

# BBT-401 개발 진행 현황 및 계획 발표

---

브리지바이오테라퓨틱스 (주)

| 2020.09.22

# 면책 조항 (Safe Harbour Statement)

본 자료는 브릿지바이오테라퓨틱스(주) (이하“회사”)가 회사의 사업과 경영에 대한 정보를 주주 및 투자자들에게 제공하기 위해 작성하였습니다.

어떠한 경우에도 본 자료의 일체 및 부분에 대해 복제, 혹은 타인에게 직간접적으로 배포, 전송, 출판을 금지합니다.

본 자료는 자료 작성일 기준으로 회사의 최신 정보를 제시하고 있으며, 이후 해당 내용의 검증 및 업데이트의 책무가 없습니다.

본 자료는 미래에 대한 “예측 정보”를 포함하고 있습니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 것으로서, 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미할 수 있으며, 표현상으로 '예정', '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 미래실적은 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 있을 수 있습니다.

본 자료의 전부 혹은 일부는 어떠한 경우에도 투자자의 투자결과에 대한 법적 책임 소재의 입증자료로 사용될 수 없습니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 양지하시기 바랍니다.

**I**

**비전 및 기업 현황**

---

**II**

**BBT-401 개발 현황**

---

**III**

**BBT-176 개발 현황**

---

**IV**

**Q&A**

---

# 비전 및 기업현황

bridgebio  
therapeutics

영업현금흐름 측면에서 독립적 운영이 가능한  
**혁신신약 중심 글로벌 바이오텍** 회사가 되겠습니다.

2015.9 ~ 2020  
준비기

- 국내 도입 과제 중심 NRDO
- 미국 임상 IND 3개 승인
- 단일 화합물 기준 최대 규모 기술이전
- 설립 만 4년 만에 코스닥 상장
- 초기 개발 역량 (~2a) 확보
- 인력: 20명+

2021~2025  
성장기

- 글로벌 연구개발 바이오텍
- 자체 발굴 역량 강화
- 7개 임상 과제 진행 및 첫 FDA허가
- 기술이전 성과 바탕으로 현금흐름 안정적으로 창출
- 인력: ~100명

2026~2030  
도약기

- 글로벌 상업화 단계 바이오텍
- 선진국 시장 영업 인프라 구축
- 로열티 및 매출 현금 흐름으로 독립 운영 되는 글로벌 바이오텍
- 인력: ~500명

NRDO에서 자체 발굴 역량과 후기 개발 역량을 강화하여  
한국을 대표하는 **글로벌 연구개발 바이오텍**으로 성장하겠습니다.

### 사업모델

- NRDO + 자체 발굴(연구) 역량 강화
- 미국 Boston Discovery Center 설립운영
- 저분자 약물 + 항체 치료제 개발

### 개발 후보 확보

- 국내외 폭넓은 사업개발 통한 제품 도입
- 자체 연구 통한 개발후보물질 확보

### 제품 개발 역량

- 전임상-초기개발(2a) 역량에 "후기개발역량"을 추가 강화
- 미국 중심 글로벌 임상 개발 역량 강화

### 사업 개발 역량

- 지속적인 기술이전으로 현금흐름 지속 창출
- 2021년 연중 목표로 BBT-401과 BBT-176 기술이전 추진중

“

임상 파이프라인 7개  
인력 100명 규모의  
글로벌 바이오텍 회사

”

## 2. 성장기: Boston Discovery Center

인재와 아이디어의 집중지역인 미국 보스턴 지역에 디스커버리 센터를 설립하여 자체 신약발굴 기능과 S&E\* 기능을 구축, 강화하고자 합니다.



### 자체 신약발굴

- 저분자 약물 신규 플랫폼 구축
- 의약화학 + 발굴 생물학
- 10여명 내외에서 지속 확대

### S&E\*

- 신규개발후보물질발굴탐색및검토
- 사업개발 (License-Out)

\* S&E : Search & Evaluation

## 2. 성장기: 다각화된 Deal Flow

해외 우수 딜플로우(In-flow) 강화를 위한  
외부 제휴 및 협력을 지속적으로 확대할 예정입니다.



