CUROCELL

혁신적인 항암면역세포치료제 개발의 선두주자

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

Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자를 대상으로 실시되는 PRESENTATION에서의 정보제공을 목적으로 ㈜큐로셀(이하 ' 회사')에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려 드리는 바입니다.

본 자료에 기재된 정보에 대해서는 별도의 독립적인 확인 과정이 이루어지지 않았습니다. 본 자료에 포함된 정보나 의견의 공정성, 정확성 또는 완결성과 관련하여, 어떠한 명시적 또는 묵시적 진술보장도 제공되지 않으며, 본 자료에 포함된 정보나 의견의 공정성, 정확성 또는 완결성에 관하여 의존하여서도 안 됩니다. 본 자료에 포함된 정보는 본 자료 제공 당시의 상황에 기초하여 해석되어야 하며, 본 자료 제공 이후 발생한 중대한 진행사항을 반영하여 업데이트 되지 않을 것입니다. 회사, 관계회사와 그 임원, 이사, 직원 또는 자문사 등 회사와 관련된 어떠한 자도 과실 등 여부를 불문하고 본 자료 또는 그 기재내용을 이용함으로써 발생하거나 또는 달리 본 자료와 관련하여 발생하는 어떠한 손해에 대해서도 여하한 책임을 부담하지 않습니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. 본 자료에 포함된 '예측정보'는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다.

이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '기대', 'E' 등과 같은 단어로 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 PRESENTATION 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 특정 정보(data)는 다양한 외부 출처를 통해 확보된 것으로 회사는 해당 정보에 대하여 독립적으로 출처를 검증하지 않았습니다. 따라서 회사는 해당 정보의 정확성이나 완결성에 대한 어떠한 진술도 하지 않으며, 해당 정보는 위험과 불확실성을 수반하고 다양한 요소로 인하여 변경될 수 있습니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 REPRESENTATIVE들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다(과실 및 기타의 경우 포함).

본 문서는 주식의 모집 또는 매매 및 청약을 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

01
chapter

CAR-T 치료제

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

1 항암제 발전과 면역항암제의 출현

CUROCELL

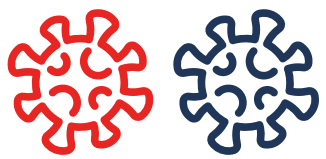
항암제는 심각한 부작용을 줄여 삶의 질을 높이고 수명을 연장하는 방향으로 발전하고 있음

Side effect → Quality of Life

세포독성 항암제

암세포, 정상세포 구별없이
증식하는 모든 세포공격

암세포 | 생식세포(정자,난자) | 혈액세포 | 모근세포



표적 항암제

표적을 갖고 있는 세포를
구별하여 공격

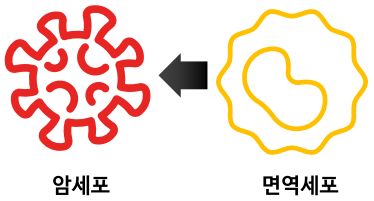
암세포 | 일부 정상세포

면역 항암제

면역관문억제제

면역세포의 기능을 강화해서
면역세포가 암세포 공격

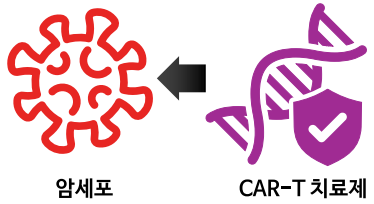
면역세포



CAR-T 세포치료제

암세포를 공격하도록 유전자 조작한
면역세포를 환자에게 직접투여

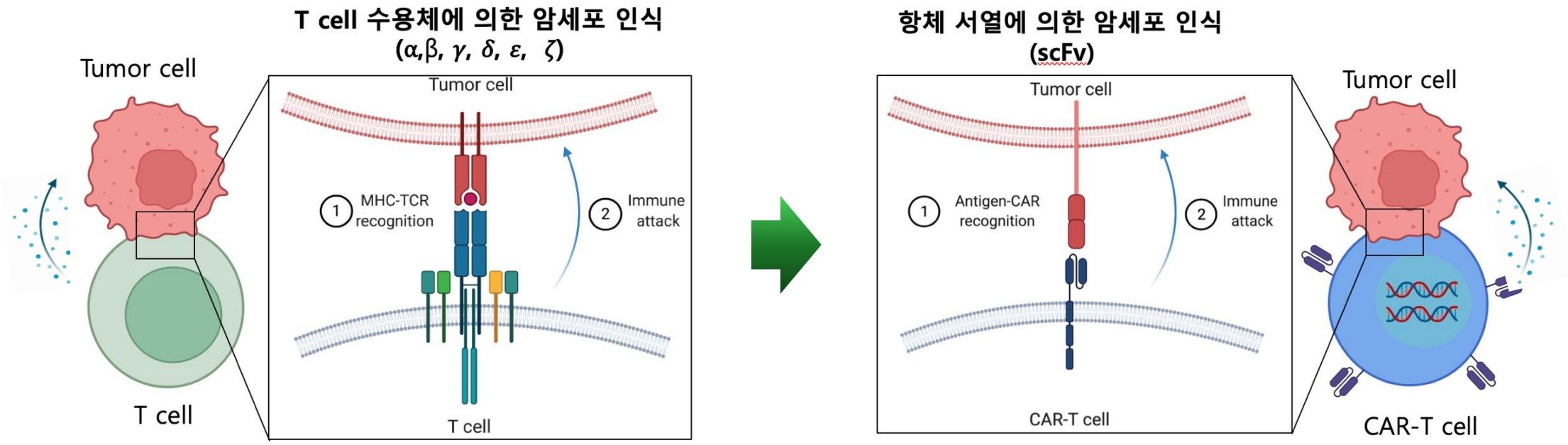
암세포



2 CAR-T 치료제의 작동원리

CUROCELL

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



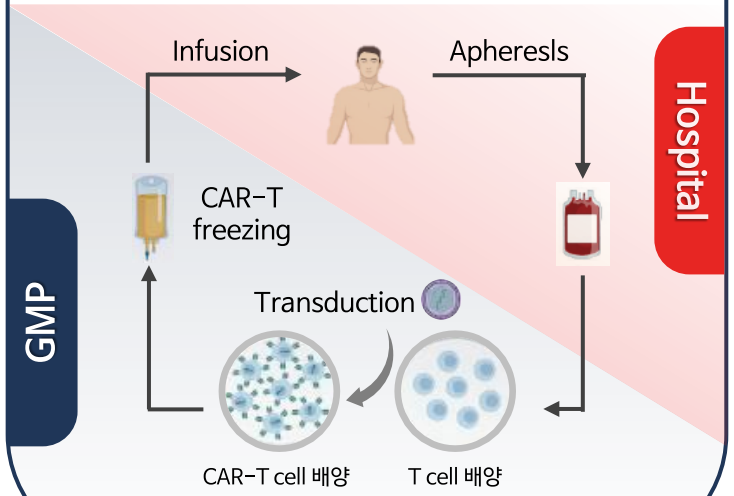
3 CAR-T 치료제의 가치와 한계

CUROCELL

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

CAR-T 치료과정

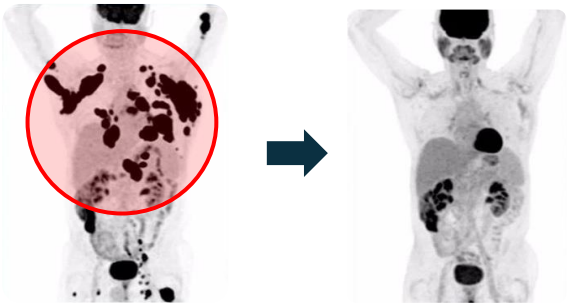
CAR-T는 병원과 제조사의 긴밀한 협력이 요구되는 개인 맞춤형 치료제



CAR-T 치료제의 가치

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

치료 전 / 치료 후 90일



재발성, 불응성 환자 → 완전관해

환자 별 맞춤의약품 → 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**
   Intrapleurally delivered mesothelin CAR-T w/ pembrolizumab
   (14명 환자 중 2명 CR, 5명 PR, 4명 SD :2019 ASCO)

