

# 오스카(OSCA) 임상개발 현황

세계최초 융복합 근본적  
무릎골관절염 치료제

2025년 4월 30일  
(주)강스템바이오텍 기업설명회(IR)

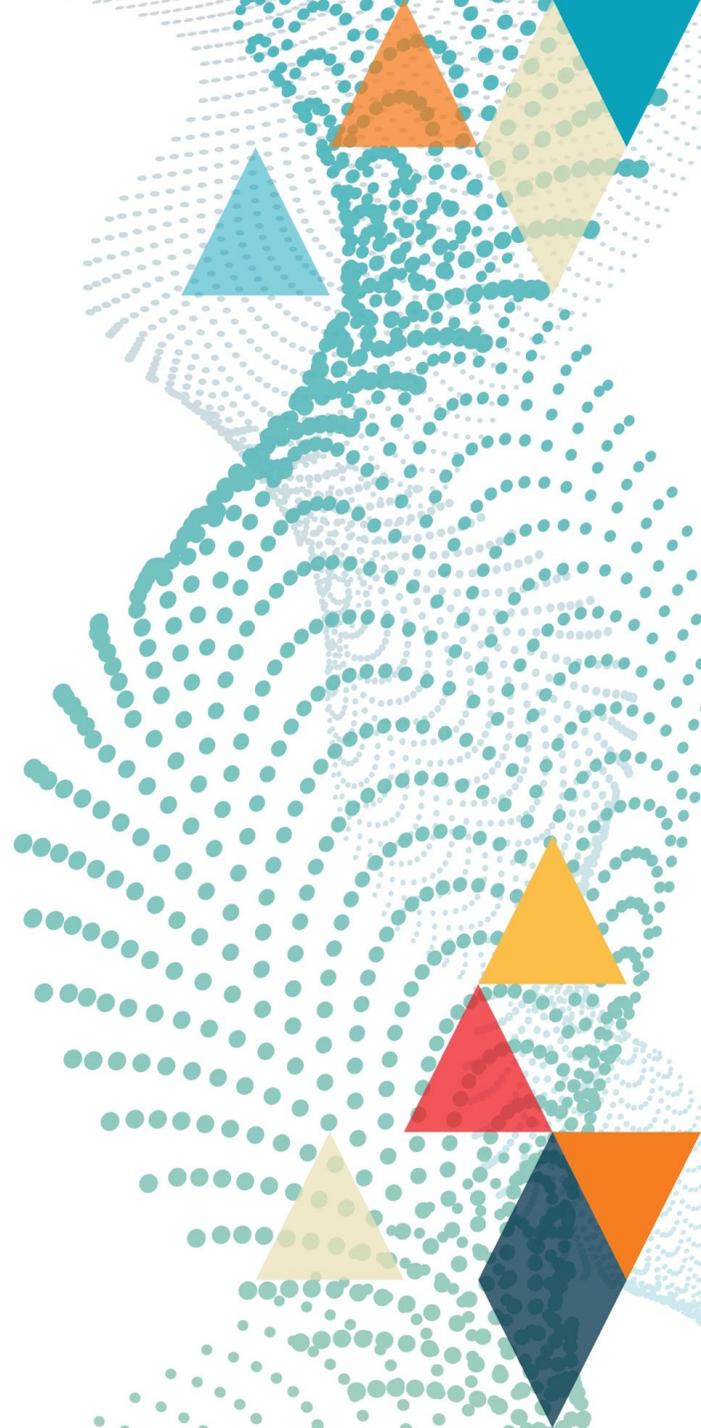
**Chapter 1. 무릎골관절염과 근본적 치료제 필요성**

**Chapter 2. 오스카 1상 임상시험 결과**

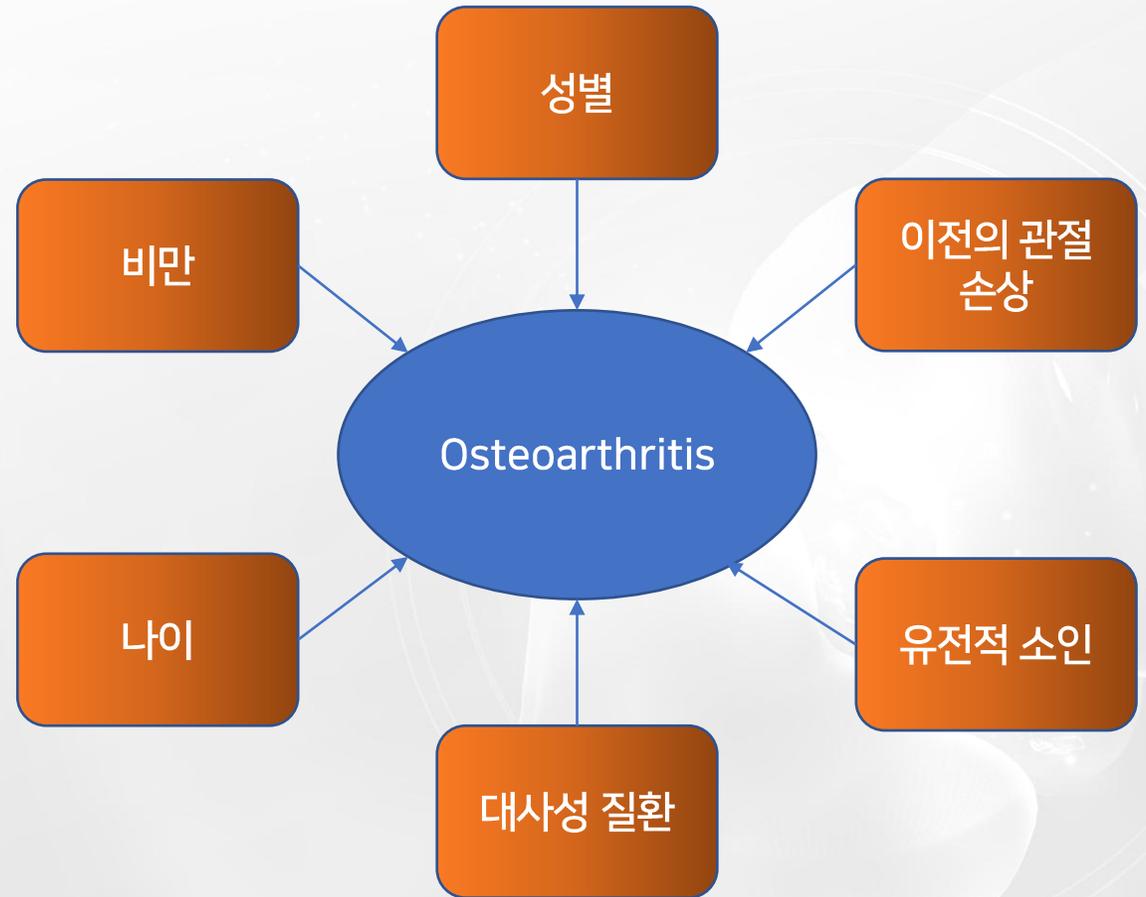
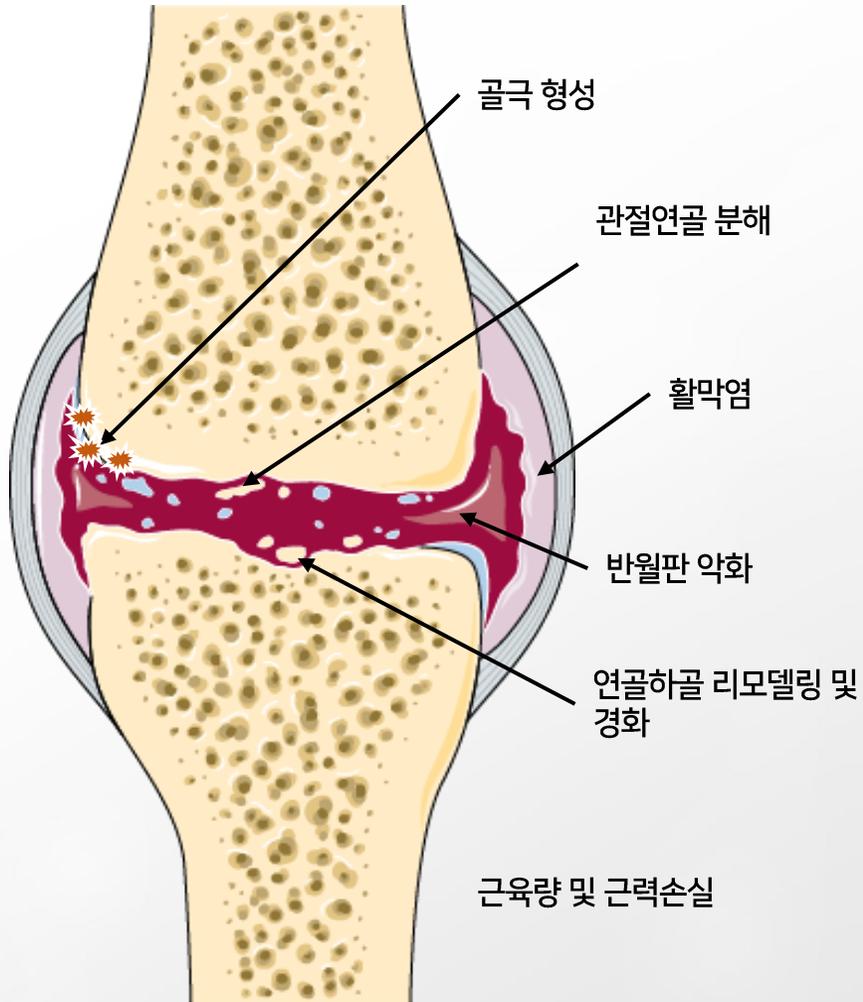
**Chapter 3. 오스카 OARSI 참석 발표 내용  
임상개발 현황 및 향후 일정**

# Chapter 1.

## 무릎골관절염과 근본적 치료제 필요성



# 무릎골관절염\*과 발병 위험인자



\*연골에서 동화작용과 이화작용 모두 증진과 연골하골의 골재형성에 변화가 발생되어 있음

[ Journal of Medicine and Life Vol. 7, Issue 1, January-March 2014 ]

# 무릎골관절염과 연골결손

## 연골결손

- 주로 외상이나 과도한 사용으로 인해 발생
- 국소적인 **연골부위가 손상**되어 있지만 전반적인 연골상태와 무릎 전체의 기능이나 구조에 변화 없음
- 치료: 연골재생수술
  - 미세천공술 (카티스템)
  - 자가연골세포이식술 (카티라이프)

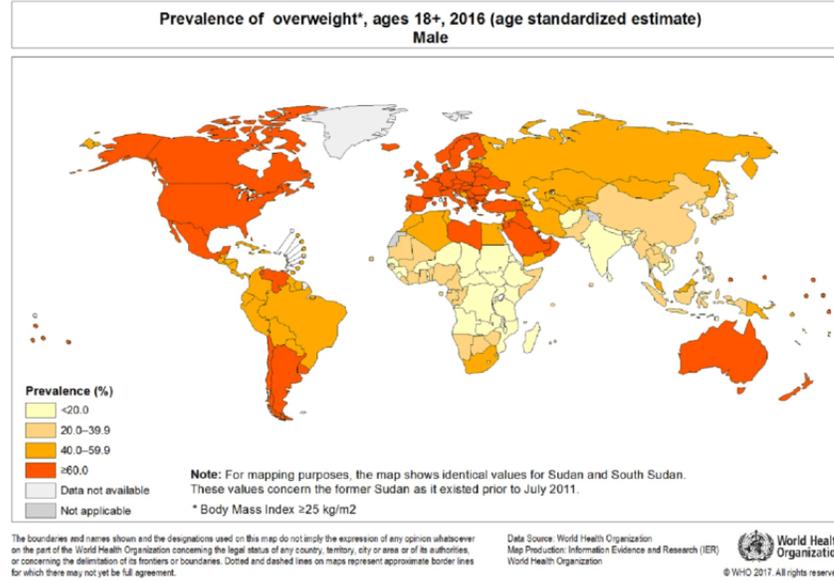
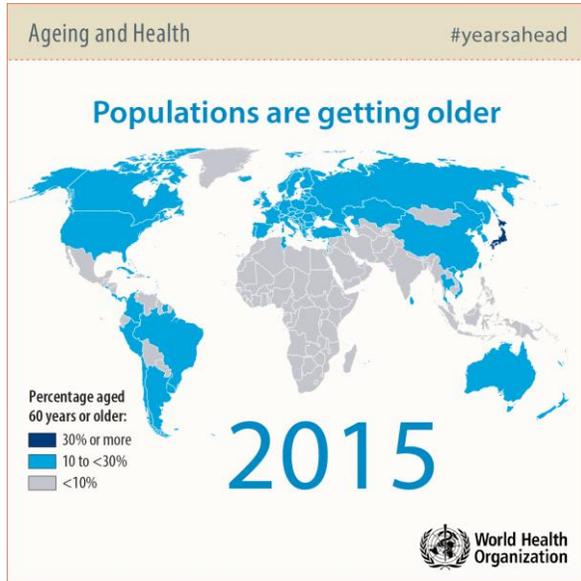
VS

## 무릎골관절염

- 다양한 원인에 의한 질환 (노화, 유전적 소인, 성별, 대사성질환, 이전의 외상성 소인 등)
- **전반적인 연골부위의 마모와 손상, 염증, 연골하 구조적 손상이 동반된** 질환
- 치료: 실질적인 **치료제 없음**

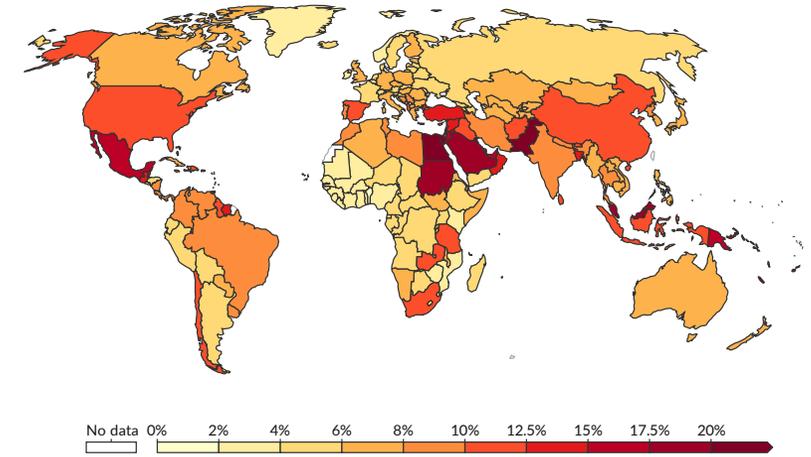
▶ **완전히 다른 질환이며, 아직까지 무릎골관절염 치료제로 시판 승인된 제품이 없음**

# 글로벌 인구지형의 변화 : 노령화·비만·당뇨 등 대사성 질환 발병률 증가



## Diabetes prevalence, 2021

The share of people aged 20-79 who have diabetes<sup>1</sup>. Diabetes is a risk factor<sup>2</sup> for chronic complications, including cardiovascular disease, and premature death.

