



MEDPACTO

Genome-based innovative drug discovery company

Investor Event

January 17th, 2024

Disclaimer

본 자료의 재무정보는 K-IFRS(한국채택국제회계기준)에 따라 작성되었습니다.

본 자료는 객관적 기준 등을 참고하여 작성하였으나 일부는 예상, 전망 또는 주관적 판단에 의한 표현이 포함되어 있을 수 있고, 향후 환경의 변화, 상이한 데이터집계 기준 등에 의하여 본 자료와 일치하지 않은 다른 숫자와 해석이 도출 될 수도 있음을 양지하시기 바랍니다.

따라서 본 자료에 포함되어 있는 서술정보만 믿고 이 정보에만 의존한 투자결정을 내리지 말아야 하며, 투자책임은 전적으로 투자자 자신에게 있음을 밝혀드립니다.

아울러 본 자료에 변경내용이 발생하였을 경우 이를 의무적으로 업데이트하여 추가적으로 제공해야 할 의무가 있지 않음을 알려드립니다.

Agenda

- 
- 01** Key Takeaways
 - 02** Pipeline & Programs
 - 03** Vactosertib
 - 04** MP2021
 - 05** Clinical Advisory Board



MED·PACTO

종양학 분야의 혁신 신약 개발 회사



- MSS형 대장암 대상 Best-in-class 데이터 보유 (mOS 17.35, ORR 18.75%, 300mg BID 기준)
- 표준 치료 요법 대비 7개월 가까운 치료 효과 입증, 2b/3상 개시 예정

- 종양미세환경 분야의 세계적인 석학, 김성진 대표이사의 차별적 연구 역량 기반 글로벌 혁신 신약 개발
- 아스트라제네카(Astra Zeneca), 머크(MSD) 등 글로벌 제약사들과의 파트너십을 통해 풍부한 임상개발 역량 확보
- 글로벌 스탠다드를 충족하는 R&D 및 임상 전문 시스템 구축

- First-in-class 신규 파이프라인 확장 및 임상 개발 가속화
- 신규 First-in-class 파이프라인들의 기술이전 적극 추구

✓ 자금에 관한 사항

➤ 2023년 12월 유상증자 성공적 마무리, 742억 자금 확보

자금에 대한 리스크 해소, '24년 하반기 개시 예정인 대장암 임상 2b/3상, 신규 파이프라인의 임상 및 기술이전 등 사업화 가속화

✓ MSS형 대장암
(Vactosertib +
Keytruda)

➤ 2024년 1월 글로벌 Phase 2b/3상 IND 승인, MSS형 대장암 분야의 Market Leader로서의 도약 목표

➤ MSS형 대장암 분야의 Best-in-class 데이터 입증

| Overview of Efficacy (RECIST) | 300mg BID (N=32) | Overall (N=105) |
|-------------------------------|------------------|-----------------|
| ORR | 18.8% | 13.3% |
| mOS | 17.4 | 15.8 |

ESMO 2023 발표를 통해 현재 표준 치료 요법인 Regorafenib (mOS 6.4), Lonsurf (mOS 7.1), 최근 승인 받은 Trifluridine/tipiracil + bevacizumab (mOS 10.8) 대비 7개월 가까이 연장

✓ 골육종
(Vactosertib
monotherapy)

➤ 치료제가 없는 골육종대상 미국식품의약국, 유럽 의약품청의 프로그램 지정

FDA의 희귀약품, 소아희귀질환지정, 신속심사 승인 지정에 이어 유럽의 희귀약품(OMPD) 지정 완료.

➤ 2023년 5월 초 미국 내 첫 환자 투약 완료 및 임상 본격 개시 완료, 빠른 시장 진입을 위한 프로그램 지정 목표

✓ 신규 파이프라인

➤ MP 2021; 국가신약개발재단(KDDF) 과제 선정,

특허 출원 완료 후 학회 발표 적극 참여 중.. GLP-Tox 데이터 확보 및 2024년 임상 진입을 목표로 GLP-Tox 데이터 수집 진행 중.

➤ 신규 물질들의 사업 및 개발 방향에 대한 시장 소통 강화 및 기술이전 적극 추진.

차별화된 First-in-class 파이프라인으로 글로벌 신약 개발 추진

| Product | Type | Indication | Pre-clinical | IND-enabling Studies | Phase1 | Phase2 | Phase3 | Collaborators | |
|-------------------------|----------------|----------------------|------------------------------------|----------------------|--------|---|---|---|---|
| Clinical-stage Programs | Small Molecule | Colorectal Cancer | Vactosertib + Keytruda (anti-PD-1) | | |  | |  | |
| | | Colorectal Cancer | Vactosertib + Keytruda (anti-PD-1) | | | |  |  | |
| | | Osteo-sarcoma | Vactosertib Monotherapy | | |  |  | | |
| | | NSCLC 1L | Vactosertib + Keytruda (anti-PD-1) | | | |  | |  |
| | | NSCLC 2L | Vactosertib + Imfinzi (anti-PD-L1) | | | |  | | AstraZeneca  |
| | | Bladder Cancer | Vactosertib + Imfinzi (anti-PD-L1) | | | |  | | AstraZeneca  |
| Pre-clinical Programs | Biologics | Rheumatoid Arthritis | MP2021 | | | | | | |
| | | Cancer | IND-Enabling | | | | | | |
| | | Cancer | IND-Enabling | | | | | | |

