



Investor Relations
2018

WORLD'S TOP STEM CELL COMPANY

KANGSTEM BIOTECH

(2018)

Disclaimer

본 자료는 회사의 영업활동에 대한 이해증진을 위해 (주) 강스템바이오텍 이하 “회사”에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 자료에 포함된 “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다.

이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 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 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경 될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.
(과실 및 기타의 경우 포함)

본 자료는 주식의 매매 및 투자를 위한 권유를 구성하지 아니하며 자료의 그 어느 부분도 관련 계약 및 투자 결정을 위한 기초 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

강스템바이오텍 (KSB)

기업개요

회사명	Kangstem Biotech Co., Ltd.
창립자	강경선 박사 現 서울대 수의대 교수
대표이사	이태화
사업영역	줄기세포 치료제 R&D
임직원	82
자본금	82억원
설립일	2010년 10월 29일
상장일	2015년 12월 21일 (KOSDAQ)

주요 사업장



본사
(서울 강남)



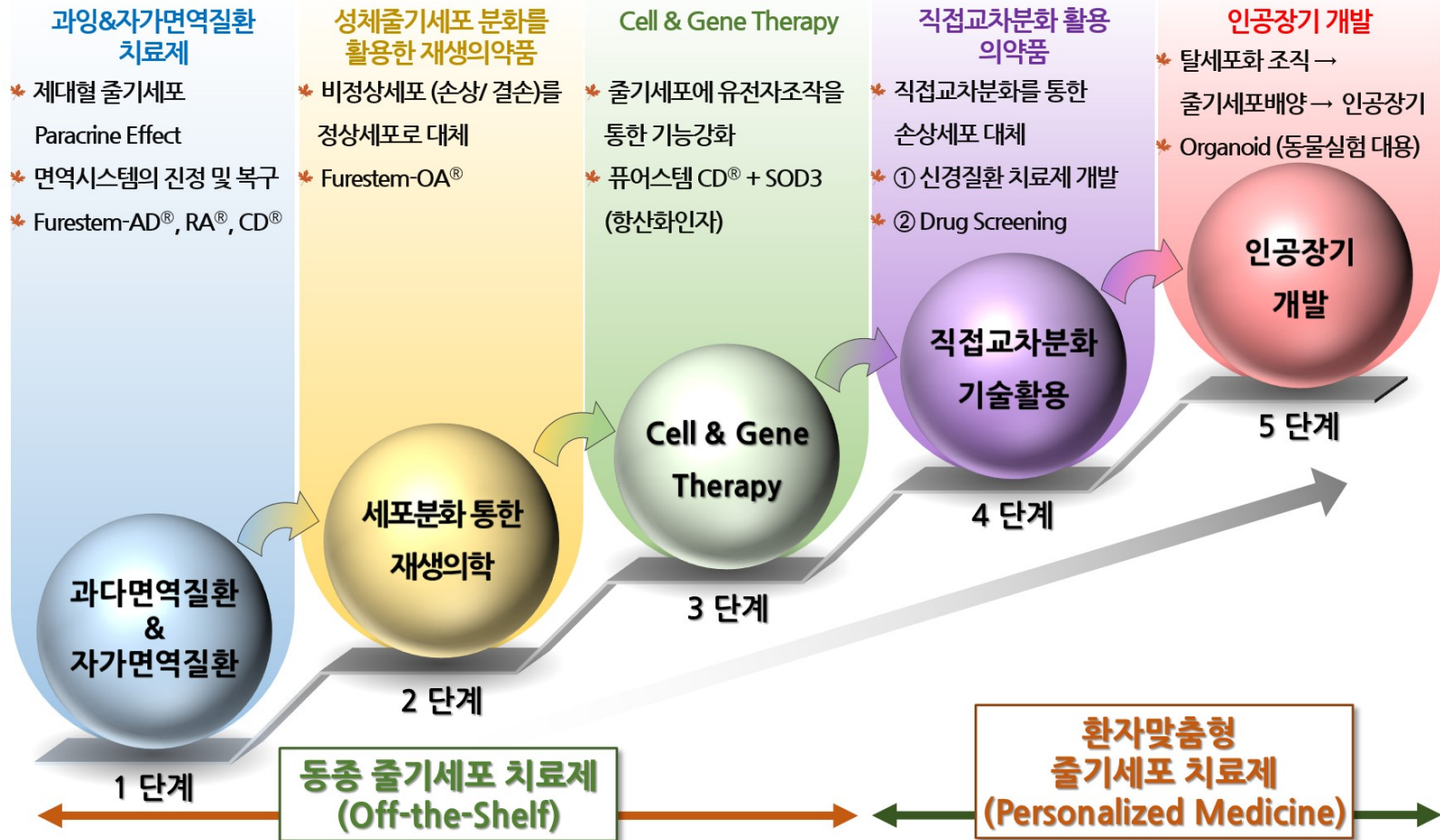
줄기세포 재생의학연구소
(서울대학교)



줄기세포 GMP 센터/생산본부
(경기도 광명시 소화동)

