



Disclaimer

본 자료는 정보 제공을 목적으로 코아시스템켄 주식회사 (이하“회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다. 또한, 본 자료는 의약품에 관한 내용이 포함되어 있으므로 본 자료를 의약품 광고를 위하여 인용, 복제, 가공 등의 방법으로 사용하는 것은 금지됨을 알려드립니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황을 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 예측정보에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 정보 제공 실시일 기준으로 작성되었으며 시장상황과 회사의 경영방향 등 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있기에 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 의약품 관련 정보는 회사가 알고 있는 범위에서 작성된 것이므로, 작성된 정보의 정확성, 적합성, 완전성, 유용성을 보장하지 않으며 객관적 사실과 다를 수 있음을 알려드립니다. 본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함)

CONTENTS

- 01 CorestemChemon
- 02 Stem cell treatment
- 03 Growth Strategy
- 04 Appendix

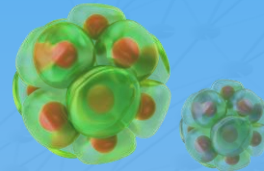
CorestemChemon 1

- 01 Corporation Identity
- 02 Corporation Structure
- 03 Business Field
- 04 Pipeline

신약 개발 전 주기 시스템을 보유한 국내 유일의 Total Health Care Company

Vision

세계를 이끄는
Total Health Care 기업



Synergy

Mission

신약개발을 바탕으로
삶의 질 향상과 인류복지 증진



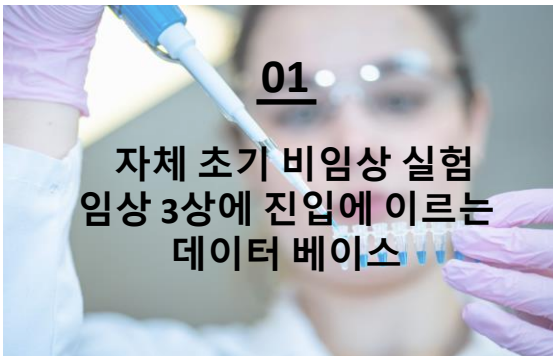
데이터 베이스 확장



각 분야별 연구인력



재무 안정화



01

자체 초기 비임상 실험
임상 3상에 진입에 이르는
데이터 베이스



02

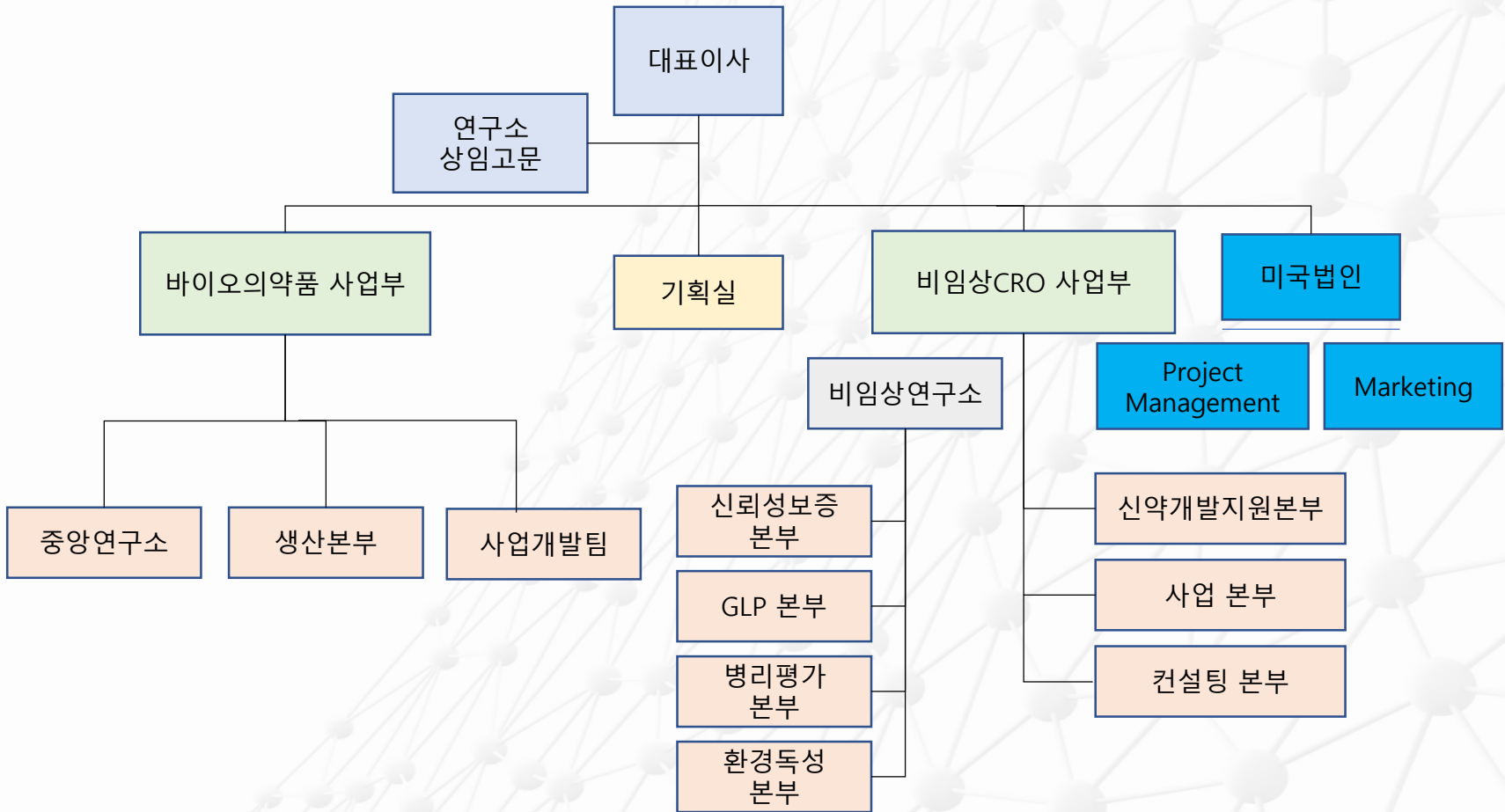
각 분야별 연구인력
130명



03

지속적 매출 창출
지속 성장 가능한 기술력 보유

계약 경영 전문가 및 각 분야별 Top Specialists 로 구성된 체제



