

미래 기술혁신 바이오헬스 유니콘기업을 지향하는

CarBio Therapeutics

INVESTOR RELATIONS 2024.2

DISCLAIMER

본 자료는 제한된 잠재적 투자자들이 쥬카바이오테라퓨틱스(이하 “회사”)에 대한 투자안을 평가할 수 있도록 돕기 위한 제한적인 목적 하에 작성되었으며, 본문 전체나 일부분이 의도된 목적 이외의 다른 목적을 위해서 재작성 또는 사용되거나 타인에게 양도되는 것을 금지합니다.

여기에 포함된 정보는 잠재적 투자자에게 제안된 거래에 대한 평가를 돕고자 작성되었으며 어떠한 투자결정의 기준을 제공하고자 하는 의도는 없습니다. 잠재적 투자자들은 본인들이 직접 제안된 거래와 대상 자산에 대한 투자에 대해 조사 및 분석을 하여야 합니다.

회사는 본 자료에 있는 정보의 정확성, 타당성, 신뢰성, 완전성에 관해서 명확하게 또는 암시적으로 단언하거나 보장하지 않으며, 어느 누구도 본 자료나 제안된 거래 이행 과정 중 잠재적 투자자에게 전달된 본 자료 혹은 문서적, 구술적인 진술에 명확하게 또는 암시적으로 포함되어 있는 정보나 진술 그리고 누락 부분에 대해서 책임지지 않습니다. 본 자료에 설명된 정보는 어떠한 계약의 근거를 제공하지 않습니다.

본 자료는 회사의 예상되는 미래 실적과 관련한 진술, 계산, 추정들을 포함하고 있습니다. 이러한 진술, 계산 추정들은 예상되는 결과에 관한 다양한 가정과 주관적 판단과 분석의 요소들을 반영한 것으로, 이러한 가정 및 판단과 분석들은 옳지 못한 것으로 판명될 수도 있습니다.

잠재적 투자자는 본 자료에 포함된 투자 기회나 정보의 적합성, 타당성에 대해서 독립적인 평가를 하여야 하며 대상 자산에 대한 투자여부를 결정하기 위해 필요하다고 생각될 때, 자체적인 조사를 수행하여야 합니다. 본 자료를 제공하는 데 있어 회사는 잠재적 투자자에게 추가적인 정보를 제공하거나, 본 자료의 내용을 갱신하거나, 또는 부정확한 정보를 수정할 의무가 없습니다.

본 자료의 배포와 소지는 회사의 허가 없이는 엄격히 제한됩니다. 또한 본 자료의 배포 시에는 본 자료를 소지하게 되는 사람에게 반드시 회사의 허가 없는 배포가 제한된다는 것을 알려야 합니다. 본 자료와 그 내용은 기밀이며 잠재적 투자자에게 이미 배포된 비밀유지확인서에 기초하여서만 유효합니다. 따라서 본 자료와 그 내용 및 추가적인 조사와 관련된 어떠한 유용한 정보에 대해서도 잠재적 투자자는 완벽하게 비밀을 보장하여야 합니다.

회사는 명확한 법적 계약이 체결되기 이전에는 언제라도 사전 통보 없이, 제안된 거래의 절차를 바꾸거나 협상을 중단할 권리를 보유하고 있습니다.



Contents



INVESTOR RELATIONS

1. 기업 개요

- 1-1 기업 비전
- 1-2 기업 개요
- 1-3 핵심 인력

2. 시장 경쟁력

- 2-1 시장 전망
- 2-2 경쟁업체
- 2-3 기술 경쟁력

3. 파이프라인

- 3-1 핵심 기술
- 3-2 PIPELINE

4. 사업 개발

- 4-1 사업 모델
- 4-2 예상 소요 비용
- 4-3 MILESTONE

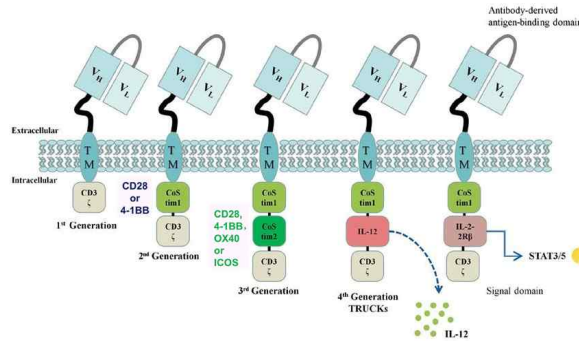
5. 부록

1. 기업 개요 (CarBio Therapeutics)

- 1-1 기업 비전
- 1-2 기업 개요
- 1-3 핵심 인력

1-1. 기업 비전

- 혁신적 CAR-T 항암면역 세포유전자치료제의 개발로 난치성 질환 환자의 생명 연장
 과 삶의 질을 높이는데 기여하는 카바이오테라퓨틱스



MISSION

창의적 연구를 통한
 혁신적인 CAR 면역세포 치료제 개발



VISION

글로벌 FIRST-IN-CLASS & Best-IN-CLASS
 CAR 면역세포 치료제 개발



1-2. 기업 개요

면역관문저해를 극복하는 차세대 CAR 면역세포 치료제 개발 회사

1 차세대 CAR 면역세포 치료제 개발 전문 바이오 기업 (벤처기업)

