

The slide features a large orange ring in the center, with several smaller orange and grey rings of varying sizes and opacities scattered around it. The text is centered within the large orange ring.

Investor Relations **2018**

인콘, Bio 新사업 설명회

INCON

DISCLAIMER

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 presentation으로서 정보제공을 목적으로 (주)인콘(이하 “회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재 배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 presentation에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다. 본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무 성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. 본 자료에 포함된 “예측 정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무 실적을 의미하고, 표현상으로는 ‘예상’, ‘전망’, ‘계획’, ‘기대’, ‘(E)’ 등과 같은 단어를 포함합니다. 위 “예측 정보”는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 “예측 정보”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 전략 수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 representative들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

본 문서는 주식의 모집 또는 매매 및 청약을 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

주식 매입과 관련된 모든 투자 결정은 오직 금융위원회에 제출한 증권신고서 또는 (예비)투자설명서를 통해 제공되는 정보만을 바탕으로 내려져야 할 것입니다.



CONTENTS

Chapter 1. 일반개요

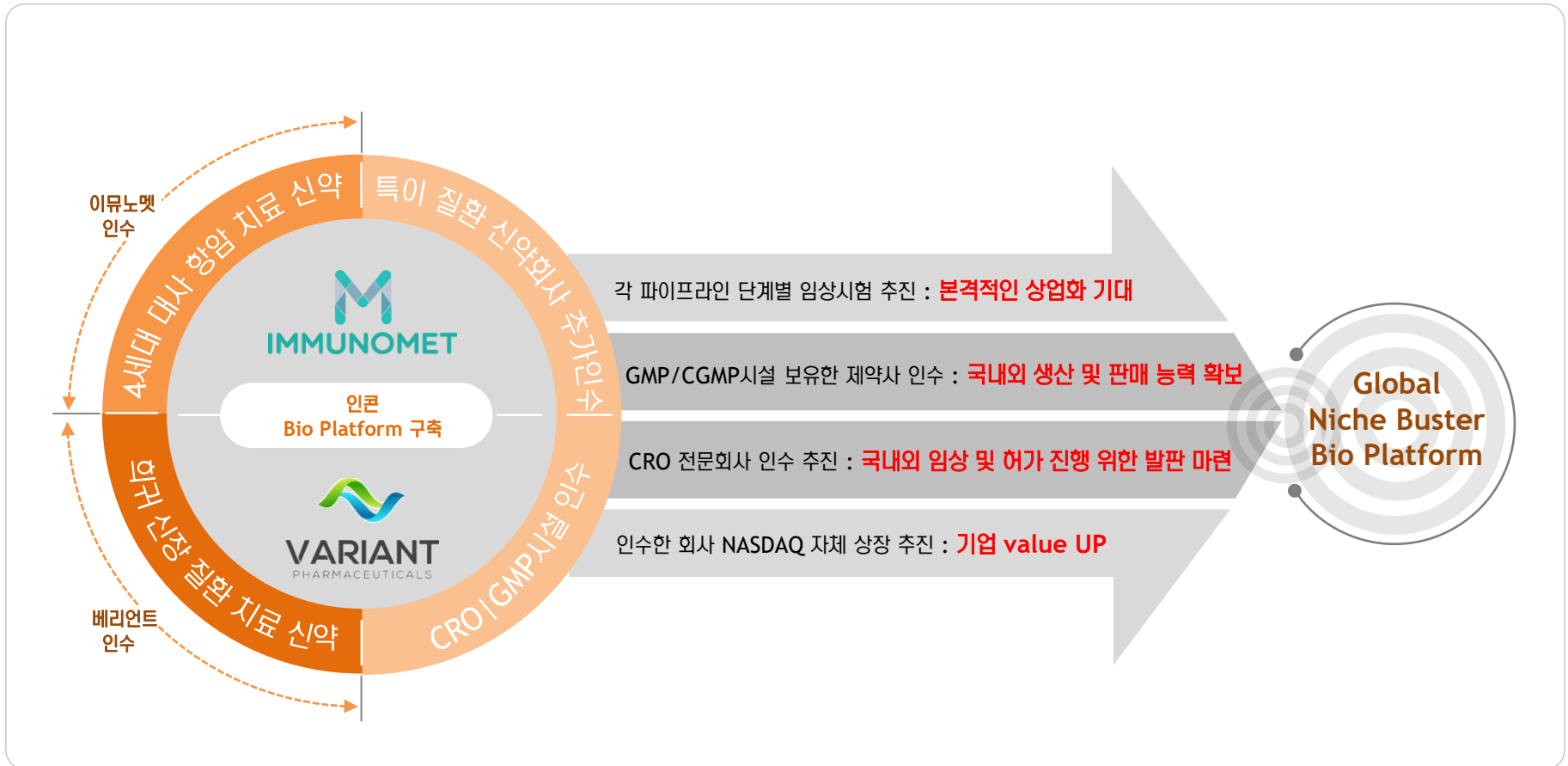
Chapter 2. 신규사업 : 제약바이오

Chapter 3. 희귀 질환 : 베리언트 소개

Chapter 4. 희귀 질환 의약품 시장

Chapter 5. 4세대 항암제 : 이뮤노멧 소개

인콘, Bio '니치버스터' 新사업 추진 ... 한국의 Shire를 향하여



#. 참고자료

Niche Buster

- 니치버스터 (Niche Buster)는 커다란 틈새시장이란 뜻으로, 경쟁이 비교적 적고 시장성이 높은 틈새 의약품
- 주로 제약 산업에서 매출 1억~5억 달러 미만, 복용 환자 수는 1만~100만명 미만으로 특화된 치료제로 표적항암제, 희귀질환치료제 등 경쟁이 비교적 적고 시장성이 높은 틈새 의약품을 의미
- 니치버스터는 상대적으로 개발 비용 위험이 적고, 허가 절차 간소화 등 혜택이 있어 기술력만 갖추고 있다면 시장 선점의 기회가 큼
- 관련 업계에서는 블록버스터 의약품의 시대는 가고, 최근 대세로 떠오른 니치버스터가 앞으로의 시장을 주도할 것이라는 전망
- 2018년 신약개발 중요 키워드로 ‘니치버스터’와 ‘오픈이노베이션’이 꼽힘

Shire

- Shire Plc (Shire)는 1986년 영국에서 설립. 지난 30여년간 파브리병, 고셔병, 뮤코다당증, 유전성혈관부종, 본태성혈소판증가증 등 다수의 희귀질환 치료제를 개발해 전세계 100여개 국가에 공급
- 희귀 질환 및 기타 고도의 전문화 된 조건을 가진 환자를 치료하기 위한 새로운 의약품의 연구, 개발, 제조, 마케팅, 유통 및 판매에 중점을 둔 생명 공학 전문회사
- Shire는 아일랜드 더블린에 본사를 두고 있으며, 유럽, 미주, 아시아 태평양, 남아프리카 및 기타 국가의 자회사 및 대표 사무소와 함께 운영 중
- 혈액학, 신경 과학, 면역학, 유전 질환, 안과, 위장관, 내분비선, 유전성 혈관 부종, 암 및 기타 질병을 포함한 다양한 치료 영역에서 제품을 제공
- 주로 미국과 유럽에서 제약 도매 유통 업체와 대형 약국을 통해 제품
- FY2017 회계 연도 기준 : 매출액이 US \$ 15,160.6 백만으로 2011 회계 연도에 비해 33 % 증가
- FY2017의 영업 이익률은 16.2 %로, FY2016의 영업 이익률 8.4 %대비 수익성 향상. 순이익률은 28.2 %



Chapter 1. 일반개요

1-1. 회사개요

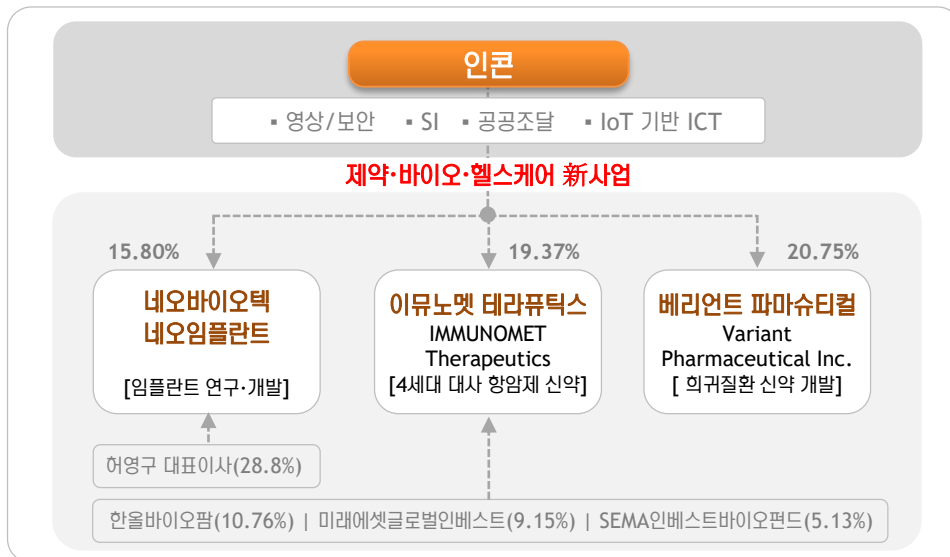
항암, 희귀질환·특이질환 글로벌 바이오 시장 진출 ... 바이오 플랫폼 leading company “인콘”

일반개요

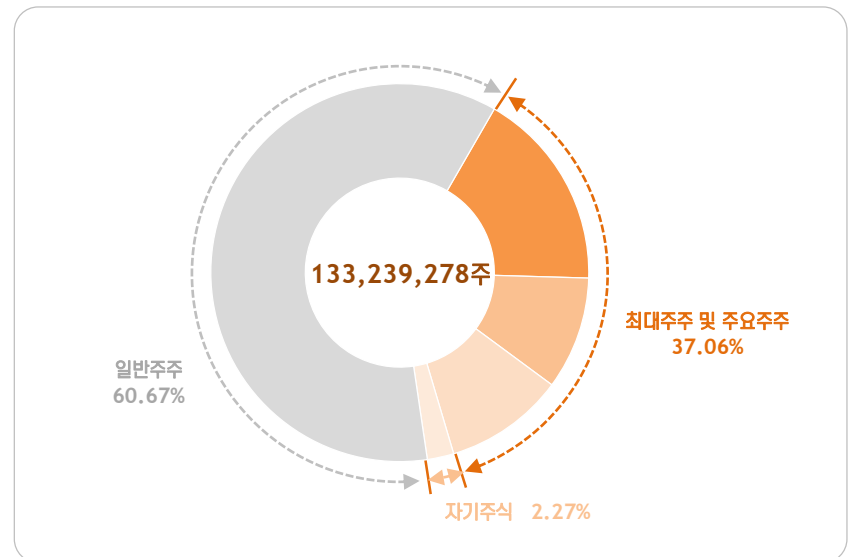
회사명	(주) 인콘
대표이사	김 동 원 한 기 림
설립일	2000년 08월 01일
상장일	2005년 12월 27일

