



CELLIVERY Therapeutics, Inc.

Investor Relations 2020

Therapeuticmolecule Systemic Delivery Technology (TSDT)
& Intracellular Protein Therapy





DISCLAIMER

This document has been prepared by Cellivity Therapeutics, inc. (the "Company") for informational purposes only to investors and/or their agents and this document should not be distributed, transmitted, published or reproduced.

By attending this presentation, you agree to be bound by the restrictions in this disclaimer. Any failure to comply with this restriction may constitute a violation of Financial Service and Capital Market Act.

Some statements contained in this Presentation or in documents referred to in it are or may be "forward - looking statements" or "forward-looking information" (as such terms are understood under applicable securities laws) (forward-looking statements), including, but not limited to, statements as to future operating results, work plans and potential acquisitions and contracts. The forward-looking statements include statements typically containing the words "intends", "expects", "anticipates", "targets", "plans", "estimates" and words of similar import.

These forward-looking statements speak only as at the date of this Presentation. These statements are based on current expectations and beliefs and, by their nature, are subject to a number of known and unknown risks, uncertainties and assumptions that could cause actual results, performances and achievements of the Company and its subsidiaries to differ. The forward-looking statements are based on numerous assumptions regarding the Company's present and future business, strategies and interests and the environments in which the Company may operate in the future and such assumptions may or may not prove to be correct. Nothing in this Presentation or in documents referred to in it should be considered as a profit forecast. All expressions of opinion and belief contained in the Presentation are opinions and beliefs held by the Company at the date of the Presentation. The Company assumes no obligation to update any statement after the date of this presentation as a result of new information, subsequent events or any other circumstances.

This Presentation does not constitute, or form part of or contain any offer or invitation to sell or issue, or any offer to subscribe for, underwrite or otherwise acquire, or dispose of, any securities in the Company in any jurisdiction in which such offer or sale would be unlawful prior to registration, exemption from registration or qualification under the securities laws of any jurisdiction.



Investor Relations 2020

Contents

- 1. iCP-Parkin 논문 요약 및 의미:**
Top 1% SCI Journal Publication
- 2. aMTD-FXN 프로젝트 요약:**
다케다와의 공동연구 진행 상황
- 3. aMTD-Ab 프로젝트 요약:**
글로벌 Top3 제약사와의 계약 진행 상황
- 4. iCP-NI 프로젝트 요약:**
중증패혈증 치료신약 iCP-NI 개발현황
및 COVID-19 대상 임상시험 계획



1. iCP-Parkin 논문 요약 및 의미:
Top 1% SCI Journal Publication





Science Advances

SCIENCE ADVANCES | RESEARCH ARTICLE

● 2020년 IF (예상): 17

NEUROSCIENCE

Intracellular delivery of Parkin rescues neurons from accumulation of damaged mitochondria and pathological α -synuclein

Eunna Chung^{1*}, Youngsil Choi^{1*}, Jiae Park¹, Wonheum Nah¹, Jaehyung Park¹, Yukdong Jung¹, Joonno Lee¹, Hyunji Lee¹, Soyoung Park¹, Sunyoung Hwang¹, Seongcheol Kim¹, Jongseok Lee¹, Dongjae Min¹, Junghwan Jo¹, Shinyoung Kang¹, Minyong Jung¹, Phil Hyu Lee², H. Earl Ruley³, Daewoong Jo^{1†}

¹Cellivity R&D Institute, Cellivity Therapeutics Inc., Seoul 03929, Korea. ²Department of Neurology, Yonsei University College of Medicine, Seoul 120-752, Korea. ³Department of Pathology, Microbiology & Immunology, Vanderbilt University School of Medicine, Nashville, TN 37232, USA.

*These authors contributed equally to this work

†Corresponding author. Email: ceo@cellivity.com

Submitted 6 November 2019

Accepted 7 February 2020

Published 29 April 2020

10.1126/sciadv.aba1193

2. 파킨슨병 치료제들의 **한계** 및 iCP-Parkin의 **우수성**

파킨슨병 치료의 **기존 학설**

파킨슨병은 일단 발병하면 **치료는 불가**하고
다만 **진행을 늦추거나 증상을 완화** 시킬 수 밖에 없다는 것이 기존 학설

TSDT+ Parkin  iCP-Parkin

파킨슨병 치료제 시장에 **새로운 패러다임** 제시

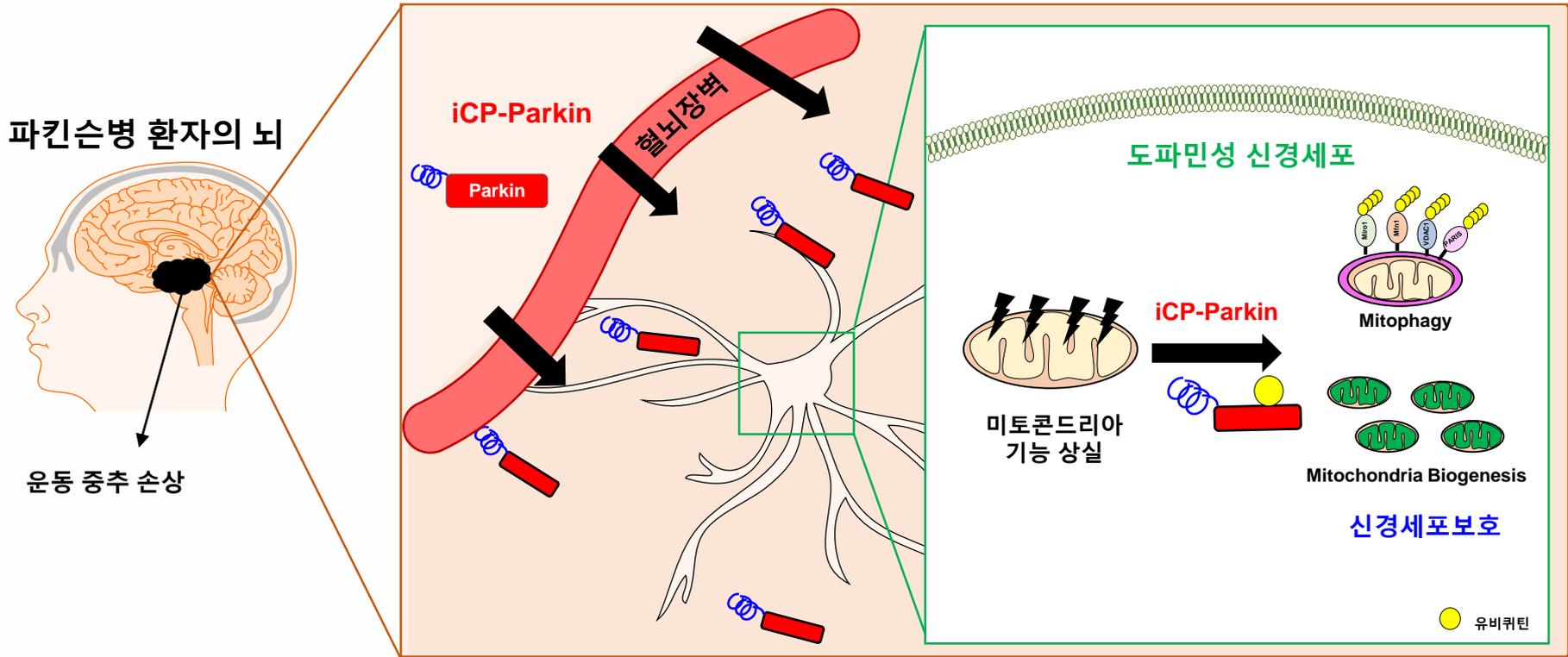
iCP-Parkin은 기존의 학설을 뒤집고, 파킨슨병과 같은 퇴행성뇌질환도 다시
뇌신경 세포를 활성화 시켜 **파킨슨병 발병 이전 수준으로**
운동성 및 인지능력을 회복시켜 궁극적인 치료가 가능함을 증명

논문 게재의  의미

치료신약개발로 파킨슨병의 궁극적인 치료가 가능하다는 **중대한 발견**을
학계에서 **인정**한 결과이며, **사업화 L/O 추진에 큰 도움**을 줄 것으로 기대됨

3. 파킨슨병 치료 전략 및 메커니즘 - I

파킨슨병 치료 전략 및 메커니즘 (1): 손상된 미토콘드리아 제거



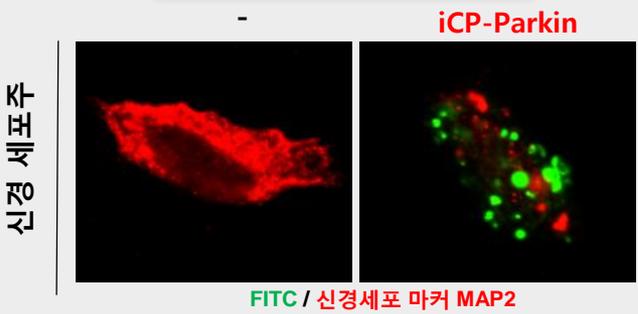
신경세포 속까지 직접 침투하여 손상된 미토콘드리아 제거 및 재생성 → 운동 기능 회복

4. 혈뇌장벽 (BBB) 투과를 통한 손상된 미토콘드리아의 기능 회복 - 에너지원 재생산

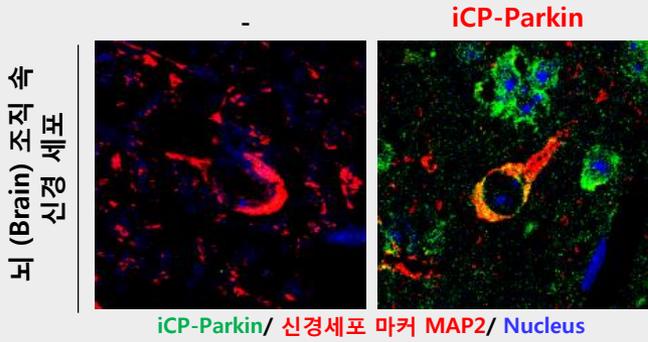


iCP-Parkin의 신경세포 투과성

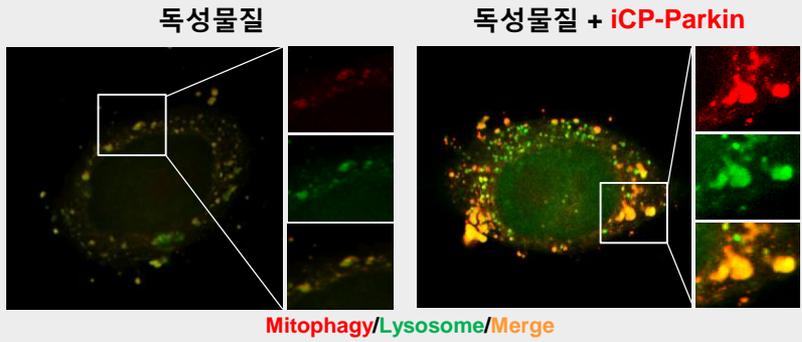
신경세포 투과성



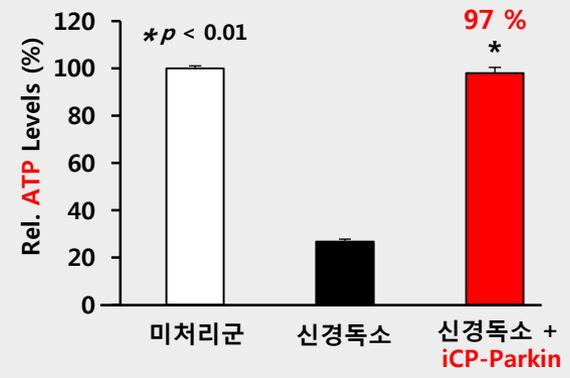
혈뇌장벽 투과성



손상된 미토콘드리아 기능 회복



ATP 생산능력 회복

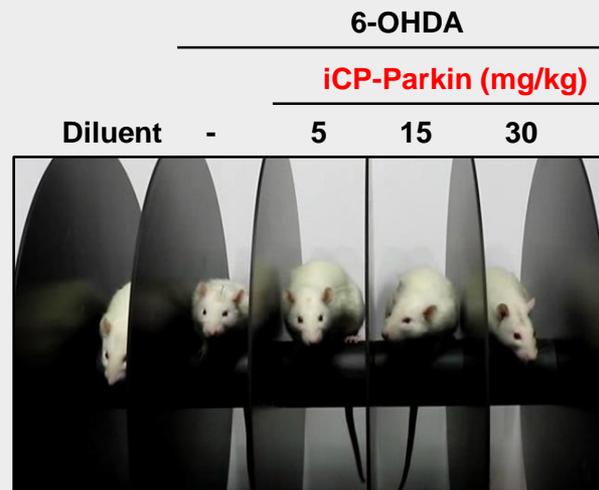
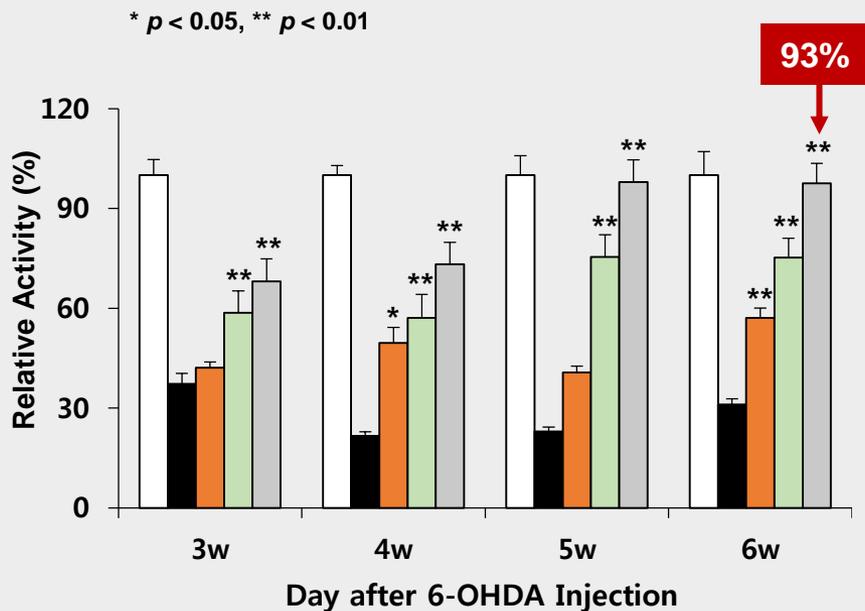


