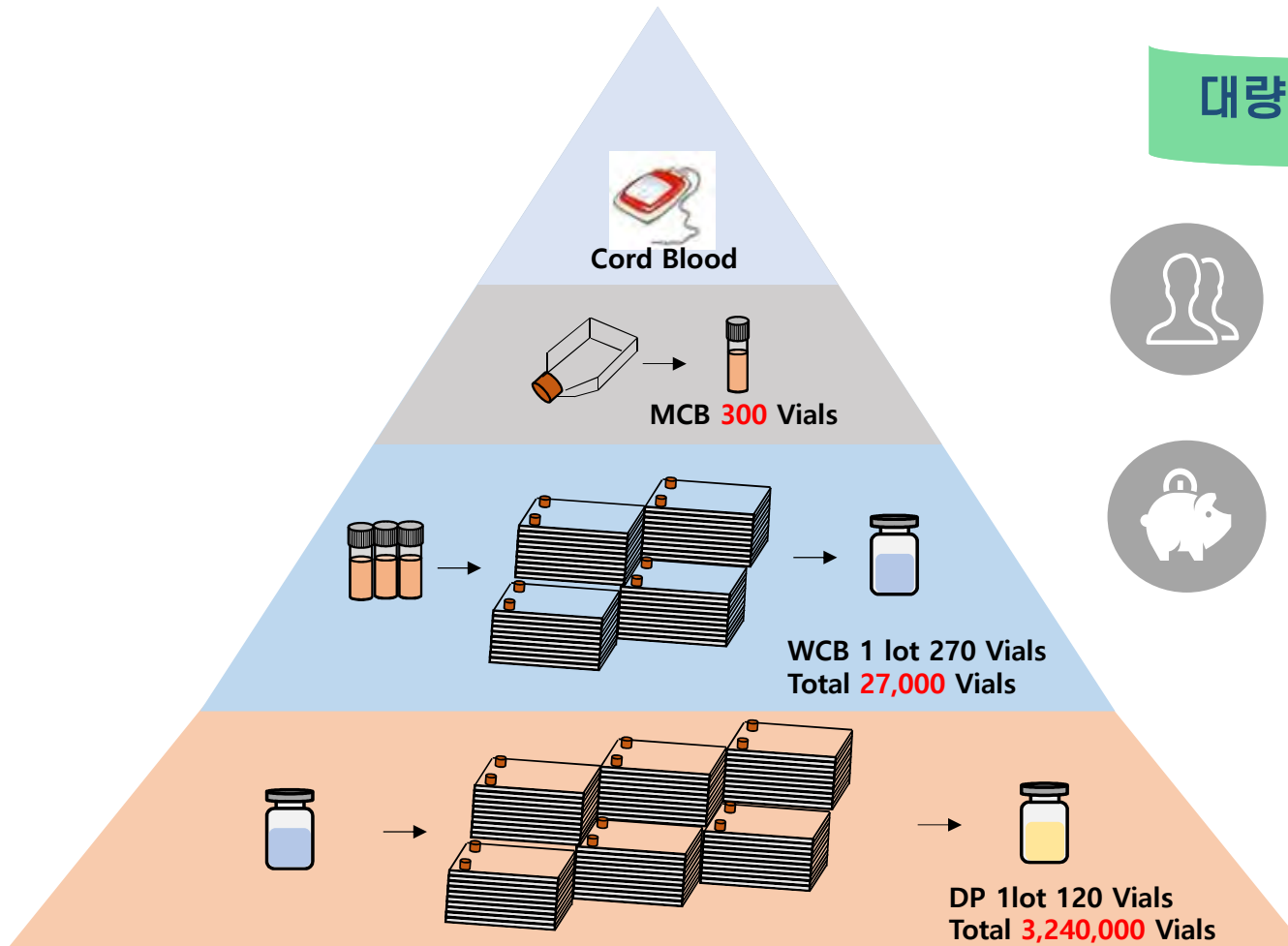


- 계대수 증가에 따른 세포 성장능 확인

노화



- Positive control (PC) 대비, 유의적 낮은 노화 수준 확인



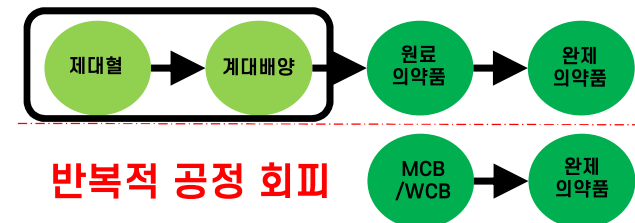
대량배양기술(세포은행 적용) 효과

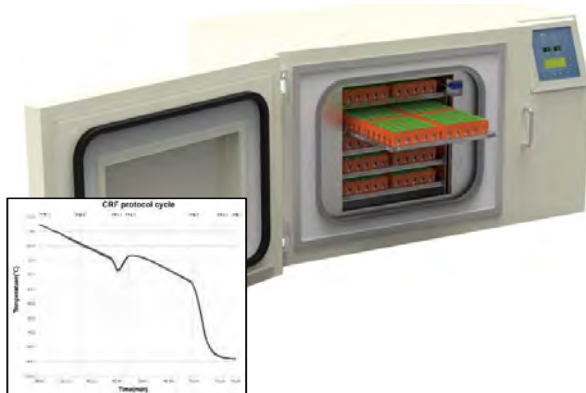


- Donor Variation 최소화
(완제의약품 품질의 일관성 증대)
- 대규모의 세포 공급 가능(3백만 바이알 이상)



- 공정 표준화 및 품질시험 횟수 축소
- 반복적인 공정 회피에 따른 비용절감
(40%)





동결프로그램 개발

(품질을 위한 최적 프로그램)
: 자사제품의 특성을 반영한
전용 동결 cycle 개발



동결보조기구 개발

Cryosupport
: 공기 순환 최적화, 온도 상승 방
지를 통한 균일한 동결 환경 조성



해동기 개발

Purple Vie Thawer
: 일관된 품질(해동 재현성) 확보,
water-free system(오염방지)



높은 세포생존율 확보 (95% 이상)

Global Supply 실현 가능

동결보조기구 및 해동기 바이오 업계 판매 중

CDMO 사업 현황

큐라미스

세포융합기술 기반
세포유전자치료제
(mRNA 이용)

2023.09.
세포은행구축계약

와이제이 세라퓨틱스

교차분화 신경전구
세포치료제
(저분자 화합물 이용)

2023.10. 본 생산

프리모리스 테라퓨틱스

제대혈줄기세포 유래
엑소좀 기반
창상(화상)치료제

2022.12. IND 제출

클립스비엔씨

안과질환용 윤부
줄기세포 치료제

2023.09. IND 제출

Selected
cells



Large
scale



Freezing
tech.



IND 제출





INVESTOR RELATIONS 2023

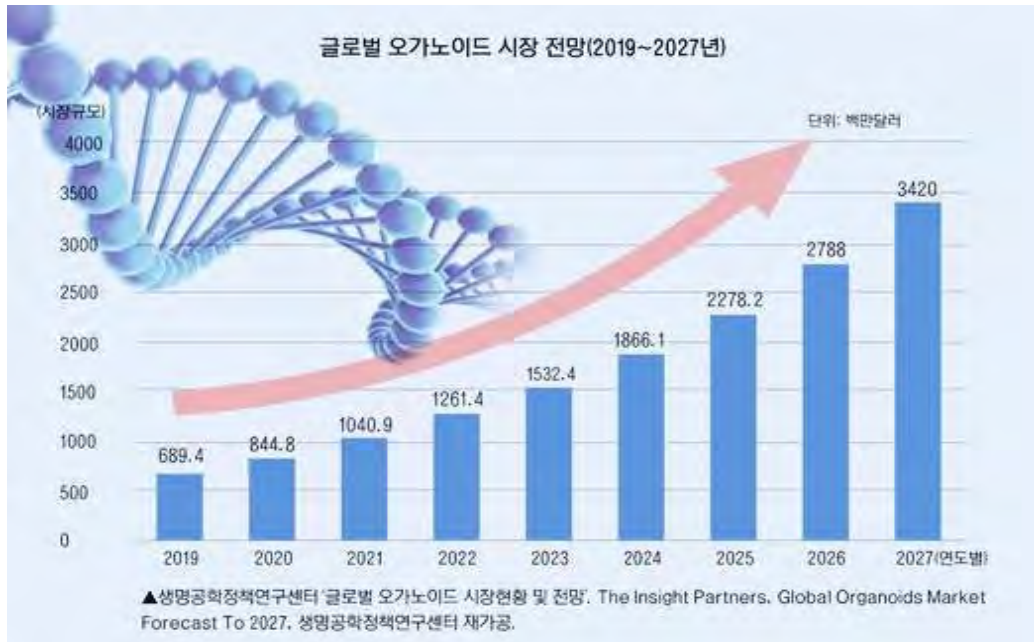
Chapter 3.

