

난치성 혈관질환 신약 연구·개발 특화기업

큐라클

Seoul, South Korea

May 2025

Disclaimer

본 자료는 제안된 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 주식회사 큐라클(이하 "회사")에 의해 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 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 Presentation 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며, 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로, 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

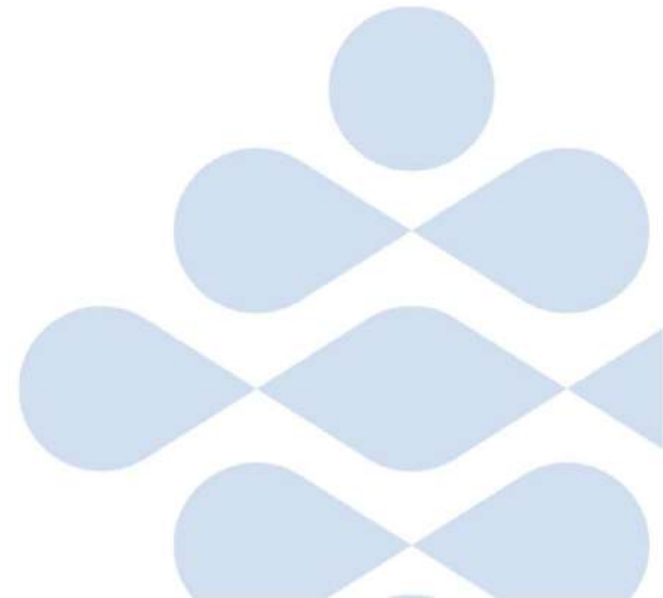
본 자료의 활용과 관련하여 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 과실 및 기타의 경우 포함하여 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.

회사의 사전 승인 없이 본 자료의 내용을 변경하여 무단 배포 및 복제를 할 경우 법적인 제재를 받을 수 있음을 유념해 주시기 바랍니다.



TABLE OF CONTENTS

1. 큐라클 소개
2. 연구개발 분야
3. 핵심 파이프라인 현황 (CU06, CU71, CU01, MT-101, MT-103, CP01-R01)
4. 재무 현황 & 신사업



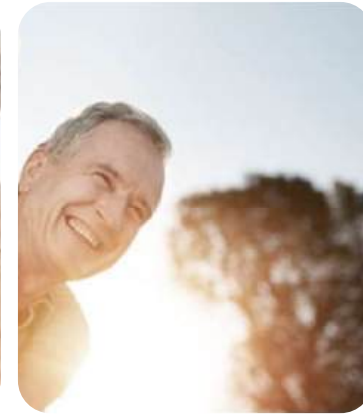
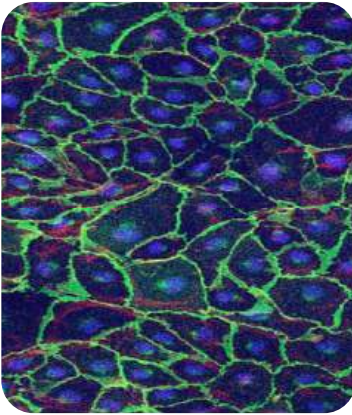
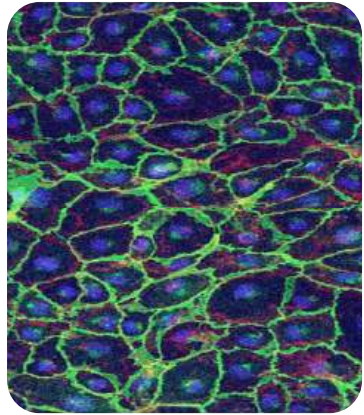


TABLE OF CONTENTS

1. 큐라클 소개
2. 연구개발 분야
3. 핵심 파이프라인 현황 (CU06, CU71, CU01, MT-101, MT-103, CP01-R01)
4. 재무 현황



1. 큐라클 소개

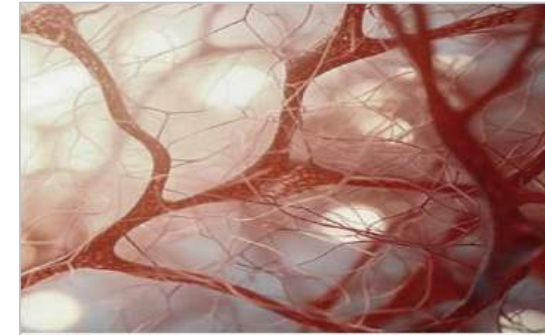
난치성 혈관질환 - 혁신적 신약 연구개발 기업 “큐라클”

○ 회사 개요



회 사 명	주식회사 큐라클 (CURACLE Co.,Ltd.)
설 립 일	2016년 05월
상 장 일	2021년 07월 (기술성 평가 AA, A등급)
임 직 원 수	35명 (연구개발 분야 21명, 전체 임직원 중 60%)
보 유 연 구 소	Central Research / Bio Research / New Drug Research Center

○ 연구개발 현황



연구 개발분야	혈관내피기능장애로 인해 유발되는 난치성 질환
주요 보유기술	독자적인 신약개발 플랫폼 SOLVADYS®
파이프라인 수*	First-in-Class 16개 (합성 신약 8개 + 항체 신약 8개)
파 이 프 라 인 연구개발 단계**	기초탐색 연구 > 전임상 > 임상1상 > 임상2상 이상 6 3 2 5

* 신물질/적응증 별로 분류한 파이프라인 수 16. 신물질로만 구분하면 11

** 2025년 04월 기준 각 단계를 진행중이거나, 이전 단계를 마치고 다음 단계 진입 직전인 프로젝트 수 (오픈 이노베이션을 통한 공동연구 프로젝트 포함, 개발 지연 후순위 프로젝트 제외)

1. 큐라클 소개

연구개발 및 사업화 관련 경험과 전문성을 갖춘 리더십 팀

○ Founder



권영근 큐라클 이사회 의장 / 종합기술원 원장

- 난치성 혈관질환 분야 전문가
(SCI 논문 225편, 등록특허 15건, 기술이전 3건)

학력 및 경력

- 연세대학교 생명시스템대학 학장
- 한국혈관학회 회장
- 국가과학기술자문회 전문위원
- 한국과학기술한림원 정회원
- 록펠러대학교 전임연구원, 미국

○ CEO



유재현 큐라클 대표이사

- 글로벌 신약 발매 및 사업화 전문가
(레미케이드, 스텔라라, 트렘피어, 다잘렉스, 임브루비카 등)

학력 및 경력

- 스페셜티 (전문약품) 사업부 총괄전무, 안센 북아시아
- 글로벌 전략마케팅 (개발부), 존슨앤존슨 제약부문, 미국 뉴저지
- 아시아태평양 전략마케팅, 안센 아시아태평양, 홍콩
- 중국 안센 (시안 안센) 마케팅 이사, 중국 베이징
- 한국 안센 신약발매/전략기획/영업/마케팅
- 서울대학교 약학대학 제약학과

○ 임원진

New Drug Research Center 이원일 상무	Central Research Center 표정인 이사	임상개발본부 김판경 이사	사업개발본부 김정한 상무	전략기획실 최재진 상무	원료의약품 사업본부 노응진 상무
- 제2형 당뇨병, 고지혈증, 역류성식도염, 치료제 및 항암제 등 신약개발 - 대원제약 신약연구부 이사 - 제일약품 신약연구부 책임연구원 - 점백스앤카엘 연구개발본부 이사 - C&C 신약연구소 책임연구원 - 서울대학교 약학대학 박사	- 당뇨병, 파킨슨병 치료제, 파킨슨병 및 항히스타민제등 신약개발 - 국내외 특허출원 77건 - (주)인트론바이오테크놀로지 팀장 - 삼육대 특임교수 - KIST, 박사 후 연구원 - 연세대학교 이학박사	- 글로벌 임상 및 품목허가 경험 - 유영제약 임상팀장 - 현대약품 임상팀장 - 한미약품 임상팀장 - LG생명과학 Clinical Study Leader - 성균관대 바이오헬스규제과학과 박사과정 - 경북대학교 의학과 석사	- 글로벌 라이선싱 아웃 및 협업 8건 - 동화약품 사업개발, 글로벌 마케팅 - 셀트리온 사업개발팀 팀장 - 한국BMS 마케팅 팀장 - Bayer 투자분석가, 미국 - UC 버클리, 경영학 석사	- 다수의 글로벌 신약 마케팅 - 한독 Head of Commercial Excellence - 한국 엘러간 영업이사 - 바이엘 코리아 전략기획 이사 /Marketing Excellence 이사 - 한국 안센 마케팅 팀장 - 서강대학교 경영학 석사	- 한국안센 피부면역사업부 영업마케팅 총괄 상무이사 - 한국안센 면역사업부 영업 본부장 - 한국안센 항암제사업부 영업 본부장 - 한국안센 뉴로사이언스 영업 팀장 - 서강대학교 경영학 석사

1. 큐라클 소개

오픈 이노베이션을 통해 난치성 혈관질환 항체 파이프라인 추가 확보

○ 항체 치료제 개발기업 맵틱스

- 맵틱스와 공동 연구개발 계약을 체결해 난치성 혈관질환에 대한 단일 및 다중 항체 치료제 파이프라인 8개 확보 (24.07)
- 생물학적 제제(Biologics) 모달리티 확보를 통해 신약 포트폴리오 강화
- 급성 심손상, 뇌졸중 등 즉각적인 치료를 요하는 난치성 혈관질환으로 개발 분야를 확장해 공동 연구 진행

< 큐라클 - 맵틱스 공동 연구개발 계약 체결 (24.07) >



< 큐라클 - 맵틱스 공동연구실 (대전 맵틱스 연구소 내) >



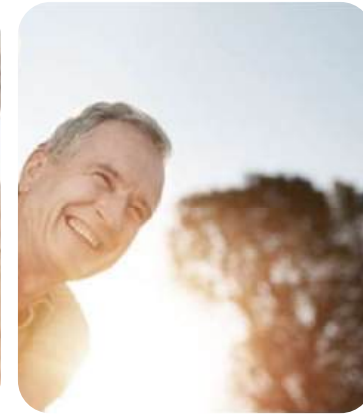
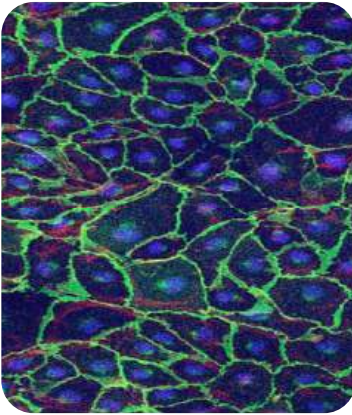
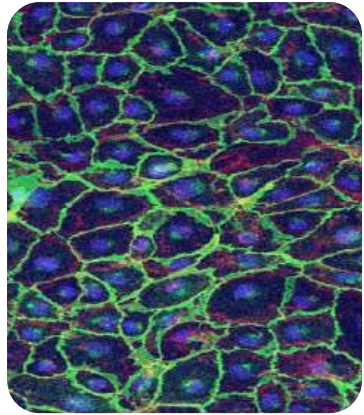
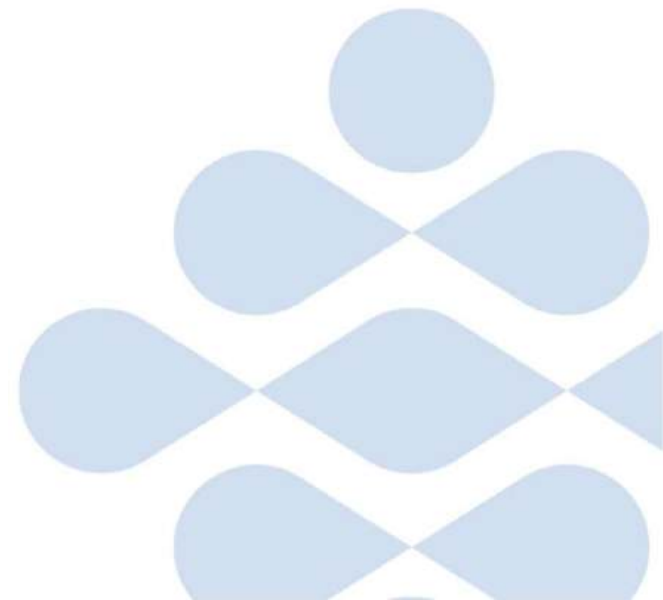


TABLE OF CONTENTS

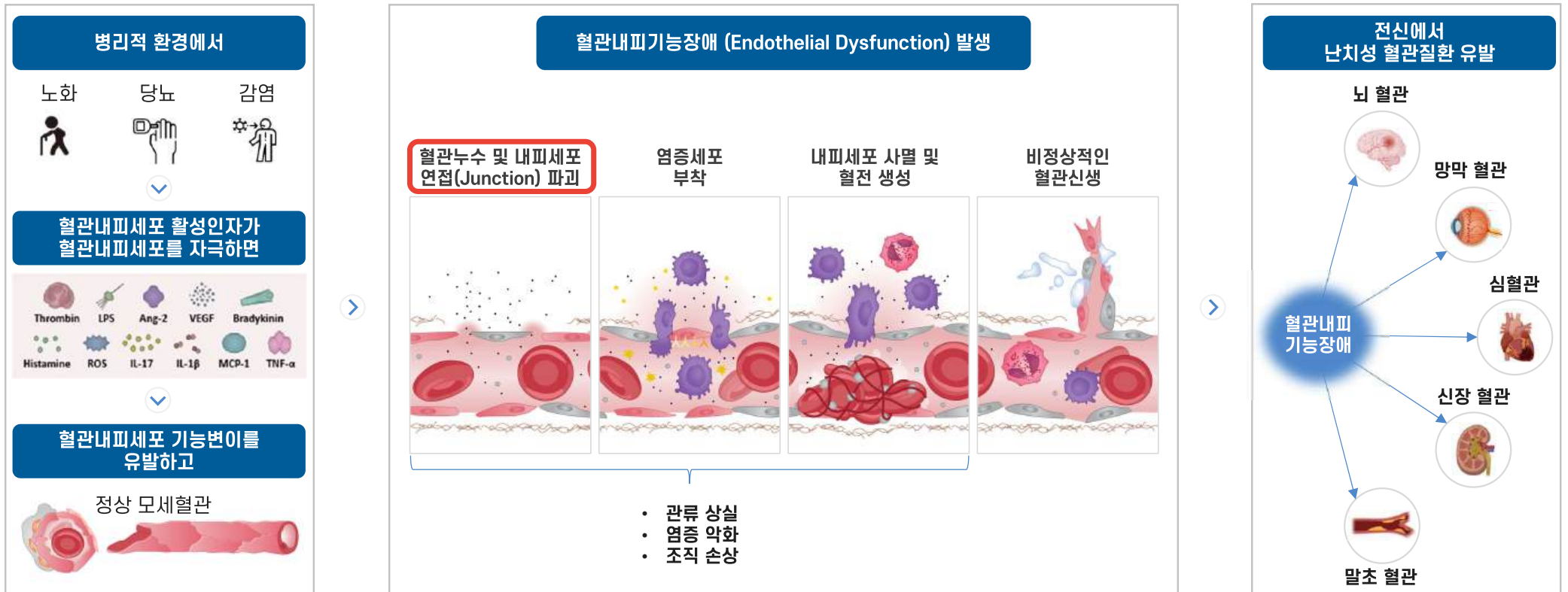
1. 큐라클 소개
2. 연구개발 분야
3. 핵심 파이프라인 현황 (CU06, CU71, CU01, MT-101, MT-103, CP01-R01)
4. 재무 현황 & 신사업



2. 연구개발 분야

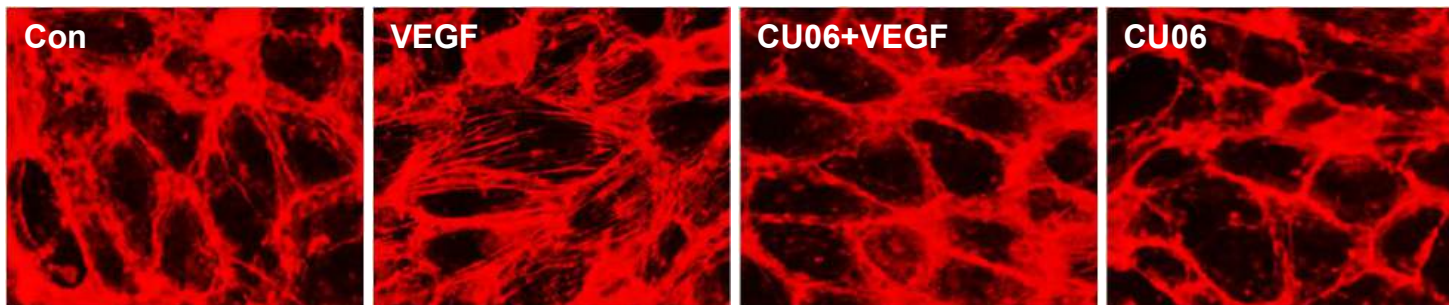
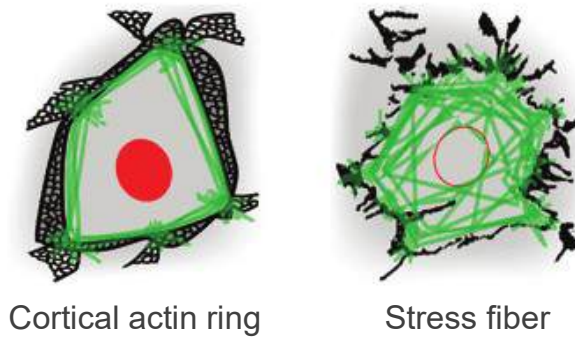
다양한 난치성 혈관질환의 주요 원인 “혈관내피기능장애” 극복을 통한 신약개발

혈관내피기능장애 : 노화 / 당뇨, 비만, 고혈압 등 만성질환 / 감염 등 병리적 환경으로 혈관이 손상되어
혈관 내벽을 구성하는 혈관내피세포가 제 기능을 다하지 못하는 상태



2. 연구개발 분야

혈관내피기능장애 차단제 (CU06)가 혈관내피세포 골격 구조 유지하는 것 확인¹⁾



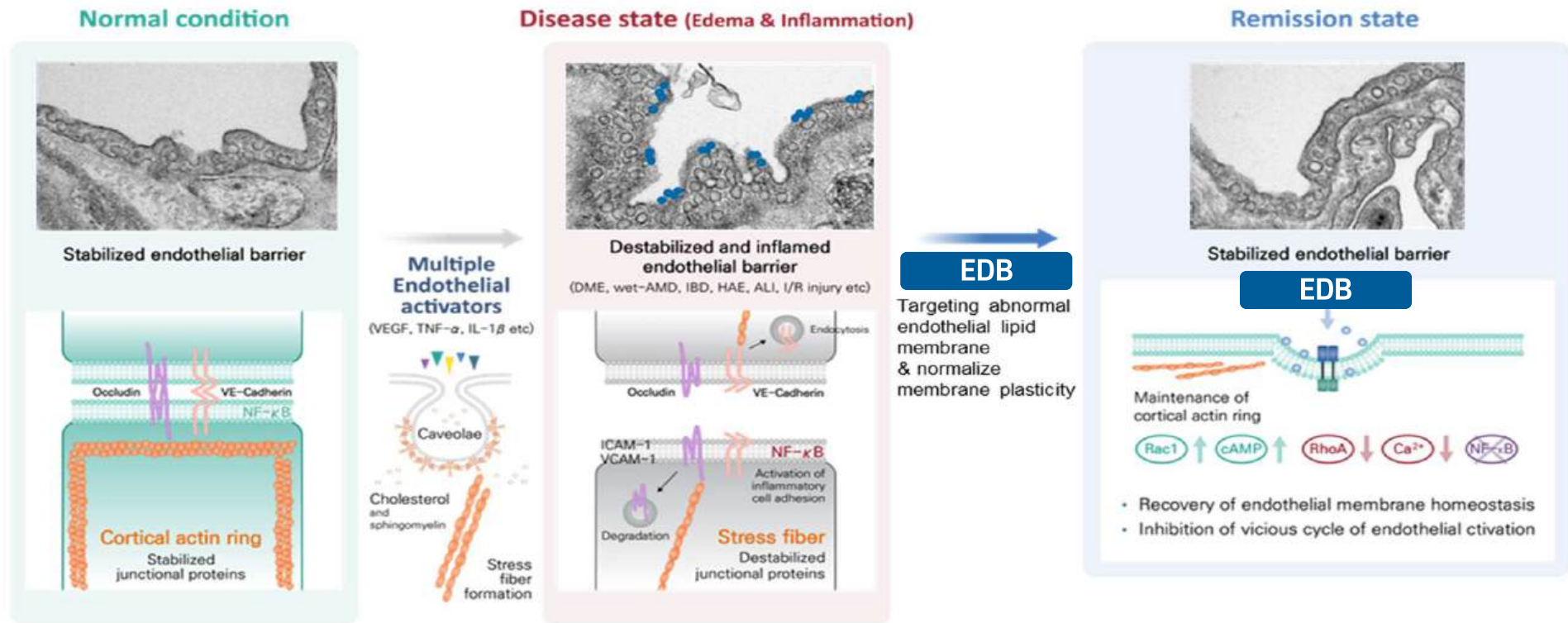
VEGF 자극에 의해 생성되는 Stress fiber 를 CU06이 효과적으로 억제하고
Cortical actin ring 구조를 유지하는 것을 확인할 수 있음.

