

— 2019 GemVax & KAEL Investor Relations

Confidential

No part of this publication may be reproduced, stored in a retrieval system, or transmitted in any form or by any means—electronic, mechanical, photocopying, recording, or otherwise—without the permission of GemVax. This document provides an outline of a presentation and is incomplete without the accompanying oral commentary and discussion.

적응증 확대 - GV1001®은 오랜 기초 연구를 통해 항암 뿐만 아니라 항염, 항노화 등의 기능이 확인되어 적응증 확대 중

텔로머라제 기능 및 GV1001® 적응증 확대



R&D Pipeline - 췌장암, 전립선비대증, 알츠하이머병

R&D Highlights

Indications	Current Stage	History & Timeline	Market
췌장암	국내 3상 진행 중 환자모집 완료	07 TeloVac 영국 임상 3상 진행 14.09 리아백스® _주 식약처 품목허가 승인 15.03 국내 3상 임상 개시	국내: 1천억원/18천명 글로벌: 2조원
전립선비대증	국내 2상 임상 완료 2018년 3월 국내 2상 결과 유럽학회 (EAU) 발표	15.12 국내 2상 임상시험 IND 승인 17.05 국내 2상 임상시험 완료 19.1H 국내 3상 임상시험 예정	국내: 2천억원/85만명 글로벌: 2.5조원
알츠하이머병	국내 2상 임상 진행 중 미국 2상 FDA IND 신청 중	16.12 국내 2상 임상시험 IND 승인 17.09 국내 2상 임상시험 개시 19.1H 미국 FDA IND 신청 예정	국내: 2천억원/65만명 글로벌: 5조원/840만명

출처: Globaldata, IMS data, 건강보험심사평가원

— 취장암

01/ 취장암

02/ 응급임상

췌장암

췌장암 국내 3상 임상시험

연구 제목	<ul style="list-style-type: none"> 국소진행성 및 전이성 췌장암 환자를 대상으로 gemcitabine/capecitabine 투여 대비 gemcitabine/capecitabine 과 병용투여한 GV1001® 의 유효성 및 안전성을 평가하기 위한 전향적, 무작위 배정, 공개, 다기관, 평행설계, 제 3상 임상시험
대조군 시험군 시험방법	<ul style="list-style-type: none"> 대조군: gemcitabine/capecitabine 투여 시험군: GV1001® 0.56mg 피내 투여 + gemcitabine/capecitabine GV1001™ 투여 전 면역보조제 Leukine® (sargramostim, rhGM-CSF) 0.15mL (75mcg)를 하복부에 피내 주사 첫째 주는 주 3회(1,3,5) 투여하고, 2,3,4,6주 째에 각 1회 (8,15,22,36일 째), 이후 4주마다 1회 투여. 매 회 같은 위치에 투여 1차 평가변수: 전체 생존기간(OS) 2차 평가변수: 종양진행까지 시간, 반응률 등
병원 및 대상자 수	<ul style="list-style-type: none"> 연세대학교 세브란스 병원 포함 총 16개 병원. 148명(대조군 74, 시험군 74). 현재 환자모집 완료
임상시험 기간	<ul style="list-style-type: none"> 2015. 05 - 2019. 11(54개월), 2015.11.06 1st Patient In.