2 면역관문저해를 극복한 차세대 CAR 면역세포에 대한 지속적인 연구 개발

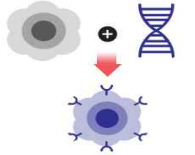


 CEO 이현주	 설립일 2021.08.25	 임직원수 6명	 충북 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명1로 194-25 청주SB플라자 3층 A03호(청주 SB 플라자)
--	---	--	---

주요 사업 ■ 난치성 혈액암 및 고형암 타겟 다기능성 CAR-T 세포유전자 치료제 제조/판매

2022 ~ 2024 혈액암, 고형암 Dimer CAR-T 신규 다기능성 혈액암/고형암 정밀 맞춤 재생의료	2024 ~ 2027 고형암 Dimer CAR-T 고형암 정밀 맞춤 재생의료	2027 ~ 고형암 Tetramer CAR-T & allogeneic CAR-T Off-the-Shelf 정밀 재생의료
--	---	---

+

mRNA CAR-T 기술/TKI 병용/바이러스 벡터 전달 CAR-T

Next generation CAR-T  1) Multi CAR-T 2) Switch CAR-T + 항암서열 3) Super CAR-T	표적 항암제 병용  TKI(Tyrosine kinase inhibitor) + 증가된 항암 효과와 CRS 부작용 감소	Off-the-Shelf  Allogeneic cell을 사용하여 치료비용 부담 감소
---	---	--

1-2. 기업 개요

기술개발 & 인프라 구축 2021.04~2022.08

세포치료제 연구개발 본격화 2022.09~현재

회사 설립

2021.08.25

유상증자
엔젤투자

2021.10.26

청주대
공동연구 MOU
협약

2022.02.07

(재)충북창조
경제혁신센터
Pre-TIPS 투자
(2천만원)

2022.04

(주)이유노텍
바이오팜코리아
자산 M&A

2022.07.01

벤처기업인증

2022.11.10

LMO 연구시설
허가 신고 승인

2023.06.13

중국 P사 등 국내외
우수기업과 공동연구
협약추진

2023.12

독일 Rolf G Werner 박사와
최신 치료제 생산기술 개발 및
생산에 대한 자문, 중국 등
글로벌 공동개발 논의중

2021

2022

2023

주요
진행
사항

2022.04

청주시 스타트업
선도기술개발사업
선정

충북 TP
세포치료제
상용화지원
기반구축사업
선정

2022.05

창업진흥원
초기창업패키지
선정

여성과학기술인
R&D 경력복귀
인건비지원사업
선정

2022.06

충북도 글로벌
First R&D
지원사업 선정

2022.07

창업성장
기술개발사업
디딤돌 선정

2022.09

바이오네스팅
과제 선정

국책연구기관
기술지원 사업 참여,
산업기술 R&D사업
통합 기술수요조사
사업 참여 등

2023.04

2023 백신
기술사업화
오픈이노베이션
랩 구축사업:
비임상 효능 및
GLP 독성시험
지원사업 선정

1-2. 기업 개요

제 2022110148 호

기업부설연구소 인정서

1. 연구소명: (주)카바이오테라퓨틱스 기업부설연구소
[소속기업명: (주)카바이오테라퓨틱스]
2. 소재지: 충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명1로 194-25 3층 A03호
3. 신고연월일: 2022년 04월 18일
(최초인정일: 2022년 1월 11일)

과학기술정보통신부

「기초연구진흥 및 기술개발지원에 관한 법률」 제14조의 2제1항 및 같은 법 시행령 제27조제1항에 따라 위와 같이 기업부설연구소로 인정합니다.



2022년 4월 21일

한국산업기술진흥협회장



발급번호 제 20221110020002 호

벤처기업확인서

CERTIFICATE OF VENTURE ENTERPRISE



- 기업명 (주)카바이오테라퓨틱스
- 사업자등록번호 445-86-02068
- 대표자 이현주
- 주소 충청북도 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명1로 194-25 3층 A03호
- 확인유형 연구개발유형
- 유효기간 2022년 11월 09일 ~ 2025년 11월 08일

위 기업은 「벤처기업육성에 관한 특별조치법」 제25조의 규정에 의거 벤처기업임을 확인합니다.

