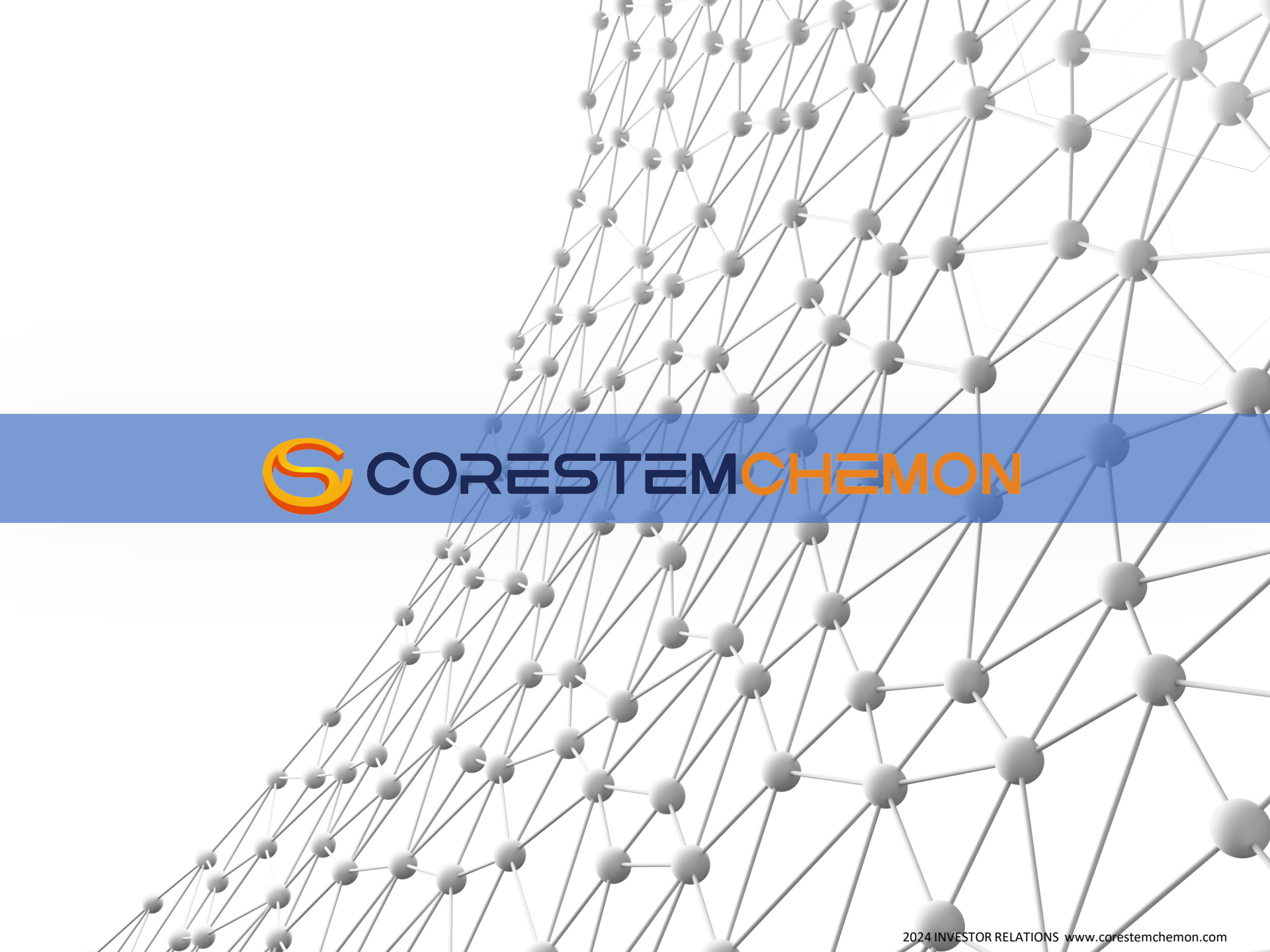

CORESTEMCHEMON

Disclaimer

본 자료는 정보 제공을 목적으로 코아스템켐온 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.

