Investor Relations 2024

Genexine

Saving
Lives
through
Innovation

Genexine

Investor Relations 2024

Disclaimer

본 자료는 기관투자가와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 투자미팅에서의 정보제공을 목적으로 주식회사 제넥신 (이하 "회사")에 의해 작성되었으며
이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바 입니다.

본 투자미팅에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. "예측정보"는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다.
이는 과거가 아닌 미래에 발생할 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '예정', 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래실적은 "예측정보"에
기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 투자미팅 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려 드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함) 본 문서는 주식의 모집 또는 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.

Investor Relations 2024

TABLE OF CONTENTS

CHAPTER 1.
Company Overview

CHAPTER 2.
Core Pipeline

CHAPTER 3.
Growth Momentum

Appendix

Saving
Lives
through
Innovation
Genexine

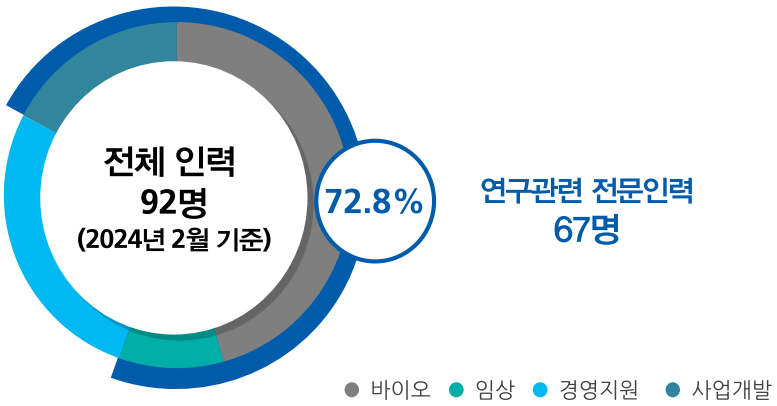
CHAPTER

01 Company Overview

01. 회사개요
02. 회사연혁
03. 핵심기술
04. CI

기업개요

회사명	주식회사 제넥신
대표이사	홍성준
설립일	1999년 6월 8일
자본금	208억 원
임직원수	92명(2024년 2월 기준)
주요사업	의학 및 약학 연구개발업
본사주소	서울 강서구 마곡중앙로 172, 바이오이노베이션파크
홈페이지	www.genexine.com



주 : K-IFRS 연결 기준

주요 경영진

홍성준 대표이사

- 연세대학교 MBA, Vanderbilt law school LLM
- 한국(KICPA) 및 미국(AICPA) 공인회계사
- New York 주 변호사
- 前) 로킷헬스케어 COO
- 前) 한독, 슈나이더 일렉트릭, 나이키 CFO

성 명	직 위	담당 업무	주요 경력
박현진	본부장	사업개발	- 現) 제넥신 사업개발본부장 - 前) 대웅제약 글로벌개발전략본부장 GSK코리아 - 알토대학교 MBA - 성균관대학교 약학대학
변미선	본부장	임상개발	- 現) 제넥신 임상개발본부장 - 前) 제넥신 임상개발실장 제넥신 전임상개발팀장 인하대학교 박사 후 연구원 - 가톨릭대학교 의대, Ph.D.
권광현	연구소장	바이오연구	- 現) 제넥신 바이오연구소장 - 前) 제넥신 정제팀장 제넥신 바이오연구소 유닛장 포항공대 박사후 연구원 - 포항공대 생명과학, Ph.D.

독자적인 원천기술 기반으로 차세대 혁신 치료제 개발 통한 지속 성장

1999년~2009년 사업 기반 구축(기술 확보)

- 1999 (주)제넥신 설립(Gene + Vaccine)
- 2000 AIDS치료 DNA백신 L/O 및 공동개발(동아제약, 녹십자)
- 2002 B형 간염 치료 DNA백신 개발 과제 공동연구계약 체결
  (동아제약, 대웅제약, POSCO, POSTECH)
  당단백질 생산 고효율 벡터 및 세포주 제조 기술 개발
- 2005 B형 간염 치료제 임상 1상 돌입
  연구소기업 등록
- 2006 hyFc 개발 및 동아제약과 공동 연구개발
- 2008 GX-G6 L/O(일동제약)
- 2009 Hybrid Fc 한국 특허 등록
  코스닥 기술 특례 상장

2010년~2018년 성장 기반 마련(기술이전 및 연구 본격화)

- 2012 hyFc 개발 및 동아제약과 공동 연구개발
- 2013 일동제약에 기술 이전(GX-G6)
- 2014 GX-188E L/O(BSK, 중국)
- 2015 GX-I7 L/O(네오이뮨텍, 유럽, 미국)
  GX-3G, H9, G8, P2(전용실시권) L/O(I-Mab)
  GX-G6 (중국) L/O(I-Mab)
  GX-E4 L/O(KGBio)
- 2016 GX-E4 L/O(CWB, 중국)
- 2017 GX-I7 L/O(I-Mab, 중국)
- 2018 GX-I7, 고형암환자 대상 화학항암제 한국임상 1b/2a 진행
  GX-I7, TNBC 환자 대상 병용투여 한국임상 1b/2a 승인

2019년 ~ 성장 가속(연구 결실 창출 및 제품화)

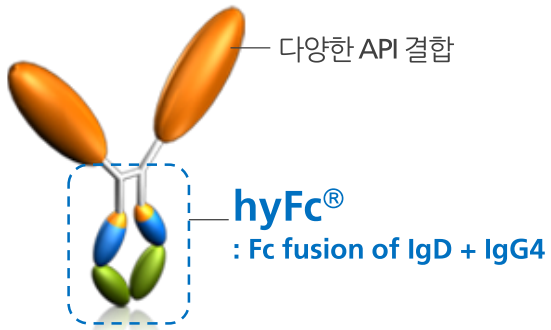
- 2019 GX-I7, 특발성 림프구감소증 대상 미국 희귀의약품 지정
  GX-188E, 자궁경부암 환자 대상 임상 2상 3단계 진행
  SITC 2019 학회에서 GX-I7 임상 1상 결과 발표
- 2020 GX-P1, GX-P10 기술이전(제넨바이오)
  GX-188E 식품의약품안전처 바이오 챌린저 선정
  GX-P1 L/O(Turret Capital)
- 2021 GX-I7 L/O(KG-Bio)
  제넥신 마곡 신사옥 준공 및 사용승인 완료
- 2022 GX-E4 L/O(KG-Bio)
  GX-188E, 키트루다 병용 제1b/2상 CSR발표
  GX-H9 EMA(유럽의약품청)ODD 지정
  GX-I7 美 FDA ODD 지정
- 2023 GX-E4 인도네시아 BLA 승인
  GX-H9 임상 3상 종료

03 핵심 기술

Genexine

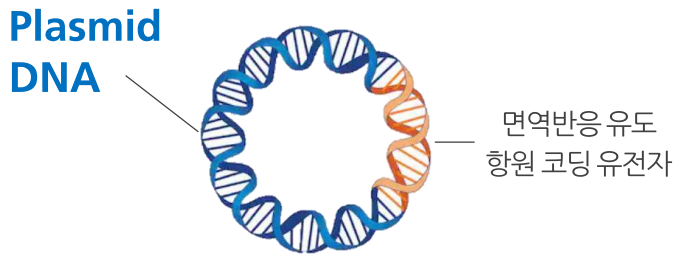
차세대 혁신 치료제 개발을 위한 독자적인 원천기술 보유

hyFc® 플랫폼 기술(지속형 단백질 치료제)



기술소개	• FcRn과 다양한 약물을 융합해 체내 활용이 가능하고, 반감기에 따른 지속력을 극대화할 수 있는 지속형 융합 단백질 플랫폼 기술
특장점	• 약물 지속성 극대화 : 뛰어난 약효를 지녔으나 지속성이 짧은 약물의 지속성 증대 • 부작용 최소화 : 인체에서 유래한 IgD, IgG4 항체로 플랫폼 구조 구성 • 다양한 활용성 : 다양한 API 접목가능
적용범위	• 암, 내분기계 질환, 면역계통 질환 등의 만성질환 대상 • 대표 파이프라인: 항암 면역치료제(GX-I7), 지속형 성장호르몬 결핍증 치료제(GX-H9), 빈혈 치료제(GX-E4)

DNA 벡터 기술(항암치료/감염예방 백신)