글로벌 시장 내 가장 앞 서있는 저분자화합물 TGF- β 신호전달 억제제

종양 미세 환경을 조절하여 병용하는 항암 치료제의 효과 상승

- Vactosertib은 암세포에서 다량으로 분비되어 암의 전이와 성장을 촉진하는 TGF- β 를 억제함으로써 종양 미세 환경을 조절
- 'Cold tumor'를 'Hot tumor'로 전환시키는 중요한 역할을 하며, 병용 투여하는 항암 치료제의 효과를 크게 상승시킴

MSS형 대장암 분야의 Best-in-class 데이터 입증

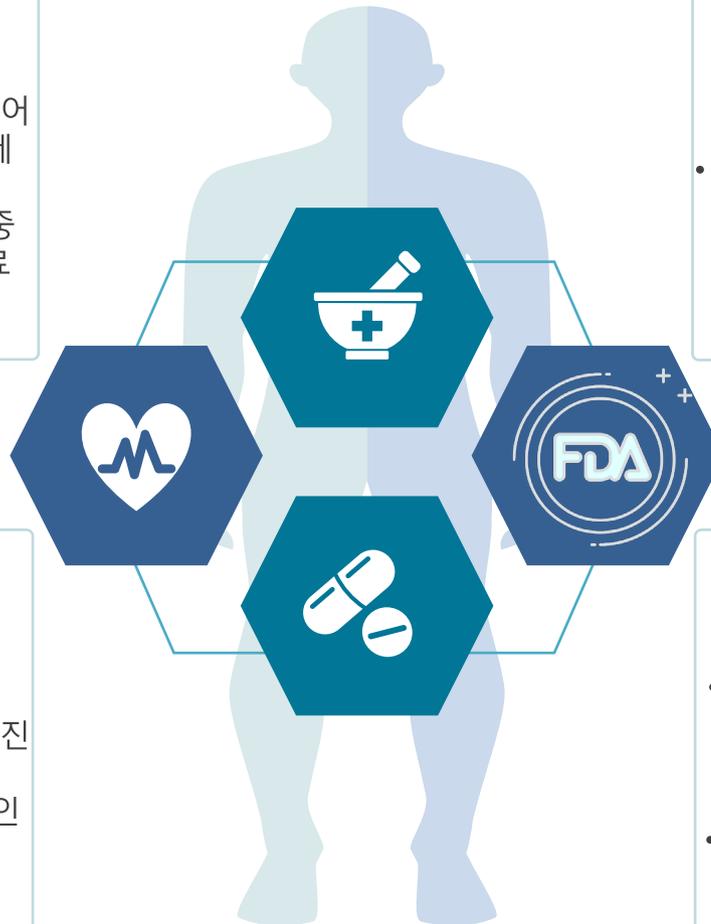
- Vactosertib과 Keytruda 병용 요법, MSS 대장암에서 글로벌 경쟁사 및 표준치료 요법 대비 우수한 치료 효과 입증

글로벌 시장에서 주목받는 TGF- β 신호전달 저해제

- 독성이 낮고 우수한 효능을 가진 백토서팁, 글로벌 제약사의 면역 항암제와 병용 임상 진행
- 다양한 항암제와의 병용 투여 결과 획기적인 치료 효과 입증. 다양한 암종으로의 잠재적 기술이전 가치 상승