5. iCP-Parkin의 동물에서의 효능평가 - I

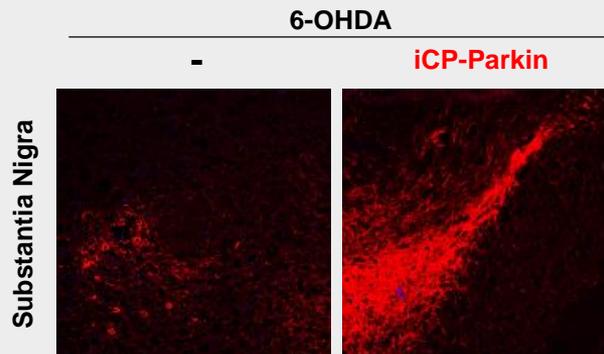
파킨슨병 치료 효능 검증 (1) - 도파민 생산세포 재활성화

운동능력 회복: Rota-Rod Test

	Dose (mg/kg)	Recovery (%)
□ Diluent (n=10)		
■ 6-OHDA (n=10)		
■ 6-OHDA + iCP-Parkin 5 mg/kg (n=10)	5	56
■ 6-OHDA + iCP-Parkin 15 mg/kg (n=12)	15	67
■ 6-OHDA + iCP-Parkin 30 mg/kg (n=11)	30	93

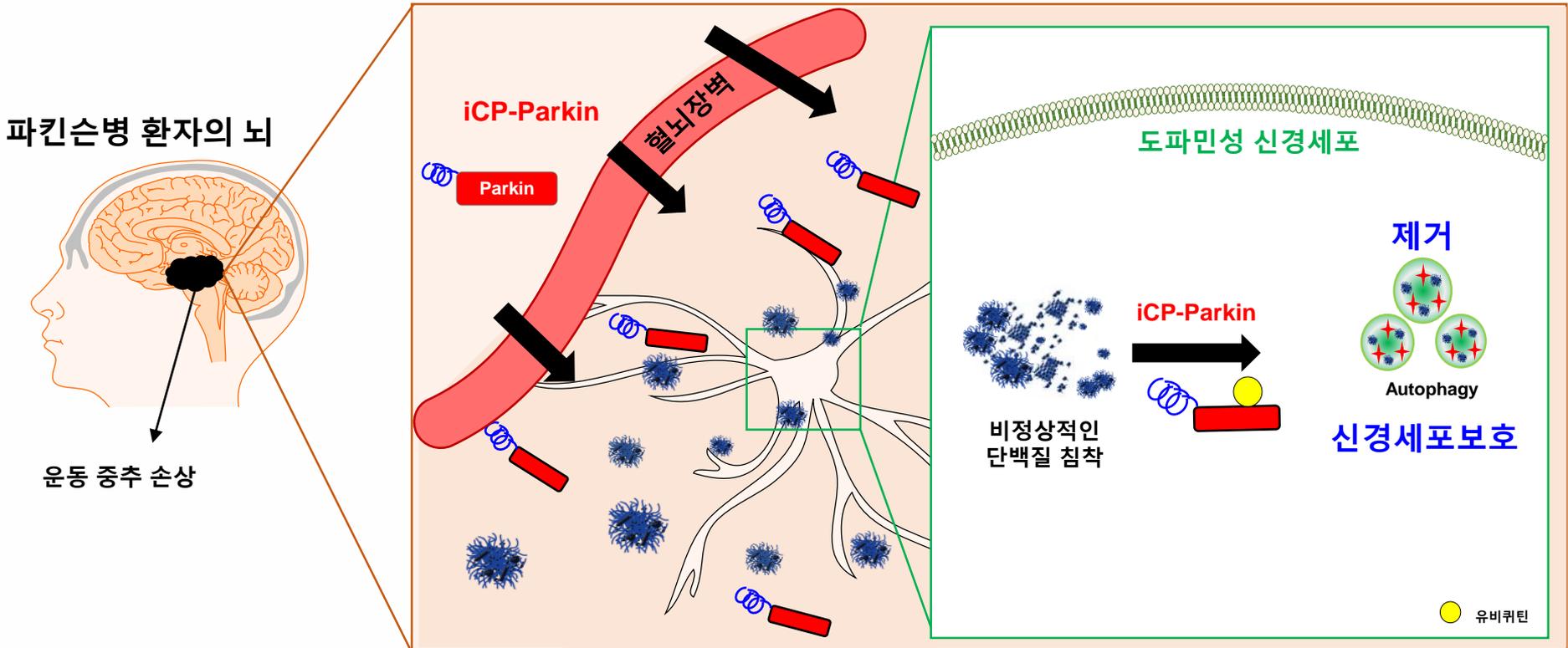


도파민 생성 세포 회복 TH Expression



6. 파킨슨병 치료 전략 및 메커니즘 - II

파킨슨병 치료 전략 및 메커니즘 (2): 단백질 응집체 억제 및 제거

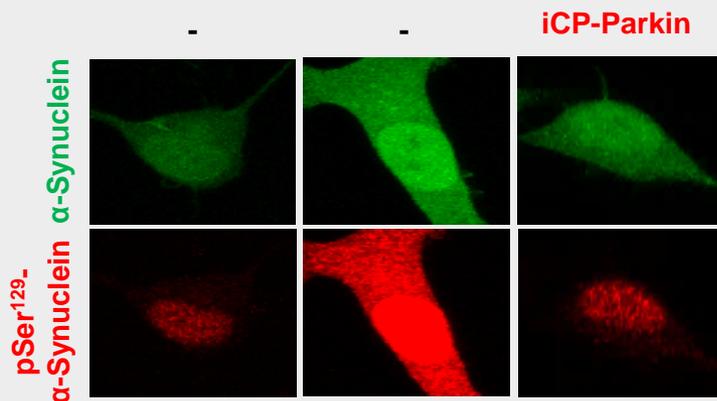


신경세포 속까지 직접 침투하여 근원적인 병리 물질 축적 해소 → 운동 기능 회복

7. 파킨슨병 병리 단백질응집체의 세포 내 축적 제어

신경세포 내의 병리학적 단백질, 알파 시누클레인 (Pathological α -Synuclein)의 축적을 억제 및 제거하여 세포보호

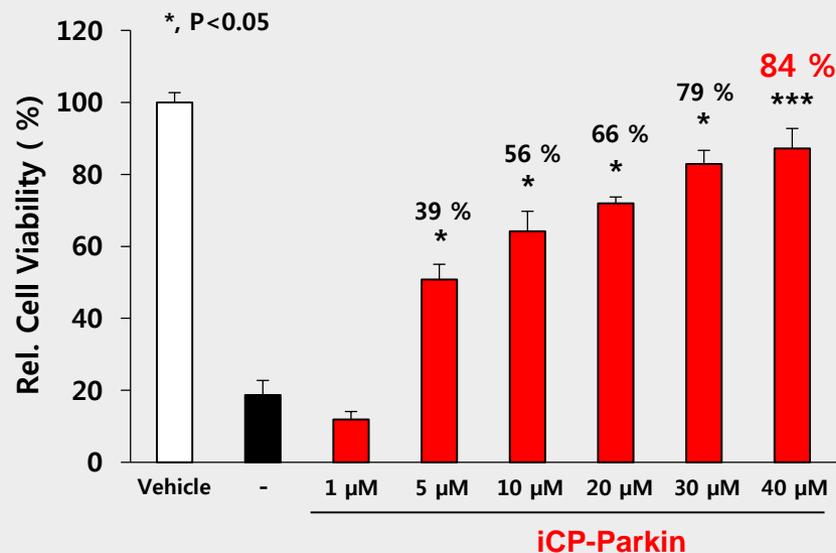
독성물질 처리한 신경세포



독성물질	-	+	+
iCP-Parkin	-	-	+
Oligomeric α -Synuclein			
Filamentous α -Synuclein			

세포 보호 효능

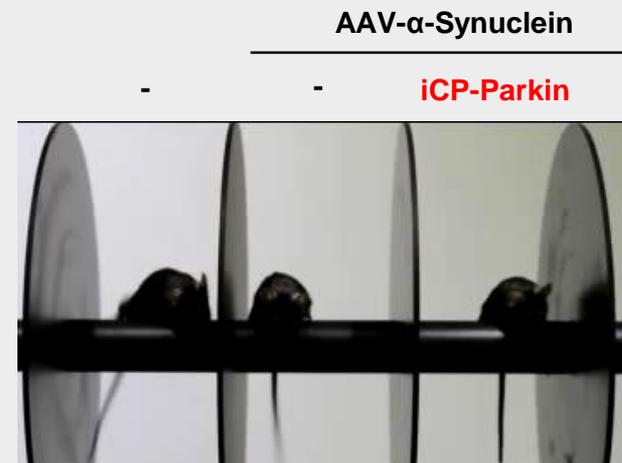
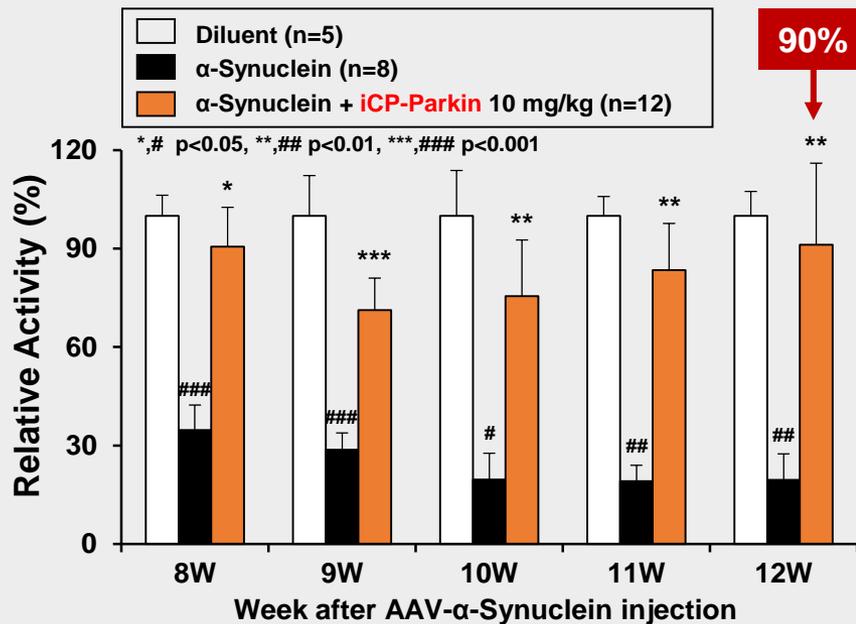
독성물질 처리한 신경세포



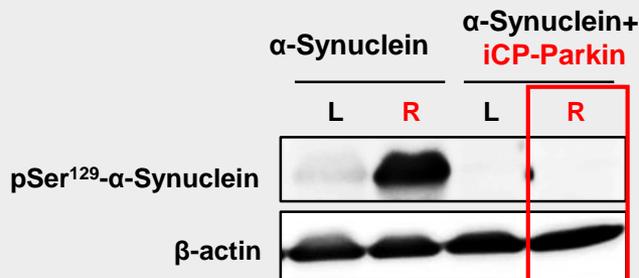
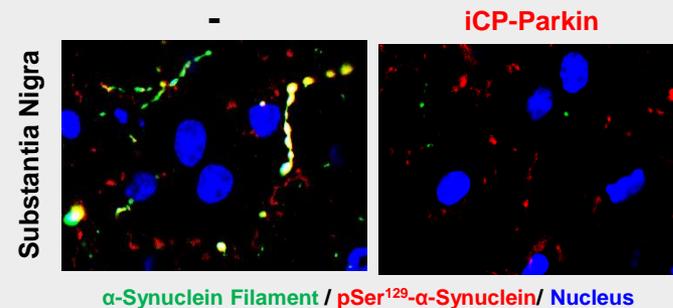
8. iCP-Parkin의 동물에서의 효능평가 - II

파킨슨병 치료 효능 검증 (2) - 뇌신경세포 내 병리 단백질 응집체 제거

운동능력 회복: Rota-Rod Test



병리물질 제거
Pathological α-Synuclein



9. iCP-Parkin 의 Peer Reviewer 들의 코멘트 - I



Evaluations From Highly-Impacted Journal (1st)

Reviewer 1

- *“The biochemical approaches underlying the design of recombinant parkin is **sound**.”*
- *“The validation of its delivery into cells and tissue is **convincing**”*
- *“The ease and efficiency of in vivo delivery with **blood-brain barrier penetration** has potential therapeutic application in future clinical studies.”*

Reviewer 2

- *“**Novel body of work**”*
- *“The dose-dependent outcomes in vivo were **exciting to see**”*
- *“The therapeutic approach (**Parkin delivery**) is **exciting**”*
- *“The use of peptides that are **able to cross the BBB** & confer biological activity in the timeframe, an **important contribution** to the field.”*

Reviewer 3

- *“Impressive!, **Novelty of delivering** a 63 kDa protein throughout the body.”*

10. iCP-Parkin 의 Peer Reviewer 들의 코멘트 - II



Evaluations From Highly-Impacted Journal (2nd)

Reviewer 1

- *"The authors have done an **excellent job** responding to the initial review."*
- *"The additional experiments are **convincing**, and their responses are thoughtful and complete"*

Reviewer 2

- *"In my opinion, the authors have **done their best** to address the issues that have been raised"*
- *"In nearly all the instances of previous suggestions and corrections they have provided **compelling results** to support their claims."*

Reviewer 3

- *"**Remarkable!**
The creation of a parkin variant that is cell permeant, soluble, and superior in recombinant preparation to native wild-type protein."*

11. *Science Advances* 논문 게재의 **사업적 의미**



Science Advances 논문 게재의 사업적 의미

파킨슨병은 **일단 발병하면 치료가 불가능** 하다는 기존의 학설을 뒤집고, iCP-Parkin을 통해 **궁극적인 치료가 가능하다는 것을 학계에서 인정 받음**



First-In-Class 파킨슨병 치료제로서 iCP-Parkin의 **사업적 가치 인정**



**TSDT 플랫폼 기술을 이용한 신약기술개발이
치료제가 없던 모든 뇌신경질환에 대한 해결책이 될 수 있음을 증거**

iCP-Parkin 논문을 통한 L/O 협상 및 새로운 파트너 모색

파킨슨병 치료 후보물질 iCP-Parkin 라이선싱 (L/O) – 후보 글로벌 제약사

Global Top 50 북유럽 제약사

- 현재 상황:
iCP-Parkin의 가치 산정 중
- 최종목표:
iCP-Parkin L/O

Global Top 10 제약사

- 현재 상황:
iCP-Parkin의 데이터 검토 중
- 최종목표:
iCP-Parkin L/O

COVID-19 으로 인하여 잠시 중단된 상태에서 *Science Advances* 게재
→ 더 큰 기회 제공 + 재택근무 해제 → 협상 돌입

이번 논문 게재는 **First-In-Class 치료제**로서 iCP-Parkin의 가치를 인정하는 증거로, 글로벌제약사들과의 **L/O 협상테이블에서 중요한 의미**를 지님

