

GC녹십자 R&D Investor Day

2021년 11월 22일

유의 사항: 본 자료는 주식회사 녹십자 R&D Investor Day 참가자 및 투자자 참고용으로 작성되었습니다. 본 자료에는 현 시점 기준의 예측 정보가 포함되어 있습니다. 표현상으로는 '전략', '예상', '계획', '믿다', '가능성이 있다', '할 것이다', '예측 하다', '의도하다', '해야 한다', '추정하다', '전망하다', '목표', '타겟' 등의 단어와 유사한 표현이 해당되며, 과거 또는 현재의 사실에 기반하지 않은 내용들이 해당됩니다. 예측 정보는 리스크와 불확실성을 포함하고 있으며, 예측 정보에 표현되거나 내포된 회사 및 계열사의 미래 실적 또는 성과는 실제 실적과 중대한 차이가 있을 수 있음을 양지하시기 바랍니다. 당사는 예측 정보 작성 시점 이후에 발생하는 위험 또는 불확실성을 반영하기 위하여 예측 정보에 기재한 사항을 수정하여 게재 할 의무는 없습니다.

Introduction

최근 2년간 주요 R&D 성과

4



글로벌 품목 허가 승인

2



BLA/NDA 제출

10



후기 임상 진입

13



신약 파이프라인

9/13



Open Innovation 비중

10.1%



매출 대비 R&D 투자

글로벌 품목 허가 승인: 배리셀라주, 헌터라제(CN), 헌터라제 ICV, 그린진F(CN); BLA/NDA 제출: IVIG(US), Maralixibat(KR); 후기 임상 진입: 헌터라제(KR), BCG백신, IVIG US(소아), GC1102(LT), GC1102(CHB), 탄저백신, Tdap백신, COVID19 혈장치료제, TFPI, VZV subunit; 신약 파이프라인: 희귀 혁신신약 파이프라인; Open Innovation: 13개 중 9개 open innovation

글로벌 품목 허가 및 BLA 제출 현황

Approval

Hunterase®

- 중국 NMPA 허가 승인('20.09)
- 중국 최초 헌터증후군 치료제
- 환자수: 약 3,000명

Approval

Hunterase®

- 일본 PMDA 허가 승인('21.01)
- 세계 최초 중증 헌터증후군 치료제
- 환자수: 약 170명 (중증)

Approval

GreenGene F_{inj.}

- 중국 NMPA 허가 승인('21.08)
- 유전자재조합 혈우병 치료제
- 중국 처방량: 210mn IU

Approval

배리셀라주

- 한국 식약처 허가 승인('20.03)
- 차세대 수두백신
- 접종량: 연간 48mn 도즈

BLA

Alyglo™

- 미국 FDA BLA 제출 ('21.02)
- 10% IGIV(정맥주사용 면역글로블린)
- 처방량: 연간 95톤

2019년 이후 4건의 공동 개발, 3건의 라이선싱 체결

Active in rare diseases deal makings

	파트너	체결 시기	세부내용
Collaboration		2021년 8월	<ul style="list-style-type: none"> 경구용 샤페론 치료제(GM1) 개발을 위한 공동연구 및 라이선스 계약 체결 신규 물질 특허 단독 소유 및 독점 실시권 확보/임상 단독 진행
		2021년 6월	<ul style="list-style-type: none"> 호흡기계 감염병에 관한 mRNA 백신 및 치료제 개발 업무협약 RNA 간섭 기술 기반 신약개발 업체 엠큐렉스 활용
		2021년 7월	<ul style="list-style-type: none"> 희귀질환 'SSADHD(숙신알데히드 탈수소효소 결핍증)' 치료제 공동 개발 Plasmid 관련 특허 확보, First-in-Class 개발 목표
		2020년 9월	<ul style="list-style-type: none"> 혈우병 등 희귀질환 치료제 공동 연구 협력 경구용 혈우병 치료제 개발 위한 AI 플랫폼(아톰넷) 활용한 후보 물질 발굴
Licensing-Out		2019년 1월	<ul style="list-style-type: none"> 중국 등 중화권 국가에서 헌터라제의 개발 및 상업화에 대한 권리 부여 2020년 9월 NMPA(중국 국가약품감독관리국) 품목허가 승인
		2019년 4월	<ul style="list-style-type: none"> 헌터라제 icv 개발 및 상업화에 대한 독점적 권리 부여 2021년 1월 MHLW(일본 후생노동성) 품목허가 승인
Licensing-In		2021년 7월	<ul style="list-style-type: none"> 소아 희귀간질환 신약 'Maralixibat' 개발 및 상용화 독점 라이선스 계약 체결 ALGS('2021. 9 FDA Approval)/PFIC(type2 EU BLA)/BA(임상2상 진행 중)

단일 리더십 하에 R&D 기능 단위 5개 본부로 운영

김진

R&D 부문장

- 조지아대 약학 박사
- 종근당 개발본부장

정재욱

RED본부장

Research & Early Development

- 퍼듀대 유기화학 박사
- GSK 전문위원

- 초기 후보 발굴
- 신규기술도입및내재화

허기호

MSAT본부장

Manufacturing Science & Technology

- 아주대 생명공학 석사
- GC녹십자 생산본부장

- 공정 특성 연구 및 제조
- GMP 기술 이전

신수경

의학본부장

- 서울대 약학 석사
- IQVIA 임상본부장

- 임상시험 운영 관리
- 안전성, 유효성 평가

이재우

개발본부장

- 서울대 약학 박사
- LG화학 제품개발담당

- 신제품 허가 등록 관리
- 제품 Value 강화

김지현

BD본부장

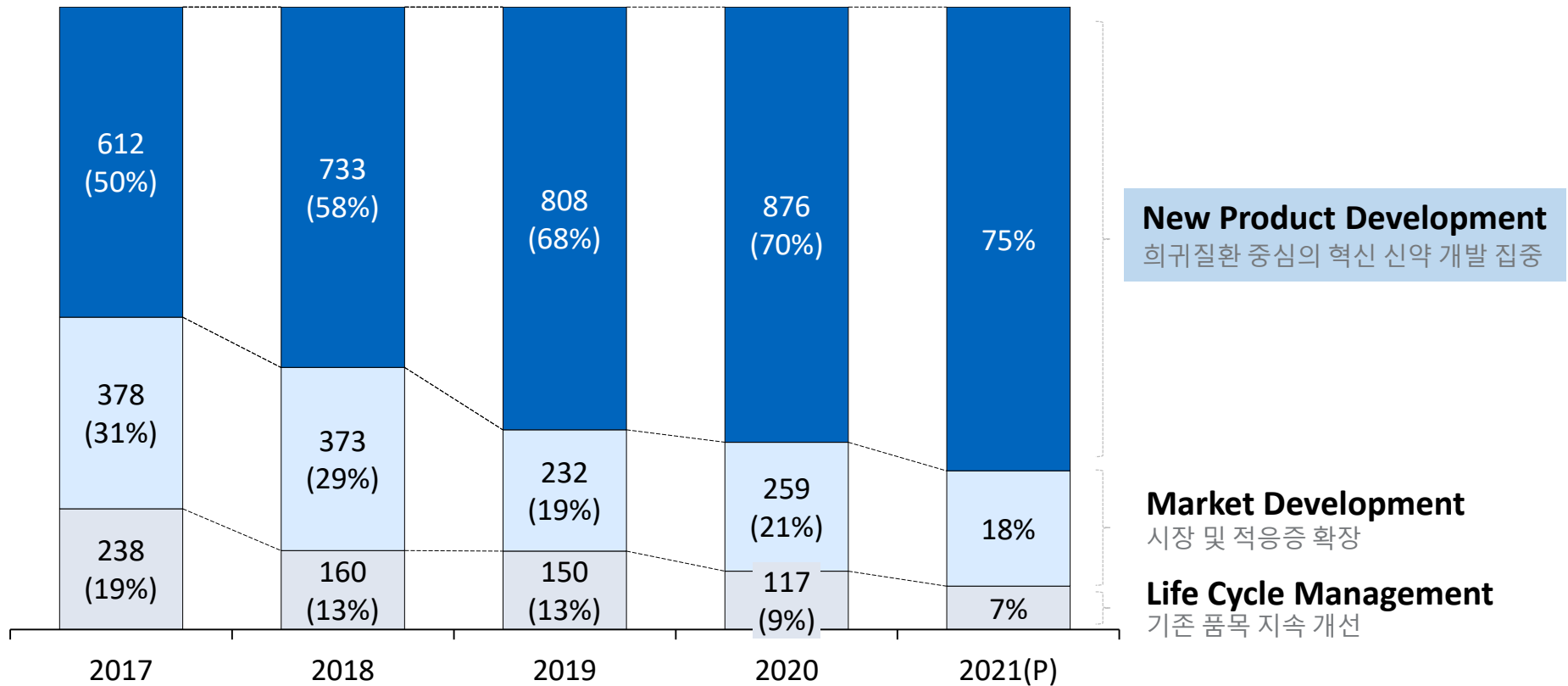
- 중앙대 약학 석사
- EISAI 사업개발부서장

- Licensing IN/OUT
- Open Innovation

혁신신약 개발에 R&D 투자 집중

R&D 투자 비중의 명확한 방향성

(억원)

