

AptaBio

플랫폼 기술기반 First-in-Class 신약개발 전문 기업

Make

Life

Better

Disclaimer

본 자료는 주식회사 **알타바이오** (이하 “회사”) 에 관한 일반적인 정보제공목적으로만 작성된 참고자료입니다.

본 자료는 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에 정보 제공을 목적으로 회사에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려 드리는 바입니다.

본 Presentation에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며, 제한 사항에 대한 위반은 관련 ‘자본시장과 금융투자업에 관한 법률’에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영 현황 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 있는바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 ”예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다.

또한 각종 지표들은 현재의 시장상황과 경영목표 및 방침을 고려하여 작성된 것으로 시장환경의 급속한 변화 및 투자환경, 회사의 전략적 목표수정에 의하여 그 결과가 다르게 나타날 수 있습니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 Representative들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.

압타(Apta)는 그리스어로 '잘 들어맞다 (Too fit)' 는 뜻으로
압타바이오가 개발한 약물이 환자들에게 정말 잘 들어맞길 바라는 마음으로
신약 개발에 매진하고 있습니다

TABLE OF CONTENTS

- **CHAPTER1**
COMPANY OVERVIEW
- **CHAPTER2**
NOX 저해제 플랫폼
(Oxidative Stress / CAF modulator)
- **CHAPTER3**
Apta-DC 플랫폼
- APPENDIX



chapter 1

COMPANY OVERVIEW

01. 회사 소개
02. 성장 연혁
03. 핵심 연구 인력
04. 글로벌 파트너십
05. 플랫폼 소개
06. 파이프라인 소개
07. 임상 개발 및 기술이전 전략

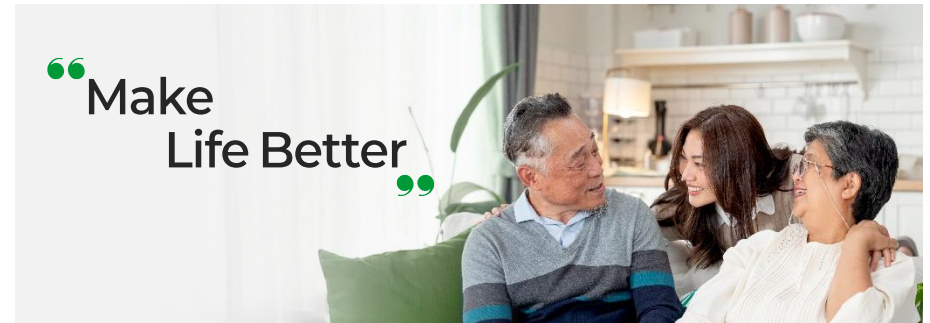
AptaBio



플랫폼 기반 First-in-Class 혁신 신약 개발 전문 기업

기업 개요

회사명	압타바이오 주식회사
대표이사	이수진
사장/CTO	문성환
주요 연혁	<ul style="list-style-type: none"> • 2009년 설립 • 2019년 6월 코스닥 상장
중점 분야	<ul style="list-style-type: none"> • Diabetic Complications • Cancer immunotherapy • Incurable cancer diseases
플랫폼	<ul style="list-style-type: none"> • Oxidative Stress Modulation Technology • Cancer-associated fibroblasts(CAFs) Modulation Technology • Aptamer-Drug Conjugate Technology
본사	경기도 용인시 기흥구 흥덕1로 13



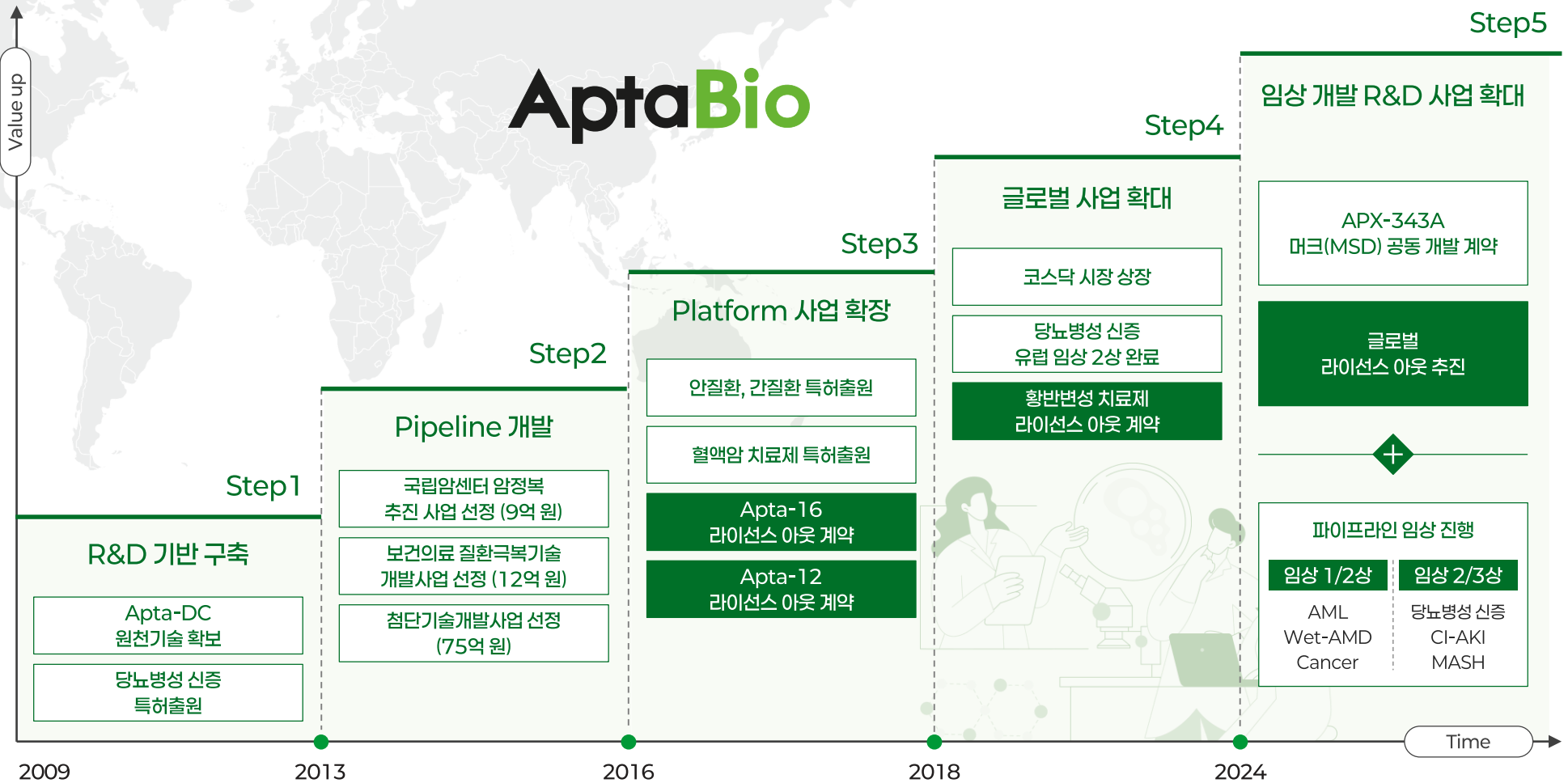
VISION

First-in-Class New Drug Development



코스닥 시장 상장 이후 임상개발 R&D 중심으로 전문화

AptaBio



30년 이상 업력의 신약 개발 전문가 보유

Researcher

Dr. Soo Jin Lee **CEO**

- R&D Head at JW Pharm
- Chugai-Roche Co-Development Scientific Committee
- Ph.D. of Medicinal Chemistry from Ajou Univ

Dr. Sung Hwan Moon **CTO**

- Head of R&D at Hanmi & Beijing Hanmi Pharm
- Head of C&C and R&D at JW Pharm
- Molecumetics, USA Research Scientist
- Suntory Institute, Japan(Postdoctoral)
- Ph.D. of Biomedical Chemistry from POSTECH

Dr. Soon-Hoe Kim **Board of Advisory**

- R&D Head of Dong-A ST
- R&D Head at Dong-A Pharm
- Ph.D. of SNU College of Pharmacy
- Bachelor's of Pharmacy from SNU College of Pharmacy

Dr. Dae-Ryong Cha **CMO | MD Ph.D.**

- Professor of Gastroenterology at Korea Univ.
- Professor of Gastroenterology at Asan Hospital
- Exchange Professor at Vanderbilt Univ., USA
- UCLA Medical Center fellow
- Ph.D. of Internal Medicine at Korea Univ., Medical College

AptaBio

원천 기술에 대한 특허 보호 및
개발 품목의 광범위한 지식 재산권 확보

특허 211건 출원 및 120건 등록

Patent Strategy for Oxidative Stress /
CAF Platform

특허 178건 출원 및 98건 등록 (원천 기술 포함)

신약 API

- 결정형 특허
- 용도 특허
- 물질 특허
- ...

Patent Strategy for Apta-DC Platform

특허 33건 출원 및 22건 등록 (원천 기술 및 물질 특허)

Apta-12 / Apta-16

- 물질
- 용도
- 조성물
- ...

Advisor

Dr. Suk Ran Kim **MD Ph.D.**

- Clinical director of Hanmi Pharm
- Medical director at Sanofi
- Ph.D. of SKKU College of Medicine

Dr. Hyun Cheol Kwon **MD Ph.D.**

- Professor of Cardiology at Samsung Hospital
- Professor of Cardiology at SKKU
- MD Ph.D. from SNU College of Medicine

Dr. Peter Adamson **Ph.D.**

- Head of Ophthalmology at Johnson&Johnson
- Discovery Head of Ophthalmology at GSK

Dr. Ted Jung **Ph.D.**

- CEO at Adelphi
- CFO at Rexahn Pharm

Dr. Jung Lee **Ph.D.**

- Head of Tech at AstraZeneca
- Principal scientist at Johnson&Johnson

글로벌 파트너십을 통해 오픈 이노베이션 적극 추진



빠른 확장성을 보유한 플랫폼 기술력으로 First-in-Class 혁신 신약 개발

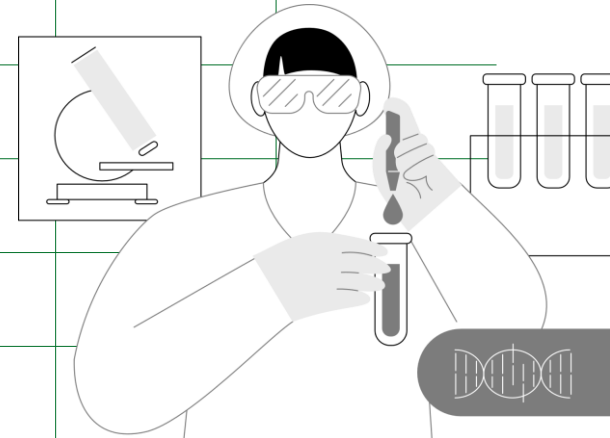
NOX 저해제 플랫폼

플랫폼	Oxidative Stress modulator	CAF modulator	Apta-DC (Aptamer-Drug Conjugate)
작용 기전	산화 스트레스 조절을 통한 염증 및 섬유화 억제	종양 미세환경(TME) 내 암세포 관련 섬유아세포(CAF)를 억제하여 항암 효과 증대	Nucleolin 과발현 암세포 타겟
적응증	당뇨 합병증 (당뇨병성 신증, 황반변성 등)	고형암 (췌장암, 간암, 유방암, 비소세포폐암 등)	난치성 암 (혈액암, 췌장암, 방광암, 간암 등)
임상 개발	<p>임상 1/2상</p> <p>ABF-101/103 (황반변성)</p> <p>임상 2/3상</p> <p>APX-115 (DN, CI-AKI)</p> <p>APX-311 (MASH)</p>	<p>임상 1상</p> <p>APX-343A (면역항암제)</p>	<p>임상 1상</p> <p>Apta-16 (혈액암, FDA희귀의약품 지정)</p>