사업영역	영상·보안 전문/IoT기반 ICT/ 제약·바이오
임직원수	130명
자본금	133억원
홈페이지	http://www.in-con.biz/

지배구조



주주구성



1-2. 인콘 성장 history

보안 및 IT사업 중심에서 헬스케어·제약 바이오 전문 기업으로 재도약...新성장 동력 확보





Chapter 2. 신규사업 : 제약바이오

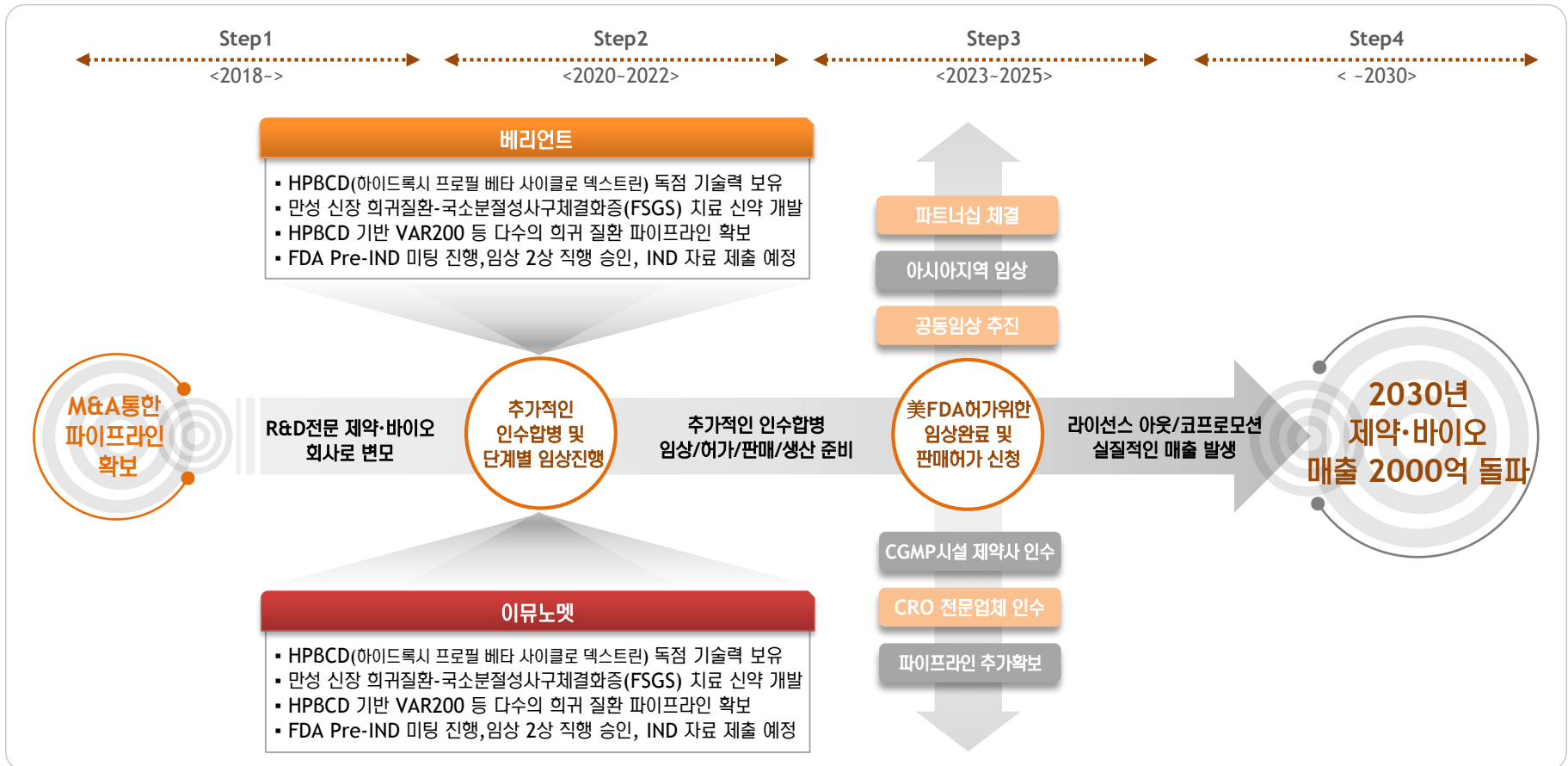
2-1. 바이오 신사업

2018년 이뮤노멧, 베리언트 인수 완료 ... 4세대 항암치료·희귀질환·특이질환 등 바이오 시장 진출



2-2. 바이오 사업 성장 로드맵



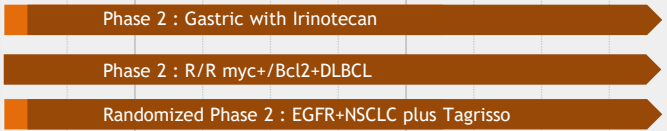
항암·희귀질환 파이프라인 확보 → 추가적인 M&A 및 단계별 임상 진행 ... 바이오 사업 경쟁력 Up



2-3. 바이오 사업 임상 추진

대사항암제 '19.3Q 임상2상, 희귀 신장질환 신약 '19.2Q 임상2상 본격 돌입 ... 빠른 상업화 기대

Pipeline		전임상	IND완료	임상1상	임상2상	임상3상	신약허가신청
 <ul style="list-style-type: none"> Pre-IND 완료, 美 FDA로부터 임상2상 직행 승인완료 美 FDA로부터 ODD(희귀의약품) 지정 완료 '19.1Q IND filing 진행 예정 '19.2Q 임상 2상 진행 예정 	VAR 200 (HPBCD for FSGS)						
	VAR 300 (HPBCD for AS)						

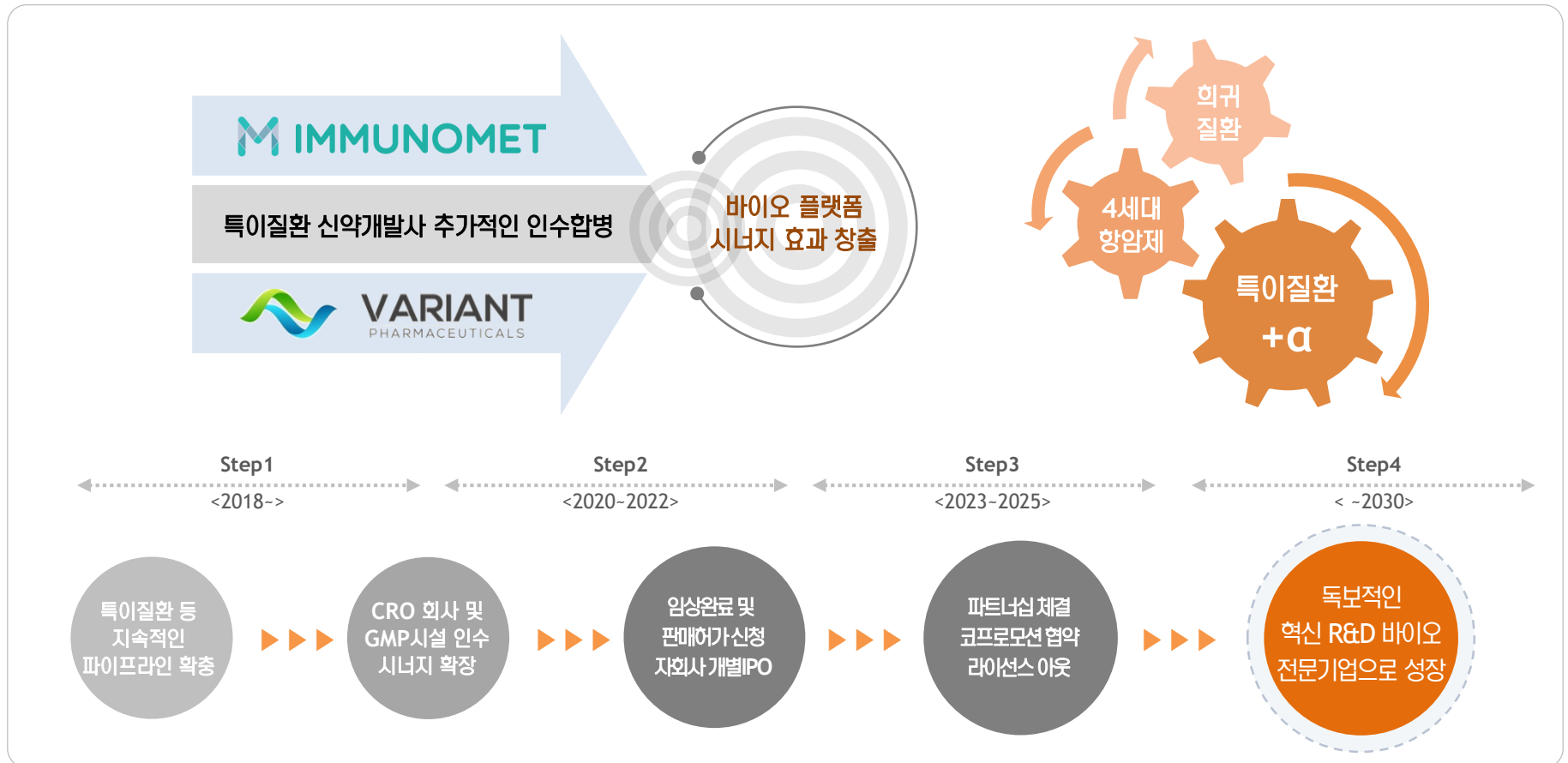
Pipeline	2017	2018	2019	2020	2021
 <p>[IM 156]</p> <ul style="list-style-type: none"> 4세대 항암치료 신약, 대사항암제 '17.4Q-현재 임상 1상 진행중 '19.04 임상1상 완료, 중간발표 예정 '19.2Q 확대임상 1상 진행 예정 '19.3Q 임상 2상 진행 예정 					

2-4. 바이오 사업 현황 및 계획

구분		
파이프라인	<ul style="list-style-type: none"> 2018년 11월 15일 인수 발표 2018년 11월 30일 인수 완료 VAR 200, VAR 300 등 다수의 파이프라인 확보 	<ul style="list-style-type: none"> 2018년 6월 20일 인수 발표 2018년 10월 11일 인수 완료 IM156, IM176(back-up) 등 다수의 파이프라인 확보
임상시험	<ul style="list-style-type: none"> VAR 200 Pre-IND 완료, 美 FDA로부터 임상2상 직행 승인완료 美 FDA로부터 ODD(희귀의약품) 지정 완료 '19.1Q IND filing 진행 예정 '19.2Q 임상 2상 진행 예정 '20. 하반기 VAR 시리즈 임상2상 진행(알포트린증후군, 당뇨병성신장질환) 	<ul style="list-style-type: none"> 대사항암 치료 신약 IM156 임상 1상 진행중 '19.04 임상1상 완료, 중간발표 예정 '19.2Q 확대임상 1상 진행 예정 '19.3Q 임상 2상 진행 예정
IPO	<ul style="list-style-type: none"> '18년말~ 해외 주간사 선정 추진 '19년 중순 NASDAQ 상장 추진 	<ul style="list-style-type: none"> 국내외 주간사 선정 진행 예정 '19년말 NASDAQ 상장 추진
국내외 제약사 파트너십 체결	<ul style="list-style-type: none"> VAR 200에 대해 국내외 우수 제약사와 파트너십 체결 <ul style="list-style-type: none"> : 아시아지역 공동 임상 2-3상 진행 추진 라이선스 아웃 통한 공동 임상 추진 	<ul style="list-style-type: none"> IM156에 대해 국내외 우수 제약사와 파트너십 체결 <ul style="list-style-type: none"> : 아시아지역 공동 임상 2-3상 진행 추진 라이선스 아웃 통한 공동 임상 추진
판매허가 신청	<ul style="list-style-type: none"> VAR 200 임상 3상 완료후 미국 FDA NDA(신약판매허가)신청 	<ul style="list-style-type: none"> IM156 임상3상 완료후 미국 FDA NDA(신약판매허가)신청

