



HLB Therapeutics

2030 희귀질환 신약개발 국내 1위 바이오 기업

2030, 희귀질환신약 개발 국내 1위 바이오 기업

처방 약이 없어 고통받는 그들을 위해...

Nov 2024



Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 투자미팅에서의 정보제공을 목적으로

HLB테라퓨틱스 주식회사 (이하 “회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바 입니다.

본 투자미팅에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며, 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해 주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다.

“예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래에 발생할 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 ‘예상’, ‘전망’, ‘계획’, ‘기대’, 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 “예측정보”는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래실적은 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다.

또한, 향후 전망은 투자미팅 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영 방향 등을 고려한 것으로 향후 시장 환경의 변화와 전략 수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려 드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

CONTENTS

Chapter 1. Company Overview

Chapter 2. Core Competitiveness

- 1) 안과질환(NK, DED)
- 2) 뇌종양질환(GBM)
- 3) 콜드체인

Chapter 3. Appendix



Chapter. 1 Company Overview

1 회사 개요

2 핵심 인력

3 연혁

4 주요 사업영역

1. 회사 개요

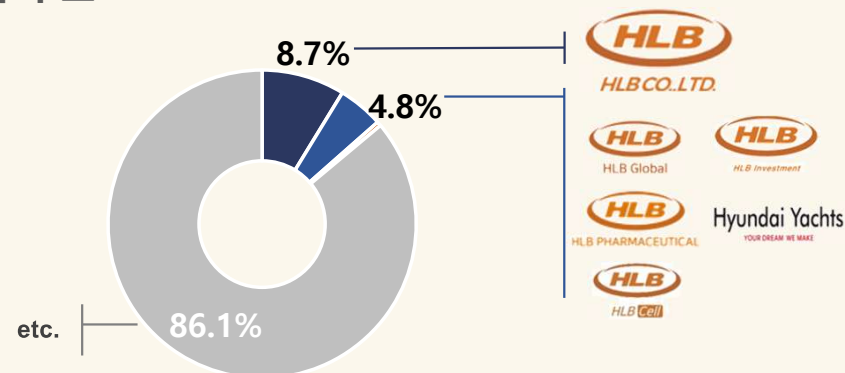


○ 일반 현황

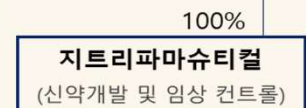
(연결 기준)

CEO	안 기 홍
설립일	2000년 6월 7일 (2010년 상장)
임직원 수	129명
사업 분야	바이오 신약 개발 (안과질환, 뇌종양) 의약품 등 유통 및 도소매업 (콜드체인)
자 산 (2024.09)	2,042억원
부 채 (2024.09)	356억원
자 본 (2024.09)	1,686억원
시 총 (2024.11.25)	9,016억원
주 소	성남시 분당구 정자일로 248 (파크뷰오피스타워 22층) * 해외) New Jersey, U.S.

○ 지분 구조 (2024. 11. 21. 기준)



○ 조직도



Non-bio 사업부

콜드체인 사업
(2018년~)

전자 사업
(2015년~)

신약개발 자회사

70%
RegenTree
(안구질환)

100%
Oblato
(뇌질환)

Immunomic Therapeutics

2. 핵심 인력

R&D

양원석 CTO	- 캘리포니아주립대 미생물학 석사 - 연세대 미생물학 학사 - 前 지트리비엔티 CEO, 차바이오텍 CEO, 한미약품(주) 상무	강신욱 부사장	- 연세대 식품공학 석사 - HLB테라퓨틱스 임상본부장	설대우 고문	- 피츠버그대학교 대학원 세포분자병리학 박사 - 중앙대학교 약학대학 교수
Stephen Pflugfelder, MD	- Baylor College of Medicine 안과전문의 겸 교수 - Baylor College of Medicine 안구표면센터 소장	Hynda K. Kleinman, Ph.D.	- The George Washington University School of Medicine 생화학 및 분자의학과 - 前 국립 치과 및 안면연구소 세포생물학부장	Allan Goldstein, Ph.D.	The George Washington University Medical School 생화학 및 분자생화학 교수 겸 명예회장
Victor Perez	- 안과교수 - Stephen and Frances Foster 석좌교수(안구 면역학 및 염증)	James Douglas Battiste, MD, Ph.D.	- The University of Oklahoma 보건과학센터 신경학 조교수 - University of Texas 사우스웨스트 메디칼 센터 신경학 및 신경치료학 강사 - 미국 정신병과 및 신경학 위원회 회원	Rheal A. Towner, Ph.D.	- Oklahoma 의학연구재단 이사 - 첨단자기공명센터 준회원 - University of Oklahoma 보건과학센터 병리학 및 약학부 부교수

Business

안기홍 대표이사	- 와세다대 국제무역학 석사 - HLB 부사장, COO (주) 약진통상 관리총괄 전무이사, COO - 이랜드그룹, 재무전략 본부장	신창섭 CFO, 공인회계사	- 연세대 경제학 석사 - 前 삼일회계법인 - 前 S-Oil, 대웅제약, 휴젤	박홍석 이사	- University of Utah 생명공학박사 - Washington University School of Medicine in St. Louis 박사 후 연구원
--------------------	---	-----------------------------	---	------------------	---

3. 주요 사업영역

○ 사업영역: Bio 및 Non-bio 병행



안과질환 치료제

- 신경영양성각막염(NK) 치료제 임상 3상 (SEER-2, -3) 진행 중
- 경쟁약 比 기간 및 환자 복용 편의성 측면에서 획기적 개선 기대
- 2조원 수준 valuation 책정



뇌종양 치료제

- FDA로부터 교모세포종 치료제 개발을 위한 희귀의약품으로 지정
- 임상 2상 중간결과 발표를 통해 우수한 치료효과 입증

신약개발(RGN-259)

신약개발(OKN-007)



