



Investor Relations 2021

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO

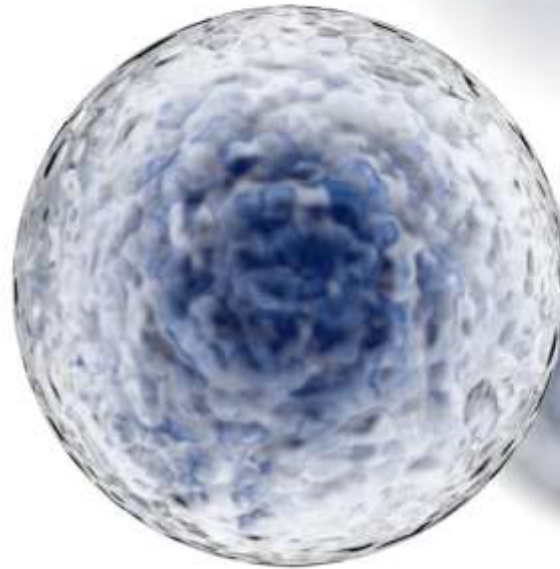


Table of Contents



Chapter 1.

바이오마커 기반의 신약개발, 메드팩토

- 01. Corporate Identity
- 02. 회사소개
- 03. CEO소개
- 04. 핵심인력소개

Chapter 2.

신약개발 트렌드 변화

- 01. 최근 항암제 개발의 동향
- 02. 항암제 개발 패러다임 변화
- 03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황
- 04. 바이오마커 기반 파이프라인

Chapter 3.

혁신 신약, 백토서팁

- 01. 종양 미세환경에서 TGF- β 1의 역할
- 02. 백토서팁 작용 기전
- 03. TGF- β : 발견에서 치료까지
- 04. 백토서팁의 시장성
- 05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상
- 06. 백토서팁 임상 유효성 확인 결과
- 07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행
- 08. 바이오마커 기반의 확장성
- 09. 백토서팁 우수성 외부에서 검증

Chapter 4.

주요 파이프라인

- 01. 항체 치료제: MA-B2 (1), (2)
- 02. 암 전이와 재발 예측 진단제품
- 03. DRAK2 활성 억제 저분자 화합물

Chapter 5.

성장 전략

- 01. 중장기 사업화 계획
- 02. Vision

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 1.

바이오마커 기반의 신약개발, 메드팩토

- 01. Corporate Identity
- 02. 회사 소개
- 03. CEO 소개
- 04. 핵심 인력 소개

01. Corporate Identity

MED·PACTO

French

'medical treatment, cure, remedy'

*mé**dicine*



Latin

*pact**um*

'agreement, promise, covenant'

VISION

메드팩토는 맞춤형신약 개발을 통해
인류의 삶의 질 향상에
기여하고자 한다.

MISSION

메드팩토는 난치병으로 고통받는
환자들이 질병에서 벗어나
건강한 삶을 영위하게 한다.

메드팩토(MedPacto)가 지향하는 기업 문화

경쟁력 있는
기초 연구

'바이오마커'기반
혁신적인 신약개발

고객의 신뢰를 우선으로 하는
정직하고 진실된 회사

회사구성원이
자부심을 갖는 기업

'One MedPacto'
정신

02. 회사 소개

MED·PACTO

바이오마커 기반 First-in-Class 신약개발 회사

다양한 질환의 신규 타겟 발굴을 위한
기초 연구 및 작용기전 규명

바이오마커 기반의
혁신 신약 개발 목표

MED·PACTO

설립자: 김성진

설립일: 2013.06.19

자본금: 101.57억원

임직원수: 67명

본사주소: 서울시서초구 명달로 92 보림빌딩

주: 2021년 9월 기준

실험실 (Laboratory, B1F, 4F, 5F)



동물실 (Animal Facility, 6F)



임상개발본부 (Clinical Division, 1F)



기기실 (Core Facility, 1F)



TGF- β 와 암 연구의 세계적인 석학

300여 편의 논문

네이처 등의 저널에
암, 염증, TGF- β 관련 연구결과 발표

4,200회

TGF- β 연구 논문 인용 횟수한국인 최초
개인 유전체 해독

개인 유전체로 세계 5번째

한국인 위암
유전체 해독한국인의 현미부수체
불안정 위암의 유전체 최초 해독

김 성 진

대표이사



주요 경력

- 2016.07 ~ 현재 : (주) 메드팩토 대표이사
- 2007.01 ~ 현재 : 미국케이스웨스턴리저브의과대학 초빙교수
- 2021.03 ~ 현재 : 길로 재단, 연구소장
- 2010.04 ~ 현재 : 일본 쓰꾸바 대학 초빙교수
- 2016.07 ~ 2021.02 : 서울대학교 차세대융합기술연구원
정밀의학연구센터 센터장
- 2011.03 ~ 2018.12 : (주) 테라젠이텍스, 부회장
- 2018.01 ~ 2018.12 : 대한암예방학회 회장
- 2010.09 ~ 2016.06 : 차 의과대학교 암연구소 연구소장/연구원장
- 2007.01 ~ 2010.08 : 가천대학교 이길여 암당뇨연구원 원장
- 1987.03 ~ 2007.02 : 미국 국립암연구소 종신수석연구원

주요 수상 실적

- 호암상 의학상 (2002)
- 자랑스런 강원인상 (2007)
- 상록학술대상 (2008)
- 제6회 동곡학술상 (2011)
- 페루 Congressional Medal (2011)
- 한국분자 세포생물학회
Gold Ribbon Award (2015)
- 일본암학회 국제상 (2017)
(Japanese Cancer Association)



04. 핵심 인력 소개

후보물질 발굴부터 임상, 상용화까지 신약개발의 전체 프로세스를 경험한 인력 보유



함기백

연구소장, 부사장

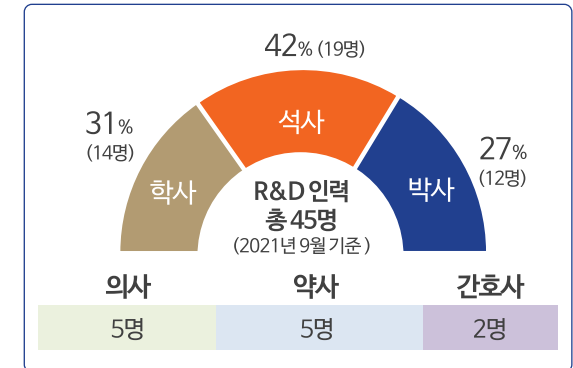
- 국제약리학회 소화기분과 부회장
- 대한암예방학회 회장
- 차암예방연구센터장
- 차의과대 소화기내과 교수
- 가천대의대 소화기내과 교수
- 연세대 소화기내과 박사



황선진

임상개발본부장 (CMO)

- Gilead Sciences Medical Director
- MSD Associate Director
- 삼성서울병원 전임의
- 서울아산병원 전공의
- 임상의



허정임

신약개발본부개발2팀장

- 코아스템 상무이사
- 한국쓰리엠 수석연구원
- 안전성평가연구소 선임연구원
- NCI/NIH 박사후연구원
- 약사



강동우

신약개발본부개발1팀장

- 서울아산병원 연구조교수
- 울산대 의과대 조교수
- 부산대 박사후 연구원



양경민

신약개발본부개발3팀장

- 차세대융합기술연구원 책임연구원
- 차의과학대학교 연구교수
- 차의과학대학교 박사후연구원



홍인표

RA팀장

- 바이엘코리아 RA팀장
- 한국오츠카제약 개발팀장
- 한국BMS제약 RA Manager
- 식품의약품안전청 의약품안전과
- 약사



김민우

CMC팀장

- 제넥신 수석연구원, 정제팀장
- 녹십자 책임연구원
- 목암생명공학연구소 선임연구원



김새롬

전략기획본부장

- Deloitte Consulting
- Ernst & Young Korea
- GenomeCare Inc, USA

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO



Chapter 2.

신약 개발 트렌드 변화

- 01. 최근 항암제 개발의 동향
- 02. 항암제 개발 패러다임 변화
- 03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황
- 04. 바이오마커 기반 파이프라인

01. 최근 항암제 개발의 동향

MED·PACTO

암 정복을 위해 기존 항암제의 한계를 극복할 새로운 치료법 개발 필요

의료기술 진화에도 미충족 수요 지속적 발생 (낮은 반응률, 높은 재발률, 내성 발생 등)

기존
항암제

종양만 타겟으로 하는 항암제

항체치료제, 화학요법제, 표적항암제는
종양세포만을 타겟으로 함

환자는 다른데 같은 약을 처방

환자의 선별이 없는 평균적인 치료로 인한
낮은 치료율과 높은 부작용

블록버스터급 단일 신약

최고 판매량을 달성하는
블록버스터급 신약의 단일 투여차세대
항암제종양미세환경의 중요성
(Tumor Microenvironment)종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및
진행을 가능하게 하는 환경을 제공
이에, 종양미세환경의 조절을 통해
암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복바이오마커가 이끄는
개인 맞춤 치료암종에 상관없이
바이오마커 발현의 유무로 환자를
선별하여 치료하는 맞춤 치료 시대 도래병용요법의
새로운 시대최근 항암치료는 종양을 타겟으로 하는
항암제와 종양미세환경을 조절하는
약제의 병용투여에 관심이 많음종양미세환경
중요성 부각암은 암 주변의 환경 (종양미세환경)을 조절하여
암의 성장, 전이, 암 줄기세포 형성을 촉진시키고
면역활성을 억제하는 물질을 분비
(대표적인 물질이 TGF- β 1)

차세대 항암 신약 개발기업

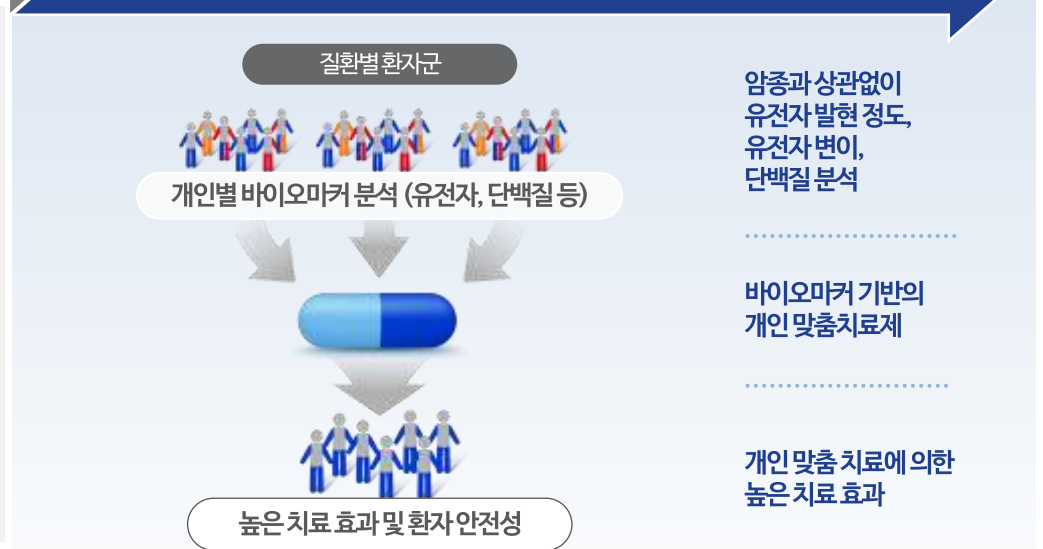
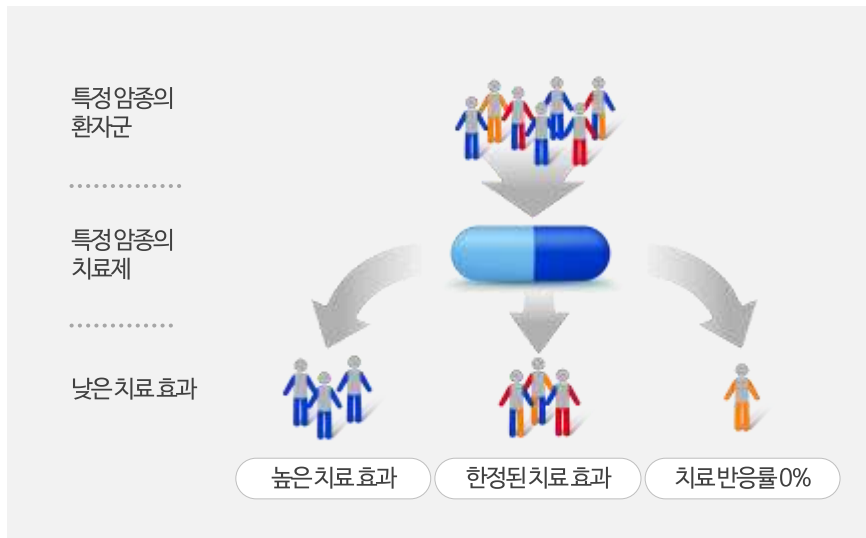
MED·PACTO