2-5. 바이오 사업 : 중장기 성장 전략

추가 인수 및 개별 IPO 추진 통한 핵심역량 강화 ... 글로벌 바이오 플랫폼 선도기업으로 도약





Chapter 3. 희귀 질환 : 베리언트 소개

희귀질환 신약 개발 회사 ... “Variant Pharmaceuticals”



독점 기술을 활용한 동급 최상의 임상 단계 희귀질환 신약 개발 회사



경영진

경쟁력	성명	직위	경력	이전 회사명
폭넓은 제약사 경험 & 성공적인 사례 보유 <ul style="list-style-type: none"> >25 이상 NDA/BLA 경험 >55 이상 신제품 출시 >15 이상 희귀질환 적응증 >40 이상 라이선싱 딜&인수 \$100억달러 이상 라이선싱 & 합병 경험 \$2.5억달러 이상 투자 유치 	Stephen C. Glover	공동설립자/대표이사	30+	
	Nick A. LaBella, MS, RPH	사이언스 부문 최고책임자	30+	
	Pablo A. Guzman, MD, FACC	메디컬 부문 최고책임자	30+	
	Karen A. Cashmere	개발·마케팅 부문 부사장	25+	
	Melda Uzbil	사업 개발 부문 부사장	12	
	Peter Wolfe	재무 부문 부사장	17	

3-2. 주요 인력

사내이사	약력	과학 자문 위원회	약력
Stephen Glover	<ul style="list-style-type: none"> 공동창업자·회장·대표이사 제약 및 생명과학 전문가 (>32년 이상) Coherus Biosciences, Insmmed, Andrx, Amagen and Roche 임원 출신 현 InflammCore and Asclepius Lifesciences 이사 	Sharon G. Adler, MD	<ul style="list-style-type: none"> David Geffen School of Medicine, UCLA 의 대교수 Harbor-UCLA Medical Center 신장 및 고혈압 분과 과장
Julies A. Musing (Lead Director)	<ul style="list-style-type: none"> >36년 이상 글로벌 제약 및 바이오 산업 경험을 보유한 전문가 Johnson&Johnson, Janssen Pharmaceuticals, Ortcho Biotech and Ares Serono의 임원출신 	Alessia Fornoni M.D., Ph.D.	<ul style="list-style-type: none"> 신장 및 고혈압 분과과장 Peggy & Harold Katz Family Drug Discovery center, University of Miami Miller School of Medicine 이사
Aaron Greenblatt	<ul style="list-style-type: none"> G&W Laboratories, Inc. 현 대표이사 G&W Laboratories. 전 최고 운영 책임자·부사장 The Greenblatt 가문 출신 	Pablo A. Guzman, MD, FACC	<ul style="list-style-type: none"> 과학 자문 위원 의장 Variant Pharmaceuticals 메디컬 부문 최고 책임자
Robert Finizio	<ul style="list-style-type: none"> 의학 박사 출신의 공동 창업자·임원 >20년 이상 의료서비스 관련 종사 CareFusion, Omnicell and Endoscopy Specialist 임원출신 	Jonathan J. Hogan, MD	<ul style="list-style-type: none"> Penn Glomerular Disease Center 임상 학과 임원 Hospital of the University of Pennsylvania 의대 조교수
Anthony Givinazzo	<ul style="list-style-type: none"> Sunovion CNS Development Canada의 전 대표이사 & Sublimity Therapeutics. 전 회장 >38년 이상의 제약 바이오 산업 경험 보유 Promis Neurosciences 현 사내이사 	Gerald B. Appel, MD	<ul style="list-style-type: none"> New York-Presbyterian Hospital / Columbial University Medical Center 임상 신장 학과 공동 이사 Columbia University College of Physicians and Surgeons 신장 사구체 질환 센터 이사 및 임상 의학과 교수
Eric Richman	<ul style="list-style-type: none"> PharAthene 전 대표이사 & LabConnect 전 회장 >25년 이상의 생명과학 분야 경험 보유 희귀질환 및 항암치료제를 개발하는 MedImmune의 공동 창업자 Brace Pharma Capital 전 기업 파트너 & ADMA Biologics and NovelStem International 사내이사 	Debbie S. Gipson, MD, MS	<ul style="list-style-type: none"> University of Michigan 소아 및 전염병과 센터 교수 The Michigan Institute for Clinical and Health Research 임상 리서치 부서 책임자
		Marlene Haffner, MD, MPH	<ul style="list-style-type: none"> Orphan Solutions & Haffner Associates 의 장 및 설립자 FDA 희귀 의약품 개발 부분 전 임원

*Variant internal analysis based on patient populations, market uptake and treatment algorithm assumptions

The Problem : 신장 질환 치료 상당한 경제적 부담

Medicare (국민건강보험) 예산 중 7% (\$34B(약 35조원))를 매년 신장 질환 치료에 사용

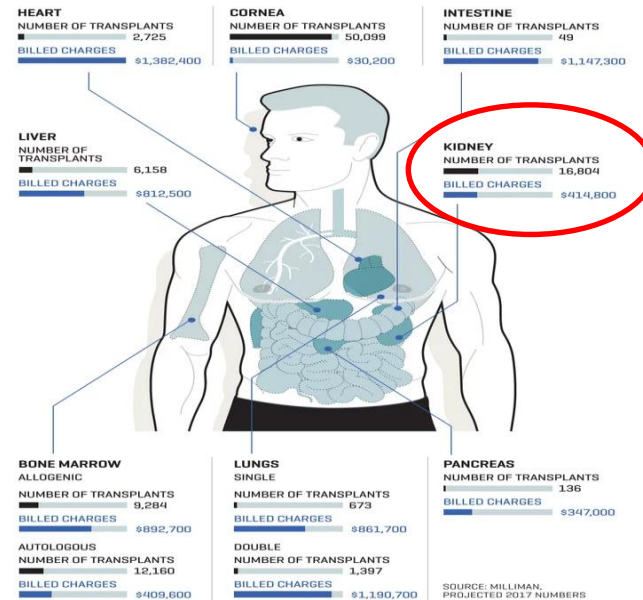
신장 이식 수술 비용

- ▶ \$400,000+ (약 4억원 이상)

투석 비용

- ▶ (미국) 혈액 투석 비용으로 연간 \$89,000 (약 9천만원) 비용을 지출 함
- ▶ (미국) 연간 혈액 투석 비용을 \$42B (약 43조원) 지출하며, 이중 Medicare (국민건강보험)예산에서 \$34B (약 35조원)을 지출
- ▶ 나머지는 Medicaid, 개인보험, 개인이 지출
- ▶ 블록버스터 Epogen은 매출은: \$3B+ (약 3조원)

ANNUAL NUMBER OF TRANSPLANTS IN THE U.S. AND AVERAGE AMOUNT BILLED



VAR 200은 혈액 투석 & 신장 이식의 필요성을 지연시키거나 감소 시킬 수 있음

3-4. FSGS : 국소분절성 사구체경화증 (1)

FSGS (국소분절성 사구체경화증) Overview : Lead Indication (주 적응증)

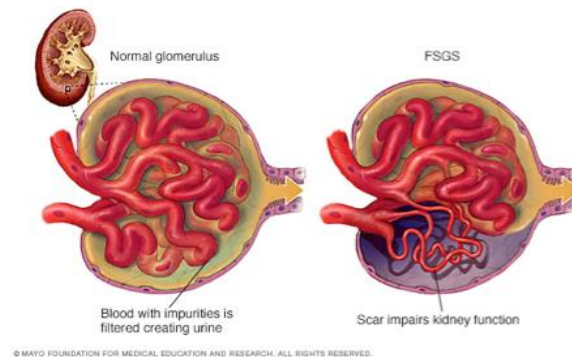
성인에서 가장 흔한 원발성 사구체 질환으로 고통받은 환자수는 미국에서 약 8만명으로 추정

- ▶ 신장 기능 유무에 상관없이 단백뇨 (신 증후군)을 유발
- ▶ 1차 병태 생리: 세포 내 콜레스테롤의 축적과 관련된 신장사구체의 죽 세포 손상으로 여과 장애 및 단백뇨 유발
- ▶ FSGS (국소분절성 사구체경화증): 국소 (일부 사구체에 영향을 미침) & 분절 (사구체의 일부에만 영향을 미침)
- ▶ 원발성 질병 (환자의 80%): 특발성.. 병인 확인 X
- ▶ 속발성 질병: 불법적인 약물, HIV, 혹은 기타 바이러스 감염 (염증, 독성, 또는 신장 내 혈액학적 변화)

< 현 치료방법 >

- ▶ ACE (안지오텐신전환효소) 억제제, ARB (안지오텐신수용체) 차단제, 식이조절제, 혈압조절제, 스타틴 및 스테로이드(신장증환자)

현재 FDA에 승인된 FSGS 환자를 위한 치료 요법 X



FSGS Treatment (치료)

- ▶ 일반적으로 FSGS 환자는 사구체 손상, 섬유증, 및 단백뇨를 일으키는 다양한 병리 현상을 치료하게 위해서 다양한 약물을 사용하고 있음
 - 혈관 수축을 위한 RAS (레닌-안지오텐신계) 억제제
 - 염증 치료를 위한 스테로이드
 - 염증 치료를 위한 칼시뉴린 (칼슘에 의해 흥분되는 세포내 신호전달 물질)
- ▶ FSGS 파이프라인은 기전이 다른 5가지 약물로 분류
 - 혈관확장제 (Vasodilators)
 - 항 섬유증제 (Anti-fibrotic)
 - 한 염증제 (Anti-inflammatory)
 - 항 염증제/항 섬유증제(Anti-inflammatory/anti-fibrotic)
 - 함 염증제/혈관확장제 (Anti-inflammatory/vasodilator)
- ▶ VAR 200은 다른 신장 병리 (죽세포 지질 축적)를 다루는 새로운 종류의 의약품
 - 기존 FSGS 치료 약물에 추가적으로 보완할 수 있는 기전

3 Drug Classes Target Different FSGS Pathologies



Vasodilators



Anti-inflammatory
Drugs



Anti-fibrotic
Drugs



VAR200, A Novel Drug Class, Targets A Different Pathology, Intracellular Lipid Accumulation (세포 내 지질 축적)