기술소개	• 강력한 T세포 면역반응으로 예방+치료 백신으로 사용가능한 DNA 백신 플랫폼 기술
특장점	• 높은 안전성 작용기전: 병원균 자체를 사용해 바이러스를 직접 죽이거나 약화시키는 전통적 백신과 달리, 플라스미드 DNA 조각 변조를 통해 자연적으로 면역력 형성 → 인체 투여 시 면역반응 등 부작용 ↓, 기존 생백신이나 약독화 백신보다 안전 • 높은 시장성 : 뛰어난 안전성으로 용이한 제품화 과정, 저렴한 생산비용으로 활용도가 높은 시장성
적용범위	• 유전자 치료, 당뇨병 등의 난치병 시장 대상 • 대표 파이프라인: HPV 바이러스 치료백신(GX-188E) 등

*플라스미드: 박테리아 세포 내에 독립적으로 존재하는 유전자 전달체

Investor Relations 2024

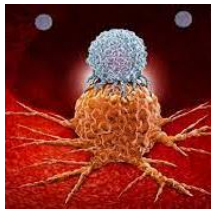
Corporate Identity

Genexine

[Saving Lives through Innovation]

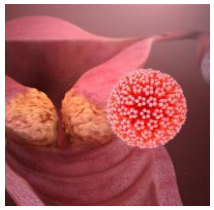
hyFc® Platform + DNA Vaccine Platform

First in Class



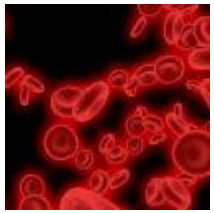
GX-I7
면역항암제

GX-P1
면역억제제



GX-188E
HPV 치료
DNA 백신

Best in Class



GX-E4
지속형
빈혈치료제

GX-H9
지속형
성장호르몬제

Saving
Lives
through
Innovation
Genexine

CHAPTER

02 Core Pipeline

01. 파이프라인 현황
02. 주요 파이프라인 소개
(1)Efesa(GX-E4)
(2)GX-H9
(3)GX-I7
(4)GX-188E

01 파이프라인 현황

Genexine

혁신적인 기반 기술을 바탕으로 개발된 주요 파이프라인 임상 진행 현황

hyFc™적용 DNA 백신 적용

제품	적응증	Phase1	Phase2	Phase3	BLA	주관기관 (임상파트너)
GX-E4	비투석 환자 만성신장질환 빈혈증	(NDD) Phase 2 in KR		Asia & Oceania	ID KR	KGbio (Genexine)
	투석환자 만성신장질환 빈혈증	(DD) Phase 2 in KR		EU & Asia		Genexine
GX-H9	소아용 성장호르몬(PGHD)	Phase 2 in KR/EU		CN	CN	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)

02 Efesa(GX-E4)

Genexine

Long-Acting EPO, 지속형 만성신장질환(Chronic kidney disease)으로 인한 빈혈 치료제

CKD-induced Anemia, 신성빈혈(Renal anemia)

만성 신장질환 환자들에게 신장기능장애로 적혈구 생성을 촉진하는 당단백질인 **EPO**(Erythropoietin)가 생성되지 않아 수반되는 질병. 적혈구 감소에 따른 산소공급 부족으로 인한 심혈관계 합병증을 유발.

경쟁 제품

- ESA(주사제형)

	제품명(회사)	성분명	특징
1세대	Espogen(Amgen)	Epoetin alfa(EA)	주 3회 주사 → 투약편의성 ↓
2세대	Aranesp(Amgen)	Darbepoetin alfa(DA)	주 1회 주사 → 투약편의성 ↓
3세대	Micera(Roche)	Methoxy polyethylene glycol-epoetin beta	2-4주 1회 주사, But 높은 비용

- 경구형

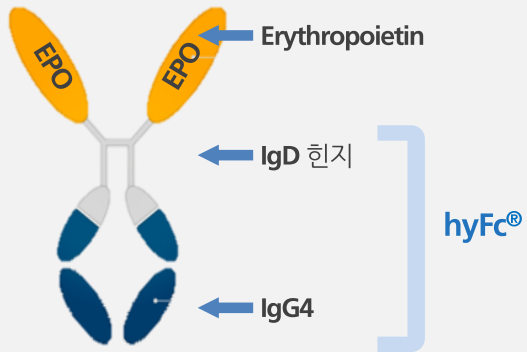
제품명(회사)	제스두브록,Jesduvroq(GSK)
성분명	daprodustat
특징	투약 편리 but 높은 부작용*

높은 투약 편의성, 합리적 비용, 낮은 부작용 지닌
지속형 빈혈 치료제 필요성 대두

*제스두브록 주의사항 내용: 사망, 심근경색, 뇌졸중, 정맥혈전색전증, 혈전성 혈관 사건 위험도 증가, 심부전, 위장 출혈 등
*비투석 만성신장질환으로 인한 빈혈 환자에게는 안전성 확립되지 않았기 때문에 사용 허가 X

제넥신의 혁신 플랫폼, hyFc® 기술이 적용된 Efesa(GX-E4)

월등한 지속력, 탁월한 치료 효능 및 안전성,
가격 경쟁력을 가진 지속형 EPO 제품, Efesa(GX-E4)



투약편의성 제고
→ 주사투여 횟수 감소(2-4주 1회)

생산공정 단순화, 저비용 고효율 제제

화학적 변형 X & 높은 활성 및 효력
→ 면역 과민 반응 등 부작용이 적으며 높은 안정성으로 지속성⬆

02 Efesa(GX-E4)

Genexine

비투석환자 대상 지속형 빈혈 치료제 진행현황

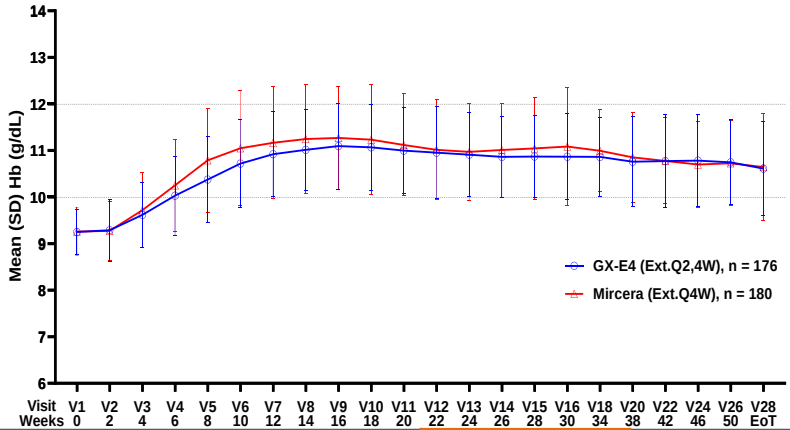
진행 현황

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

박성수 기자 | 입력 2023.10.24 05:13 | 댓글 0

임상 현황	2023.10 임상 3상 결과를 기반으로 인도네시아 BLA 허가 획득 2023.11~ 제품 출시 준비중
세부 내용	**적응증** 비투석 만성신장질환 환자 빈혈증 **제품명 (성분명)** Efesa(Efepoetin alfa) **임상목적** 교정치료 평가기간 종료 시점 Hb 수치 측정해 CKD 빈혈 치료에 대한 Efepoetin alfa 효능 평가 **대상질환** 투석을 받지 않는 만성신장질환 환자의 빈혈치료 **임상방법** -공개, 무작위배정, 대조군 대비 비열등성 효과 검증 -국제신장학회 가이드라인 KDIGO 권장기준 : 월간 1.0 ~ 2.0 g/dL *KDIGO: Kidney Disease Improving Global Outcome

임상 결과



헤모글로빈 수치변화량	GX-E4 Q4W	Mircera Q4W
헤모글로빈 수치 변화 값(월간)	1.58 g/dL	1.67 g/dL
헤모글로빈 수치 유지율 (within +/- 1g/dL)	91.2%	87.2%

임상 결과	**미쎄라 대비 비열등성 입증** - Efepoetin alfa Q2W: 75.6% (95% CI: 69.2, 82.0) - Mircera Q2W: 69.6% (95% CI: 62.5, 76.1) *(A)와 (B) 치료 간 Hb 반응률 차이: 6.3% (95% CI: -3.1,15.5)
향후 계획	- 비투석 만성신장질환 환자 빈혈 치료제 BLA 신청 계획 → **대상 국가:** 호주, 대만, 말레이시아, 필리핀, 태국 → **한국 BLA 신청 완료:** 2024년 1월

02 Efesa(GX-E4)

Genexine

투석환자 대상 지속형 빈혈 치료제 진행현황

진행 현황

현황

- 유럽 및 아시아 총 11개국 IND 및 윤리위원회 신청 완료 (3개국 승인)