사업부 영역 초점에 맞춘 전문적 효율 극대화

신약개발 사업

연구분야

신경계 질환

근위축성측삭경화증 (루게릭병) (ALS)
 다계통위축증 (MSA)
 소뇌실조증 (CA)
 시신경척수염 (NMO)
 파킨슨병 (Parkinson's Disease)

면역 질환

섬유화증 (Fibrosis)

전신홍반루푸스(SLE)

항암
감염병
노화

SME

유전자치료제
 한약(생약)제제
 융복합 의료기기

비임상CRO 사업

시험분야

안전성(독성, 부작용) 평가

In vitro/vivo 독성시험
 첨단대체시험

안전성 약리 평가

중추신경계 시험, 심혈관계시험,
 호흡기계시험, 일반약리시험

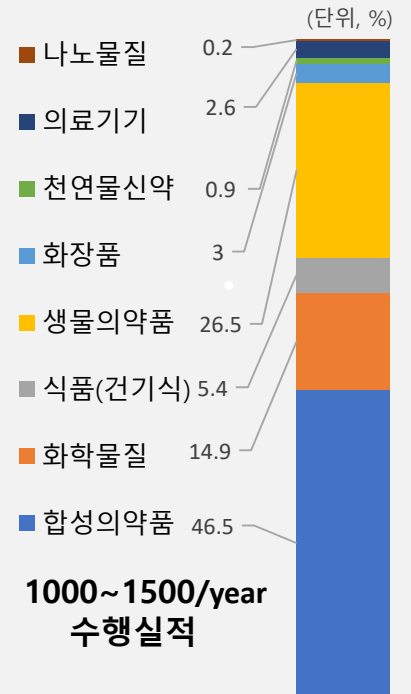
효능(유효성, 약효) 평가

효능평가시험 수행 및 개발
 질환모델 동물제작/판매

기타(병리, 분석) 평가

조직병리 및 임상병리, 물질분석,
 생체시료분석

물질별 시험실적



1000~1500/year
수행실적

줄기세포 특성에 맞춘 신경계 및 면역체계 초점

■ First in Class / ■ Best in Class

Cell type	Name	Indication	Research	Nonclinical	Phase1	Phase2	Phase3	임상기관
중간엽줄기세포 (MSC)	Neuronata-R	루게릭병	임상 3상 진행					한양대 외 4개기관
	Artificial CSF	Neuronata-R 첨가제	임상 1상 완료					한양대학교
	CE111BR16	다계통위축증	임상 1상 완료					세브란스
	CE211BR19	소뇌실조증	IIT 완료					경북 칠곡대학교
	CE211NS21	시신경척수염	임상 1상 계획서 제출 완료					서울대학교
iPSC, ESC	Astrocyte	파킨슨병	전임상 진행중					코아스템캠온
중간엽줄기세포 (MSC)	CE211AT15	루푸스	1상 종료 및 IIT					한양대
EV	EV231LU20	섬유화증	전임상 진행중					서울아산병원

Stem cell treatment 2

01 Stem Cell market & Unmet Needs

02 Neuronata-R

03 CE211N21 (시신경척수염)

04 Milestone

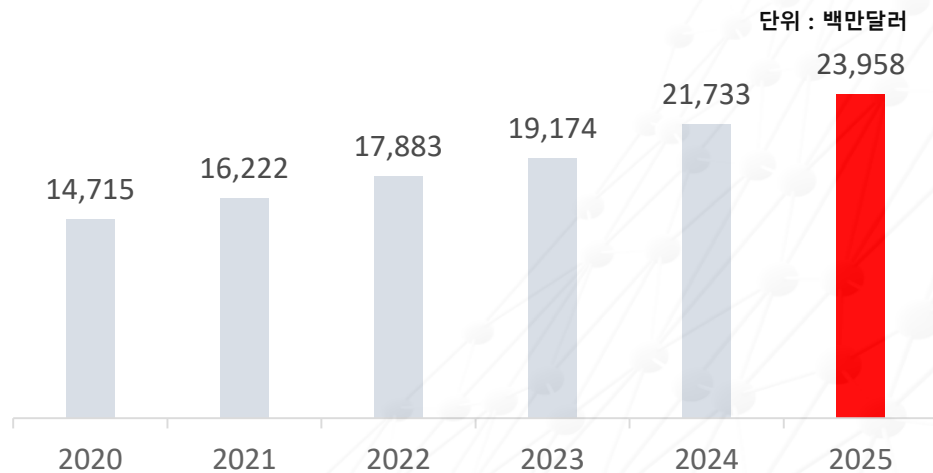
난치성 질환 극복을 위한 줄기세포 치료제 관심 증가

줄기세포 치료제

줄기세포는 한 개의 세포가 여러 종류의 다른 세포를 생산해 능력을 가진 세포 새로 재생하는 의학적 접근인 재생의학(regenerative medicine)의 형태로 연구진행

특히 다른 의학적 수단이 별로 없는 퇴행성 질환이나 난치성 질병을 치료할 수 있는 새로운 대안으로 부상.