02. 항암제 개발 패러다임 변화

1 바이오마커 기반의 치료는 개인 맞춤의학의 핵심

전통적 암치료법 : 암종별 낮은 치료 반응을

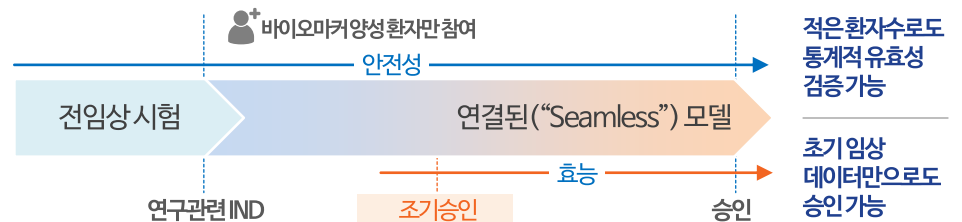
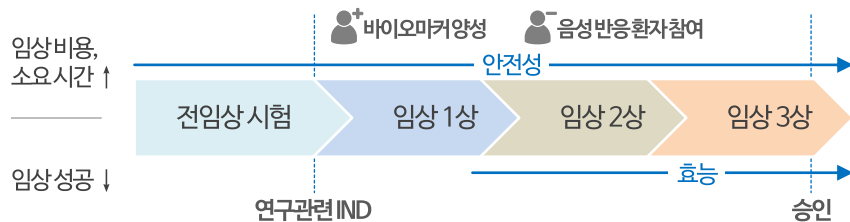
새로운 치료 패러다임 : 바이오마커에 기반한 맞춤의학



2 바이오마커 기반의 신약개발은 항암제 가치 극대화

이전 임상 모델

연결된 ("Seamless") 모델



03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황

암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 치료하는 혁신 신약 출시 본격화

혁신 신약의 가치

특정 유전자의 변이를 타겟으로 하는 항암제가
시장의 판도 변화 주도 전망



“조기 판매 승인 절차를 통해 암종과 무관하게 특정 유전자의
변이 (바이오마커)를 가지고 있는 환자만을 선별하여 치료할 수
있도록 이를 타겟으로 하는 혁신 신약에 대한 개발 장려”

바이오마커 기반의 신약 품목허가 현황 (총 3건의 FDA 승인)

제약사	상품명 (성분명)	바이오마커	임상환자 수	FDA 허가현황	비고
	키트루다 (펨브롤리주맙)	MSI-H (현미부수체불안정) 또는 dMMR	149명 (5개 임상)	2017.5 12개의 암, 20개의 적응증 (2019년 현재)	2021년 글로벌 항암제 매출 1위(189억 달러) 전망 (2019년 111억 달러, 2020년 144억 달러)
	비트락비 (라로트렉티닙)	ETV6-NTRK 융합유전자	효능: 55명 안전성: 176명 (3개 임상)	2018. 11 	80억 달러 (9조원) 인수 결정
	로즐리트렉 (엔트렉티닙)	NTRK 융합유전자	54명 (3개 임상)	2019.8     	다수 글로벌 제약사들의 후보물질 도입과 기업 인수 추진 확대

04. 바이오마커 기반 파이프라인

암종과 무관한 바이오마커 기반의 혁신 신약 파이프라인

바이오마커에 따라 모든 암종으로 적응증 확대 및 모든 항암제와 병용투여 가능

파이프라인	종류	바이오마커	작용기전
백토서팁	항암제 (저분자화합물)	TBR5	TGF- β 1형 수용체 억제제
MA-B2	항암제 (항체)	혈중 BAG2 단백질	항 BAG2 항체
MO-B2	진단키트	혈중 BAG2 단백질	혈중 BAG2진단 키트
MU-D201	항암제 (저분자화합물)	EZH2유전자변이, 감마델타 T-세포 수용체 변이	DRAK2 저해제

목표 적응증	백토서팁	MA-B2	MO-B2	MU-D201
폐암				
유방암				
간암				
췌장암				
식도암				
두경부암				
난소암				
림프종				
백혈병				
다발성골수종				
골수이형성증후군				
골수증식증양				
위암				
신장암				
자궁암				
대장암				
방광암				
기타암				

Biomarker-based innovative drug
development company

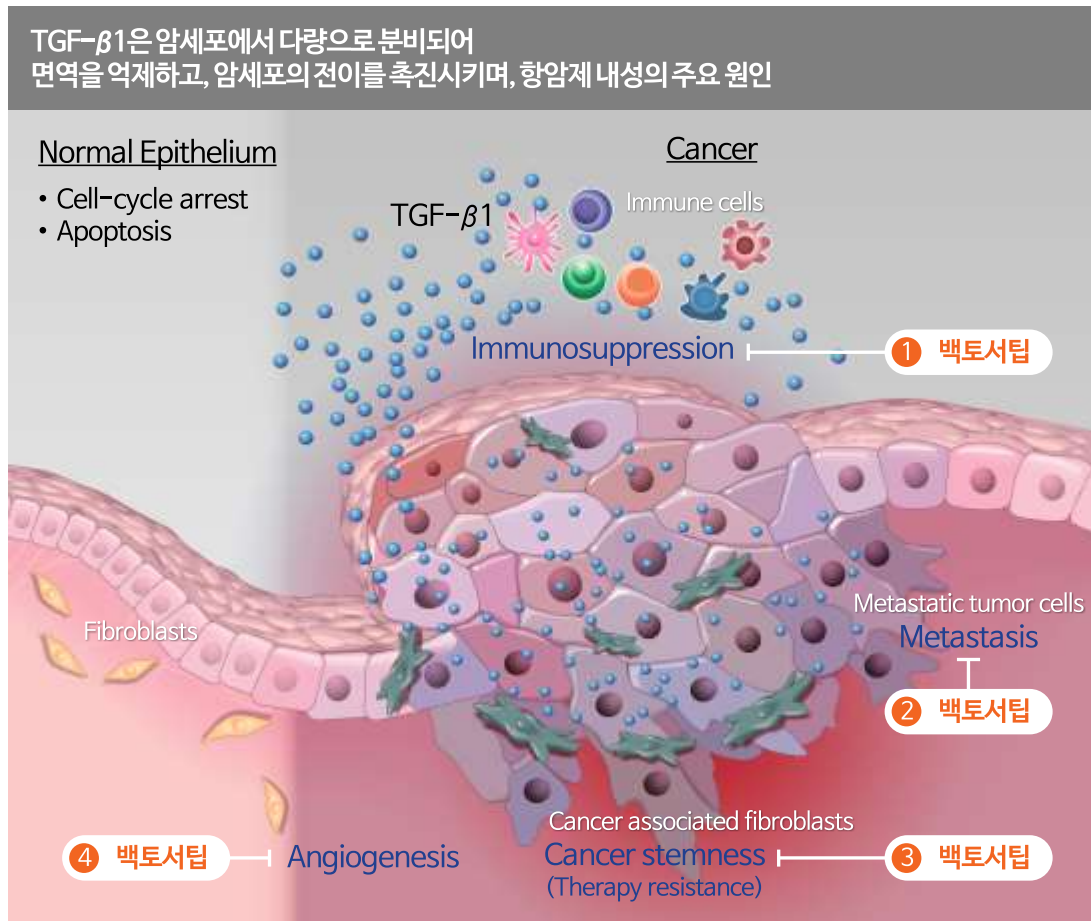
MEDPACTO



Chapter 3.

혁신 신약, 백토서팁

01. 종양 미세환경에서 TGF- β 1의 역할
02. 백토서팁 작용 기전
03. TGF- β : 발견에서 치료까지
04. 백토서팁의 시장성
05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상
06. 백토서팁 임상 유효성 확인 결과
 - 1) 폐암 임상
 - 2) 대장암(MSS형) 임상 결과
 - 3) 대장암 임상 바이오마커 발굴 성과
 - 4) MM임상
 - 5) 육종(Sarcoma) 2021년 계획
 - 6) 위암 임상
07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행
08. 바이오마커 기반의 확장성
09. 백토서팁 우수성 외부에서 검증

TGF- β 1은 종양 미세환경을 조절하여 암의 전이나 성장을 촉진

백토서팁 주요 기능

1 면역세포의 암세포 사멸 활성 촉진

- T 세포와 NK 세포들이 효능을 발휘할 수 있게 함
- 조절 T 세포의 활성 억제
- T 세포 고갈 방지

2 전이 억제

- 상피간엽전환 (EMT), 세포 이동, 전이 억제

3 암줄기세포 생성 억제

- TGF- β 1에 의한 암줄기세포의 생성을 억제 (예: Paclitaxel 및 Imatinib 등 화학치료제의 주요 내성 원인)

4 혈관생성 억제

백토서팁은 기존의 모든 암치료제와 병용 가능

- TGF- β 1은 암조직 주변의 기질세포에 작용하여 기질을 대량으로 생산해 암을 둘러싼 벽을 생성
→ 항암제나 면역세포가 암조직에 침투하지 못하게 하는 역할
- TGF- β 1 신호전달 억제제인 백토서팁은 암 조직 주변의 기질 벽의 생성을 억제
→ 다양한 암 치료제가 암세포를 공격할 수 있도록 도움을 줌



03. TGF- β 1: 발견에서 치료까지

MED·PACTO

35년간 TGF- β 연구 성과의 결실, TGF- β 신호전달 억제제 백토서팁

TGF- β 1 발견 및 작용기전 규명

~1980 년

TGF- β 1 발견
Sporn & Roberts
(미국 국립 암 연구소)