콜드체인사업

백신 및 의약품 유통/도소매

- 공적 유통사업을 성공적으로 수행한 Reference 보유 (코로나백신, NIP)
- '23년 국가 필수백신 15종 중 10종 및 인플루엔자 백신 40% 유통 담당
- 제주 포함 전국단위 콜드체인 Infra



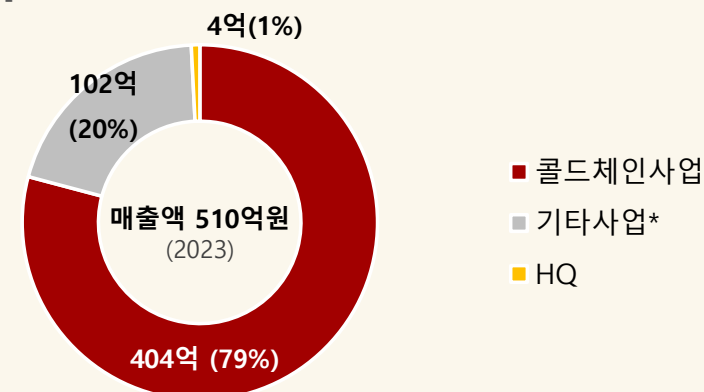
기타

유동적인 사업 In/Out 운영

- 코로나 팬데믹 기간 의료기기사업 설립을 통한 진단키트 제조/유통
- 신약개발 동안 안정적인 상장요건 유지를 위해 보일러 부품 및 주사기 제조 사업 합병 or 매각

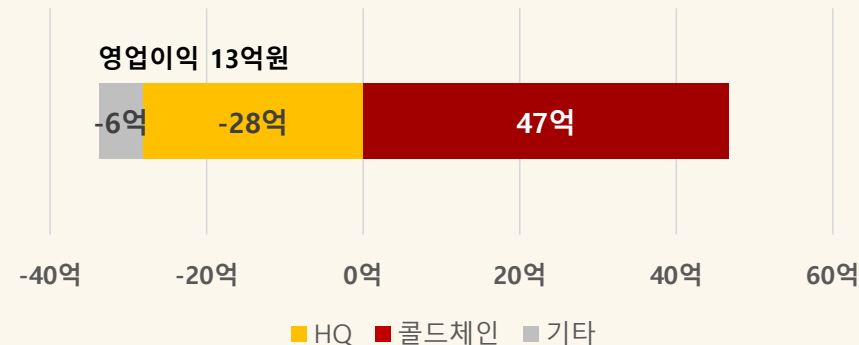
○ 사업별 매출 및 영업이익 (2023Y, 별도)

[매출 실적]



* 기타사업: 전자사업 등 비주력 사업

[손익 실적]



Chapter. 2 Core Competitiveness

1 Pipeline 현황

2 안과질환 (NK, DED)

3 뇌종양질환

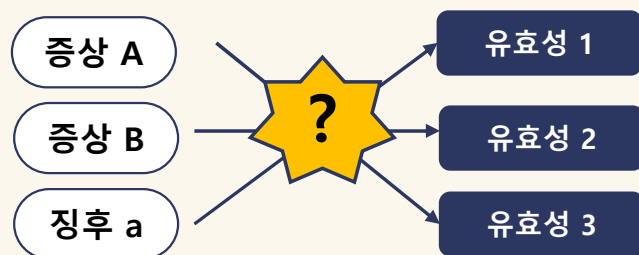
4 콜드체인

1. 신약개발 – Pipeline 현황

Pipeline	치료분야	적응증		전임상	임상1상	임상2상	임상3상
RGN-259	 Ophthalmic diseases 안과질환치료	Dry Eye Disease (안구건조증, DED)					임상 3상 진행 중
		희귀질환 Rare diseases	Neurotrophic Keratopathy (신경영양성각막염, NK)				임상 3상 진행 중
 Brain Cancer 뇌종양치료	Glioblastoma multiforme (교모세포종,GBM) 신규 환자 연구자 임상			임상 1상 진행 중			
	Glioblastoma multiforme (교모세포종,GBM) 재발 환자 임상				임상 2상 진행 중		
안구건조증(DED) 치료제		• 미국 소재 합작법인(ReGenTree, LLC)를 통해 안구건조증 치료제(RGN-259) 4차 3상(ARISE-4) 준비 중					
신경영양성각막염(NK) 치료제		• 미국 소재 합작법인(ReGenTree, LLC)를 통해 1차 3상 진행 중단 (SEER-1) • 추가 3상(SEER-2 & SEER-3) 진행 중					
교모세포종(GBM) 치료제		• 신규 교모세포종 환자 대상으로 방사선치료, Temozolomide, OKN-007 병용요법으로 미국 연구자 임상 진행 중 • 재발 교모세포종 환자 대상으로 OKN-007과 표준치료제인 Temozolomide를 병용요법으로 임상2상 진행 중					

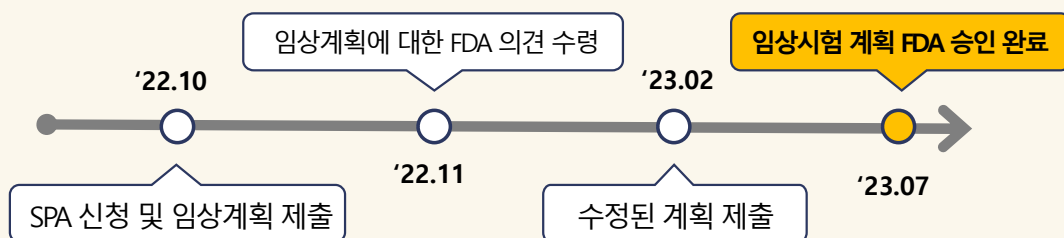
2. 신약개발 – 안과질환 (DED)