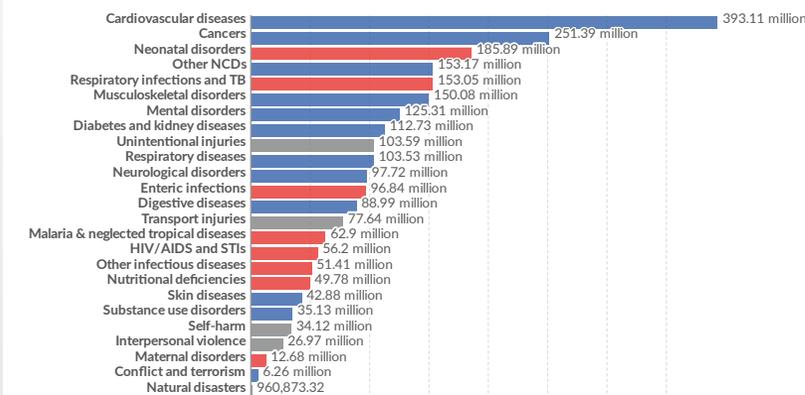


Data source: International Diabetes Federation (via World Bank)

OurWorldInData.org/burden-of-disease | CC BY

## Burden of disease by cause, World, 2019

Total disease burden, measured in Disability-Adjusted Life Years (DALYs) by sub-category of disease or injury. DALYs measure the total burden of disease – both from years of life lost due to premature death and years lived with a disability. One DALY equals one lost year of healthy life.



Data source: IHME, Global Burden of Disease (2019)

OurWorldInData.org/burden-of-disease | CC BY

Note: Non-communicable diseases are shown in blue; communicable, maternal, neonatal and nutritional diseases in red; injuries in grey.

1. **Diabetes:** Diabetes is a medical condition characterized by elevated levels of sugar (glucose) in the blood, which is called "hyperglycemia". This happens when the body has difficulty using or producing a hormone called insulin, which helps regulate blood sugar levels. There are two main types of diabetes: Type 1 Diabetes: In this type, the immune system mistakenly attacks and destroys the insulin-producing cells in the pancreas. As a result, people with type 1 diabetes require regular insulin injections or an insulin pump to manage their blood sugar levels. It usually starts in childhood or early adulthood and requires lifelong insulin therapy. Type 2 Diabetes: This type is much more common, and is often linked to lifestyle factors such as obesity, poor diet, and lack of physical activity. In type 2 diabetes, the body becomes resistant to the effects of insulin, and the pancreas may not produce enough insulin to maintain normal blood sugar levels. It can often be managed through a combination of dietary changes, exercise, oral medications, and sometimes insulin injections. Both types of diabetes can lead to high blood sugar levels, which, if not well managed, can result in various complications affecting the eyes, kidneys, nerves, and blood vessels.

2. **Risk factor:** A risk factor is a condition or behavior that increases the likelihood of developing a given disease or injury, or an outcome such as death. The impact of a risk factor is estimated in different ways. For example, a common approach is to estimate the number of deaths that would occur if the risk factor was absent. Risk factors are not mutually exclusive: people can be exposed to multiple risk factors, which contribute to their disease or death. Because of this, the number of deaths caused by each risk factor is typically estimated separately. [Read more: How do researchers estimate the death toll caused by each risk factor, whether it's smoking, obesity or air pollution?](#) [Read more: Why isn't it possible to sum up the death toll from different risk factors?](#)

# 무릎골관절염 유병률 및 시장 현황

## ■ 무릎골관절염 유병률

- 전세계 골관절염 환자 수: 약 5.3억, 이 중 3.6억 명이 무릎골관절염 환자로 보고됨
- 중등도-중증의 무릎골관절염 환자 수는 약 3.4억 명 (2019 WHO)
- 특히 통증이 동반된 무릎골관절염은 60세 이상 노인의 약 1/3에서 발생
- 평생 동안 남성의 40%와 여성의 47%에서 발생으로 파악됨

## ■ 골관절염 치료제 시장규모

- 글로벌 골관절염 시장규모:
  - 2024년: 73억 3,000만 달러(한화 10조 6천억원)
  - 2029년: 92억 4,000만 달러(한화 13조 3천억원)로 예측
  - 성장률(2024-2029년): CAGR 4.74%로 전망

**Osteoarthritis Treatment Market**  
Market Size in USD Billion  
CAGR 4.74%



Source : Mordor Intelligence

Study Period	2021-2029
Market Size(2024)	USD 7.33 Billion
Market Size(2029)	USD 9.24 Billion
CAGR (2024-2029)	4.74%
Fastest Growing Market	Asia Pacific
Largest Market	North America

### Major Players



Disclaimer: Major Players sorted in no particular order

# 현재 무릎골관절염 치료 패러다임



질병의 단계:  
Kellgren  
& Lawrence  
Grade

Grade 1



관절공간의  
협착 초기 진행

Grade 2



관절공간의  
협착 증가

Grade 3



관절공간의  
눈에 띄는 협착 진행

Grade 4



Bone-on-Bone



현재  
치료방식



비스테로이드성 항염증제 (NSAIDs), 코르티코스테로이드제제, 히알루론산(HA) 주사, COX2 억제제

- 일시적인 통증완화 (빈번하게 반복투여의 필요성)
- 근본적인 원인 치료 불가능(구조적 악화는 지속)
- 부작용 우려 (위장관계, 심혈관계, 신장)

Treatment  
Gap

미충족 의학적 요구



무릎관절치환술

- 말기 질환을 앓고 있는 OA 환자를 위한 최후의 수단
- 높은 수술 및 재활 비용
- 장기간의 관절 통증 및 재활 기간
- 2차 수술의 잠재적 필요성
- 고령 및 취약 환자의 수술 중 사망 위험

# 무릎골관절염 환자의 구조악화 진행속도

무릎골관절염 환자에서 구조변화의 진행속도는 환자유형에 따라 상당히 달라짐

- ▶ 안정형 (비중 87.7%), 2년간 큰 변화가 없는 경우, 즉 연골두께가 평균 0.08mm 정도 감소
- ▶ 서행진행형 (비중 10.0%), 2년간 중간 정도 속도로 연골소실이 있는 경우, 즉 연골두께가 평균 0.75mm 감소
- ▶ 신속진행형 (비중 2.3%), 2년간 상당한 속도로 연골소실이 있는 경우, 즉 연골두께가 평균 1.38mm 감소

Change in cartilage thickness (mm) in the central medial tibiofemoral compartment in each trajectory subgroup

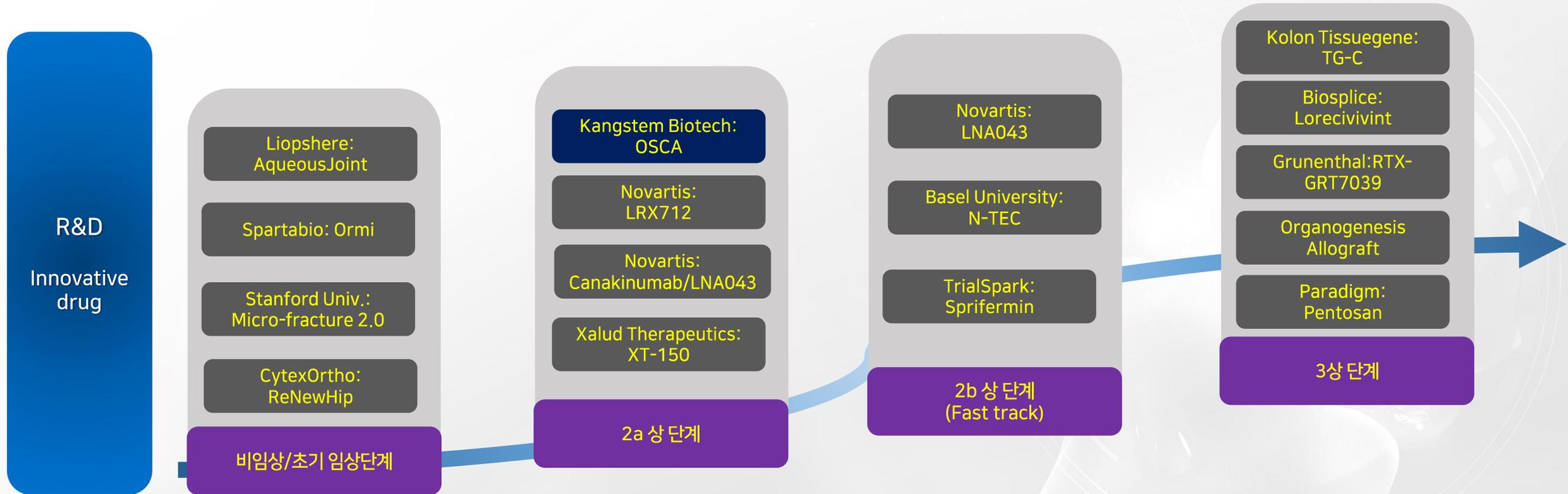
	All participants n (%) missing*	Trajectory 1 (stable)	Trajectory 2 (moderate decline)	Trajectory 3 (greatest decline)	P-value		
					1 vs 2	2 vs 3	1 vs 3
Cartilage thickness, mm							
Baseline	0 (0.0)	4.10 (0.93)	3.38 (0.87)	4.07 (1.02)	<b>&lt;0.001</b>	<b>0.004</b>	0.986
12 months	41 (4.2)	4.06 (0.96)	3.01 (0.93)	3.55 (1.11)	<b>&lt;0.001</b>	<b>0.048</b>	<b>0.038</b>
24 months	0 (0.0)	4.02 (0.96)	2.63 (0.88)	2.69 (1.11)	<b>&lt;0.001</b>	0.961	<b>&lt;0.001</b>
Change in cartilage thickness over 24 months, mm	–	–0.08 (0.19)	–0.75 (0.16)	–1.38 (0.22)	<b>&lt;0.001</b>	<b>&lt;0.001</b>	<b>&lt;0.001</b>

Mean (SD) is displayed in the table for cartilage thickness values. Statistically significant P-values are displayed in bold.

\* Missing at random assumption; missing data was not imputed.

[ Osteoarthritis and Cartilage 27 (2019) 257e265 ]

# DMOAD 제제로써 개발중인 약물



## Novel Proprietary Combination

세계 최초 중간엽줄기세포 (+)  
무세포 연골기질의 융복합제제

Furestem OA

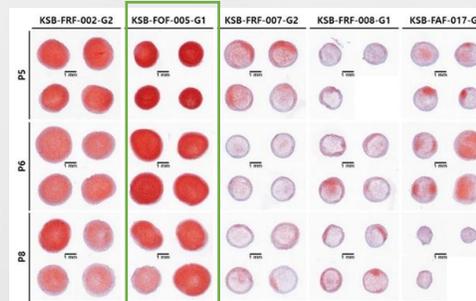


CAM Inj.



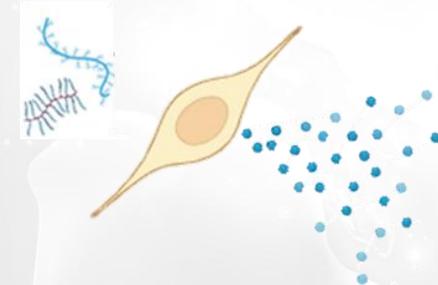
## Know-how in selection of high performing cells

재생효과와 면역조절능력이 탁월한  
제대혈 분리배양 선별 노하우



## State-of-the art Manufacturing and Quality Control

줄기세포의 효능을 극대화 할 수  
있는 액상무세포연골기질  
제조 및 품질관리 기술

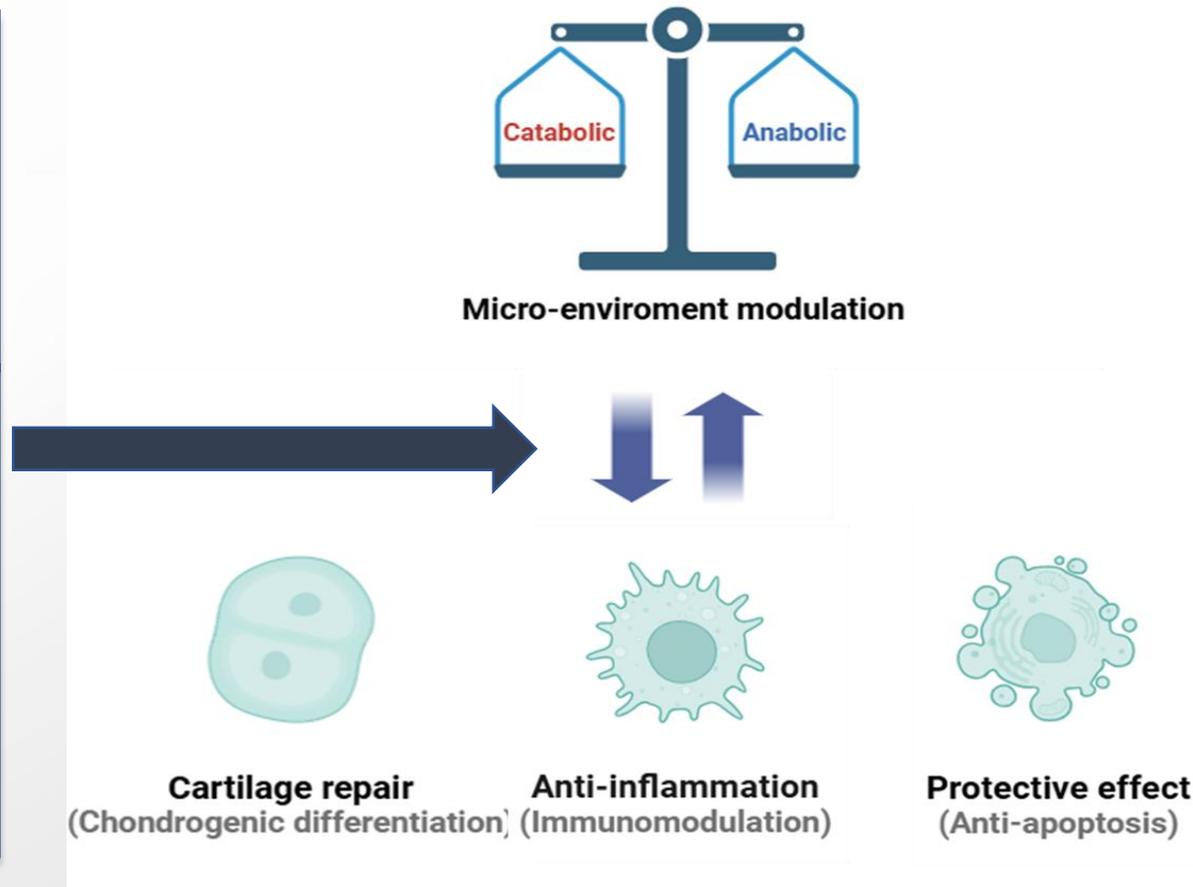


# 오스카 작용기전

1) 오스카의 Osiramestrocel과 CAM 이 서로 인지를 통해 OA 환자에서의 Catabolic(손상, 분해)의 촉진환경이 Anabolic(재생, 합성) 환경이 되도록 조성함 ▶ **미세환경조절**