- 단백질 분리와 특성분석
- TGF- β 의 항암활성 발견
- 면역세포에서의 기능 발견

1987~2007 년

1987 김성진 대표
미국 국립 암
연구소 합류

- 암세포에서 TGF- β 1 분비 기전 규명
- TGF- β 수용체의 유전체 결손을 암에서 처음으로 발견
- 면역항암제 내성원인 발견

2013년 메드팩토 설립 : TGF- β 신호전달 억제제 개발

2013 ~ 2015

- 미국 임상 1상 승인 및 완료 (안전성, 내약성 확보)

2016 ~ 2019

- 미국 임상 2상 승인
- 병용투여 임상 진행 중 (키트루다, 임핀지)

가치

글로벌 시장 내 가장 앞서있는
TGF- β 신호전달 억제제, 백토서팁

MED·PACTO

First-in-Class 백토서팁 (저분자화합물)

EMD
SERONO

M7824 (이중융합단백질)

Lilly

LY3200882 (저분자화합물)

SANOFI

NOVARTIS

ISARNA

Pfizer

2010 년 ~

다수의 글로벌 제약사들이 다양한
TGF- β 신호전달 억제제 개발 중

~ 전임상

임상 1상

임상 2상

임상 3상

04. 백토서팁의 시장성

MED·PACTO

글로벌 시장에서 주목받는 TGF- β 신호전달 저해제, 백토서팁

기술적 진입장벽을 통해 장기간의 시장 독점 지위 유지

물질 특허
20년

특허 추가를 통한 기간 연장

- 병용 요법
- 적응증 확대
- 제형 다양화
- 공정 개발



글로벌 스탠다드 충족의 임상 시스템 구축

다국적 제약사
기준에 부합하는
임상 디자인약물안전감시,
임상약리 연구
시스템 구축바이오마커
기반의 임상
설계 능력EMD Serono + GSK
기술제휴 계약 체결
(TGF- β x PD-L1 이중항체)37억 유로
(4조 8천억 원)

라이센싱

MED·PACTO

글로벌 시장을 타깃하는
바이오마커 기반의 혁신신약

“ 백토서팁 ”

길리어드 + 스크라락
TGF- β 저해제 공동 개발14억 2500만 달러
(1조 6천억 원)

M&A

비공개

BMS 인수
(포비우스, TGF- β 기술 보유)7억 7300만 달러
(8천억 원)MSD 인수
(틸로스 테라퓨틱스,
TGF- β 기술 보유)

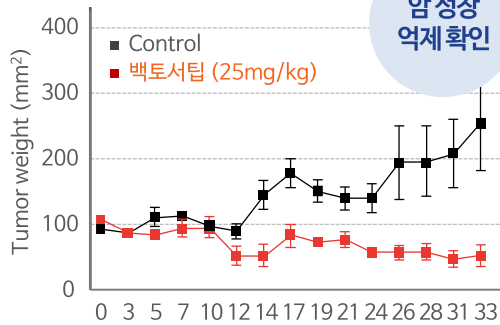
05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상

MEDPACTO

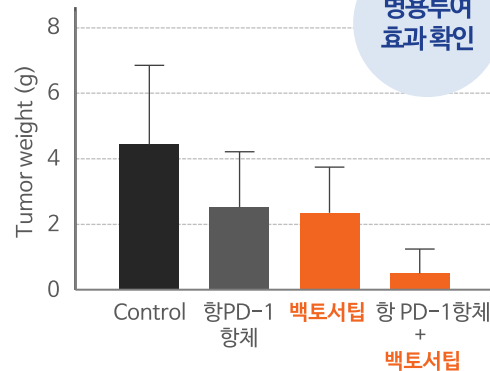
독성이 낮고 우수한 효능을 가진 백토서팁, 글로벌 제약사의 면역항암제와 병용 임상 진행

전임상 결과

위암 세포 이용한
단독투여 동물실험 결과



위암 세포 이용한 항-PD1 항체와의
병용투여 결과



미국 임상 1상 결과

진행성
고형암

단독 투여 임상 결과
높은 안전성

- 고농도 임상에서도 독성 안전성 확보
- 현재 병용 투여에서도 안전성 확보

공동임상 진행



키트루다 (항 PD-1항체)
대장암

동일 계열 중 가장 많은
적응증 확보 치료제

키트루다 (항 PD-1항체)
비소세포폐암 1L

2021년 글로벌
항암제 매출 1위 전망



임핀지 (항 PD-L1항체)
비소세포폐암 2L

아스트라제네카의
주력 면역항암제

임핀지 (항 PD-L1항체)
방광암

단시간 내 블록버스터
항암제 합류 전망

면역항암제 개발 글로벌 제약사와
공동임상 진행

면역항암제 (키트루다, 임핀지) 무상 공급
임상시험 전략 및 디자인 공동 개발

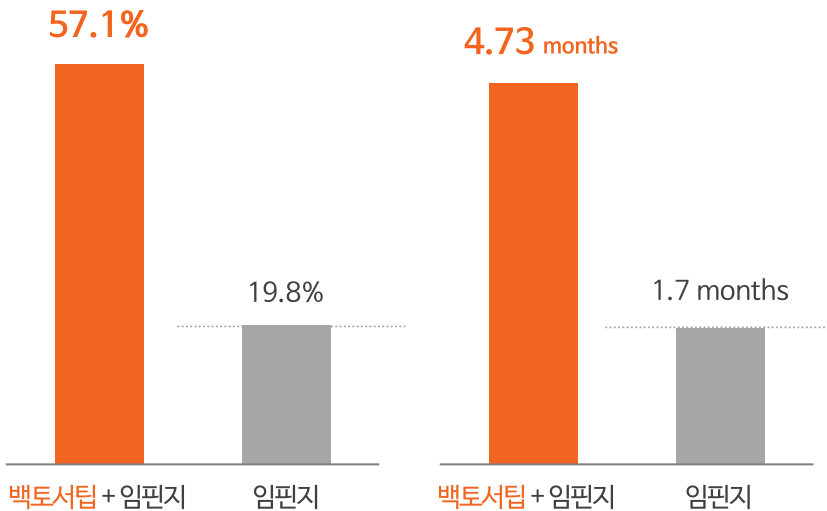
06-1. '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인 _ AstraZeneca

비소세포폐암에서 임핀지와 임상2a상 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

비소세포폐암 병용투여 임상 (2a상 중간결과)

반응율 (ORR)

무진행생존율(PFS)



자료 : AstraZeneca ORR, PFS 데이터, Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
 주 : 병용투여 임상 결과와 AstraZeneca의 임핀지 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님.

비소세포폐암 임상 결과 비교

		백토서팁	임핀지	키트루다	티센트릭
임상단계		2a	I/II	II/III	III
PD-L1		>1%	Any	>1%	Any
ORR (ITT)	PD-L1 ≥ 1%	33.3% (10/30)	-	18% (62/344)	-
	PD-L1 < 25%	12.5% (2/16)	5.1% (5/98)	-	-
	PD-L1 ≥ 25%	57.1% (8/14)	19.8% (21/106)	-	-
	PD-L1 < 50%	22.2% (4/18)	-	9.8% (20/205)	12.6 (35/288)
	PD-L1 ≥ 50%	50.0% (6/12)	-	30.2% (42/139)	30.6 (22/72)
mPFS		4.73 months	1.7 months	4.0 months	-

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-203: Cho BC et al. SITC 2020, #P363
 Durvalumab Study 1108: Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085
 Pembrolizumab Keynote 010: Herbst et al. The Lancet 2016;387:1540-50
 Atezolizumab Oak: Rittmeyer et al. The Lancet 2017;389:255-265

06-2. 대장암(MSS형) 임상 결과 비교

대장암(MSS형) 임상 결과 비교

대장암 표준요법 대비 MP-VAC-204 비교

대장암(MSS형) 임상 진행 또는 완료 (2021 ASCO 포함)

구분	MP-VAC-204 (백토서티브 +키트루다)	Regorafenib mono CORRECT	Lonsurf mono	Atezolizumab + cobimetinib	Pembrolizumab mono	M-7824	Lonsurf + Nivolumab	Regorafenib + Avelumab	Pembrolizumab + Lenvatinib	Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab	Regorafenib + Nivolumab
mOS (Median Overall Survival)	15.8 months	6.4 months	7.1 months	8.9 months	5.0 months	-	-	10.8 months	7.5 months	5.7 months	11.9 months
ORR (Overall Response Rate)	16.0% (8/50)	1% (5/505)	1.6% (9/534)	2.7% (5/183)	0.0% (0/18)	3.4% (1/29)	0% (0/35)	0% (0/43)	22% (7/32)	0% (0/15)	7.1% (5/70)

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-204

Regorafenib(Stivarga) mono : Highlights of prescribing information, Revised 09/2012

Lonsurf mono : Mayer RJ, Van Cutsem E, Falcone A, et al. Randomized Trial of TAS-102 for Refractory Metastatic Colorectal Cancer. NEJM. 2015;372:1909-1919.

Atezolizumab+cobimetinib : The Lancet Oncology June 2019, Pages 849-861

Pembrolizumab : Le et al. New Eng J MED(2015)

M-7824: Oncology 2018 36:4_suppl, 764-764

Lonsurf + Nivolumab : 10.1200/JCO.2019.37.8_suppl.48 Journal of Clinical Oncology 37, no. 8_suppl (March 10, 2019) 48-48

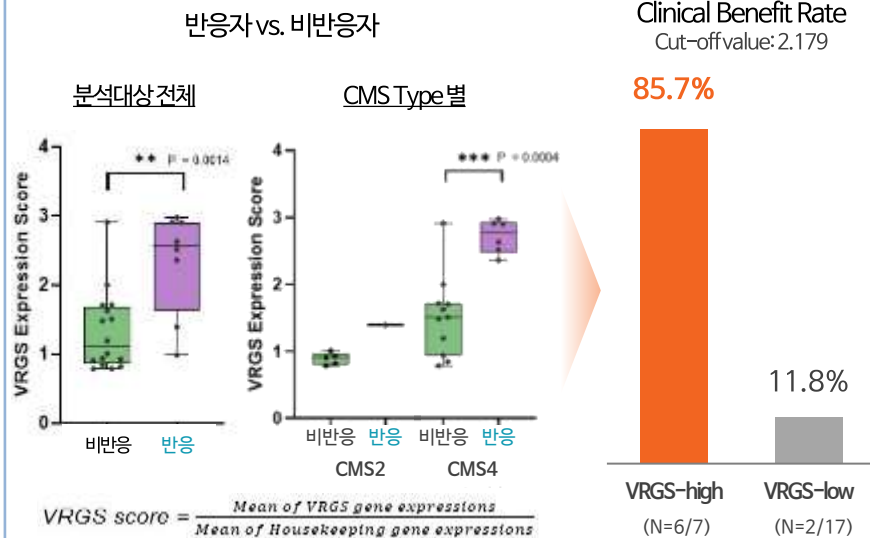
Regorafenib+Avelumab : Cancer Treat Rev. 2018 Jan;62:61-73. doi: 10.1016/j.ctrv.2017.10.011. Epub 2017 Nov 10.