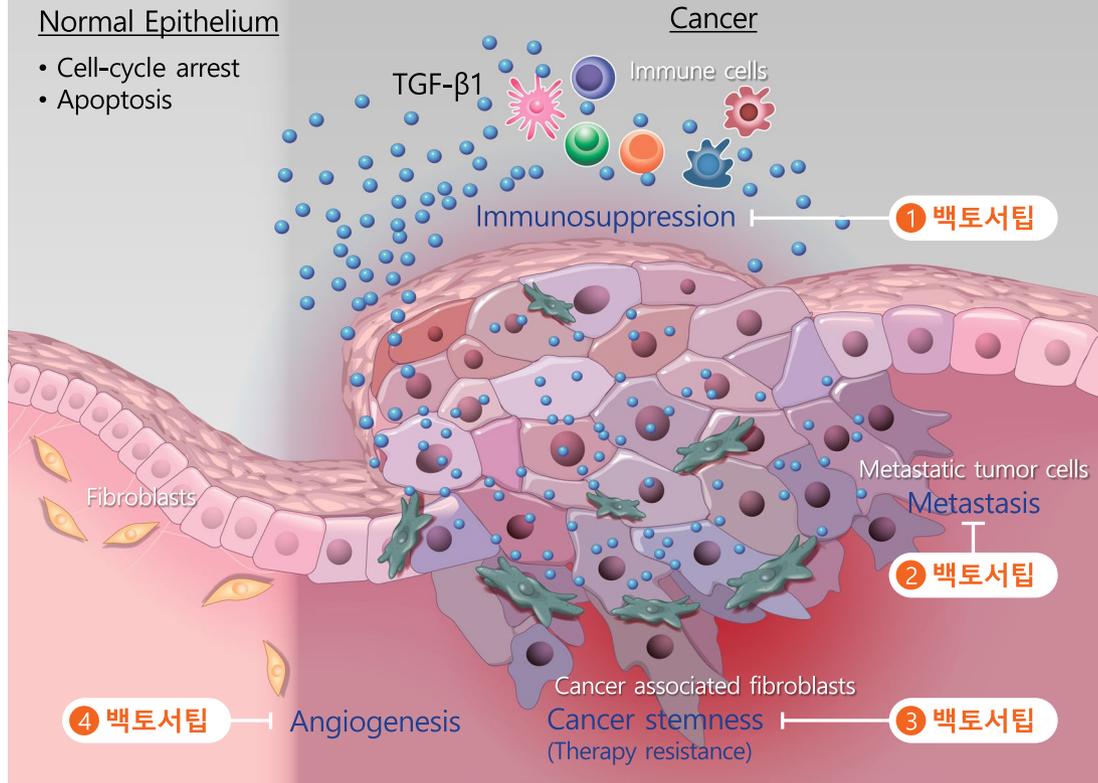
미국의 식품 의약처 및 유럽 의약품청의 다양한 신약 개발 프로그램 지정

- 치료제가 없는 골육종 대상, FDA로부터 희귀의약품 (ODD), 희귀소아질환 (RPDD), 신속심사 (FTD) 지정, 유럽 EMA로부터 희귀의약품(EMPD) 지정
- 개발을 촉진하여 의학적 요구를 해결하고, 소아 종양학의 혁신적 신약이 될 수 있는 잠재력 보유



TGF-β1은 종양 미세환경을 조절하여 암의 전이나 성장을 촉진

TGF-β1은 암세포에서 다량으로 분비되어 면역억제를 억제하고, 암세포의 전이를 촉진시키며, 항암제 내성의 주요 원인



TGF-β의 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



면역 세포 침투 불능, 항암제 비반응
항암제 내성 발생

암의 성장억제

대장암 환자 및 발병률 증가로 혁신적이고 효과적인 치료법에 대한 의학적 수요 증가

대장암 관련 통계



대장암 : 암 사망자수 2위

200만명

전세계 대장암 사망자수

약 100만명

Ref. WHO Report
(Colorectal Cancer, 2023.07.11)

**5-year
Relative Survival
rate** for cases that have
spread to distant organs

13.0%

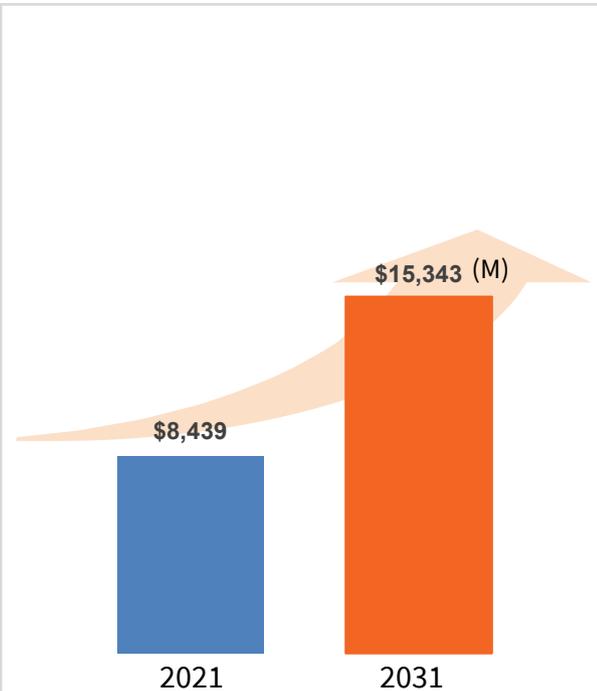
2012 ~ 2018

Ref. American Cancer Society 2021

새로운 치료법에 대한 의학적 수요 증가

- 대장암은 전 세계적으로 높은 암 사망률의 주요 원인.
- 대장암 환자의 삶의 질을 향상 시키고, 치료 효과를 높일 수 있는 획기적이고 새로운 치료법에 대한 필요성이 지속적으로 증가

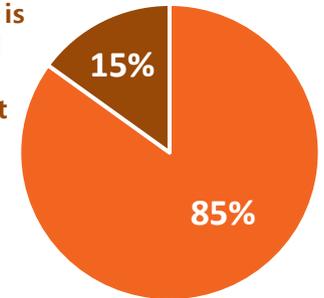
대장암 시장 증가율



Ref. Data monitor

유형별 대장암 시장

MSI-H type
Keytruda is approved as 1st-line treatment



Non-MSI-H type (80~95%)

- 전체 대장암 시장의 85%를 차지하는 Non-MSI-H형 대장암은 면역 항암제 불응.
- 면역 항암제 병용 요법으로서 85%를 차지하는 대장암 시장을 지배할 수 있는 가능성 보유.