1) 내부 전임상 시험 결과

2. 연구개발 분야

혈관내피기능장애 차단제의 Mechanism of Action

혈관내피세포 간 접합을 정상화 & 항상성 유지



* EDB : Endothelial Dysfunction Blocker. 혈관내피기능장애 차단제

2. 연구개발 분야

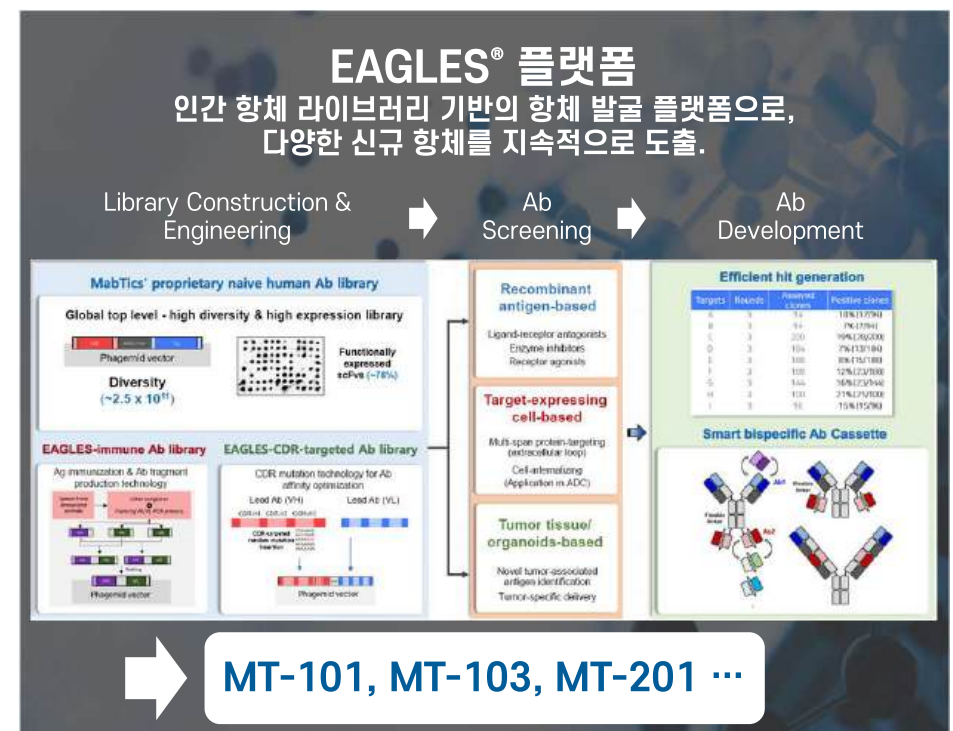
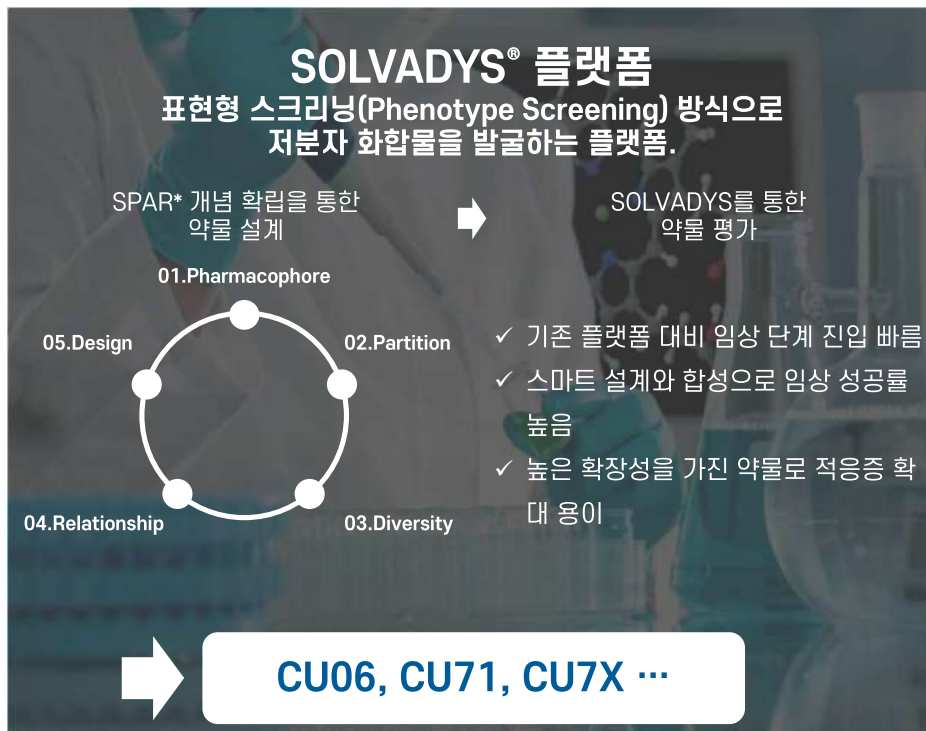
혈관내피기능장애 차단제의 지속 개발 가능한 플랫폼 및 기술력 보유



Small Molecule



Biologics



* SPAR : Structure-Phenotypic Activity Relationship, 약물 구조와 표현형 활성의 상관관계를 통해 효과적인 약물 설계

2. 연구개발 분야

파이프라인 1) 연구 개발 및 상용화의 핵심 CORE 파이프라인*

파이프라인명**	적응증	투여 경로	특장점	개발 현황 (25.04 기준)	기초탐색 연구	전임상	임상1상	임상2상	임상3상
Rivasterat (CU06)	당뇨병성 황반부종	경구	- First-in-Class 약물 - 세계 최초 혈관내피기능장애 차단제 - 미국 FDA가 망막 혈관질환 치료제 허가시 요구하는 시력개선 효과와 안전성을 동시에 입증한 최초의 경구용 약물	- 미국 임상2a상 완료 (24.04) - C-type FDA 미팅 (25.02) - 글로벌 임상2b상 진행 예정 (25 중)					
	습성 황반변성	경구		미국 임상1상 완료					
CU71	퇴행성 뇌질환 (알츠하이머, 혈관성 치매 등)	경구	- BBB Dysfunction / Neuro Inflammation을 개선하는 First-in-Class 약물 - 차세대 혈관내피기능장애 차단제	- 물질특허 출원 (24.07) - 용도특허 출원 (25.01) - 전임상 진행 중					
CU01	당뇨병성 신증	경구	- First-in-Class 약물 - 알부민 크레아티닌 비율(uACR) 뿐만 아니라 사구체 여과율(eGFR) 개선 가능성을 확인한 약물	국내 임상2b상 진행 중 (환자 모집 완료)					
MT-101	급성 심손상, 만성 심부전	주사	- First-in-Class 약물 - 국가신약개발사업단 과제 선정 - Tie2 활성화 항체 개발약물 중 활성화 가장 우수	- 전임상 진행 중 2023년 KDDF 과제 선정					
MT-103	습성 황반변성, 당뇨병성 황반부종, 당뇨 망막병증	주사	- First-in-Class 약물 - 국가신약개발사업단 과제 선정 - 차세대 이중항체로 경쟁약물 대비 최소 동등 이상의 효과를 보일 것으로 기대	- 전임상 진행 중 2024년 KDDF 과제 선정					

* 파이프라인 개발 우선순위에 따라 CORE (코어) 파이프라인과 EMERGING (이머징) 파이프라인 그룹으로 분류

** 적응증 별로 분류한 파이프라인임. 물질 수로는 11개

2. 연구개발 분야

파이프라인 2) 미래 성장동력 EMERGING 파이프라인*

파이프라인명**	적응증	투여 경로	특징점	개발 현황 (25.04 기준)	기초탐색 연구	전임상	임상1상	임상2상	임상3상
MT-201	항혈전	주사	• First-in-Class 약물 • Novel Anti-coagulant	• 후보물질 도출완료					
MT-202	허혈 재관류 심근경색, 뇌졸중, 폐혈전증	주사	• First-in-Class 약물 • Novel Anti-coagulant X Tie2	• 후보물질 도출완료 (이중항체)					
CU03	습성 항반변성	경구	• First-in-Class 약물 • 내약성과 안전성을 입증한 약물	• 국내 임상2a상 완료					
CP01-R01	반려동물 만성신장질환	경구	• First-in-Class 약물 • 동물모델에서 신장질환 개선 효능 확인	• 임상3상 IND 승인 (25.01)					
CU104	궤양성 대장염	경구	• First-in-Class 약물 • 동물모델에서 기존 치료제 대비 동등 또는 우수한 효능 확인	• 미국, 유럽 임상2상 IND 승인					
CU106	면역항암제 병용요법	경구	• First-in-Class 약물 • 동물모델에서 종양미세환경 개선으로 면역항암제 효능 개선 확인	• 미국 임상1상 완료					
MT-102	중증하지허혈	주사	• First-in-Class 약물	• 전임상 진행 중					
MT-104	고형암	주사	• First-in-Class 약물	• 후보물질 도출단계 (이중항체)					
MT-105	염증성 장질환	주사	• First-in-Class 약물	• 선도물질 도출단계 (삼중항체)					
MT-40X	고형암	주사	• First-in-Class 약물	• 유효물질 도출단계					

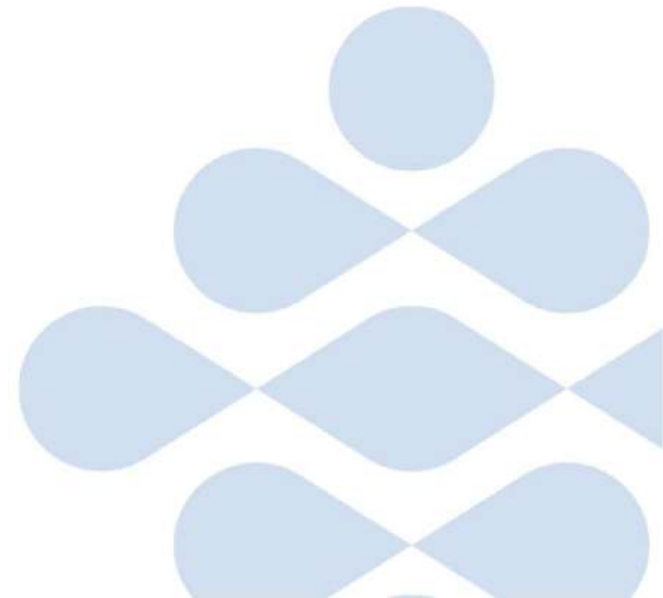
* 파이프라인 개발 우선순위에 따라 CORE (코어) 파이프라인과 EMERGING (이머징) 파이프라인 그룹으로 분류

** 적응증 별로 분류한 파이프라인임. 물질 수로는 11개



TABLE OF CONTENTS

1. 큐라클 소개
2. 연구개발 분야
3. 핵심 파이프라인 현황 (CU06, CU71, CU01, MT-101, MT-103, CP01-R01)
4. 재무 현황 & 신사업

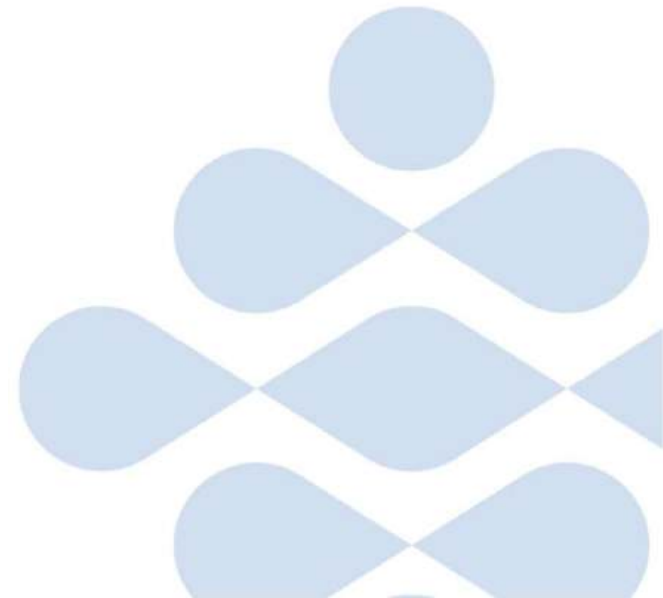




세계 최초의 경구용 망막질환 치료제

Rivasterat (CU06)

개요



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

세계 최초 경구용 망막질환 치료제 Rivasterat (CU06)

CU06 Profile

[약물 기전]

- 혈관내피기능장애 차단제 First-in-Class 신약
- 혈관내피세포 접합 정상화
- 혈관내피세포 손상 및 과투과성을 정상화하고 염증을 강력하게 저해

[적응증]

- 망막질환 (당뇨병성 황반부종, 습성 황반변성)

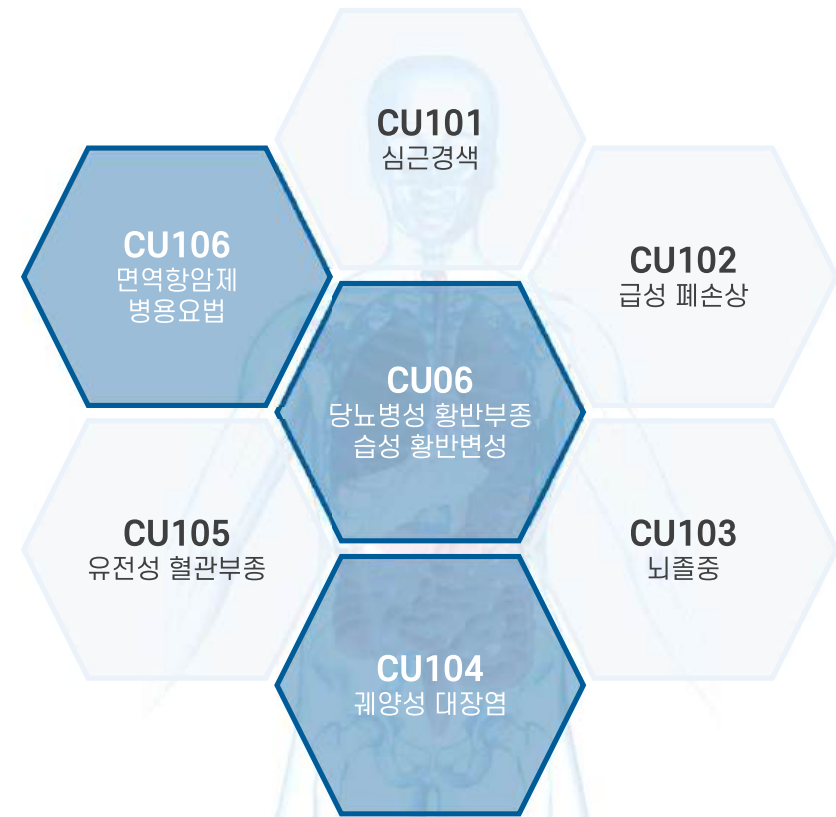
[특징]

- 경구용 망막질환 치료제 중 개발단계가 가장 앞서 있음

[개발 단계]

- 당뇨병성 황반부종 미국 임상2a상 CSR 결과 수령 (24.04)
- 당뇨병성 황반부종 미국 임상2b상 IND 신청 (2025)
- NDA 제출 (2030 예정)

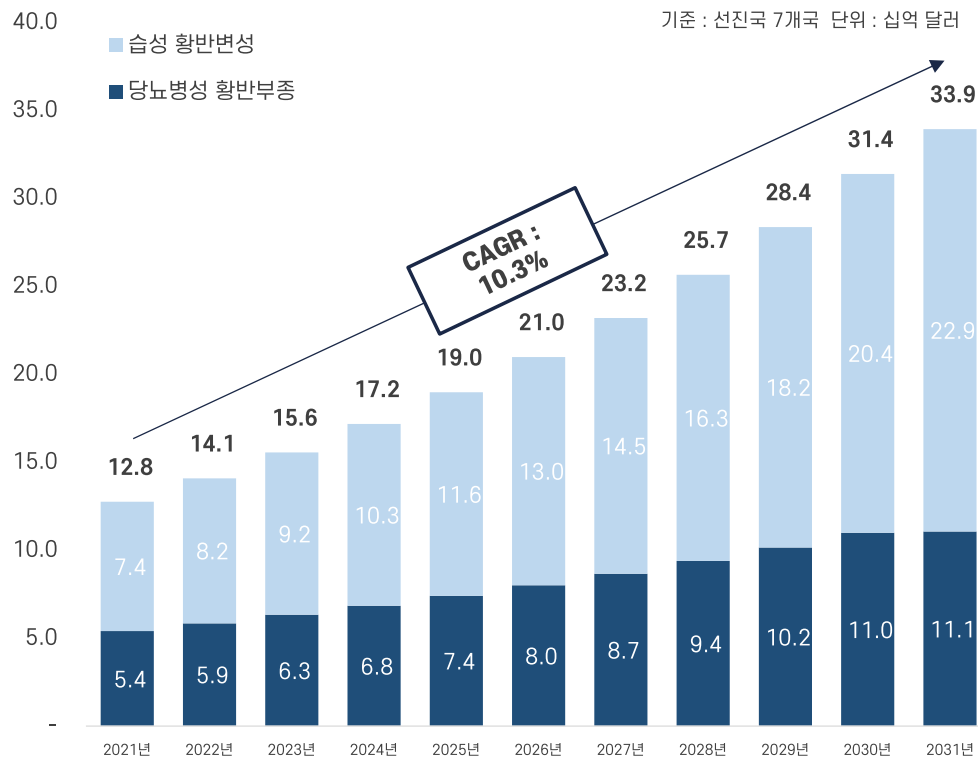
CU06 적응증 확장



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

가파른 성장률을 보이는 거대한 망막질환 시장 : 2031년 340억 달러 (한화 49조 원)

○ 치료제 시장규모¹⁾



○ 치료제 현황 및 글로벌 매출²⁾

안구내 주사제 : Anti-VEGF 단일항체



+ 바이오시밀러

11조 7천억원

안구내 주사제 : Anti-VEGF x Anti-Ang2 이중항체



6조 2천억원

**매우 큰 시장의 크기에 비해
상용화 된 약물의 수가 매우 적은
진입장벽이 높은 시장**

1) Global Data Drug Forecast and Market Analysis (2022), 2) 2024년 기준

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

안구내 주사제 대비 **의학적 차별화 가능성이 높은 경구용 치료제로 개발**



VS.

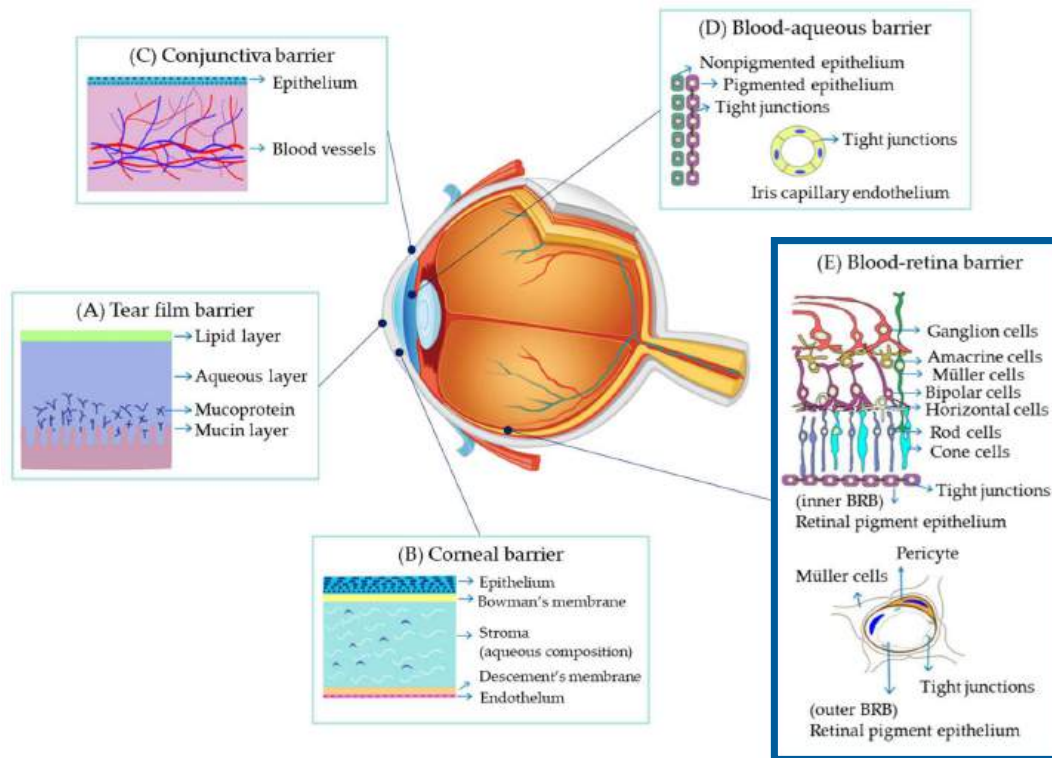


구분	CU06	항-VEGF 치료
First-in-Class 신약으로서 장점	• Anti-VEGF 치료의 한계를 보완할 것 • 새로운 기전 : 부작용 위험성 상대적으로 낮을 것	• 불충분한 반응 : 일부 환자에게 효과 미비하고 장기 치료 시 효과 감소¹⁾ • 부작용 위험 : 주사로 인한 안내염, 안구 내 염증 발생 가능²⁾
경구용 치료제로서 장점 (물리적)	• 치료를 위한 이동 감소로 치료 접근성 향상 • 치료 시간 단축	• 지리적 접근성 문제 : 지역별 의료 격차 존재³⁾ • 시간 소요 : 1회 치료 시 평균 4.5시간 소요 (이동 포함)⁴⁾
경구용 치료제로서 장점 (심리적)	• 주사 기피 환자에게 새로운 치료 대안 • 주사로 인한 불안감 해소 및 순응도 향상	• 환자의 75%가 유리체내 주사에 대한 불안 경험⁴⁾

1) Ophthalmology. 2020 Sep;127(9):1201-1210. 2) Eye (Lond). 2013 May 31;27(7):787-794. 3) Ophthalmology. 2016 Jun;123(6):1257-62. 4) Clin Ophthalmol. 2016 May 24;10:939-46.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

경구용 치료제 개발 어려운 이유 1) 망막-혈관장벽 (BRB)을 약물이 통과하기 어려움



망막-혈관장벽 (Blood-Retina Barrier, BRB)¹⁾

- 망막으로의 물질 출입을 강하게 제한하는 보호막 역할
- 뇌-혈관장벽(BBB)과 유사하게 약물이 쉽게 통과할 수 없도록 설계되어, 대부분의 경구용 약물이 망막에 충분한 농도로 도달하지 못함

이에 반해, CU06은 BRB를 통과할 필요 없이 혈관내에서 작용

1) Gels 2023, 9(9), 718;

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

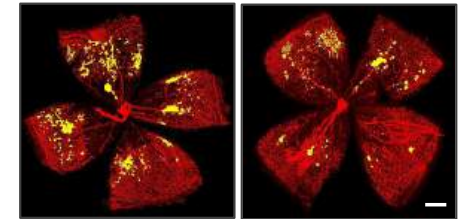
경구용 치료제 개발 어려운 이유 2) 전임상 시험에서 **시력 측정 없이** 사람 임상 진입



전임상 시험

- 수많은 경구용 약물 **해부학적 변화** 관찰 (혈관 및 조직 변화, 섬유화 등)

- Bradykinin 1 Receptor Antagonist
- Ref-1 Inhibitors
- CCR3 Antagonist
- Rho kinase 1, 2 inhibitor
- Cannabinoid Receptor 2 등



임상 시험

- 사람에게서 임상시험에서 **시력개선 효과**를 보이지 못함
- 황반중심두께 변화와 시력개선 효과의 **상관관계가 명확하지 않음**¹⁾

JAMA Ophthalmology | Original Investigation

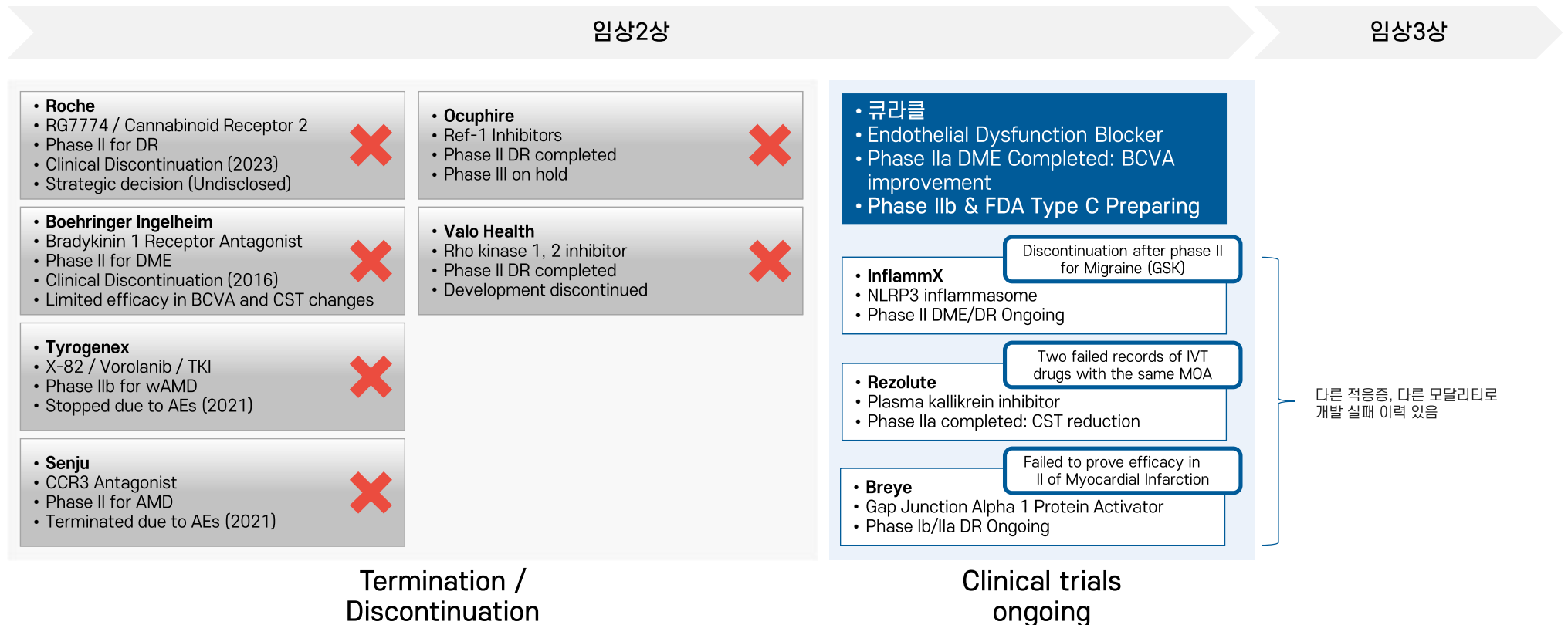
Association Between Change in Visual Acuity and Change in Central Subfield Thickness During Treatment of Diabetic Macular Edema in Participants Randomized to Aflibercept, Bevacizumab, or Ranibizumab
A Post Hoc Analysis of the Protocol T Randomized Clinical Trial