Pembrolizumab+Lenvatinib : 2021 ASCO Gastrointestinal Cancers Symposium

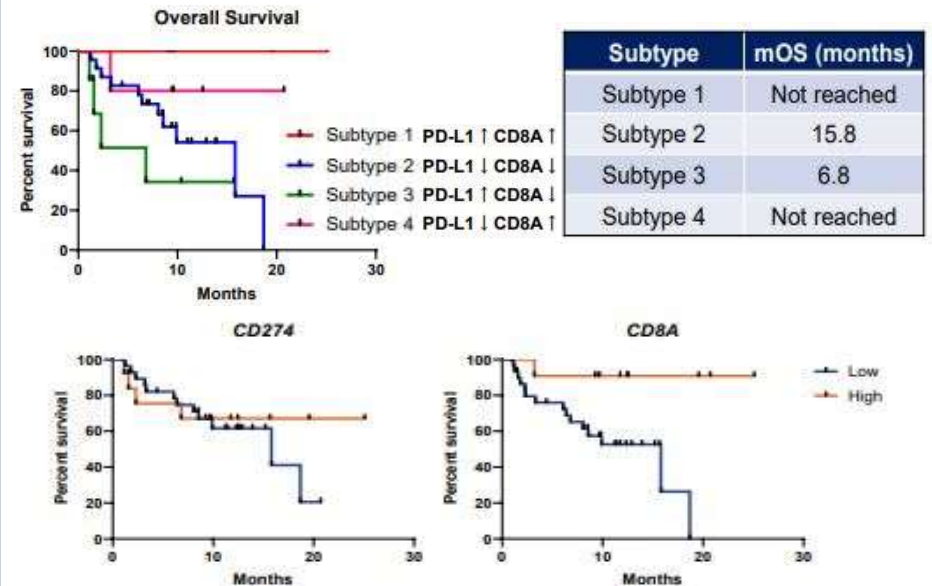
Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab, Regorafenib+Nivolumab : 2021 ASCO Abstract

진행성 대장암에서 VRGS 분석 결과 및 TME 면역 타입별 Survival Analysis

VRGS 분석 결과 및 CBR 비교



TME 면역 타입별 Survival Analysis



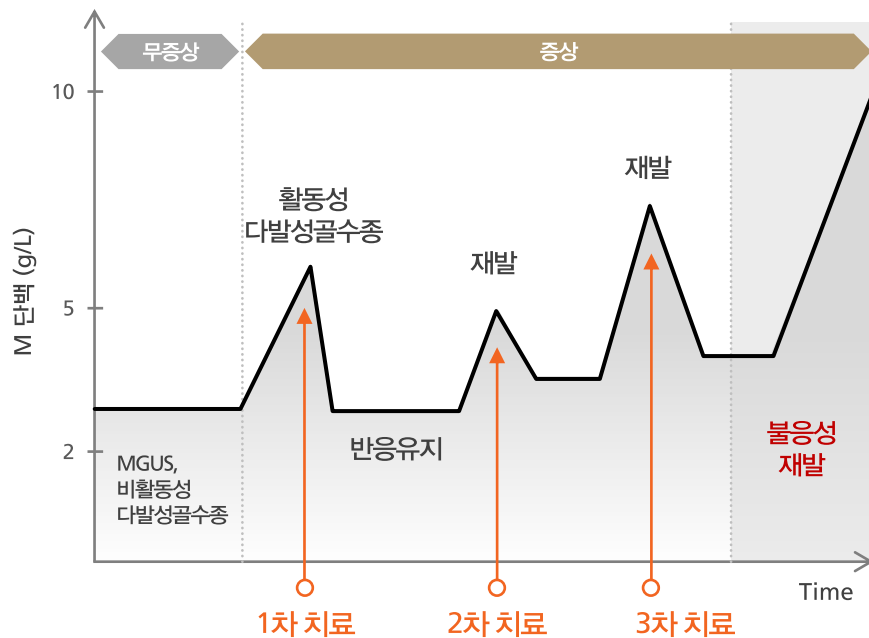
바이오마커 분석 성과 및 향후 계획

- VRGS (Vactosertib Response Gene Signature)는 MSS형 대장암 환자군에서 백토서팁+키트루다 병용 치료 목적의 예측 바이오마커로 개발 중에 있으며, 백토서팁+키트루다 반응자와 높은 상관관계가 있음을 확인하였음. VRGS-high 환자군은 VRGS-low 환자군 대비 획기적인 CBR (Clinical Benefit Rate)을 보였으며, 백토서팁+키트루다 반응자를 예측하는데 약 88%의 정확도를 보임
- PD-L1 및 CD8A 발현도에 따라 환자의 전체생존기간과 상관관계가 있음을 확인하였으며, 백토서팁 + 키트루다 병용요법은 PD-L1 및 CD8A 발현이 높을수록 전체생존기간을 높일 수 있음.
- 향후 대장암 임상에 있어 Validation 단계를 거쳐 선별된 임상을 진행할 수 있으며, 이 경우 높은 치료 효과 기대

06-4. '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인

치료 대안이 없는 재발/불응 다발성골수종의 포말리스트와 병용투여 임상 결과 획기적인 치료 효과 입증

재발/불응 다발성골수종의 질환 경과

화학요법에
민감도

높음

낮음(내성)

낮음(내성)

이상반응
위험도

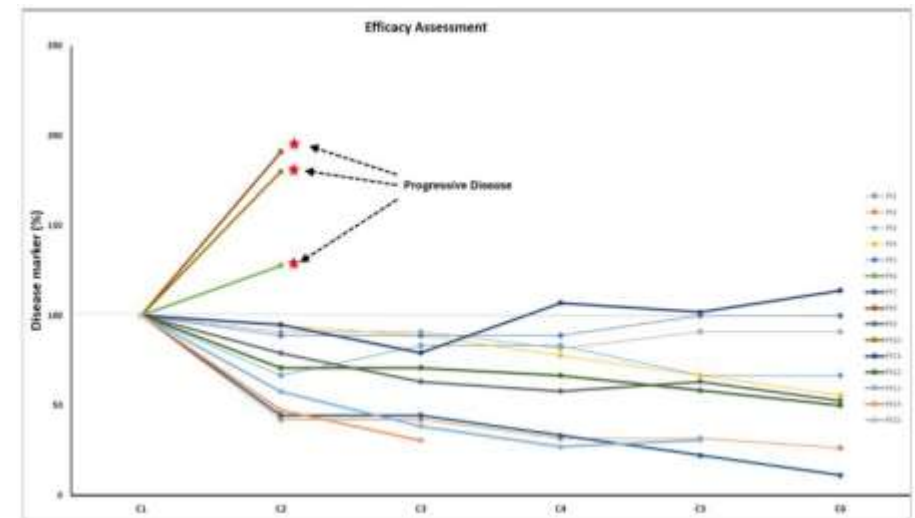
낮음

높음

높음

병용투여 임상1b상 결과 무진행생존율 80%

기존 치료(포말리스트와 스테로이드 제제인 덱사메타손)에
비반응 다발성 골수종 환자 대상의 임상1b상 결과



임상결과

백토서팁 병용

ELOT
+PdDARA
+PdPOM+
DEXA(Pd)

POM

6개월 무진행
생존율, PFS

80%

62%

58%

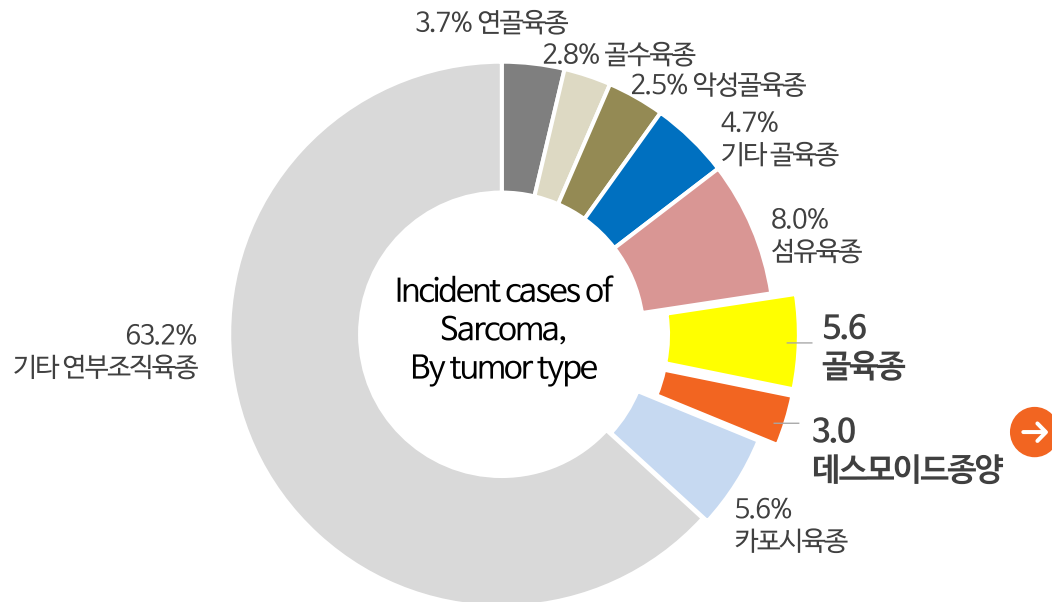
40%

20%

주 : 다라투마브 임상 출처 (Chari et al. (2017) Blood. 130:974)

희귀질환에서 백토서팁 치료 효과 및 향후 계획

육종 (Sarcoma) 종류



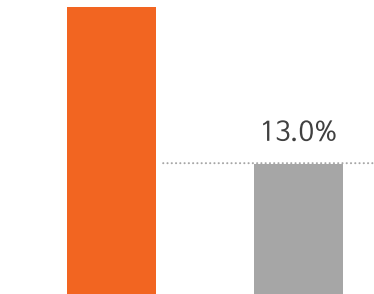
희귀의약품 FDA 승인 현황

날짜	상품명	암종	임상단계	환자수	FDA 허가현황
2020년 1월	타즈베릭	유상피 육종	2상	62명	FDA 신속심사
2020년 5월	포말리스트	AIDS 관련 카포시육종	1/2상	28명	FDA 신속심사

데스모이드종양 결과 및 육종 2021년 계획

데스모이드종양 1b상 결과

1b상: 반응율 (ORR)

28.6%[†]

백토서팁 + 이마티닙 이마티닙

6개월 무진행생존율 (PFS)

• 백토서팁 + 이마티닙 병용 100% vs. '이마티닙' 단독 65~80%

육종 2021년 계획

데스모이드종양

- ☒ 한국, 미국 IND 신청
- ☒ 희귀의약품지정(ODD)
- ☒ FDA 패스트트랙 신청

골육종

- ☒ 미국 IND 신청
- ☒ 희귀의약품지정(ODD)

자료:

[†] 메드팩토 임상 1b상 결과: 2020년 5월 기준 (치료 기간 5-8개월)[‡] 이마티닙 단독 ORR: 1) Penel et al. Ann Onco 2011 Feb 22(2):452-7; 이마티닙 단독 12개월 ORR: 11%,

2) Kasper et al. Eur J Cancer. 2017 May;76:60-67; 이마티닙 단독 12개월 ORR: 13%

주: 병용투여 임상 결과와 이마티닙 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님.