2) 이러한 초기 미세환경조절은 **Osiramestrocel**의 **항염, 항사멸, 연골 재생효과** 발현에 더욱 유리한 조건 제공

3) 이 같은 과정의 선순환으로 무릎 골관절염 발생 원인 및 그에 따른 현상 (조직 손상, 구조변형, 염증, 세포사멸)을 근본적으로 개선하게 됨



▶ In vitro 연구



▶ In vivo 동물 비임상 연구



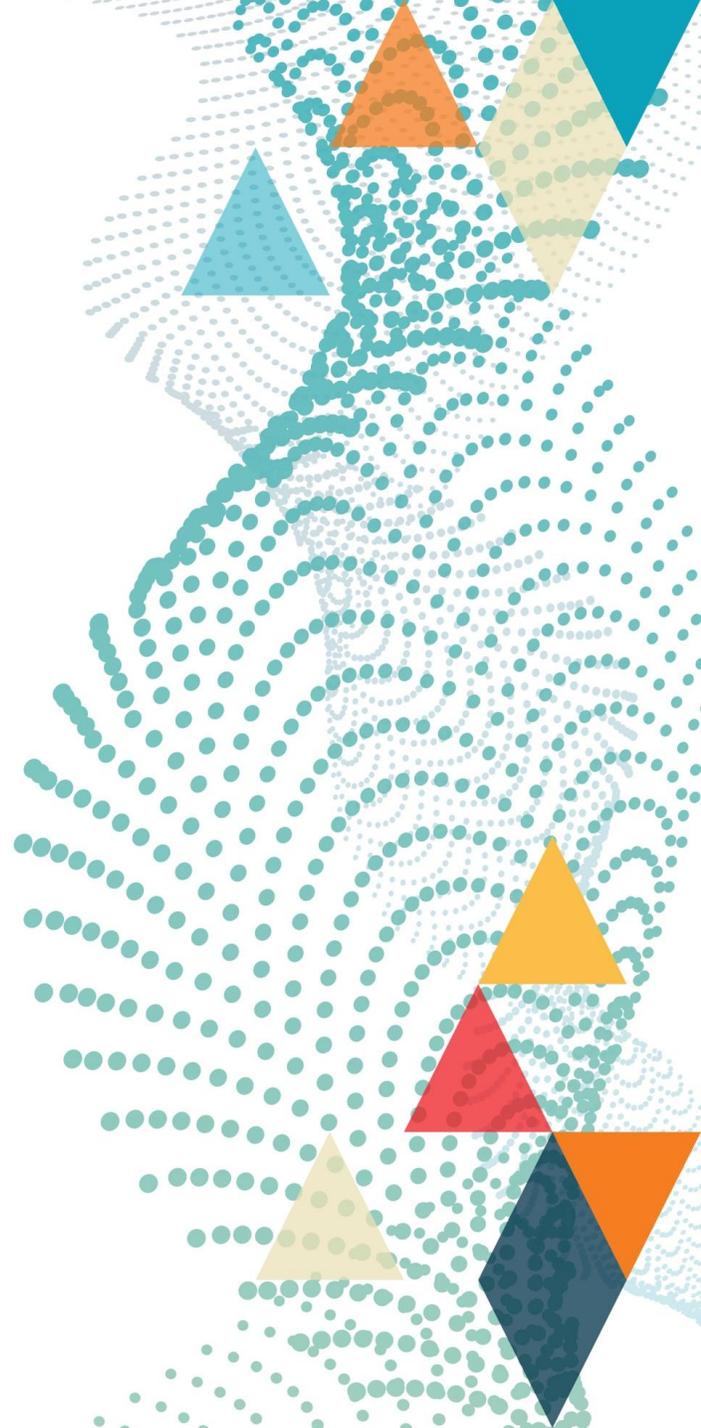
▶ 임상 바이오마커 분석



▶ 임상 영상의학 분석

Chapter2.

오스카 1상 임상시험 결과



# 1상 임상시험 개요

- **참여기준:** K&L grade 2-3(ICRS grade 3-4 포함)의 무릎골관절염 환자 중 스크리닝 방문에서 100mmVAS가 50 이상인 환자로서, 3등급 이상 인대불안정성이 없는 환자
- **투여방식:** 관절강내 단회투여
- **용량군:** 저/중/고 코호트
- **목적:** 안전성 및 내약성 평가 & 탐색적 유효성 평가
- **임상시험기간:** 단회 투여 후 6개월 관찰
- **장기추적조사 수행:** 5년 장기추적 (12M, 24M, 60M 방문평가)

## ▶ 1상 임상시험 (K0701)

- 임상시험종료 (2024. 08)
- 결과분석완료 (2024. 11)

## ▶ 5년 장기추적조사 (K0701-E)

- 12M 방문 완료 (2025. 02)  
\*고용량 12M MRI 분석 결과 발표 예정('25년 5월)
- 24M/60M 추적조사 예정

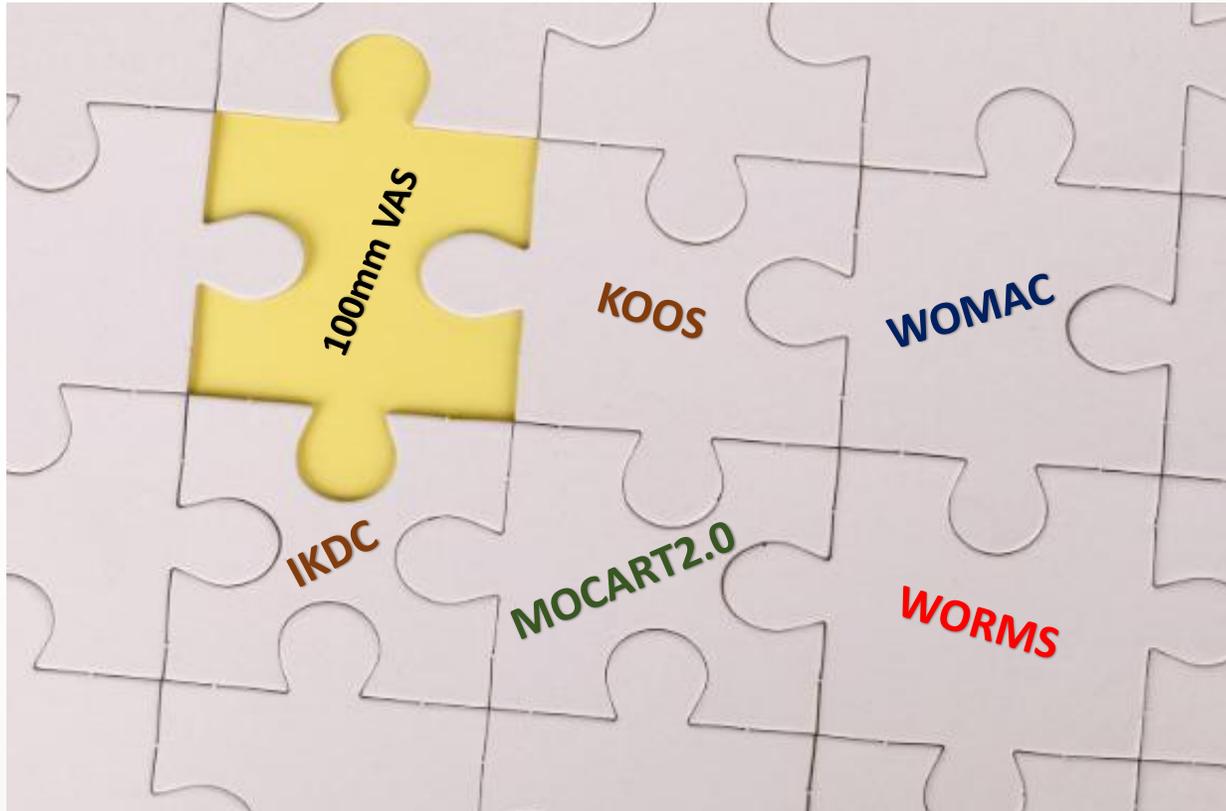
# 안전성

- 1상 진행 중 DLT 발생하지 않았으며, 고용량까지 증량할 때 MTD에 도달하지 않았음
- 처치와 관련된 전체 이상반응(TEAEs) 발생률은 25.0% (3/12)이며, 대부분 경-중등도 이상반응으로 분류되며 단 1건(Joint swelling)을 제외하고는 처치와 무관하였음
- 이상반응 요약 (아래)

Outcome	Low-dose (N = 3)	Mid-dose (N = 3)	High-dose (N = 6)	All cohorts (n = 12)
	n (%) [Event]	n (%) [Event]	n (%) [Event]	n (%) [Event]
any Treatment-Emergent Adverse Events (TEAEs)	0 (0) [0]	1 (33.33) [1]	2 (33.33) [3]	3 (25.00) [4]
Adverse Drug Reactions (ADRs)	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.67) [1]	1 (8.33) [1]
Joint swelling	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.67) [1]	1 (8.33) [1]
Serious Adverse Events (SAEs)	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.67) [1]	1 (8.33) [1]
Myelitis transverse	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.67) [1]	1 (8.33) [1]
Serious Adverse Drug Reactions (SADRs)	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]
TEAEs by Severity				
Grade 1	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]
Grade 2	0 (0) [0]	1 (33.33) [1]	2 (33.33) [2]	3 (25.00) [3]
Grade 3	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.66) [1]	1 (8.33) [1]
Grade 4	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]
Grade 5	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]
TEAEs by Relationship to Investigational Product				
Related	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.67) [1]	1 (8.33) [1]
Not related	0 (0) [0]	1 (33.33) [1]	2 (33.33) [2]	3 (25.00) [3]
Results of TEAEs				
Recovered / resolved	0 (0) [0]	1 (33.33) [1]	2 (33.33) [2]	3 (25.00) [3]
Recovering/ resolving	0 (0) [0]	0 (0) [0]	1 (16.66) [1]	1 (8.33) [1]
Not recovered / not resolved	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]	0 (0) [0]

National Cancer Institute-Common Terminology Criteria for Adverse Events (NCI-CTCAE ver.5.0), MedDRA ver. 27.0

# 탐색적 유효성평가변수

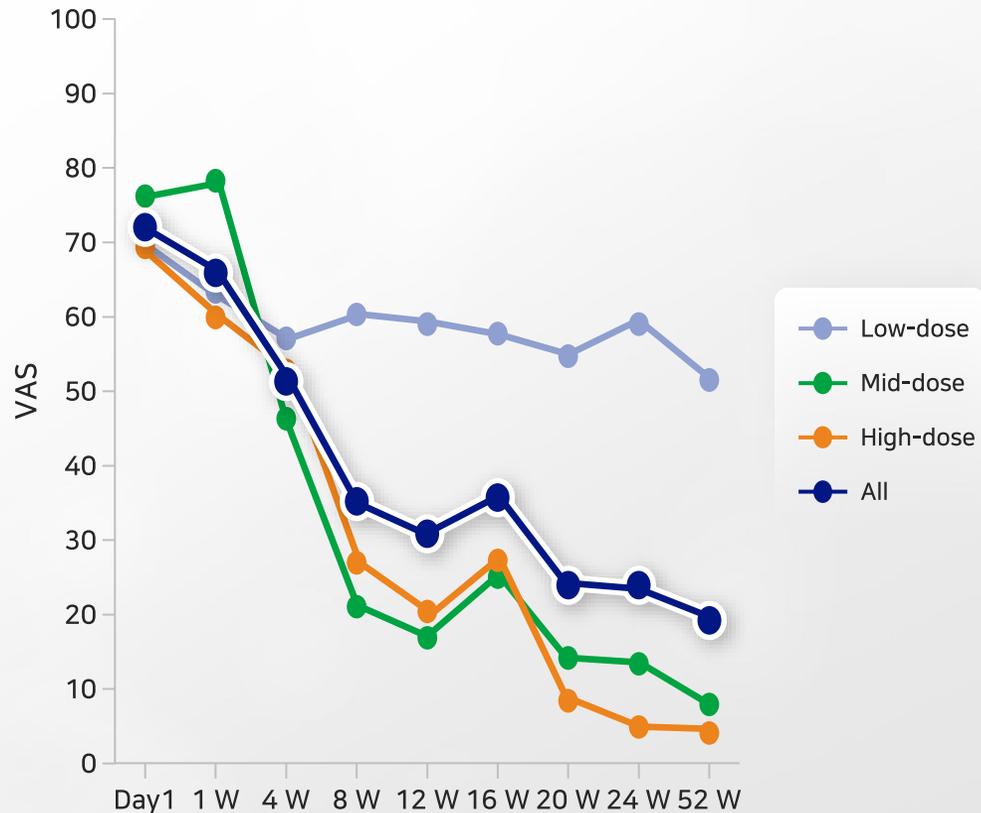


- 100mmVAS: 지난 24시간 이내 통증
- IKDC: 지난 4주 이내 관절 기능
- WOMAC (통증/뻣뻣함/관절기능): 지난 48시간 이내 해당 문항
- KOOS (통증/뻣뻣함/삶의 질/운동능력/일상생활): 지난 1주간 해당 문항
- MOCART 2.0: 무릎관절부위 중 가장 구조적 악화가 분명한 부위에 대한 시험약 투약 전·후 평가비교목적
- WORMS: 무릎관절 구조적 변화에 대한 전반적인 평가 : 연골/골수/골낭/골마모/골극/반월판/활막염/주변조직 포함