02
chapter

임상 및 기술 개발 현황

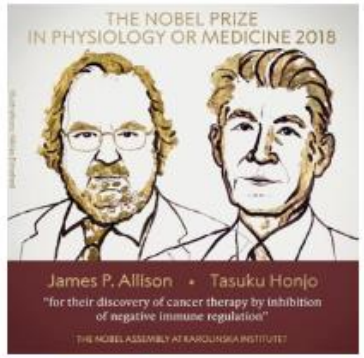
1. 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)의 차별점
2. 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)개발
3. Anbal-cel 치료제
4. Anbal-cel 적응증 및 임상 결과
5. Anbal-cel의 추가 적응증
6. 허가일정
7. 큐로셀 CAR-T 치료제 pipeline
8. 큐로셀 CAR-T 기술역량

1 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)의 차별점

CUROCELL

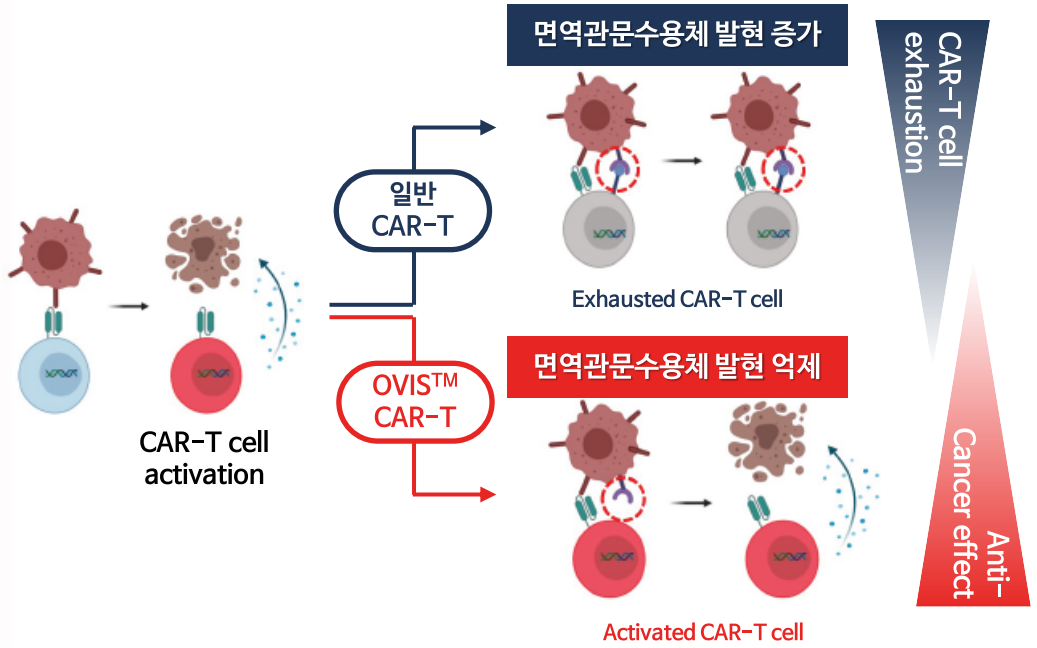
면역관문수용체 발현 억제 기술로 기존 CAR-T 치료제의 약효 개선을 목표로 함