파이프라인 개발 및 L/O 로드맵

★ L/O 추진 시점 ☆ 기존 L/O 시기

플랫폼	적응증	프로그램	개발 단계				
			Discovery	IND-Enabling	임상 1상	임상 2상	임상 3상
NOX 저해제 플랫폼	Oxidative stress Modulation	Diabetic Nephropathy	APX-115 (Isuzinaxib)	2024 임상 2b상 진입			★
		Acute Kidney Injury	APX-115 (Isuzinaxib)	2023 임상 2상 진입(FDA, MFDS)			★
		MASH	APX-311				
		PO & Eye drop Wet-AMD	ABF-101/103	2025 임상 1/2상 진입 예정			★
	Parkinson's Disease	APX-New1					
Apta-DC 플랫폼	CAF modulation (Immuno-Oncology)	Solid Tumor	APX-343A	2025 임상 1상 진입			★
		AML·MDS	Apta-16 (FDA ODD)	2021 임상 1상 진입			★
		Pancreatic Bladder	Apta-12				
		Solid Tumor	Apta-New1				



핵심 파이프라인 임상 전개 → 안정적 마일스톤 확보

파이프라인	2025.1H	2025.2H	2026.1H	2026.2H
Diabetic Nephropathy APX-115-DN				
CI-AKI APX-115-AKI				
PO & Eye drop Wet-AMD ABF-101 / ABF-103				
CAF (Immuno-Oncology) APX-343A				
MDS · AML Apta-16				



주: 상기 일정은 시장 환경에 따라 변동될 수 있음



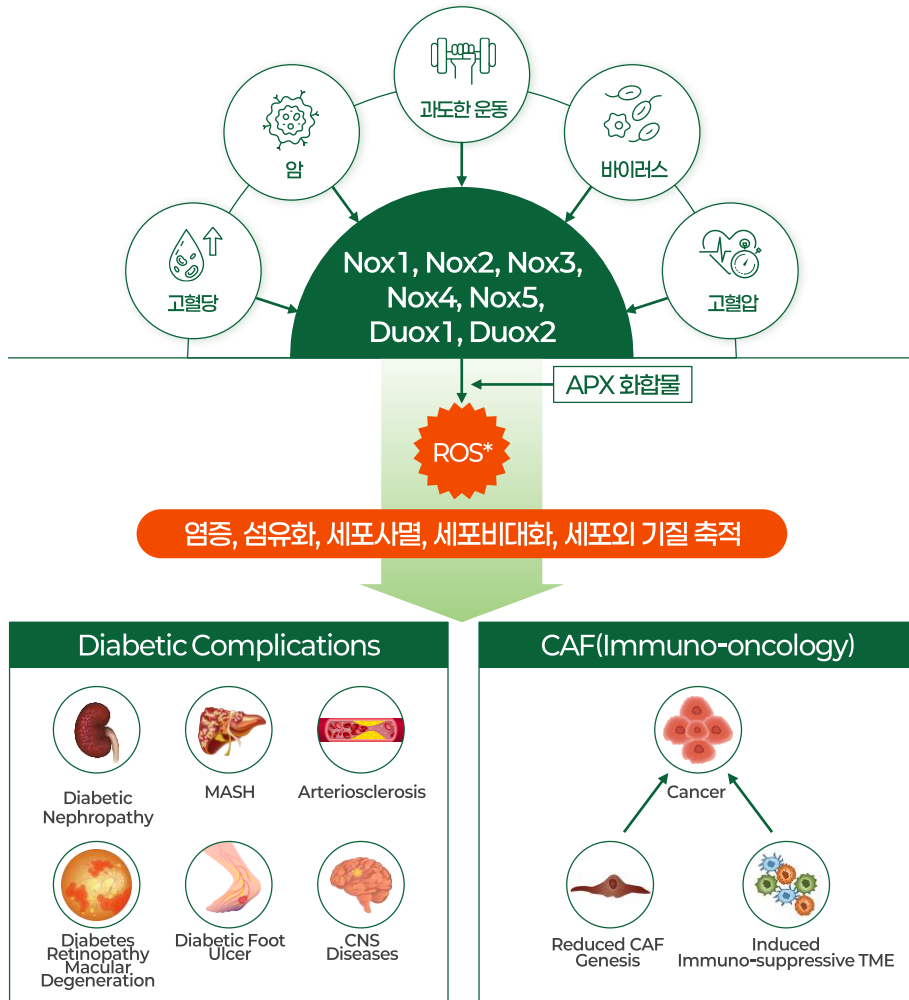
chapter2

NOX 저해제 플랫폼

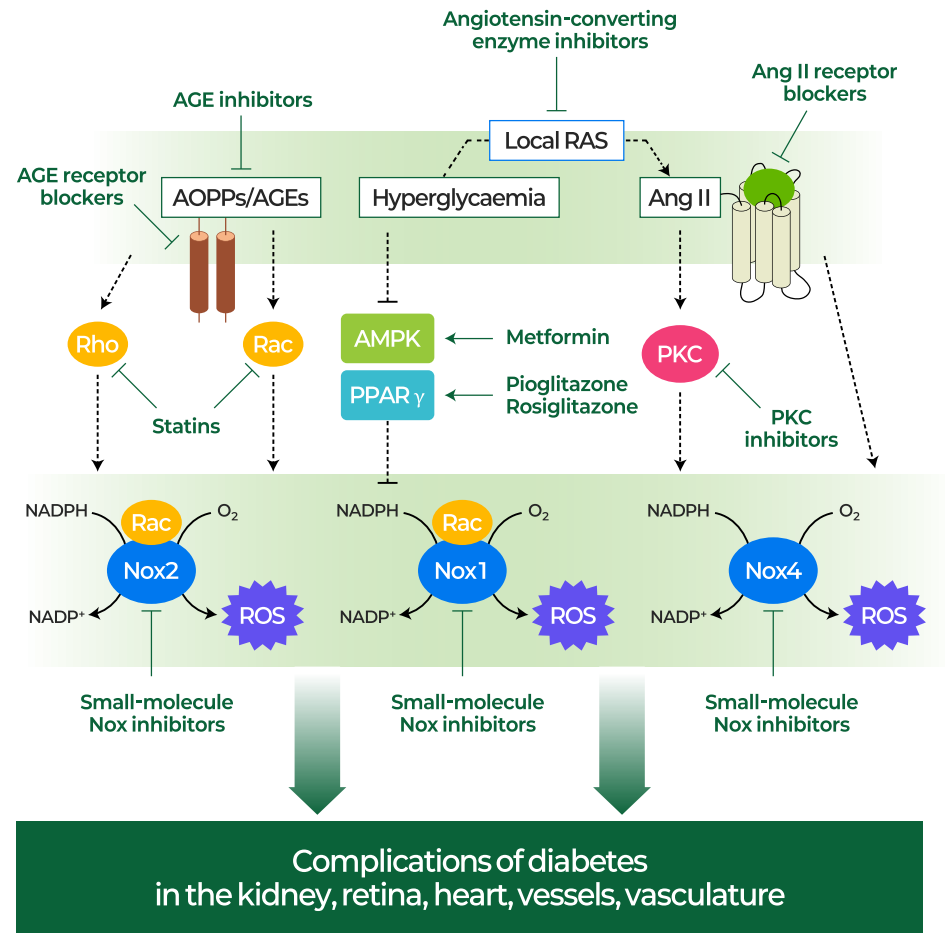
01. NOX 저해제 플랫폼(Oxidative Stress / CAF modulator)
02. 당뇨병성 신증 치료제
03. 조영제 유발 급성신장손상 치료제
04. 항반변성 치료제
05. 면역항암제



산화스트레스 조절에 의한 First-in-Class 당뇨 합병증 치료제 및 면역항암제 개발

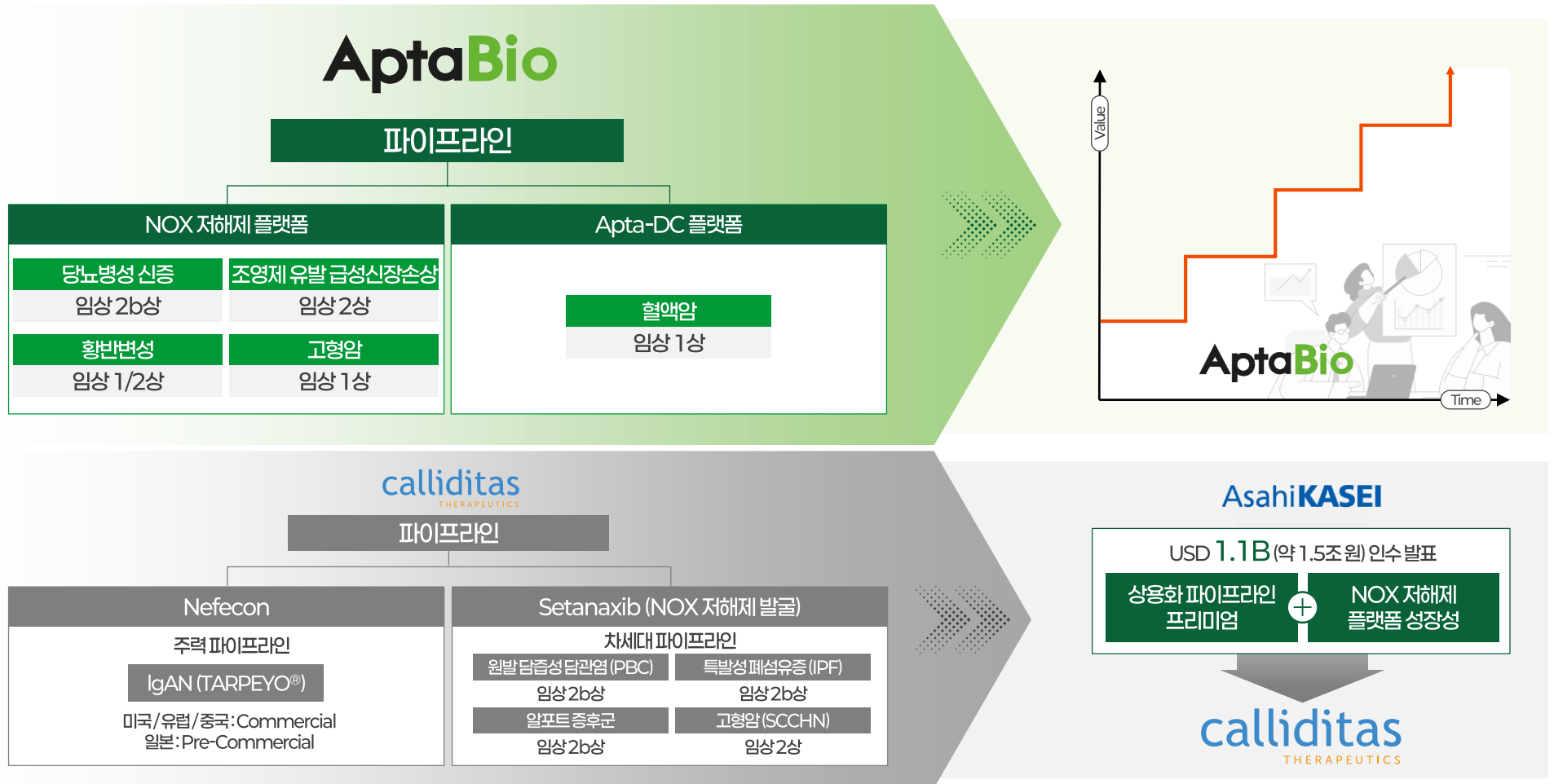


* ROS(Reactive Oxygen Species)