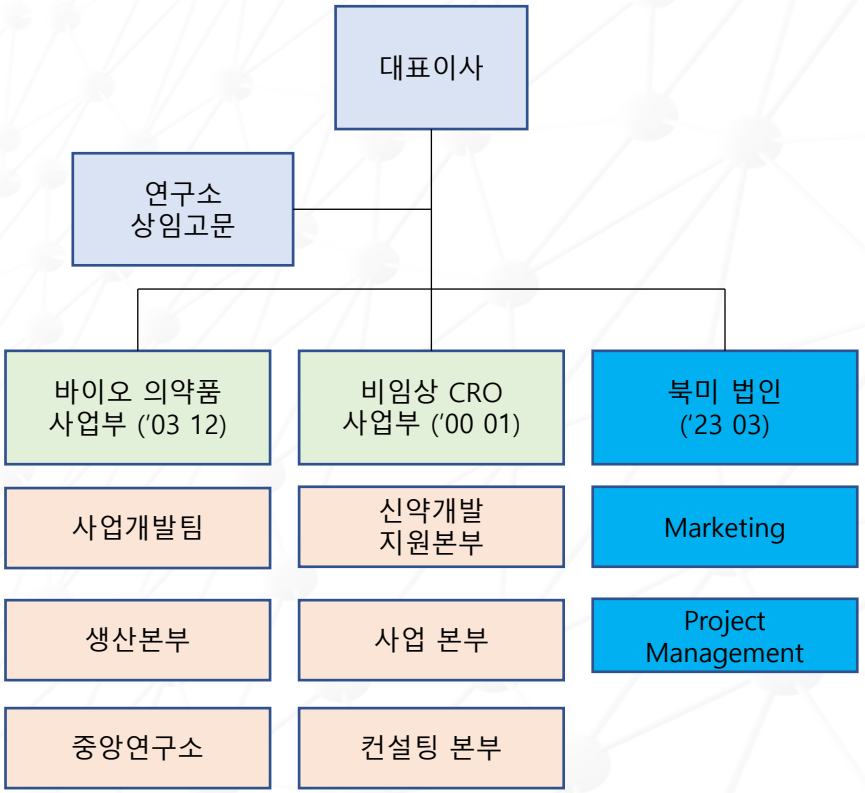
본 자료에 포함된 의약품 관련 정보는 회사가 알고 있는 범위에서 작성된 것이므로, 작성된 정보의 정확성, 적합성, 완전성, 유용성을 보장하지 않으며 객관적 사실과 다를 수 있음을 알려드립니다. 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

회사 개요

회사 요약

회 사 명	코아스템켐온㈜ (KOSDAQ : 166480)
대표이사	양 길 안
합병 일자	2023년 12월
임직원 수	391명 (2024)
주요사업	세포치료제의 개발, 제조 및 공급 비임상 및 임상실험 대행업 등
사업장	판교 본사: 경기도 성남시 분당구 판교로 255번길 24 (삼평동) 2층
홈페이지	http://www.corestemchemon.com/