○ 안구건조증(DED) 임상현황



- 안구건조증(DED)은 증상과 징후가 다양하고 주관적 요소가 강하여 각각의 증상/징후에 매칭되는 유효성 입증에 어려움

→ SPA (Special Protocol Assessment) / 프로토콜 평가 제도를 통한 임상 3상 진행 계획



○ SPA/프로토콜 평가제도



- 개발자가 제출한 임상 주요 계획을 FDA가 함께 검토·협의하는 제도
- FDA는 해당 임상의 결과가 positive 할 경우 해당 결과를 수용
- FDA의 심도 있는 참여

○ 향후 전략방향

- SPA를 활용한 임상프로토콜 완성 후 NK 진행상황에 따라 DED임상 진행 시점 등 결정
 - 동일 제형으로 인한 가격(약가) 차별화 어려움
 - 임상약 제조 및 장기안전성 임상 측면에서 시간 및 비용 절감
 - 빠른 현금 창출을 통한 후속 Pipeline 투자

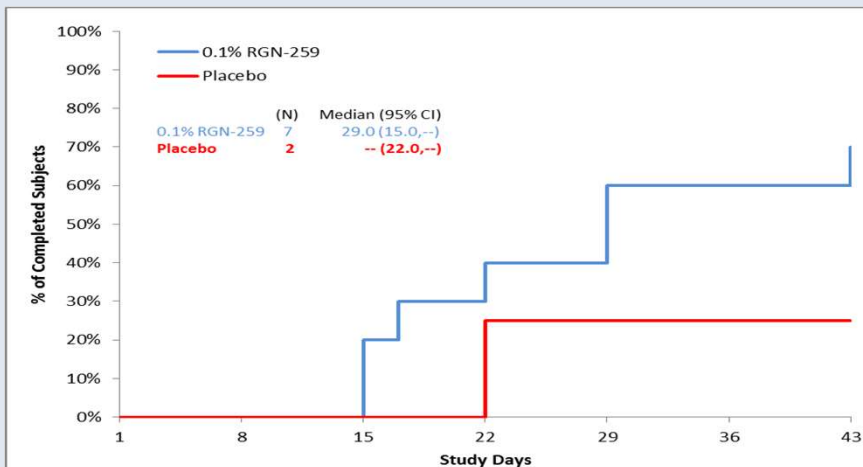
2. 신약개발 - 안과질환 (NK)

○ 신경영양성각막염(NK)

- 안과분야 희귀질환으로 각막 감각의 감소나 소실을 발생시키는 퇴행성 각막질환
- 각막의 상피 조직의 손상이 반복될 경우 궤양, 용해, 천공 등의 심각한 증세로 발전

○ 1차 3상(SEER-1)에서의 RGN-259 효력

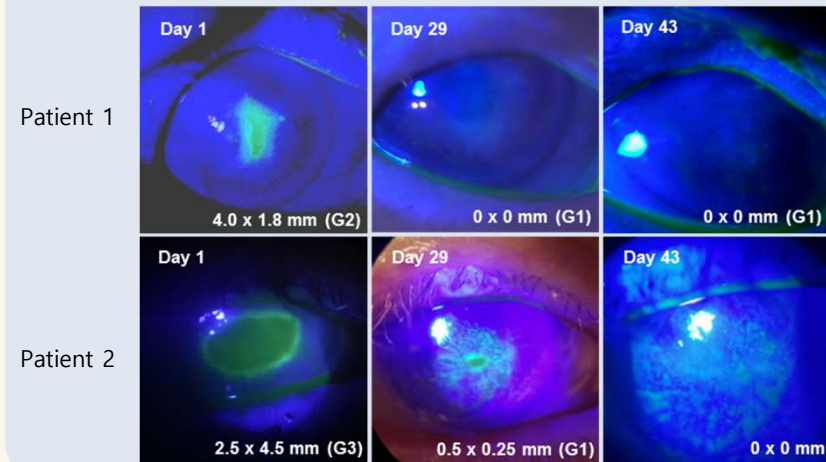
[완치 경과 시간 (K-M Curve)]



○ 임상진행 배경

- 소수의 환자임에도 **SEER-1 임상**의 강한 효력 결과
 - RGN-259군 10명 중 6명 완치, 위약군 8명 중 1명 완치, $p = 0.0400$ (카이제곱), 0.0656 (피셔)
 - 안구건조증에 비하여 명확한 승인 기준
 - 신속한 허가용 임상 성공 시, 경쟁사보다 앞선 승인 가능성
 - 기존 승인 제품 대비 경쟁력 있는 가격 제시 가능
- ➔ 기술 수출 및 자회사 매각 시도에 유리한 환경

[치료 대상자의 대표 사진]



2. 신약개발 – 안과질환 (NK)

○ NK의 글로벌 임상진행 현황



○ 경쟁사와 비교

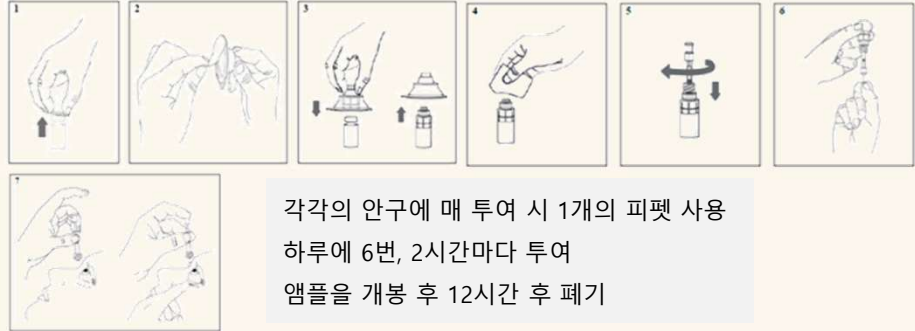
기승인 제품	Dompé (Italy) 사 Oxervate	• NK 치료제로 2018년 최초 승인 • 고가 의약품 (약 \$ 110,000 / 8주) • 복잡한 복용 방법 및 짧은 사용 기간
경쟁 임상	Recordati Rare Disease	• 첫 번째 2상 완료(미국,유럽)
	Clarix Biotherapeutics	• 첫 번째 1/2상 진행 중(미국)
	Oyster Point Pharma	• 첫 번째 2상 완료 (미국)