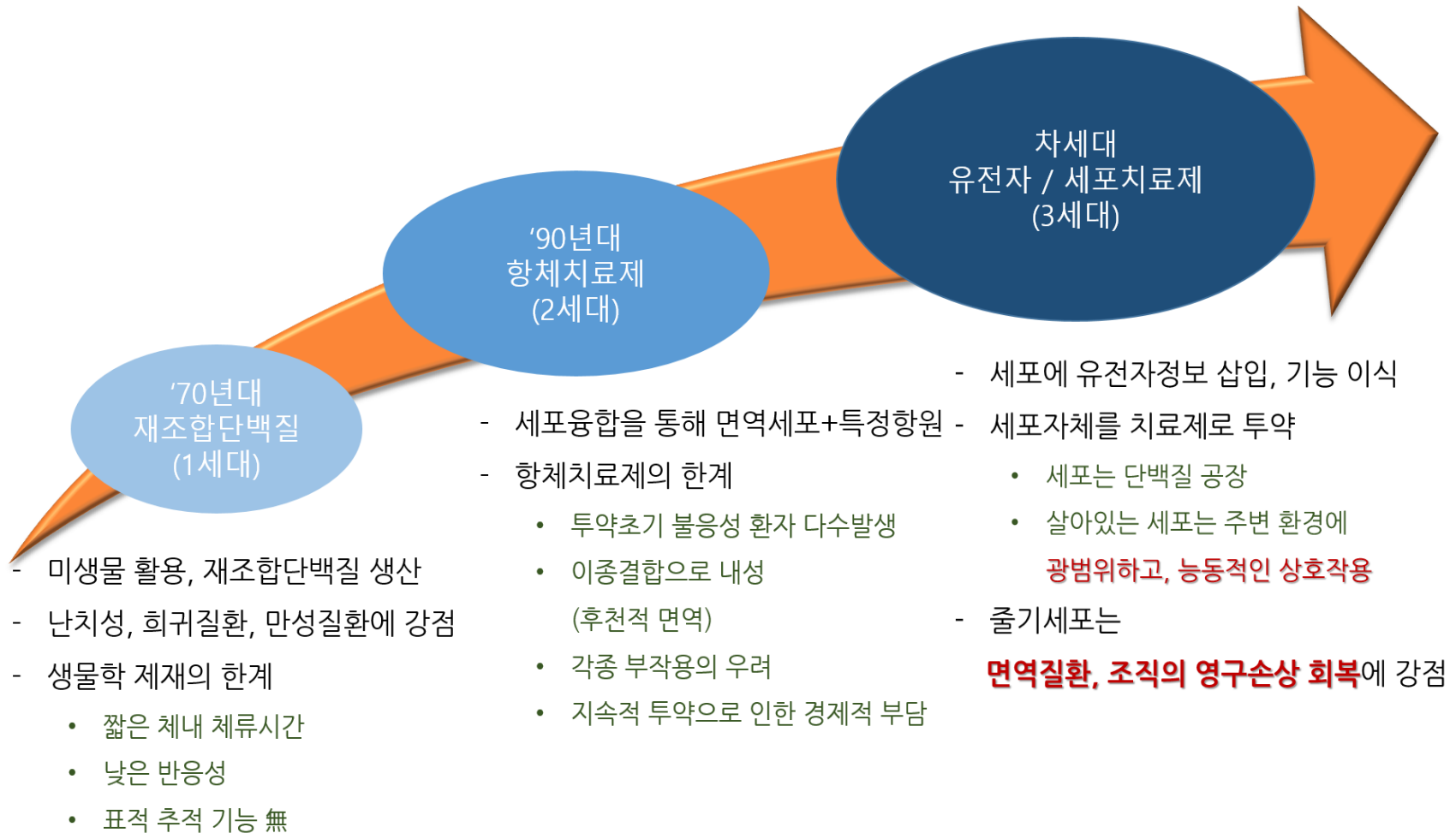
KSB은 지속 가능한 성장을 추구하는 줄기세포 전문 기업

KSB의 장기발전 Roadmap



바이오신약, 세포치료제로의 진화

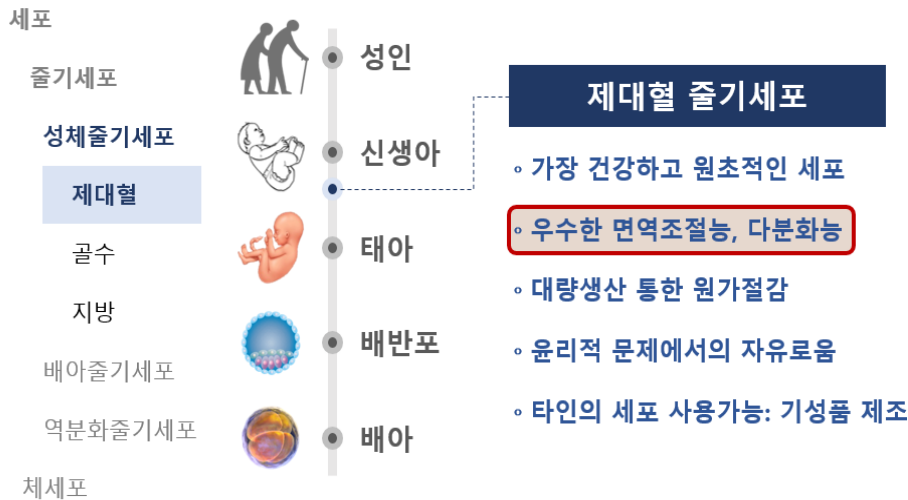
바이오신약 발달과정



제대혈 줄기세포의 특징

제대혈줄기세포, 자가면역질환대상 면역조절능 우수

제대혈줄기세포의 다분화능

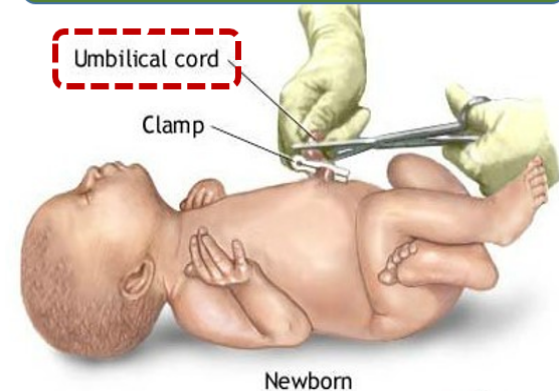


제대혈 줄기세포치료제, FURESTEM®

어 원 : 'FULL RECOVERY'(완치) + 'STEM CELL'(줄기세포)

의 미 : 난치병에 대한 현 치료제들의 한계를 극복하고, 완치를 실현하고자 하는 노력과 염원을 의미

제대혈줄기세포의 면역조절능



면역 관용 [Immunologic Tolerance]

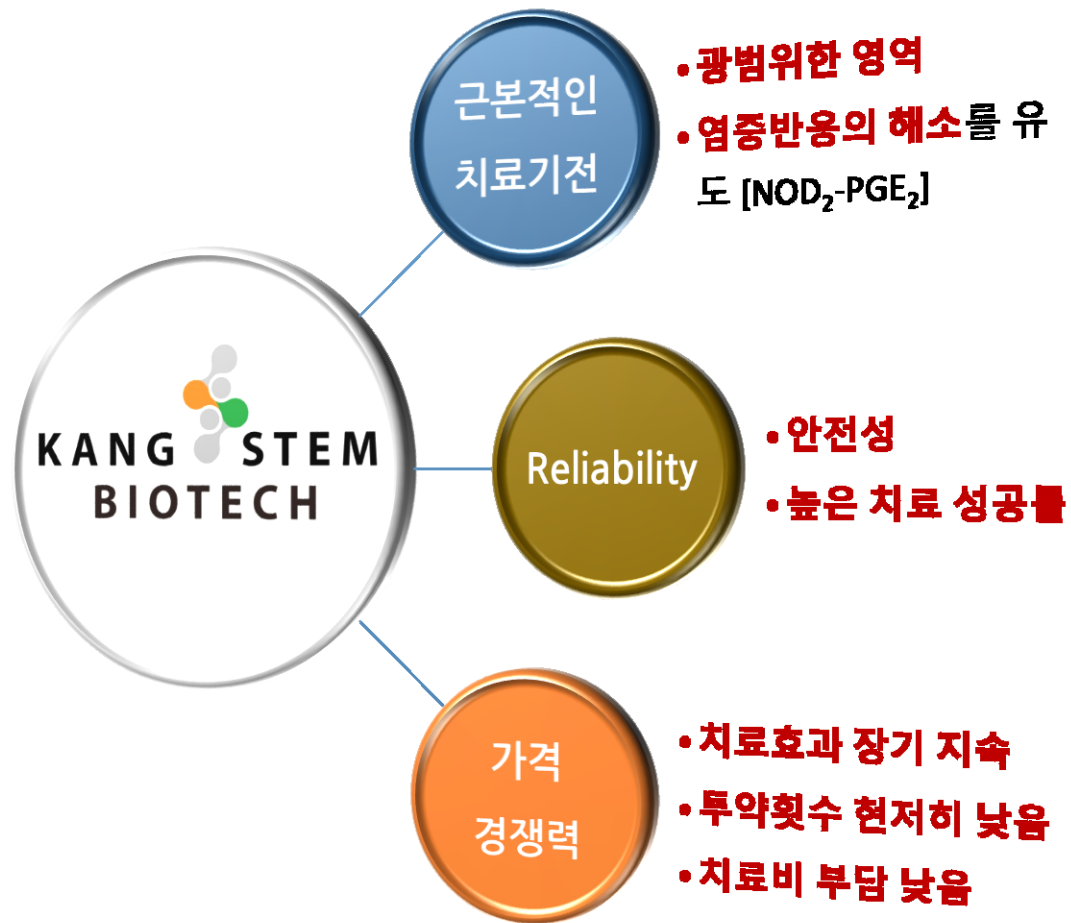
- 일반적으로 면역반응이 활성화되는 물질이 특정 조건등에서 활성화되지 않는 현상

제대혈의 면역조절능 [Immunosuppressive Nature]

- 산모의 몸에서 태아는 이질적 존재.
- 태아와 산모의 혈액을 통한 영양분 교환과정에서 산모의 면역체계로부터 태아 보호할 면역 관용 필요
- 제대혈의 줄기세포는 산모의 활성화된 면역 체계를 진정시킴

왜 퓨어시스템은 혁신적인가?

퓨어시스템의 핵심 경쟁우위 3가지

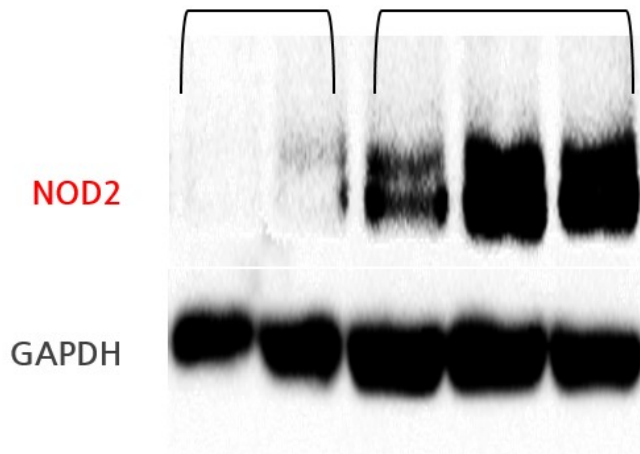


근본적 치료기전(II) 제대혈줄기세포의 면역조절능 탁월

타유래별 줄기세포대비 제대혈 줄기세포에서 [NOD2-PGE2] 高발현

유래별 줄기세포 NOD₂ 함량

他유래 줄기세포 대비
제대혈내 면역조절인자 NOD₂ 高함량
골수 제대혈

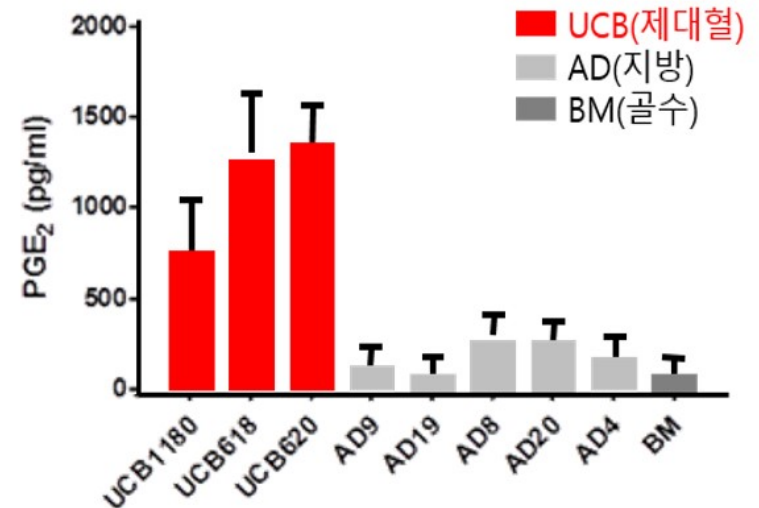


출처: 서울대 수의과학연구소

- 1) NOD2: 선천성 면역조절에 관여하는 단백질
- 2) GAPDH: Glyceraldehyde 3-phosphate dehydrogenase

유래별 줄기세포 PGE₂ 발현

他유래 줄기세포 대비
NOD₂수용체를 통한 PGE₂ 高발현



출처: 서울대 수의과학연구소

- 3) PGE2: 항염증 핵심인자

Reliability: '믿고 사용가능한 치료제' 지향

Furestem의 2無 2低 - [無거부반응, 無부작용 / 低초기불응성, 低내성발생]