회사 구조



각 사업부 연구 및 사업영역

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

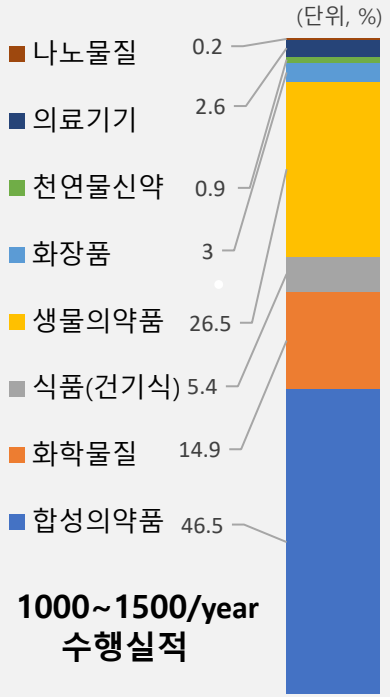
효능(유효성, 약효) 평가

효능평가시험 수행 및 개발
질환모델 동물제작/판매

기타(병리, 분석) 평가

조직병리 및 임상병리, 물질분석,
생체시료분석

물질별 시험실적



1000~1500/year 수행실적

CORESTEMCHEMON

주요 파이프 라인

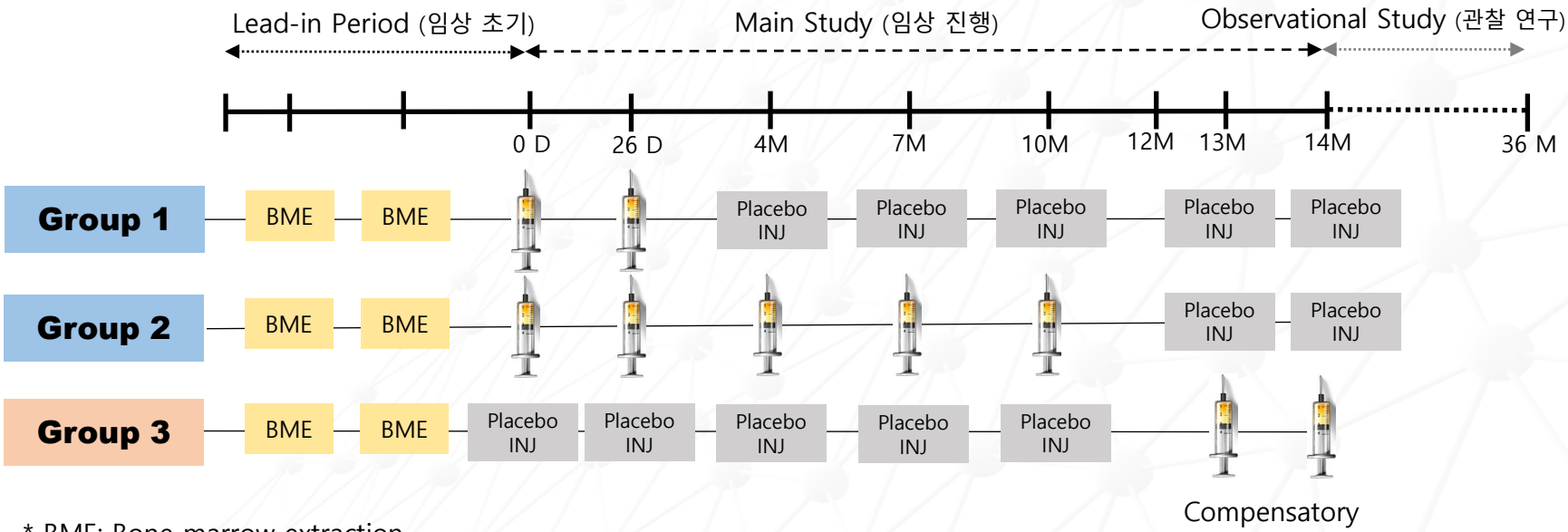
First in Class / Best in Class

Cell type	Name	Indication	Research	Nonclinical	Phase1	Phase2	Phase3	임상기관
중간엽줄기세포 (MSC)	Neuronata-R (Lenzumestrocel)	루게릭병	임상 3상 진행 '24년 10월 완료					한양대 외 4개기관
	Artificial CSF	Neuronata-R 첨가제	임상 1상 완료					한양대학교
	CE111BR16	다계통위축증	임상 1상 완료					연세 세브란스
	CE211BR19	소뇌실조증	IIT 완료					경북 칠곡대학교
	CE211NS21	시신경척수염	임상 1상 계획서 제출 완료					서울대 외 3개기관
iPSC, ESC	Astrocyte	파킨슨병	전임상 진행중					코아스템켐온
중간엽줄기세포 (MSC)	CE211AT15	루푸스	1상 종료 및 IIT					한양대
EV	EV231LU20	섬유화증	전임상 진행중					서울아산병원

CORESTEMCHEMON

뉴로나타-알 임상 3상 프로토콜

적응증	대상 환자 수	디자인
초기~중등증 근위축성 측삭경화증	126명 (등록완료) 그룹 1: 시험군 26명 그룹 2: 시험군 50명 그룹 3: 대조군 50명	이중눈가림, 무작위배정, 다기관, 위약대조, 평행



* BME: Bone marrow extraction
* INJ: Injection

CORESTEMCHEMON

뉴로나타-알 (Lenzuemstrocel)

