

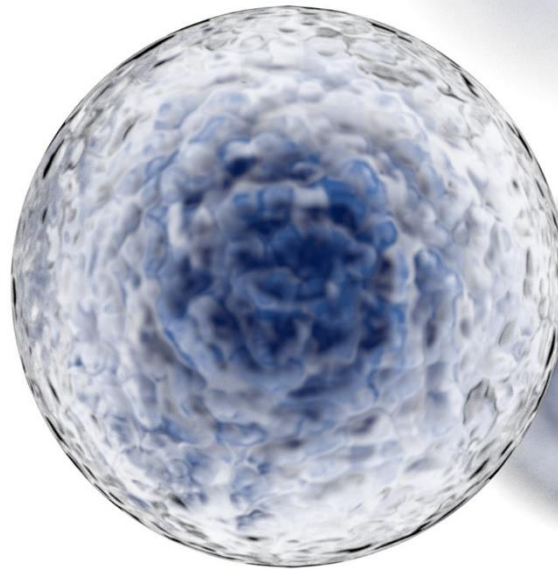


Investor Relations 2022

Biomarker-based innovative drug
development company

MED·PACTO

Investor Relations 2024





Disclaimer

본 자료는 투자자에게 메드팩토(이하 “회사”)의 영업전망, 경영목표, 사업전략 등 정보제공을 목적으로 작성되었으며
이의 반출, 복사 또는 타인의 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 자료에 포함된 예측정보는 과거가 아닌 미래의 사건에 관계된 사항이며 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바,
회사가 통제할 수 없는 시장환경의 변동 및 위험 등의 불확실성으로 인해 회사의 실제 영업실적 결과와 일치하지 않을 수 있음을
유의하시기 바랍니다.

마지막으로 본 자료는 투자자들의 투자판단을 위한 참고자료로 작성된 것이며,
당사는 이 자료의 내용에 대하여 투자자 여러분에게 어떠한 보증을 제공하거나 책임을 부담하지 않습니다.

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 1.

Investment Highlight

Chapter 2.

Vactosertib

- TGF- β inhibitor
- 대장암
- 비소세포폐암
- 희귀질환 치료제
(골육종 / 데스모이드종양 / 다발성골수종)

Chapter 3.

New Programs

- MP010 (TME-DP)
- MP2021 (MOART)

Chapter 4.

Appendix

01. 혁신신약 개발을 선도하는 매드팩토

MEDPACTO

Clinical Stage Innovative Biotechnology Company

1

대장암(mCRC) 및
비소세포암(NSCLC)
월등한 임상 데이터 확보

- mCRC : OS 17.4개월 / ORR 18.8%
- NSCLC : mOS 41.9개월 / ORR 45.8%
- 3차 대장암 치료제 시장에서,
개발 중 이거나 허가 받은 치료제 중에서
가장 월등한 치료 데이터 확보
(ESMO 2023 발표)

2

Cancer 분야에 풍부한
연구 및 임상개발 경험

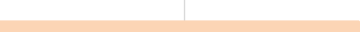
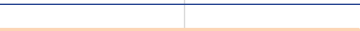
- NIH의 존경받는 연구자이자 암 연구 및 신약 개발 전문가인 김성진 박사
- 한국, 미국, 영국, 일본의 주요 연구기관 및
임상자문위원회와 제휴
- MSD, AstraZeneca 등 글로벌 제약회사
와의 공동개발 및 임상 경험 풍부

3

과학적 기반이 탄탄한
신규 타겟 및 기술
파이프라인

- Nature, Nature Communications, Cell Reports, Cancer Research 등 유명 저널
에 전임상 데이터 게재
- AACR, ESMO, ASCO, SITC 등 권위 있는
컨퍼런스에서 임상 데이터 발표

02. 주요 파이프라인

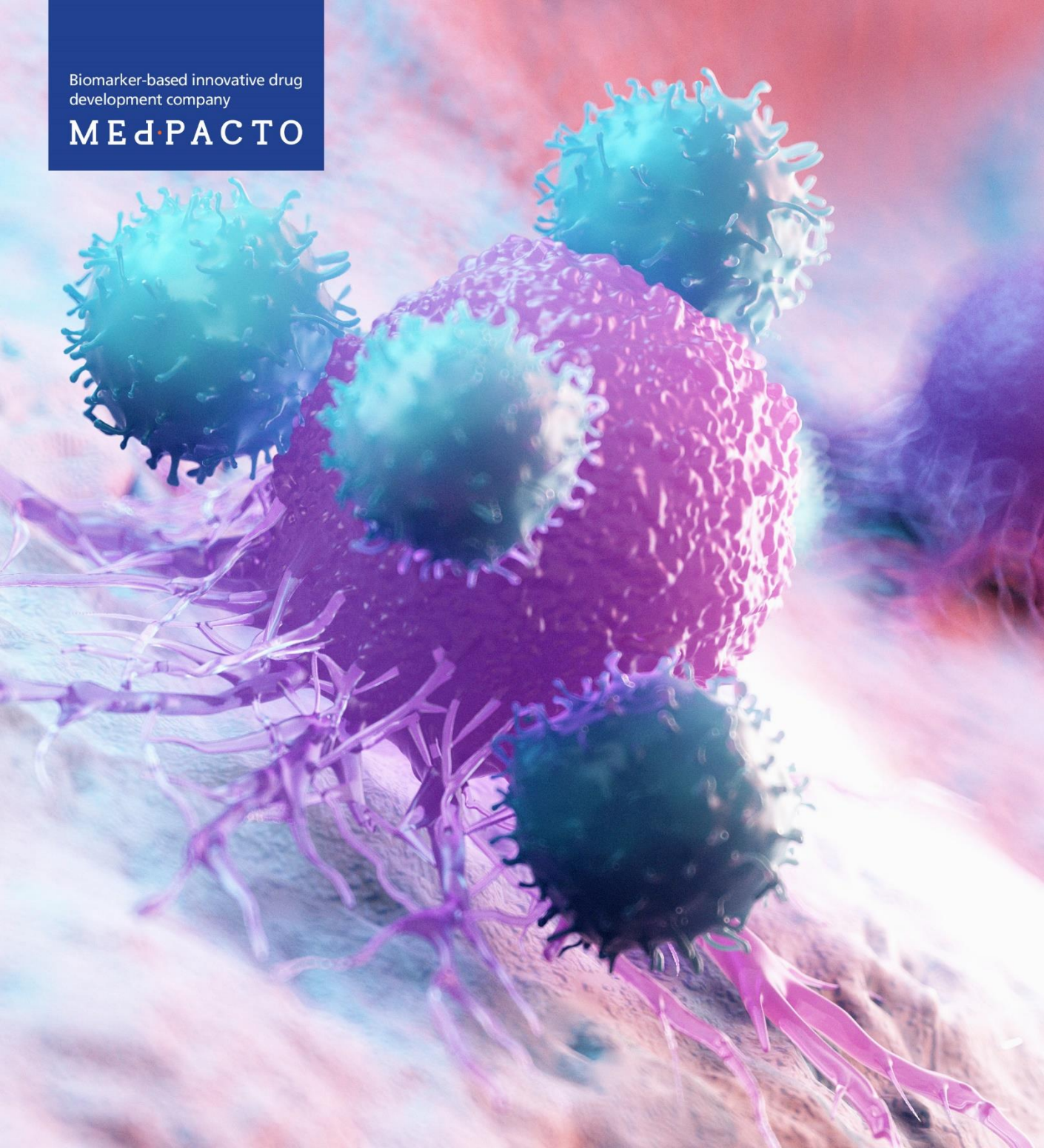
Type	Product	target	Indication	Regimen	site	Pre-clinical	Phase1	Phase2	Phase3
Oncology	백토서팁	TGF-β1	대장암	키트루다 병용	미국, 한국				
			비소세포폐암	임핀지 병용	한국				
			다발성골수종	포말리스트 병용	미국				
			데스모이드종양	글리벡 병용	한국				
			골육종	단독	미국, 한국				
	MP010	TME	유방암, 전립선암 등 고형암	-	-				
Others	MP002	TM4SF19	뼈 전이(유방암, 전립선암 등)	-	-				
	MP2021	TM4SF19	골다공증, 염증성 관련염	-	-				