Furestem, Reliable Therapeutics

안전성

- 줄기세포는 MHC Class II; HLA-DR 미발현 => **면역원성 無**
- 항체치료제와 달리, **부작용 無**

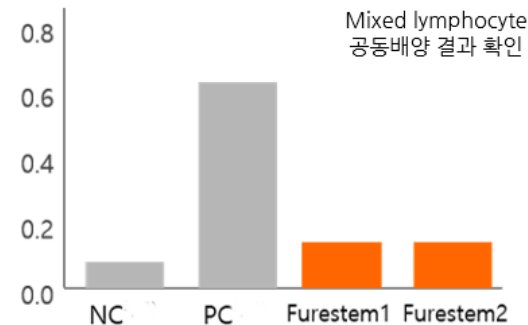
높은 치료 성공율

- 항체치료제: 초기 불응성 및 내성 발생가능성 상존
- Furestem: 초기 불응성 발생 가능성 低
- Furestem: 내성 발생 가능성 低

면역원성 Test (Immunogenicity)

면역 거부반응 없음

(림프구 혼합반응 검사)



출처: 서울대 수의과학연구소

4) NC: Negative control (음성대조군)

5) PC: Positive control (양성대조군)

6) MHC Class2: 거부반응에 관여하는 항원 중 하나

가격경쟁력: 장기 지속 치료효과로 경제성 확보

퓨어시스템의 가격경쟁력 발생 원인

- 퓨어시스템은 질병에 대한 보다 **근본적인 접근** 지향
- 장기간 효과 지속 $\Rightarrow$ 투여횟수 $\downarrow$ $\Rightarrow$ 가격경쟁력
- 항체치료제대비 연간 단위 환자부담 치료비 낮음

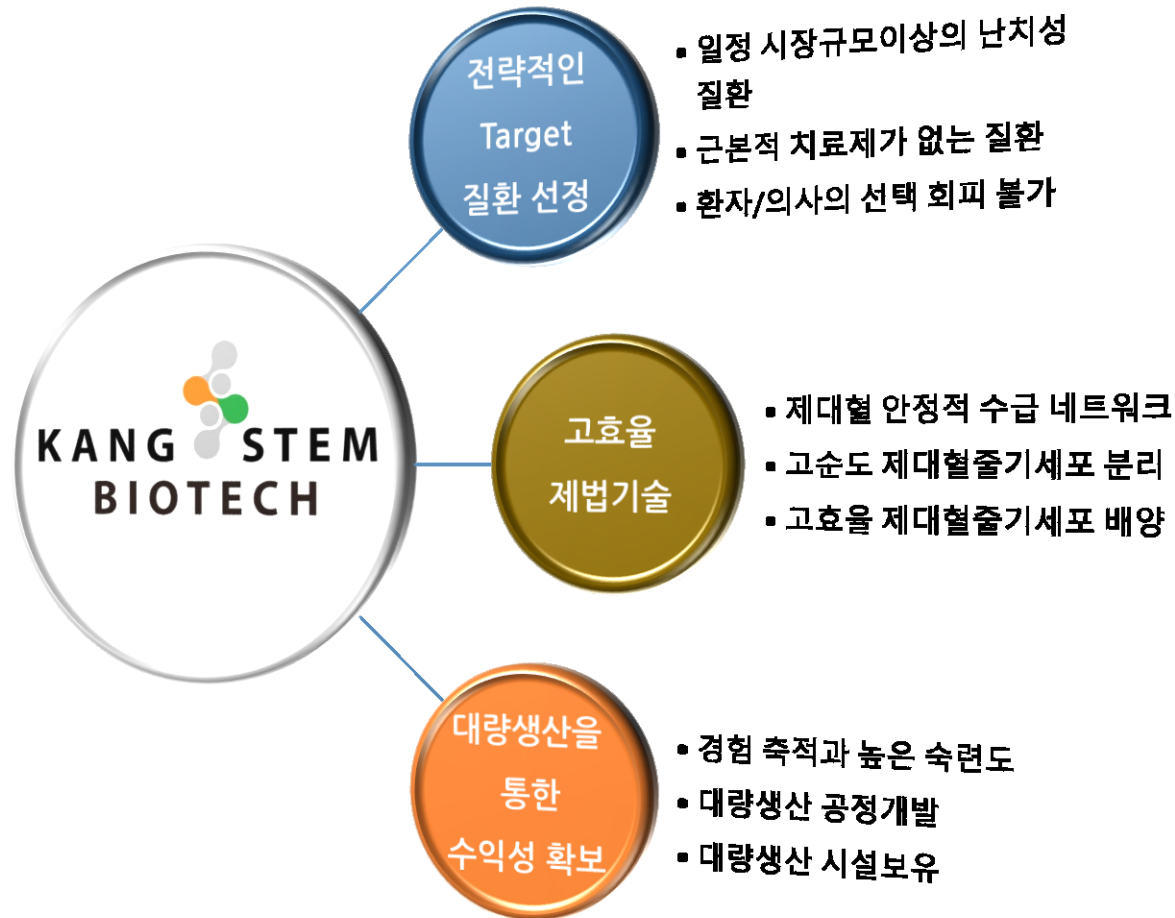
퓨어시스템의 가격경쟁력



가격경쟁력 $\uparrow$

강스템바이오텍의 전략적 경쟁력

KSB의 3가지 전략적 가치



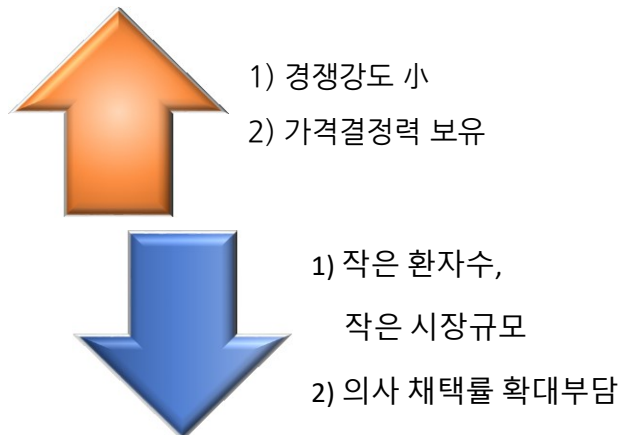
전략적인 Target 질환 선정

[주요 Target 질환]

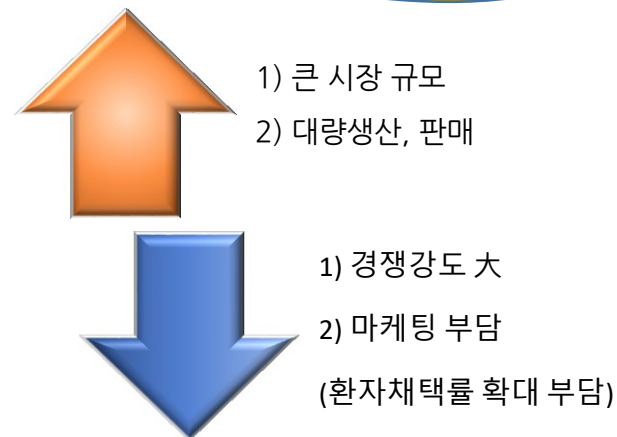
- 일정 수준 이상의 시장규모가 있는 난치성 질환
- 근본적인 치료제가 없는 질환
- 환자와 의사가 선택을 회피할 수 없는 질환

희귀 난치성 질환과 일반 난치성 질환간 Balance

희귀 난치성 질환



일반 난치성 질환



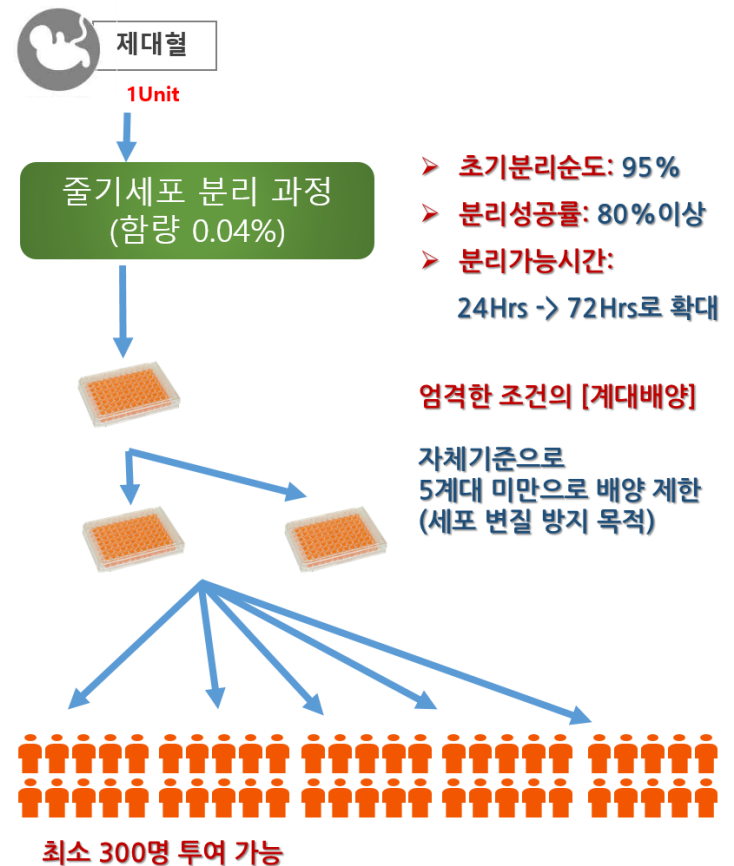
고효율 제법 경쟁력

고순도 분리 기술 및 고효율의 배양 기술로 경제성 확보

항체치료제 vs. 세포치료제 제법 비교

구분	항체치료제 (2세대)	세포치료제 (3세대)
원료물질	동물세포 부산물	인간세포 자체
생산과정	세포주 + 특정 유전자 ↓ 세포 배양 ↓ 정제&여과 (세포사멸) ↓ 부산물 수확	세포 분리 ↓ 세포 배양 ↓ 세포 수확
배양방식	부유배양 (자동화)	부착배양 (자동화 어려움)
생산시설	Bio-Reactor	KSB: Cell Stack