면역관문억제제의 항암효과



CAR-T 치료제 기술로 확대 적용

CAR-T 치료제 기술로 확대 적용

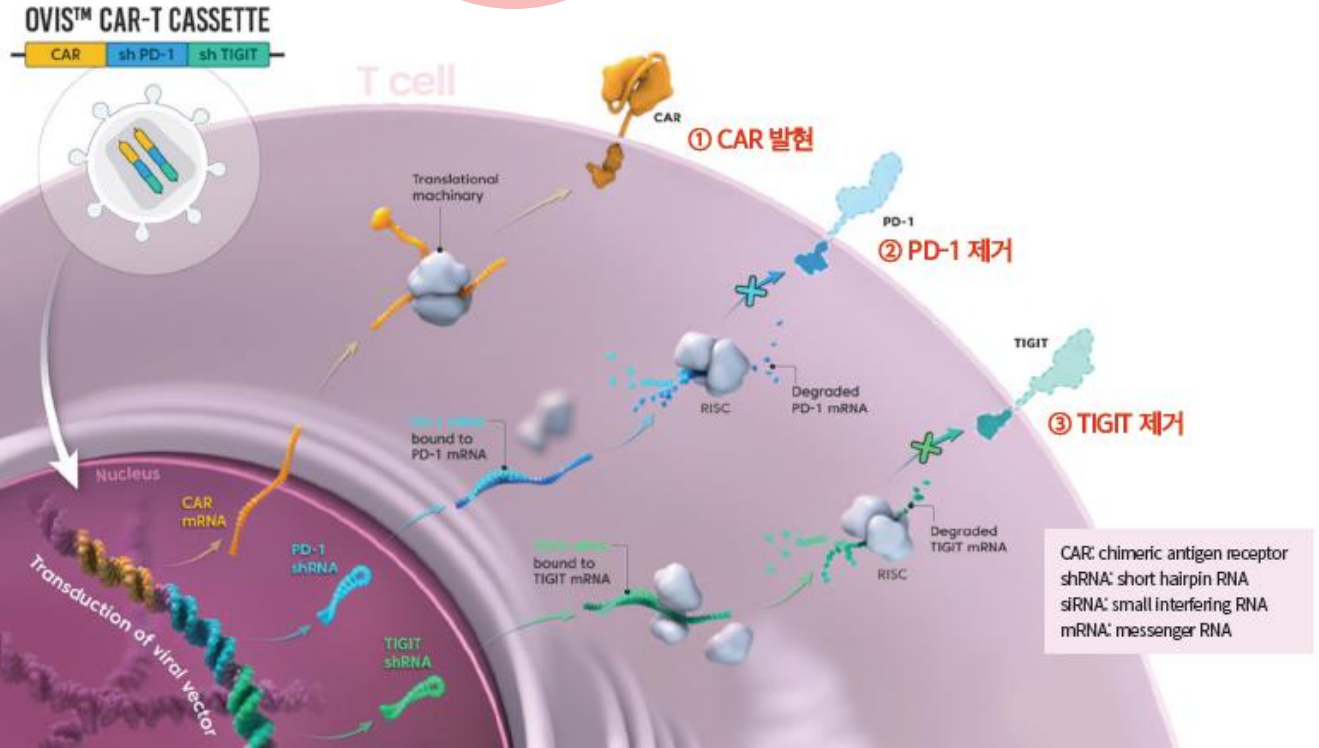


2 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)의 개발

CUROCELL

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

(OVIS™) 기술 = CAR-T 기술 + 면역관문 억제제



(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

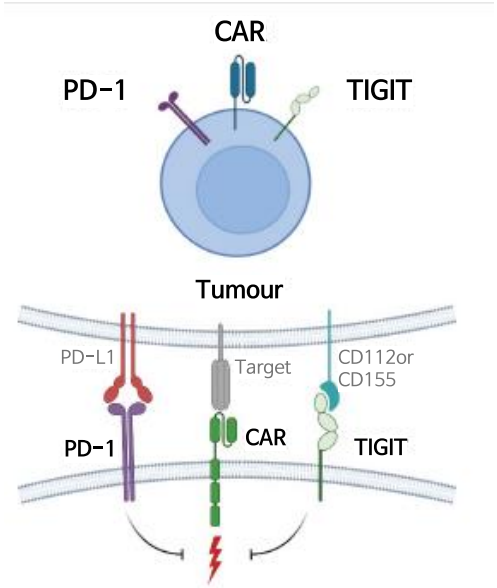
국내 최고 수준의 6개 대학병원에서 임상 진행 중
(삼성서울병원, 서울아산병원, 서울대학교병원,
국립암센터, 부산대학교병원, 전남대학교병원)

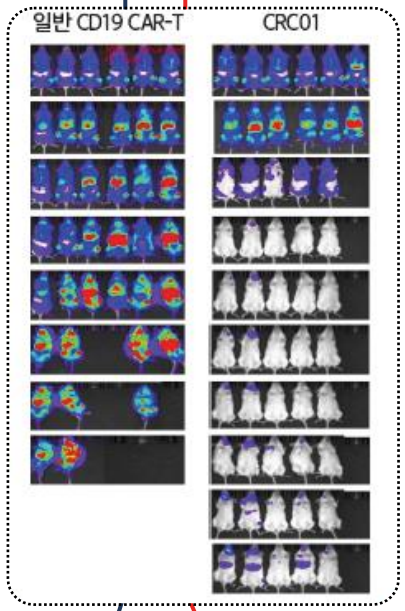
3 큐로셀 CAR-T 신기술(OVIS™)이 적용된 anbal-cel(CRC01)

CUROCELL

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

일반 CD19 CAR-T





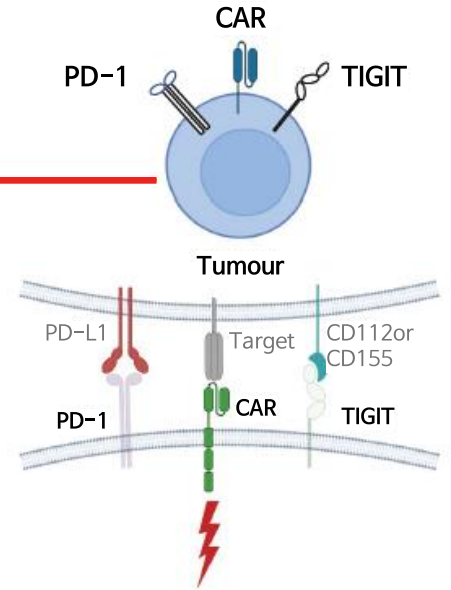
PD-1, TIGIT에 의해 면역 억제 **강함**

OVIS™ CD19 CAR-T(CRC01)

PD-1 발현
평균 70% 억제

TIGIT 발현
평균 90% 억제

림프종과 백혈병 환자에서
향상된 치료효과를 기대



PD-1, TIGIT에 의해 면역 억제 **약함**

4 Anbal-cel(CRC01)의 임상적응증 - DLBCL

CUROCELL

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

림프종 개요 및 특징

Non-Hodgkin Lymphoma 환자

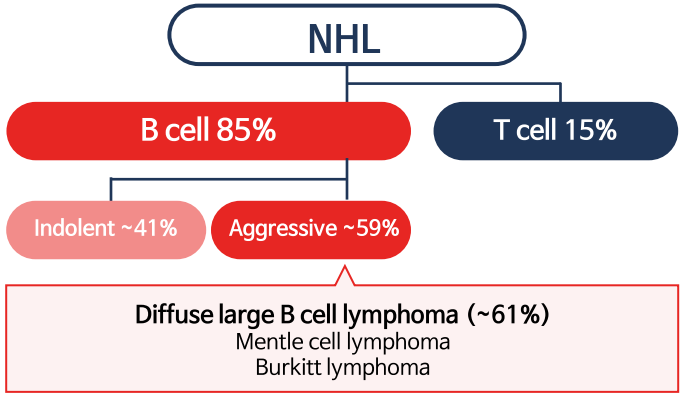
- 전체 암의 4%
- 2022년 80,470명 신규 발생 예상
- 2022년 20,250명 NHL로 사망 예상

[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

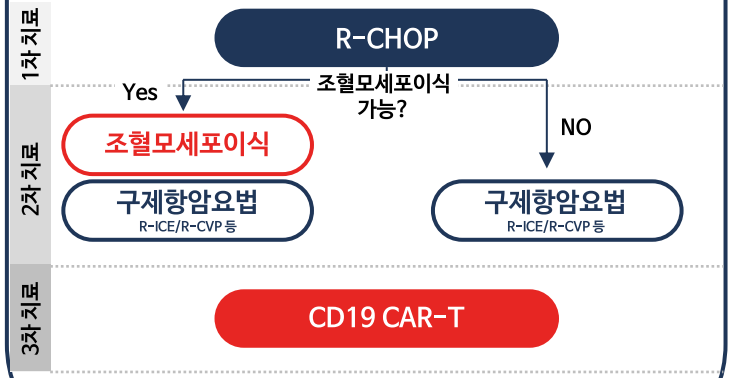


Aggressive 환자의 장기 생존율 증가 목표

- 1차 또는 2차 치료에 대한 반응률 향상
- 완전관해 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 〉

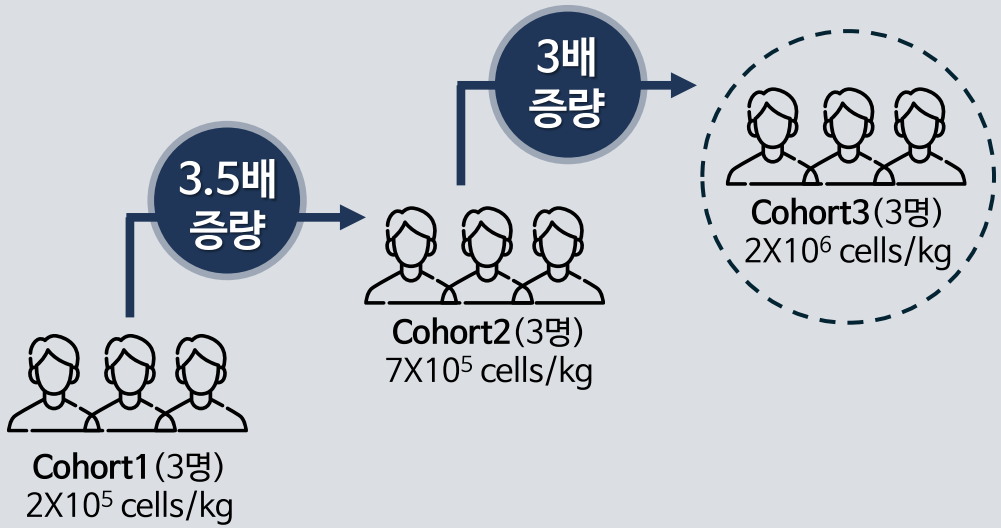
4 Anbal-cel(CRC01)의 임상디자인- DLBCL

CUROCELL

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

OVIS™ 기술개발 → Proof of Concept → 제품 개발(CMC) → 비임상 → **임상 1상(완료)** → **임상 2상(완료)** → **허가 신청**

