

Investor Relations 2026

The Best **Target** The Best **Chemical**



Disclaimer

본 자료는 기관투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 경영현황, 기술력, 사업계획 및 미래 전망 등의 정보 제공을 목적으로 주식회사 파로스아이바이오(이하 “회사”)에 의해 작성되었습니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 “회사”의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 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 “예측정보”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 전략수정 등에 따라 별도의 고지 없이 변경될 수 있으며, “회사”는 달라진 정보를 보완, 보충할 의무를 부담하지 않는다는 것을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용과 관련하여 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 과실 및 기타의 경우 포함하여 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.

본 문서는 주식의 모집 또는 매출, 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.

본 자료에 포함된 재무정보는 한국채택국제회계기준(K-IFRS)에 따라 연결기준으로 작성되었습니다.

본 자료는 비영리 목적으로 내용 변경 없이 사용이 가능하고(단, 출처표시 필수), 회사의 사전 승인 없이 내용이 변경된 자료의 무단 배포 및 복제는 법적인 제재를 받을 수 있음을 유념해 주시기 바랍니다.

Table of Contents

Chapter 1
Company Overview

Chapter 2
Investment Highlight

Chapter 3
Appendix



Company Overview

- Corporate Identity
- 회사개요
- 핵심인력 및 R&D 역량
- 신약개발 핵심 전략 : 성공확률 극대화



Corporate Identity



AI 플랫폼 및 멀티오믹스 빅데이터 기반의 희귀·난치성 질환 치료제 중심 혁신신약 개발 기업



희귀·난치성 질환 치료제 중심 핵심 파이프라인

- 라스모티닙(PHI-101)
(급성 골수성 백혈병, 재발성 난소암)
- PHI-501 (난치성 고형암)
- PHI-301 (난치성 폐암)
- PHI-601 (난치성 혈액암)



신약 개발 성공률 극대화 전략

- 독자적 AI 플랫폼 Chemiverse® 활용
- 희귀·난치성 질환 중심 파이프라인 구축
- 바이오마커 기반 신약 개발
- 오픈 이노베이션



Multi OMICS AI 구축

- 유전체-전사체-단백질체 빅데이터
- 프로테오믹스와 Mass Spectrometry 분석
- 신규 타겟 발굴 역량 구축

Chemiverse® Platform

Discovery AI

DeepAnalyzer AI

Proteomics AI

Automation AI

Company Overview

회사 개요

CEO



윤정혁
대표이사

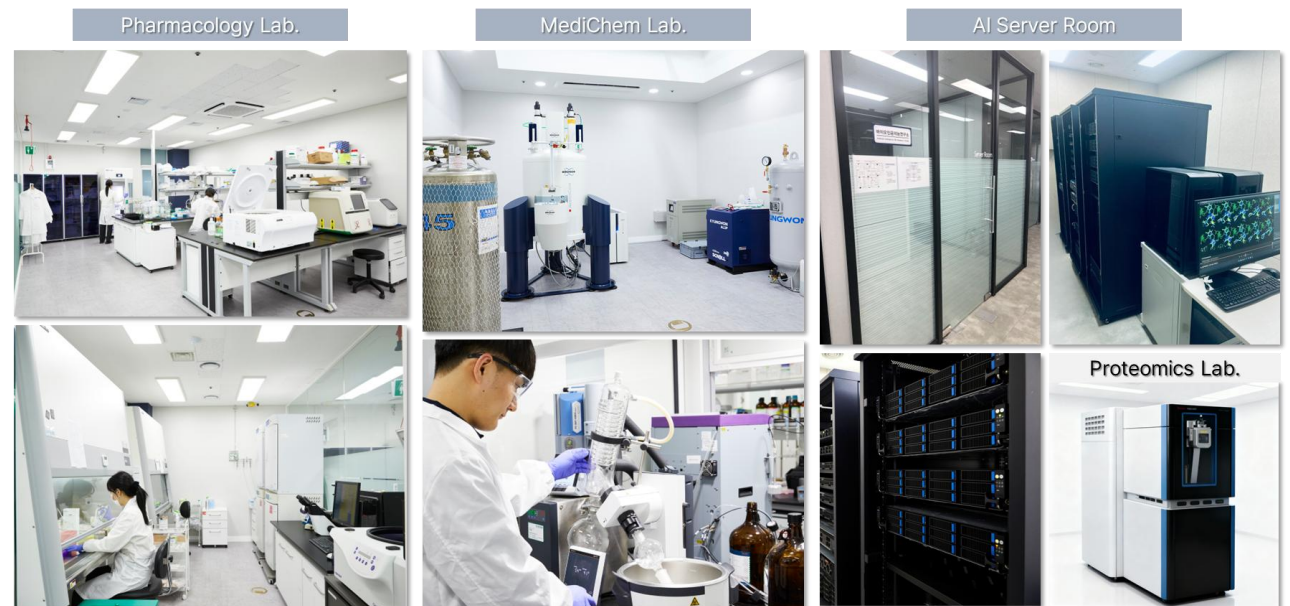
- 연세대학교 화학과
- KAIST 화학과 박사
- KIST Post-Doc.
- 前) 목암생명공학연구소 선임연구원
- 前) 한국MSI 수석연구원(CTO)
- 前) (주)아이디알 연구이사
- 前) 국가과학기술심의회 전문위원
- 前) (주)이큐스앤자루 대표이사(바이오사업 부문 대표, KQ)
- 現) 파로스아이바이오 대표이사

기업 개요

회사명	주식회사 파로스아이바이오
설립일	2016. 04. 19
자본금	64.7억 원 (2025년 9월말 기준)
임직원수	39명 (2025년 9월 말 기준, 해외 자회사 포함)
주요사업	<ul style="list-style-type: none"> 빅데이터·AI 기반 신약개발 플랫폼 구축 및 활용 희귀·난치성 질환 혁신신약 개발
소재지	<ul style="list-style-type: none"> 본사 : 경기도 안양시 만안구 흥안대로 427번길 38 성지스타워드 기업부설연구소 : 서울시 구로구 디지털로 288 대륭포스트타워1차 호주법인 : Merewether Building, The University of Sydney, NSW 2006
홈페이지	http://www.pharosibio.com

주요 연혁

- 2016. 04 회사 설립
- 2019. 12 AI 신약개발 플랫폼 활용 개발 물질 임상 1상 IND 최초 승인
- 2021. 06 시리즈A,B,C 기관투자자 총 415억원 투자유치
- 2023. 07 기술특례 코스닥 상장(공모자금 200억원)
- 2025. 06 Lasmotinib, 급성 골수성 백혈병 임상 1상 완료 및 CSR 수령
PHI-501, 난치성 고형암 임상 1상 IND 승인
- 2025. 12 1차 CB 발행 총 190억원 : DSC인베스트먼트, 컴퍼니케이, 아주IB, 한투파, 한투증권







* Orbitrap Astral Mass Spectrometer

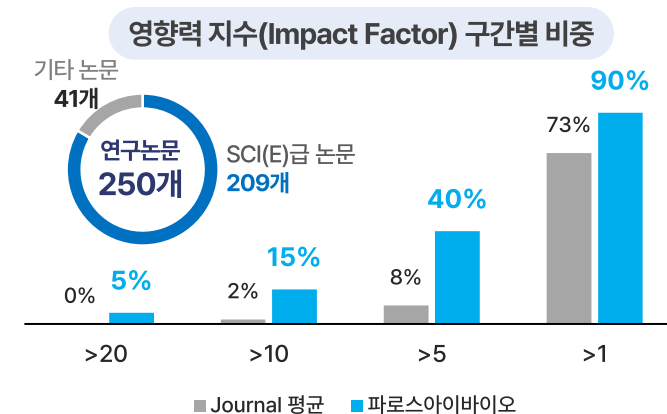
Company Overview

핵심 인력 및 R&D 역량

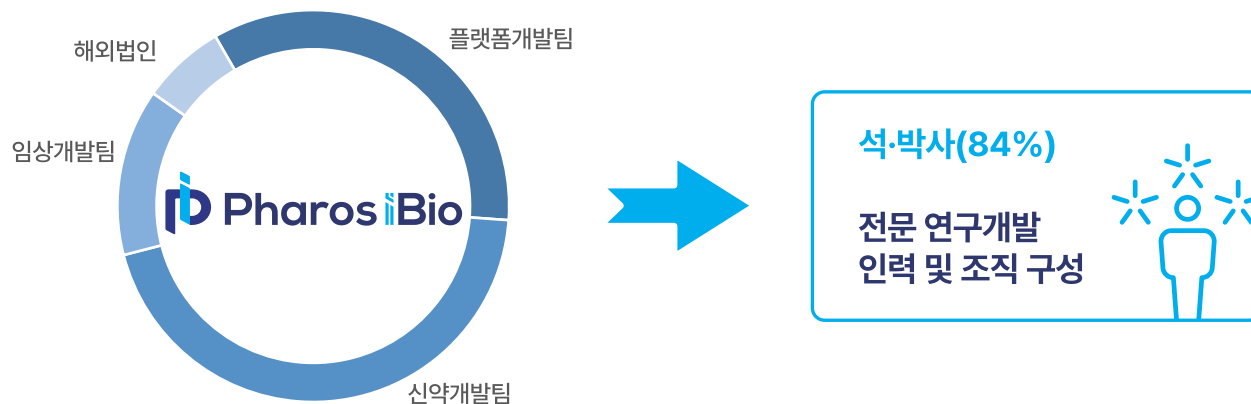
임원진 소개

<p>사장 남기엽 신약개발 총괄</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 전임상-임상 신약개발 및 병원 임상개발 전문가 • 前) 메릴랜드 대학 Post Doc. • 前) 서울아산병원 유효성평가센터 파트장 • 前) 한국화학물은행 자문위원 • 前) 대한화학회 의약화학분과 간사 	<p>CBO 김규태 호주 법인 공동대표</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 국내-글로벌 기술이전 전문가 • 前) 뉴사우스 웨일즈 대학 박사 • 前) 존스홉킨스 Medical School 생화학 Post Doc. • 前) 뉴캐슬 대학(호주) 조교수 • 前) 애플론 CSO / BD&L 디렉터 • 국내외 글로벌 기술이전 7건 성사 주도 	<p>CSO 채종철 최고 과학 책임자</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 인공지능 모델링 전문가 • 前) 삼성디스플레이 그룹장 • - 인공지능 설계 자동화 • 前) 삼성전자 수석연구원 • - CAE Driven 소자 모델링 • 퀀텀 컴퓨팅(QC) 최고 전문가 	<p>CFO 문성원 최고 재무 책임자</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 경영전략 및 투자금융 전문가 • 前) GS건설 기획팀 • 前) (주)벡스톤투자자문 IB본부장 • 前) (주)퍼플인베스트먼트 대표 • 前) SH인베스트먼트 대표
---	--	---	---

연구실적 및 학회 참여



R&D 인력 구성



주요 참여 학회



신약개발 핵심 전략 ... 성공확률의 극대화

파로스아이바이오의 핵심 전략

신약개발의 어려움

10년↑
장기간의 개발 기간

1조 원↑
높은 개발 비용

7.9%
낮은 성공 확률*

* 2011~2020년 후보물질에 대한 임상 1상부터 품목 허가 승인까지의 성공률



신약개발의 난제 극복



효과

개발 기간
min 3년



개발 비용
max 80%



성공확률
avg 2-3배



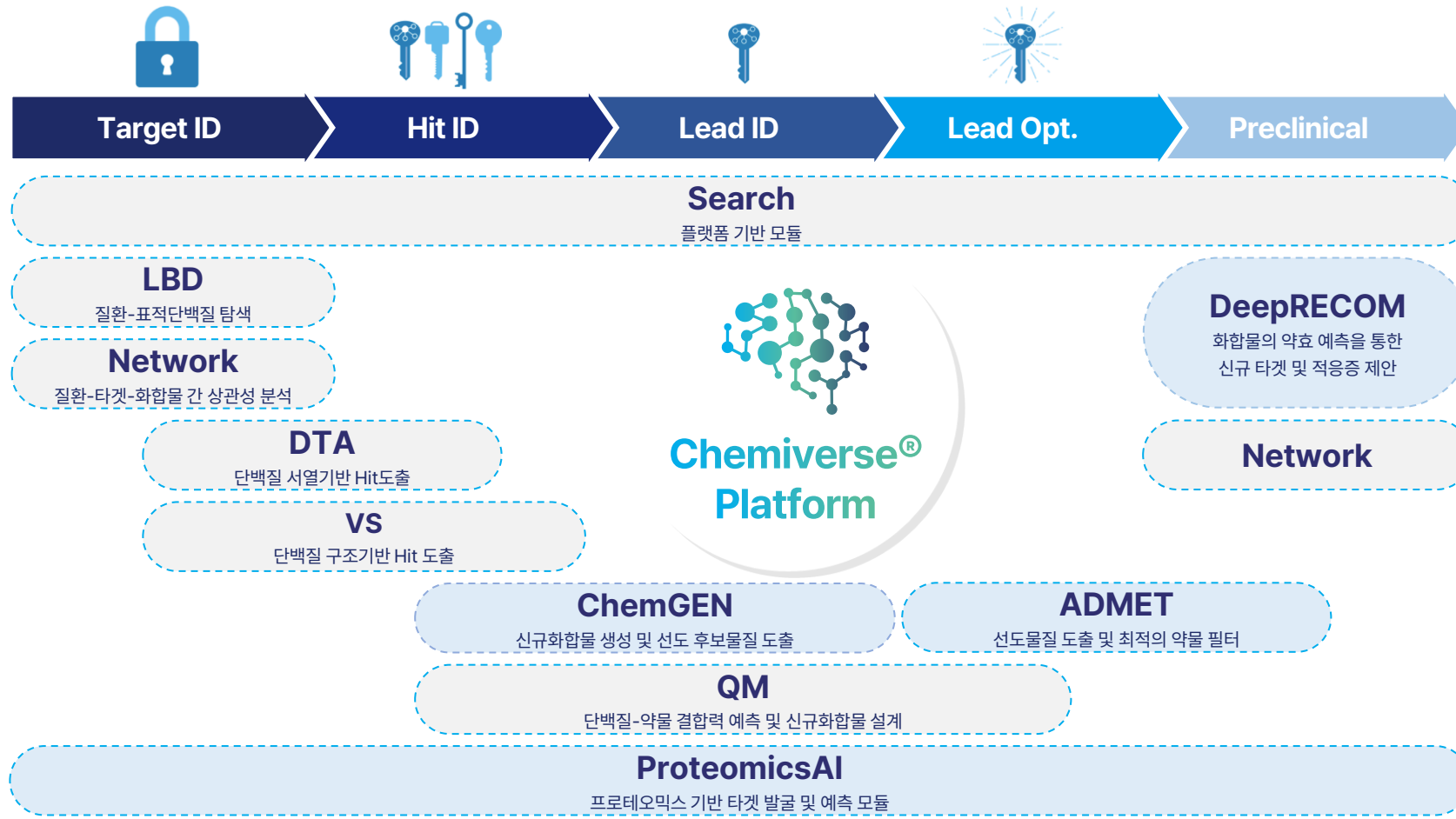
Investment Highlights

- 차별화된 AI 신약개발 플랫폼 구축
- AI Drug Discovery 분야 글로벌 강소기업
- 신약 파이프라인의 확장성
- 우수 임상 데이터 확보
- 기술이전 성과 기대
- 경영 안정성 확보



