

INVESTOR RELATIONS 2024 Oct.

The logo for CUROCELL features the company name in a bold, dark blue, sans-serif font. The letter 'O' is replaced by a stylized orange and red sun or cell icon. The background of the slide is a light blue laboratory setting with a person in a white lab coat and blue gloves holding a test tube. There are several other test tubes in a rack, some containing blue liquid. A large, glowing DNA double helix is overlaid on the left side of the image. Various scientific symbols like a plus sign, a hexagon, and a magnifying glass are scattered throughout the background.

**CUROCELL**

## 혁신적인 항암면역세포치료제 개발의 선두주자

면역세포를 이용한 항암세포 치료제 개발 전문 기업입니다.  
차별화된 기술개발로 보다 많은 환자에게 희망을 주는 기업으로 성장해 나가고 있습니다.

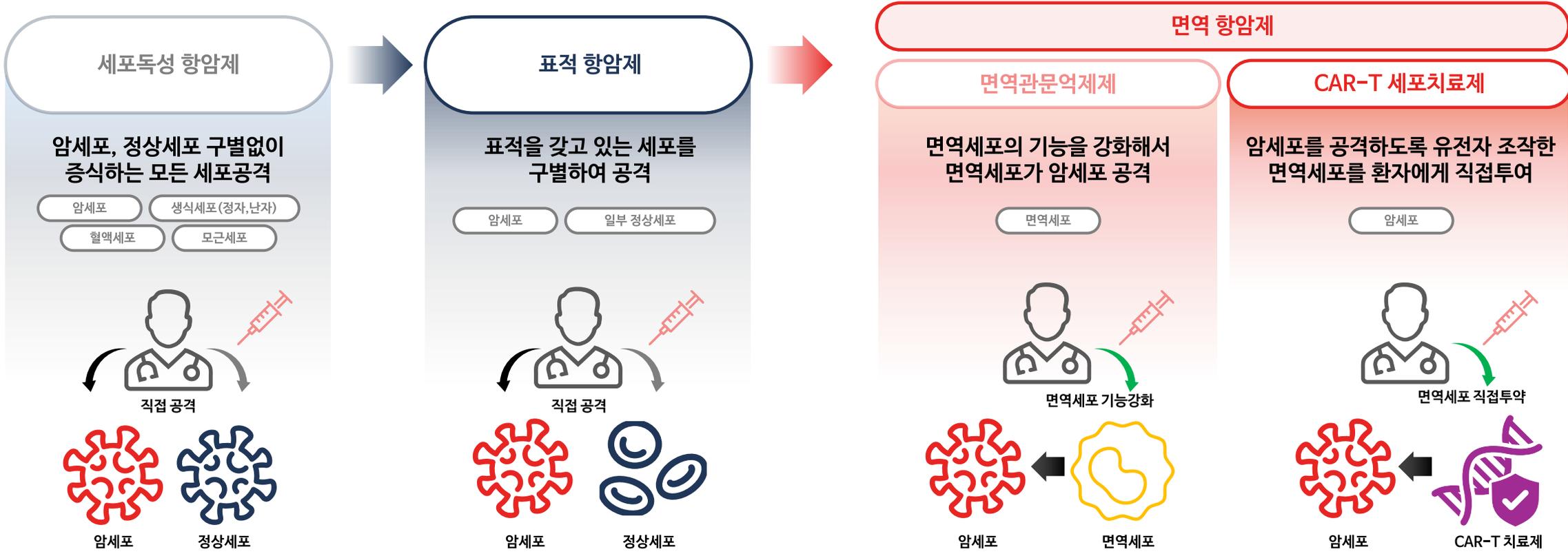
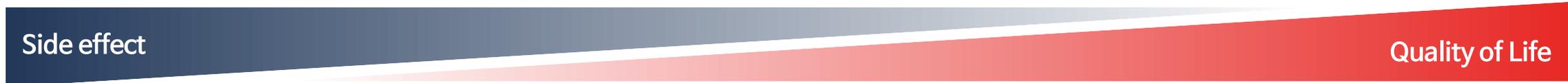


01  
chapter

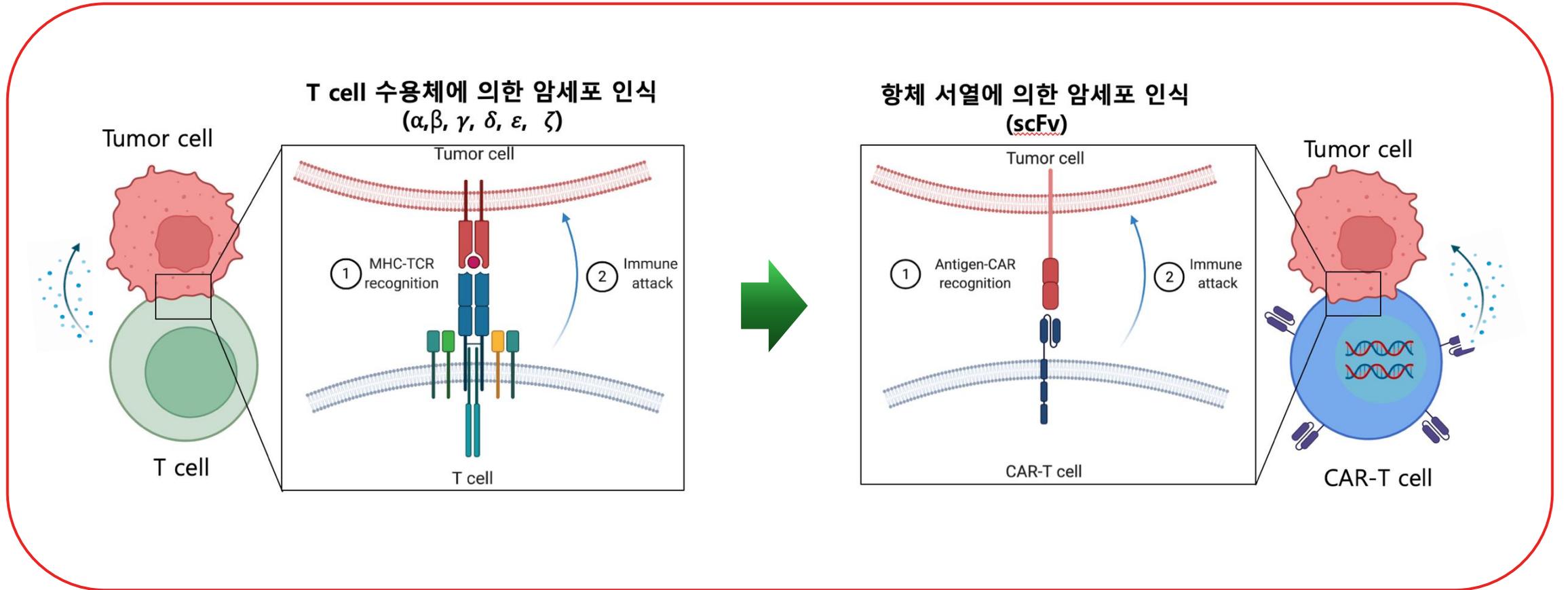
# CAR-T 치료제

1. 항암제 발전과 면역항암제의 출현
2. CAR-T 치료제 작동원리
3. CAR-T 치료제 가치와 한계

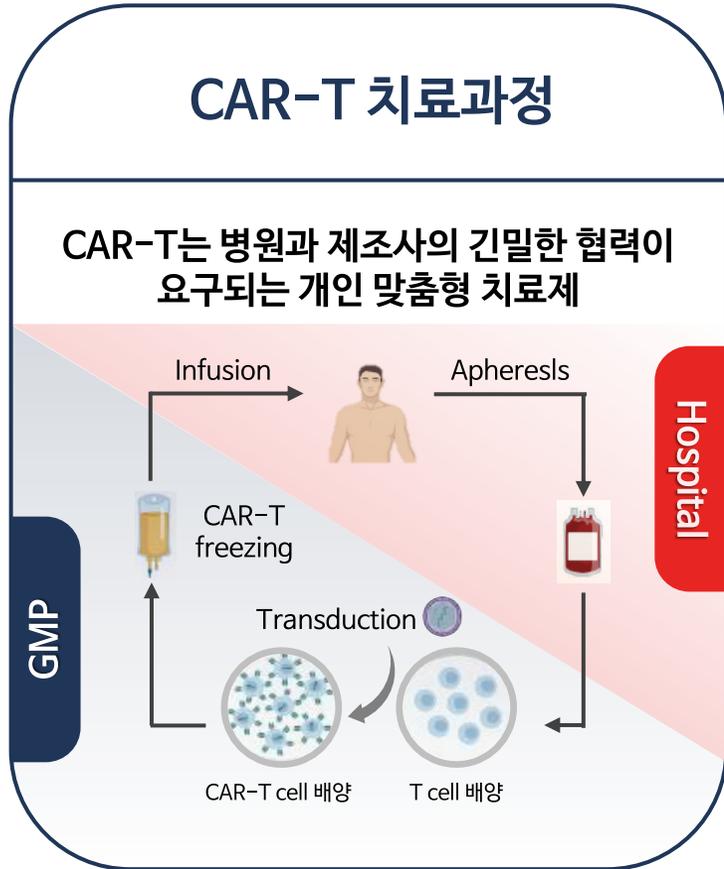
항암제는 심각한 부작용을 줄여 삶의 질을 높이고 수명을 연장하는 방향으로 발전하고 있음