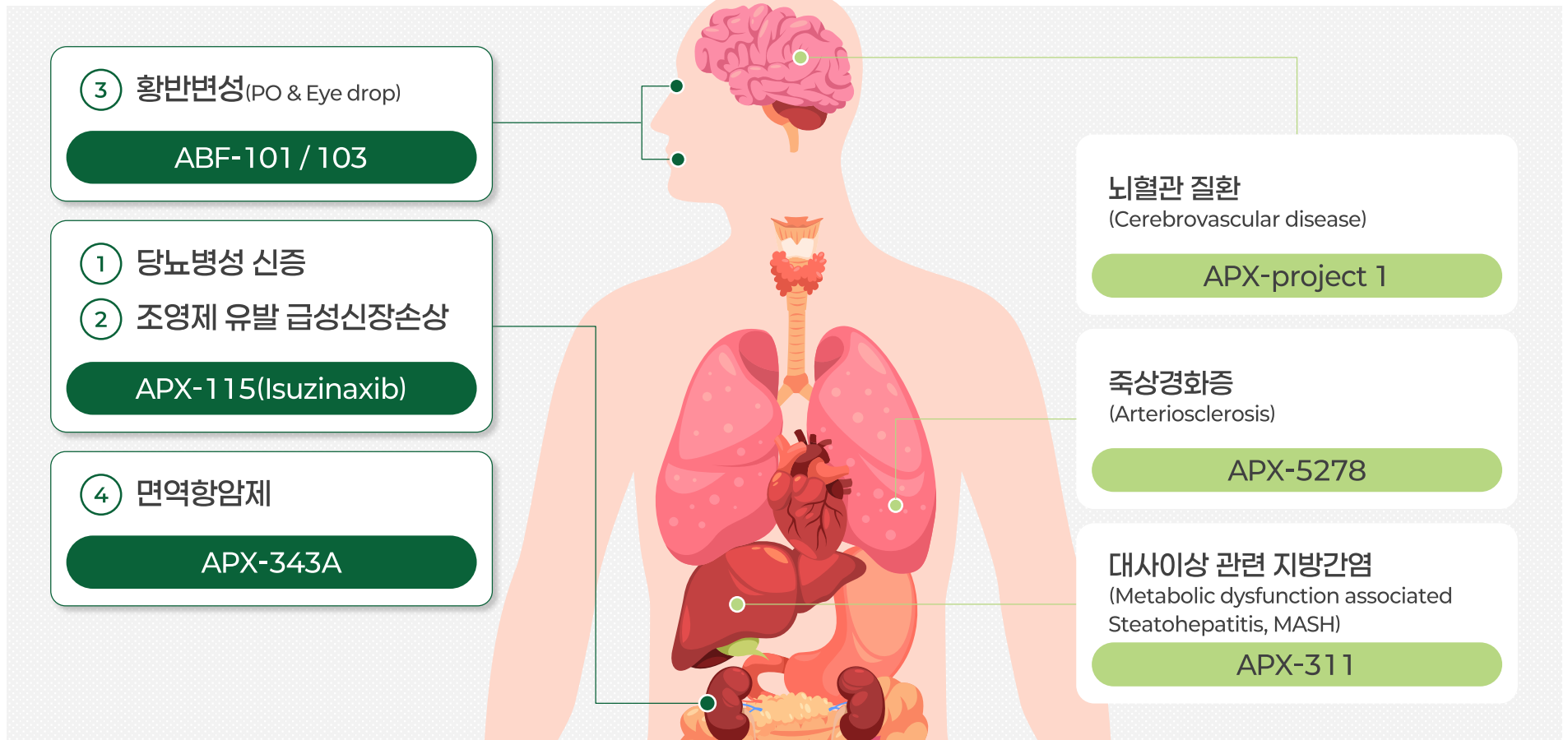
출처: Clinical Science 2013

애타바이오 유일한 글로벌 경쟁사 NOX 저해제 플랫폼 기업 Calliditas Therapeutics의 시장성



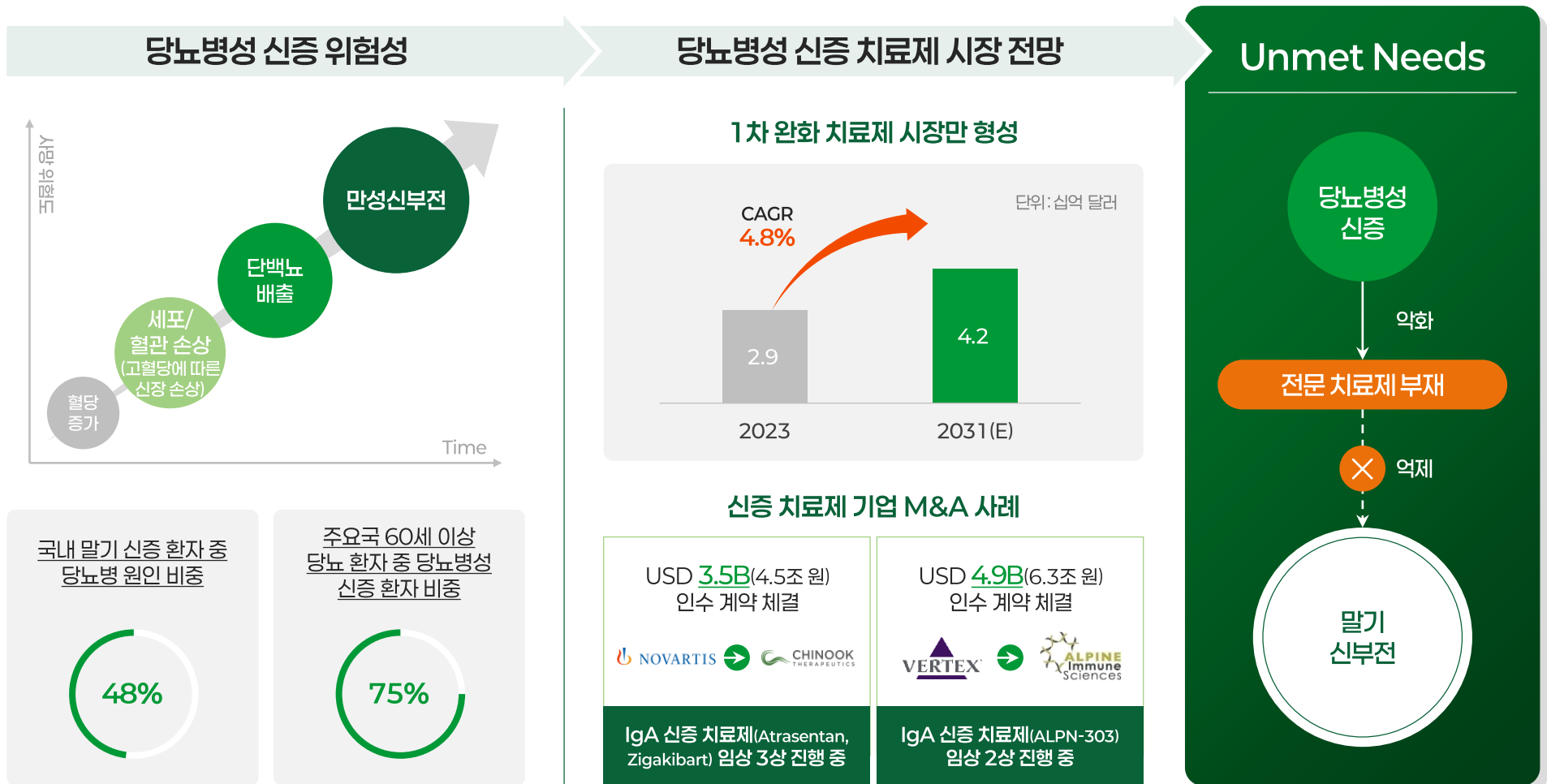
타겟별 선택적 저해제 개발을 통한 적응증 확장 및 지식재산권 추가 확보

NOX 저해제 플랫폼 파이프라인 확장 전략



파이프라인	개발 단계
APX-115-DN	임상 2b상 IND 승인

전문 치료제 부재에 따른 First-in-Class 혁신 신약 수요 확대에 향후 시장 선점 기대



주: 주요 국가는 미국, 일본, 유럽 주요 5개국
출처: 대한신장학회, DataMonitor, Global Information

파이프라인	개발 단계
APX-115-DN	임상 2b상 IND 승인

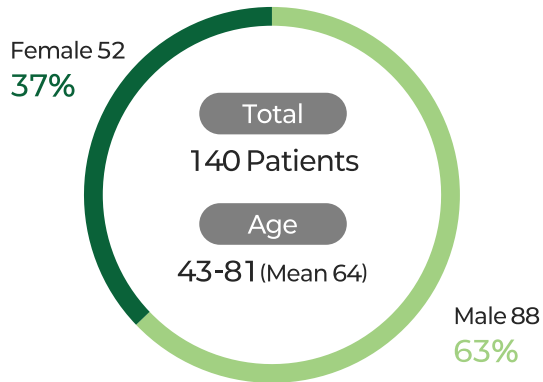
APX-115-DN 임상 2상으로 안전성 및 신증 치료효과 확인

임상개발 진행 경과 및 계획

2019년 임상 1상 완료 (유럽)
2020년 임상 2상 임상승인 (유럽)