Investment Highlights

차별화된 AI 신약개발 플랫폼 구축 ... Drug Discovery 전체 프로세스 커버



AI 플랫폼 기반 신약개발 효과

개발 기간
최소 **3년** ↓

개발 비용
최대 **80%** ↓

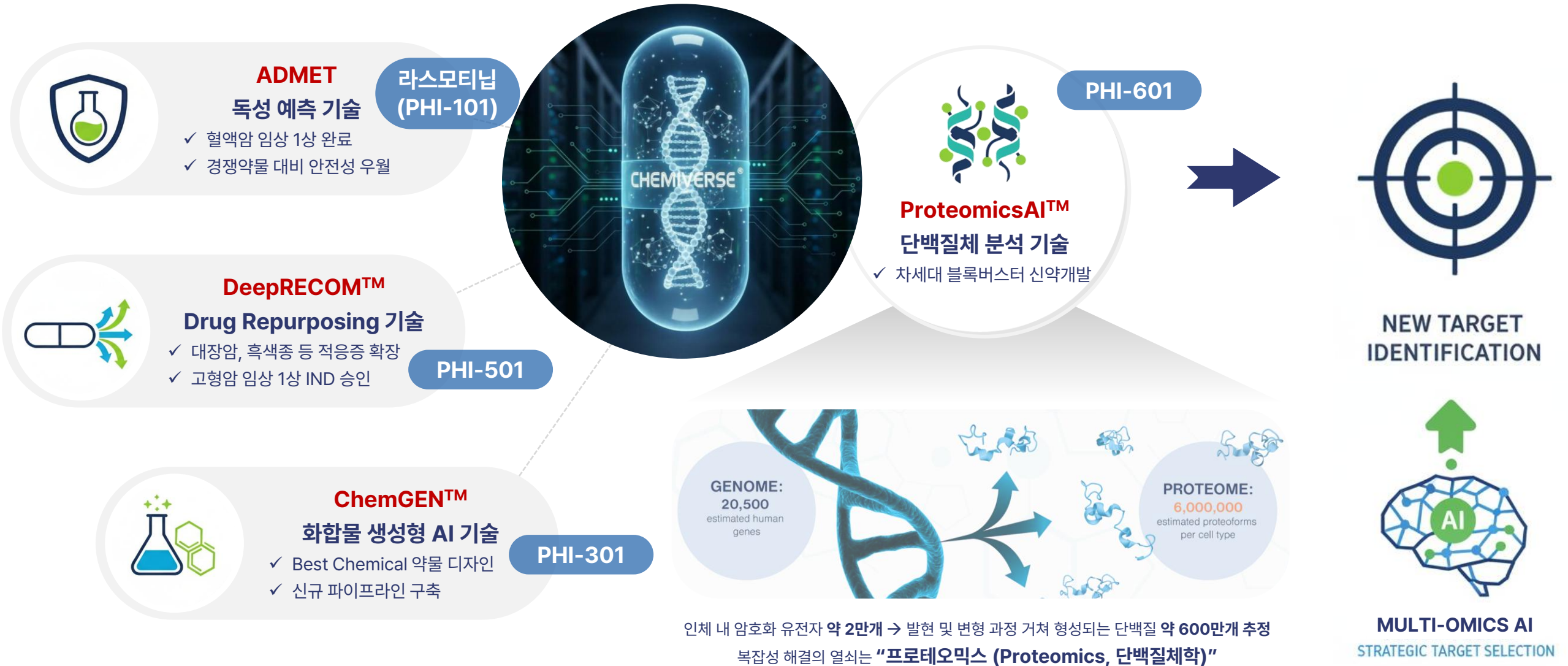
성공확률
평균 **2-3배** ↑

Big Data 기반 독자적 AI 플랫폼 구축

- 가상 스크린용 화합물DB : 101억건
- 생성모델 훈련 데이터 세트 : 11억건
- ADME/T 예측 모델 훈련데이터 세트 : 35만건 @60 types
- 구조 문헌데이터 4,200만건
- 유전체 및 RNAseq 데이터 13만건
- 모델, 환자 샘플 프로테오믹스 데이터 : 약 1만건

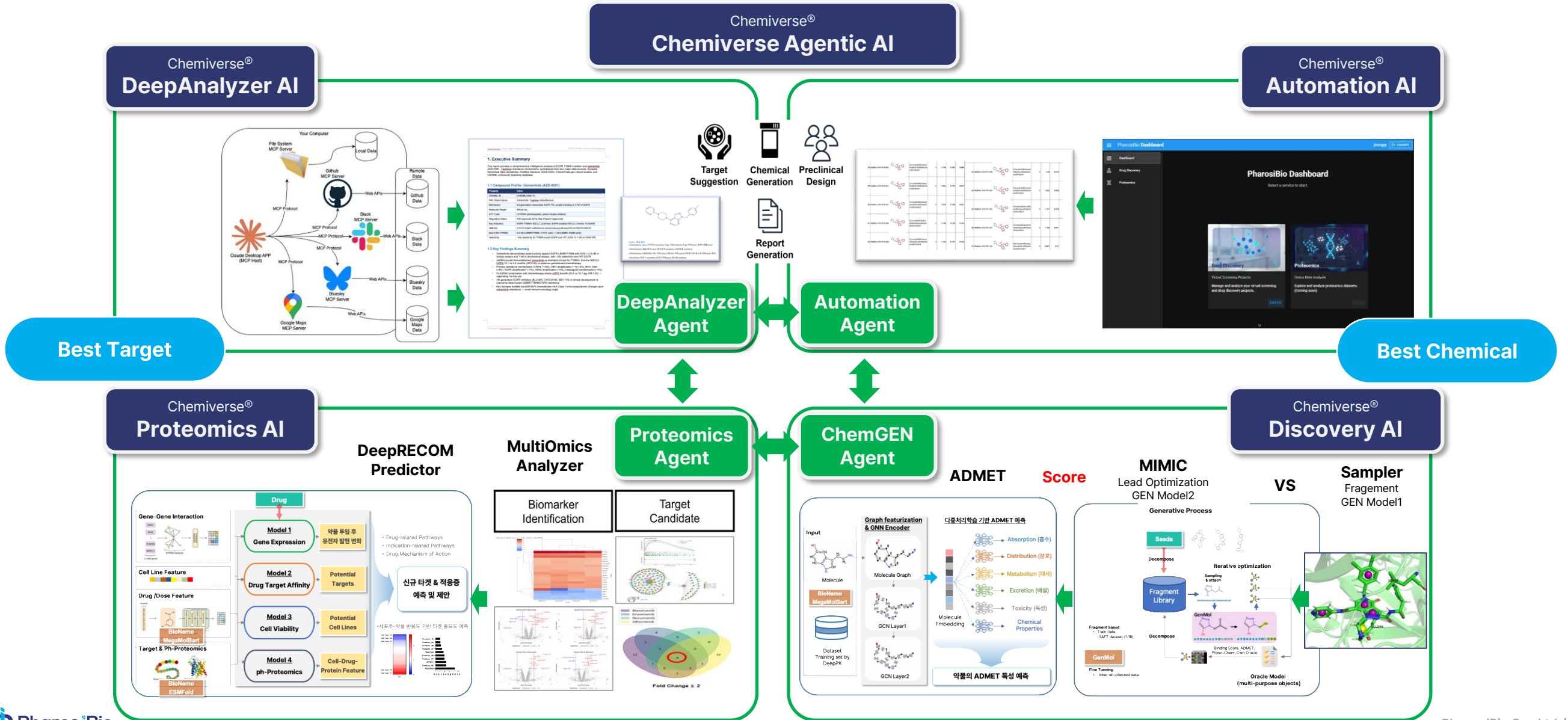
Investment Highlights

차별화된 AI 신약개발 플랫폼 구축 ... "케미버스®"의 핵심 기술 및 성공 사례



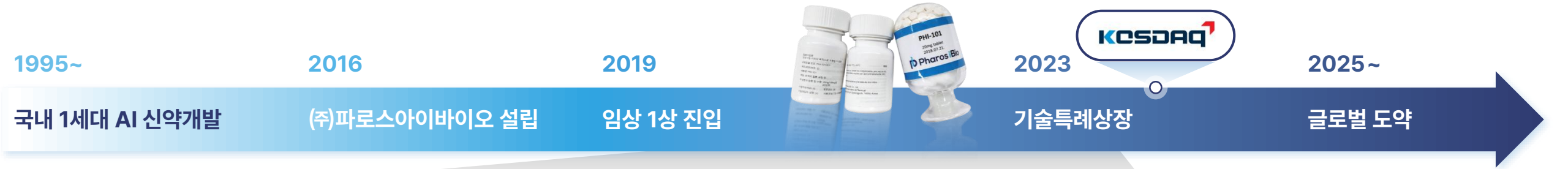
Investment Highlights

차별화된 AI 신약개발 플랫폼 구축 ... "케미버스®"의 진화



Investment Highlights

AI Drug Discovery 분야 글로벌 강소기업



(2022) **nature REVIEWS** (2022) **BiopharmaTrend** (2023) **pharmaceuticals** (2024) **frontiers**

AI in small-molecule drug discovery: a coming wave?

Table S1 | AI-native companies and their applications and in-house assets

AI-native small-molecule drug discovery companies		In-house assets from Cyteline Pharmaprojects (or from manual research*)		
Company	AI application	Discovery/preclinical	Clinical	Comments and code names of clinical-stage assets (where available)
Insilico Medicine*	Bioinformatics in novel target discovery (PandaOmics®), molecule generation and optimization with ADMET prediction (Chemistry42®), clinical trial prediction (InClinico®)	7*	0*	
Insitro*	Disease modelling, deconvolution of <i>in vitro</i> phenotypic disease models	2*	0*	
Nimbus Therapeutics	Molecular dynamics, ADME predictions	6	2	Clinical-stage assets: NDI-034858, NDI-101150
Pharos iBio	Bioinformatic target discovery, Protein structure characterization (e.g. binding site ID), molecule optimization and ADMET prediction (ChemVerse)	4	1	Clinical-stage asset: PHI-101
Recursion Pharmaceuticals	Bioinformatic target discovery, experimental target validation and hit identification with phenotypic screening (Recursion Operating System)	11	3	Clinical-stage assets: REC-2282, REC-4881, REC-994
Relay Therapeutics	Molecular dynamics and physics including protein motion (Dynamo Platform), molecule identification (from acquisition of ZebiAI)	3	2	Clinical-stage assets: RLY-1971, RLY-4008 Recent acquisition of ZebiAI (AI-enabled DEL discovery company)

Advances of Artificial Intelligence in Anti-Cancer Drug Design: A Review of the Past Decade

Table 8. Some of the AI-designed anti-cancer drugs that have successfully entered human phase 2/3 clinical trials in the last 5 years.

Name	Company	Therapeutic Area	Target/Function	Phase
REC-2282	Recursion	Neurofibromatosis Type 2	HDAC	Phase 2/3
RLY-4008	Relay Therapeutics	Solid tumor	FGFR	Phase 2
BPM31510	Berg	Solid tumor	Protein cbcl2 modulators	Phase 2
EXS-21546	Exscientia	Solid tumor	A2aR	Phase 1
PHI-101	Pharos iBio	Ovarian cancer Breast cancer	Flt3 tyrosine kinase inhibitor	Phase 1

"AI 활용 신약, 임상 단계 진입" 글로벌 사례로 주목

- Insilico Medicine
- Recursion Pharmaceuticals
- Relay Therapeutics
- Exscientia
- **Pharos iBio 'PHI-101'**
- ...

신약 파이프라인의 확장성 ... High Unmet Needs 전주기 파이프라인 구성

AI Drug Discovery



구분	타겟 단백질	적응증	유효물질	선도물질	후보물질	임상1상	임상2상	
개발단계 희귀의약품 MFDS 지정 미국 FDA ODD지정 유럽 EMA ODD지정 라스모티닙 (PHI-101)	FLT3	급성골수성백혈병 (AML)	[Progress bar]				임상 2상 후 조건부 판매 승인	
		미세잔존질환 (MRD)	연구자 주도 임상(IIT) [Progress bar]				ADLIG LIFEPOINT & LUMENNA WEHI brighter together	호주 의학연구소 Andrew Wei
미국 FDA ODD 지정 PHI-501	CHK2	재발성 난소암 (OC)	[Progress bar]					
	Pan-RAF/DDRs	난치성 고형암 (흑색종, 대장암)	[Progress bar]					
PHI-301	Undisclosed/FAK	난치성 폐암	[Progress bar]					
PHI-601	Menin	급성골수성백혈병 (AML)	[Progress bar] CoBX Bio				캡스바이오	
Collaborative Project	Undisclosed	소아 뇌종양	[Progress bar] Children's Cancer Institute				호주 소아암 연구소	
	Undisclosed	Undisclosed	[Progress bar] THE UNIVERSITY OF SYDNEY				호주 시드니대학	

임상 2상 후 조건부 판매 승인

조기 상용화

AI 신약개발 성공
Reference 확보

글로벌 기술이전
매출 본격화

높은 미충족 의료수요
파이프라인 지속 창출

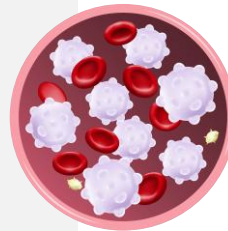
Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ High Unmet Needs 차세대 FLT3 저해제

기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요

급성 골수성 백혈병(Acute Myeloid Leukemia)

- 골수 또는 말초 혈액 내 골수아세포(BM blast) 수치가 20% 이상인 혈액암
- 주로 65세 이상 고령환자 많으며, 진단 후 5년 생존율 10% 내외로 매우 낮음
- 미국 NCCN은 FLT3 돌연변이를 중요한 예후인자로 명시



차세대 FLT3 저해 신약 Lasmotinib



길테리티닙
Gilteritinib
Xospata®

개발 기업 Astellas Pharma (일본 글로벌 제약사)

• 2차 치료 R/R AML 환자 대상 유일하게 승인된 FLT3 저해제

But,

- 특징
- 3상 임상에서 34%의 반응을
 - 단독 임상에서 30% 이상 재발 (약물내성, FLT3-F691 변이)
 - 환자 비용 약 3천만원/1개월, 연 매출 약 7천억원

High Unmet Needs

- ✓ 기존 FLT3 저해제 30% 이상 재발, 이후 치료옵션 제한적
- ✓ FLT3-TKD의 돌연변이(D835, F691)로 인한 약물 내성 존재

