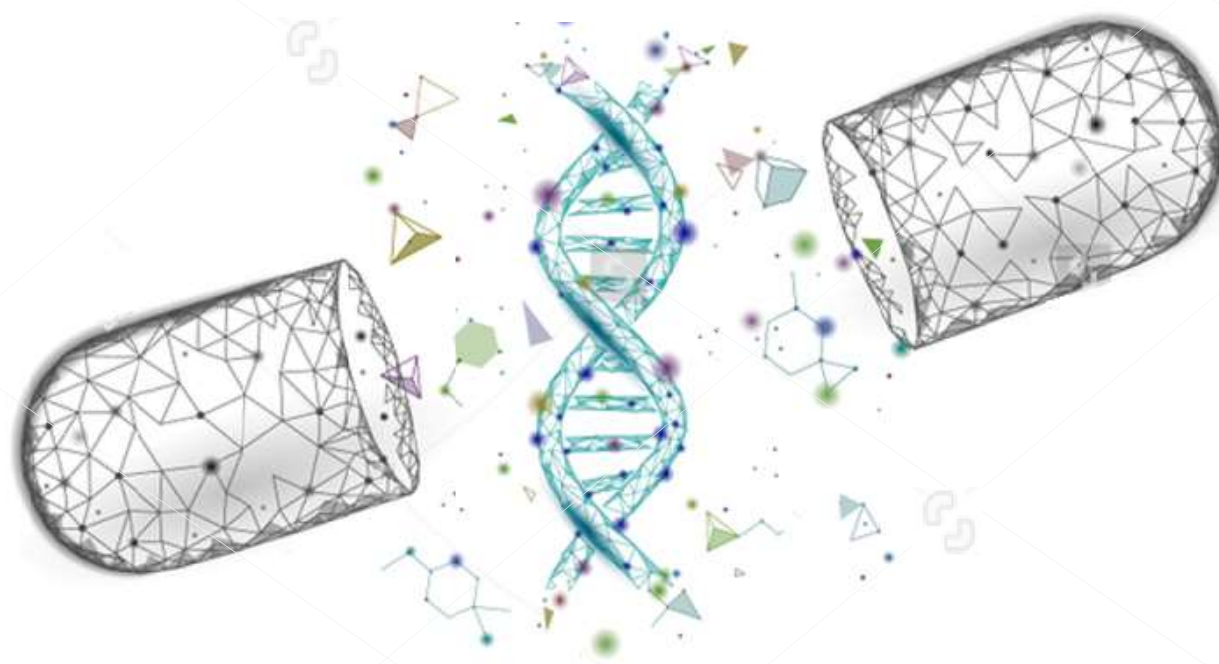


Investor Relations 2023

Genexine



경영진

Management & experts in biopharma innovation



CEO
홍성준

로킵헬스케어, 총괄사장
한독, CFO
나이키 코리아, CFO
필립모리스,
대우자동차

반더빌트 법학대학 석사 LL.M
연세대학교 MBA



Clinical Dev.

변미선 박사
제넥신 임상과학실장
전임상 개발 팀장
인하대학교 박사후 연구원

가톨릭 대학교 의대, Ph.D.



Business Dev.
박현진

대웅제약 글로벌개발전략본부장
GSK 코리아

알토대학교 MBA
성균관대학교 약대



Bio Research Institute
권광현 박사

제넥신 정제팀장
제넥신 바이오연구소 유닛장
포항공대 박사후 연구원

포항공대 생명과학, Ph.D.

이사회

Experts in biopharma innovation



김영진 의장

한독 회장 & CEO

연세대학교 경영학
인디애나 대학교 MBA



홍성준

로켓헬스케어, 총괄사장
한독, CFO
나이키 코리아, CFO
필립모리스,
대우자동차

반더빌트 법학대학 석사 LL.M
연세대학교 MBA



Peter Laivins

뉴로 코그니티브인사이츠, 설립자
엘란 바이오파마슈티컬스, 부사장
테사로, 상임 부사장
화이자

McGill Univ. BS/MBA



배진건

이노큐어 테라퓨틱스 부사장
중외제약, R&D 총괄
쉐링-프라우 연구소, 상임연구원

위스콘신대학교 Ph.D.
코네티컷 대학교




이혁중

바이넥스, CEO
대우증권
골드만-삭스

UC 버클리 MBA
서울대학교 경영학

파이프라인 임상개발 현황

플랫폼	제 품	적응증	임상단계			commercialized	주관기관 (임상 파트너)
			Phase 1	Phase 2	Phase 3		
	GX-E4	비투석 환자 만성신장질환 빈혈치료제	(DD) Phase 2 in KR			Asia & Oceania Indonesia Korea	KGBio (Genexine)
		투석환자 만성신장질환 빈혈치료제				EU & Asia	Genexine
	GX-H9	소아용 성장호르몬 (PGHD)	Phase 2 in KR/EU			Phase 3 in CN China	Genexine, Handok IMab
		성인용 성장호르몬 (AGHD)	Phase 2 in KR/EU				Genexine, Handok
	GX-I7	췌장암, 대장암, TNBC, GBM ARS, 등	Phase 1~2 in KR/US/CN				Genexine, NIT, I-Mab (MSD)
	GX-188E + GX-I7	두경부암 (HNSCC)	Phase 2 in KR (IIT)				Severance Hospital, NIT
	GX-188E	자궁경부암 (Cervical cancer)	Phase 2 in KR			Asia & etc.	Genexine (MSD)



Efesa[®] (GX-E4)

Long-acting EPO

Best-in-Class Products

에페사: GX-E4, 지속형 EPO

Long-Acting EPO: 만성신장질환으로 인한 빈혈 치료제

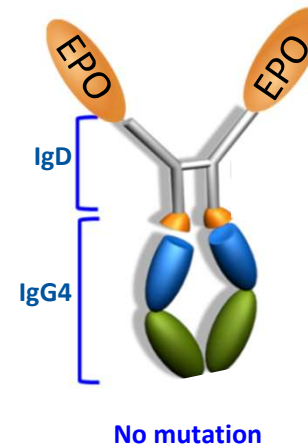
1세대 주 3회 투여	2세대 주 1회 투여	✓3세대 2주1회/월1회 투여
Epogen(Amgen) • 주 3회 주사 • 낮은 투약편의성	Aranesp(Amgen) • 주1회 주사제 • 투약편의성	Mircera(Roche) • 2주1회/1달 1회주사 • 높은 비용