3-5. 파이프라인

구분	VAR200	VAR300	VAR400
질병	국소분절성 사구체 경화증 (FSGS)	알포트 증후군(AS)	당뇨병성 신장 질환 DKD
적응증	<ul style="list-style-type: none"> FSGS에 의한 신증후군을 앓는 환자들의 단백뇨 일부 또는 완전한 제거 유도 및 유지 확장: FSGS에 따른 신증후군 환자의 병증 진행속도 줄임 	<ul style="list-style-type: none"> AS에 의한 신증후군을 앓는 환자들의 단백뇨 일부 또는 완전한 제거 유도 및 유지 확장: Label extension : AS에 따른 신증후군 환자의 병증 진행속도를 줄임 	<ul style="list-style-type: none"> DKD에 의한 신증후군을 앓는 환자들의 단백뇨 일부 또는 완전한 제거 유도 및 유지 확장: DKD에 따른 신증후군 환자의 병증 진행속도를 줄임
시장규모*	<ul style="list-style-type: none"> >\$2B (>약 2조원) 	<ul style="list-style-type: none"> >\$1.5B(>약 1.6조원) 	<ul style="list-style-type: none"> >\$5B (>약 5조원)
환자 수	<ul style="list-style-type: none"> 미국 내 환자 수 약 8만명 전세계 환자 수 >약 30만명 	<ul style="list-style-type: none"> 미국 내 환자 수 약 6만명 전세계 환자 수 >약 20만명 	<ul style="list-style-type: none"> 미국 내 환자 수 약 1.2천만명 전세계 환자 수 >약 5천만명
주 원료	<ul style="list-style-type: none"> 2 hydroxypropyl-Beta-Cyclodextrin 	<ul style="list-style-type: none"> 2 hydroxypropyl-Beta-Cyclodextrin 	<ul style="list-style-type: none"> 2 hydroxypropyl-Beta-Cyclodextrin
투여 경로	<ul style="list-style-type: none"> 초기: 정맥 주사제 (IV) 확장: 피하 투여 (Subcutaneous; Sub-Q) Lifecycle: 약물/의료기기 	<ul style="list-style-type: none"> 초기: 정맥 주사제 (IV) 확장: 피하 투여 Lifecycle: 약물/의료기기 	<ul style="list-style-type: none"> 초기: 정맥 주사제 (IV) 확장: 피하 투여 Lifecycle: 약물/의료기기
진행상황	<ul style="list-style-type: none"> 2019년 1분기 IND Filing 2019년 2분기 Phase 2a study 	<ul style="list-style-type: none"> FSGS 임상2상 완료 후, 확대 연구 예정 	<ul style="list-style-type: none"> 적응증 확대

SMARTDOSE Gen II: VAR200에 적용 가능한 피하 전달 의료기기



West Pharmaceutical Services Inc.

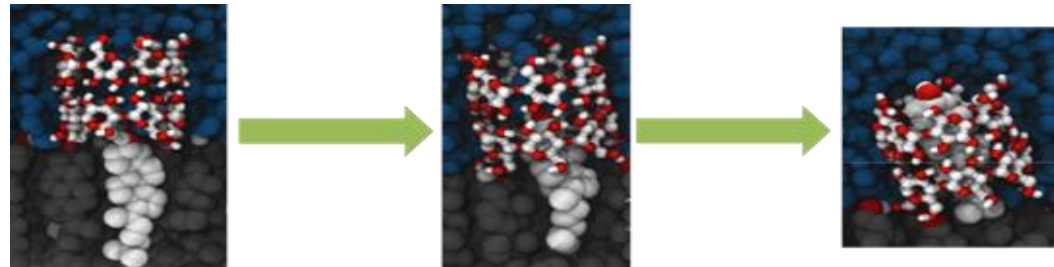
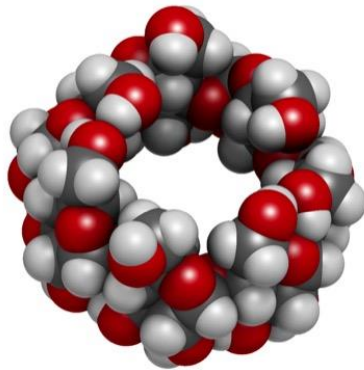
환자 중심 착용가능 주사제

- 인체 공학적 설계
- 사용편의성 강조된 디자인
- 사용자의 신뢰를 높이기 위한 시각·촉각·청각적인 피드백
- 사용자 편의를 위한 블루투스 연결 가능
- 사용자 관리 편의성 (자료 업로드)
- 간편한 사용
- 고용량 (10mL) 및 고점도 의약품 투여 가능
- 투여시간 예약 가능

선도 물질 : 만성 신장 질환 치료제 HPBCD (하이드록시프로필 베타 사이클로 덱스트린)

3-D ring에 결합된 7개의 당 분자로 구성

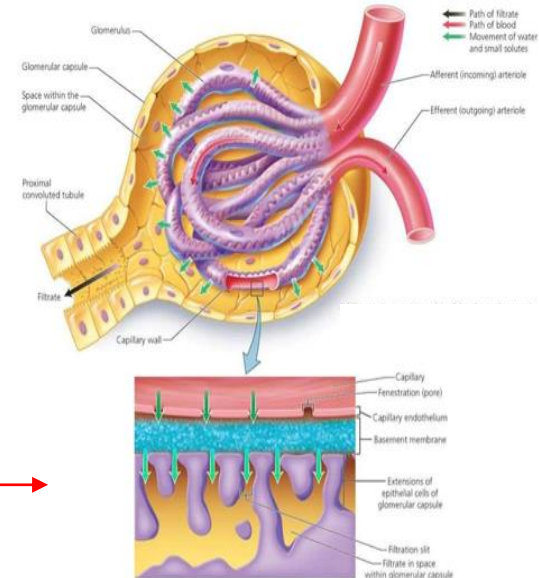
2HPBCD는 신장에서 세포 내 콜레스테롤을 포획하여 제거할 수 있고 구조와 기능을 복원할 수 있는 소수성 핵을 가지고 있다.



2HPBCD는 신장 질환 치료제로는 신약으로 분류 되지만, 20년 이상 부형제 등으로 사용되어 왔으며 GRAS (일반적으로 안전하고 알려진)약물로 분류 되고 있다.

만성 신장 질환에서의 지질 축적 & 2HPBCD 역할

- ▶ 신장의 여과 시스템은 사구체로 알려진 다발처럼 생긴 작은 혈관이 들어 있는 캡슐 (사구체 혹은 보우만 캡슐)로 구성된다.
- ▶ 긴 돌기(발돌기)를 가진 족세포는 모세혈관 주위를 둘러 싸고있다. 세극막 (a lipid raft-like structure)은 선택적 장벽을 세워 소변 (단백뇨)에서 단백질의 손상을 막는 역할을 한다.
- ▶ 족세포 내 콜레스테롤의 유지는 족세포 및 세극막의 구조적 무결성과 기능을 유지하는데 중요하다.
- ▶ 족세포내에서 콜레스테롤 생산 수준은 세포 합성, 유입, 유출 등을 거치는 콜레스테롤 항상성 이라고 알려진 복잡한 과정을 통해 통제 된다.
- ▶ FSGS와 같은 만성 신장 질환에서의 항상성 과정은 체내 처리 기능에 결함이 있어 콜레스테롤이 세포 밖으로 나가는 능력 손상, 과잉 축적, 여과 장벽과 단백질의 구조적 손상을 일으킨다.

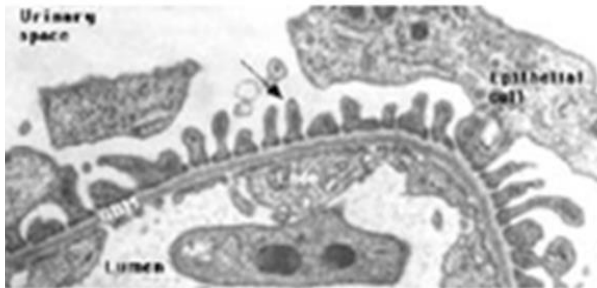


“ 2HPBCD는 족세포 내 콜레스테롤을 제거하는 역할 ”

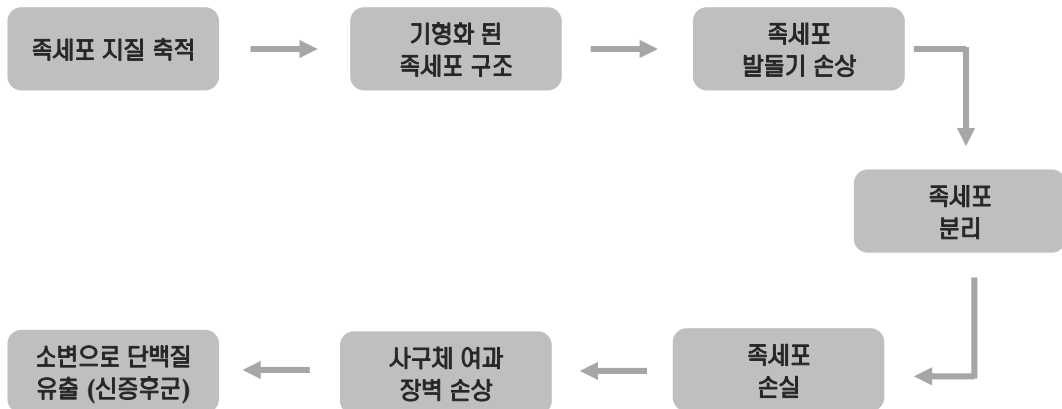
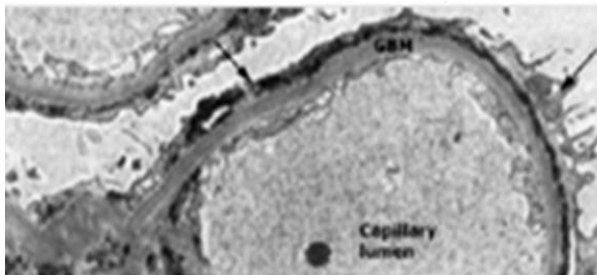
FSGS 병리 생리학: 유출 감소로 인한 지질 축적

< Latest Evidence From NFAT Model of FSGS >

Normal: 족세포 발달기의 무손상



Abnormal: 평평해진 족세포

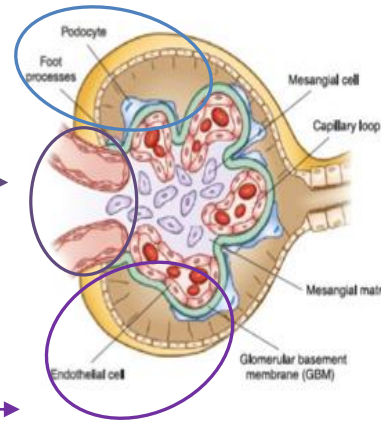


Pedigo CE et al. Local TNF causes NFAT c1-dependent cholesterol mediated podocyte injury. J Clin Invest 2016; Sep 1;126(9):3336-3350. doi: 10.1172/JCI85939; D'Agati VD, Kaskel FJ, Falk RJ. Focal segmental Glomerulosclerosis. N Eng J med 2011;365:2398-2411