Investment Highlights

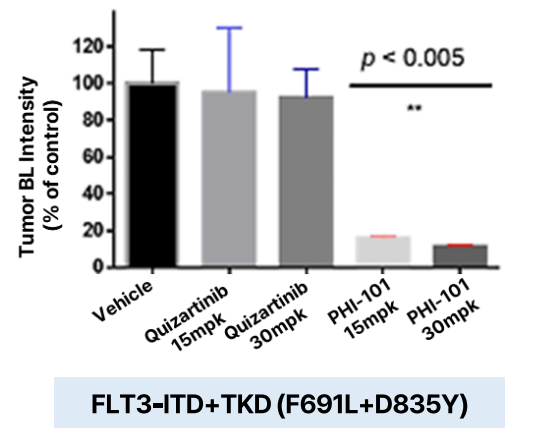
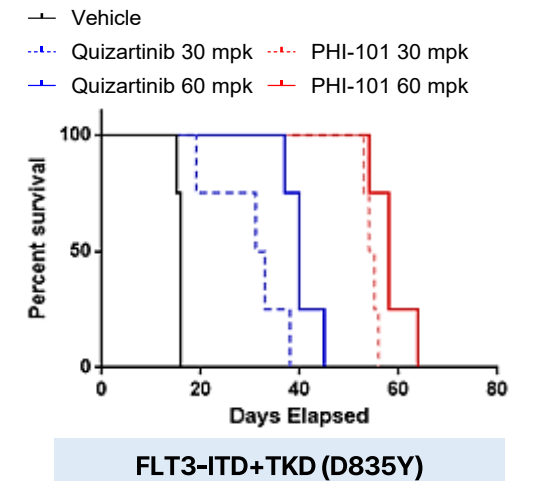
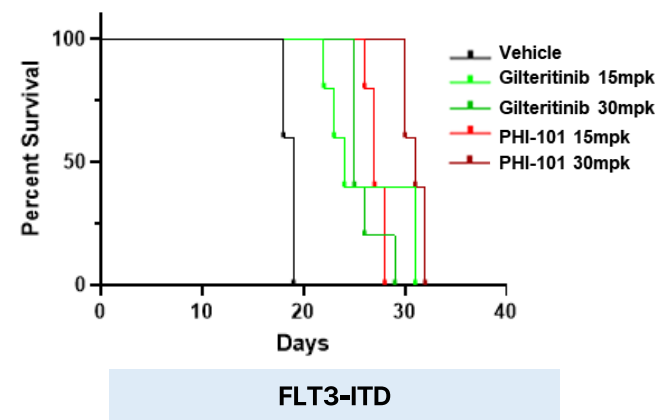
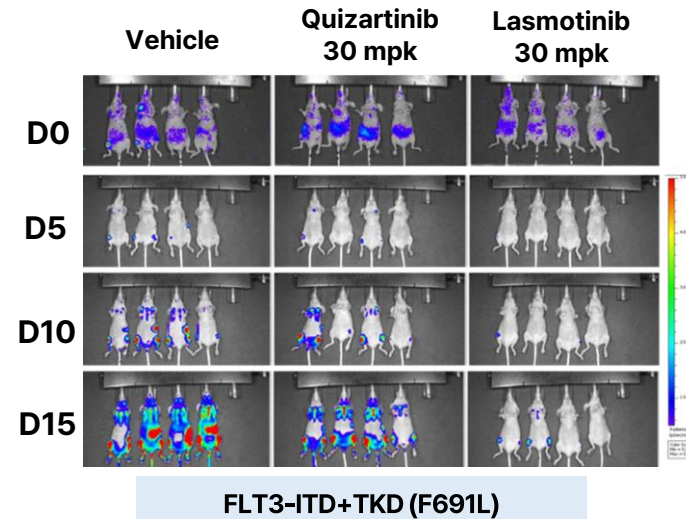
우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib_ 경쟁약물 대비 우수한 종양억제 효과 확인

경쟁약물 대비 우수한 FLT3 변이세포 성장억제 효과

FLT3 (mutant type)	Ba/F3 cellular activity GI ₅₀ (nM)			
	라스모티닙	길테리티닙	퀴자티닙	크레놀라닙
Control	2,400	482	>10,000	1,120
FLT3-TKD(D835Y)	2.3	15	11.8	4
FLT3-ITD	<2	2	0.7	<2
FLT3-ITD+TKD(F691L)	16	79	132	16
FLT3-ITD+TKD(F691I)	11	37	74	59
FLT3-ITD+TKD(D835Y)	3	-	30	-
FLT3-ITD+TKD(D835I)	0.63	1.54	56.9	2.88
FLT3-ITD+TKD(D835Y+F691L)	14	93	>10,000	-

특히 FLT3-TKD 약물내성 돌연변이(F691L, D835Y) 암세포의 경우, 경쟁약물 대비 PHI-101에 의한 암세포성장 억제효과 2~10배 ↑

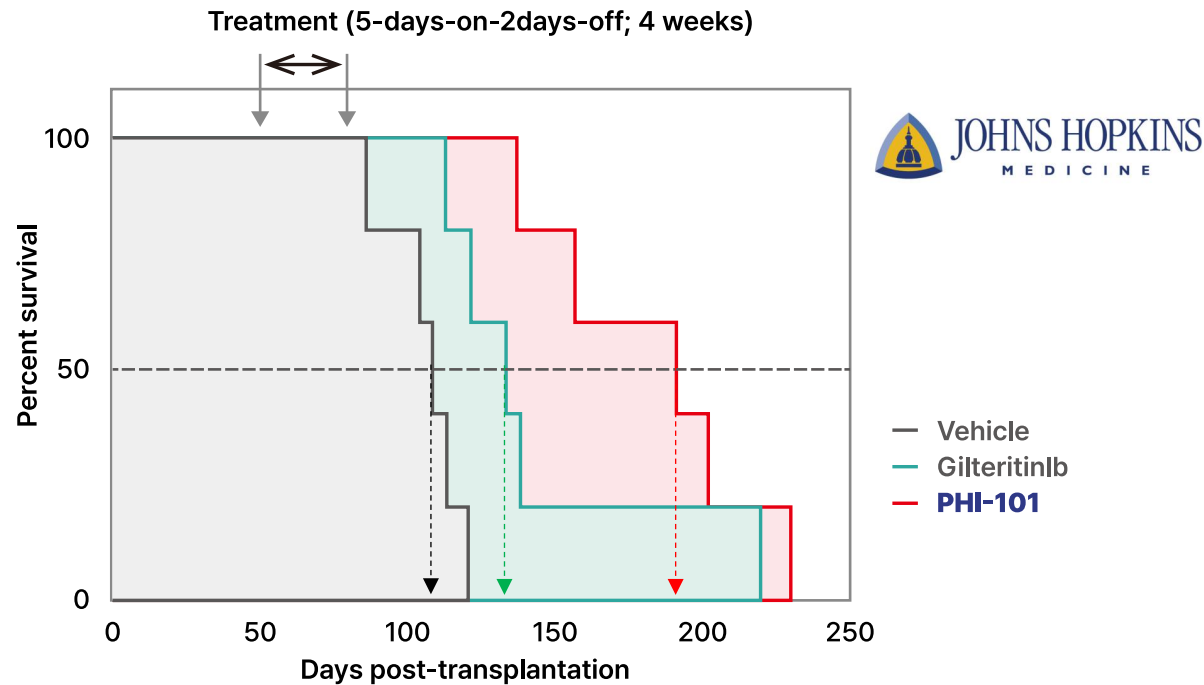
승인약물 대비 우수한 종양 성장억제 효과



Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 경쟁약물 대비 우수한 수명연장 효과 확인

Lasmotinib에 의한 PDX 마우스 수명연장 효과



(days)	라스모티닙 (30 mpk)	길테리티닙 (30 mpk)
생명 연장효과	+83 3.3배 ↑	+25
평균 수명기간	191	133

Lasmotinib 무독성용량(NOAEL)의 우수성

PHI-101

라스모티닙 (4주)	무독성용량 (mpk/day)	독성 소견 장기
개	2.5	소화기관 뇌 조혈기관 비장 가슴샘
랫드	(M) 50.0 (F) 25.0	난소 조혈기관 비장 가슴샘

charles river

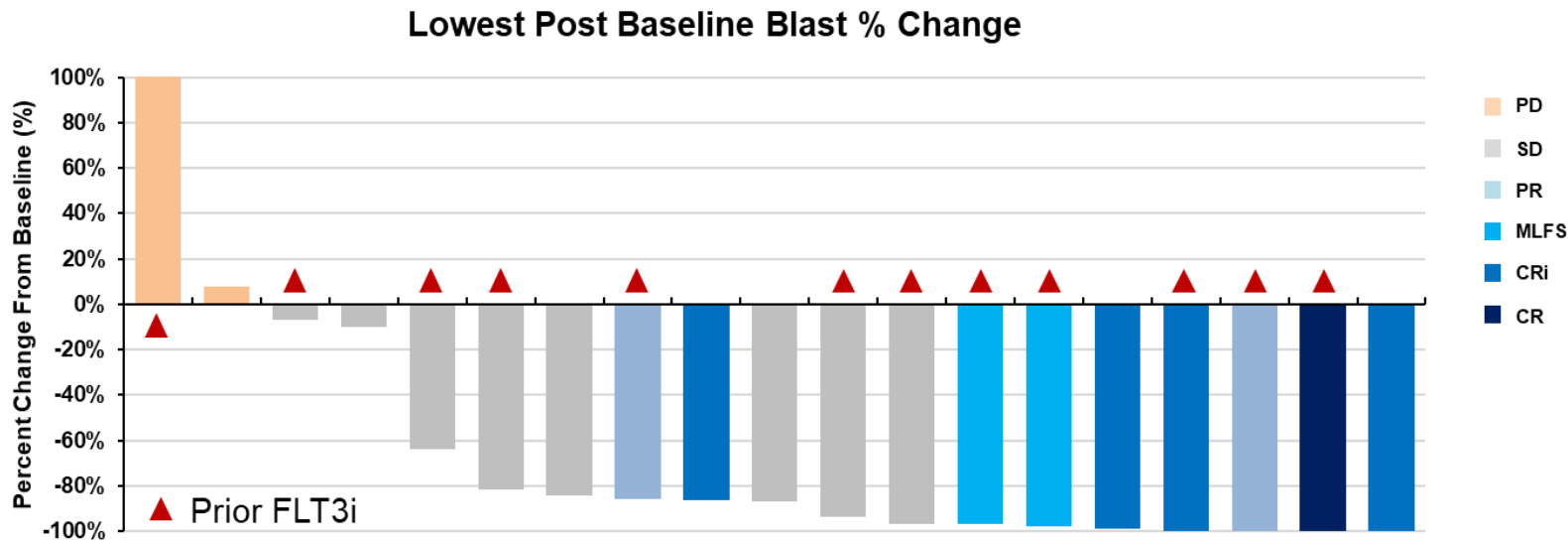
경쟁약물

길테리티닙 (4주)	무독성용량 (mpk/day)	독성 소견 장기
개	1.0	소화기관 면역계 조혈기관 눈 신장, 간 폐 눈물샘 비뇨기계

* NDA Multidisciplinary Review and Evaluation (2018) NDA 211349

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 다국적 임상 1상에서 우수한 완치효과 확인

Lasmotinib 임상적 효과 : Waterfall plot



Blast percent change was calculated as (the lowest post-baseline bone marrow blast – baseline bone marrow blast/base line bone marrow blast)
 *Patients with blast percent change over 100% are shown as 100%



라스모티닙 임상 1상 결과, 치료 난이도가 높은 환자가 다수였음에도 불구하고

CRc (종합완전관해) = 50%*

*120 mg 이상 평가가능 환자 중 FLT3i 치료 경험있는 환자(▲)

임상시험결과보고서 확보 (CSR, Clinical Study Report)

Clinical Study Report

A Prospective, Phase Ia/Ib, Multicenter Study to Evaluate the Safety, Tolerability, Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of the FLT3 Inhibitor, PHI-101, Alone in Subjects with Relapsed or Refractory Acute Myeloid Leukemia (AML)

Protocol Reference: PHI-101-001 (000000188524)
 Regulatory Agency Identifier Number: NCT 04842370
 Compound Number: PHI-101
 Study Phase: Ia/Ib
 Study Start Date: 11 June 2020 (first subject dosed)
 Study End Date: 07 October 2024 (last subject last visit)
 Sponsor Name and Address: Pharos iBio Co., Ltd. / Pharos Therapeutics Pty. Ltd.
 Sponsor Signatory: Ky-Youb Nam, PhD
 Coordinating Investigator: Yoon Sung-Soo, MD, PhD, Republic of Korea
 Report Date: 30 June 2025

Information described herein is confidential and may be disclosed only with the express written permission of the sponsor.

This study was conducted in accordance with GCP.

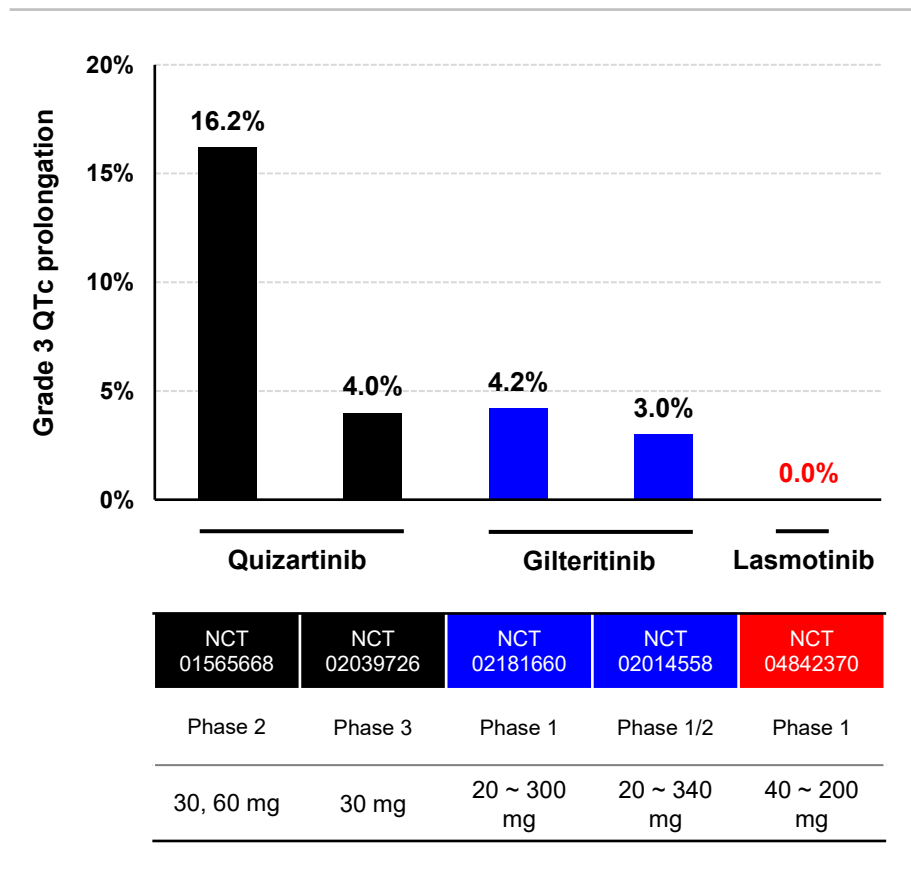
Pharos iBio

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 다국적 임상 1상에서 우수한 완치효과 확인

FLT3 저해제 임상결과 * PHI-101, 2025. 06. 30. 임상 1상 완료

구분	Lasmotinib	Gilteritinib	Crenolanib	Tuspetinib
개발사	Pharos iBio	astellas	arog PHARMACEUTICALS, INC	Hanmi
Indication	FLT3 mut R/R AML	FLT3 mut R/R AML	FLT3 mut R/R AML	FLT3 mut R/R AML
임상단계	Phase 1b	Phase 1/2	Phase 2	Phase 1/2
임상결과 분석 대상자	160 mg, Evaluable	≥80mg	100 mg TID or 200 mg/m ² /d in 3 divided doses, Evaluable	40 ~ 160 mg, Evaluable
CRc (종합완전관해율)	50.0% (6/12)	40.8% (69/169)	24.1% (13/54)	15.4% (10/65)
ORR (객관적 반응률)	66.7% (8/12)	52.1% (88/169)	37.0% (20/54)	21.5% (14/65)

임상 결과 안전성(심장독성 이슈) 데이터



우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib FLT3 저해제 개발의 세계적 전문성 확보


글로벌 FLT3 저해제 개발 최고 전문가 소견



존스홉킨스 의대
도널드 스몰 교수님

“PIA 분석법을 개발하는 과거의 In vitro, In vivo 실험으로부터 PIA 실험에서 적어도 85~95%의 저해 효율을 보여야 임상에서의 관해를 이끌어 낼 수 있음을 알고 있다.

