



Disclaimer

본 자료는 정보 제공을 목적으로 코아시스템켄 주식회사 (이하“회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다. 또한, 본 자료는 의약품에 관한 내용이 포함되어 있으므로 본 자료를 의약품 광고를 위하여 인용, 복제, 가공 등의 방법으로 사용하는 것은 금지됨을 알려드립니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황을 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 예측정보에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 정보 제공 실시일 기준으로 작성되었으며 시장상황과 회사의 경영방향 등 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있기에 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 의약품 관련 정보는 회사가 알고 있는 범위에서 작성된 것이므로, 작성된 정보의 정확성, 적합성, 완전성, 유용성을 보장하지 않으며 객관적 사실과 다를 수 있음을 알려드립니다. 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

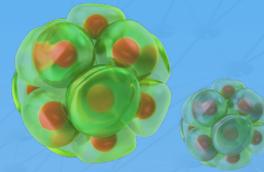
CONTENTS

- 01 CorestemChemon
- 02 Stem cell treatment
- 03 Appendix

신약 개발 전 주기 시스템을 보유한 Total Health Care Company

Vision

세계를 이끄는
Total Health Care 기업



Synergy

Mission

신약개발을 바탕으로
삶의 질 향상과 인류복지 증진



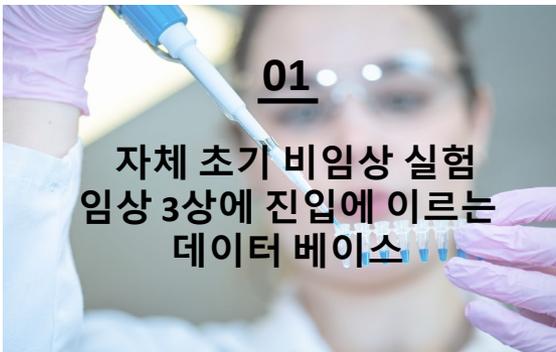
데이터 베이스 확장



연구 인력 다수 확보

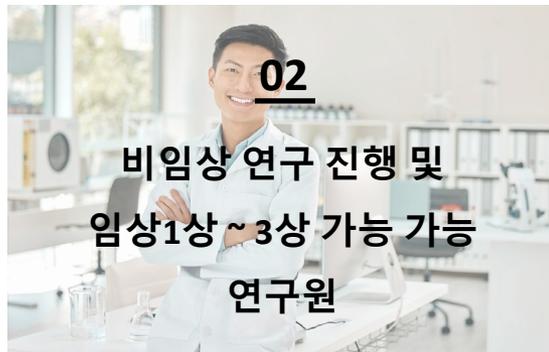


재무 안정화



01

자체 초기 비임상 실험
임상 3상에 진입에 이르는
데이터 베이스



02

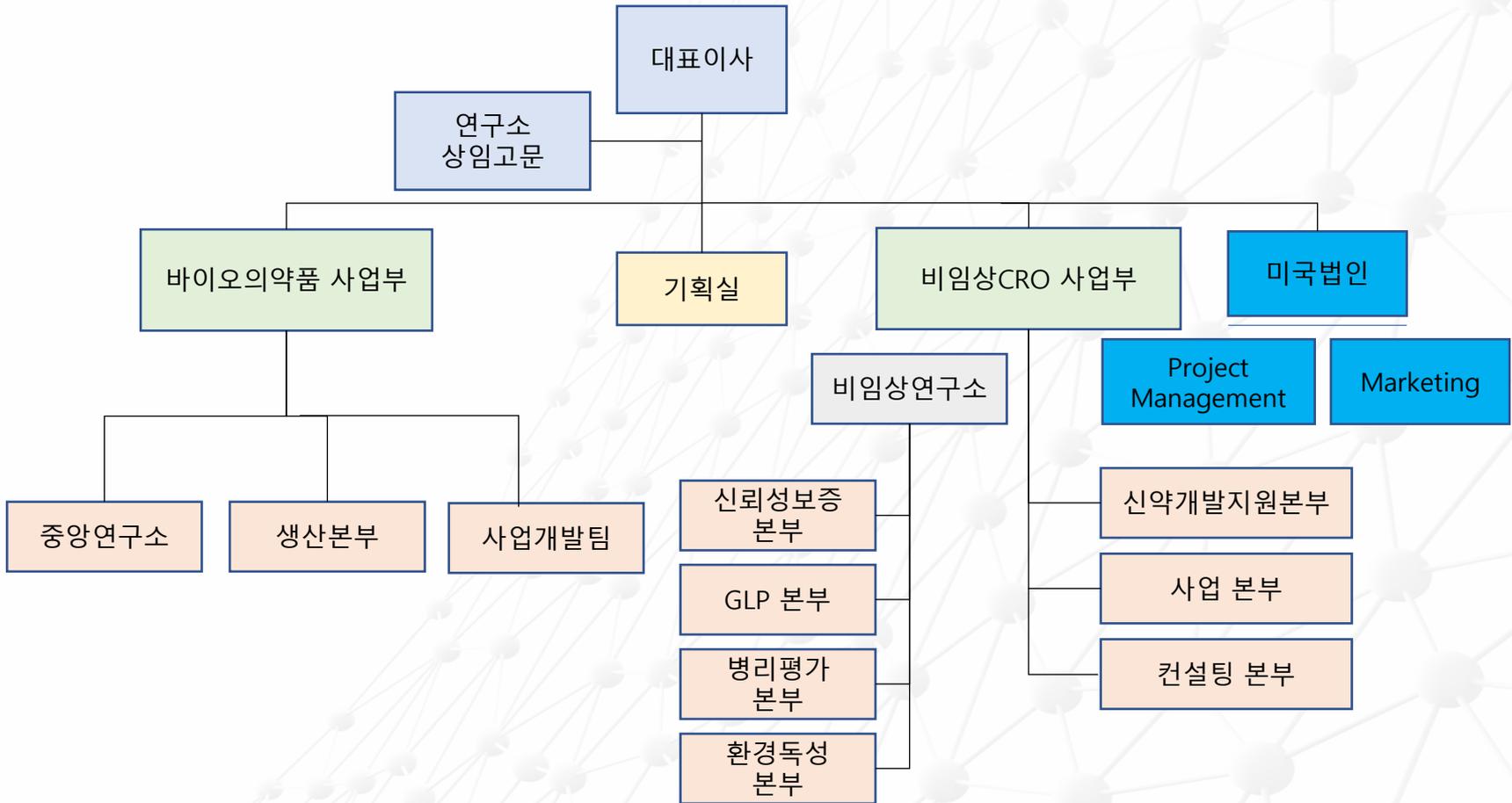
비임상 연구 진행 및
임상1상~3상 가능 가능
연구원



03

지속적 매출 창출
지속 성장 가능한 기술력 보유

제약 경영 전문가 및 각 분야별 Top Specialists 로 구성된 체제



사업부 영역 초점에 맞춘 전문적 효율 극대화

신약개발 사업

연구분야

신경계 질환

근위축성측삭경화증 (루게릭병) (ALS)
 다계통위축증 (MSA)
 소뇌실조증 (CA)
 시신경척수염 (NMO)
 파킨슨병 (Parkinson's Disease)

면역 질환

섬유화증 (Fibrosis)

전신홍반루푸스(SLE)