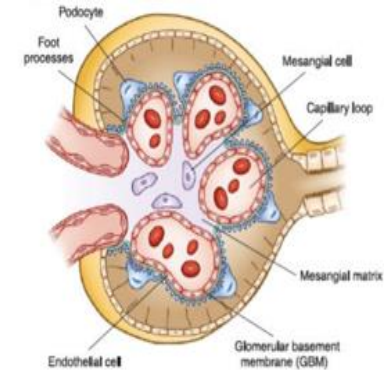
병리학적 복잡한 구조를 가지고 있는 만성 신장 질환은 MOA가 다른 약이 필요

- ▶ **감소된 콜레스테롤 유출로 인한 족세포 내 지질 축적은 족세포 손상과 단백뇨로 진행되는 발돌기가 남작해지는 현상을 초래한다**
 - 현재 치료법은 세포 내 지질 축적을 다루지 못함
- ▶ **동맥류 혈관 수축 GFR (사구체 여과율) 감소 및 혈류를 감소를 일으켜 소동맥 압력을 증가시킴**
 - 소동맥 확장을 위해 고혈압 치료제인 ACE inhibitors and ARBs 처방
- ▶ **사구체 염증 투과성 내피 세포 및 간 세포 수축을 유발하여 단백뇨와 GFR 감소를 유발**
 - 염증 제거 및 감소를 위해 스테로이드 및 칼시뉴린 억제제 (calcineurin inhibitors) 처방

< 만성 신장 질환 >



< 건강한 신장 >



2HPBCD는 특이적으로 족세포 내 콜레스테롤 감소시키는 역할 한다
족세포 내 지질 축적을 다루는 최초의 치료법

2HPBCD의 신장 질환 관련 뚜렷한 개선효과가 입증된 비임상

< FSGS 환자를 대상으로 한 임상2상 직행 >

FSGS Model (40 mg/kg daily)

Compared to controls,
HPBCD:

- ▶ 신장 세포 손상 보호
- ▶ 10주 동안 현저한 단백뇨 감소

단백뇨에 대한 2HPBCD의
효능은 총 3개의 2HPBCD 치료
군을 대상으로 2건의 연구 재현

Alport Syndrome Model (4,000 mg/kg 3 times weekly)

Compared to controls, HPBCD:

- ▶ 신장 세포의 콜레스테롤 수치가 현저하게 감소
- ▶ 신장 세포 섬유증 현저한 감소 및 손상 보호
- ▶ 3주 동안 뇨 및 혈청 단백질 현저히 감소
- ▶ 혈중 지질 농도 정상화

Diabetic Kidney Disease Model (4,000 mg/kg 3 times weekly)

Compared to controls, HPBCD:

- ▶ 신장 세포의 콜레스테롤 수치가 현저하게 감소
- ▶ 신장 세포 손상 보호
- ▶ 8주 동안 뇨 단백질 감소
- ▶ 대폭 감소된 체중과 개선된 대사 조절 기능 (혈당 및 혈청 인슐린 감소)

신속한 개발 진행을 위해 글로벌 제약사와 2HPBCD 의 DMF 계약 체결

Drug master file(DMF): 여러종을 대상으로 진행된 부형제인 HPBCD의 전임상 독성 연구 (투여 용량 및 치료기간 포함)를 상호 참고 할 수 있는 권리에 대한 계약

DMF 계약 상호 참고:

- 90일간 여러 종을 대상으로 진행된 독성 연구
- IV 투여에 대한 물리 화학적 및 제조 정보
- 건강한 지원자의 임상 약리학

신장 기능이 손상된 사람의 약동학 자료 (telavancin and itraconazole IV*)

- 반감기 (Half-life) 증가
 - 가벼운 신장 손상 2배
 - 중증도의 신장 기능 장애 4배
 - 중증 신부전 6배
- 연속 주입은 안정된 상태에 도달할 때 까지 누적
- PK 데이터를 활용, 중증도 신장 질환을 기초해서 HPBCD의 조정 가능
- HPBCD 부형제로서 광범위한 임상 경험 (자료)

계약 효과 및 가치

Variant가 1단계 임상 시험 없이 진행될 수 있도록 VAR 200의 안전성 지원

FSGS에 대한 임상 2a 단계 시험 기간을 12~18개월 이상 단축

Variant가 연구를 수행하는 데 필요한 상당한 비용, 시간 및 자원 절감

Sources of API Bridged to Toxicology Data

FDA 검토를 위해 사용 가능한 화학, 제조 및 제어 (CMC) 기술 패키지

DMF = 1천만 달러~2천만 달러의 비용 및 12~24개월의 시간 절감

*Based on package insert data for IV intraconazole

FDA Pre-IND 미팅 승인 - 임상 2상 프로토콜에 대한 IND 제출



Clinical Research and Development

- 성인을 대상으로 진행될 임상 2a상 계획에 대한 FDA 승인
 - 용량 및 임상적 중점 승인
- 소아 환자 대상 조사연구 FDA와 협력



Toxicology

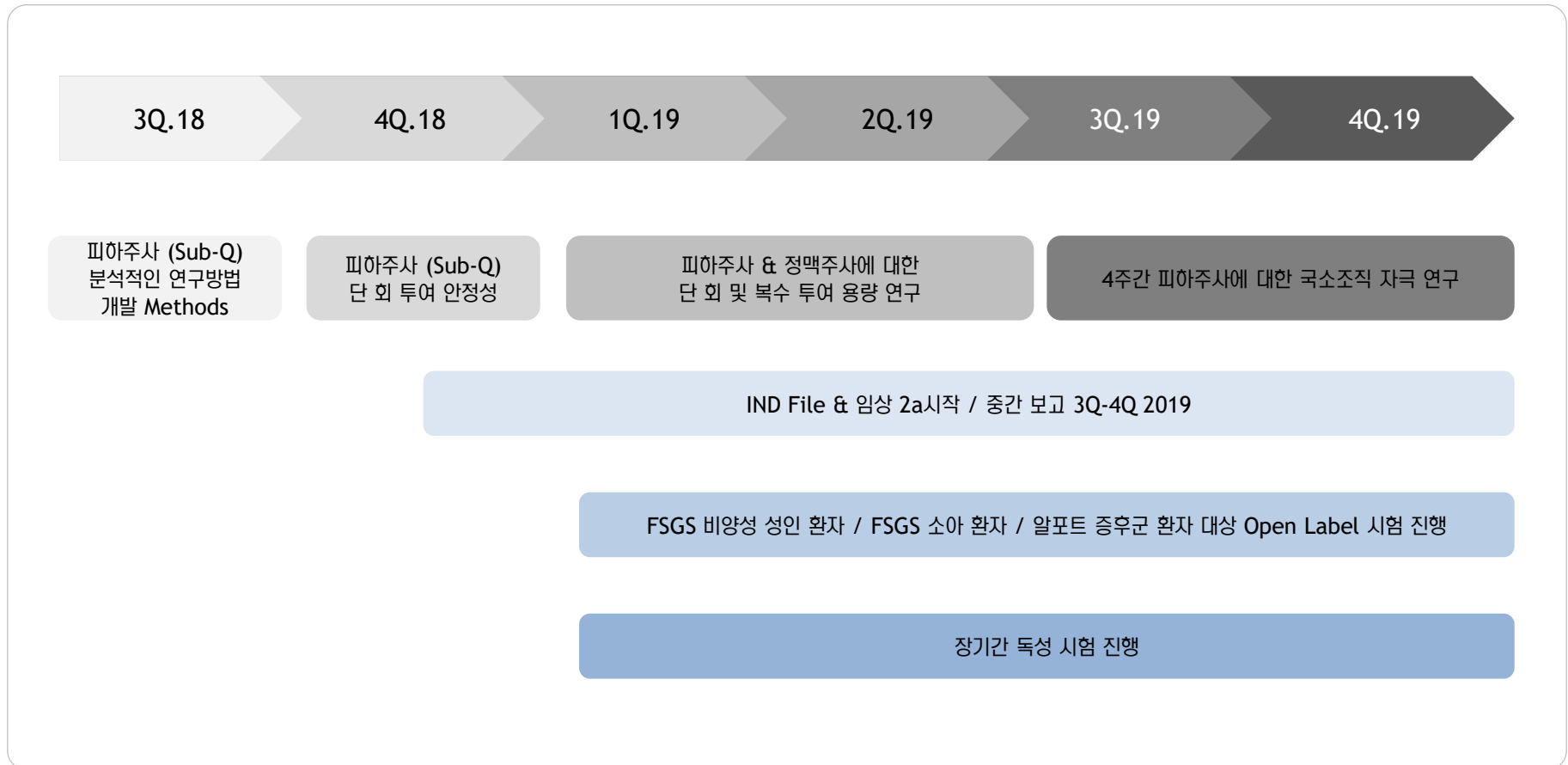
- 장기간 투여 및 피하 투여에 대한 전-임상 요건에 대한 명확성 제공



Chemistry, Manufacturing and Controls

- 성인 대상 임상2a상에 필요한 적합한 관리

VAR 200 & VAR 300의 개발 계획



3-10. 임상시험 (3)

VAR 200 개발 계획 및 변곡점

3Q'17 - 4Q'17	1Q'18 - 4Q'18	1Q'19 - 2Q'19	3Q'19 - 2Q'20	3Q'20 - 4Q'22	1Q'23 - 4Q'23	1Q'24 - 3Q'24
<ul style="list-style-type: none"> ▶ 제형 개발 ▶ Pre-IND 미팅 제출 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ PIND 미팅 2018년 3월 12일 ▶ 2a 임상 설계 ▶ 임상 샘플 준비 ▶ Sub Q 프로그램 개시 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ IND 제출 ▶ IND 수락 ▶ 2a 임상 개시 ▶ 2b/3 임상 프로그램 설계 ▶ Sub Q IND 계획 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ Sub Q IND 제출 ▶ 자체 확장 프로그램 데이터 ▶ 임상 2a 중간 보고 ▶ 임상 2a 결과 ▶ 임상 2상 결과 발표 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 임상 2b-3 완료 ▶ 임상 3상 환자 등록 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 임상 3상 완료 ▶ Pre-NDA 미팅 ▶ NDA 제출 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ FDA 리뷰 및 승인

Development Stage Activities (개발 단계)

<ul style="list-style-type: none"> ▶ 초기 제형 개발 ▶ 특허 자산 확대 ▶ 기업 가치 증대 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ ODD 지정 ▶ 기업 가치 증대 ▶ 초기 S1 진행 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ IND 제출 ▶ 특허 자산 확대 ▶ 기업 가치 증대 ▶ S1 파일링 ▶ 2019년 중순 IPO 상장 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 임상 2a 결과/컨셉 입증 ▶ 특허 자산 확대 ▶ 혁신적 치료제 지정 가능 ▶ 기업 가치 증대 ▶ 출구전략/파트너십 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 기업 가치 증대 ▶ 출구전략/파트너십 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 주요 규정 단계 ▶ 기업 가치 증대 ▶ 출구전략/파트너십 	<ul style="list-style-type: none"> ▶ 주요 규정 단계 ▶ 기업 가치 증대 ▶ 출구전략/파트너십
--	--	---	--	---	---	---

Inflection Points; Potential Outcomes (변곡점, 예상 결과)

미국 IPO 과정

Crossover Financing Round (크로스오버 파이낸싱 펀딩)