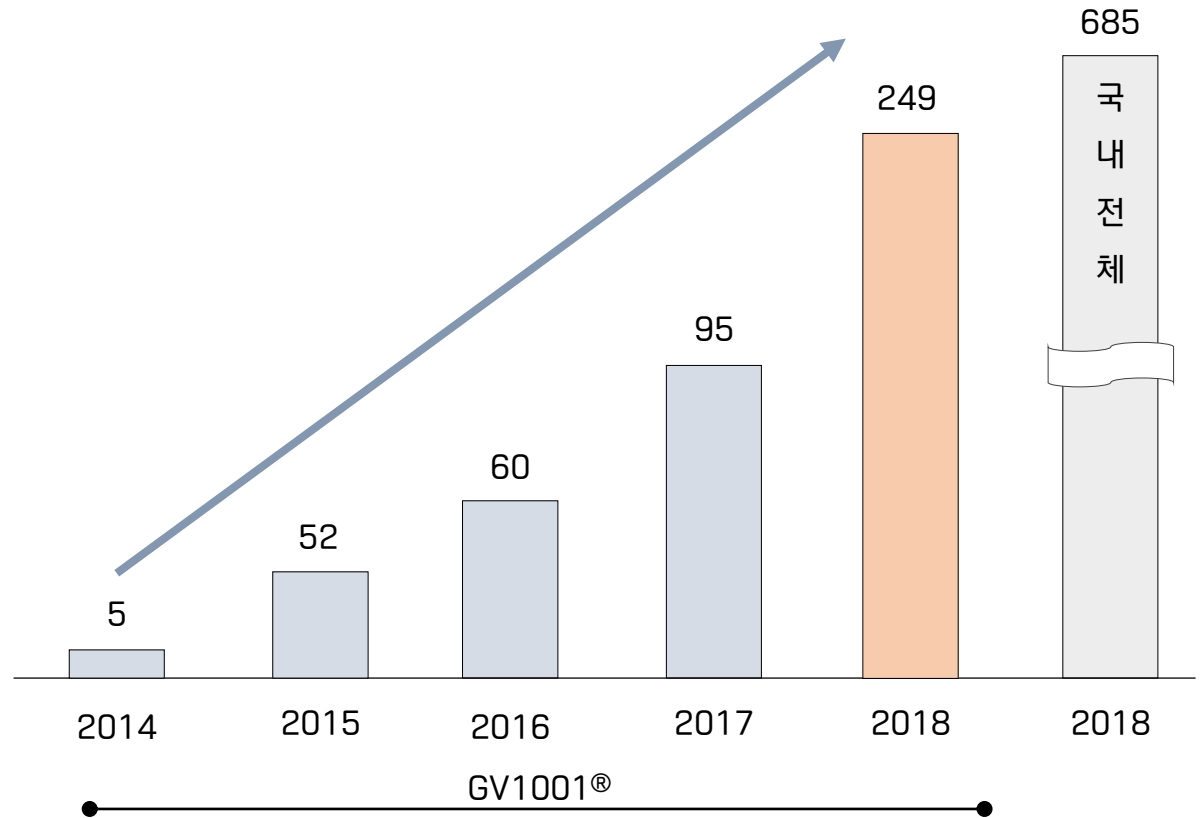
응급임상 - GV1001® 응급임상 건수는 2014년 5건을 시작으로 2018년 연간 기준 249건으로 급증 추세

GV1001® 응급임상

응급임상

- 말기 암 등으로 생명이 위급하거나 다른 치료방법이 없는 환자에게 치료기회를 제공하기 위해 원칙적으로 임상시험용으로 사용할 수 있는 의약품의 품목 허가를 받기 전에 사용할 수 있도록 승인하는 제도
- 출처: 식약처 온라인의약품도서관 > 임상시험승인정보 > 치료목적 사용승인현황. <http://drug.mfds.go.kr>
- 사이트에 공개된 자료는 2016년 1월 1일 이후 승인된 현황이며, 2017년 12월 13일 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 개정으로 기존 '응급상황 사용 승인 신청'이 '치료목적 사용승인'으로 통합

GV1001® 응급임상 적용 건수 추세



* 출처: 식약처 온라인의약품도서관

응급임상 - GV1001® 응급임상 건수는 2014~ 2018 누적 461건 기록

GV1001® 응급임상 기관별 적응증별 현황 (2018년 연간 누적)