고순도 분리 & 고효율 배양

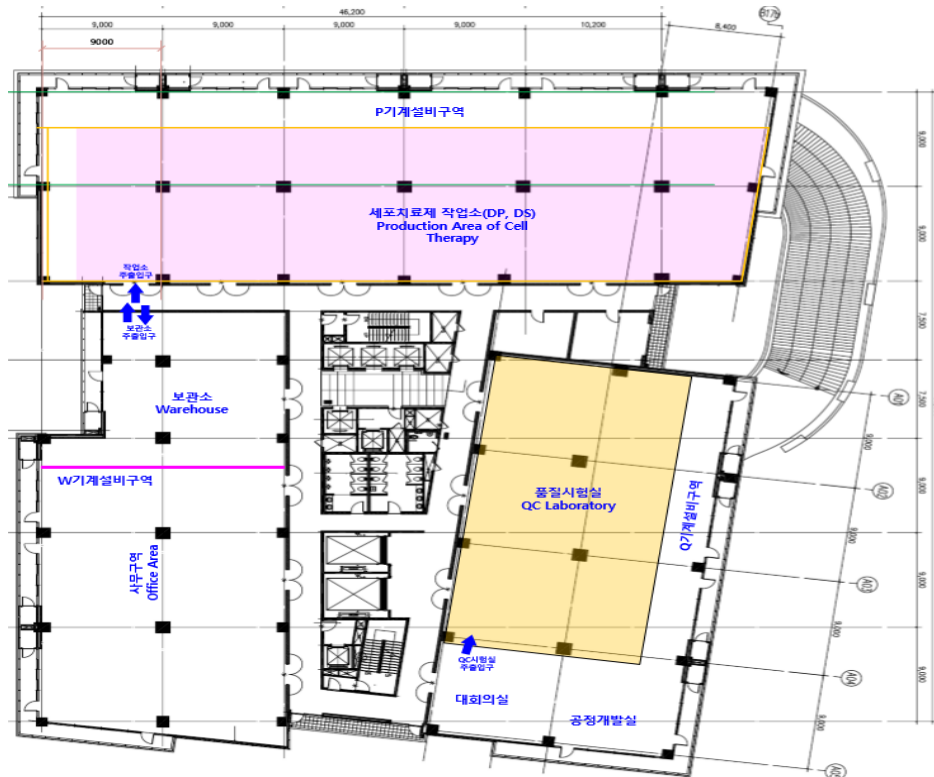


대량생산기술: 공정 개발과 Know-how

대량생산을 위한 GMP 생산시설 증축

- 임상시약 생산시설 ⇒ 대량 생산시설
- 시장수요 확대시, 시장수요 충족
- 대량생산을 통한 원가 절감 및 수익성 확대

GMP 센터 증축 계획



- 총투자규모: 약 175억원
- 총면적: 2,600m² (28,000 sq ft)
- 연간 CAPA: 30,000 vials/yr
- 증축 계획
 - ✓ '18년 11월 착공
 - ✓ '19년 상반기 완공
 - ✓ '20년 식약처 Validation 완료
- 기 타: KGMP 규정 준수, 향후 cGMP 및 EU-GMP 신청계획

주요 Pipeline

KSB 파이프라인별 임상진행

구분	제품명	대상질환	국가	기초 연구	비임상	임상			비고
						1상	2상	3상	
Sponsor Initiated Trials	Furestem- AD®	아토피 피부염	한국				임상 3상 진행 중		
			유럽				유럽 EMA 2a상 권고		
	Furestem- RA®	류마티스 관절염	한국				1상 완료(단회투여)		
							1/2a상(반복투여) 진행 중		
	Furestem- CD®	크론병	한국				1/2a상 진행 중		
		건선	한국				1상 진행 중		
	Furestem- OA®	퇴행성 관절염	한국				Heraeus Medical		
Next Generation	dcNSCs	치매 알츠하이머	한국						
	dcHSCs	AIDS	한국						

출처: 강스템바이오텍

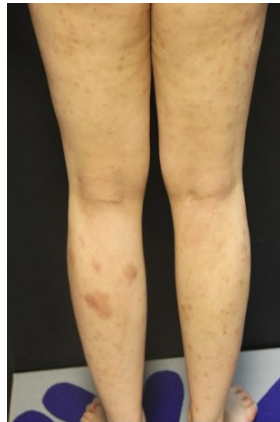
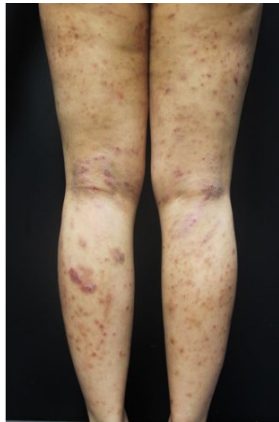
FURESTEM-AD® - 1/2a 임상 결과 (1)

Phase 1/2a Result

투약전



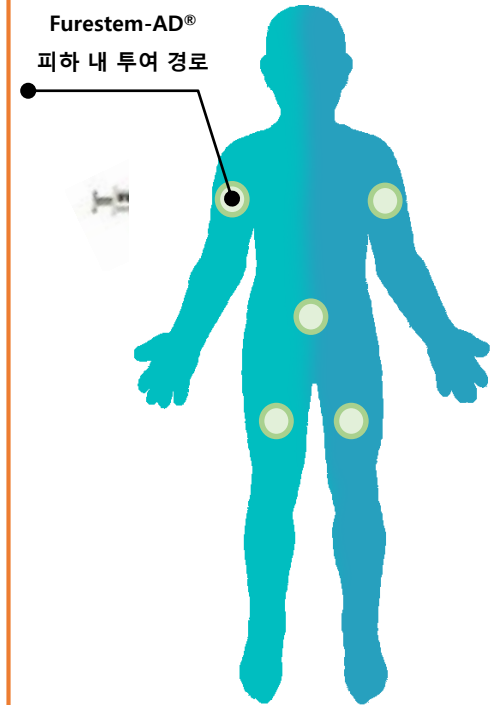
투약 후 12주



Stem Cells: Translational and Clinical Research. May. (2016)

구분	1상	2a상
대상	중등도 이상의 아토피피부염에 대한 안전성 및 유효성 평가	
임상 승인일	2013.01	
임상 기간	2013.11 ~ 2015.05 (18개월)	
시험 대상자	6명	26명
임상 시험기관	 가톨릭대학교 서울성모병원	
투여군	저용량군: 2.5×10^7 cells (3명/12명) 고용량군: 5.0×10^7 cells (3명/14명)	

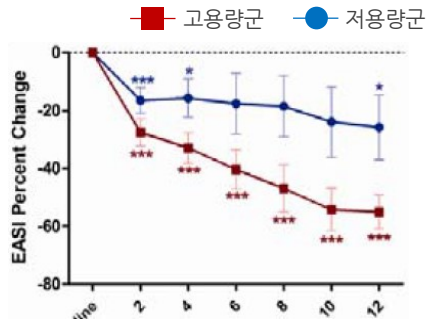
Furestem-AD®
피하 내 투여 경로



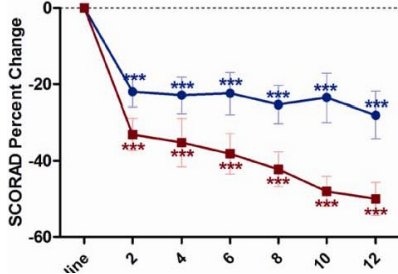
상박부	2 sites
복 부	1 site
대퇴부	2 sites

FURESTEM-AD[®] - 1/2a 임상 결과 (2)

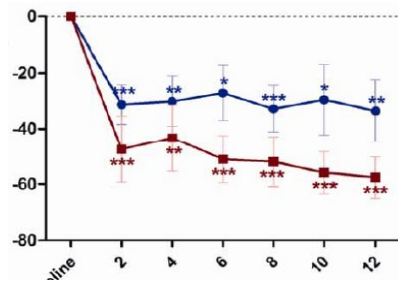
EASI¹⁾ 변화



SCORAD²⁾ INDEX 감소율



가려움증 감소율



Kim et al. Stem Cells, (2016)

투여 용량에 따른 유효성 비교

구분	세포 수	환자수	EASI-50 감소율 (평균)
고용량군	50,000,000개 (5.0×10^7 cells)	12명	55%
저용량군	25,000,000개 (2.5×10^7 cells)	14명	36%

- ✓ 모든 용량군에서 아토피 피부염 관련 평가지표의 유의적 감소 확인
- ✓ 고용량군 (5.0×10^7 cells) 에서 상대적으로 높은 감소율 기록
- ✓ 용량상관성 확인