Neil M. Bressler, MD, Soeren Datta, MD, MPH, Maurine Maguire, PhD, Adam R. Glassman, MS, Lee M. Jampol, MD, Matthew W. MacCumber, MD, PhD, Chyng Shih, MD, MPH, Daniel Rosberger, MD, PhD, MPH, Jennifer K. Sun, MD, MPH, for the DRCR Retina Network

1) JAMA Ophthalmol . 2019 Sep 1;137(9):977-985.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 개요

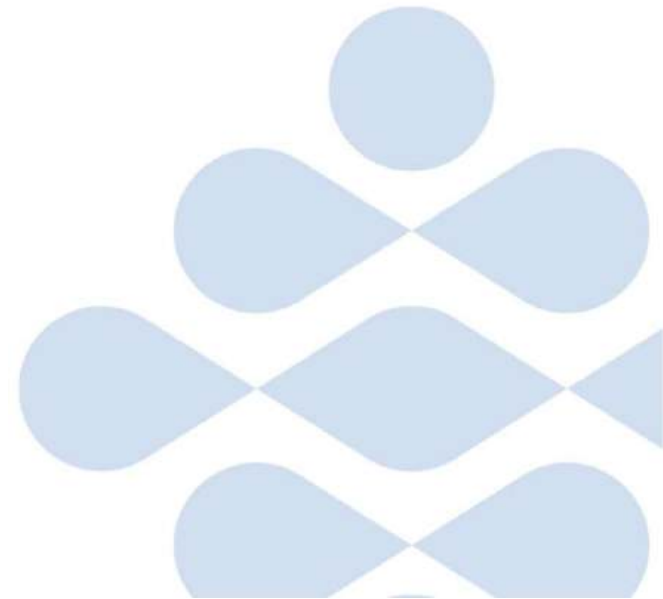
경구용 치료제들이 실패를 거듭하는 가운데, CU06의 개발이 주목 받고 있음





세계 최초의 경구용 망막질환 치료제

CU06 2a상



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

Latest update on CU06

구분	24.02	25.02
임상개발	미국 당뇨병성 황반부종 임상2a상 Topline 발표 : CU06 300mg 최대교정시력 (BCVA) 12주차 5.8글자 개선 (하위그룹 분석)	- 미국 당뇨병성 황반부종 임상2a상 CSR 발표 : CU06 300mg 최대교정시력 (BCVA) 16주차 6.6글자 개선 (하위그룹 분석) - 미국 망막학회, 유럽 망막학회, 아시아 망막학회에서 임상2a상 결과 발표 (~24.12)
약물 제형	임상2a상용 제형	임상 2a상에서 사용된 기존 제형 대비 생체 흡수율이 약 2배 개선된 신규 제형 개발 완료 (24.11)
메커니즘 규명	First in class 약물로서 기존 약물과 다른 시력개선 효과 메커니즘 연구 개시	- 혈관 정상화를 통해 시신경 세포를 보호함으로써 시력을 개선하는 차별화된 메커니즘 규명 (25.02) - 관련 연구 지속적으로 진행
개발전략 확립	2a 상에서 입증된 결과를 심층적으로 분석하고, 전문가 그룹, 글로벌 파트너사 등의 의견 수렴	미국 FDA와의 Type C 미팅을 통해 최종 허가를 위해 필요한 데이터 패키지 및 임상 디자인 등을 포함하여 개발 전략 검토 및 확정 예정 (25.02)

기술이전 활동 진행 중인 파트너사들과
해당 내용 업데이트 진행 예정



글로벌 기술이전 가시화

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

당뇨병성 황반부종 미국 임상2a상에서 후기 임상 진입을 위한 정보를 획득

사람에게서 CU06의
효과와 안전성 확인

후기임상을 위한 CU06
최적의 환자군을 찾는데 성공

신약 후보물질의 탐색적 효과 (Exploratory efficacy)를 평가하는 임상 2a상 시험
▶ 임상2a상의 목적 성공적으로 달성

미국 FDA 승인을 위한 제출 자료는 BCVA(최대교정시력) 유지 및 개선
▶ 후속(임상 2b상) 연구를 위한 충분한 근거를 확보

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

미국 내 우수 망막센터의 저명한 연구자들과 임상연구 진행

목적 및 주요 평가지표

- [1차 목표]
- CU06-1004 의 황반중심두께(CST)에 대한 개선 확인
 - 2b상의 최적용량 탐색
- [2차 목표]
- CU06-1004 의 임상적 개선 확인
 - CU06-1004 의 경구투여에 따른 안전성 확인
- [주요 평가지표]
- 황반중심두께(CST) 변화
 - 최대교정시력(BCVA)의 변화
 - 기타 바이오 마커의 변화

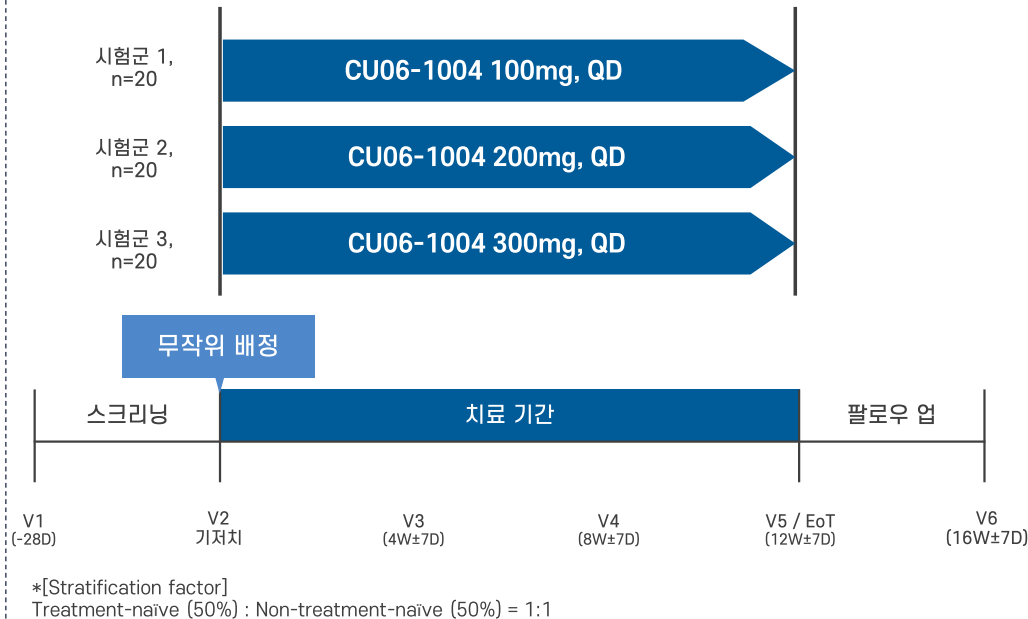
Key Inclusion Criteria

- CST
 - Zeiss Cirrus: $\geq 290\mu\text{m}$ in women, or $\geq 305\mu\text{m}$ in men
 - Heidelberg Spectralis: $\geq 305\mu\text{m}$ in women, or $\geq 320\mu\text{m}$ in men
- BCVA letter score **34 to 83 (20/25 – 20/200)**
- DRSS score ≥ 35 (mild NPDR)

임상2a상 디자인

무작위 배정, 공개 라벨, 병렬 그룹, 다기관 2a상 연구

- Protocol No.: CU06-RE-P2A-01
- ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05573100



임상2a상 운영

- 미국 내 우수 망막센터 11개 기관 참여

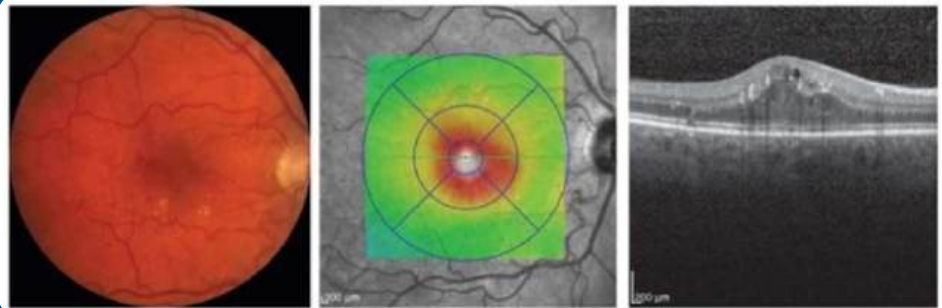


임상2a상 주요지표 : 황반중심두께(CST)와 최대교정시력(BCVA)의 변화

1차 평가지표 - CST

**CST : 황반중심두께
(Central Subfield Thickness)**

- 망막에서 눈의 중심 시력을 담당하는 황반의 중심 부분의 두께
- 황반에 체액이 축적되어 발생한 부종의 두께를 정량적으로 평가

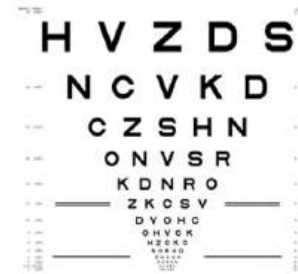


안저사진 및 OCT*를 이용해 촬영한 황반 구조

2차 평가지표 - BCVA

**BCVA : 최대교정시력
(Best Corrected Visual Acuity)**

- 안경, 렌즈와 같은 시력 교정 도구를 사용하여 측정된 최상의 교정된 시력
- 약물의 “시력개선 효과” 측정을 위해 의약품 허가 당국에서 확인하는 주요한 지표
(BCVA 점수 70점 = ETDRS차트에서 70글자를 읽을 수 있는 시력 = 통상적인 시력 0.5를 뜻함)



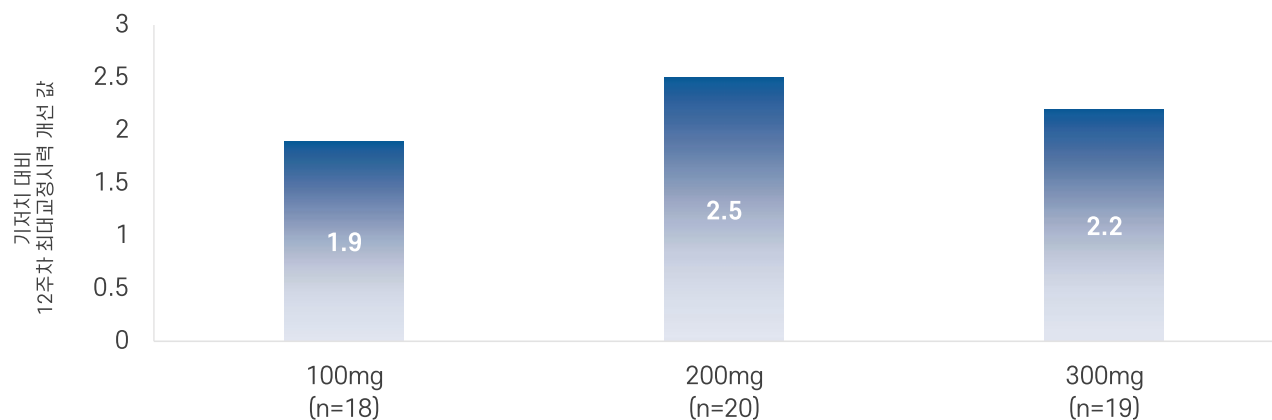
ETDRS** 차트를 이용한 BCVA 검사

* OCT : Optical Coherence Tomography. 빛간섭단층촬영 ** ETDRS : Early Treatment of Diabetic Retinopathy Study, 조기 치료 당뇨병성 망막병증 연구

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

최대교정시력(BCVA) : 모든 용량군에서 시력개선 효과 확인

2차 평가지표 – 12주차 최대교정시력 개선 값

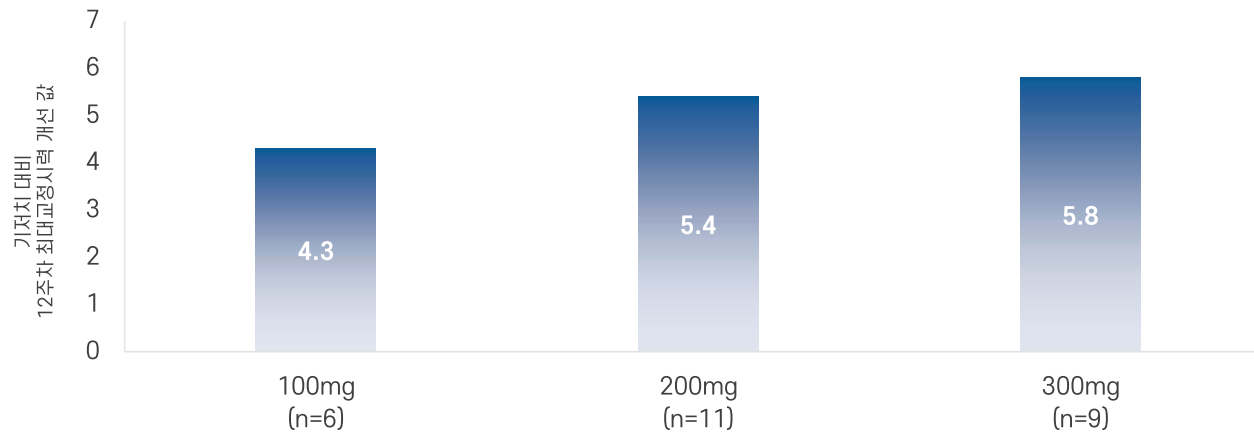


기관 데이터 (n=57)	CU06 100 mg (n=18)	CU06 200 mg (n=20)	CU06 300 mg (n=19)
기저치 최대교정시력, 글자수	73.6	68.3	69.9
12주차 최대교정시력, 글자수	75	71.1	72.2
기저치 대비 12주차 최대교정시력 개선 값	1.9 (-0.51, 4.39)	2.5 (0.15, 4.77)	2.2 (-0.14, 4.57)

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

하위그룹 분석 : 최대교정시력≤69글자인 환자군에서 5.8 글자 개선 (300mg)

기저치 최대교정시력≤69글자인 환자군의
12주차 개선 값



기관 데이터		CU06 100 mg	CU06 200 mg	CU06 300 mg
기저치 최대교정시력 ≤ 69 글자	대상자수	n=6	n=11	n=9
	기저치 대비 12주차 최대교정시력 개선 값	4.3 (-1.26, 9.91)	5.4 (1.25, 9.46)	5.8 (1.18, 10.41)
기저치 최대교정시력 > 69 글자	대상자수	n=12	n=9	n=10
	기저치 대비 12주차 최대교정시력 개선 값	-0.5 (-3.47, 2.46)	1.4 (-2.32, 5.07)	-1.7 (-4.95, 1.49)

Data on file. CURACLE * BCVA 69글자 : 시력 0.5

치료제 종류별 투여횟수 및 최대교정시력 개선 값

<최대교정시력 개선 값>

6.8-13.1 글자

(anti-VEGF 12개월 투여, 임상3상)

<투여 횟수>

7.0-12.2회/1년
안구내 주사



5.8-6.1 글자

(CU06 300mg 3개월 투여, 하위그룹, 임상2a상)

하루 1회/3개월
경구투여



5-5.4 글자

(anti-VEGF 12개월 투여, 실사용 데이터)

3.3-5.8회/1년
안구내 주사



0.2-1.2 글자

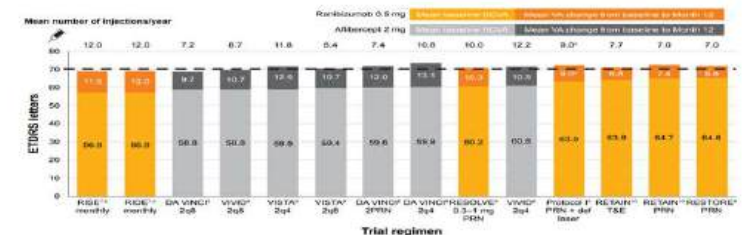
(레이저광응고술 12개월차, 아일리아 임상3상)

0.4 글자

(위약 3개월차, 베링거인겔하임 임상2상)

레퍼런스 데이터

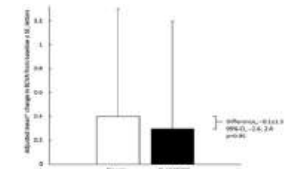
- Anti-VEGF 1년 임상 연구에서 투여횟수 및 최대교정시력 개선 값¹⁾



- Anti-VEGF 1년 실사용데이터에서 투여횟수 및 최대교정시력 개선 값

제품	환자수	투여 횟수 (투여 기간)	최대교정시력 개선 값
Bevacizumab ²⁾	309 명	3.1 회 (2 년)	5.4 글자
Ranibizumab ³⁾	3103 눈	3.3 회 (1 년)	5 글자
Aflibercept ⁴⁾	51 눈	3.8 회 (1 년)	5 글자
Anti-VEGF ⁵⁾	156 명	5.8 회 (1 년)	1.1 줄

- 베링거인겔하임 임상2상에서 위약(플라시보)의 최대교정 시력 개선 값⁶⁾

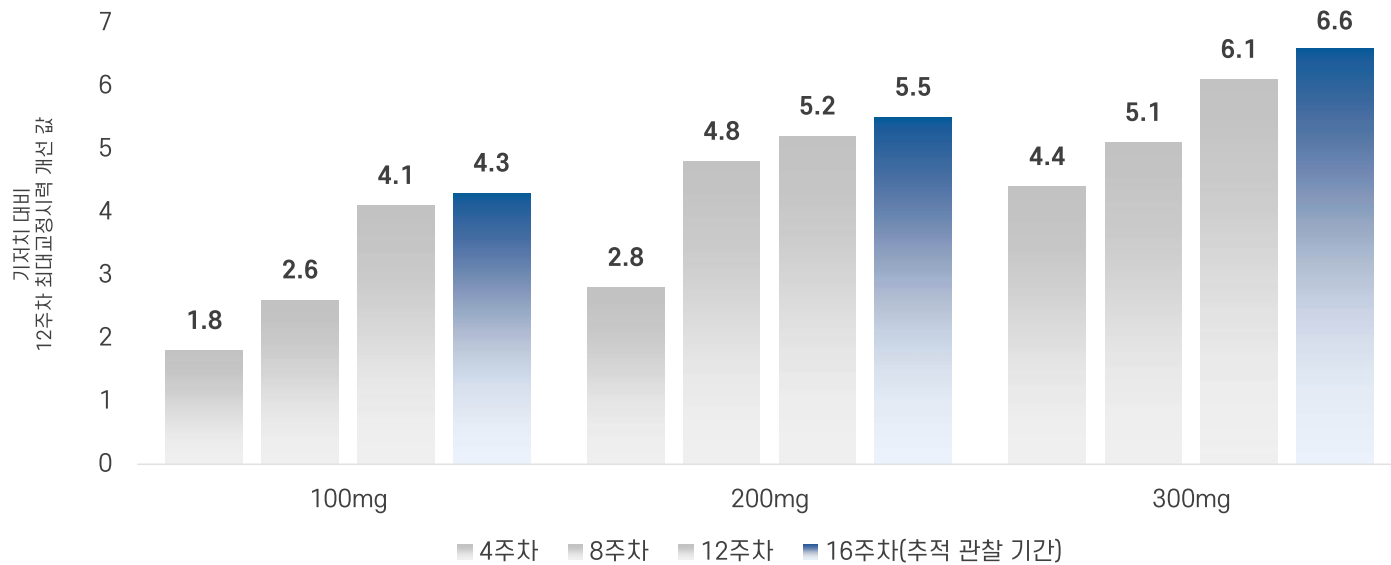


1) Clinical Ophthalmology 2016. 10:1103-1110 2) RETINA 0:1-9,2017 3) Clinical Ophthalmology 2017:11 393-401 4) BioMed Research International Volume 2017, Article ID 7879691, 6 page 5) Egan C, et al. Br J Ophthalmology 2017;101:75-80 6) Trans. Vis. Sci. Tech.. 2020;9(4):25. doi:10.1167/tvst.9.4.25

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

하위그룹 분석 : 추가 탐색지표인 16주차 추적 관찰 기간에서도 최대교정시력 증가

하위그룹 분석 : 기저치 최대교정시력≤69글자인 환자군의 용량별·투여기간별 개선 값



후속 임상에서
더 긴 치료기간, 더 높은 약물 용량



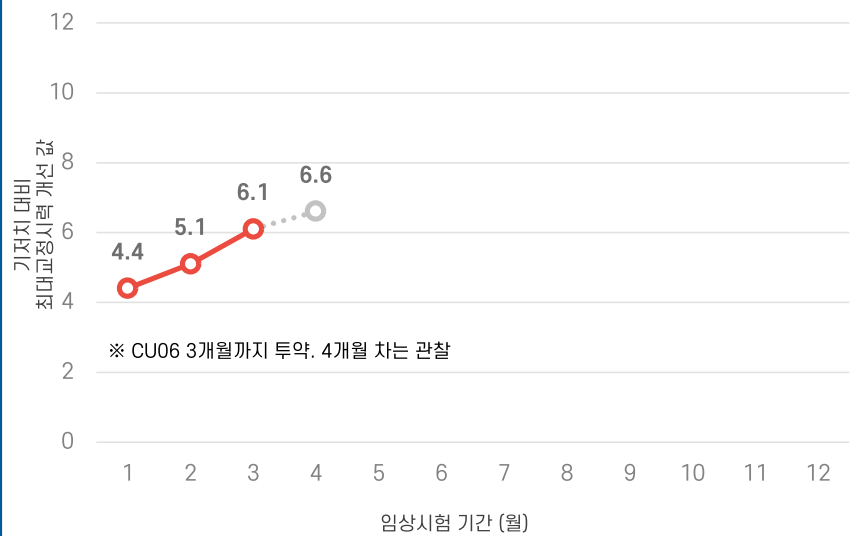
더 큰 개선효과 기대

LS Mean 값 *LS Mean 값은 방정식을 통해 구하는 통계적인 값으로, 일반적인 산술적 평균값과 달리 통계 분석 시 반영되는 항목들의 변화에 따라 결과값 차이가 발생할 수 있음

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

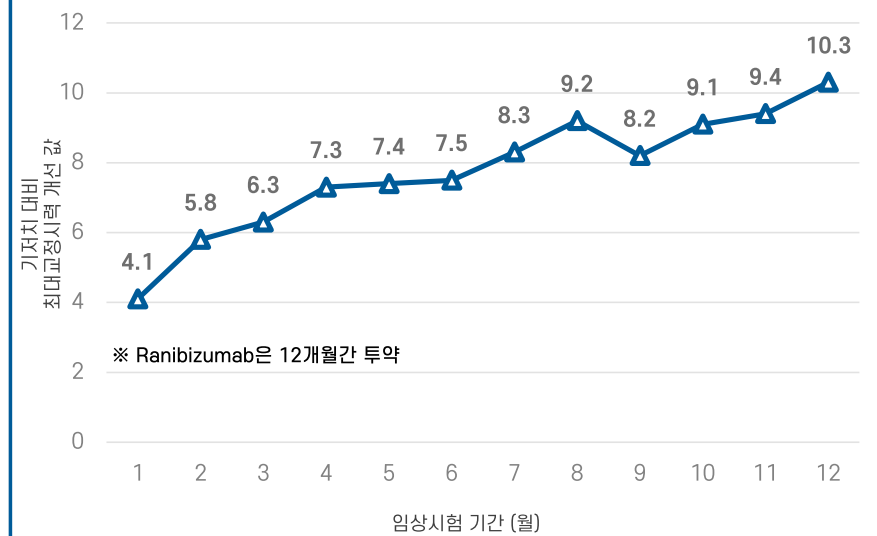
CU06은 Lucentis와 비슷한 수준의 시력개선 트렌드를 보임 (직접비교X)