#	신청인(의료기관)	2018년		합계
		사용승인	변경승인	
1	건양대학교병원	106 명	20	126 명
2	연세대학교의과대학세브란스병원	46 명	12	58 명
3	의료법인 삼성의료재단 강북삼성병원	12 명		12 명
4	삼성서울병원	11 명	2	13 명
5	화순전남대학교병원	10 명	2	12 명
6	연세대학교의과대학 강남세브란스병원	3 명	1	4 명
7	서울대학교병원	3 명		3 명
8	인하대학교의과대학부속병원	2 명		2 명
9	인제대학교 해운대백병원	2 명		2 명
10	연세대학교 원주세브란스기독병원	2 명		2 명
11	국립암센터	3 명		3 명
12	한림대학교성심병원	1 명		1 명
13	질곡경북대학교병원	1 명		1 명
14	충남대학교병원 소화기내과	1 명		1 명
15	충남대학교병원	1 명		1 명
16	전북대학교병원	1 명		1 명
17	이화여자대학교의과대학부속동명병원	1 명		1 명
18	의료법인중앙의료재단중앙병원	1 명		1 명
19	순천향대학교 부천병원	1 명		1 명
20	부산대학교병원	1 명		1 명
21	박혜의원	1 명	1	2 명
22	CHA의과대학고분당차병원	1 명		1 명
	합계	211 명	38	249 명

#	질환구분	건 수		합 계
		사용승인	변경승인	
1	췌장암	94	16	110
2	유방암	56	12	68
3	간내담관암	12		12
4	바터팬대부암 / 총담관암	6	2	8
5	침샘암	5	2	7
6	위암	5	1	6
7	결장암 / 대장암	4		4
8	육종	3		3
9	자궁암 / 난소암	6		6
10	직장암	2		2
11	신장암	2	2	4
12	머리악성종양 / 두경부암	2		2
13	알츠하이머	2		2
14	폐암	4		4
15	코의악성종양	1		1
16	소세포폐암	1		1
17	식도암	1	1	2
18	요관암	1		1
19	갑상선암	1		1
20	골육종	1		1
21	신장암	1		1
22	특발성폐섬유증	1	1	2
-	기타		1	1
	합 계	211	38	249