13. 예시를 통한 iCP-Parkin L/O 시 가치 산정

예시를 통한 현실적인 iCP-Parkin의 가치 및 향후 전망

글로벌 Top 10 제약사인 Abbvie (US)는 BioArctic (Sweden)로 부터 aggregated α -Synuclein을 타겟 하는 **단일항체** 기반 파킨슨병 치료제를 Licensing-In 했음



치료제 L/O



abbvie

글로벌 Top 10 제약사

- 계약금 **\$80 M** (970억 원)
- 총액 **\$755 M** (9,200억 원)

위 사례와 같이 iCP-Parkin도 라이선싱 성공 시, **조 단위의 계약**이 가능하며, 다른 뇌신경질환 치료제 개발을 위한 **TSDT 플랫폼의 L/O**도 동반기대됨

14. *Science Advances* 지 게재는 새로운 기회



뇌신경질환을 개발하고 있는 글로벌제약사들과 여러 논의 중



거대 약리물질의 **혈뇌장벽 투과**를 통한 뇌신경질환 치료제 개발은 시장에 새로운 패러다임 제시 했으며, **많은 글로벌제약사에서 우선적으로 접촉** 해오고 있음



2. aMTD-FXN 프로젝트 요약:

TAKEDA 와의 공동연구 진행 상황



1. TAKEDA의 기술 헌팅 과정

뇌 신경분야 치료제 개발에 사용 할
혈뇌장벽 (Blood-Brain-Barrier) 투과성 플랫폼기술을 찾고 있음



2017년 10월 Bio-Japan 에서 첫 미팅

TAKEDA에서 개발하고 있는 신경운동질환인 프리드리히 운동실조증 (FRDA)
치료제 개발에 당사의 TSDT 플랫폼기술 사용 제안



2018년 8월 공동개발 계약

TAKEDA 계약의 목적

1. TSDT 플랫폼기술을 이용한 새로운 프리드리히 운동실조증 치료제 CP-FXN 개발 및 L/O
2. CP-FXN 개발을 통한 TSDT 기술의 세포/조직 및 혈뇌장벽 투과능 검증: 성공 시 TSDT 기술 L/O

[2020 하반기 ~ 2021 상반기]

2. 프리드리히 운동실조증 (FRDA)과 프라탁신 단백질 (FXN)

프리드리히 운동실조증: Friedreich's Ataxia (FRDA)



1. 정의

- 신경계 손상으로 인해 운동장애가 발생하는 **유전질환**
- 상염색체 열성 및 유전자의 돌연변이

2. 병인

- Frataxin (FXN) 유전자의 돌연변이
- **FXN 단백질 결핍** 및 철 (iron) 불균형

FXN 대체 치료법 (FXN Replacement Therapy)

- 발병률: 1 : 50,000
- 환자수: 미국 5-6,000 명, 전세계 **10-15,000 명**
- 현재 치료제는 없고 **증상 완화제만** 처방됨
- FRDA의 치료제들이 각 국에서 개발단계에 있지만 아직까지 시판 중인 **치료제는 없음**

FXN 단백질 발현 부족



뇌 신경세포 사멸



프리드리히 운동실조증 발병



운동능력 상실 및 심정지



CP-FXN



3. 사업화 현황: TAKEDA와 CP-FXN 공동개발 계약 체결

MATERIAL TRANSFER AND RESEARCH COLLABORATION AGREEMENT

THIS MATERIAL TRANSFER AND RESEARCH COLLABORATION AGREEMENT (the "Agreement") is made and entered into as of the date of last signature hereto (the "Effective Date"), by and between CELLIVERY THERAPEUTICS, INC., having a business address at 03929 K-BIZ DMC Tower Floor 9, 189, Sungam Ro, Mapo Gu, Seoul, Korea (South) ("CELLIVERY") and TAKEDA Pharmaceutical Company Limited, having a business address at 1-1, Doshomachi 4-chome, Chuo-ku, Osaka 540-8645, Japan ("TAKEDA"), which are referred to collectively as the "Parties" and individually as a "Party".

WITNESSETH

WHEREAS, CELLIVERY developed, owns and possesses technical and other proprietary material relating to CELLIVERY's Therapeuticmolecule Systemic Delivery Technology ("TSDT")- and related peptides ("aMTD") for protein-based biotherapeutics,

WHEREAS, TAKEDA is desirous of having the opportunity to verify the applicability of CELLIVERY's TSDT to potential therapeutics for Friedreich's Ataxia, and CELLIVERY is interested in Friedreich's Ataxia and such applicability and

WHEREAS, the Parties agree to cooperate for conducting an evaluation of such applicability, by using aMTD/SD-fused FXN and aMTD/SD-fused FXN labeled with FITC (collectively "Materials") and Information (defined below) relating to the Materials, subject to the terms and conditions of this Agreement ("Evaluation");

NOW, THEREFORE, in consideration of their mutual promises to each other, hereinafter stated, the Parties agree as follows:

debarment, TAKEDA shall have the right to terminate this Agreement immediately.

- 9. Those provisions of this Agreement which by their nature are intended to survive shall survive expiration or termination of this Agreement, including, but not limited to, ARTICLES B, D, E, F, G, H, I

IN WITNESS WHEREOF, the Parties intending to be legally bound have caused this Agreement to be executed by their duly authorized representatives as of the Effective Date.

CELLIVERY THERAPEUTICS, INC.

TAKEDA PHARMACEUTICAL COMPANY LIMITED

Signature: [Handwritten Signature]

Signature: [Redacted Signature]

Name: [Redacted Name]

Name: [Redacted Name]

Title: Director

Title: DIRECTOR

TAKEDA (global top 10위)와 FRDA 치료를 위한 CP-FXN 공동개발에 대한 계약

4. TAKEDA 와의 CP-FXN 공동개발 진행상황



마일스톤	내용	수행기관	기간
1 단계	CP-FXN의 구조확정 및 세포투과성 검증	셀리버리	2018.10~2019.5
2 단계	CP-FXN의 조직투과성 및 생물학적 효능평가	셀리버리	2019.5~2019.11
3 단계	CP-FXN의 FXN KO 동물에서의 효능평가	다케다	2019.10~

지속적인 대면 미팅과 텔레비디오 미팅을 통해 TAKEDA와 긴밀히 협업하여
공동연구를 진행하고 있으며,
현재는 계약의 마지막인 마일스톤 3단계를 진행 중에 있음

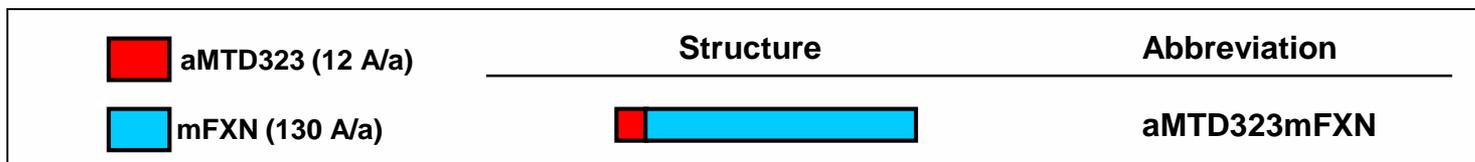


(다케다 쇼난연구소, 2019.04.24)

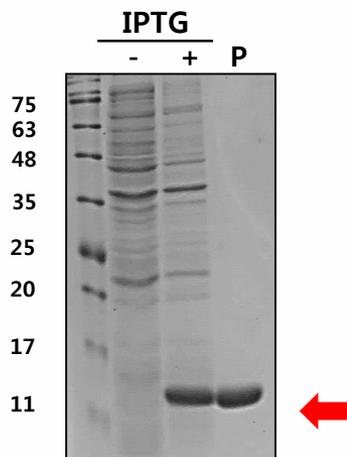


(셀리버리 본사, 2019.11.04)

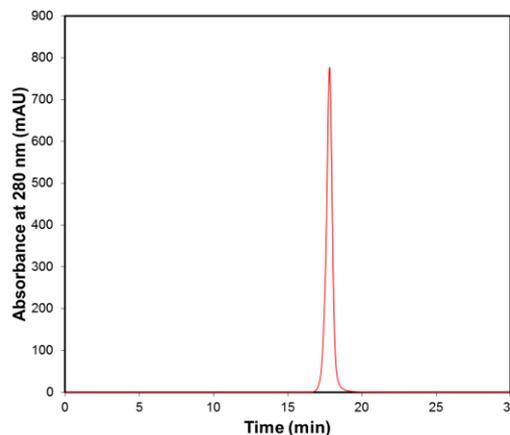
5. 마일스톤 1 단계: CP-FXN의 구조확정



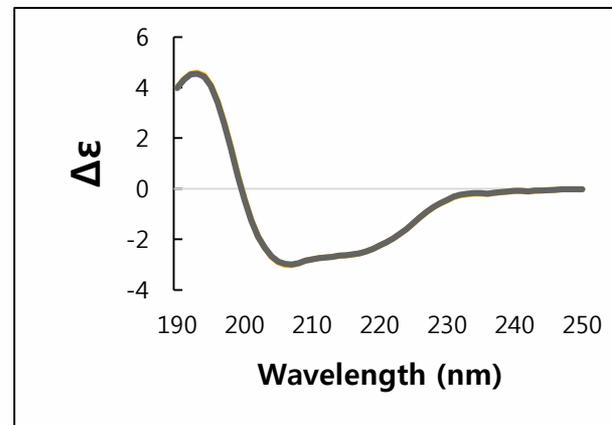
SDS-PAGE



HPLC



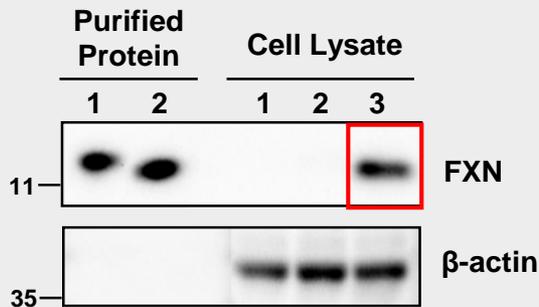
CD



Size Homogeneity: 99%

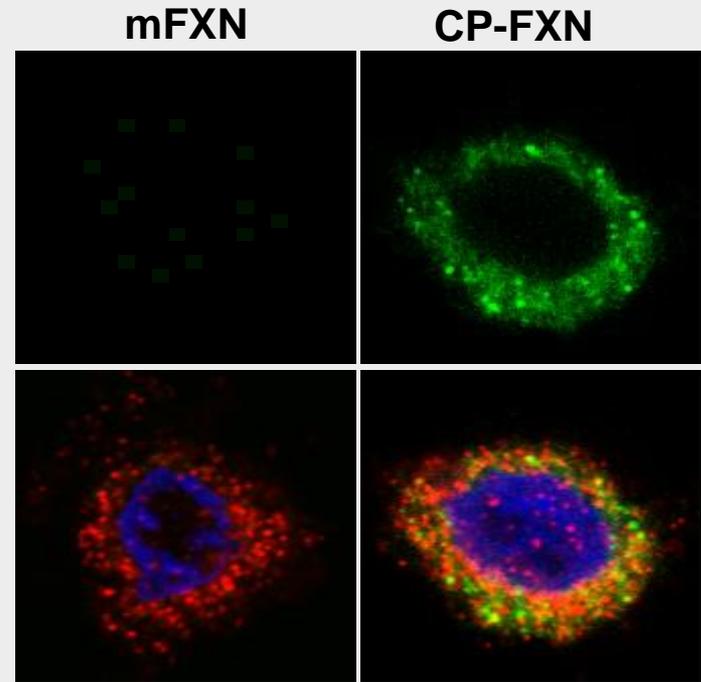
6. 마일스톤 1: CP-FXN의 세포투과성 결정

CP-FXN의 세포투과성



1: mFXN] Purified Protein	1: No Treatment] Cell Lysates
2: CP-FXN		2: mFXN	
	3: CP-FXN		

HeLa, 12 H

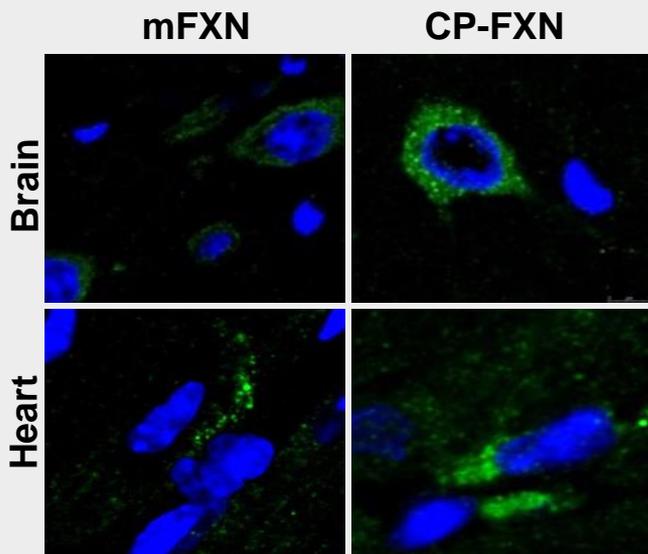


Green: FXN, Red: Mitochondria, Blue: Nucleus

마일스톤	내용	수행기관	진행상황
1 단계	CP-FXN의 구조확인 및 세포투과성	셀리버리	성공

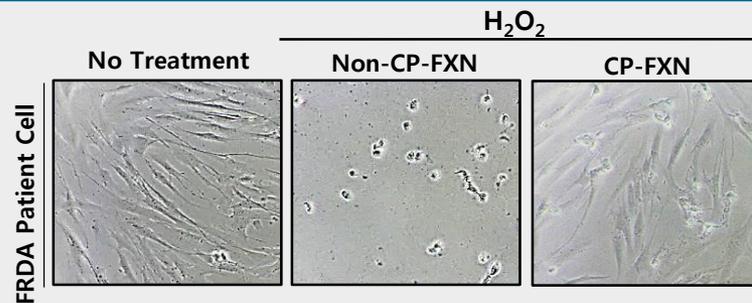
7. 마일스톤 2: CP-FXN의 조직투과성 및 생물학적 효능 결정

CP-FXN의 조직투과성

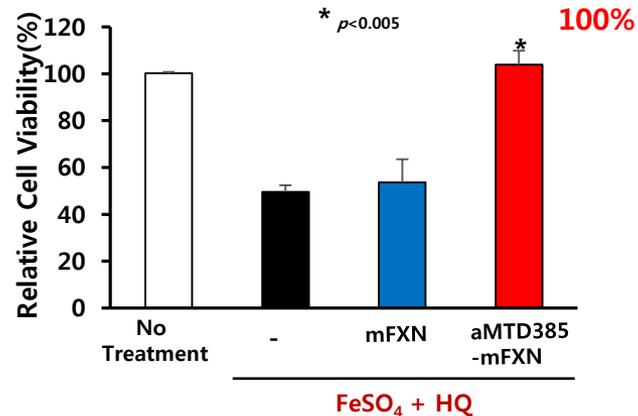


뇌 & 심장 세포에 **전송성공**

CP-FXN의 생물학적 효능



FRDA Patient derived fibroblast (24H)