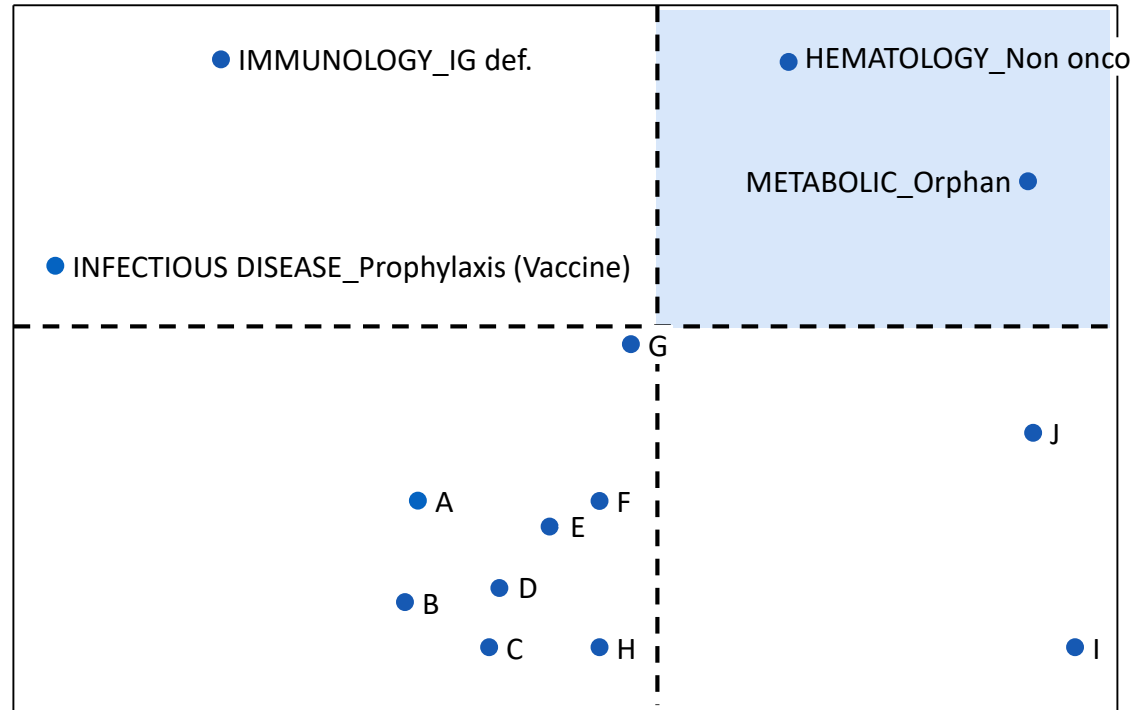


희귀질환 분야 혁신신약 개발에 초점

Market Attractiveness/Internal Capability 분석에 따른 집중 TA 선정 결과

Internal Capability

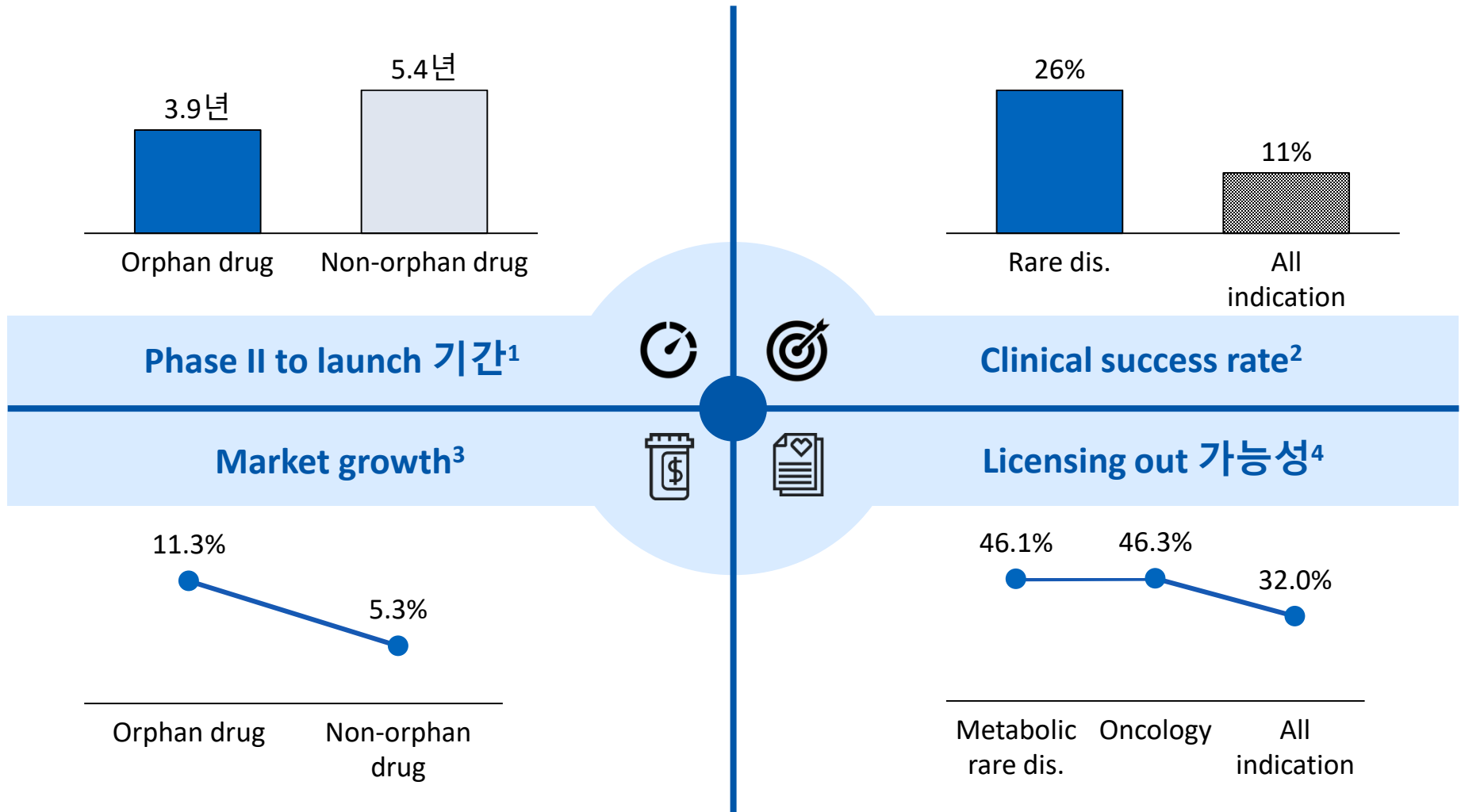
- Value chain 별 KSF 정의
- GC녹십자 경험 평가



Market attractiveness

- Market growth
- L/O 가능성 평가

희귀질환 영역의 높은 Market Attractiveness



Source: Orphan drug report (Evaluate pharma, MAY 2018); Internal Analysis

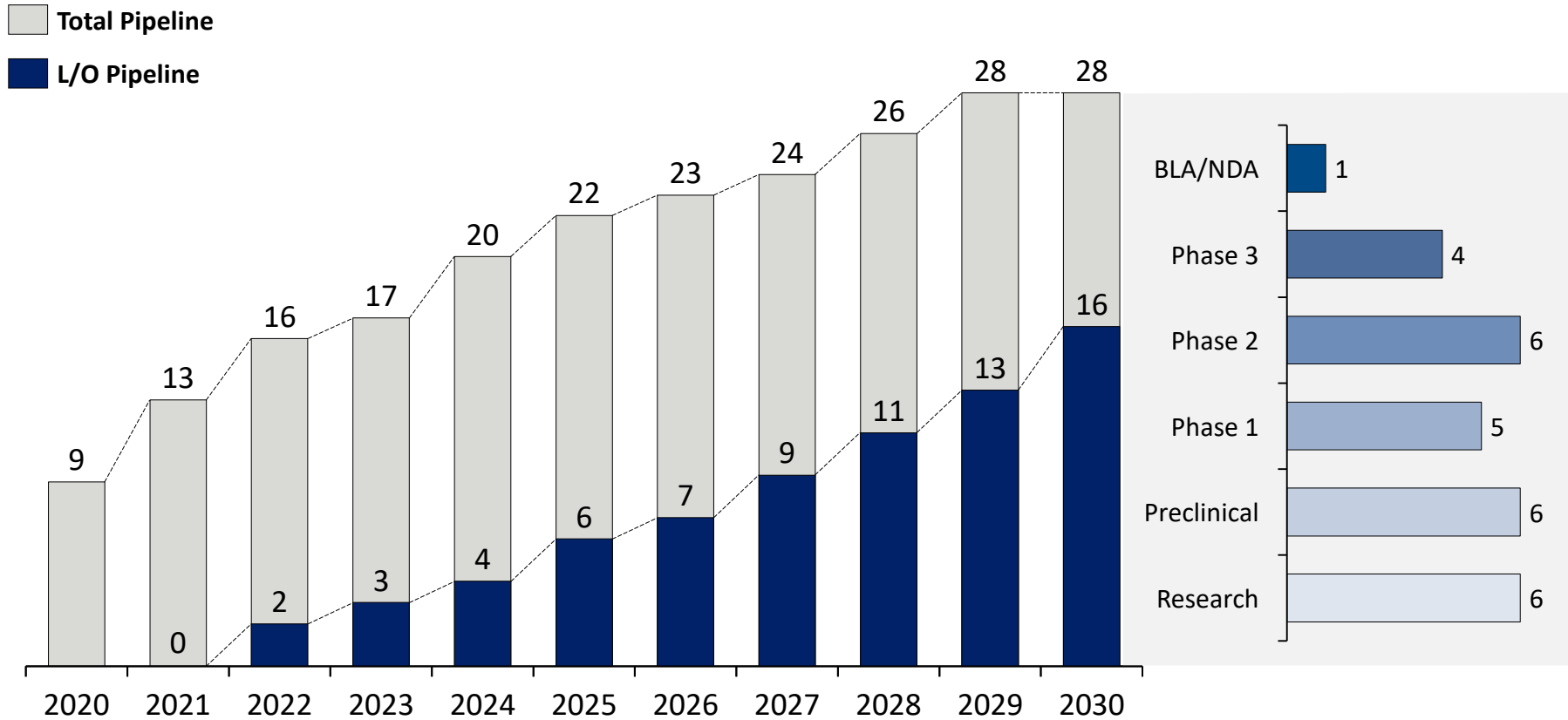
1. From phase II to launch 2. Success Rate= Success Rate of Phase I X Phase II X Phase III X Regulatory Submission (2010 – 2018)