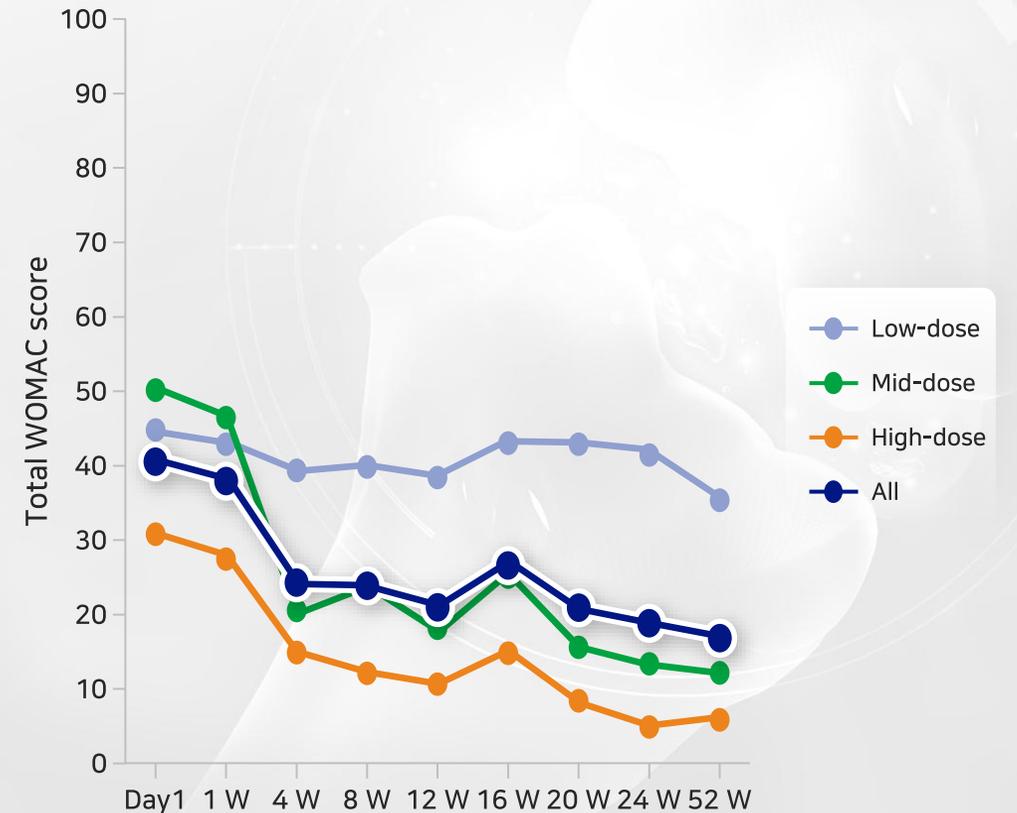
# 탐색적 유효성평가 : 100mm VAS와 WOMAC

- 투약 12개월 시점에서 100mmVAS 결과, 중용량군(8.3) 89.0% 감소 & 고용량군(4.8) 91.8% 감소
- 투약 12개월 시점에서 WOMAC 총점결과, 중용량군(12.7) 68.3% 감소 & 고용량군(6.0) 76.8% 감소
- 투약 12개월 시점에서 모든 대상자에 대한 100mmVAS와 WOMAC 총점결과, 베이스라인 대비 통계적으로 유의차 확인 (100mmVAS:  $p=.002$ , WOMAC:  $p=.002$ )

## 100mm VAS



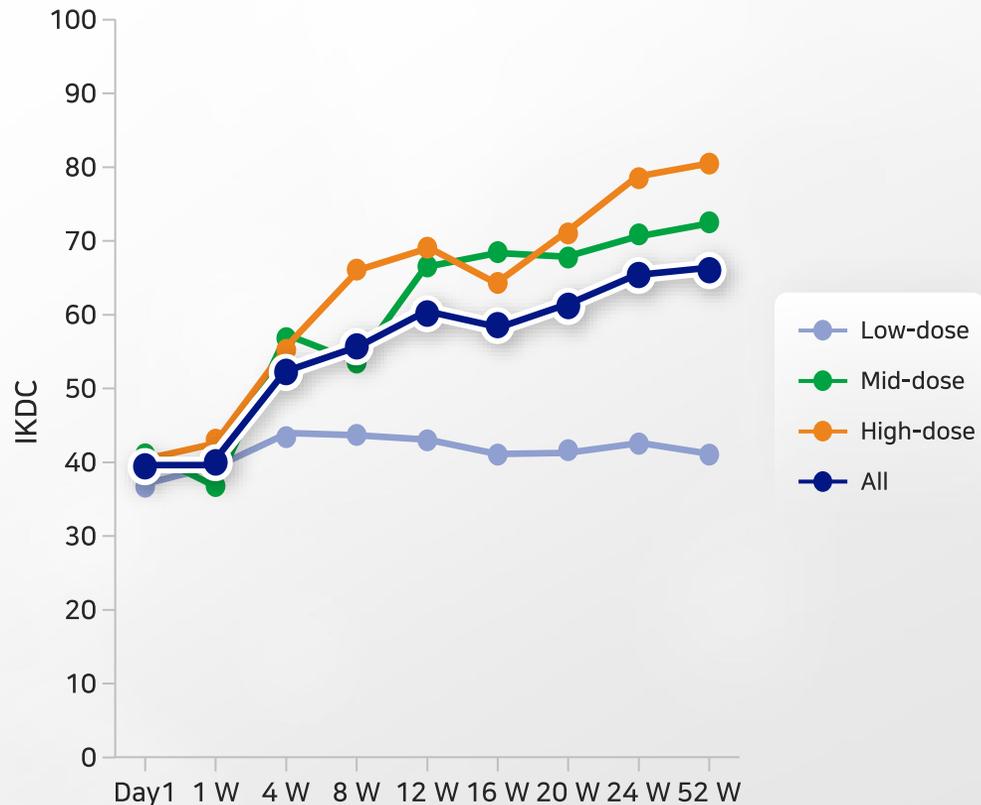
## Total WOMAC score



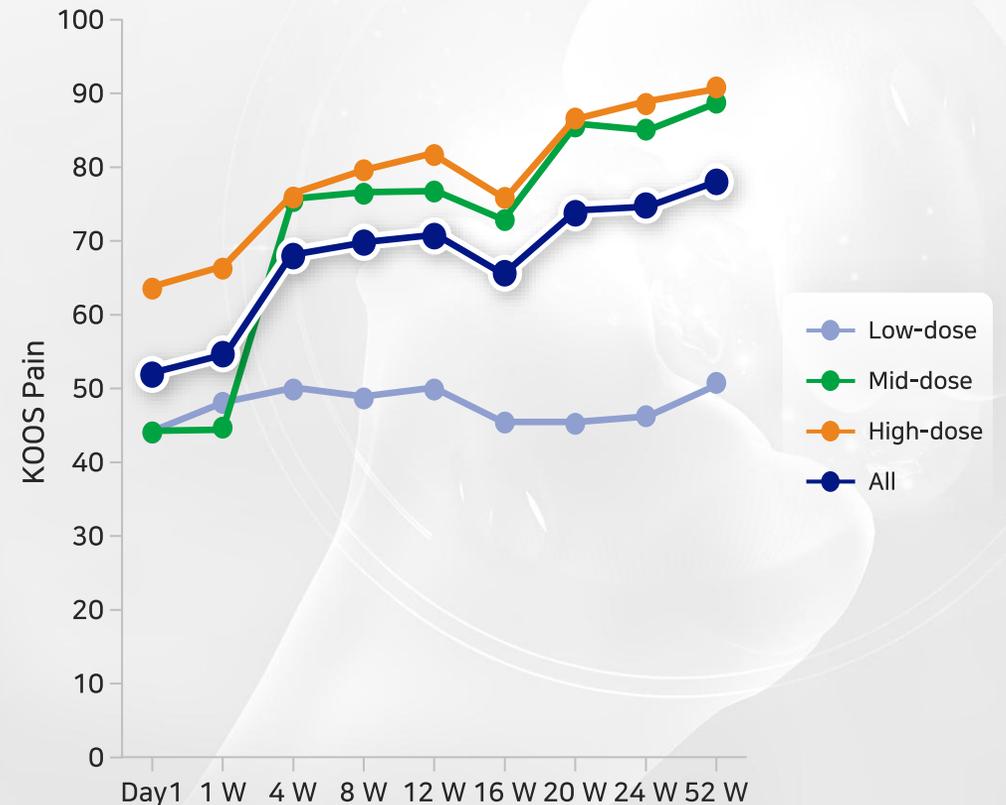
# 탐색적 유효성평가 : IKDC와 KOOS 통증

- 투약 12개월 시점에서 IKDC 평가결과 중용량군 91.0% 증가, 고용량군 106.4% 증가 확인
- 투약 12개월 시점에서 KOOS 통증 평가결과 중용량군 134.2% 증가, 고용량군 46.2% 증가 확인
- 투약 12개월 시점에서 모든 대상자에 대한 IKDC 및 KOOS 통증 평가결과, 베이스라인 대비 통계적 유의한 변화 확인 (IKDC:  $p=.0039$ , KOOS pain:  $p=.0039$ )

## IKDC



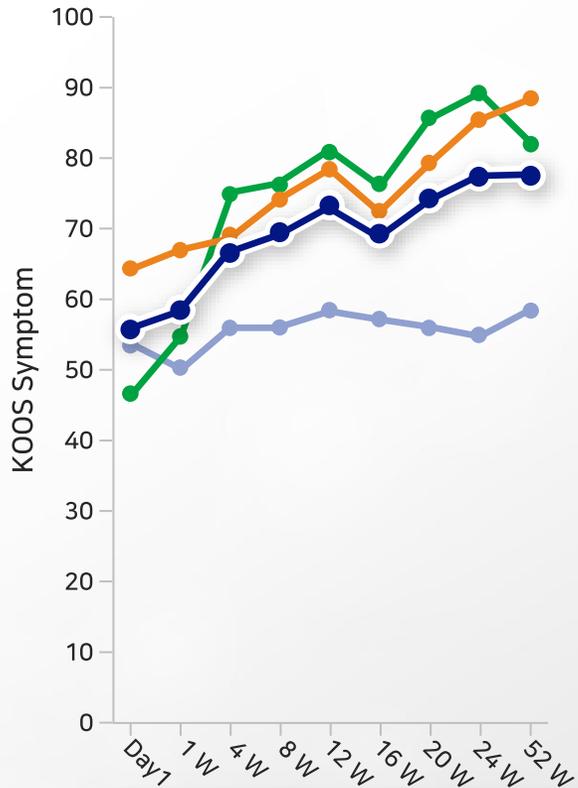
## KOOS Pain



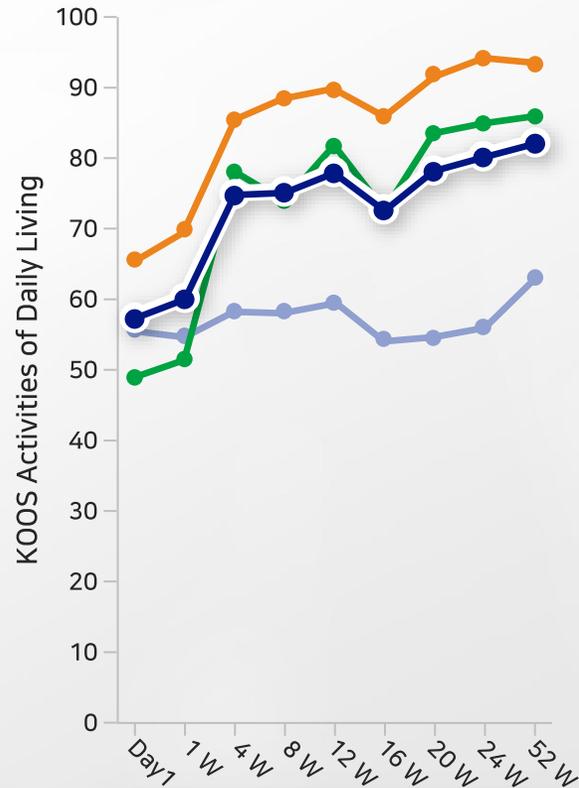
# 탐색적 유효성평가 : KOOS Subscale

투약 12개월 시점에서 모든 대상자에 대한 평가결과 KOOS 증상, 일상생활, 스포츠활동, 삶의 질 모든 KOOS subscale에서 통계적 유의차 확인하였음 (각각  $p=.0078$ ,  $.0039$ ,  $.0156$ , and  $.0039$ )