T cell 수용체를 대신하여 CAR를 통해 암세포를 인식, 활성화를 유도하여 T세포 고유의 면역기능으로 암세포 제거



CAR-T 치료제는 혈액암에서 가치를 입증하였으나 한계 극복을 위한 차세대 기술개발 필요



### CAR-T 치료제의 가치

1회 투여로 장기간 생존 및 완치를 기대할 수 있는 첨단 세포유전자 치료제

치료 전

재발성, 불응성 환자

치료 후 90일

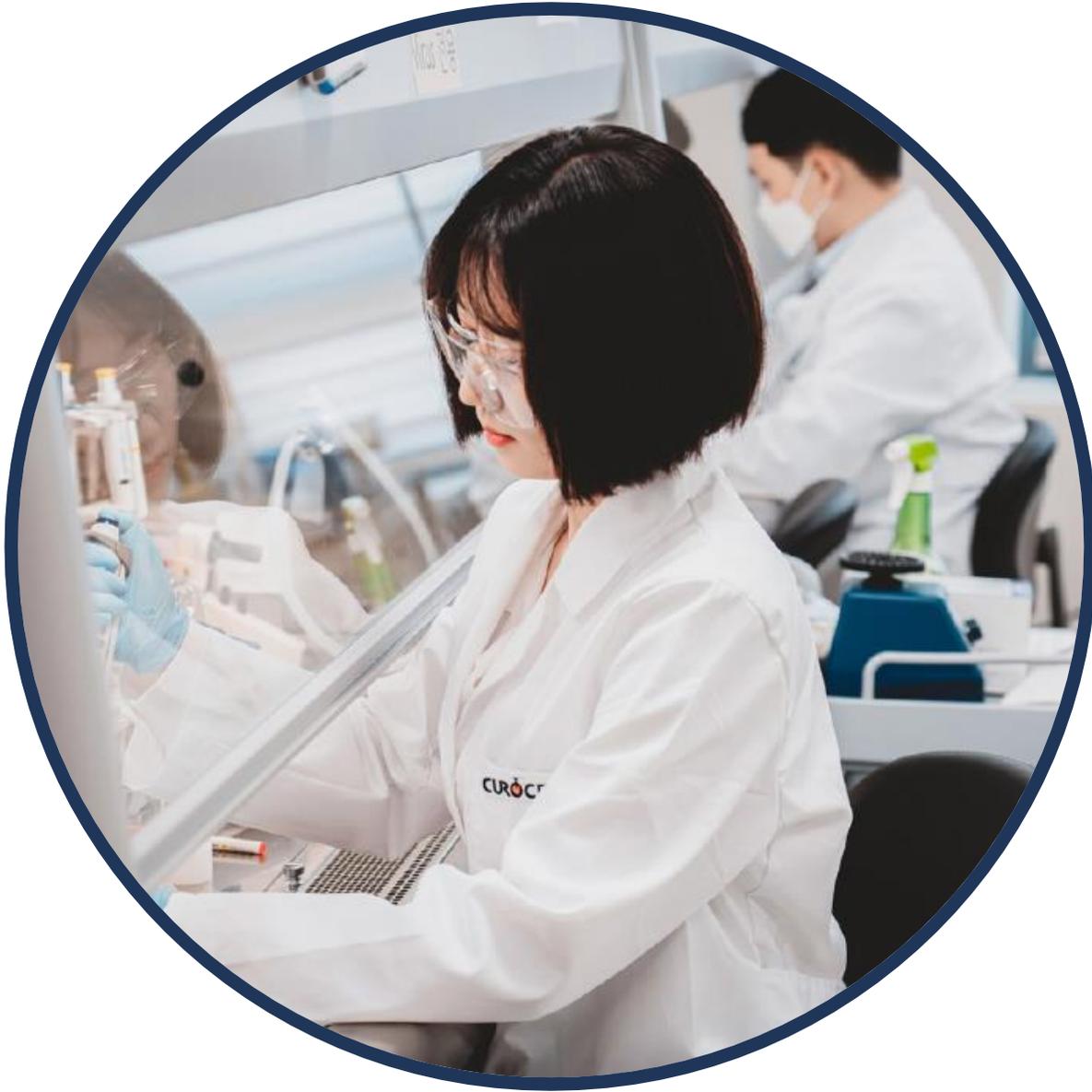
완전관해

**환자 별 맞춤형약품 → 높은 가격**  
- 국내 3억 6천만원, 해외 USD 373,000

### Next Big Things

혈액암에서의 놀라운 가치를 입증했으나 극복해야 할 한계점 존재

- 1** Leukemia, Lymphoma 환자의 long term survival 유지  
CD19 antigen loss, lack of persistency로 인한 재발
- 2** Lymphoma, Myeloma의 치료성적 향상  
DLBCL (CR~40%) \*B-ALL (~80%)
- 3** Solid cancer에서의 치료가능성 제시  
Intracavitarily delivered mesothelin CAR-T w/ pembrolizumab (14명 환자 중 2명 CR, 5명 PR, 4명 SD : 2019 ASCO)



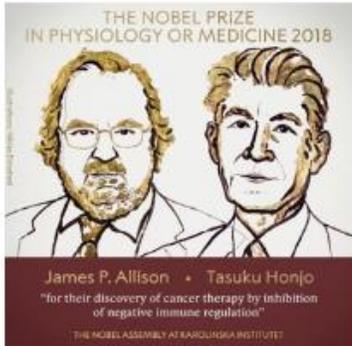
02  
chapter

## 임상 및 기술 개발 현황

1. 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)의 차별점
2. 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)개발
3. Anbal-cel 치료제
4. Anbal-cel 적응증 및 임상 결과
5. Anbal-cel의 추가 적응증
6. 허가일정
7. 큐로셀 CAR-T 치료제 pipeline
8. 큐로셀 CAR-T 기술역량

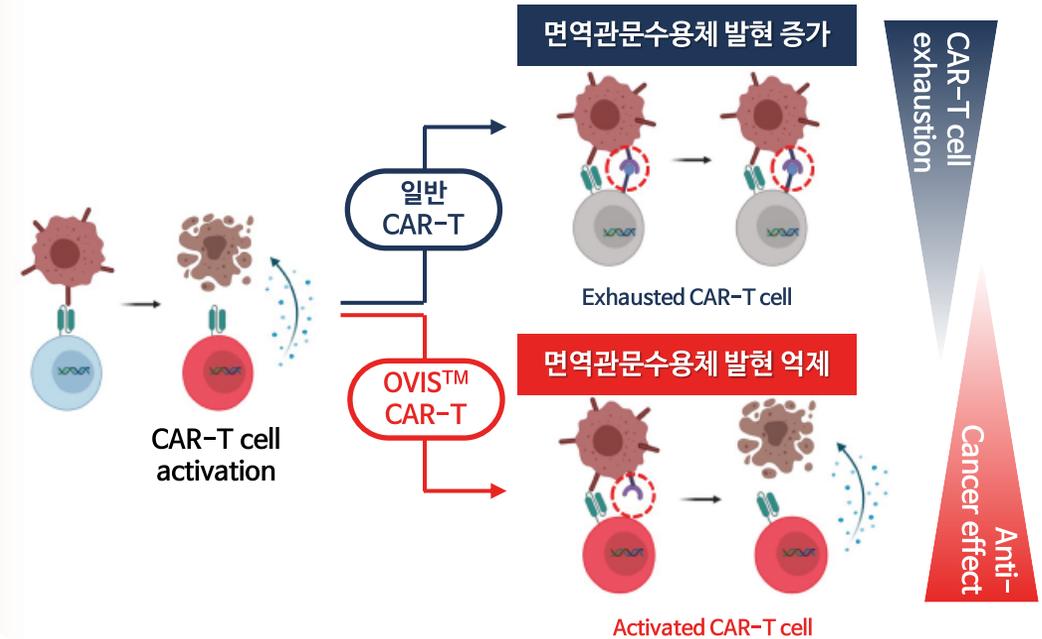
면역관문수용체 발현 억제 기술로 기존 CAR-T 치료제의 약효 개선을 목표로 함

면역관문억제제의  
항암효과

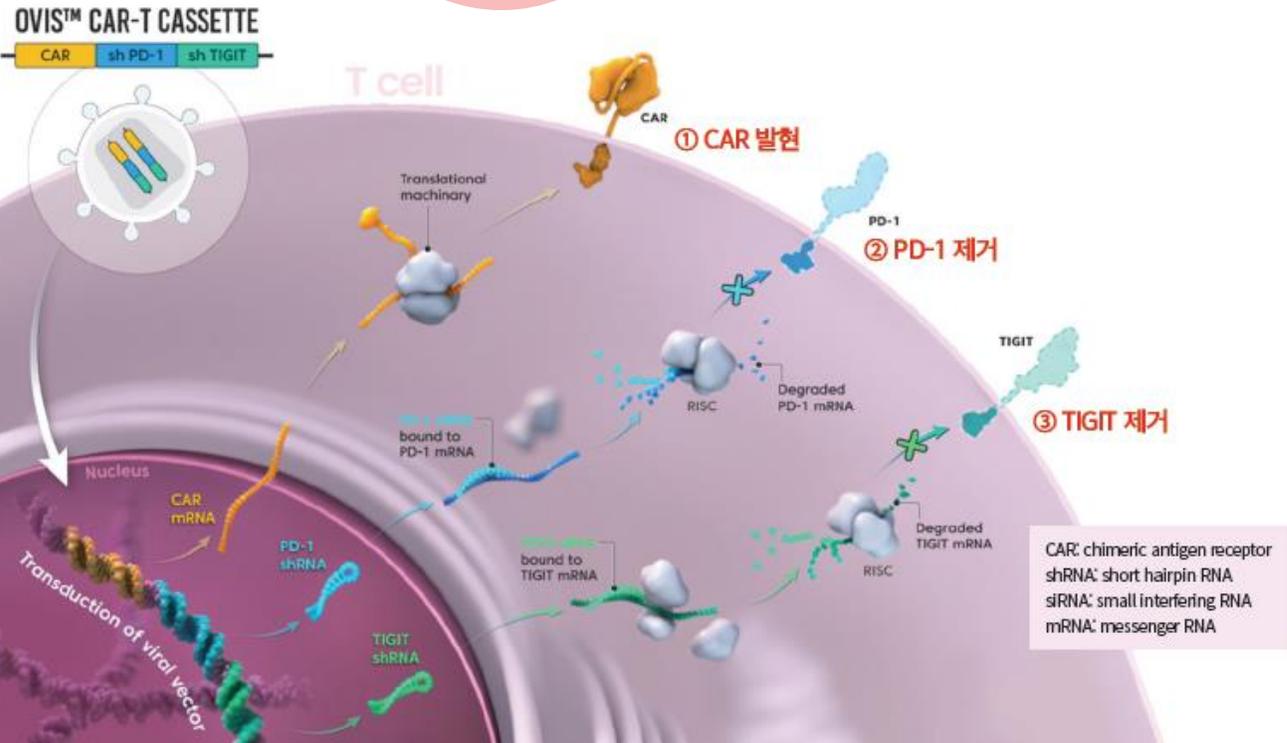
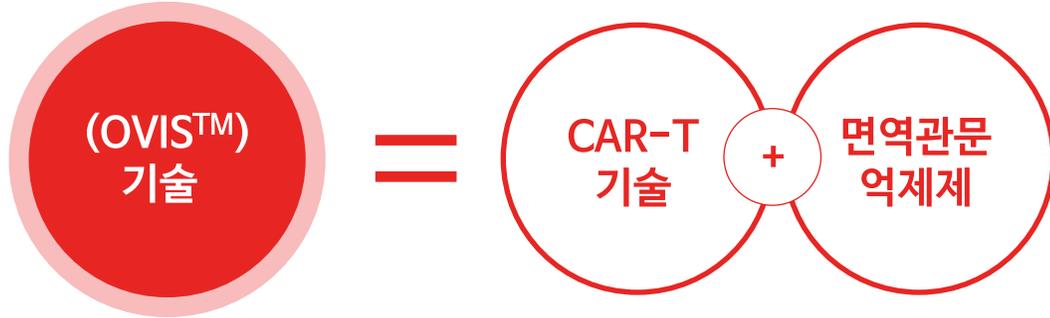


CAR-T 치료제  
기술로  
확대 적용

CAR-T 치료제 기술로 확대 적용



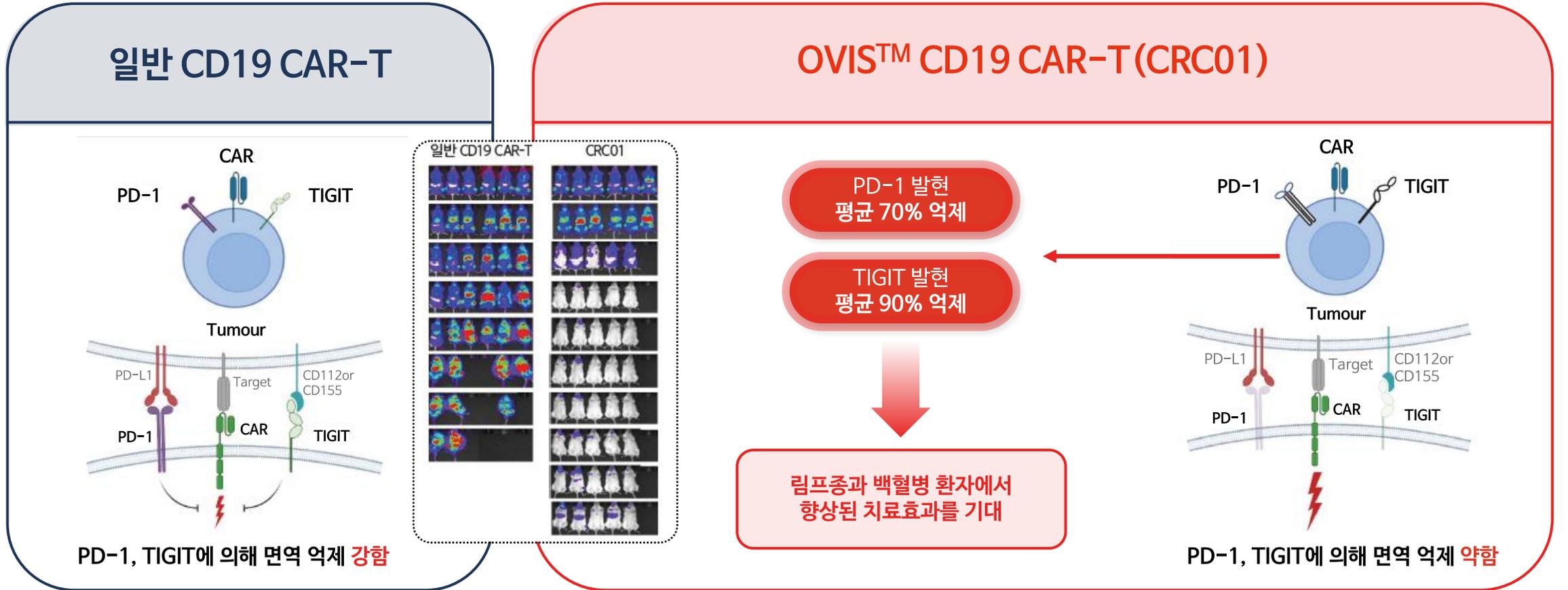
CAR-T 기술과 면역관문억제제 기술을 융합한 세계 최초 (OVIS™)기술을 개발