항암
감염병
노화

SME

유전자치료제
 한약(생약)제제
 융복합 의료기기

비임상CRO 사업

시험분야

안전성(독성, 부작용) 평가

In vitro/vivo 독성시험
 첨단대체시험

안전성 약리 평가

중추신경계 시험, 심혈관계시험,
 호흡기계시험, 일반약리시험

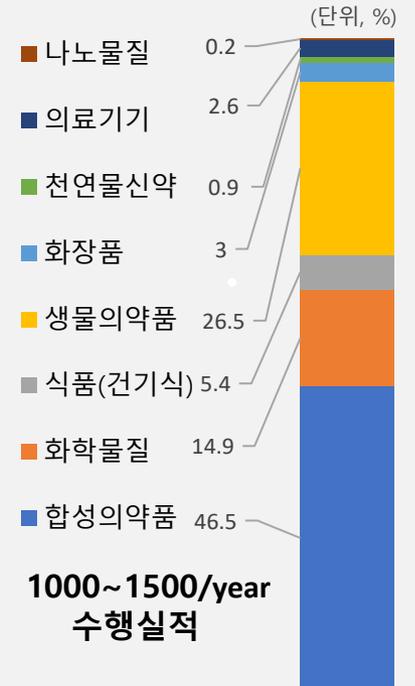
효능(유효성, 약효) 평가

효능평가시험 수행 및 개발
 질환모델 동물제작/판매

기타(병리, 분석) 평가

조직병리 및 임상병리, 물질분석,
 생체시료분석

물질별 시험실적



1000~1500/year
수행실적

줄기세포 특성에 맞춘 신경계 및 면역체계 초점

■ First in Class / ■ Best in Class

Cell type	Name	Indication	Research	Nonclinical	Phase1	Phase2	Phase3	임상기관
중간엽줄기세포 (MSC)	Neuronata-R	루게릭병	임상 3상 진행					한양대 외 4개기관
	Artificial CSF	Neuronata-R 첨가제	임상 1상 완료					한양대학교
	CE111BR16	다계통위축증	임상 1상 완료					세브란스
	CE211BR19	소뇌실조증	IIT 완료					경북 칠곡대학교
	CE211NS21	시신경척수염	임상 1상 계획서 제출 완료					서울대학교
iPSC, ESC	Astrocyte	파킨슨병	전임상 진행중					코아스템켄온
중간엽줄기세포 (MSC)	CE211AT15	루푸스	1상 종료 및 IIT					한양대
EV	EV231LU20	섬유화증	전임상 진행중					서울아산병원

Stem cell treatment 2

01 Neuronata-R

02 CE211N21 (시신경척수염)

03 Market & Milestone

질환 내 첫 줄기세포 치료제 상용화 성공, 지속적 **Generation** 변화



식품의약품안전처
KMFDS
Conditional Approval
April 2014



US FDA
Orphan Drug Designation
August 2018



EU EMA
Orphan Drug Designation
March 2019

개발 단계 및 주요 내용

- 2023.08 **뉴로나타-알주 임상3상 환자등록 완료**
- 2021.04 뉴로나타-알주 식약처 3상 개시 및 첫 환자 투여
- 2020.08 뉴로나타-알주 식약처 3상 임상시험계획 변경 승인
- 2020.07 뉴로나타-알주 미국 FDA 3상 임상시험계획 승인
- 2019.03 **뉴로나타-알주 유럽 EMA 희귀의약품 지정**
- 2018.08 **뉴로나타-알주 미국 FDA 희귀의약품 지정**
- 2014.07 **ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 제조판매 품목허가 승인**
- 2013.08 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 임상 2상 종료
- 2011.11 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 임상 1상 종료

1st Generation (2014)

매회 세포 배양 기간 36일
매회 골수 채취
매회 척수 채취

2nd Generation (2019)

첫 배양 기간 36일 이후 16일
1회 골수 채취 (3~4회)
매회 척수 채취

3rd Generation (2024)

첫 배양 기간 36일 이후 16일
1회 골수 채취 (3~4회)
척수 대체 물질 **현탁화제 개발 완료**

Unmet needs 충족을 위한 규제 당국의 Positioning 변화

FDA, ALS와 같은 희귀난치성질환에 대한 승인규제 완화 추세



- 임상2상 1차 주요평가지표에서 유의성 입증 실패
- 생존기간(Survival Data) 10.5개월의 데이터로 조건부 승인 획득 (2022년 9월)
- 2023년 판매 첫 해 매출 3억 8천만 달러(한화 약 5000억원) 돌파
- 현재까지 미국환자 약 3,900여명 복용 추정
- 2023년도 '렐리브리오' 목표 침투율(5%) 달성, 향후 연간 10,000명 목표