당뇨병성 신증 환자 대상
2020년 9월 임상 2상 시작 (유럽)
2021년 8월 140명 투약 완료

2022년 7월 결과보고서 Publication
2022년 11월 Kidney Week HICT 구두발표
라이선스 아웃 및 2b/3상



임상 2상 결과

임상 2상 프로토콜

당뇨병성 신증 환자 140명

1일 1회, 12주간 경구 투여

신장질환 평가 주요 바이오마커(UACR) 평가 결과(Compliance Group)

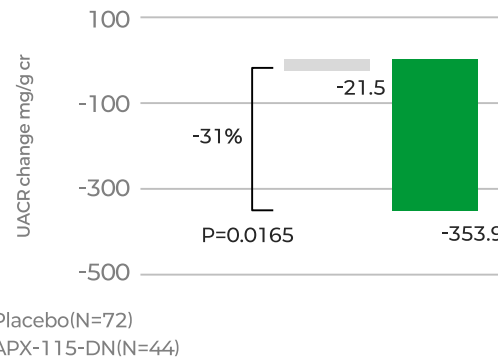
-31%

기저치 대비 UACR 변화율

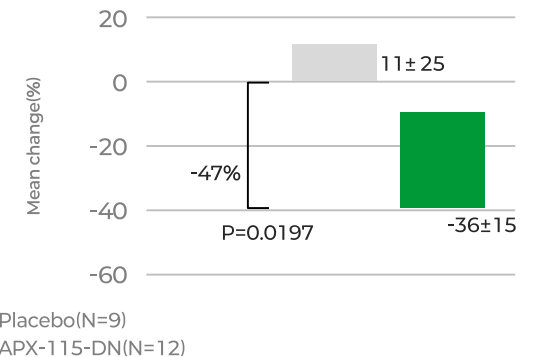
-47%

중증환자(Grade 3b) 기저치 대비 변화율

Mean change of UACR(mg/g cr) Isuzinaxib compliance group



Relative Mean Change UACR(%) eGFR<45 mL/min/1.73² group



주1 : EudraCT N° 2019-004155-37 / NCTNCT04534439

주2 : eGFR(사구체 여과율)은 분당 사구체에 의해 걸러지는 혈액의 양을 나타내는 것으로 신손상의 중요한 지표임. 신장의 기능이 손상 또는 질환으로 인해 사구체 여과율이 감소하는 정도에 따라 병기를 1, 2, 3a, 3b, 4, 5기로 나누어 표기. 병기가 높아질수록 여과율이 감소되고, 노폐물이 혈액내 축적되는 만성신부전으로 진행됨

주3 : UACR(소변 알부민-크레아티닌 비율)은 소변에서의 알부민과 크레아티닌 비율을 나타내는 것으로 사구체여과율과 함께 신손상의 중요한 지표

파이프라인	개발 단계
APX-115-DN	임상 2b상 IND 승인

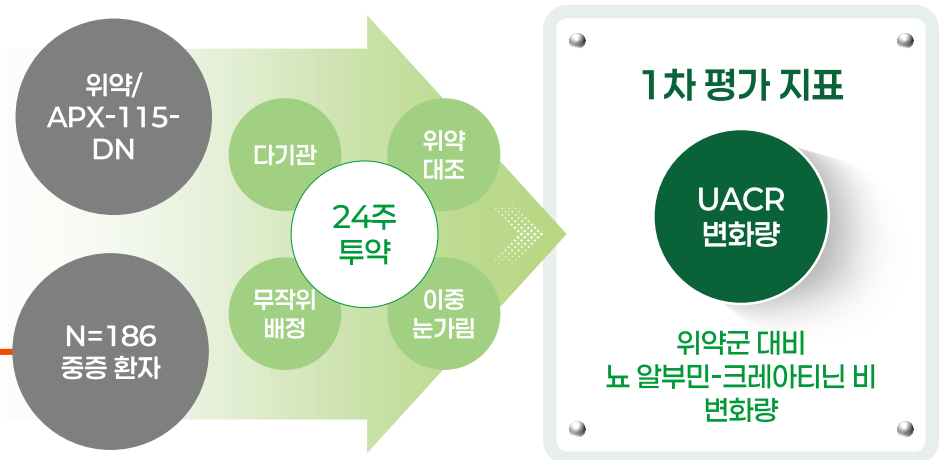
중증 환자 대상 24주간 임상 2b상 진행 예정



임상 2b상 프로토콜

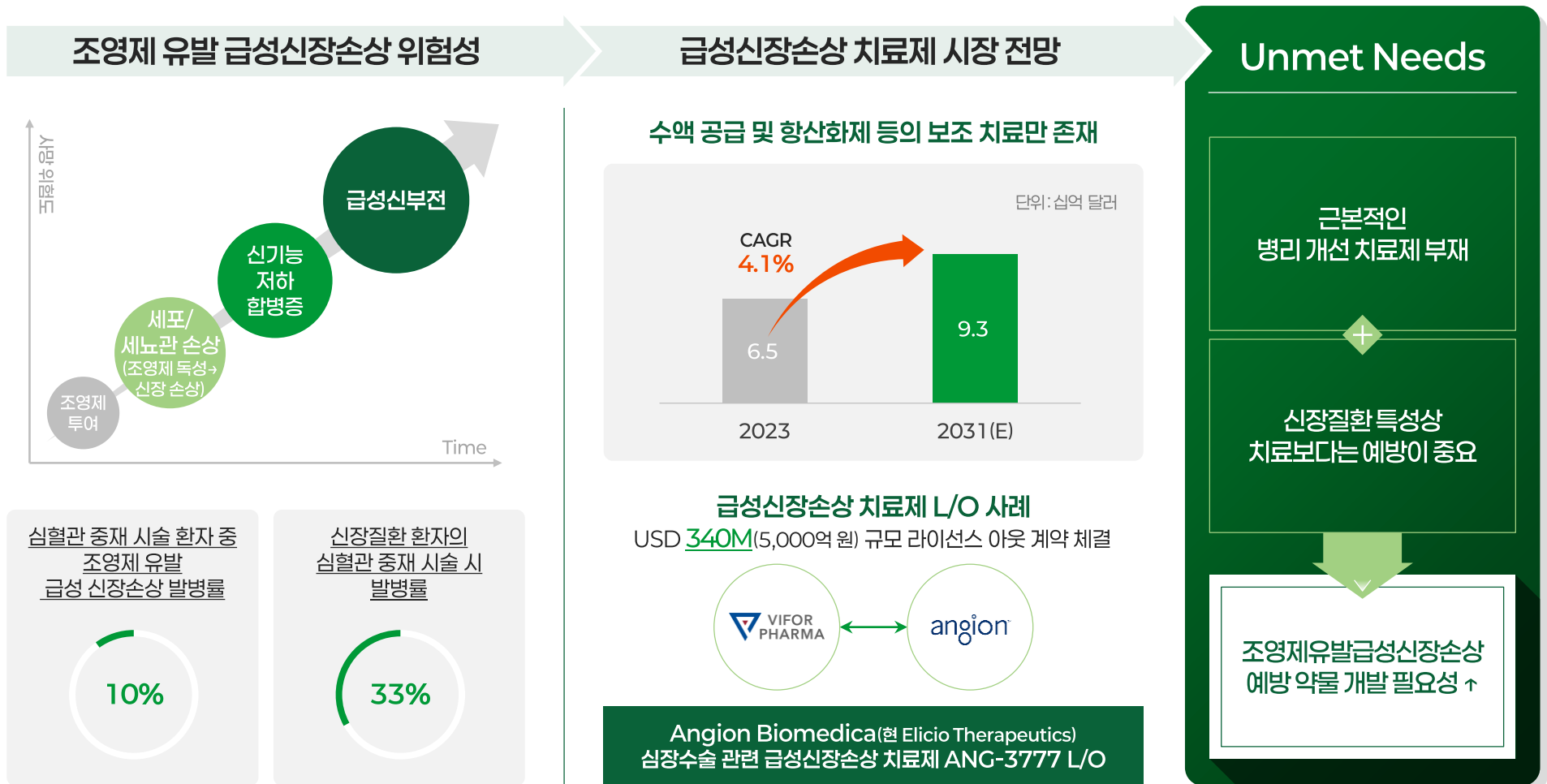
Low risk Moderately increased risk High risk Very high risk Highest risk

타깃 환자군			Albuminuria Categories		
			A1 Normal to mildly increased < 30mg/g 3mg/mmol	A2 Moderately increased 30-299mg/g 3-39 mg/mmol	A3 Severely Increased >300mg/g >30 mg/mmol
GFR Stages	G1 Normal or high	>90	Low risk	Low risk	Low risk
	G2 Mildly decreased	60-90	Low risk	Low risk	Low risk
	G3a Mildly to moderately decreased	45-59	Moderately increased risk	Moderately increased risk	Moderately increased risk
	G3b Moderately to severely decreased	30-44	Moderately increased risk	High risk	High risk
	G4 Severely decreased	15-29	Moderately increased risk	High risk	Very high risk
	G5 Kidney failure	<15	Moderately increased risk	High risk	Very high risk



파이프라인	개발 단계
APX-115-AKI	임상 2상 진행 중

조영제 유발 급성신장손상 시 전문 치료제 부재 → 사전 예방 약물의 시장 수요↑



파이프라인	개발 단계
APX-115-AKI	임상 2상 진행 중

미국 및 국내 경피적관상동맥중재술(PCI)을 받는 환자 대상 임상2상 진행 순항



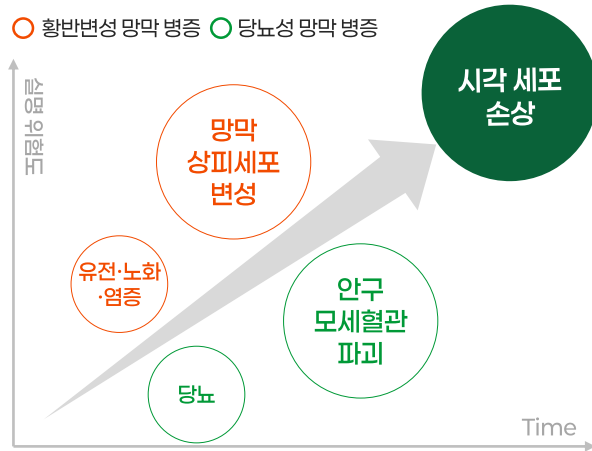
임상 2상 프로토콜



파이프라인	개발 단계
ABF-101	임상 1/2상 IND 제출
ABF-103	비임상 완료

환자 복약 편의성을 개선한 First-in-Class 약물 개발

황반변성·당뇨성 망막병증의 위험성



황반변성·당뇨성 망막병증 환자 VEGF 약물 불응성

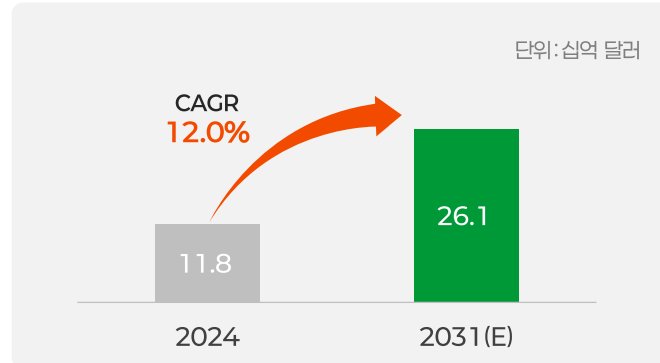


2년 내 섬유화 진행 환자 비중



당뇨병성 신증 치료제 시장 현황

전세계적인 고령화로
황반변성·당뇨성 망막병증 환자↑



당뇨병성 황반부종 치료제 기업 M&A 사례

USD 3B(4.1조 원) 인수 계약 체결



당뇨병성 황반부종 치료제 임상 1b/2a상 긍정적 결과 확보

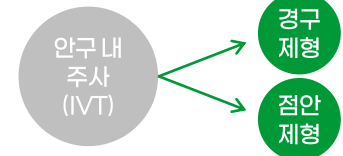
Unmet Needs

새로운 작용기전 약물 필요

염증·섬유화·신생혈관 생성 다중억제 (Non-VEGF 저해제 약물)