**CU06
300mg**



※최대교정시력 기저치 : 60.7

**Ranibizumab¹⁾
0.3-0.5 & 0.5-1.0mg**

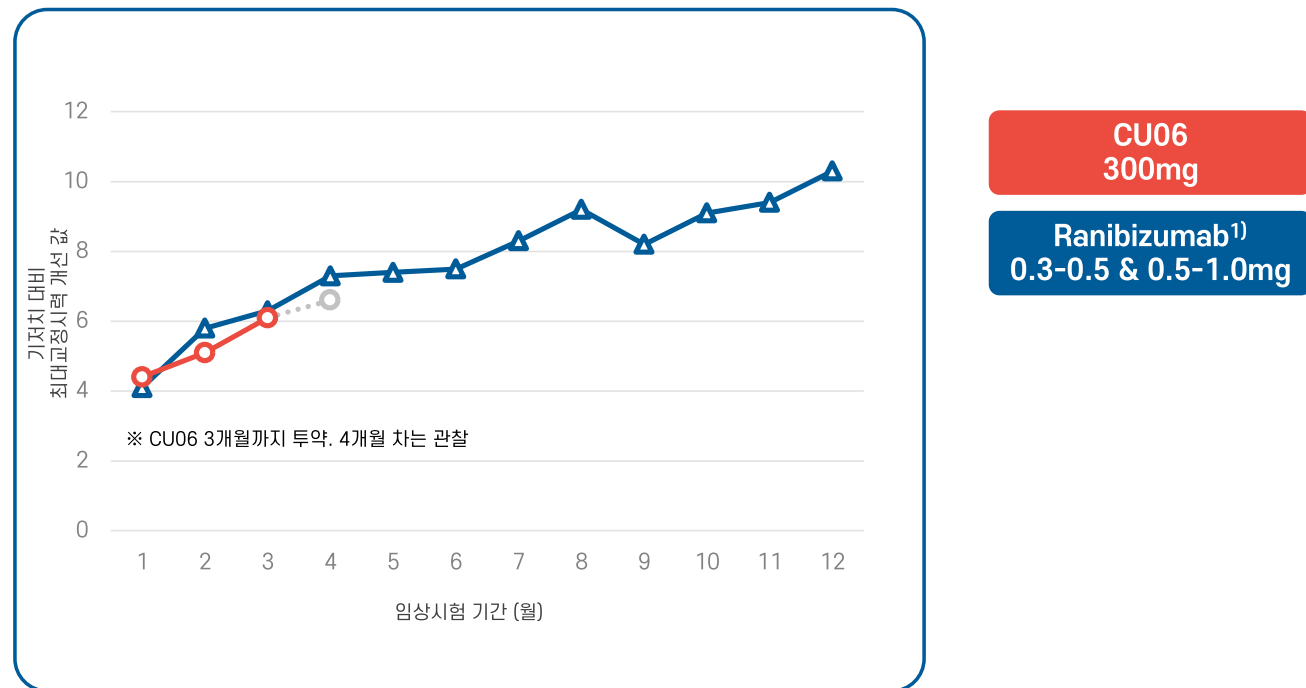


※최대교정시력 기저치 : 60.2

1) Diabetes Care . 2010 Nov;33(11):2399-405.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

CU06은 Lucentis와 비슷한 수준의 시력개선 트렌드를 보임 (직접비교X)

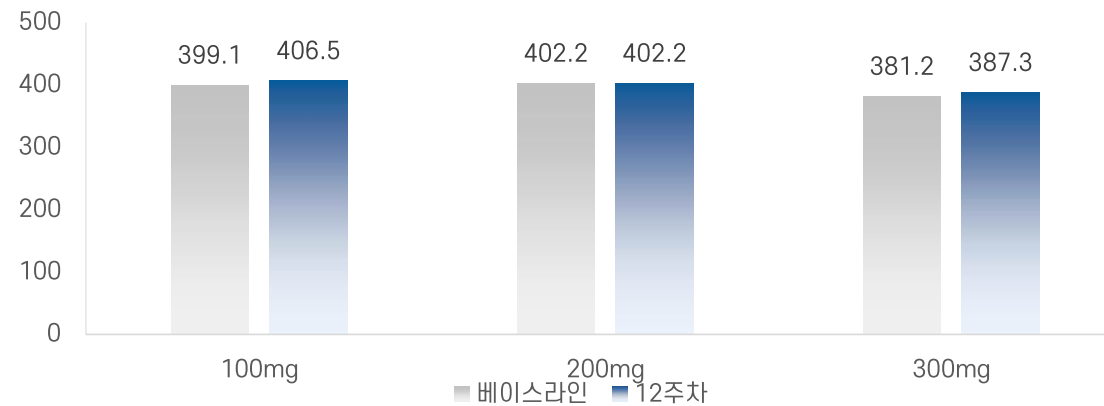


1) Diabetes Care . 2010 Nov;33(11):2399-405.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

황반중심두께(CST) : 12주 투여 후 모든 용량군에서 악화 없이 유지 확인

1차 평가지표 – 12주차 황반중심두께 값 변화



중앙 판독센터 데이터 (n=57)	CU06 100 mg (n=18)	CU06 200 mg (n=20)	CU06 300 mg (n=19)
기저치 황반중심두께, μm	399.1	402.2	381.2
12주차 황반중심두께, μm	406.5	402.2	387.3

Data on file. CURACLE

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

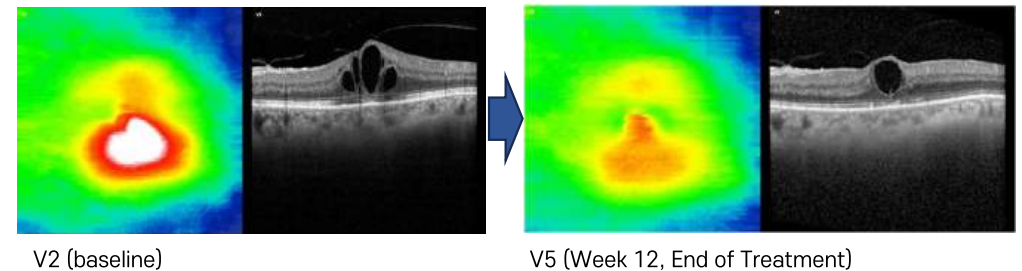
사후 분석 연구 : 용량의존적으로 해부학적 개선 관찰

Overall evaluation of OCT images by 3 SAB members

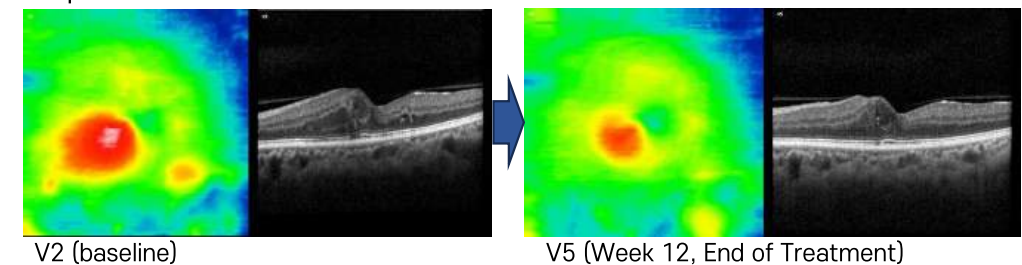
Categories	100 mg group	200 mg group	300 mg group
Better (B)	2	4	5
Slightly Better (SB)	3	1	6
Stable (S)	2	6	3
Slightly Worse (SW)	3	3	3
Worse (W)	7	6	2
Inconclusive	1	0	0
Total	18	20	19

Representative OCT and foveal B-scan for 300 mg patient

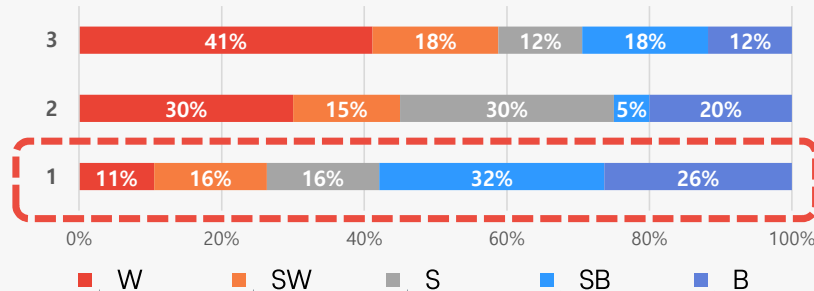
Case 1: >80 micron CST improvement



Case 2: overall improvement in OCT images but minimal CST improvement

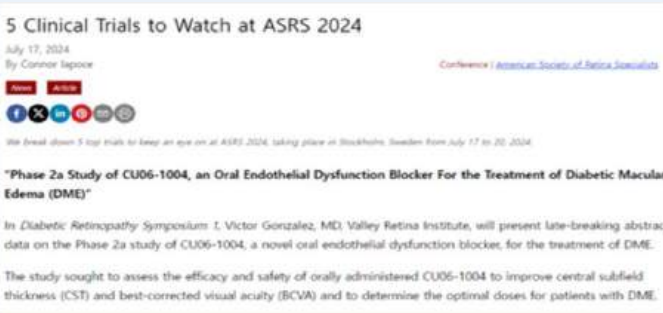


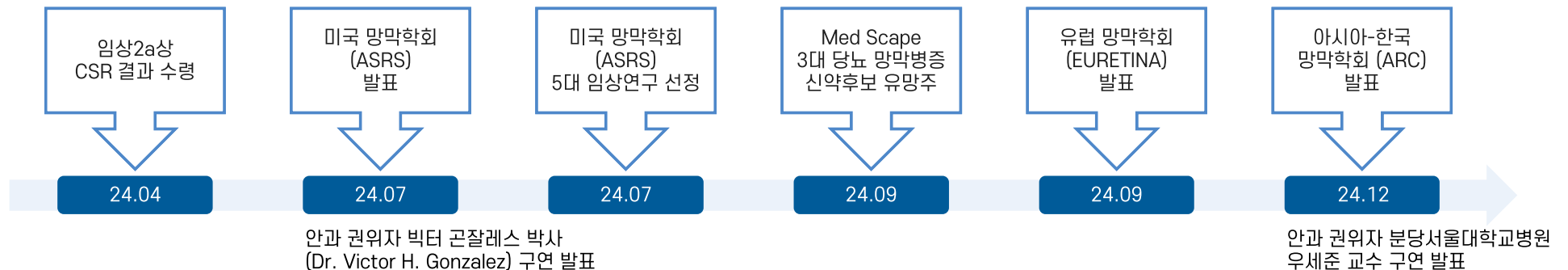
OCT thickness map + foveal B-scans review



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2a상

CU06 : 세계 최초의 경구용 망막질환 치료제로서 혁신성 인정

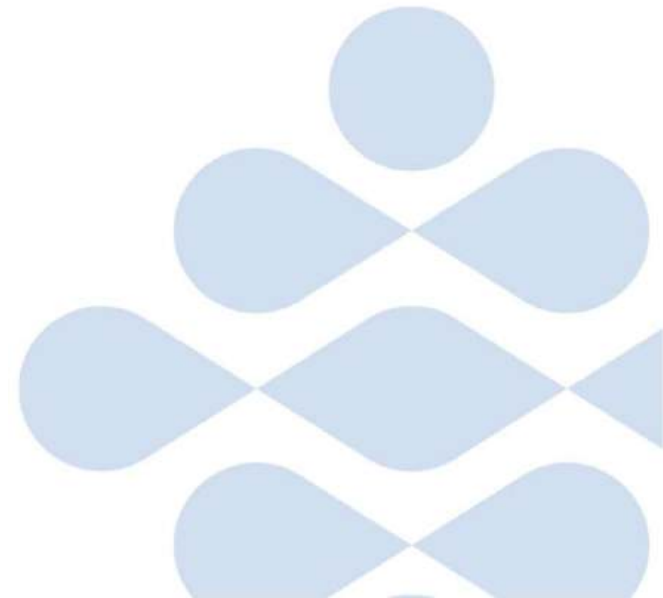
미국 망막학회 (ASRS 2024) Late-Breaking Abstract* 채택 및 구연 발표를 통해 혁신성과 중요도 인정	미국 망막학회 (ASRS 2024)에서 주목해야 할 5대 임상연구 선정	의학 전문지 Med Scape에서 3대 당뇨 망막병증 신약후보 유망주로 보도
		



* Late-Breaking Abstract : 초록 제출 기한 이후에도 데이터의 중요도를 인정받아 발표 기회를 제공하는 제도

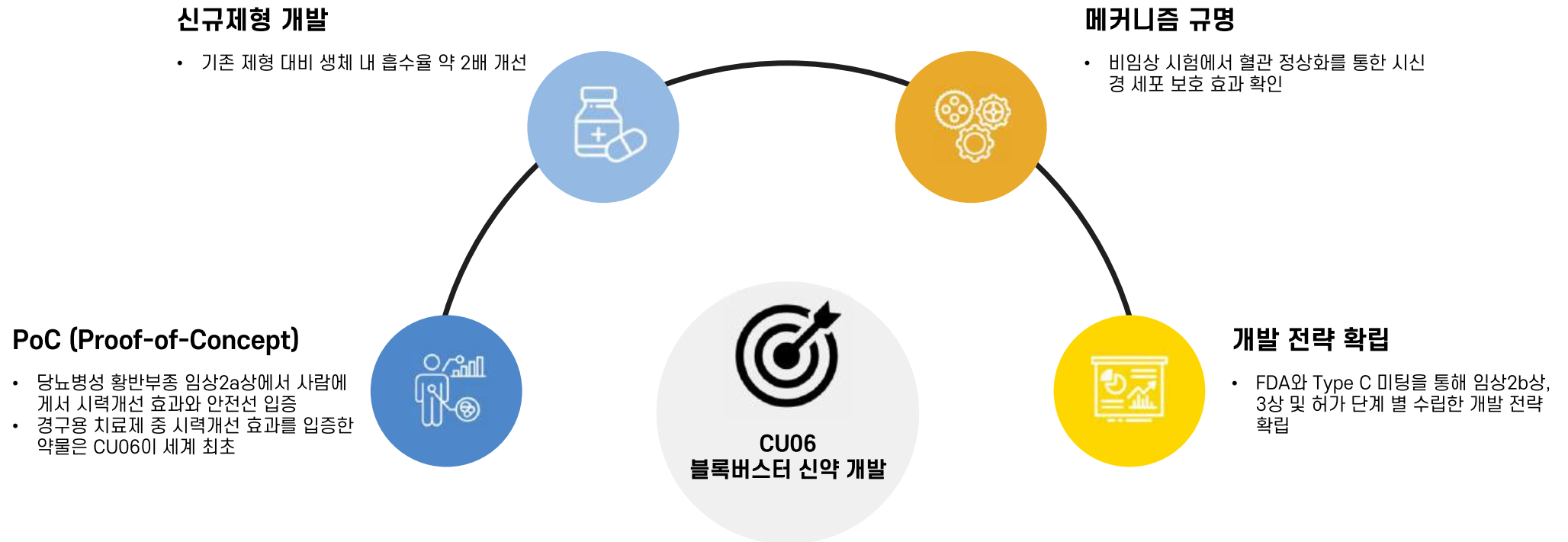


세계 최초의 경구용 망막질환 치료제
Rivasterat (CU06)
2b상



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

2a상 연구 결과를 바탕으로 체계적인 연구 개발 계획 수립 및 완료 (2024~)



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

신규제형 개발 : 같은 용량으로도 보다 높은 효과 낼 것으로 기대

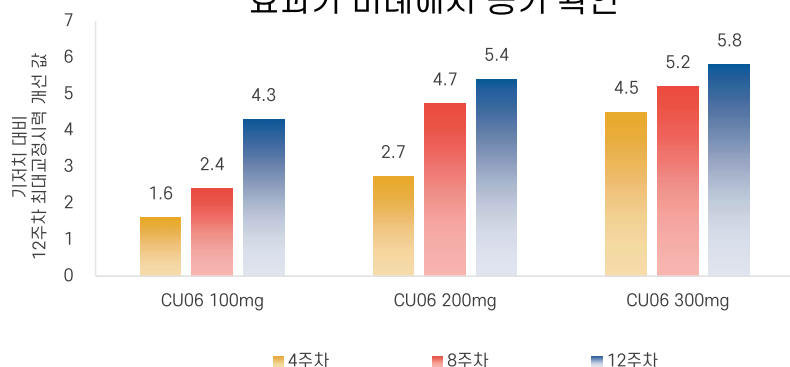
CU06 기존제형



CU06 신규제형



임상2a상에서 약물의 흡수가 많아질수록 **●**용량 $\odot$
효과가 비례해서 증가 확인



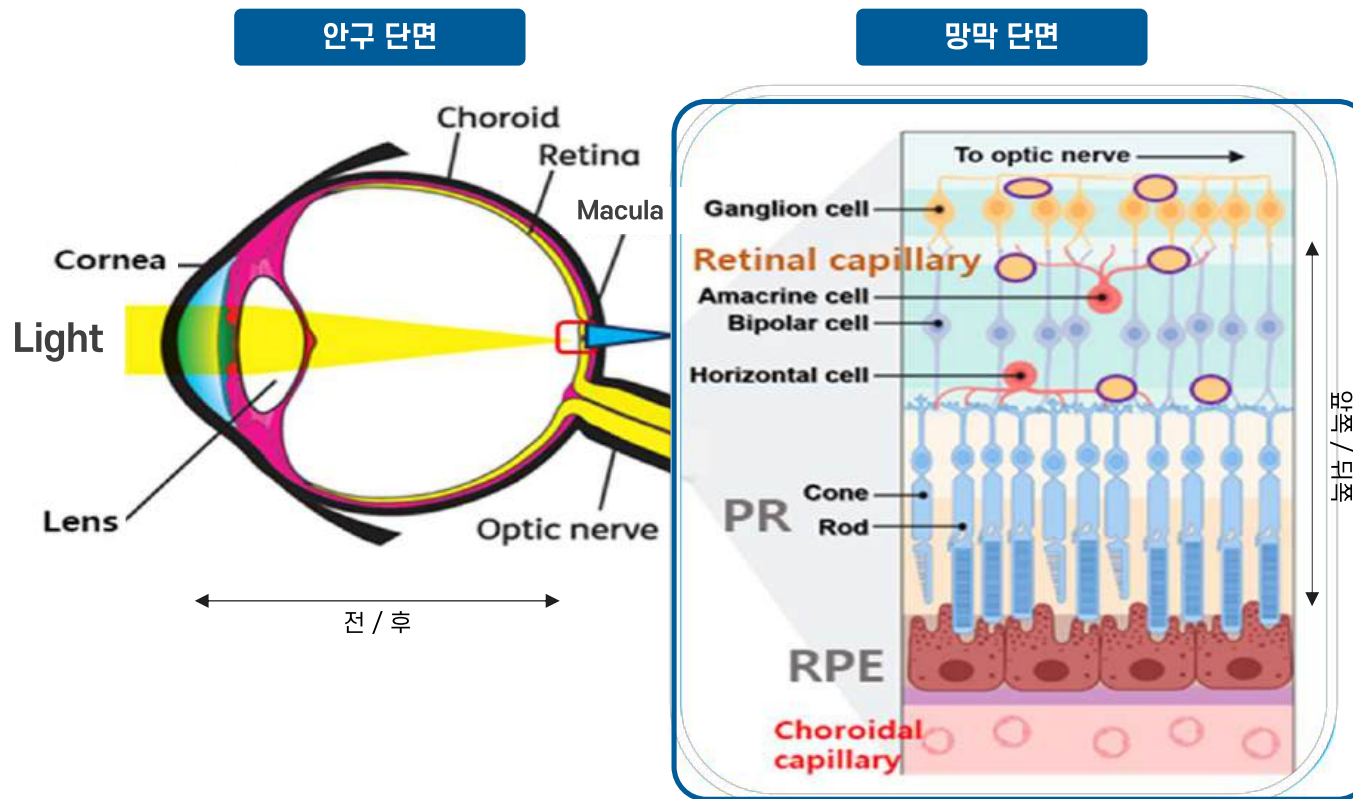
- 기존 제형 대비 **생체 내 흡수율 $\bullet$ UC, Cmax $\odot$ 약 2배 개선**
- 기존 제형과 **동일 용량으로도 보다 높은 효과 낼 것으로 기대**
- 크기가 축소되어 상용화 단계에서 **환자의 복용 편의성 개선 기대**

* 제형 모양은 이해를 돕기 위해 임의로 제작되어 실제와 다를 수 있습니다.