2023.11.23

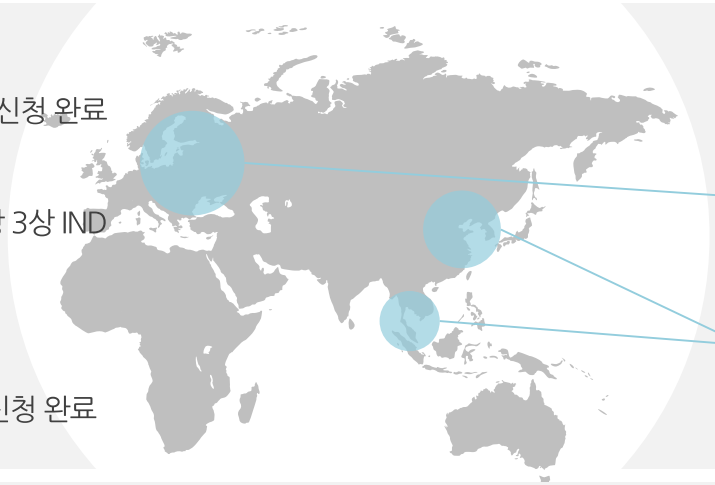
- 투석 만성신장질환 환자 대상으로 한 국내 임상 3상 IND 승인

2024.01.23

- 국내 첫 환자 투여(FPI) 시작

2024. 03.22

- EMA품목허가를 위한 가교임상(N=40)IND 신청 완료



임상 진행 국가

유럽 8개국
: 이탈리아, 폴란드, 체코, 헝가리, 불가리아, 조지아, 세르비아, 튀르크

아시아 3개국
: 한국, 대만, 인도네시아

세부 내용		
	적응증	투석 만성신장질환 환자 빈혈증
	제품명 (성분명)	Efesa(Efepoetin alfa)
	임상목적	혈액투석 환자의 혈색소(Hb) 수준 조절 효능(비열등성)에 대해 Efesa와 Aranesp 비교 평가
	임상방법	- 무작위 배정, 연구자 눈가림 방식으로 대조군인 **Aranesp(darbepoetin alfa)** 대비 비열등성 효과 검증 - 한국을 포함한 유럽 및 아시아 **총11개국 429명**

향후 계획
- 투석 만성신장질환 환자 빈혈 치료제 임상 3상 시작 - 유럽 및 아시아 총 11개국 IND 및 윤리위원회 승인 이후 순차적으로 임상 진행

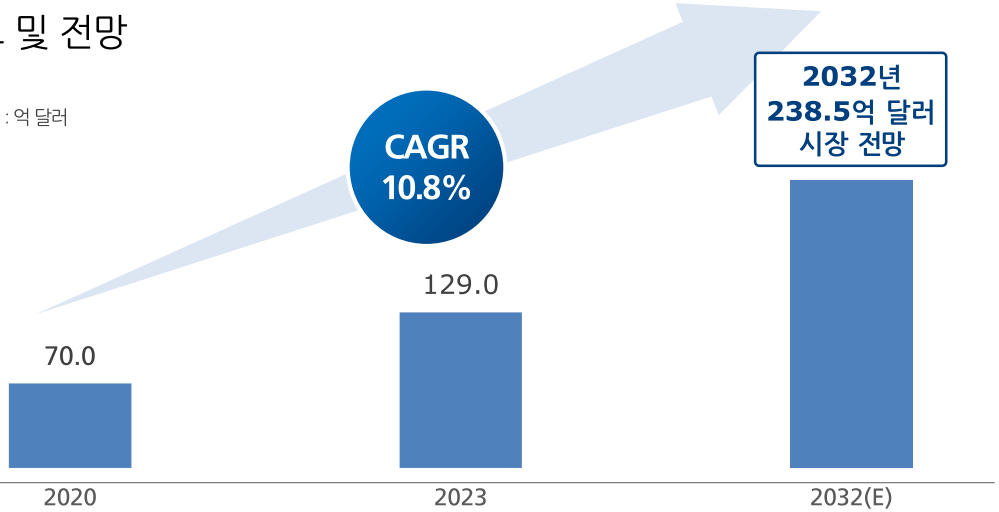
02 Efesa(GX-E4)

Genexine

선진국을 시작으로 1세대 EPO → 지속형 EPO로 이동하는 빈혈치료제 시장

신성빈혈 치료제 타깃 시장 규모 및 전망

단위 : 억 달러



자료 : Mr Accuracy Reports

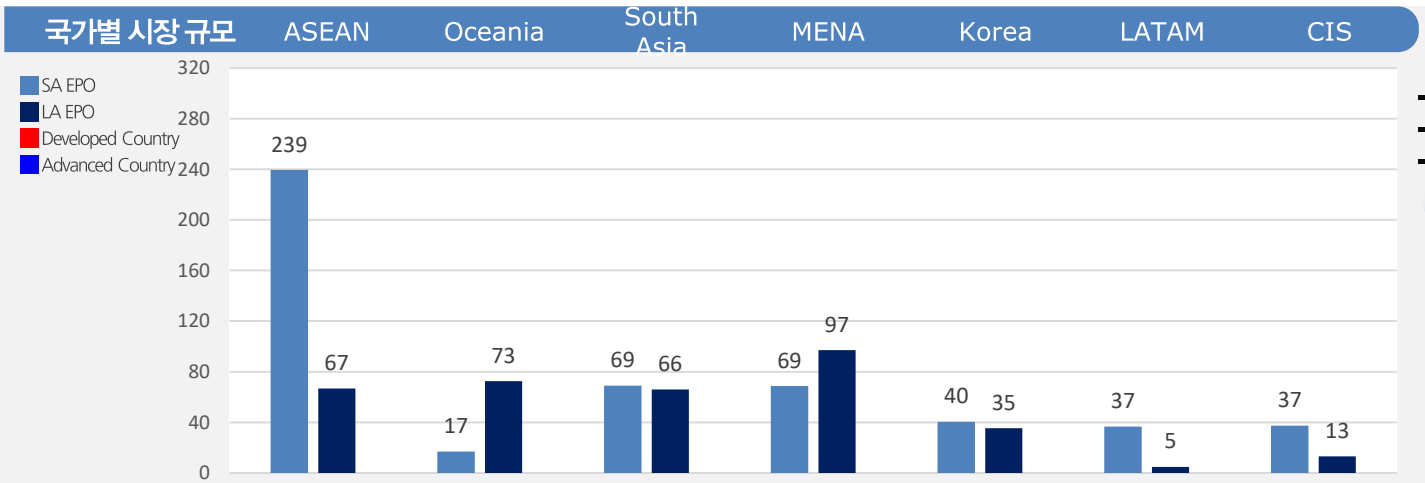
Genexine

합리적 가격

동남아시아 최대 제약회사 **Kalbe** 유통망 활용

선제적 **BLA** 신청

→ 급성장하는 시장 대응



* LA: Long Acting / SA: Short Acting(1세대 제품군)

시장규모

- **Oceania, MENA:** SA EPO < LA EPO
- **South Asia, Korea:** SA EPO = LA EPO
- **ASEAN, LATAM, CIS:** SA EPO > LA EPO

→ 비용: **1세대 EPO < 지속형 제품**

→ 글로벌 시장에서 지속형 제품으로 대체될 것으로 기대

02 GX-H9

Genexine

화학적 변형이 없는, 장기적으로 안전한 지속형 성장호르몬결핍증 치료제

성장호르몬 결핍증 (Growth Hormone Deficiency, GHD)

뇌하수체 전두엽에서 성장호르몬이 충분히 분비되지 않아, 성장 속도가 평균에 미치지 못하고 대사 효과가 감소하는 질병. 소아에게서는 저신장증, 성인에게서는 체지방 증가나 피로감을 유발함.