3. CAGR, 2018 – 2024 4. (% of partnered status) = (partnered pipeline 수) / (total global pipeline 수)

희귀질환 혁신신약

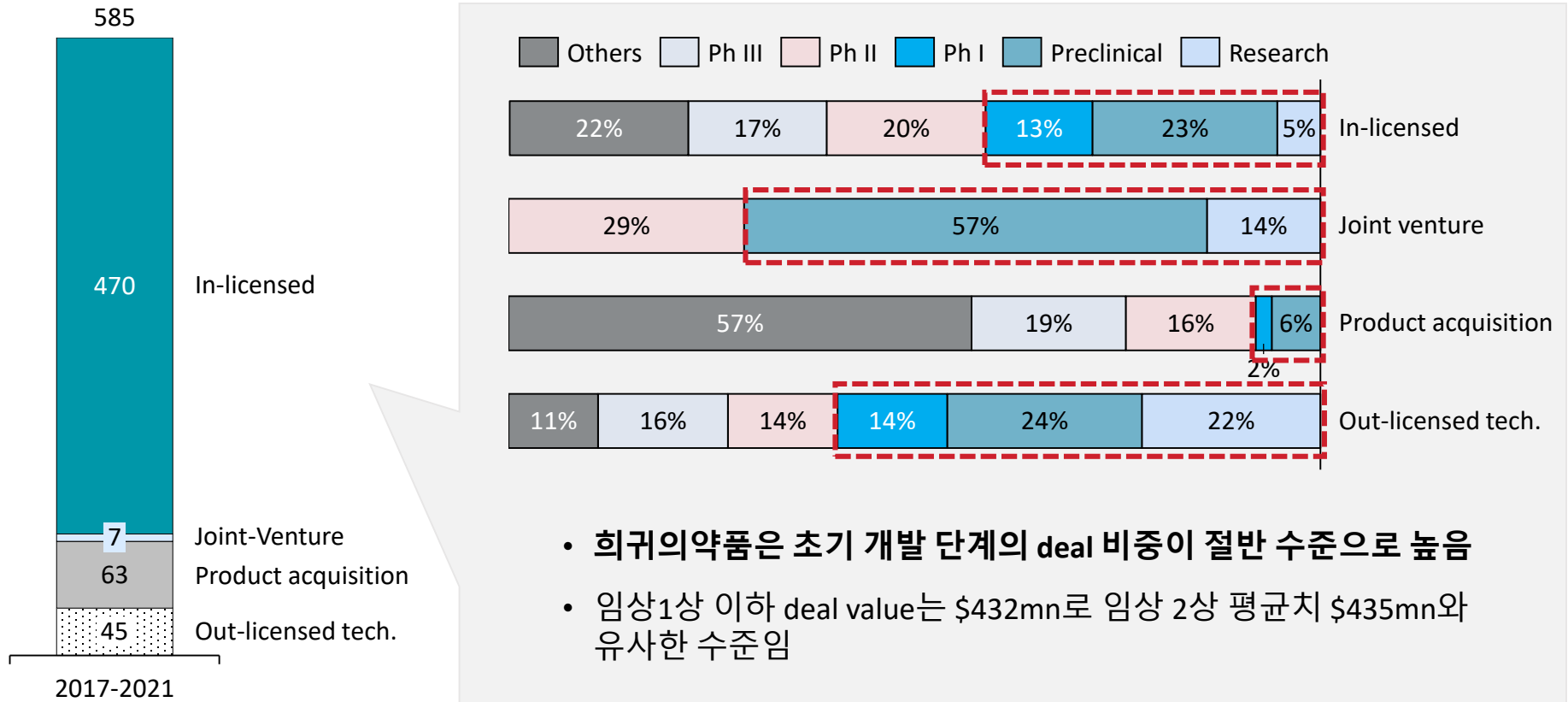
2030년까지 신약 파이프라인 2배 이상 확충 계획

희귀질환 혁신신약 파이프라인 개수의 변화 추이



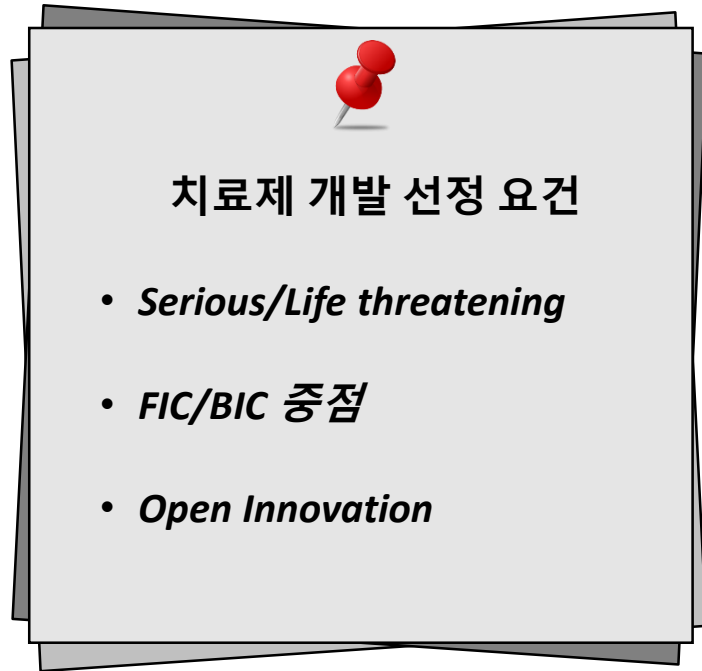
희귀질환 치료제의 개발 단계별 Licensing Deal 비중

Rare disease 영역의 deal analysis



Source: Evaluate Pharma, Internal Analysis

희귀질환 치료제 개발 과제 선정 및 전략

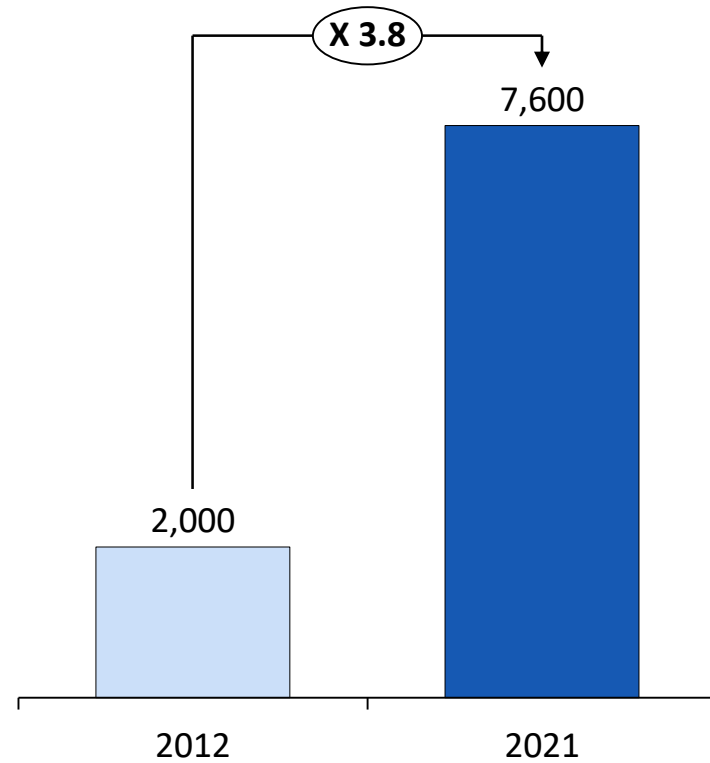


치료제 개발 선정 요건

- *Serious/Life threatening*
- *FIC/BIC 중점*
- *Open Innovation*



헌터증후군 발생 추정 환자수(WW)

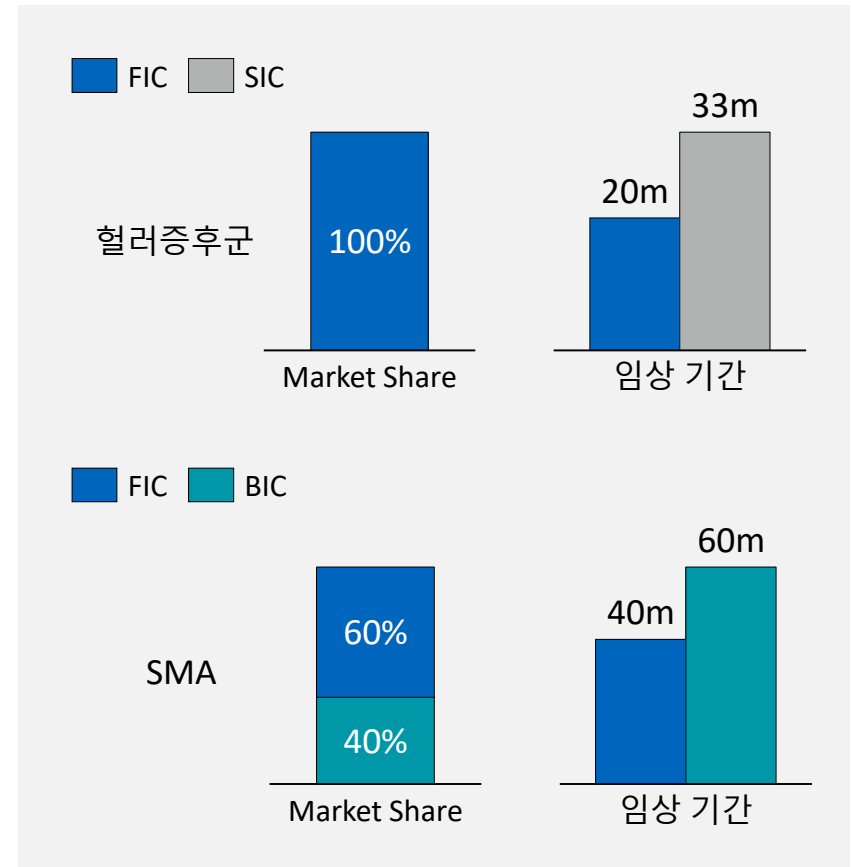


선점 효과와 Unmet Needs를 충족하는 FIC와 BIC에 집중

희귀질환 치료제 시장의 특징

- FIC 제품의 시장 선점 효과 큼
- 치료제 출시 후 급격히 신규 환자수 감소
 - 임상 환경의 악화, 허가 요건 강화
- 후발 주자 임상 기간 FIC 대비 평균 1.5-2배 필요
- Unmet Needs 충족하는 BIC인 경우 유의미한 M/s 가능