- ▶ 모금 액 \$15-\$25M
- ▶ 기업 가치 증대
- ▶ IPO를 위한 제도적 지원
- ▶ 기관투자자 모집 완료 (12월)



Potential Banking Partners for IPO (잠재적 금융 파트너)



IPO Process (과정)

- ▶ 모금 액 \$50-\$75M
- ▶ IPO를 진행할 은행 가치 평가
- ▶ S-1 진행 준비
- ▶ 2019년 IPO
- ▶ 2019년 1분기 파트너 은행 및 2개의 증권사 선택

경쟁사 임상2상 결과

Vtesse 는 2017년 4월 임상 2b 단계(2b/3단계 임상) 중에 Sucampo Pharmaceuticals (NASDAQ: SCMP)에 인수

- ▶ 회사의 투자자 : New Enterprise Associates (NEA) / Bay City Capital / Lundbeck Ventures / Pfizer Ventures
- ▶ 회사의 유일한 자산 : Niemann Pick Type C 치료를 위한 사이클로덱스트린의 경막 내 전달 (VTS 270)
 - 초 희귀 질환 환자 수 : 전세계 2천여명

딜 조건 (\$5억 달러 이상):

- \$2억 달러 현금 선 지급 (환자 1명당 10만 달러 가치 평가함)
- 2.5억달러까지 순차적으로 일정에 따라 지급
- 로열티 : 7-13%
- Priority Review 바우처의 수익 창출에 따른 수익의 협의된 비율에 따라 지급

Reata (NASDAQ:RETA)
2018년 임상 2a 결과 발표

- ▶ 작용 기전: 항 염증
- ▶ FSGS 환자 중 40-50% 환자에게 효과
- ▶ 교와기린제약 Milestone \$30m
- ▶ IPO at \$11 ('16년 5월)
- ▶ 임상2a 결과 발표 후, 기업 가치 \$86 상승 ('18년 6월)
- ▶ 현재 기업 가치 \$1.93B.

Retrophin (NASDAQ : RTRX)은 '16년 9월 6일 FSGS 치료제 임상 2상 결과 발표

- ▶ 작용 기전 : 혈관 확장제
- ▶ FSGS 환자의 40 ~ 50 %에서 효과적인 것으로 보임.
- ▶ 2016년 9월 7일 시가 총액은 3억 6천 5백만 달러 증가함

3-13. Variant Investment Highlights

01 풍부한 경험과 노하우를 갖춘 임원진

- 희귀 및 스페셜티 의약품 개발 및 상용화의 다수 경험이 입증된 경력
- 최고경영자 참여
- 경험 많은 이사진

02 작용 기전에 따른 다양한 기회

- 2HPBCD는 신장 손상 및 기능 저해를 일으킬 수 있는 세포내 지질 제거
- 작용기전 & 전임상 결과를 바탕으로 다양한 신장 치료제로서의 가능성 (FSGS, AS, DKD)
- 잠재적인 혁신신약

03 과학적 개선효과 입증

- 전 임상 결과, 신장 질환의 진행을 지연시키는 것을 입증 (FSGS, AS, DKD)
- 2HPBCD C타입 니만 피크병(Niemann Pick, Type C)치료가 가능하다는 것에 대한 개념 증명

04 희귀 의약품 시장 기회

- FSGS질환의 미국 내 환자수 약 8만명, 전세계 약 30만명
- AS질환의 미국 내 환자 수 약 6만명, 전세계 약 20만명
- 예상시장 규모: 전세계 \$3.5B
- 만성 신장 질환 예상 시장 규모: 미국 내 \$5B
- 충족되지 못한 치료 요법: 질병에 대한 특이적 치료제가 없음

05 독점적인 선시장 장악 및 특허

- 미국 특허 2개보유 (VAR200/VAR300/VAR400)
- 일본 특허 1개보유 (DKD)
- 미국 7년간 독점적 지위 / 일본&유럽 10년간 독점적 지위
- 미국 희귀의약품지정(ODD) 서류 제출
- 신장 질환 치료를 위해 개발중인 물질인 사이클로덱스티린의 지적재산권(IP) 보유

06 임상 개발 촉진

- 독성, 제조, 약동학이 포함된 2HPBCD의 DMF를 글로벌 제약사와 계약을 통해 양도받음
- FDA의 임상2상a 직행 승인됨에 따라 중추적 임상 기간 단축
- 임상2a결과에 따라 혁신적 치료제로 지정 가능
- 2019년 1분기 IND 서류 제출 계획
- 2019년 2분기 30명의 환자를 대상으로 임상2a 진행 계획
- 2019년 3-4분기 임상2a 중간 보고발표
- FSGS 및 AS 동정적 사용 확대
- 2HPBCD의 임상 샘플 제조 : Exova
- 피아주사기 (10M 투자가능) 개발 업체: West Pharmaceutical Services



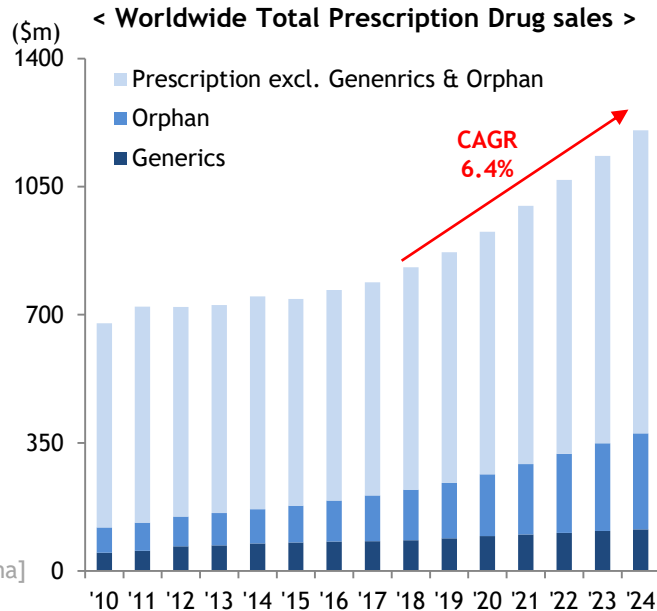
Chapter 4. 희귀 질환 의약품 시장

4-1. 글로벌 제약시장 및 희귀질환 시장

전세계 희귀의약품 시장 지속 확대 추세

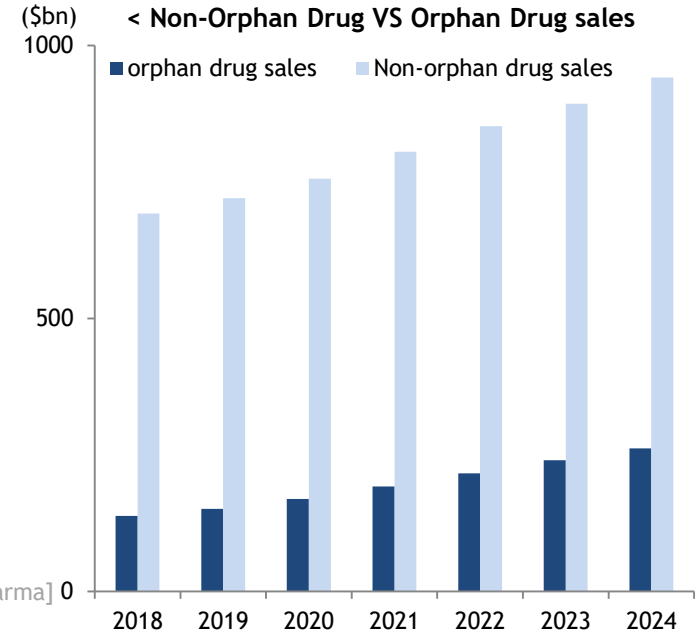
글로벌 제약시장

- ✓ 전세계 제약시장(오리지날, 희귀 및 제네릭 의약품)
2018년 \$8.3천억달러 (약 913조원) 달성
2024년 \$1.21조달러 (약 1324조원) 성장 예상



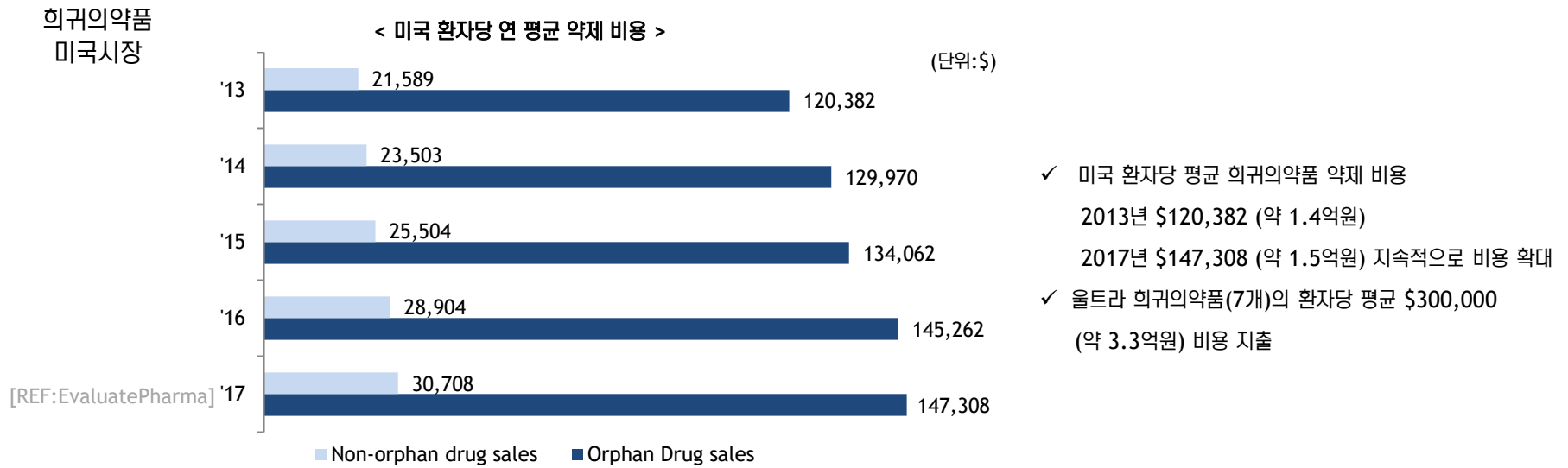
글로벌 희귀의약품 시장

- ✓ 전세계 희귀의약품 시장
2018년 \$1.38천억달러 (약 151조원) 달성
2024년 \$2.62천억달러 (약 288조원) 성장 예상
- ✓ 희귀의약품 CAGR(2018-2024) 11.3% 로 시장성확대
- ✓ 비희귀의약품 CAGR(2018-2024) 5.3% 로 성장세 주춤



4-2. 희귀의약품 미국시장 (1)

제약산업의 새로운 트렌드 니치버스터 의약품



니치버스터 (Niche Buster)

< 제약산업의 새로운 트렌드 니치버스터 의약품 >

- ✓ 니치버스터는 아직 시장이 만들어지지 않거나 시장이 미미하게 형성된 의약품을 통칭
- ✓ 다국적 제약사를 중심으로 시장규모가 큰 블록버스터가 아닌 표적 항암제·희귀질환 치료제와 같이 특성화 및 전문화를 통해 틈새시장 겨냥
- ✓ 희귀질환에 대한 접근이 용이해지며, 희귀질환 치료제에 대한 연구개발 역량이 확대되고 있는 추세