### (OVIS™)기술

- 1 한번의 유전자 조작으로 3가지 기능 동시 구현**
  1. CAR 발현: 암세포 인식 능력 추가
  2. PD-1 제거: CAR-T 세포 기능 강화
  3. TIGIT 제거: CAR-T 세포 기능 강화
- 2 PD-1과 TIGIT를 제거하는 세계 최초 기술**  
25개국 특허 출원 중  
(한국, 미국, 유럽(16개국), 일본, 러시아, 홍콩 등록 완료)
- 3 재발성 불응성 림프종 임상을 통해 기술 가치 증명**  
국내 최고 수준의 6개 대학병원에서 임상 진행 중  
(삼성서울병원, 서울아산병원, 서울대학교병원, 국립암센터, 부산대학교병원, 전남대학교병원)

OVIST™ 기술이 적용된 CD19 CAR-T 임상에서 향상된 치료 성적을 확인함



CD19 CAR-T는 공격적인 림프종인 DLBCL 환자 중 재발성/불응성 환자를 대상으로 함

림프종 개요 및 특징

Non-Hodgkin Lymphoma 환자



- 전체 암의 4%
- 2022년 80,470명 신규 발생 예상
- 2022년 20,250명 NHL로 사망 예상

[출처 : <https://trp.cancer.gov/spores/lymphoma.htm>]

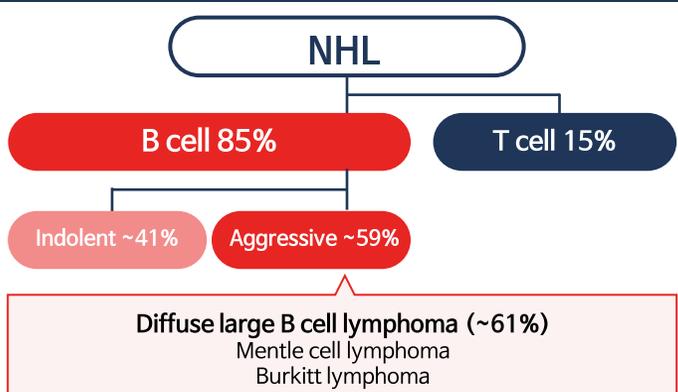


- 글로벌 발병율 11위 (55만명/2020년)
- 위암 (5위, 110만명)의 50%

[출처 : Global Cancer Statistics 2020 (CA CANCER J CLIN 2021;71:209-249)]



NHL 분류와 Unmet needs



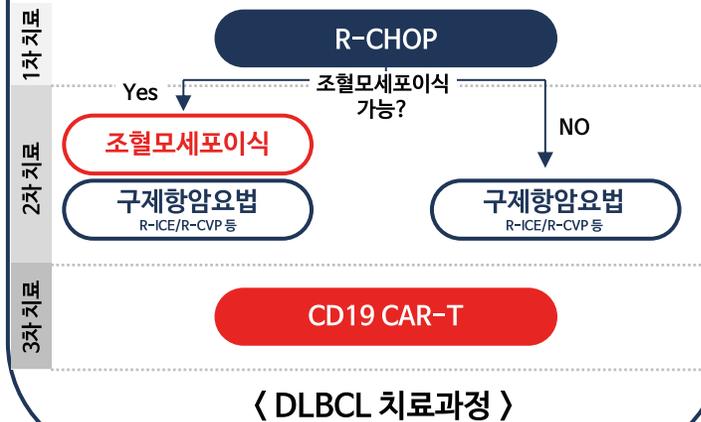
Aggressive 환자의 장기 생존율 증가 목표

- 1차 또는 2차 치료에 대한 반응을 향상
- 안전관해 획득 환자의 재발율 감소
- 재발된 환자에 대한 치료 옵션 확보

Diffuse Large B cell Lymphoma

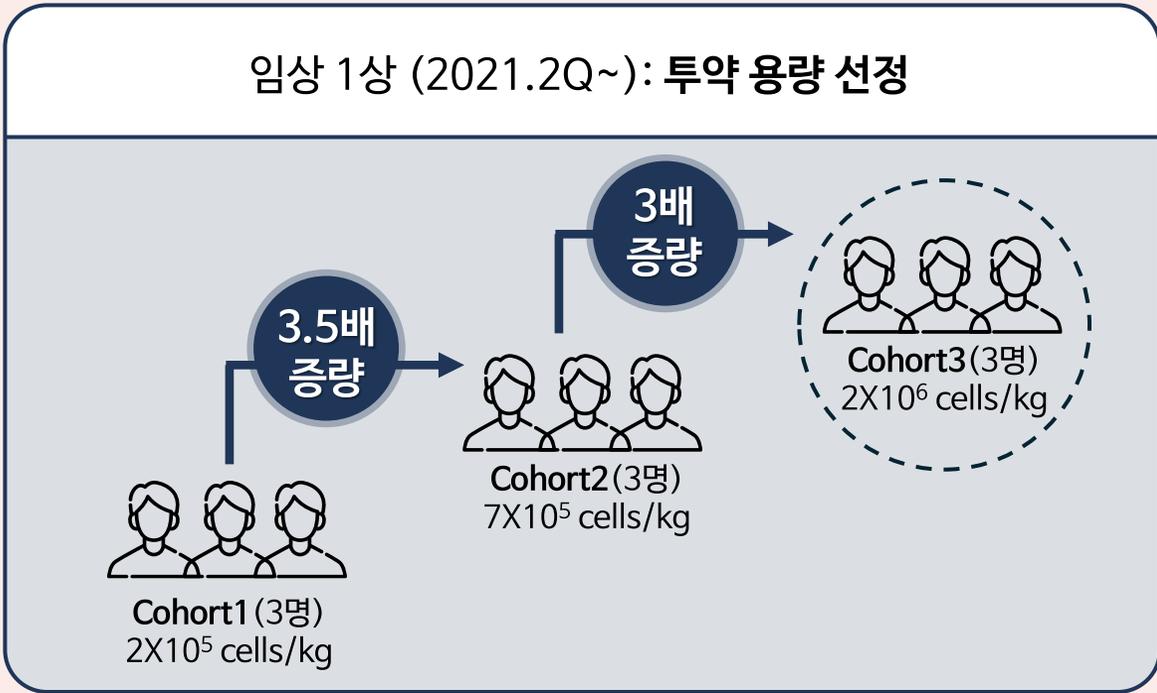
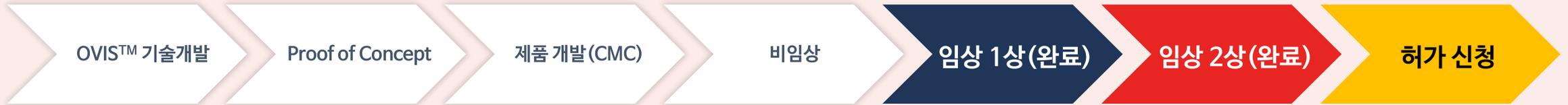


- NHL에서 가장 많은 유형 (30%)
- 매년 3,000명 이상 신규 진단(국내)
- 2차 치료 후 재발 시 기대 여명 6개월 미만



< DLBCL 치료과정 >

국내 최초로 허가된 CAR-T 임상에서 투약 용량 선정을 위한 임상 1상과 신약 허가 획득을 위한 임상 2상 완료



임상 2상(2022.1Q~)  
:안전성 및 유효성 평가

**79명**

Data 확보

유효성 분석군 : 73명  
안전성 분석군 : 79명

허가 신청(2024)

신약 허가 신청

# 4

## Anbal-cel(CRC01)의 임상결과 비교

FDA 허가되어 전세계에서 시판 중인 3종류 제품들과 비교했을 때 월등한 치료효과와 낮은 부작용 빈도 확인

		 KYMRIAHA® (tisagenlecleucel) Suspension for IV infusion	 Breyanzi® (lisocabtagene maraleucel) Suspension for IV infusion	 YESCARTA™ (axicabtagene ciloleucel) Suspension for IV infusion	 CUROCELL
		Tisa-cel	Liso-cel	Axi-cel	Anbal-cel
Efficacy	Complete Response Rate	40%  JULIET (n=93)	53%  TRANSCEND(n=256)	54%  ZUMA-1 (n=101)	67%  APOLLO(n=73)
	Side Effect	≥G3 CRS	17%	2%	11%
	≥G3 ICANS	11%	20%	31%	3.8%

성인 백혈병 개요 및 특징

백혈병(Leukemia) 환자



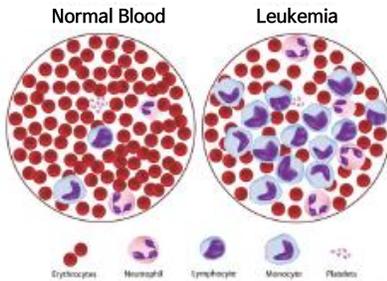
- 2022년 60,650명 신규 발생 예상
- 2022년 24,000명 백혈병으로 사망 예상

[출처 : <https://trp.cancer.gov/spores/lymphoma.htm>]



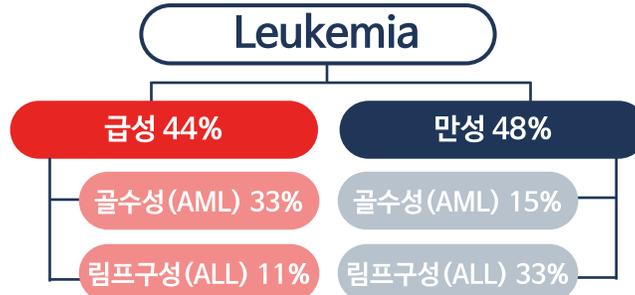
- 글로벌 암 발병율 13위 (47만명/2020년)
- 위암 (5위, 110만명)의 43%

[출처 : <https://www.wcrf.org/cancer-trends/worldwide-cancer-data/>]



Erythrocytes Neutrophil Lymphocyte Monocyte Platelet

백혈병의 분류와 Unmet needs



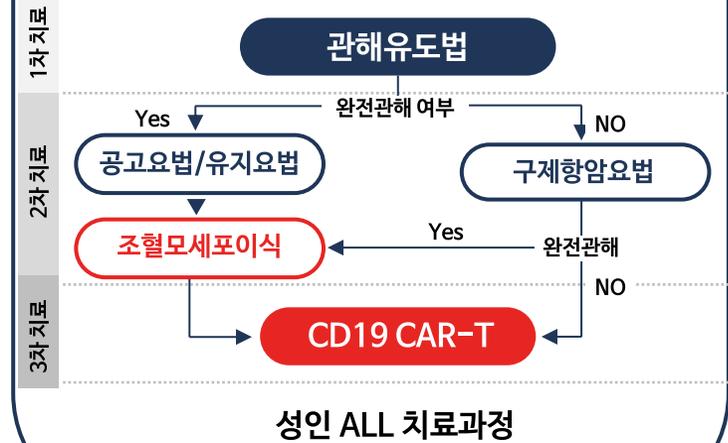
급성 림프모구성 백혈병 (ALL)