낮은 복약 편의성

제형 변경을 통한 복약 편의성 증대



높은 가격

약가 경쟁력 확보

주 : VEGF[Vascular Endothelial Growth Factor]는 혈관내 피상장인자
출처 : Global Macular Degeneration Market, Market Research Pulse

파이프라인	개발 단계
ABF-101	임상 1/2상 IND 제출
ABF-103	비임상 완료

기존 치료제(안구내 주사, IVT)의 복약 편의성을 개선한 First-in-Class 약물 개발(경구제/점안제형)

황반변성 치료제 개발 레퍼런스

	적응증	프로그램	제형	기타
 황반변성 치료제	PO Wet-AMD	ABF-101	경구제	임상 1/2상 IND 제출 (2025.1H)
	Eye drop Wet-AMD	ABF-103	점안제	비임상 완료

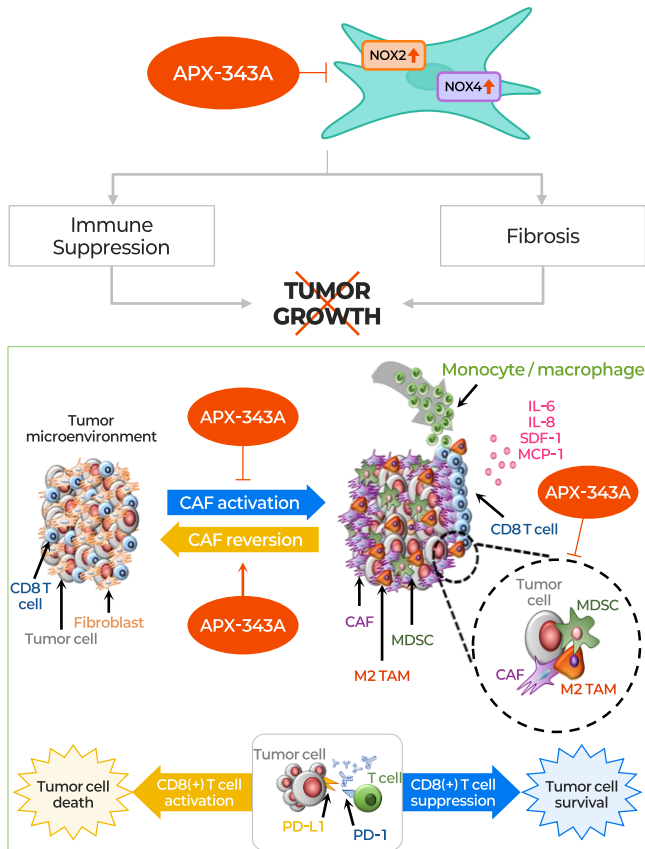
임상 1/2상 프로토콜 (ABF-101)

향후 공개 예정

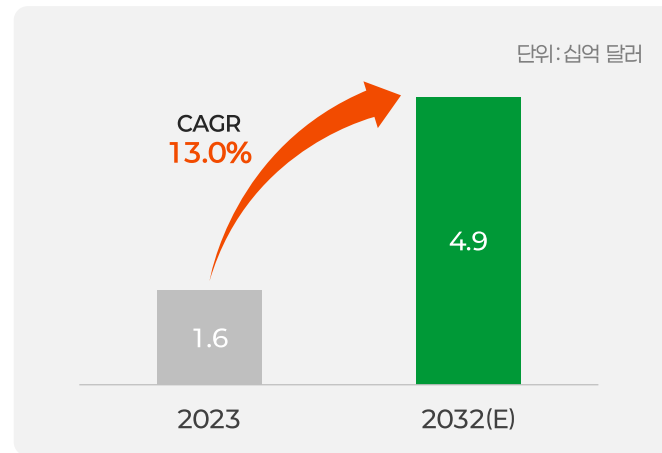
파이프라인	개발 단계
APX-343A	머크(MSD) 공동개발 계약
	임상 1상 IND 제출

종양 미세환경 내 암연관섬유아세포(CAF) 타겟 → 기존 면역항암제 제한된 반응을 극복 가능

NOX 억제제 면역항암제 활용 기전



종양 미세환경 항암제 시장 전망



면역항암제 사업화 사례
 아타바이오 - 머크(MSD) 임상공동개발계약체결

AptaBio

MSD

APX-343A 면역관문억제제 병용 투여 용이

Unmet Needs

암종별 제한된 치료 옵션

면역 관문 억제제의 낮은 효과

내성 발현

암세포의 유전자 변이/약물 내성 기전 극복

기존 항암 치료 부작용 유발

정상 세포 영향 ↓
부작용 최소화

파이프라인	개발 단계
APX-343A	머크(MSD) 공동개발 계약
	임상 1상 IND 제출

국내 최초 전임상 데이터 기반 임상 시험 협력 계약 체결 → 2025.1H 투약개시 예정

머크(MSD)사와 면역항암제 임상 시험 협력 계약 체결

AptaBio

APX-343A



임상 시험 협력 계약 체결
(2024.07)



키트루다

임상 1상 프로토콜

향후 공개 예정



chapter3

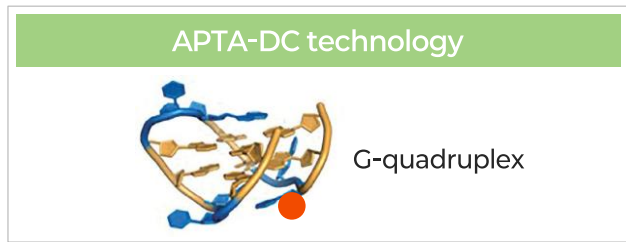
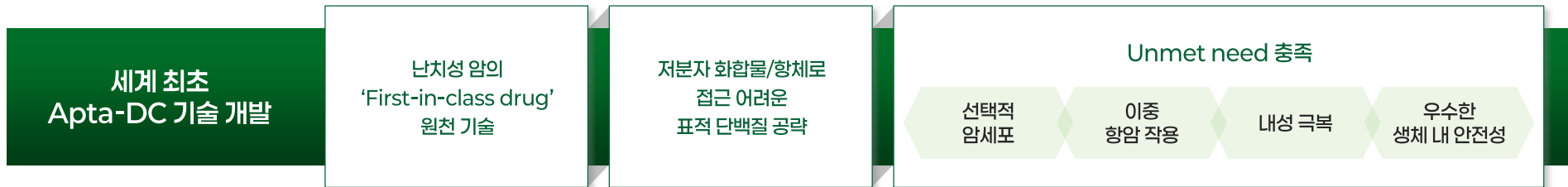
Apta-DC 플랫폼