3. Vactosertib_ 대장암(MSS형) 임상 결과 비교_효능 데이터

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

MSS-CRC Phase 1b/2a Clinical Trial 중간 결과

대장암 표준치료 요법 대비 MP-VAC-204 비교

| Outcomes | Phase2 Vactosertib for CRC (Vactosertib+Keytruda) | | Regorafenib mono | Lonsurf mono | Avastin + Lonsurf |
|----------|---|-------------------------------------|---------------------|-----------------|----------------------|
| mOS | 15.8 months (Overall) | 17.4 months (300 BID) | 6.4 months | 7.1 months | 10.8 months |
| ORR | 13.3% (14/105) (Overall) | 18.8% (6/32) (300 BID) | 1% (5/505) | 1.6% (9/534) | 6.1% (15/246) |

대장암(MSS형) 임상 진행 또는 완료

| Atezolizumab + cobimetinib | Pembrolizumab mono | Regorafenib + Avelumab | Pembrolizumab + Lenvatinib | Regorafenib + Nivolumab |
|-------------------------------|-----------------------|---------------------------|-------------------------------|----------------------------|
| 8.9 months | 5.0 months | 10.8 months | 7.5 months | 11.9 months |
| 2.7% (5/183) | 0.0% (0/18) | 0% (0/43) | 22% (7/32) | 7.1% (5/70) |

- **US FDA IND approved** for Phase 2b/3 (pivotal trial)
- Target Patients: 3rd-line treatment for Recurrent, Refractory or Progressive Non-MSI-H colorectal cancer
- Multicenter (US, KR), Randomized design

Reference : 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 : Le et al. New Eng J MED(2015)

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

3. Vactosertib_ 대장암(MSS형) 임상 결과 비교_안전성 데이터

전이성 대장암 임상 중간 결과, 저용량 및 고용량 군에서 백토서팁의 안전성 입증

Summary of Treatment Emergent Adverse Events

| Summary of Treatment Emergent Adverse Events | Overall, (N=105) n(%), [E] | 200mg QD, (N=30) n(%), [E] | 200mg BID, (N=36) n(%), [E] | 200mg TID, (N=7) n(%), [E] | 300mg BID, (N=32) n(%), [E] |
|--|-------------------------------|-------------------------------|--------------------------------|-------------------------------|--------------------------------|
| TEAE | 90 (85.71), [691] | 23 (76.67), [97] | 31 (86.11), [272] | 7 (100.00), [57] | 29(90.63), [265] |
| TEAESI | 2 (1.90), [2] | 2 (6.67), [2] | | | |
| Immune-related TEAE | 26 (24.76), [95] | 8 (26.67), [16] | 6 (16.67), [22] | 1 (14.29), [1] | 11 (34.38), [56] |
| Grade 3-5 TEAE | 33 (31.43), [74] | 10 (33.33), [13] | 7 (19.44), [29] | 4 (57.14), [9] | 12 (37.50), [23] |
| TEAE related to Dermatology | 51 (48.57), [125] | 13 (43.33), [28] | 17 (47.22), [28] | 3 (42.86), [11] | 18 (56.25), [58] |
| TEAE related to Adrenal Insufficiency | 2 (1.90), [2] | | 1 (2.78), [1] | | 1 (3.13), [1] |
| Serious TEAE | 20 (19.05), [27] | 6 (20.00), [6] | 6 (16.67), [10] | 1 (14.29), [1] | 7 (21.88), [10] |
| Serious TEAE related to Vactosertib | 9 (8.57), [11] | 1 (3.33), [1] | 2 (5.56), [2] | | 6 (18.75), [8] |
| Discontinue due to TEAE | 9 (8.57), [10] | 3 (10.00), [3] | 3 (8.33), [3] | | 3 (9.38), [4] |

[†]Abbreviations: TEAE, treatment-emergent adverse event; n, No of subjects with adverse event; E, No of adverse event

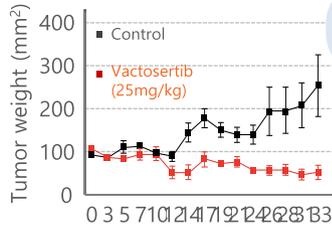
* Empty box means "0"