2022년 11월 10일



이 확인서는 「벤처기업법」 제25조제1항제1호의 규정에 따라 기업부설연구소로 인정된 벤처기업확인서로, (사)벤처기업협회에서 벤처기업종합관리시스템을 통해 요청을 확인하고 발급을 확인합니다. (벤처기업확인서인정처장인: 202.7.13~23.6.30)

벤처기업 담당처: 벤처기업법 제25조제1항제1호 가목의 요건을 충족하는 벤처기업 (대는 나백의 요건을 충족하는 벤처기업, 또는 다른목의 요건을 충족하는 벤처기업)

관인생략

출원번호통지서

- 출원일자 2023.11.27
- 특기사항 심사청구(무) 공개신청(무) 참조번호(SPD23074CBT)
- 출원번호 10-2023-0166380 (접수번호 1-1-2023-1321001-52) (DAS접근코드16C1)
- 출원인명칭 (주) 카바이오테라퓨틱스(1-2022-087642-9)
- 대리인성명 류중우(9-2011-000399-6)
- 발명자성명 이현주 황서진
- 발명의명칭 항원 결합 도메인 및 스위치 분자를 발현하는 면역세포 및 이의 용도

특 허 청 장 특 허 청 장

<< 안내 >>

1. 귀하의 출원은 위와 같이 정상적으로 접수되었으며, 이후의 심사 진행상황은 출원번호를 이용하여 특허로 홈페이지(www.patent.go.kr)에서 확인하실 수 있습니다.
2. 출원에 따른 수수료는 접수일로부터 다음날까지 동봉된 납입영수증에 성명, 납부자번호 등을 기재하여 가까운 은행 또는 우체국에 납부하여야 합니다.
※ 납부자번호: 0131(기공코드) - 접수번호
3. 귀하의 주소, 연락처 등의 변경사항이 있을 경우, 즉시 [특허고객번호 정보변경(경정), 정정신고서]를 제출하여야 출원 이후의 각종 통지서를 정상적으로 받을 수 있습니다.
4. 기타 심사 절차(제도)에 관한 사항은 특허청 홈페이지를 참고하시거나 특허고객상담센터(☎ 1544-8080)에 문의하여 주시기 바랍니다.
※ 심사제도 안내 : <https://www.kipo.go.kr> 지식재산제도

관인생략

출원번호통지서

- 출원일자 2023.12.11
- 특기사항 심사청구(무) 공개신청(무) 참조번호(SPD23075CBT)
- 출원번호 10-2023-0178291 (접수번호 1-1-2023-1382854-33) (DAS접근코드2718)
- 출원인명칭 (주) 카바이오테라퓨틱스(1-2022-087642-9)
- 대리인성명 류중우(9-2011-000399-6)
- 발명자성명 이현주 황서진 정은희 장미희
- 발명의명칭 PD-1의 세포외 도메인 및 항원 결합 도메인을 포함하는 융합단백질, 이를 발현하는 면역세포 및 이의 용도

<< 안내 >>

1. 귀하의 출원은 위와 같이 정상적으로 접수되었으며, 이후의 심사 진행상황은 출원번호를 이용하여 특허로 홈페이지(www.patent.go.kr)에서 확인하실 수 있습니다.
2. 출원에 따른 수수료는 접수일로부터 다음날까지 동봉된 납입영수증에 성명, 납부자번호 등을 기재하여 가까운 은행 또는 우체국에 납부하여야 합니다.
※ 납부자번호: 0131(기공코드) - 접수번호
3. 귀하의 주소, 연락처 등의 변경사항이 있을 경우, 즉시 [특허고객번호 정보변경(경정), 정정신고서]를 제출하여야 출원 이후의 각종 통지서를 정상적으로 받을 수 있습니다.
4. 기타 심사 절차(제도)에 관한 사항은 특허청 홈페이지를 참고하시거나 특허고객상담센터(☎ 1544-8080)에 문의하여 주시기 바랍니다.
※ 심사제도 안내 : <https://www.kipo.go.kr> 지식재산제도

1-3. 핵심인력



이헌주 대표이사

학력

- 서울대학교 미생물학과 학사/석사 (균생화학분야)
- 한국외국어대학교 환경학과 박사 (독성유전학분야)

주요 경력

- 現 카바이오테라퓨틱스 창립자 및 대표이사
- 前 옵티팜 유전자 형질전환기술 연구개발 상임기술고문
- 前 바이오큐어팜 세포치료제·생물의약 연구개발 부사장
- 前 한국보건복지인력개발원 보건산업본부장
- 前 한국화학연구원 안전성평가연구소 독성스크리닝센터장/혁신정책홍보부장
- 前 삼성의료원, 삼성종합기술원, 삼성정밀화학 생명과학연구소 연구기획팀장/부장
- 前 CJ 제일제당 생명공학연구소 생물의약개발 전문연구원

연구개발 및 사업화 실적

내용	기관	날짜
재조합 바이오 항암제 인터페론 알파 및 세파로스포린 항생제 원료 물질 7-ACA 대량생산기술 개발	CJ제일제당 생명공학 연구소	1988-1992
삼성그룹 바이오 신수종사업 개발 기획 총괄	삼성의료원, 삼성종합 기술원	1993-2001
GLP 안전성독성 시험평가 선진화 기술 개발 및 독성스크리닝 연구 센터 설치 (국책사업유치), 글로벌 의료 융복합산업 교육센터 설립	한국화학연구원 안전성평가연구소, 보건 산업교육본부	2002-2017
급성림프구성백혈병(ALL) Anti CD19 CAR-T 치료제 기술개발, 기술 이전 및 전임상시험, 임상시험 승인 신청(IND) 과제 총괄	(주)바이오큐어팜	2017-2019
미니돼지에서의 사람 유전자 형질 전환 및 유전자 가위 기술 적용 의 세포치료제 전임상 연구	(주)옵티팜	2019-2021