- 소아암 중 가장 많은 빈도로 발생 (전체 소아암의 약 30%)
- 소아 ALL 환자의 80~90%는 완치
- 성인 환자의 60~70%는 재발 후 지속치료 필요 (발병 시 5년 생존율 35%)
- 성인 ALL 환자의 장기 생존율 개선

성인 급성 림프모구성 백혈병(ALL)



- 1년 약 300명 신규 진단되는 희귀질환
- 기존 의약품 불응 시 기대 여명 1년 이하



### ALL 치료용 CD19 CAR-T

소아 및 25세 이하의 성인 ALL에서 FDA 승인



성인 환자 data 없음

18세 이상의 성인 ALL에서 FDA 승인

재발성, 불응성 성인 ALL 환자의 유일한 치료 옵션



완전관해 65%  
국내 허가 계획 미정

### 국내 최초 성인 ALL CAR-T 임상시험 승인

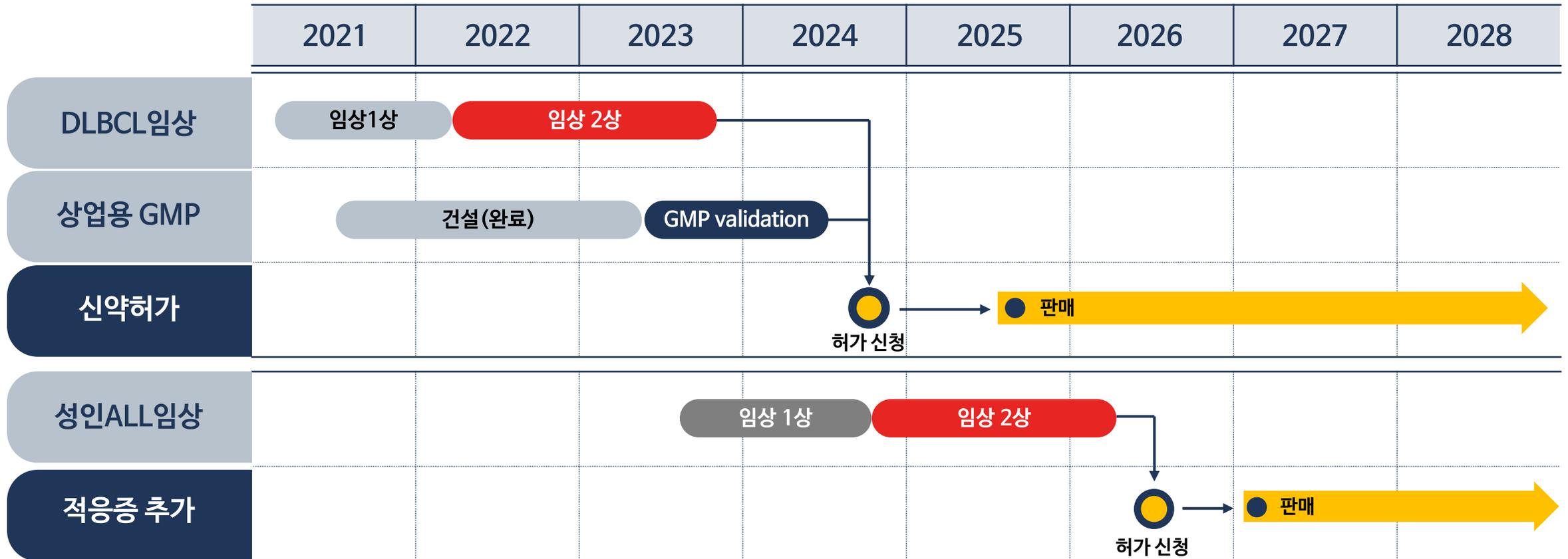
- '22.3 IND approval | 성인 ALL환자를 대상으로 하는 CRC01의 임상시험 계획서 승인
- '22.11 임상시험기관 개시 방문 | 서울성모병원 이석 교수
- '23.3Q 첫 환자 투약 | 9명의 환자를 대상으로 안전성 및 유효성 평가 후 임상 확대 예정



성인 ALL 권위자  
**이석** 교수



성인 ALL 임상시험 기관



임상 파이프라인 2개를 포함하여 총 14개의 Pipeline, 국내 최다 CAR-T pipeline 확보

	Target명	적응증	연구	전임상	임상 1상	임상 2상	비고
무엇을	CD19	거대미만성림프종				임상 완료	
		급성림프모구백혈병			임상 1상 진행중		
		전신성홍반성루프스			IND		
	BCMA	다발성골수종		비임상 진행 중			
	CD5 (동종)	T세포림프종및백혈병		비임상 진행 중			
	CD7 (동종)	T세포림프종및백혈병		비임상 진행 중			
	CD123	급성골수성백혈병		비임상 진행 중			
	CD30	호지킨림프종	후보평가				
무엇을	PSMA	전립선암		비임상 진행 중			
	B7-H3	폐암		비임상 진행 중			
	CLDN18.2	위암	후보평가				
	GPC3	간암	후보평가				
	ROR1	유방암	후보평가				
	HPV E7	자궁경부암	후보평가				

큐로셀은 대한민국 최초로 CAR-T 치료제 임상을 시작한 국내 CAR-T 개발 선도기업임

차세대 기술 확보, 기초연구부터 공정개발, 분석법 확립, IND 제출, 임상의약품 생산, 임상시험, 허가, 제품생산까지 자체 수행

## CAR-T 전문 기업의 경쟁력

글로벌 기업들과 경쟁 가능한  
차별화된 차세대 기술

기존 CAR-T 치료제의 약효,  
부작용 한계 극복을 위한  
차세대 기술

지속적인 파이프라인 확보를 위한  
수준 높은 R&D 역량

CAR-T 치료제용 신규항체 발굴,  
CAR-T 제작, 약효 평가 역량

임상시험 및 상업화 가능한  
글로벌 수준의 제조 기술

안정적 제품 생산을 위한 제조 기술,  
글로벌 수준의 GMP 운영



## 03 chapter

### 상업화 전략 및 경쟁력

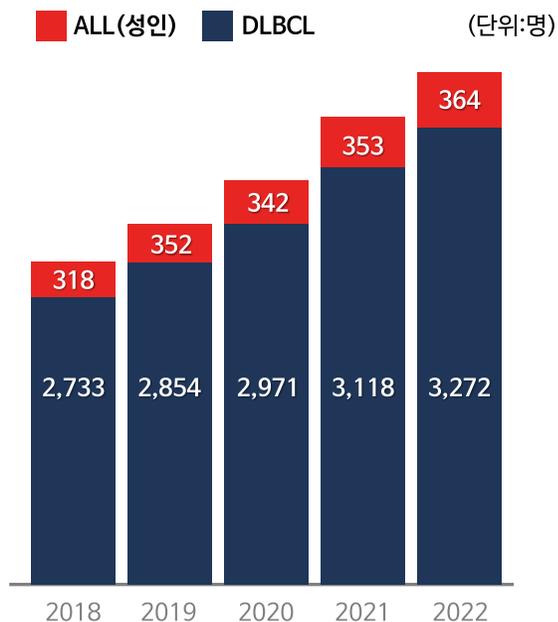
1. CAR-T 치료제 시장 규모
2. Anbal-cel의 사업성
3. Anbal-cel의 사업성 경쟁력
4. 큐로셀 CAR-T 치료제 상업화 경쟁력
5. 큐로셀의 성장전략 : IN-N-OUT Strategy

매년 발생하는 신규 환자 중 재발이 반복되거나 약물에 불응인 환자가 CD19 CAR-T 치료제의 대상이 됨



국내 신규 환자 발생 수

- 국내 DLBCL  
신규 환자 발생은 년 5% 증가  
(‘22년 3,200명 추정)
- DLBCL 신규 환자의 약 30%가  
재발성, 불응성 상태로 진행됨  
(3,200명 중 약 900명이  
CD19 CAR-T의 치료대상 환자)
- 국내에서는 1개 제품만  
허가, 판매 중임  
(Kymriah®, Novartis)

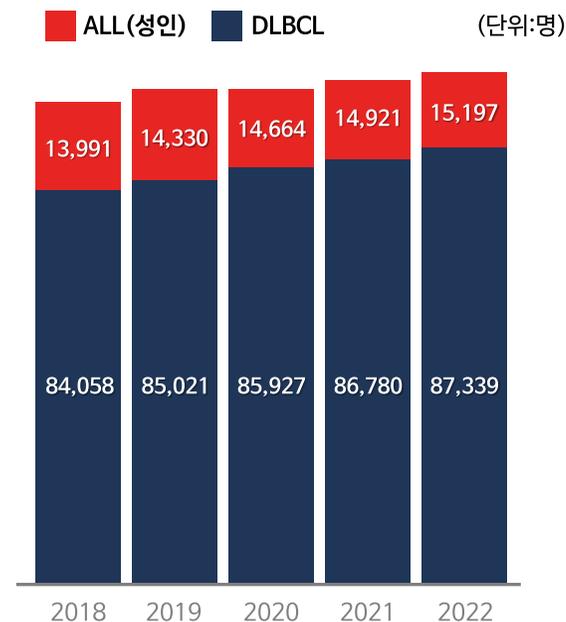


출처 : 보건복지부 중앙암등록본부



글로벌 신규 환자 발생 수 (주요 8개국)

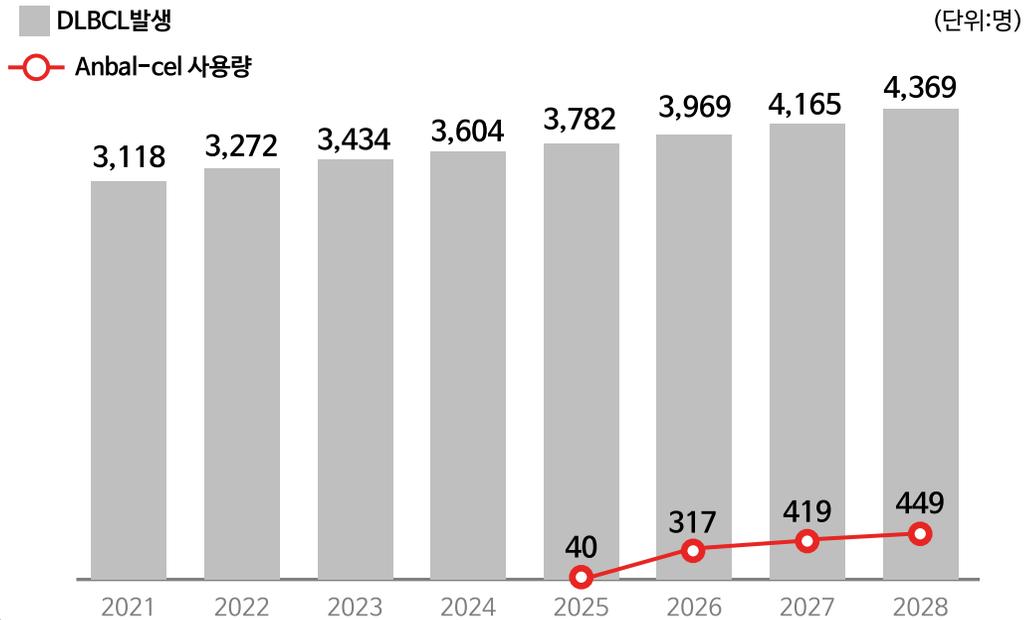
- 글로벌 DLBCL  
신규 환자 발생은 년 1.2%씩 증가
- 미국과 유럽을 중심으로  
4개 제품 경쟁 중  
(김리아, 에스카르타, 브레안지, 테카투스)
- ‘에스카르타’ 23년 매출 \$1.5b  
(전년대비 29% 증가)



출처 : globaldata, 8 Major Market (US, FRANCE, GERMANY, ITALY, SPAIN, UK, JAPAN, CHINA) 기준