임상 3상

- 비투석환자 대상 인도네시아 품목허가 승인 (2023년 10월)
 - ✓ 적응증: 비투석 만성신장질환 환자의 빈혈 치료제
- 투석환자 대상 글로벌 임상 3상 IND 제출 (2023년 10월, 11개국)
 - ✓ 적응증: 투석치료를 받는 만성신장질환 환자의 빈혈 치료제
 - ✓ 2023년 11월, 투석환자 대상 국내 임상 3상 IND 승인

경쟁력

월등한 지속력, 탁월한 치료 효능 및 안전성
가격 경쟁력을 가진 지속형 EPO 제품



효능 및 안전성

- 높은 활성 및 효력 보유
- 면역과민반응 등 부작용없이 안전하게 치료

비용효율

생산공정 단순화 및 저비용
고효율 제제

월등한 지속성

- 2주형 ~ 4주형 제제 개발

에페사: GX-E4 개발 현황

■ 인도네시아 품목허가 승인 (2023년 10월)

- ✓ 적응증 : 비투석 만성신장질환 환자의 빈혈 치료제
- ✓ 국내 최초 제품 개발사가 품목 허가까지 받은 바이오 신약
- ✓ Mircera® 대비 비열등성 효과 검증 (주2회 또는 월 1회 제형)
- ✓ 한2024년내 BLA 제출 목표국을 포함한 아시아국가 (호주, 대만, 말레이시아, 필리핀, 태국) 에서

제넥신, 'GX-E4' 인니 품목 허가 획득..."제품 출시 가시권"

최 박성수 기자 | 2023.10.24 05:13 | 5 댓글 0

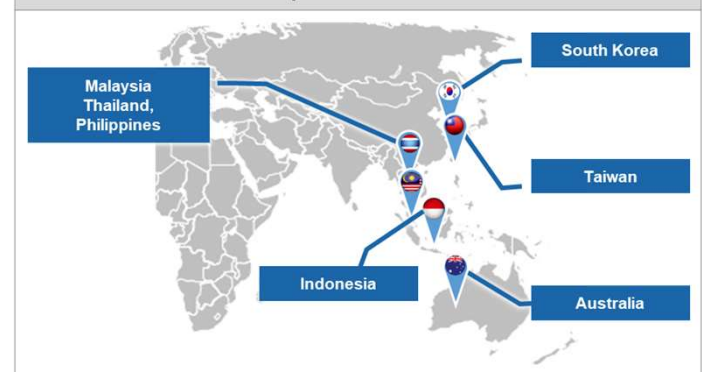
"아시아 비투석 신성빈혈 시장서 초기 10% 시장 점유율 목표"

Genexine

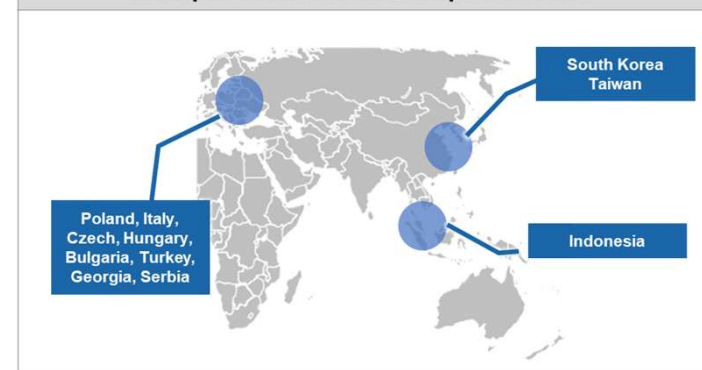
제넥신(대표 홍성준)은 지속형 빈혈 치료제 'GX-E4'(개발코드명: 제품명 EFESA)가 인도네시아 식약처(BPOM)로부터 품목 허가를 받았다고 23일 밝혔다.



Total 391 patients in 7 countries



Multiple countries in Europe and Asia



■ 투석환자 대상 글로벌 임상 3상 착수: 국내 IND 승인

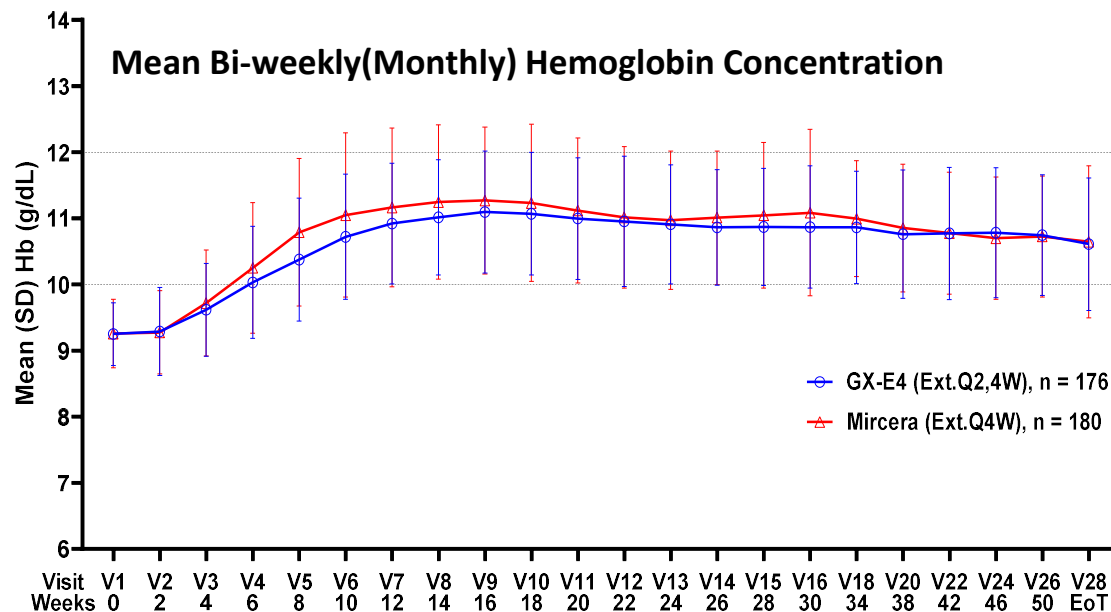
- ✓ 적응증 : 투석치료를 받는 만성신장질환 환자의 빈혈치료제
- ✓ 대조군 Aranesp® 와의 비열등성 효과 검증
- ✓ 유럽, 아시아 11개국 IND 신청 완료
- ✓ 2027년초 BLA submission 목표