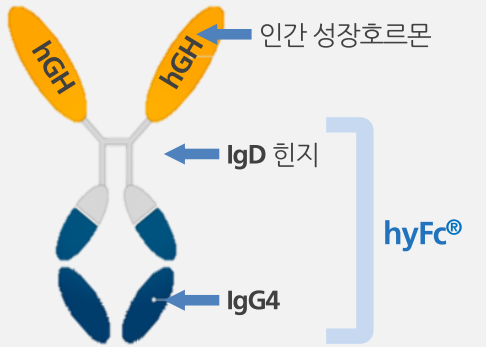
높은 미충족 의료 수요

1. **환경호르몬 등으로 비만과 성조숙증 겪는 소아 환자 증가**
   → 비만은 지방세포에서 분비되는 호르몬이 뼈 성장을 막고,
   성조숙증은 성장 기간 단축되어, 유전적으로 자랄 수 있는 키보다 적게 성장

2. **현재 1일 1회 투여 주사 치료제를 일반적으로 사용**
   → 소아 환자들의 투약 고통 지속

투여 편의성을 개선한
안전한 지속형 성장호르몬결핍증 치료제 필요성 증대

제넥신의 혁신 플랫폼, hyFc™ 기술이 적용된 GX-H9



IGF-1(insulin-like Growth Factor 1) 생성 유도
→골아, 연골세포 등 다양한 조직에
작용해 뼈 성장 촉진

- 자연상태의 지속형 성장호르몬 단백질
- 체내 반감기를 극대화하는 hyFc 지속 효능
- 장기간 사용 시 잠재적으로 더욱 **안전**

경쟁 제품 현황

지역	제품	지속형 기술	화학적 변형	장기 안전성
중국	ACP-011(Visen)	Chemical linkers *TransCon*	O	O
중국	Jintrolong(GenSci)	Chemical linkers *PEG*	O	X
중국	PEG-rhGH(ANKEBIO)	Chemical linkers *PEG*	O	X
중국	Eftansomatropin alfa	hyFc *Pure Protein Format*	X	O

출처: I-Mab Corporate Presentation January 2023

소아 성장호르몬결핍증 치료제, 임상 3상

임상 목표

중국 내 소아 성장호르몬 결핍증(Pediatric Growth Hormone Deficiency, PGHD) 환자를 대상으로
성장호르몬 결핍 소아 대상자에서 장기간 반응하는 재조합 인간 성장호르몬(GX-H9)의 효능과 안전성 평가

임상 진행 현황

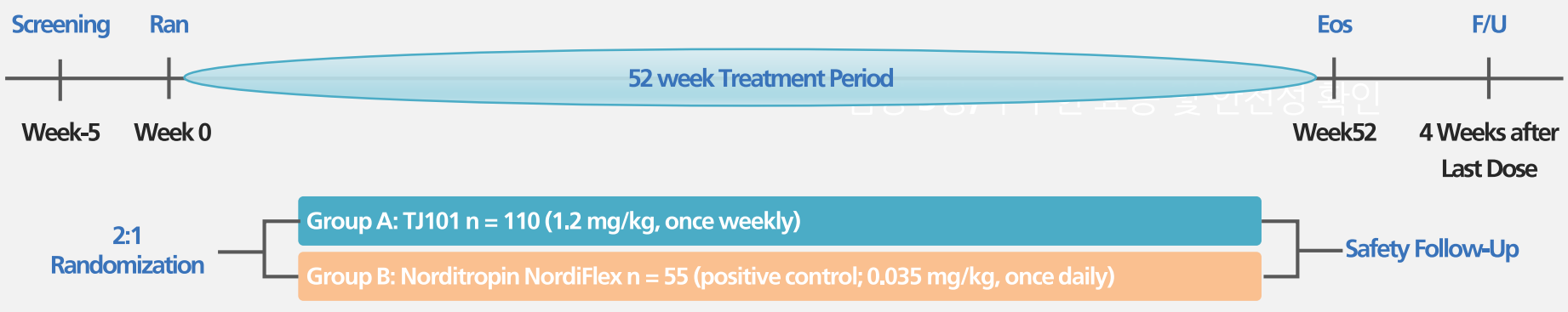
2016.06 유럽의약품청(EMA)로부터 희귀의약품으로 지정

2020.10 중국 식약처 CDE(Center for Drug Evaluation) 임상 시험 승인

2021.09 임상 3상 첫 환자 투약 개시

2023.10 임상 3상 결과 수령, CSR 대기중

임상 디자인



02 GX-H9

Genexine

임상 3상 결과, 우수한 효능 및 안전성 확인

시험 개요

임상방식

: 다기관, 무작위, 오픈라벨 (공개 임상 시험), 활성 대

대상환자

: 소아 성장호르몬 결핍증(PGHD) 환자

대조군

노보노디스크의 노디트로핀®(Norditropin®)

임상목표

: 노디트로핀®(Norditropin®) 대비 비열등성 확인

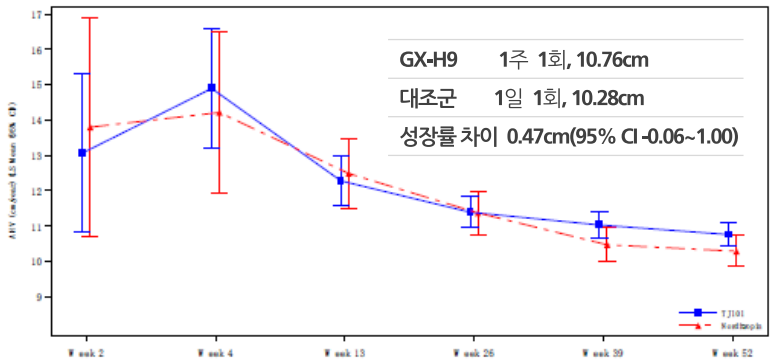
결과 내용

지속형 성장호르몬 제제 GX-H9(주 1회)은
1세대 성장호르몬 제제인 노디트로핀(일 1회)에 비해
52주차에 AHV 측면에서 통계적 비열등성 보임

임상 3상, 우수한 효능 및 안전성 확인

효능 확인

52주 시점별 키 성장속도(Annualized height velocity, AHV) 비교분석



투여군 간 유의미한 차이 발생
(p-value=0.0403)

→ 매일 투약한 대조군은 약 **10.28cm** 성장,
주 1회 투약한 GX-H9군은 약 **10.76 cm** 성장함을 확인

안전성 확인

주사 부위의 지방위축증,
인슐린 저항성 등
약물 부작용 발생하지 않음
→ 안전성 및 내약성 확인

중국 품목허가신청서 (BLA) 제출 계획

안전성, 투약편의성, 시장성까지 차별화된 제품 차별화 포인트 보유

GX-H9의 경쟁 제품 대비 차별화 경쟁력

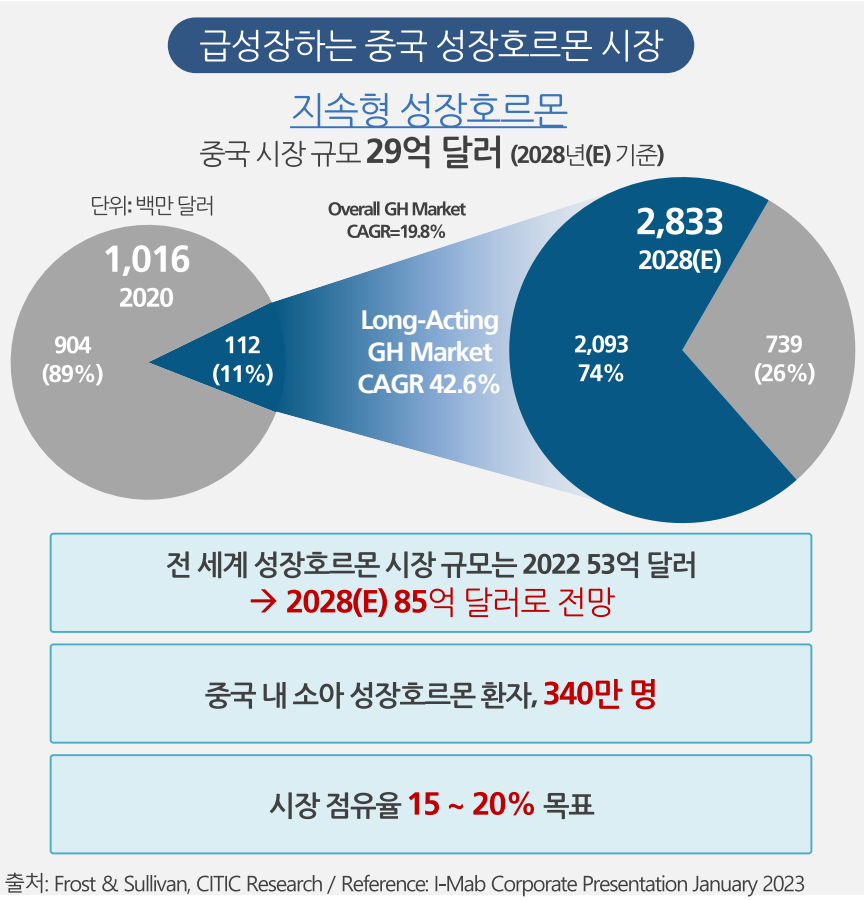
Weekly 피하주사 — 소아환자에서 **2**주 **1**회 투여 가능