바이오마커(Biomarker) 기반의 항암치료제 및 진단키트 등 초기연구과제 다수 보유

- 대장암 :**
 - 임상 1b/2a상 결과, 표준 치료법 및 경쟁약물 대비 월등한 데이터 확보
 - 기존 치료대비 약 10개월의 mOS 개선 (**ORR 18.8%, mOS 17.4**)
 - 2024년 글로벌 Phase 2b/3상 진입
 - 현재 TGF-β 저해기전의 항암 임상과제 중 전세적으로 가장 앞서 있는 과제
- 비소세포폐암 :**
 - 더발루맵(임핀지)과의 병용임상 1b/2a상 결과, 뚜렷한 mOS 개선을 확인 (PD-L1 발현 25% 이상에서 **ORR 45.8%, mOS 41.9개월**)
- 골육종 :**
 - FDA의 희귀약품 지정(ODD), 소아희귀질환지정(RPDD), 신속심사 승인(FTD) 지정에 이어 유럽의 희귀약품(OMPD) 지정 완료
 - 2023년 5월 초, 미국 내 첫 환자 투약 개시
- 임상시험에서 확인 된 데이터를 바탕으로 **다발성골수종, 데이스모이드종양** 등 희귀암 치료제 개발 가시화

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 1. Investment Highlight

Chapter2.

Vactosertib

- TGF- β inhibitor
- 대장암
- 비소세포폐암
- 희귀질환 치료제
(골육종 / 데스모이드종양 / 다발성골수종)

Chapter3. New Programs

- MP010 (TME-DP)
- MP2021 (MOART)

Chapter4. Appendix

01. 최근 항암제 개발의 동향

MED·PACTO

암 정복을 위해 기존 항암제의 한계를 극복할 새로운 치료법 개발 필요

의료기술 진화에도 미충족 수요 지속적 발생 (낮은 반응률, 높은 재발률, 내성 발생 등)

기존
항암제

종양만 타겟으로 하는 항암제

항체치료제, 화학요법제, 표적항암제는
종양세포만을 타겟으로 함

환자는 다른데 같은 약을 처방

환자의 선별이 없는 평균적인 치료로 인한
낮은 치료율과 높은 부작용

블록버스터급 단일 신약

최고 판매량을 달성하는
블록버스터급 신약의 단일 투여차세대
항암제종양미세환경의 중요성
(Tumor Microenvironment)종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및
진행을 가능하게 하는 환경을 제공
이에, 종양미세환경의 조절을 통해
암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복바이오마커가 이끄는
개인 맞춤 치료암종에 상관없이
바이오마커 발현의 유무로 환자를
선별하여 치료하는 맞춤 치료 시대 도래병용요법의
새로운 시대최근 항암치료는 종양을 타겟으로 하는
항암제와 종양미세환경을 조절하는
약제의 병용투여에 관심이 많음종양미세환경
중요성 부각암은 암 주변의 환경 (종양미세환경)을 조절하여
암의 성장, 전이, 암 줄기세포 형성을 촉진시키고
면역활성을 억제하는 물질을 분비
(대표적인 물질이 TGF- β 1)

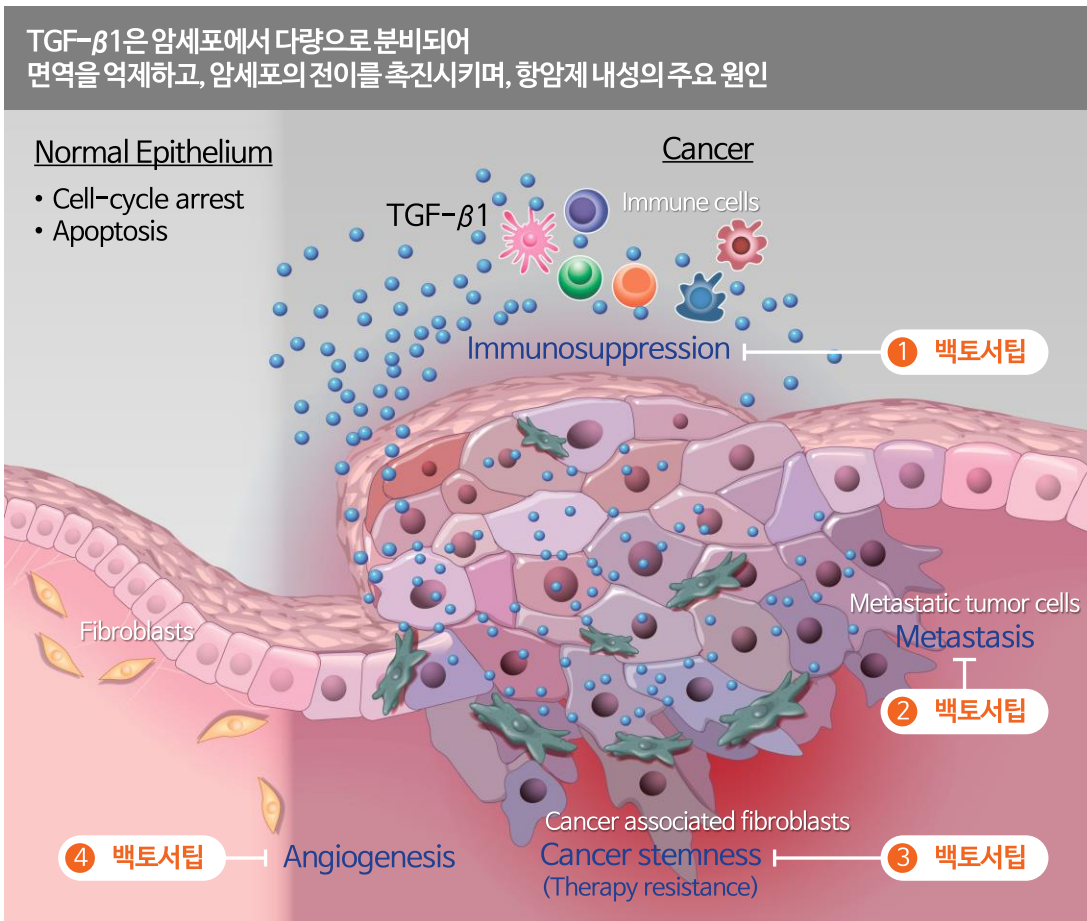
차세대 항암 신약 개발기업

MED·PACTO

02. 백토서팁 (Vactosertib)

종양 미세환경에서 TGF- β 1의 역할

TGF- β 1은 종양 미세환경을 조절하여 암의 전이나 성장을 촉진



백토서팁 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- β 1에 의한 암줄기세포의 생성을 억제 (예: Paclitaxel 및 Imatinib 등 화학치료제의 주요 내성 원인)

4 혈관생성 억제

02. 백토서팁 (Vactosertib)

백토서팁 작용 기전

백토서팁은 기존의 모든 암치료제와 병용 가능

- TGF- β 1은 암조직 주변의 기질세포에 작용하여 기질을 대량으로 생산해 암을 둘러싼 벽을 생성
→ 항암제나 면역세포가 암조직에 침투하지 못하게 하는 역할
- TGF- β 1 신호전달 억제제인 백토서팁은 암 조직 주변의 기질 벽의 생성을 억제
→ 다양한 암 치료제가 암세포를 공격할 수 있도록 도움을 줌

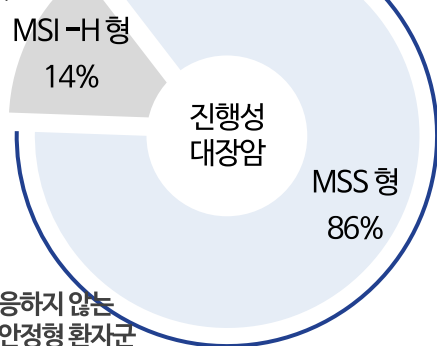


03. 대장암(Colorectal Cancer, CRC)