오가노이드 기술

Chapter 3. 오가노이드 기술 대체시험 시장성

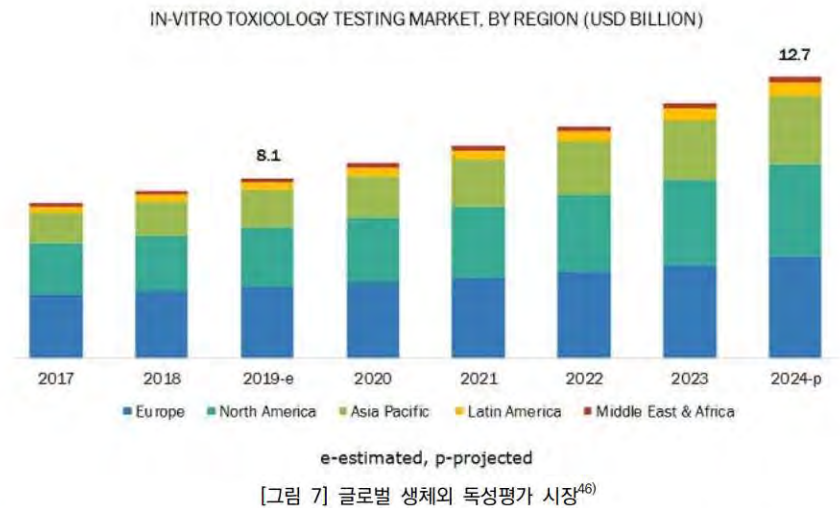
❖ Global Organoid Market

- 2019년 약 7,775억원 -> **2027년 약 3조 8,000억원**
- 연평균 성장률 22.1% 추산



❖ Global in-vitro toxicology market forecast

- 2019년 81억 달러에서 **2024년 127억 달러**, 연간 9.3% 성장 예측
- 동물 대체시험 시장은 화장품 및 동물시험금지 추세에 따라 지속적으로 증가



- 분야별로는 ADME, 피부 자극·부식과 감작성, 생식독성, 세포독성, 안독성, 장기독성 (organ toxicity), 광독성, 피부(진피)독성 등을 포함하는 시험법 등으로 나눌 수 있으며, 이 중 장기독성 분야가 가장 높은 연평균 증가율을 나타낼 것으로 전망하고 있음

홈 > 산업 > IT

'인공장기'서 '배양 칩'까지 ...동물실험 대체할 신기술들 [지구용 리포트]

입력 2023-04-21 20:38:54 수정 2023.04.22 08:52:14 유주희 기자·박윤선 기자



의약품 개발에 연간 5억 마리 동물 희생
美 FDA선 동물실험 규정 84년만에 폐기
가상인체로 검증 '컴퓨터 모델링' 등

동물의 희생을 배제한 동물 **대체 시험 기술**은 이미 개발 단계에 와 있다. 대표적인 것이 일종의 인공장기인 '**오가노이드**'다. 현재로서는 구현할 수 있는 장치의 크기가 매우 작다는 등 한계가 있지만 기술이 충분히 뒷받침되면 성장성이 크다는 게 전문가들의 견해다. 또 다른 대안인 '**장기칩**'은 전자회로를 올린 칩 위에 인간의 장기 세포를 배양하는 기술이다. 오가노이드는 혈관이 없는 세포 덩어리에 가깝지만 오가노이드를 장기칩 위에 올리면 세포끼리 연결돼 세포 간의 영향까지 파악할 수 있다. 현재 간·신장·척수·심장 등 15종 이상의 장기칩이 개발된 상태다.

□ 로슈, **오가노이드 연구에 집중**하는 '인체 생물학 연구소(IHB)' 설립

- 스위스의 다국적제약회사인 로슈는 5월 4일 오가노이드와 같은 인간 모델 시스템 분야 연구를 발전시키기 위해 '인체 생물학 연구소'를 설립했다고 발표함.

- 이는 오가노이드 인간 모델 시스템을 통해 어떻게 장기가 기능하고 어떻게 질병이 발전하는지에 대한 이해를 높여 **신약 발굴과 개발**을 촉진하기 위한 것임.

□ 우리 정부, 5월 26일 국가첨단전략기술로 '**오가노이드 재생치료제**' 지정

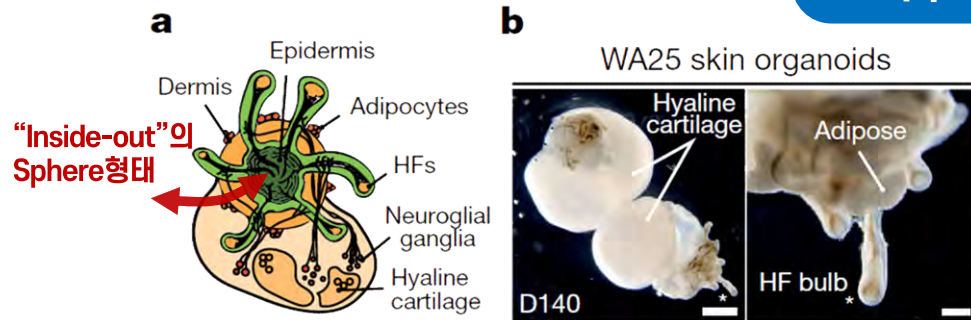
- 정부는 5월 26일 제 2차 「국가첨단전략산업위원회」에서 글로벌 기술패권 경쟁이 심화되는 가운데 국내 산업의 경쟁력 확보를 위해 첨단전략기술을 지정하였으며, 처음으로 바이오 분야 기술 2개가 신규 지정됨.

△바이오의약품을 개발하고 제조하는 데 적용되는 동물세포 배양·정제 기술(1만 리터 이상)

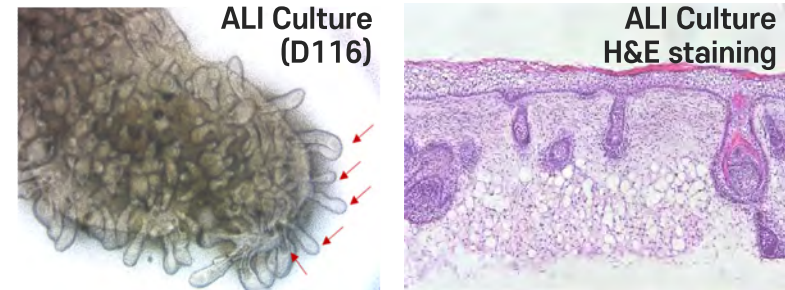
△고품질 오가노이드 재생치료제를 개발·제조하는 데 적용되는 **오가노이드 분화·배양 기술**