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

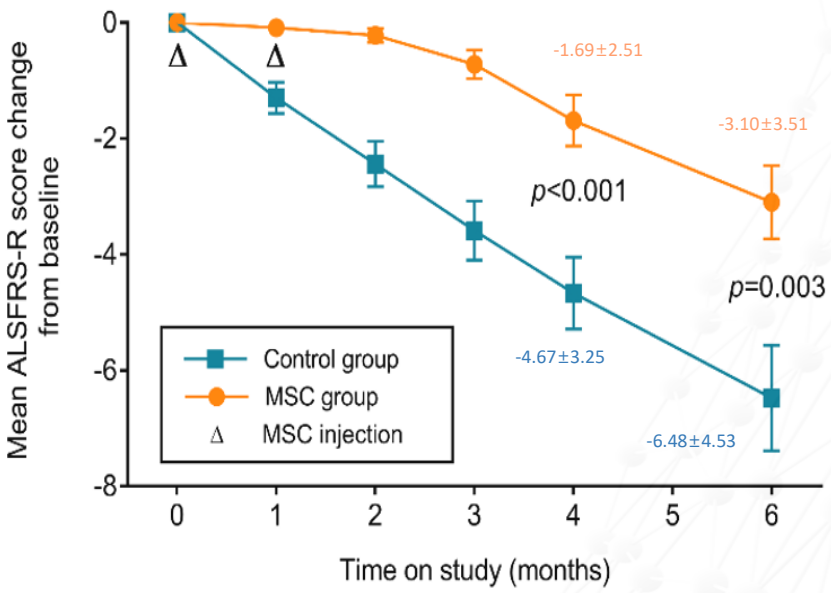
- 2023.08 뉴로나타-알주 임상3상 환자등록 완료
- 2021.04 뉴로나타-알주 식약처 3상 개시 및 첫 환자 투여
- 2020.08 뉴로나타-알주 식약처 3상 임상시험계획 변경 승인
- 2020.07 뉴로나타-알주 미국 FDA 3상 임상시험계획 승인
- 2019.03 뉴로나타-알주 유럽 EMA 희귀의약품 지정
- 2018.08 뉴로나타-알주 미국 FDA 희귀의약품 지정
- 2014.07 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 제조판매 품목허가 승인
- 2013.08 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 임상 2상 종료
- 2011.11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

23. 12 FDA 1차 Type C	24.02 IDMC 진행권고	24.10 환자 투여 완료	24.10 이후 환자 투여 완료
임상 3상 프로토콜 및 임상진행 이견 없음	독립적 데이터 모니터링 “임상 3상 계획 변경 없이 진행” 권고	24.10월 최종 등록된 환자 투여 완료	데이터 취합 및 분석 진행 전체 글로벌 제약사 알림