마일스톤	내용	수행기관	진행상황
2 단계	CP-FXN의 조직투과성 및 생물학적 효능평가	셀리버리	성공

8. 마일스톤 3: FXN 결핍 동물모델에서의 **치료 효능 결정**



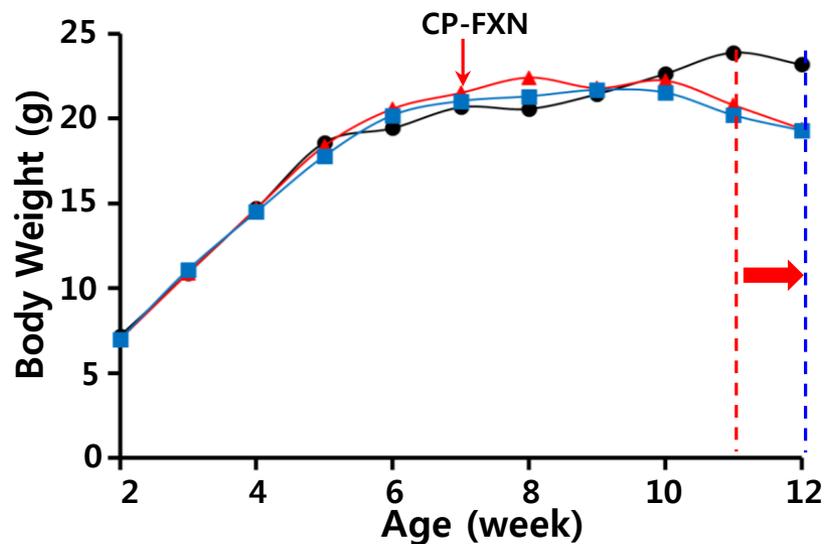
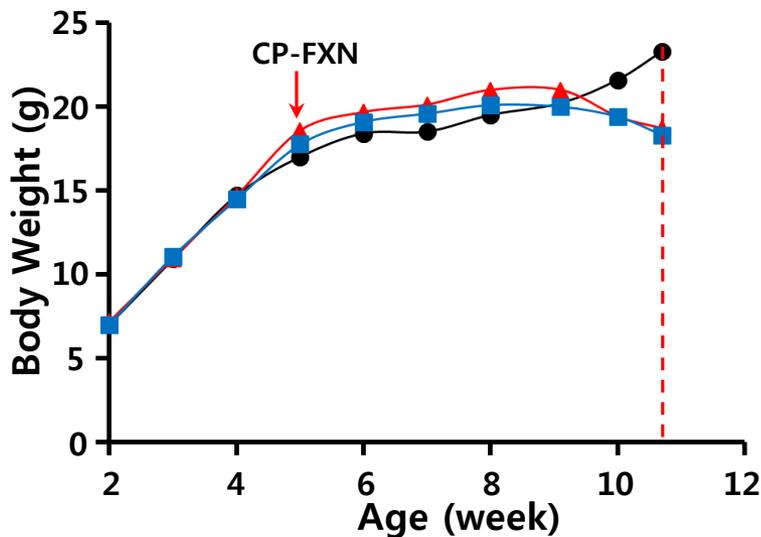
CONFIDENTIAL

9. 심장 FXN 단백질 결핍 (Heart FXN KO) 동물모델에서 효능평가-I

CP-FXN의 투여 방법 결정: IP → IV

복강 주사 (IP)

정맥 주사 (IV)

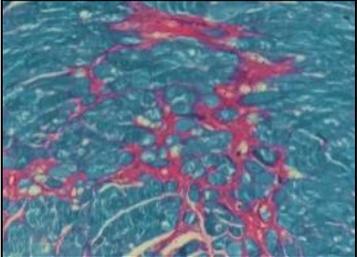
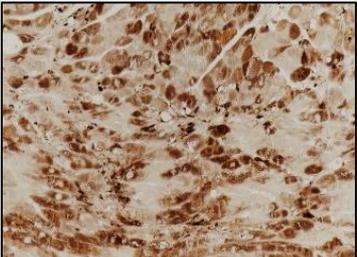


- 정상군
- ▲ 환자군
- 환자군 + CP-FXN

결과 1: CP-FXN의 생명연장 효능 도출

CP-FXN의 심장 섬유화 억제 효능

Heart FXN KO

	정상	대조군	CP-FXN	
심장 섬유화				분홍색: 심장근육의 경화
철이온 축적				짙은 갈색: 철이온의 축적

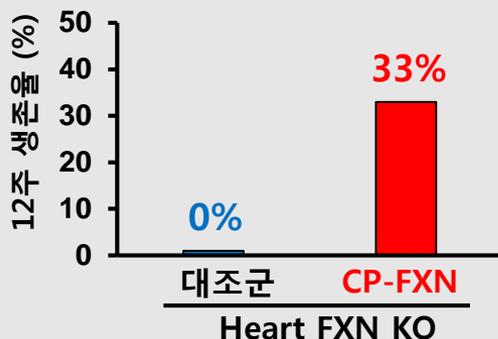
결과 2: CP-FXN의 심장 섬유화 억제효능 도출 및 심장 철이온 축적 억제효능 도출

9. 심장 FXN 단백질 결핍 (Heart FXN KO) 동물모델에서 효능평가-III



생명보호 효능 및 심장기능붕괴 치료 효능

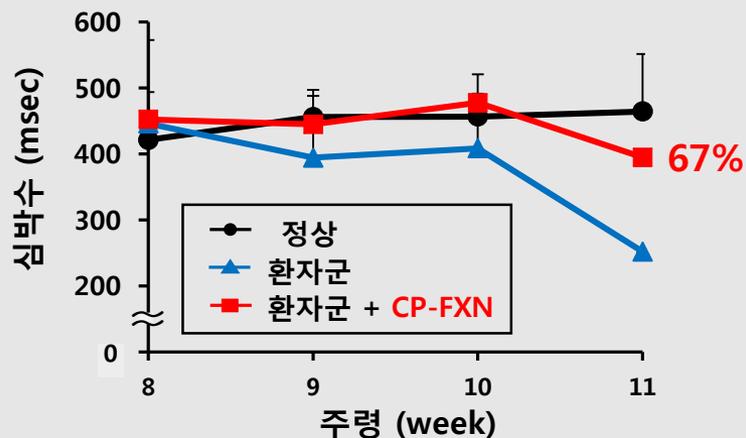
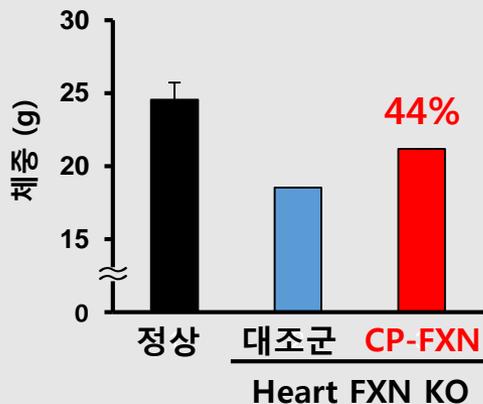
생명 보호효능



심장기능저하 치료효능



Ataxia 몸무게 감소 치료효능



10. TAKEDA 와의 **현재 진행 상황**



CONFIDENTIAL

11. 예시를 통한 CP-FXN L/O 시 가치 산정

예시를 통한 현실적인 CP-FXN의 가치 및 향후 전망

TAKEDA는 Stridebio (Durham)로 부터 Adeno-Associated Virus (AAV)를 이용한 유전자 치료법을 License-In 하여, **바이러스 융합-FXN**을 개발 중

L/O 규모

 stridebio



- 계약금 **\$30 M** (365억 원)
- 총액 **\$680 M** (8,268억 원)



유전자 치료법은 Systemic Delivery가 제한적이기 때문에,
TSDT 플랫폼이 **Delivery 측면에서** 우위에 있음

12. CP-FXN 검증을 통한 TSDT 플랫폼기술 L/O 추진



CONFIDENTIAL

13. 예시를 통한 TSDT L/O 시 가치 산정

예시를 통한 현실적인 CP-FXN의 가치 및 향후 전망

TAKEDA는 Denali Therapeutics (San Francisco)로 부터 **혈뇌장벽 투과 항체기술**을 적용하여 3 가지의 뇌신경질환 신약개발을 할 수 있는 권리를 License-In 했음

L/O 규모



DENALITM
THERAPEUTICS



- 계약금 **\$150 M** (1,800억 원)
- 총액 **\$1.2 B** (1조 4,000억 원)



CP-FXN 프로젝트가 성공적으로 마무리 된다면,
위 사례와 같이 TSDT도 **1조원 이상의 L/O**가 가능할 것임



3. aMTD-Ab 프로젝트 요약:

글로벌 Top3 제약사와의 진행 상황

CELLIVERY Therapeutics, Inc.
TSDT & Intracellular Protein Therapy



1. 글로벌 Top3 제약사



Global Top 3 Pharmaceutical Companies

Ranking	Company	Market Capitalization	Revenue (2018)	# of Employees	# of Scientists
Top 1	Johnson & Johnson	\$346 B (410조)	\$82 B (100조)	134,000	25,000
Top 2	Roche	\$244 B (209조)	\$57 B (70조)	94,442	17,000
Top 3	Pfizer	\$196 B (230조)	\$54 B (60조)	92,400	15,000

계약 상 상대방 이름을 밝히지 않게 되어있음

2. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 내용

글로벌 Top3 제약사의 기술 헌팅

목적: 약리물질이 생체 내 세포 안으로 투과 가능한 **플랫폼기술 확보**

방법: 폐암/췌장암/대장암 대상 항체치료제를 세포-/조직- 투과성으로 만들고 실제 작동 하는지를 **최종 검증**

스크리닝 과정



총 10년 소요 (최종 선정까지 예측)

1. **기술탐색:** 세포 내 투과가 가능한 기술 탐색 (현재까지 선정된 기술이 있는지는 모름)

2. **1차 선정:** F2F 미팅을 통한 1차 후보군 선정 (2018.6, **숫자 불명** 회사들)

3. **2차 선정:** 서류 (기술요약서, 특허, 논문) 검토로 2차 후보군 선정 (2019.1, **20개** 회사)

4. **3차 선정:** 대면평가 (2019.05) 및 경쟁기술과 최종 검증시험 실시 (2019.10, **4개** 회사)

최종 검증시험



완료 (기간 미정, 단기에측)

최종 회사 선정 및 기술 L/O



자체 모든 신약에 적용 예정

3. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 진행/일정



CONFIDENTIAL

4. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 Study Plan

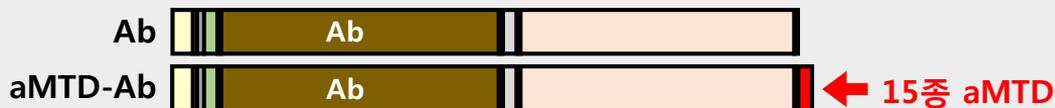


CONFIDENTIAL

5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - I

1단계-1: 세포투과성 항체 발현벡터 제작 - 완료

15종 aMTD-Ab 벡터 개발



No.	aMTD	Structure
1	321	
2	322	
3	323	
4	324	
5	341	
6	342	
7	343	
8	345	

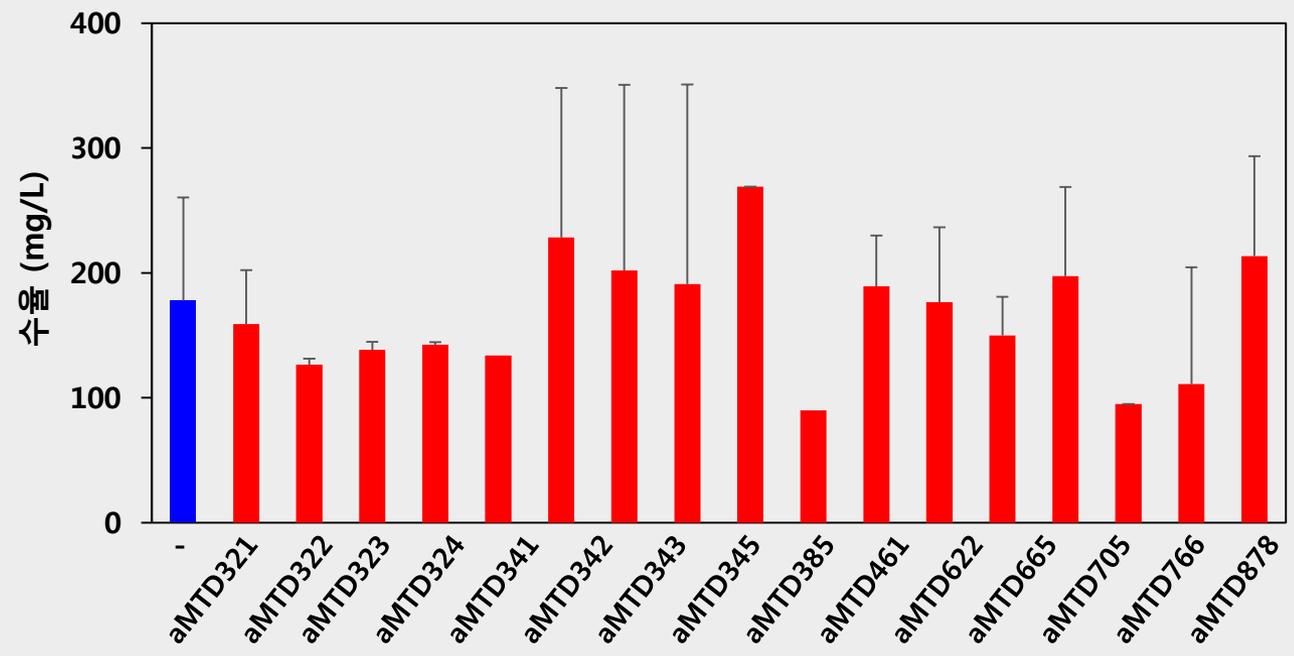
No.	aMTD	Structure
9	622	
10	665	
11	622	
12	665	
13	705	
14	766	
15	878	