KSB's Skin Organoid 기술 소개

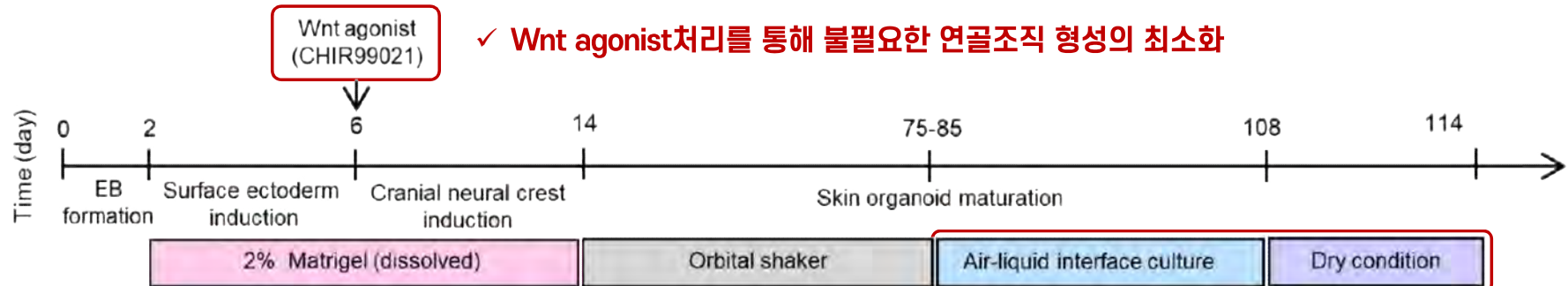
피부 오가노이드 기술



Dr. Koehler 논문의 피부오가노이드
(Koehler et al., Nature, 2020)



KSB의 피부오가노이드
(Jung et al., iScience, 2022)



✓ Wnt agonist처리를 통해 불필요한 연골조직 형성의 최소화

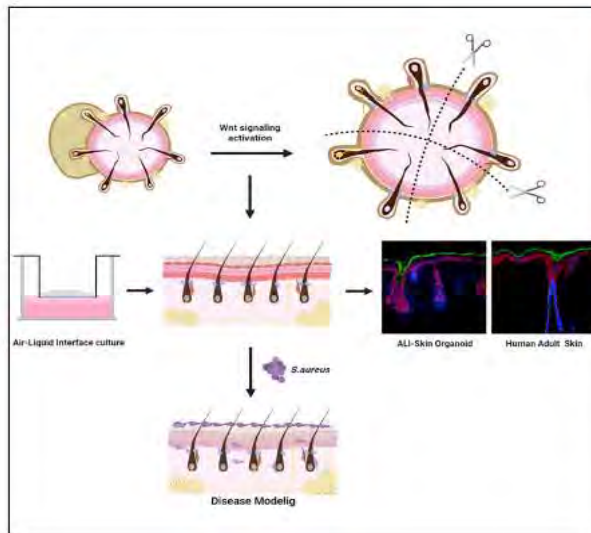
- ✓ 공기액체계면배양 → 정상 편평피부 구현
- ✓ 건조환경 배양 → 표피층의 성숙화 조건 확립

iScience

CellPress
OPEN ACCESS

Article

Wnt-activating human skin organoid model of atopic dermatitis induced by *Staphylococcus aureus* and its protective effects by *Cutibacterium acnes*



Song-yi Jung,
Hyun Ju You, Min-
Ji Kim, GwangPyo
Ko, Seunghee Lee,
Kyung-Sun Kang

kangpub@nu.ac.kr

Highlights
Wnt signaling activation
results in larger organoids
without off-target
cartilage

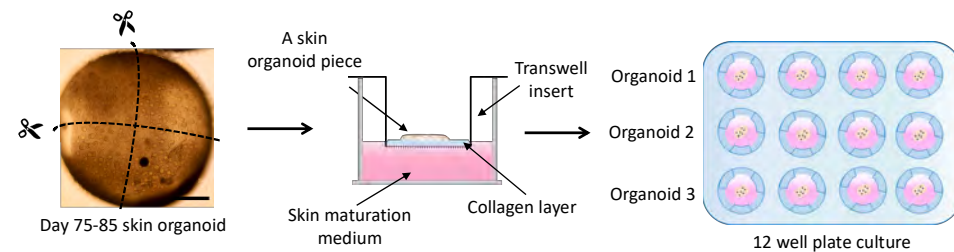
Air-liquid interface culture
is used to recapitulate
human skin tissue
structure

S. aureus infection
damaged the skin barrier
and elevated
inflammatory cytokines

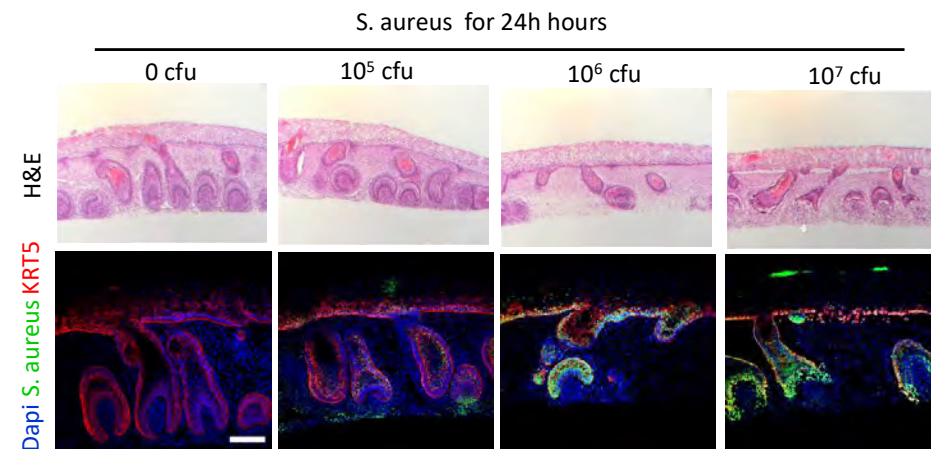
Pre-treatd *Cutibacterium*
acnes had a protective
effect on *Staphylococcus*
aureus-infected organoids

21 October 2022, published

✓ Wnt-agonist와 공기액체계면배양을 통해 기존 피부오가노이드의 한계 극복



✓ 피부 오가노이드를 이용하여, 아토피피부염 발병의 주요인자 *S. aureus*에 의한 피부장벽 손상 및 세포사멸/증식/기질단백질변화 등을 모델링



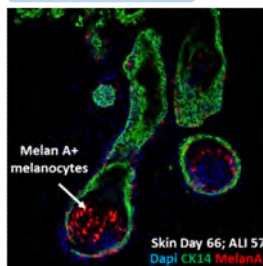
Chapter 3. 오가노이드 기술 사업화 계획 개요

단기 : 효능평가 플랫폼

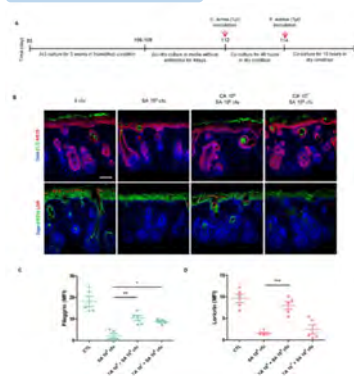
✓ Hair growth



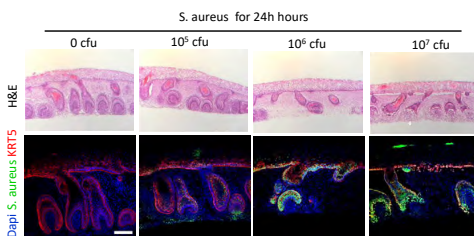
✓ Whitening



✓ MOA study

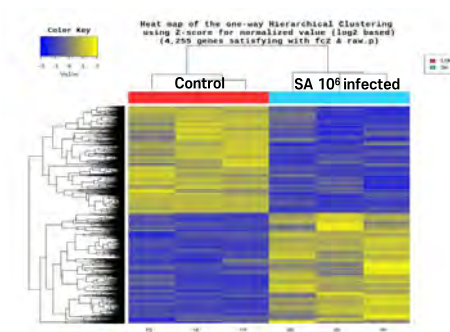


✓ 질환 모델링

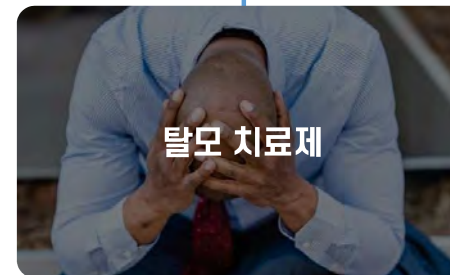
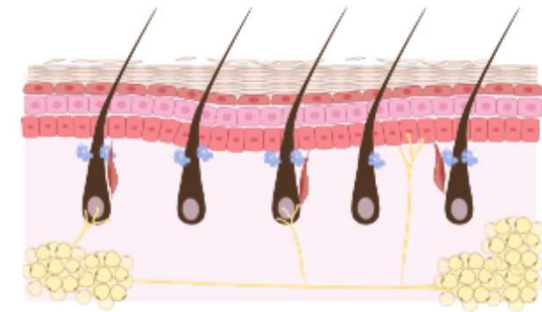