AUC : 혈중 약물 농도-시간 곡선 아래 면적 Cmax : 혈중 약물 농도가 최고치에 도달했을 때의 최대 농도

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

시각 신호 전달: 망막에서 빛을 전기신호로 변환해서 뇌로 전달함으로써 인지하게 됨



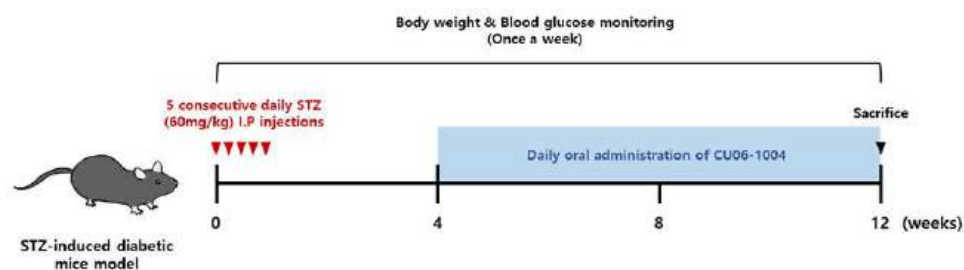
Retinal capillary : 망막 모세혈관 Choroidal capillary : 맥락만 모세혈관 PR : Photoreceptor (광수용체) RPE : Retinal Pigment Epithelium (망막 색소 상피층)

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

메커니즘 규명 : 비임상 시험에서 CU06 치료 효능 평가

○ 실험 방법

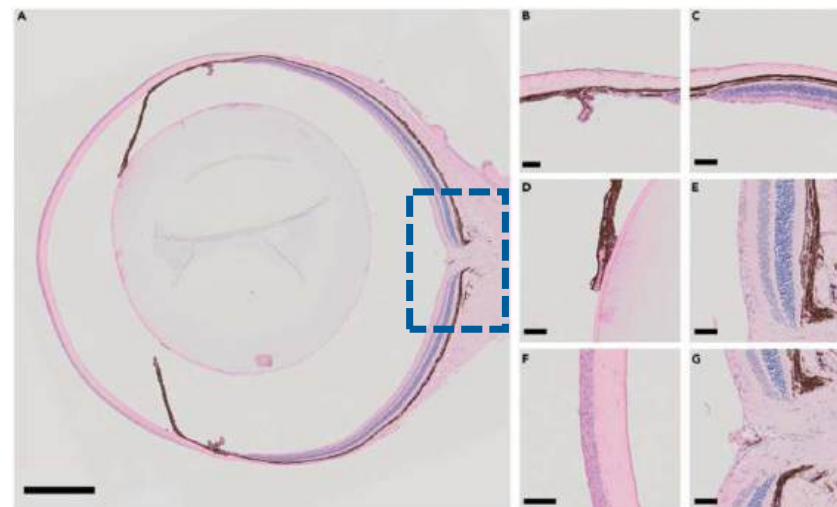
1) STZ-유도 당뇨 마우스 모델에 약물 투여



약물 투여 시점 :

STZ 유도 4주 후부터 8주(2개월) 간 CU06 경구 투여

2) 망막 중심부에서 해부학적 구조 변화 확인



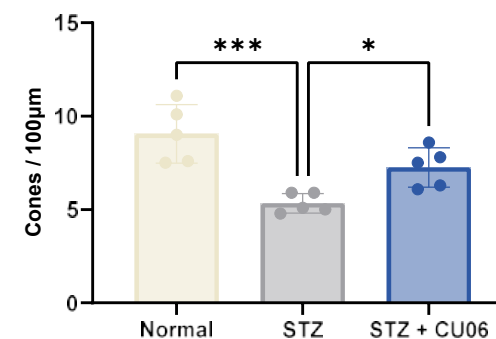
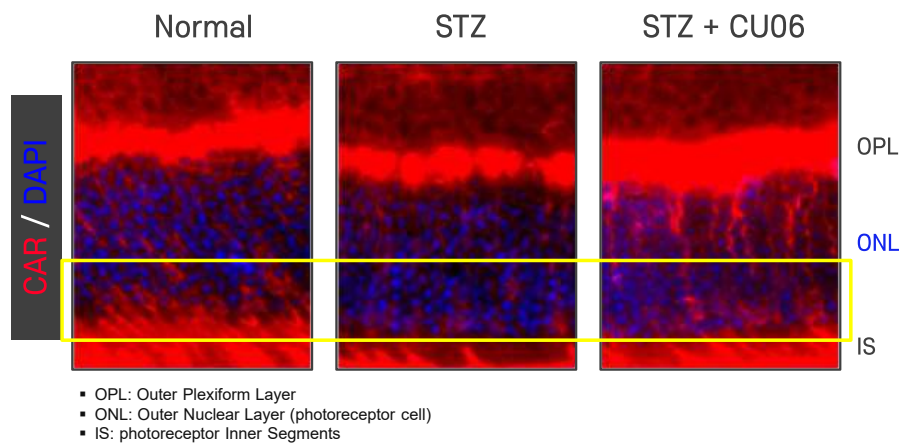
STZ : Streptozotocin. STZ를 주사하면 인슐린 분비가 이루어지지 않아 당뇨병과 유사한 증상을 보임.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

메커니즘 규명 : 혈관 정상화를 통한 Cone Cell 보호 효과 확인

Cone Cell (원추 세포)에서의 해부학적 구조 변화

※ CAR (Cone Arrestin) : Cone Cell 마커



➤ CU06 투여 그룹 Cone Cell 수 대조군 대비 약 36% 증가

➤ CU06이 혈관 정상화를 통해 Cone Cell 손실을 방지함으로써 망막 기능 유지와 시력 손상 예방에

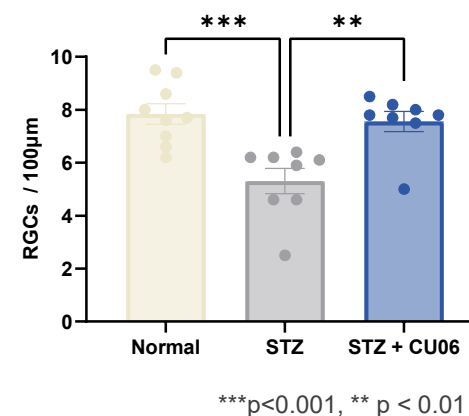
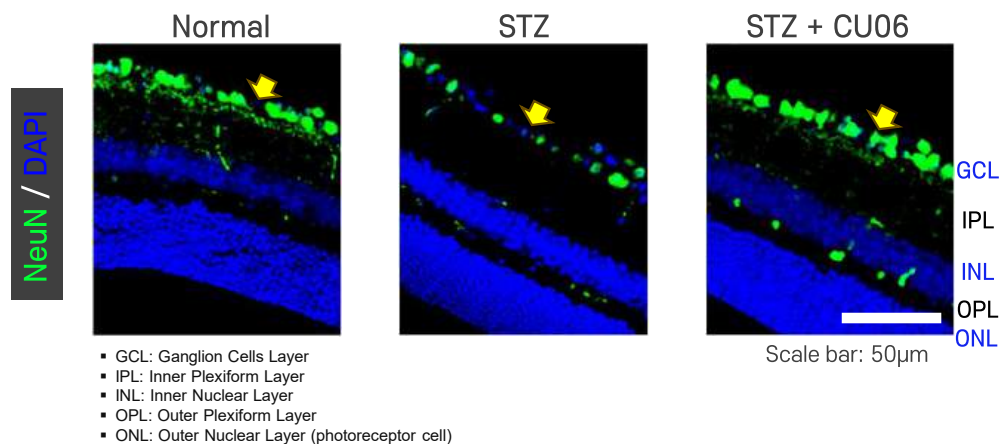
기여할 가능성 확인

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

메커니즘 규명 : 혈관 정상화를 통한 Ganglion Cell 보호 효과 확인

● Ganglion Cell (신경절 세포)에서의 해부학적 구조 변화

※ NeuN: RGC를 포함한 여러 신경세포에서 발현하는 마커 (노란색 화살부분이 가리키는 GCL라인)



➤ CU06 투여 그룹 Ganglion Cell 수 대조군 대비 약 **42% 증가**. 정상군과 유사 수준

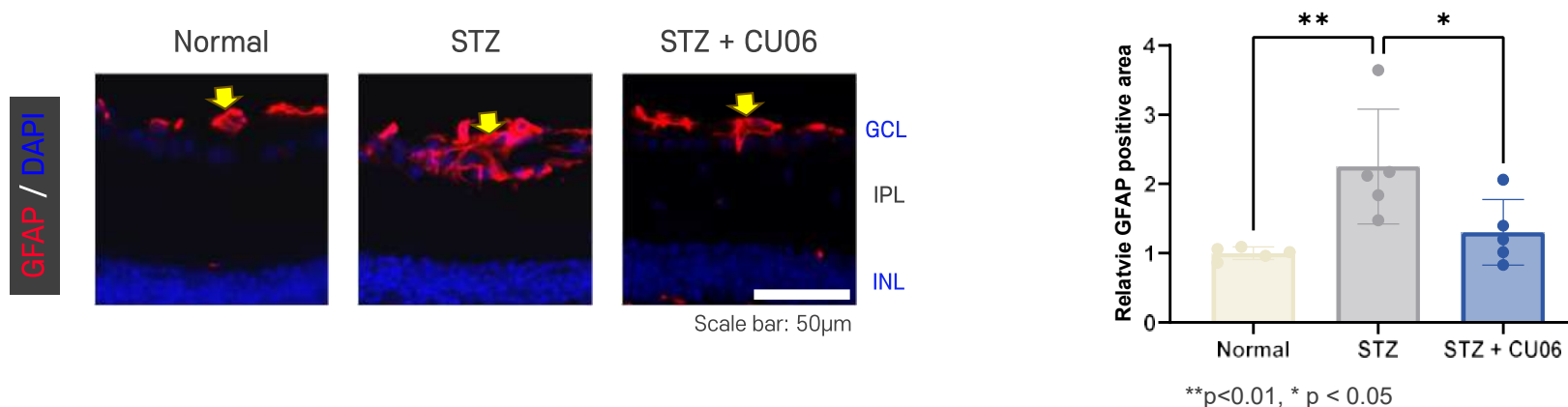
➤ CU06이 **혈관 정상화**를 통해 **Ganglion Cell 손실을 방지**함으로써 시각 정보 전달 체계의 핵심 요소를 보호하여 **시력을 유지하거나 손상을 예방할 가능성 확인**함.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

메커니즘 규명 : 혈관 정상화를 통한 **Microglial activation 억제 효능 확인**

● Microglial Cell (신경교 세포) 활성화 결과

※ GFAP : 당뇨 유도 마우스 모델에서 Microglial Cell 활성화 평가 주요 마커



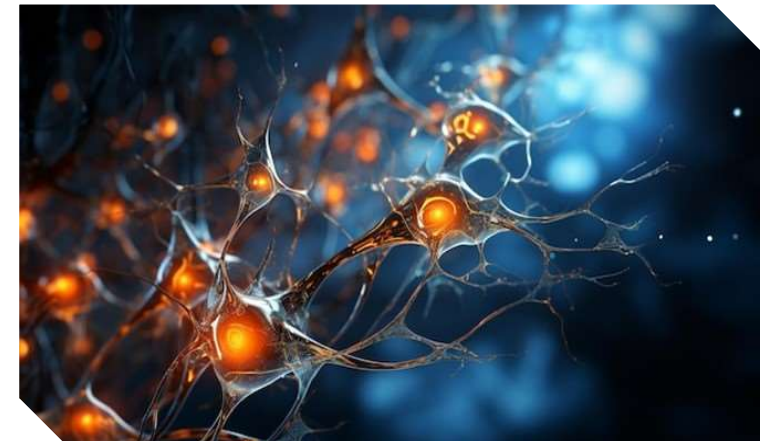
- CU06 투여 그룹 Microglial Cell 수 대조군 대비 약 **42% 감소**
- Microglial Cell이 과도하게 활성화되면 신경 염증 유발
- CU06이 **혈관 정상화**를 통해 **Microglial Cell 과활성 억제**

Data on file. CURACLE Microglial Cell : 신경교 세포. 면역 감시 및 신경 보호 역할을 수행하는 세포로 병리적 상태에서 과활성 시 염증 촉진, 신경세포 손상 유발 GFAP : Microglial Cell 마커 DAPI : 세포 핵 염색

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

메커니즘 규명으로 CU06 약물 가치 더욱 증대될 것

- 기술적 신뢰 상승 : 임상2a상의 **시력개선 효과 뒷받침**
- 규제당국 (FDA) 및 기술이전 파트너사의 신뢰 증가
- 학술적, 마케팅적 가치 증대
- **연구개발 분야 확장** : 뇌, 신장질환 등 개발에 기반 자료 활용



➤ 추가적인 심층 연구를 진행하여 국제학회 발표 및 논문 게재 예정

개발전략 확립을 위해 FDA Type C 미팅 진행 (25.02.10)

FDA 미팅 유형



1. Type A 미팅

- 개발이 지연되거나 중단된 상황에서 재개를 논의하는 긴급 미팅

2. Type B 미팅

- 주요 임상 개발 단계에서 FDA 공식적인 피드백을 받기 위한 미팅

3. Type C 미팅

- 개발 과정에서 중요한 논의 사항에 대한 FDA의 피드백을 받기 위한 미팅
- 예) 비임상 또는 임상 개발 계획 조정, 규제 요건 논의 등
- 기업이 FDA의 피드백을 받아 개발 리스크를 줄이고 개발 전략을 최적화 하는데 유용

CU06의 Type C 미팅 진행 이유

1) 개발전략 확립

- Anti-VEGF는 정형화된 연구개발 전략이 수립되어 있지만, 기존 경구용 치료제는 허가까지 임상이 진행된 전례 없음
- 임상2b상, 임상3상, 허가 과정까지 필요한 FDA의 최근 규제 방침을 확인하여 전략에 반영

2) 추가 규제사항 확인

- CU06은 혈관내피기능장애 차단제 First-in-Class 신약이기에 미국 FDA가 요구하거나 요구할 것으로 예상되는 데이터 패키지를 사전에 파악하고 실행하기 위함

※ 안과 영역 전문성을 갖춘 글로벌 CRO CERTARA사와 Type C 미팅 준비



3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

CU06 개발 전략에 따른 임상2b상·3상 프로토콜 플랜

구분	플랜 A	플랜 B
목적	활성대조약 대비 비열등성 확인 (vs. Anti-VEGF)	위약 대비 우월성 확인 (vs. Placebo)
기간	52 weeks	24 weeks
모집인원	++	+
비용	++	+
종합	- BCVA 비열등성 마진 4글자¹⁾로, 임상2a상 결과와 Lucentis 비교 시 임상 성공이 수월할 것으로 예상 - 단점: Placebo-Controlled 연구 대비 비용, 기간 등이 증가할 것으로 예상	24주 연구가 허용이 된다면 개발 기간을 단축할 수 있게 되어 선호 됨 - Placebo 대비 우월성 입증하기 쉬울 것으로 보이나, FDA의 경구제에 대한 요구사항 확인 필요. (기간, 위약 사용 가능 유무, 기타 요구사항 등) - 단점: 장기간 위약 사용에 대한 부담

플랜 B Protocol로 Type C 미팅 진행
(25/02/10)

1) Faricimab Phase 3 Trial Protocol (NCT03622580)

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

미팅 결과 1) CU06 후속 개발에서의 주요 평가지표는 예상대로 시력 (BCVA)

목적	결과	
임상 설계의 적절성	전반적인 임상 설계	FDA가 전반적인 연구 설계에 대해 동의 : DME 환자 대상으로 병렬, 무작위, 위약 (Placebo) 대조 연구로 우월성을 입증하기 위한 설계
	주요 평가지표	- FDA가 ETDRS 차트를 이용한 BCVA (최대교정시력)의 기저선 대비 평균 변화를 주요 평가 기준으로 권고함 - CST (황반중심두께)값에 대한 언급이 없었음
	연구 기간	- 임상2b상 기간을 6개월 (24주 투여) + 1달 (4주 안전성 추적 관찰)로 승인함 - FDA가 임상3상 기간 1년 (52주)를 제안함 ※ Anti-VEGF의 경우 임상2b상 통상 1년 내외, 임상3상 2년 내외 진행

미팅 결과 2) 허가전까지 요구되는 데이터 중에서 개발에 제약이 되는 사항 없음

○ FDA에서 요구한 답변을 제출하기 위해 필요할 것으로 논의한 연구 목록

Study No.	진행 여부	소요 기간	예상 비용 (KRW)	비고
1	수행완료 or 답변가능			수행 필요 X
2	진행중			임상에서 확인 가능
3	수행 예정			
4	진행중	6개월	8,000만	
5	추후 필요 시 진행	N/A	N/A	
6	수행 예정			
7	수행 완료 or 답변가능			
8	추후 필요 시 진행	N/A	N/A	
9	수행 예정			

➤ 이미 진행했거나 수행이 어려운 시험이 아니며, 임상과 동시에 진행하면서 허가 전까지 제출하면 되는 사항들이므로 **개발 일정에 영향을 미치지 않을 것**

3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

CU06 개발 타임라인

당뇨병성 황반부종	2025		2026		2027		2028		2029		2030		2031	
	1H	2H	1H	2H	1H	2H	1H	2H	1H	2H	1H	2H	1H	2H
임상2b상		IND	24weeks+4weeks study											
임상3상_1							52weeks study							
임상3상_2							52weeks study							
NDA 승인														

Approval

※ CU06 당뇨병성 황반부종 임상2a상 : 경구제 임상으로 빠르게 진행

- 60명 대상 12주 투약
- 첫 번째 시험자가 등록 후부터 마지막 시험자 투약 완료까지 : 11개월 소요
- 11개 임상센터에서 67명 환자 모집

IND : Investigational New Drug Application. 임상시험계획승인신청 NDA : New Drug Application. 품목허가신청

FDA 미팅으로 개발 방향이 뚜렷해짐으로써 기술이전 가속화될 전망

- 경구용 망막질환 치료제 허가를 위한 **FDA 규제 방향성 확인**
- CU060이 First-in-Class 신약으로서 갖춰야 할 **추가적인 연구 목록 확인**
- 미래의 파트너사들이 원하던 답을 얻어, **기술이전 진행이 더욱 가속화 될 것**
- 글로벌 제약사들과 **연이어 미팅 결과를 업데이트**할 예정



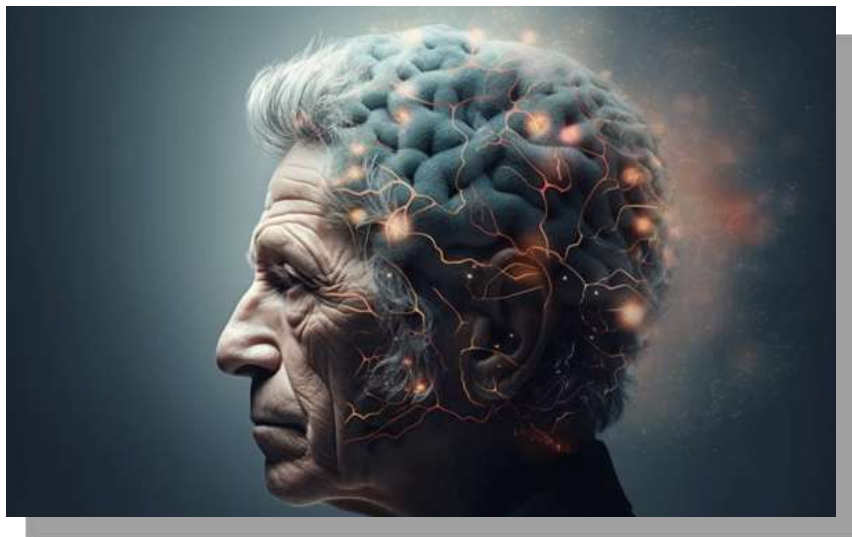
3. 핵심 파이프라인 현황_CU06 2b상

CU06 향후 계획 : 연내 임상2b상 진입 목표

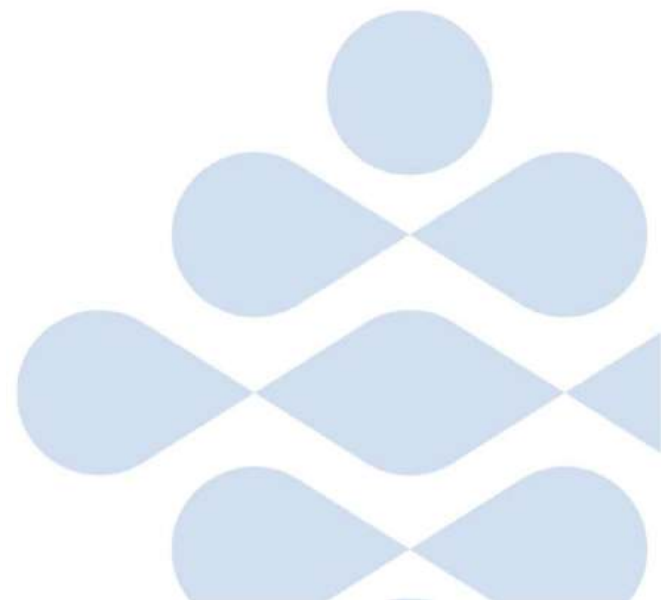
임상 일정	Type C 미팅 글로벌 파트너사 의견 반영 및 임상 Protocol 확정 FDA와 SPA* 협의 후 임상2b상 IND 신청 ※ FDA 일정, 글로벌 파트너사 미팅에 따라 가변적
신규제형	Feasibility batch(non-GMP) 생산, CTM batch (GMP) 생산
기초연구	FDA가 권고한 연구 및 혈관내피기능장애 관련 기초연구 지속
사업화	원 패키지 기술이전 (CU06, CU104, CU106) 추진
그 외	폐아 오픈이노베이션을 상대로 한 국제중재 진행 중

* SPA : Special Protocol Assessment. 임상 시험의 설계, 목표, 분석 방법 등이 FDA의 기대와 요구 사항을 충족하는지 사전에 확인하는 제도

NEW



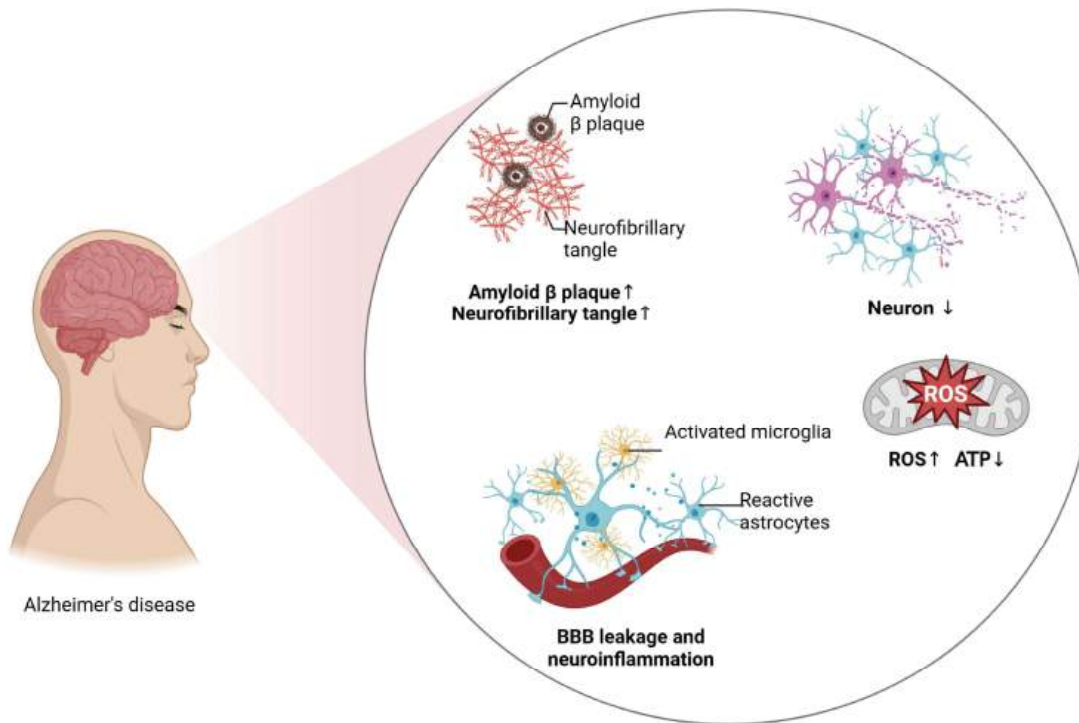
퇴행성 뇌질환 치료제 **CU71**



3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

알츠하이머 : 다양한 인자들에 의해 영향을 받고 정확한 병리기전 밝혀지지 않음

● 현재까지 알려진 병리기전¹⁾



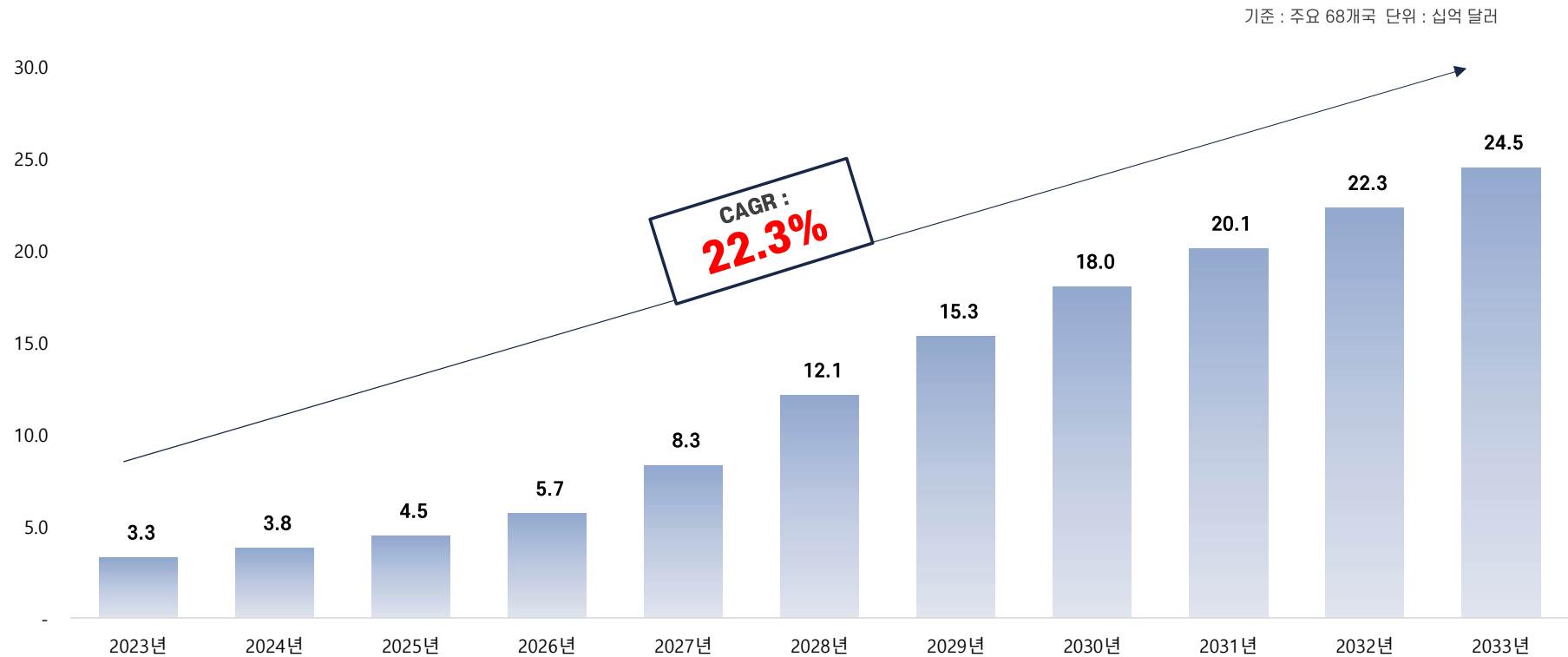
- 아밀로이드 베타(A β) 플라크 축적
- 타우 단백질의 과인산화
- 신경세포(Neuron) 손상
- 신경 염증
- BBB 기능장애
- 활성산소(ROS) 생성 증가 & 에너지 공급 감소 등