임상 1상 (2021.2Q~): 투약 용량 선정



임상 2상(2022.1Q~)
:안전성 및 유효성 평가

79명

Data 확보

유효성 분석군 : 73명
안전성 분석군 : 79명

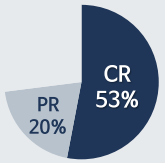
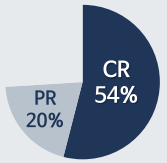
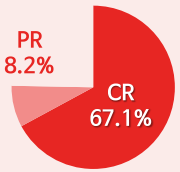
허가 신청(2024)

신약 허가 신청

4 Anbal-cel(CRC01)의 임상결과 비교

CUROCELL

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

		KYMRIAH (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	23%	3%	9%	9%
	≥G3 ICANS	19%	10%	31%	4%

* Referred from the package insert of each product (Clinical Trial Experience)

5 Anbal-cel(CRC01)의 추가 적응증 - 성인ALL

CURocell

성인 백혈병 개요 및 특징

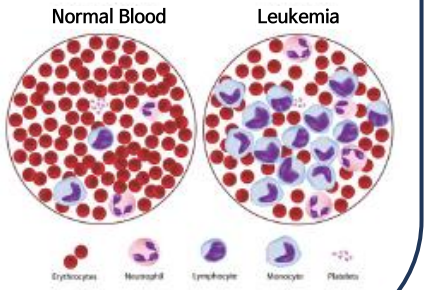
백혈병(Leukemia) 환자

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

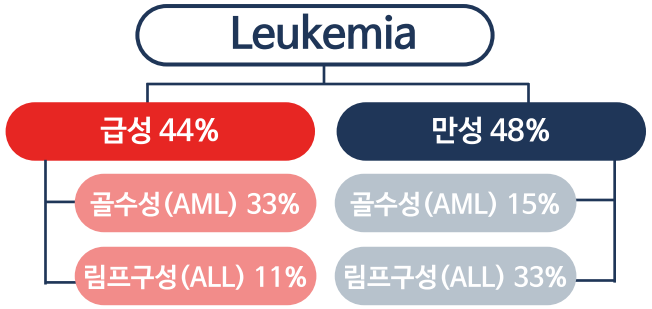
[출처 : https://trp.cancer.gov/spores/lymphoma.htm)

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

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



백혈병의 분류와 Unmet needs



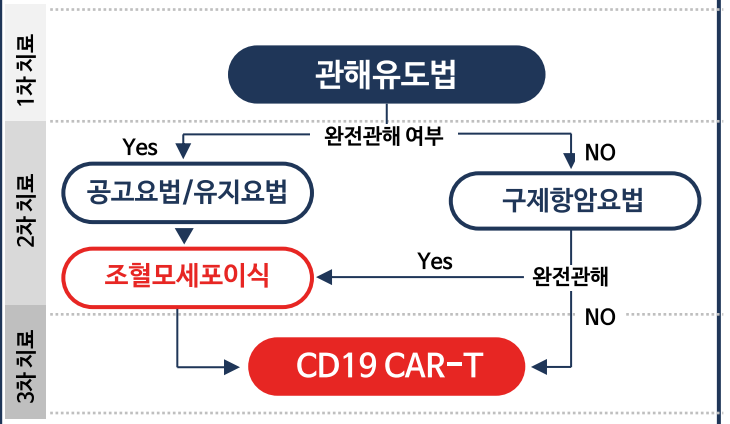
급성 림프모구성 백혈병 (ALL)

- 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



성인 ALL 치료과정

5 Anbal-cel(CRC01)의 추가 적응증 - 성인ALL

CURocell

ALL 치료용 CD19 CAR-T

소아 및 25세 이하의 성인 ALL에서 FDA 승인

NOVARTIS
KYMRIAH (tisagenlecleucel)

성인 환자 data 없음

18세 이상의 성인 ALL에서 FDA 승인

재발성, 불응성 성인 ALL 환자의 유일한 치료 옵션

GILEAD
TECARTUS (brexucabtagene autoleucel)

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

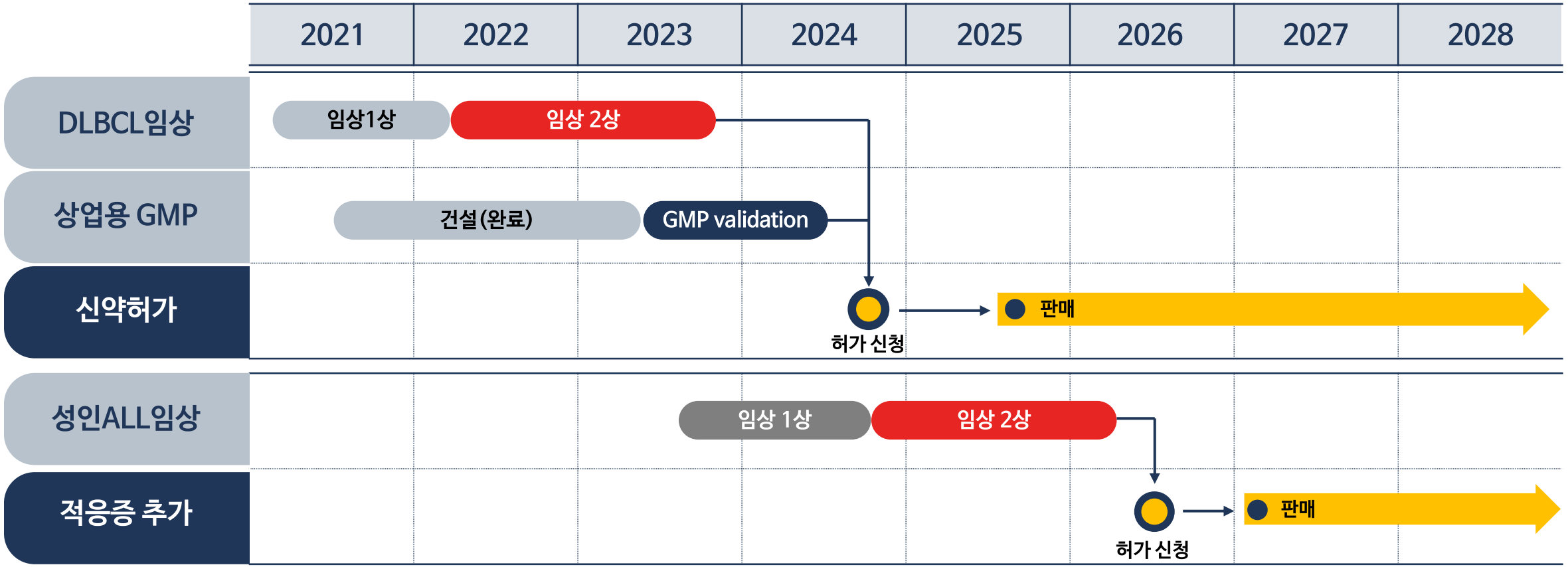
성인 ALL 권위자
이석 교수

삼성서울병원 SNUH 세브란스병원 서울아산병원 Asan Medical Center
가톨릭대학교 서울성모병원 부산대학교병원 PNU
화순전남대학교병원 고려대학교안암병원