글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망



자료 출처 :Global Stem Cell Market-Growth, Trends, and Forecasts(2020-2025), (2020. 8)

신경 퇴행 난치성 주요 3대 질환



질환을 치료하기 위한 근본적 치료제의 부재
 질환 시장 내 약물 선택 제한
 발생 이후 운동학적 측면에서의 다양한 장애 발생
 환자 본인 및 가족에게 큰 고통

R&D DIRECTION



자료 출처 : ALS News Today, <https://alsnewstoday.com/stages-of-als/>

북미 시장 내 대표 약물로 List up 목표

Amyotrophic Lateral Sclerosis

- 근위축성측삭경화증: 운동신경세포만 선택적으로 사멸하는 신경계 퇴행성 질환
 - 증상: 운동장애, 근육쇠약, 호흡부전 등
- 다양한 발병기전이 동시에 작용하기에 치료 대안 부재
 - 발병 후 평균 기대수명: 3~5 년

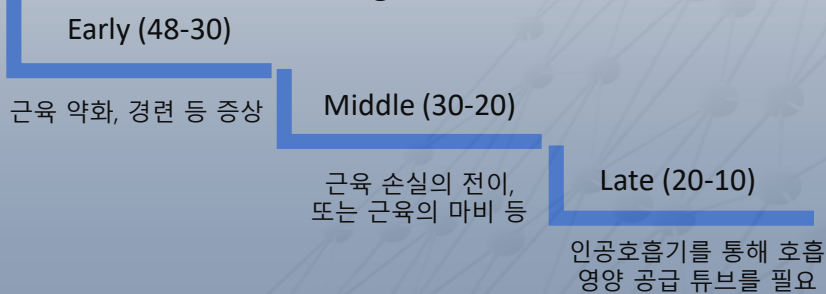
비율 1.75 / 100,000

전 세계 약 35만명 추산

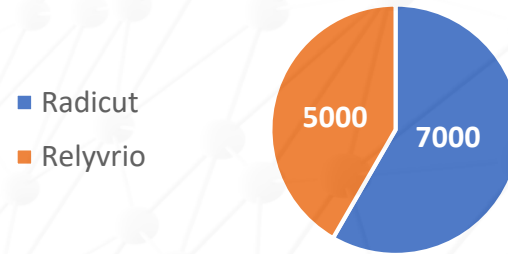
북미 시장 내 약 35,000명
매년 3,500명의 신규환자 발생

국내 시장 내 5,319명
매년 900명의 신규환자 발생

Stage of ALS



북미 루게릭 시장 내 매출 (2023)