* 출처: 식약처 온라인의약도서관

전립선비대증

01/ 전립선비대증

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

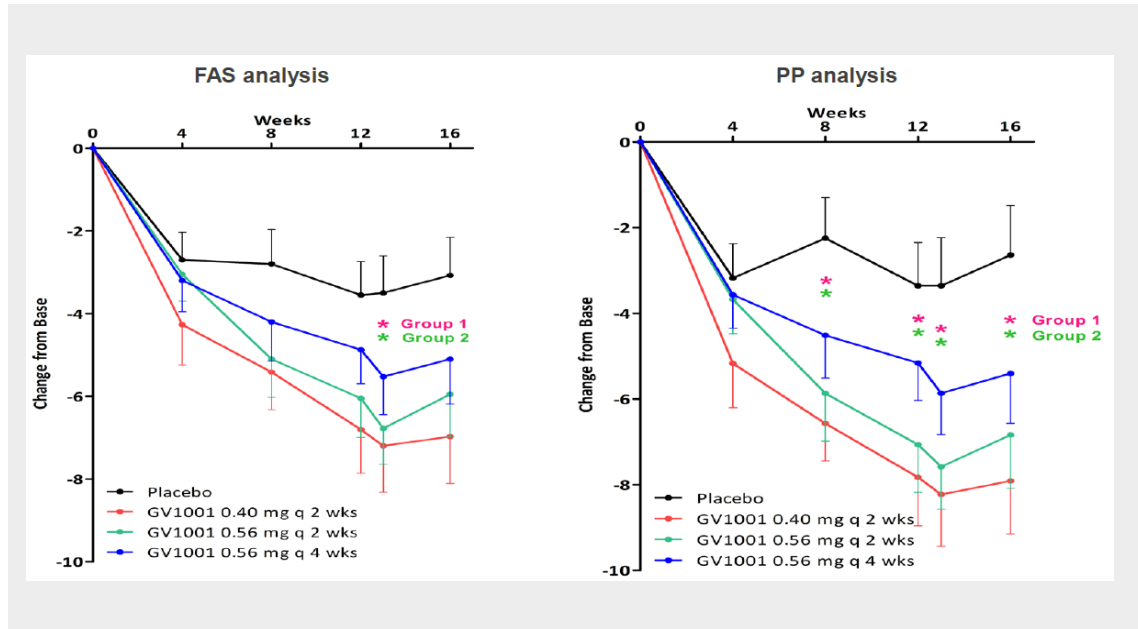
전립선비대증 2상 임상시험 개요

<p>연구 제목</p>	<ul style="list-style-type: none"> 양성전립선비대증(BPH) 환자에게 GV1001®의 유효성 및 안전성을 평가하기 위한 무작위배정, 위약대조, 단일눈가림, 평행설계, 다기관, 2상 임상시험
<p>대조군 시험군 시험방법</p>	<ul style="list-style-type: none"> 대조군: 생리식염수 시험군 1: GV1001® 0.4mg 2주 간격 피내 주사 시험군 2: GV1001® 0.56mg 2주 간격 피내 주사 시험군 3: GV1001® 0.56mg 4주 간격 피내 주사 1차 평가변수: IPSS (국제전립선증상지수) 2차 평가변수: 전립선용적(TRUS), 잔뇨량, 최대요속(Q_{max}), 발기능지수(IIEF), 전립선 특이항원(PSA) 변화량 등
<p>병원 및 대상자 수</p>	<ul style="list-style-type: none"> 동국대 경주병원 포함 8개 병원 161명 대상
<p>임상시험 기간</p>	<ul style="list-style-type: none"> 2015. 10 ~ 2016. 11

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

전립선비대증 2상 임상시험 결과

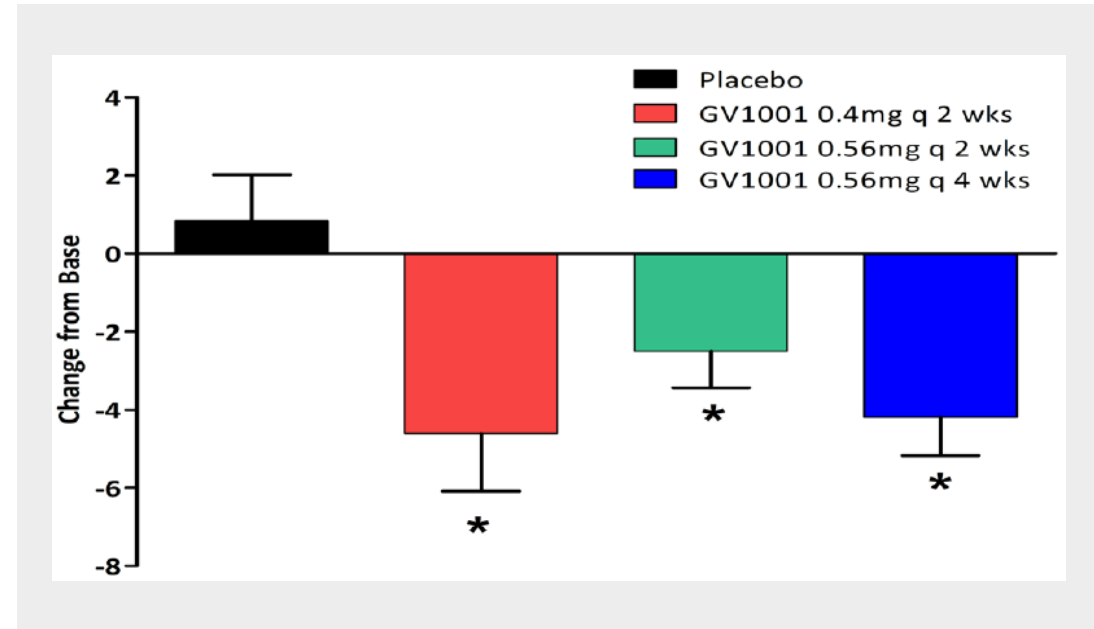
IPSS



- 위약군 대비 3가지 GV1001® 투여군 모두 IPSS 점수 호전을 보임
- 특히 GV1001® 투여 Group1과 2에서는 위약군 대비 통계적 유의성 확인