성인 ALL 임상시험 기관

6 허가일정

CUROCELL



7 큐로셀 CAR-T 치료제 pipeline

CUROCELL

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

	Target명	적응증	연구	전임상	임상 1상	임상 2상	비고
혈액암	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				
고형암	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				

8 큐로셀 CAR-T 기술 역량

CUROCELL

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

차세대 기술확보, 기초연구부터 공정개발, 분석법확립, 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

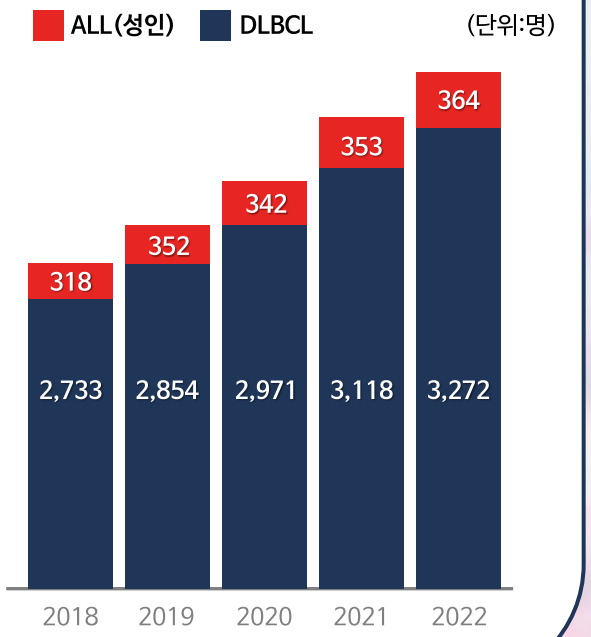
1 CD19 CAR-T 치료제 시장 규모

CUROCELL

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

국내 신규 환자 발생 수

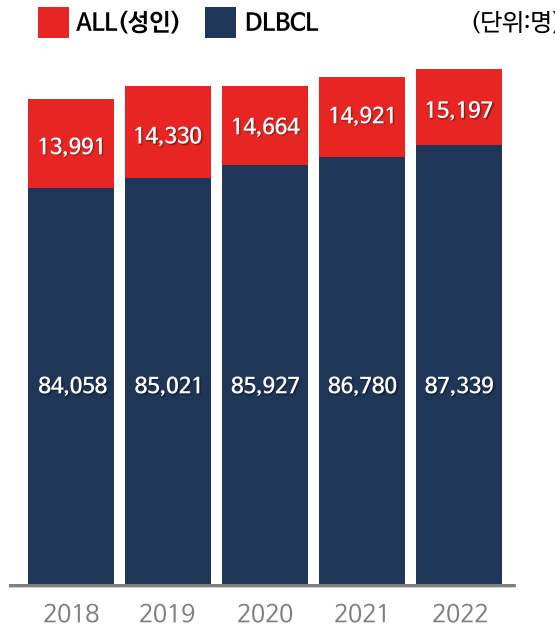
- 국내 DLBCL
  신규 환자 발생은 년 5% 증가
  ('22년 3,200명 추정)
- DLBCL 신규 환자의 약 30%가
- 재발성, 불응성 상태로 진행됨
  (3,200명 중 약 900명이
  CD19 CAR-T의 치료대상 환자)
- 국내에서는 1개 제품만
  허가, 판매 중임
  (Kymriah®,Novartis)



출처 : 보건복지부 중앙암등록본부

글로벌 신규 환자 발생 수 (주요 8개국)

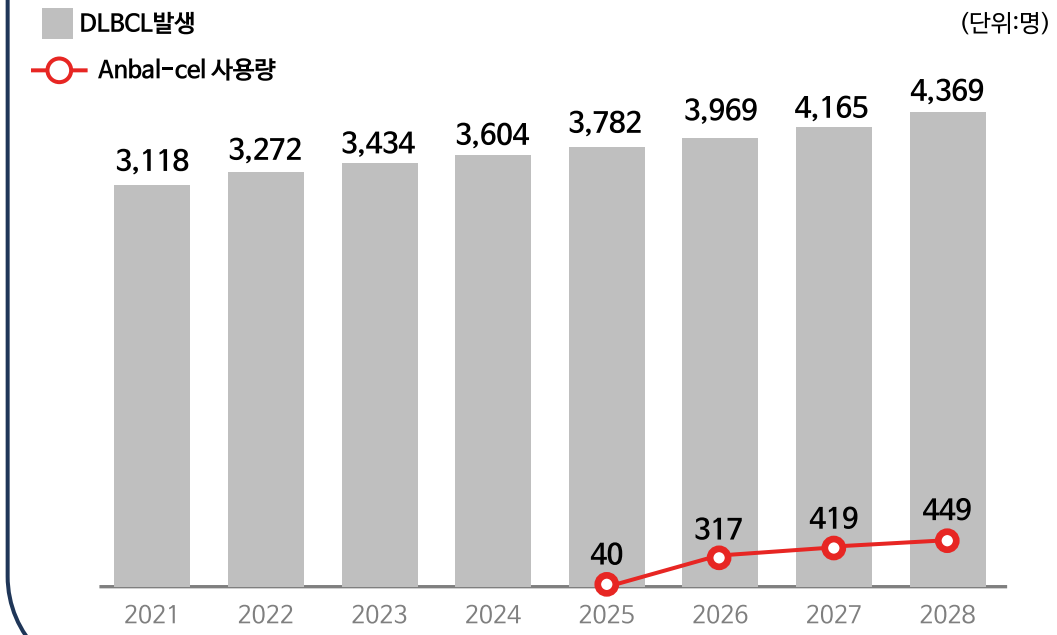
- 글로벌 DLBCL
  신규 환자 발생은 년 1.2%씩 증가
- 미국과 유럽을 중심으로
  4개 제품 경쟁 중
  (킴리아,예스카르타,브레얀지,테카투스)
- '예스카르타' 23년 매출 $1.5b
  (전년대비 29% 증가)



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
판매비와관리비	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 순손익	(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**

3 Anbal-cel의 사업성 경쟁력

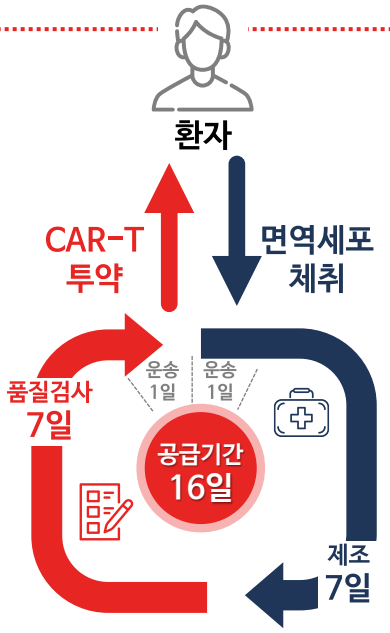
CUROCELL

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

CAR-T 치료제 공급 기간 단축

과거
Vein to vein time
44일
식약처에서 지정한
표준시험법 수행 시
품질검사에 30일 소요

현재
Vein to vein time
16일
신속검사법 식약처
승인 획득≫
품질검사 7일로 단축



신속검사법 식약처 승인획득

- 품질검사 7일로 단축
- 국내 최초 사례

CAR-T 치료제 매출처 확보

향후 중요 매출처가 될 전국 대형 의료기관들과
Anbal-cel 임상시험을 통한 네트워크 구축완료

국내 암환자의 **62%**가
Big 5 병원 및
상급 종합병원에서 치료 중

Anbal-cel 임상시험 기관
(Big 5 병원 및 지방거점 병원)