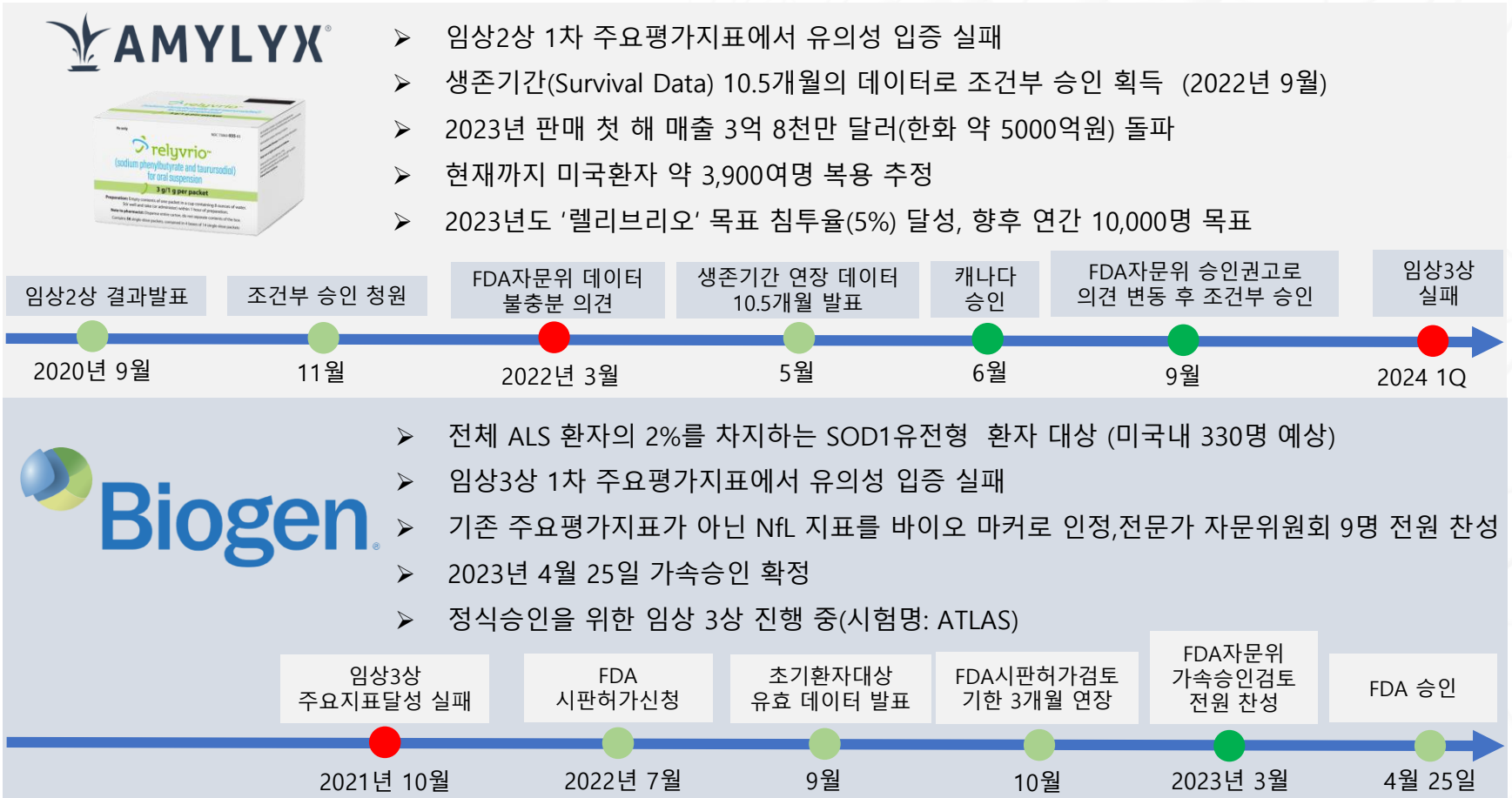
북미 시장 내 정식 허가 약물

Name (Company)	Riluzole (Sanofi)	Radicut (Mitsubishi Tanabe)	Relyvrio (Amylyx Pharma)	Tofersen (Biogen)
Date of Approval	1987	2017	2022 (시장 철수 중)	2022 (조건부)
Type	Small molecule	Small molecule	Small molecule	Small molecule
투여경로	경구 (타블렛)	정맥주사, 경구(필름)	경구 (분말)	주사제

자료 출처 : ALS News Today, <https://alsnewstoday.com/stages-of-als/>

Unmet needs 충족을 위한 규제 당국의 Positioning 변화

FDA, ALS와 같은 희귀난치성질환에 대한 승인규제 완화 추세



질환 내 첫 줄기세포 치료제 상용화 성공, 지속적 **Generation** 변화



식품의약품안전처
KMFDS
Conditional Approval
April 2014



US FDA
Orphan Drug Designation
August 2018



EU EMA
Orphan Drug Designation
March 2019

개발 단계 및 주요 내용

- 2023.08 **뉴로나타-알주 임상3상 환자등록 완료**
- 2021.04 뉴로나타-알주 식약처 3상 개시 및 첫 환자 투여
- 2020.08 뉴로나타-알주 식약처 3상 임상시험계획 변경 승인
- 2020.07 뉴로나타-알주 미국 FDA 3상 임상시험계획 승인
- 2019.03 **뉴로나타-알주 유럽 EMA 희귀의약품 지정**
- 2018.08 **뉴로나타-알주 미국 FDA 희귀의약품 지정**
- 2014.07 **ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 제조판매 품목허가 승인**
- 2013.08 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 임상 2상 종료
- 2011.11 ALS 줄기세포치료제 뉴로나타-알주 임상 1상 종료

1st Generation (2014)

매회 세포 배양 기간 36일
매회 골수 채취
매회 척수 채취

2nd Generation (2019)

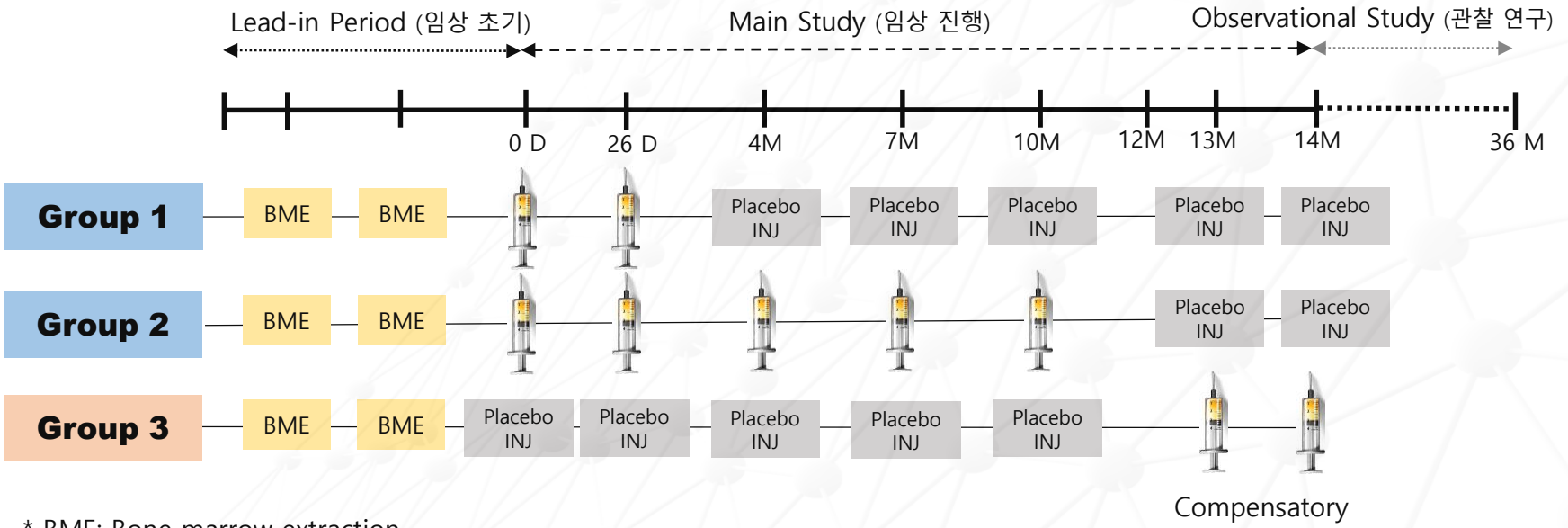
첫 배양 기간 36일 이후 16일
1회 골수 채취 (3~4회)
매회 척수 채취