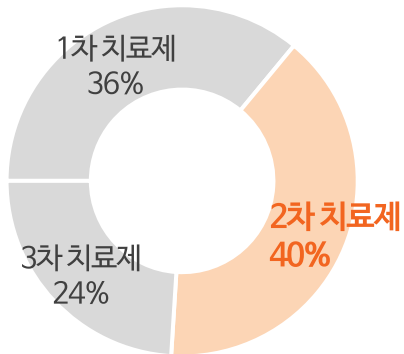
06-6. 위암 임상1b상 유효성 확인

MEDPACTO

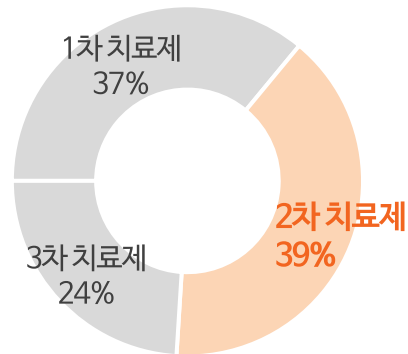
진행성 위암에서 파클리탁셀과 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

2차 치료제 사용빈도*

국소적 재발

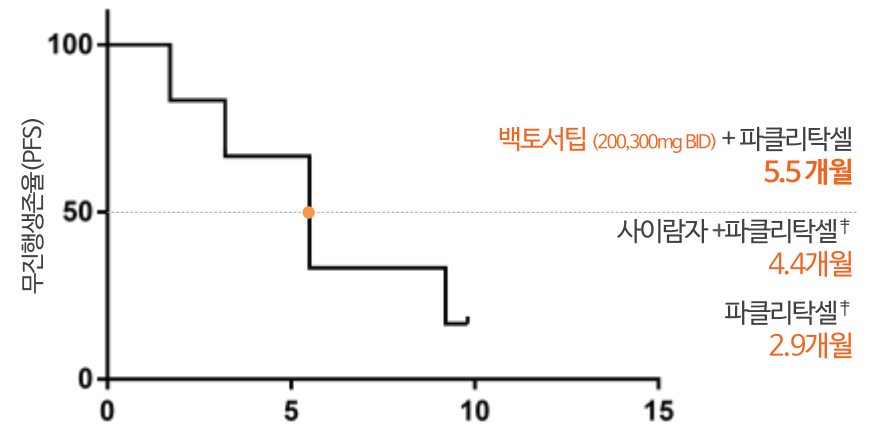


4기 전이 및 원격 재발 환자



위암 병용투여 임상 (1b상 진행 결과)

무진행생존율 (PFS) †



자료: *Datamonitor 2016GastricCancerDatabase

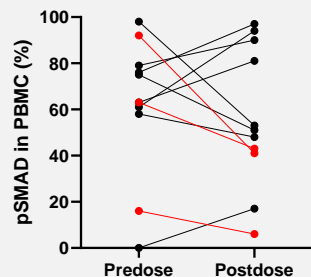
주: 2차 치료제 간의 점유율은 고려하지 않음

자료: †메드팩토 ESMO 2020 포스터, †Lancet Oncol. 2014Oct;15(11):1224-35

주: 병용투여 임상 결과와 사이람자 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님

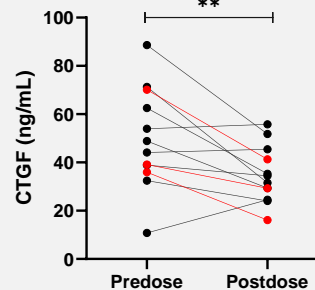
약력학적 마커

pSMAD

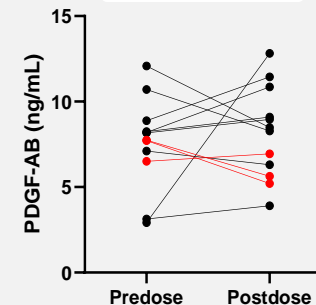


• TGF- β 의 신호전달의
주된 마커인 SMAD의
인산화 감소

CTGF



PDGF



• TGF- β 신호전달경로의
타겟 유전자 발현의 감소

07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행

백토서팁의 가치를 높이기 위해 기존의 모든 암치료와 병용 가능성을 증명하는 다수의 임상 진행 중

구분	암종	목표 환자수	[국가] 치료요법	임상시험 개발 계획 및 진행현황					
				2020	2021	2022	2023	2024	2025
고형암	화학요법 병용 임상	위암	68 [한국] + 파클리탁셀	1b·2a상	2상	3상			
			43 [한국] + 파클리탁셀 + 라무시루맙		2상	3상			
		췌장암	36 [한국] + 폴폭스	1b·2a상	2상	3상			
			18 [한국] + 5FU/LV/오니바이드 	1b·2a상	2상	3상			
	표적항암제 병용 임상	데스모이드 종양 (침윤성 섬유종증)	33 [한국] + 이마티닙	1b·2a상					
		준비중	[미국, 한국] + 이마티닙		2상	3상			
	면역항암제 병용 임상	대장암	85 [한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 	1b·2a상	2상	3상			
		비소세포폐암 1L	55 [한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 		2상	3상			
		비소세포폐암 2L	63 [한국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 	1b·2a상	2상	3상			
		방광암	48 [미국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 		2상	3상			

08. 바이오마커 기반의 확장성

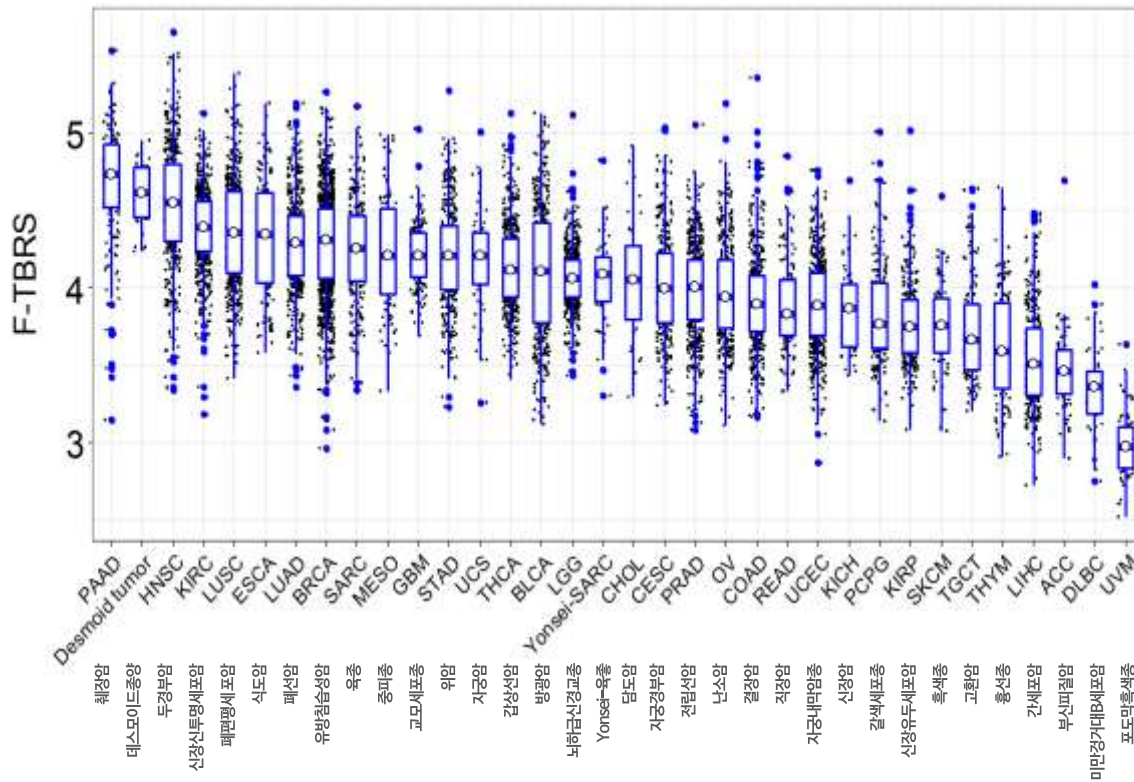
바이오마커(TBRS: TGF- β 1에 반응하는 유전자) 발현량이 높은 암은 백토서팁의 타겟 질환

백토서팁은 모든 암 치료제와 병용투여 가능

- 면역항암제
- 화학항암제
- 표적항암제
- 세포치료제
- 방사선치료

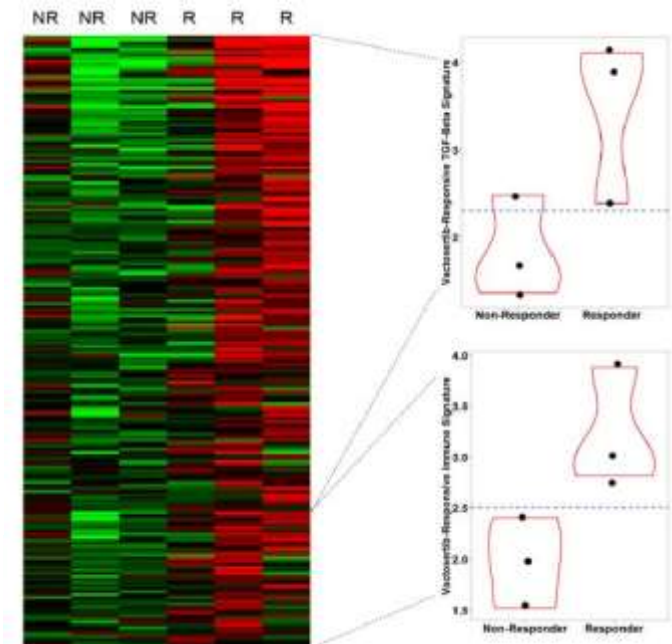
+ 백토서팁

모든 암이 백토서팁의 타겟임을 바이오마커가 증명



자료 : Yonsei University College of Medicine, ASCO 2020

전이성 대장암 환자의 유전형질에 따른 백토서팁 반응정도
(백토서팁 + 키트루다 병용)



자료 : Vactosertib Response Gene Signature (SITC2019)

09. 백토서팁 우수성 외부에서 검증

TGF- β 저해제 중 백토서팁이 가장 앞서 있으며 우수함을 외부에서 검증

- Finland Helsinki대학 연구팀, 전 세계 500여 개 저분자 화합물을 대상으로 CAR-T치료제와의 병용 실험 결과를 미국 저명 혈액학 저널 '블러드'지 게재
→ TGF- β 신호 전달 억제 약물 중에서 '백토서팁'이 가장 우수한 암세포 살상 기능 보유(500여 물질 중 상위 10개 약물 포함)

- Immunity(Immunity 50, April 15, 2019) 등 유수의 저널에서 TGF- β 개발 현황에 대해 지속적으로 소개
→ TGF- β 신호 전달 억제 약물 중에서 '백토서팁'이 선택성이나 약효 및 독성면에서 가장 높은 비교 우위
→ 경쟁물질인 Eli Lilly 가루니서팁 최근 개발 중단 공식 발표