- 01. Apta-DC 작용기전
- 02. 혈액암 치료제

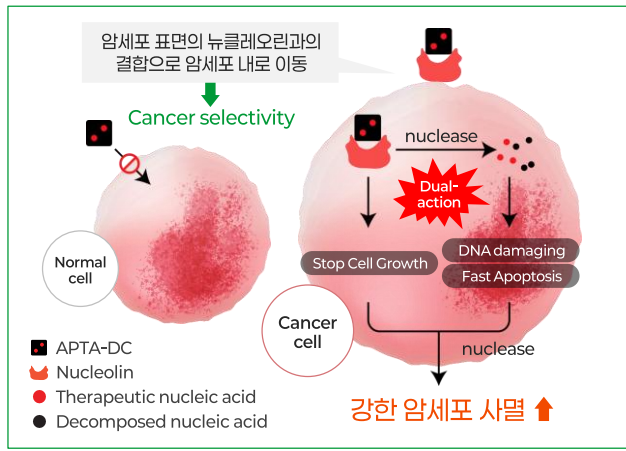


AptaBio

기존 접근 어려운 표적 단백질 공략 가능한 세계 최초 Aptamer-Drug Conjugate 기술 개발



- 혈액 내 안정성 지속
- 효율적인 약물 전달



- 암세포 선택적
- 높은 세포 투과도
- 이중항암작용:
부작용 경감, 항암효능 높임



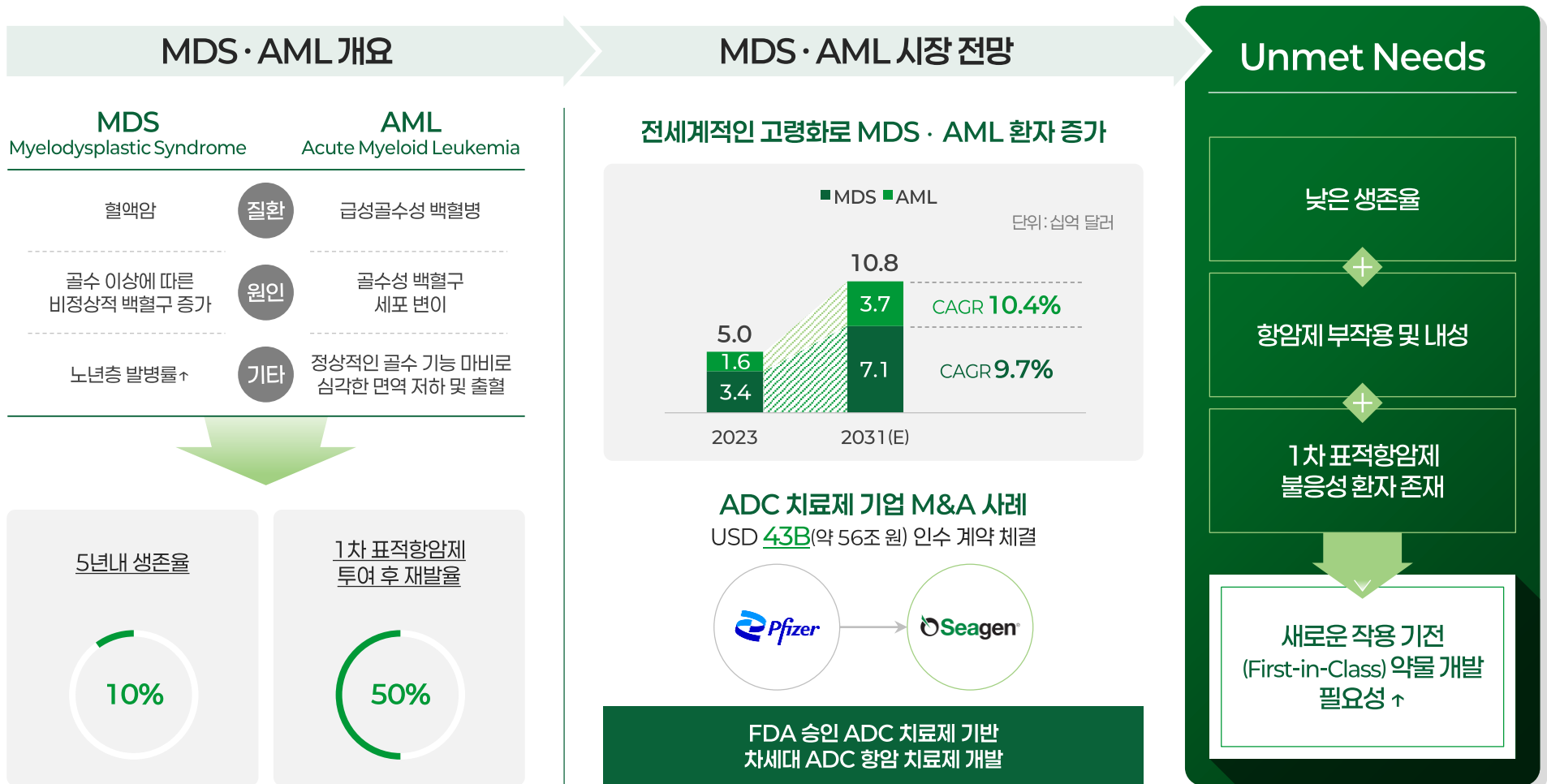
- 기존 항암제 내성 극복

2018 Molecular Therapy 발표

아пта머와 치료 약물의 융합
→ 선택적 암세포 사멸

파이프라인	개발 단계
Apta-16	임상 1상 진행 중

First-in-Class 혁신신약으로 난치성 치료제 시장의 Unmet Needs 충족 가능

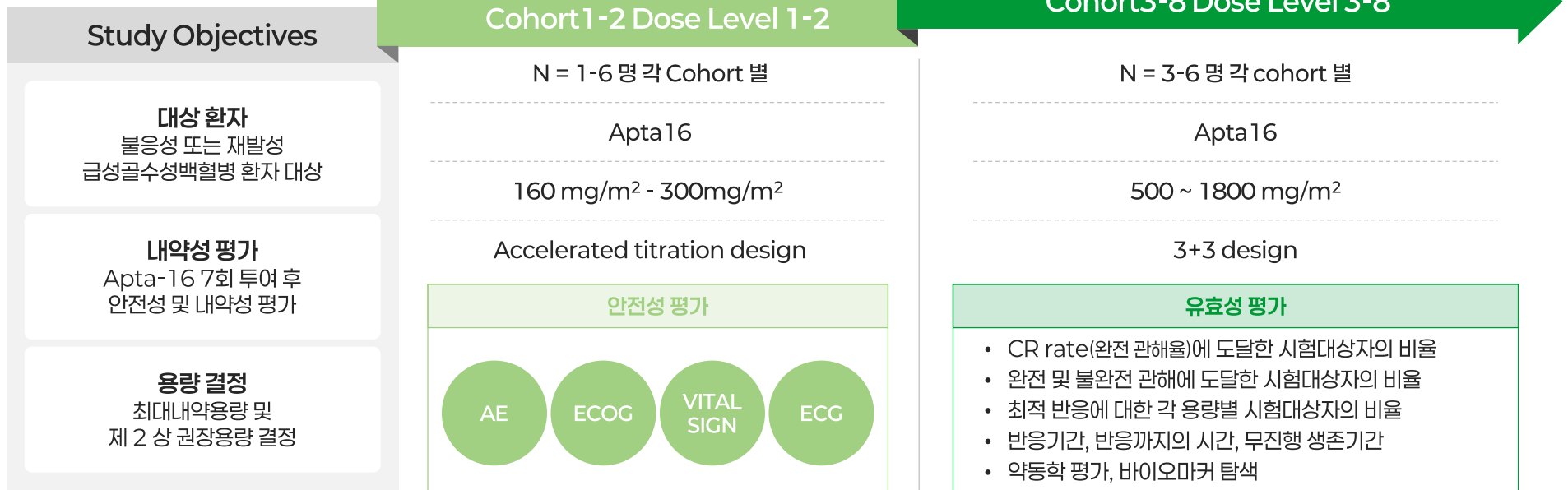


파이프라인	개발 단계
Apta-16	임상 1상 진행 중

불응성 / 재발성 급성골수성백혈병(AML) 환자 대상 Apta-16 임상 1상 진행 중



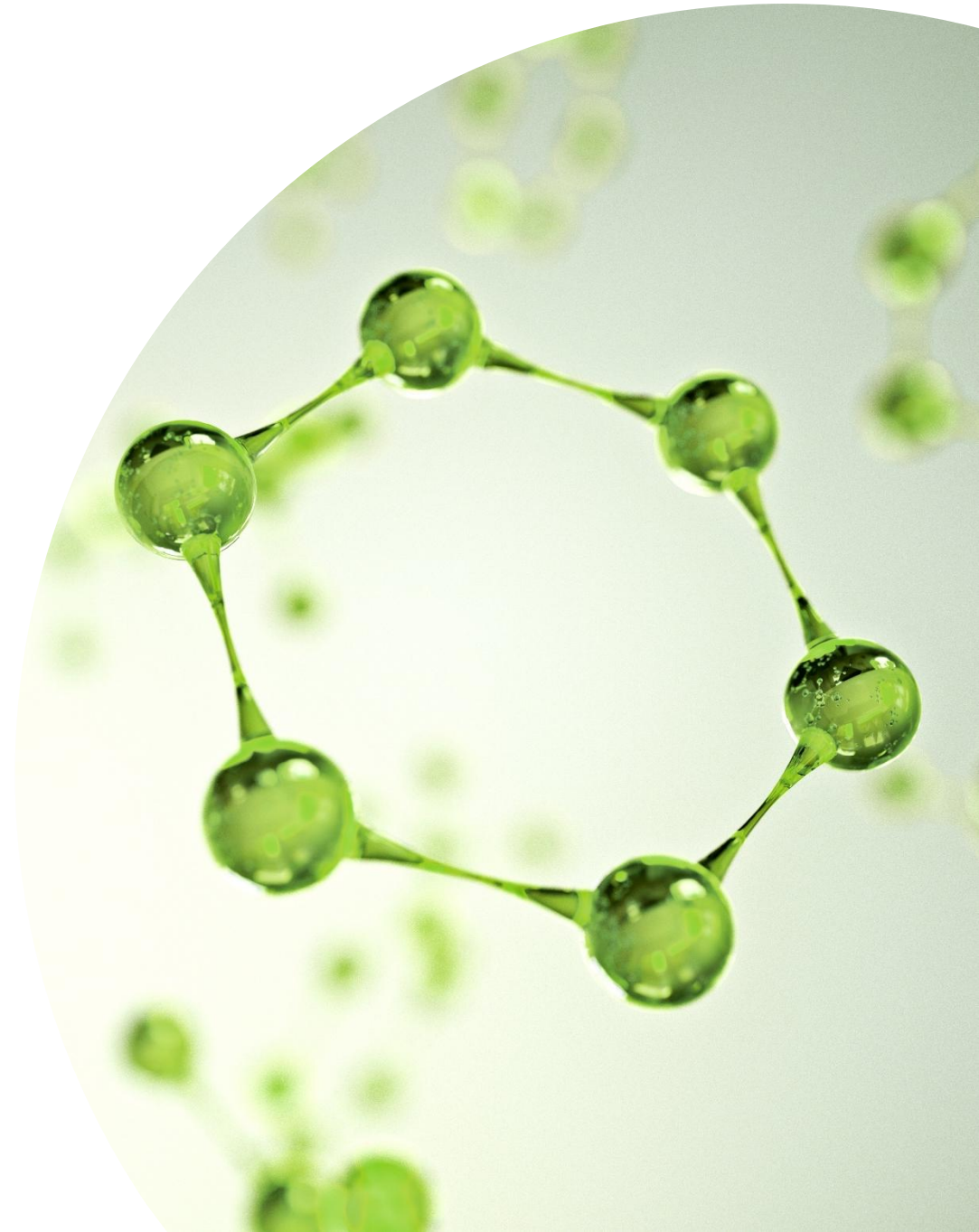
임상 1상 프로토콜





APPENDIX

01. AACR 2025 초록 공개
02. 요약재무제표
03. APX-115 작용 기전
04. 당뇨병성 신증 치료제(APX-115-DN) 임상 1상
05. ABF-101/103 작용 기전
06. NOX 저해제 Eye drop 실험 자료
07. Apta-DC 작용 기전



CAF 저해제 'APX-343A' 관련 연구 결과 2건, 혈액암 치료제 'Apta-16' 연구 결과 1건 등 "총 3건 포스트 발표 채택"

AACR 2025 Abstract (1)

CAF-mediated cancer immunotherapy resistance can be overcome via selective inhibition of NOX 2 and 4

Data: April 29, 2025, 2:00 PM - 5:00 PM

Abstract

Cancer-associated fibroblasts (CAFs) are a functionally heterogeneous population that constitutes tumor stroma. CAFs interact with cancer cells and immune cells by secreting various chemokines/cytokines, participating in extracellular matrix (ECM) remodeling and affecting the immune invasion in the tumor microenvironment (TME). Finally, CAFs promote tumor growth and induce resistance to chemotherapy or immunotherapy, making tumors more aggressive associated with poor prognosis in various types of solid tumors. The primary function of NADPH oxidases (NOXs) is to produce reactive oxygen species (ROS). NOX enzymes, which are clinically upregulated in CAFs, have been reported to be critical effectors of tumor fibrosis and immunosuppression of the TME. It suggests that modulation of CAF-mediated immunosuppression via NOX regulation could be a potential strategy for cancer immunotherapy. In this study, NOX2 and 4 are markedly increased in human pancreatic CAFs (pCAFs) compared to human pancreatic fibroblasts (PFs) and knockdown of NOX2 or 4 effectively decreased fibrosis-related markers and immune cytokines/chemokines in pCAFs, respectively. In order to confirm the importance of NOX in CAF functions, we utilized compound-19, a selective NOX inhibitor. Com-19 treatment significantly reduced the expression of fibrosis-related factors and immune cytokines/chemokines in pCAFs. In addition, com-19 inhibited monocyte infiltration and their differentiation into M2 macrophages in CAF-rich tumor-mimicking 3D spheroids in vitro. The in vivo efficacy was evaluated using a CAF-rich colorectal cancer mouse model. Com-19 inhibited tumor fibrosis and immune cytokines in CAF-rich tumors via NOX inhibition. Importantly, com-19 increased the intratumoral infiltration of CD8+ T cells, resulting in excellent synergistic tumor growth inhibition when co-administered with immune check inhibitors (ICIs) in the model which poorly responds to ICIs. Taken together, the results support that NOXs play a crucial role in CAF-mediated ICIs resistance in cancers and NOX inhibition can be a promising strategy to overcome the resistance. Com-19 effectively regulated the fibrotic and immune-suppressive properties of CAF-rich tumors via NOX inhibition. Therefore, com-19 can potentiate cancer immunotherapy by overcoming CAF-Mediated ICIs resistance. GLP safety/toxicity studies of com-19 have been completed and phase 1 clinical studies are scheduled in 1Q, 2025.