대장암 시장의 Unmet Medical Needs

새로운 치료법에 대한 의학적 수요 증가

키트루다에 반응하는
현미부수체 불안정 환자군
(MSI high 형)
약 14%



키트루다 반응하지 않는
현미부수체 안정형 환자군
(MSS 형)
약 86%

대장암:
암 사망자수 2위

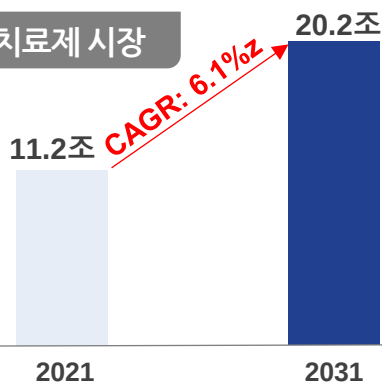
전세계 대장암 환자수
1,900,000명/년

전세계 대장암 사망자수
930,000명/년

전이성 대장암의 5년 생존
율은 13%로 매우 저조

→ 전이성 대장암 치료제에
대한 미충족 수요가 매우 큼

대장암치료제 시장



2023년 추정 사망 환자
52,550
전체 암 사망률의
8.6%

대장암 3차 치료에 대한 미충족 수요

	Program	ORR	mOS
	Vactosertib + Keytruda¹	18.8%	17.4m
최신 표준치료	Lonsurf + Avastin ² (sunlight study)	6.1%	10.8m
	Fruquintinib	1.5%	7.4m
기존 표준치료	Lonsurf ²	1.6%	7.1m
	Regorafenib	1%	6.4m

10m

3m

ref. 1. ESMO 2023 poster (Vactosertib 300mgBID 데이터 기준)

2. Prager, Taieb et al. NEJM 2023 (sunlight study)

- 기존 표준치료제의 전체생존율(mOS)은 6-7개월로 매우 저조
- 최근 **Lonsurf + Avastin**은 3개월의 mOS 개선만으로 승인
- **Vactosertib + Keytruda** 병용요법은 기존 치료대비 약 10개월의 mOS 개선을 보여주었기 때문에 승인/SoC 가능성 높다고 예상

03. 대장암 (Colorectal Cancer, CRC)

백토서팁의 우수한 효능 데이터

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

		Vactosertib 300mg BID + anti PD-1	Regorafenib 	TAS-102 	TAS-102 + Bevacizumab 	Fruquintinib 
Target		TGF-b & PD-1	Tyrosine Kinase	Chemotherapy	Chemotherapy + EGFR	VEGFR1/2/3
Target Line		3L or 4L	3L+	3L+	3L+	3L+
Efficacy	mOS (months)	17.4	6.4	7.1	10.8	7.4
	ORR (%)	18.8%	1%	1.6%	6.1%	1.5%
Safety	TEAE >Grade3	37.5%	54%	69%	72%	63%
	Adverse Events of Notes	All were manageable and no fatal serious TEAEs were observed in any cohort	Blackbox warning on hepatotoxicity	Severe Myelosuppression 7 out of 1,114 patients died due to severe myelosuppression	Severe Myelosuppression 3 out of 248 patients died due to severe myelosuppression	-

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

04. 비소세포폐암(Non-small-cell lung cancer, NSCLC)

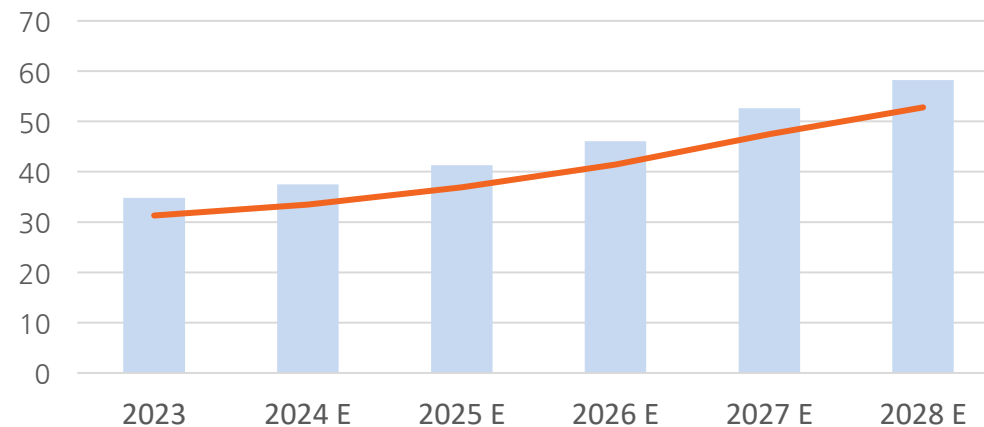
비소세포폐암 시장의 Unmet Medical Needs

폐암치료제 세계시장 규모 및 전망 (단위: 십억달러)

- 폐암은 **발생률**에 있어서는 국내에서 위암, 대장암에 이어 **3위**
- **사망률**은 2000년 이후 위암보다 높아져서 **1위**(2019년 기준 22.9% 비중)를 차지
- 전 세계적으로 **폐암 시장**은 항암제 중에서 **가장 큰 시장**
- 2023년 전체 항암제 시장의 18%에 해당하는 348억달러(약45.6조원)를 기록했고, 연평균 10.8% 성장하여 **2028년 시장규모 582억달러(약 76.6조원)에 이를 것으로 전망**
- **비소세포폐암**은 전체 폐암의 80-85%를 차지하며, 나머지 15-20%는 소세포폐암이 차지

구분	2023	2024 E	2025 E	2026 E	2027 E	2028 E	CAGR(%)
폐암 전체	34.8	37.5	41.3	46.1	52.6	58.2	10.8
비소세포폐암 (NSCLC)	31.3	33.5	36.9	41.4	47.5	52.8	11.0
소세포폐암 (SCLC)	3.4	4	4.3	4.7	5.1	5.4	9.7

* Evaluate Pharma



(단위: 십억달러)

■ 폐암 전체

— 비소세포폐암 (NSCLC)

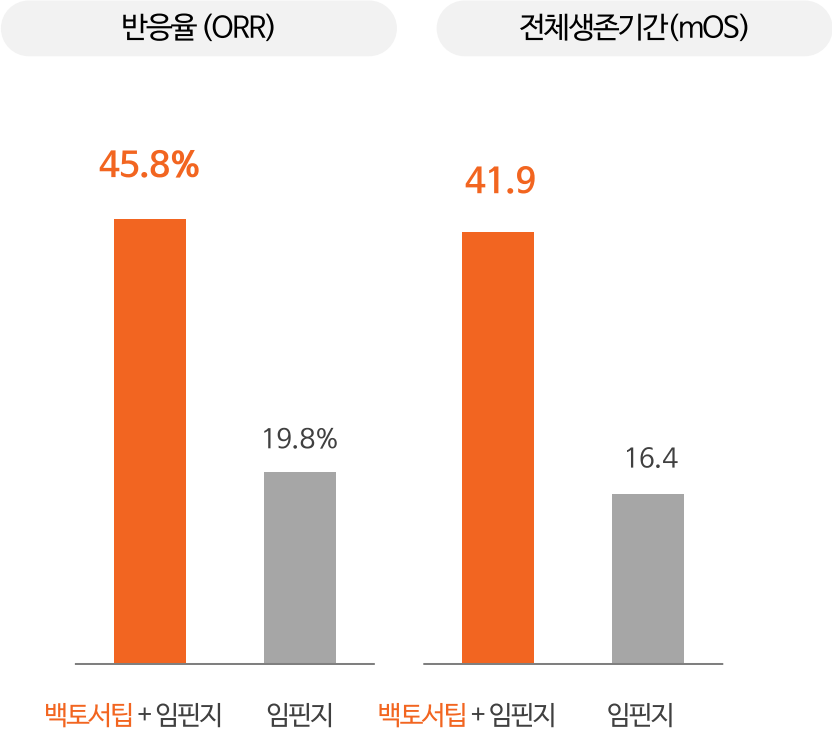
04. 비소세포폐암(Non-small-cell lung cancer, NSCLC))