○ 글로벌 임상 Partners



[Back data] 경쟁사 대비 RGN-259의 장점

○ 경쟁사 제품의 포장 및 사용법

	RGN-259 (ReGenTree)	Oxervate (Dompé)
Safety and Tolerability	No difference between RGN-259 and Placebo	16% eye pain
Storage condition	Expected storage condition - Pharmacy or Distribution: In a refrigerator (2-8°C) - Patient: Possible to store at ambient condition during 4-week treatment period	For weekly carton (7 vials) - Pharmacy or Distribution: In a freezer (-20°C ± 5°C) - Patient: After each use, place in a refrigerator or keep it below 25°C for the rest of the day (no later than 12 h)
Package	- Strong competitiveness in convenience - Single use disposable vial 	Multi-dose vial for 1 day treatment with adaptor and pipette  각각의 안구에 매 투여 시 1개의 피펫 사용 하루에 6번, 2시간마다 투여 앰플을 개봉 후 12시간 후 폐기

[Back data] 경쟁사 제품(Oxervate)의 포장 및 사용법

Dry Ice를 사용한 1주간의 치료용 포장



1주간의 치료에 필요한 재료
1 복용용 다회 사용용 앰플 (하루에 눈마다 1앰플)
7 앰플 어댑터
42 피펫
42 멸균 와이프

매일 필요한 재료



멸균 와이프

피펫

앰플



연결 어댑터



필릿에 주입



투약



각각의 안구에 매 투여 시 1개의 피펫 사용
하루에 6번, 2시간마다 투여
앰플을 개봉 후 12시간 후 폐기

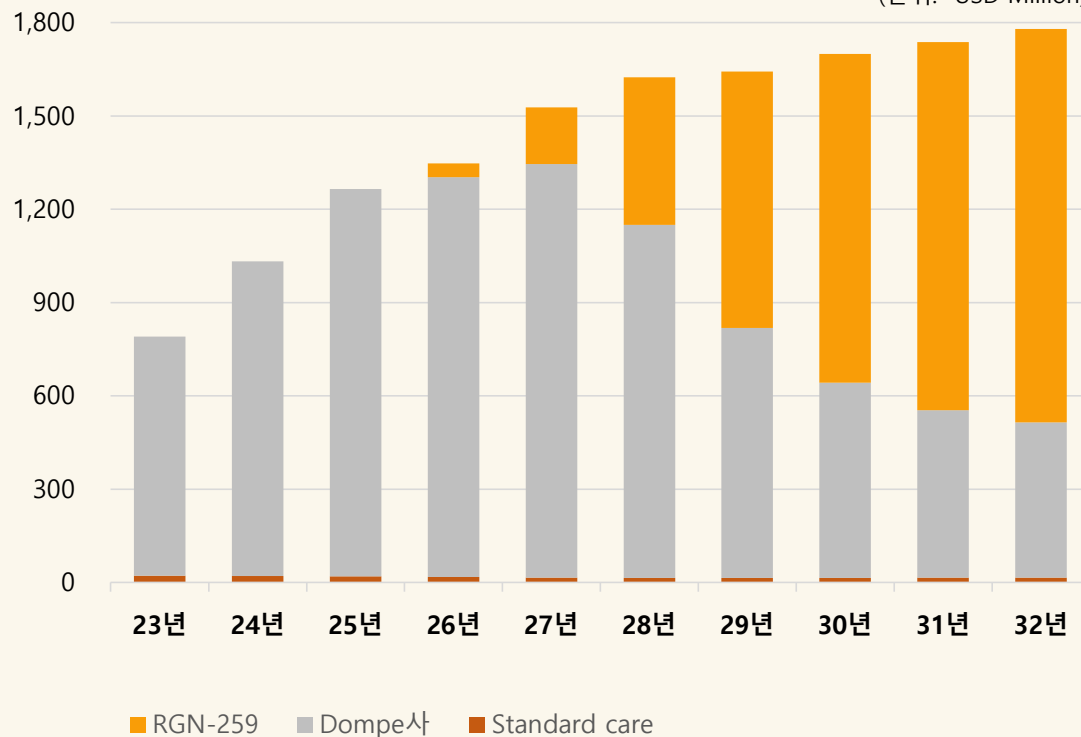
<https://youtu.be/7Q8Hlf6Y8H4>

2024 임시주주총회 ||14

2. 신약개발 – 안과질환 (NK)

○ 미국 NK 시장규모 및 M/S 전망¹⁾

(단위: USD Million)



※ Source : DELVEINSIGHT and internal analysis

○ Growth Opportunity

시장성

- ✓ 미국의 신경영양성각막염 유병율은 약 6만 여 건 (2019)에서 약 7만 여 건 (2032)으로 증가 예상
- ✓ 미국 NK 치료제의 전체 시장은 2022년 약 \$ 0.6B 에서 2032년 약 \$ 1.8B 로 성장 예상 (CAGR 11.7%)

※ '23년 Dompe사 재무제표상 Oxervate 미국 순매출액 \$ 769M*
('22년 比 36% 증가) → 희귀질환임에도 우수한 시장성
(Duff & Phelps를 통해 NK valuation 진행)

* Oxervate 미국시장 총매출(순매출) Trend (CAGR 34%)

• '21Y \$ 460M → '22Y \$ 610M (566M) → '23Y \$ 828M (769M)