2020. 03.

- 미국 샌프란시스코 소재 인공지능 기반 신약 발굴 바이오텍
- 최근 시리즈B로 \$123m 자금 조달로 기술력 인정받음 (제2의 슈레딩거)
- 당사와 13개 과제의 신약후보물질 발굴 계약 체결 (20년 3월)
- 현재 2개 과제에서 개발후보물질 발굴 진행 중
- 당사 보스턴 Discovery Center 확충 후 다수의 과제 추가할 예정

BASELAUNCH

2020. 07.

- 스위스 바젤 (로슈, 노바티스 소재) 지역 주정부와 주요 다국적 제약사들간 협력을 도모하는 엑셀러레이터 (Accelerator)
- 올해부터 3년간 참여하는 2기 파트너사는 총 5곳으로 로슈 (빅파마), VC (BB Pureos), 및 바이오텍 (로이반트, CSL Behring 및 브릿지바이오테라퓨틱스)
- 1차 60여 개 바이오텍 지원 과제 심사 완료 → 1개 스위스 바이오텍 지원 결정
- 투자 및 제휴 협력 등 광범위한 오픈이노베이션에 대하여 논의 계획



### 3. 향후 주요 마일스톤

2021년 말까지 임상개발, 사업개발 및 역량 강화 등의 다양한 마일스톤을 달성 해 나갈 계획입니다.