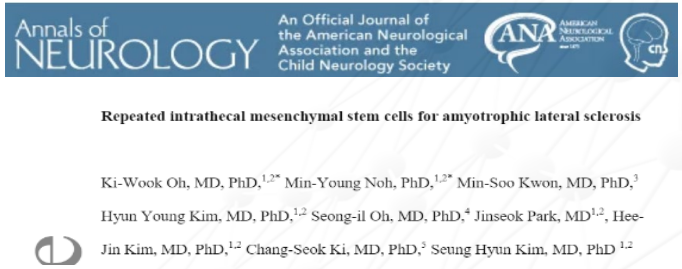
CORESTEMCHEMON

뉴로나타-알 (Lenzumestrocel) 임상 2상 결과 및 PMS

Primary outcome : Changed ALSFRS-R Score after MSC Tx

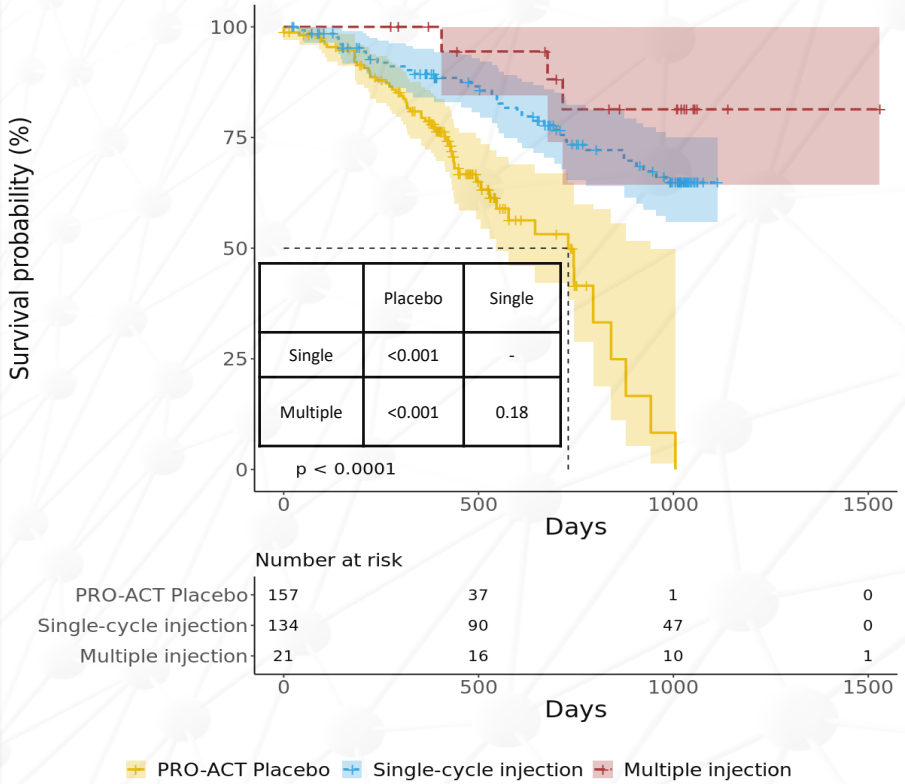


Total 59 patients (MSC group: 32, Control group: 27) were analyzed in phase II



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

Post Market Surveillance (PMS) Data

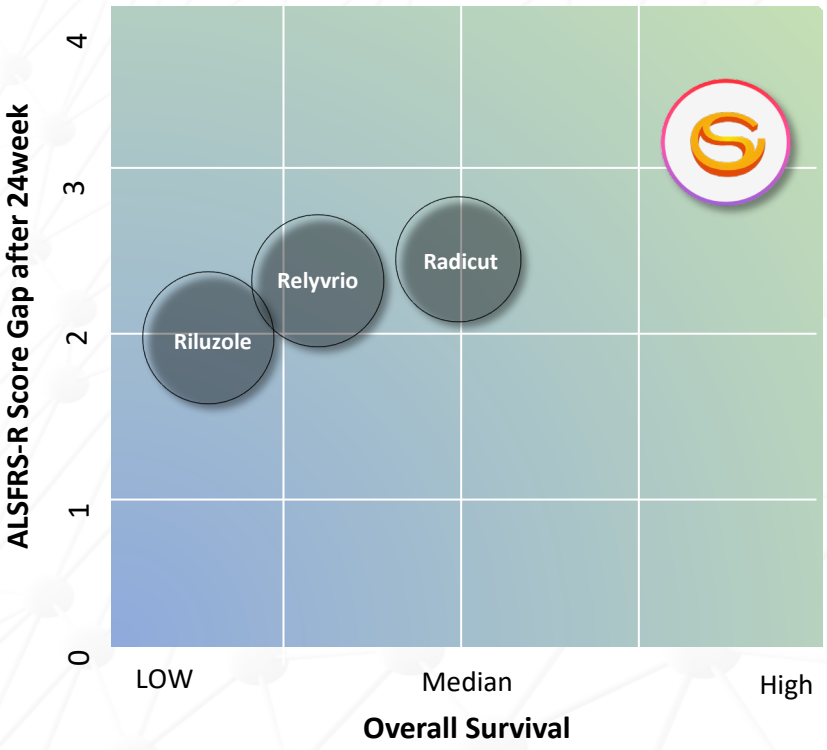


frontiers

·Published an article of PMS in April 2022.