IPSS: International Prostate Symptom Score. 국제전립선증상지수

Volume of Prostate gland by TRUS



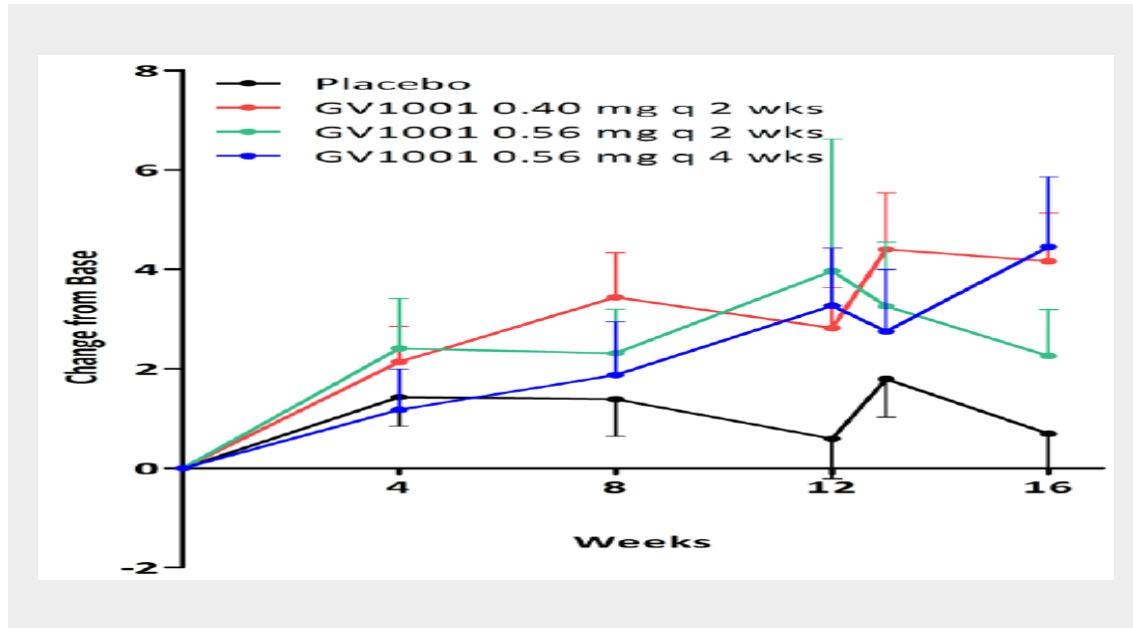
- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 통계적으로 유의한 전립선 용적 감소 확인