보스턴 Discovery Center 구축

2020년 하반기

2021년 상반기

2021년 하반기

BBT-401 임상2a 중/고용량 시험 개시

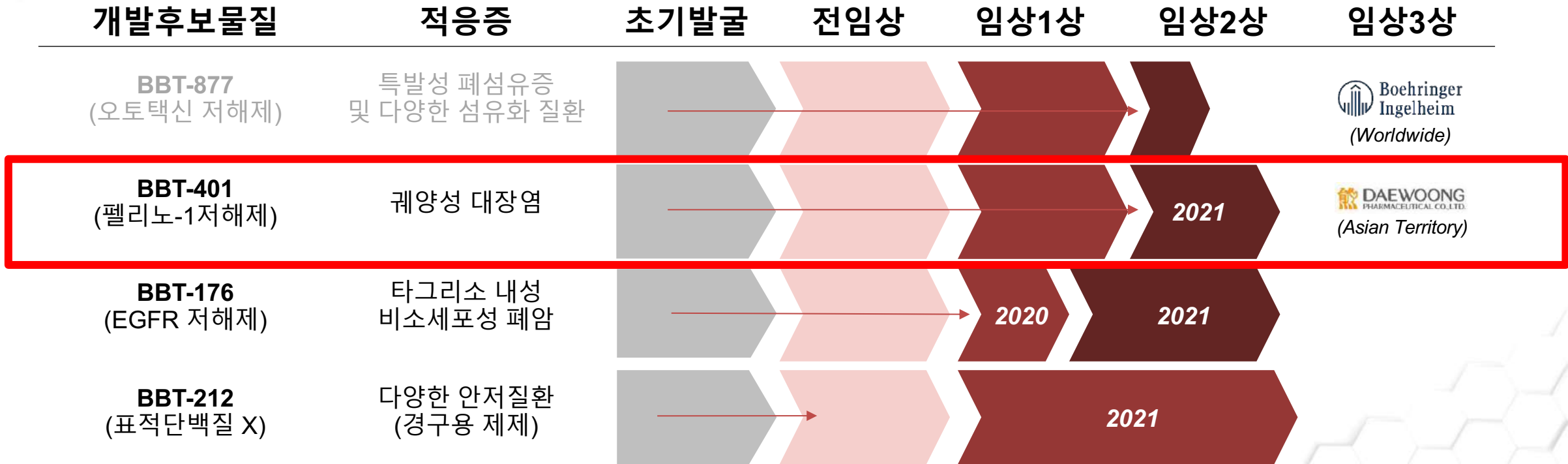
BBT-176 임상1/2상 첫 환자 투여

BBT-401과 BBT-176 글로벌 기술이전

# BBT-401 개발 현황

bridgebio  
therapeutics

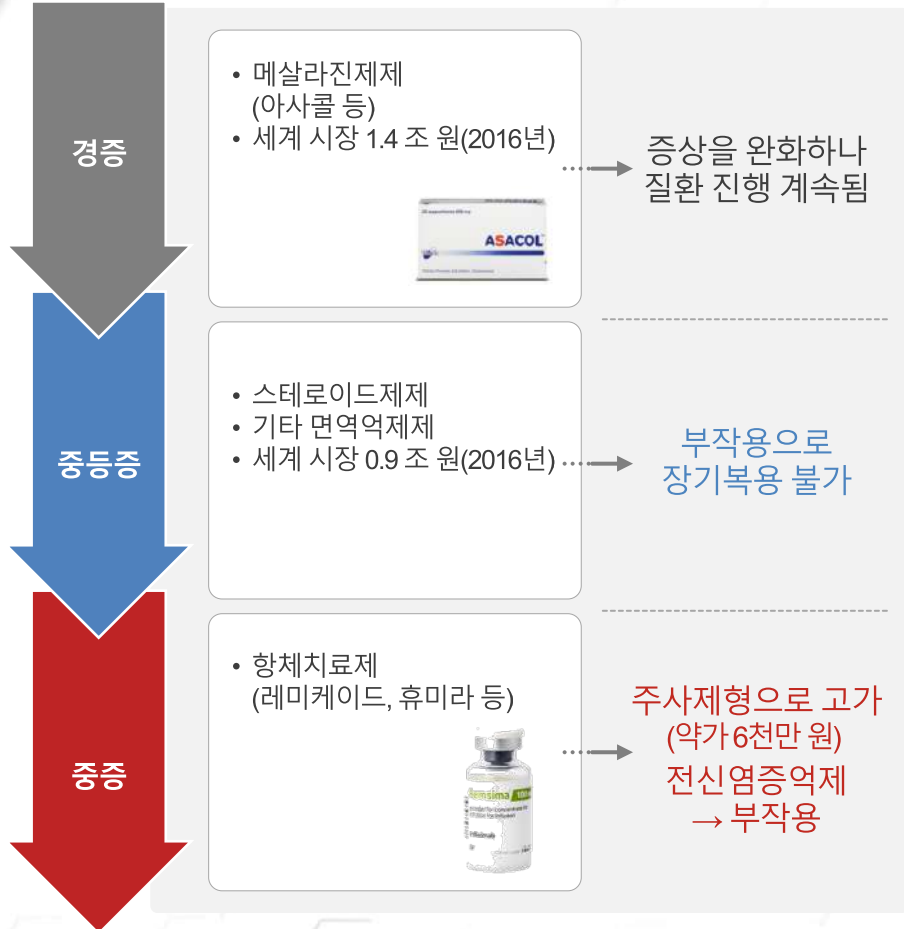
설립 후 5년간 총 4개의 신약 후보물질을 도입하여  
3개의 약물이 미국 IND를 획득하였습니다.



**만성 재발성 염증 질환으로 의학적 미충족 수요가 높습니다.**  
**선진국형 질환으로 한국 및 중국에서 환자가 증가하고 있습니다.**



자료: 질병관리본부 국가건강정보포털



자료: GlobalData – Ulcerative Colitis(2018)

선진 7개국 환자 170만 명 (2016년 기준)

---

전세계 시장 규모 53억 달러 (2016년 기준)

## 이상적인 치료제의 필요

- 우수한 효력의 1차 약제
- 국소분포로 안전성 제고
- 2-3차약제로 확장 가능
- 경구용 치료제 + 합리적 가격

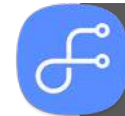


## 전세계 최초 펠리노-1 저해제로서 궤양성 대장염 시장의 “Game Changer”로 개발 진행 중



계열 내 세계 최초 의약품

펠리노-1 단백질 저해제로 염증신호를 차단하여 항염효과를 나타내는  
계열 내 최초 (First-In-Class) 신약 후보 물질



질환부위 한정 작용

약물 고유 특성으로 전신흡수가 되지 않고 소화기관 내에서만 분포/작용  
약효와 함께 우수한 안전성 입증 (전임상 및 임상 1상)