5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - II



1단계-2: 세포투과성 항체 생산 (Manufacturing) - 완료

15종 aMTD-Ab 생산

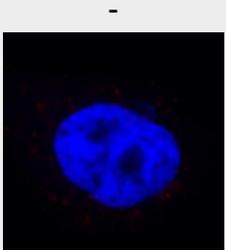


결과: 생산 잘됨 - 1단계 성공

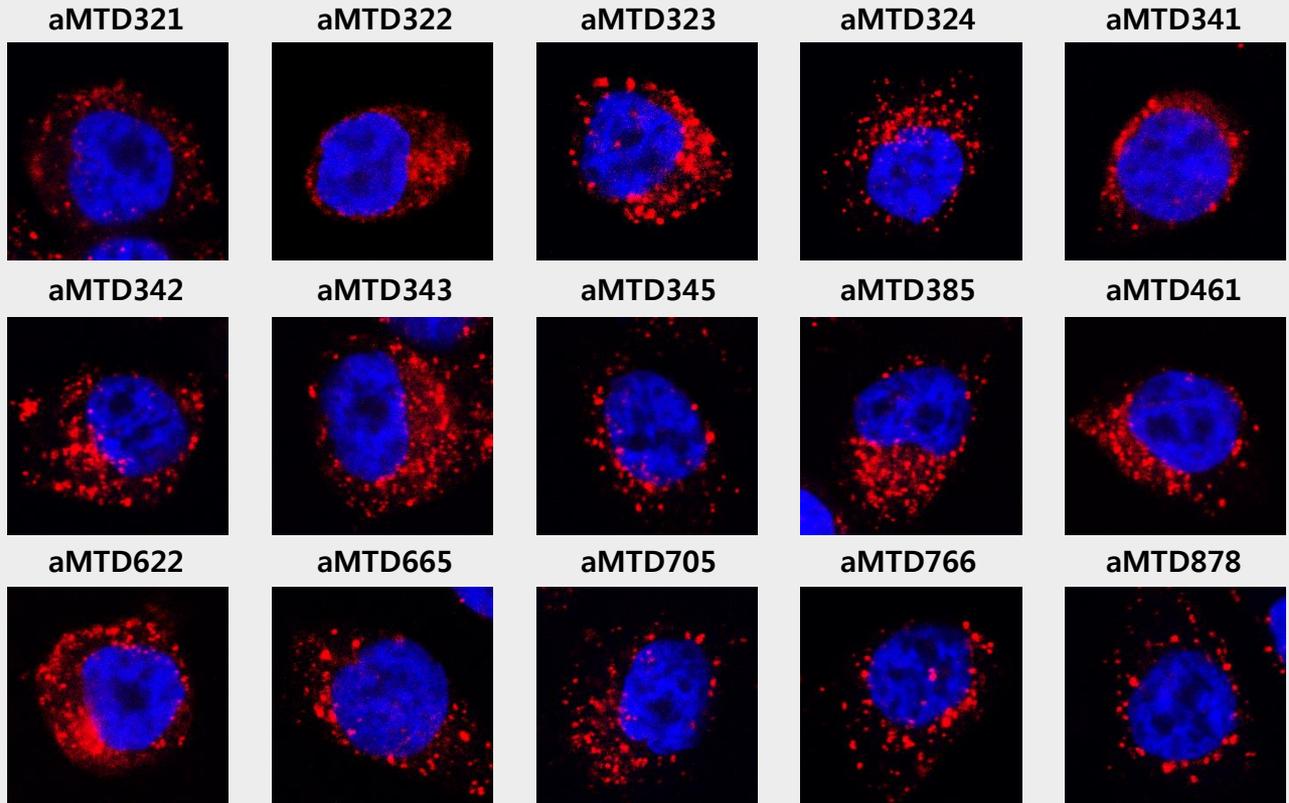
5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - III



2단계: aMTD-Ab의 세포투과성 (Cell-Permeability) 검증 - 완료



● Red: 항체
● Blue: 핵

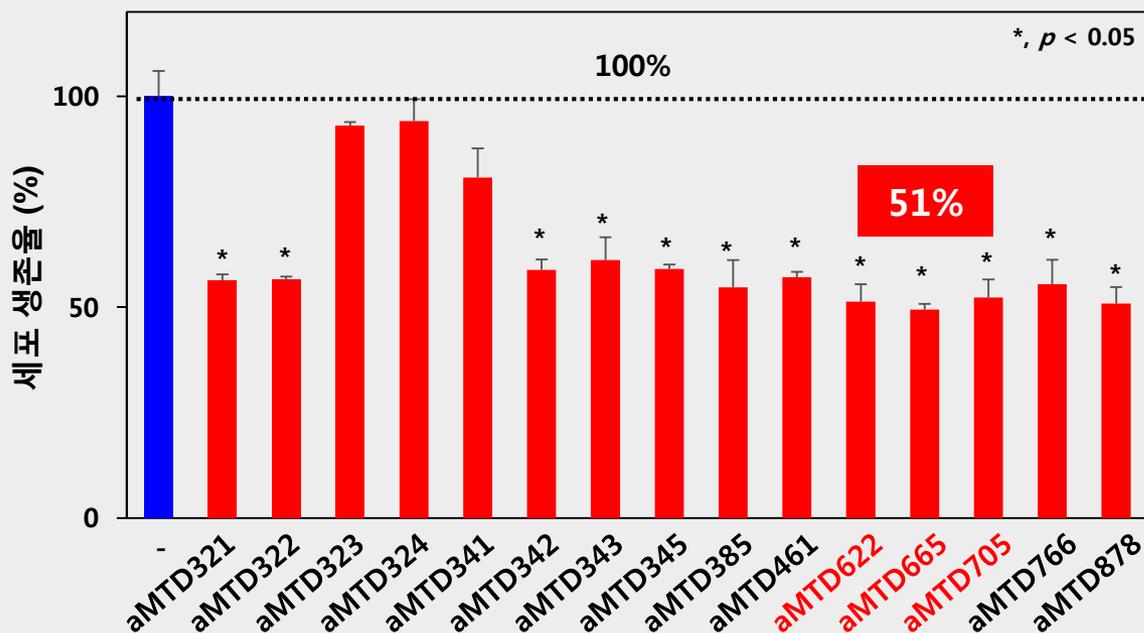


결과: 세포투과성 확실함 - 2단계 성공

5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - IV

3단계-1: aMTD-Ab의 세포에서의 항암효능 검증 - 일부 완료 & 계속 진행 중

폐암 세포에서의 항암 효과

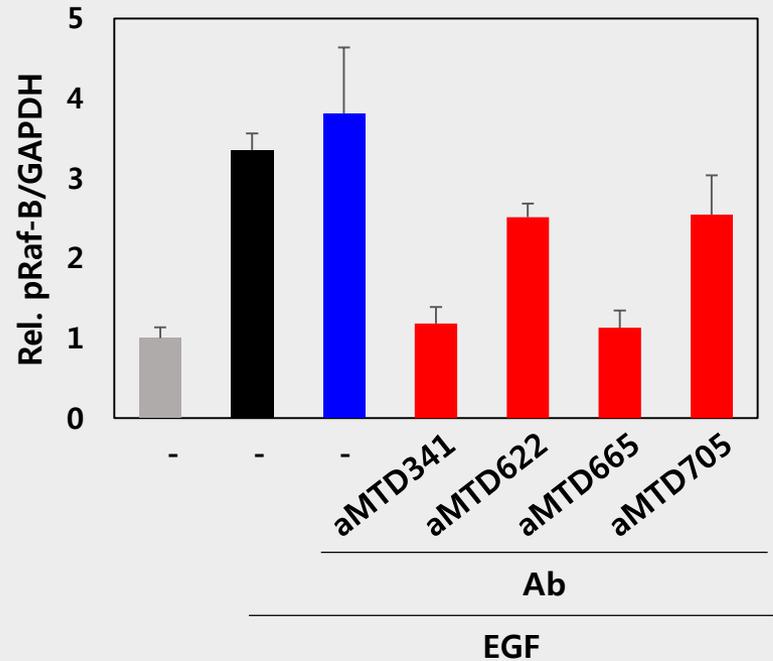
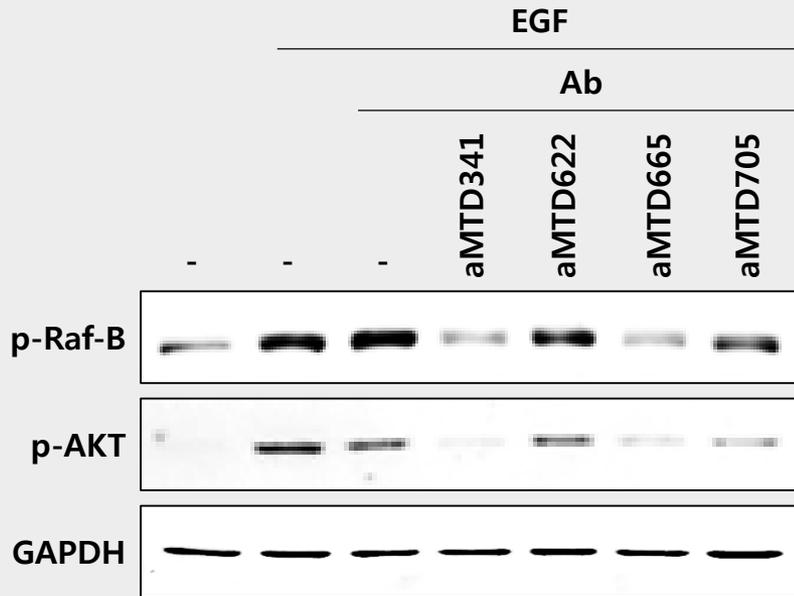


결과: 세포에서 항암효과 있음 - 3단계 성공

5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - V

3단계-2: aMTD-Ab의 세포에서의 항암효능 검증 - 일부 완료 & 계속 진행 중

폐암 세포에서의 항암 메커니즘

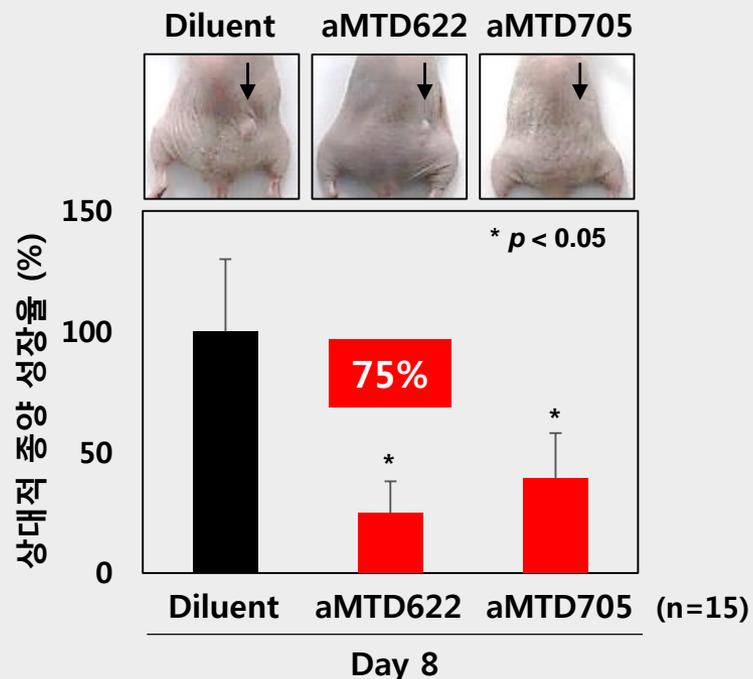
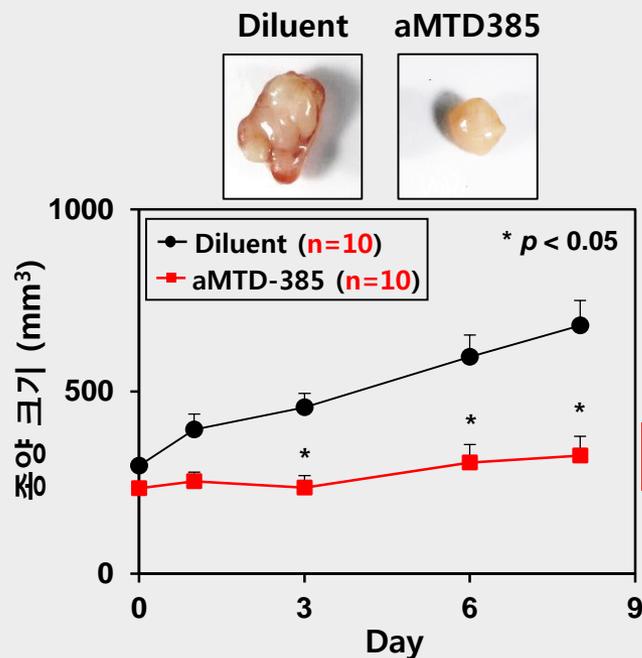


결과: 세포에서 항암효과 있음 - 3단계 성공

5. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 평가물질의 실험결과 - VI

3단계-3: aMTD-Ab의 동물에서의 항암효능 검증 - 일부 완료 & 계속 진행 중

폐암 동물모델에서의 항암 효과



결과: 이종이식 종양동물모델에서 항암효과 있음 - 3단계 성공

동물실험은 study plan에 없었으나, 독자적 진행으로 성공함

6. 「글로벌 Top3 제약사와 계약」 진행/일정



CONFIDENTIAL

7. 「글로벌 Top3 제약사와 계약체결」의 향후 진행 및 전망

최종 검증시험: 4개 회사 중 1위 선정

기술



L/O

뇌신경질환	자가면역질환
암	감염질환
심장병	고혈압

TSDT



적용

개별 신약후보물질 도출

물질



L/O

TOP3 글로벌제약사의 2만명 이상의 R&D 인력들이 자사의 모든 질병분야에 우리기술을 적용함

기술 L/O → TSDT 적용 → 물질 L/O

8. 「글로벌 Top3 제약사와 계약체결」의 **향후 진행/일정**



CONFIDENTIAL

9. 예시를 통한 TSDT L/O시 가치 산정

예시를 통한 현실적인 플랫폼기술 L/O의 가치 및 향후 전망

Dicerna (Cambridge, US)는 직원 수 100명 남짓의 RNAi 관련 플랫폼을 가진 업체로 Celliverty와 같이 플랫폼을 적용하여 신약후보물질 개발이 가능한 벤처기업