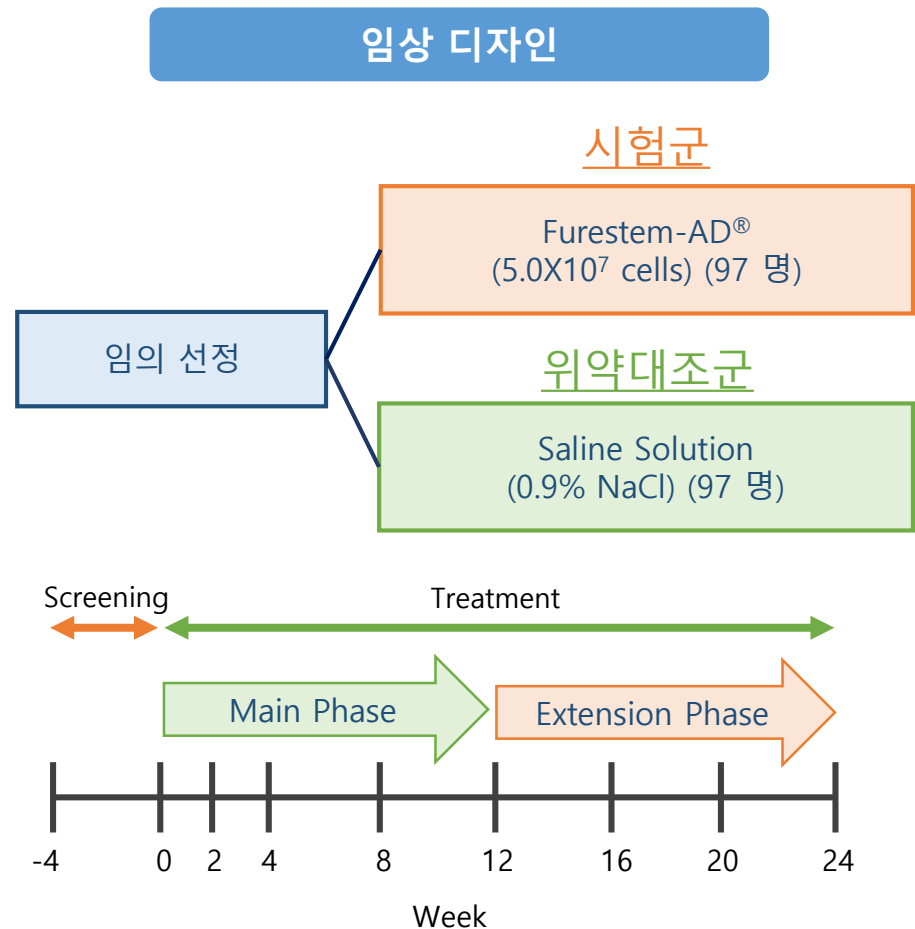
주: 1) EASI(Eczema Area and Severity Index): 아토피피부염의 4가지 징후의 중증도를 점수화 하는 체계

2) SCORAD(Scoring of Atopic Dermatitis): 아토피 피부염 증상 지수

FURESTEM-AD® - 3상 설계

아토피 피부염 치료제 임상 3상 승인

구분	3 상
대상	중등도 이상의 만성 아토피 피부염 성인환자
목적	유효성 (위약 대비 치료적 우월성)과 안전성 평가
환자수	194
평가지표	EASI-50(Reduction Rate)
임상기간	임상 3상 승인 (2017. 12) 2018 1분기 내 시작 예정
시험기관	 총 11개 병원에서 진행 예정

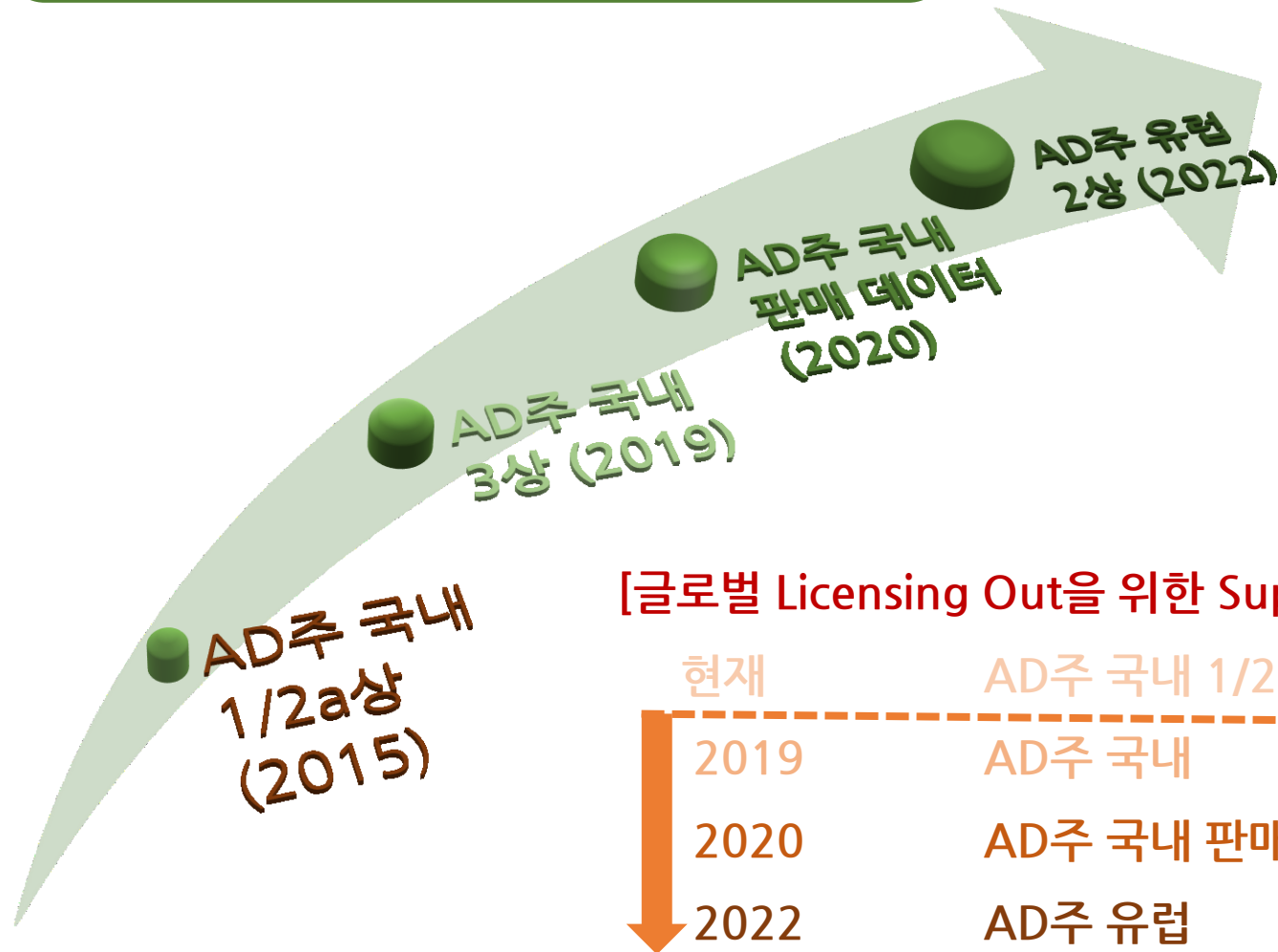


Planning clinical trial in Europe with global CRO and CMO

Study Title	Phase 2a Clinical Trial to Evaluate the Efficacy and Safety of FURESTEM-AD inj.		
Target	For moderate to severe chronic atopic dermatitis patients		
# of Subjects	150		
Group	Single dose (50)	3 repeat doses (50)	Placebo 3 repeat doses (50)
Dose	1 x 10 ⁸ cells	(1 x 10 ⁸ cells) x 3 times	Normal saline
Efficacy Assessment	Primary efficacy end point		EASI-75 score
	Secondary efficacy end point		EASI-50 and SCORAD scores
Site Total 6 Sites Scheduled	Total 6 sites in three European countries		

[Furestem-AD[®]] 글로벌 Licensing Out 기대

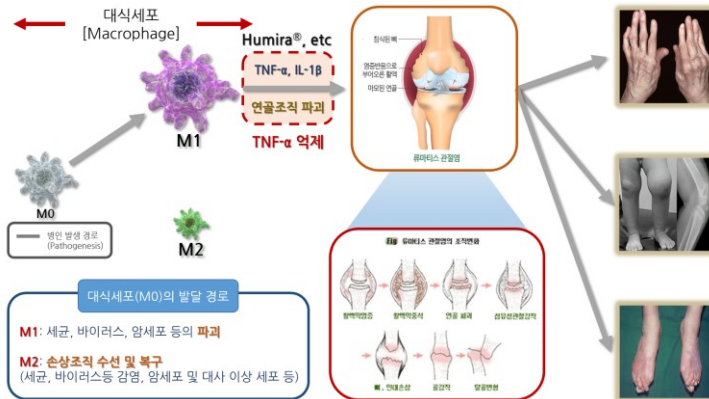
연도별 AD주 임상 및 판매 데이터 확보 계획



출처: 강스템바이오텍

[Furestem-RA®] 기존 치료제대비 기전적 우위 [휴미라 외]