AACR 2025 Abstract (2)

NOX2 plays a key role in M2 polarization of macrophages associated with cancer-associated fibroblast in tumor microenvironment

Data: April 28, 2025, 9:00 AM - 12:00 PM

Abstract

The tumor microenvironment (TME) is a dynamic ecosystem surrounding a tumor. The TME consists of various components such as cancer cells, stromal tissue, immune cells and the extracellular matrix (ECM). In particular, the interaction between cancer-associated fibroblasts (CAFs) and tumor-associated macrophages (TAMs) is a key regulator of immunosuppression in the TME, subsequently contributing to tumor progression, resistance and metastasis. CAFs stimulate TAMs to differentiate into a M2-like macrophage phenotype, supporting immune evasion and tumor growth. It has been found that reactive oxygen species (ROS) produced by NADPH oxidase (NOX) enzymes are involved in process. ROS have been reported to stimulate CAF activity and TAM differentiation, but the role of NOX in the interaction between CAF and TAM has not yet been elucidated. Herein, we aimed to investigate the role of NOX2 in M2 polarization of macrophages, especially CAF-mediated TAM differentiation, and evaluate the therapeutic potential of targeting NOX2 in the TME. In this study, we utilized THP-1 monocytic cell lines and human pancreatic CAFs (pCAFs) to examine the functional significance of NOX2. NOX2 was predominantly expressed in THP-1 cells compared to other NOX isozymes when polarized into M2-like macrophages and knockdown of NOX2 effectively inhibited M2-like polarization of THP-1-derived macrophages. In addition, knockdown of NOX2 significantly reduced the secretion of M-CSF by pCAFs. These findings suggest that NOX2 plays a crucial role in CAF-mediated M2 differentiation of macrophages. Based on these findings, we confirmed the effects of NOX2 inhibition using com-19, a selective NOX inhibiting molecule. Com-19 modulated M2 polarization of macrophages and downregulated NOX2 mRNA levels in the cells. Moreover, com-19 also significantly reduced ROS production and the secretion of cytokines/chemokines in macrophages under M-CSF-induced conditions. Importantly, the results also demonstrated that com-19 inhibited pCAF-induced M2-like polarization of THP-1. Taken together, we confirmed that CAFs and TAMs interact closely and NOX2 inhibition could be a potential therapeutic target for CAF- and TAM-mediated immunosuppression, especially for M2-polarization of macrophages in the TME. Furthermore, com-19 can provide a novel approach to overcome immunosuppressive barriers by interrupting their interaction in the TME, offering the potential for more effective combination therapies in cancer treatment.

AACR 2025 Abstract (3)

A novel approach to treat relapsed/refractory acute myeloid leukemia by targeting nucleolin as an innovative and promising biomarker

Data: April 27, 2025, 2:00 PM - 5:00 PM

Abstract

Acute myeloid leukemia (AML) is a rapidly growing cancer of abnormal white blood cells accompanied by various genetic alteration. Cytarabine (Ara-C) and daunorubicin are treated as the standard first-line chemotherapy for AML but approximately 30% of the patients are refractory and more than 50% of them face a relapse because of resistance. Moreover, FLT3 inhibitors, the only targeted therapy for AML, can treat only 20% of patients and resistance develops within a few months. Therefore, there is a strong unmet to develop a next-generation targeted therapy to overcome resistance. Nucleolin (NCL) is a protein highly expressed and localized on the cell surface of cancer cells. In this study, we confirmed that NCL was highly expressed in various human AML cell lines and patient-derived bone marrow cells compared to normal cells. Furthermore, it was particularly overexpressed in drug-resistant AML cells and refractory/relapsed (R/R) AML patient-derived bone marrow cells. NCL is a promising target for cancer treatment as mentioned above, but to date, no therapy has been developed to specifically target NCL. APTA-16 is a first-in-class AML treatment that specifically targets NCL developed by aptamer-drug conjugation (APTA-DC) technology. APTA-16 showed an outstanding anti-leukemic activity in drug-resistant AML cells through NCL inhibition whereas standard chemotherapies showed no efficacy in vitro and in vivo. We also identified the resistance-overcoming mechanism of APTA-16 in terms of intracellular drug metabolism and biological signaling pathway. The alternative activities of equilibrative nucleoside transporter (ENT) and deoxycytidine kinase (dCK) are main mechanisms by which cancer cells acquire Ara-C resistance. APTA-16 can avoid this process by entering cells via NCL on the surface of AML cells. We also figured out that NCL-DNMT1-axis signaling pathway plays an important role in drug-resistant AML cells and APTA-16 treatment significantly regulated the pathway. Collectively, our findings show that NCL can be an innovative biomarker targeting entire population of R/R AML patients regardless of their genetic defects and APTA-16 has can be developed as the first innovative NCL-targeted therapy. Based on the excellent ex vivo results using patient-derived AML cells, successful clinical results are expected. GLP safety/toxicity studies of APTA-16 have been completed and orphan drug designation (ODD) was granted by FDA in 2021.

02. 요약재무제표

재무상태표(연결)

단위: 백만원

구분	2022	2023	2024
유동자산	20,419	57,474	34,935
비유동자산	35,695	35,045	42,498
자산총계	56,114	92,519	77,434
유동부채	1,040	818	19,540
비유동부채	2,704	30,338	3,697
부채총계	3,744	31,156	23,237
자본금	11,149	11,668	13,441
자본잉여금	109,025	129,712	149,733
자본조정	669	696	1,112
이익잉여금(결손금)	(68,473)	(80,713)	(110,070)
자본총계	52,370	61,363	54,197

재무상태표(별도)

단위: 백만원

구분	2022	2023	2024
유동자산	20,419	54,996	32,930
비유동자산	35,695	37,531	44,274
자산총계	56,114	92,527	77,205
유동부채	1,040	816	19,559
비유동부채	2,704	30,358	3,697
부채총계	3,744	31,173	23,256
자본금	11,149	11,668	13,441
자본잉여금	109,025	129,712	149,733
자본조정	669	696	1,112
이익잉여금(결손금)	(68,473)	(80,723)	(110,338)
자본총계	52,370	61,354	53,949

주: 감사받은 K-IFRS 기준.

손익계산서(연결)

단위: 백만원

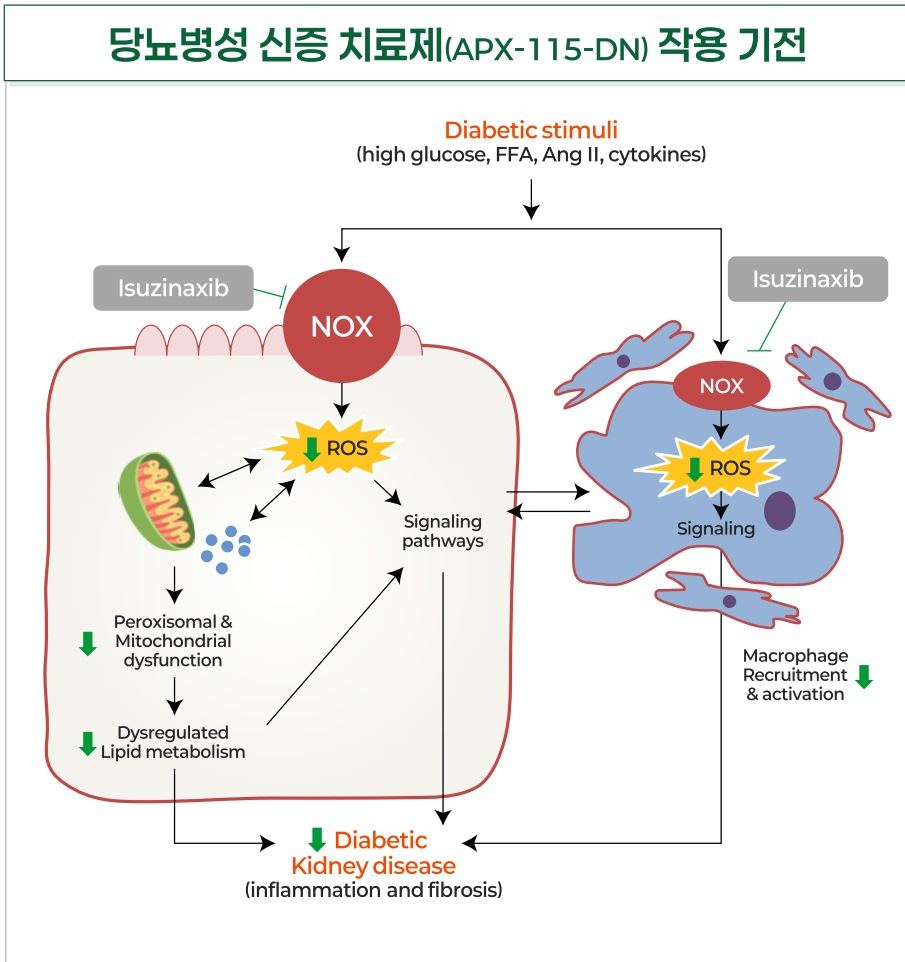
구분	2022	2023	2024
매출액	48	324	3,361
매출원가	0	245	3,074
매출총이익	48	78	287
판매비와 관리비	9,555	16,452	19,141
영업이익(손실)	(9,507)	(16,374)	(18,854)
금융손익	(1,100)	2,209	(6,504)
기타손익	42	(523)	(2,281)
법인세차감전순이익(손실)	(10,565)	(14,692)	(27,803)
법인세비용	0	(2,630)	1,575
당기순이익	(10,565)	(12,062)	(29,378)

손익계산서(별도)