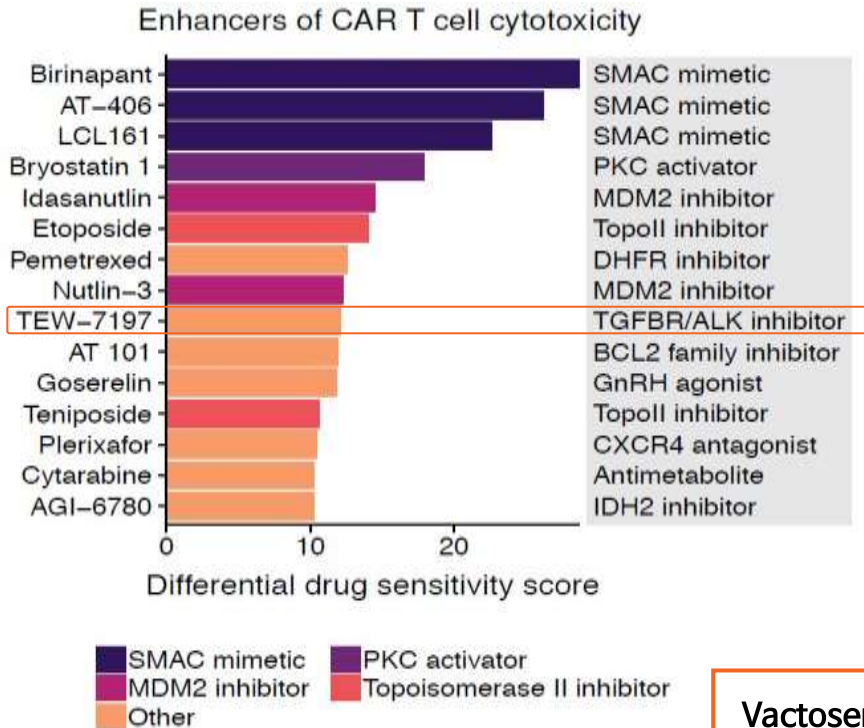


Table 1. Therapeutic Strategies to Block TGF- β Signaling in Cancer and Their Progress to the Clinic

Therapy	Target	Drug	Progress to Clinic
Small molecule inhibitors	TGFBR1 kinase	Galunisertib	Multiple completed safety and efficacy phase 1 clinical trials in HCC, glioblastoma and other tumor types. Several ongoing phase 1/2 trials: metastatic breast cancer (SAL + radiation therapy), metastatic pancreatic cancer (SAL + Durvalumab), advanced hepatocellular carcinoma (SAL + abiraterone radiotherapy), metastatic androgen receptor negative triple negative breast cancer (Galunisertib and Paclitaxel), colorectal cancer (SAL + Capecitabine), rectal cancer (SAL + chemoradiation), advanced refractory solid tumors (SAL + Nivolumab), and metastatic prostate cancer (SAL + Enzalutamide).
		Vactosertib	Safety and efficacy phase trials in advanced stage solid tumors. Several ongoing phase 1/2 trials: metastatic gastric cancer (VAC + Paclitaxel), advanced NSCLC (VAC + Durvalumab), metastatic colorectal and gastric cancer (VAC + Pembrolizumab), advanced desmoid tumors (VAC + Imatinib).
		LY3200902	Phase 1: safety and dose escalation in solid tumors.
		PF-06852229	Phase 1: safety and dose escalation in breast cancer and prostate cancer in monotherapy or combination with several drugs (gefitinib, letrozole, enzalutamide).
		AZ17001011	Pre-clinical development (Eggenster et al., 2019).
		AZ17001011	Pre-clinical development (Eggenster et al., 2019).
Antibodies	Blocking pan-TGF- β (TGF- β 1, TGF- β 2, TGF- β 3)	Fresolimumab	Completed safety and efficacy phase 1 trials in renal cell carcinoma, melanoma, and glioma. Ongoing phase 1/2 trials: relapsed malignant mesothelioma, advanced renal cell carcinoma and melanoma, early stage NSCLC (FRESCO + stereotactic ablative radiotherapy), and metastatic breast cancer (FRESCO + radiation).
	Blocking pan-TGF- β	SAFAC0409	Phase 1 (safety and dose escalation) for advanced solid tumors in monotherapy or combination with anti-PD-1 antibodies.
	Blocking pan-TGF- β	MS793	Phase 1 in combination with anti-PD-1 antibodies for patients with advanced malignancies (breast, lung, HCC, CRC, pancreatic cancer, renal cancer).
	Blocking TGF- β 1 and TGF- β 2 specific	KPA-42-089	Pre-clinical cancer models (Sodaggar-Mohtai et al., 2019).
	Chemical antibody	CTLA4: TGF- β IR1	Pre-clinical cancer models (Frost et al., 2019).
	TGF- β 1 specific	PD-L1: TGF- β IR1 (M7024)	Ongoing phase 1/2 trials: NSCLC (compared to Pembrolizumab), triple negative breast cancer (M7024 + Eribulin), prostate cancer, metastatic colorectal cancer, and cholangiocarcinoma and glioblastoma.
	GDH	ABBY151	Phase 1 trials for advanced solid tumors as monotherapy or in combination with PD-1 antibodies.
	acvR integrin		Pre-clinical cancer models (Takanashi et al., 2019).
	LAP		Pre-clinical cancer models (Goherty et al., 2017).

Vactosertib Safety and efficacy phase trials in advanced-stage solid tumors. Several ongoing phase 1/2 trials: metastatic gastric cancer (VAC + Paclitaxel), advanced NSCLC (VAC + Durvalumab), metastatic colorectal and gastric cancer (VAC + Pembrolizumab), advanced desmoid tumors (VAC + Imatinib)

Biomarker-based innovative drug
development company

MEDPACTO

Chapter 4.

주요 파이프라인

- 01. 항체 치료제: MA-B2 (1), (2)
- 02. 암 전이와 재발 예측 진단제품: MO-B2
- 03. DRAK2 활성 억제 저분자 화합물: MU-D201

BAG2를 표적으로 하는 항체 치료제 MA-B2 개발

세계 최초 표적 단백질 발굴 : BAG2

- 면역세포 활성을 무능화시키는 역할
- 다양한 암종에서 암이 재발되거나 전이가 될 경우 혈액에 다량으로 분비



진단 및 치료제 개발 로드맵

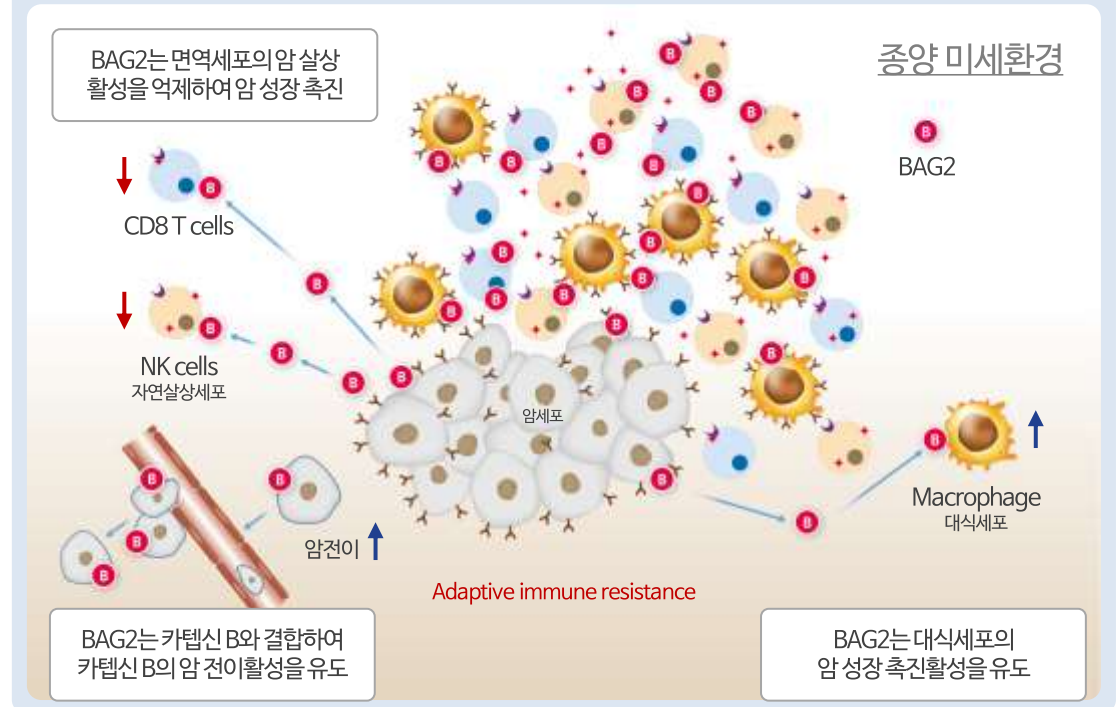
항체 치료제
MA-B2

진단키트
MO-B2

- 암 전이/재발 예측 바이오마커
- 특정 질환에 대한 동반 진단으로 개발 (최적의 치료법 제시 및 치료 반응을 확인)

항체치료제(MA-B2) 작용 기전

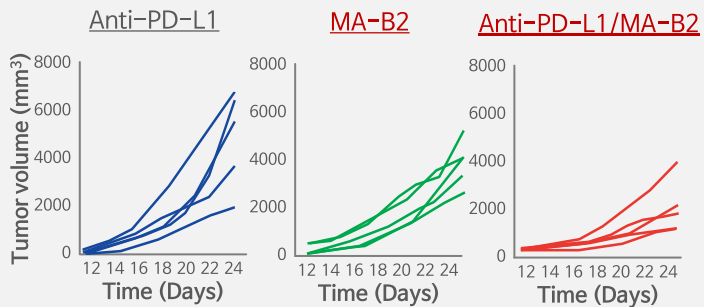
암화 과정에서 암 전이에 관여하는 카텡신 B의 전이 활성을 억제하고, BAG2 단백질의 면역활성 억제 작용을 저해하여 면역계를 활성화



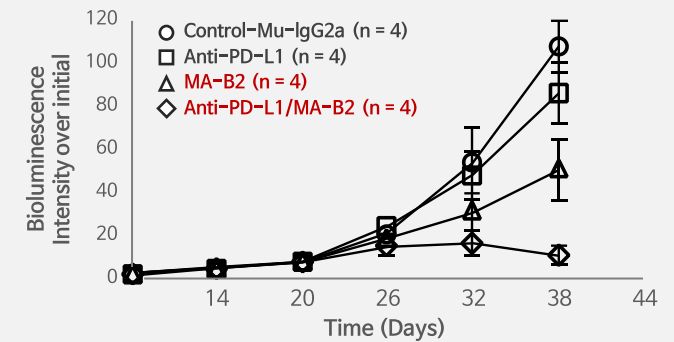
01. 항체 치료제 : MA-B2 (2)

BAG2 단백질이 현저히 높게 발현된 다양한 암에서의 우수한 병용투여 효과

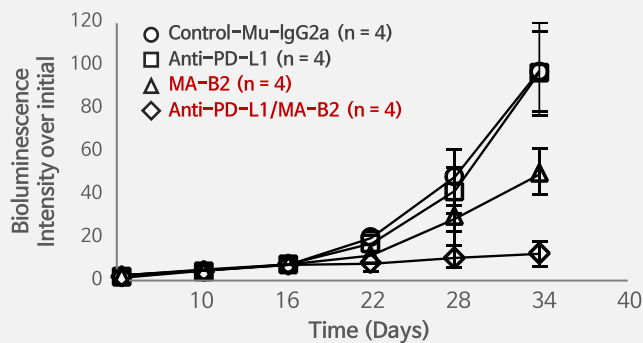
단독으로도 anti-PD-L1 보다 항암 활성이 우수하고
병용투여에서 항암효과 탁월