- 105명의 환자에게서 가장 빈번하게 나타난 치료응급부작용(TEAE)은 발진, 두통 및 식욕 감소.
- 모든 환자군(Cohort)에서 예측하지 못하거나 관리가 어려운 심각한 치료응급부작용(TEAE)은 관찰되지 않음

다수의 임상을 통해 백토서팁의 확장성과 병용 효과 입증 다양한 암종에서의 기술이전 가치 극대화

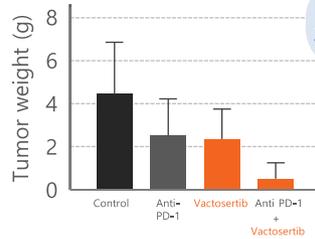
위암 대상 전임상 결과

위암 세포 이용한 단독투여 동물실험 결과



암 성장 억제 확인

위암 세포 이용한 항-PD1 항체와의 병용투여 결과

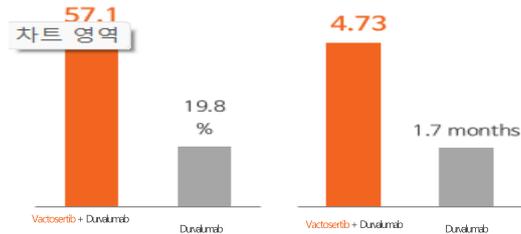


병용 투여 효과 확인

비소세포폐암 병용투여 임상(2a상 중간결과)

반응률 (ORR)

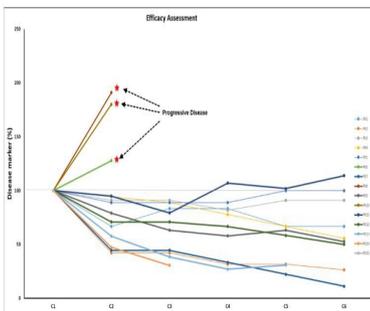
무진행생존율 (PFS)



Source: AstraZeneca DCR, ORR data, Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
Note: A study directly comparing the combination therapy vs. Imfinzi was not conducted.

다발성골수종: 병용투여 임상 1b상 결과 무진행 생존율 80%

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

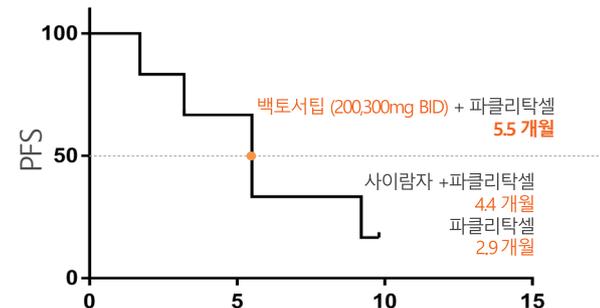


| 임상결과 | Vactosertib combo | ELOT +Pd | DARA +Pd | POM+ DEXA(Pd) | POM |
|-------------------|-------------------|----------|----------|---------------|-----|
| 6개월 무진행 생존율 (PFS) | 80% | 62% | 58% | 40% | 20% |

Note: Daratumumab historical data source: Chari et al. (2017) Blood. 130:974

위암 병용투여 임상 (1b상 진행 결과)

무진행생존율 (PFS)



Source : ' MedPacto ESMO 2020 Poster, 'Lancet Oncol. 2014 Oct;15(11):1224-35.
Note : A study directly comparing the combination therapy vs. Cyramza was not conducted. Results from phase 1b stage

수십년간 표준 치료 요법에 진척이 없는 골육종에서 새로운 혁신 신약 기대

치명적 소아 희귀 질환



매년 미국 내 발병 환자 수

~ **1,000**

절반에 가까운 **400**명
어린 아이들과 십대 청소년



재발에 대한 예후가
좋지 않으며
재발 후 장기 생존율

<20%

표준 치료요법 >50년간 동일



1970 ~

반세기 동안 동일한 약
물 조합의 치료법
(MAPIE)

* MAPIE: 콕테일 화학 요법 치료



골육종 재발 환자에 대
해
승인 받은
**2차 표준 치료 요법은
無**

미국 내 동정적 사용 및 미국과 국내 임상 1b/2a상 진행 중



- 뇌 및 폐까지의 전이를 동반한 재발성 골육종 환자
- 16개월간 백토서팁 단독 투여
- 호스피스 치료에서 학교로 복귀해, 현재까지 ('23년 11월) 전이 없는(free of metastasis) 상태 유지



3. Vactosertib_골육종(단독요법)

소아 희귀질환의 혁신 신약으로서 백토서팁의 가능성 입증, 개발을 촉진해 의학적 수요 충족 목표

Orphan Drug Designation (2021.08)

Rare Pediatric Drug Designation (2022.09)

Fast Track Designation (2023.01)

Orphan Medicinal Product Designation (2023.07)