검증된 약효의 CAR-T 치료제를 빠른 공급으로 수요창출

국내 DLBCL 환자 Anbal-cel 사용량 예측

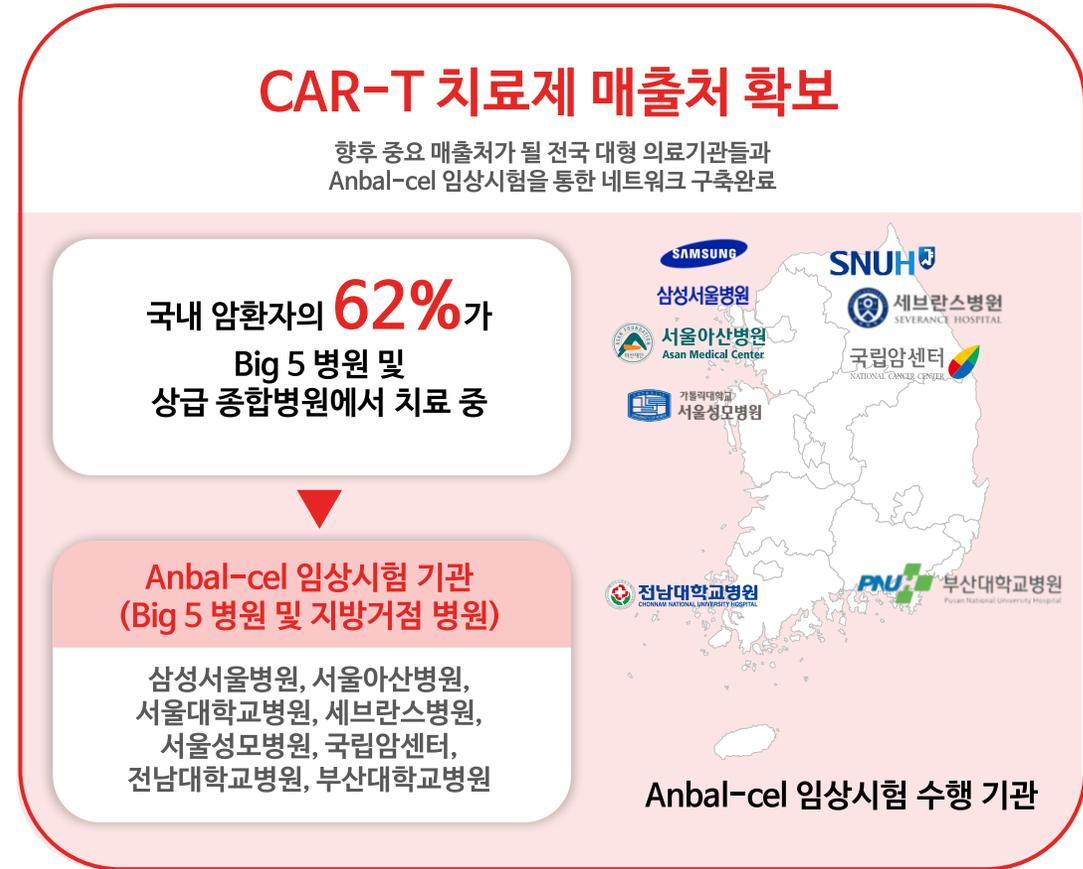
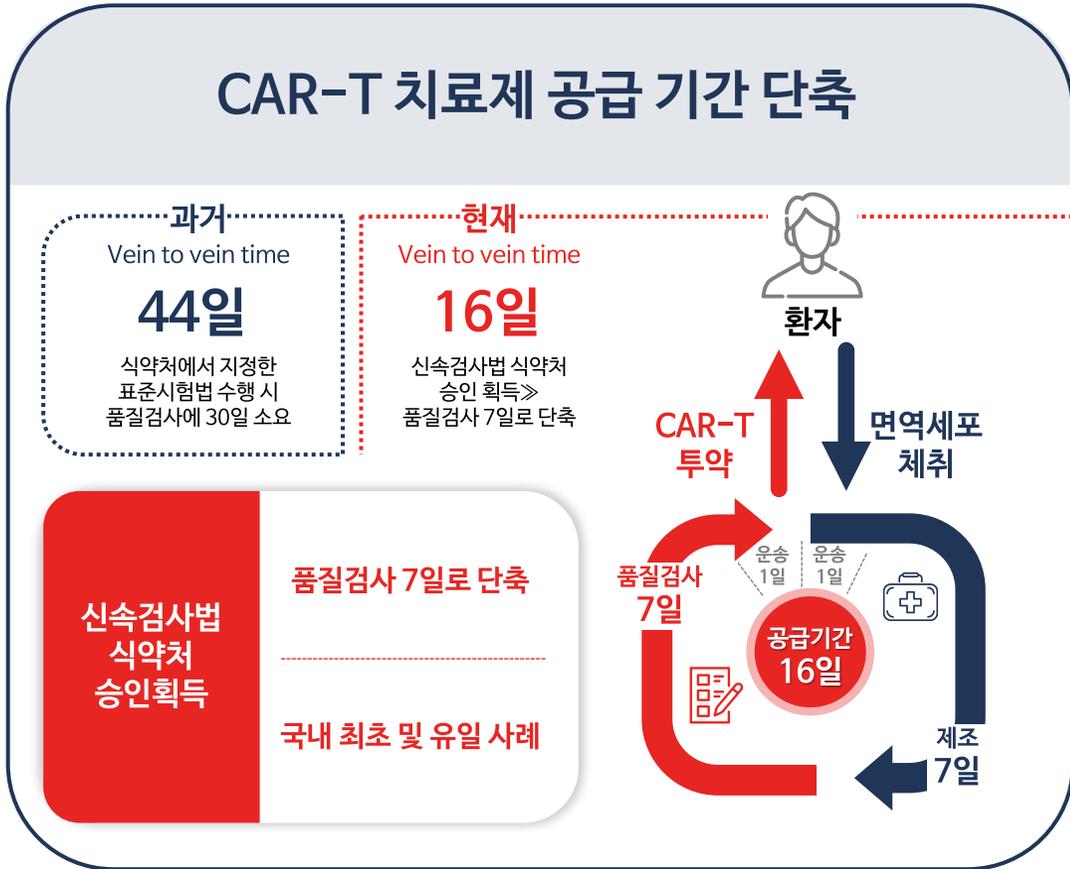


추정손익계산서

(단위:백만 원)

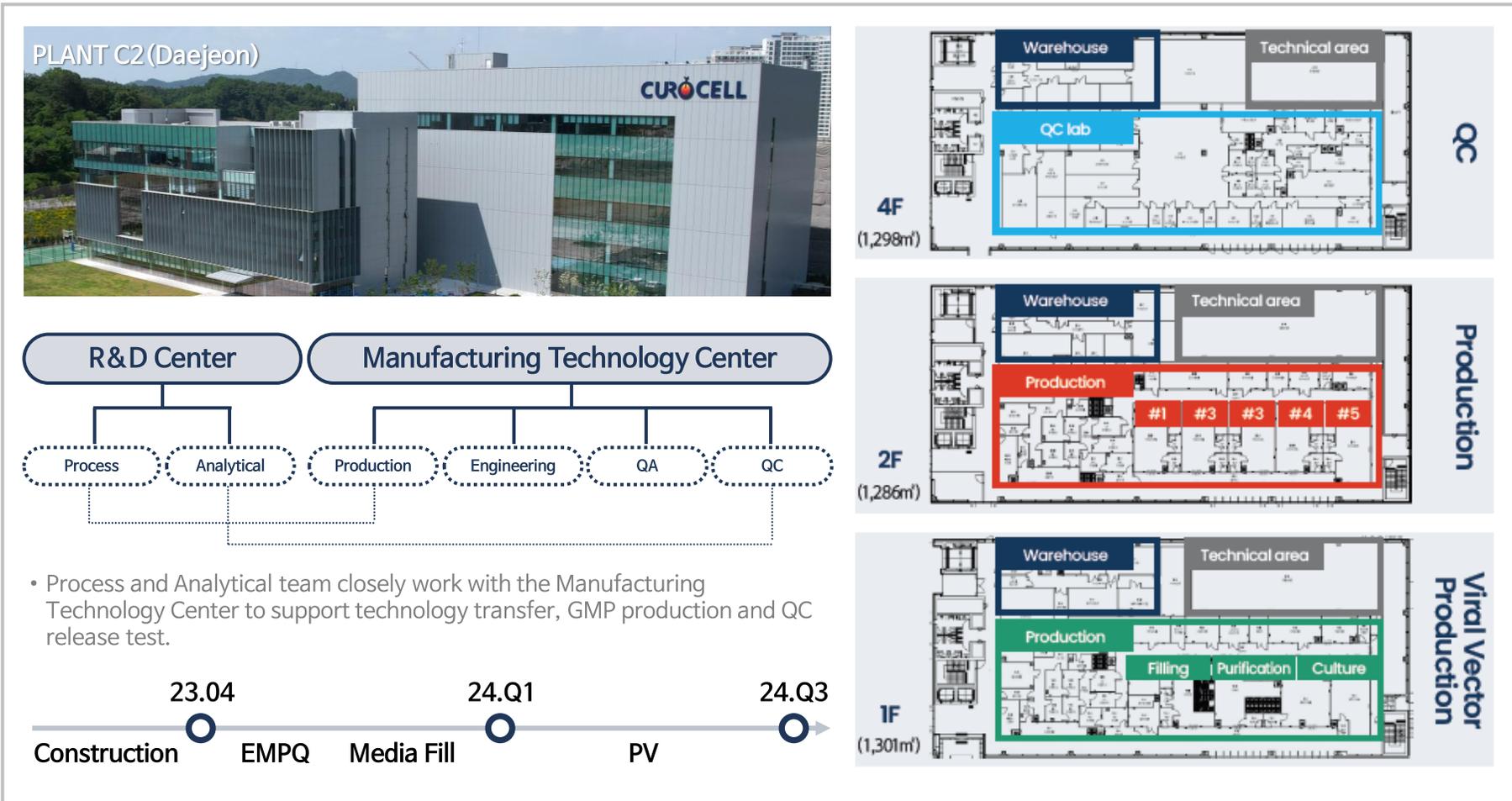
항목	2023년	2024년(E)	2025년(E)	2026년(E)	2027년(E)
매출액	-	-	14,400	114,120	150,840
매출원가	-	-	10,093	28,348	36,153
매출총이익	-	-	4,307	85,772	114,687
판매비와 관리비	31,130	34,639	27,280	31,397	33,786
영업이익(손실)	(31,130)	(34,639)	(22,973)	54,375	80,901
영업외수익	4,428	1,167	596	441	1,502
영업외비용	2,961	3,391	3,963	2,318	1,426
법인세비용차감전 순이익	(29,664)	(36,863)	(26,340)	52,498	80,997
법인세비용(수익)	(89)	-	-	-	132
당기순이익(손실)	(29,575)	(36,863)	(26,340)	52,498	80,845

환자의 안전과 치료효과 증대를 위해서 CAR-T 치료제의 공급기간 단축이 필수적



출처 : 보건복지부 국회제출 자료를 언론사가 인용 (<http://medigatenews.com/mews/1417002671>)