삼성서울병원, 서울아산병원,
서울대학교병원, 세브란스병원,
서울성모병원, 국립암센터,
전남대학교병원, 부산대학교병원

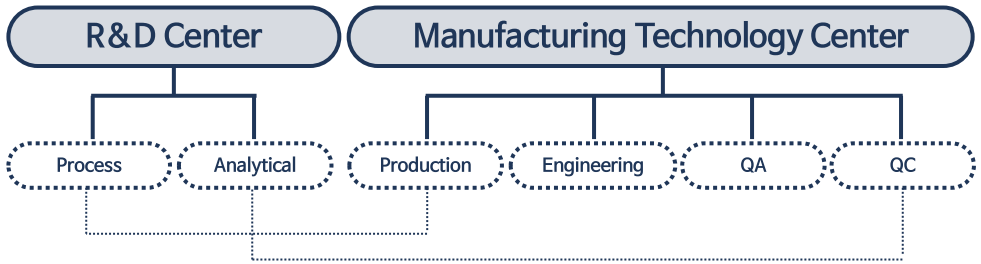
Anbal-cel 임상시험 수행 기관

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

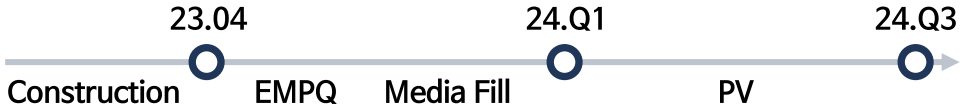
4 큐로셀 CAR-T 치료제 상업화 경쟁력

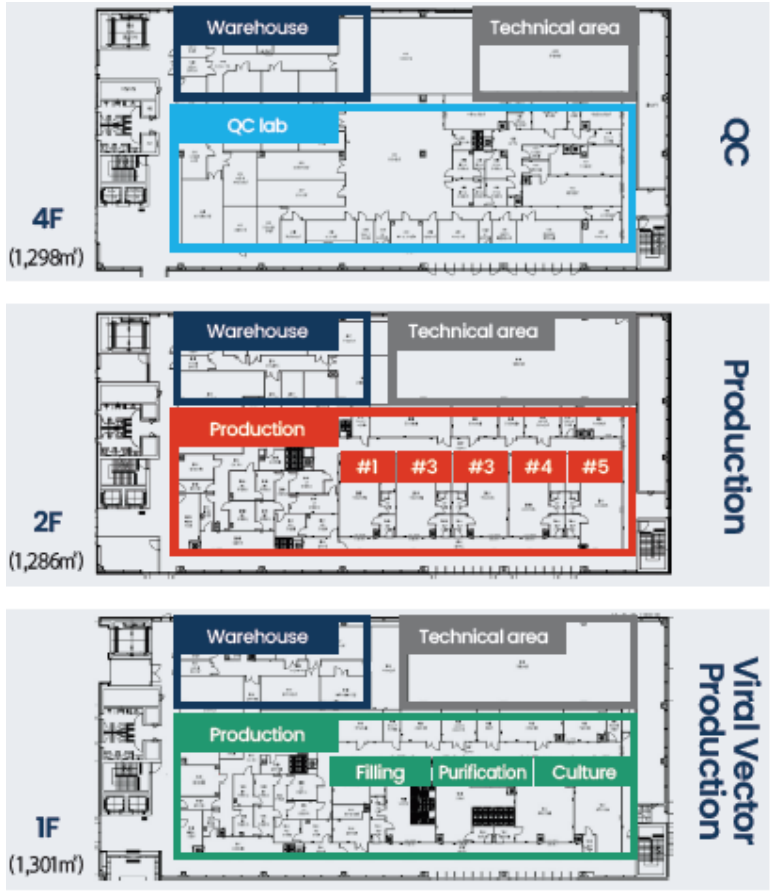
CURÓCELL

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



- Process and Analytical team closely work with the Manufacturing Technology Center to support technology transfer, GMP production and QC release test.





5
Number of Cell Suite

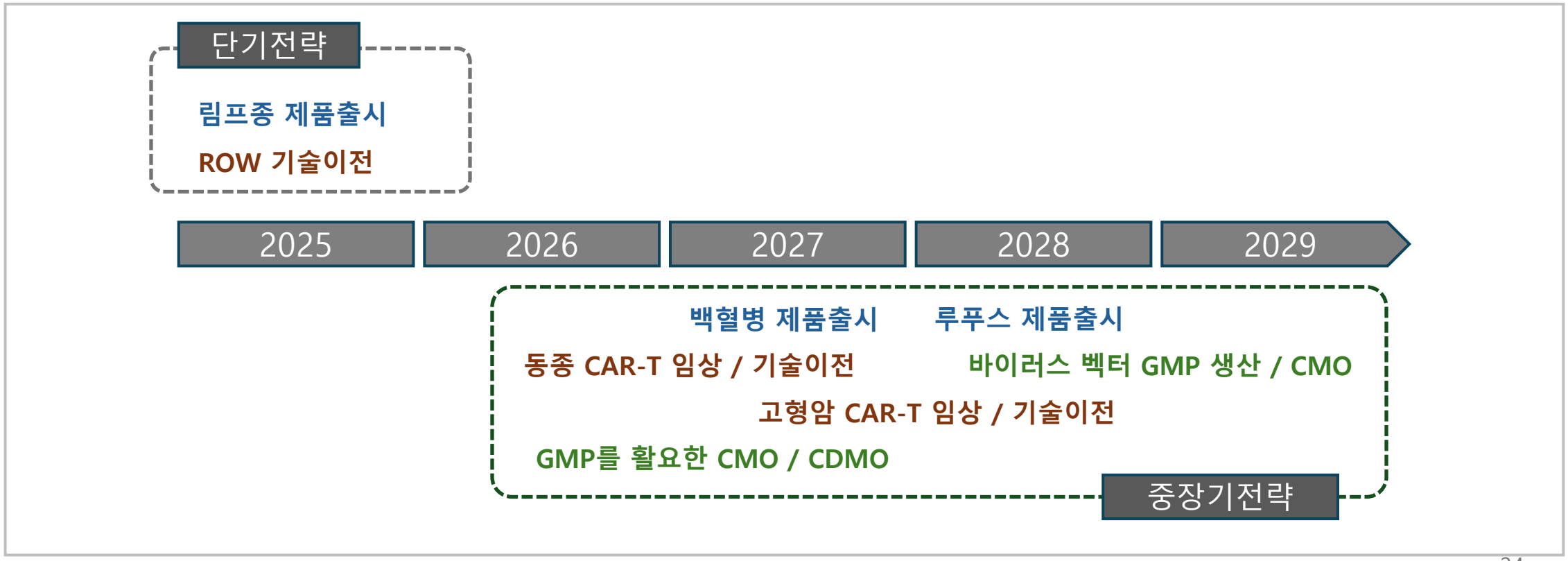
6,317
Clean Room Area (m^2)