Jung et al., iScience, 2022 (IF 6.107)

✓ Omics 연구



중장기 : 탈모 / 피부 창상 치료제



탈모 치료제



피부 창상 치료제

시험법 설명

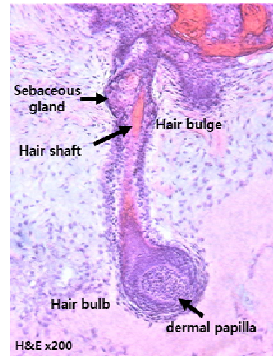
• 모낭성장 확인 시험

1) 육안평가

- 육안평가 이미지 확보
- Hair shaft 길이 정량화

2) H&E 염색

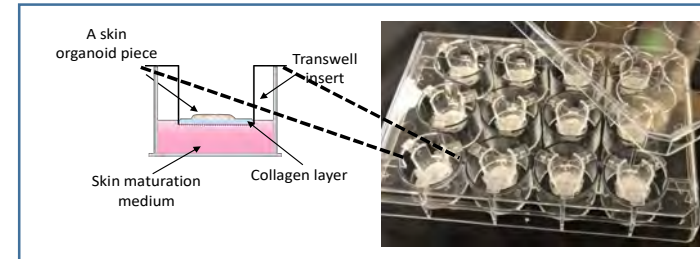
- 조직 이미지 확보
- 모낭의 조직학적 변화
- 모낭 직경의 정량화



3) 면역형광염색

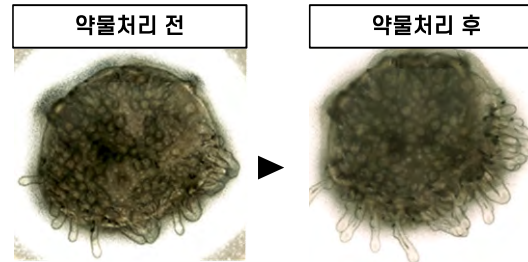
- Target 인자 대상 면역염색 (ex, Ki67 등 proliferation 촉진 확인)

평가예시

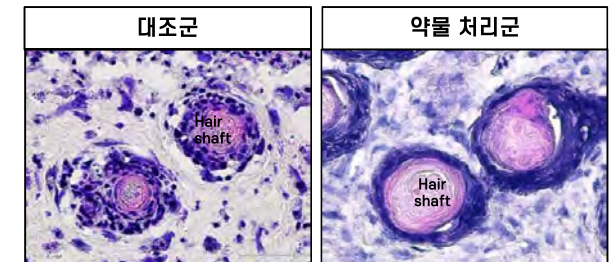


<피부오가노이드 배양 모식도>

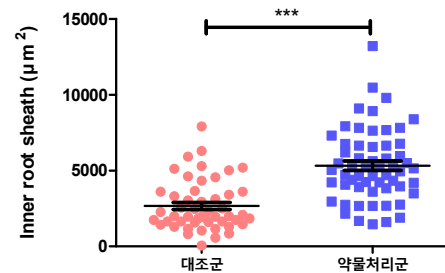
1) 육안평가 (이미지)



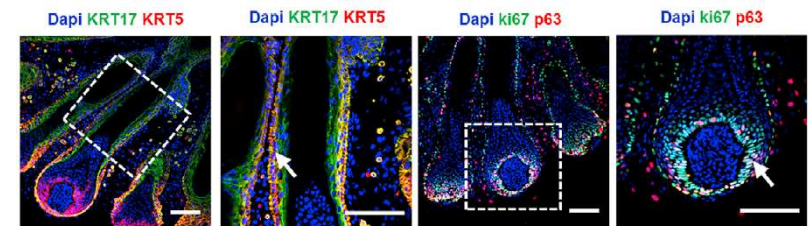
2) H&E 염색 (이미지)



3) H&E 염색 (모낭 직경의 정량화)



4) Target 인자 대상 면역염색



Strength 기존 한계점 극복한, 최첨단의 인체피부 효능평가법

기존 시험법

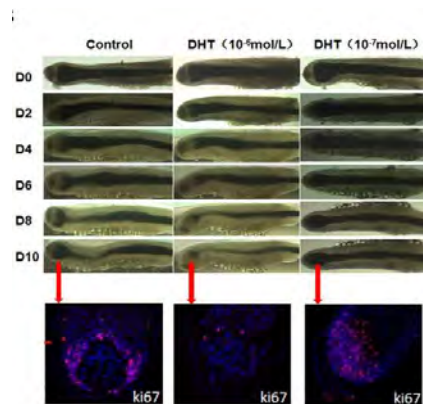
VS

KSB의 피부 오가노이드 기반 시험법



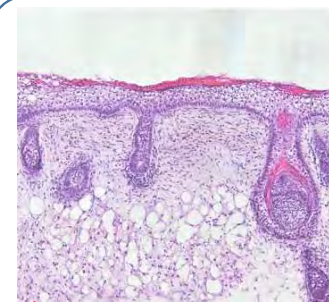
✓ 이종간 시험

- 질환모델 유발환경 다름
- 인체에서의 효능재현 확률 낮음



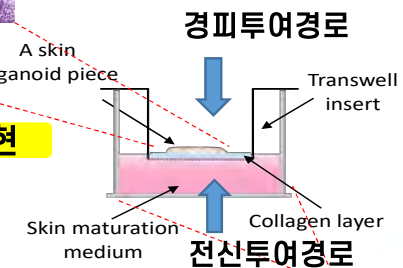
✓ 인체조직 체외배양시험

- 수급의 한계, 배양기간 한계
- 피부조직 내 주변환경과의 상호작용 재현 불가
- 투여경로에 따른 영향평가 불가



✓ 인체피부조직 환경 내 상호작용

✓ 투여경로구현



✓ High throughput Screening



탈모치료제 – Skin Organoid 유래 Hair Follicle 이식 치료법 개발

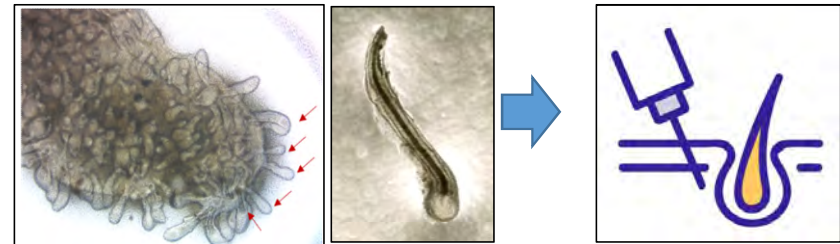
✓ **Strength** : 자가모낭 채취 불필요, 부작용 최소화, 편의성 극대화, 적용환자범위 확장