환자 대상 약물 유효성 입증

환자 대상 저용량군에서 경쟁약물 대비 유사한 수준 (반응율 약30%수준) 약효  
확인함



임상2a 중/고용량 진행 계획

올해 말/내년 초를 목표로 중-고용량군 임상 2a 시험을 미국, 한국, 동유럽 등  
5개국 다국가에서 진행할 계획

환자를 대상으로 하는 탐색적 임상 2a의 저용량군 시험 완료  
위약 대조군 대비 약물 유효성 확인 → 중/고용량군 시험 진행

## P2a 저용량군 시험 개요

- 대상: 활동성 궤양성 대장염 환자
- 임상시험기관: 미국 내 10개 병·의원



- 안전성 지표
- 약효 지표
- 대장내시경
- 바이오마커 연구

- 자체 분석
- 자문단 조언
- 잠재적 협력사들과 결과 공유 및 협의\*

- 후속 개발 계획 반영
- 기술수출 논의 지속
- 제형 개선 병행

## 주요 결과\*\* 및 향후 진행 사항

- 약물 안전성 확인
- 환자에서 약물 유효성 확인
- 향후, 중용량 및 고용량군 대상 후속 시험 진행 계획



\* 현재 다국적 제약사들과 지속 논의 중  
\*\* 2020년4월 중간발표 이후 4명 추가등록으로 시험 완료

**BBT-401 저용량군에서 경쟁약물 (TD-1473)과 유사한 수준의 약효 결과를 확인  
용량을 높일 경우 보다 우수한 약효 결과가 도출될 것으로 기대**

	BBT-401 <sup>(e)</sup>	
시험설계	경증~중증 환자 12명 대상 저용량 및 위약 투여함	
전신흡수 정도	전신 흡수 없음	
그룹	저용량	위약군
치료반응 (PMS) <sup>(a)</sup>	3/9 (33%)	0/2
직장출혈 감소 <sup>(b)</sup>	3/5 (60%)	0/1
내시경 점수 <sup>(c)</sup>	3/9 (33%)	0/2
바이오 마커 반응 <sup>(d)</sup> (Fecal Calprotectin)	3/8 (38%)	0/2

TD-1473 <sup>(f)</sup>			
중등증~중증 환자 40여 명 대상 세 용량군 및 위약군 투여함			
대장에 주로 분포하고, 전신 노출 최소화 (minimal systemic exposure)			
저용량 (20mg)	중용량 (80mg)	고용량 (270mg)	위약군
2/10 (20%)	2/10 (20%)	6/11 (55%)	1/9
3/10 (30%)	7/10 (70%)	8/11 (73%)	4/9
2/10 (20%)	3/10 (30%)	2/11 (18%)	0/9
22%	38%	45%	25%

(a) 기준시점(Baseline) 대비 "부분 메이요 점수(Partial Mayo Score)" 25% 이상 및 2점 이상 감소 + 혈변점수 1점 이상 감소 혹은 혈변 점수 0 혹은 1인 경우

(b) Mayo Rectal Bleeding Sub-score

(c) Mayo Endoscopic Sub-score

(d) BBT-401: Fecal Calprotectin 50% 이상 감소 / TD-1473: ≥75% 감소 또는 baseline 수치가 >150 mg/L 이며 28일차 수치가 ≤150 mg/L로 측정

(e) BBT-401: Phase 2a First Read-out 발표 (2020.04.09) : 시험 완료에 따라 추가 2인 결과 포함하여 분석 진행 중

(f) Theravance DDW 2019 발표 자료: <https://investor.theravance.com/news-releases/news-release-details/theravance-biopharma-reports-data-phase-1b-study-td-1473-oral>

저용량군 진행 경험을 바탕으로 **개선 사항들을 후속 개발에 반영**하여 진행하고 있습니다.