1-3. 핵심인력

CARBIO-KBIO-PMBP Innovation Team

성명	소속	직급(직위)	주요경력
이현주	CARBIO	연구소장	<ul style="list-style-type: none"> 서울대 미생물학과 졸업 국립경상대학교 IRB 전문위원(경력:13년) (전) 안전성평가연구소 센터장/정책부장 (전) 옵티팜, 바이오큐어팜 세포치료제 연구개발 부사장 삼성그룹, 안전성평가연구소 바이오의약품개발 연구기획, 사업개발 경력 35년
황서진		선임연구원/연구팀장	<ul style="list-style-type: none"> CAR-T/NK 세포치료제 개발 경력(5년) 전남대 분자생물학과 학사 조선대 약학과 석사 (전)셀젠텍 세포치료제 개발 연구원
장미희		책임연구원	<ul style="list-style-type: none"> 전북대 분자생물학 박사 미국 텍사스대 분자생물학 Post.doc 연구원(3년) 성균관의대 면역학 박사후 연구원(3년)
정은희		수석연구원/ 연구부소장	<ul style="list-style-type: none"> CAR-T/NK 세포치료제 개발 경력(3년) 국립경상대 생화학과 졸업, 의대 석사 (전) 아주대의료원 신경분자생물학실 전문연구원 경력 (5년)
이경주		재무이사	<ul style="list-style-type: none"> 경영지원총괄(30년) 경리 및 회계 담당
구자근		기획이사	<ul style="list-style-type: none"> 충남대 졸업, 충북대약대 석사수료 동화약품 영업팀장 비엘엔에이치(주) 기획 본부장 경력 (20년)

성명	직급(직위)	주요경력
정효영	KBIO 부장	<ul style="list-style-type: none"> 미국 유타대 (바이러스학 박사), 록펠러 (바이러스학 박사후 연구원) 첨단바이오의약품 개발 팀장/ 약효 부장 과기정통부 과제(CD19 표적 CAR-T 치료제 개발, 197,000천원)로 R&D지원사업 수행 경험 보유
이민호	KBIO 담당	<ul style="list-style-type: none"> 서울대약대박사 오송첨단의료산업진흥재단 첨단약품팀 선임연구원
Rolf G. Wener	(주)Pharma consulting 대표 자문위원	<ul style="list-style-type: none"> 미생물학 박사, 독일 튀빙겐대 명예교수 (전)베링거인겔하임 생산기술공정개발 담당 Pharma consulting 대표이사 중국 P사 기술총괄겸 운영책임자 CAR-T 세포치료제, 항체 GMP생산 전문가

1-3. 핵심인력

Global Scientific Adviser

성명	소속	직급(직위)	주요경력
이현환	한국외대	교수	<ul style="list-style-type: none"> • 서울대 분자생물학과 졸업, 이학박사 • 한국외국어대 미생물학과 교수 • (전)메디프론 대표이사 • 유전자 조작 및 재조합 균주개발 (경력 30년)
신재수	일양약품	소장	<ul style="list-style-type: none"> • 서울대 약학과 졸업, 약학박사 • (주)종근당 연구소 약리실장 • (주)일양약품 연구소 소장 • 소화기계신약 및 표적항암제 개발(경력 30년)
권재열	충남대 의과대학	교수	<ul style="list-style-type: none"> • 서울대 미생물학과 졸업 • (전) 미국 NIH Staff Scientist • (전) 미국 메릴랜드주립대 의과대학 연구원 • 면역학 연구 경력 20년 (T 세포 신호전달체계)
채명윤	바이오니아	고문	<ul style="list-style-type: none"> • 서울대/카이스트 화학교육과 졸업 • University of Pennsylvania, PhD • (전)삼성중기원, (주)LG화학 신물질개발 담당 • 유전자 및 물질 합성(경력 30년)
여찬동	(전)삼천당제약	임상개발이사	<ul style="list-style-type: none"> • 서울대 미생물학과 졸업 • (전)신원사이언스 부사장 총괄이사 • (전)에이비온, 바이오톡스텍 본부장/이사 • (전)진양제약 신약 개발이사 • 비임상 및 임상 시험 최적화 (경력30년)