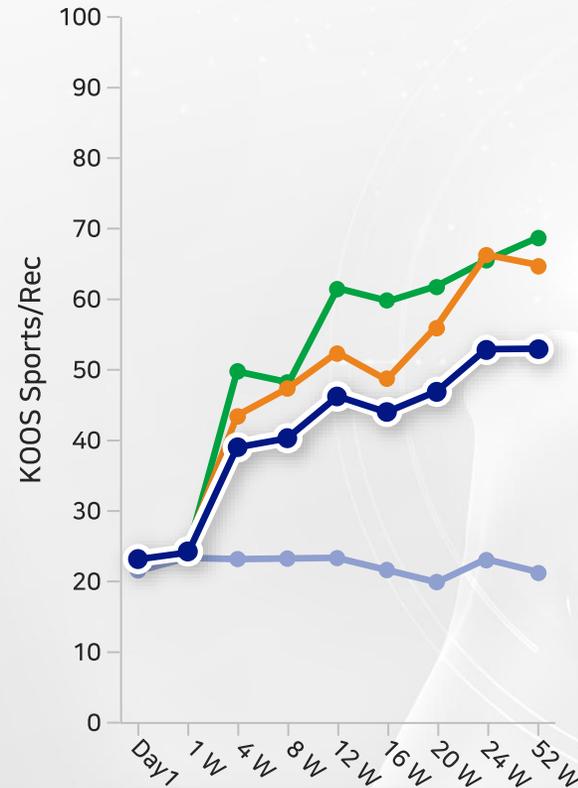
KOOS Symptom



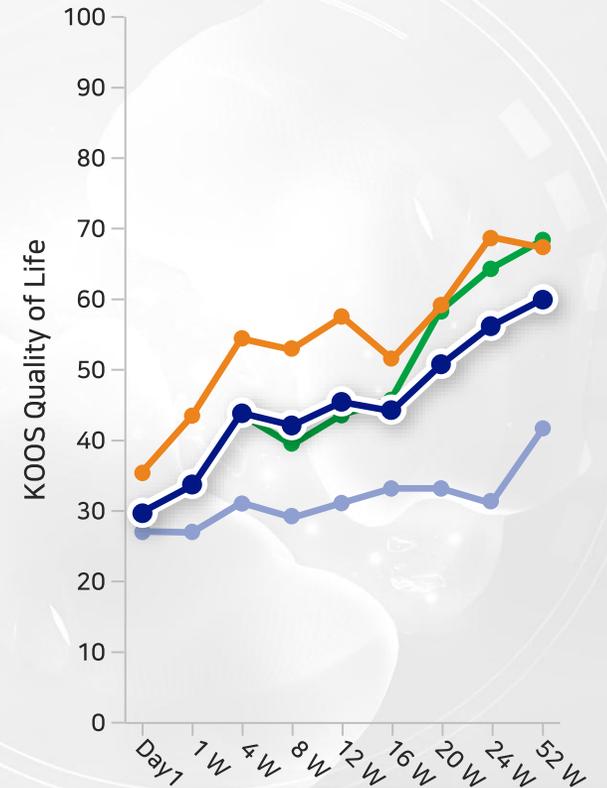
KOOS Activities of Daily Living



KOOS Sports/Rec

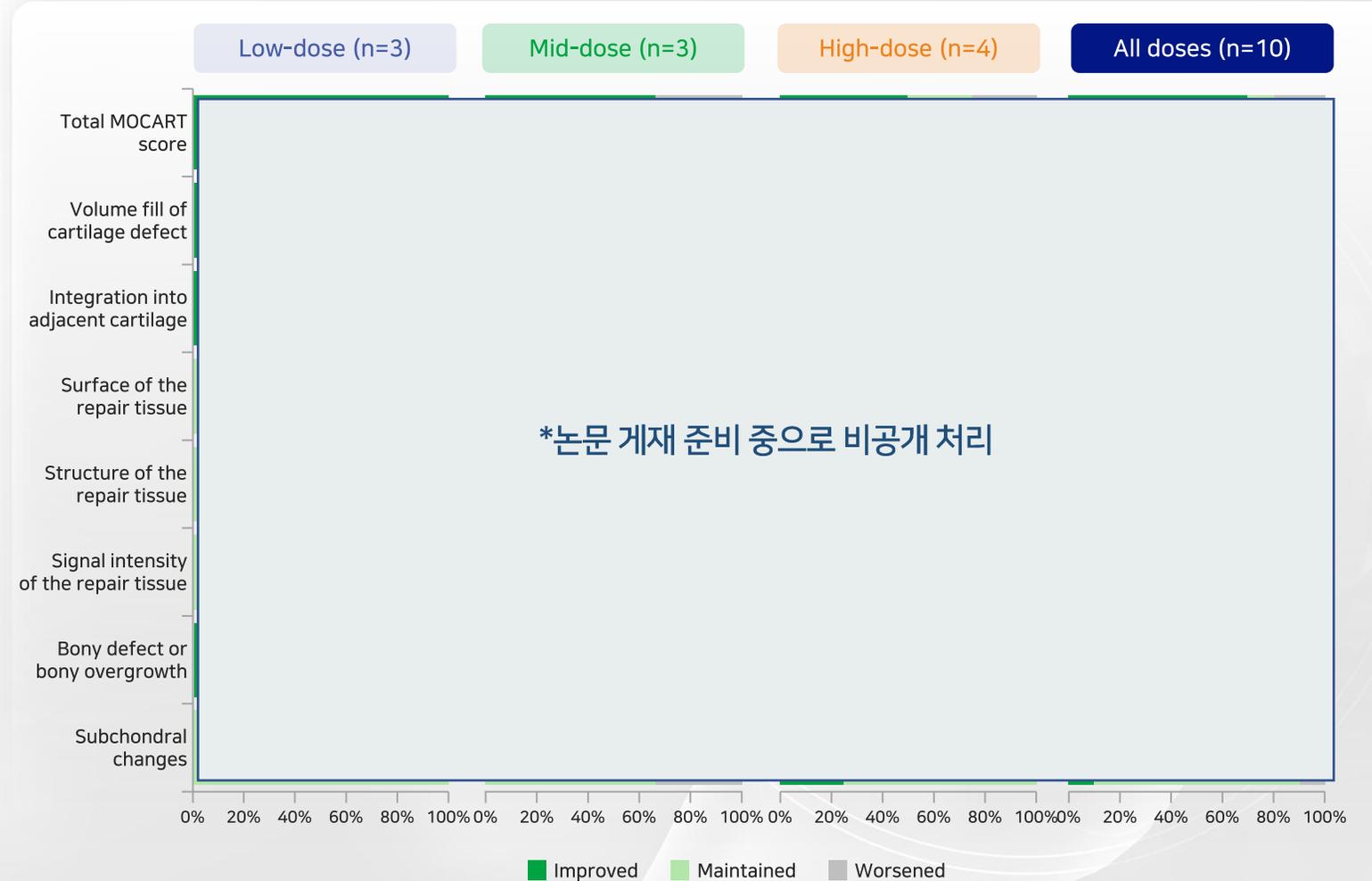


KOOS Quality of Life



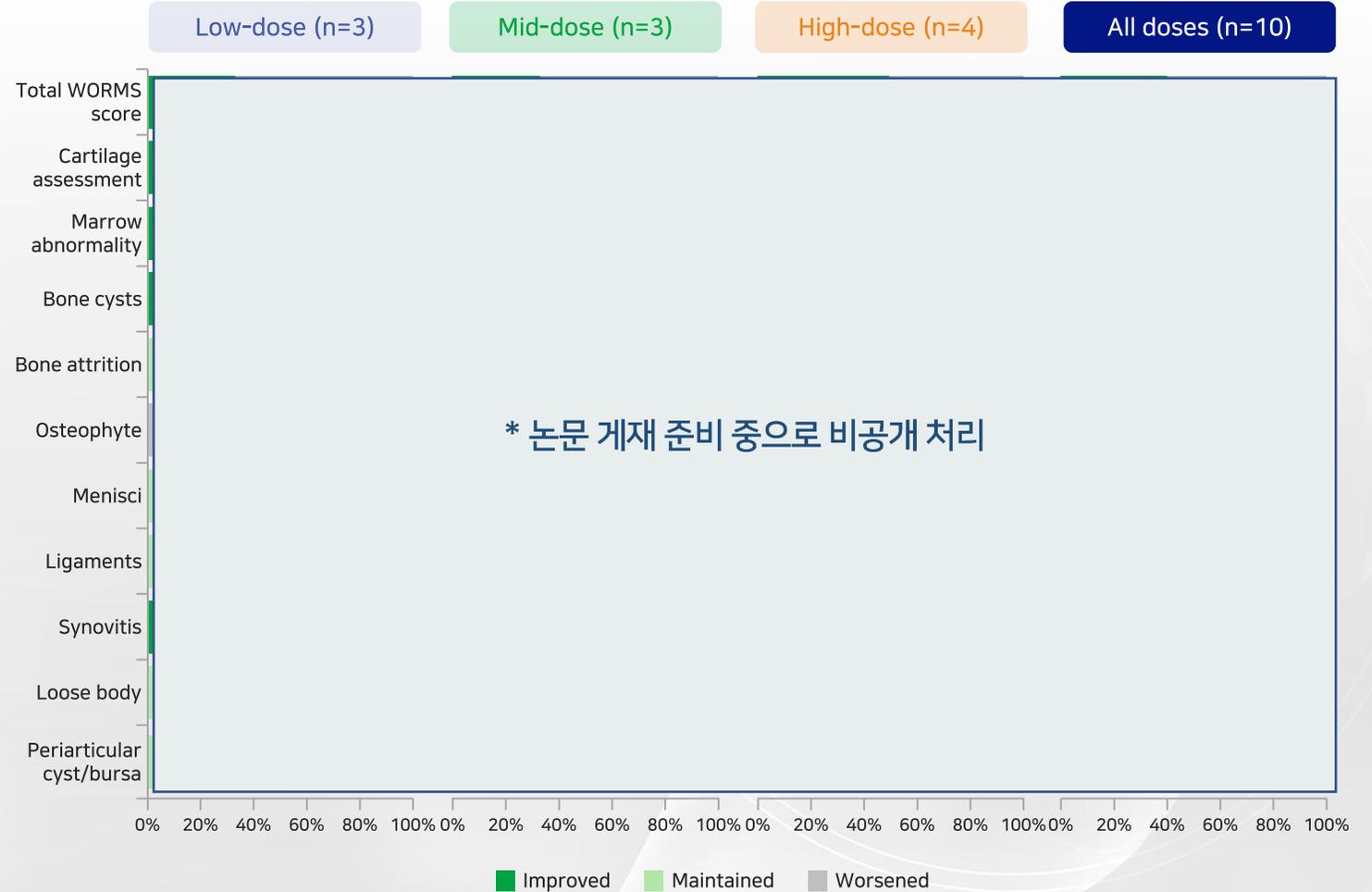
# 탐색적 유효성평가 : MOCART 2.0

- 70% 환자(7/10)에서 MOCART 점수 개선
- “연골결손의 충전” 점수  
개선 60% / 안정상태 30% / 악화 10%
- “연골하골의 변화” 점수  
개선 10% / 안정상태 80% / 악화 10%
- 24주 시점에서 중용량과 고용량의 “회복조직의 표면”과 “연골하골의 변화”의 subregion에서는 통계적 유의한 차이도 확인됨  
( $p=.0204$ ,  $p=.0474$ )



# 탐색적 유효성평가 : WORMS

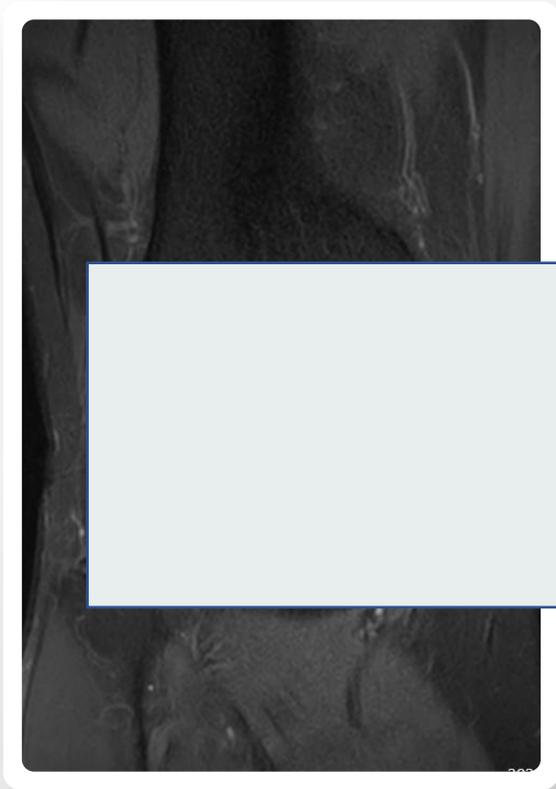
- 40% 환자(4/10)에서 WORMS 점수 개선
- “연골부위 평가” 점수  
개선 50% / 안정상태 30% / 악화 20%  
▶ 연골재생 확인
- “연골하부 이상” 점수  
개선 30% / 안정상태 50% / 악화 20%  
▶ 연골하골의 구조개선 확인
- 대부분의 WORMS subregion 지표에서 개선 또는 구조적 악화의 진행이 안정적으로 관리되고 있다는 근거를 확인



# 영상의학 이미지 비교(1)

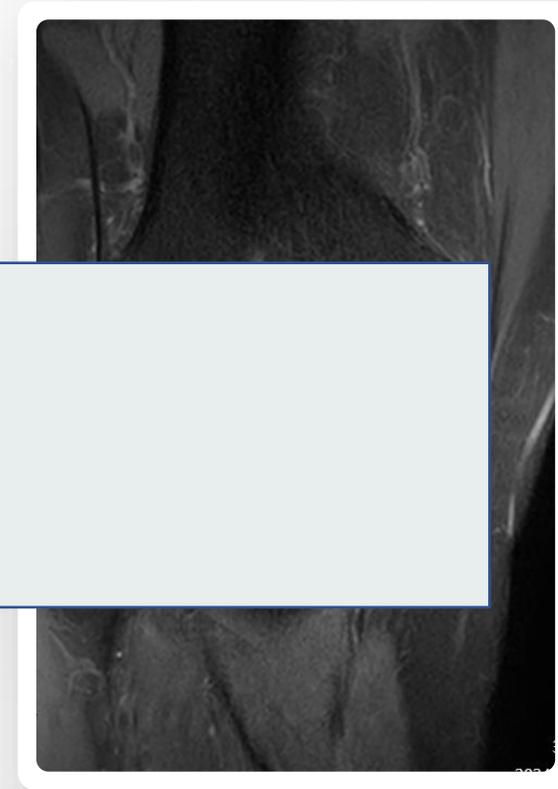
중용량군 1명의 환자에 대한 연골수복에 대한 MRI-기반 평가

**A** 베이스라인



(A) 베이스라인 관상(coronal) MRI 이미지에서 대퇴골 내측 과두에서 연골 결손 (빨간색 화살표)이 관찰됨

**B** 투약 후 6개월 시점



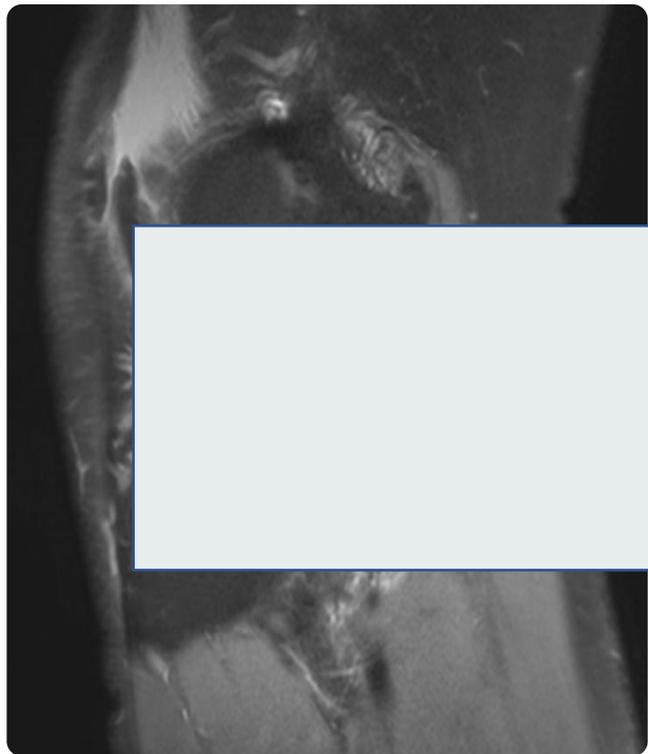
(B) 투약 후 6개월 시점에서 관상(coronal) MRI 이미지는 연골이 분명하게 채워지고 있음이 확인됨 (빨간색 화살표)

\* 논문 게재 준비 중으로 비공개 처리

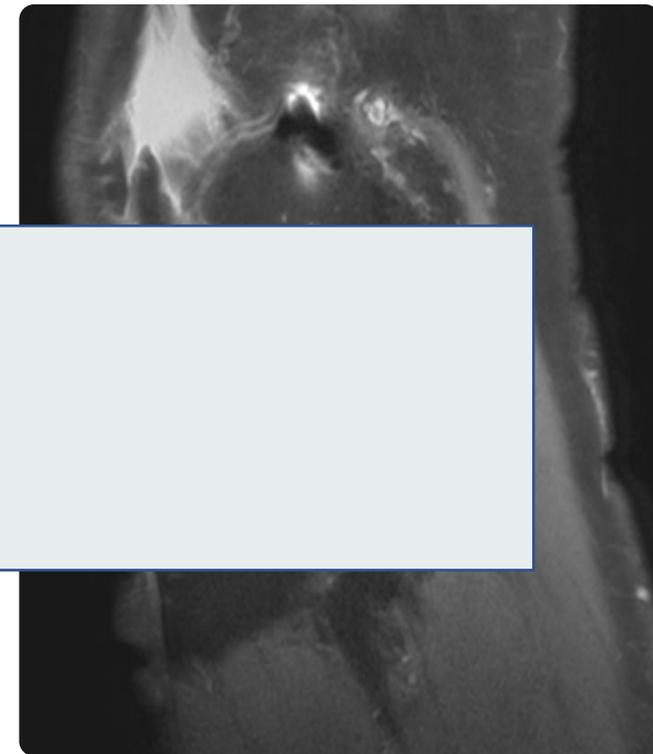
# 영상의학 이미지 비교(2)

고용량군 1명의 환자에 대한 연골수복에 대한 MRI-기반 평가

**A** 베이스라인



**B** 투약 후 6개월 시점



\* 논문 게재 준비 중으로 비공개 처리

(A) 베이스라인 시상(sagittal) MRI 이미지에서 대퇴골 외측과두 (노란색 화살표)와 외측 경골평원(빨간색 화살표)에서 연골 결손이 관찰됨