Screening을 통해 후보선정



최종 검증시험 통과

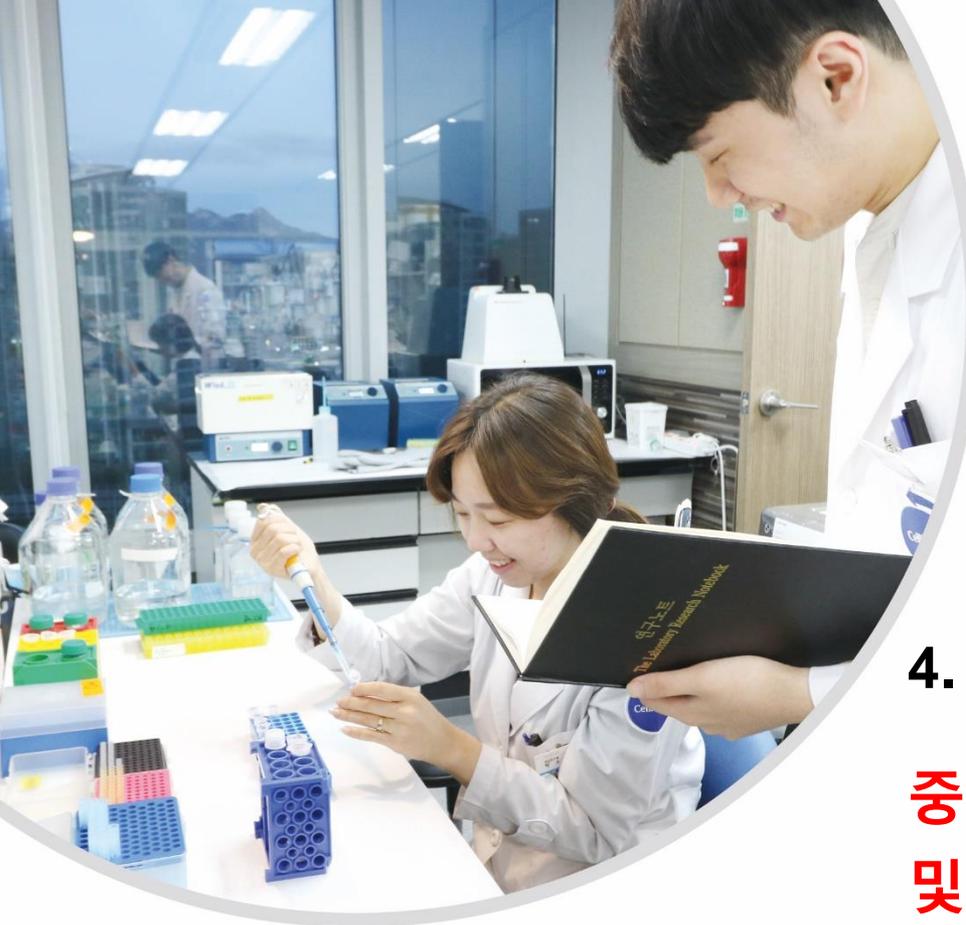
기술 L/O



글로벌 Top13 제약사

- 계약금 **\$100 M** (1,200억 원)
- 지분투자 **\$100 M** (1,200억 원)
- 1개 후보물질 L/O 당 **\$350 M** (4,200억 원)

위 사례와 같이 TSDT도 라이선싱 성공 시,
도출 되는 후보물질마다 L/O가 될 것이며 개당 5,000억 원 규모가 예상 됨

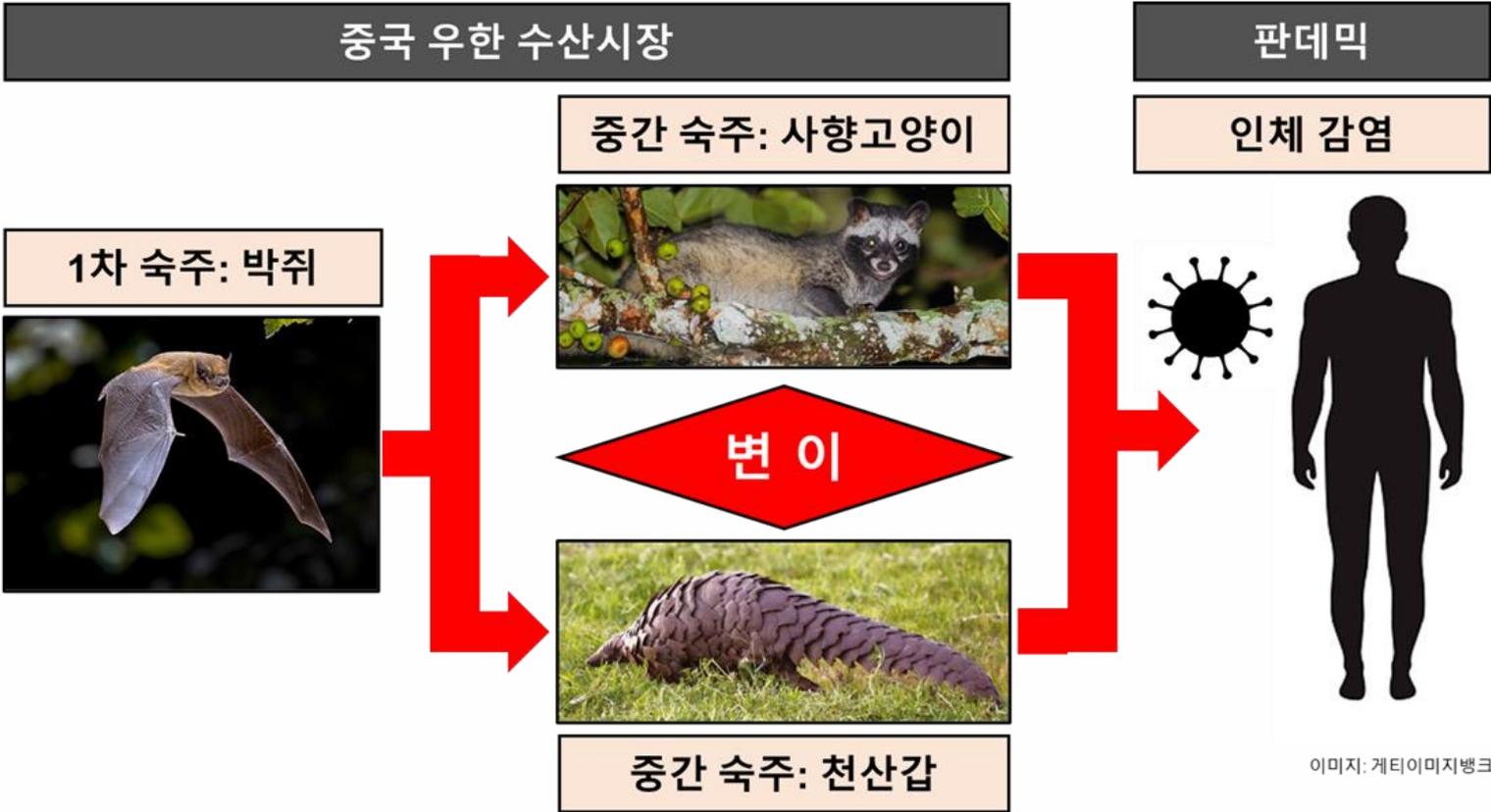


4. iCP-NI 프로젝트 요약:

**중증패혈증 치료신약 iCP-NI 개발현황
및 COVID-19 대상 임상시험 계획**

1. COVID-19 바이러스의 발생 (Outbreak)

동물 교차감염에 의한 변종 바이러스의 등장 및 전파

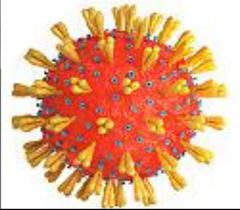
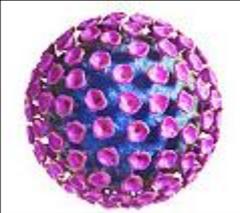


이미지: 게티이미지뱅크



2. COVID-19, 독감과 달리 왜 판데믹이 되었나?

COVID-19 / 인플루엔자 바이러스의 공통점 및 차이점

	RNA VIRUS	돌연변이	예방접종	치료제	인체면역	증상
COVID-19		동물 교차감염: 다수의 변종	불가능	없음	전무	무증상 ~ 면역과잉, 사이토카인폭풍, 사망 (치사율 7%)
인플루엔자		정형적 (A, B, C 형)	가능	항바이러스제 (타미플루 등)	면역력 형성	무증상 ~ 열, 오한, 피로감 등 다양함 (치사율 0.1%)



전 세계적 대유행 (판데믹)

동물/사람 교차감염에 의한 유전자 재조합 돌연변이 및 신·변종 출현



3. 주요 대륙 및 국가별 COVID-19 판데믹 진행 현황

세계 주요국가 COVID-19 확진자 및 사망자 수

국가	확진자수 (명)	사망자수 (명)	총 사망률 (%)
한국	10,774	248	2.3
북미	1,186,942	69,666	5.9
유럽	1,373,532	135,246	9.8
아시아	520,621	18,635	3.6
기타국가	226,827	10,561	4.7

1st, May, 2020, 00:00 GMT 기준

전세계 **확진자 3,308,643 명** 중 **사망자 234,123 명**

총 사망률 7.1%

4. COVID-19 환자의 전형적인 **염증성 병변** 및 **사망원인**

COVID-19 사망자의 전형적 병변: **급성 염증**



COVID-19에 의한 **주요 사망원인**

신종 바이러스에 대한
극심한 면역반응 (Severe Inflammation) / 패혈증 (Septic Shock)

급성 염증, 사이토카인 폭풍, 폐내 점액질 축적, 폐 섬유화, 호흡 곤란

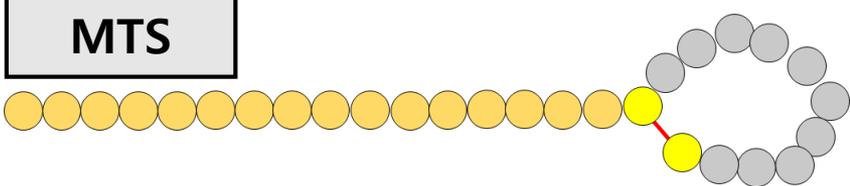
면역세포 파괴, 주요장기 파괴, 다발성 장기부전, **중증패혈증에 의한 사망**

5. 사이토카인폭풍 억제 중증패혈증 치료신약 iCP-NI

CP-NI

1세대 세포막 투과 펩타이드

MTS



1998년 개발 시작

목표

바이오 웨폰 & 바이오 테러 대비
바이오 디펜스 제제

테러현장 / 전장에서 단기 투여로
생명을 살릴 수 있는 긴급의약품으로 개발

효율 ↑

효능 ↑

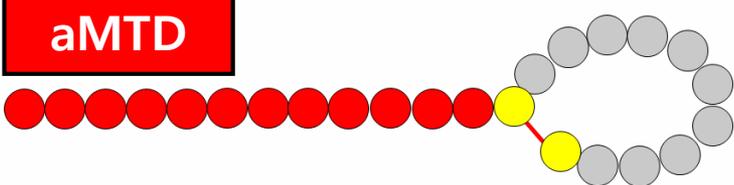
생산성 ↑

대폭 향상 ↑

iCP-NI

3세대 세포막 투과 펩타이드

aMTD

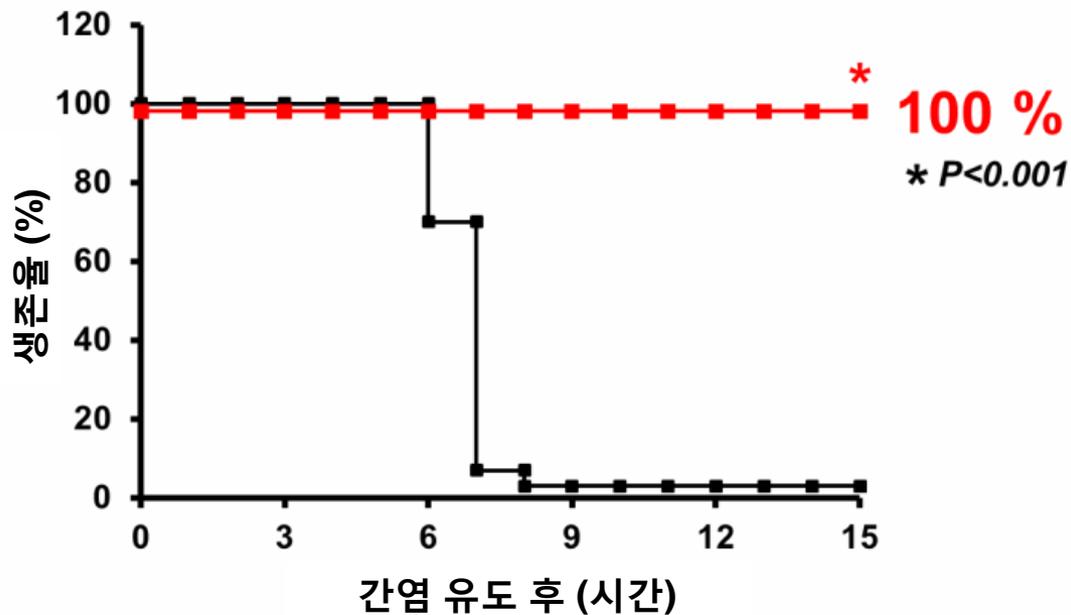


2019년 개발 완료

뛰어난 항염증 신약 입증

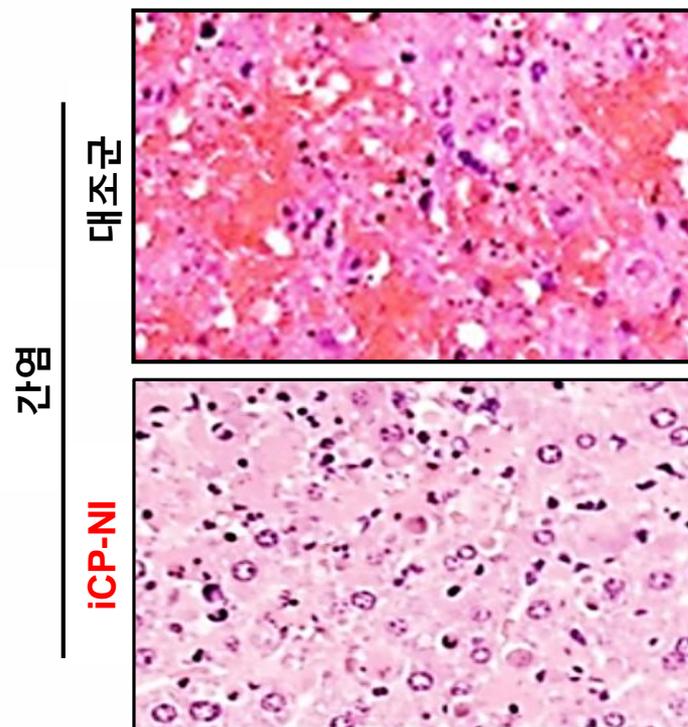
6. iCP-NI의 효능: 병원성 세균 유발 급성간염 동물모델

생존율 증가
(Increased Survival Rate)