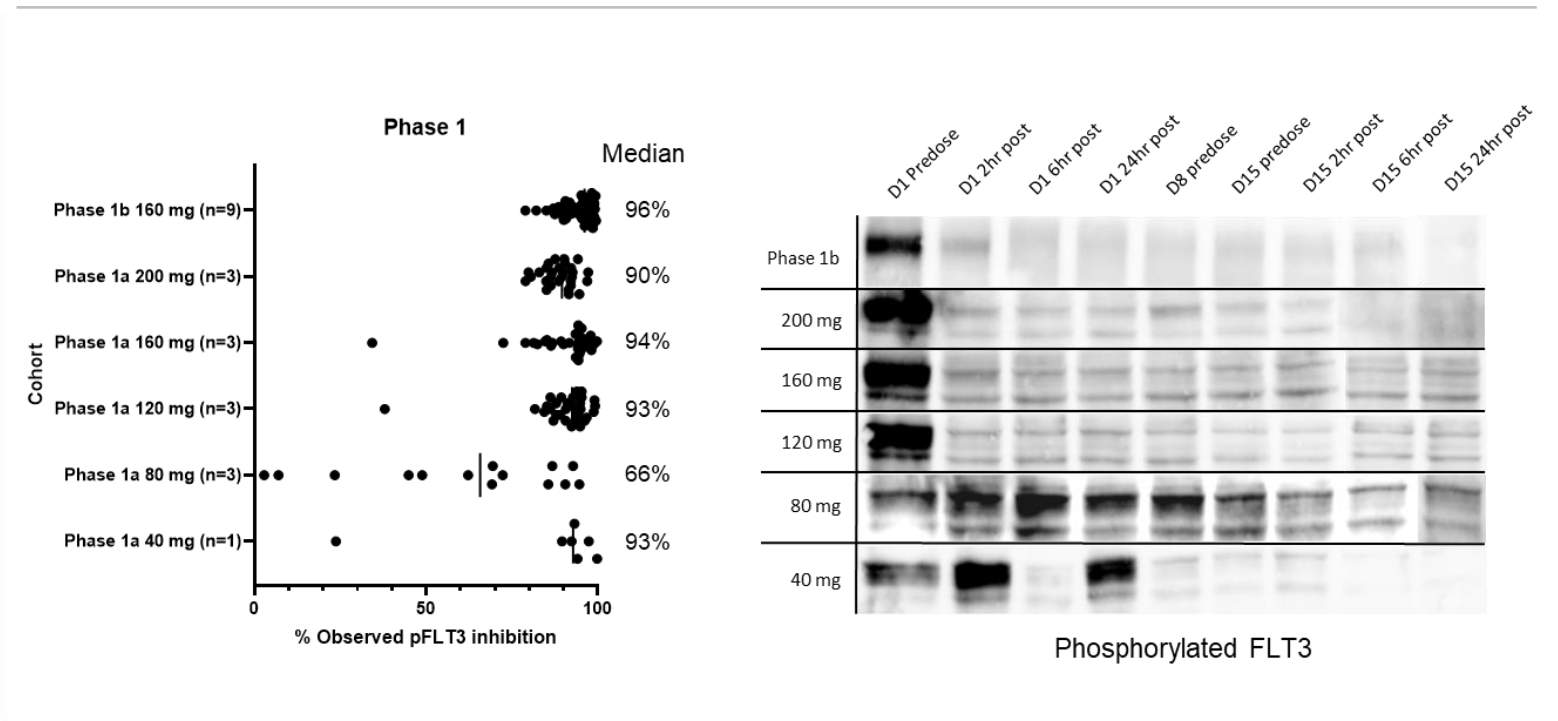
PHI-101은 임상1상의 환자샘플로부터의 PIA 검사에서 90% 이상의 높은 FLT3 인산화 저해 효율을 보여 임상 성공 가능성이 보이며 뛰어난 FLT3 저해제 효력을 보였다.”

* Johns Hopkins Dr. Donald Small



PIA 분석을 통한 Lasmotinib의 FLT3 억제 효과 검증



※ PIA 분석이란? – 환자 혈액을 이용해 약물의 실제 체내 효능을 직접 확인하는 검사로서, FLT3 저해제 최초 개발에 참여하신 글로벌 권위자 Donald Small 교수가 개발한 신뢰성 높은 검증 방법



우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 희귀의약품 지정 및 다수의 치료목적 사용승인



희귀의약품 지정

조건부 판매 승인으로 **조기 상용화** 목표

- ✓ 미국 식품의약국(FDA) 2019년 희귀의약품 지정
- ✓ 국내 식약처(MFDS) 2024년 개발단계 희귀의약품 지정
- ✓ 유럽 의약품청(EMA) 2025년 희귀의약품 지정



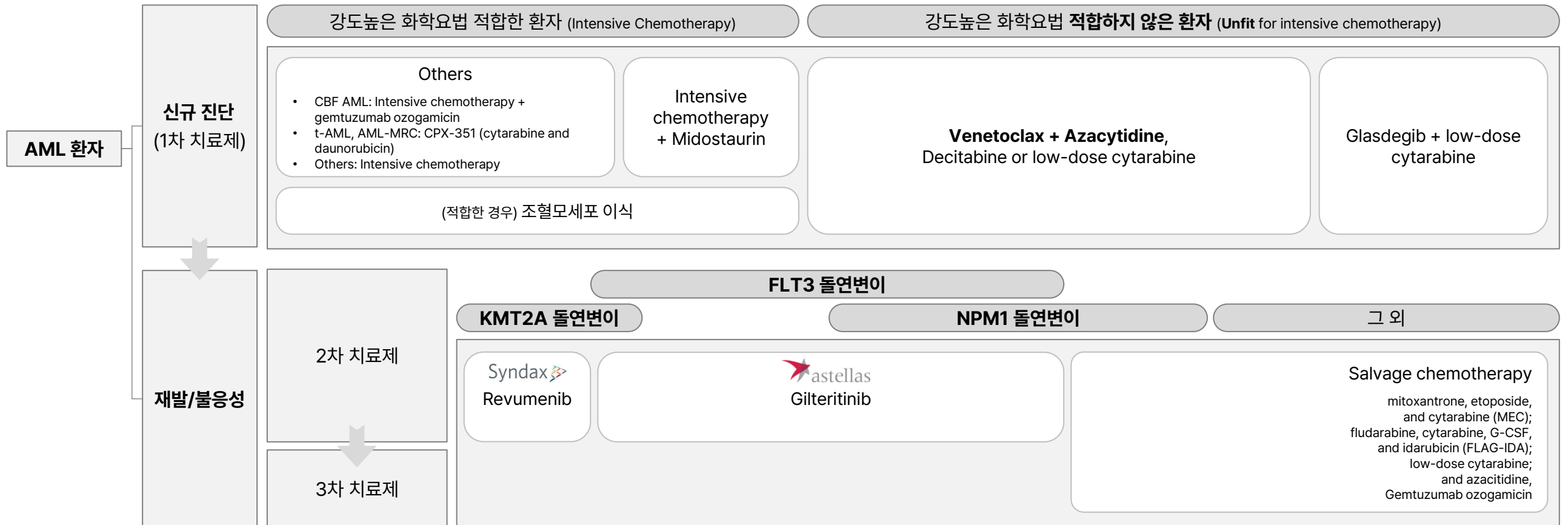
식약처 치료목적 사용승인

순번	구분	신청인	승인일자	제품명	성분명	대상질환명
1	개인별 환자 대상	서울대학교병원	2025-03-11	PHI-101	PHI-101	난소암
2	개인별 환자 대상	서울대학교병원	2024-12-27	PHI-101	PHI-101	급성골수성백혈병 (FLT3 변이 양성)
3	개인별 환자 대상	서울대학교병원	2024-11-05	PHI-101	PHI-101	난소암
4	개인별 환자 대상	학교법인가톨릭학원 가톨릭대학교 서울성모병원	2024-08-21	PHI-101	PHI-101	급성 골수성 백혈병
5	개인별 환자 대상	학교법인가톨릭학원 가톨릭대학교 서울성모병원	2024-01-12	PHI-101	PHI-101	급성 골수성 백혈병
6	개인별 환자 대상	학교법인가톨릭학원 가톨릭대학교 서울성모병원	2024-01-12	PHI-101	PHI-101	급성 골수성 백혈병
7	개인별 환자 대상	재단법인아산사회복지재단서울아산병원	2023-12-28	PHI-101	PHI-101	급성골수성백혈병
8	개인별 환자 대상	학교법인가톨릭학원 가톨릭대학교 서울성모병원	2023-08-31	PHI-101	PHI-101	재발성 또는 불응성 급성골수성백혈병(AML)
9	개인별 환자 대상	학교법인가톨릭학원 가톨릭대학교 서울성모병원	2023-08-02	PHI-101	PHI-101	재발성 또는 불응성 급성골수성백혈병(AML)
10	개인별 환자 대상	연세대학교의과대학세브란스병원	2023-04-12	PHI-101	PHI-101	악성 흑색종

* 출처: 의약품안전나라 의약품통합정보시스템

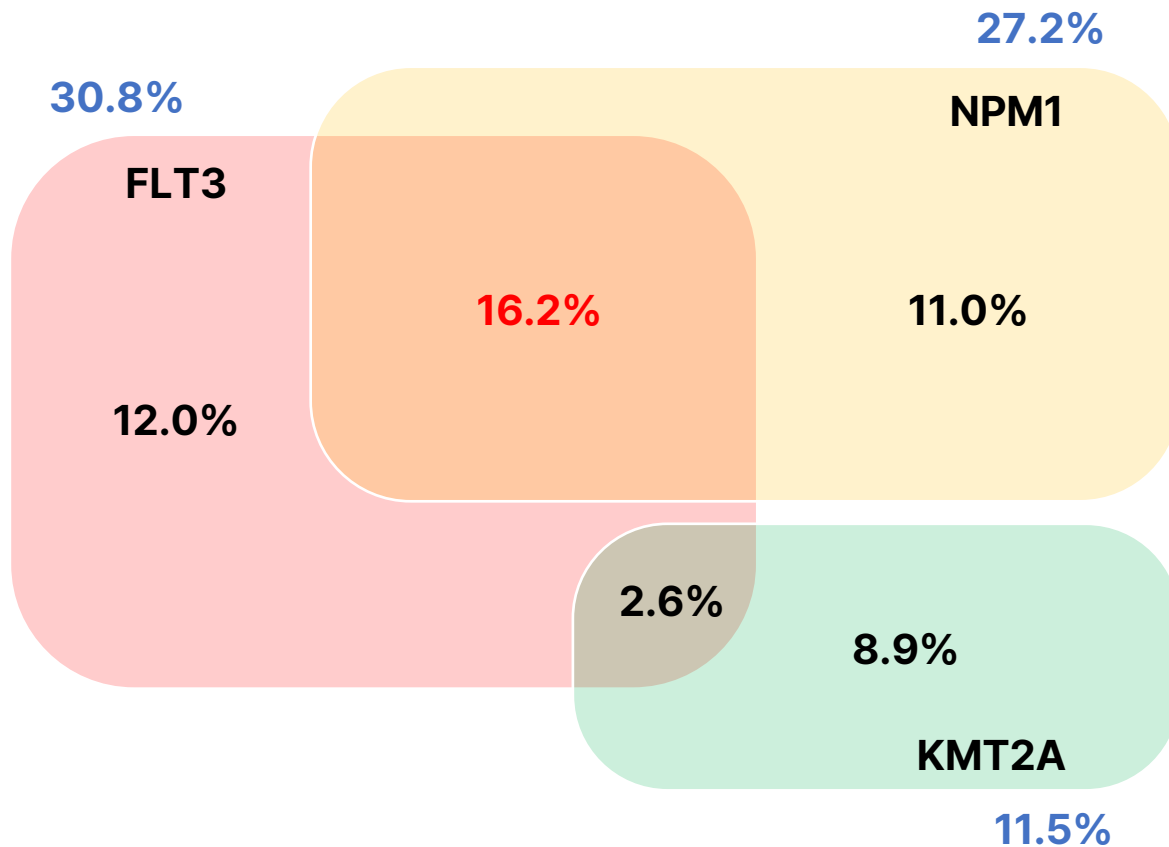
우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 시장 분석

마켓 포지셔닝: Xospata™ 대체 및 병용요법으로 1차 치료제까지 AML 시장 확대 목표



우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 병용전략을 통한 가치 극대화

AML 주요 바이오마커 타겟 시장: FLT3 저해제 중심의 병용전략이 해당



최근 글로벌 제약사 개발 주요 타겟 "Menin 저해제"

- ✓ NPM1 (27.2%), KMT2A (11.5%) 돌연변이 타겟
- ✓ FLT3 돌연변이 동반(16.2% + 2.6%) 시, Menin 저해제 단독요법 치료효과 한계
- ✓ 2024년 KMT2A 타겟 Menin 저해제 Revumenib 승인

➔ Menin 저해제 단독으로는 블록버스터 어려움 → FLT3 저해제와의 병용 필수

명칭	개발사	개발현황	주요 이슈
Ziftomenib	KURA ONCOLOGY	FDA 승인	기술이전 규모: 계약금 3.3억\$ 포함 총 11억\$ KYOWA KIRIN
Revumenib	Syndax	FDA 승인	FLT3 변이 동반 시, FLT3 저해제와 경쟁력 부족
Bleximenib	Johnson & Johnson	임상 3상	1차 치료제와 병용 임상 개시
Enzomenib	Sumitomo Pharma	임상 1/2상	-
BN104	BIONOVA Pharma 拜辉医药	임상 1/2상	-