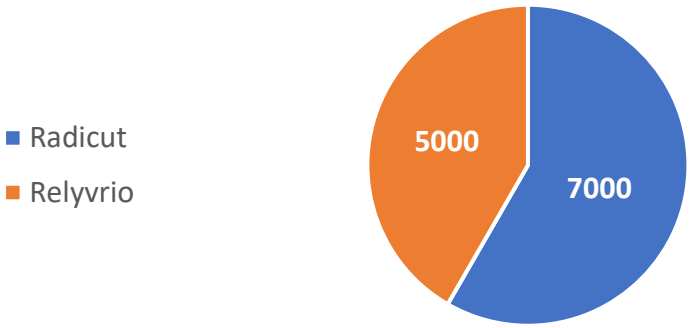
ALS 질환 내 경쟁사 Data 비교 분석

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



북미 시장 대표 약물 및 시장 규모

북미 루게릭 시장 내 매출 (2023)



북미 시장 내 정식 허가 약물

Name (Company)	Riluzole (Sanofi)	Radicut (Mitsubishi Tanabe)	Relyvrio (Amylyx Pharma)	Tofersen (Biogen)
Date of Approval	1987	2017	2022 (시장 철수 중)	2022 (조건부)
Type	Small molecule	Small molecule	Small molecule	Small molecule
투여경로	경구 (타블렛)	정맥주사, 경구(필름)	경구 (분말)	주사제

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**

미국 단일 시장 연간 매출액 약 5,000억원(min) 예상

AMYLYX

Relyvrio

'23 매출액 약 5,100억원

연간 약가 $158,000
(약 2억원)

Mitsubishi Tanabe Pharma

Radicut

'23 매출액 약 7,000억원 추정

연간 약가 $170,000
(약 2억 3천만원)

CORESTEMCHEMON

MSCs (중간엽 줄기세포) 에 관한 루게릭 치료제 가능성

Original Article

Safety and efficacy of bone marrow derived-mesenchymal stem cells transplantation in patients with amyotrophic lateral sclerosis

Jalil Tavakol-Afshari [a 1], Amir Reza Boroumand [b 1], Najmeh Kaffash Farkhad [a c], Amir Adhami Moghadam [d e], Sajad Sahab-Negah [b f], Ali Gorji [b f g h i]

Show more

Add to Mendeley Share Cite

https://doi.org/10.1016/j.reth.2021.07.006

Get rights and content

Under a Creative Commons license

open access

5. Conclusion

Our results demonstrated that the IT and IV transplantation of BM-MSCs in ALS patients is a safe procedure and could slow down the progression of the disease. To confirm the most effective methods of delivery and suitable doses in single or repeated applications of BM-MSCs treatment, further clinical investigations with more patients and longer follow-up periods as well as with the repetitive application of BM-MSCs are required.

"ALS 환자에게 BM-MSC 시술은 안전한 시술이며 질병의 진행을 늦출 수 있다는 것을 확인하였다. "

Iran J Basic Med Sci. 2023; 26(8): 872–881.
doi: 10.22038/IJBMS.2023.66364.14572

PMCID: PMC10329242
PMID: 37427325

Mesenchymal stem cell therapy in amyotrophic lateral sclerosis (ALS) patients: A comprehensive review of disease information and future perspectives

Shahrzad Najafi,[1] Parizad Najafi,[1] Najmeh Kaffash Farkhad,[2] Ghazal Hosseini Torshizi,[1] Reza Assaran Darban,[1] Amir Reza Boroumand,[3] Sajad Sahab-Negah,[3,4] Mohammad Ali Khodadoust,[2] and Jalil Tavakol-Afshari[2,*]

Author information Article notes Copyright and License information PMC Disclaimer

Conclusion

Go to:

To sum up, ALS is a fatal neuro-degenerative disease affecting all aspects of the sufferer's lifestyle including speaking, swallowing, breathing, moving, and their survival. To date, with the exception of Riluzole for disease management, there is no definitive cure for ALS. In this regard, MSCs are considered a good therapeutic approach due to their brilliant features like anti-inflammatory, immunoregulatory, and differentiation ability. There are many pre-clinical and clinical studies using MSCs in ALS management with promising results. This article aimed to collect general information and available data in this field.