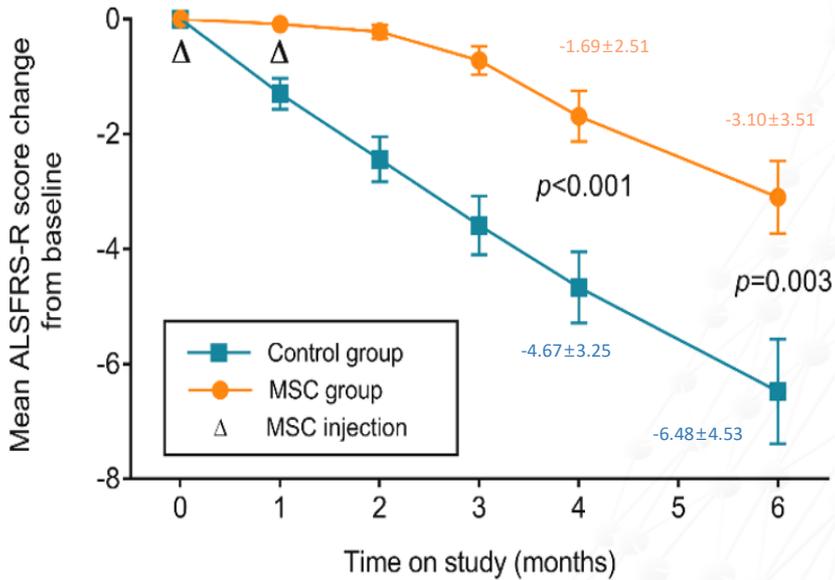


- 전체 ALS 환자의 2%를 차지하는 SOD1유전형 환자 대상 (미국내 330명 예상)
- 임상3상 1차 주요평가지표에서 유의성 입증 실패
- 기존 주요평가지표가 아닌 NfL 지표를 바이오 마커로 인정, 전문가 자문위원회 9명 전원 찬성
- 2023년 4월 25일 가속승인 확정
- 정식승인을 위한 임상 3상 진행 중(시험명: ATLAS)