Initiate Clinical Trials in US/KR

Study to Assess Safety and Efficacy of Vactosertib in Adolescents and Adults With Recurrent, Refractory or Progressive Osteosarcoma

[NCT 05588648] / Phase 1/2 / Estimated Enrollment: 48, FPI : April

| | Orphan Drug Designation; ODD | Rare Pediatric Designation; R PDD |
|----------|--|---|
| Benefits | <ul style="list-style-type: none"> Exemption from user fees Reduced fees for regulatory activities Tax credits for qualified clinical trials Potential seven years of marketing exclusivity after approval | <ul style="list-style-type: none"> 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) |
| | Fast Track Designation ; FTD | Breakthrough Therapy Designation ; BTD |
| Benefits | <ul style="list-style-type: none"> 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 | <ul style="list-style-type: none"> All Fast Track designation features Intensive guidance on an efficient drug development program, beginning as early as Phase 1 Organizational commitment involving senior managers |

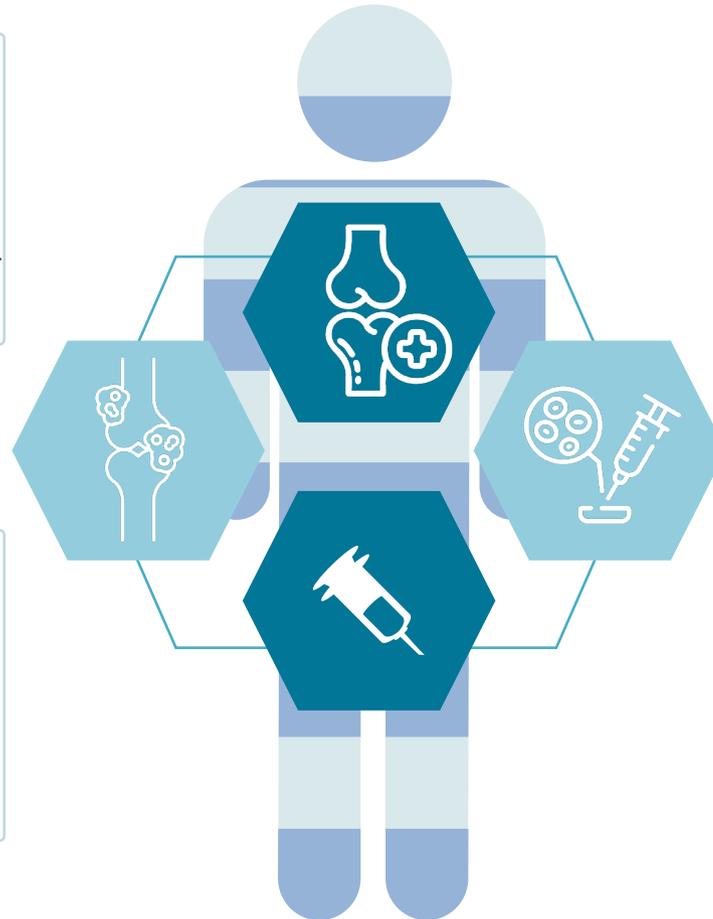
전임상 단계의 First-in-class 혁신 신약 후보 물질

새로운 Dual-function 단백질

- MedPacto가 발굴한 First-in-class 신규 파이프라인
- 대식세포와 파골세포를 억제함으로써 다양한 질환에 적용 가능성

다양한 염증성 질환 및 뼈 관련 암종으로의 확장 가능성

- 전임상 단계에서 다양한 염증성 질환 및 뼈 질환 관련 효능, 안전성 데이터 확보



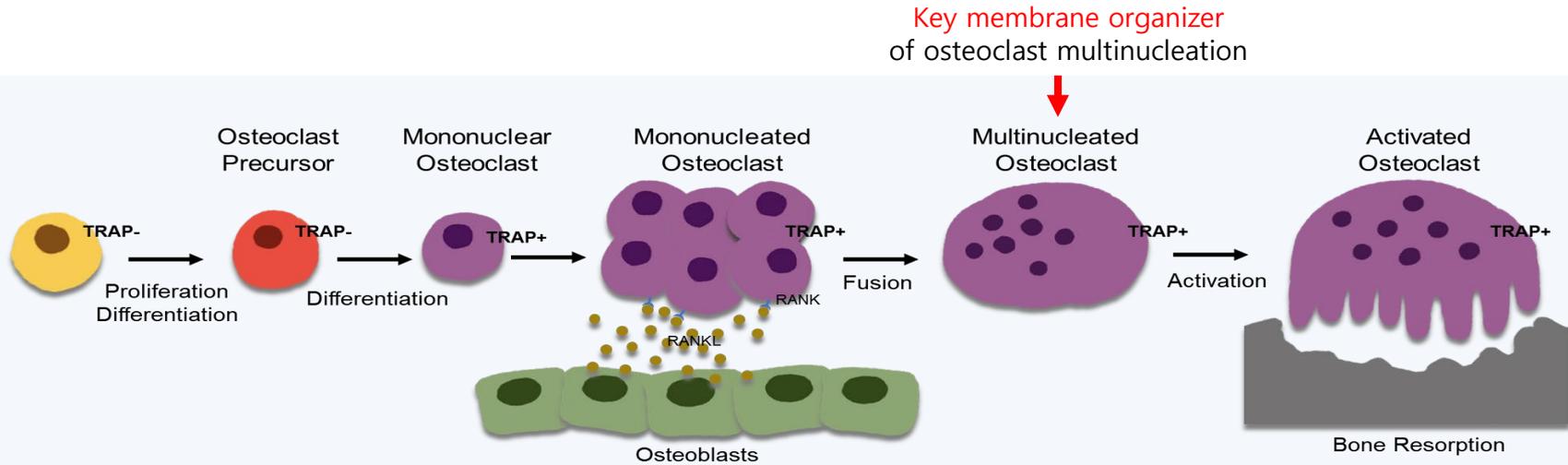
국가신약개발재단(KDDF) 과제 선정

- 정부로부터 재정적, 규제 관련 협력 등의 지원 예정
- 물질에 대한 신뢰 향상으로 다양한 글로벌 제약사들 및 바이오 섹터내 사업화 기회 확대.

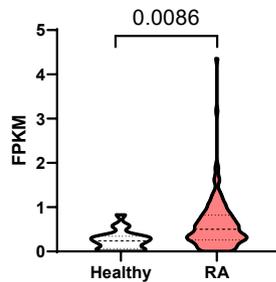
전임상 단계의 강력한 데이터

- 콜라겐 유도 관절염 쥐 모델에서 염증성 사이토카인의 발현율 감소 확인
- 난소 절제 동물 모델에서 골 손실을 유의하게 억제하여 뼈 질환 관련 치료제로서의 효능 확인

뼈 질환을 야기하는 다핵 파골세포를 억제 시킴으로써 기존 뼈 질환 치료제 대비 뛰어난 효과와 안전성 기대



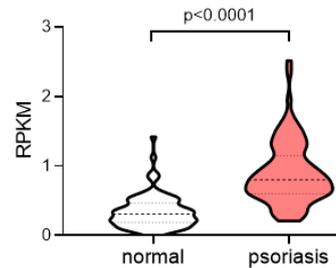
Rheumatoid arthritis



GSE120178

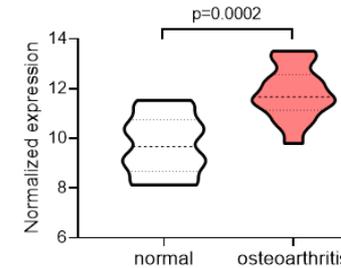
Public Patient Data