NK Valuation 결과

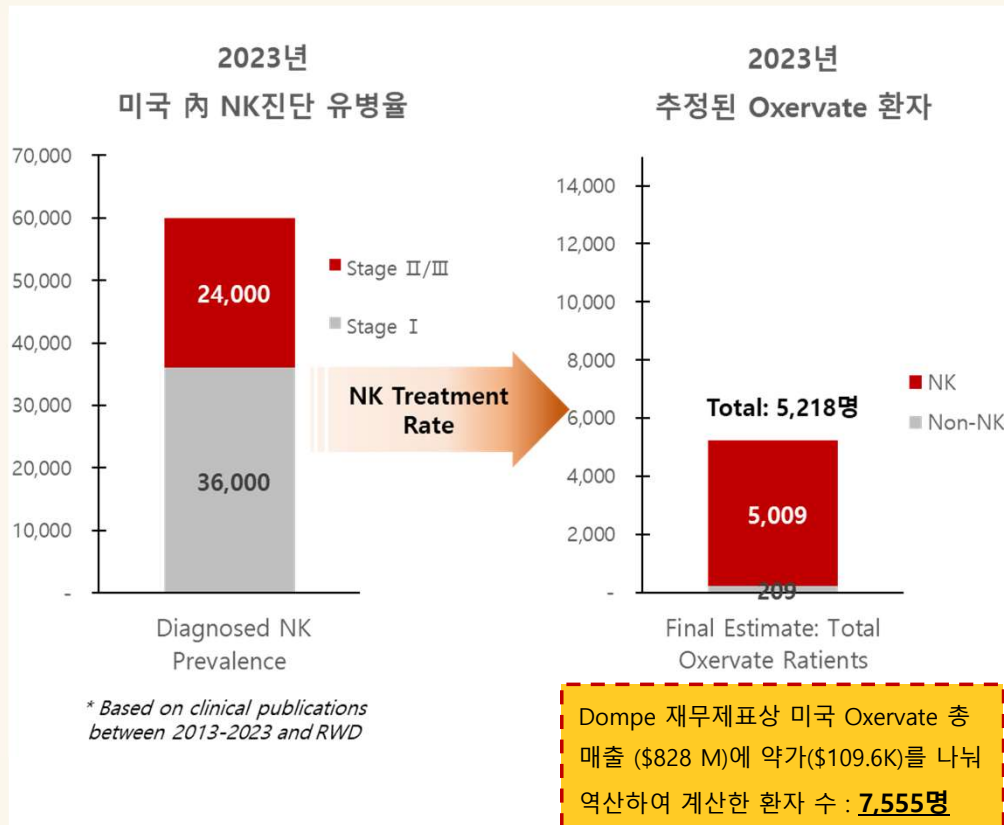
* 외부 평가업체 Duff & Phelps에 의뢰

Scenario (USD in millions)	Downside Case	Base Case	Upside Case
In House	\$316	\$721	\$1,284
Big Pharma	\$796	\$1,348	\$2,275

2024 임시주주총회 ||15

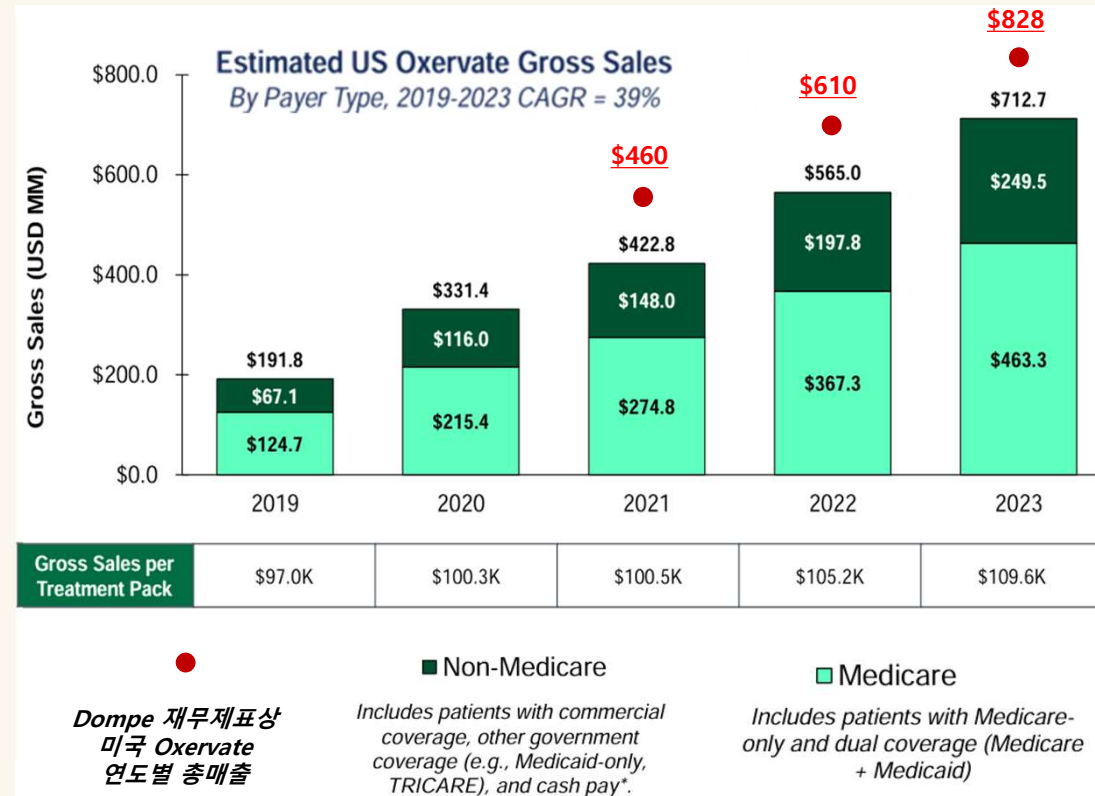
[Back data] 미국 NK 및 Oxervate 현황

미국 내 NK 진단받은 환자수에 비해 Oxervate 처방 환자는 일부에 불과함



※ Source : Survey (n=52) and analysis, CMS, Definitive Healthcare, TriNetX, PurpleLab