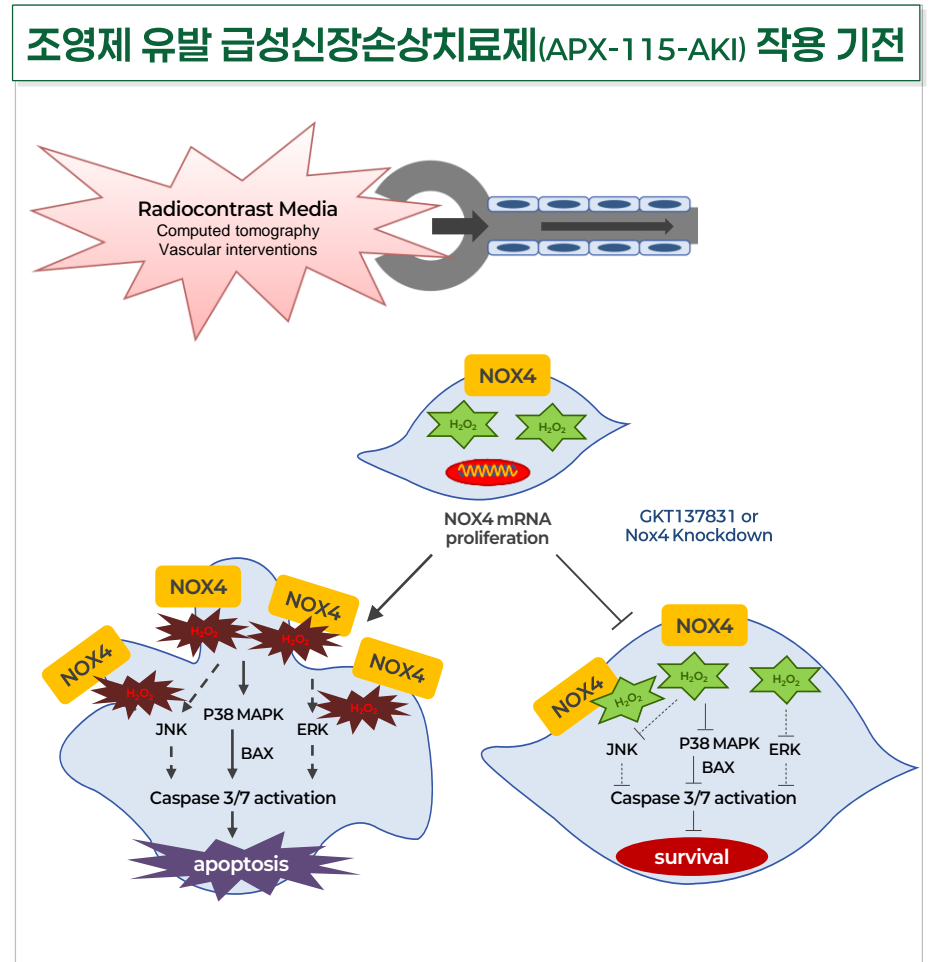
단위: 백만원

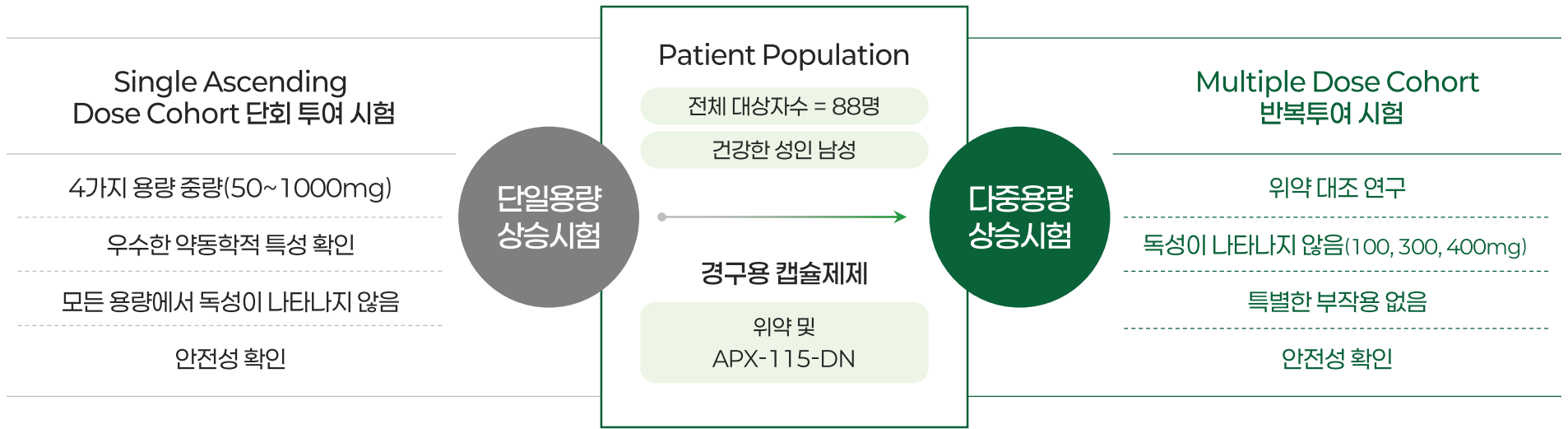
구분	2022	2023	2024
매출액	48	324	3,361
매출원가	0	245	3,074
매출총이익	48	78	287
판매비와 관리비	9,555	16,437	19,117
영업이익(손실)	(9,507)	(16,358)	(18,831)
금융손익	(1,100)	2,169	(6,600)
기타손익	42	(514)	(2,588)
법인세차감전순이익(손실)	(10,565)	(14,703)	(28,019)
법인세비용	0	(2,632)	1,575
당기순이익	(10,565)	(12,071)	(29,594)

당뇨병성 신증 치료제(APX-115-DN) 작용 기전



조영제 유발 급성신장손상치료제(APX-115-AKI) 작용 기전



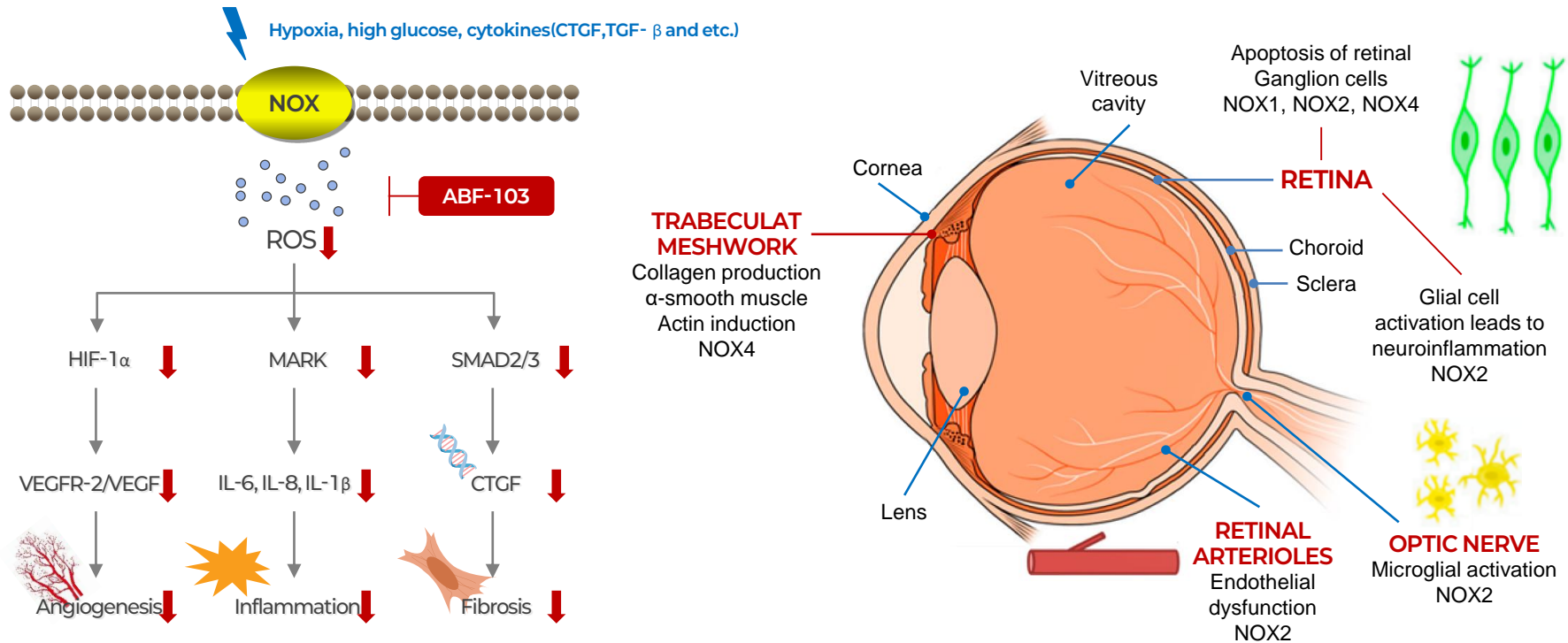


Study Objectives

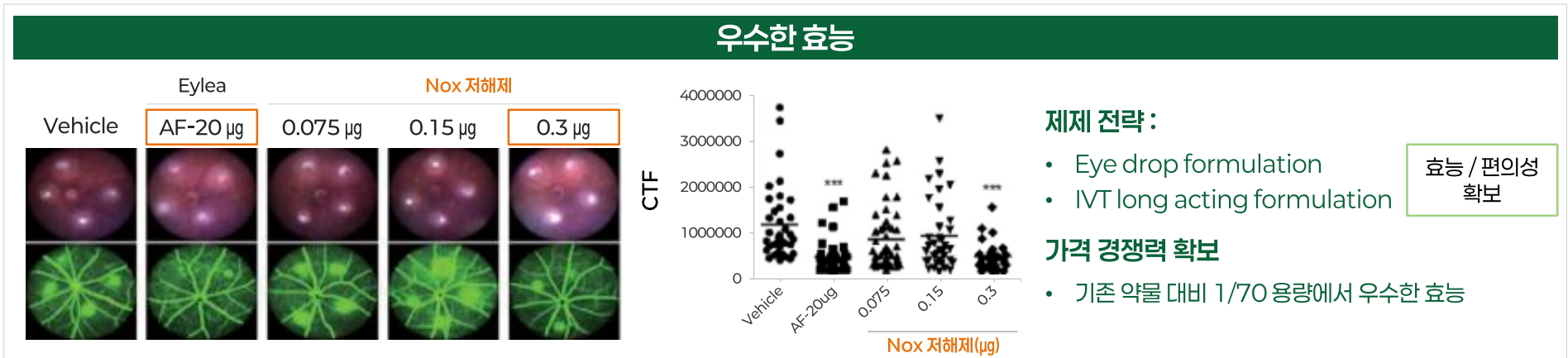
- ✔ 모든 약물 투여군에서 약물 관련 독성이나 안전성 우려 없음을 확인
- ✔ 경구제제로서 우수한 내약성, 안전성 및 약동학적 특성을 가짐을 확인



ABF-101/103 작용기전



기존 치료제(VEGF : Eylea)와 비교 시 우수한 효능 확인, 환자에 대한 투약 편의성 개선



GLP 시험항목		결과
단회 투여	A single-dose toxicity study in rat	No issues
반복 투여	A repeated-dose toxicity study in rat	No issues
	A repeated-dose toxicity study in dog	No issues
안전성 약리	Central nervous system in rat	No effects
	Respiratory system in rat	No effects
	Cardiovascular system in dog	No issues
	hERG assay	No issues
유전독성	in vivo micronucleus in rat	Negative

*NOAEL (no observed adverse effect level) : 무독성량. 인체에 유해한 영향을 미치지 않는 최대 투여량을 의미하는 약학용어

Apta-DC 작용 기전