TRUS: Transrectal Ultrasonography. 직장경유초음파촬영술

전립선비대증 - 국내 2상 임상시험을 통해 증상호전과 안전성을 확인. 19 하반기 국내 3상 진행 예정

전립선비대증 2상 임상시험 결과

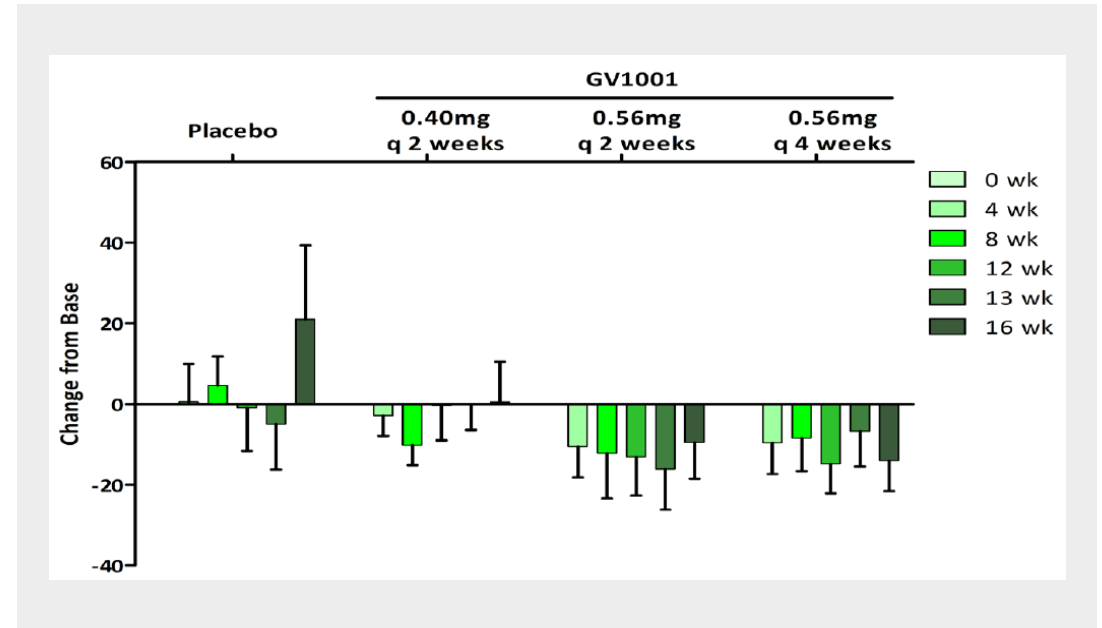
Q_{max} (Maximum Flow Rate)



- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 최고 요속의 증가를 보임

Q_{max} : Maximum Flow Rate. 최고 요속

Residual Urine Volume



- 위약군 대비 GV1001® 투여 3개 시험군 모두 잔뇨량의 감소를 보임

Residual Urine Volume: 잔뇨량

전립선비대증 - GV1001[®] 기존 치료제 대비 동등 이상의 효과. 특히 부작용 측면에서 강점 보유

GV1001[®] Competitiveness

구분	알파차단제	5 α -환원효소 억제제	GV1001 [®]
기전	알파수용체 차단	5 α -환원효소 억제	호르몬조절 항염 및 항산화 작용
장점	증상완화가 비교적 빠름	전립선 크기 감소	증상호전 전립선 크기 감소
단점	전립선 크기를 줄이지 못함	최소 6개월 복용 필요	주사제(?)
부작용	어지러움, 혈압저하	성기능 장애	거의 없음

전립선비대증 - 국내 2상 임상 결과 2018년 5월 Nature Reviews Urology 게재

학회, 논문 발표, 특허출원, 추가임상

<p>학회발표</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 2017.10. 아시아태평양 전립선 학회(Asia Pacific Prostate Society) Oral Speech. 이경섭 교수 • 2018.03. 유럽전립선학회(EAU: European Association of Urology) Oral Speech. 이경섭 교수
<p>논문발표</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 2018.04. British Journal of Urology 논문 게재. 이경섭 교수 • 2018.05. Nature Reviews Urology 게재. Review 논문 • 2018.06. International Journal of molecular medicine 게재. 김형식 교수 • 2018.11. Endocrine-Related Cancer 논문 게재. 강건욱 교수
<p>특허출원</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 한국: 등록번호 10-1691479. 2016.12.26 등록. 전립선비대증 치료 및 예방용 조성물 • 미국: 등록번호 9,572,858. 2017.02.21. 등록. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 호주: 등록번호 2014337805. 2018.06.28 등록. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 캐나다: 등록번호 2926183. 2018.07.03 Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 러시아: 등록번호 2016113055 2018.08.17 Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 일본: 등록번호 6382972. 2018.08.10. Composition for treating and preventing benign prostatic hyperplasia • 중국, 유럽, 인도, 말레이시아, 브라질, 홍콩 등에 출원완료 후 등록 심사 중
<p>추가임상</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 국내 3상 임상시험 2019년 하반기 시작 예정 • 국외(일본) 2상 임상시험 타당성 검토 중