기존 (비절개)모발이식술



vs

KSB의 Skin Organoid 기반 모발이식술

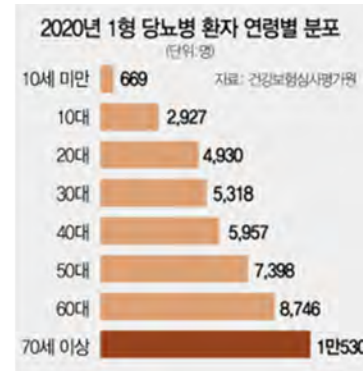
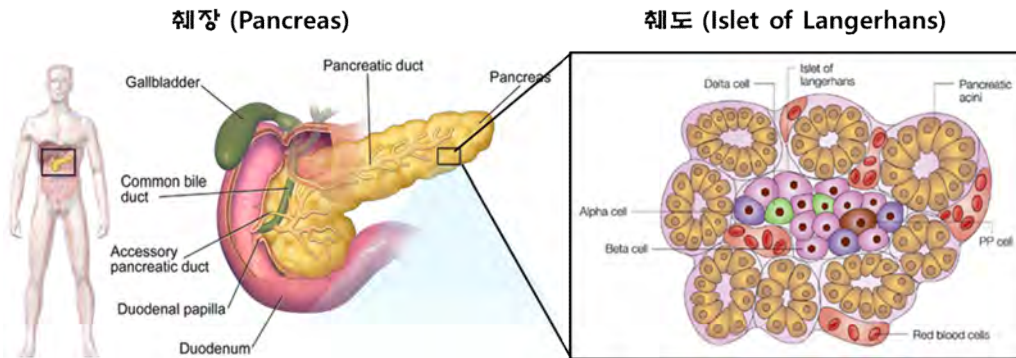


- 자가 모낭을 채취하여, 탈모부위에 이식
- 부작용
 - 모낭 채취부위/이식부위 : 모낭염, 모발탈락
 - 모낭 채취부위 : 흉터, 통증, 감각이상
- 편의성
 - 마취,추출,이식작업까지 약 6-8시간 소요
 - 채취 작업의 어려움
- 비용 : 이식량, 이식방법, 식발방식에 따라 300만원-1000만원 사이
- 적용이 어려운 환자
 - 두피 전체에 탈모가 광범위하게 나타나는 경우
 - 모발을 채취하기에 충분한 “기증자” 모발 부위가 없는 경우
 - 채취 부위 모발 밀도가 평균 이하인 경우

- 기성품의 모낭/줄기세포를 탈모부위에 이식
- 부작용 최소화
 - 안전성이 입증된 모낭/줄기세포 이식을 통해 감염, 염증반응에 따른 부작용 최소화
 - QC 제품 모낭줄기세포로 건강하고 오염되지 않는 lot 선별 사용
- 편의성
 - 채취작업 필요없이, 간단한 이식술로 의사/환자 편의성 증대
 - 이식 효율 부스팅을 위한 환자 맞춤형 이식Kit
- 비용 : 기존 비용 미만
- 적용이 어려운 환자
 - 채취가 불필요하기 때문에 이식에 필요한 모낭 수에 제한이 없음

Islet Organoid – 제 1형 당뇨병의 개요

✓ 췌장 세포 파괴로 인한 인슐린 의존성 당뇨병



❖ 제1형 당뇨병 치료제 시장 규모

- ✓ 주요 8개 국가(미국, 5-EU, 일본, 캐나다) 제1형 당뇨병 시장은 2019년 49억 달러에서 연평균 성장률(CAGR) 17.2%로 성장
- ✓ **2029년에는 240억 달러 예상**

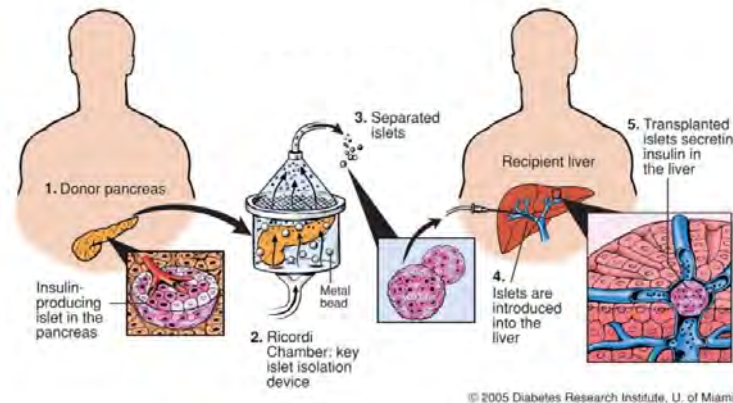
✓ 근본적 치료법의 필요성

인슐린 주사 치료법



- 1일 2~3회 주사
- 환자 스스로의 엄격한 관리
- 저혈당 유발
- 삶의 질 저하
- 근본적 치료법 아님

동종 췌장 이식 치료법



- 췌장 기증자의 부족
- 예측 불가능한 분리 획득률
- 낮은 이식률 및 생착률
- 고가의 치료비
- 지속적인 면역억제제 사용

제 1형 당뇨병의 경쟁기관 현황

	Vertex		CellTrans	강스템바이오텍
제품명	VX-880	VX-264	Lantidra (donislecel)	
구성 세포	<u>SC-beta cells</u>	<u>SC-beta cells</u>	<u>Human islet</u>	<u>Islet organoid</u>
기원 세포	유도만능줄기세포	유도만능줄기세포	체장에서 분리된 체도	유도만능줄기세포
이식 방법	<u>간문맥</u>	피하	간문맥 (400mL, 10cc islet)	<u>피하 (투여경로 안전성)</u>
면역억제제	<u>사용</u>	미사용 (면역차단 디바이스)	<u>사용</u>	<u>미사용 (면역차단 캡슐화 / HLA KO 세포주)</u>
임상시험 단계	임상 1&2a (2021)	임상 1&2a (2023)	FDA 승인 (2023)	비임상
효과	목표 용량 절반 이식 공복 c-peptide 수치 증가 당화혈색소 감소 인슐린 용량 감소	-	1년 이상 인슐린 투여 없음 (21명) 1-5년 동안 인슐린 투여 없음 (11명) 5년 이상 인슐린 투여 필요 없음 (10명) 인슐린 비의존성 실패 (5명)	<u>체도이식술과 유사수준 이상의 효 능 기대</u>
치료 금액	-	-	<u>30만 달러</u>	-
장점	줄기세포를 이용한 지속적인 생 산 가능	디바이스를 통한 이식 면역반응 차단	실제 체도 세포로 생리적 기능 우수	<u>인체 체도와 동일한 세포 구성 (α, β 세포 등)으로, 실제 체도 수준의 생 리적 기능 기대</u>
부작용	<u>구토, 설사, 어지러움증 (면역 억제제 부작용)</u>		<u>구토, 설사, 어지러움증 (면역억제제 부작 용)</u>	- (면역억제제 미사용)
한계점	<u>지속적인 면역억제제 복용 유도만능줄기세포의 안전성 베타세포 만으로 구성</u>	<u>디바이스의 성능에 치료 효력 좌우 (혈관분포 및 인슐린)</u>	<u>평생 면역억제제 복용 체도 이식 자체가 2015년까지 1000명 (북미, 유럽, 호주) 세포 치료제가 아닌 장기 이식 개념 체도 세포 기증자 한계 체도 세포 분리 QC 낮음</u>	

Chapter 3. 오가노이드 기술 향후 계획

오가노이드 기술 사업화 계획

	2023	2024	2025	2026	2027
 효능평가 플랫폼	유효성 평가 서비스 시범 개시	유효성 평가 서비스 본격 상용화			
	✓ 모낭/모발 효능평가	✓ 주름개선, 항노화, 미백	유효 물질 평가 플랫폼 확장 구축		
 탈모 치료제 제1형 당뇨병 치료제 개발	비임상 효력				
	✓ 논문투고 ✓ 특허출원	GMP 공정개발 및 GMP 제조		← L/O package 구성 →	
			GLP비임상 안전성평가		
					IND 승인 및 임상1상