항체치료제와의 작용 기전 비교



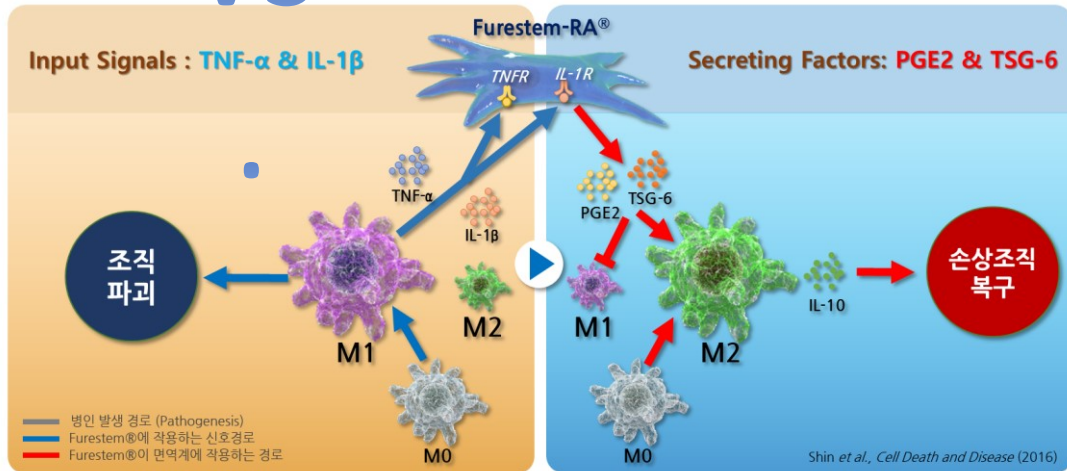
휴미라, 레미케이드, 엠브렐 (항체치료제)

- TNF- α 차단
- 부작용과 내성 우려

Vs

퓨어스텝-RA (줄기세포치료제)

- M1-type 대식세포 활성화도 낮춤
 - > 염증성 사이토카인 분비 중단
- M2-type 대식세포 활성화도 높임
 - > IL-10 분비



- FURESTEM-RA®는 M1-type macrophage(염증 유발)의 활성화를 억제, M2-type macrophage의 활성화를 촉발시킴
[TNF- α -mediated activation of cyclooxygenase-2 (COX-2) and TNF-stimulated gene-6 (TSG-6)]
- M2 macrophage는 염증 반응 억제 및 손상 세포조직 재생에 관여

[Furestem-RA[®]] 임상시험

단회투여 기준 1상 완료, 반복투여 기준 1/2a상 실시중

류머티즘 치료제 임상 결과 및 계획

1상 결과 요약

구분	1상 단회투여 임상시험
대상	중등도 이상의 류마티스 관절염 환자에 대한 안전성 평가
임상기간	2014.10 ~ 2015.10
시험대상자	9명
임상시험 기관	서울대학교병원 운영 서울특별시보라매병원
결과	• '염증평가' 및 '질병활성도평가' 평균적으로 감소 • 삶의 질 점수가 전반적으로 증가

출처: 강스템바이오텍

1/2a상 임상시험 설계

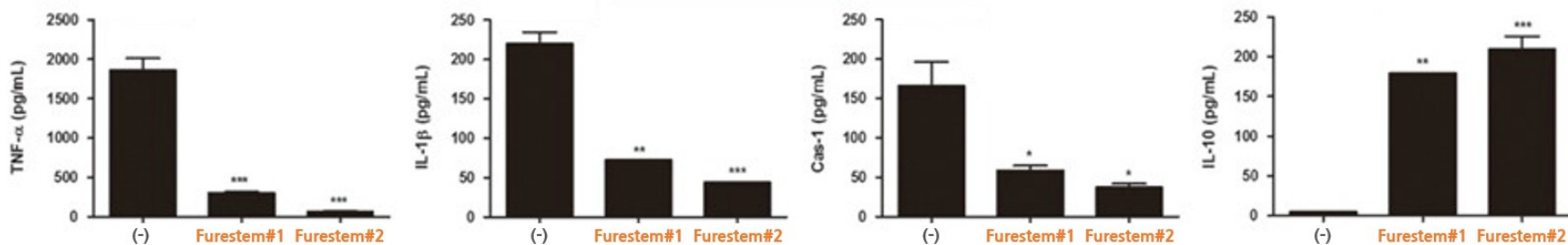
구분	1/2a상 반복투여 임상시험
내용	용법용량 설정 및 유효성 탐색을 위한 반복투여 예정
시험대상자	33명
임상시험 기관	서울특별시보라매병원 외 3~5개 기관
투여 간격 및 횟수	4주 간격 3회 투여 (5×10^7 cells vs 1×10^8 cells)
추진일정	2018.02 1/2a상 임상시험계획서 승인

[Furestem-RA®] 임상 1상에서 확인된 결과

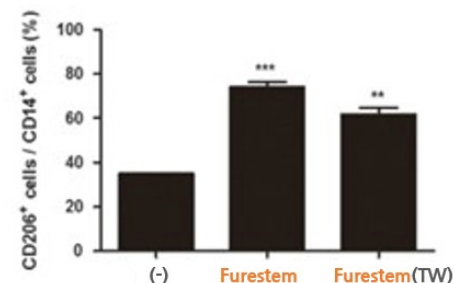
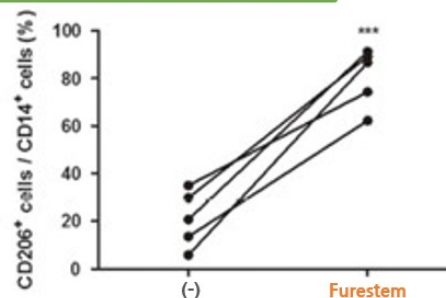
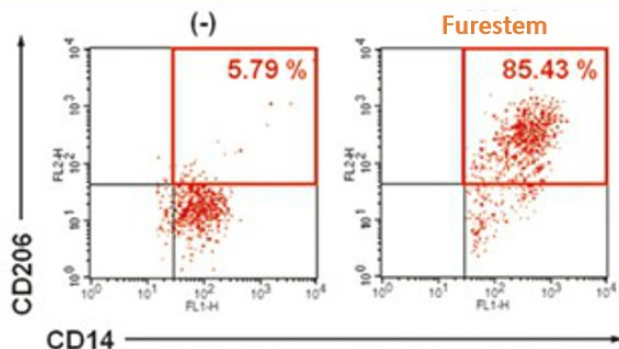
임상 환자 혈액 결과: 염증 유발물질의 감소, M2-type 대식세포 증가 확인

임상1상후 혈액 검사 결과

Cytokine Levels



M2 Macrophage



Shin et al., Cell Death and Disease (2016)

출처: 강스템바이오텍

[Furestem-RA®] 상품성 비교

퓨어시스템의 지향점: ① 근본적 치료 효과

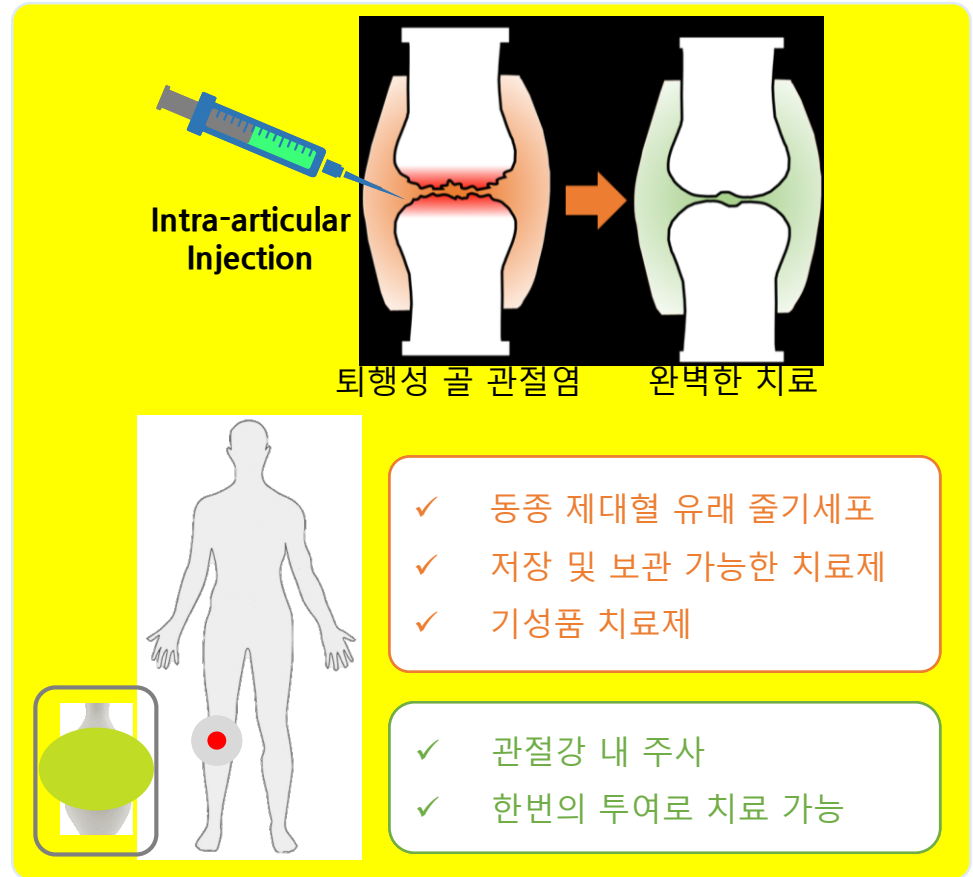
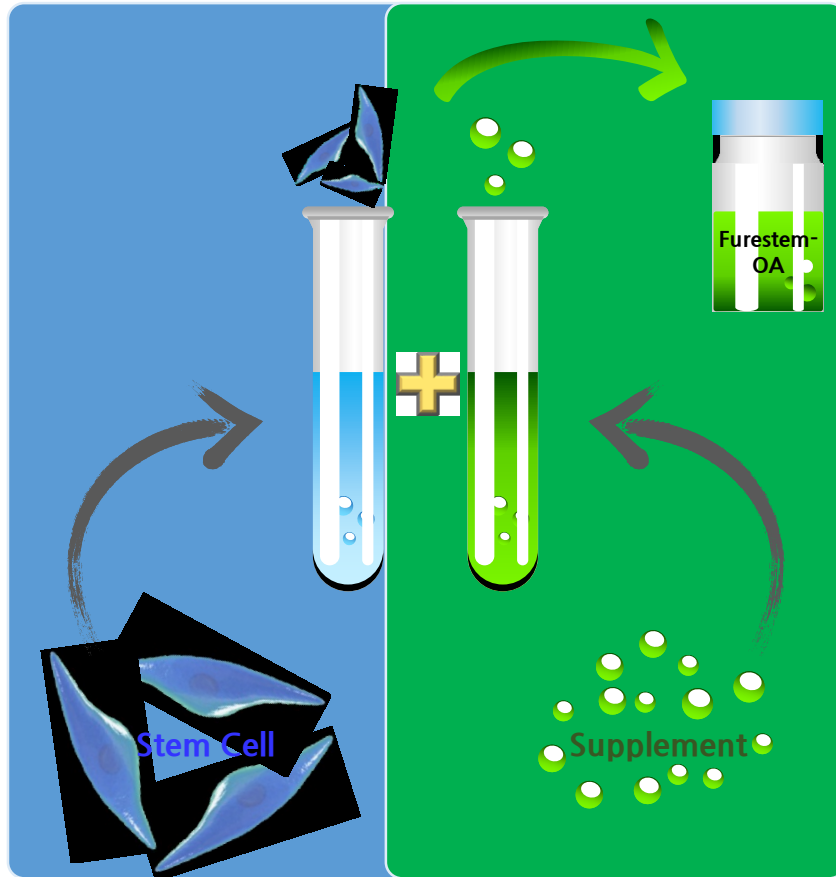
② 안전성 (부작용無) & ③ 가격경쟁력