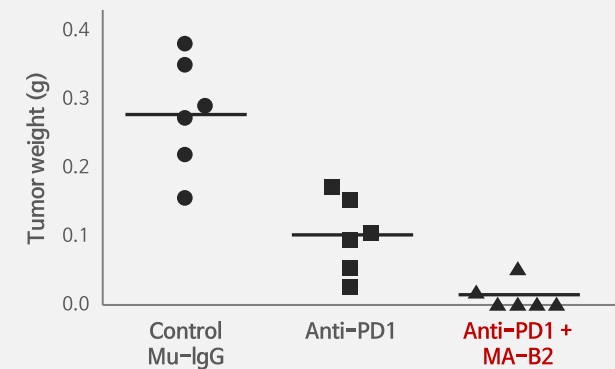
단독으로도 anti-PD-L1 보다 항암 활성이 우수하고
병용투여에서 항암효과 탁월



MA-B2와 병용투여시 암전이를 완전히 억제하고
세포사멸 면역세포 (CD8+) 활성화

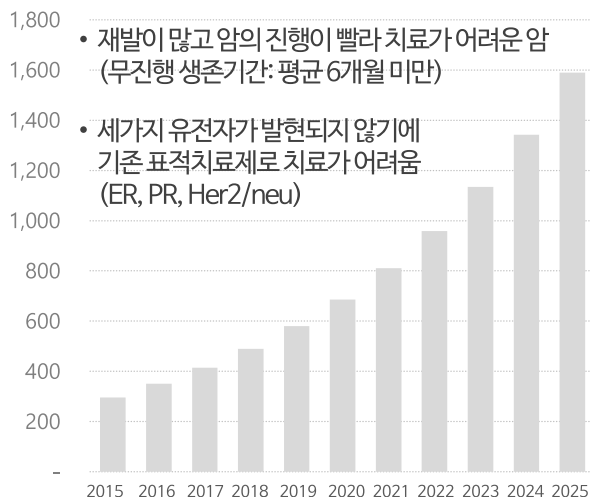


MA-B2와 병용투여시 항암활성 탁월

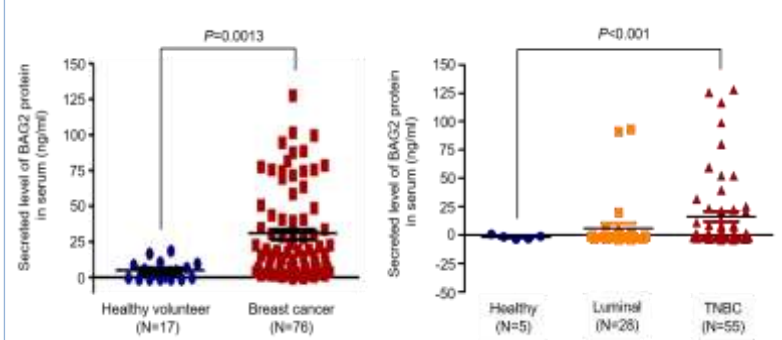


삼중음성 유방암의 전이와 재발을 예측할 수 있는 최초의 진단제로 빠른 허가 기대

삼중음성 유방암 글로벌 시장 전망 (M\$)

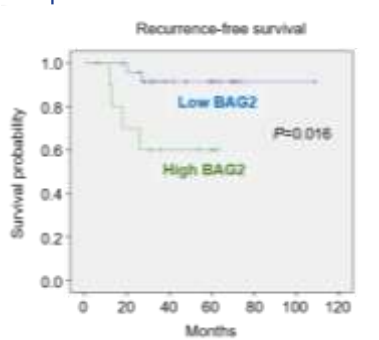


유방암 환자의 혈청 내 BAG2 발현 분석



유방암 환자의 혈청에서 BAG2 단백질 수준

Kaplan-Meier



유방암 환자에서 분비된
BAG2 단백질 수준에 따른 무재발 생존



FDA : 약물개발과 진단법을 함께 허가 받는 것을 선호



Genomic Health
LIFE. CHANGING.

매출: 2.54억달러 (2017년)
→ 2.99억달러 (2018년)
*17.7% 증가

Oncotype Dx (ER+, HER2-)



2. a. $\frac{1}{2}$ b. $\frac{1}{2}$ c. $\frac{1}{2}$ d. $\frac{1}{2}$ e. $\frac{1}{2}$ f. $\frac{1}{2}$ g. $\frac{1}{2}$ h. $\frac{1}{2}$ i. $\frac{1}{2}$ j. $\frac{1}{2}$ k. $\frac{1}{2}$ l. $\frac{1}{2}$ m. $\frac{1}{2}$ n. $\frac{1}{2}$ o. $\frac{1}{2}$ p. $\frac{1}{2}$ q. $\frac{1}{2}$ r. $\frac{1}{2}$ s. $\frac{1}{2}$ t. $\frac{1}{2}$ u. $\frac{1}{2}$ v. $\frac{1}{2}$ w. $\frac{1}{2}$ x. $\frac{1}{2}$ y. $\frac{1}{2}$ z. $\frac{1}{2}$

아질런트(Agilent)가
22억 달러에 다코(Dako) 인수
(2010년)

HercepTest (HER2+)



ME_d·PACTO

바이오마커기반의
동반진단키트로
암전이 및 재발 진단

MO-B2 : ER-, PR-, HER2- (Triple Negative)

03. DRAK2 활성 억제 저분자 화합물 : MU-D201

TGF- β 신호 기작과 암 후성유전학적 기전을 동시에 억제하는 혁신신약

세계 최초 표적 단백질 발굴 : DRAK2

암조직에서 과발현 시 TGF- β 의 암 억제 활성을 저해하여 암 성장 및 전이 촉진



치료제 개발 로드맵

저분자화합물

MU-D201

바이오마커

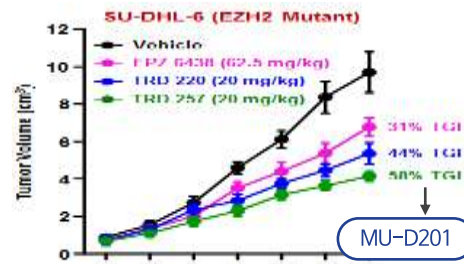
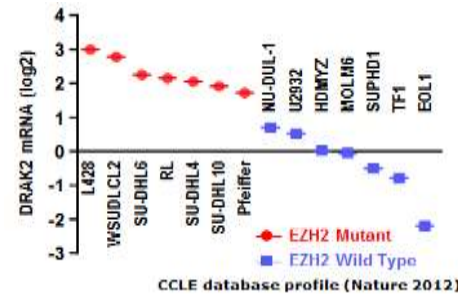
EZH2 유전자변이,
감마델타 T-세포 수용체 변이