Psoriasis



GSE54456

Osteoarthritis



accession E-MTAB-5564

Tm4sf19이 골손실을 유발하는, 파골세포의 다핵화에 관여함을 발표

Tm4sf19 deficiency inhibits osteoclast multinucleation and prevents bone loss

Abstract

Background

Multinucleation is a hallmark of osteoclast formation and has a unique ability to resorb bone matrix. During osteoclast differentiation, the cytoskeleton reorganization results in the generation of actin belts and eventual bone resorption. Tetraspanins are involved in adhesion, migration and fusion in various cells. However, its function in osteoclast is still unclear. In this study, we identified Tm4sf19, a member of the tetraspanin family, as a regulator of osteoclast function.

Materials and methods

We investigate the effect of Tm4sf19 deficiency on osteoclast differentiation using bone marrow-derived macrophages ob-

tained from wild type (WT), Tm4sf19 knockout (KO) and Tm4sf19 (LEL Δ) mice lacking the large extracellular loop (LEL). We analyzed bone mass of young and aged WT, KO and LEL Δ mice by μ CT analysis. The effects of Tm4sf19 LEL-Fc fusion protein were assessed in osteoclast differentiation and osteoporosis animal model.

Results

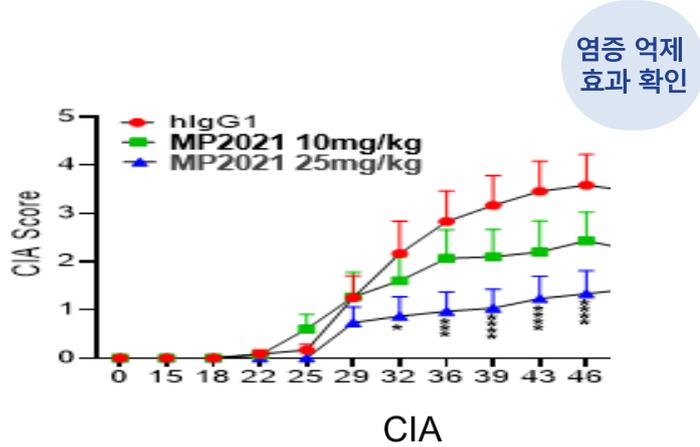
We found that deficiency of Tm4sf19 inhibited osteoclast function and LEL of Tm4sf19 was responsible for its function in osteoclasts *in vitro*. KO and LEL Δ mice exhibited higher trabecular bone mass compared to WT mice. We found that Tm4sf19 interacts with integrin α v β 3 through LEL, and that this binding is important for cytoskeletal rearrangements in osteoclast by regulating signaling downstream of integrin α v β 3. Treatment with LEL-Fc fusion protein inhibited osteoclast function *in vitro* and administration of LEL-Fc prevented bone loss in an osteoporosis mouse model *in vivo*.