## 피험자 모집

- 환자 모집 속도 개선
- 임상 국가 및 사이트 확대

## 질환중증도

- 넓은 환자 스펙트럼
- 약물의 정확한 효력 강도 평가 어려움
- 중등증 (Moderate) 이상 피험자 집중

## 임상설계

측정 지표 선택과 집중 및 개선

## 제형 개선

대장 환부 약물 전달 증진으로 약물 효력 증대



## 약물 전달 모델 시험을 통해 대장 내 약물 전달능을 개선한 제형 개발



### ■ 생검 (Biopsy) 분석 결과

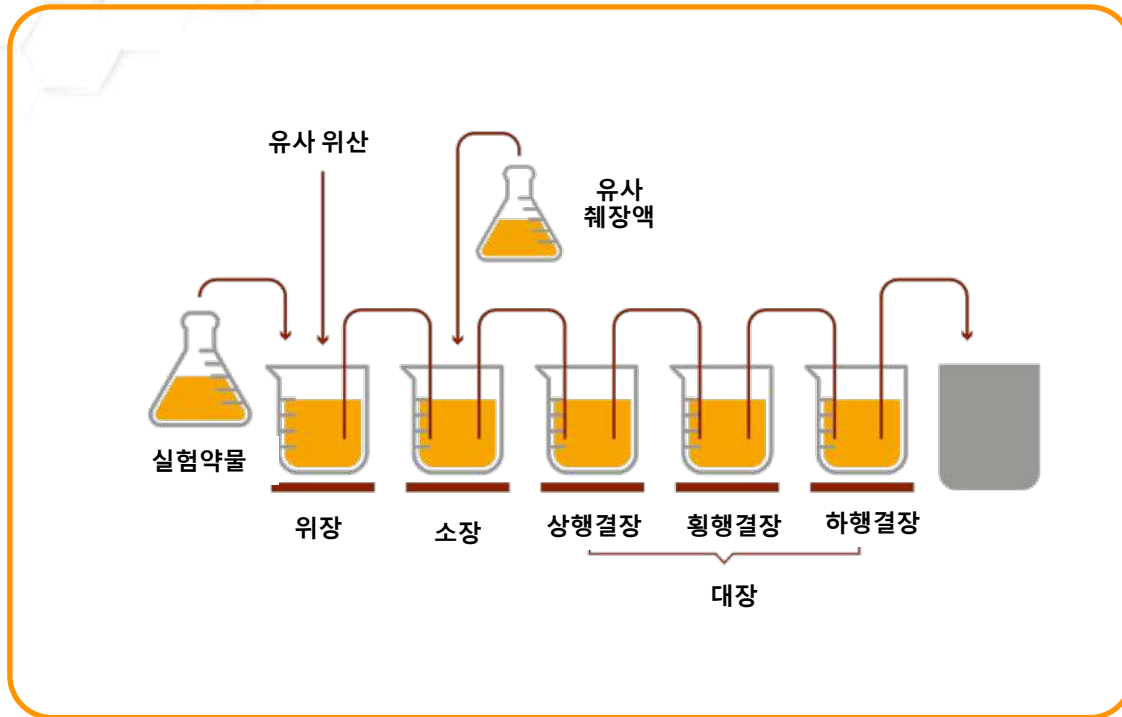
- 저용량군의 대장환부 생검 시료에서 시험 약물 검출 (2명/10명) → **약물 환부 전달 확인**
- 제형개발을 통해 약물전달 성능 강화 목표 설정

### ■ 대장내 효율적인 약물 전달 확인 시험 활용

- **SHIME®** (The Simulator of the Human Intestinal Microbial Ecosystem) 모델\*
  - 위장부터 대장 부위별 인체 상황 재현 모델
  - 단계별 시료 분석 가능 → 소화기관의 단계별 약물 전달능 확인
  - 장내 효소 및 미생물 환경 재현 + 단계별 시간 설정으로 동물모델보다 실제 사람과 가장 유사한 환경 설정