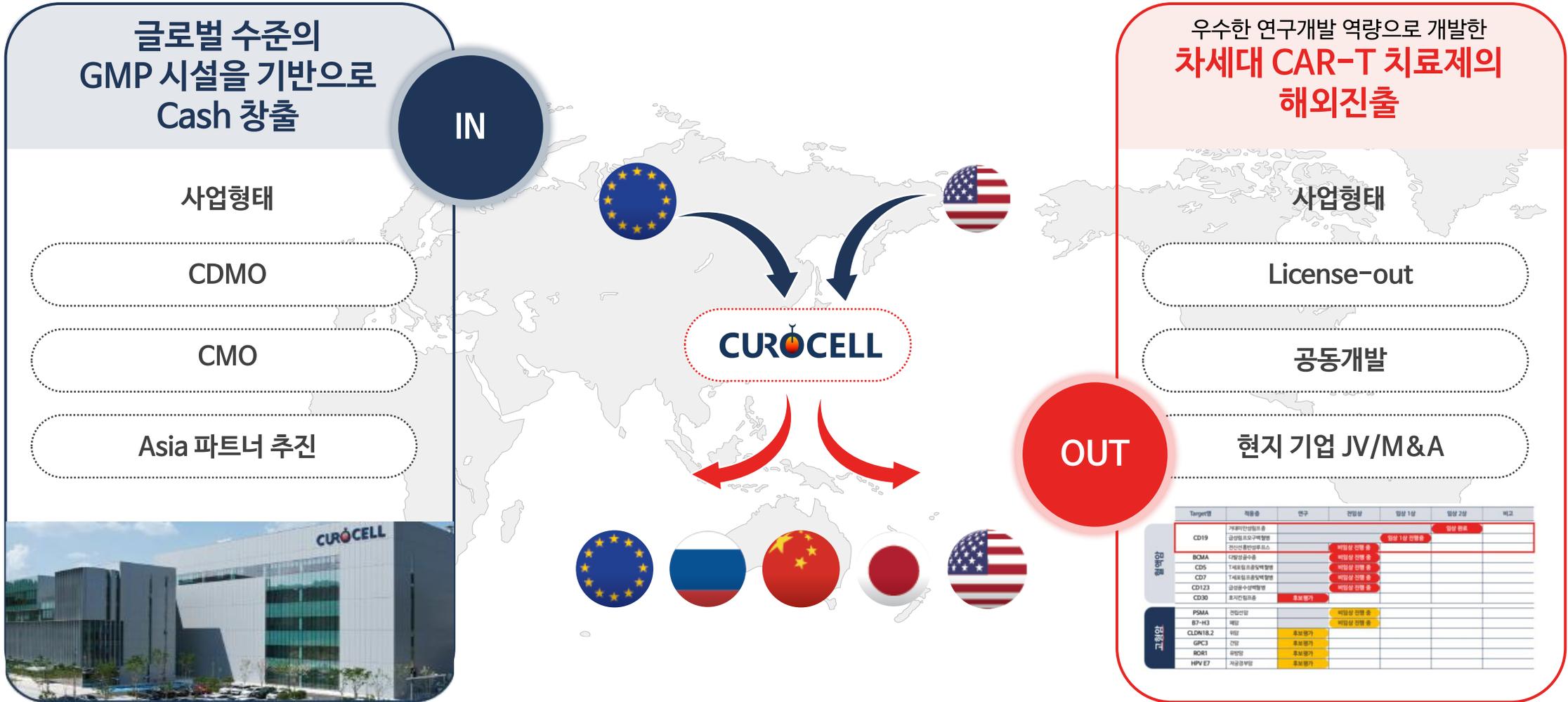
글로벌 표준 GMP를 적용한 국내 '최초', '최대' 규모의, '최첨단' 제조 공정 및 상업 규모 설비 구축

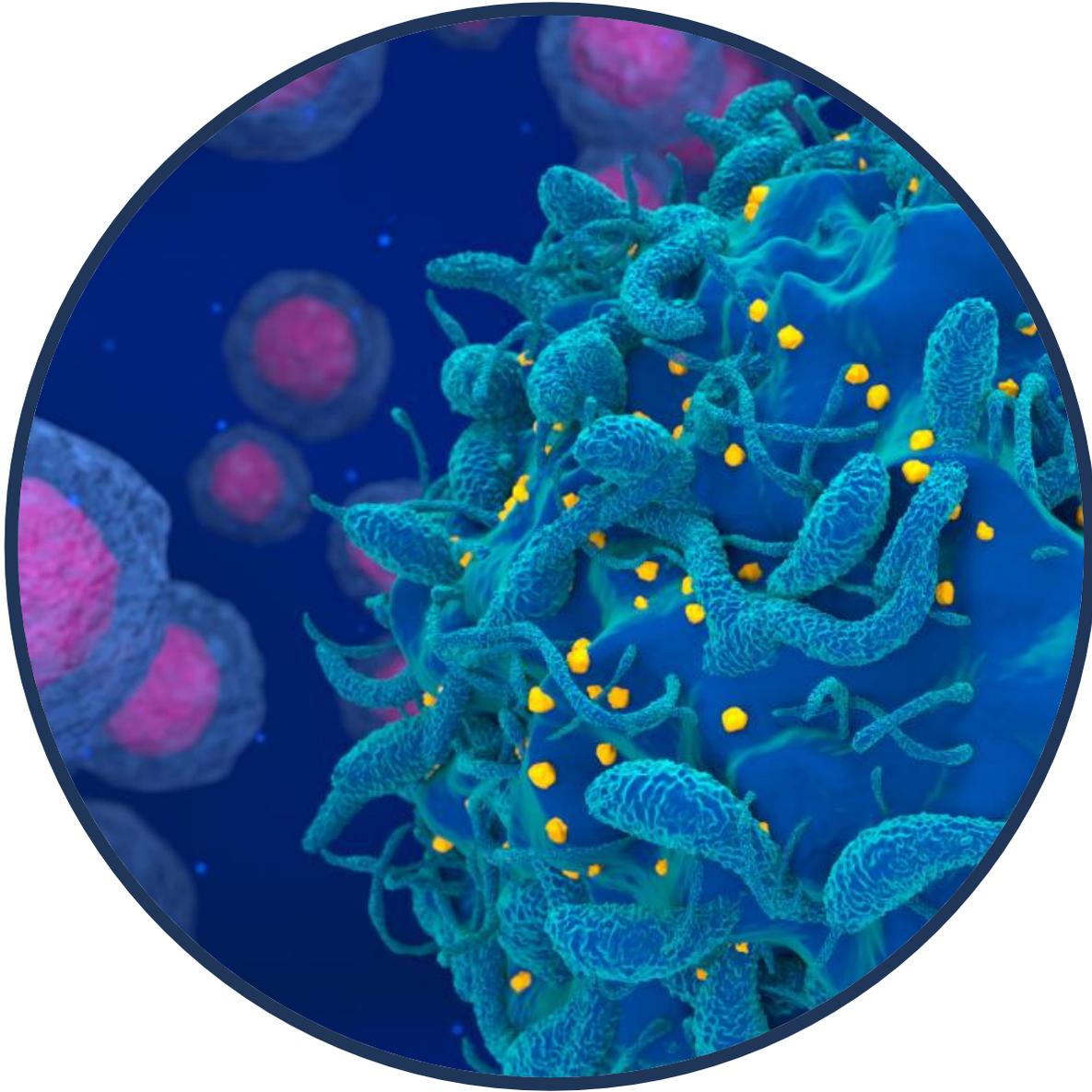


5  
Number of Cell Suite

6,317  
Clean Room Area (m²)

700  
Patients/Year





04  
chapter

# Update

1. 신속처리대상 지정
2. 식약처 GIFT 지정
3. 허가-평가-협상 병행 시범사업
4. 맞춤형심사 신청
5. 적응증 확장
6. 단/중장기 전략

기 허가제품 임상시험의 환자군과 유사한 상황에서 통계적 분석을 수행하여, 유효성이 현저하게 개선되었음을 인정받아 신속처리 대상 첨단바이오의약품으로 지정. ('24. 8. 6)

제 2024001 호

**신속처리 대상 첨단바이오의약품 지정서**

1. 제품 명칭	안발캅타겐오로류셀 (anbalcagtogene autoleucel)
2. 제품 유형	유전자치료제
3. 효능·효과	별첨
4. 구성 성분	자가혈역유래 CD19 표적 CAR-T 세포

「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제36조 제3항 및 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」 제36조제3항의 따라 위와 같이 신속처리 대상 첨단바이오의약품으로 지정합니다.

2024년 08월 06일

식품의약품안전처장

**식품의약품안전처장**

사무실주관 차우경 보건연구관 남주연 권고관 장영진  
 시행 바이오의약품정책과 (2024.08.15) 접수 20240082988 (2024.08.15)  
 우 28159 충북 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명2로 187 오송보건의료행정타운 / www.mfds.go.kr  
 전화 043-719-3670 팩스 043-719-3333 / chamsi@korea.kr / 비공개(7)

**붙임. 보완사항**

「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제36조, 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」 제36조 및 '첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정'(식약처 고시) 제21조에 따라 검토한 결과 다음의 자료를 제출하여 주시기 바랍니다.

1. 동 규정 제21조에 적합한 다음의 자료를 제출할 것

가. 관련 규정 : 제21조(신속처리 대상 지정)제1항제1호 및 제2항제6호

보완요구사유 : 제출한 임상시험결과 비교분석 자료는 개별 임상시험의 결과를 단순 비교한 것으로, MAIC(매칭조정경간경비교) 등 효과크기 간접 비교를 위한 통계적 분석 결과 제출 필요

보완요구사항 : 임상시험결과 비교분석 자료로 효과크기 간접 비교를 위한 통계적 분석 결과를 제출할 것. 끝.

첨단바이오의약품의 품목허가·심사 규정  
식품의약품안전처(바이오의약품정책과)

제21조(신속처리 대상 지정) ① 법 제36조제1항 및 제2항에 따라 개발 중인 첨단바이오의약품으로서 신속처리 대상으로 신청 및 지정할 수 있는 품목은 다음 각 호와 같다. 이 경우 기허가 품목으로 새로운 효능·효과를 개발하는 경우에도 동일하다.

1. 대체치료제가 없고 생명을 위협하는 암 등 중대한 질환의 치료를 목적으로 하는 경우
- 가. 대체치료제가 없는 경우란 다음의 어느 하나에 해당하는 경우를 의미한다.
  - 1) 해당 질환에 대하여 국내에서 허가된 의약품이 없는 경우
  - 2) 바이오마커 양성·음성 등으로 기존치료의 적용 대상이 제한되거나 기존치료를 받을 수 없거나 반응성이 없는 환자를 대상으로 하는 등 기존 치료제에 비하여 안전성 또는 유효성이 현저히 개선되었음을 입증한 경우
  - 3) 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제49조제3항에 따라 생산·수입 및 공급 중단을 보고한 경우로서 해당의약품의 공급이 재개되지 아니한 경우

신속처리 대상으로 지정으로 '맞춤형 심사', '우선 심사', '임상3상 면제' 의 수혜.

## 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률

### 제37조(신속처리)

- ① 식품의약품안전처장은 제36조제2항에 따라 신속처리 대상으로 지정된 첨단바이오의약품에 대하여 다음 각 호에서 정하는 바에 따라 처리하여야 한다.
1. 개발자가 품목허가를 신청하기 전에 개발 과정별로 **품목허가에 필요한 자료를 나누어 제출하고, 이를 미리 심사하여 줄 것을 요청하는 경우 협의한 심사계획에 따라 심사**(이하 "맞춤형 심사"라 한다)할 것
  2. 개발자가 품목허가를 신청한 경우 **신속처리 대상으로 지정되지 아니한 의약품에 대한 품목허가 신청보다 우선하여 심사할 것**
  3. 개발자가 다음 각 목의 자료를 근거로 품목허가를 신청한 경우 **시판 후 안전관리를 조건으로 품목허가**(이하 "조건부 허가"라 한다)를 할 것
    - 가. 해당 품목이 총리령으로 정하는 임상적 평가변수에 대하여 효과가 있음을 보여주는 임상시험 자료
    - 나. 해당 품목이 약물역학(藥物疫學), 약물치료학(藥物治療學), 병태생리학(病態生理學) 등의 관점에서 임상적 유의성을 합리적으로 예측할 수 있는 대리평가변수에 대하여 효과가 있음을 보여주는 임상시험 자료
- ② 식품의약품안전처장은 맞춤형 심사를 하는 경우 신청인이 제출할 자료의 종류·범위, 제출일정 및 심사결과의 통보 시기 등을 신청인과 협의하고, 협의된 심사계획에 따라 제출된 자료를 심사한 후 그 결과를 신청인에게 통보하여야 한다.