에페사: GX-E4 interim result

CKD-NDD Ph3 Trial interim results from CKD-NDD Ph3 presented @ WCN 2023

- 로슈 미세라 대비 비열등성 검증 (Bio Better) → 반응률 GX-E4 69.6% vs Mircera 63.2%
- Hb 수치 1.58 g/dL: *KDIGO 권장기준 만족 (1.0 ~2.0 g/dL)
- 안전성 및 내약성 검증

*Kidney Disease Improving Global Outcome



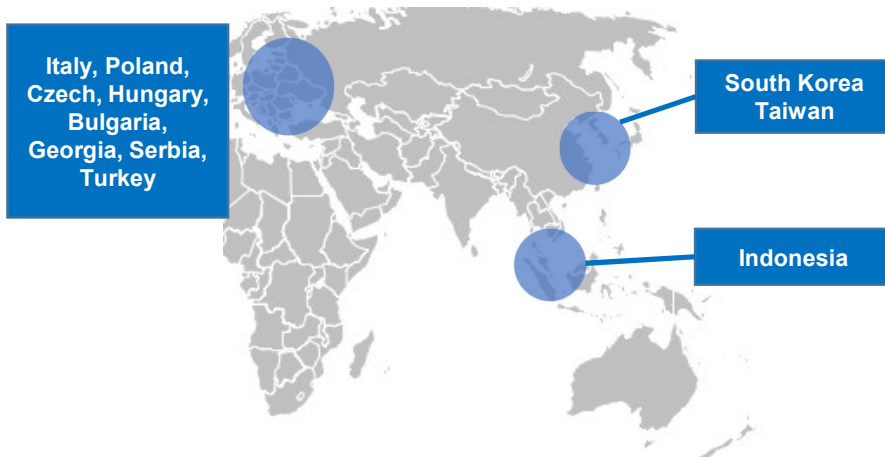
헤모글로빈 수치 변화량	<i>GX-E4</i> Q2W	<i>Mircera</i> Q2W
Mean change in Hb levels	1.58 g/dL	1.67 g/dL
Maintained Hb levels within +/- 1g/dL	91.20 %	87.20 %

에페사: 투석환자 임상3상

CKD-DD Ph3 Trial

- 유럽과 아시아 11개국 대상 투석환자 신성빈혈 임상 3상
 - 이탈리아, 폴란드, 체코, 헝가리, 불가리아, 그루지아, 세르비아, 튀르키예, 한국, 대만, 인도네시아

Total 429 patients in 11 countries



Key study milestones

- 11개국 임상시험계획 제출 완료
- 2023 12월 중 첫 환자투약 계획
- 임상진행기간: 15~18 개월
- 2026 임상결과보고서 수령

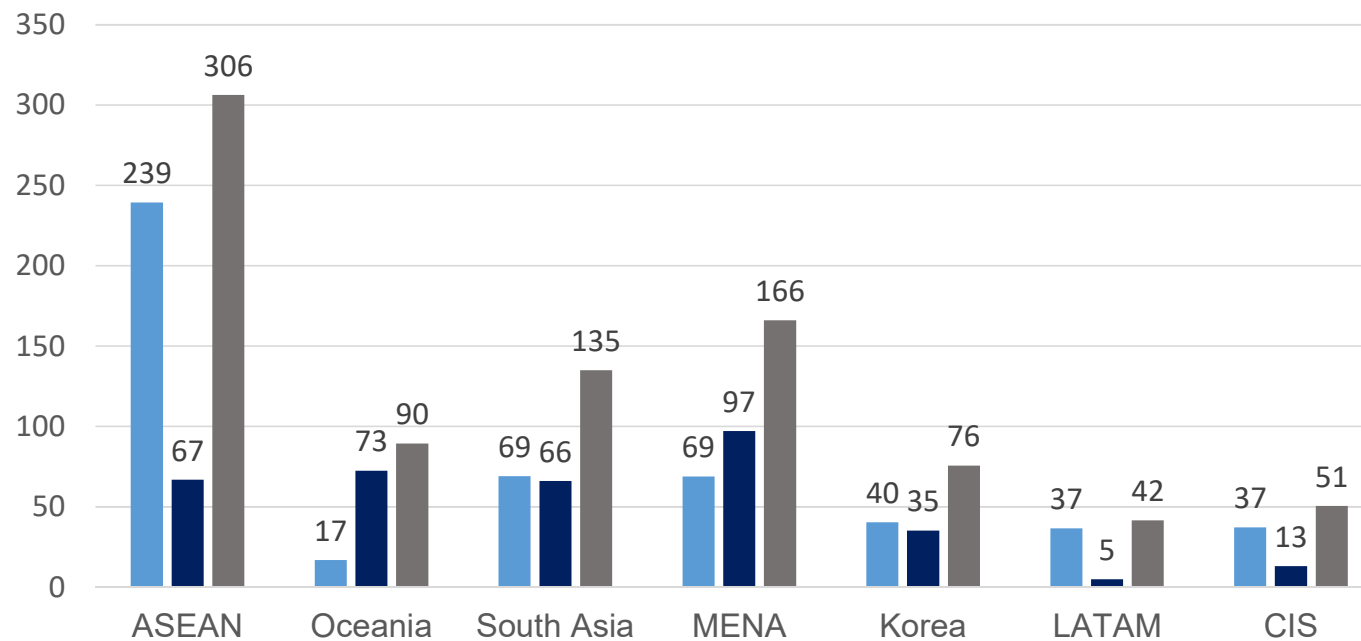
* RA: Regulatory Authority, FPI: First Patient In, CSR: Clinical Study Report

에페사: 목표 시장 규모

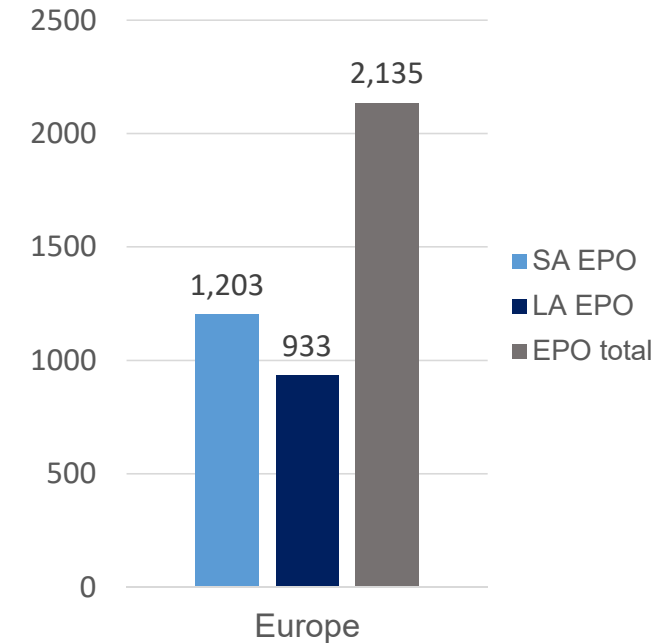
- 대상 지역의 총 EPO 시장 규모: \$3.0 B
- 지속형 EPO 시장 규모: \$1.3 B