3rd Generation (2024)

첫 배양 기간 36일 이후 16일
1회 골수 채취 (3~4회)
척수 대체 물질 **현탁화제 개발 완료**

'24년 4월 90%이상 투여 완료, 10월 마지막 임상 환자 투여 종료

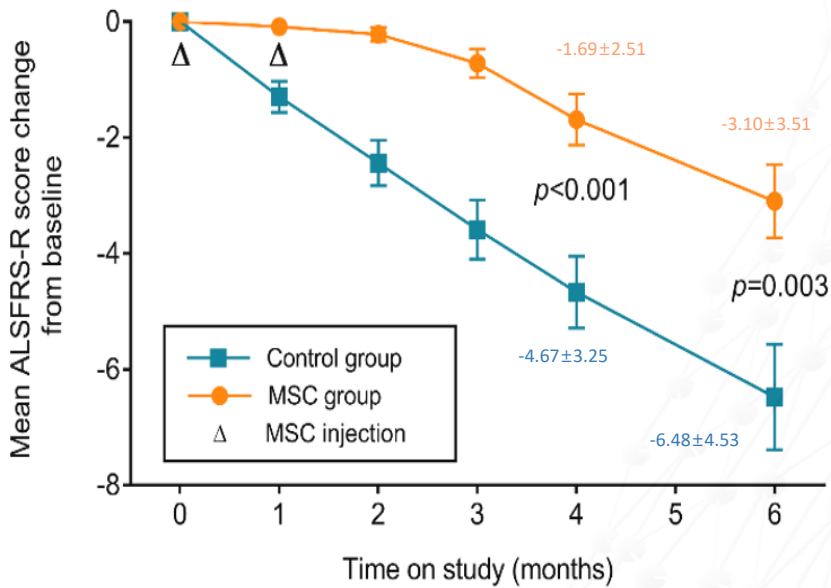
<p>적응증</p> <p>초기~중등증 근위축성 측삭경화증</p>	<p>대상 환자 수</p> <p>126명</p> <p>그룹 1: 시험군 26명 그룹 2: 시험군 50명 그룹 3: 대조군 50명</p>	<p>디자인</p> <p>이중눈가림, 무작위배정, 다기관, 위약대조, 평행</p>
--	--	--



* BME: Bone marrow extraction
* INJ: Injection

약물 및 생명연장 효능에 관한 데이터 확보

Primary outcome : Changed ALSFRS-R Score after MSC Tx



Total 59 patients (MSC group: 32, Control group: 27) were analyzed in phase II

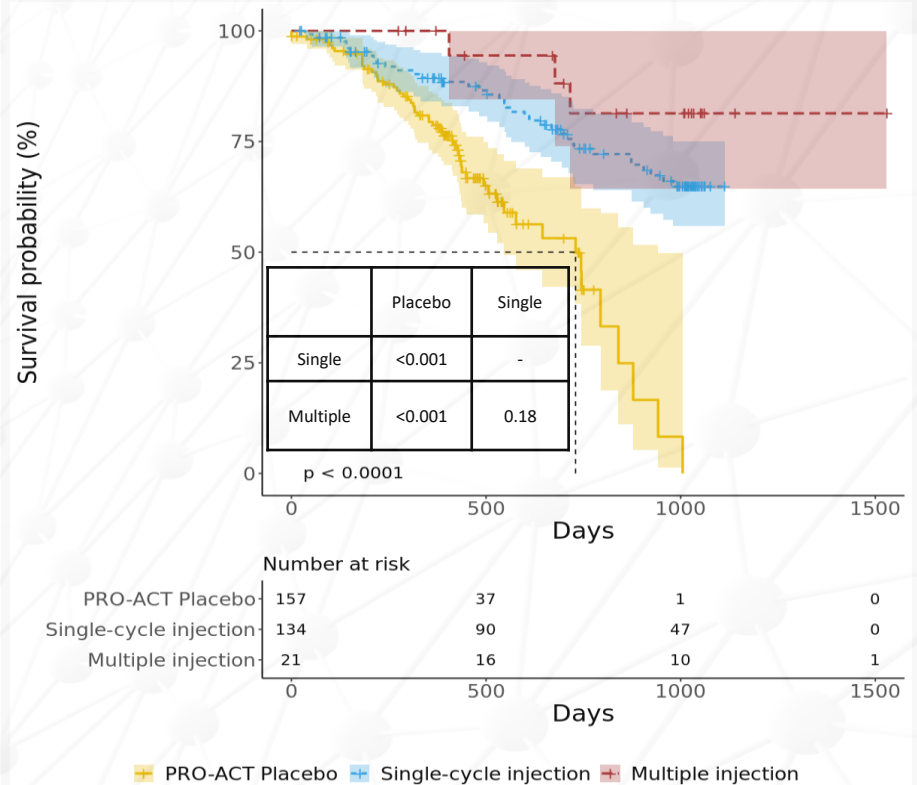


Repeated intrathecal mesenchymal stem cells for amyotrophic lateral sclerosis

Ki-Wook Oh, MD, PhD,^{1,2*} Min-Young Noh, PhD,^{1,2*} Min-Soo Kwon, MD, PhD,³
Hyun Young Kim, MD, PhD,^{1,2} Seong-il Oh, MD, PhD,⁴ Jinseok Park, MD^{1,2}, Hee-
Jin Kim, MD, PhD,^{1,2} Chang-Seok Ki, MD, PhD,² Seung Hyun Kim, MD, PhD^{1,2}

· Published an article of Phase II clinical study in August 2018.