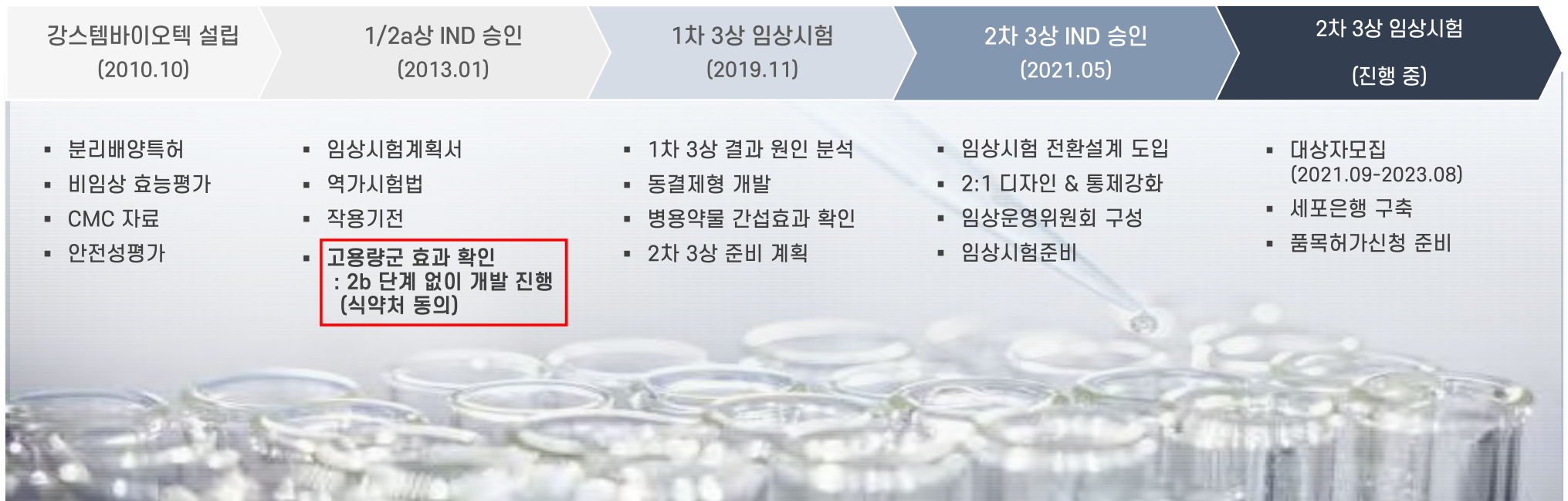


INVESTOR RELATIONS 2023

Chapter 4.

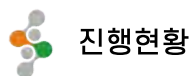
Furestem-AD inj.

강스템바이오텍의 아토피 치료제 개발과정



아토피 3상 임상시험의 진행현황

2024년 초 임상 3상 완료 목표



진행현황

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	

3상 임상시험의 변화

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

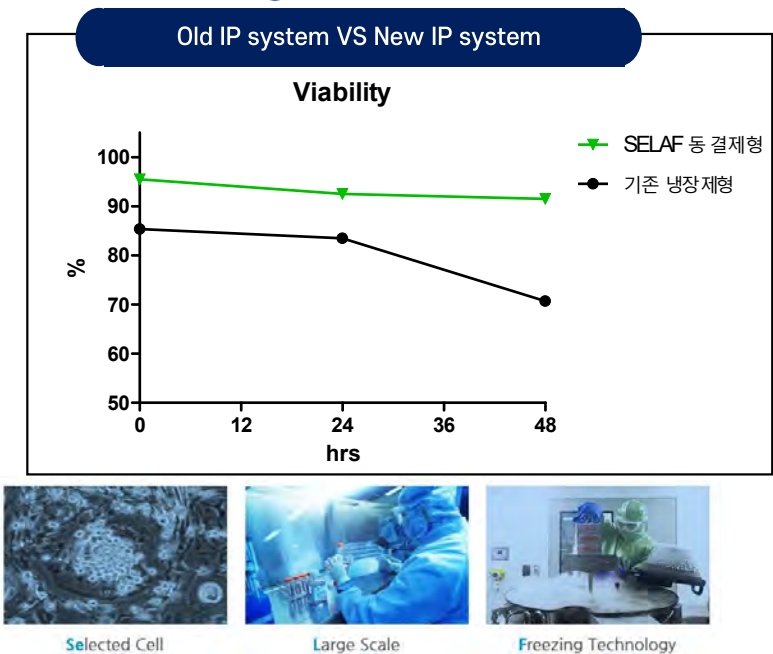


획기적으로 개선된 임상시험의약품 'SELAF SYSTEM'

IP 시스템 비교

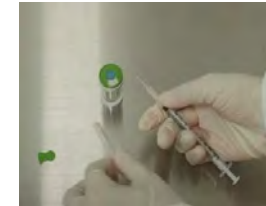
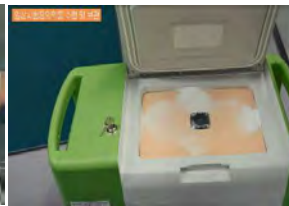
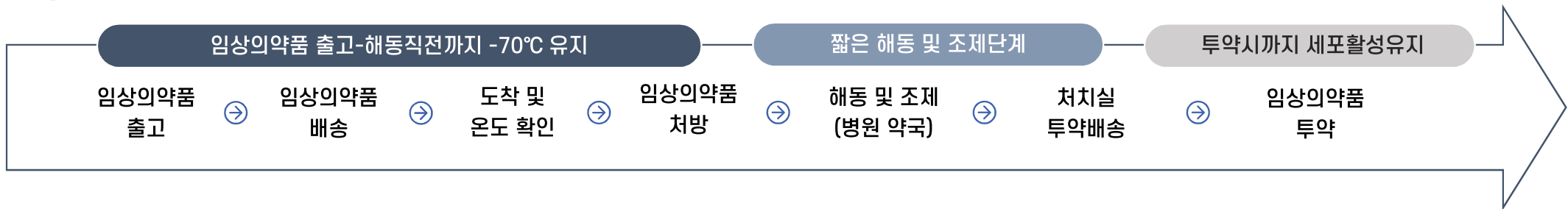
항목	이전 IP 시스템 (냉장 보관)	현재 IP 시스템 (극저온 보관)	기대효과
유효기간	출고 후 48 시간	질소탱크(LNT) 하에서 36 개월 (-130℃) 이상	장기간 보관 가능에 따라 사업성 이 크게 확장
IP 공급방식	투여계획 전일 생산 및 출고	냉동조건(-70C)으로 IP를 공급 & 투여직전 해동 후 투약	임상수행에 유연성확보
해외임상 IP 공급	IP 공급을 위해서는 해외 제조소 필 요 - 고비용 및 관리의 어려움	단순한 공급관리(보관 및 공급을 위한 창고) - 저비용 및 상대적 고 효율성	해외임상 비용의 절감 및 효율적 IP 관리 도모
세포활성	출고 후 투약 시세포활성이 시간에 비례하여 급속하게 떨어짐	거리에 관계없이 해동 후 투여를 통해 최적의 세포활성의 유지가 능	임상시험 및 상업화에 유리한 환 경구축
세포은행	세포은행의 미구축	MCB 구축에 따라 최대 300만 바이알 생산가능	우수한 세포활용에 따른 효과증진 및 원가절감/상업화

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



임상시험용의약품의 공급 - 온도관리 & 세포활성 최적유지

임상시험용의약품 공급 단계



Purple Vie
해동시 물이 필요 없는
전용해동기 공동개발

예상 임상시험결과

- ✓ 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

*: 2023. 09 현재



MTN 뉴스

증권

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

아토피피부염 줄기세포 치료제 세계 최초 장기추적 결과 발표

문정우 기자

입력 2022-08-24 09:07:36

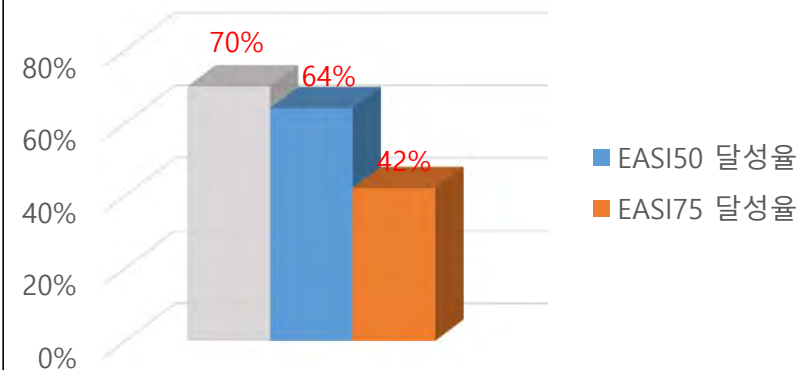


▲2019년 1차 3상 결과

INVESTOR RELATIONS 2023

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

12개월 시점 EASI 달성율



64% ~70% 달성 기대
(전 임상 대비 +6~12%)