\* ProDigest 社 자료: <https://www.prodigest.eu/en/technology/shime-and-m-shime>

# 제형 개선 – SHIME 모델 활용



\* ProDigest 社 자료: <https://www.prodigest.eu/en/technology/shime-and-m-shime>

## 대장 내 약물 전달능을 강화한 개선 제형 개발 완료 → 중/고용량 시험 적용 계획



SHIME 모델을 이용한 유사 상황	소장 말단 (End of Small Intestine)		대장 말단 (End of Colon)	
	식사 후 (Fed)	공복 (Fasted)	식사 후 (Fed)	공복 (Fasted)
기존 제형	0.0%	0.2%	0.1%	0.1%
개선 제형 1	64.3%	77.6%	1.1%	14.5%
개선 제형 2	<b>80.9%</b>	<b>83.3%</b>	<b>9.4%</b>	<b>27.4%</b>

- SHIME 모델 실험에서 현 제형의 소장/대장 전달능 Baseline 확인 (실제 임상에서 대장 환부 검출 확인 됨)
- **개선 제형2에서 소장말단까지 80% 이상의 전달능 확인 = 대장약물 전달 능 대폭 강화**
- 개선 제형2에서 대장말단에 9.4~27.4% 잔여 확인 = 약물 대장에서 효율적 분포 예상
- 대장 말단부터 발병/확산되는 궤양성 대장염 특성에 맞는 대장 말단까지 충분한 약물 전달 (5-ASA 약물과 유사한 Profile 확보)

## ■ 임상 2a상 중 · 고용량 시험: 2020년 연말~2021년 초 개시 예정

- 국가 확대: 미국 → 미국, 뉴질랜드, 한국, 폴란드, 우크라이나 (총 39개 사이트)
- 대상자 수 확대: 16명 (12/4) → 36명 (12/12/12, 중용량, 고용량, 위약군)
- 대상 집단: UC 전체 대상 → 중등도 ~ 중증 환자 = 첫 용량군 결과를 바탕으로 효능 확인을 위한 최적 대상 집단 설정
- 두 용량군 및 위약군 동시 진행

## ■ 보충 시험들 (Supplementary Trials)

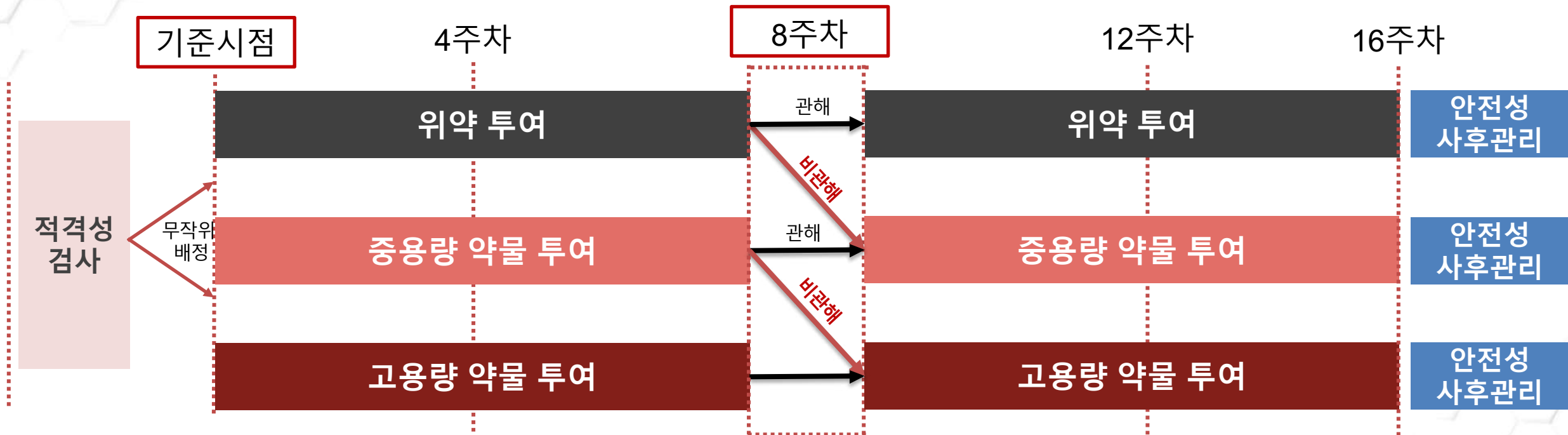
- 대장 내 전달능 개선 제형 개발 완료
- 직장 투여 (Rectally Administered) 임상 시험 (NCT04478825) = 2020 연내 개시 예정
  - 병변에 직접 투여 시 안전성 및 효능 확인
  - 직장 투여 경로 제형 개발 탐색