**맞춤형 심사 : 품목관리자 및 전담심사자 지정, 통지된 맞춤형 심사결과는 품목허가에 그대로 반영(실질적 허가심사 개시)**

**우선 심사 : 전담인력 구성하여 타 품목보다 우선하여 문서 심사 및 GMP 평가 수행.**

## 첨단바이오횰약품의 품목허가·심사 규정

### 제22조(맞춤형 심사)

- ① 제21조제2항에 따라 신속처리 대상으로 지정된 품목은 품목허가 신청 전 규칙 제37조에 따라 맞춤형 심사를 신청할 수 있다. 식품의약품안전처장은 **신청자의 요청이 있을 시 품목관리자 및 전담심사자를 지정하여 다음 각 호의 지원**을 할 수 있다.
  1. 맞춤형 심사 자료 구비를 위한 상담 및 검토
  2. 맞춤형 심사 신청 전 제출 일정, 자료의 종류, 결과 통보 방법 등 협의
  3. 심사 단계에서 자료의 보완 및 상담
  4. 맞춤형 심사 결과에 따라 허가 신청 시 제출 자료의 협의
- ② 식품의약품안전처장은 제1항에 따른 맞춤형 심사 결과를 종합하여 별지 제1호서식의 **첨단바이오횰약품 맞춤형 심사 결과 통지서를 발급**하여야 한다.
- ③ 신청인이 제3조에 따른 품목허가 신청 시 제2항의 **심사 결과 통지서를 함께 제출 하는 경우 식품의약품안전처장은 그 심사결과를 반영하여야** 한다. 다만, 신청인이 새로운 자료를 제출하거나 신청사항이 변경되었을 경우에는 그러하지 아니하다.

### 제21조(신속처리 대상 지정)

- ④ 법 제37조제1항제2호에 따라 식품의약품안전처장은 제2항에 따라 신속처리 대상 지정된 품목의 품목허가 신청 시 **해당 품목의 심사를 위한 전담인력을 구성하여 다른 품목에 우선하여 신속하게 심사**하여야 한다.
- ⑤ 식품의약품안전처장은 신속처리 대상으로 지정된 첨단바이오횰약품에 대하여 **다른 의약품보다 우선하여 제조 및 품질관리 기준 실시상황을 평가**할 수 있다.

**신속처리 대상 지정이 되어야만 치료적탐색 임상시험(2상) 자료로 치료적확증 임상시험(3상)을 대체할 수 있음.**

#### 제23조(조건부 허가의 요건 및 심사기준)

- ① 제21조제2항에 따라 신속처리 대상으로 지정받은 품목의 품목허가 신청 시, 제출자료가 제22조에 타당한 경우 법 제37조제1항제3호에 따른 **조건부 허가를 받을 수 있다.** 이 경우 **조건부 허가란 법 제37조제3항제2호에 따른 시판 후 안전성·유효성 확증(치료적 확증) 임상시험 자료 제출을 조건으로 하는 것**을 말한다.
- ② 제1항에 따라 신속처리 대상 지정 품목이 조건부 허가를 신청하는 경우, 제18조의 임상시험성적 자료는 다음 각 호 중 하나의 평가변수를 사용한 임상시험 자료로 제출할 수 있다.
- ③ 제2항의 임상시험 자료로부터 유의성이 있는 치료 효과를 확보하고, 그 결과 전반적으로 유의성이 위해성을 상회한다고 판단되는 경우, 다음 각 호에 적합한 치료적확증 임상시험자료를 제출하는 것을 조건으로 하여 치료적탐색 임상시험 자료를 치료적확증 임상시험자료로 갈음할 수 있다.
- ④ 제3항에도 불구하고 **다음 각 호 모두에 해당하는 경우에는 치료적탐색 임상시험 자료로 치료적확증 임상시험 자료를 갈음할 수 있다.**
  1. 해당 질환의 임상적 유의성에 대한 검증이 된 대리평가변수를 사용한 임상시험에서 명백히 높은 효과를 보임으로써 임상적 유의성이 충분히 확보되었다고 판단되는 경우
  2. 대체의약품 또는 표준치료법이 없어 치료적확증 임상시험 설계가 불가능한 경우
  3. 국내외 임상시험 대상 환자수가 극히 적어(예 : 담도암 또는 보건복지부의 암 발생 통계 중 담도암 수준보다 연평균 발생 건수가 낮은 암) 치료적확증 임상시험의 실시가 어렵다고 판단되는 경

식약처 혁신제품 신속심사 제도 GIFT 선정 완료. ('24. 8. 26)



제품명 (성분명)	안발칼타전오투류셀(anbalcabtogene autoleucei)	
신청사	주식회사 큐로셀	
신청 효능·효과*	두가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성의 거대 B 세포 림프종 (large B-cell lymphoma, LBCL) 성인 환자의 치료로 아래 아형을 포함한다. · 미만성 거대 B 세포 림프종(diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL) · 3B 등급의 소포림프종(Grade 3B follicular lymphoma, FL3B) · 고도 B 세포 림프종(high-grade B-cell lymphoma, HGBL) · 원발성 종격동 거대 B 세포 림프종(primary mediastinal large B cell lymphoma, PMBCL)	
작용기전	PD-1, TIGIT 2종의 면역관문수용체에 대한 shRNA(short hairpin RNA)가 발현 되도록 설계된 자가 anti-CD19 CAR T 치료제로 PD-1, TIGIT 단백질 발현을 저하함으로써, CD19를 발현하는 B 세포 림프종 특이적인 CAR T 세포의 항종양 효과를 강화하고 세포의 고갈을 방지함	
신속처리 대상 첨단바이오의약품 지정 일자	2024.8.6.	
허가 일자	-	
지정사유 분류	<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input checked="" type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약	
희귀의약품 지정	<input type="checkbox"/> 우리나라 <input type="checkbox"/> FDA <input type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA	
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR)
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA)
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사카가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA)

\* 정확한 효능·효과는 허가심사 시 자료검토 후 결정됨

글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계 (Global Innovative products on Fast Track, GIFT)

생명을 위협하는 암 등 중대한 질환 또는 희귀질환 치료제로서 **혁신성이 뛰어난 의약품**을 신속하게 시장에 출시하고 환자에게 빨리 공급하기 위한 식약처의 '글로벌 혁신제품에 대한 신속심사 활성화 지원체계'

식약처의 산업 규제 폐지·혁신을 추진하기 위한 '식의약 100대 과제'로서 운영중.

식품의약품안전처 <https://www.mfds.go.kr/wpage> :

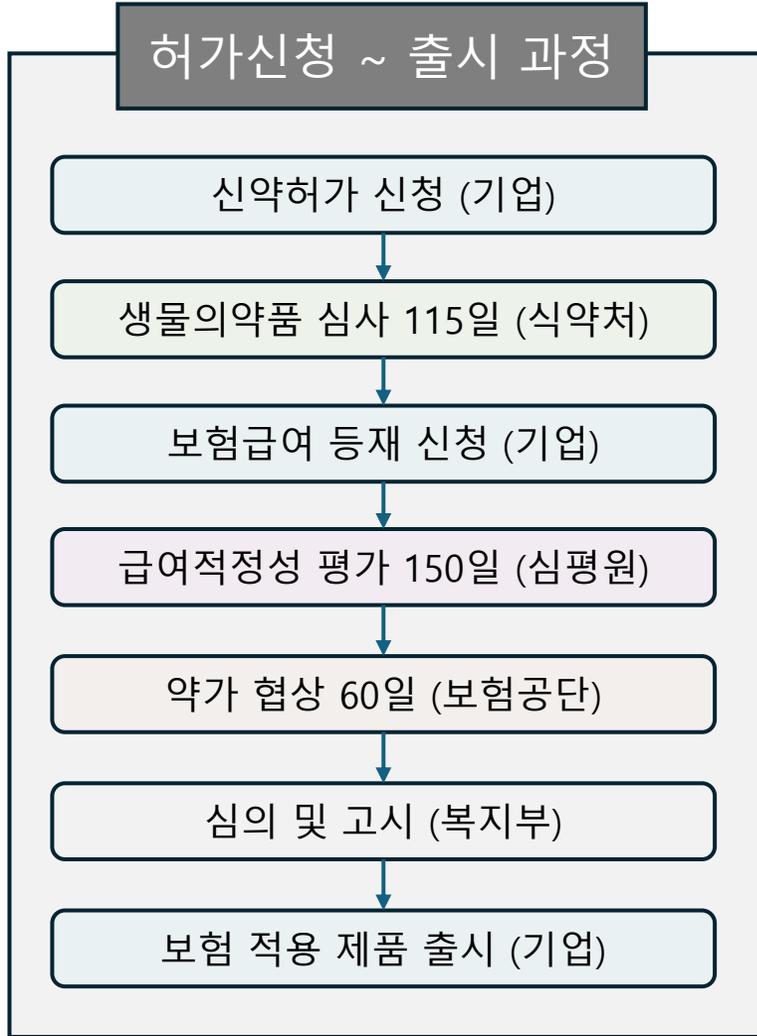
식품의약품안전처>국민소통>적극행정>혁신제품 신속심사> ...

'GIFT' 의미 · ① 새로운 치료영역을 개척할 수 있는 혁신적이며, 혜택받은(Gifted)의약품이며, · ② 신속심사를 통해 빠른 치료기회를 "선물(Gift)"같이 부여한다는 의미 ...

GIFT 혜택

대상 품목은 일반심사기간 대비 25% 단축을 목표로 심사 진행 (근무일 기준 120일 → 90일)

- △ 임상개발 초기부터 신속심사 대상을 지정
- △ 안전에 직접 관련없는 일부 자료는 시판후 제출
- △ 준비된 자료부터 먼저 심사하는 수시 동반심사(rolling review) 적용
- △ 품목설명회·보완설명회 등 심사자와 개발사 소통을 통한 밀착지원



**허가-평가 연계**

'14. 09 ~ 30~60일 단축

허가 전이라도 안유  
심사 완료 후 급여  
신청 가능

MSD '스테클라트로'  
(75일)

'18. 08. 17 허가  
'18. 11. 01 급여

애비브 '마비렛'  
(139일)

'18. 01. 12 허가  
'18. 06. 01 급여

길리어드 '빅타비'  
(102+a일)

'19. 01. 18 허가  
'19. 05. 등재

**평가-협상 병행**

'23. 01~ 60일 단축

급여평가 중에 건보  
공단과 약가 사전협  
의

교와기린 '크리스비타'  
'23. 01 급여신청  
'23. 05 고시

**허가-평가-협상 병행**

시범사업 중



- 복지부 "2차 사업 접수 완료...선정 약제 개수는 미정"
- "1차 사업서 일부 지연 확인...2차 사업에 반영할 것"

< '품목허가-급여평가-약가협상' 병행 시범사업(안) >



**1차 시범사업 선정 의약품은 관련기관 품목허가와 급여평가 동시업무를 통해 신속한 진행이 확인됨.**

## 시범사업 취지

고가 중증질환 치료제의 도입 기간 단축 목적

대통령의 대선 공약 '초고가약 신속 등재 및 급여 확대'

(현재) 식약처 안전성·유효성 검토가 끝난 뒤 심평원에 보험등재를 신청. 이후 보험공단과 약가협상.

(시범사업) 허가 신청과 동시에 심평원의 급여 평가, 보험공단과의 약가협상을 병렬로 동시 진행

## 1차 시범사업 신청대상

- △ 기대여명이 1년 미만인 암·희귀질환
- △ 소수의 환자
- △ 대체 약제 부재
- △ 2년 이상 생존 및 치료 효과 우월성 입증
- △ 식약처 GIFT 지정완료 또는 신청가능한 의약품

## '23년도 1차 시범사업 진행 사례(과지바) 소개

1. 수요조사 (~'23. 4. 5)
2. 전문가 자문 및 검토(~'23.6)
3. 시범사업 약제 선정을 위한 관련기관 실무협회의\* 개최('23. 6. 14)  
(\*복지부, 식약처, 심평원, 건보공단)
4. 시범사업 대상 약제 2품목(빌베이캡슐, 과지바주) 선정('23. 6. 26)
5. 선정 대상약제 GIFT 신청 및 지정('23. 8)
6. 설명회 개최 : 실무협의회와 해당제약사 설명 및 질의응답('23.9.20)
7. 해당제약사가 품목허가 및 급여결정 신청('23. 10)
- 8. 식약처 '안전성 및 유효성' 심의 통과('24. 5. 25)**
- 9. 심평원 암질환심의위원회(급여기준 설정) 통과('24. 5. 29)**
10. 식약처 품목허가('24. 6. 19)
11. 심평원 약제급여평가위원회('24.8.8) ; 비급여 판정

빌베이, 급여평가 과정에서 어려움 있음(측정하기 어려운 평가 도구가 걸림돌)  
다만 정부는 사전협상을 동시에 하면서 기간을 단축하는 데 주력.