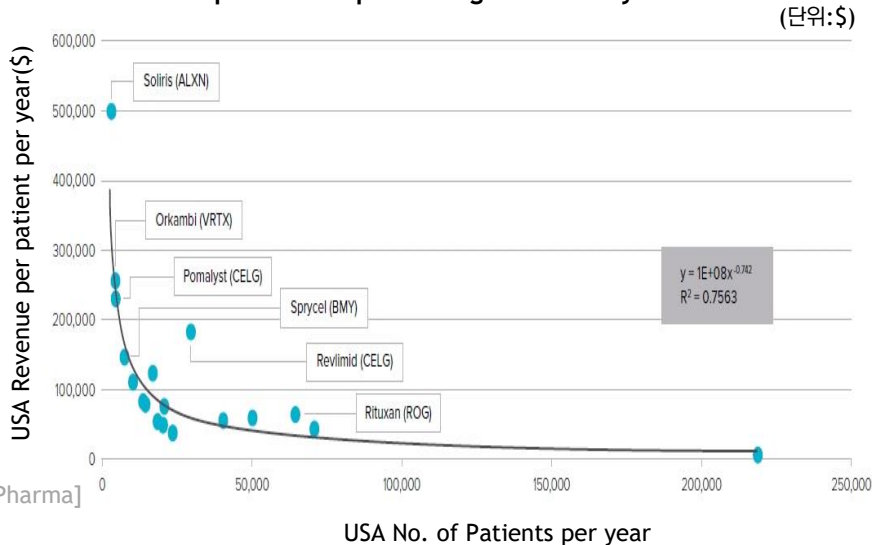
4-2. 희귀의약품 미국시장 (2)

글로벌 제약사 희귀의약품에 이어 울트라 희귀의약품 개발 착수

희귀의약품 시장

- ✓ 미국 내 희귀의약품 지정 조건은 환자수가 20만명보다 적거나 개발 비용이 회수 될 수 있을 것이라는 타당한 예측이 없는 의약품
- ✓ 희귀질환인 비정형 용혈성 요독 증후군(aHUS)은 미국내 2,500명 미만으로 울트라 희귀질환
- ✓ 이 희귀질환의 치료제로 Soliris(Eculizumab)가 있으며, 매년 환자당 \$500,000 (약 5.5억원)을 약제비용을 지출
- ✓ 환자당 약제비용이 다른 비희귀의약품에 비해 높게 측정되어 있어 높은 이익 창출 가능
- ✓ 정부의 지원을 바탕으로 글로벌 제약사 및 벤처 제약사들이 울트라 희귀약품 개발 착수

< Top20 USA Orphan Drugs in 2017 by sales >



< USA Top10 selling Orphan Drugs in 2017 >

Rank	Product	Generic name	Company	USA sales (\$m) 2017	Revenues per patient 2017*	No. of patients 2017
1.	Revlimid	lenalidomide	Celgene	5,426	184,011	29,487
2.	Rituxan	rituximab	Roche	4,199	65,009	64,594
3.	Copaxone	glatiramer acetate	Teva Pharmaceutical Industries	3,116	60,906	50,061
4.	Opdivo	nivolumab	Bristol-Myers Squibb	3,102	43,847	70,746
5.	Keytruda	pembrolizumab	Merck & Co	2,309	56,910	40,573
6.	Imbruvica	ibrutinib	AbbVie	2,144	126,820	16,906
7.	Avonex	interferon beta-1a	Biogen	1,594	78,262	20,367
8.	Sensipar	cinacalcet hydrochloride	Amgen	1,374	6,287	218,559
9.	Soliris	eculizumab	Alexion Pharmaceuticals	1,235	501,719	2,462
10.	Xyrem	sodium oxybate	Jazz Pharmaceuticals	1,187	81,624	14,539

4-3. 희귀의약품 M&A

희귀질환의약품 시장의 인수금액은 2018년도 총 130조원

- ✓ 글로벌 제약사가 주도해 희귀질환 치료제 개발사 인수를 통해 희귀질환 시장에 뛰어 들고 있음
- ✓ 희귀질환의약품 시장의 인수금액은 '17년도 총 116조원'에서 '18년도 총 130조원' 규모로 성장 (12.6% 성장)
- ✓ 눈에 띄는 인수건은 지난 4월 10일 Novartis가 희귀질환인 척수성근위축증 유전자치료제를 개발하는 AveXis를 87억달러에 인수

제약/바이오 M&A Deal 추이



[REF:Cortellis]

제약/바이오 License Deal 추이



[REF:Cortellis]

2018 Top M&A Deal

피인수 회사의 특징	타겟 질환	인수 회사	피인수 회사	인수 금액 (백만달러)	프리미엄 (%)
혈우병 및 희귀 혈액질환 치료제 개발 회사	혈우병 및 희귀 혈액질환	Sanofi	Bioerativ	11,500	64
CAR-T세포를 이용한 항암 치료제 개발 회사	암	Celgene	Juno	9,000	29
AAV를 이용한 유전자 치료제 개발 회사	척수성 근위축	Novartis	AveXis	8,700	72
JAK2 저해제를 이용한 골수성유증 치료제 개발사	골수성유증	Celgene	Impact Biomedicine	7,000	비상장
Nanobody를 이용한 새로운 항체 단백질 개발 회사, AbbVie, Merck 등과 협업 중	aTTP, 류마티스관절염 등	Sanofi	Ablynx	4,847	21
이리돔-90을 이용한 간암 치료 방사선 치료기기 개발 회사	간암	Varian Medical Systems	Sitex Medical	1,285	49
파킨슨병 치료제 PXT-002331 개발 회사	파킨슨병	Lundbeck	Prextion	1,117	비상장
임상시험 및 전임상 대행 업체	N/A	Charles River Laboratoried	MPI Research	800	비상장
HER2 타겟 화학합성의약품 tucatinib 개발 회사	암	Seattle Genetics	Cascadian	614	69
최소침습 전립선비대증 치료 의약품 개발 회사	전립선비대증	Boston Scientific	NxThera	406	비상장
항암바이러스를 이용한 면역항암치료약물 Cavatak 개발 회사	암	Merck	Viralalytics	394	160

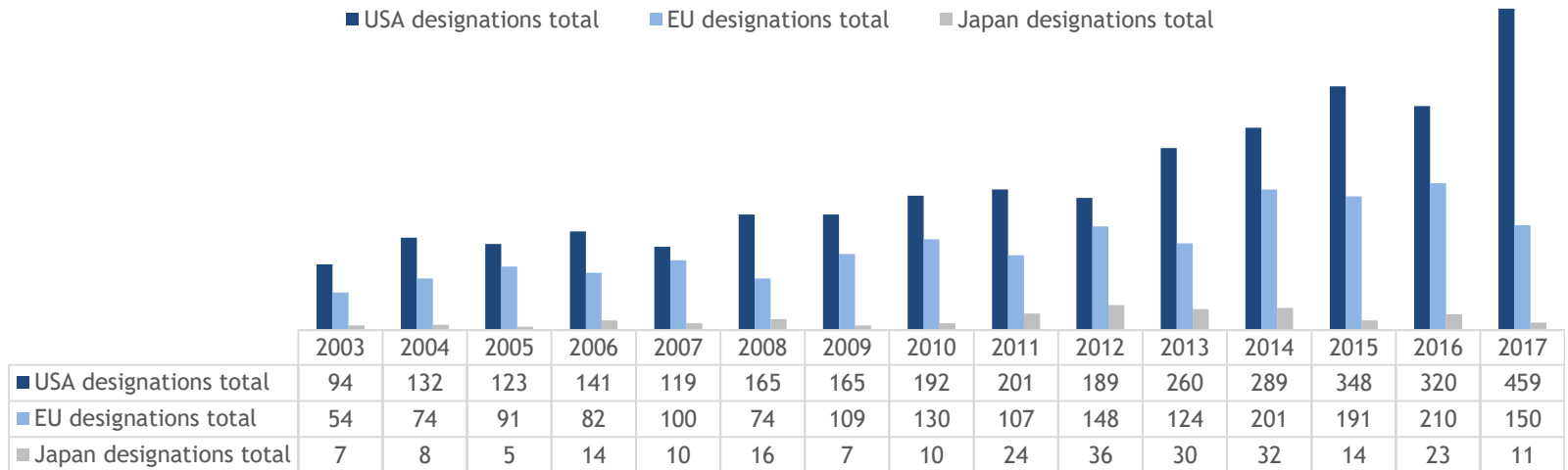
4-4. 희귀의약품 지정 현황

미국 내 희귀의약품 지정 건수 증가 추세

희귀의약품 지정현황

- ✓ 미국 내 희귀의약품으로 지정된(ODD) 의약품은 '16년 320건'에서 '17년 459건' 으로 43% 증가
- ✓ 대체적으로 미국의 희귀의약품으로 지정된 의약품 수는 유럽과 일본에 비해 약 2~3배 이상 많음
- ✓ 현재까지 미국에서 희귀의약품으로 지정된 의약품 수는 '03년 1,288건' 에서 '17년 4,373건'으로 매년 7~10% 증가
- ✓ 희귀의약품법 (The Orphan Drug Act, 1983) 에 의하면 지정된 약물은 ① 허가 이후 특허만료 여부에 관계없이 7년간 동일 계약 약물의 허가를 제한하는 독점권 부여 ② 개발비에 대한 세액공제 ③ 건당 약 25억원에 달하는 신약 허가신청 비용 면제 등 다양한 경제적 혜택 부여