- 시장 점유율: 지속형 EPO 시장의 10% 목표

Unit: \$M



Unit: \$M





GX-H9

Long-acting Growth Hormone
Best-in-Class Products

GX-H9: 소아 성장호르몬결핍증 치료제

- 지속형 성장호르몬개발은 투여 편의성을 개선함으로써 환자 삶의 질을 높이고 약물의 순응도를 높여 성장률을 향상시킴.
- 전체 성장호르몬 시장, 특히 지속형 성장호르몬 시장은 높은 성장률 예상되고 있음.
(GH market: CAGR of +9.4% & Long-acting GH market: CAGR of +145%)

Daily (365 times/year)



- Painful
- Poor compliance
- Low growth

Unmet needs

GX-H9
Weekly (52 times/year) or
Bi-weekly (26 times/year)

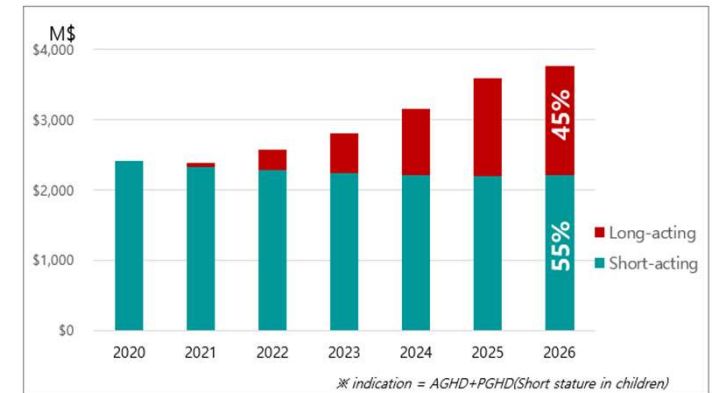


- Improved QoL
- Good compliance
- High growth



GX-H9

성장호르몬 치료제 시장



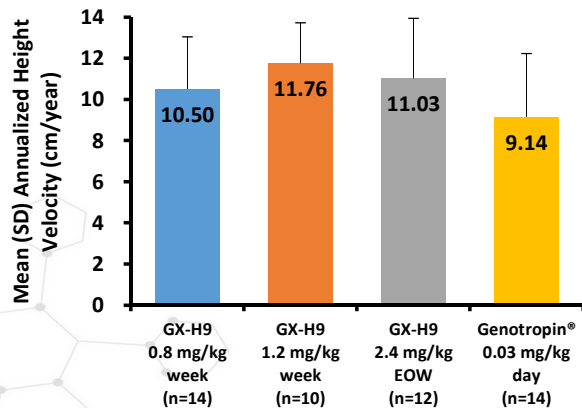
- ✓ AGHD: Adult Growth Hormone Deficiency
- ✓ PGHD: Pediatric Growth Hormone Deficiency

Reference: Global Data + evaluate pharma

GX-H9: 개발 현황

- 유럽 및 국내 GX-H9 임상 2상 연구에서 일일 제형 **Genotropin®** 대비 효능, 안전성 면에서 비열등성 입증
- 글로벌 경쟁약물과 유사하게, 중국 GX-H9(TJ101) 임상 3상 연구에서 일일 제형 **Norditropin®** 대비 효능, 안전성 면에서 비열등성 입증
- 중국에서 2024년 1분기에 첫 번째 BLA 제출 예정

Ph2: Annualized height Velocity, aHV



글로벌 지속형 경쟁약물과의 비교

Company	Genexine	ascendis pharma	OPKO Pfizer	novo nordisk
Product	GX-H9 vs. GENOTROPIN® (cm/year)	Skytrofa vs. GENOTROPIN® (cm/year)	Ngenla vs. GENOTROPIN® (cm/year)	Sogroya vs. Norditropin® (cm/year)
Height Velocity (Dose)	*11.76 vs. 9.14 (1.20mg/kg vs. 0.03mg/kg/day) **10.76 vs. 10.28 (1.20mg/kg vs. 0.034mg/kg/day)	11.2 vs. 10.3 (0.24 mg/kg vs. 0.034 mg/kg/day)	10.1 vs. 9.8 (0.66mg/kg vs. 0.034 mg/kg/day)	11.2 vs. 11.7 (0.16 mg/kg vs. 0.034 mg/kg/day)
	*Ph2 study in Korea **Ph3 study in China	US, Marketed ('21.8) EU*, Marketed ('22.1)	EU, Marketed ('22.2)	US approved ('23.4)

GX-H9 for PGHD
(TJ101 in China)

'20.03

Ph 2
Completed
(EU & KR)