비소세포폐암에서 임핀지와 병용투여 임상 결과 획기적인 치료 효과 입증

임상시험 개요

임상시험 목적	백금 기반 화학요법 후 진행한 진행성 비소세포 폐암 (NSCLC) 환자를 대상으로 백토서팁 (Vactosertib)과 더발루맙(Durvalumab) 병용 요법의 안전성, 내약성, 약동학 및 항종양 활성을 평가
임상시험 단계	Phase 1b/2
NCT no.	NCT03732274
임상시험 승인일	2018.10.01
임상시험 실시국가	대한민국
대상질환	진행성 비소세포폐암(NSCLC)
등록 환자 수	60명
임상시험 방법	- 용량 증량 및 용량 확장 단계 : 선택된 권장용량 (RP2D)으로 항종양 효과 평가 - 시험 설계: 공개(Open-label), 다기관
임상시험 기간	첫번째 환자 등록: 2019년 2월 11일 마지막 관찰 종료: 2024년 5월 17일

비소세포폐암 병용투여 임상 (1b/2상 결과)



자료 : AstraZeneca ORR, PFS 데이터, Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
주 : 병용투여임상 결과와 AstraZeneca의 임핀지 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님.

06. 희귀질환 치료제 개발 전략

다발성골수종 / 골육종 / 데스모이드종양

희귀의약품 개발의 이점

- 신속허가 프로그램을 통한 조기 상업화 가능
 - 임상 2상 결과로 조건부 허가
- 희귀소아질환 의약품의 경우 우선심사 바우처(PRV) 인센티브 확보
 - PRV의 최근 평균 거래가액은 약 1억 USD (약 1,350억원)
- 7년간 독점 판매 기간 확보
- 고가의 약가 산정 (일반적으로 환자수와 약가는 반비례)
- 허가 승인 후 적응증 확장 시 블록버스터 신약으로 발돋움

Orphan Drug Designation (2021.08)



IND 162575

MedPacto, Inc.
c/o MedPacto Therapeutics, Inc.
Attention: Ebla Ali Ibrahim
Director, Regulatory Affairs
267 Kentlands Blvd #4080
Gaithersburg, MD 20878

Dear Ms. Ibrahim:

Orphan Medicinal Product Designation (2023.07)



Brussels, 25.7.2023
C(2023) 5148 final

COMMISSION IMPLEMENTING DECISION

of 25.7.2023

relating to the designation of "Vactosertib" as an orphan medicinal product under Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council

(Text with EEA relevance)

(ONLY THE ENGLISH TEXT IS AUTHENTIC)

Rare Pediatric Drug Designation (2022.09)



Fast Track Designation (2023.01)



IND 162575

Rare pediatric
designator

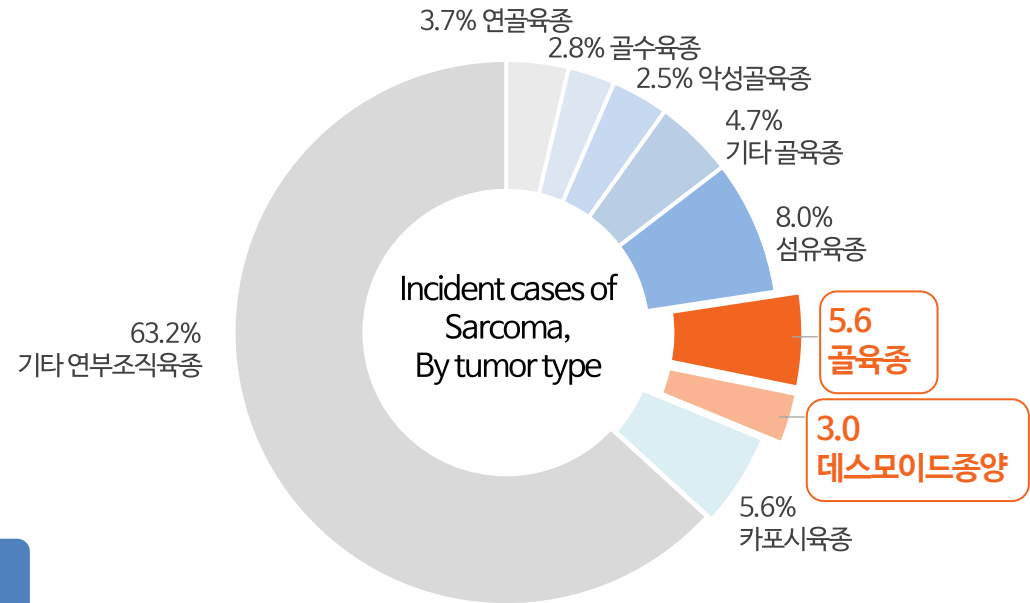
MedPacto, Inc.
c/o MedPacto Therapeutics, Inc.
Attention: Ebla Ali Ibrahim
Director, Regulatory Affairs
267 Kentlands Blvd #4080
Gaithersburg, MD 20878

Dear Ms. Ibrahim:

Please refer to your investigational new drug application (IND) submitted under section 505(b) of the Federal Food, Drug, and Cosmetic Act for vactosertib.

We also refer to your November 15, 2022, request for Fast Track designation. We have

육종 (Sarcoma) 종류



희귀의약품 FDA 승인 현황

날짜	상품명	암종	임상단계	환자 수	FDA 허가현황
2020년 1월	타즈베릭	유상피 육종	2상	62명	FDA 신속심사
2020년 5월	포말리스트	AIDS 관련 카포시육종	1/2상	28명	FDA 신속심사

06. 희귀질환 치료제 개발 전략

희귀질환 치료제로서 백토서팁의 과학적 우수성

골육종(Osteosarcoma)

Frontiers in Oncology, 2018 AOR 30:8:133

Transforming Growth Factor- β Signaling Plays a Pivotal Role in the Interplay Between Osteosarcoma Cells and Their Microenvironment

Franck Verrecchia* and Françoise Rédini

Cancer Communications, 2024

Received: 9 February 2024 | Revised: 10 June 2024 | Accepted: 25 June 2024
DOI: 10.1002/cac2.12589

LETTER TO THE JOURNAL

CANCER COMMUNICATIONS

Oral transforming growth factor-beta receptor 1 inhibitor vactosertib promotes osteosarcoma regression by targeting tumor proliferation and enhancing anti-tumor immunity

다발성골수종 (Multiple Myeloma)

blood

653.Multiple Myeloma: Prospective Therapeutic Trials | NOVEMBER 2, 2023

Vactosertib, a Novel TGF β Type I Receptor Kinase Inhibitor, Improves T-Cell Fitness: a Single-Arm, Phase 1b Trial in Relapsed/Refractory Multiple Myeloma

Ehsan Malek, Priyanka S. Rana, Muthulekha Swamydas, Michael Daunov, Masaru Miyagi, Elena Murphy, James J. Ignatz-Hoover, Leland Metheny, Seong-Jin Kim, James J. Driscoll, II

데스모이드(Desmoid) 종양

Journal of Clinical Oncology 2020, Volume 38, Number 15

A phase I study of TGF- β inhibitor, vactosertib in combination with imatinib in patients with advanced desmoid tumor (aggressive fibromatosis).