## ■ 임상 2a상 중 · 고용량 시험: 2020년 연말~2021년 초 개시 예정

- 시험명: 이중눈가림-반응정도반영-연장기간이 포함된, 중등도-중증의 궤양성 대장염 환자를 대상으로 하는 무작위 배정, 위약 대조, 경구 BBT-401-1S 임상시험
- 목적: 활동성 궤양성 대장염 환자에서의 경구 BBT-401-1S 임상 반응 효력 탐색
- 국가: 미국 (총 10개 사이트) → 미국, 뉴질랜드, 한국, 폴란드, 우크라이나 (총 39개 사이트)
- 대상자 수: 총 36명 (12/12/12, 중용량, 고용량, 위약군) → 두 용량군 및 위약군 동시 진행
- 대상 집단: 중등도 ~ 중증의 활동성 궤양성 대장염 환자
  
- 주요 평가지표: **측정 지표 선택과 집중 및 개선**
  - **주결과지표: 임상적 반응을**
    - 임상적 관해율
    - 내시경적 관해율
- 탐색적 평가지표: 내시경적 반응율, 삶의질 개선, 조직학적 개선
  
- Sponsor open-label로 중간 결과 지속 확인 예정 → **사업 개발에 탄력적 활용**

## 중용량/고용량군 동시 진행

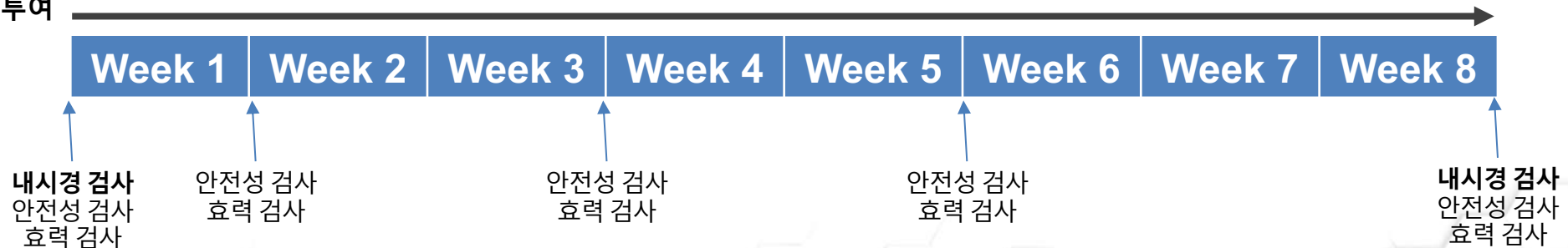
8주차 주요 결과 분석 후 → 관해 및 비관해 여부에 따라 탄력적 용량 변동