'21.02

China Ph3
FPI

'23.05

China Ph3
LPI

'23.09

Top-line
results
announced

'24.1Q

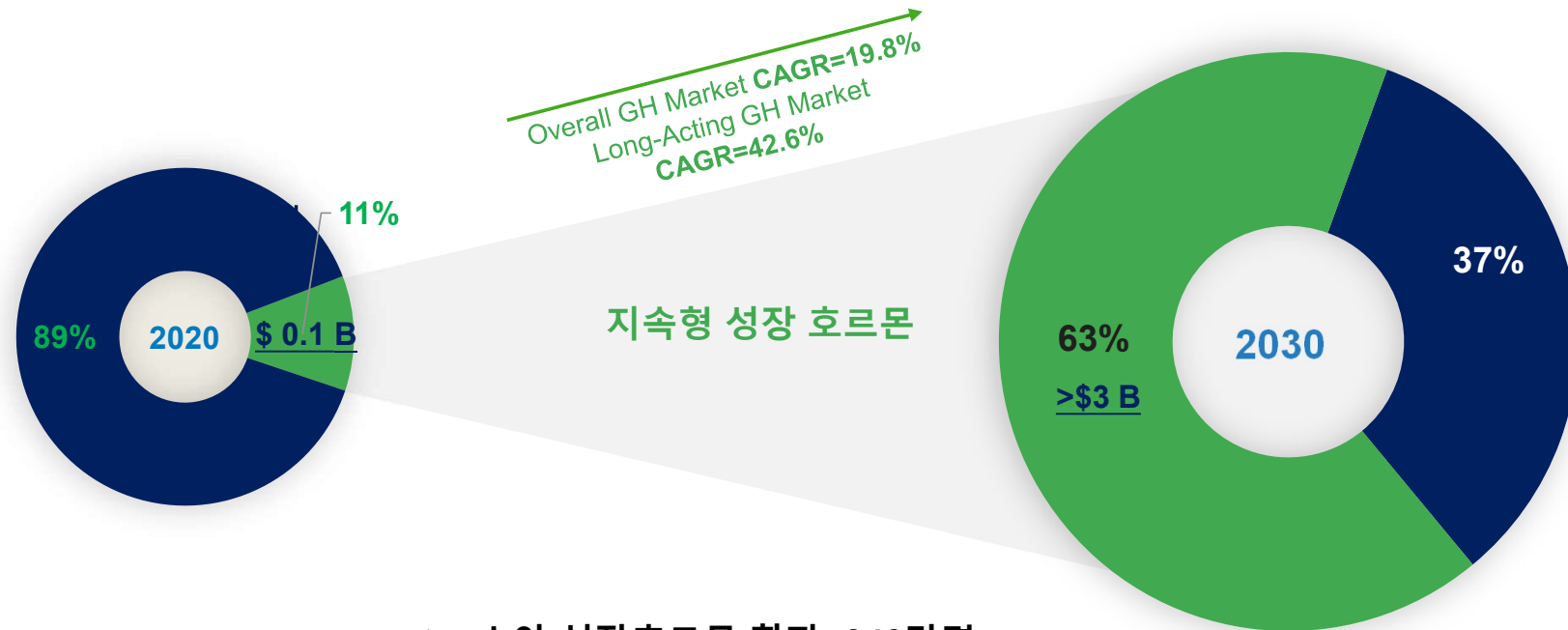
BLA
submission
in China

'25.3Q

BLA
Approval
in China

GX-H9: 급성장하는 중국 성장호르몬 시장

China Growth Hormone Market



- 소아 성장호르몬 환자: 340만명
- 시장 점유율 15-25% 목표

Source: Frost & Sullivan, CITIC Research

* Reference: I-Mab Corporate Presentation January 2023



—

GX-17

efineptakin alfa

지속형 인터루킨-7(IL-7-hyFc)

림프구감소증 치료제

GX-I7의 글로벌 잠재력

췌장암 및 대장암(GX-I7 + α PD-1)

- anti-PD(L)1 단일 요법의 과거 ORR은 0%
- PD-1 단독임상 대비 높은 항암 효능

Acute Radiation Syndrome

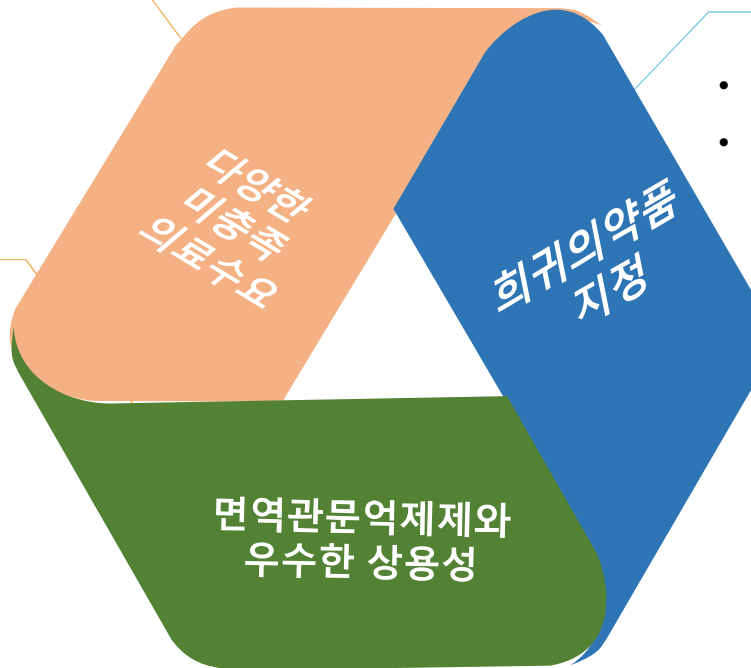
- 美 ¹⁾NIAID에 **ARS** 치료제 비임상 연구 계약 및 향후 미 국방부와 공급계약을 추진
(‘Amgen’ 혈소판감소증 치료제 약 3천7백억원 공급)
- 비임상 데이터 근거로, 美FDA ODD(희귀질환 치료제 지정) 인증 (2023)

TNBC (GX-I7 + α PD-1)

- 경쟁약물 대비, PD-L1 양성 환자에서의 **반응률 증가**
- T 림프구 감소증 환자에서 T 림프구 증가에 의한 **생존율 증가**

GBM (GX-I7 + SOC)

- 1b 완료, 美FDA ODD(희귀의약품 지정)
- 교모세포종 임상 1/2상 중간결과: 표준치료제 대비하여 GX-I7+표준치료제 병용 시, 1년 **생존율 증가**(표준치료제 1년 생존율 25%)





—

GX-188E

FIDVAXI®

HPV 치료 DNA 백신

GX-188E: 두경부암 치료제 개발 현황

- 수술을 앞둔 HNSCC환자 대상, Neoadjuvant 치료제로 **Keytruda+GX-188E+GX-I7 삼중병용 요법**: 연구자 주도 임상 2상 진행 중
 - 3중 병용 요법에 대한 안전성 확인 및 높은 병리학적 반응 확인(pathologic response)
- 재발성/전이성 두경부암 환자를 대상으로 연구자 주도 임상 2상 진행 중

✓ Pathologic response (pCR)

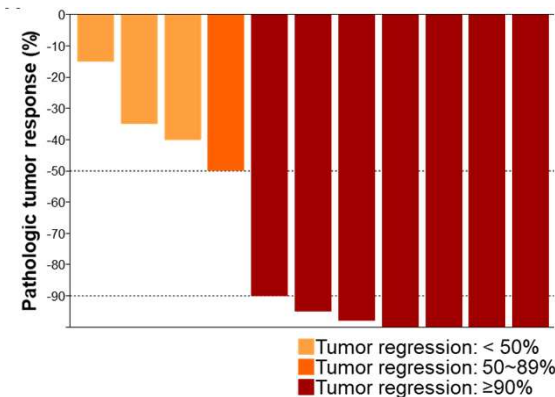
36.3%(4/11) pCR, 63.6%(7/11) MPR.