미국 Oxervate 매출은 ① 투여 환자수 및 ② 약가 상승에 의해 연평균 39% 성장 중이며, '23년 기준 약 \$0.7B 수준

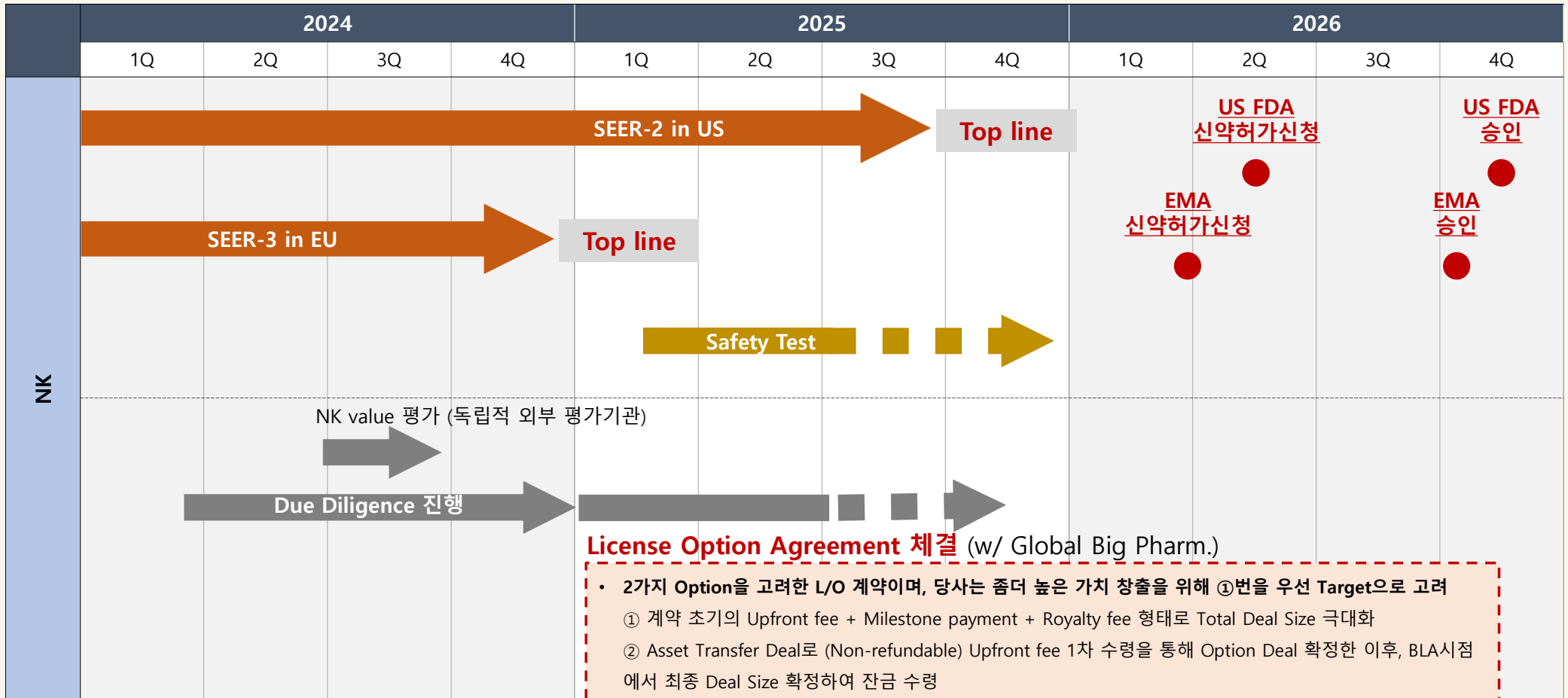


※ Source : Survey (n=52) and analysis, CMS, Definitive Healthcare, TriNetX, PurpleLab

2024 임시주주총회 ||16

2. 신약개발 – 안과질환

○ RGN-259 중장기 전략



2024 임시주주총회 ||17

3. 신약개발 – 뇌종양질환

○ 교모세포종(GBM)

- 뇌종양의 일종으로 뇌 조직에 존재하는 신경교세포에서 기원
- 5년 내 평균 생존율 7% 미만의 악성질환
- 수술, 방사선 요법, 항암치료 등 치료를 받는 경우에도 평균 생존기간은 16개월 내외

○ OKN-007의 효능 및 특징

- 저산소증 개선에 따른 종양미세환경(Tumor micro environment) 변화를 통한 교모세포종 괴사 및 종양세포 증식 감소
- FDA 희귀질환 치료제 지정 (2016.8)

○ 임상현황

재발
GBM
Ph 1

- 재발한 Grade 3, 4 뇌교종 환자 대상
 - OKN-007의 안전성 및 약동력학* 주요 지표 충족
- * 약물이 생체 내에서 어떻게 흡수, 분포, 대사, 및 배설 되는지를 연구하는 분야

재발
GBM
Ph 2

- 주사제형 OKN-007 + Temozolomide(TMZ) 병용투여
- 자체 중간 분석 결과 목표한 6개월 생존 비율 달성 및 TMZ를 포함한 타 임상의 historical data 대비 우위 확보