류머티즘 관절염 치료제 비교

제품	Furestem-RA®	Humira	Remicade	Enbrel
구분	제대혈 줄기세포 치료제	단크론항체 치료제 (TNF-α Block)		
개발사	강스템바이오텍	AbbVie	J & J	Amgen
투여주기	반복투여 총 3회 (4주 간격)	2주 1회 (연 26회)	2~6주 1회 (연 9~26회)	1주 1~2회 (연 105회)
부작용	없음	결핵, 감염, 신경계 이상, 악성종양, 림프구증식 질환, B형간염, 울혈성 심부전		
효과지속성	없음	내성발생에 따른 3개 항체치료제간 순환투약		
글로벌 매출액 (2017년)	?	20조원 (Global)	7조원 (US Only)	6조원 (미국 Only)

[Furestem-OA®] 퇴행성 골 관절염 치료제-특성

퇴행성 골 관절염을 목적으로 하는 주사용 세포 치료제



[Furestem-OA[®]] 기존 치료제 비교

1. 기존 치료제의 장점만 Mix
2. 탁월한 연골생성 효과 기대

골관절염 치료제 비교

연골생성*
(임상)

통증완화
(임상)

치료방식

목표
치료효과

원료



강스템바이오텍



A사



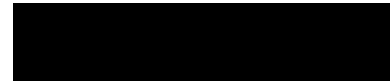
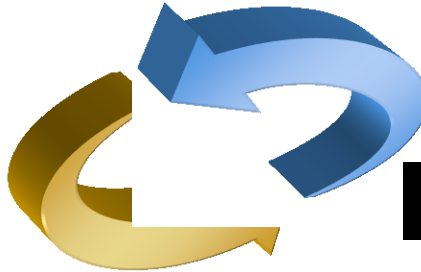
B사

주*) 결손연골 치료방식은 2가지: ① Paracrine Effect로 결손부위 자가 생성 촉진, ② 투입 세포의 세포분화를 통한 결손부위 회복
출처: 강스템바이오텍

[Furestem-OA®] Heraeus Medical과의 Licensing Deal

FURESTEM-OA에 대한 비임상 & 1상 실험 공동진행 (Joint Development Agreement)

KANG STE
BIOTECH



계약 체결일

2017년 9월 7일

Target 치료제

- 연골 재생
- 통증 감소

국내 최초
줄기세포 치료제의
글로벌 계약

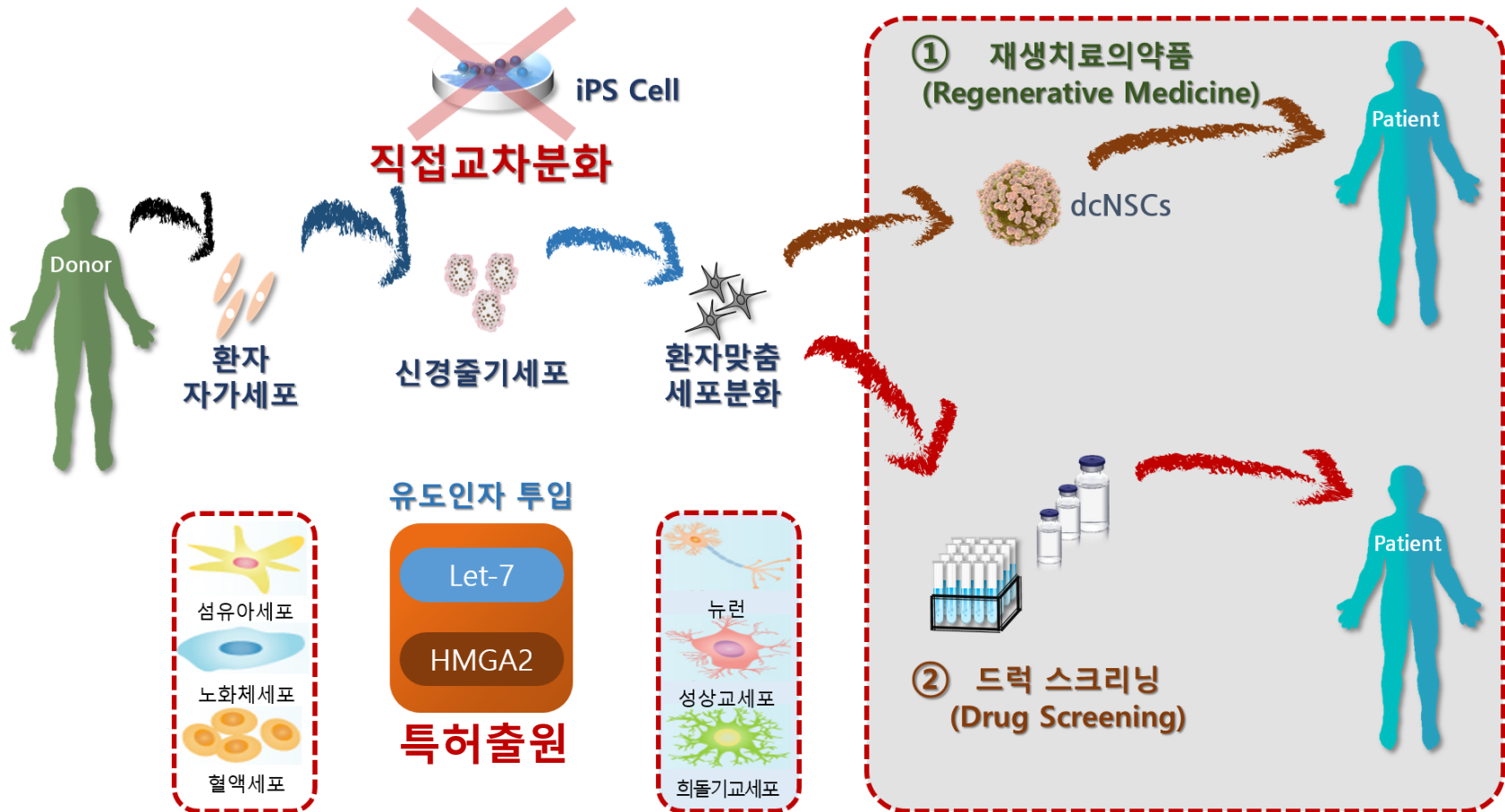
글로벌 LO

우선권보유

직접교차분화 신경줄기세포 [dcNSCs]

특허 선점을 통한 Royalty 수입 or License Out 기대

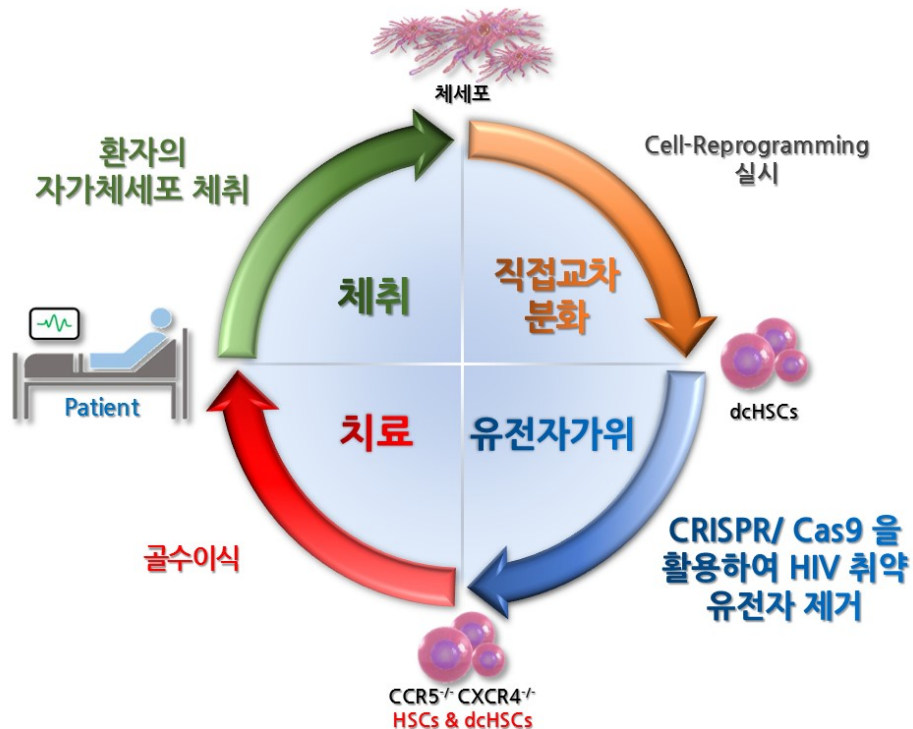
dcNSCs 비즈니스 방향



출처: 강스템바이오텍

CRISP기술을 활용한 AIDS 치료제 [dcHSCs]

dcHSCs 개념



- AIDS 환자의 체세포 채취 & 조혈모세포로 직접교차분화
- 조혈모세포에서 HIV 취약 유전자[CCR5 & CXCR4 gene] 제거 [Double Knockout]
- 해당 조혈모세포를 AIDS 환자에게 골수이식