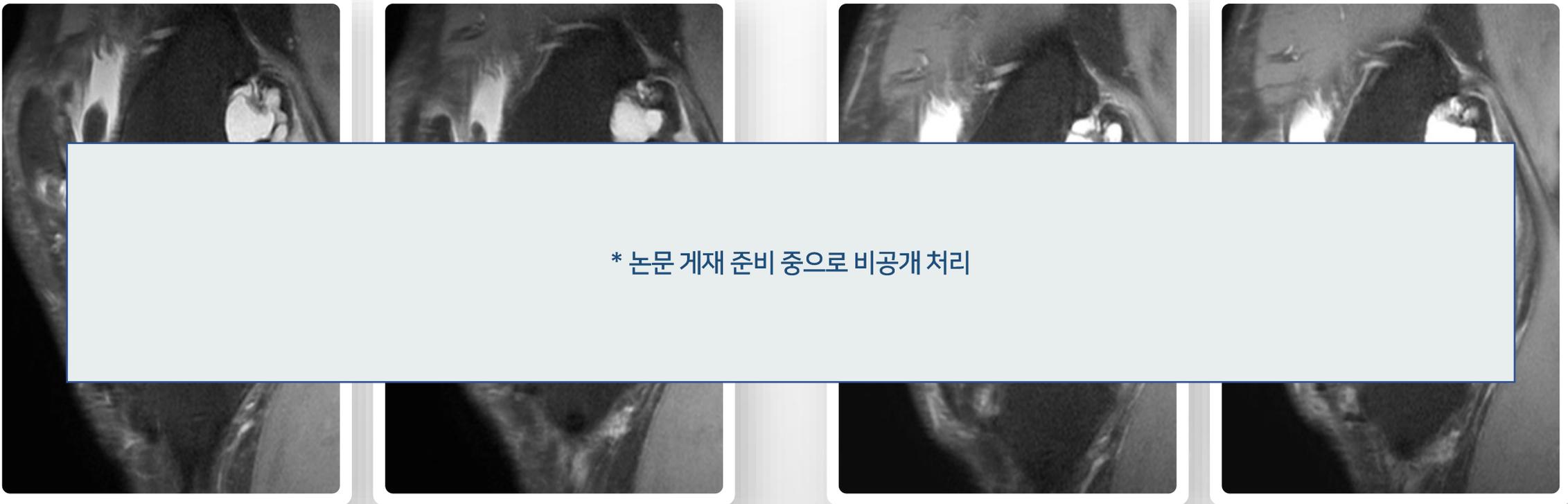
(B) 투약 후 6개월 시점의 시상(coronal) MRI 이미지는 외측 대퇴골과두에서 연골이 분명하게 채워지고 있고(노란색 화살표), 외측 경골평원의 표면이 매끄러워지고 있음(붉은색 화살표)을 보여주고 있음

# 영상의학 이미지 비교(3)

고용량군 1명의 환자에 대한 연골수복과 연골하골의 변화에 대한 MRI-기반 평가

## A 베이스라인

## B 투약 후 6개월 시점



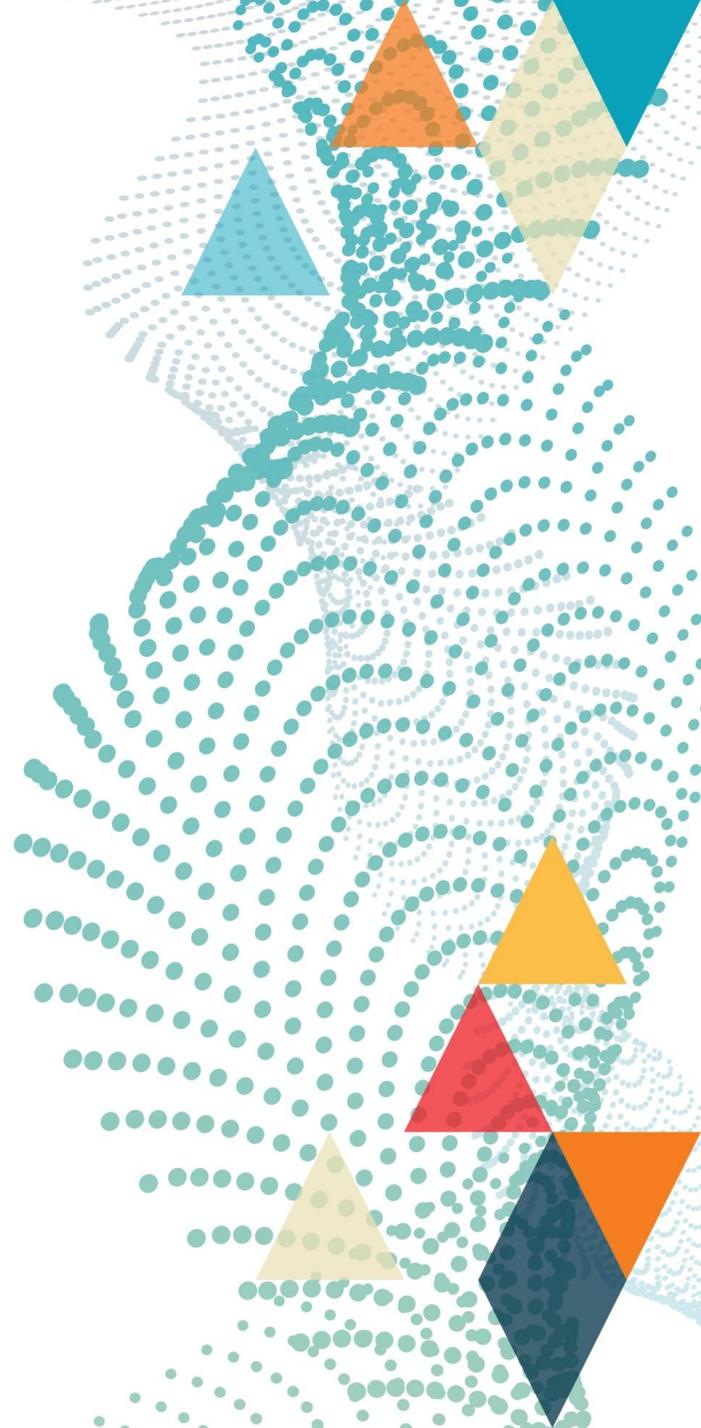
\* 논문 게재 준비 중으로 비공개 처리

(A) 베이스라인 시상(sagittal) MRI 이미지에서 대퇴골 내측 과두에서 관찰된 연골 결손(노란색 화살표)과 연골하골의 부종(빨간색 화살표)

(B) 투약 후 6개월 시점에서 시상(sagittal) MRI 이미지는 약간의 연골충전이 나타나고 (노란색 화살표) 연골하골 부종의 개선이 확인됨 (빨간색 화살표)

## Chapter 2.

# 오스카 임상개발 현황 및 향후 일정



# OSCA 개발현황 : 성공적인 1상 임상시험 완료

1 매우 뛰어난 안전성 및 내약성 확인

2 통증조절 및 관절기능에 관한 모든 평가지표의 24주시점에서 중용량군 및 고용량군이 통계적으로 유의하며 용량의존적 개선결과를 보임

3 24주 시점에서 MOCART2.0과 WORMS를 이용한 구조적 개선의 평가결과, 오스카 투여로 인한 구조적 개선의 명확한 증거 확보

4 중·고용량군 12개월 장기추적조사 평가결과, 24주에서 확보된 통증조절과 관절기능의 개선이 계속 유지 또는 추가 개선되었고, 현재 확보된 저·중용량군의 12개월 평가에서 구조적 개선이 지속되고 있음을 확인

# OSCA 개발현황 : 성공적인 국내 라이선스 아웃

## 임상 개발 초기 단계 라이선스 아웃

- 세계 최초 바이오융복합제제
- Strong Pain Relief
- Long Lasting Efficacy
- Cartilage regeneration
- Anti-inflammation
- 수술이 필요 없는 관절강 주사 투약 방식으로 바로 일상 생활 가능

## 라이선스 아웃 계약 주요내용

- 계약상대방 : (주)유영제약
- 경상기술료 : 140억원 (Non-refundable)
- 임상2b상·3상 임상 진행 및 소요 비용은 유영제약 전액 부담
- 임상시험 투약용 OSCA공급에 따른 제품 매출 확보
- 시판 후 판매 수량에 따른 로열티 수취



# OSCA 개발현황 : 국내 2a상 개요

항 목	1상	2a상	비고
처치군	3개 코호트 (저용량/중용량/고용량)	시험군 2(중용량/고용량) + 위약군 1	
표본크기	총 12 명(저/중/고 = 3/3/6)	총 108 명, 각 군 36명 (1:1:1) 본래 계획보다 2배 정도 증량*	*시험군의 유효성 크기 평가의 정확성을 제고 하고자 함
임상기관 수	2개소	7개소	
대상자 참여기준	K&L grade 2-3 및 ACR 기준 충족	기본 참여기준 변화없음 <ul style="list-style-type: none"> <li>BMI 기준 변경* (30미만 → 35미만)</li> <li>100mmVAS 70 이상/이하 계층구분</li> </ul>	*글로벌 진출을 위한 준비 단계
유효성평가변수	100mmVAS, IKDC, WOMAC, KOOS, K&L grade, MRI (MOCART2.0 & WORMS)	변화없음	
바이오마커	총 9종 (혈액 7종 /소변 2종)	변화없음	
연구기간	투여 후 6개월 관찰	변화없음	
장기추적조사	투여 후 5년 추적 (12M/24M/60M)	변화없음  위약군 1년 데이터 확보 디자인도입*	*구조적 개선 개념정립

# 오스카 2a 임상결과의 역할

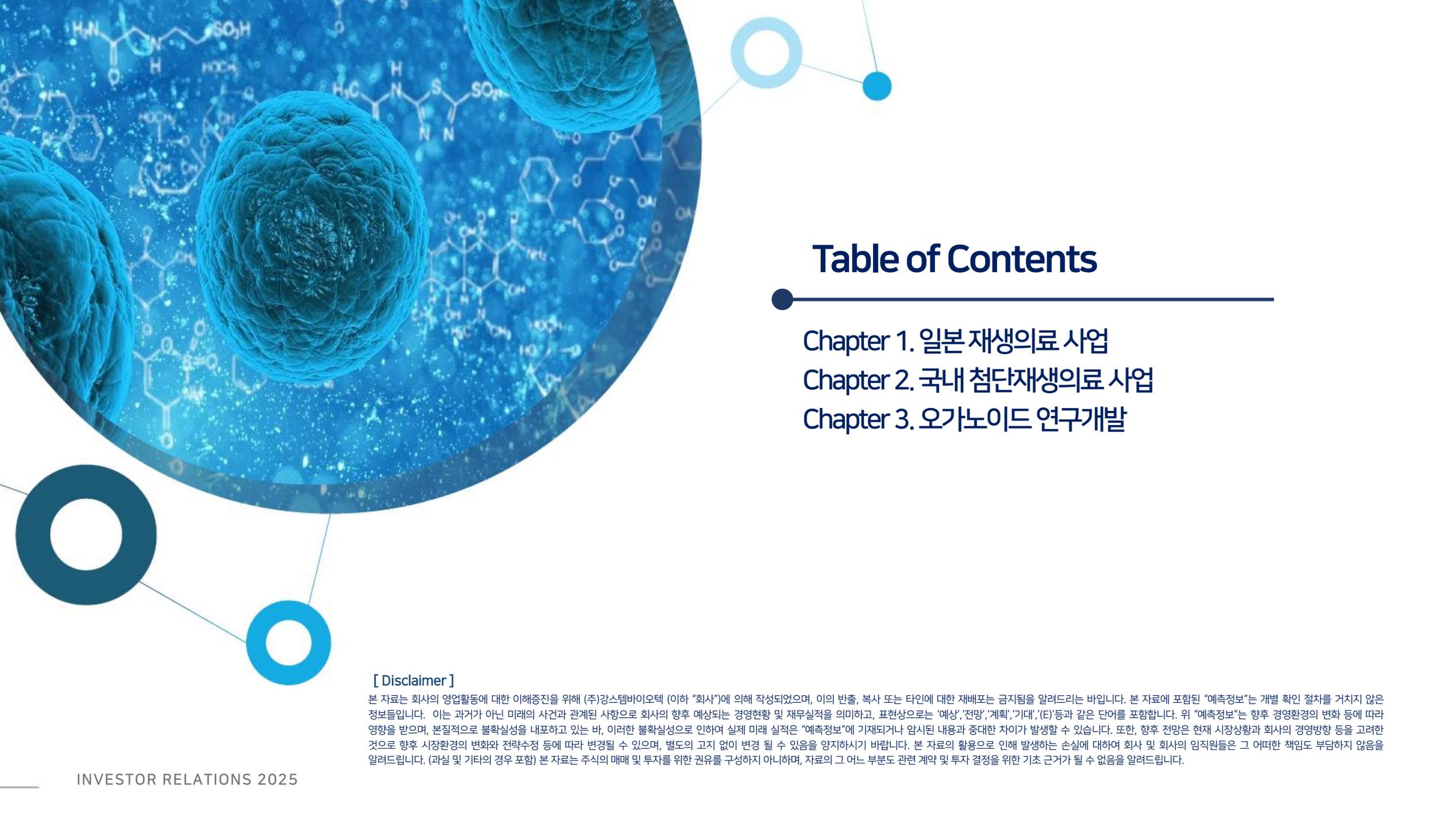
## [후기 개발의 핵심 근거 생성]

- 위약대비 시험약의 효과비교 가능
- 시험군의 효과크기를 비교하기 적절한 규모
- 시험군간 효과우위 비교 (중용량 vs 고용량)
- 구조적 개선의 개념 규정의 과학적 근거 제시
- 증상개선과 구조적 개선의 상호연관성 제시
- 오스카 MoA 근거 보강



## [2a 임상 결과에 따른 기대 효과]

- ✓ 국내 임상개발 촉진 (2b상 또는 3상 임상)
- ✓ FDA pre-IND/IND 진행 촉진
- ✓ 글로벌 파트너 선정
- ✓ 2027년 글로벌 임상 진입
- ✓ 2027년 RMAT·BTD 지위 확보
- ✓ 3상 임상시험 디자인
- ✓ 후기 임상비용 절약