2. 시장 경쟁력 Market Competitive

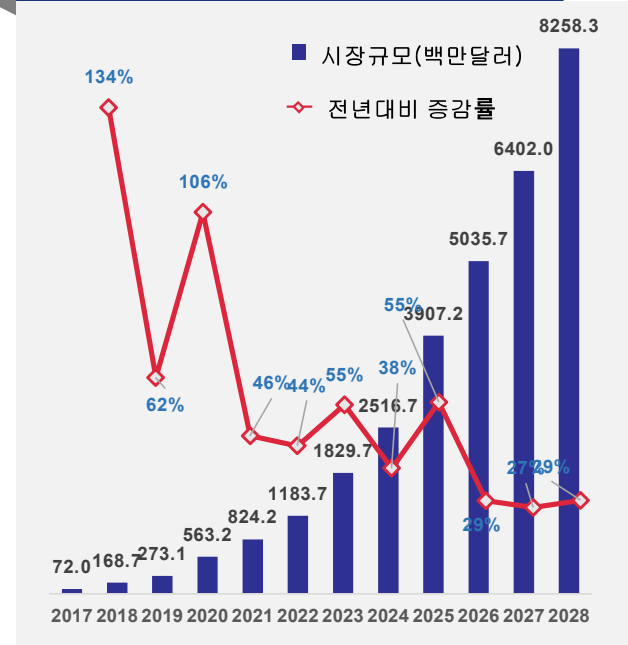
2-1 시장 전망

2-2 경쟁업체

2-3 기술 경쟁력

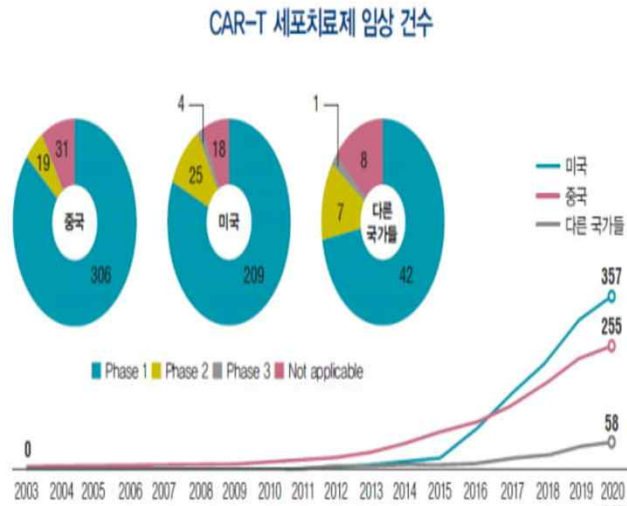
2-1 시장 전망

글로벌 CAR-T 세포 치료제 시장



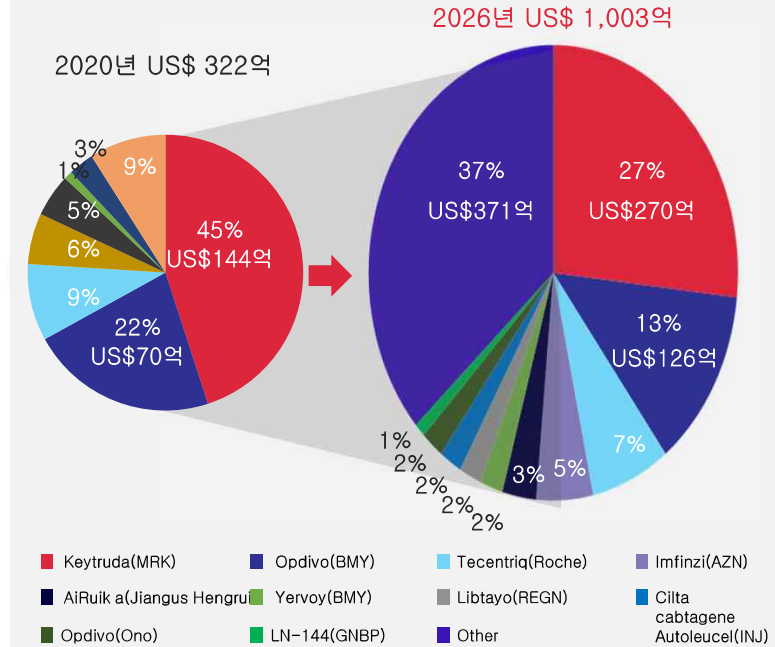
출처: Coherent Market Insights, CAR T Cell Therapy Market(2017.2)

글로벌 CAR-T 세포 치료제 임상 시험수



출처: Wei et al., Cellular & Molecular Immunology 18, 792 (2021)

글로벌 면역항암제 시장경쟁 전망



출처: IQVIA, The Global Use of Medicine 2022

- CAR-T시장, 2017년 7,200만 달러에서 2020년 3억4070만 달러, 2028년 9조원, 전체 면역항암제시장은 150조로 고성장 예상
- CAR-T Cell 치료제 시장은 연평균 성장률 53.9%로 꾸준히 성장중이며 2024년 현재 미국, 중국 중심으로 약 2,000건의 임상시험이 진행, 이중 일본 23건, 한국 11건 진행이 보고됨 (출처: Clinicaltrials.gov 기반 데이터 가공)

2-1 시장 전망

국내 개발 동향

업체	개발현황	특이점
큐로셀 (KAIST에서 개발)	CD19 표적 CAR-T shRNA 기술 PD1, TIGIT K/O	Phase1
애플론	T cell 활성화 안전 스위치 및 인간화항체 적용 CD19 표적 CAR-T	IND 승인
티카로스 (서울대의대)	CD19 표적 CAR-T CTLA4/CD28 convert	IND 단계
프로탄바이오 (서울수의대)		
유틸렉스	HLA-DR 표적 MVR-CAR-T	
바이로메드	백터 생산 기술 등	-
GC녹십자셀	고형암 표적 CAR-T	-