## 안발셀, 2차 시범사업에 신청 완료. ('24. 8. 12)

### 윤석열 정부판 신속등재 '끝판왕', 2차 시범사업 약제 수요조사

최은택 기자 | 승인 2024.06.19 06:49

북지부, 제약단체 통해 안내...GIFT 지정 등 4가지 요건 충족 가능해야



정부가 예고했던대로 허가·협상·평가 병행 2차 시범사업 대상 약제 수요조사에 나섰다.

한국제약바이오협회 등은 보건복지부 의뢰를 받아 오는 8월12일까지 희망 약제를 접수한다고 18일 안내했다.

잘 알려진 것처럼 허가·협상·평가 병행 시범사업은 윤석열 정부판 약제 신

## 2차 시범사업 신청대상

- △내년 6월 말까지 허가 및 결정 신청이 가능한 약제
- △생존을 위협하는 질환(기대여명 1년 미만)  
또는 희귀질환의 치료를 목적으로 효과가 충분한 의약품
- △기존 치료법이 없거나,  
기존 치료법보다 임상적으로 의미 있는 개선을 보인 경우
- △**식약처 GIFT 약제로 지정** 받았거나 신청 가능한 약제

## 2차 허가·평가·협상 연계 시범사업에 9개 약제 신청

이현주 기자 | 입력 2024.09.02 06:01 | 수정 2024.09.02 09:40 | 댓글 0



내년 6월까지 허가 및 결정 신청 가능한 신약 등이 조건  
항암제 3개-희귀질환치료제 6개 신속등재 도전

이에 회사들은 국내 허가 신청예정일과 효능효과, 제외국 허가 국가 및 허가사항, 국내와의 일치성 여부, 적응증에 있는 질환 중증도 및 기대여명, 생존율, 기존치료법 등에 대한 내용을 제출했다.

이번 2차 시범사업 약제 선정에 도전한 품목은 9개다. △소세포폐암 △폐동맥고혈압 △루게릭병 △혈우병 A형 △HER2 양성 담도암 △드라벡증후군 **△미만성B세포 림프종** △비세포암 △뒤센 근이영양증에 사용되는 치료제다.

### 2차 시범사업 선정 지연에 대비하여 신속처리 대상의 수혜 증 맞춤형 심사 신청 완료. ('24. 8. 30)

■ 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙 [별지 제33호서식]



CRC01  
anbalcabtogene autoleucel

첨단바이오의약품의  
개발 계획에 관한 자료

### 첨단바이오의약품 맞춤형 심사 신청서

접수번호	접수일	처리기간
		30일
신청인 (대표자)	성명(법인은 법인 명칭 및 대표자 성명) (주)큐로셀, 김건수 생년월일(법인은 법인등록번호 및 대표자 생년월일) 법인등록번호: 131111-0466283 대표자 생년월일: 1975.07.15 주소 대전광역시 유성구 국제과학 16로 11	
제품 명칭	안발캅타젠 오토류셀 (anbalcabtogene autoleucel)	제품 유형 유전자치료제
효능·효과	두가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성의 거대 B 세포 림프종(large B-cell lymphoma, LBCL) 성인 환자의 치료	구성성분 자가혈액유래 CD19 표적 CAR-T 세포

「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제37조 및 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」 제37조제1항에 따라 위와 같이 첨단바이오의약품 맞춤형 심사를 신청합니다.

2024 년 08 월 30 일

신청인(대표자) 성명  
담당자 성명 및 전화번호

김건수 (서명 또는  
전대인) (010-5118-0758)

식품의약품안전처장 귀하

### 3. 제출자료의 종류 및 범위

- 맞춤형 심사 유형: 안전성·유효성 (안유)
- 맞춤형 심사 제출 자료:
  - 「첨단바이오의약품의 품목허가·심사규정」에 따른 국제공통기술문서
  - 1) 비임상시험 자료: 별표 1의 제 1부, 제 2부(2.4, 2.6), 제 4부
  - 2) 임상시험 성적에 관한 자료: 별표 1의 제 1부, 제2부(2.5, 2.7), 제 5부

제출자료의 종류와 범위는 품목허가 신청 시 안전성 및 유효성 심사 자료와 동일합니다.

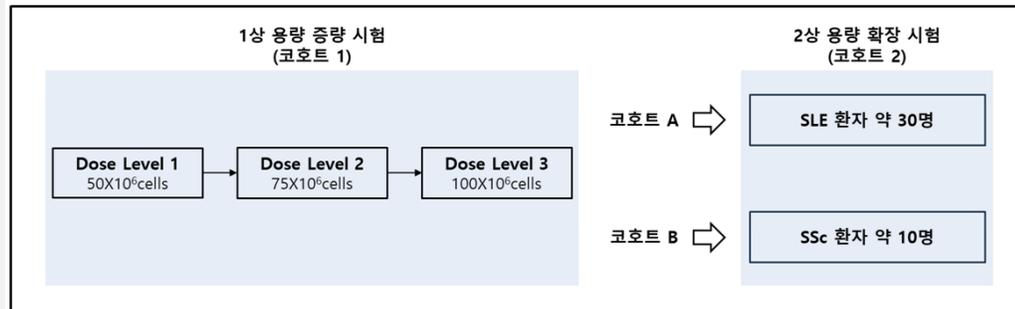
### 4. 제출일정 및 처리기간

- 맞춤형 심사 자료 제출 일정:
  - 상기 제출 자료는 9월말 (9월 마지막주) 제출 가능 예상합니다.
- 맞춤형 심사 처리기간 및결과 통보방법 (협의사항):
  - 안유 맞춤형 심사와 별도로 단계적으로 연내 품목허가를 신청할 계획입니다.

안발셀의 3번째 적응증으로 SLE 임상시험 예정('24. 12 ~ '25. 1 예상), 본 임상 전 연구자임상 예정임.

## 임상시험 개요

2가지 이상의 표준치료를 받은 19세 이상의 심각한 불응성 자가면역질환(전신 홍반성 루푸스, 전신경화증) 환자를 대상으로 한 안발셀의 내약성, 안전성 및 유효성을 평가하기 위한 공개, 다기관, 단일군, 제1/2상 시험



## 환자 규모\*

SLE 유병률 : 20.6명 ~ 26.5명/10만명 (1만 3천명~ 1만 9천명)  
한국 SLE 환자 중 가임기(20~44세) 여성 : 유병률 77.1명/10만명

SLE 발병률 : 2.5명 ~ 3.72명/10만명 (1,250명 ~ 1,860명)  
루푸스 신장질환 발생률 : 40% ~ 60% (500명 ~ 1,100명)

\* J Rheum Dis 2023;30(4): 211-219

### <별첨> 임상시험용의약품의 제공의향서

가. 임상시험용의약품 제공자 정보: ㈜큐로셀

나. 신청자 정보:

- 성명: 주지현
- 소속: 가톨릭대학교 서울성모병원 류마티스내과

다. 임상시험용의약품의 정보 및 공급계획

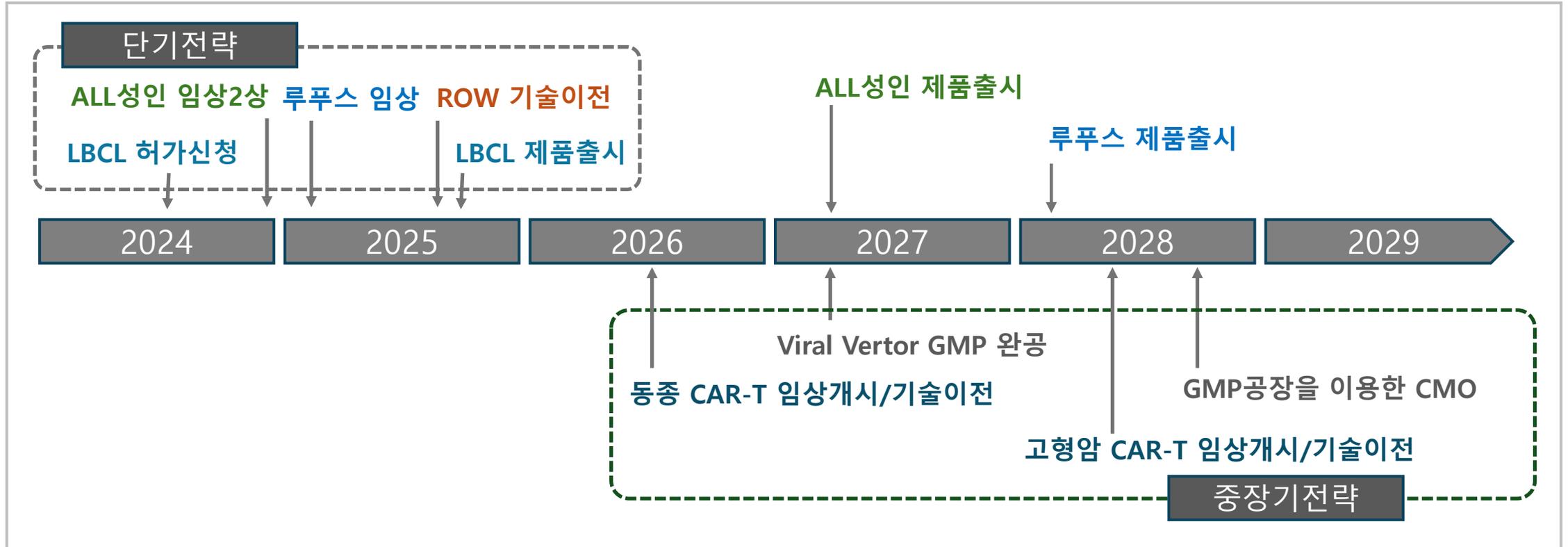
- 제품명(성분명): CRC01
- 공급 일정 및 수량: 치료목적 사용 승인 후, 대상 환자의 투여 예정일에 '㈜큐로셀 면역세포치료제 GMP 생산기술센터 (서울 소재)'에서 CRC01 (용량: 1x10<sup>6</sup> cells/kg) 1개 배치를 출고하여 공급 예정.
- 공급빈도: 1회
- 공급방법: 초저온 운송장비를 사용하여 병원으로 직접 배송

라. 대상환자 정보: 1982년생/여 (성명 이니셜:KEH)

마. 제공목적 서술

- 개별 환자에 대한 임상시험용의약품의 치료목적 사용을 위한 요청으로 본 임상시험용의약품을 공급합니다.

- 단기 : 증명된 타겟으로 안정적인 영업이익 창출, ROW 시장 기술이전 (CAR-T 제조, GMP 설계/운영, 판매권) 추진
- 중장기 : 적응증 확장으로 영업이익 확대, 동종 CAR-T 및 고행암 CAR-T의 임상 데이터 기반 기술이전
- 바이러스 벡터 생산 내제화 : 제조원가 감소, 핵심원료의 안정적 확보로 연구개발 가속화
- 자원활용의 효율화 : 임상의약품/상업용제품 CAR-T 생산공장 및 바이러스 벡터 생산공장의 CMO활용



감사합니다

**CURoCELL**

큐로셀 주식회사

대전광역시 유성구 국제과학16로 11

T. 042-863-3698

F. 042-863-3695

[curocellbtx.com](http://curocellbtx.com)