Authors: Hyo Song Kim, Jin-Hee Ahn, Jeong Eun Kim, Jung Yong Hong, Jeeyun Lee, Sung Hyun Kim, Jin Lee, Sunjin Hwang, Min Kyung Jeon, and Seong-Jin Kim | [AUTHORS INFO & AFFILIATIONS](#)

Publication: Journal of Clinical Oncology • Volume 38, Number 15, suppl • https://doi.org/10.1200/JCO.2020.38.15_suppl.11557

Cancers 2022, 14(23), 5975

Therapeutic Implications of TGF- β Pathway in Desmoid Tumor Based on Comprehensive Molecular Profiling and Clinicopathological Properties

by Kum-Hee Yun ^{1,†}, Changhee Park ^{2,†}, Hyang Joo Ryu ³, Chan-Young Ock ⁴, Young Han Lee ⁵, Wooyeol Baek ⁶, Hong In Yoon ⁷, Yoon Dae Han ⁸, Sang Kyum Kim ³, JooHee Lee ⁵, Seong-Jin Kim ⁹, Kyung-Min Yang ⁹, Seung Hyun Kim ^{10,*} and Hyo Song Kim ^{11,*}

Clinical Cancer Research, April 2024, 15;30(8):1457-1465

CLINICAL TRIALS: TARGETED THERAPY | APRIL 15 2024

Clinical Activity of TGF- β Inhibitor Vactosertib in Combination with Imatinib in Desmoid Tumors: A Multicenter Phase Ib/II Study

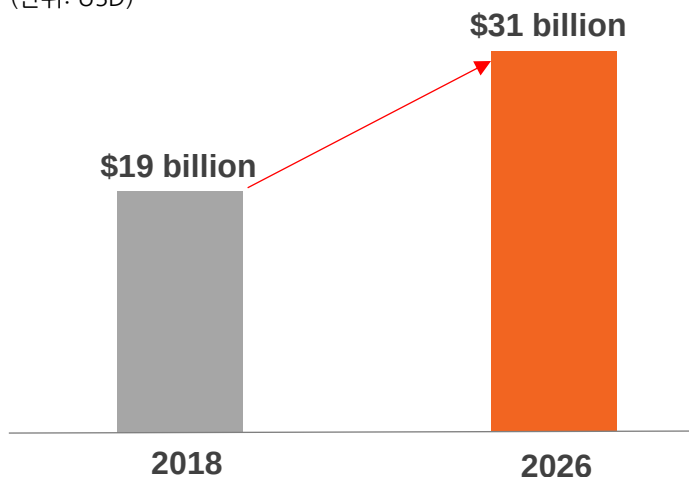
Jin-Hee Ahn, Jeeyun Lee, Changhee Park, Seung-Hoon Beom, Seung Hyun Kim, Young Han Lee, Kum-Hee Yun, Jeong Eun Kim, Wooyeol Baek, Yoon Dae Han, Sang Kyum Kim, Hyang Joo Ryu, Inkyung Jung, JooHee Lee, Hong In Yoon, Hyo Song Kim

06. 희귀질환 치료제 개발 전략

다발성골수종(Multiple Myeloma,MM)

다발성골수종 시장

(단위: USD)



*fortune business Insight. April 2020

- 다발성골수종은 형질세포 골수종으로도 불리며, 형질세포는 골수(myeloma)에서 항체를 생산하는 세포로 골수종은 비정상적인 형질세포의 증식임.
- 이러한 비정상적인 증식으로 면역장애, 조혈장애, 신장 장애 등이 발생
- 2018년 현재 다발성골수종 시장은 \$19 billion 규모이며 2026년까지 \$31 billion 규모로 성장할 것으로 전망
- 전 세계적으로 488,000명의 환자가 발생되고 이 중 101,100명이 사망에 이르는 치명적인 질환임

Global Top 10 Selling Orphan Drugs in 2028

순위	제품	성분명	회사	적응증	매출액 (USD Mn)
1	Darzalex	Daratumumab	J&J	Multiple myeloma(MM), Amyloidosis	17,022
2	Trikafta	Elexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor	Vertex Pharmaceuticals	Cystic fibrosis(CF)	8,753
3	Hemlibra	Emicizumab kxwh	Roche & Chugai Pharmaceutical	Hemophilia	6,203
4	Ultomiris	Ravulizumab	AstraZeneca	Myasthenia gravis, Hemolytic uremic syndrome, Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH)	5,184
5	Carvykti	Ciltacabtagene aJ & utoleuceI	J&J & Legend Biotech	Multiple myeloma(MM)	4,406
6	Jakafi	Ruxolitinib phosphate	Incyte & Novartis	Myeloproliferative disorder, Acute/Chronic Graft-versus-host disease(GvHD)	4,235
7	Calquence	Acalabrutinib	AstraZeneca	Chronic lymphocytic leukemia(CLL)	4,016
8	Brukina	Zanubrutinib	BeiGene	Follicular lymphoma(FL), CLL or Small lymphocytic lymphoma(SLL), Marginal zone lymphoma(MZL), Waldenstrom Macroglobulinemia(WM), Mantle cell lymphoma(MCL)	3,835
9	Lynparza	Olaparib	AstraZeneca	Ovarian cancer	3,451
10	Venclexta	Venetoclax	AbbVie	CLL, Myelodysplastic syndrome(MDS)	3,344

* Orphan Drug Report 2024; Orphan Drugs are Losing Their Sparkle, Evaluate

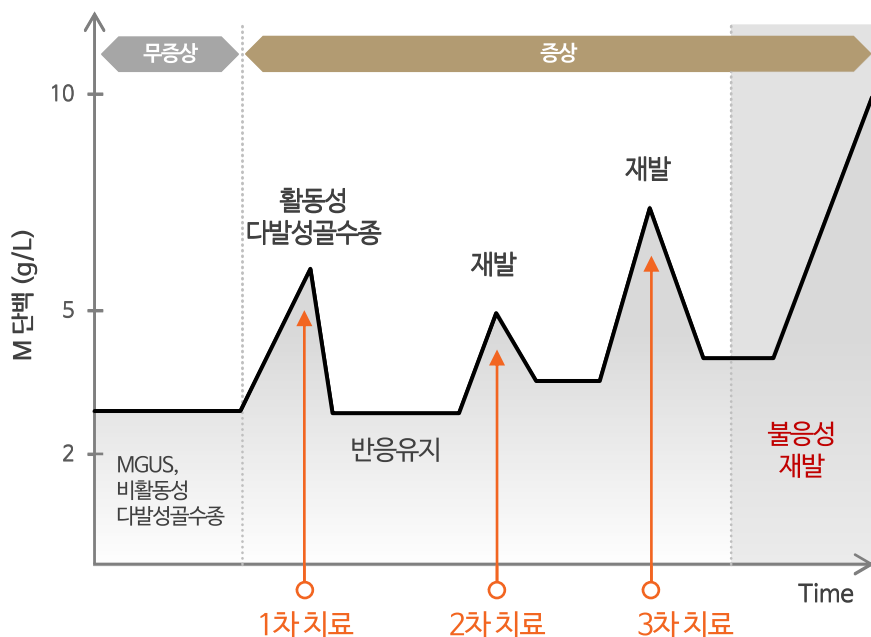
- Evaluate의 '2024년 희귀의약품 보고서'에 따르면 2028년 예상 매출 상위 10개 품목 중 다발성골수종 치료제가 2개를 차지
- 글로벌 희귀의약품 시장규모는 2024년 1,850억 달러에서 2028년 약 2,700억 달러까지 성장할 것

06. 희귀질환 치료제 개발 전략

다발성골수종(Multiple Myeloma, MM)

치료 대안이 없는 재발/불응 다발성골수종의 포말리스트와 병용투여 임상 결과 획기적인 치료 효과 입증

재발/불응 다발성골수종의 질환 경과



화학요법에
민감도

높음

낮음(내성)

낮음(내성)

이상반응
위험도

낮음

높음

높음

병용투여 임상1b상 결과 무진행생존율 80%

임상결과

백토서팁
+POM

ELOT
+Pd

DARA
+Pd

POM+
DEXA (Pd)

POM

6개월 무진행
생존율, PFS

80%

62%

58%

40%

20%

객관적반응률
(ORR)

32%

-

-

23%

-

주 : 다라투무맙 임상 출처 (Chari et al. (2017) Blood. 130:974)