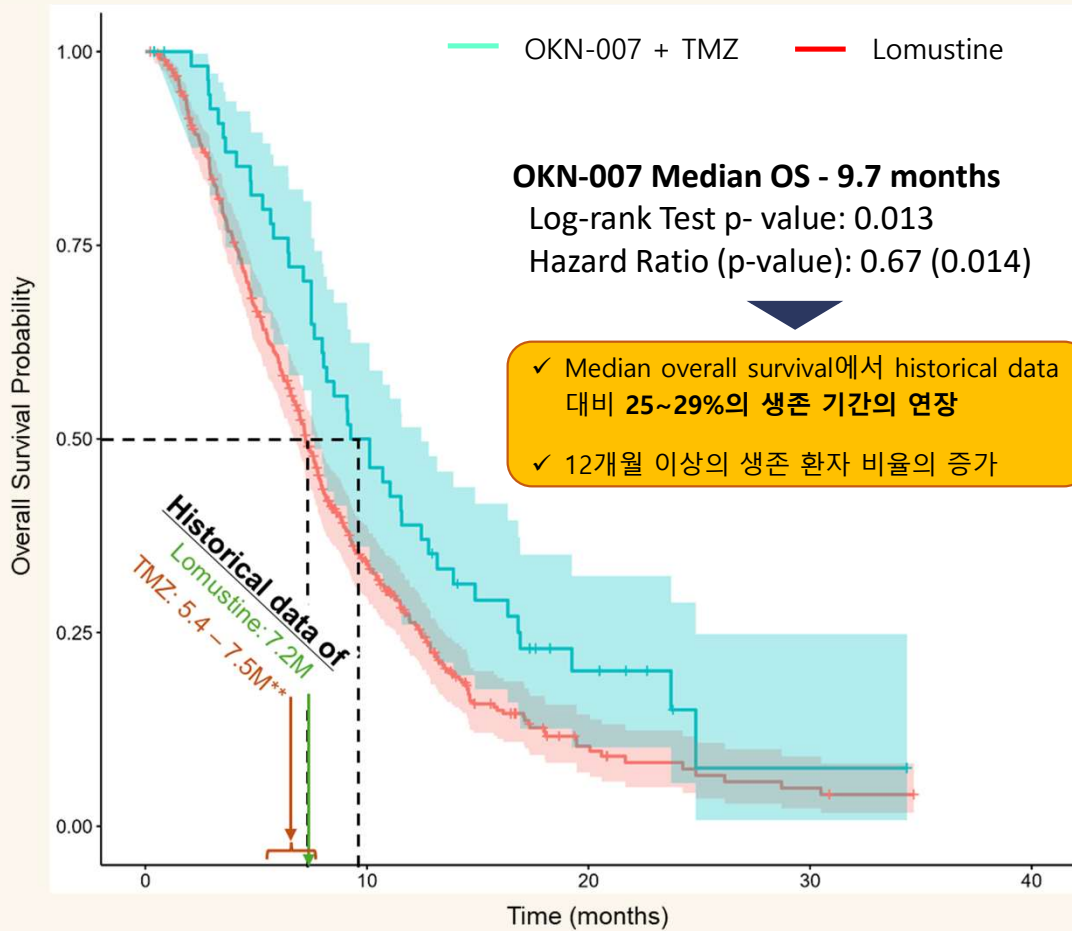
신규
GBM
Ph 1b

- 주사제형 OKN-007 + 방사선 + Temozolomide 병용투여
- 자체 중간 분석 결과 생존 기간 연장 및 타 임상의 historical data 대비 우위 결과

반복적 생존 연장
효과 확인

3. 신약개발 – 뇌종양질환

○ 전체 생존율 비교 [2024년 5월 AACR 발표]



Clinical Trial/Source of historical data	중간 결과 (2024년 5월 기준)	표준 TMZ의 historical Data	Lomustine의 historical Data
환자군		표준 TMZ 치료법을 이용한 재발성 교모세포종 대상 임상 논문 9건의 결과 범위	Lomustine을 사용한 재발성 교모세포종 대상 임상 논문 6건을 통합한 단일 환자군
참여대상자	56명	16 - 142명	449명
전체생존기간 중간값(개월) (95% CI)	9.7 (7.6, 12.5)	5.4 - 7.5	7.2 (6.8, 7.8)
6개월 생존율	75.9%	46 - 64%	60.3%
12개월 생존율	38.9%	17.5 - 28%	26.3%
24개월 생존율	15.1%	NA	8.2%

- ✓ 20년전 승인된 Temodar (성분명: Temozolomide, TMZ)가 아직 SOC로 사용 중이며 그 외 몇 가지 치료제가 존재하나 생존율 측면에서 한계점이 명확
- ✓ 현재 GBM 치료 시장에서 경쟁 중인 약물은 부재(不在)

* Lomustine 비교 군:

- Northwest Biotherapeutics의 수지상 세포백신 3상의 비교군인 External control population data 이용
- 2010년 이후에 행해진 재발성 교모세포종 대상 6개 randomized trial 의 논문 발표 결과를 digitizing하여 449명 규모의 가상의 비교군을 만들어 분석 (Linda M. Liao et al. JAMA Oncol, 2022)

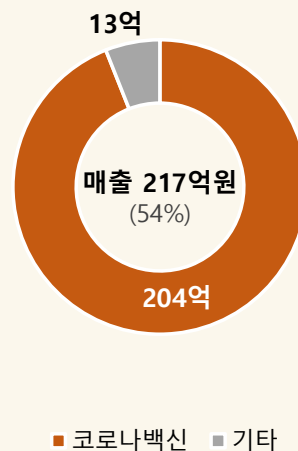
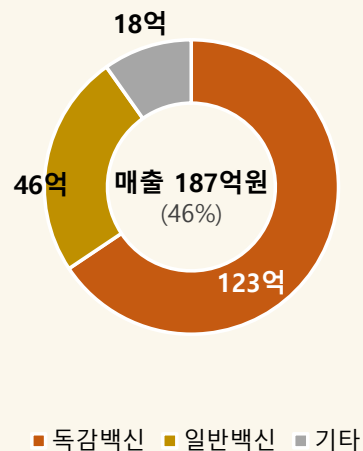
2024 임시주주총회 ||19