희귀질환 치료제 별 M/s 및 임상 기간



5개 희귀질환 First-in-Class 신약 과제 운영

단계	과제코드	적응증	환자수	파트너	개발 현황 및 추구 목표
비임상	GC1130A	점액다당류증 (MPSⅢA)	• 2,000명(WW)	• 노벨파마	<ul style="list-style-type: none"> • 비임상 독성 • ICV 투여 가능한 고농도 제형
	GC2126A	강글리오시디증 (GM1)	• 500-1,000명 (WW)	• Tottori Univ.	<ul style="list-style-type: none"> • Lead optimization • 뇌혈관장벽 투과도 높은 경구용 치료제
연구	GC1129A	숙신알데히드 탈수소효소 결핍증 (SSADHD)	• 2,600명(WW)	• Speragen	<ul style="list-style-type: none"> • 질환동물 효력 확인 중 • US FDA "Patient-focused drug development" Track
	GC1135A	피크노디소토시스 (Pycnodysostosis)	• 200명(WW)		<ul style="list-style-type: none"> • Drug candidate optimization • Bone targeting 기술을 적용하여 치료 효과 강화
	GC1136A	레쉬-니한증후군 (LND)	• 2,200명(WW)	• Feldan	<ul style="list-style-type: none"> • 약물 후보 선정중 • 세포투과성 펩타이드 기술을 적용한 약물 DDS 개선

8개 희귀질환 Best-in-Class 신약 과제 운영

단계	과제코드	적응증	환자수	파트너	개발 현황 및 추구 목표
비임상	GC1126A	후천성 혈전성 혈소판 감소성 자반증 (aTTP)	• 매년 7,500명 발병 (US, EU, JPN)		<ul style="list-style-type: none"> 후보물질 도출 완료 반감기 증가에 의한 혈소판 수 회복 및 지속력 증가
	GC1133A	점액다당류증 (MPS)	• 200-300명 (WW)	• 한미약품	<ul style="list-style-type: none"> 최종 약물 후보 대상의 동물 효력 시험 진행 중 한미의 PK 기반 기술과 녹십자의 CMC 역량을 통한 long-acting 약물 개발
	GC1134A	파브리병 (Farby)	• 5만명 당 1명 발병	• 한미약품	<ul style="list-style-type: none"> 최종약물 선정 완료 반감기를 증가시켜 환자 투약 편의성 향상
연구	GC1126B	낮형세포병 (SCD)	• 매년 3-4만명 발병(WW)	• Minnesota Univ.	<ul style="list-style-type: none"> 동물 효력 진행 중 동일 물질의 적응증 확장을 통한 asset value 상승 (L/out)
	GC2119A	점액다당류증 (MPS)	• 16,500명(WW)		<ul style="list-style-type: none"> Lead optimization 경구용 치료제 개발을 통한 환자 투약 편의성 개선
	GC2120A	혈우병 (Hemophilia)	• 30,000명 (US)	• Atomwise	<ul style="list-style-type: none"> Hit 선별 중 Machine learning 선두 업체와 협업을 통한 경구용 혈우병 치료제 개발 (IV → 경구용)
	GC9114A	리중후군 (Leigh syndrome)	• 4만명 당 1명 발병		<ul style="list-style-type: none"> 약물탐재 기술 연구 중 Exosome 기술을 이용한 약물의 전달 효율 강화
	GC9116A	후천성 혈전성 혈소판 감소성 자반증 (aTTP)	• 매년 7,500명 발병 (US, EU, JPN)	• TAGcyx	<ul style="list-style-type: none"> Drug candidate 확정 및 영장류 실험 계획 중 경쟁약물 (Cablivi) 대비 높은 혈전분해 효력을 기반으로 차별성 확보하고자 함.

임상 개시 후 허가까지 평균 5.9년, NPV \$2.5bn

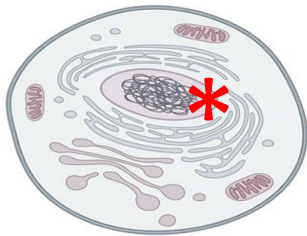
제품명	개발사	파트너	질환	분류	개발 기간	WW Sales 2026	CAGR 2020-2026	Today's NPV
Brineura	Biomarin社	Rutgers Univ.	CLN2 (약 250명 US)	First-in-class, ICV, ERT	임상 1상 시작 3년 10개월 후 BLA 승인 (Apr 2017)	\$301mn	+18.2%	\$559mn
Mepsevii	Ultragenyx社	St. Louis Univ.	MPS VII (약 500명 US)	First-in-class, IV, ERT	임상 1상 시작 4년 7개월 후 BLA 승인 (Nov 2017)	\$47mn	+20.4%	\$170mn
Zolgensma	Norvatis社	AveXis	SMA	Best-in-class, IV, Gene Therapy	임상 1상 시작 5년 후 BLA 승인 (May 2019)	\$1,861mn	+12.5%	\$8,160mn
Cablivi	Sanofi社	Ablynx	aTTP	First-in-class, SC, Nanobody	임상 2상 시작 8년 후 BLA 승인 (Feb 2019)	\$593mn	+28.9%	\$2,857mn
Cerdelga	Genzyme社	Michigan Univ.	Gaucher	Best-in-class, SRT, Small molecule	임상 2상 시작 8년 2개월 후 BLA 승인 (Aug 2014)	\$327mn	+3.4%	\$721mn

Source: GlobalData, Internal Analysis

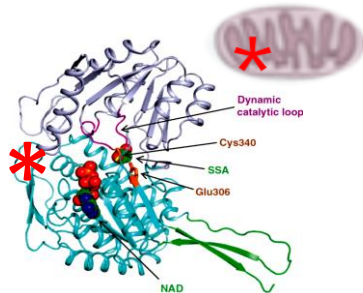
FIC 혁신 신약 SSADHD치료제

숙신알데히드 탈수소효소 결핍증(SSADHD)

Genetic mutation
(*aldh5a1**)



Protein mutation
(SSADH)



- SSADH 결핍으로 GABA, GHB 축적으로 발생하는 신경퇴행성 질환 → ERT 치료제 필요
- 약 2,600명의 환자 발병(ww), 100만명당 1명의 유병률, 만 1세 전후 발병 추정
- Unmet need : **현재 치료제 없음**. 발작 증상 완화를 위한 항경련제 처방

치료제 개발을 위한 협력 체계 구축



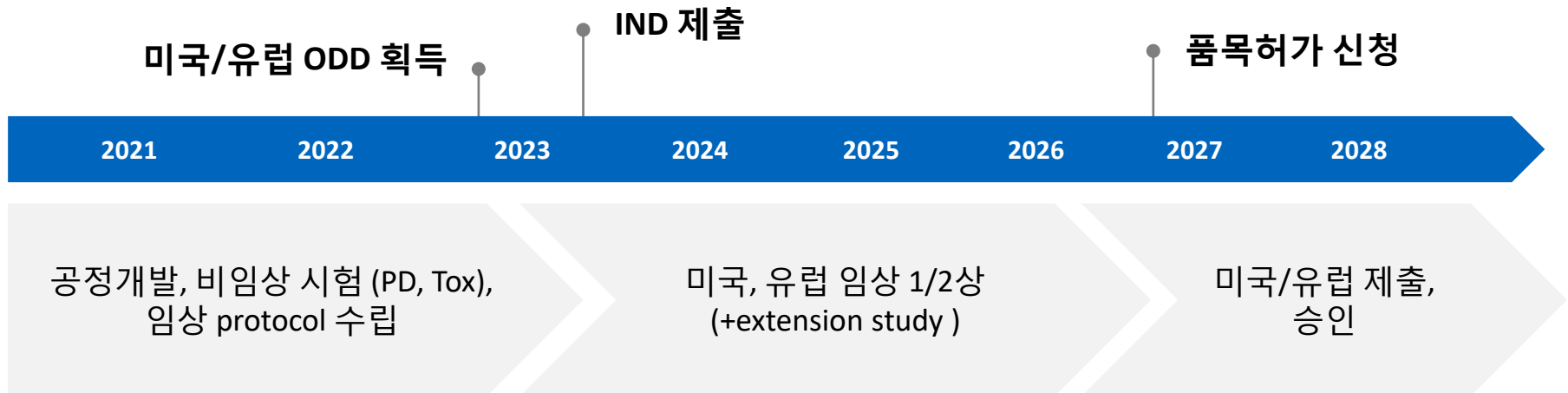
FIC 혁신 신약 SSADHD치료제

FDA와 환자 단체 협업을 통한 임상 가이드라인 수립



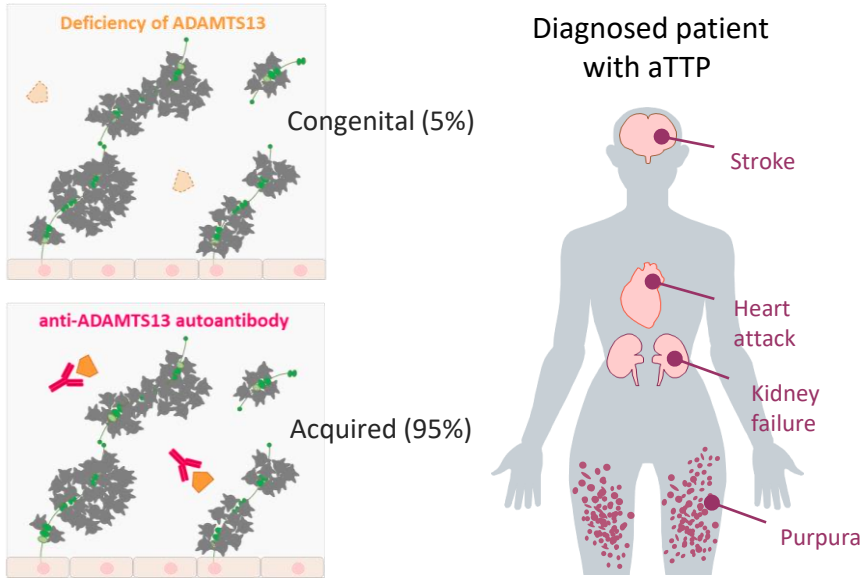
Patient-Focused Drug Development(PFDD)