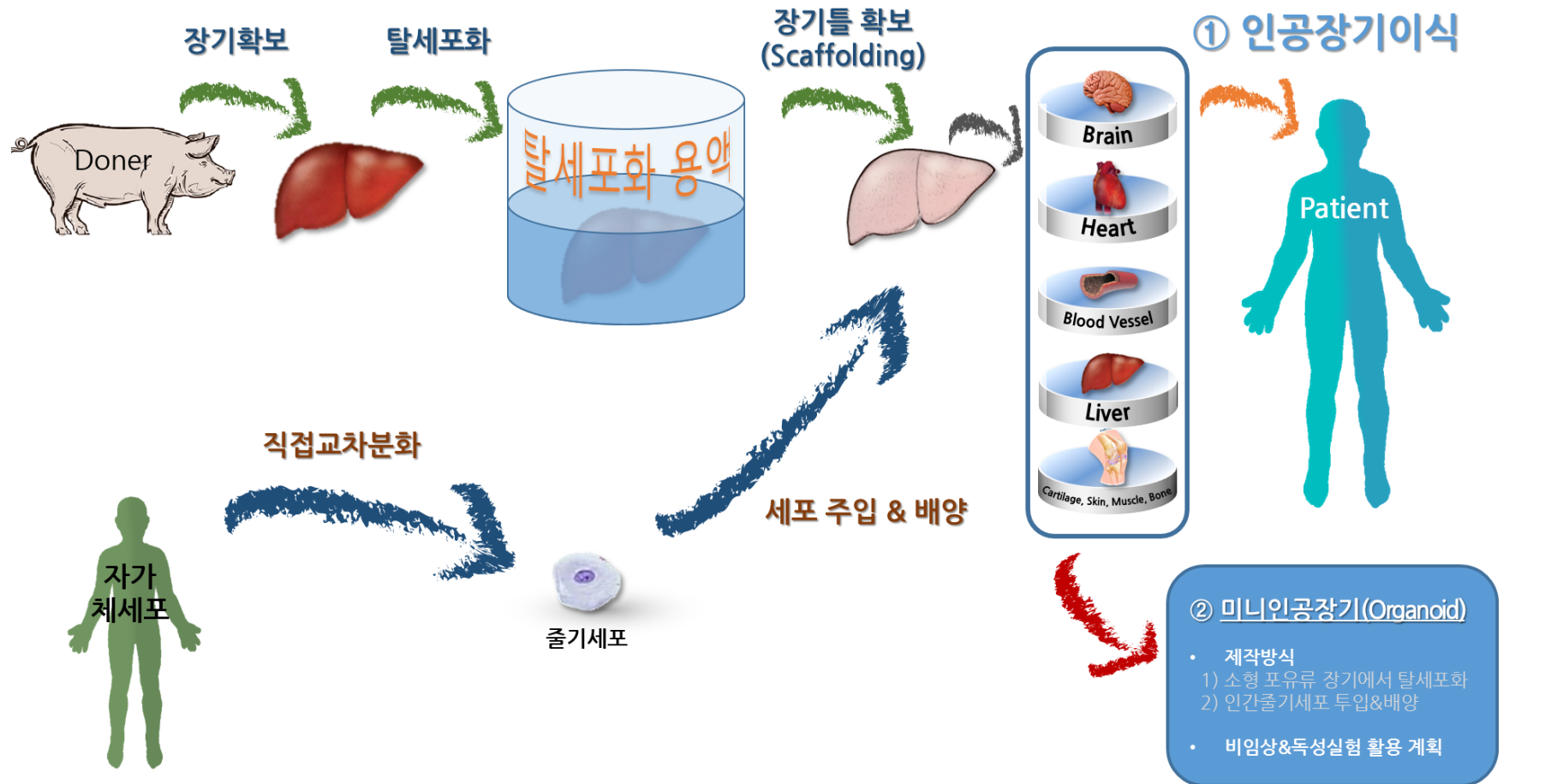
출처: 강스템바이오텍

- 직접교차분화 & CRISP기술을 활용
- 기존 AIDS 치료제
 - 3가지 이상의 약제 동시 사용 (각테일요법)
 - 매일 복용 중단시 HIV 증가 (완치불가)
 - 평생 치료비 2~3억원 예상
- dcHSCs
 - HIV 바이러스 완전 제거 (AIDS 완치 목표)

직접교차분화 인공장기 [Organogenesis]

환자맞춤-줄기세포 치료제 개발의 최종 단계는 인공장기

인공장기 비즈니스 방향

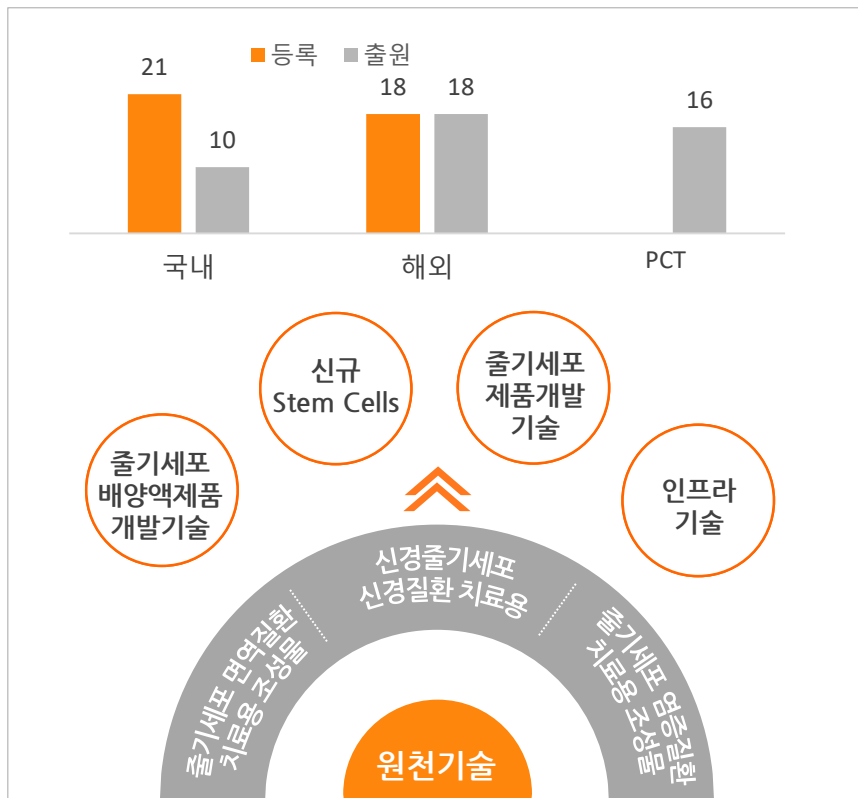


출처: 강스템바이오텍

KSB 특허권 리스트

원천특허와 조성물 특허 등록을 통한 진입장벽 구축

특허 포트폴리오 구축



출처: 강스템바이오텍

원천특허

- ✓ ZNF281을 발현하는 제대혈 유래 만능줄기세포의 분리방법
(등록: 한국, 일본, 러시아, 호주, 중국, 말레이시아 / 출원: 미국, 유럽 등 10개국)
- ✓ ZNF281을 발현하는 제대혈 유래 만능줄기세포의 대량배양방법
(등록: 한국)
- ✓ ZNF281을 발현하는 제대혈 유래 만능줄기세포
(등록: 한국)

조성물특허

- ✓ NOD2의 아고니스트를 처리한 줄기세포 또는 그 배양물을 포함하는 면역질환 또는 염증질환의 예방 또는 치료용 약학 조성물
(등록: 한국, 일본, 미국, 중국 / 출원: 유럽)
- ✓ 줄기세포를 유효 성분으로 함유하는 면역질환 또는 염증질환의 예방 또는 치료용 조성물
(등록: 한국)
- ✓ DNA 메틸기전달효소 억제제를 처리한 줄기세포 또는 그 배양물을 포함하는 면역질환 또는 염증질환의 예방 또는 치료용 약학 조성물
(등록: 한국)
- ✓ PI3K/AKT/GSK3경로를 통해 성체줄기세포의 증식, 다분화능 및 재프로그래밍을 촉진하는 CD49f
(등록: 미국, 중국 / 출원: 한국, 유럽)



감사합니다