약물 효능 및 생명연장에 관한 데이터 확보 / '24년 6월 임상 진행 97%

Primary outcome : Changed ALSFRS-R Score after MSC Tx



Total 59 patients (MSC group: 32, Control group: 27) were analyzed in phase II

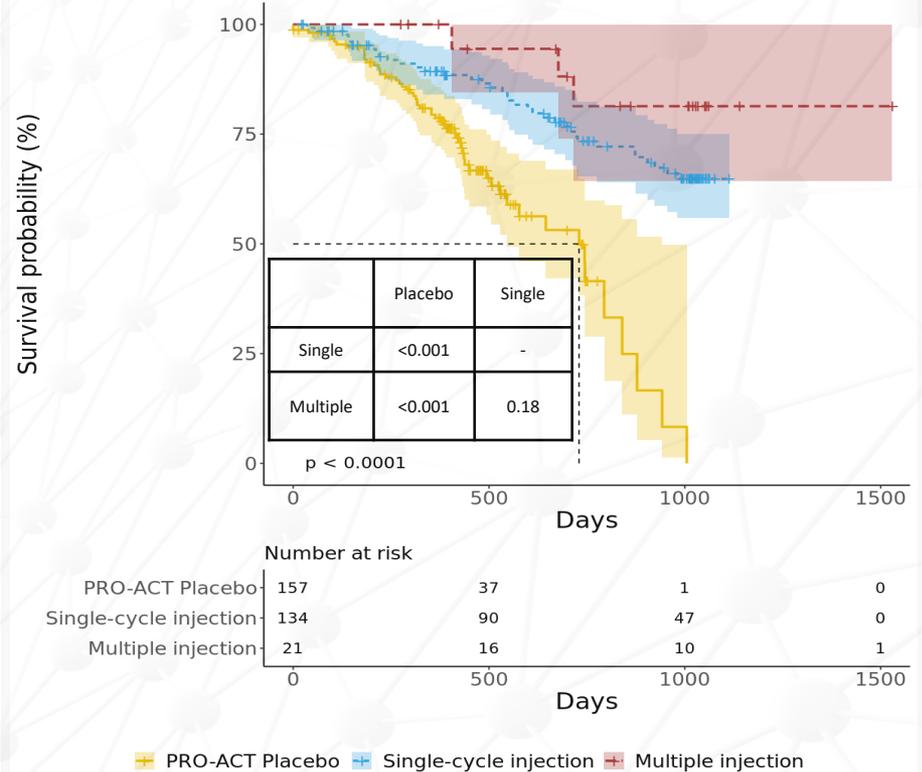


Repeated intrathecal mesenchymal stem cells for amyotrophic lateral sclerosis

Ki-Wook Oh, MD, PhD,^{1,2*} Min-Young Noh, PhD,^{1,2*} Min-Soo Kwon, MD, PhD,³
 Hyun Young Kim, MD, PhD,^{1,2} Seong-il Oh, MD, PhD,⁴ Jinseok Park, MD^{1,2}, Hee-
 Jin Kim, MD, PhD,^{1,2} Chang-Seok Ki, MD, PhD,² Seung Hyun Kim, MD, PhD^{1,2}

· Published an article of Phase II clinical study in August 2018.

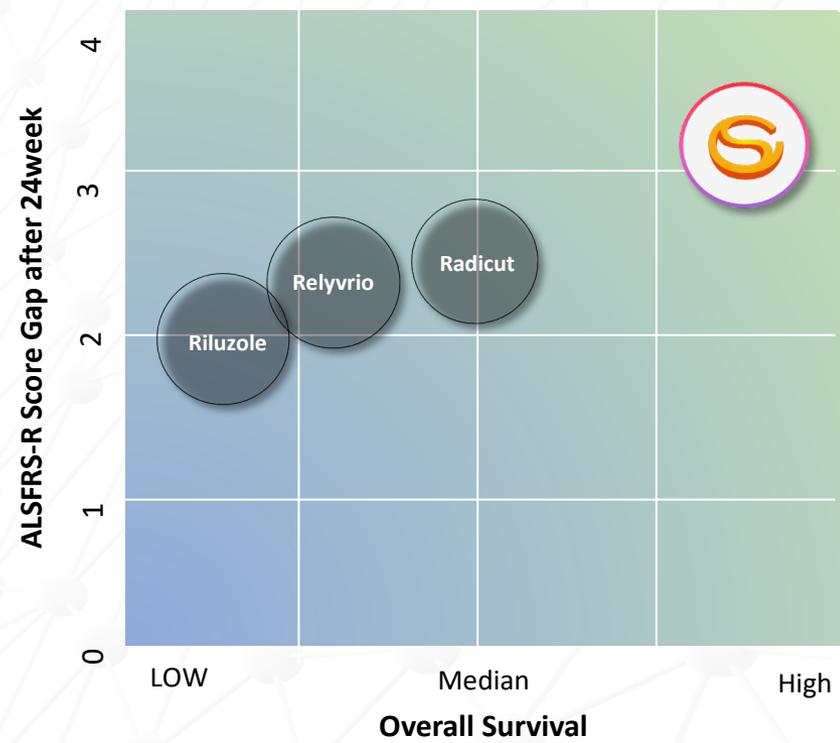
Post Market Surveillance (PMS) Data



· Published an article of PMS in April 2022.

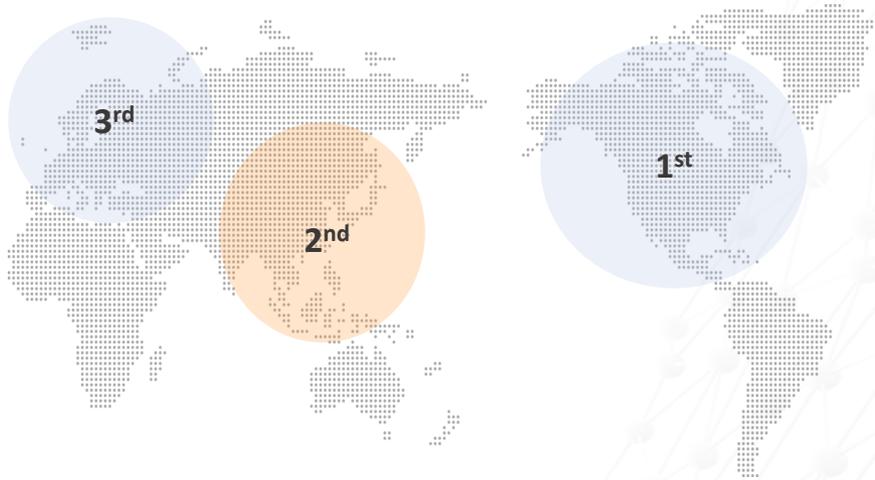
ALS 질환 내 First in Class & Best in Class 줄기세포 치료제