- 환우회와 stakeholder 협력 하에 미팅 진행
- FIC rare disease 치료제 개발의 경우 환자들에게 중요한 clinical outcome assessment 정보 수집이 필요
- 미팅 결과 반영하여 임상 protocol 초안 수립 예정



BIC 혁신 신약 aTTP 치료제

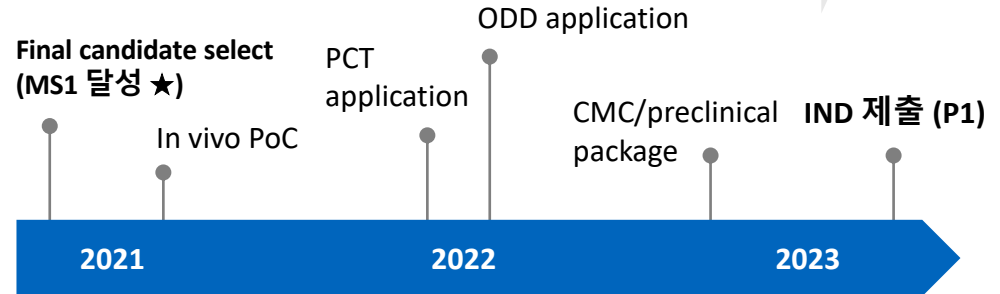
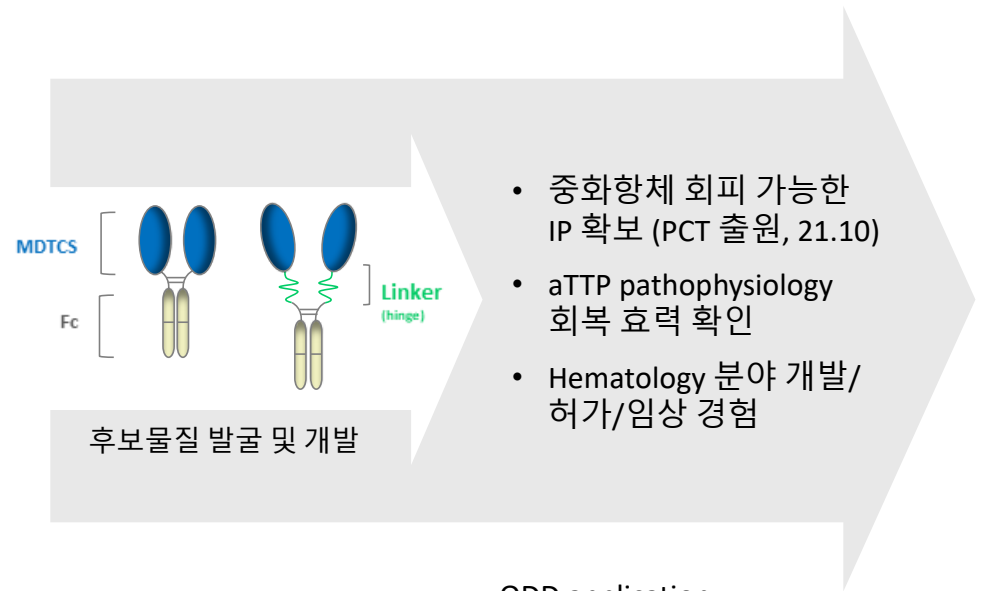
후천성 혈전성 혈소판 감소성 자반증(aTTP)



- ADAMTS13¹의 기능 이상의 희귀 혈액 질환으로, 후천적 자가 면역에 의해 발생
- **매년 약 7,500명의 환자² 발병**, 여성 환자가 2/3, 주로 20-50세 성인, 약 \$270mn 규모 시장³ 형성

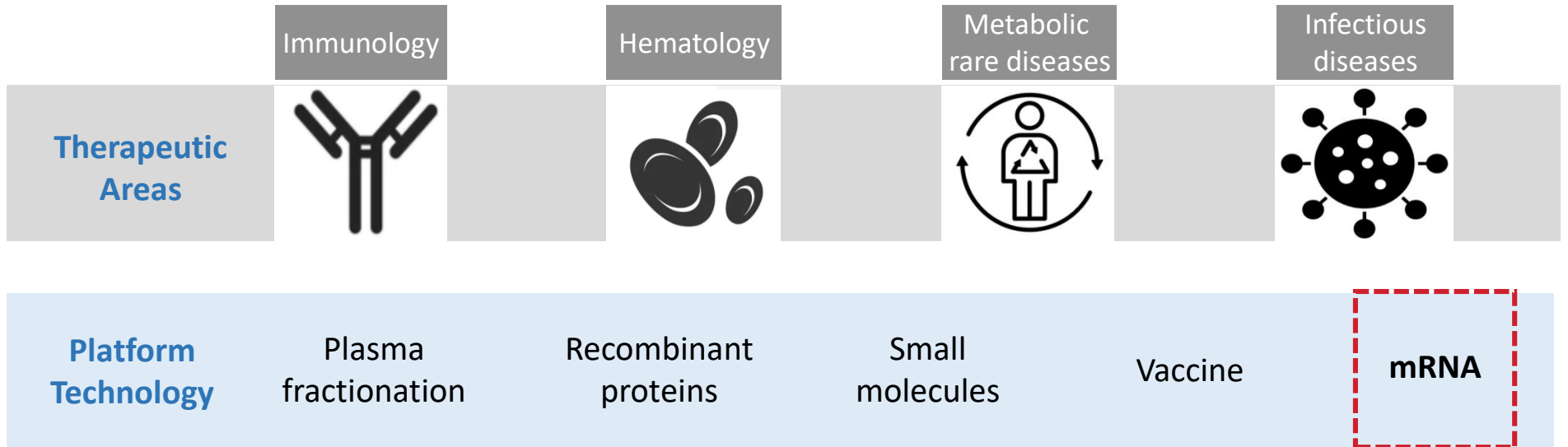
1. 혈소판 응집에 중요한 역할은 하는 vWF 인자의 정상적인 대사에 관여하는 효소 2. US, EU, JPN 기준 3. FIC 약물 Sanofi의 Cablivi, 2019년 US FDA 승인