투여 편의성 제고 — 환자 투여 횟수 감소, 자동 주사기 개발 중

우수한 투약 안전성 — 화학적 변형 없는 유일한 성장호르몬 치료제, 임상결과, 투여 의한 약물 부작용 발생 **X**

우수한 효능 — 일일 성장호르몬제 대비 높은 키 성장속도 확인

타깃 시장

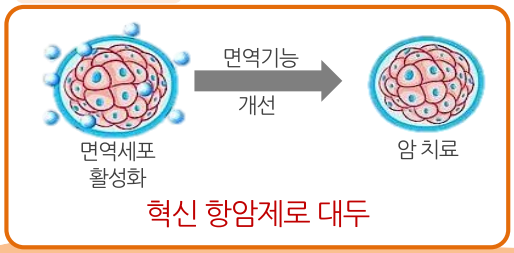


출처: Frost & Sullivan, CITIC Research / Reference: I-Mab Corporate Presentation January 2023

고속 성장을 이룩할 3세대 면역 항암제 시장

항암제 시장 트렌드

1세대 항암제 → 화학(세포독성) 항암제 → 2세대 항암제 → 표적항암제 → 3세대 항암제 → 항암 면역 치료제



고성장이 예견되는 면역항암제 시장

면역항암제 시장 고속 성장 전망

면역항암제 시장에 고속 성장이 전망된다. 글로벌데이터에 따르면 면역항암제의 적응증이 확대되며 시장 규모가 작년 480억달러에서 연간 23.6%씩 성장해 2028년까지 1500억달러를 넘어설 전망이다.

의학신문

전 세계 항암제 시장 260조...5년 후 80% 더 커진다

2021년 전 세계 항암제 시장 규모는 1840억 달러(한화 약 262조원)로 나타났다. 의약품 시장조사기관 아이큐비아는 2027년에는 3390억 달러(약 483조원)로, 5년 간 69% 성장할 것으로 내다봤다.

NEWSIS

바이오의약품 업계, 면역항암제가 활발히 개발 중
→ 체내 존재하는 다양한 면역 구성 요소를 활용(대다수 T세포 기반)

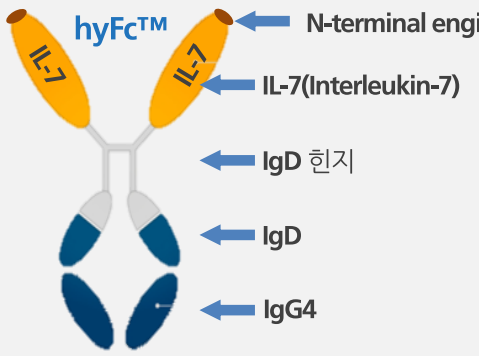
면역항암치료에서 중요한 역할을 하는 T세포
→ 면역관문억제제: T세포 억제하는 단백질의 활성 차단
→ 면역세포치료제: T세포 변형 후, 환자의 체내 다시 주입해 암세포만 선택적 제거하도록 유도

∴ T세포의 항암 면역반응을 유도하는 면역항암제
정상 범위의 T세포 수(Quantity) 유지가 중요

지속형 인터루킨-7(IL-7-hyFc) 림프구감소증 치료제

GX-I7이란?

지속형 인터루킨**-7(IL-7),** 화학항암제/방사선치료요법 등으로 감소한 **T**세포 수 증가시켜 근본적인 면역력 증진 도움주는 **T cell Amplifier(T** 세포 증폭제**)**



- 유일한 임상 단계 지속형 인간 인터루킨**-7**
- 현재까지 승인된 림프구 감소증 교정 약물은 전무
- 순수 및 기억 **T** 세포 발달 및 면역 반응 지속 위한 인터루킨**-7**
- 면역관문억제제 또는 **CAR-T** 요법과의 병용에 유리한 **PK/PD** 및 안전성 프로필
- 고형 종양 및 혈액학적 악성 종양에 대한 계획에서 진행 중인 다양한 임상시험 진행중

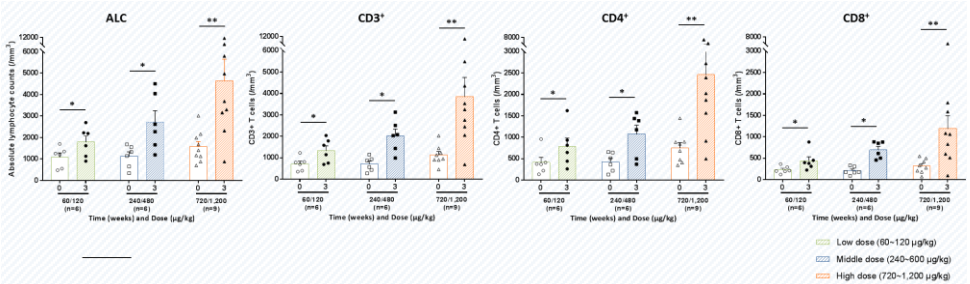
GX-I7 효능

우수한 효능

ALC, CD3, CD4, CD8 용량 의존적 증가 확인
TNBC 임상 **2**상 키트루다 단독 **ORR 5.3%**
→ 키트루다**+GX-I7** 병용 **ORR 21.2%**

높은 안전성

안전성은 B 세포 및 T 세포 계통의 초기 림프 세포 성장인자로 작용하는 인터루킨-7의 가장 큰 특성. 사이토카인 폭풍* 등 부작용 없는 안전한 치료 가능



Poster Presentation SITC 2019

*ALC(Absolute lymphocyte count): 절대적림프구수치, T세포 증폭의 지표 / *CD3: 면역 T세포 활성 증진시키는 작용
*사이토카인 폭풍 : 외부 침투 바이러스에 대항하기 위해 인체 내에서 과다한 면역작용 이뤄지며 정상 세포까지 공격하는 현상

세계유일 지속형 인터루킨-7 제제, GX-I7

세계 유일 지속형 인터루킨-7 항암제, GX-I7

다양한 미충족 의료수요

췌장암 및 대장암 (GX-I7 + αPD-1)

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

Acute Radiation Syndrome

NIH NIAID

- 美 NIAID(국립 알레르기 전염병 연구소)에 ARS 치료제 비임상 연구 계약
  향후 미 국방부 공급계약 추진
  (Amgen: 혈소판감소증 치료제 약 3천7백억 원 공급 선례)

FDA Orphan Drug Designation

- 2023 美 FDA 희귀의약품 지정(ODD)

희귀의약품 지정

- **美FDA ODD(희귀의약품 지정)**
  → 진행성 다발초점성 백질뇌병증, 교모세포종(GBM), CD4 림프구감소증(ICL), 췌장암
- GBM 임상1/2상 중간결과(GX-I7+표준치료제 병용)
  →표준치료제 대비 1년 **생존율 증가**
  * 표준치료제 1년 생존율은 25%

면역관문억제제와 우수한 상용성

TNBC(GX-I7 + αPD-1)

- 경쟁약물 대비
  → PD-L1 양성 환자에서 **반응률 증가** ↑
- T 림프구 증가
  → T 림프구 감소증 환자에서 **생존율 증가** ↑

- 美 FDA 희귀의약품 지정(ODD)→ 진행성 다발초점성 백질뇌병증, 교모세포종(GBM), CD4 림프구감소증(ICL), 췌장암

02 GX-188E

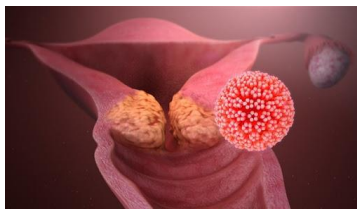
Genexine

항암치료용 DNA 백신, GX-188E

적응증 및 시장 현황

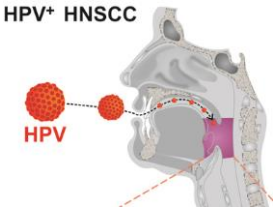
: HPV(human papilloma) 16/18 바이러스로 유발되는 암(자궁경부암, 두경부암 등)

자궁경부암(Cervical Cancer)



▲인유두종바이러스(HPV) ▲인간면역결핍바이러스 ▲헤르페스바이러스 등으로 자궁경부에서 발생하는 암

두경부암(Head and neck cancer)