Name (company)	Riluzole (Sanofi)	Radicut (Mitsubishi Tanabe Pharma)	Relyvrio (Amylyx Pharma)	Neuronata-R
Date of Approval	1987	2017, 2022	2022	2014 (KR)
Type	Small molecule	Small molecule	Small molecule	Stem Cell
투여경로	경구 (타블렛)	정맥주사, 경구(필름)	경구 (분말)	척수강 내
생명연장 효과	2-3개월	24개월 (PMS)	10.5개월 (임상2상)	67개월 (PMS 전체환자기준)
6개월 후 ALSFRS-R 차이	N/A	2.49	2.32	3.38
월평균 ALSFRS-R 속도	N/A	-0.84	-1.24	-0.5



'23년 북미 시장 약 1조 2천억, 시장 확대 기회를 통한 점진적 매출 확보

Global market entry stage



미국 내 ALS 유병환자 약 35,000명

Early Stage 적용 유효 구매환자 **연간 1,000명 (약 3%)**

회당 예상 판매 1억 / 환자 1인당 **연간 약 5억원**

미국시장 연간 매출액 약 5,000억원(min) 예상

U.S Market Sales & Milestone



Relyvrio

'23 매출액 약 5,100억원

연간 약가 \$158,000 (약 2억원)



Radicut

'23 매출액 약 7,000억원 추정

연간 약가 \$170,000 (약 2억 3천만원)

임상 1상 승인 완료 / 질환 내 **First in Class** 신경회복 및 장애 회복 목표

Neuromyelitis Optica

- 시신경 척수염 : 자가면역에 의한 괴사가 시신경과 척수에 나타나는 신경계질환
 - 증상: 하반신의 지각운동 장애, 근력약화, 급속한 시력 장애 등
- 남성보다 여성에게 더 발병율이 높으며 비율은 1:9 여성편중 현상을 보임

비율 1/ 100,000 북미 시장 내 매년 8000명의 신규환자
 전 세계 약 20 만명 추산 국내 시장 내 매년1000명의 신규환자

Company	Roche	Amgen	AstraZeneca	
Name	엔스프링	업리즈나	솔라리스	울토미리스
비용 /연간 (미국)	3억	3억6천	6억8천	6억3천
판매 허가	2020년	2020년	2019년	2024년

NMO IgG



NMO IgG + 0+7day MSC



MFDS 및 FDA 현장 실사 준비 작업 준비

8월 초 줄기세포 치료제 생산 및 연구 시설 완공



'23년 12월 공장 전경



'23년 4월 공장 전경



'24년 5월 공장 전경

Milestone

- 2023.04
착공 시작
- 2024. 08
공사 완료 및 MFDS 심사 준비
- 2025.03
FDA 현장 심사 준비
- 참고 내용
연간 600 Lot 치료제 생산 가능

다각적 접근 및 구체적 Milestone을 배경으로 임상 3상 계획 실행

Name	Year	2024												2025				
		Month	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1/4	2/4	3/4	4/4
복미 지사	환우 / BIO USA						●		●									
cGMP	완공일								●									
FDA	Type C								●									
Artificial CSF	정식검토 /허가						●			●								
Phase 3	Phase 3 종료										●							
	Pre BLA Meeting													●				
	CS 리포트													●				
	BLA 제출														●			
	BLA 승인																	●



Thank you