"MSC는 항염증, 면역 조절 및 분화 능력과 같은 뛰어난 특징으로 좋은 치료적 접근 방식으로 간주되며 ALS 관리에 MSC를 사용하는 많은 전임상 및 임상 연구가 유망한 결과를 보이고 있다. "

CORESTEMCHEMON

MSCs (중간엽 줄기세포) 에 관한 루게릭 치료제 가능성

FDA, ALS와 같은 희귀난치성질환에 대한 승인규제 완화 추세

AMYLYX

- 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

임상2상 결과발표	조건부 승인 청원	FDA자문위 데이터 불충분 의견	생존기간 연장 데이터 10.5개월 발표	캐나다 승인	FDA자문위 승인권고로 의견 변동 후 조건부 승인	임상3상 실패
2020년 9월	11월	2022년 3월	5월	6월	9월	2024 1Q

Biogen

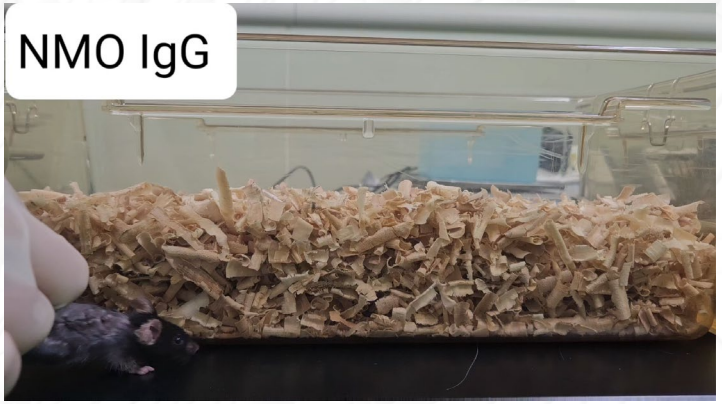
- 전체 ALS 환자의 2%를 차지하는 SOD1유전형 환자 대상 (미국내 330명 예상)
- 임상3상 1차 주요평가지표에서 유의성 입증 실패
- 기존 주요평가지표가 아닌 NfL 지표를 바이오 마커로 인정,전문가 자문위원회 9명 전원 찬성
- 2023년 4월 25일 가속승인 확정
- 정식승인을 위한 임상 3상 진행 중(시험명: ATLAS)

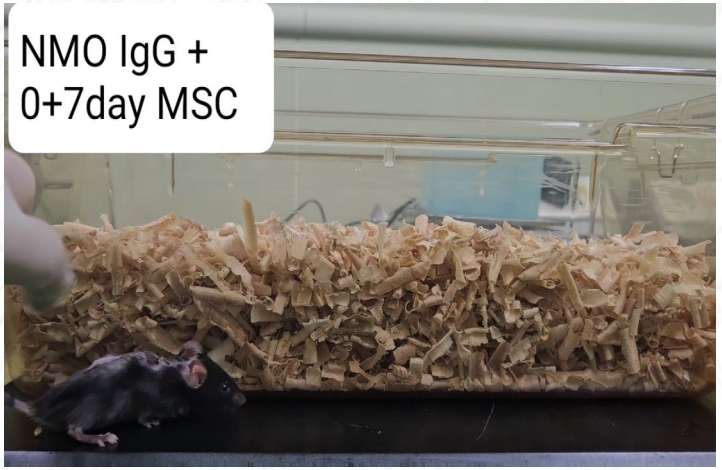
임상3상 주요지표달성 실패	FDA 시판허가신청	초기환자대상 유효 데이터 발표	FDA시판허가검토 기한 3개월 연장	FDA자문위 가속승인검토 전원 찬성	FDA 승인
2021년 10월	2022년 7월	9월	10월	2023년 3월	4월 25일

CORESTEMCHEMON

시신경 척수염 임상 1상

항목	내용
1.배경	FDA 승인된 시신경 척수염의 모든 치료제는 재발 예방 약제이며, 신경 회복 및 장애 회복 치료제는 전무함
2.유형	동종 골수 유래 중간엽줄기세포
3. 효능	시신경척수염 최초의 신경회복 및 장애회복을 통한 재생의료치료제
4. 단계	임상 1상 계획서 제출 완료 / 연내 임상 1상 진행 (11~12월)
5. 임상기관	서울대, 연세대, 한양대, 경희대 (김성민, 신하영, 김승현, 오성일)