## Table of Contents

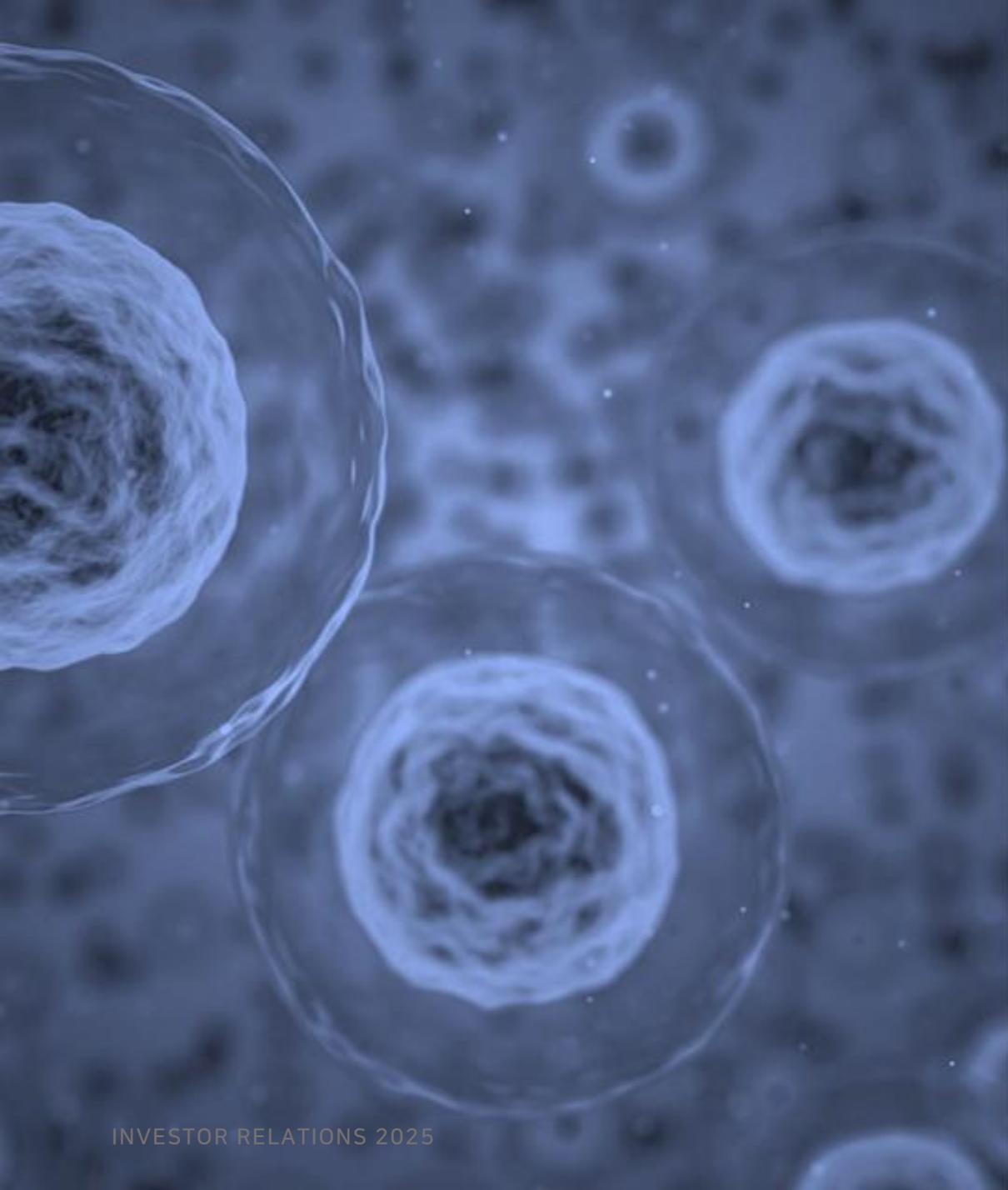
Chapter 1. 일본 재생의료 사업

Chapter 2. 국내 첨단재생의료 사업

Chapter 3. 오가노이드 연구개발

### [ Disclaimer ]

본 자료는 회사의 영업활동에 대한 이해증진을 위해 (주)강스템바이오텍 (이하 "회사")에 의해 작성되었으며, 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다. 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 단어를 포함합니다. 위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 "예측정보"에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다. 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함) 본 자료는 주식의 매매 및 투자를 위한 권유를 구성하지 아니하며, 자료의 그 어느 부분도 관련 계약 및 투자 결정을 위한 기초 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.



Chapter 1.

# 일본 재생의료 사업

# 01. 일본 재생의료 승인 현황

## 일본 시장 진출 위한 재생의료 승인 완료

▶ '자가지방유래 줄기세포(제2종)를 이용한 재생의료' 사업 개시  
 일본 특정인정 재생의료위원회 승인을 거쳐 **후생노동성 최종 승인 완료**  
 '25년 3분기 초 배양 지방줄기세포 첫 투여 예정·조기 수익화

▶ '동종 제대혈유래 줄기세포(제1종)를 이용한 아토피 피부염 치료' 사업  
 일본 특정인정 재생의료위원회 승인 완료  
 일본인 대상으로 동종 제대혈 줄기세포 투여에 의한 아토피 피부염의 재생医료를  
 적용하기 위해 후생노동성과 세부적인 협의 개시

➔ **일본에서 현재까지 단 1건에 불과한 제1종 재생의료 치료 승인을 위한 도전 지속**

- 2종 재생의료에 대한 일본 후생노동성 최종 승인 ('25년 2월)

**뉴스**  
**강스템바이오텍, 지방 줄기세포 재생의료 日서 최종 승인**  
 일력 2025.02.19. 오후 3:59 수정 2025.02.19. 오후 4:00 기사원문

| "1Q 줄기세포 공급·환자 치료 본격 개시"... 시장 공략 속도

(서울=뉴스1) 황진중 기자 = 강스템바이오텍(217730)은 일본 후생노동성으로부터 지방 줄기세포를 이용한 2종 재생의료 제공 계획에 대한 승인을 받았다고 19일 밝혔다. 1분기 내 사업을 개시해 만성통증 환자들의 지방 조직에서 지방 줄기세포를 분리·배양한 후 일본 의료기관에 공급할 예정이다.

강스템바이오텍은 지난해 국내 의약품제조품질관리(GMP) 허가 시설에 기반을 두고 특정세포공물 제조 인정을 받고, 일본 현지 재생의료기관에 줄기세포를 생산할 수 있는 기반을 확보한 바 있다. 여기에 이번 2종 재생의료 제공 계획 최종 승인까지 더해져 일본 재생의료 사업개시를 위한 모든 준비를 마쳤다.

강스템바이오텍은 극소량 존재하는 줄기세포를 분리·배양하는 기술과 높은 증식력 등 균일한 세포 상태를 유지하는 자체 배양배지 기술을 포함한 차별화된 고품질 줄기세포 기술 '셀람(SEL AF)'을 기반으로 일본 재생의료 시장 공략에 나설 계획이다.

- 1종 재생의료에 대한 일본 재생의료위원회 승인 ('25년 2월)

**한국경제** **구독**  
**강스템바이오텍 "아토피치료제 日허가 첫번째 문턱 넘었다"**  
 일력 2025.02.11. 오전 10:17 기사원문

| 동종줄기세포치료제 퓨어시스템-에이디 1종 재생의료 제공계획에 대한 승인

강스템바이오텍의 아토피 치료용 줄기세포치료제가 일본에서 허가를 받기 위한 첫 번째 문턱을 넘었다.

강스템바이오텍은 자사 동종 제대혈 유래 줄기세포치료제가 일본 후생노동성의 인준을 받은 특정인정재생의료위원회(이하 위원회)부터 1종 재생의료 제공계획에 대한 승인을 받았다고 11일 밝혔다.

1종 재생의료는 위원회로부터 승인을 받은 후 후생노동성 산하 후생과학심의위원회에서 최종 심사를 진행한다. 회사는 2분기 내 후생노동성의 승인을 진행할 예정이다. 회사 관계자는 "연내 일본 의료기관에서 아토피 환자 치료제로 '퓨어시스템-에이디'를 사용할 수 있을 것"이라고 했다.

일본은 재생의료사업의 선두국가로 현지 의료기관에서 국내외 환자들을 대상으로 활발한 재생医료를 진행 중이다. 다만, 자가가 아닌 동종(타가) 줄기세포를 사용하는 1종 재생의료는 고위험군으로 분류되어 절차가 매우 까다롭고 복잡해 현재까지 승인사례가 전무한 상황이다.

## 02. 사업화 방안

### 지방줄기세포(제2종) 공급 방안

#### ■ 일본

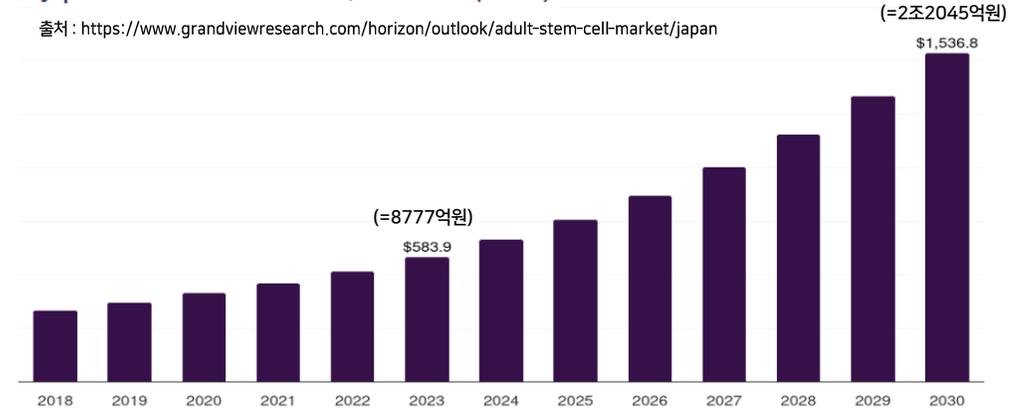
- '25년 3분기 초, 당사 배양 지방줄기세포 최초 투여 예정
- 줄기세포 투여를 담당할 의료기관이 위치한 도쿄, 오사카, 나고야를 중심으로 공급 개시
- 차별화된 **고품질 줄기세포 배양 제조 역량** 을 주로 하여 환자 유치를 위한 **본격적인 영업 활동 진행**
- 일본 내 협력 의료기관을 확대하여 **공급망 구축 가속화**

#### ■ 한국

- 수차례 임상을 통해 안전성을 검증한 당사 제조 줄기세포의 투여
- 줄기세포 생산 **기술 플랫폼인 SELAF™** 활용하여 고순도·고품질의 줄기세포 제공
- 줄기세포 기술을 더욱 많은 고객이 경험할 수 있도록 **합리적인 가격을 책정하여 잠재 고객들의 접근성 강화**

Japan adult stem cell market, 2018-2030 (US\$M)

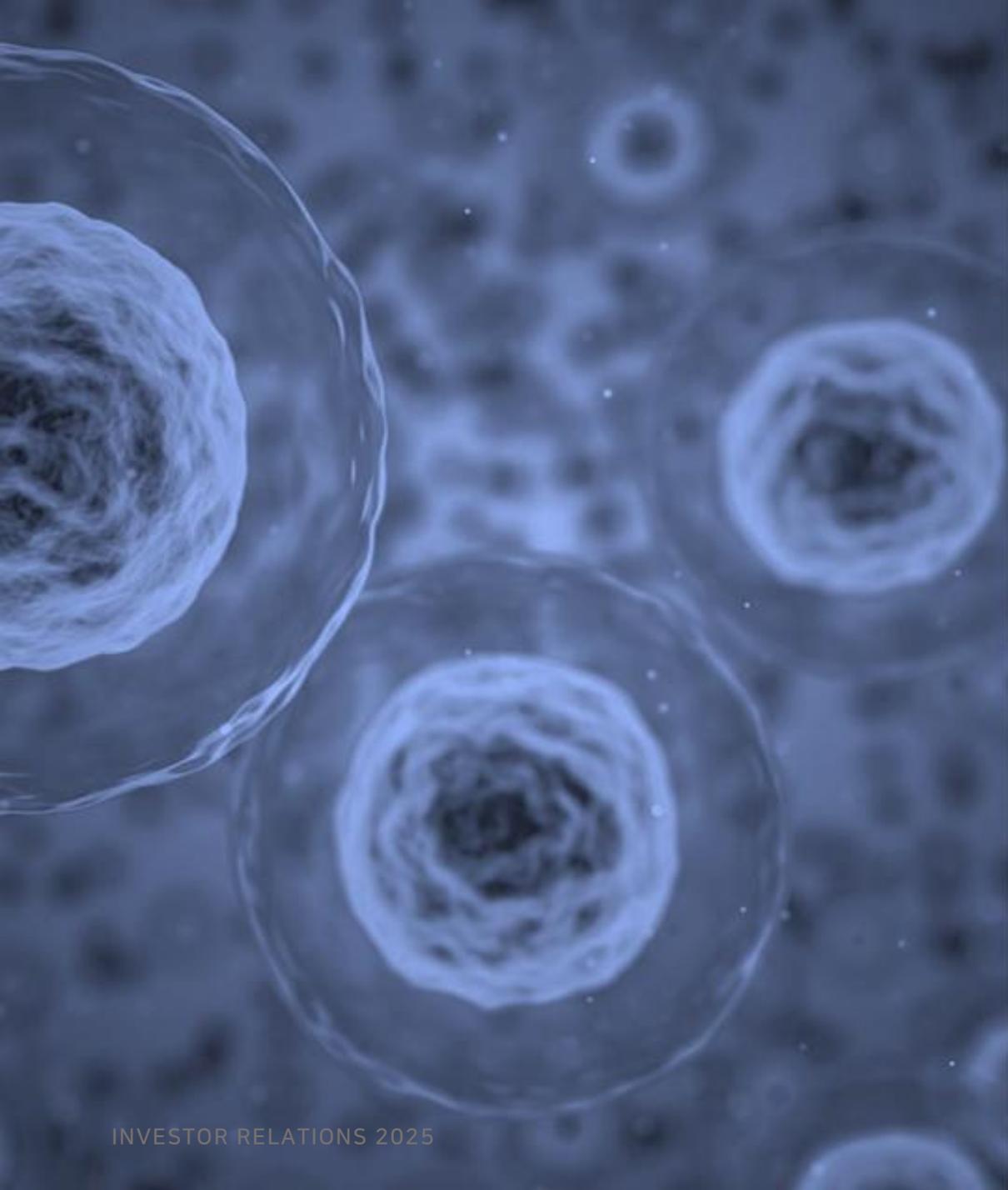
출처 : <https://www.grandviewresearch.com/horizon/outlook/adult-stem-cell-market/japan>



#### Japan adult stem cell market highlights

- The Japan adult stem cell market generated a revenue of USD 583.9 million in 2023 and is expected to reach USD 1,536.8 million by 2030.
- The Japan market is expected to grow at a CAGR of 14.8% from 2024 to 2030.
- In terms of segment, hematopoietic stem cells (blood stem cells) was the largest revenue generating type in 2023.
- Mesenchymal Stem Cells is the most lucrative type segment registering the fastest growth during the forecast period.