■ 대조군 (n=110)
■ iCP-NI (n=133)

주요장기 보호
(Anti-Inflammatory Effect)

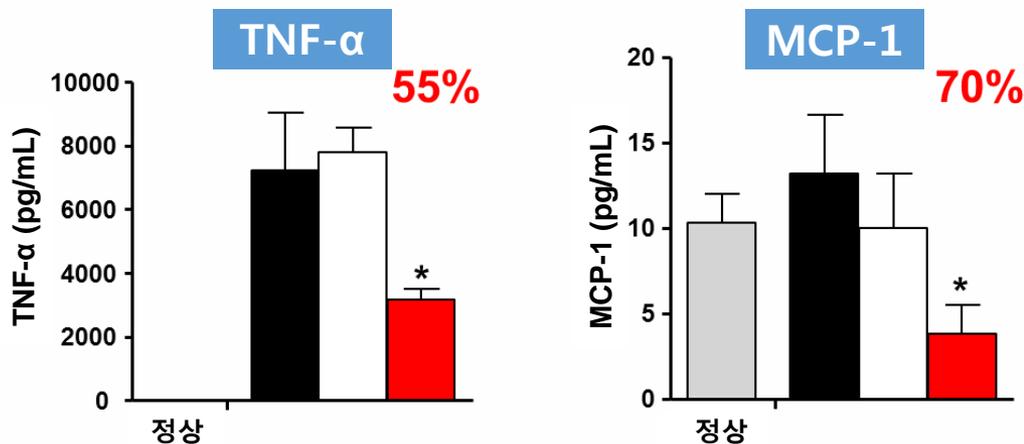


7. iCP-NI의 효능: 병원성 세균 유발 급성폐렴 동물모델

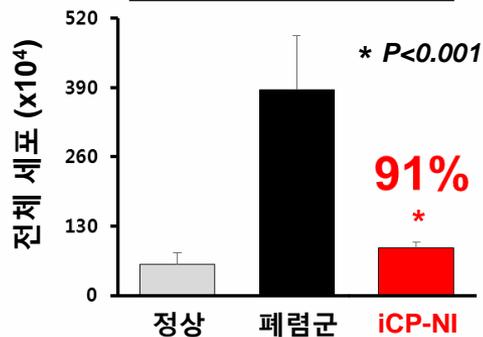
**사이토카인폭풍 억제
(Cytokine-Storm Suppression)**

**폐 조직 보호
(Lung Tissue Protection)**

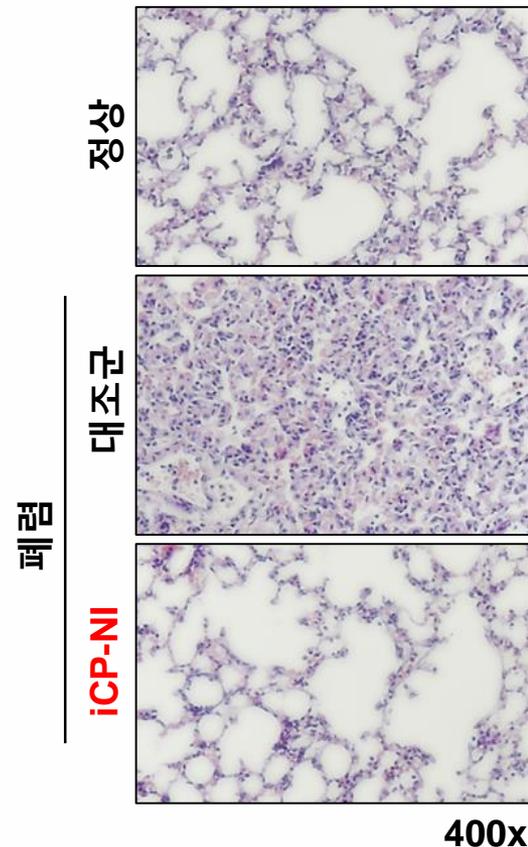
폐 내부 사이토카인 * $P < 0.05$



폐 내부 염증세포 수



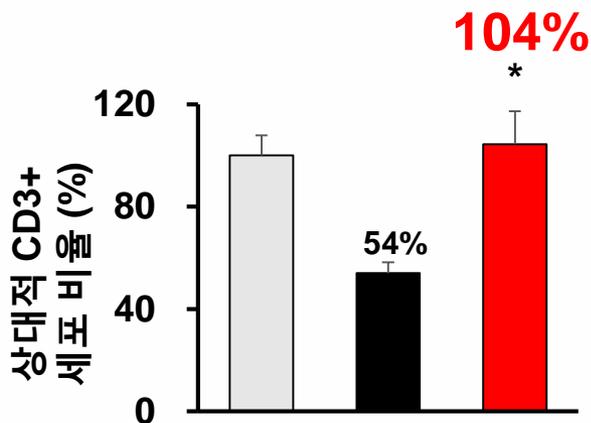
세균성 폐렴



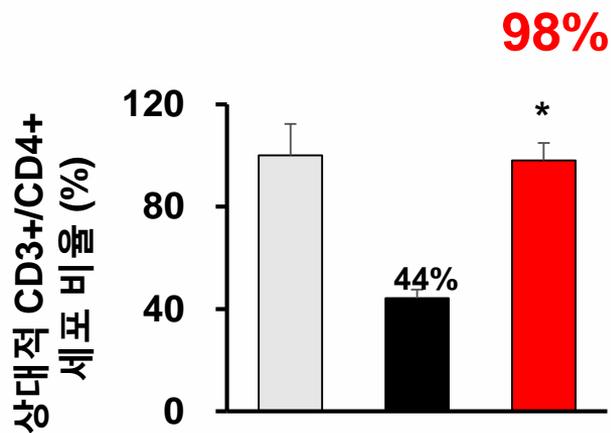
8. iCP-NI의 효능: 병원성 세균 유발 급성폐렴 동물모델

면역세포 보호 (Immune Cell Protection)

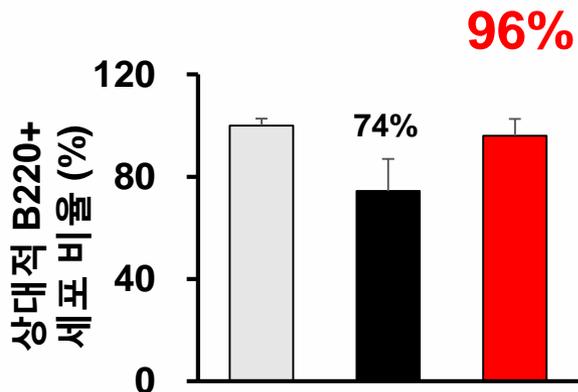
전체 T 세포



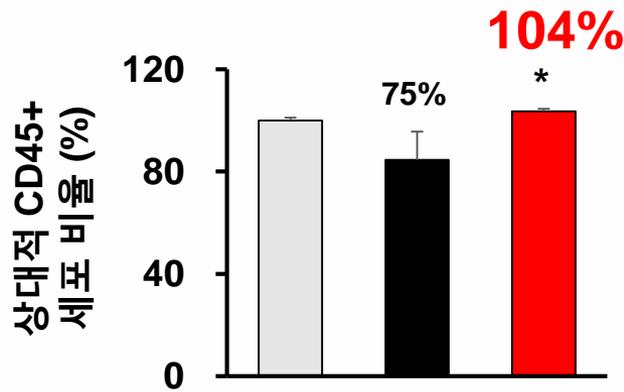
CD4+ T 세포



전체 B 세포



대식세포



- 대조군 (n=2)
- 폐렴군 (n=4)
- iCP-NI (n=4)

*p<0.05

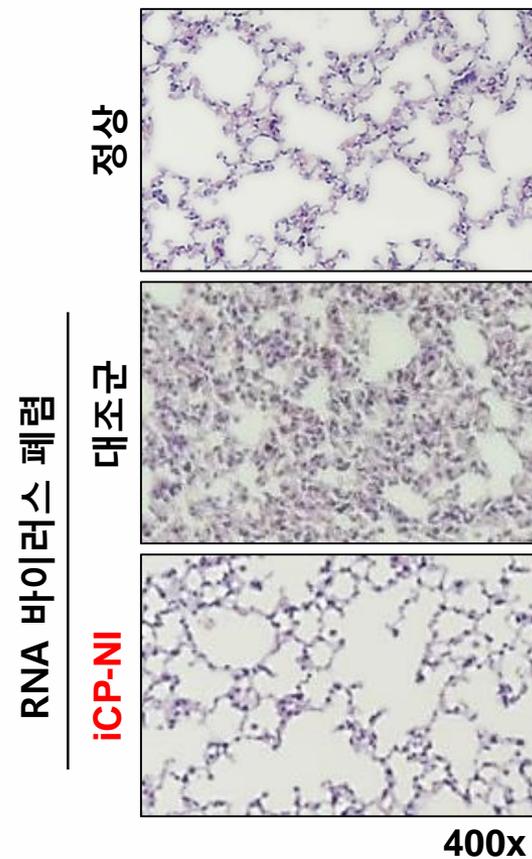
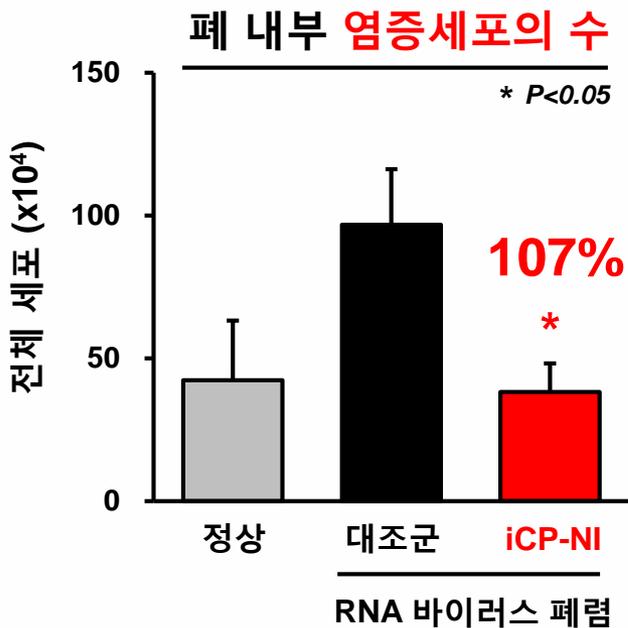
폐렴 모델

폐렴 유도 2 시간 후
분리한 비장세포

9. iCP-NI의 효능: RNA 바이러스 유발 급성폐렴 동물모델

**염증세포 수 감소
(Reduced Inflammatory Cells)**

**폐 조직 보호
(Lung Tissue Protection)**

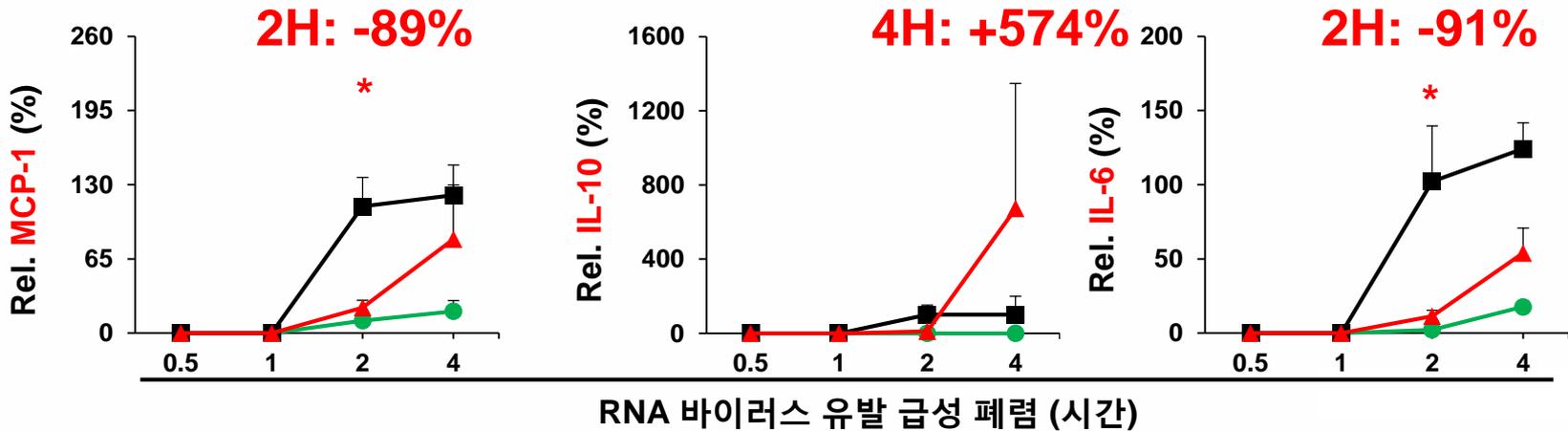
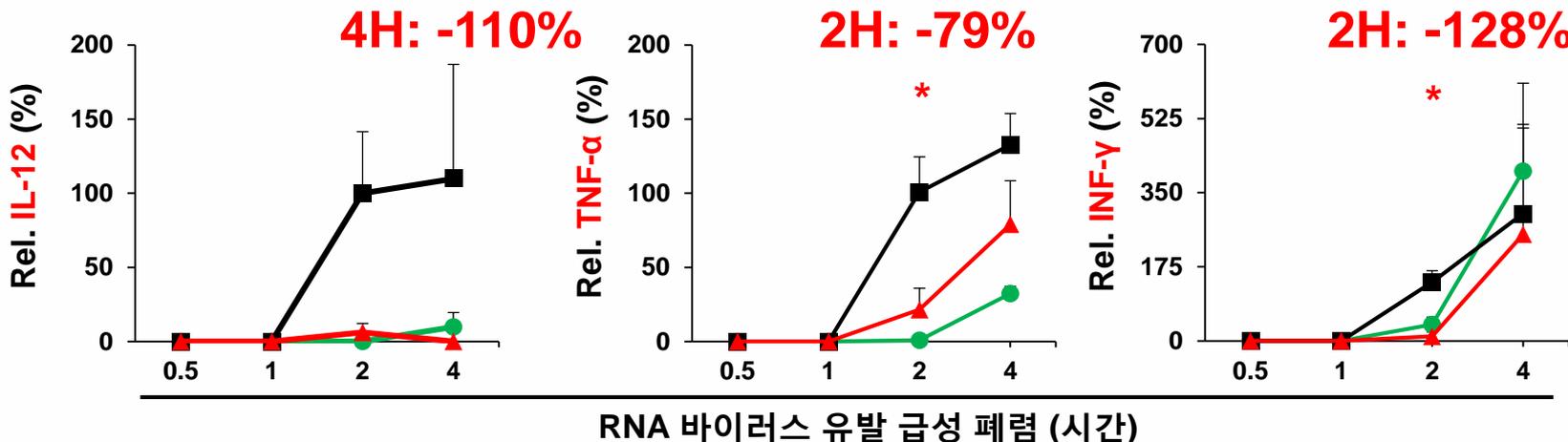