POM - 포말리도마이드
ELOT - 엘로토주맙
DARA - 다라투무맙
DEXA - 덱사메타손

- 재발성/불응성 다발성 골수종에서 백토서팁과 포말리도마이드와 병용요법의 효과 확인
- 재발이 빈번하고 노인인구가 많은 위 질환에 안전한 치료옵션 제공

06. 희귀질환 치료제 개발 전략

골육종(Osteosarcoma)

골육종(Osteosarcoma)

- 미국 기준으로 1년에 1,000명 정도 골육종 환자가 발생하는 희귀암.
- 이중 대략 50%가 소아 및 청소년 환자
- 현재까지 5개(MAPIE)의 화학항암제 중 2개~3개의 약물 조합 치료법이 50년 이상 계속 쓰임
- 재발 시 좋지 않은 예후 (장기 재발 후 생존율은 5분의 1 미만)
- 재발한 환자들을 위한 2차치료제로써 허가된 표준치료제는 현재까지 없음

[표준 치료 가이드라인] NCCN Guideline for metastatic OS treatment

First-line	Cisplatin and doxorubicin (category 1)
	MAP (category 1) (high-dose methotrexate, cisplatin, and doxorubicin)
Second-line	Regorafenib (category 1)
	Sorafenib Ifosfamide (high dose) ± etoposide

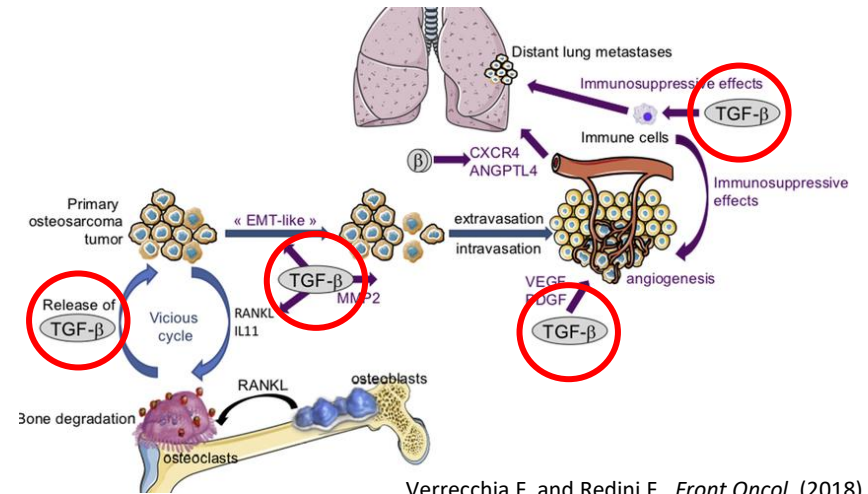
MAPIE: Cocktail chemotherapy treatment

골육종에서 백토서팁의 동정적 사용

- Alex Huang(MD, PhD)의 제안으로 미국에서 먼저 동정적 사용 시작
- 14세, 뇌전이, 폐전이가 진행된 재발성 골육종 환자



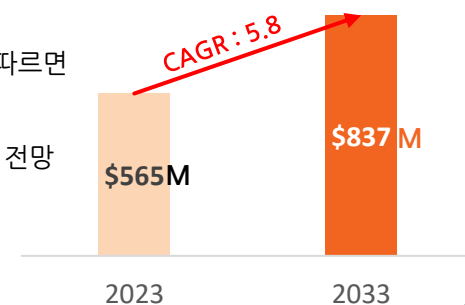
골육종 내 TGF-β의 역할



- 골육종의 성장 촉진
- EMT 유도를 통한 마이그레이션
- 골용해 및 종양전이인자분비 촉진으로 암활성화
- 혈관신생유도 및 항종양 반응 억제

골육종 시장 규모

Data Bridge Report에 따르면
글로벌 골육종 시장은
5억6,500만달러에서
8억3,200만달러로 성장 전망



06. 희귀질환 치료제 개발 전략

데스모이드종양(Desmoid tumor)

데스모이드종양(Desmoid tumor)

- 연조직 육종의 한 유형에 속하고 공격적인 섬유종증의 하나
- 데스모이드 종양의 경우 심한 통증과 장애를 수반할 수 있는 희귀 종양의 일종 (전체 악성 종양의 약 0.03%를 차지하는 초희귀 질병)
- 혈액·림프 전이는 적지만 재발 가능성이 높고, 방치할 경우 장기를 압박해 목숨을 위협 (재발을 최대 77%)

Unmet Medical Needs

지금까지 외과적 절제가 치료대안으로 사용되어 왔지만, 절제수술과 방사선요법 이외의 새로운 치료대안이 필요

[표준 치료 가이드라인]

Preferred Regimen	Nirogacestat (NCCN Category 1) - November, 2023 First approved treatment for DT
	Sorafenib (NCCN Category 1)
	Methotrexate and vinorelbine Methotrexate and Vinblastine
	Imatinib
Useful in Certain Circumstances	Sulindac or other NSAIDs



- 최초로 FDA로부터 승인된 데스모이드 종양 치료제('23.11)
- 당초 유방암치료제로 개발됐으나 개발에 실패했던 니로가세스타트를 데스모이드 종양 치료제로 상업화에 성공
- 미국에서 30정에 정가 29,000달러로 연간 약 4억원의 치료비 소요
- 증권사에서는 미국 매출을 2024년 7,900만 달러, 2032년 최고 매출 5억4,400만 달러로 추정

*TD Cowen analyst Yaron Werber's estimate)

데스모이드 병용투여 임상 (1b/2상 진행 결과)

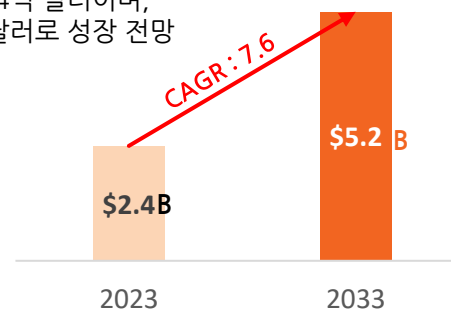
	백토서팁 + 이마티닙	이마티닙 단독
• 무진행생존율(PFS)		
16주	96.30%	88%
1년	81.00%	66%
• 객관적 반응률(ORR)		
	25.9%	5.9%

ref. 1. Clin Cancer Res. 2024 Feb 16.

2. Clinical Cancer Res. 2010 Oct 1;16(19):4884-91

데스모이드종양 시장 규모

Market.us 보고서에 따르면, 글로벌 데스모이드종양의 시장규모는 2023년 현재 24억 달러이며, 2033년 52억 달러로 성장 전망



Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO

Chapter 1.

Investment Highlight

Chapter 2.

Vactosertib

- TGF- β inhibitor
- 대장암
- 비소세포폐암
- 희귀질환 치료제
(골육종 / 데스모이드종양 / 다발성골수종)

Chapter 3.

New Programs

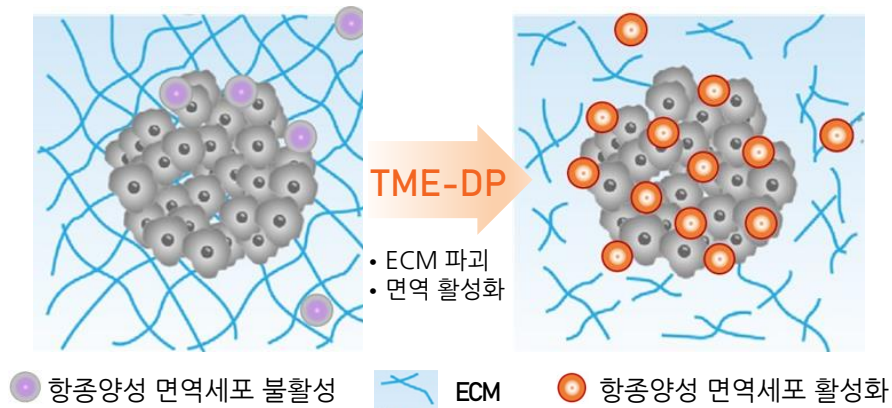
- MP010 (TME-DP)
- MP2021 (MOART)

Chapter 4.