4. 콜드체인

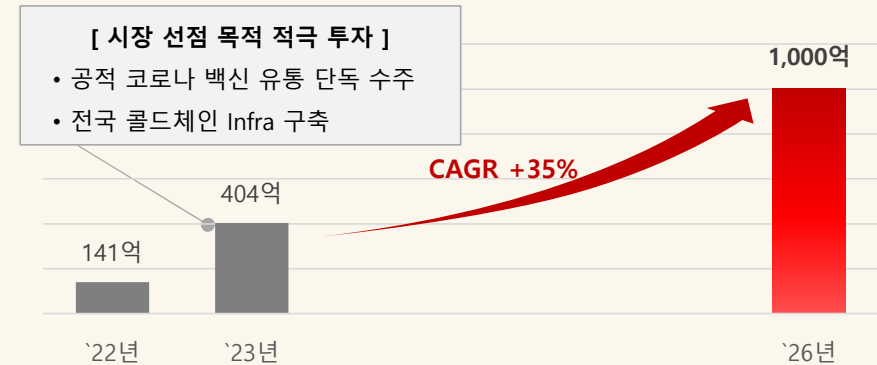
○ 서비스 분야

도소매 BM	물류유통 BM
독감 백신	공적 코로나 백신
일반 백신 (대상포진, 폐렴구균, 자궁경부암 등)	일반 백신
의약품 및 의약외품	의약품 및 의약외품

매출 비중 (FY 2023)



○ 연도별 매출



○ Competitiveness

- 설비** 국내 유일 초저온 및 2~8°C 온도를 지속적 유지 및 컨트롤 가능한 최신 설비 보유 (온도관제시스템, 전국권 유통 시설)
2중 콜드체인 배송시스템 운영(냉장수송용기 + 냉장차량)
- 기술** 기술력을 바탕으로 전문적 관리체계와 축적된 노하우로 높은 위기대처 능력 (대한민국 1호 IoT 보안 인증 체계 및 최신 SOP(표준작업지침) 구축)
- 경험** 콜드체인 기술을 안전한 환경에서 안전하게 공급할 수 있는 경험 및 레퍼런스 확보*

* 공적 코로나 백신 유통: 21년 공동(w/ SK바이오사이언스), 23년/24년 단독 수행

2024 임시주주총회 ||20

Chapter. 3 Appendix

1 재무제표(연결)

2 재무제표(별도)

1. 재무제표(연결)

○ 재무상태표

(단위: 백만원)

구분	FY2024.3Q	FY2023	FY2022	FY2021
유동자산	59,530	49,825	80,012	113,253
비유동자산	144,655	150,970	107,632	76,458
자산총계	204,185	200,795	187,643	189,711
유동부채	17,517	26,791	58,628	56,717
비유동부채	18,044	2,485	900	2,955
부채총계	35,560	29,276	59,528	59,672
자본금	40,070	37,016	15,992	15,668
자본잉여금	135,566	125,176	97,290	190,850
기타자본구성요소	(111)	23	426	510
기타포괄손익 누계액	1,111	3,114	4,914	2,295
이익잉여금 (결손금)	(29,959)	(4,862)	(1,916)	(90,644)
비지배지분	21,948	11,053	11,408	11,360
자본총계	168,624	171,519	128,116	130,039

○ 연결 포괄손익계산서

(단위: 백만원)

구분	FY2024.3Q	FY2023	FY2022	FY2021
수익(매출액)	38,469	53,749	48,132	43,586
매출원가	32,491	46,283	38,819	38,453
매출총이익	5,977	7,466	9,313	5,133
판매비와관리비	13,617	16,167	17,190	16,220
영업이익(손실)	(7,640)	(8,700)	(7,877)	(11,087)
영업외손익	(17,054)	5,931	(4,228)	(6,678)
법인세차감전 순손익	(24,695)	(2,769)	(12,104)	(17,764)
중단영업손익	(534)	(310)	-	-
당기순이익	(25,229)	(3,079)	(12,104)	(17,764)
기타포괄손익	(1,233)	(1,682)	3,499	(996)
총포괄손익	(26,462)	(4,762)	(8,605)	(18,760)

2024 임시주주총회 ||22

2. 재무제표(별도)

○ 재무상태표

(단위: 백만원)

구분	FY2024.3Q	FY2023	FY2022	FY2021
유동자산	52,852	48,175	75,165	112,878
비유동자산	182,512	167,507	121,376	84,672
자산총계	235,364	215,682	196,542	197,551
유동부채	17,211	25,669	53,630	55,670
비유동부채	18,060	2,535	477	2,708
부채총계	35,271	28,204	54,107	58,379
자본금	40,070	37,016	15,992	15,668
자본잉여금	157,920	136,417	108,532	202,091
기타자본구성요소	(561)	(428)	426	510
기타포괄손익 누계액	(2,423)	(2,429)	1,015	1,255
이익잉여금 (결손금)	5,087	16,901	16,469	(80,353)
자본총계	200,092	187,478	142,435	139,172

○ 포괄손익계산서

(단위: 백만원)

구분	FY2024.3Q	FY2023	FY2022	FY2021
수익(매출액)	39,197	51,022	42,578	43,730
매출원가	32,491	43,590	33,558	38,463
매출총이익	6,706	7,430	9,020	5,267
판매비와관리비	6,459	6,129	6,478	8,463
영업이익(손실)	246	1,301	2,541	(3,195)
영업외손익	(10,266)	(263)	(5,971)	(13,013)
법인세차감전 순손익	(10,020)	1,038	(3,429)	(16,208)
중단영업손익	(534)	-	-	-
당기순이익	(10,554)	1,038	(3,429)	(16,208)
기타포괄손익	35	(3,496)	11	(5,774)
총포괄손익	(10,519)	(2,458)	(3,418)	(21,982)

2024 임시주주총회 ||23



경기도 성남시 분당구 정자일로 248 파크뷰오피스타워 22층
Tel 031-786-7800 | Fax : 031-768-7801 | E-Mail : contact-hlbtr@hlbtherapeutics.com