✓ Radiologic response (MPR)

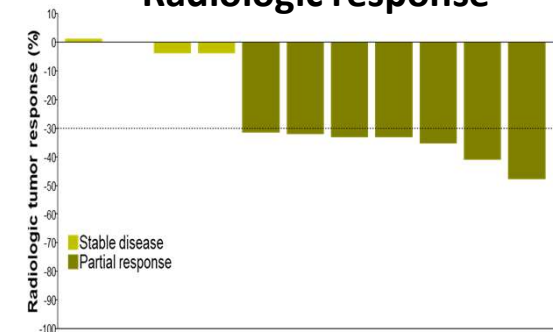
:ORR 63.6%(7/11)

- pCR; pathologic complete response,
- MPR; major pathological response

• Pathologic response:



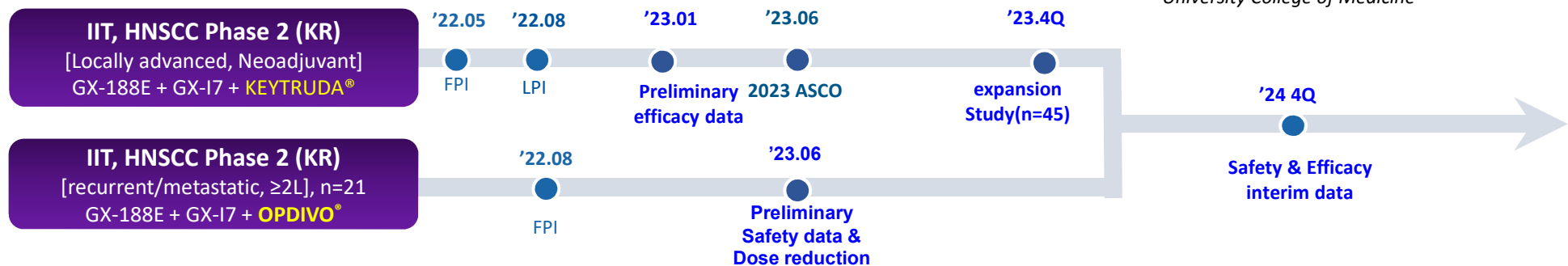
• Radiologic response



Source : 2023 ASCO

Courtesy of Dr. Hye Ryun Kim

Division of Medical Oncology, Yonsei Cancer Center, Yonsei University College of Medicine

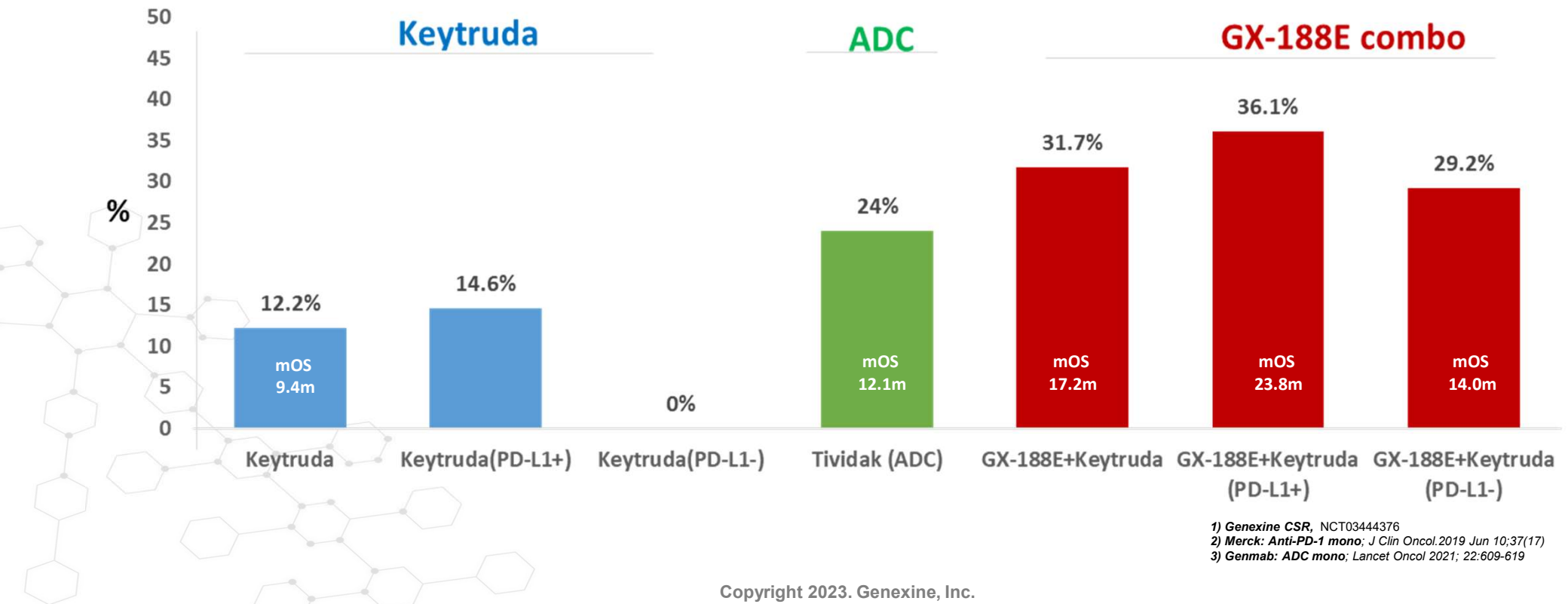


GX-188E: 자궁경부암 치료제 개발 현황

- GX-188E+Keytruda 병용요법에서 경쟁제품 대비 더 우월한 유효성을 보임
- PD-L1 양성(36.1%) 및 PD-L1 음성(25.0%) 환자 모두에서 우수한 치료 효과와 생존 기간 연장