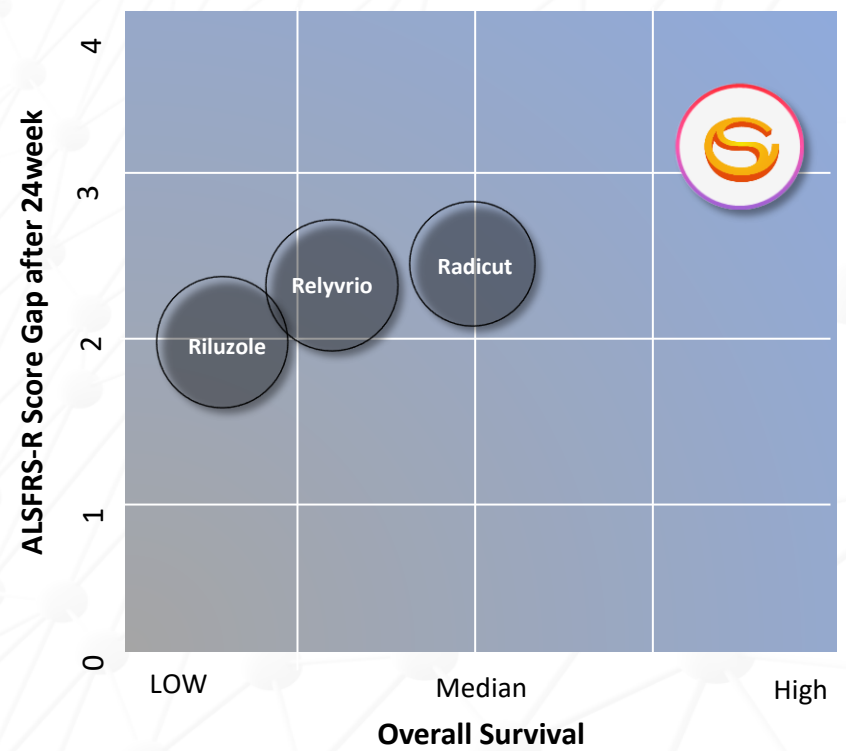
Post Market Surveillance (PMS) Data



· Published an article of PMS in April 2022.

ALS 질환 내 First in Class & Best in Class 줄기세포 치료제

Name (company)	Riluzole (Sanofi)	Radicut (Mitsubishi Tanabe Pharma)	Relyvrio (Amylyx Pharma)	Neuronata-R
Date of Approval	1987	2017, 2022	2022	2014 (KR)
Type	Small molecule	Small molecule	Small molecule	Stem Cell
투여경로	경구 (타블렛)	정맥주사, 경구(필름)	경구 (분말)	척수강 내
생명연장 효과	2-3개월	24개월 (PMS)	10.5개월 (임상2상)	67개월 (PMS 전체환자기준)
6개월 후 ALSFRS-R 차이	N/A	2.49	2.32	3.38
월평균 ALSFRS-R 속도	N/A	-0.84	-1.24	-0.5



질환 내 **First in Class** 줄기세포 치료제로 신경회복 및 장애 회복 목표

Neuromyelitis Optica

- 시신경 척수염 : 자가면역에 의한 과사가 시신경과 척수에 나타나는 신경계질환
 - 증상: 하반신의 지각운동 장애, 근력약화, 급속한 시력 장애 등
- 남성보다 여성에게 더 발병율이 높으며 비율은 1:9 여성편중 현상을 보임

비율 1/ 100,000

북미 시장 내 매년 8000명의 신규환자

전 세계 약 20 만명 추산

국내 시장 내 매년1000명의 신규환자

Company	Roche	Amgen	AstraZeneca	
Name	엔스프링	업리즈나	솔라리스	울토미리스
비용 /연간 (미국)	3억	3억6천	6억8천	6억3천
판매 허가	2020년	2020년	2019년	2024년

• 주요 증상⁵

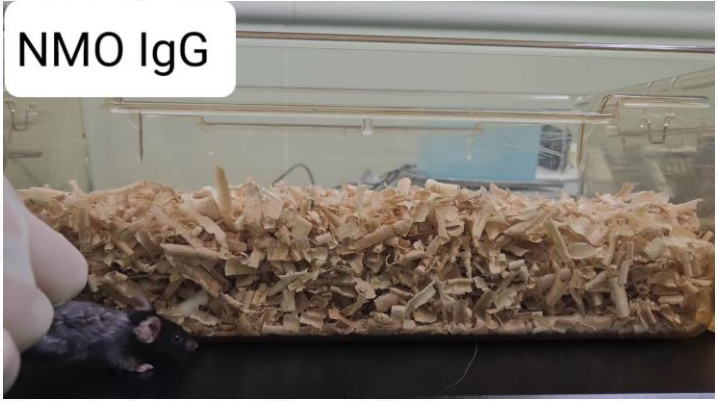
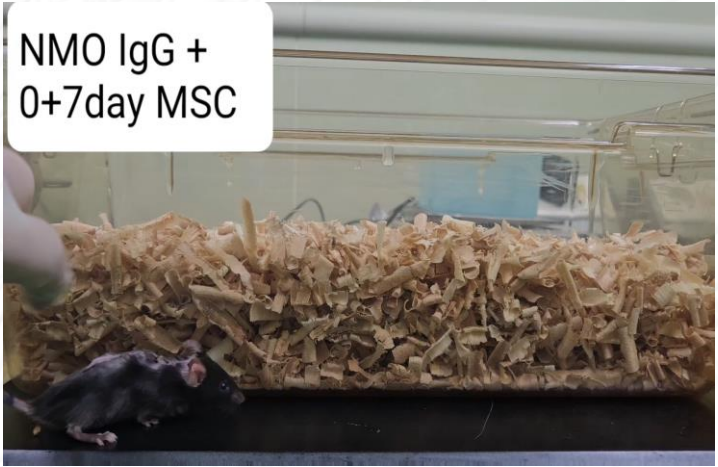
<p>시신경염 관련 증상</p>	시력 감소
	시야 흐림 및 좁아짐
	색상 흐림
	안구통증