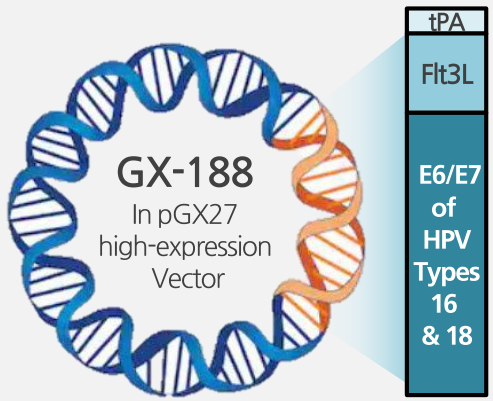
▲인유두종바이러스(HPV) ▲담배 ▲알코올 등으로 입, 코, 목, 후두, 코곁굴(부비동), 침샘에서 시작되는 암

*HPV: 손과 입 통한 성기접촉, 성기간 접촉 등 경로로 감염. 해당 부위에 많이 유발됨. 자궁경부암, 구강암, 편도암, 두경부암, 설암, 식도암, 비강암, 직장암, 항문암, 외음부암, 방광암, 남성 고환암, 전립선암 등 유발

HPV 원인 암 발생 증가 → 타깃 시장 확대

- **자궁경부암 환자 60만 명, 두경부암 환자 10만 명** 이상 매년 발생
- 주요 발병 원인인 **HPV, 전세계 3억 명** 이상 이미 감염
- HPV
  - 성별 관계없이 발생 → **여성부터 남성까지 치료백신 적용 범위 확대**
  - 체내 유입 경로에 따라 신체 모든 부위 암 유발, 발병률 ↑↑

제넥신의 DNA 벡터 기술이 적용된 GX-188E

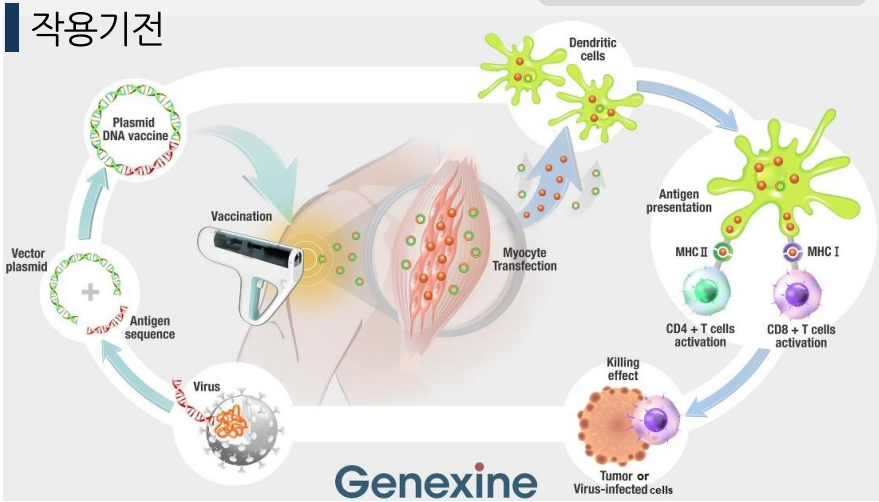


효율적인 DNA백신 전달
→ 전기천공기 근육 세포투여

HPV 16/18 특이적
T세포 면역반응 선택적 유도

효과 극대화
(면역관문억제제 병용 투여시)

작용기전



02 GX-188E_두경부암

Genexine

HPV 16/18 양성인 두경부암 환자 대상 GX-188E, GX-I7, 키트루다 or 옵디보 삼중병용 IIT

진행 현황

임상 현황

IIT, HNSCC Phase 2 (KR)
[Locally advanced, Neoadjuvant]
GX-188E + GX-I7 + KEYTRUDA®

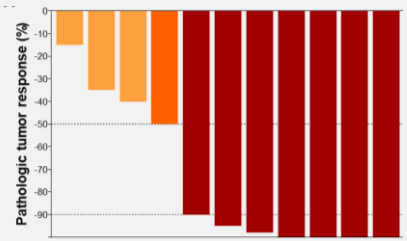
'22.05 FPI → '22.08 LPI → '23.01 Preliminary efficacy data → '23.06 2023 ASCO → '23.4Q Expansion Study(n=45) → '24.4Q Safety & Efficacy interim data

중간결과

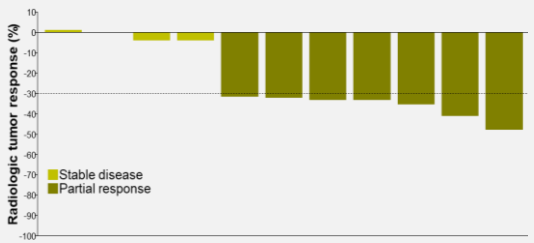
3중 병용 안전성 프로파일 및 높은 병리학적 반응 확인

→ pathologic Complete Response, 36.3%(4/11)
→ Major Pathologic Response, MPR: ORR 63.6%(7/11)

Expansion Study (n=45)



Pathologic response



Radiologic response

시험 개요

시험제목	GX-188E, GX-I7 or Pembrolizumab 병용 / GX-188E, GX-I7, Pembrolizumab 삼중 복합 요법을 평가하기 위한 공개-라벨 제2상 임상시험
대상환자	HPV 16형 또는 18형 양성인 절제 가능한 국소 진행성 두경부암 환자
시험방법	Screening → 3weeks → 2 to 8weeks → Operation

	Screening	3weeks	2 to 8weeks
KEYTRUDA	★		★
GX-188E	★	★	★
GX-I7		★	

추가 임상 현황

IIT, HNSCC Phase 2 (KR)
[recurrent/metastatic, ≥2L], n=21
GX-188E + GX-I7 + OPDIVO®

'22.08 FPI → Preliminary Safety data & Dose reduction

02 GX-188E_자궁경부암

Genexine

GX-188E + 키트루다 병용요법 제1b/2상 종료, 우월한 유효성 입증

진행 현황

임상 현황

2022.09 GX-188E, 키트루다(KEYTRUDA, 성분명: Pembrolizumab) 병용 임상시험 1b/2상 종료

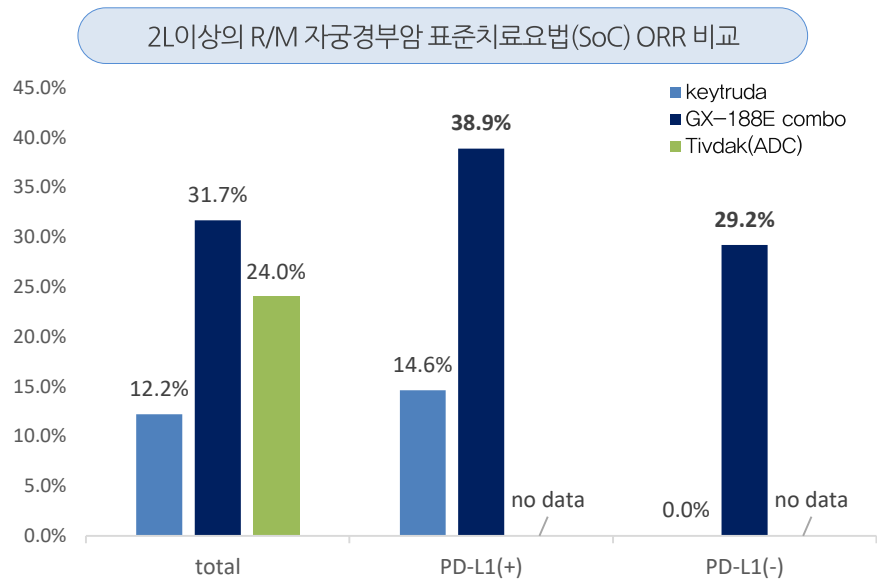
시험 개요

임상목적	대상환자	임상방법
GX-188E와 Pembrolizumab 병용 요법에 대한 안전성, 항종양 활성, 내약성 및 유효성 평가	표준치료에 실패한 HPV Type 16 또는 18형 양성 자궁경부암 환자 중 다발성 전이 지닌 진행성 또는 재발성 환자	- 9주 간격 종양 평가 진행 - 회당 2mg씩 총 6회 GX-188E 근육 투여 - 3주 간격 200mg Pembrolizumab 정맥 주사 투여