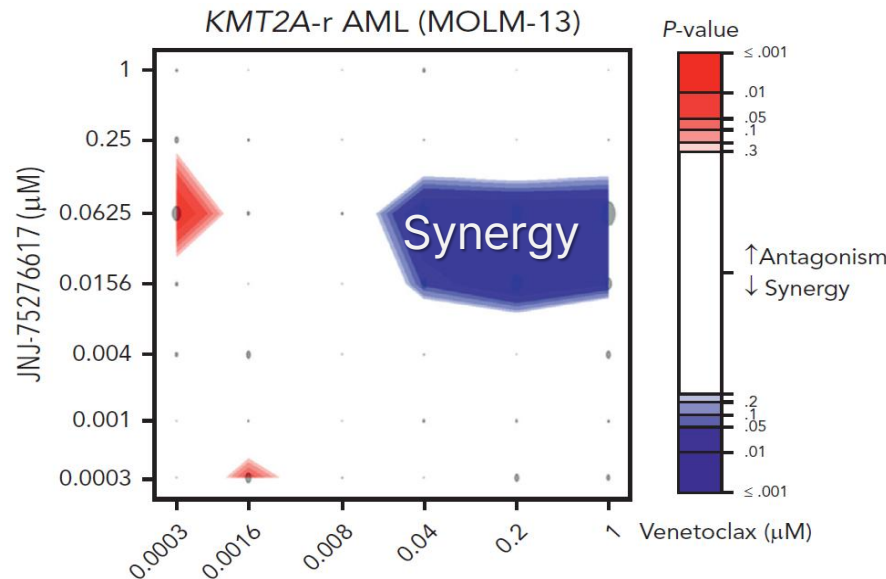
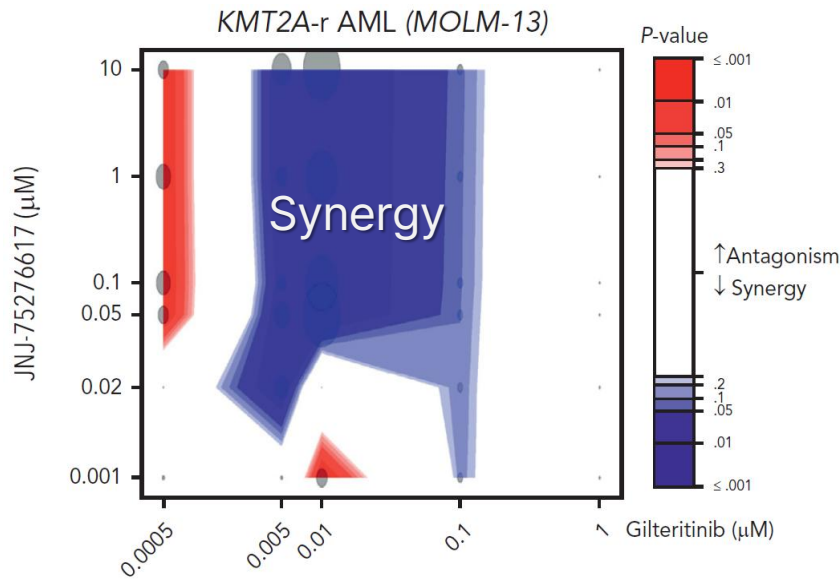
* AML 환자의 주요 바이오마커 돌연변이를 가진 환자 비율 (출처: Acute Myeloid Leukemia (TCGA, PanCancer Atlas))

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib_Menin 저해제와의 병용요법 개발 전략

최근 글로벌 제약사 개발 주요 타겟 Menin 저해제와 Lasmotinib의 병용요법 전략



(임상 3상 진행 중)



* 출처: *Blood*(2024) 144 (11): 1206-1220

Menin 저해제 병용요법
(FLT 저해제 + Menin 저해제)



Menin 저해제 병용요법
(1차 치료제 + Menin 저해제)

Menin 저해제 개발 전략:
1차 치료제와의 병용요법 보다
FLT3 저해제와의 병용요법 기대

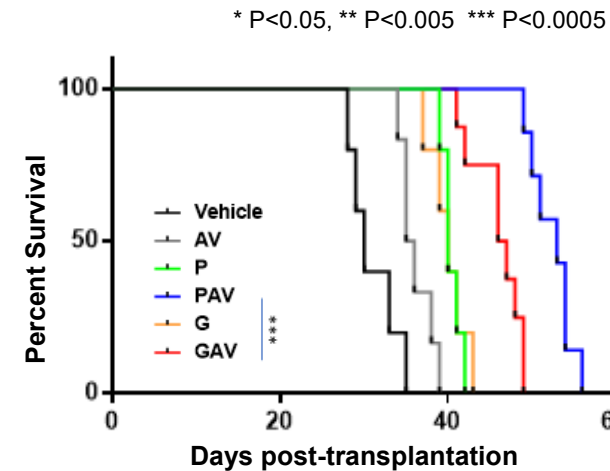
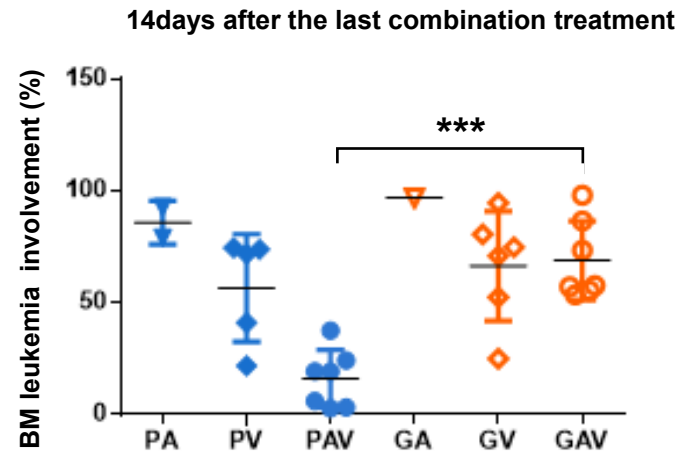
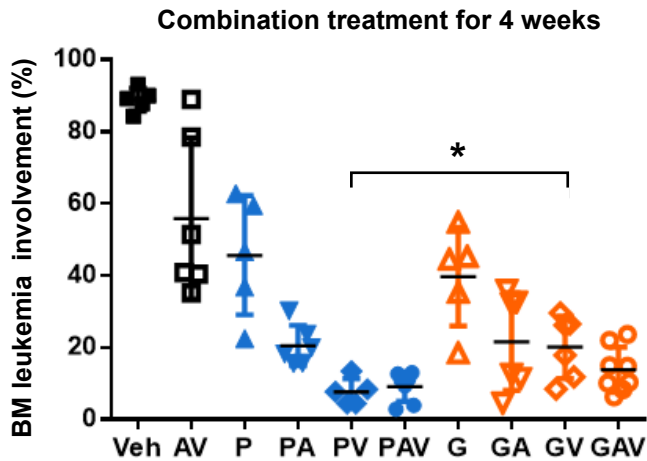
↓

Lasmotinib과 시너지 효과 기대되는
Menin 저해제 발굴 및
글로벌 제약사와의 협업 및 기술이전 추진 중

Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib_ 1차 치료제와의 병용요법 개발 가능성 확인

1차 치료제와 Lasmotinib의 병용요법 효능 검증 (Molm14-transplanted NSG mice)



병용요법 1차 치료제
(Lasmotinib +
Venetoclax + Azacytidine)



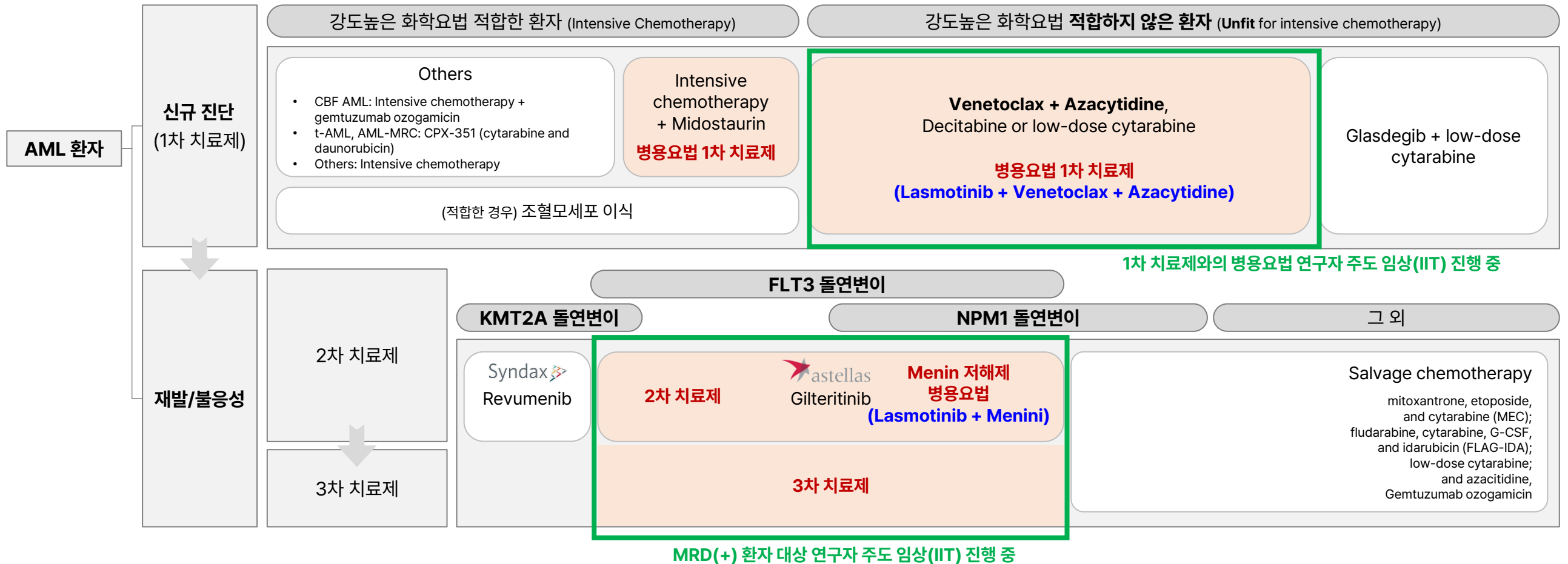
라스모티닙, 경쟁약물 대비
**AML 1차 치료제와의 병용요법 시
시너지 효과 우수**

- Veh, Vehicle
- A, 아자시티딘 (Azacitidine)
- V, 베네토클락스 (Venetoclax)
- G, 길테리티닙 (Gilteritinib)
- P, PHI-101 (Lasmotinib)

구분	투여 용량	투여 경로	투여 주기
라스모티닙	15 mpk	oral gavage	5-on-2-off for 21-28 days
길테리티닙	15 mpk	oral gavage	5-on-2-off for 21-28 days
아자시티딘	3 mpk	i.p.	6 times on 1 st week + 1 st day of 2 nd week
베네토클락스	80 mpk	oral gavage	5-on-2-off for 21-28 days

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 글로벌 AML 치료제 시장의 게임체인저

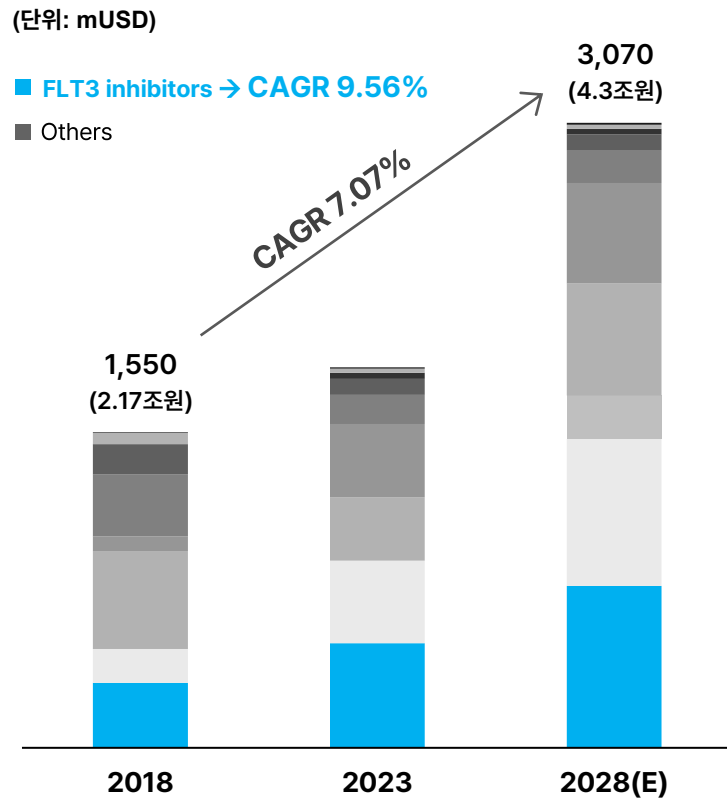
마켓 포지셔닝: Xospata™ 대체 및 병용요법으로 1차 치료제까지 AML 시장 확대 목표



Investment Highlights

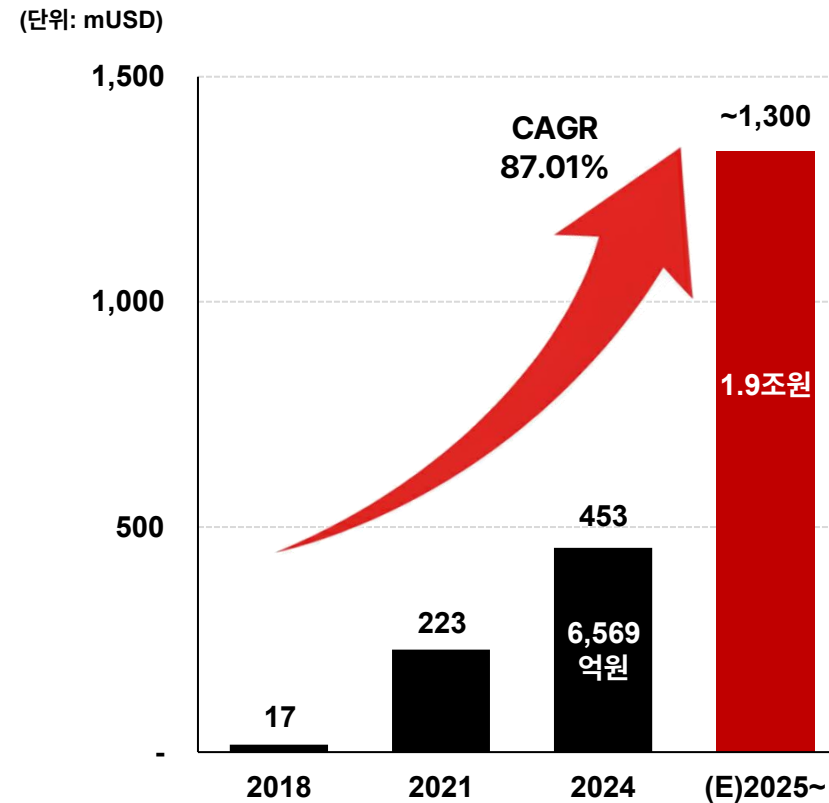
우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 글로벌 AML 치료제 시장의 성장성

AML 치료제 전체 시장 전망



* 출처: DRG Reports, 2024

글로벌 Xospata™ 매출 규모



* 출처: Astellas Financial Reports, 2025 Q1
 (\$1 = ₩1,450 환산)