## ■ 직장내 직접 약물 투여를 통해 경구 투여 시험 결과 해석 보충 및 추가 제형 개발 탐색

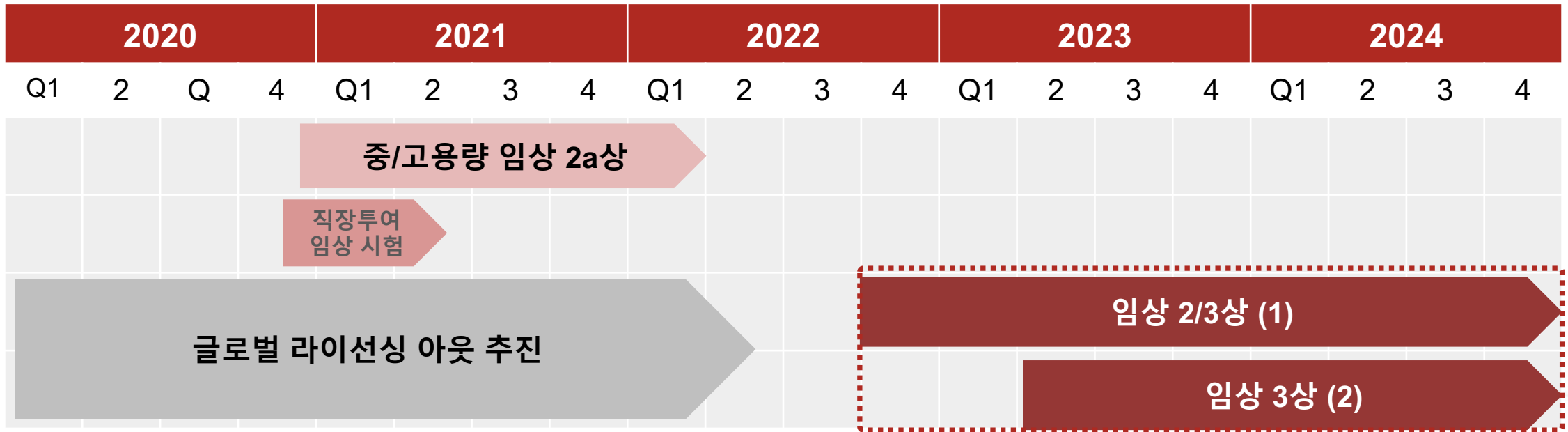
- 시험명: 궤양성 대장염 환자를 대상으로 직장 투여 BBT-401-1S의 효능과 안전성을 탐색하는 공개, 약물기전 증명 시험
- 국가: 뉴질랜드 2개 기관
- 대상자 수: 6명
- 대상 집단: 활동성 궤양성 대장염 증 좌측 궤양성 대장염 (left sided UC) 환자
- 관장으로 병변에 직접 투여 시 안전성 및 효능 확인, 직장 투여 경로 제형 개발 탐색
- 연내 개시 예정

1일 1회 직장 투여



# BBT-401 개발 계획

- 임상2a 중·고용량 시험을 다국가 임상으로 연말/연초에 개시, 21년 말-22년초 종료 목표
- 2022년부터 후기 임상을 복합적으로 진행하여, 2024년 임상 3상 완료 목표
- 2021년 연내 최적의 파트너링 모색 가능한 글로벌 제약사 대상 기술이전 계획



\*라이선싱 파트너와 협의에 따라 변동 가능성 높음



- 성균관대학교 연구진이 2006년 **세계 최초로 펠리노-1 단백질의 기능을 규명**하였습니다.
- 한국화학연구원 연구진이 2015년 펠리노-1 저해제인 **BBT-401**을 **발굴**하였습니다.
- 임상2a 저용량에서 **약 30%대의 반응률**을 확인하였습니다.
- 개선된 제형은 대장 전달율 및 대장말단 도달율을 획기적으로 개선하였습니다.
- 환자 대상 중/고용량 임상에서 **우수한 효력 및 상업화 가능성을 검증**하겠습니다.
- 개발을 효율적으로 진행하고 동시에 **글로벌 파트너링 성과를 도출** 하겠습니다.

# BBT-176 개발 현황

bridgebio  
therapeutics

- 3세대 약물인 타그리소의 주요 내성요인인 C797S 삼중 돌연변이\*에 효과적인 계열내 최초 4세대 EGFR TKi 치료제 후보 물질입니다.
- 연말/연초에 한국에서 우선적으로 환자모집을 개시할 예정입니다.
- 삼중 돌연변이뿐만 아니라 C797S 이중 돌연변이\*\* 포함, 여러 상황에 효과적인 개선 약물(Back-up Compound)을 연구중입니다. (21년 1분기 물질 선정 완료 목표)
- 4세대 EGFR TKi의 종합 솔루션을 제공하는 회사가 되겠습니다.

\* C797S Triple Mutation (T790M/C797S/Del19 or L858R/T790M/C797S): 타그리소의 2차 치료제 사용에 따른 주요 발생 돌연변이

\*\* C797S Double Mutation (L858R/C797S or Del19/C797S): 타그리소의 1차 치료제 사용에 따른 주요 발생 돌연변이

# 실시간 Q&A

bridgebio  
therapeutics

“한국기반 글로벌 혁신 바이오텍으로 성장하겠습니다.”

감사합니다.