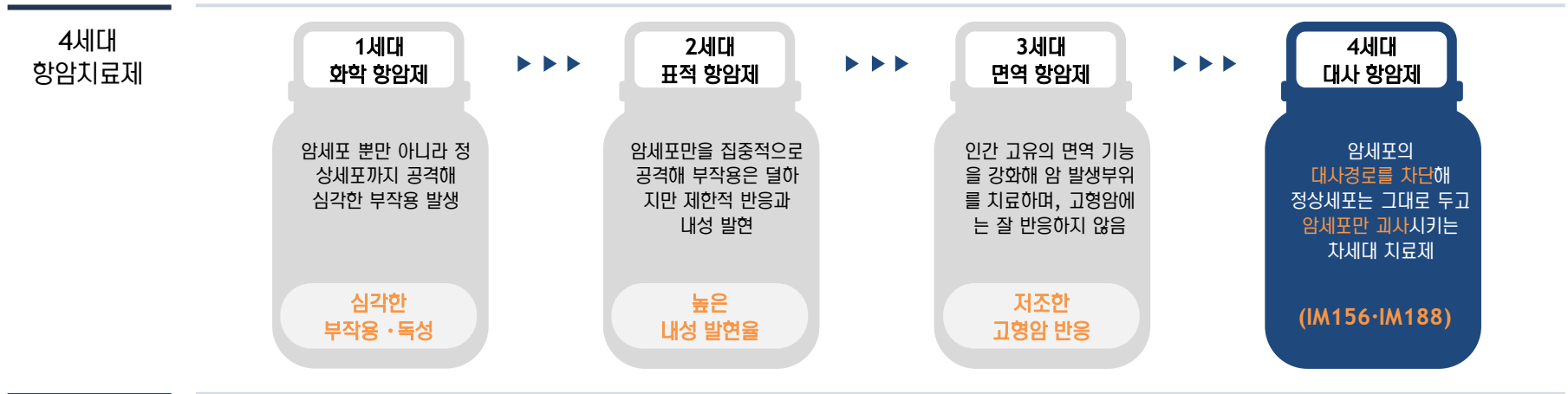
< 미국·유럽·일본 희귀의약품 지정 현황, 2013-2017 >



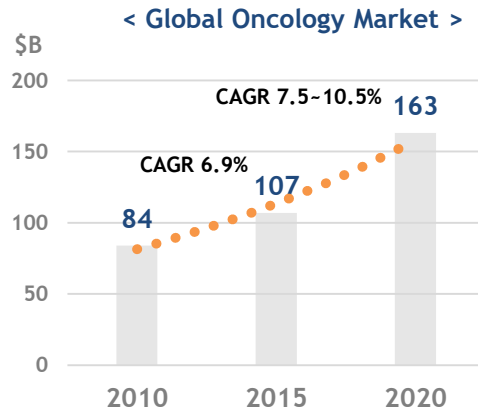


Chapter 5. 4세대 항암제 : 이뮤노멧 소개

주목받고 있는 4세대 대사 항암제



Oncology market



출처: IMS institute for Healthcare Informatics 2016

- 항암제 시장은 전체 의약품 시장에서 부동의 1위를 차지함
- 2010년 \$84B 에서 2017년 \$107B 까지 연평균 성장률 6.9%로 성장
- 2015년 \$107B에서 2020년 \$148B~ \$178B까지 연평균 성장률 7.5-10.5%로 성장

4세대 대사항암제 개발 전문 회사 ... “Immunomet Therapeutics”



바이구아이드(Biguanide) 파생물 및 유도물을 기반으로 한 4세대 대사항암제 파이프라인을 개발 및 구축하고 있는 미국 신약개발 회사



파이프라인

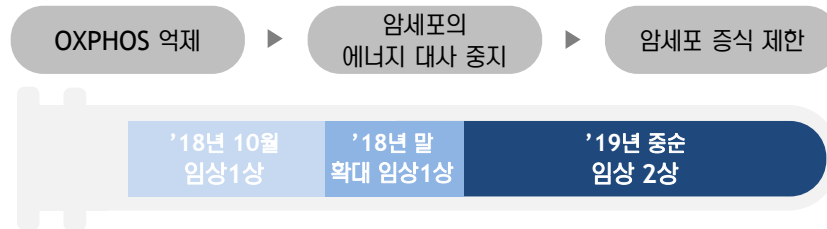
IM156 Targets 암 신진 대사	IM188 Program in Immuno-Oncology (면역억제 세포를 타깃)
<ul style="list-style-type: none"> • 방대한 (>1000 biguanides) 자료를 바탕으로 선별된 IM156은 효능이 강한 OXPHOS 억제제 약물 • 내성종양세포는 당 분해 과정에서 미토콘드리아 OXPHOS로 전환됨으로 OXPHOS억제제에 매우 민감 • 교아세포종 (GBM) & 폐에 대한 체내 및 체외 인상적인 Data 보유 • 강력한 특허 보호 <ul style="list-style-type: none"> - 물질조성특허 획득 (미국, 일본, 중국, 한국), 유럽은 pending 	<ul style="list-style-type: none"> • 최근 연구에 의하면 전 임상(동물)에서 Biguanides가 T memory & T effector 세포를 증가 시키는 것을 입증 • 종양 미세 환경에서 골수 유도세포 (MDSC) & Treg세포를 감소시킴으로써 T effector 세포를 증가시키도록 하는 새로운 Biguanides을 개발 • 공통 유전자 모델 (Syngeneric) 모델에서 PD-1억제제와 사용한 믿을만한 체내 Data보유 : RENCA(신장) and Lung(폐) • 물질조성특허 (미국, 유럽, 일본, 중국, 한국)

5-2. Pipeline (1)

IM156/IM188 등 다수의 파이프라인 확보

■ IM156

암 약물 내성을 타깃으로 한 산화성 인산화(OXPHOS) 억제제
암세포의 대사를 교란해 암세포 제거



■ IM188

종양 내 여러 타입의 면역억제 세포의
에너지대사 경로를 차단하는 비구나이드 유도 물질



벤저민 쿼원
이뮤노멧 /CEO

- Milestone Pharma 부사장
- PDS Biotech 부사장
- Merck(글로벌 3대제약사) 고위임원
- Shire
- 카네기 멜론대학교 MBA
- 일리노이 대학교 어배너-섐페인 박사



정재호
이뮤노멧 자문위원

- 연세대학교 협회 교수
(세브란스병원/수술부)
- 정밀의학센터(위암)
- 인콘 자문위원

세포질 대사와 관련된 2개의 프로그램 집중

< R&D Approach >

Biguanide 유사체 (analogs)는 세포 신진 대사를 조절함으로써 항암 효과가 있다는 것을 증명

충족되지 못한 종양학의 약물 내성 및 면역 요법 개선을 위해 Biguanide 유사체 (analogs) 개발

2개의 프로그램: IM156·IM188

종양세포 신진대사

(Cancer cell metabolism)

암 약물 내성을 타겟으로 한 산화성
인산화 (OXPHOS) 억제제

- IM156의 임상결과는 2018년 3분기 예정

종양세포 신진대사

(Immuno-oncology)

새로운 면역 억제제
(종양 미세 환경)

- IM188는 최적화의 마지막 단계에 있음

5-2. Pipeline (3)

파이프라인 임상 진행 계획

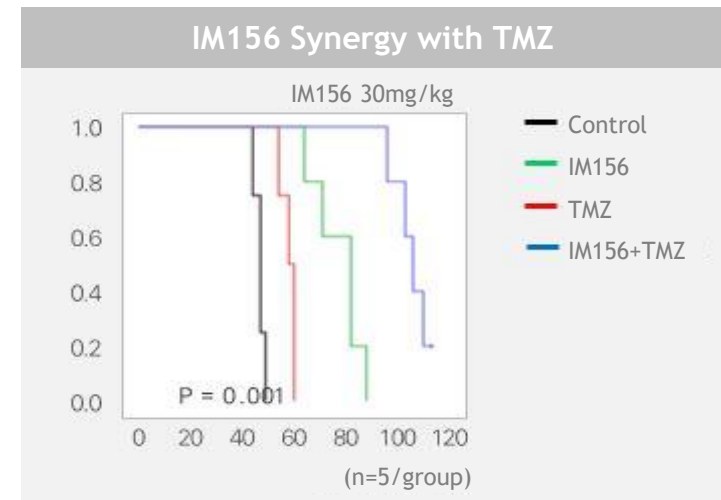
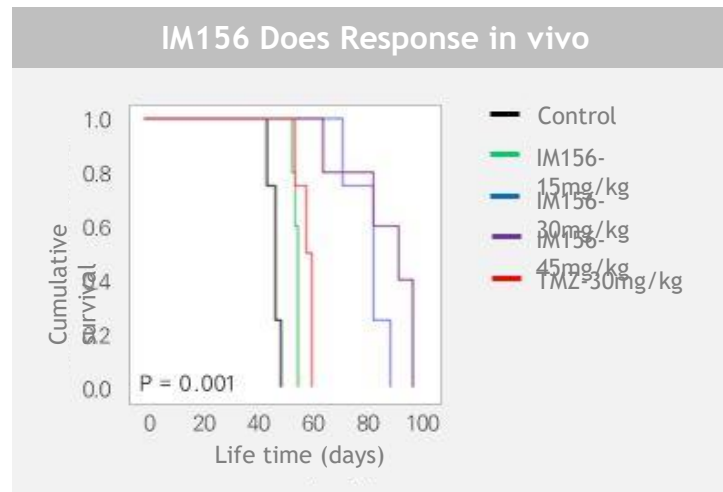


5-2. Pipeline (4)

IM156, GBM에서 생존 연장 입증

효능 입증

- Temozolomide 내성 교아세포종 (GBM)
- 교아세포종 내성을 해결하기 위한 잠재적인 치료제
- Glioblastoma Stem Cells 11은 환자로부터 얻은 temozolomide 내성세포들
- IM156 and combo는 temozolomide 내성 교아세포종 모델에서 통계적으로 유의한 생존 연장 입증

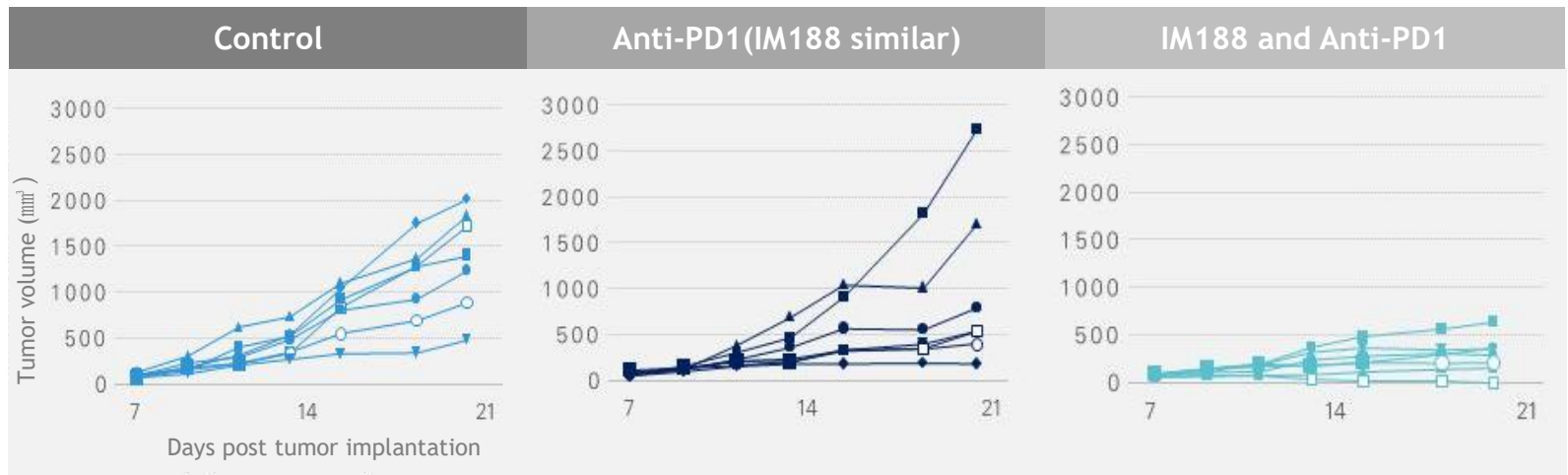


5-2. Pipeline (5)

IM188, 병용요법시 체내 효능 입증

효능 입증

- 항 PD-1과 병용 시 믿을만한 체내 효능 입증
- 병용 요법은 회귀 분석 및 동물 반응률을 증가시킴을 증명함
- IM188 with Anti-PD1 in RENCA(신장의) model
- Tumor growth curve 는 각각의 동물(쥐)에 반응





INCON

<http://www.in-con.biz/>