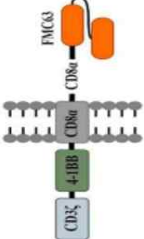
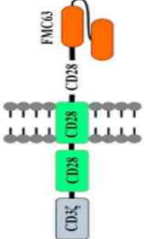
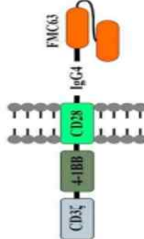
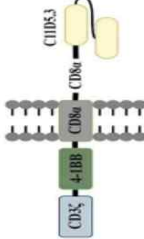
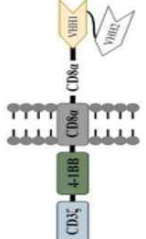
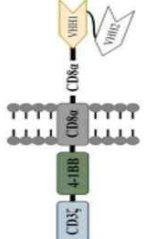
글로벌 면역항암제 시장경쟁 전망

회사	제품	2021년 상반기 (만달러)	2022년 상반기 (만달러)	증감률 (%)	적응증
길리어드	에스카타	33800	50600	49.7	미만성 거대 B세포 림프종
	테카투스	7200	13600	88.9	외투세포 림프종, 급성 림프모구 백혈병
노바티스	김리아	14700	13600	-7.5	미만성 거대 B세포 림프종, 급성 림프모구 백혈병, 여포성 림프종
BMS	아베크마	2400	15600	550.0	다발골수종
	브레얀지	1700	8300	388.2	미만성 거대 B세포 림프종
총계		59800	101700	70.1	

- 김리아 등 혈액암 치료제로 **6개 제품 허가**, 판매 중이며 적응증 확대와 신제품 출시 영향으로 70.1% 성장세를 보임
- 의료시장의 게임 체인저로서 향후 10년 후 CAR-T 치료제 시장은 지금보다 23배 이상 확장 예상 (출처 : 메디칼업저버, <http://www.monews.co.kr>)

2-2 경쟁업체

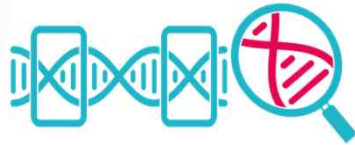
미국 FDA 승인 CAR-T 치료제

	Kymriah	Yescarta	Tecartus	Breyanzi	Abecma	Carvykti
성분명	Tisagenlecleucel	Axicabtagene ciloleucel	Brexucabtagene autoleucel	Lisocabtagene maraleucel	Idecabtagene vicleucel	Ciltacabtagene autoleucel
구조						
개발사	Novartis	Kite Pharma/Gilead Sciences		Juno Therapeutics/ Bristol-Myers Squibb	Celgene/ Bristol-Myers Squibb	Legend Biotech/ Janssen Biotech
적응증 (FDA 승인)	B세포 급성 림프구성 백혈병(ALL) (2017.08) 거대미만성 B세포 림프종(DLBCL) (2018.05) 소포림프종(FL) (2022.05)	거대미만성 B세포 림프종(DLBCL) (2017.10) 소포림프종(FL) (2021.04) 거대 B세포 림프종(LBCL) (2022.04)	외투세포림프종(MCL) (2020.07) B세포 급성 림프구성 백혈병(ALL) (2021.10)	거대미만성 B세포 림프종(DLBCL) 고도 B세포 림프종(HGBCL) 원발성 종격동 거대 B세포 림프종(PMBCL) 3등급 소포림프종(FL3B) (2021.02) 거대 B세포 림프종(LBCL) (2022.06)	다발성 골수종(MM) (2021.03)	다발성 골수종(MM) (2022.02)