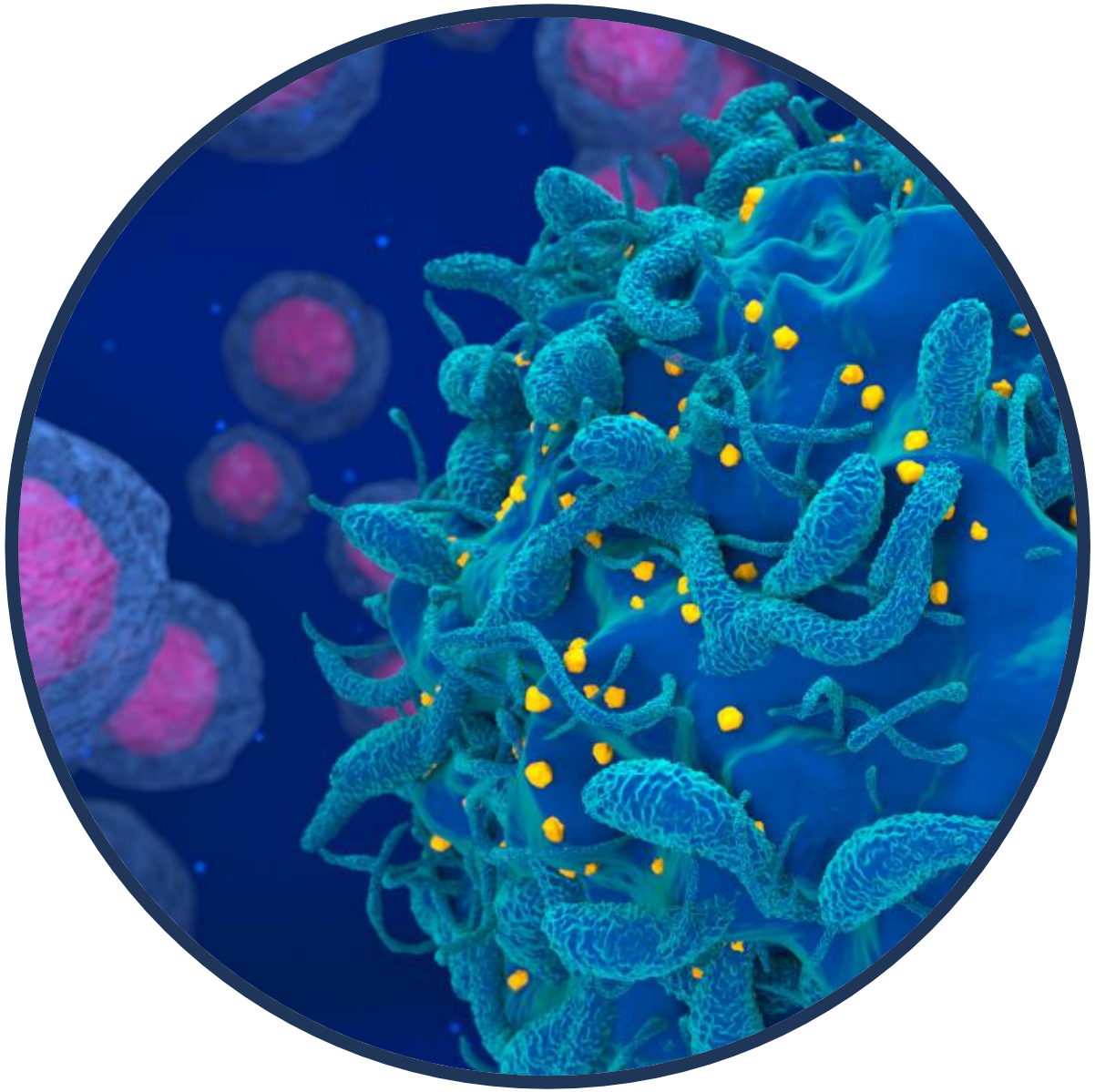
700
Patients/Year

5 큐로셀의 성장 전략

CURocell

- 단기 : 증명된 타겟으로 안정적인 영업이익 창출, ROW 시장 기술이전 (CAR-T 제조, GMP 설계/운용, 판매권) 추진
- 중장기 : 적응증 확장으로 영업이익 확대, 동종 CAR-T 및 고형암 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





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

1 첨단바이오의약품 신속처리 대상 지정

CUROCELL

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

제 2024001 호

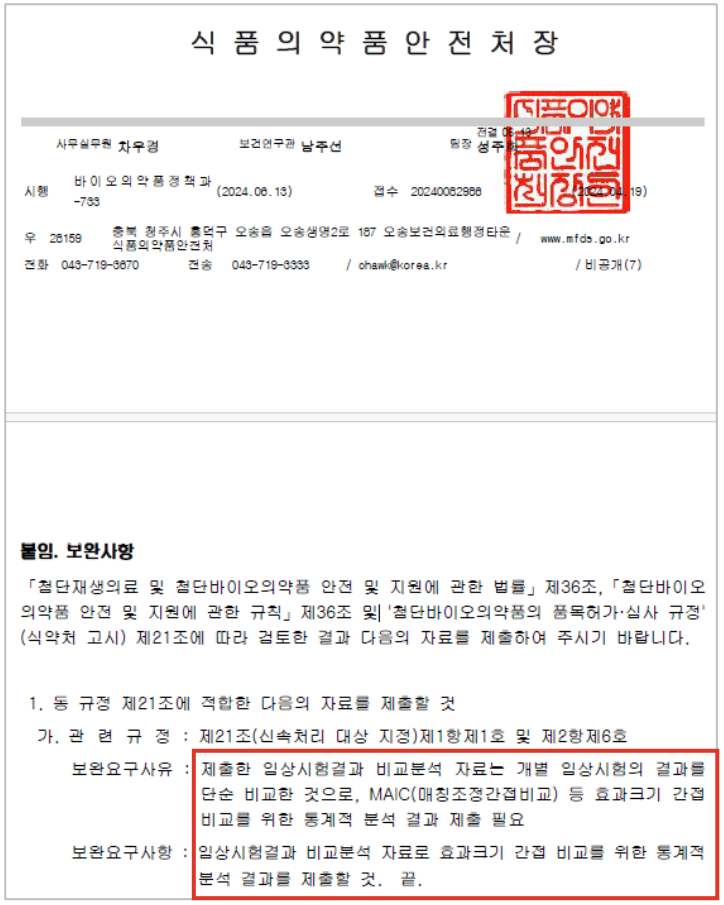
신속처리 대상 첨단바이오의약품 지정서

1. 제품 명칭	안발칵타젠오토류셀 (anbalcabtagene autoleucel)
2. 제품 유형	유전자치료제
3. 효능·효과	별첨
4. 구성 성분	자가혈액유래 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

식 품 의 약 품 안 전 처 장



식 품 의 약 품 안 전 처 장

사무실무원 차우경 보건연구관 남주선 팀장 성주희

시행 바이오의약품정책과-733 (2024.06.13) 접수 20240082986 (2024.08.19)

우 28159 충북 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명2로 187 오송보건의료행정타운 식품의약품안전처 / www.mfds.go.kr

전화 043-719-3670 전송 043-719-3333 / ohawk@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. 관 련 규 정 : 제21조(신속처리 대상 지정)제1항제1호 및 제2항제6호

보완요구사유 : 제출한 임상시험결과 비교분석 자료는 개별 임상시험의 결과를 단순 비교한 것으로, MAIC(매칭조정간접비교) 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'(협의자료 검토개시), '우선 심사'(115일→90일), '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 유익성을 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.