오송 cGMP

줄기세포치료제 생산 및 연구 목적 오송 cGMP 완공

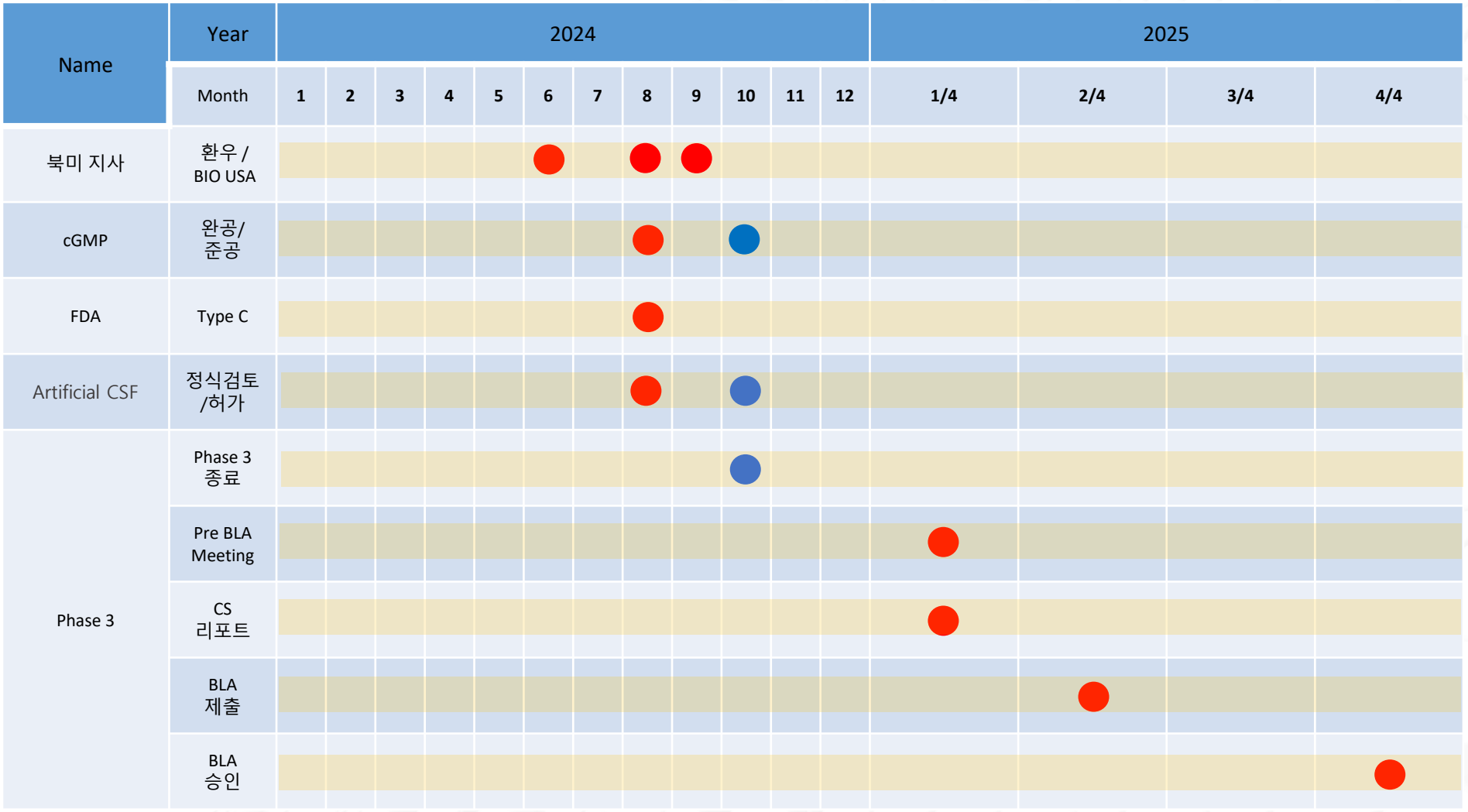
'24년 8월

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

전체 일정


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
북미 지사
환우 / BIO USA
cGMP
완공/ 준공
FDA
Type C
Artificial CSF
정식검토 /허가
Phase 3
Phase 3 종료
Pre BLA Meeting
CS 리포트
BLA 제출
BLA 승인

Thank you

Q&A