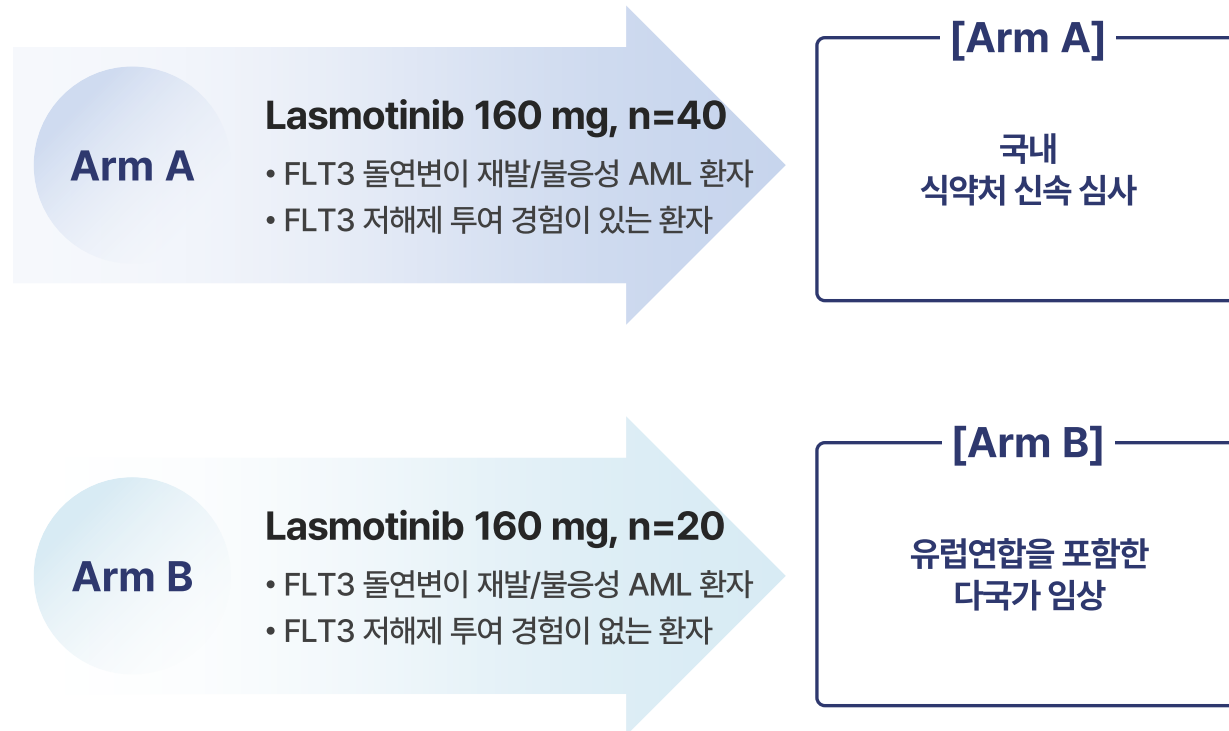
“Best-in-Class” 재발/불응성 AML 치료제 **Lasmotinib**

- ✓ 2024년 기준, Xospata™ 연매출 규모는 약 6,569억원
- ✓ 환자 수 증가에 따른 급격한 성장으로 1.9조원 까지 기대
- ✓ **Best-in-Class, 라스모티닙**
 - 기술이전 총 계약 규모 >5천억 ~ 1조원 목표
 - 임상 2상 후 조건부 판매 승인 목표
 - 매출에 따른 로열티 수입 >500억원 목표

✓ Xospata™ 매출 발생 국가: 미국 43.5%, 유럽/캐나다 32.9%, 중남미/동남아/러시아/한국/호주/대만 10%, 일본 7.6%, 중국 5.9%

우수 임상 파이프라인 확보 ... Lasmotinib _ 글로벌 임상 2상 연구개발 준비

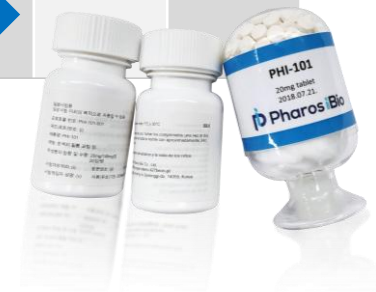
Lasmotinib 임상 2상 전략 설계



Lasmotinib 개발 예상 추진일정

	2025		2026		2027	
	1H	2H	1H	2H	1H	2H
임상 1상 CSR	[Progress]					
임상 2상 IND		[Progress]				
임상 2상 진행				[Progress]		
조건부 품목허가 대비 국내 판권 계약	[Progress]					
글로벌 공동연구 및 기술이전 계약	[Progress]					

임상 2상 후 조건부 판매 승인



Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... 물질가치 극대화 _ 임상 2상 진입 및 병용요법 개발

임상 2상 기술이전 시 밸류 극대화

✔ 플랫폼 기업의 항암 파이프라인 임상 2상 단계

→ 임상 1상 대비 평균 **딜 규모 2배 ↑**, **선금금 규모 3배 ↑**

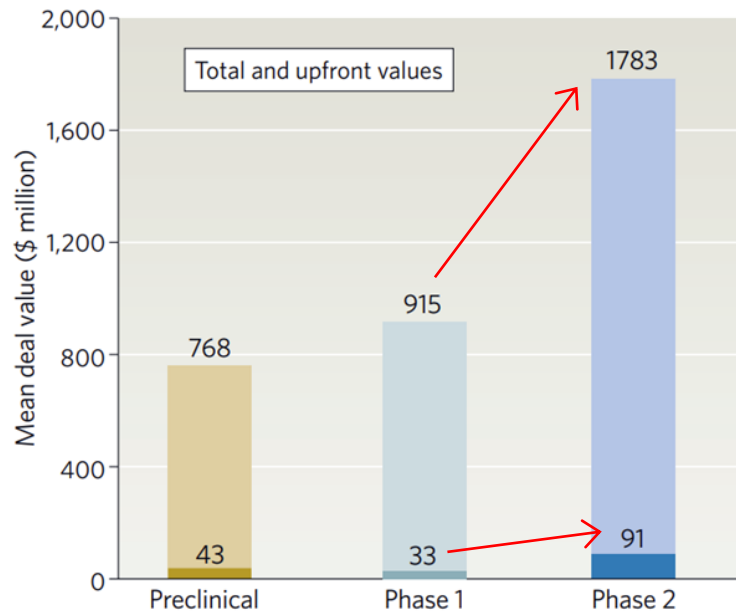


Fig. 3 | Development stage of platform companies involved in deals in 2015-2022.

* 출처: Nature, Biopharma dealmarkers, 2023

병용요법 개발을 통한 가치 창출 전략

✔ 성공사례: J&J 리브리반트 & 유한양행 렉라자



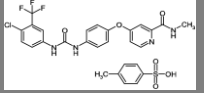
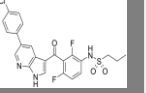
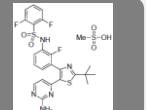
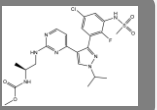
Lasmotinib과 병용 시 시너지 효과 기대되는
글로벌 제약사의 AML 개발 약물 확인
→ **글로벌 협업 및 기술이전**을 통해
병용 개발 및 상업화 전략 추진

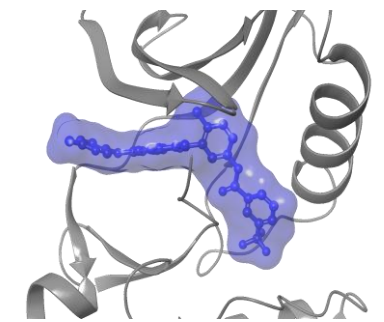
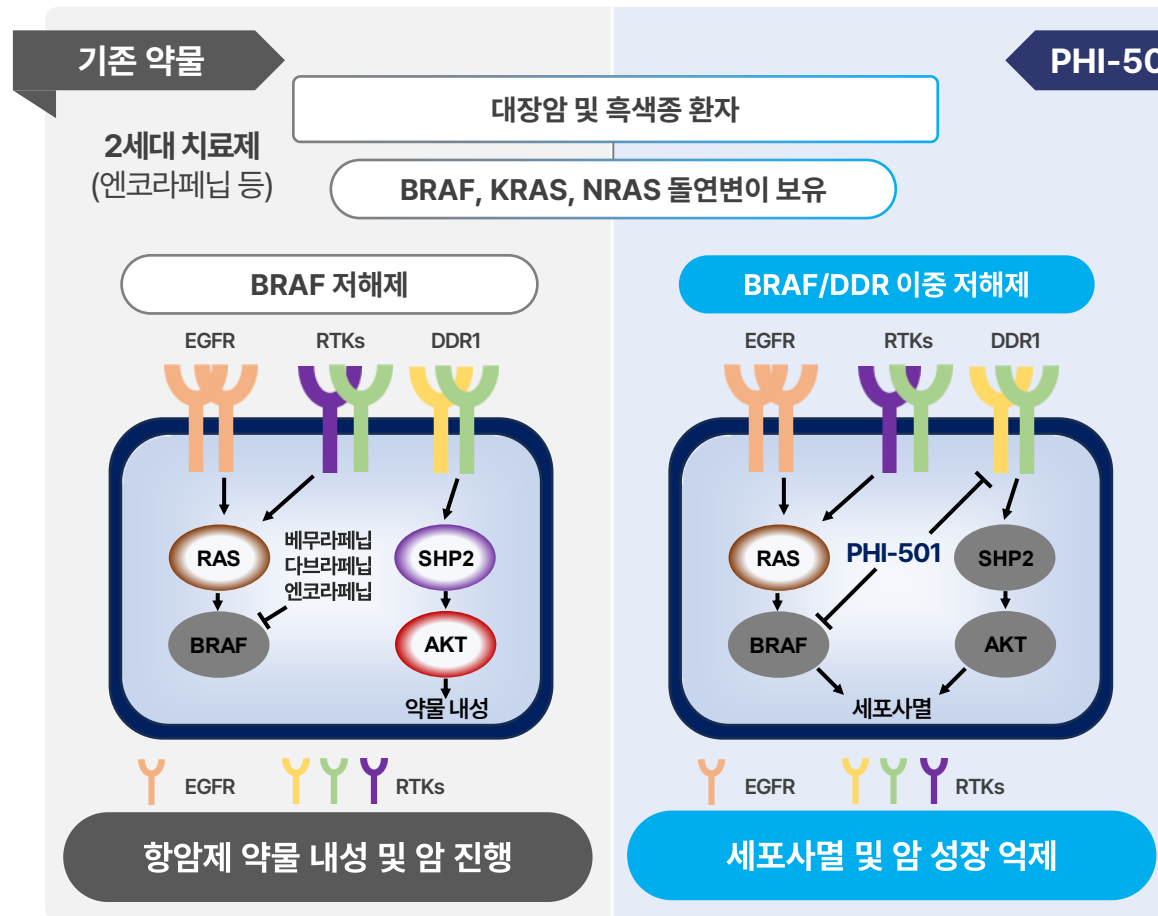
Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501 _pan-RAF/DDRs 차세대 난치성 고형암 치료제

기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요

First-in-Class 항암신약 PHI-501

1세대 BRAF 저해제	2세대 BRAF 저해제
<p>소라페닙 Sorafenib</p>  <ul style="list-style-type: none"> 낮은 치료 효능(Efficacy) 	<p>베무라페닙 Vemurafenib</p>  <ul style="list-style-type: none"> 흑색종(Melanoma) only 골수억제(Myelosuppression)
	<p>다브라페닙 Dabrafenib</p>  <ul style="list-style-type: none"> 대장암(Colorectal cancer) 제외
	<p>엔코라페닙 Encorafenib</p>  <ul style="list-style-type: none"> 대장암 치료에 Cetuximab과 병용



- 차세대 pan-RAF 저해제
- 단독요법으로서 치료 가능성
- RAS/RAF/MEK 신호전달 경로를 효과적으로 억제
- MEK 억제제 또는 면연관문 억제제와 병용 시 치료 효능 향상

High Unmet Needs

- ✓ 기존 치료제의 약효 및 생존을 개선 효과 낮음
- ✓ 기존 치료제 BRAF/MEK 저해제에 대한 약물 내성 재발환자 → 치료 옵션 부재

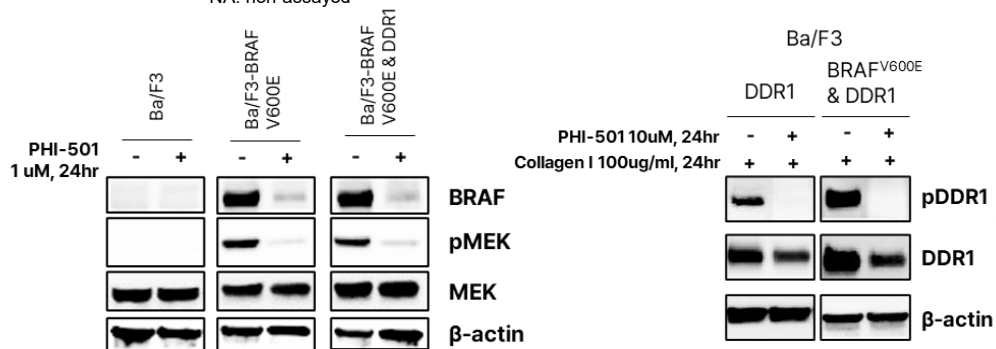
Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501_ 다양한 RAF 및 DDR 돌연변이 강력 저해 효과 확인

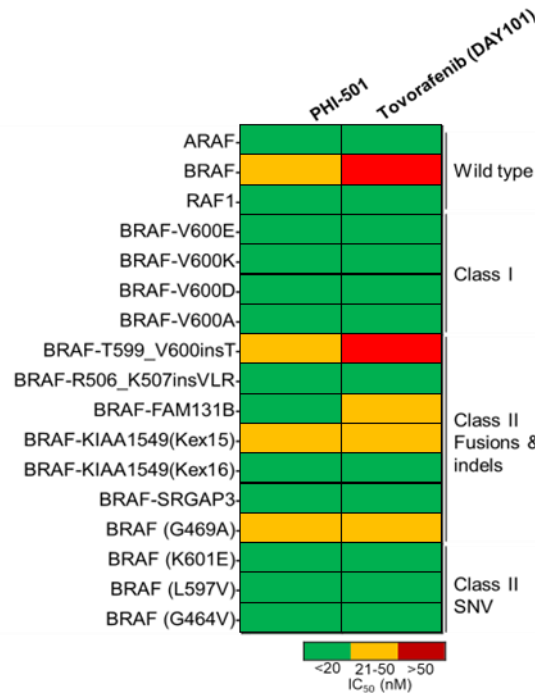
In vitro 저해활성 평가

Targeted Kinases	PHI-501				
	Binding K_d (nM)	Kinase IC_{50} (nM)	A375 GI_{50} (μ M, 72h)	HCT116 GI_{50} (μ M, 72h)	SK-MEL-2 GI_{50} (μ M, 72h)
ARAF	NA*	7.5	0.234	0.181	0.187
BRAF	28	28.3			
BRAF ^{V600E}	16	10.3			
RAF1	25	1.6			
DDR1	0.28	17.6			
DDR2	2.9	2.1			