- '25년 3분기 중 제2종 재생의료(지방줄기세포) 제공을 시작으로 제1종 재생의료(제대혈줄기세포) 치료제 공급 목표
- 국내·외 협업 병원을 통한 안정적 매출 확보
- 일본 재생의료 시장 진출을 통한 수익화 뿐 아니라 해외 시장 제품 공급을 통한 국내 품목허가 레퍼런스로 활용 가능성



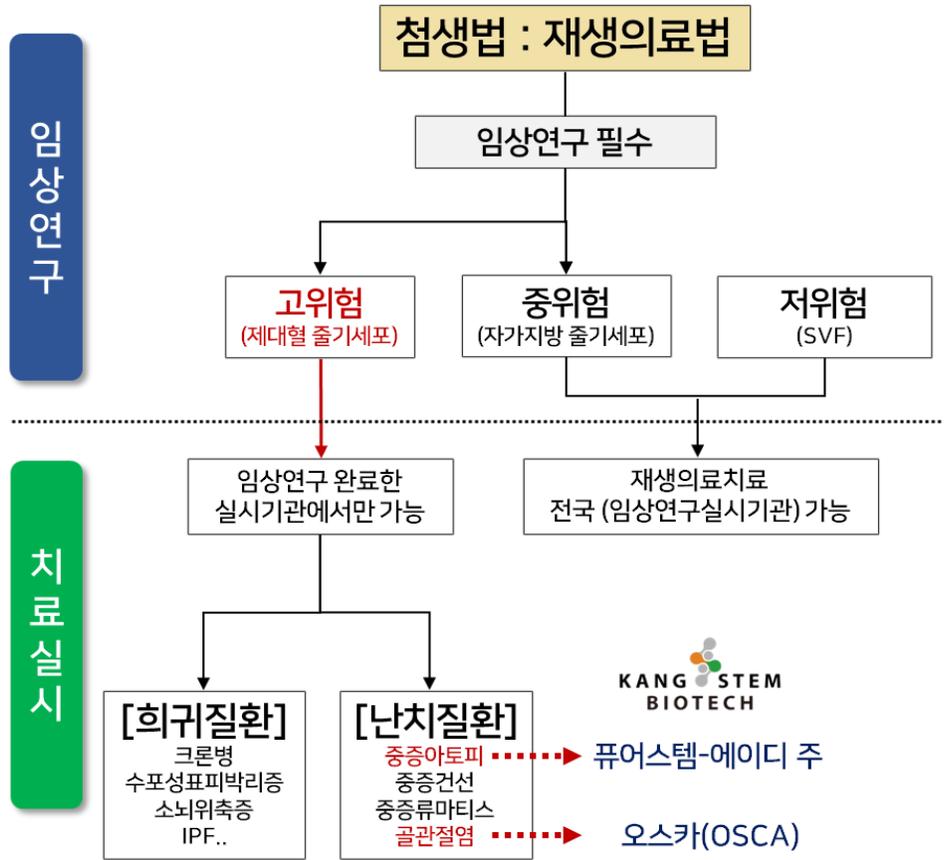
Chapter 2.

# 국내 첨단재생의료 사업

# 01. 첨단재생의료법 현황

## 첨단재생의료법 시행으로 당사 치료제 활용 모멘텀 확보

- ▶ **첨단재생의료법 개정안 시행 (시행일 : '25년 2월 21일)**  
 임상연구에 한해 제한적 허용됐던 **첨단재생의료**를 환자 치료에 이용 가능하도록  
 첨단재생의료 치료 제도를 신설하고 **치료 대상자 범위를 확대**하는 것이 주 목적  
 - 임상 단계 의약품이라도 희귀 난치 질환자에게 사용 가능하도록 **법률적 허용 테두리 마련**  
 - 임상 연구를 성공적으로 완료하면 임상연구 실시기관을 통해 **환자에게 치료 행위 가능**
- ▶ **첨단재생의료법 개정안 시행을 통해 골관절염 치료제(OSCA)와 아토피 피부염 치료제 (퓨어스템-에이디 주) 환자 적용 치료 실시 가능**
- ▶ **임상연구기관과의 협업 진행**  
 - 전문 세포처리시설인 강스템바이오텍 **GMP를 통해 임상연구용 인체세포 공급**  
 - 임상연구·임상치료를 통한 **RWD(Real World Data) 확보**  
 - 임상연구·임상치료 IP제조 공급을 통한 **신규 매출 확보**
- ▶ **다수의 첨단재생의료 실시기관으로부터 협업 문의가 계속되고 있으며 임상연구 적응증에 대해 협의 중**



- ▶ **보유 파이프라인 외에도 치료제 주 원료인 제대혈유래 줄기세포를 활용한 간경화증, 만성창상 치료제 등 관련 임상연구 문의가 계속 이어짐**  
 ∴ **분화능·증식능·off-the-shelf·고품질·균일성**

## 02. 사업화 방안

### 협력 의료기관을 통한 보유 파이프라인의 임상연구 및 세포 공급 계약의 투 트랙 사업화 전략

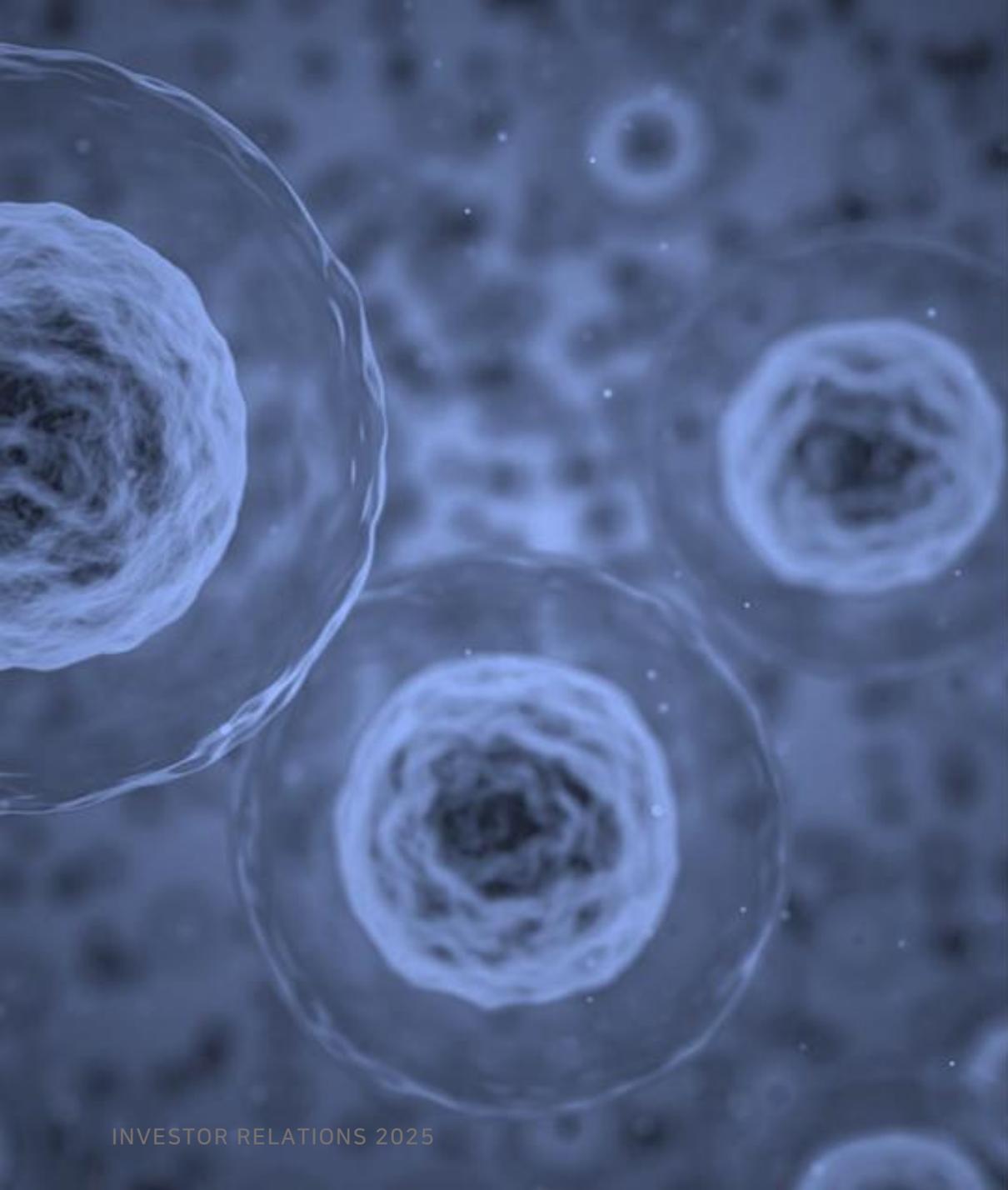
[ 보유 파이프라인 임상연구 ]		[ 제조공급계약 (세포처리시설) ]
제대혈 유래 줄기세포	줄기세포 종류	자가지방 유래 줄기세포
고위험 임상 연구 - 오스카(OSCA) - 퓨어스팀-에이디주	임상연구 수준	중위험 임상 연구 - 고품질의 줄기세포 공급
임상연구 제조비 확보 세포치료제 공급 매출 발생 현장 임상 데이터 확보·누적	사업화 방안	공급계약체결로 인한 안정된 매출 임상연구 제조비 확보 세포 제조 공급에 따른 매출 발생



임상연구 진행 의료기관과 계약 논의  
연구 대상 적응증 협의 중



GMP 시설 내 생산·공급을 통한  
조기 수익화



Chapter 3.

# 오가노이드 연구개발

## 01. 오가노이드 연구개발 현황

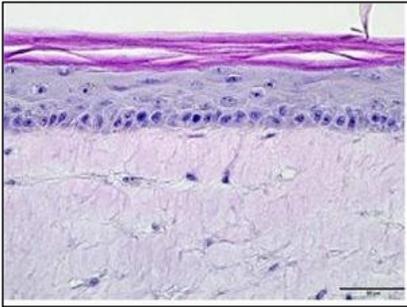
### 동물실험 대체법으로의 오가노이드 활용

“미국 식품의약국(FDA)이 10일(현지시간) 신약 개발 허가 과정에서 동물실험 요건을 단계적으로 폐지하겠다고 발표했다. 신약 개발 시간을 단축시키고 비용을 절감해 환자들의 약 값 부담을 줄이겠다는 취지다. 이에 따라 신약 개발에서 동물실험을 대체할 수 있는 인공지능(AI) 예측 모델이나 미니 장기로 불리는 ‘오가노이드’ 방식이 주목받고 있다.”

[출처 : 2025년 4월11일자 동아일보 기사 일부 발췌]

### 인체와 가장 유사한 형태의 당사 오가노이드

- 기존 오가노이드 -



- 진피층/표피층 제공에 초점
- 샘구조/모낭/혈관 구조 재현 불가
- 면역세포 탑재 모델 제한

- 당사 오가노이드 -



- 자연발생과정 모사를 통해 인체피부조직 및 부속기 완벽 재현
- 인체 정상 피부/모낭구조와 완벽한 동일구조

### 피부 오가노이드 아토피 모델 제작 기술 특허 등록

피부에 적용하는 물질의 효과를 확인할 수 있도록 경피 투여나 정맥 투여 경로를 모사해 다양한 유효물질에 대한 (효력)스크리닝이 가능

### 강스템바이오텍 오가노이드 기술

#### ▶ Case1. LG전자 개발 미용기기 적용

- 미용기기 적용 후 물질 흡수도 증가 확인
- 미용기기 적용에 따른 피부 미백 유효물질의 효능 증대 효과 확인

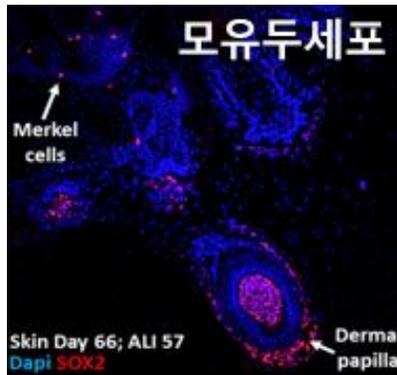
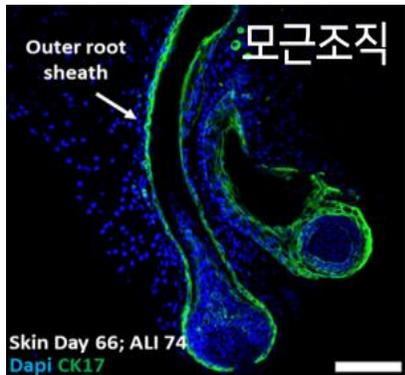
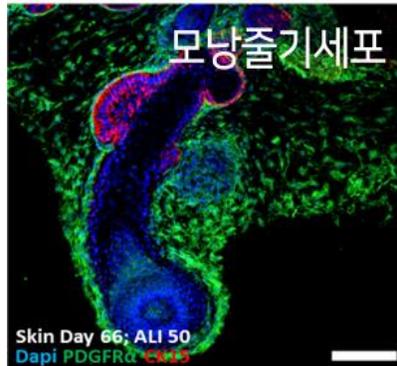
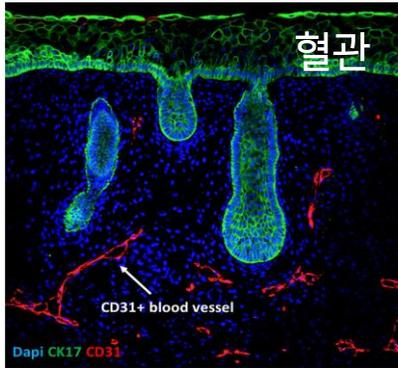
#### ▶ Case2. 아토피 피부염 치료 플라즈마 패치 효능 평가

- 동물실험 완료한 아토피 피부염 치료 용도 플라즈마 패치의 인체에도 동일 효과가 있는지 평가
- 인체 피부 대체법으로 당사 피부오가노이드를 활용하여 효능 평가 완료 성공하고 논문 작성 중

## 02. 연구개발 계획

어떠한 세포로도 분화가 가능한 유도만능줄기세포(iPSC) 기반으로 적용 분야 확대

### ▶ KSB Hair Organoid



### ▶ 모발 오가노이드를 활용한 연구개발

#### 1) 약물 스크리닝 또는 기초 연구 도구로서의 제품·서비스 제공

- 정상 피부 오가노이드 (투과성, 모발 성장)
- 질병 모델링 (발모·탈모 모델)

#### 2) 정상 피부와 동일한 기능·구조를 가진 두피·모낭 이식 통한 탈모 치료

- 경제성, 효율성, 임상적용 가능성을 높이기 위해 조직(모낭)이식 대신 세포(모낭 줄기세포) 단위 이식 방법 연구개발 중

#### 3) 정상 모발 오가노이드에 발모 촉진 치료제 처리했을 때 발모 촉진 현상 여부 확인



## 강스템바이오텍의 성공 로드맵

- ▶ 오스카 국내 최초 융복합 DMOAD 제제 조기 시판 허가
- ▶ 2025년 내 글로벌 파트너사의 기술 수출 추진  
(미국의 Z사·E사, 유럽의 G사·P사, 중국의 S사)
- ▶ 북미 시장 진출 위한 미 FDA와의 커뮤니케이션 진행
- ▶ 글로벌 임상 개발 · 글로벌 상업화 시판 승인

- ▶ 제1종·2종 재생의료 일본 시장 진출
- ▶ 국내 첨단재생의료 임상연구 통한 조기 상업화

- ▶ 글로벌 스탠다드 오가노이드 라이선스 아웃



World Best  
Cell Therapy Company





# Q & A

# 감사합니다



서울특별시 강남구 테헤란로 522 홍우빌딩 9층 (06179) / [www.kangstem.com](http://www.kangstem.com)