<p>척수염 관련 증상</p>	팔과 다리의 근위약, 감각 이상
	보행 장애
	배뇨 / 배변 장애
	등, 목 쪽의 통증
	몸통이나 팔다리의 팽 조이는 느낌, 강직연축

<p>뇌 병변 관련 증상</p>	지속적인 딸꾹질, 구역, 구토
	어지럼, 복시, 안면마비
	*낮은빈도 : 수면 장애, 인지 장애, 착란

*서울대학교병원 NMOSD 질환 안내

질환 내 **First in Class** 줄기세포 치료제로 신경회복 및 장애 회복 목표

항목	내용	
1. 배경	FDA 승인된 시신경 척수염의 모든 치료제는 재발 예방 약제이며, 신경 회복 및 장애 회복 치료제는 전무함	 <p>NMO IgG</p>
2. 유형	동종 골수 유래 중간엽줄기세포	
3. 효능	CE211NS21 투여 이후 시신경척수염 최초의 신경회복 및 장애회복을 통한 재생의료치료제 확보	
4. 단계	임상 1상 계획서 제출 완료 / 연내 임상 1상 진행 목표	 <p>NMO IgG + 0+7day MSC</p>
5. 임상기관	서울대, 연세대, 한양대, 경희대 (김성민, 신하영, 김승현, 오성일)	

초기 북미 지역 공급 및 아시아 지역 내 주요 생산 거점

'24년 7월 충북 오송 GMP 완공 예정, MFDS 심사 준비



'23년 4월 공장 전경



'23년 8월 공장 전경



'23년 12월 공장 전경

Milestone

- 2023.04
착공 시작
- 2024. 07
공사 완료 및 MFDS 심사
- 2025.03
FDA 현장 심사 준비
- 참고 내용
연간 600 Lot 치료제 생산 가능

임상 3상 일정에 따른 유기적 Milestone 구축

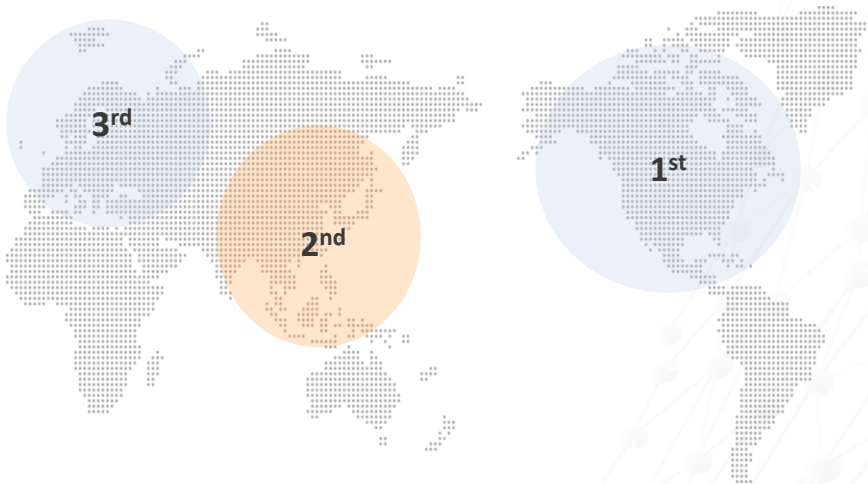
Name	Year	2024												2025				
	Date	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	1/4	2/4	3/4	4/4	
Neuronata-R	Phase 3 종료										●							
	CS 리포트														●			
	Pre BLA Meeting														●			
	BLA 제출															●		
	BLA 승인																	●
인공 척수액	리포트 제출			●														
	식약처 승인					●												
	Type C 미팅											●						
CE211N21	임상 승인					●												
	임상 개시											●						

Growth Strategy 3

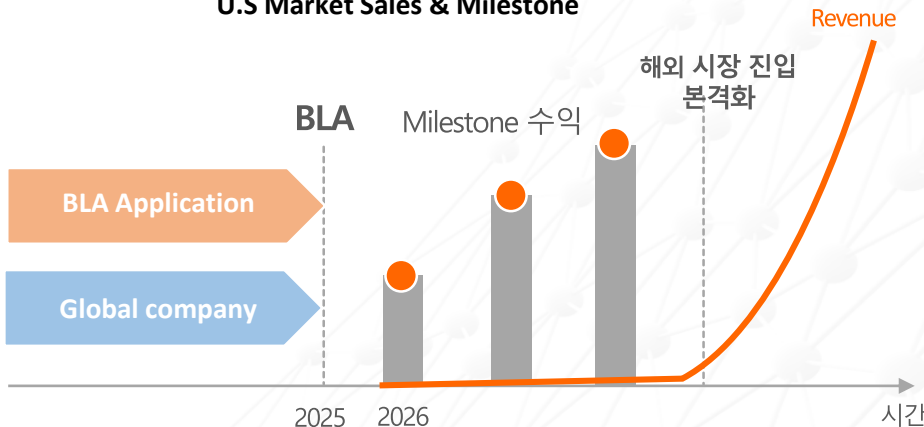
- 01 Bio Pharmaceutical Business
- 02 Non-Clinical CRO
- 03 Business Model