3상 임상시험 후 L/O 전략

- ✓ 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)

5개 피부과전문 제약사와 논의중

미국의 V사,
유럽의 A사,
일본의 M & K사
중동의 H사

2025년 내 '퓨어스텝-에이디주' 품목 승인 예정





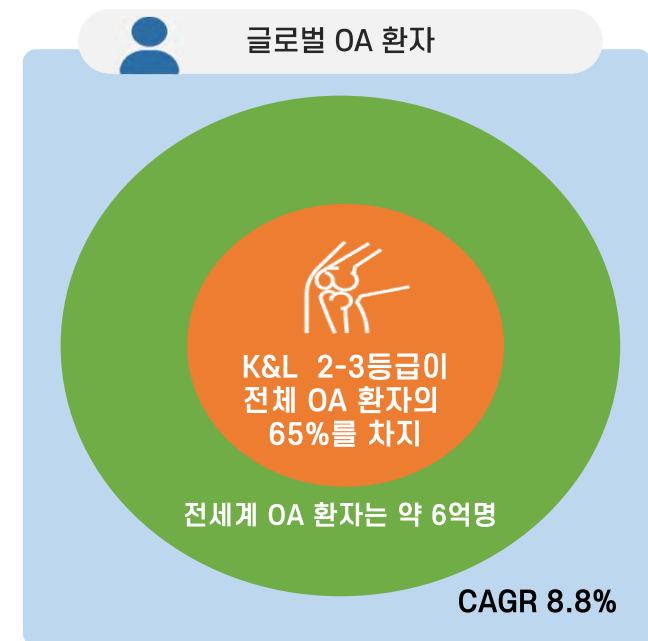
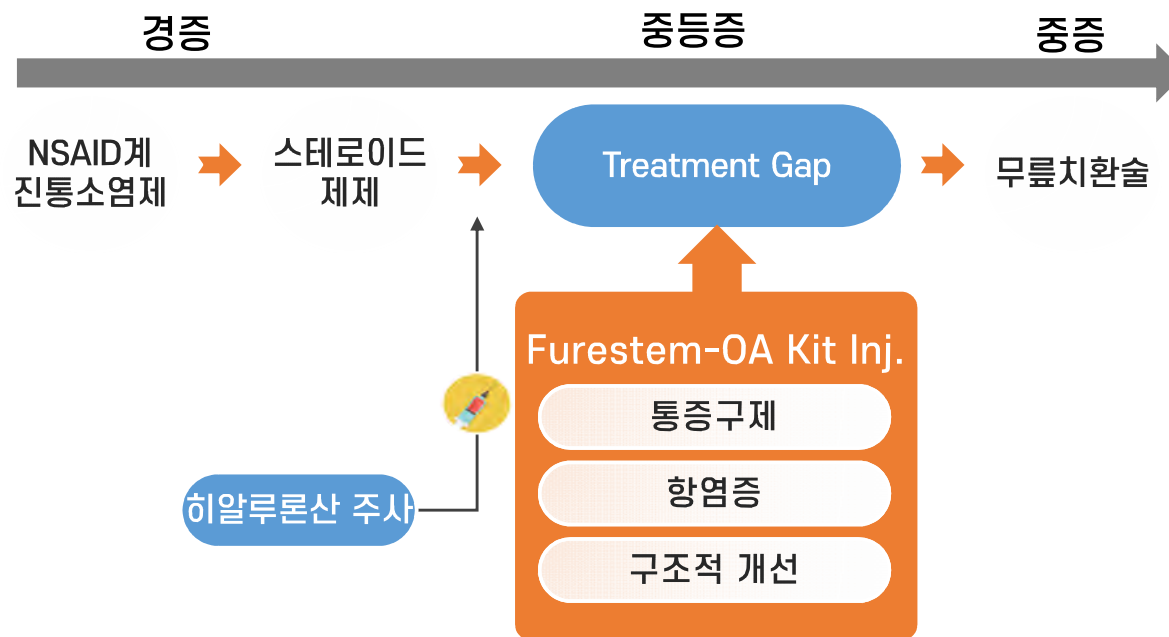
INVESTOR RELATIONS 2023

Chapter 5.

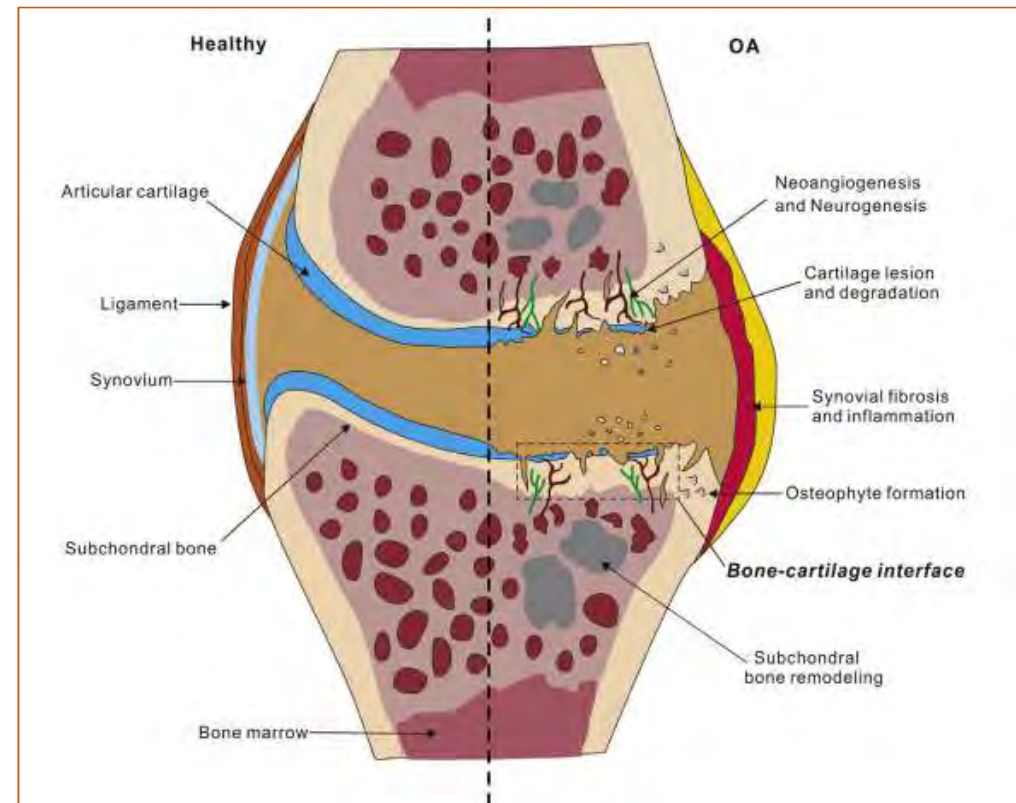
Furestem-0A inj.

왜 무릎 골관절염인가?