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

혁신제품 신속심사 GIFT 대상 지정 품목

제품명 (성분명)		안발캅타젠오토류셀(anbalcabtagene autoleucel)
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 발현되도록 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		□기존 치료법 없음 ■유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		□우리나라 □FDA □EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR)
		-
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		-
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □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 의약품을 신속하게 시장에 출시하고 환자에게 빨리 공급**하기 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 › wpge
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

3 신약허가-급여평가-약가협상 병행 시범사업

CUROCELL

안발셀, 2차 시범사업에 신청 완료('24. 8. 12). 선정('24. 12. 10)

윤석열 정부판 신속등재 '끝판왕', 2차 시범사업 약제 수요조사

최은택 기자 | 승인 2024.06.19 06:49

복지부, 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

청렴韓 보건복지부

보건복지부 보 건 복 지 부

수신 수신자 참조
(경유)
제목 2차 허가-평가-협상 병행 시범사업 선정 결과 안내

1. 보험약제과-2299호(2024.6.17)호와 관련입니다.

2. 2차 허가-평가-협상 병행 시범사업 대상 약제를 아래와 같이 알려드리니, 제약사 및 각 담당 기관은 시범사업이 원활히 진행될 수 있도록 적극 협조하여 주시기 바랍니다.

- 아 래 -

가. 선정 대상 : 3품목
- 윈레브에어(한국MSD사)
- 림카토주(큐로셀)
- 펀테플라(한국유씨비)

나. 선정 기준 : 치료효과, 대체 약제 유무, 전문가 의견 등을 종합적으로 고려

다. 제약사는 신속심사(GIFT) 지정절차 및 품목허가 신청, 급여 결정 신청 등을 신속히 준비해주시기 바랍니다.

※ 식약처 허가, 심평원 평가, 건보공단 협상 등은 통상적인 신약 평가 수준과 동등함

. 끝.

完

보건복지부장관 보건복지부장관인

수신자 건강보험심사평가원장, 국민건강보험공단이사장, 식품의약품안전처장(의약품허가총괄과장), 식품의약품안전평가원장(신속심사과장), 한국제약바이오협회, 한국바이오의약품협회, 한국글로벌의약산업협회

3 신약허가-급여평가-약가협상 병행 시범사업

CUROCELL

신속처리 대상 특혜로 품목허가자료 중 일부는 허가심사가 개시('24.10), 시범사업 선정으로 허가/평가/약가 병행 진행.

일반절차

품목허가 신청

허가-평가 연계
'14. 09 시행, 30~60일 단축
안유 결과서로 급여평가 신청

평가-협상 병행
'23. 01 시행, 60일 단축
급여평가와 약가협상 동시진행

식약처	심평원	보험공단
생물의약품심사 115일 안유, 기시, GMP 실사 등	급여 적정성 평가 150일 암질심, 약평위 등	약가협상 60일

큐로셀 계획

신속처리대상 특혜

맞춤형 심사 — 안유

우선심사 90일 — 기시, GMP 실사 등

결과서

급여 적정성 평가 150일
암질심, 약평위 등

협상 생략

[확정]

시범사업 선정 / 허가신청

맞춤형 심사

우선심사

동시개시

급여 적정성 평가

협상 생략

5 안발셀 적응증 확장 – 전신 홍반성 루푸스(SLE)

CURACELL

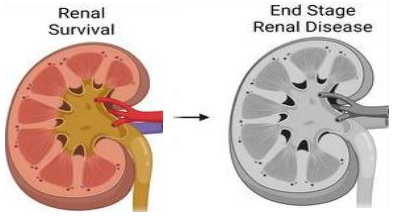
안발셀의 3번째 적응증으로 SLE 임상시험 예정('25. 1Q 예상)

루푸스 신염 환자

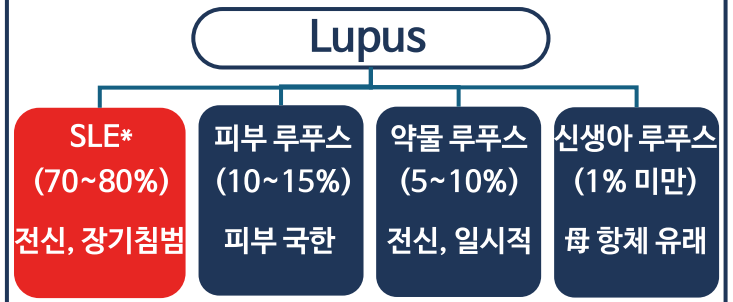
- 전세계 SLE 환자는 약 350만명
- SLE 환자의 50%가 루푸스 신염을 경험
- 미국 매년 1.1만명의 신규환자 발생

- LN 환자의 ~30%가 말기 신부전으로 진행
- 말기 신부전(ESRD) 환자의 5년 생존율
  - 투석 환자 : 약 30~50%
  - 신장이식 환자 : 약 75~85%

[출처 :Kaul, A., et al. (2016). "Systemic lupus erythematosus." Nature Reviews Disease Primers.
[출처 :Anders, H. J., et al. (2020). "Lupus nephritis." Nature Reviews Disease Primers.



루푸스 분류와 LN의 Unmet needs



루푸스 신염(LN)

- SLE의 1/2은 신장조직에 염증발생 및 손상
- 미 치료시 30% 이상이 말기 신부전으로 진행
- **완치를 위한 치료제 부존재**
- 증상완화를 위한 면역억제제 과다 부작용
- **신장이식 또는 투석 필요환자 증가**
- **신장이식만이 실질적인 장기 생존 기대**

→ 완치를 통한 LN 환자의 생존율 개선

루푸스 신염(Lupus Nephritis)

- SLE 유병률 : 28.02명/10만(14,000명)
- 가임기 여성 유병률 : 77.1명/10만
- SLE 발병률 : 3.7명/10만(1,860명/년)
- SLE 중 40~60%에서 LN 진행(1천명/년)
- LN의 10~15%가 말기 신부전으로 진행

[출처 : J Rheum Dis 2023;30(4): 211-219
[출처 : https://doi.org/10.4078/jrd.2013.20.4.205

S	Pathology	Treatment
I	신장의 경미한 병변	관찰
II	신장의 병변 증가	저용량 스테로이드
III	신장의 50% 미만 손상	고용량 스테로이드
IV	신장의 50% 이상 손상	MMF, Rituximab 추가
V	사구체 기저막의 비후	MMF, Tacrolimus 추가
VI	신장 기능 소실	투석, 신장이식

LN 단계별 치료방법

SLE* : 전신홍반성루푸스(Systemic lupus erythematosus)

감사합니다

CUROCELL

큐로셀 주식회사
대전광역시 유성구 국제과학16로 11
T. 042-863-3698
F. 042-863-3695
curocellbtx.com