Appendix

First-in-class, 차세대 TGF- β platform : TME-Disrupting Protein

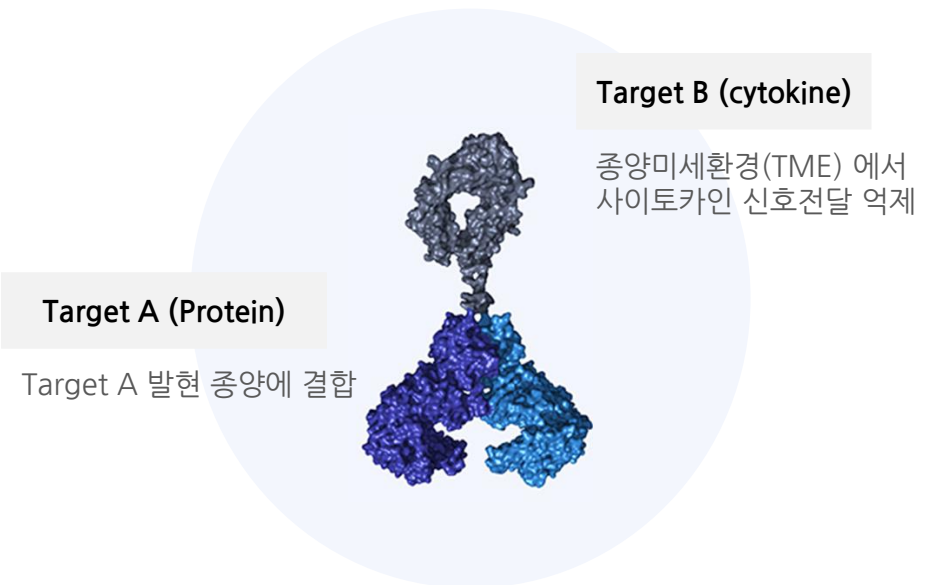
신개념 면역항암제



TME-DP (TME-Disrupting Protein)

- TME-DP는 신 개념 항체 공학을 접목된 면역글로불린 융합 이중 타겟 시스템으로 구성
- 종양미세환경(TME) 구성요소인 세포외기질 (ECM) 의 타겟 단백질에 결합하여, 국소적인 강력한 다중기능 사이토카인 신호전달을 억제 효과를 유도
- TME-DP는 종양 특이적 기질을 파괴/변형시킴으로써 강력하게 억제된 종양 공격성 면역세포를 활성화

TME-DP, Bifunctional Targeted Trap



잠재적응증

췌장암 및 삼중음성유방암(TNBC) 등

특징

- 단단한 세포외기질에 작용하여 기존 치료제들의 한계가 있던 질환의 치료제로 개발
- Target A를 통한 종양선택성 (tumor selectivity) 강화하여 off-target 감소

02. MP2021

first-in-class, Fc-fusion protein, inhibiting MOART

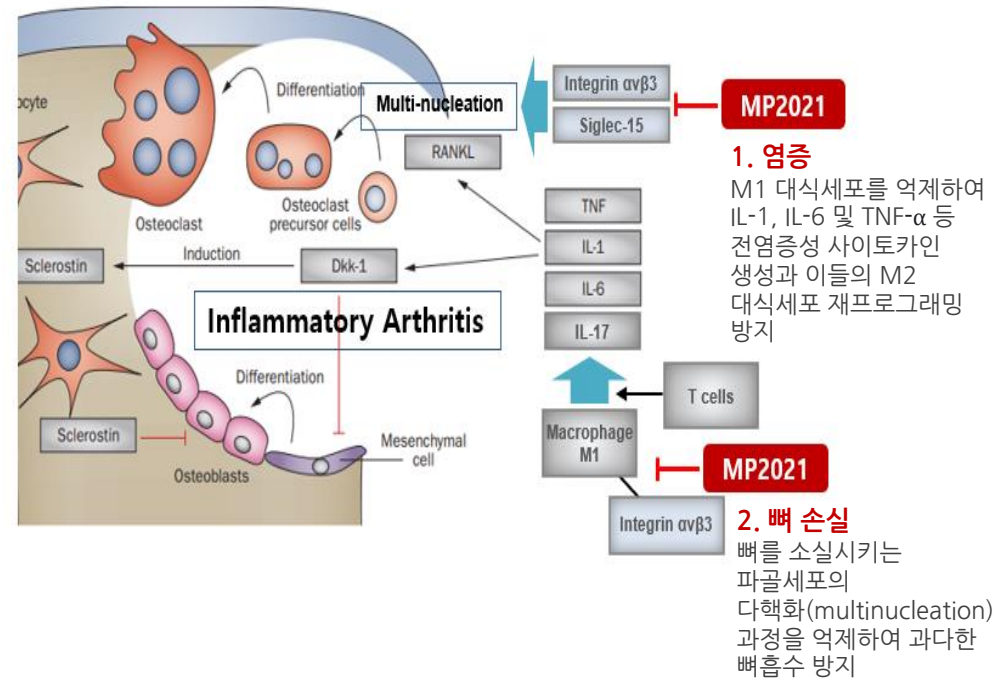
MOART / TM4SF19

- 이중작용 효과를 가지고 있는 신규표적
- 면역균형이 만성적으로 깨졌을 때만 발현
- 염증성 사이토카인과 연결된 M1 대식세포와 골흡수를 담당하는 파골세포에 직접적 작용

MP2021

- MOART를 억제하는 전임상 단계
- Fc-fusion protein
- 후보 질환은 면역체계이상으로 발생된 골관절 질환 및 염증성 관절염 치료제 개발
(골다공증, 류마티스 관절염, 건선성 관절염, 퇴행성관절염 등)

이중작용 효과를 가지고 있는 신규표적 : MOART



M1 대식세포와 파골세포를 직접적(Directly)으로 저해

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 1. Investment Highlight

Chapter2. Vactosertib

- TGF- β inhibitor
- 대장암
- 비소세포폐암
- 희귀질환 치료제
(골육종 / 데스모이드종양 / 다발성골수종)

Chapter3. New Programs

- MP010 (TME-DP)
- MP2021 (MOART)

Chapter4. Appendix

01. 회사 현황

MED·PACTO

MED·PACTO

French

Latin

'medical treatment, cure, remedy'

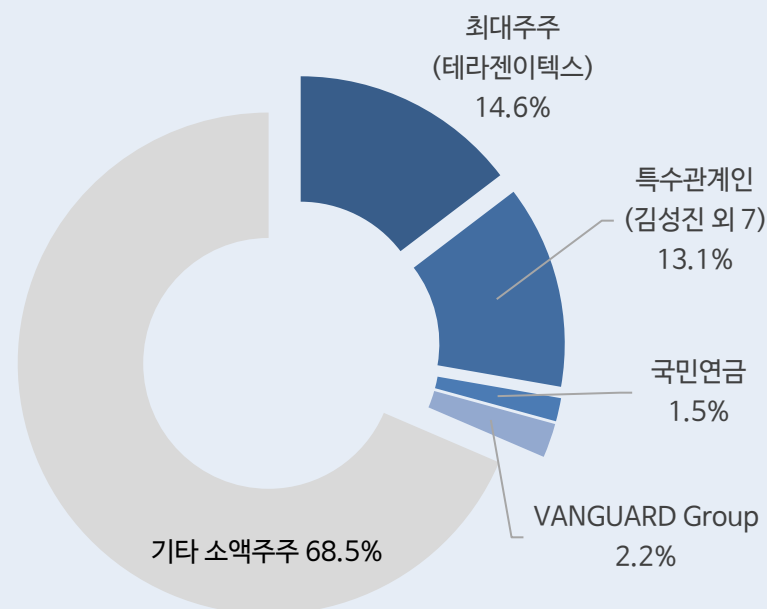
médicine*pactum*

'agreement, promise, covenant'