* NA: non-assayed

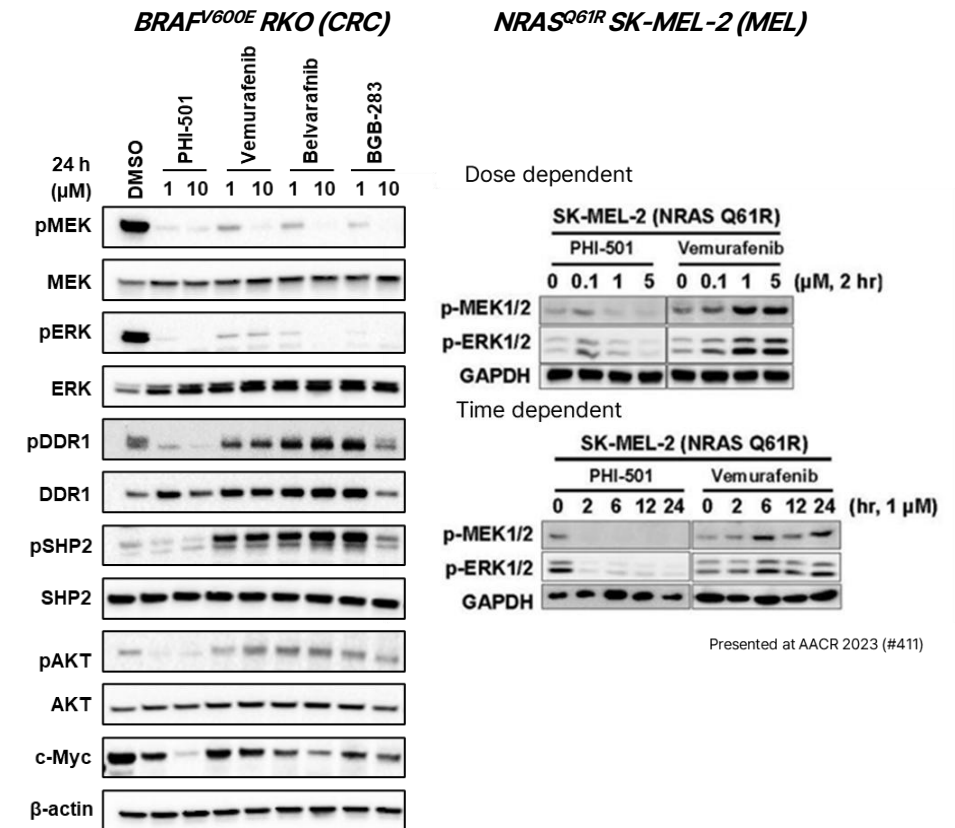


다양한 RAF Kinase 프로파일



다양한 BRAF 돌연변이 kinases에 대한 우수한 저해 활성 확인

피드백 활성화 극복 및 MEK/ERK, SHP2/AKT 억제



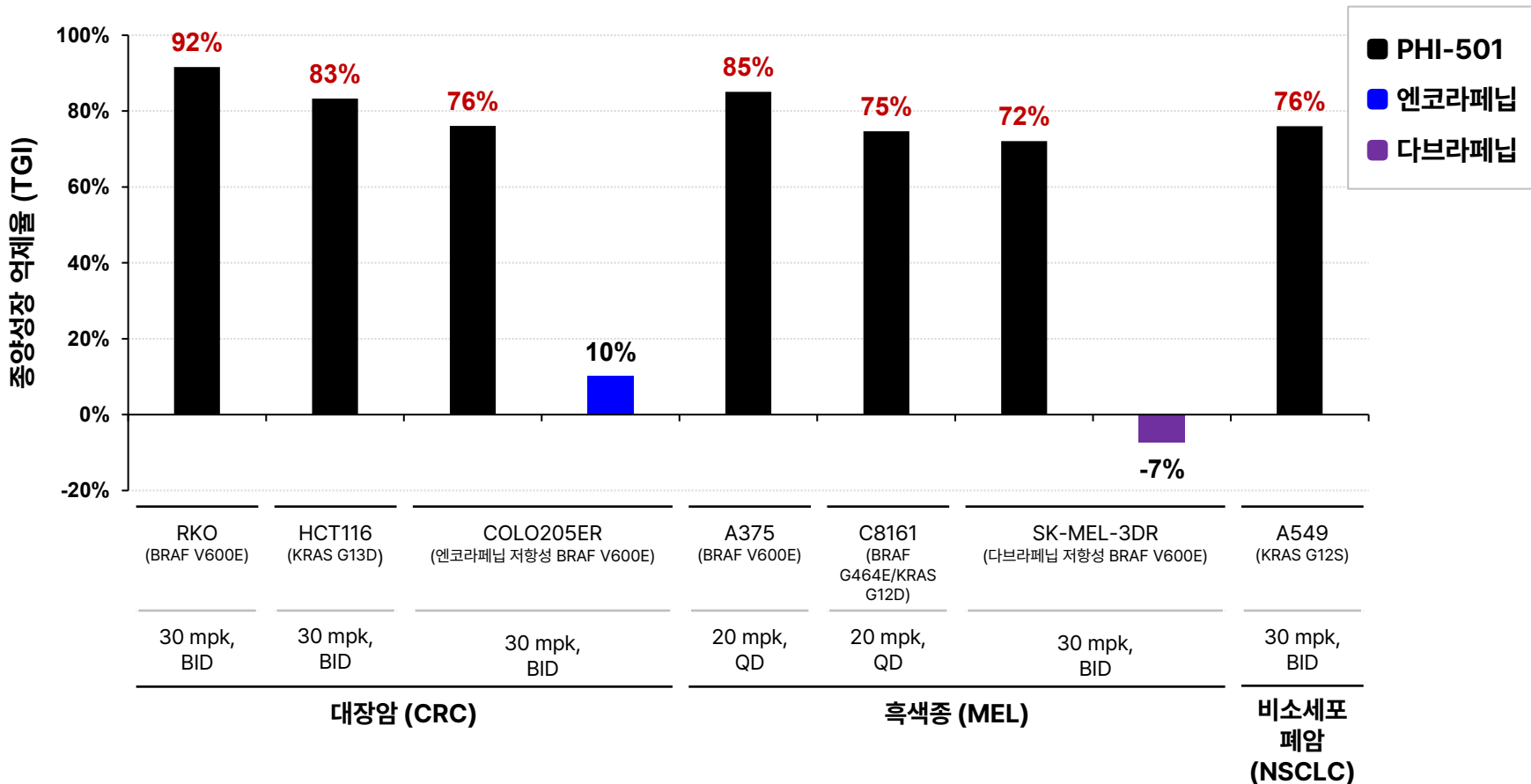
Presented at AACR 2023 (#411)

BRAF, KRAS, NRAS 변이 암세포 성장 억제 효과 확인

Pan-RAF/DDR 이중 저해 확인

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501 _ 기존 승인약물 대비 우수한 종양억제 효과 확인

PHI-501의 다양한 RAF/RAS 변이 암 세포 동물모델에서의 효능 검증



• Pan-RAF 및 NRAS/KRAS 변이를 가진 진행성 대장암(CRC), 흑색종(MEL), 비소세포폐암(NSCLC)에서 **종양성장을 최대 91.6% 억제함**

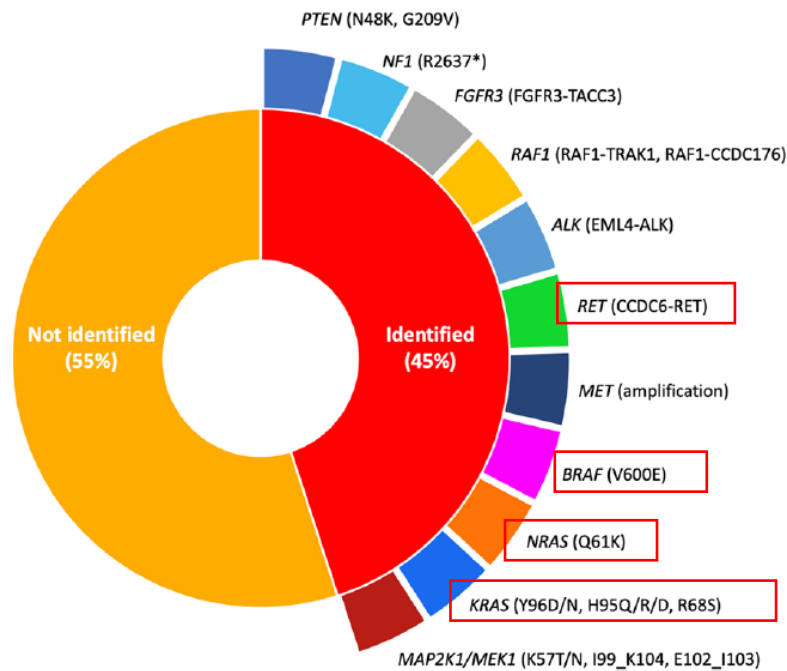
• 또한, 기존 BRAF 저해제 엔코라페닙 및 다브라페닙 등의 **약물에 저항성을 가진 대장암 및 흑색종 모델에서도 PHI-501의 강력한 효능을 확인함**

Investment Highlights

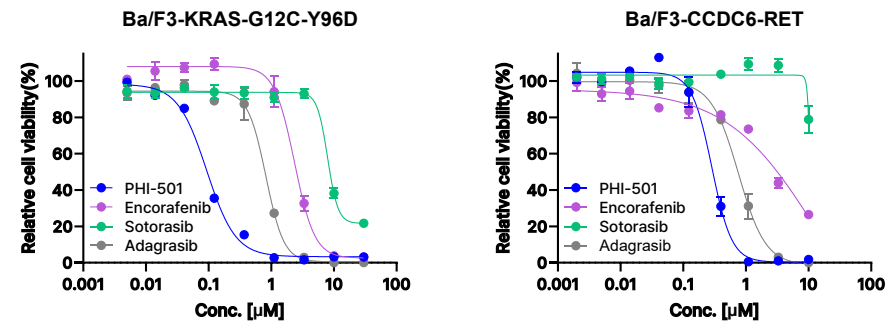
우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501_KRAS 저해제에 대한 저항성 극복 효능 확인

PHI-501의 KRAS G12C 저해제에 대한 저항성 암세포주에서의 효능 검증

비소세포암(NSCLC) 환자에서 RAS 저해제로 인한 저항성 변이 비율



* 출처: Current Oncology Reports (2023) 25:1017-1029



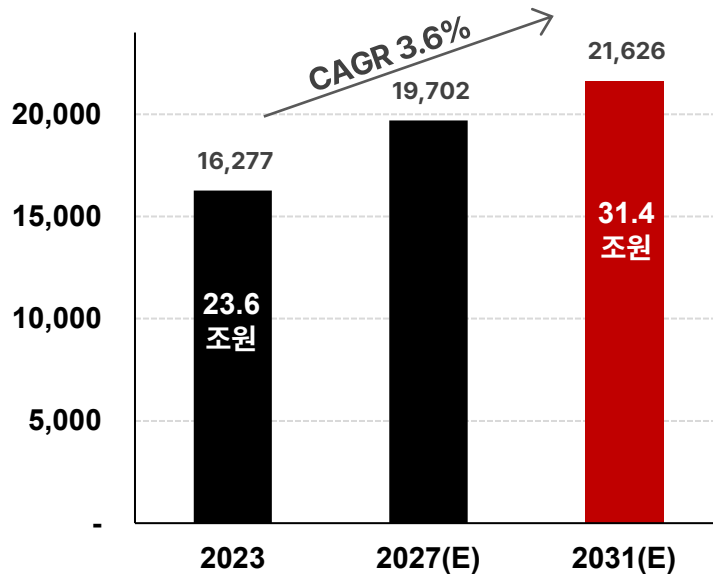
구분	Ba/F3-KRAS-G12C-Y96D IC ₅₀ (µM)	Ba/F3-CCDC6-RET IC ₅₀ (µM)
PHI-501	0.095	0.280
엔코라페닙	2.5	3.2
소토라십	8.6	> 10
아다그라십	0.795	0.730

구분	Mia PaCa-2 hKRAS-Y96C	Mia PaCa-2 hKRAS-Y96D	Mia PaCa-2 hKRAS-Y96S	Mia PaCa-2 hKRAS-R68S	Mia PaCa-2 hKRAS-H95D	Mia PaCa-2 hKRAS-H95Q	Mia PaCa-2 hKRAS-H95R
PHI-501	0.181	0.130	0.188	0.588	0.227	0.228	0.617
소토라십	> 10	> 10	> 10	> 10	> 10	> 10	> 10

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501 _ 20조원 이상의 글로벌 블럭버스터 시장 신약 가능성

글로벌 대장암 및 흑색종 시장 규모

(단위: mUSD)



* 출처: DRG Reports, 2024
(\$1 = ₩1,450 환산)

- ✓ 2023년 기준, 대장암 및 흑색종 치료제 시장 규모는 총 23.6조원
- ✓ 난치성 고형암 치료제 시장은 지속 성장할 것으로 예상
- ✓ **First-in-Class, PHI-501**
 - 임상 1상 단계에서 기술이전 총 규모 1조원 목표
 - 향후 매출에 따른 지속적 로열티 수입 목표

PHI-501 - BRAF 저해제의 '후속'이 아니라, KRAS/NRAS, RAF 저항성, ICI 병용까지 아우르는 '차세대 플랫폼급 자산'

1) "Target Population"이 압도적으로 넓다

- ✓ 대장암: KRAS 36.7%, BRAF 10.4%
- ✓ 흑색종: NRAS 27.9%, BRAF 52.2%
- 기존 BRAF 저해제는 KRAS/NRAS 불가, PHI-501은 둘 다 가능

2) 기존 약물 대비 명확한 우월성

- ✓ Encorafenib + cetuximab 대비 더 강력한 종양 억제
- ✓ 저항성 모델에서도 효능 유지
- ✓ 역설적 활성화 미유도 → 안전성 및 적응증 확장 잠재력 확대