표준 치료제 한계점 극복



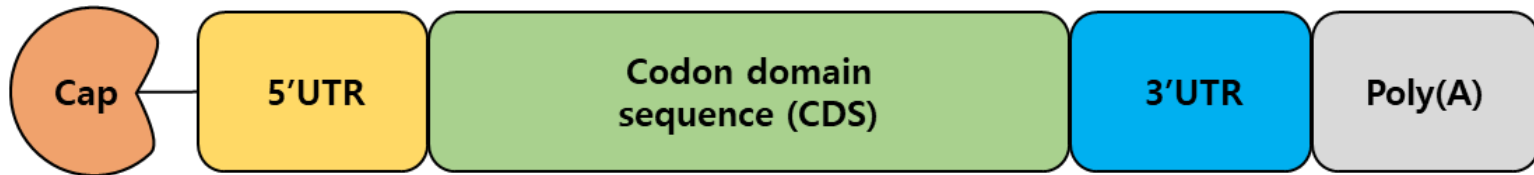
mRNA 플랫폼 기술

신약 포트폴리오의 지속 확대를 위한 추가 플랫폼기술 필요



mRNA 분야 연구 진행 상황

mRNA structure



Cap

5-UTR

CDS

3'-UTR

Poly-A

- Trilink's Clean Cap AG

- 고대 공동연구 진행
- Patent free sequence 사용

- Well-known Optimization software 사용
- AI 관련 기술 도입 예정

- Patent free sequence 사용

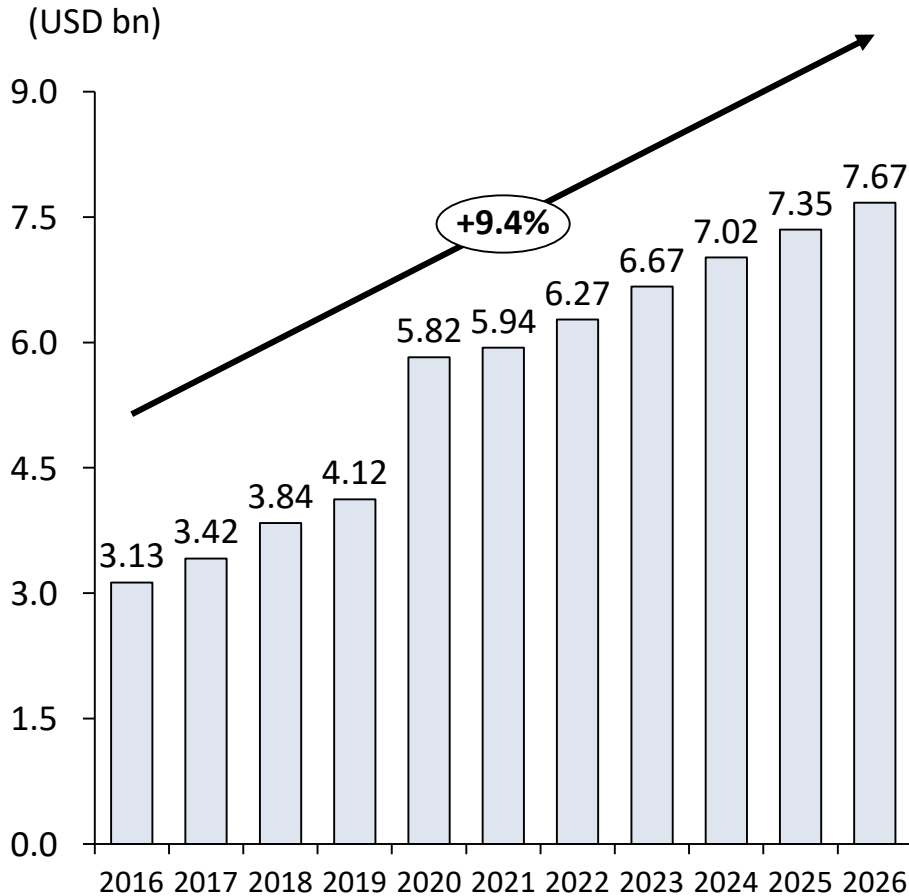
- Known literature 이용 공정 기술 확보

- 2021/12 특허 출원 예정

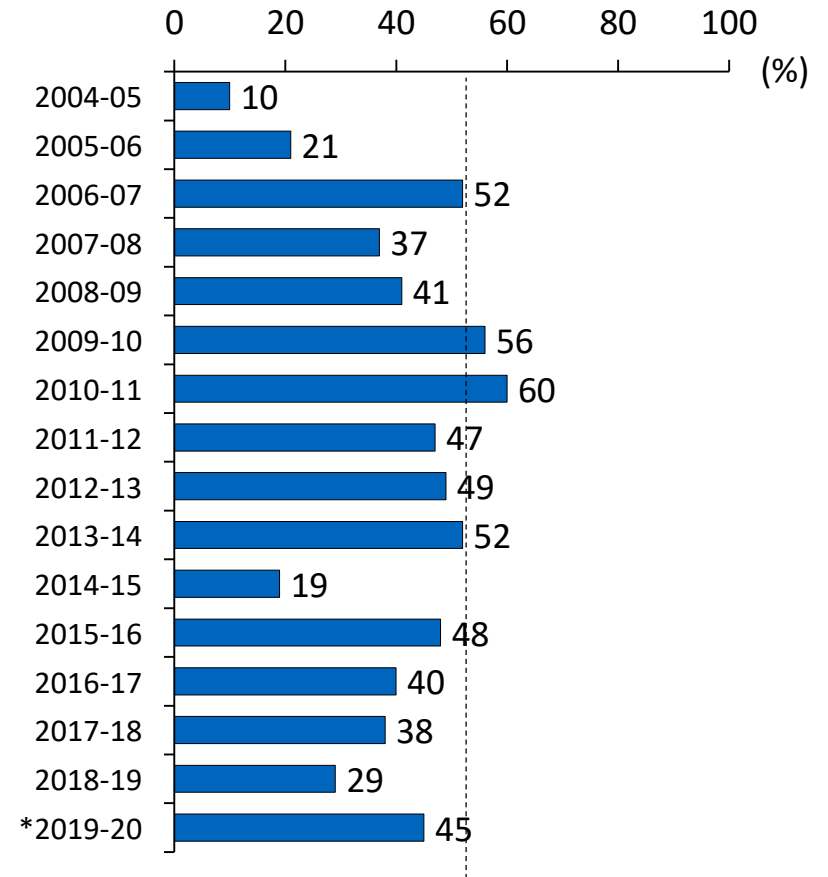
- 2022/1H 단독 특허 출원 예정

mRNA 독감백신 개발 기회 요소

Influenza Vaccine WW Market Size¹








Influenza Adjusted Overall VE² (CDC)



1. Source: Evaluate pharma 2. Vaccine Effectiveness *Interim estimates, data from October 23, 2019–January 25, 2020

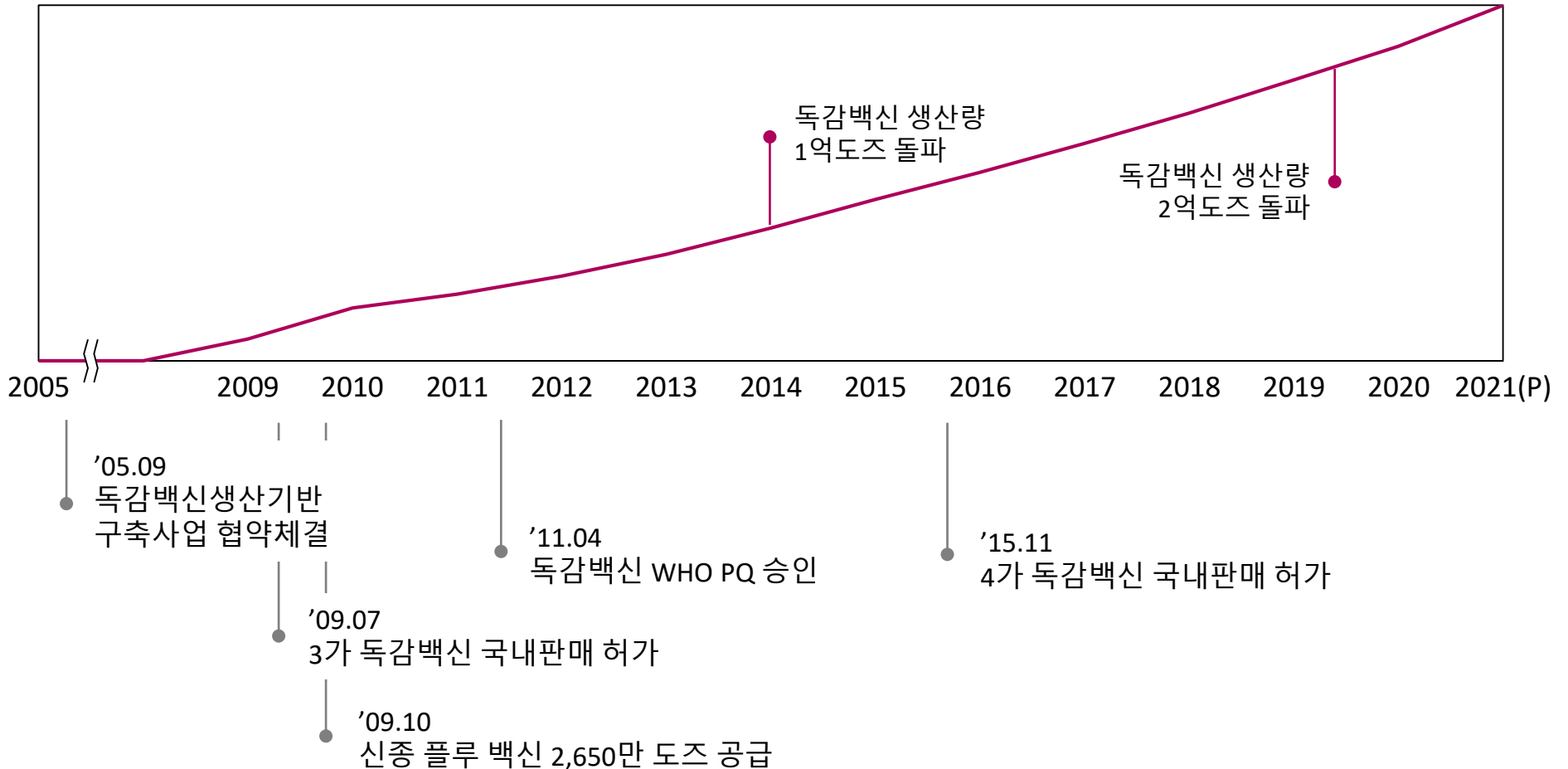
mRNA 독감백신 개발 동향

구분					
프로젝트	MRT5400/MRT5401	CV-7201	SA-mRNA Influenza Vaccine	BNT-161	mRNA-1010
단계	Phase 1	Pre-clinical	Pre-clinical	Pre-clinical	Phase 1/2
세부 내용	<ul style="list-style-type: none"> Translate Bio 와 mRNA 기반 백신 개발 계약 체결 ('18.6월) 임상 1상 개시 ('21.6월) : H3N2 HA 항원 target : 280명 (18~49세 건강한 성인) 	<ul style="list-style-type: none"> CureVac 과 공동연구 '25년 하반기 임상3상 data 확보 목표 COVID 또는 다른 호흡기 질환 백신과 combination 연구 진행 가능성 언급 	<ul style="list-style-type: none"> SA-mRNA influenza vaccine 개발 진전 사항 언급 없음 Egg based, Cell based 에 adjuvant(MF59) 적용하여 적응증 추가 전략 유지 	<ul style="list-style-type: none"> BioNTech 과 공동연구 임상1/2상 개시 ('21.9월) : 4가 (H1N1, H3N2, B-Y, B-V) 개발 목표 	<ul style="list-style-type: none"> 임상1/2상 개시 ('21년 7월) : 4가 (H1N1, H3N2, B-Y, B-V) 적용 : 180 (18세 이상 건강한 성인)