1) <https://doi.org/10.3389/fnagi.2024.1444716>

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

폭발적으로 성장하는 알츠하이머 시장 : 2033년 245억 달러 (한화 35조 원)

알츠하이머 치료제 시장규모¹⁾



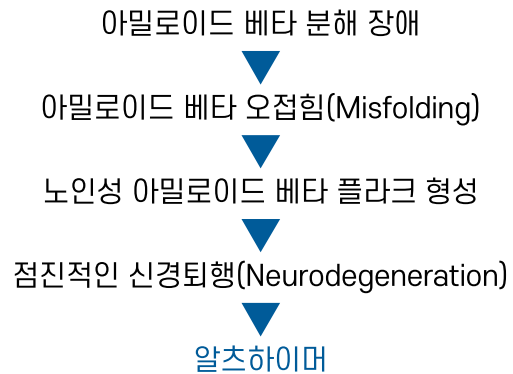
1) Global Data 68-Market Analysis and Sales Forecast (2024),

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

알츠하이머 관련 학설¹⁾ : 아밀로이드 가설과 혈액순환 가설

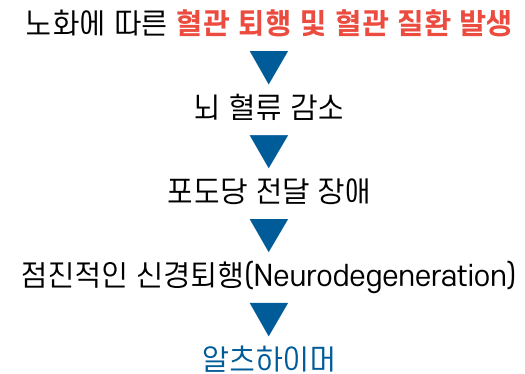
아밀로이드 가설

아밀로이드 전구체 단백질(APP)의 과발현이 알츠하이머의 주 원인



혈액순환 가설

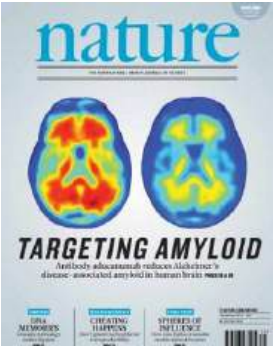
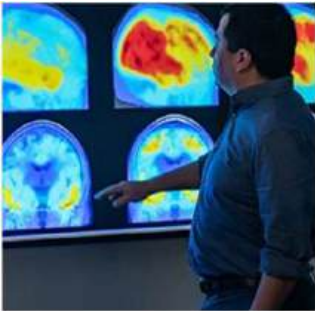
노화와 관련된 혈관내피기능장애가 알츠하이머의 주 원인



1) Am J Cardiovasc Dis 2013;3(4):197-226.

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

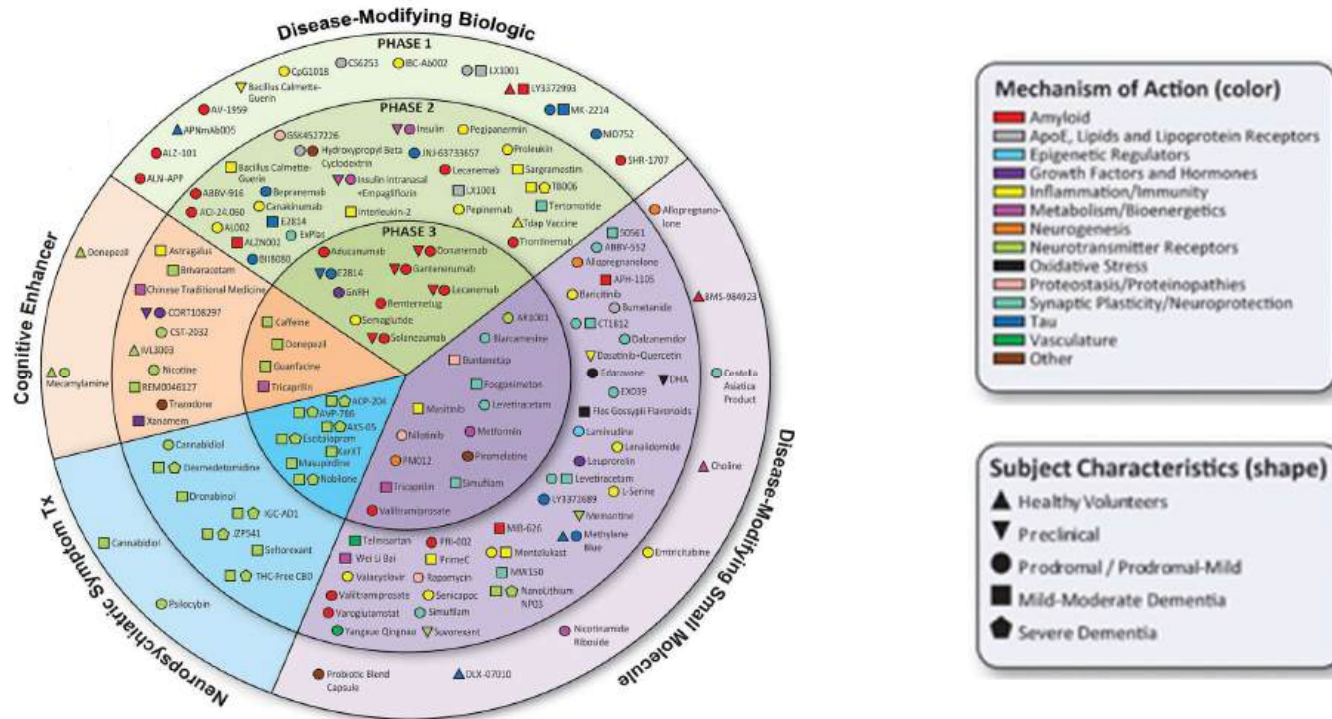
아밀로이드 베타 타깃 약물 개발 현황

2000년대	2021년	2022년	2023년	2024년	현재
					
아밀로이드 베타 가설 대두되며 아밀로이드 베타 타깃 치료제 본격 개발¹⁾	아밀로이드 베타 항체 애드유헬름 (Aducanumab) FDA로부터 가속 승인 받았으나 효능, 부작용 논란으로 판매 중단	네이처지 게재 논문 데이터 조작으로 판명. 2024년 논문 철회	아밀로이드 베타 항체 레캠비 (Lecanemab) 발매	아밀로이드 베타 항체 키순라 (Donanemab) 발매	제한적인 임상 효능 및 부작용(ARIA 부작용)*에 대한 우려, 고비용 등으로 신규 치료제에 대한 미충족 수요 높음

1) The Lancet Commissions Volume 404, Issue 10452 p572-628 *ARIA 부작용 : ARIA-E(Edema, 부종) 및 ARIA-H(Hemorrhage, 미세출혈) 등 아밀로이드 관련 영상 이상(Amyloid-Related Imaging Abnormalities)

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

많은 약물들이 개발 중¹⁾이지만, 여전히 1996년 발매된 약물이 가장 널리 사용 중*

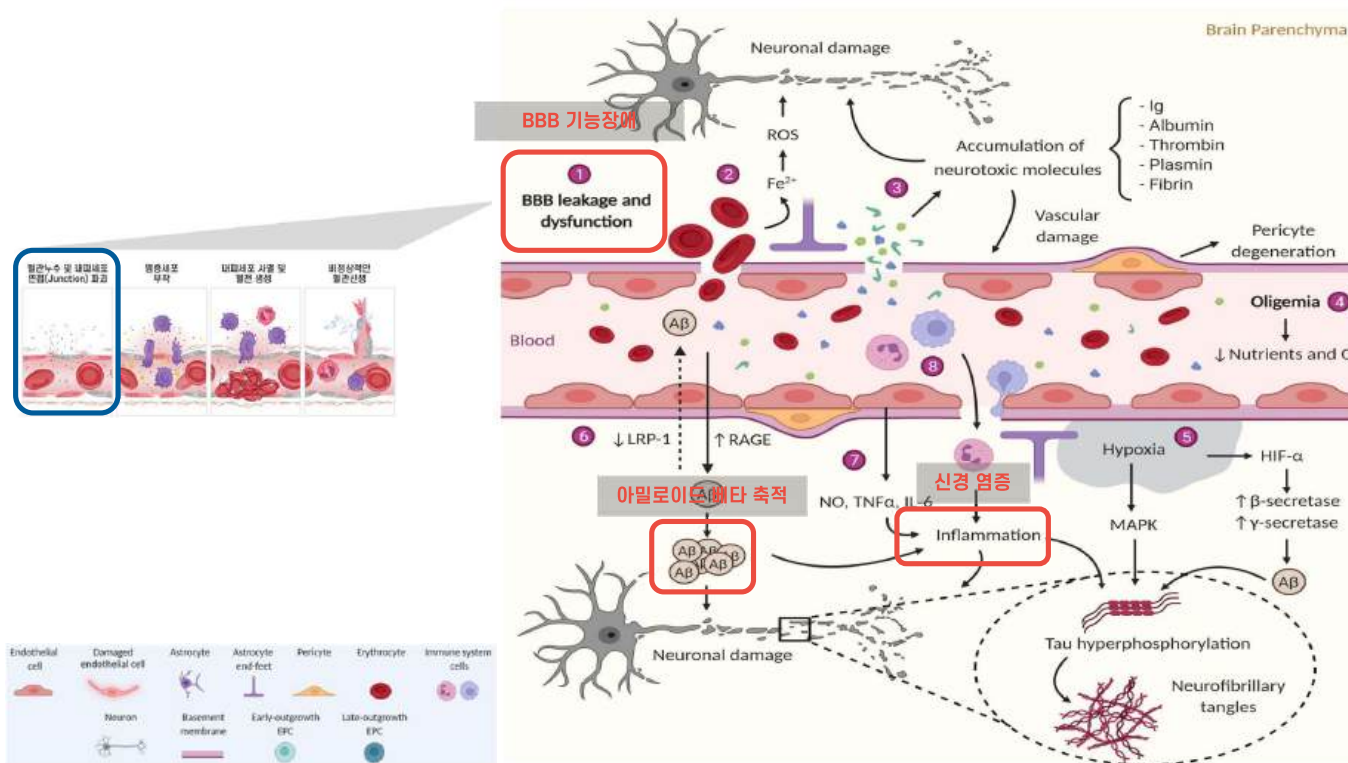


1) <https://doi.org/10.1002/trc2.12465> 2) 예자이 아리셉트 (Donepezil). Unit 단위

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

BBB 기능장애 & 신경 염증 : 알츠하이머의 발병 요인이자 악화 요인

알츠하이머 뇌 모세혈관¹⁾



1) Front Aging Neurosci. 2022 Jan 26;13:811210. Brain Parenchyma : 뇌 실질 (조직) Oligemia : 빈혈 (혈류 감소) Hypoxia : 저산소증 Tau hyperphosphorylation : 타우 단백질 과인산화 Neurofibrillary tangles : 신경섬유 엉킴

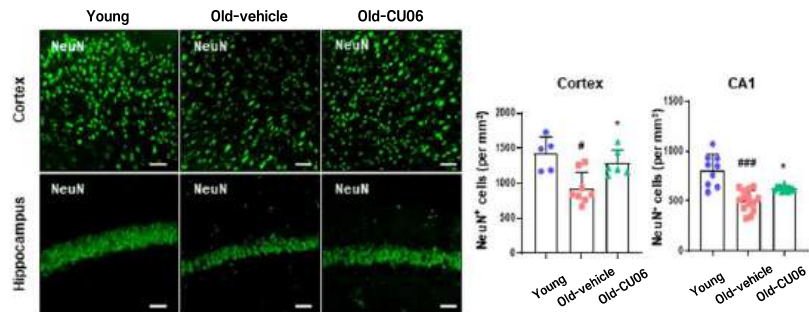
3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

CU71 개발 배경 : 혈관내피기능장애 차단제로 뇌에서의 신경 보호 효과 확인

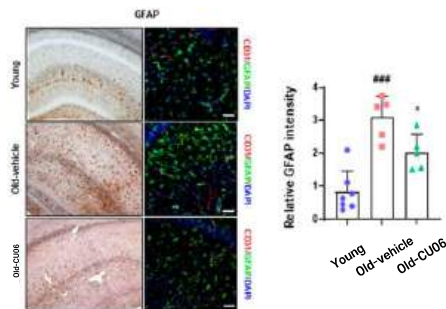
노화 동물모델 실험

노화 동물모델에서 혈관내피기능장애 차단제 (CU06)의 효능을 확인함

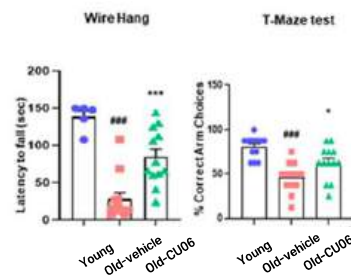
신경세포 손실을 완화



신경 염증 개선효과 확인



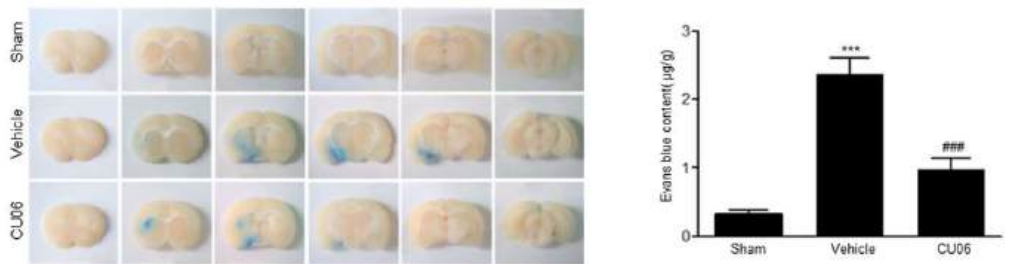
인지기능 개선 효과 확인



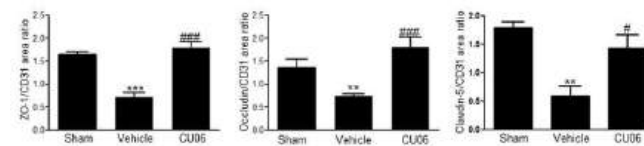
뇌졸중 동물모델 실험

뇌졸중 모델에서 신경 보호 효능을 확인함

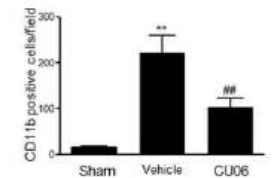
혈관누수 억제 확인



Tight junction(내피세포 간 접합) 유지 확인



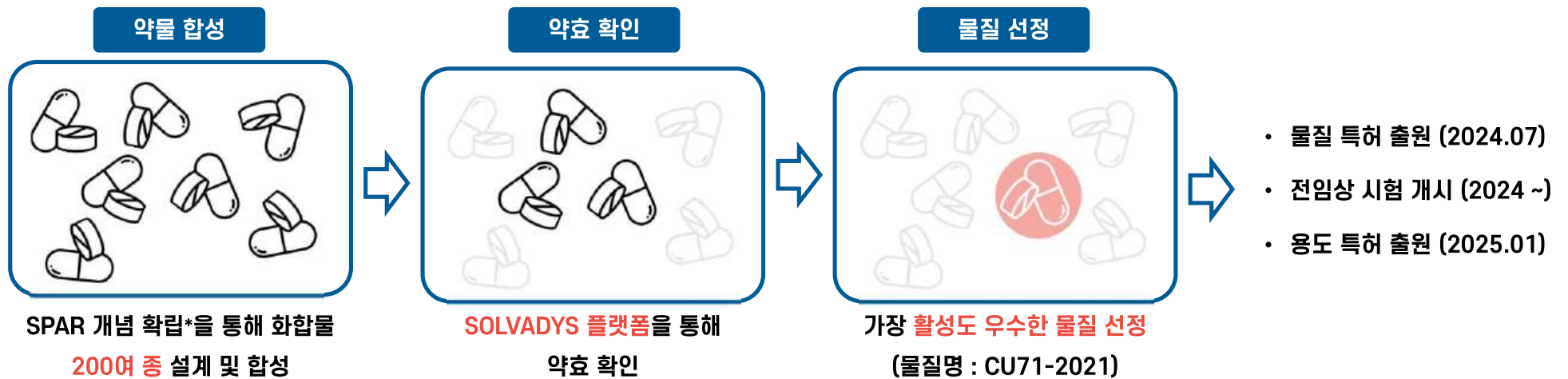
신경염증 감소 효과 확인



Data on file. CURACLE Cortex : 대뇌 Hippocampus : 해마 NeuN : 신경세포 Wire Hang : 운동능력 테스트 T-Maze test : 미로 테스트

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

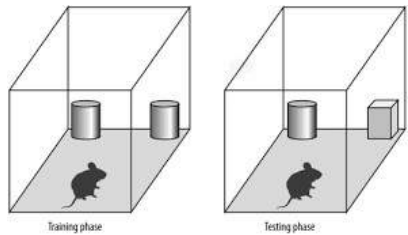
솔바디스 플랫폼을 통해 차세대 혈관내피기능장애 차단제 (CU71) 발굴



3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

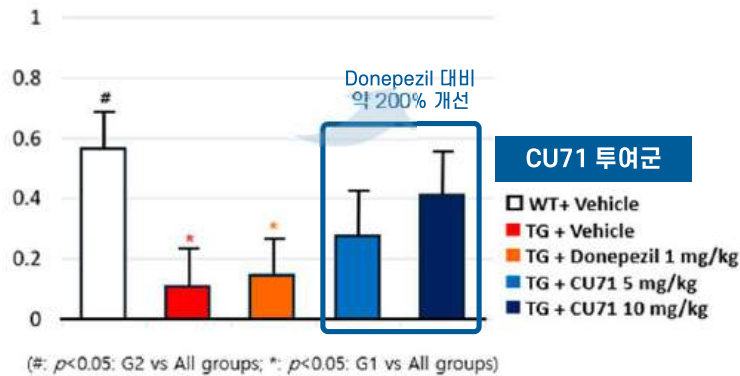
기존 치료제 Donepezil* 대비 우수한 인지기능 개선 효과 확인

● 물체 인지 실험

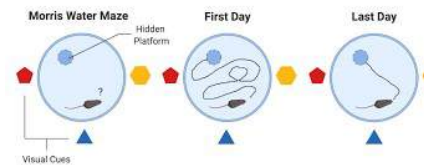


대상 모델 : 5xFAD 모델**

실험 방법 : 학습을 통해 두 물체를 익숙하게 한 뒤, 두 물체 중 하나를 새로운 물체로 바꾼 뒤 인지 능력 확인. 알츠하이머 등으로 기억력이 손상되면 인지 능력이 저하됨

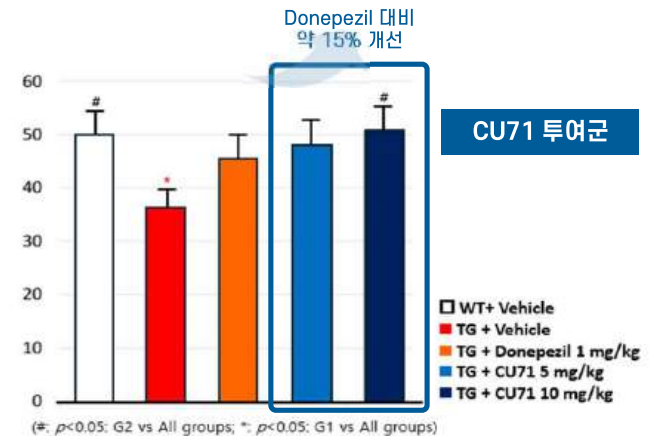


● 수중 미로 실험



대상 모델 : 5xFAD 모델

실험 방법 : 공간학습 및 기억력을 평가하기 위해 수중 미로 측정 장치를 이용해 5일간 수조에서 플랫폼 위치를 기억하게 훈련. 6일째 플랫폼을 제거하고 플랫폼 위치를 기억하는지 확인



- Donepezil 투여군은 정상군보다 인지기능 유의하게 저하
- CU71 투여군은 새로운 물체 탐구하는 변별력 증가

- CU71 투여군은 정상군 수준으로 장기 기억력 개선
- Donepezil 투여군 대비 우수한 인지기능 개선 효과 확인

Data on file. CURACLE * Donepezil : 가장 널리 사용되는 경구용 알츠하이머 치료제 (제품명 : 아리셉트) ** 5xFAD 마우스 모델 : 알츠하이머 연구에서 널리 사용되는 대표적인 유전자 편집 동물모델로 인간에서의 병리와 매우 유사한 특징을 나타냄 (The 5XFAD model license is owned by Northwestern University). WT : Wild Type TG : Transgenic

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

기존 치료제들과 차별화된 기전으로 새로운 치료 패러다임 가져올 것

CU71

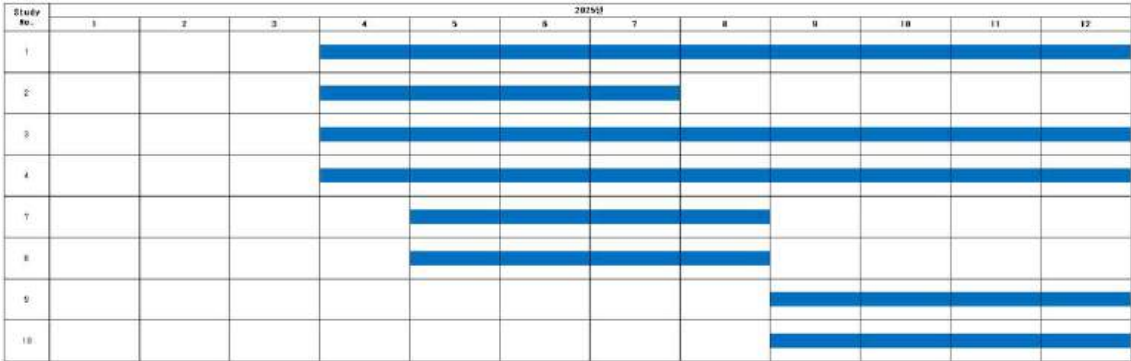
- **BBB 기능장애 & 신경 염증을 개선하는 First-in-Class 신약**
- Donepezil 대비 우수한 인지기능 개선효과 확인 (비임상)
- 아밀로이드 베타 축적 감소 효과 확인 (비임상)
- 경구용 약물로 항체 치료제 대비 복용이 편리할 것
- 새로운 치료개념의 약물로 기존 치료제를 대체하거나 병용으로 사용될 것

기존 치료제

	콜린에스테라이스 억제제 (Cholinesterase Inhibitor)	아밀로이드 베타 항체
계열		
투여 경로	경구제 (or 패취제)	주사제
주요 제품	아리셉트 (Donepezil), 엑셀론 (Rivastigmine), 레미닐 (Galantamine) 등	레캠비 (Lecanemab), 키순라 (Donanemab)