'23년 북미 시장 약 1조 2천억, 시장 확대 기회를 통한 점진적 매출 확보

Global market entry stage



U.S Market Sales & Milestone



미국 내 ALS 유병환자 약 35,000명

Early Stage 적용 유효 구매환자 연간 1,000명 (약 3%)

회당 예상 판매 1억 / 환자 1인당 연간 약 5억원

미국시장 연간 매출액 약 5,000억원(min) 예상



Relyvrio

'23 매출액 약 5,100억원

연간 약가 \$158,000 (약 2억원)



Radicut

'23 매출액 약 7,000억원 추정

연간 약가 \$170,000 (약 2억 3천만원)

'23년 국내 매출 1위, 국내 최초 민간 비임상CRO

설립일	2000.01.11		 <table border="1" data-bbox="1522 315 1860 689"> <tr> <td>대지면적</td> <td colspan="2">: 3,880 평</td> </tr> <tr> <td>건축면적</td> <td>연면적</td> <td></td> </tr> <tr> <td>LAB 1</td> <td>90 평</td> <td>759 평</td> </tr> <tr> <td>LAB 2</td> <td>70 평</td> <td>276 평</td> </tr> <tr> <td>LAB 3</td> <td>208 평</td> <td>1,425 평</td> </tr> <tr> <td>LAB 4</td> <td>773 평</td> <td>987 평</td> </tr> <tr> <td>LAB 5</td> <td>164 평</td> <td>397 평</td> </tr> </table>	대지면적	: 3,880 평		건축면적	연면적		LAB 1	90 평	759 평	LAB 2	70 평	276 평	LAB 3	208 평	1,425 평	LAB 4	773 평	987 평	LAB 5	164 평	397 평
대지면적	: 3,880 평																							
건축면적	연면적																							
LAB 1	90 평	759 평																						
LAB 2	70 평	276 평																						
LAB 3	208 평	1,425 평																						
LAB 4	773 평	987 평																						
LAB 5	164 평	397 평																						
위치	경기도 용인시																							
인력	수의병리 전문의 / 독성전문가 포함 비임상 라이선스 보유자 102명																							
GLP 인증	MFDS	식품, 의약품, 의료기기, 화장품	<table border="1"> <tr> <td>GLP 독성시험</td> <td>OECD KGLP 가이드 수준 한·미·유럽 IND 제출 자료</td> </tr> <tr> <td>유효성 시험</td> <td>중대형 영상장비 이용 Full Certification</td> </tr> <tr> <td>신약개발 컨설팅</td> <td>IND 승인 [US FDA 15·EMA 1·ASIA 60·TGA 3] Hit/Lead 발굴·후보물질 개발</td> </tr> <tr> <td>SEND</td> <td>US FDA 자료제출 시 표준·전산화</td> </tr> <tr> <td>오가노이드 장기칩</td> <td>동물대체시험 질환 모델 스크리닝</td> </tr> </table>	GLP 독성시험	OECD KGLP 가이드 수준 한·미·유럽 IND 제출 자료	유효성 시험	중대형 영상장비 이용 Full Certification	신약개발 컨설팅	IND 승인 [US FDA 15·EMA 1·ASIA 60·TGA 3] Hit/Lead 발굴·후보물질 개발	SEND	US FDA 자료제출 시 표준·전산화	오가노이드 장기칩	동물대체시험 질환 모델 스크리닝											
	GLP 독성시험	OECD KGLP 가이드 수준 한·미·유럽 IND 제출 자료																						
	유효성 시험	중대형 영상장비 이용 Full Certification																						
	신약개발 컨설팅	IND 승인 [US FDA 15·EMA 1·ASIA 60·TGA 3] Hit/Lead 발굴·후보물질 개발																						
	SEND	US FDA 자료제출 시 표준·전산화																						
오가노이드 장기칩	동물대체시험 질환 모델 스크리닝																							
환경부	화학물질																							
농촌진흥청	농약																							
농림축산 검역부	동물용 의약품 및 의료 기기																							

R&D 를 중심으로 연계되는 전략적 비즈니스 모델 구축



Sales 강화

- * '24년 매출 50억 목표
- * 국내 및 해외 환자 유치 초점

해외진출 및 계약 체결

- * 글로벌 First-in-Class 세포치료제로 임상 진행
- * 임상 2상 및 PMS 결과 통한 데이터 확보
- * 북미 권역 대상 라이선스 계약을 위한 다수 기업 보유

공동 연구 및 파트너십

국내외 산/학/연/병 협력을 통한 신규 분야 진출
국책과제를 통한 국가 기술 제반에 기여

Sales 강화

- * '24년 매출 450억 목표
- * 국내 시장 점유율 증대 및 전 방위적 산업 진출 강화

사업 다각화

- * US FDA 인허가 SEND
- * Organoid 대체 시험 기술 확보
- * 후보 물질 발굴 및 개발에 따른 신약 개발컨설팅
- * Vina Mekong 社 국내 원숭이 독점 판매 계약 체결

북미 Landing

- * 북미 시장 진출 바이오 기업 및 현지 제약사 수주의뢰
- * Organoid 대체 실험 접목을 통한 현지 시장 선점
- * 안정적인 시장 Landing을 통한 지속적 사업 영위



Thank you