10. iCP-NI의 효능: RNA 바이러스 유발 급성폐렴 동물모델

사이토카인폭풍 억제 (Suppression of Cytokine-Storm)

- 정상 (n=10)
- 대조군 (n=10)
- ▲ iCP-NI (n=8)

* P<0.05



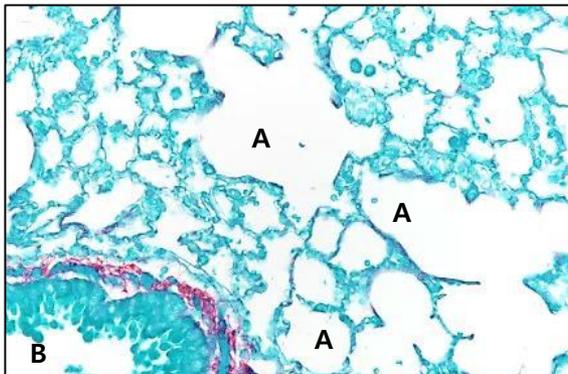
11. iCP-NI의 효능: RNA 바이러스 유발 급성폐렴 동물모델

폐 섬유화 억제 (Suppression Of Pulmonary Fibrosis)

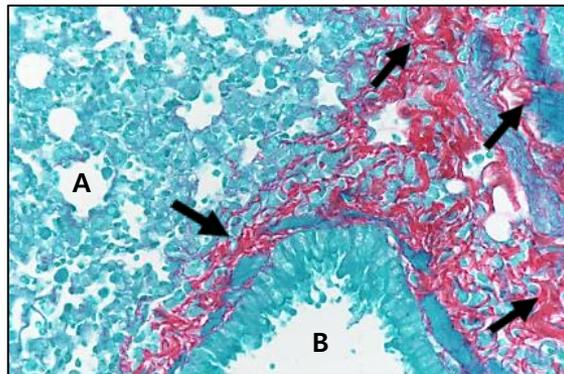
폐렴 유도 15일 후

Sirius Red

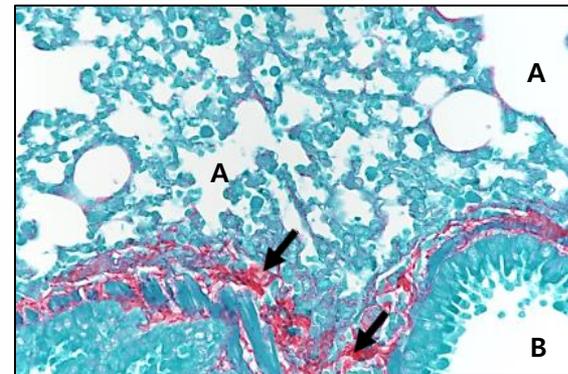
정상



대조군



iCP-NI



빨간색: 콜라겐 하늘색: 세포질 및 조직

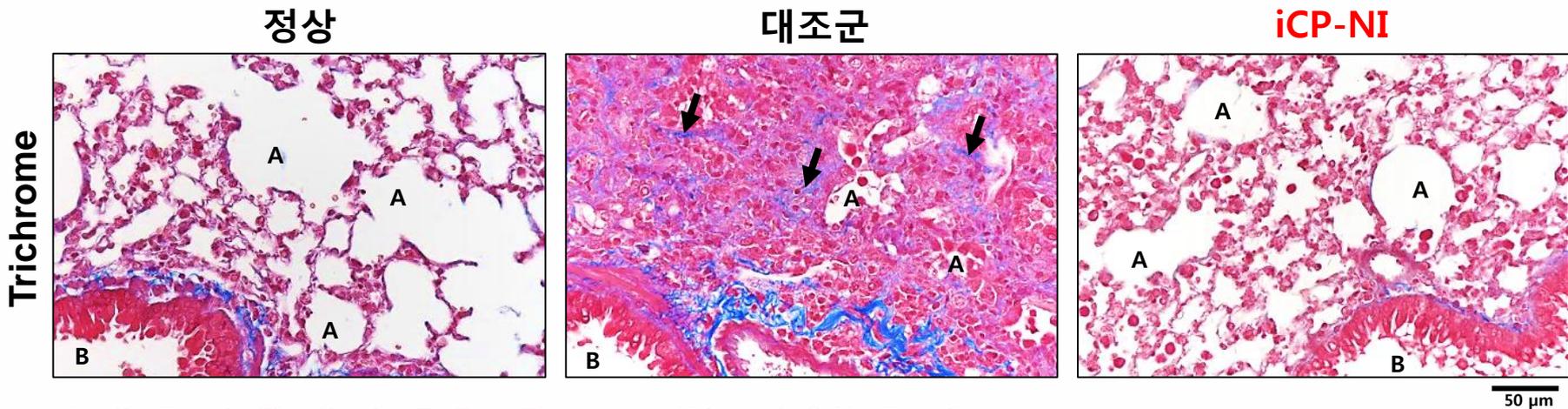
화살표: 섬유화 (콜라겐)

- 정상 (n=5)
- 대조군 (n=5)
- iCP-NI (n=5)

12. iCP-NI의 효능: 약물 (항암제) 유발 폐 섬유화 동물모델

폐 섬유화 억제 (Suppression Of Pulmonary Fibrosis)

폐 섬유화 유도 15일 후



파란색: 콜라겐 빨간색: 세포질 및 조직

화살표: 섬유화 (콜라겐)

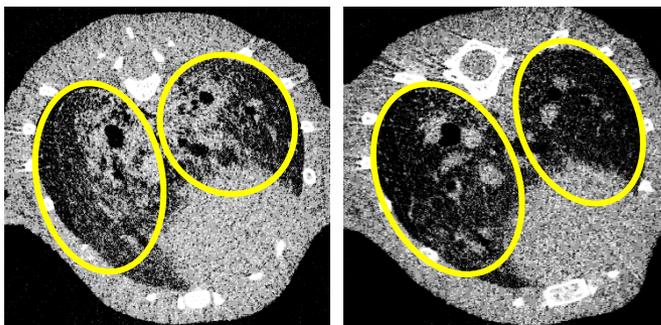
- 정상 (n=5)
- 대조군 (n=7)
- iCP-NI (n=5)

13. iCP-NI의 효능: 약물 (항암제) 유발 폐 섬유화 동물모델

폐 섬유화 유도 15일 후

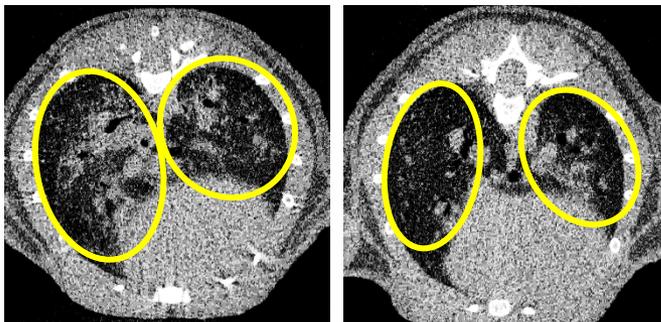
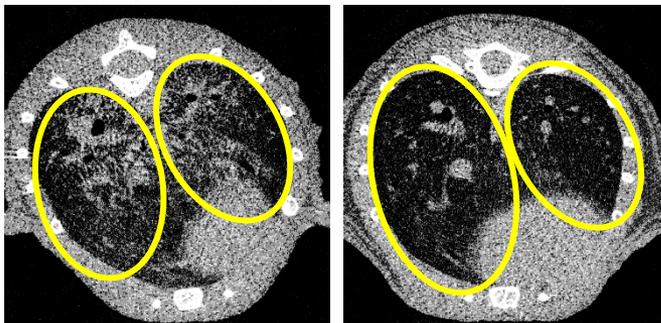
대조군

iCP-NI



정상

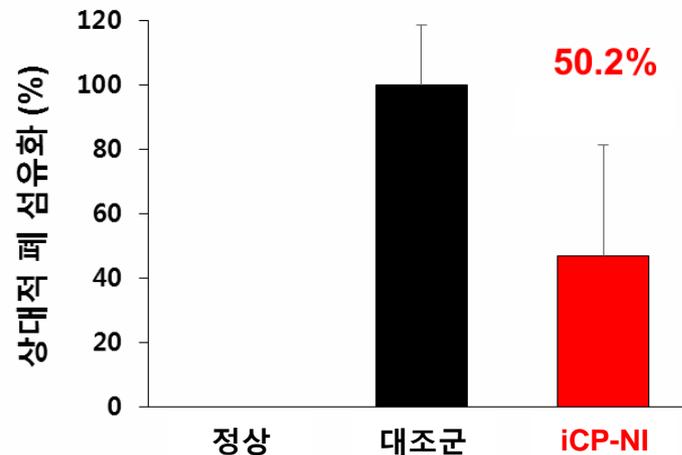
Lung



폐 섬유화 억제
(Suppression Of Pulmonary Fibrosis)

- 정상 (n=5)
- 대조군 (n=7)
- iCP-NI (n=5)

$p=0.1191$



폐 섬유화 유도 15일 후

14. iCP-NI 비임상 & 임상시험 계획



CONFIDENTIAL

15. iCP-NI 영장류 효능평가 시험: Southern Research



CONFIDENTIAL

16. COVID-19 환자투여시까지 개발 스케줄



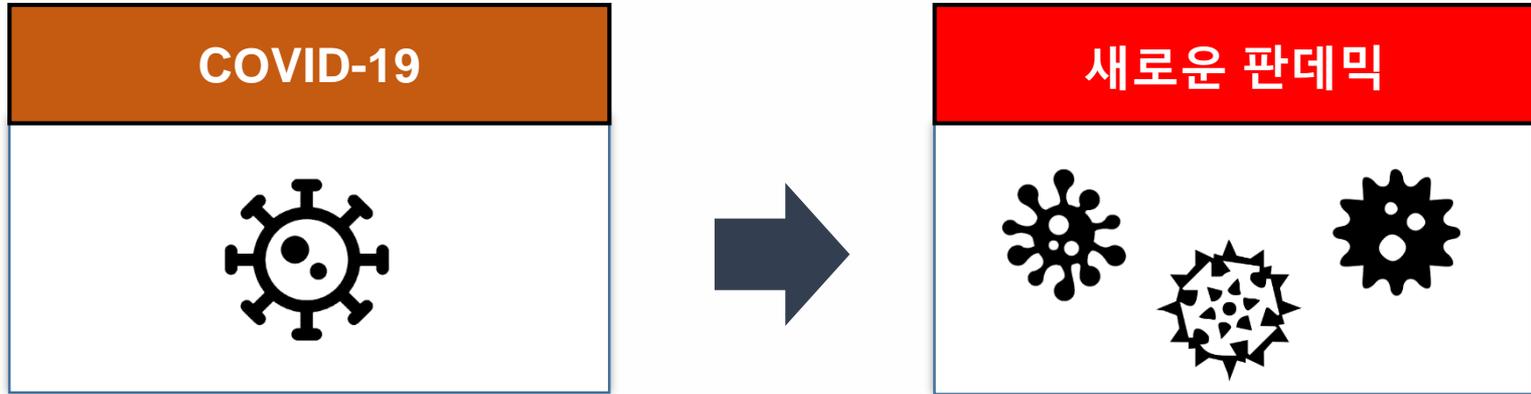
CONFIDENTIAL

17. iCP-NI 임상시험 & 치료목적사용승인



CONFIDENTIAL

18. iCP-NI의 사업적 가치



COVID-19를 포함한 모든 바이러스는 지속적으로 변이 (mutation) 하기 때문에, 주기적으로 새로운 신종 및 변종 바이러스로 인한 판데믹이 발생할 것임

특정 바이러스를 대상으로 개발되는 백신, 항체치료제 및 항바이러스제는 주기적으로 발생하는 판데믹의 근본적이 대처법이 되기엔 개발 시간이 오래 걸림

iCP-NI는 바이러스의 종류와 상관없이 면역반응으로 초래되는 사이토카인폭풍을 억제하기 때문에, 모든 새로운 판데믹 바이러스 감염병의 해결책임

19. COVID-19 치료제 현황 및 iCP-NI

현재, 임상 및 긴급사용승인중인 COVID-19 치료제 후보 대비
 항염증제 (중증패혈증 치료제) **iCP-NI의 적합성**

FDA 임상허가 및 치료목적사용승인 제제

하이드록시클로로퀸: 바이러스 수용체 억제제
 바이엘社 말라리아 치료제

심각한 심장 부작용
COVID-19 치료효과 미미

로피나비르: 바이러스 복제 억제제
 애브비社 HIV 치료제

임상 결과
COVID-19 회복기간 & 사망률 개선 없음

렘데시비르: 바이러스 복제 억제제
 길리어드社 에볼라 치료제

임상 회복기간 31% 감소 (15일 → 11일)
치명률 감소효과 없음, 추가임상 필요

iCP-NI

항염증제: 18 종의 사이토카인 발현 억제제
 (사이토카인폭풍 억제 중증패혈증 치료신약)

COVID-19 직접 사망 요인:
→ 심각한 폐렴 & 사이토카인 폭풍

iCP-NI 효능:
 • 폐 섬유화 억제 • 면역세포 파괴 억제
 • 심장, 간, 비장 등 주요 장기 손상 억제

염증 제어가 ↓ 삶/죽음을 결정

**COVID-19 염증 억제 및
 치명률/치사율 감소**

이 종목의 더 많은 IR정보 [확인하기](#)

IR GO 주주와 기업을 연결하고 응원합니다.