타 자궁경부암 치료 약물 대비 유효성 비교

약물	임상 시험[a]	객관적 반응률	질병 통제율	무진행생존기간 중앙값(월)	생존기간 중앙값 (월)	안전성 ((≥Gr3 AE %)
GX-188E + 키트루다 병용	2상 (60명)	**35.0 %**	**57.0 %**	**4.4**	**16.7**	**4.6%**
키트루다 (Pembrolizumab) 단독	2상 (98명)	12.2 %	30.6 %	2.1	9.4	12.2%
티브닥 (tisotumab vedotin-tftv)	2상 (101명)	24.0 %	72.0 %	4.2	12.1	28.0%
아바스틴 (Bevacizumab)	2상 (46명)	10.9 %	No data	3.4	7.3	No data (but 위험↑)

a: 표준치료에 실패한 진행성, 재발성, 전이성 자궁경부암 환자 대상



Saving
Lives
through
Innovation
Genexine

CHAPTER

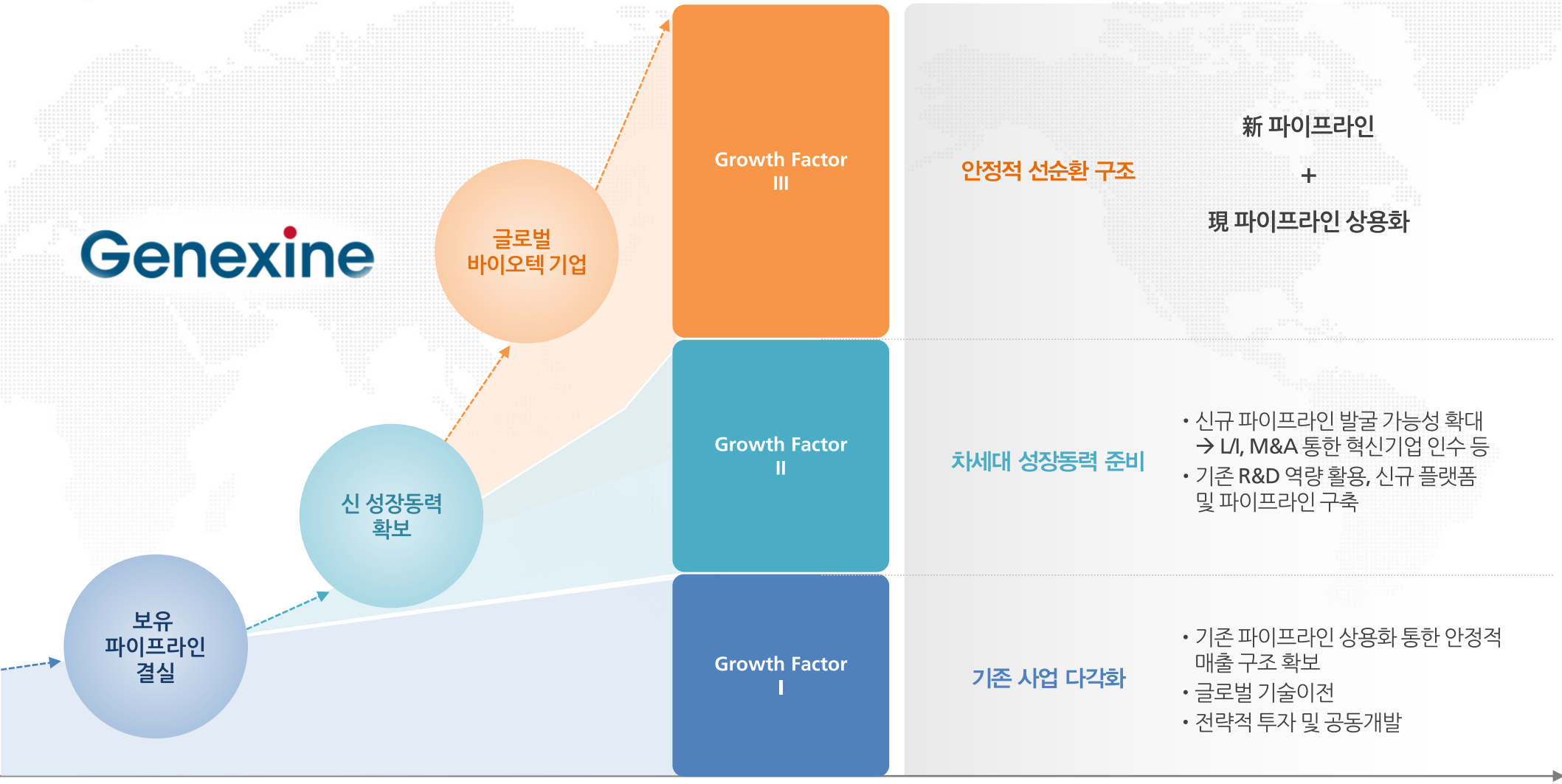
03 Growth Momentum

01. 중점 추진전략
02. 신성장동력 확보 (1), (2)
03. 차별화된 글로벌 네트워크
04. 중장기 사업전략
05. Vision

01 중점 추진전략

Genexine

파이프라인 상용화 및 신규 파이프라인 발굴을 통한 지속성장동력 확보



02 신성장동력 확보(1)

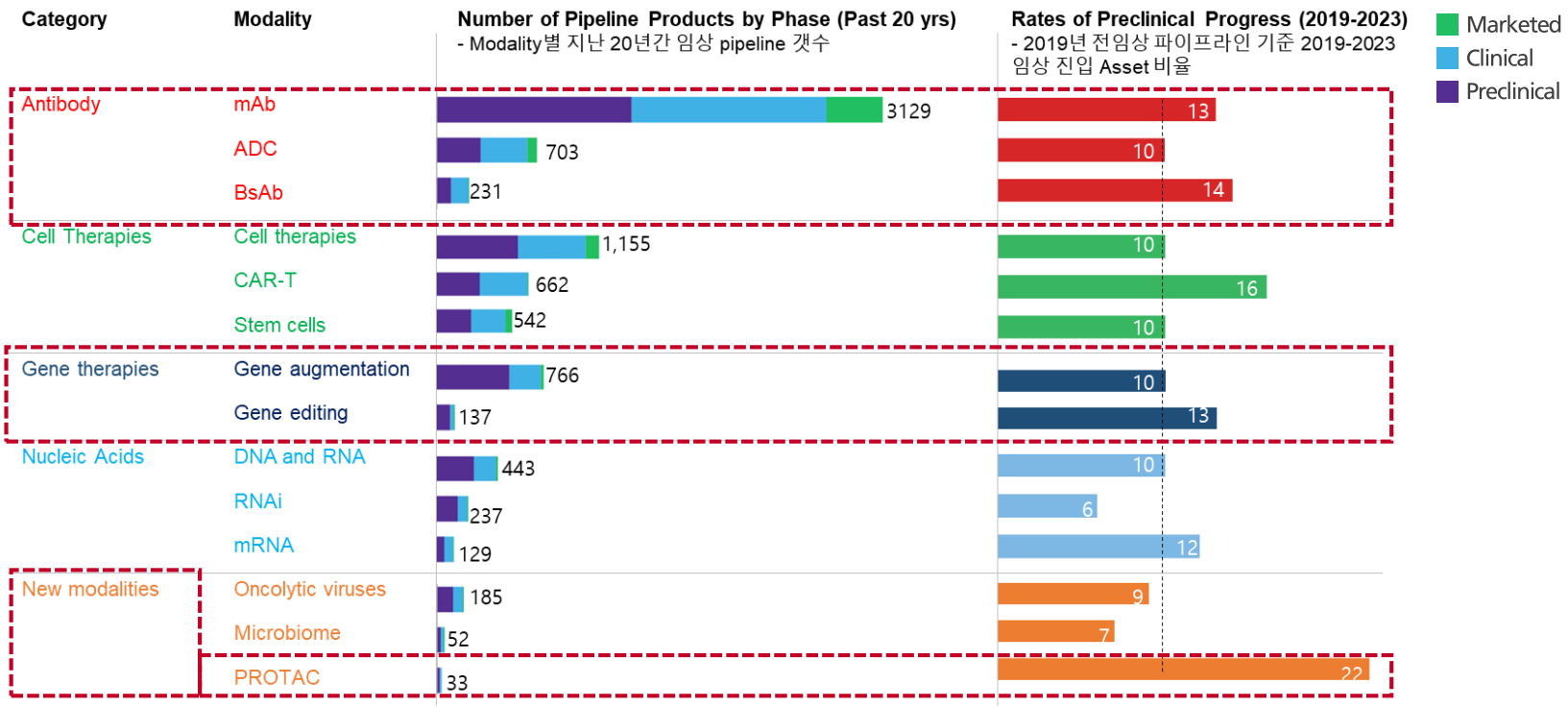
Genexine

새로운 파이프라인 발굴을 통한 미래 성장 발판

항암제 신규 파이프라인 L/I 계획

- Global 및 한국회사(100개 이상) 검토 중
→ Antibody(mAb, ADC, BsAb): 개발/상용화 측면에서 가장 활발
→ New modalities(PROTAC): Rates of Preclinical Progress 가장 높음