—
알츠하이머병

01 / 알츠하이머병



알츠하이머병 - GV1001[®]의 세포모델 및 동물모델 기반의 기초 연구를 통해 알츠하이머병 치료를 위한 가능성 확인

알츠하이머병 GV1001[®] MOA 기초 연구

세포 모델

- 아밀로이드 베타에 의해 유도되는 뇌세포 사멸 감소
- 아밀로이드 베타에 의해 생성되는 활성산소의 수준 저하
- 아밀로이드 베타에 의한 신경줄기세포 증식능력의 손상 보호
- 아밀로이드 베타에 의한 신경세포의 세포자멸사를 다양한 기전을 통해 효과적으로 억제

동물 모델

- 알츠하이머병 원인의 하나인 아밀로이드 베타의 양을 현저히 감소시킴
- 타우 단백질의 비정상적인 변화로 인한 neurofibrillary tangle의 형성을 억제
- 성상교세포(astrocyte)의 활성화에 따른 astrogliosis를 저해함과 동시에 신경세포재생(neurogenesis) 촉진

뇌기능의 회복 및 재활에 큰 역할을 할 수 있을 것을 시사
 다양한 작용 기전을 갖는 새로운 개념의 알츠하이머병 치료제로서 가능성 확인

알츠하이머병 - 국내 2상 임상시험 진행 중

알츠하이머병 2상 임상시험 개요

연구 제목	<ul style="list-style-type: none"> 알츠하이머병 환자에서 GV1001[®] 0.56 또는 1.12mg/day의 피하 투여 시 질환의 중증도, 질환의 경과 조절 또는 증상 완화를 위한 치료적 임상시험
대조군 시험군 시험방법	<ul style="list-style-type: none"> 대조군: 생리식염수 + Donepezil 시험군 1: GV1001[®] 0.56mg 1주 간격 4회, 이후 2주 간격 10회, 총 14회 피하 투여 + Donepezil 시험군 2: GV1001[®] 1.12mg 1주 간격 4회, 이후 2주 간격 10회, 총 14회 피하 투여 + Donepezil 1차 평가변수: SIB 2차 평가변수: K-MMSE, NPI, GDS, CDR-SOB, CIBIC-Plus 등
병원 및 대상자 수	<ul style="list-style-type: none"> 한양대 구리병원 포함 12개 병원 90명 대상
임상시험 기간	<ul style="list-style-type: none"> 2017. 09 ~ 2019. 09.