회사 개요

회사명	주식회사 메드팩토
대표이사	김 성 진
설립일	2013.06.19
상장일	2019.12.19
자본금	167.9억원 ('23년 결산 기준)
임직원수	73명 ('23년 12월말 기준)
본사주소	서울특별시 서초구 명달로 92 (서초동, 보림빌딩)
사업영역	의약품 연구개발
보통주	33,580,695
우선주	82,146
총 발행주식	33,662,841

주주 구성 (2024년 6월말 기준)



02. 재무 현황

연결 재무상태표

(단위 : 백만원)

	2023	2022	2021
자산			
유동자산	75,154	100,331	126,085
비유동자산	5,320	7,356	7,260
자산총계	80,474	107,687	133,346
부채			
유동부채	7,741	72,799	978
비유동부채	1,824	2,565	88,825
부채총계	9,566	75,365	89,803
자본			
지배기업 소유주에 귀속되는 자본	70,909	32,323	43,543
자본금	16,790	10,540	10,258
자본잉여금	233,030	165,396	141,372
기타자본	242	216	(11)
결손금	(179,154)	(143,829)	(108,076)
비지배지분	-	-	-
자본총계	70,909	32,323	43,543
부채 및 자본총계	80,474	107,687	133,346

연결 손익계산서

(단위 : 백만원)

	2023	2022	2021
매출액	-	-	-
매출원가	-	-	-
매출총이익	-	-	-
판매비와관리비	28,758	37,193	29,459
영업이익(손실)	(28,758)	(37,193)	(29,459)
금융수익	741	13,862	20,347
금융비용	7,095	11,993	7,769
기타수익	294	301	270
기타비용	116	205	67
관계기업손익	(390)	(525)	(361)
법인세비용차감전순이익(손실)	(35,325)	(35,753)	(17,040)
법인세비용(수익)	-	-	-
당기순이익(손실)	(35,325)	(35,753)	(17,040)

TGF- β 와 암 연구의 세계적인 석학

300여 편의 논문

네이처 등의 저널에
암, 염증, TGF- β 관련 연구결과 발표

4,200회

TGF- β 연구 논문 인용 횟수한국인 최초
개인 유전체 해독

개인 유전체로 세계 5번째

한국인 위암
유전체 해독한국인의 현미부수체
불안정 위암의 유전체 최초 해독

김 성 진

대표이사



주요 경력

- 2016.07 ~ 현재 : (주) 메드팩토 대표이사
- 2007.01 ~ 현재 : 미국케이스웨스턴리저브의과대학 초빙교수
- 2021.03 ~ 현재 : 길로 재단, 연구소장
- 2010.04 ~ 현재 : 일본 쓰꾸바 대학 초빙교수
- 2016.07 ~ 2021.02 : 서울대학교 차세대융합기술연구원
정밀의학연구센터 센터장
- 2011.03 ~ 2018.12 : (주) 테라젠이텍스, 부회장
- 2018.01 ~ 2018.12 : 대한암예방학회 회장
- 2010.09 ~ 2016.06 : 차 의과대학교 암연구소 연구소장/연구원장
- 2007.01 ~ 2010.08 : 가천대학교 이길여 암당뇨연구원 원장
- 1987.03 ~ 2007.02 : 미국 국립암연구소 종신수석연구원

주요 수상 실적

- 호암상 의학상 (2002)
- 자랑스런 강원인상 (2007)
- 상록학술대상 (2008)
- 제6회 동곡학술상 (2011)
- 페루 Congressional Medal (2011)
- 한국분자 세포생물학회
Gold Ribbon Award (2015)
- 일본암학회 국제상 (2017)
(Japanese Cancer Association)



04. Clinical Advisory Board(임상자문위원회)

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.

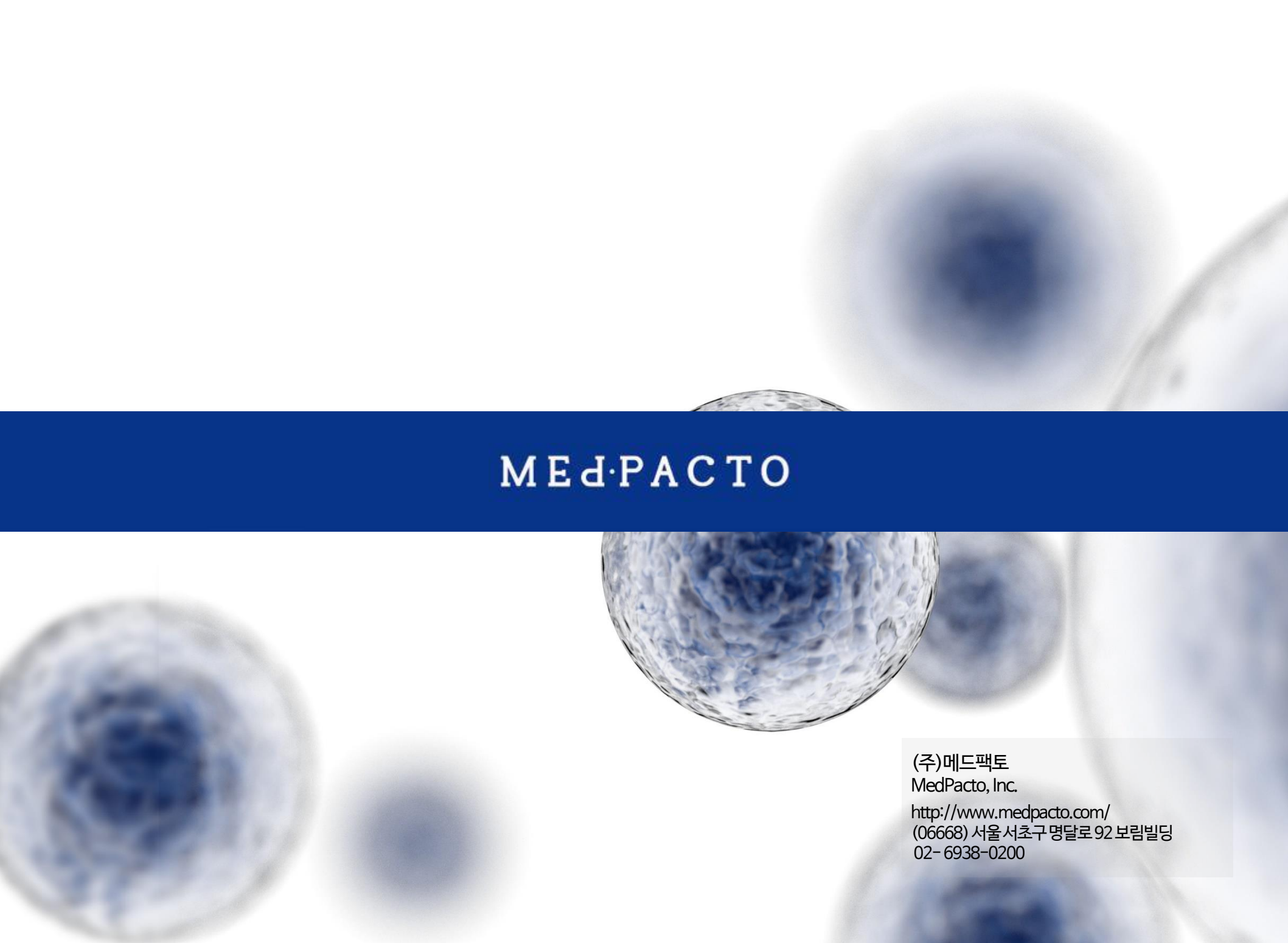


- Currently a board-certified orthopedic surgeon specializing in spine surgery
- Practices at the Spine Center, Cedars-Sinai Medical Center, and the Spine Institute in Santa Monica, California.

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.



MEPACTO

(주)메드팩토
MedPacto, Inc.
<http://www.medpacto.com/>
(06668) 서울 서초구 명달로 92 보림빌딩
02-6938-0200