Conclusion

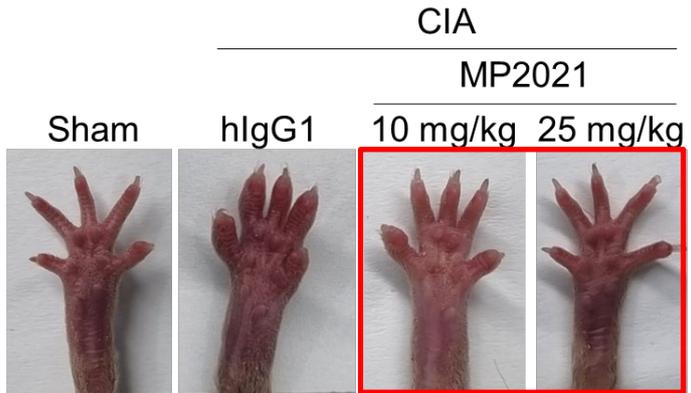
We suggest that Tm4sf19 regulates osteoclast function and that LEL-Fc may be a promising drug to target bone destructive diseases caused by osteoclast hyper-differentiation.

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

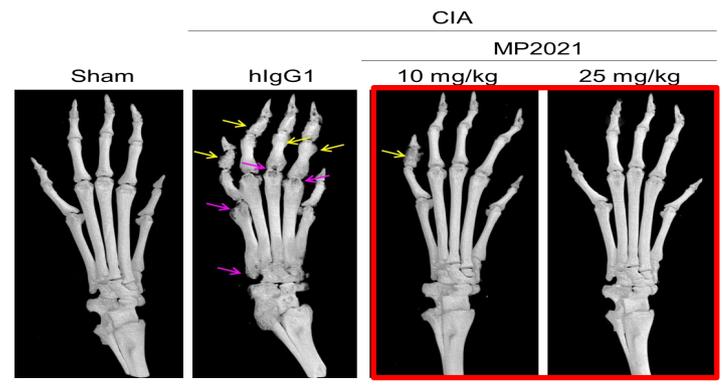
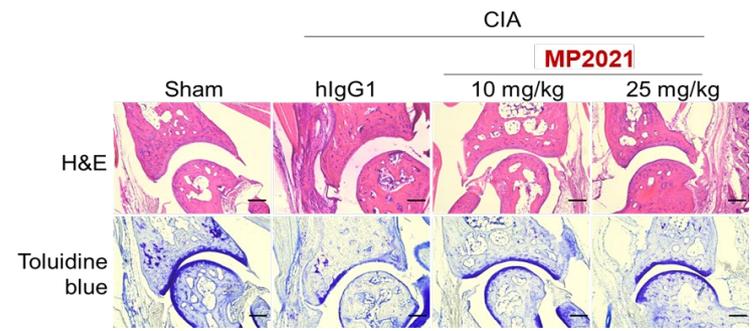
Collagen-induced Arthritis Model
MP2021 단독투여 결과



염증 억제 효과 확인



Collagen-induced Arthritis Model
연골조직염색 및 micro CT 결과



세계적 석학으로 구성된 임상자문위원회, 글로벌 임상 개발 및 사업화 전략 수립

Dr. Greg Licholai, M.D., MBA



- Former President of Rare Diseases at Moderna Therapeutics and Vice President at McKinsey & Co.
- Currently Chief Medical & Innovation Officer at ICON plc.
- Distinguished faculty member at Harvard Business School and Yale School of Management.

Dr. John Letterio, M.D.



- Currently Director at the Angie Fowler Adolescent & Young Adult cancer Institute.
- Associate Director at the Seidman Cancer Center, University Hospitals, Case Western Reserve University.

Dr. Hyun Bae, M.D.



- Currently a board-certified orthopedic surgeon specializing in spine surgery
- Practices at the Spine Center, Cedars-Sinai Medical Center, and the Spine Institute in Santa Monica, California.

Dr. Issac Kim, M.D.



- A renowned urology oncologist
- Currently, Professor of Urology and Chair at Yale University School of Medicine
- Previously, completed a urologic oncology research fellowship at the National Cancer Institute and served as the Executive Director of the Cancer Institute.



Thank You