PARIS 2022 ESMO congress

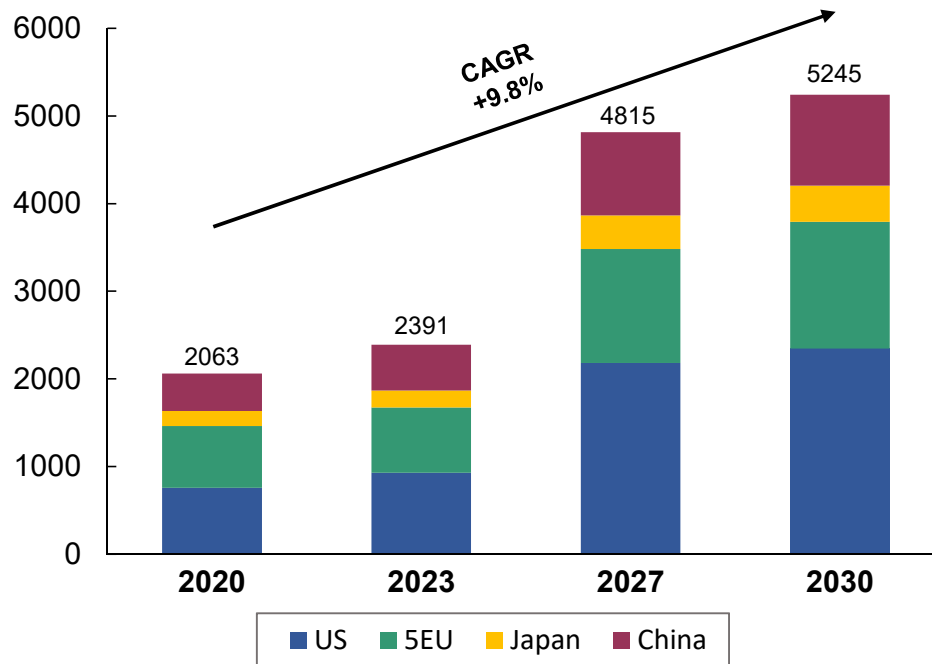
2L이상의 진행성 및 재발성 자궁경부암에서 표준치료요법(SoC)와의 ORR 및 mOS 비교



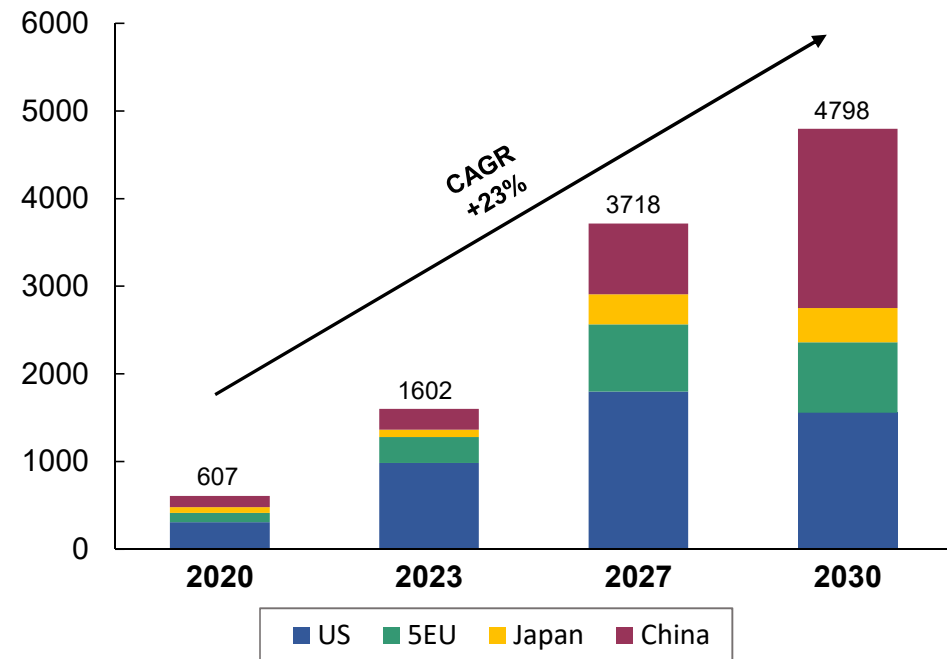
GX-188E: 두경부암 및 자궁경부암 시장의 글로벌 매출 전망

- 2020년 6억 달러 규모였던 자궁경부암 시장은 2030년 47억 달러 규모에 이를 것으로 예상
- 2020년 21억 달러 규모였던 두경부암 시장은 2030년 52억 달러 규모의 매출에 이를 것으로 예상

* 글로벌 두경부암 시장 매출전망(\$M)



*글로벌 자궁경부암 시장 매출전망(\$M)



CC: Cervical Cancer; HNSCC: Head & Neck Squamous Cell Carcinoma; CAGR: Compound Annual Growth Rate

* Reference: GlobalData_Global Drug Forecast and Market Analysis 2030



Vision & Strategy

연구개발 비전 및 중장기 추진전략



연구개발 Vision

Fully-integrated 글로벌 바이오텍 기업

목표

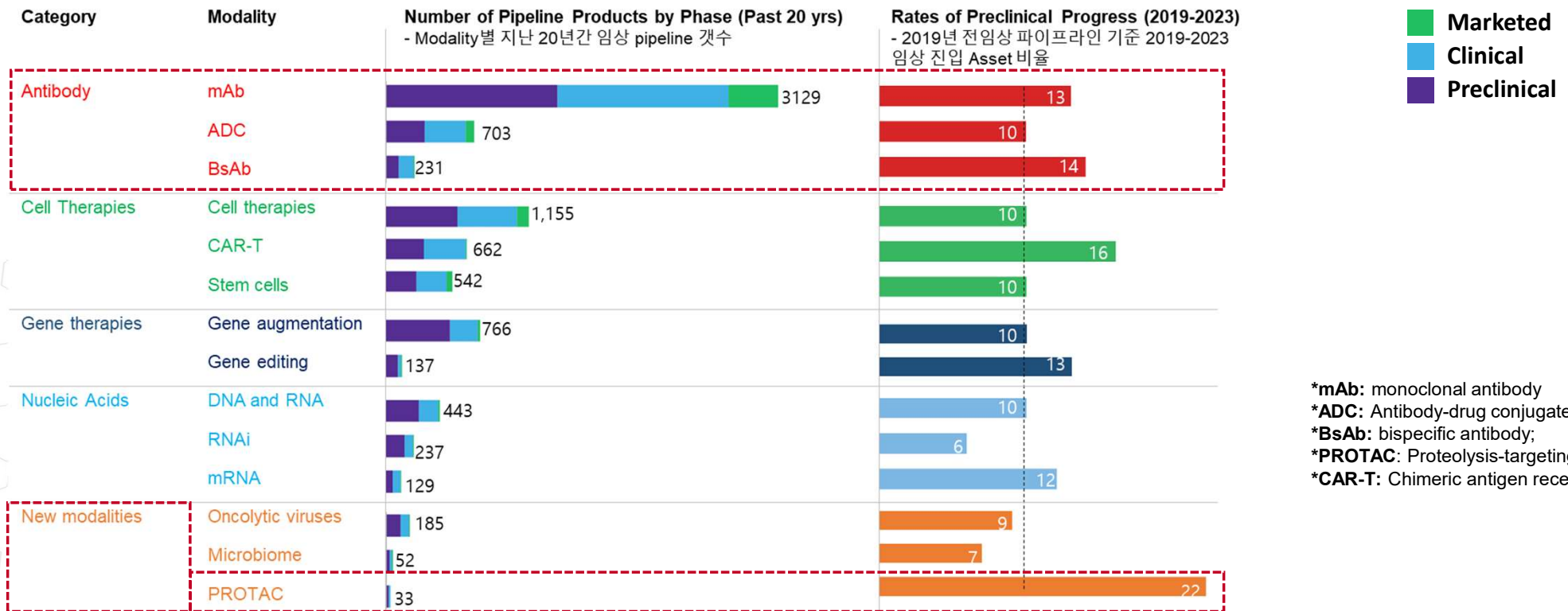
- 1) 기존 파이프라인의 상업화
- 2) 신규 파이프라인을 통한 차세대 성장동력 준비