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



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

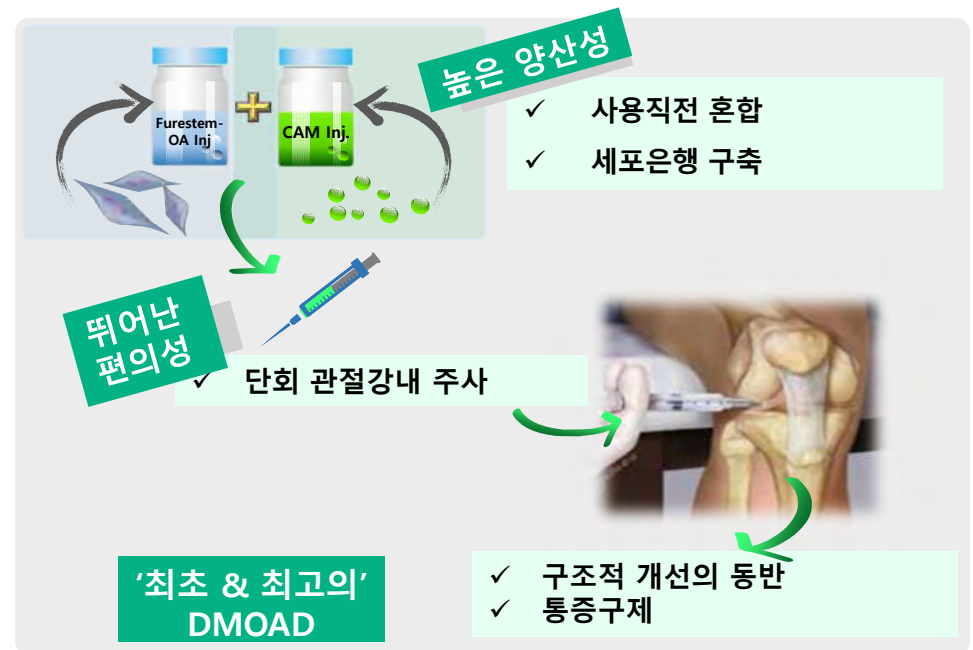


Furestem-OA Inj.
동종 제대혈유래
중간엽줄기세포

Solution 2



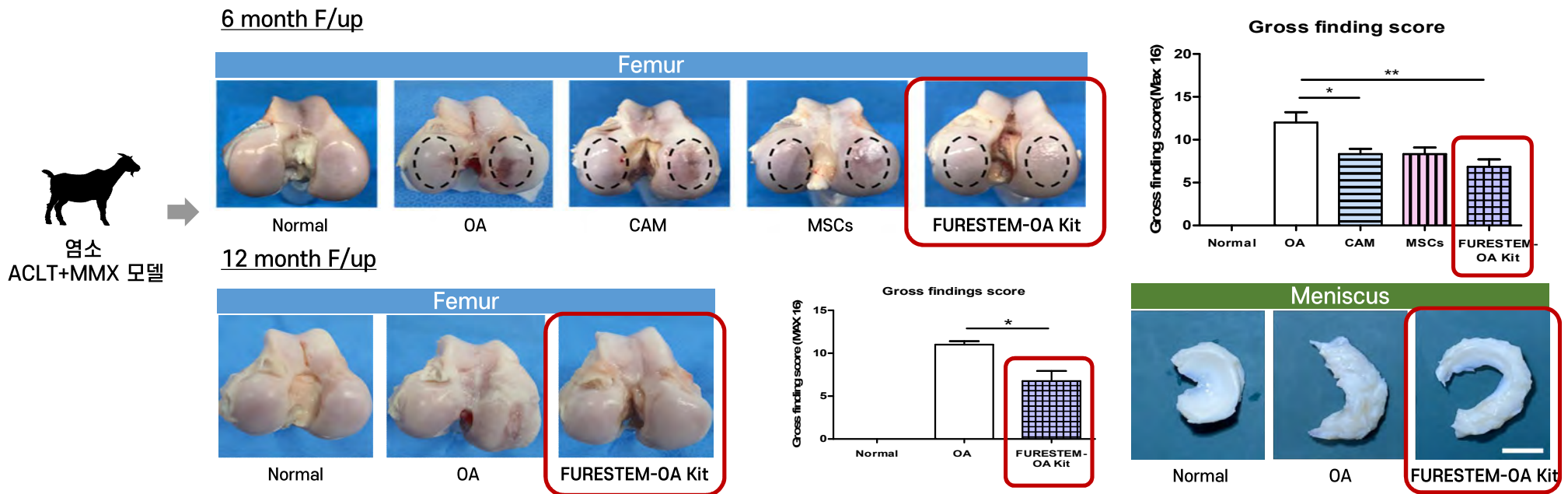
CAM Inj.
세포를 제거한
연골 세포외기질



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



1상 임상시험의 목표

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

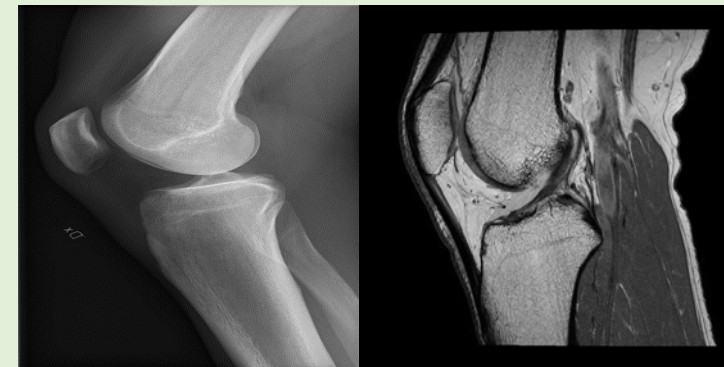
- DLT/MTD 확인
- 6개월 안전성 – 영상의학데이터 판독 포함

[X-ray]

[MRI]

✓ 유효성 탐색 – 대동물 비임상 결과 재현

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



1상 임상시험 진행현황

✓ 코호트 1 대상자 투약완료 (N=3)

- 투약 1개월 안전성 평가 시 무독성 확인
- 3명의 대상자 모두 양호한 증상개선 (통증 및 관절기능)
- 6개월 MRI 평가결과 – 2024. 02

✓ 코호트 2 대상자 투약준비 완료 (N=3)

- 2명 대상자 10월 16일주 투약완료
- 11월초까지 3명 투약완료 예정
- 6개월 MRI 평가결과 – 2024. 03

✓ 코호트 3 대상자 (N=6)

- 12월초까지 6명 투약완료 목표
- 6개월 MRI 평가결과 – 2024. 06

- 신속한 대상자 모집과 철저한 환자관리 – 충분한 대상자 확보
- Biomarker 분석결과와 MoA 연구결과를 연계해서 해석
- FDA 요건을 준수하여 영상의학평가 수행을 진행 – 장비선정 및 데이터 전송, 판독, 평가 및 보관
- 2a 임상 및 장기추적조사와 연계하여 관리
- FDA 단계에서 중복 임상면제 목표

2024년 조기 L/O 가능성

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

총 6개사 논의중

Big Pharma 4개사 (ABBN)
일본 1개사 (K)
중동 1개사 (H)



INVESTOR RELATIONS 2023

Chapter 6.

Furestem-RA inj.

퓨어스템 알에이 주 2b IND 승인

The Yakup
약업신문

[약업닷컴 분석] 9월 바이오 3상 6건 승인... '언맷 메디컬 니즈' 정조준

총 17건 IND 승인, 58.8% 항암제 및 희귀유전질환 타깃

권혁진 기자 | hjkwon@yakup.com

입력 2023.10.05 06:00 수정 2023.10.05 06:01



식품의약품안전처는 9월 바이오의약품 IND를 총 17건 승인했다. 이 중 국내 기업은 아엔셀, 에스티큐브, 강스-템바이오텍 3개사다. 사진은 혈액 검체통. ©픽사베이

강스템바이오텍, 류마티스 관절염 치료제 임상 2b상 IND 승인



김지영 기자 입력 2023.10.04 10:12

류마티스 관절염 근본적 치료 목표

[아이뉴스24 김지영 기자] 강스템바이오텍은 지난 27일 임상시험계획(IND) 변경승인에 따라 류마티스 관절염 줄기세포 치료제 '퓨어스템-알에이주'의 임상 2b상을 위한 임상시험계획을 식품의약품안전처로부터 승인받았다고 4일 밝혔다.

- 2a 임상결과를 통해 안전성 및 탐색적 유효성을 확인
- 2b 임상디자인과 목적이 잘 준비되어 있는 계획서
- 새로운 임상시험용의약품(SELAF 시스템)의 적용을 위한 제조품질 & 동등성 자료가 잘 확보되었음