2-3 기술 경쟁력

고기능성 CARBio CAR-T 세포치료제 플랫폼

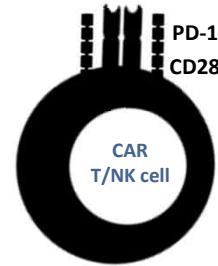
Super CAR-T/NK



- PD-1, c-JUN, TRL, CypA, FKBP 등 면역조절 물질의 유전자 서열 삽입으로 CAR-T 세포의 면역 및 암세포 살상기능 증대

✓ Activation and killing function of CAR-T Cell

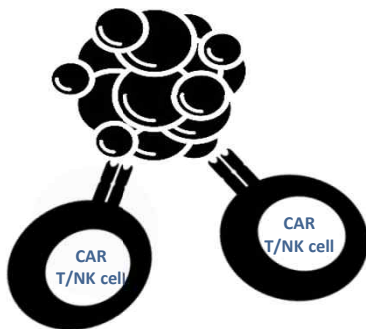
Switchable CAR-T/NK



- Switch receptor를 통한 CAR-T activation 증대

✓ PD-L1과 결합하는 PD-1에 CD28을 재조합하여 inactivation을 activation으로 Switch

Multi CAR-T/NK

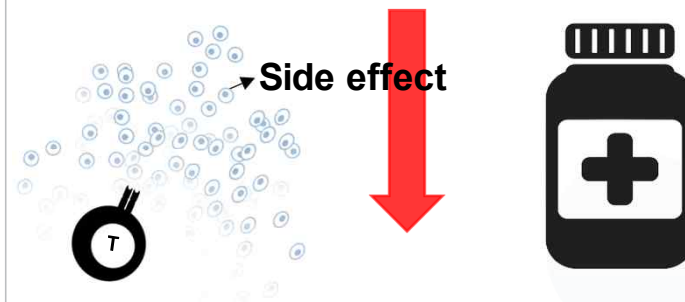


- 암 표면에 발현되는 다양한 암 항원을 인식하여 off-target의 부작용을 줄임

✓ Switch multi CAR-T/NK로 다양한 난치병 치료