*mAb: monoclonal antibody / *ADC: Antibody-drug conjugate / *BsAb: bispecific antibody / *PROTAC: Proteolysis-targeting chimera



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

02 신성장동력 확보(2)

Genexine

한독-제넥신-툴젠, 혁신 신약 공동개발

비즈니스 실행 가능성 검토 개발 계획/비용 분석	CRISPR/Cas9를 기반으로 한 차세대 유전자 치료 개발
IND 및 임상시험 관련 전략적 협업	비임상 실험 검증 및 IND 준비
제넥신 임상 개발 경험 바탕으로 임상 시험 지원 및 상담 검토	유전자 치료 관련 희귀질환 임상시험 설계 및 진행

글로벌 리딩 혁신 신약 파이프라인 개발

Genexine

HANDOK

ToolGen Innovate Genome

고형암도 효과 보이는 차세대 선천 면역 세포치료제 개발 목표

(사진 왼쪽부터) 제넥신 홍성준 대표, 한독 김영진 회장, 툴젠 이병화 대표 / 사진=한독

고형암에서 한계를 보인 CAR-T 세포치료제 뛰어넘는 'CAR-X' 세포치료제 공동연구개발 계약 체결

"… 글로벌 경쟁력이 있는 신약 개발을 위해 **제넥신의 임상개발, 바이오 제조와 세포 배양 기술**, 한독의 바이오 분석기술, 툴젠의 유전자 교정 기술을 결합한다…"

03 중장기 사업전략

Genexine

희귀질환 치료제, 항암제 시장의 패러다임을 선도하는 글로벌 혁신 기업으로 도약

기업성장

주요 파이프라인 중장기 계획

GX-H9

- 글로벌 임상 3상 IND 승인 및 진입 + 다국적 제약사 L/O 계획
- GX-H9 중국 내 BLA 허가 목표
- 공정 scale up 및 CMC 자료 확보 후, 다국적 제약사 L/O 계획

GX-E4

- 비투석 환자 대상 인도네시아 허가, 국내 허가 승인 계획
- 비투석환자 글로벌 파트너십 구축 및 상업화
- 투석 환자 대상 임상3상 진행

GX-I7

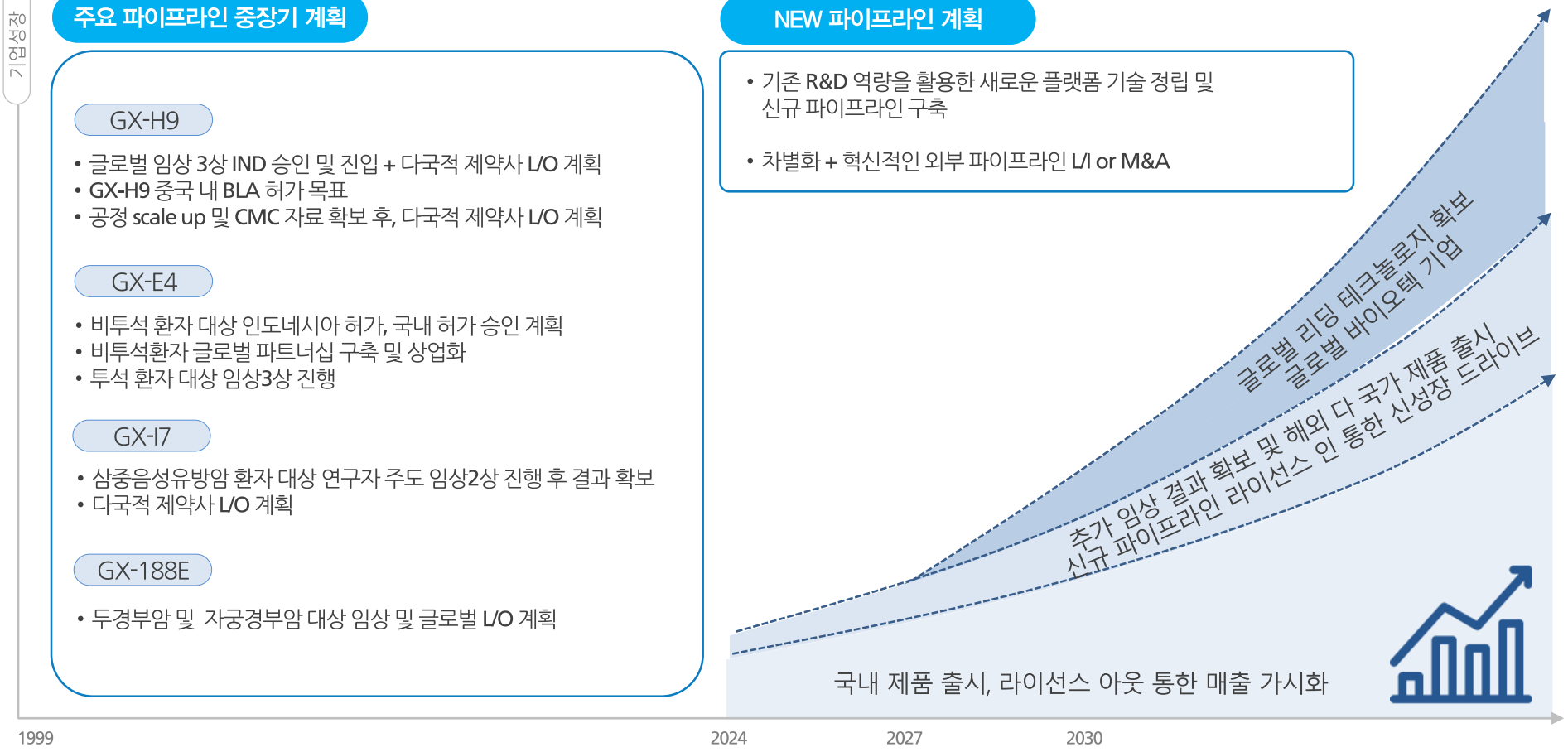
- 삼중음성유방암 환자 대상 연구자 주도 임상2상 진행 후 결과 확보
- 다국적 제약사 L/O 계획

GX-188E

- 두경부암 및 자궁경부암 대상 임상 및 글로벌 L/O 계획

NEW 파이프라인 계획

- 기존 R&D 역량을 활용한 새로운 플랫폼 기술 정립 및 신규 파이프라인 구축
- 차별화 + 혁신적인 외부 파이프라인 L/I or M&A



04 차별화된 글로벌 네트워크

Genexine

해외 6개국, JV 설립 및 파트너사와 협력을 통해 현지 생산 및 사업화 추진

Korea

- Genexine
- HANDOK
- ToolGen

EU & ASIA

- KGbio
- I-MAB BIOPHARMA
- 先合津生物 Simnogen
- ILKOGEN

US

- NEOIMMUNETECH
- PharmaJet
- REZOLUTE

Clinical Research Collaboration

- MERCK
- Bristol-Myers Squibb
- 세브란스병원 SEVERANCE HOSPITAL
- 가톨릭대학교 가톨릭중앙의료원
- 한양대학교병원 HANYANG UNIVERSITY SEOUL HOSPITAL

Genexine

Fully-integrated
글로벌 바이오텍 기업으로 도약

(현재)
대한민국 1세대 바이오텍 기업

바이오 신약 상용화

독보적 기술력을 기반으로 한
바이오 신약 상용화 기업
→ 상용화 레퍼런스 확보

글로벌 네트워크

미국, 인도네시아, 중국 등
견고히 형성된 글로벌 네트워크
→ Global 시장 경쟁력 확보

신규 파이프라인

신규 파이프라인 발굴 및 기술 협력
→지속 성장을 위한
신성장 동력 확보

혁신 신약 개발을 통한
더 건강하고 나은 삶

난치성 질환과 희귀 질환에 대한 안전하고 편리한 치료제 개발을 통해
건강한 삶에 대한 책임감과 신념으로 밝은 미래를 열어갑니다.

경청해 주셔서 감사합니다.

www.genexine.com 02 6098 2600(ext.1) ir2@genexine.com 서울시 강서구 마곡중앙로 172 제넥신 바이오이노베이션파크