3. 핵심 파이프라인 현황_CU71

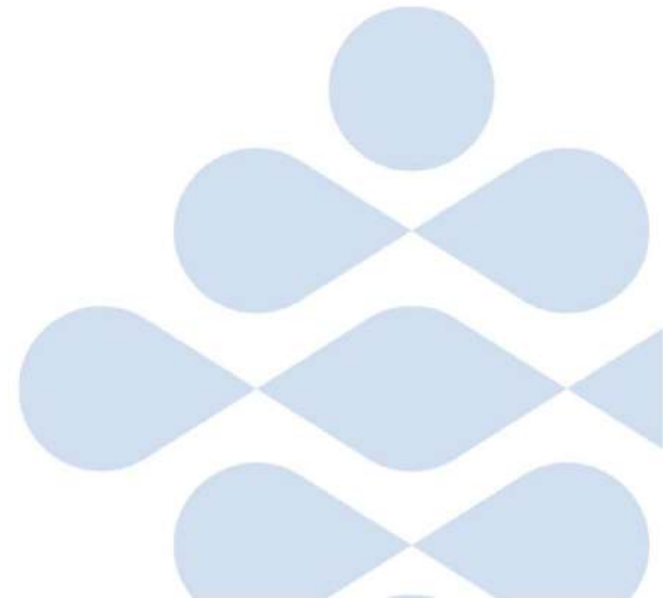
CU71 향후 계획 : 26.1H 임상1상 진입

비임상	- In vivo 동물모델에서 PK 분석 - 알츠하이머병 동물모델에서 추가 유효성 평가 분석 등 
학회	AAIC 2025 (Alzheimer' association international conference) 및 주요 학회에서 비임상 결과 발표 계획
임상	- 비임상 시험 진행 후 연내 FDA Pre-IND 미팅 신청 26.1H 내 임상1상 진입 목표
사업화	비임상 단계에서 기술이전 추진



신기능을 개선하는 차별화된 치료제

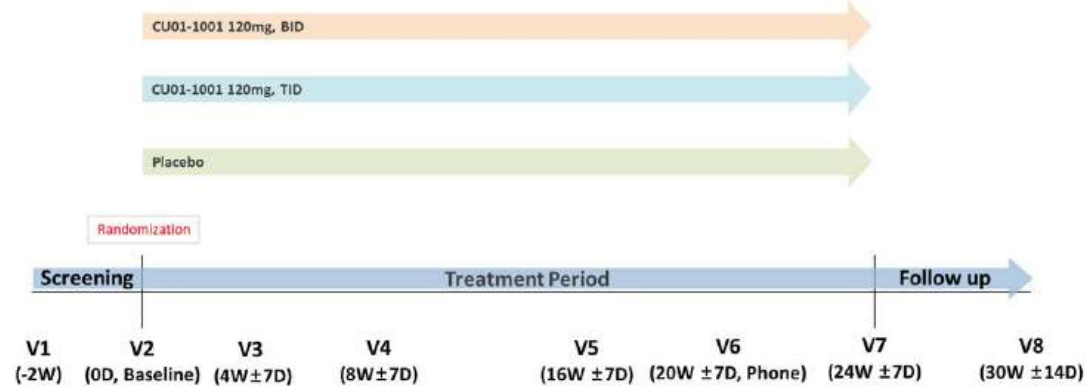
CU01



3. 핵심 파이프라인 현황_CU01

Latest update on CU01

임상2b상 환자 모집 **100%** 완료 (241명 / 240명)

일정	• 2022.07 IND 승인 • 2023.03 첫 환자 등록 • 2025.4Q 중 임상 종료 예상
실시기관 및 대상자	• 서울대학교병원, 서울성모병원, 삼성서울병원, 세브란스병원 등 전국 24개 대학병원 • 당뇨병성 신증 환자 240명
투여군	• CU01 저용량(240mg) / CU01 고용량(360mg) / 위약(Placebo) 각 80명씩 24주간 투여
임상 디자인 ¹⁾	 The diagram illustrates the clinical trial timeline. It begins with a Screening phase (V1 at -2W) leading into a Treatment Period (V2 at 0D Baseline to V7 at 24W ± 7D). The Treatment Period is divided into three arms: CU01-1001 120mg BID (orange), CU01-1001 120mg TID (blue), and Placebo (green). A Follow up phase follows (V8 at 30W ± 14D). A Randomization point is marked at V2. The timeline is marked with visits V1 through V8 with their respective time points.
일차 평가지표	• 투여 24주차에서의 uACR 변화량

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05718375

3. 핵심 파이프라인 현황_CU01

CU01 : 세계 최초로 eGFR* 유지 및 개선 효과를 기대할 수 있는 차별화된 치료제

CU01 Profile

[성분명]

- 디메틸푸마르산염 (DMF, Dimethyl Fumarate)**

[약물 기전]

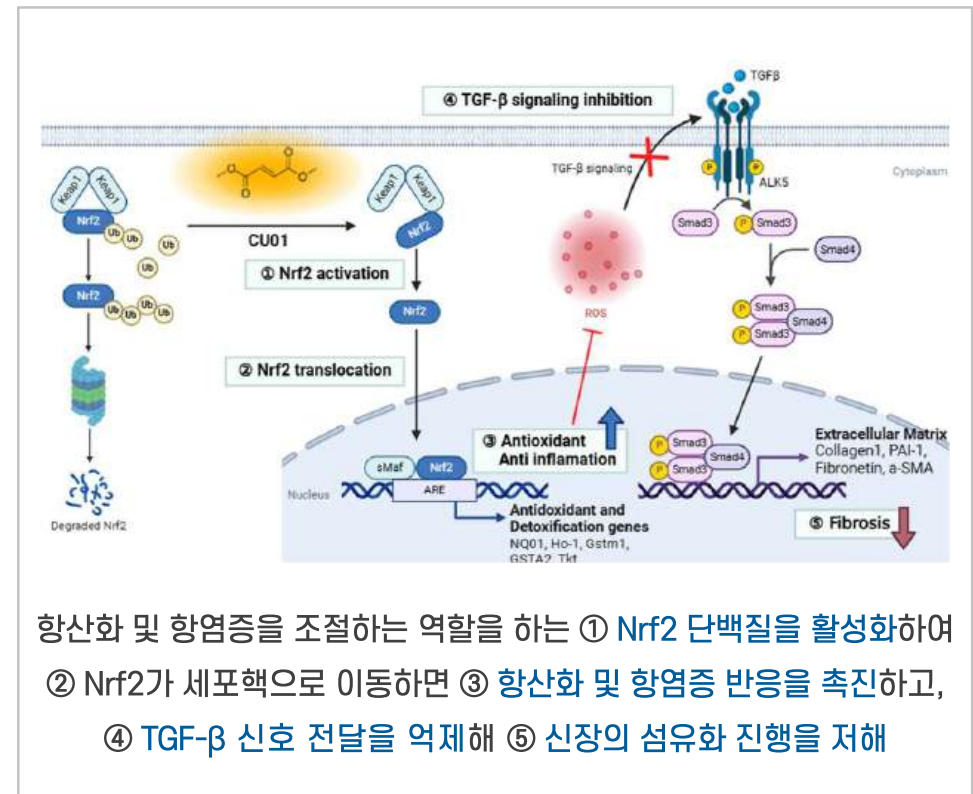
- Nrf2 Activator

[특징]

- 임상2a상 6주차부터 **eGFR 변화량 개선, 12주 시점까지 eGFR 증가 지속**
- 임상2a상 CU01 투여군에서 Baseline 대비 12주차 **uACR 값 통계적으로 유의하게 감소(p=0.0441)**시켜 당뇨병성 신증 진행을 억제하는 것 확인

[개발 단계]

- 국내 당뇨병성 신증 임상2b상 진행 중 (**환자 모집율 100%****)

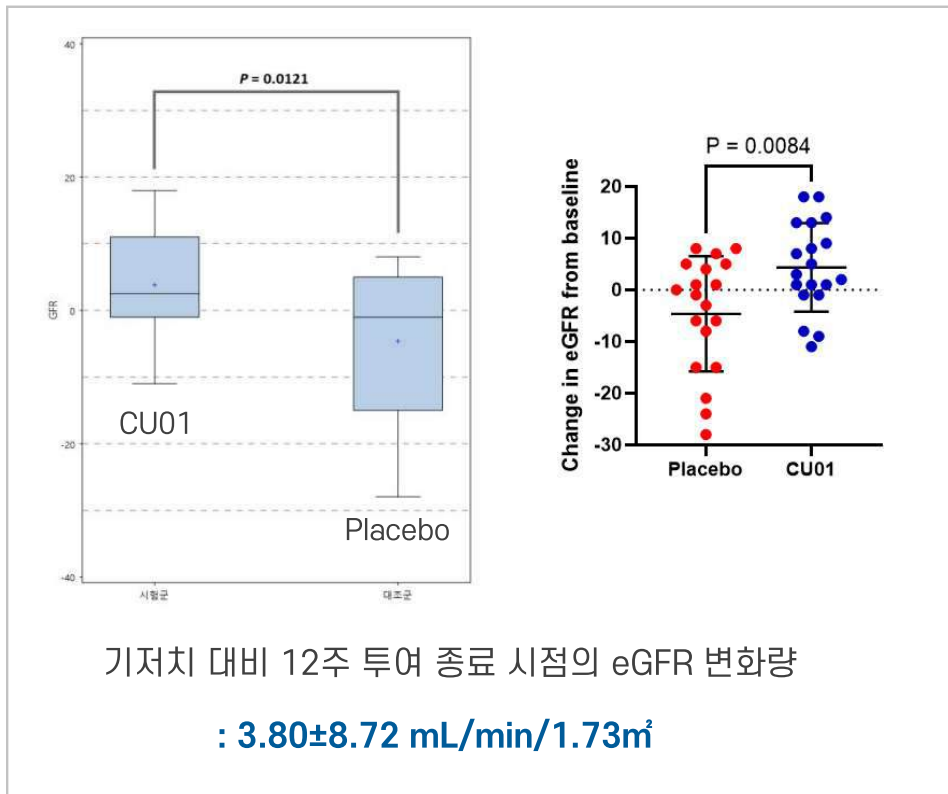


항산화 및 항염증을 조절하는 역할을 하는 ① Nrf2 단백질을 활성화하여
 ② Nrf2가 세포핵으로 이동하면 ③ 항산화 및 항염증 반응을 촉진하고,
 ④ TGF-β 신호 전달을 억제해 ⑤ 신장의 섬유화 진행을 저해

* eGFR : 추정사구체여과율. 신장의 사구체에서 혈액이 여과되는 속도를 추정하여 신장 기능을 평가하는 지표 ** 다발성 경화증 치료제인 테피데라 Drug Repositioning 약물 *** 2025년 04월 기준

3. 핵심 파이프라인 현황_CU01

임상2a상에서 eGFR* 변화량 개선 확인. 투여군 간 유의한 차이 보임



비교	CU01	Placebo
N	20	19
Mean eGFR_Baseline	60.60	68.05
Mean eGFR_Week 12	64.40	63.42
Change at Week 12 from Baseline	3.80	-4.63
변화량 군내 P-value	0.0663	0.0867
변화량 군간 P-value	0.0121	

“CU01의 12주 eGFR 변화 결과는 **1.5년 정도의 사구체여과율 감소회복으로, 임상적으로 고무적인 결과라고 사료**”

“사구체여과율의 감소를 늦추는 것만으로 굉장히 좋은 약제. 따라서 **증가시킨다는 것에 더 큰 의미** 둘 수 있음”
- 신장내과 임상 전문의 의견서¹⁾ -

* eGFR : 추정사구체여과율. 신장의 사구체에서 혈액이 여과되는 속도를 추정하여 신장 기능을 평가하는 지표 1) 순천향대학교 부속 천안병원 신장내과 이은영 교수

3. 핵심 파이프라인 현황_CU01

동일기전 약물의 대규모 선행 연구에서도 신기능 개선효과 입증

비고	Drug A (Nrf2 Activator)*		CU01 (Nrf2 Activator + TGF-β Signaling Pathway Inhibitor)	
임상단계	Phase 2	Phase 3	Phase 2a	Phase 2b
대상 환자	당뇨병성 신증	당뇨병성 신증	당뇨병성 신증	당뇨병성 신증
환자수 (명)	227	2,185	40	240
임상 기간	52 weeks	52 weeks	12 weeks	24 weeks
Inclusion criteria of eGFR (ml/min/1.73m2)	20-45	15-30	30-89	25-75
eGFR change from baseline (ml/min/1.73m2)	+5.8, 10.5, 9.3 (52w)	+5.5 (52w)	+3.8 (12w)	Trial Ongoing

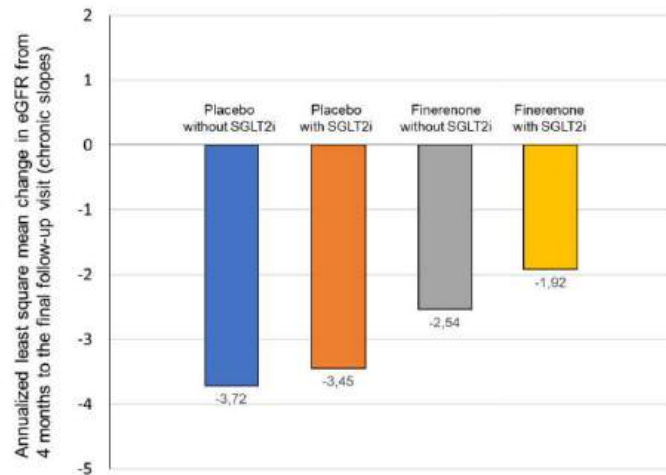
* Bardoxolone methyl : 심혈관계 부작용으로 인해 2023년 임상 중단

3. 핵심 파이프라인 현황_CU01

신장기능 평가의 주요지표인 eGFR을 유지 또는 개선하는 치료제 현재 없음

● 케렌디아* 임상3상 분석

만성신부전으로 허가받은 치료제와 병용 시에도 eGFR 감소 지연에 그침¹⁾



● CU01 vs. 케렌디아

eGFR 감소 속도가 느릴수록 말기 신부전 발생 위험이 유의하게 낮아짐²⁾

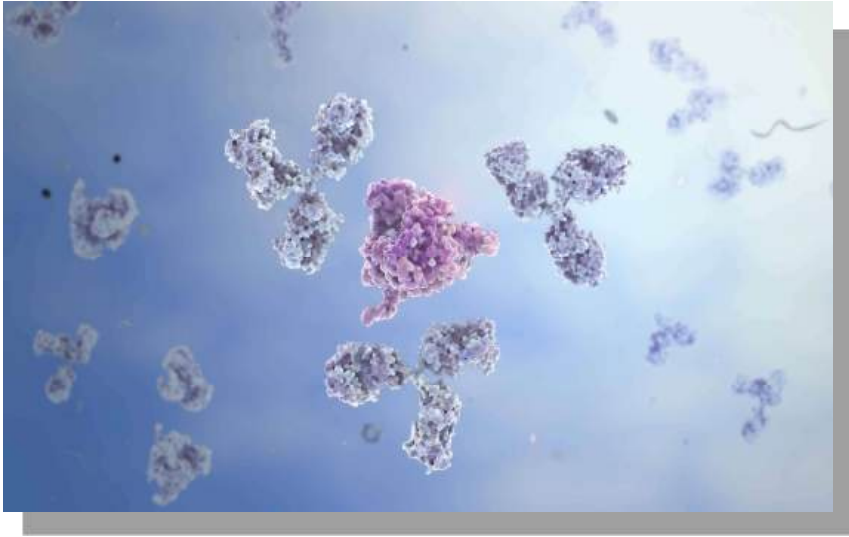
-300만 명 이상 Data 메타 분석 결과-

구분	CU01	케렌디아
MOA	Nrf2 Activator	비스테로이드성 MR 길항제 (MRA)
효능	- uACR 감소 - eGFR 유지 또는 개선 (임상2a상)	- uACR 감소 - eGFR 감소 지연

- 임상2b상에서도 유사한 결과 나올 경우, **eGFR을 유지 및 개선하는 유일한 치료제로 주목받을 것**
- 임상2b상 결과를 토대로 **기술이전** 추진

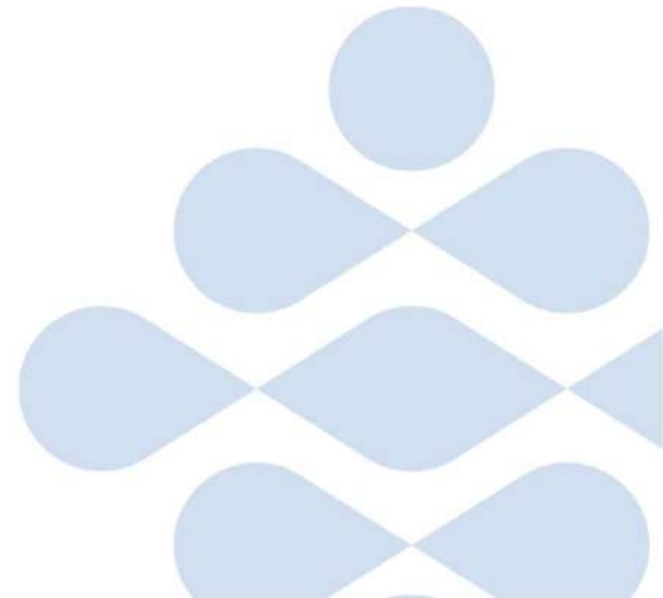
* 케렌디아 : 바이엘에서 개발한 당뇨병성 신증 치료제 (성분명 : Finerenone) 1) Clinical Kidney Journal, 2024, vol. 17, no. 1, 1-4 2) J Am Soc Nephrol . 2019 Sep;30(9):1746-1755.

NEW



차세대 항체 치료제

MT-101 · MT-103

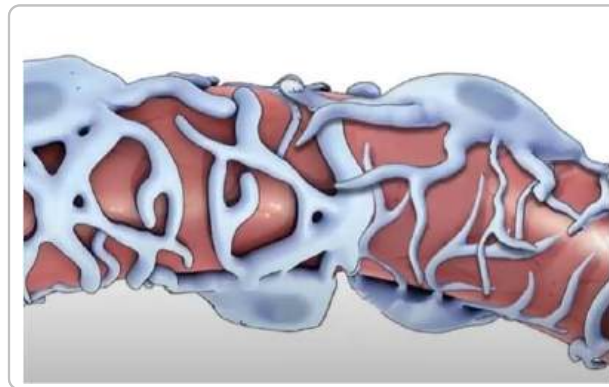
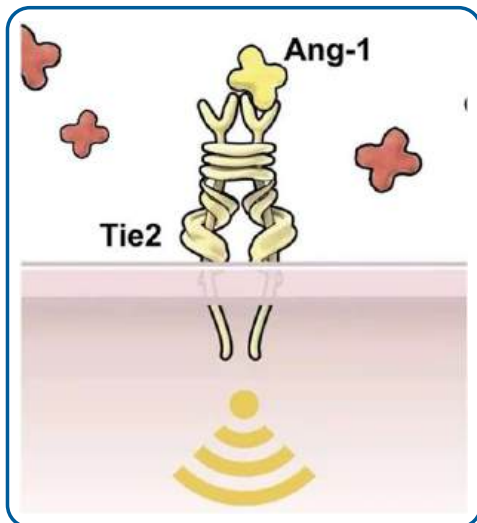


3. 핵심 파이프라인 현황_ MT-101 · MT-103

Tie2 신호전달 경로 : 혈관내피기능장애에 관여

- Tie2 수용체 : 혈관 내피세포 표면에 존재하며 **혈관의 분화, 성장과 안정화를 조절하는** 수용체 단백질
- Ang-1 : Tie2 수용체를 **활성화**하여 **혈관내피세포의 안정성을 유지**하고, 항염증 및 항누수 효능 유도
- Ang-2 : Ang-1의 작용을 억제하는 길항제로, Tie2 수용체 **활성화를 방해**해 **혈관 불안정화 (혈관 신생 및 염증 반응 촉진)**

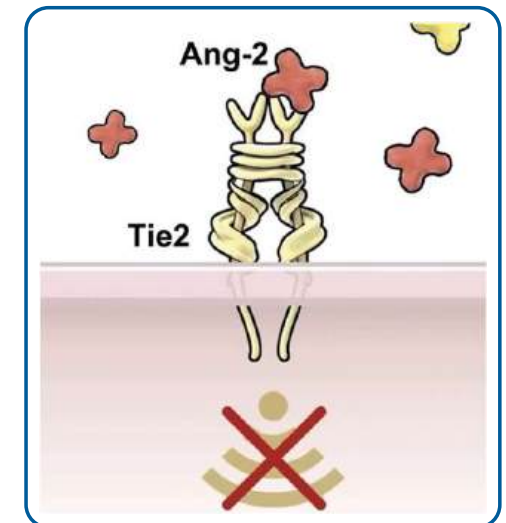
Ang-1가 결합하는 경우 :
Tie2 수용체 활성화



혈관주위세포 (Pericytes) 및 내피세포 결집을 촉진
해 혈관 안정화·정상화



Ang-2가 결합하는 경우 :
Tie2 수용체 비활성화



Tie2 수용체를 직접 활성화 함으로써 Ang-2를 억제하는 것 이상의 효과 기대

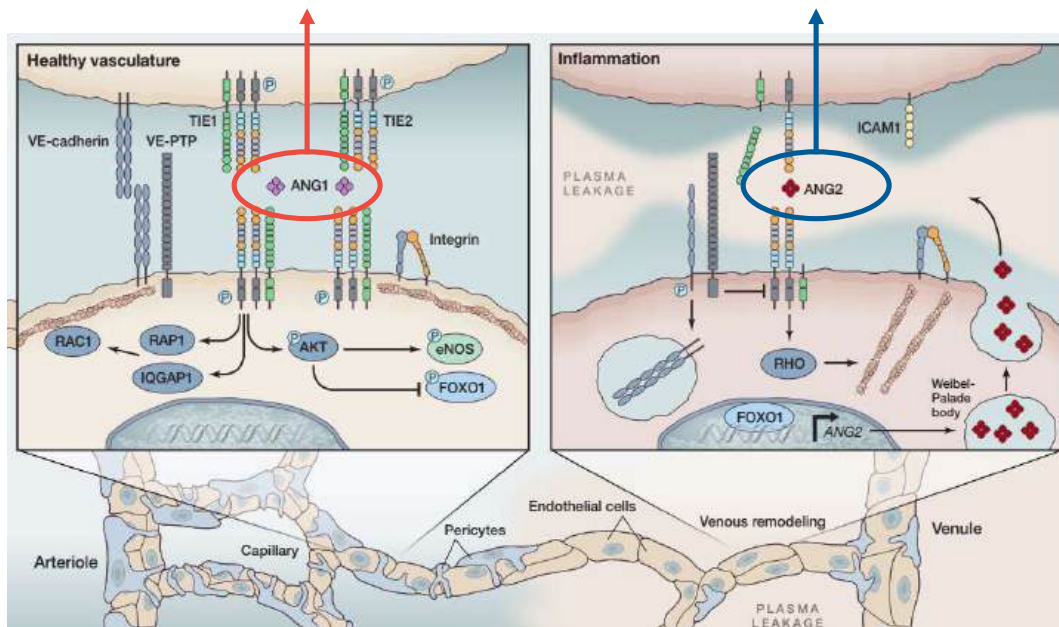
Ang-1/Tie2 신호 전달

- 내피 세포 투과성 유지
- 혈관 안정화/정상화

Ang-1/Tie2의 길항제인 Ang-2

- 혈관 불안정화
- 내피 염증 증가

Tie2 신호전달경로
치료접근 방법



Tie2 신호전달경로를 직접 활성화하는 경우

Ang-1의 역할을 대신 수행하여,
Ang-2가 다수 존재하는 경우에도
Tie2 수용체를 직접 활성화하여
혈관 안정화

➡ 큐라클-맵틱스,
아스텔라스, 제넨텍, 인제니
아, 알토스바이오, 파렙신 등

Ang-2를 억제하는 경우

Ang-2를 억제하여
혈관을 안정화하지만,
Ang-1이 적을 경우 Tie2가 덜
활성화됨

➡ 로슈 바비스모 (Ang-2,
VEGF 이중항체)