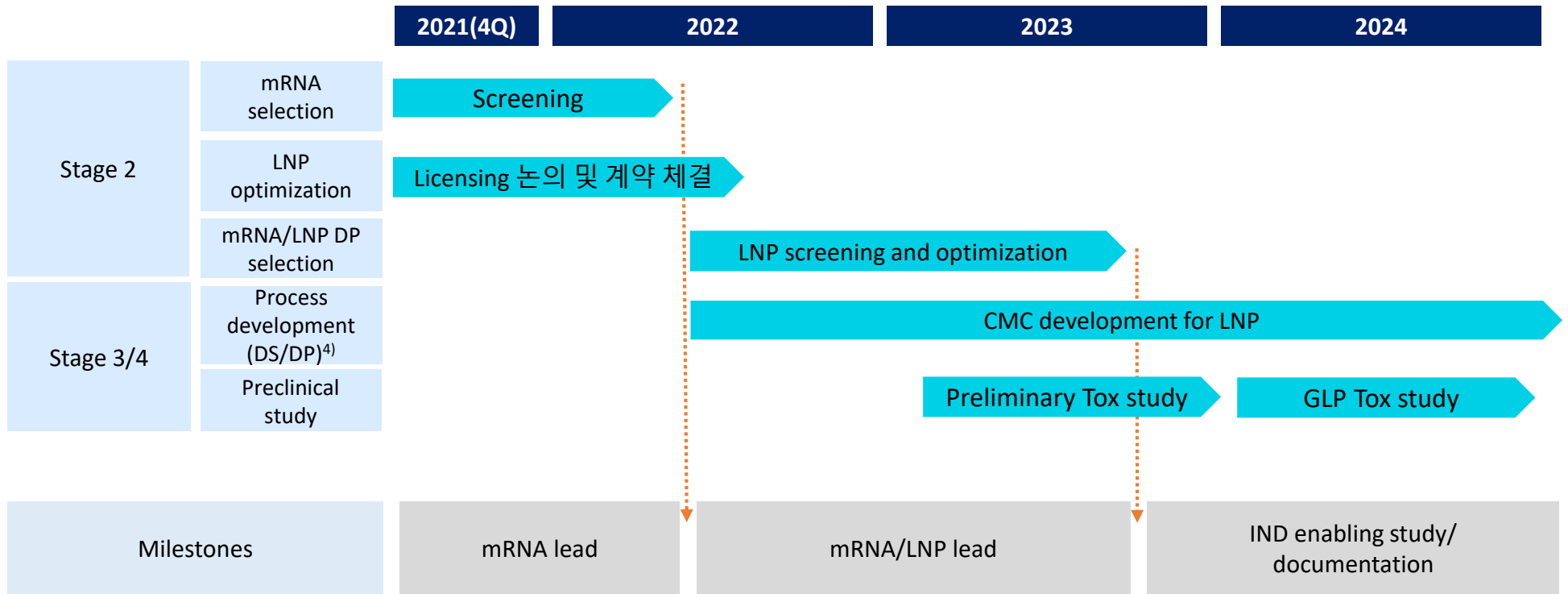
Source: 각 회사 IR 및 PR 자료

독감백신 사업에 대한 높은 경쟁력 보유

지씨플루® - 독감 백신 국내 점유율 1위 & PAHO 공급 전 세계 1위



mRNA 독감백신 개발 일정



차세대 대상포진 백신

MG1120A(CRV-101) 개발 현황

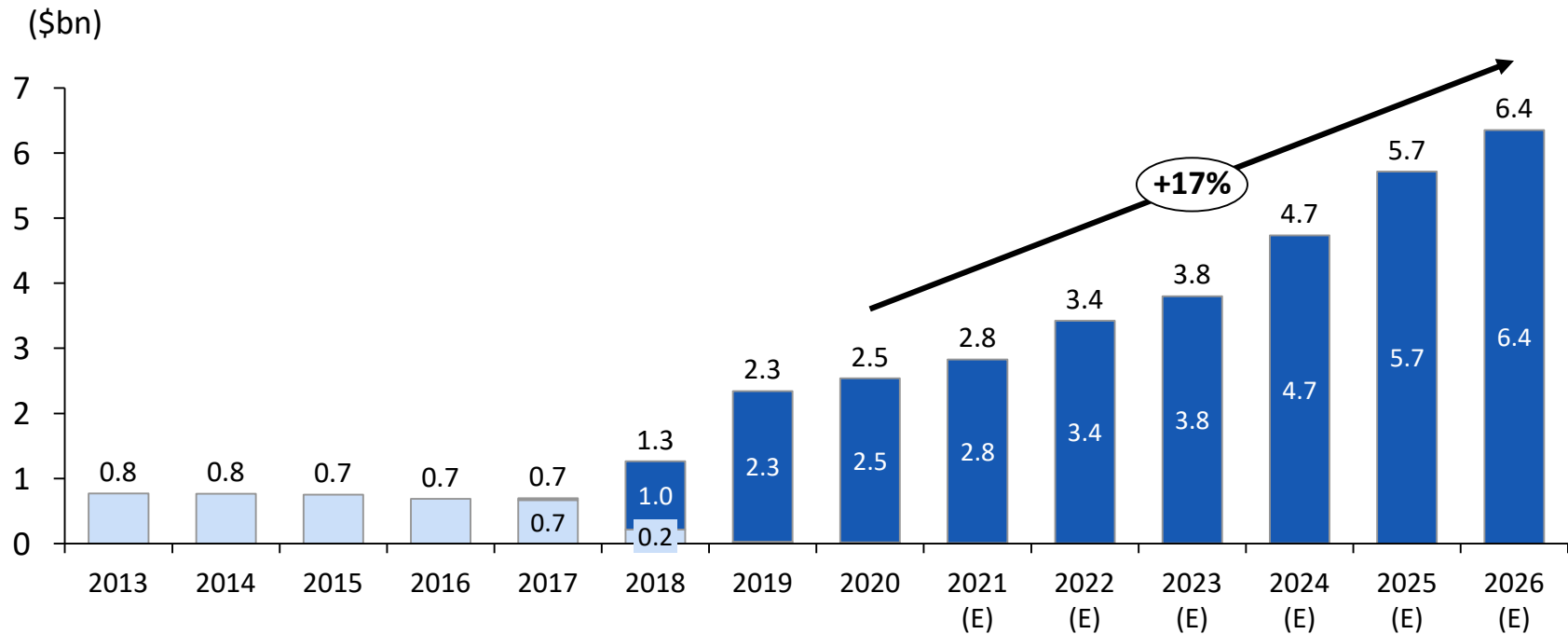
CRV101



TYPE	Adjuvanted recombinant protein	Adjuvanted recombinant protein
API	<p style="text-align: center;">gE + SLA-SE</p> <ul style="list-style-type: none"> • SLA-SE: 순수 합성 Adjuvant Shingrix의 MPL 대비 높은 potency로 투여량이 적으며, 낮은 reactogenicity 기대됨 	<p style="text-align: center;">gE + AS01(MPL + QS21)</p> <ul style="list-style-type: none"> • QS21: Soapbark tree 추출 Adjuvant 백신 접종 후 흔하게 보고되는 reactogenicity의 주원인으로 지목됨¹
Efficacy	Shingrix와 유사 효력 보임(Ph.I)	97.2% (all subjects)
Safety	3등급 이상 중증 부작용 0%(Ph.I)	Reactogenicity
# of doses	TBD	2 shots