3) 면역관문억제제 병용의 자연스러운 확장

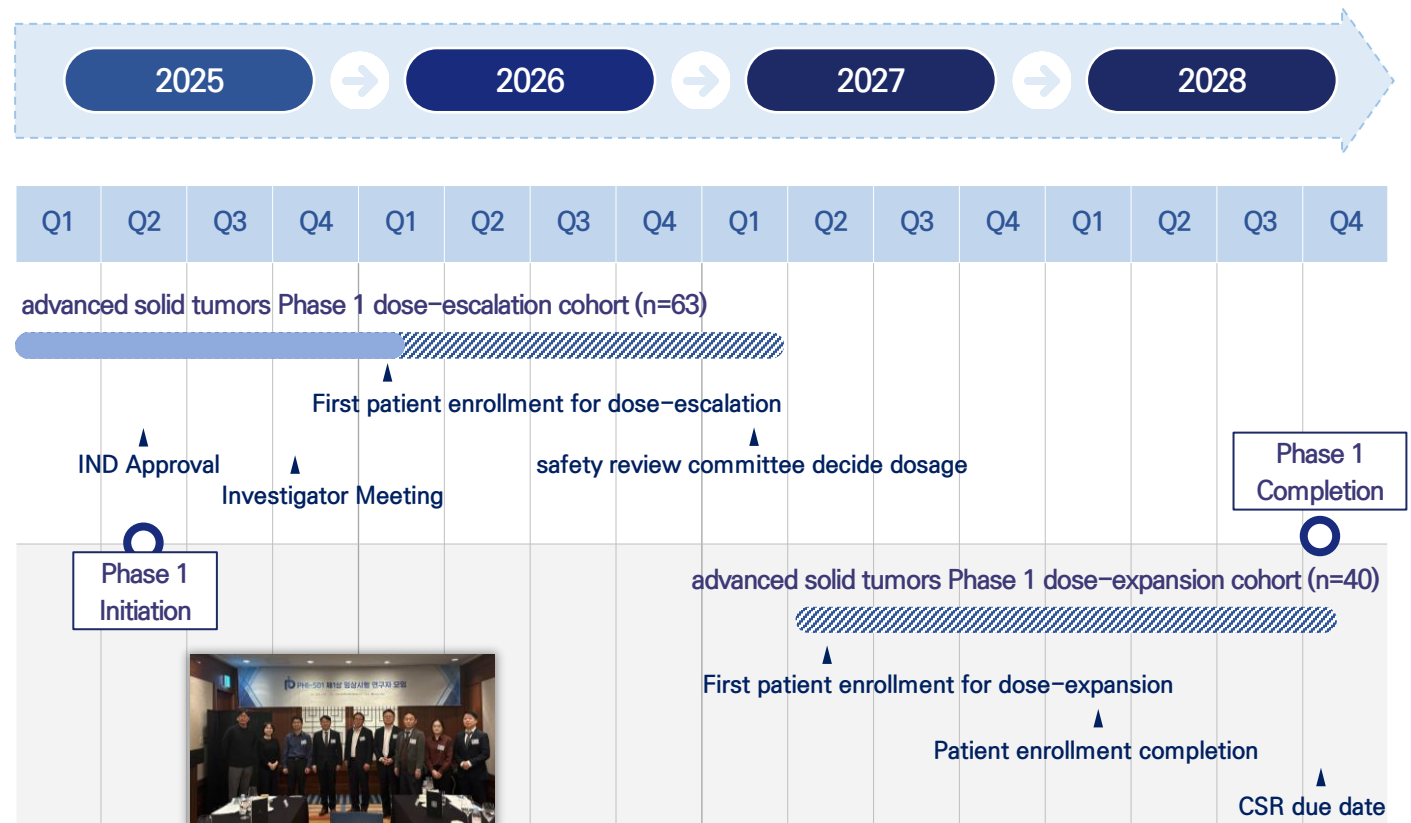
- ✓ PHI-501이 Mismatch Repair Deficiency 유도
 - ICI 반응을 높이는 핵심 바이오마커
- ✓ Syngeneic model에서 ICI 병용 시 종양 억제력 크게 강화

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-501 _ 난치성 고형암 환자 대상 임상 1상 IND 승인

PHI-501 임상 1상 개발 추진 일정



**IND
승인
(25년 6월)**



연구자 미팅 임상의 의견
→ NRAS 돌연변이 흑색종 및 KRAS 돌연변이 대장암 환자는 현재 치료 옵션이 없기에 PHI-501의 효능이 매우 기대됨

Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-601_Menin 저해 차세대 급성 골수성 백혈병 치료제

기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요



Best-in-Class 항암신약 PHI-601

승인 및 개발중인 Menin 저해제

Syndax

레부메닙 Revumenib

- KMT2A rearrangement 단독 요법 → FDA 승인
- NPM1 mt 단독 요법 → FDA 승인

Johnson&Johnson

블렉시메닙 Bleximenib

- KMT2A rearrangement 병용 요법, NPM1 mt 병용 요법 → 임상 3상

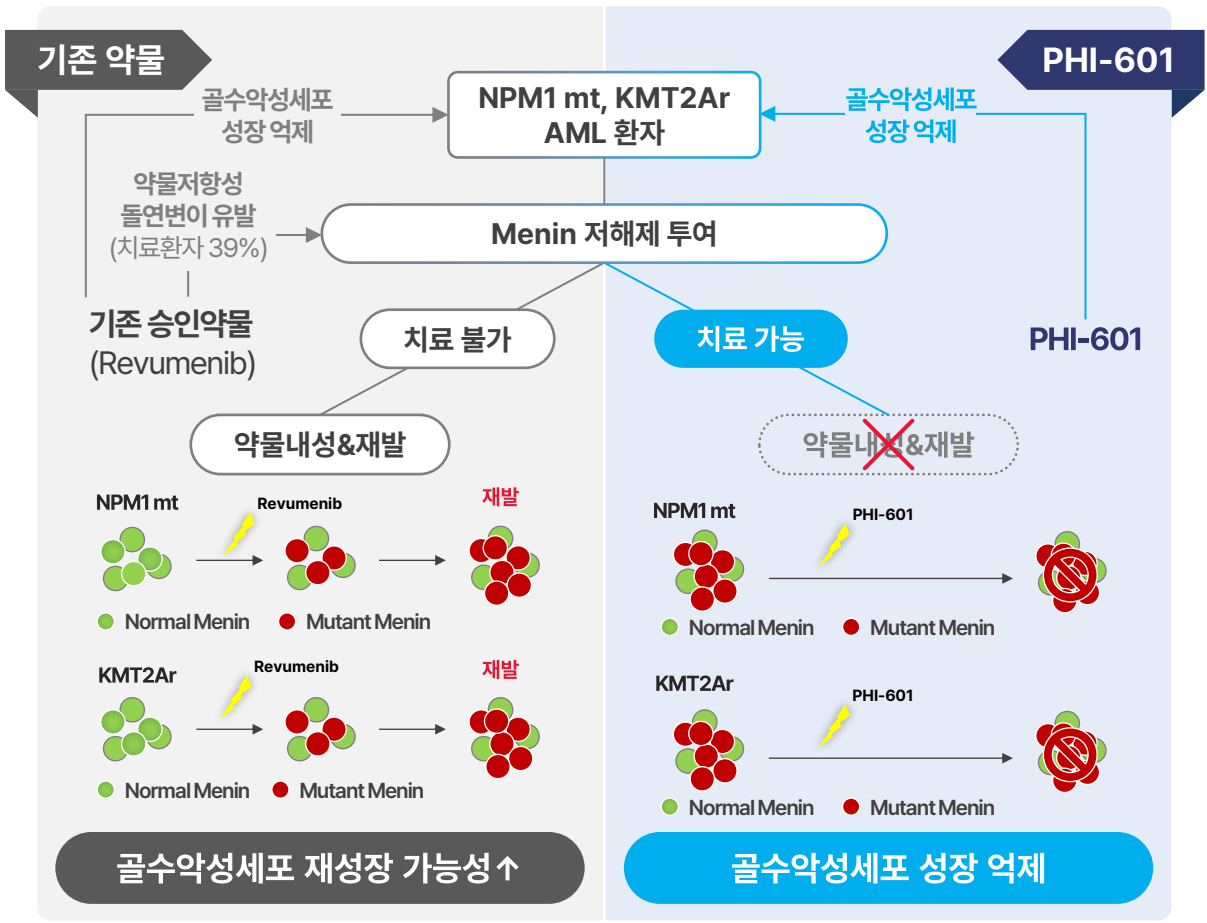
KURA ONCOLOGY **KYOWA KIRIN**

지프토메닙 Ziftomenib

- NPM1 mt 단독 요법 → FDA 승인
- KMT2A rearrangement 병용 요법, NPM1 mt 병용 요법 → 임상 3상

High Unmet Needs

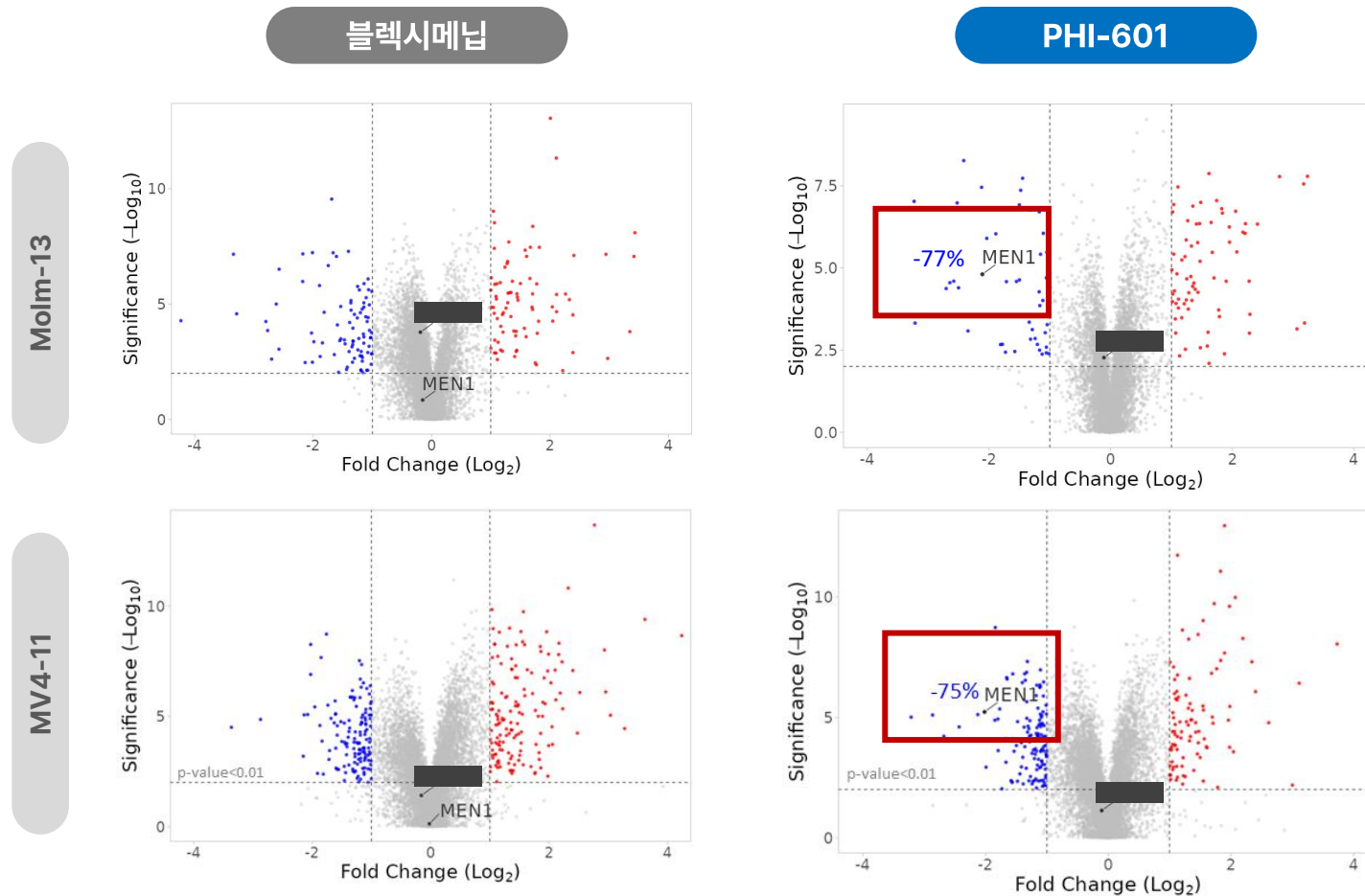
- ✓ 기존 치료제의 약효 및 생존을 개선 효과 낮음
- ✓ 기존 치료제 Revumenib에 대한 약물 내성 저항성 돌연변이 보고 → 치료 옵션 부재



Investment Highlights

우수 임상 파이프라인 확보 ... PHI-601 _ 경쟁약물 대비 우수한 Menin 억제 효과 확인

PHI-601 선도물질 도출: AML 암세포주 프로테오믹스 분석 결과(Volcano plot)



PHI-601 선도물질, Menin 단백질 발현을 75% ~ 77% 이상 감소시키는 것을 확인함

* 참고: Menin 저해제 개발현황

명칭	개발사	개발현황	주요 이슈
Ziftomenib	KURA ONCOLOGY	FDA 승인	기술이전 규모: 계약금 3.3억\$ 포함 총 11억\$ YOWA KIRIN
Revumenib	Syndax	FDA 승인	FLT3 변이 동반 시, FLT3 저해제와 경쟁력 부족
Bleximenib	Johnson & Johnson	임상 3상	1차 치료제와 병용 임상 개시
Enzomenib	Sumitomo Pharma	임상 1/2상	-
BN104	EIONOVA Pharma	임상 1/2상	-

Investment Highlights

뉴모달리티 신약개발... AI 신약개발 플랫폼 케미버스® _ ADC & TPD 영역으로 확장

케미버스®의 강점



✓ 구조 기반 케미컬 디자인 능력



✓ 희귀·난치성 타겟에 특화



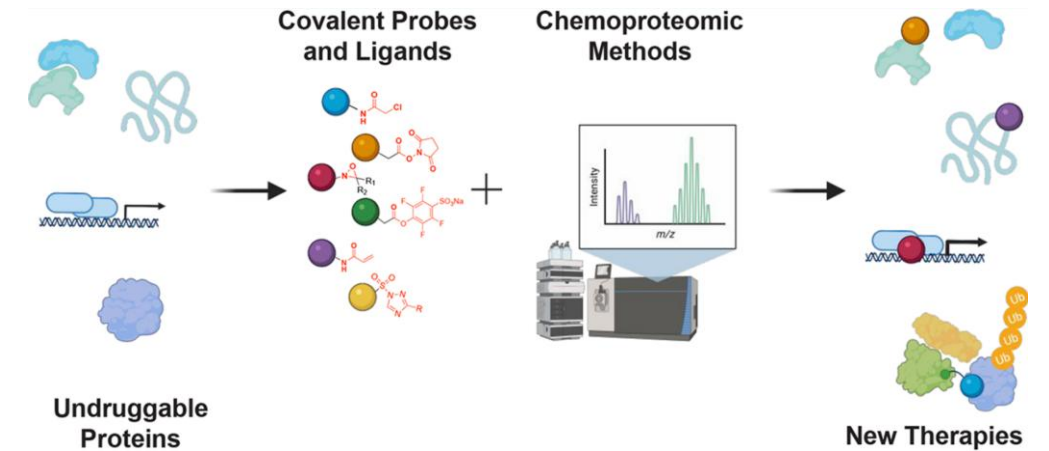
✓ 화합물 발굴 및 전임상/임상 개발 성공 경험



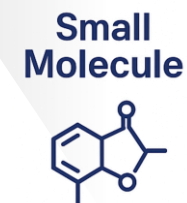
✓ 케미컬 핵심구조 빅데이터 보유



"Undruggable"을 "Druggable"로 바꾸는 전략적 패러다임 전환



*출처: Accounts of Chemical Research, 2021



고친화도 Ligand 설계 기술
링크 가능한 핵심구조 빅데이터 보유



케미컬(Chemical) 기반의 확장 가능한 플랫폼



차세대 모달리티 ADC/TPD로 확장 추진



Vision

The Best Target, The Best Chemical!

깜깜한 어둠 속에서 사활을 걸고 나아가는 항선(航船)에게
방향성을 제시하던 고대 알렉산드리아의 "파로스의 등대"처럼

전세계 바이오 벤처 및 제약사들에게 새롭고 창의적인 신약개발 솔루션과 방향성을 제시할 수 있는
글로벌 바이오텍으로 성장하여 하루빨리 희귀·난치성 질환 치료제를 개발해

전세계적으로 고통받는 환자들에게 새로운 생명과 희망을 주고,
인류 건강 증진에 이바지하는 세계 최고 수준의 기업이 되겠습니다.