추진 전략

- 1) hyFc 플랫폼 및 DNA 벡터 기술을 이용한 단백질치료제 및 유전자치료제 개발
 - 파이프라인의 상업화, 글로벌 기술이전, 전략적 투자 및 공동개발 등으로 사업 다각화
- 2) 기존 R&D 역량 활용한 신규 플랫폼기술 및 파이프라인 구축하여 미래 가치 증대
 - 장기적 성장 동력 확보, 차별화된 혁신 파이프라인의 라이선스-인, M&A를 통한 혁신 기술기업 인수

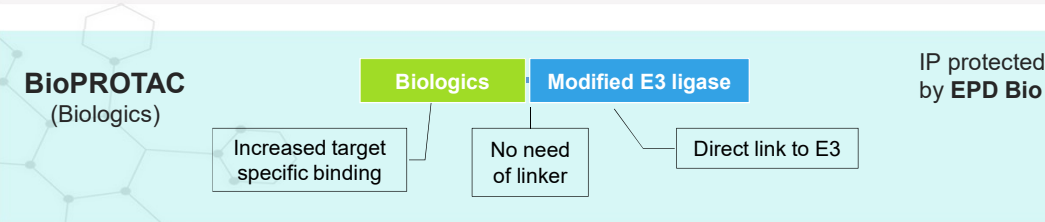
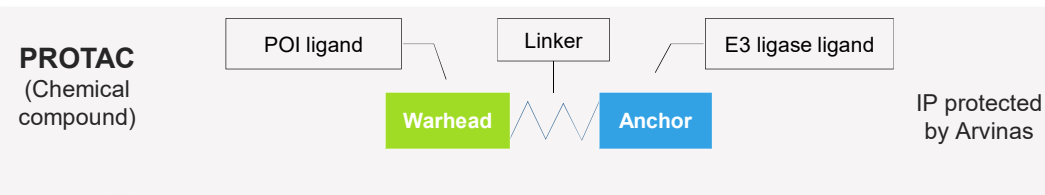
제넥신 신규 파이프라인 계획 (L/I)

- 바이오 항암 의약품 Category 중 **Antibody**가 개발/상용화 측면에서 가장 활발하며 (*mAb, *ADC, *BsAb), **New modalities** 내 ***PROTAC** (protein degrader)의 Rates of Preclinical Progress가 가장 높은 것을 검토
- Global 회사 및 한국회사 (총 100개 이상) 검토 중이며, **항암제 신규 파이프라인 2개 L/I 계획**



* Reference: Evaluate Pharma Rates of Progress by Modality 2019-2023

제넥신 공동 연구 개발 사례



Genexine

비즈니스 실행 가능성 검토
개발 계획/비용 분석

IND 및 임상시험 관련 전략적
협업

제넥신 임상 개발 경험 바탕
: 임상 시험 지원 및 상담 검토

ToolGen
Innovate Genome

CRISPR/Cas9를 기반으로 한
차세대 유전자 치료 개발

비임상 실험 검증 및 IND 준비

유전자 치료 관련 희귀질환
임상시험 설계 및 진행

First-in-class 유전자 치료제 개발
및 글로벌 빅파마 파트너십 성공

~25년 로드맵

- 후기 임상 단계 제품의 허가 승인을 득함으로써, 후보물질 발굴부터 제품화까지 가능한 역량을 축적
- 혁신 신약개발의 전 과정을 수행할 수 있는 기업으로 성장
- 제품 판매를 통한 수익을 기반으로 안정적인 신약개발 활동이 가능한 선순환 구조 구축

	2023년	2024년	2025년
GX-H9	<ul style="list-style-type: none"> • 글로벌 임상3상 IND 승인 및 진입, 이를 통한 다국적 제약사에 기술이전 진행 • GX-H9 중국 내 허가, 공정 scale up 및 CMC 자료 확보 후 다국적 제약사에 기술이전 진행 		
GX-E4	<ul style="list-style-type: none"> • 비투석 환자 대상으로 인도네시아 및 국내 허가 승인, 글로벌 파트너십 구축 및 상업화 진행 • 투석 환자 대상의 임상3상 진행 		
GX-G6	<ul style="list-style-type: none"> • 중국 임상3상 진행 및 다국적 제약사에 라이선싱 아웃 진행 		
GX-I7	<ul style="list-style-type: none"> • 삼중음성유방암 대상으로 연구자 주도 임상2상 진행 후 결과 확보 • 다국적 제약사에 라이선싱 아웃 진행 		
GX-188E	<ul style="list-style-type: none"> • 두경부암 및 자궁경부암 대상의 임상 및 글로벌 라이선싱 아웃 추진 		
신규 파이프라인	<ul style="list-style-type: none"> • 기존 R&D 역량을 활용, 새로운 플랫폼 기술을 정립하고 신규 파이프라인 구축 • 차별화되고 혁신적인 외부 파이프라인을 인라이선싱 또는 M&A 등을 통해 확보 		
연구개발비 (추정)	240억	300억	290억



Genexine
감사합니다.