희귀질환 대상의 치료제 개발로
조기 판매 승인 기대

EZH2 유전자변이를 가진 미만성거대 B세포림프종
감마델타 T 세포 백혈병

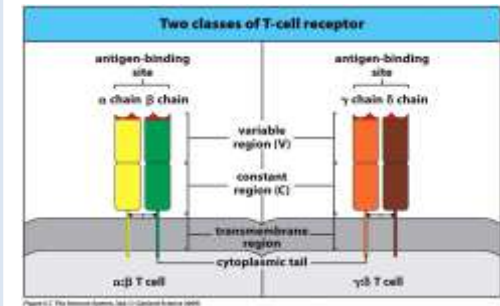
미만성거대 B세포림프종

EZH2 유전자변이를 가진 미만성거대 B세포림프종 세포에서 DRAK2가 과발현되어 있음

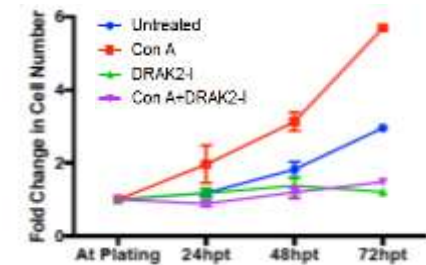


감마델타 림프성 백혈병

감마델타 T 세포 림프성 백혈병 유래 세포에서 DRAK2 억제제인 MU-D201이 세포 사멸 유도 효과 확인

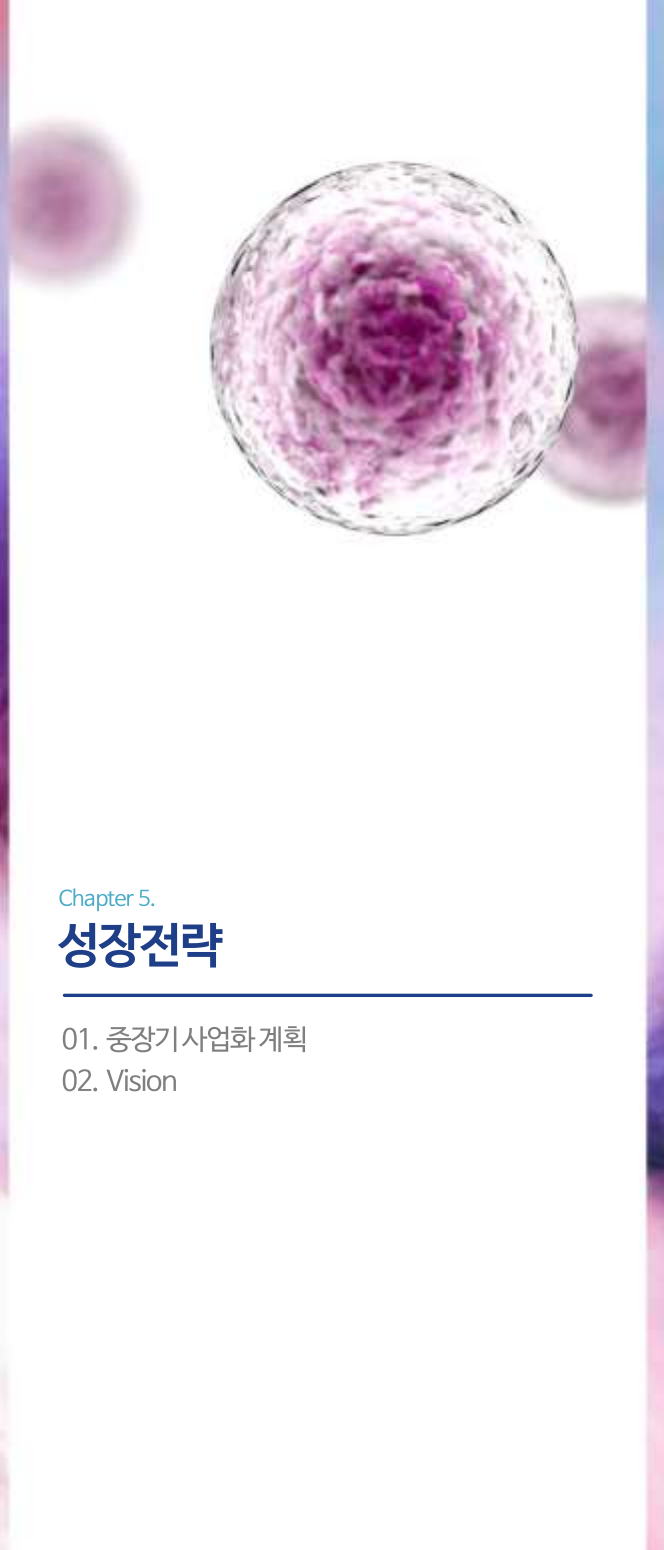
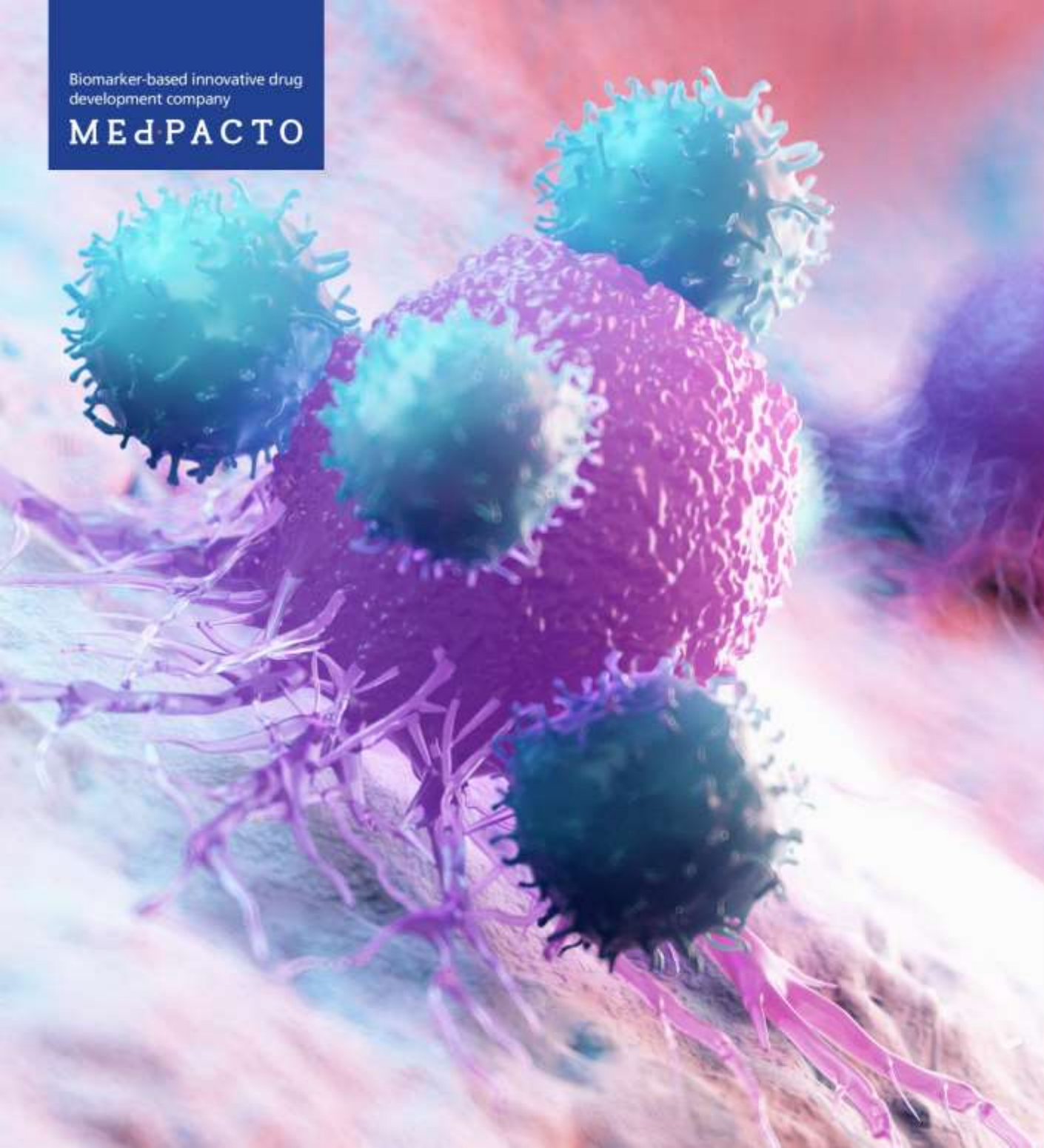


[BE-13]



Biomarker-based innovative drug
development company

MEPACTO



Chapter 5.

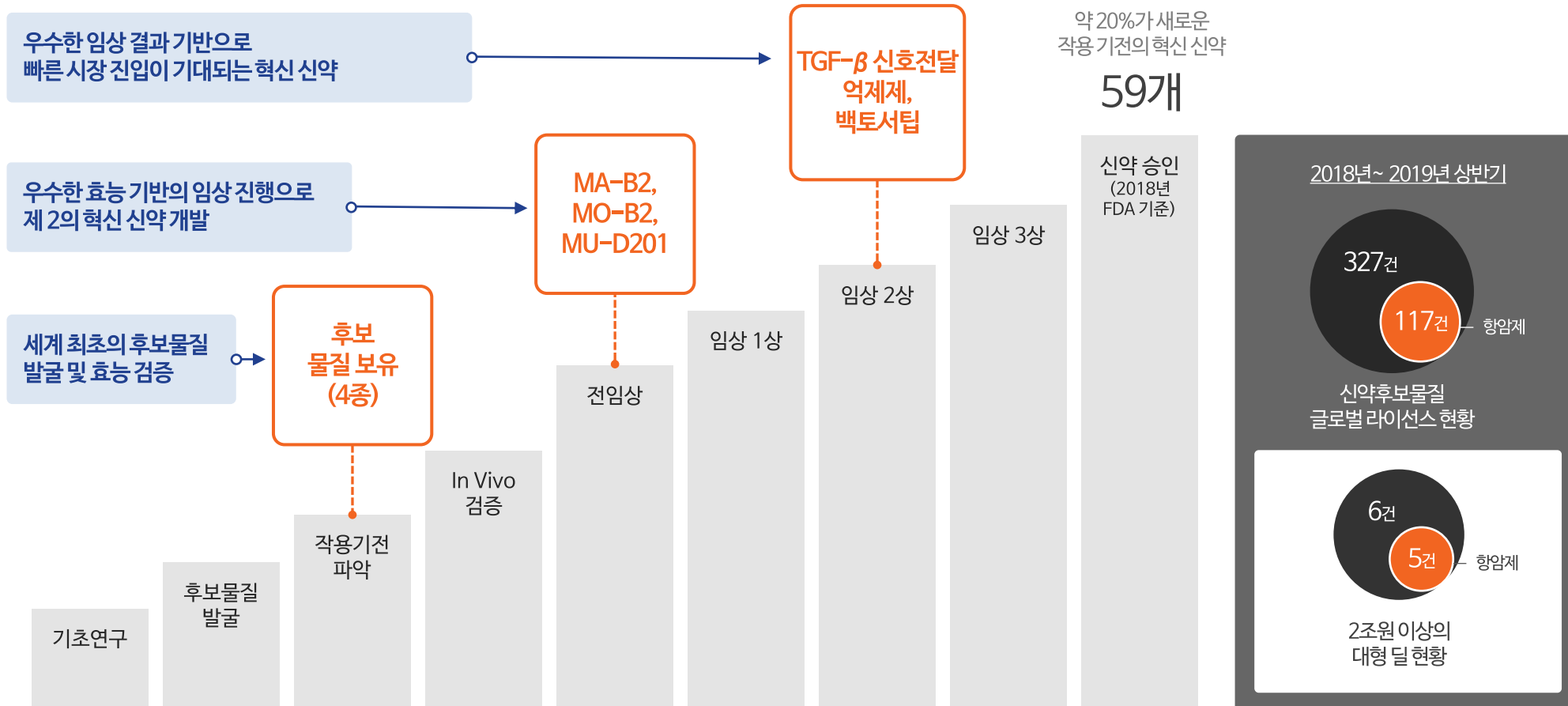
성장전략

01. 중장기사업화 계획

02. Vision

01. 중장기 사업화 계획

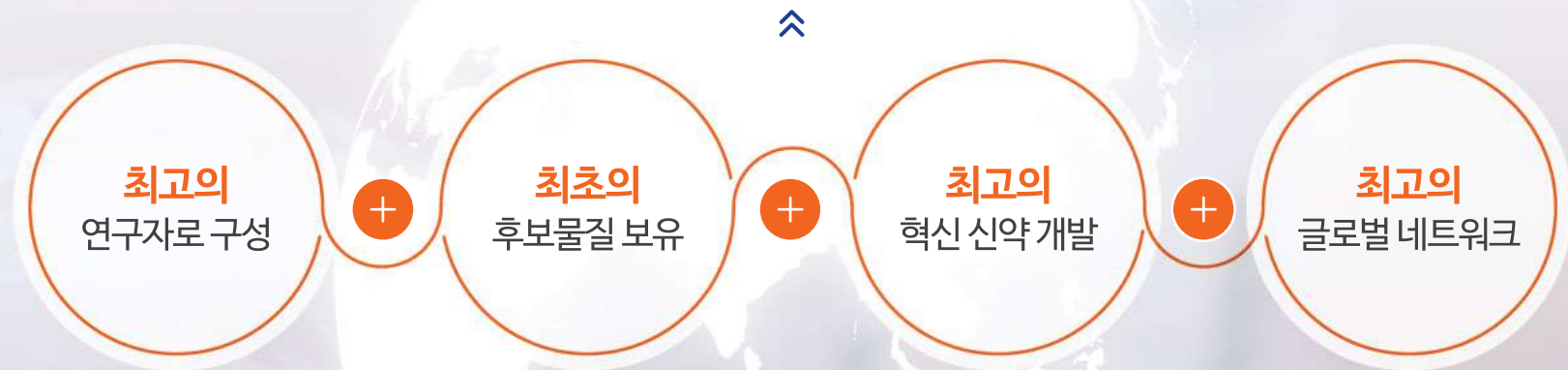
바이오마커 기반 혁신 신약 개발을 통해 글로벌 항암제 시장의 판도 변화 주도



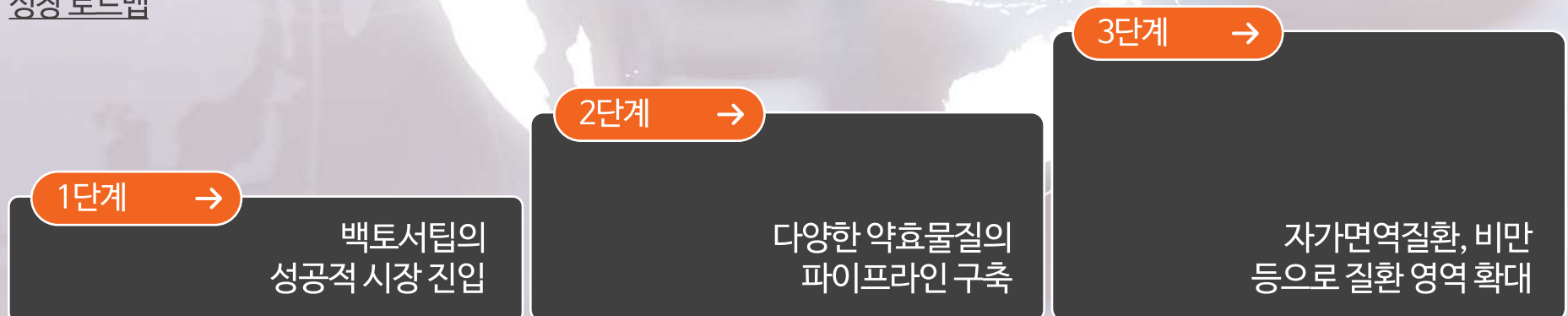
자료: EvaluatePharma

MED·PACTO

혁신 신약 개발의 글로벌 리더



성장 로드맵





MED·PACTO