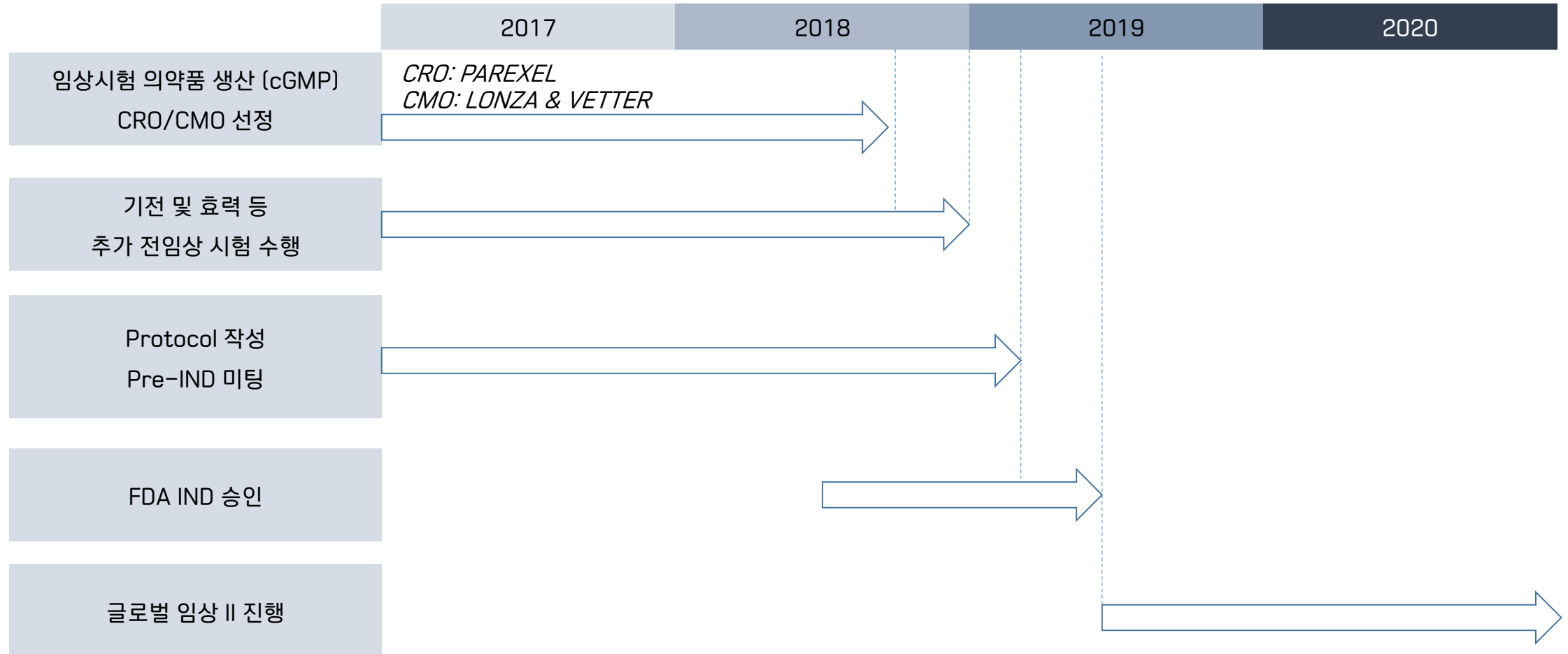
알츠하이머병 - 국책연구 성공적 종료, 미국 및 한국 특허등록 완료

국책연구, 논문 발표, 특허출원

<p>국책연구</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 2017.02 ~2018.01 범부처 전주기 신약개발사업. 조기 종료 및 차기 단계 진입 준비 중 • 2017.01 보건복지부 보건의료기술 연구개발사업 신청
<p>논문발표</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 2014 Neurobiology of Aging 논문 게재. 고성호 교수 • 2016 Neurotoxicology 논문 게재. 고성호 교수
<p>특허출원</p>	<ul style="list-style-type: none"> • 한국: 등록번호 10-1685551 2016.12.06. 중추 또는 말초 신경계 질환의 치료용, 예방용 또는 개선용 조성물 • 미국: 등록번호 9,540,419 2017.01.10 Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 중국: 등록번호 ZL201380036639.9 2018.06.05. Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 대만: 등록번호 I640632 2018.11. Anti-inflammatory peptides and composition comprising the same • 그 외 유럽 등에 출원 완료 후 등록 심사 중

알츠하이머병 - 2019년 미국 2상 임상시험 IND 승인 목표

알츠하이머병 글로벌 2상 임상시험 로드맵



— **Thank you.**

Confidential

No part this publication may be reproduced, stored in a retrieval system, or transmitted in any form or by any means—electronic, mechanical, photocopying, recording, or otherwise—without the permission of GemVax. This document provides an outline of a presentation and is incomplete without the accompanying oral commentary and discussion.

이 종목의 더 많은 IR정보 [확인하기](#)

IR GO 주주와 기업을 연결하고 응원합니다.