Market growth potential & opportunity

글로벌 대상포진 백신 시장 규모¹



• 2006년 미국 허가

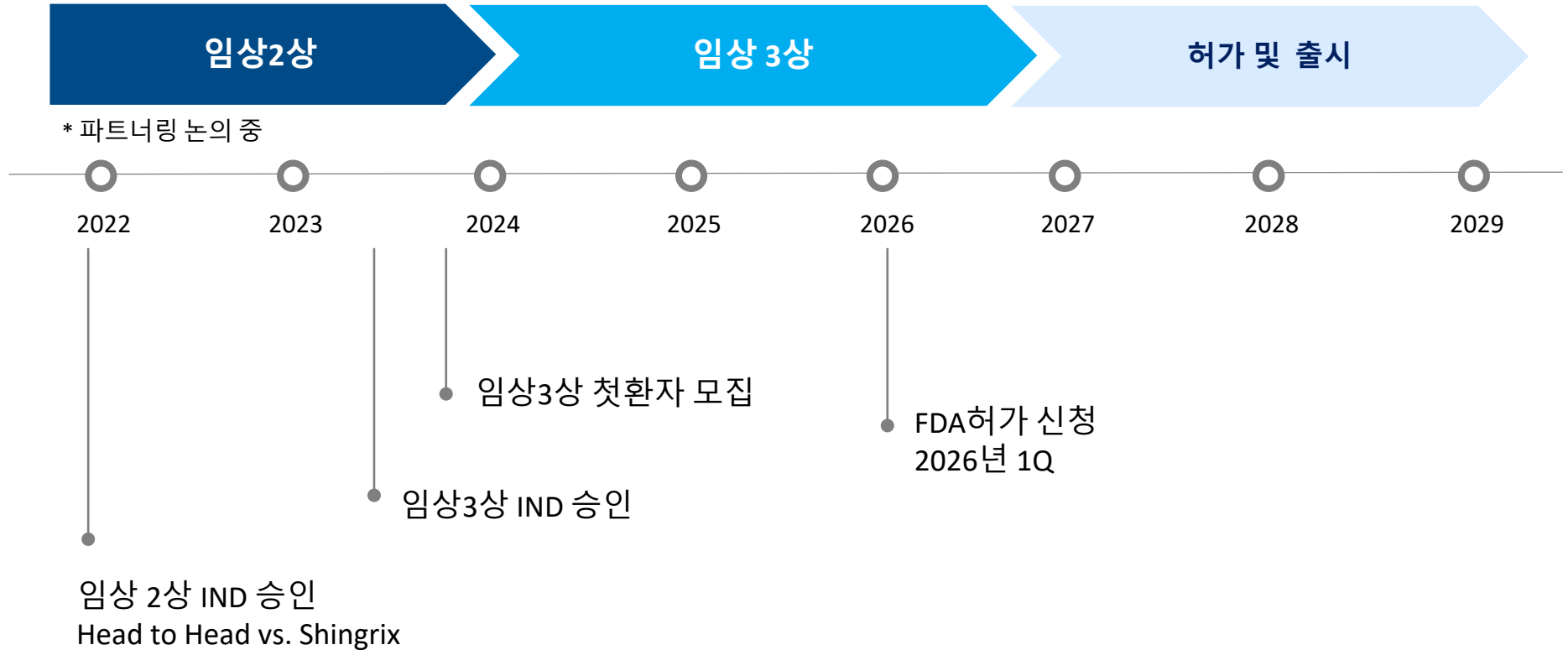


• 2017년 미국 허가



1. Source: Evaluate Pharma

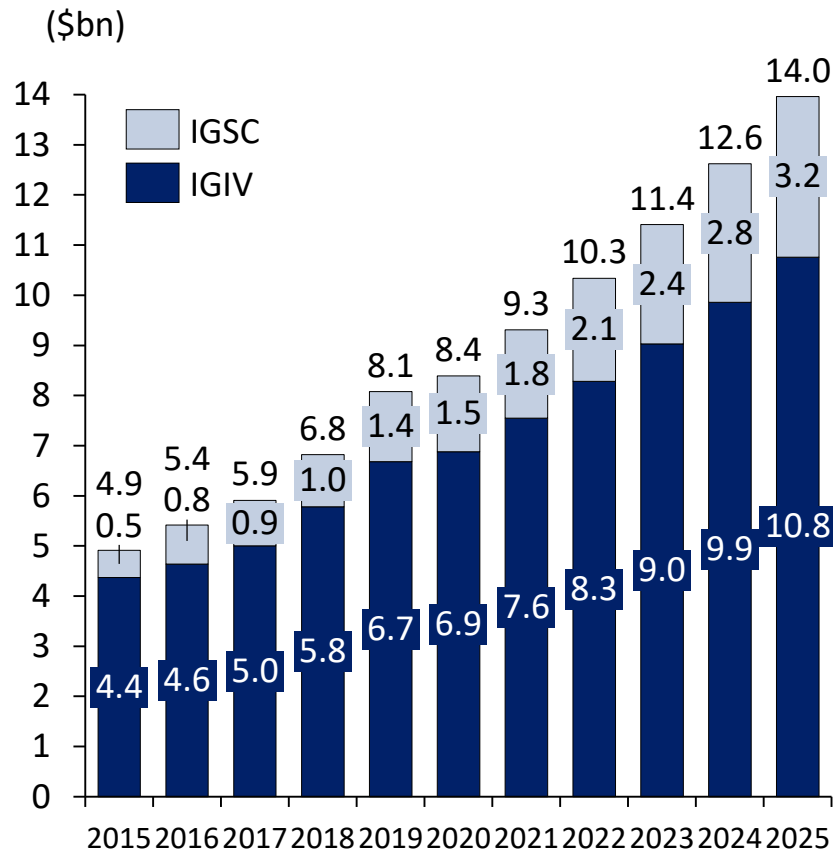
CRV-101 상업화 일정



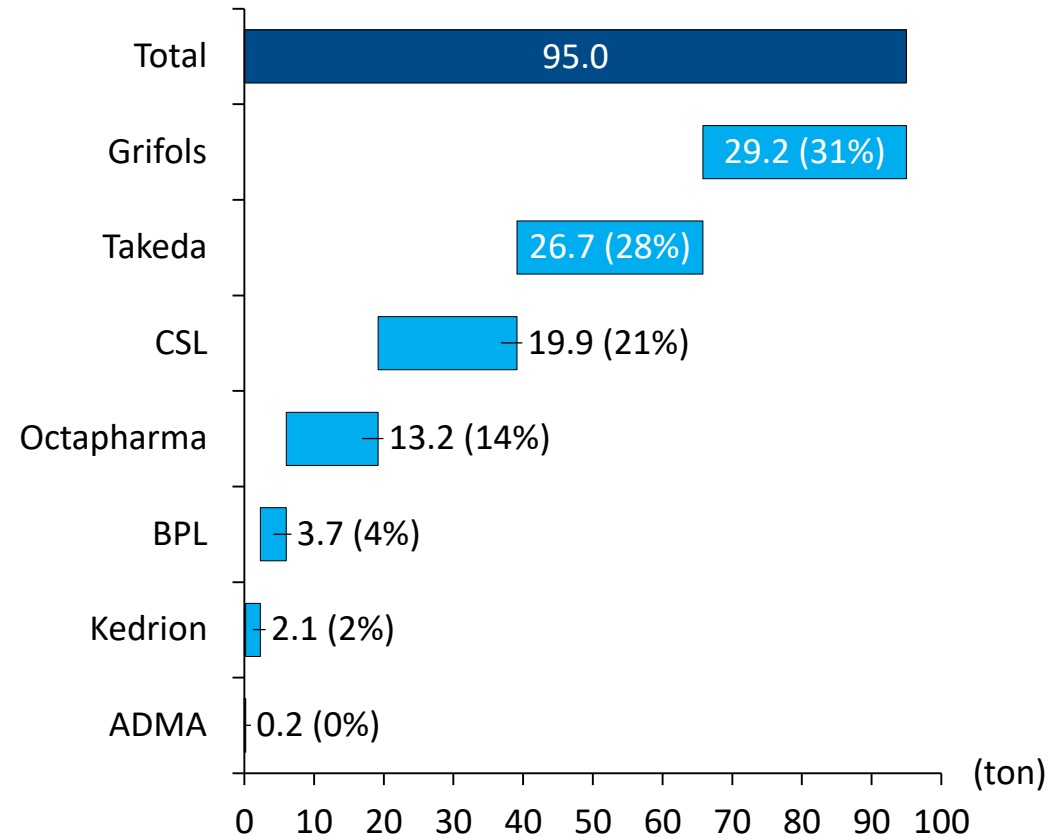
글로벌 혈액제제 사업

10% IGIV(US): GC5107B

면역글로불린(IG) US 시장 규모¹



US IGIV 시장 점유율²



1. 2. Source: MRB reports, BCG analysis

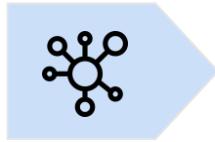
10% IGIV(US): GC5107B

개발 현황 및 Business Highlights



- **FDA Review 잔여 일정 (on-track)**

- 11월 중 Late-Cycle Meeting
- PUDFA¹ goal date: 21년 2월 25일



- **GC MOGAM(GC Pharma US) 법인 공급 채널 확보**

- 각 채널의 단위 기관당 Ig 소비량 점검 완료
- 채널 별 계획 수립



- **US 진출을 통한 매출 확대 및 사업 수익성 향상**

- IG US 시장 규모: USD9.3bn, Target M/S: TOP 5



- **Value-chain 확보**

- Fully integrated global specialty pharma company 지향

1. Prescription Drug User Fee Act: 전문의약품 허가신청자 비용부담법

Closing

2021년 R&D Portfolio

Research	Preclinical	Phase I	Phase II	Phase III	Registration
GC5134 CSA-AKI 치료제	GC5125 vWF 결핍증 치료제	MG1113 혈우병 A/B 치료제	GC2119 탄저 백신	GC5107D 미국 PID 치료제 (소아)	GC5107B 미국 PID 치료제
P210186 mRNA Flu 백신	GC5130 FXIII 결핍증 치료제		GC3111 Tdap 백신	GC5101 PID 치료제	MG1111 수두 백신
GC2120 경구용 혈우병A/B 치료제	GC1129 SSADH 결핍증 치료제		MG1120 대상 포진 백신	GC3107 BCG 백신	GC1101 중국 제조함 혈우병A 치료제
GC9116 aTTP 치료제	GC1126 aTTP 치료제			GC2127 알라질 증후군 치료제	GC1111 중국 헌터증후군 치료제
GC9114 미토콘드리아 질환 치료제	GC1134 파브리병 치료제				GC1123 일본 중증 헌터증후군 치료제
GC1135 피크노디소스토키스 치료제	GC1133 Maroteaux-Lamy 치료제				
GC2119 뮤코다당증 치료제	GC1130 Sanfilippo A 치료제				
GC1136 Lesch-nyhan 치료제					
GC2126 강글리오시드증 치료제					
GC1126B 낮형 세포병 치료제					
					Plasma Proteins
					Vaccines
					Innovative New Products

2022년 R&D Key Highlights

품목허가 & 출시

- GC5107B(10% IGIV) US 승인
- GC5107B(10% IGIV) US 출시
- GC3107(BCG 백신) NDA 제출
- 배리셀라주 WHO PQ 승인
- GC2107(알라질증후군 치료제) NDA 승인
- 그린진F CN 출시

후기 개발 과제 파이프라인

- GC5107D(10% IGIV) 소아임상 LPI
- 배리셀라주 소아 임상 FPI
- 헌터라제 임상3상 CSR
- MG1113(혈우병치료제) 임상2상 IND 승인

초기 연구 과제 파이프라인

- GC5125(vWF 치료제) 예비 독성 완료
- GC1126(aTTP 치료제) MoA 논문 출간
- GC1130(MPSIIIA 치료제) US Pre-IND
- GC1129(SSADHD 치료제) US PFDD¹, US/EU ODD²
- 신규 Innovative 물질 도입

1. Patient Focused Drug Development: 환자 중점 신약 개발 2. Orphan Drug Designation: 희귀의약품 지정

감사합니다