3. 핵심 파이프라인 현황_ MT-101 · MT-103

Tie2 활성화 항체 중, 큐라클-맵틱스 항체의 활성도가 가장 우수

현재 개발중인 Tie2 활성화 항체 간
직접 비교 결과¹⁾

항체*	사람 Tie2 신호 전달 활성화	Tie2에 Ang-2 결합 억제	혈관내피세포 생존 활성화
MT-101	●●●●●	●●●●●	●●●●●
Company A	●	●●●●●	●
Company B	●	●	●
Company C	●●●●●	●	●●●●●
Company D	●●●●●	●	●
Company E	●●●●●	●	●●●●●

* 비교를 위해 특허가 공개된 경쟁사 항체 자체 제작

특허 / 참고문헌에 보고된 경쟁사와의
간접 비교 결과

항체	항투과성	동물 모델에서의 치료 효능 (A, B, C, D 질환)
MT-101	●●●●●	A (●●●●●), B (●●●●●), C (●●●●●), D (●●●●●)
Company A	●●	Only binds to human Tie2
Company B	●●●	B (●●)
Company C	-	B (●●●●●)
Company D	-	B (●●●●●)
Company E	-	C (●●●●●)

A : 급성 심근경색, 만성 심부전 B : 망막질환 C : 허혈 D : 당뇨병성 발기부전

1) 맵틱스 내부 자체실험 결과

3. 핵심 파이프라인 현황_ MT-101 · MT-103

First-in-Class 항체 신약 MT-101

MT-101 Profile

[약물 기전]

- 혈관내피손상 억제제 First-in-Class 항체 신약
- Tie2 신호전달 경로를 활성화시켜 혈관 안정화·정상화

[적응증]

- 급성 신손상 (Acute Kidney Injury, AKI), 만성 신부전 (Chronic Kidney Disease, CKD)

[특징]

- 큐라클-맵틱스 항체의 Tie2 활성화도 가장 우수
- 2023년 국가신약개발사업단 (KDFF) 과제 선정

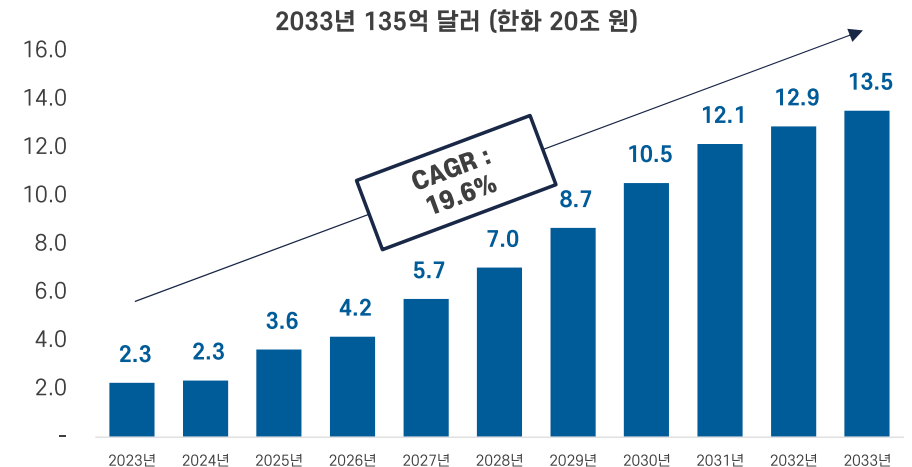
[개발 단계]

- 전임상 진행 중

시장 규모

[만성 신부전]¹⁾

기준 : 선진국 7개국 단위 : 십억 달러



[급성 신손상]²⁾

급성 질환으로 입원한 성인 5명 중 1명 & 소아 3명 중 1명 꼴 발생



1) GlobalData 2) <https://www.transparencymarketresearch.com/acute-kidney-injury-treatment-market.html>

3. 핵심 파이프라인 현황_ MT-101 · MT-103

차세대 이중항체 MT-103

○ MT-103 Profile

[약물 기전]

• Tie2 신호전달 경로 직접 활성화 + VEGF 억제 이중항체 First-in-Class 신약

[적응증]

• 습성 황반변성, 당뇨병성 황반부종, 당뇨 망막병증

[특징]

• Tie2 활성화, VEGF 억제, Ang-2 억제 삼중 기능을 가진 차세대 항체
• 2024년 국가신약개발사업단 (KDFA) 과제 선정

[개발 단계]

• 전임상 진행 중

○ 세대별 항체 치료제

1세대 : Single Action

1. VEGF 억제



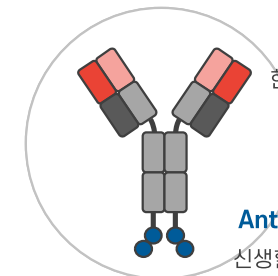
2세대 : Dual Action

1. VEGF 억제
2. Ang-2 억제



3세대 : Triple Action

1. VEGF 억제
2. Ang-2 억제
3. Tie2 직접 활성화



Tie2 활성화 항체

혈관 정상화 / 안정화

현재 개발중인 Tie2 항체 중 가장
우수한 활성화 보유

Anti-VEGF

신생혈관 억제

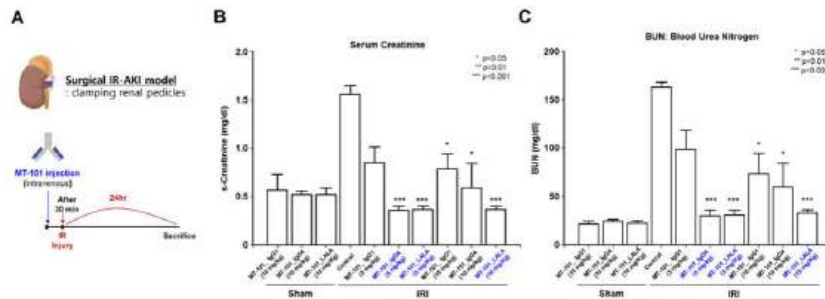
* 항체 모양은 이해를 돕기 위해 임의로 제작되어 실제와 다를 수 있습니다.

Latest update on MT-101 · MT-103

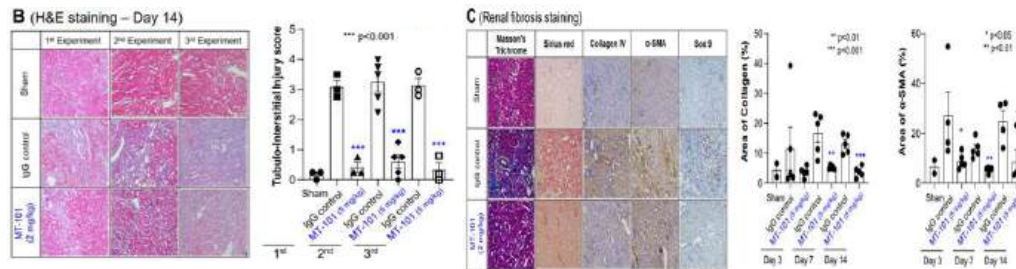
우수한 비임상 데이터 추가 확보 → 파트너링 미팅에서 주목

MT-101 : 급성 신손상, 만성신부전에서 유의적인 효능 검증¹⁾

➢ 급성 신손상에서 Creatinine (B), BUN 수치 (C) 감소



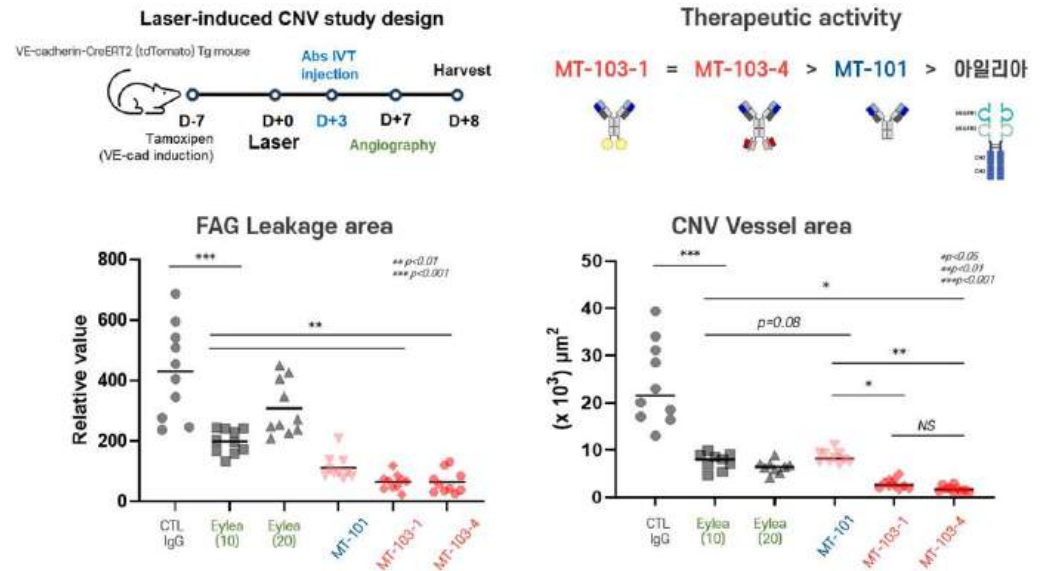
➢ 만성 신부전에서 신장 손상 (B), 신장 섬유화 (C) 유의미하게 억제



MT-103 : 아일리아 대비 우수성 확인²⁾

➢ 혈관 누수 감소 효능 확인

➢ 신생혈관 생성 억제 효능 확인



1) 충남대학교병원 신장내과 연구팀에서 수행 2) 서울아산병원 안과 연구팀에서 수행 (혈관 누수 및 신생혈관 생성 억제가 아일리아 대비 우수한 것 확인) H&E : 핵 및 세포 염색 PAS : 다당류, 점액, 기저막 염색 FAG Leakage area : 혈관 누출 범위 CNV Vessel area : 신생혈관 범위

3. 핵심 파이프라인 현황_ MT-101 · MT-103

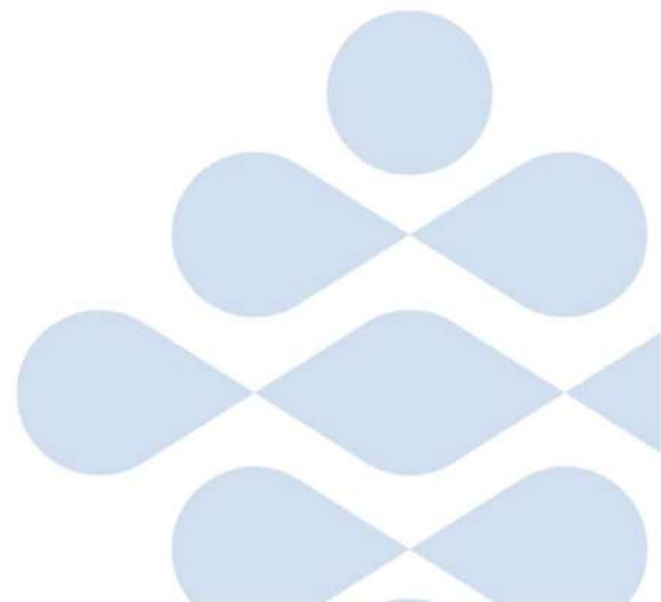
차별화된 경쟁력을 갖춘 항체 파이프라인 발굴·개발 이어갈 것

파이프라인명*	적응증	투여 경로	특장점	개발 현황 (25.04 기준)	기초탐색 연구	전임상	임상1상	임상2상	임상3상
MT-101	급성 심손상, 만성 심부전	주사	- First-in-Class 약물 - 국가신약개발사업단 과제 선정 - Tie2 활성화 항체 개발약물 중 활성화도 가장 우수	- 전임상 진행 중 2023년 KDDF 과제 선정					
MT-103	습성 황반변성, 당뇨병성 황반부종, 당뇨 망막병증	주사	- First-in-Class 약물 - 국가신약개발사업단 과제 선정 - 차세대 이중항체로 경쟁약물 대비 최소 동등 이상의 효과를 보일 것으로 기대	- 전임상 진행 중 2024년 KDDF 과제 선정					
MT-102	중증하지허혈	주사	First-in-Class 약물	전임상 진행 중					
MT-104	고형암	주사	First-in-Class 약물	후보물질 도출단계 (이중항체)					
MT-105	염증성 장질환	주사	First-in-Class 약물	선도물질 도출단계 (삼중항체)					
MT-201	항혈전	주사	- First-in-Class 약물 - Novel Anti-thrombosis	후보물질 도출완료					
MT-202	허혈 재관류 심근경색, 뇌졸중, 폐혈전증	주사	- First-in-Class 약물 - Novel Anti-thrombosis X Tie2	후보물질 도출완료 (이중단체)					
MT-40X	고형암	주사	First- & Best-in-Class 약물	유효물질 도출단계					



반려동물 신장질환 치료제

CP01-R01



3. 핵심 파이프라인 현황_CP01-R01

CP01-R01 임상3상시험 계획 승인 (25.01) / 개시미팅 진행 (25.03)



2025.01.20

“큐라클, CP01-R01 반려견 만성신장질환 임상3상 계획 승인”



2025.03.21

반려동물 만성신장질환 치료제 ‘CP01-R01’ 임상 3상 개시 미팅 성료

인의약품 ‘CU06’의 반려동물 의약품 확장 파이프라인

큐라클 반려동물 만성신장질환(CKD) 치료제로 개발중인 ‘CP01-R01’ 임상3상 시험계획이 농림축산검역본부의 승인을 받았다고 20일 밝혔다.

CP01-R01은 노화, 만성질환, 감염 등으로 인해 손상되거나 비정상적인 혈관을 정상화해 난치성 질환을 치료하는 혈관내피기능장애 차단제로, 인의약품 ‘CU06’의 반려동물 의약품 확장 파이프라인이다. 큐라클은 인의약품 분야에서 혈관내피기능장애 차단제를 망막질환, 알츠하이머 등 다양한 난치성 질환 치료제로 개발하고 있다.

큐라클은 2023년 안전성평가연구소와 기술계약을 체결한 이후, 국가과제로 CP01-R01의 개발을 진행해왔다. 지난해 총 238억 원 규모의 사업비가 투입되는 ‘지역혁신 메가프로젝트 사업단’이 출범한 후 양측은 더욱 긴밀한 협력을 통해 반려동물 의약품 공동 개발에 박차를 가하고 있다.

이번 임상3상은 국내 30여 개 동물병원이 참여하며, 만성신장질환을 앓고 있는 반려견 60마리를 대상으로 12주간 CP01-R01과 위약을 각각 경구투여해 신장치료 효과 및 안전성을 평가할 예정이다.



큐라클 임상개발본부의 CP01-R01 소개 세션(가좌=큐라클)

【뉴시스=김용민 기자】난치성 혈관질환 특화기업 큐라클(대표이사 유재현)은 반려동물 만성신장질환 치료제 ‘CP01-R01’의 임상 3상 개시미팅을 20일 개최했다고 밝혔다.

전주에서 열린 이번 미팅에서는 CP01-R01 임상을 수행하는 연구자 및 관계자 30여 명이 참석해 임상시험의 전 반적인 진행 계획을 공유하고, 임상 프로토콜 및 절차를 최종 점검하는 시간을 가졌다. 또한 경상대 수의과대학 유도 현 교수가 ‘간과하지 말아야 할 반려동물 신장질환’이란 주제로 강연을 진행했다.

CP01-R01은 혈관내피기능장애 차단제인 의약품 ‘CU06’의 반려동물 확장 프로젝트로, ‘안전성평가연구소 메가프로젝트 사업단’과 함께 국가과제로 개발 중인 만성신장질환 신약 후보물질이다.

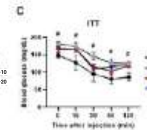
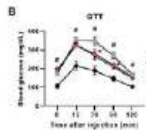
3. 핵심 파이프라인 현황_CP01-R01

동물모델 실험에서 신장기능 개선, 항염증 및 항섬유화 효능 확인

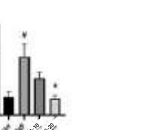
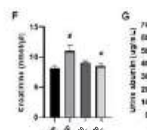
CKD** 동물모델 실험

➢ 인슐린 저항성 및 신장기능 개선, 항염증 및 항섬유화 효능 확인

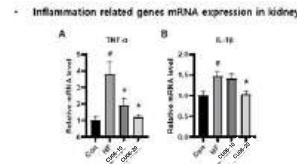
Improved insulin resistance



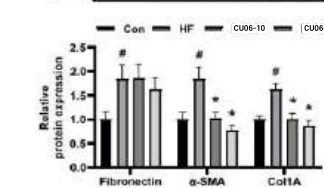
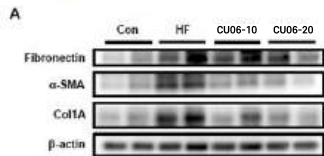
Improved kidney function



Anti-inflammatory effects



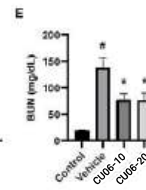
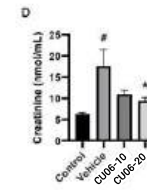
Anti-fibrosis effects



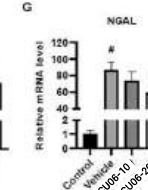
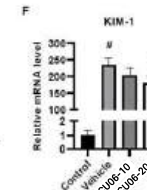
AKI*** 동물모델 실험

➢ 신장기능 개선, 항염증 및 항섬유화 효능 확인

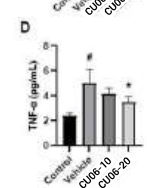
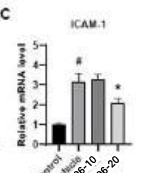
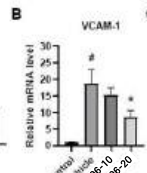
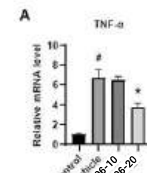
Improved kidney function



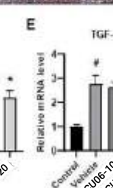
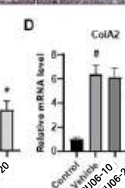
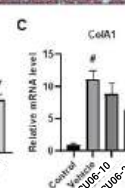
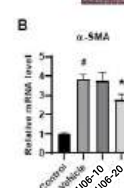
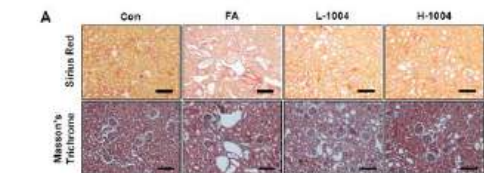
Decreased AKI biomarkers



Anti-inflammatory effects



Anti-fibrosis effects

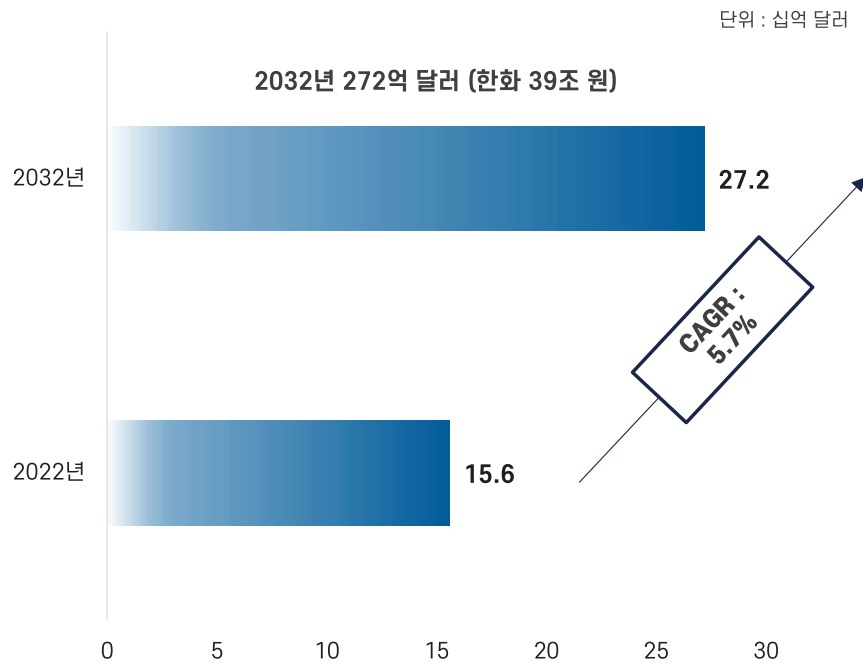


Data on file. CURACLE * POC Study : 신약 후보 물질의 기전 검증과 초기 유효성을 평가하는 임상시험 ** CKD : 만성신부전 *** AKI : 급성신손상 Con : Control HF : High Fat Induced Model FA : Folic Acid CU06-10 : 10mg/kg CU06-20 : 20mg/kg

3. 핵심 파이프라인 현황_CP01-R01

반려동물 난치성 질환에 대한 치료제 개발 · 사업화 이어갈 것

○ 글로벌 반려동물 의약품 시장¹⁾



○ 큐라클 파이프라인

파이프라인명	적응증	파트너	비고
CP01-R01	반려동물 만성신장질환	안전성평가연구소	사업화 추진 중
CP01-R02 (신물질)	탐색 중	안전성평가연구소 (예정)	
CP01-R0X (신물질)	탐색 중	탐색 중	

1) Spherical Insights & Consulting

Take-Away

파이프라인명	2024년 상반기	2025년 상반기
CU06 (망막질환)	당뇨병성 황반부종 임상2a상 CSR 발표	- 주요 망막학회 임상 결과 발표 (24년 하반기) - 흡수율 2배 개선된 신규제형 개발 (24.11) - 시력개선 메커니즘 규명 (25.02) - FDA Type C 미팅 통해 개발전략 확립 (25.02)
CU71 (퇴행성뇌질환)	후보물질 도출 단계	- 물질 특허 출원 (24.07) - 알츠하이머 용도 특허 출원 (25.01) - 전임상에서 아리셉트 대비 우수한 효능 확인 (25.02)
CU01 (당뇨병성 신증)	의료대란으로 임상2b상 환자모집 난항	임상2b상 환자 모집 완료 (25.04)
MT-101 (신장질환)	항체 전문기업 맵틱스와 MOU 체결 (23.06)	- 맵틱스와 항체 공동연구개발 계약 체결 (24.07) - 충남대병원에서 우수한 전임상 효능 확인 (24.11) - 국내 물질특허 및 PCT 특허 출원 (25.02)
MT-103 (망막질환)		- 국가신약개발사업 (KDDF) 과제 선정 (24.06) - 맵틱스와 항체 공동연구개발 계약 체결 (24.07) - 서울아산병원에서 아일리아 대비 우수한 전임상 효능 확인 (24.11) - 국내 물질특허 및 PCT 특허 출원 (25.02)
신사업	탐색 단계	매출 95억 규모의 원료의약품 개발, 수입 및 유통 기업 합병 (25.03)

유상증자 진행상황

○ 개요

- 이사회 결의일 : 2025.05.16
- 공모방법 : 주주배정 후 실권주 일반공모
- 발행주식수 : 7,000,000주
- 조달금액 규모 : 약 286억 원
- 주관사 : 한양증권
- 인수사 : 삼성증권
- 인수방법 : 최종실권주 잔액인수

○ 주요 일정 (E)

일자	절차	내용
05/16	이사회 결의	
05/22	증권신고서 제출	
06/23	1차 발행가액 결정	
06/26	신주배정기준일 (주주확정일)	06/25 권리락 (신주배정기준일 전일)
07/08	신주배정 통지	신주배정통지서, 투자설명서 발송
07/15-21	신주인수권증서 상장 및 매매기간	
07/30	2차 발행가액 결정	
07/31	발행가액 확정	확정발행가 = Max[Min(1차 발행가, 2차 발행가), 청약 3~5 영업일 전 가중평균주가 60%]
8/4-5	구주주 청약	
8/7-8	실권주 일반공모 청약	
8/12	주금납입, 증권발행실적보고서 제출	
8/26	유상신주 상장	