✓ 1개 이상의 scFv 사용, scFv 당 Co-stimulatory Domain 2개, CD3 ζ 1개를 사용

Combinatorial CAR-T/NK



- Cytokine overexpression을 방지하기 위한 TKI 병용

3. 파이프라인 PIPELINE

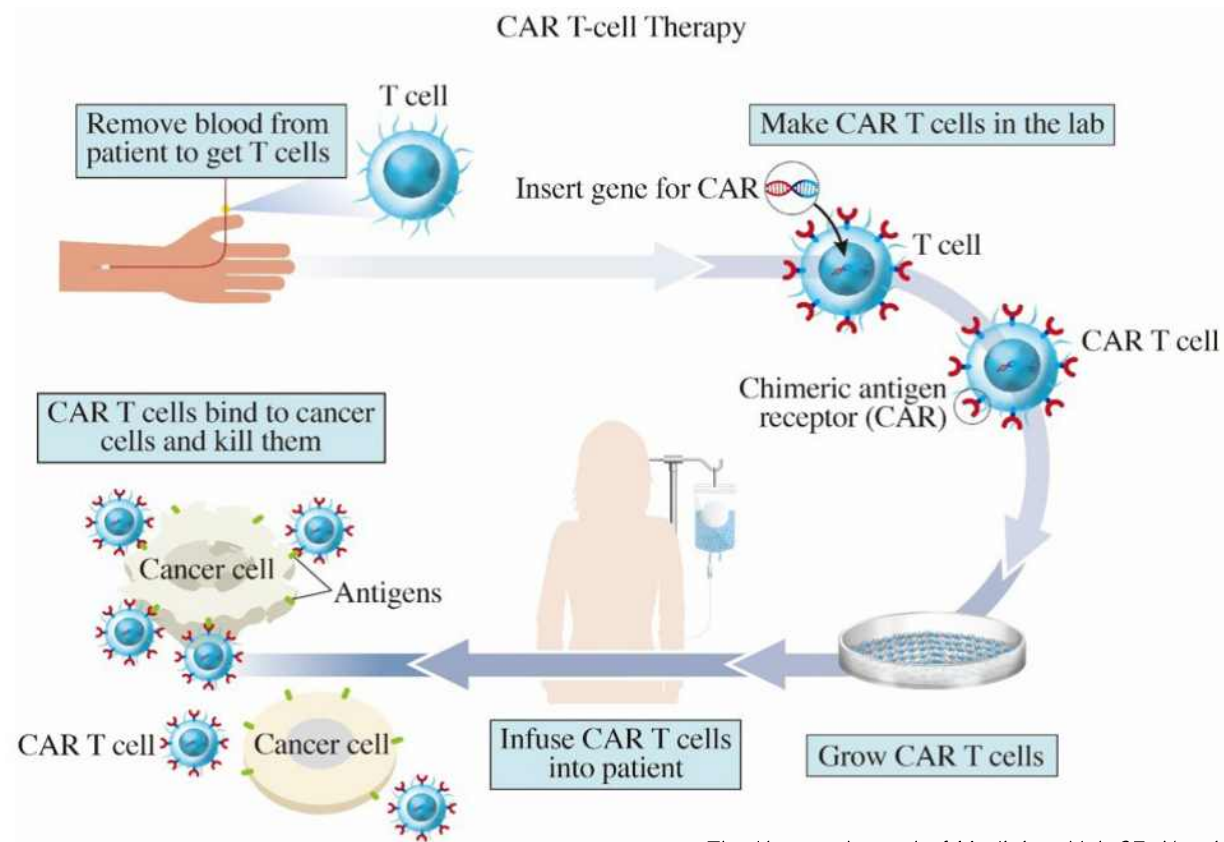
3-1 핵심기술

3-2 PIPELINE

3-1 핵심 기술

CAR T-세포 치료

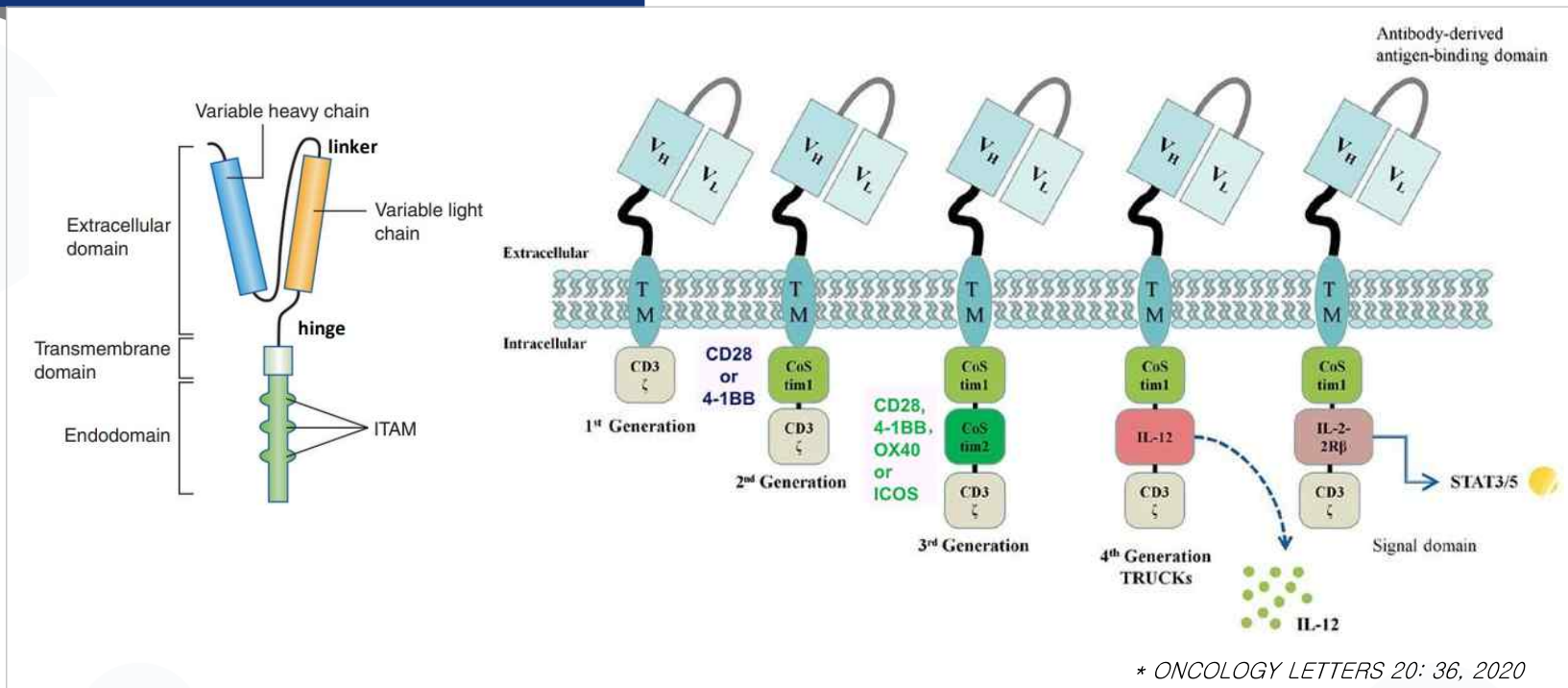
- 기존의 환자 체내에 있는 T-세포에 암세포를 인식하는 키메릭 항원 수용체(Chimeric antigen receptor, CAR)를 도입한 후 다시 환자 체내에 주입하는 개인 맞춤형 치료임



* The Korean Journal of Medicine: Vol. 97, No. 4, 2022

3-1 핵심 기술

세대별 키메라 항원 수용체(CAR) 구조



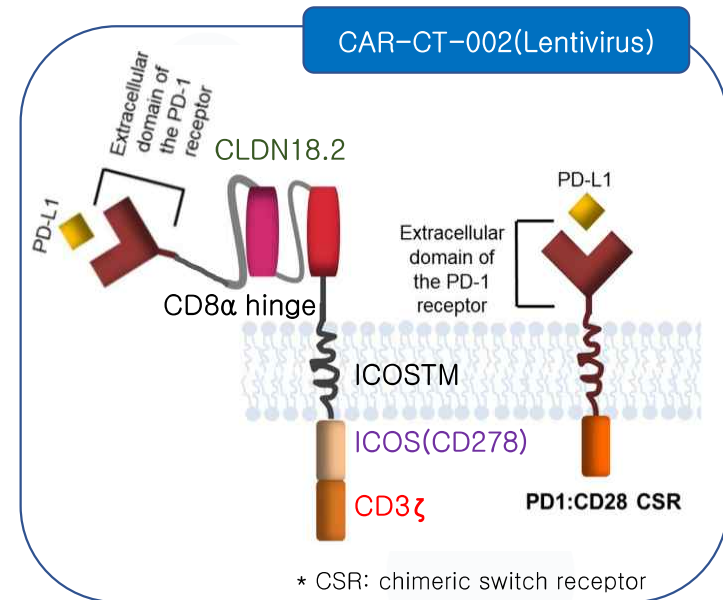
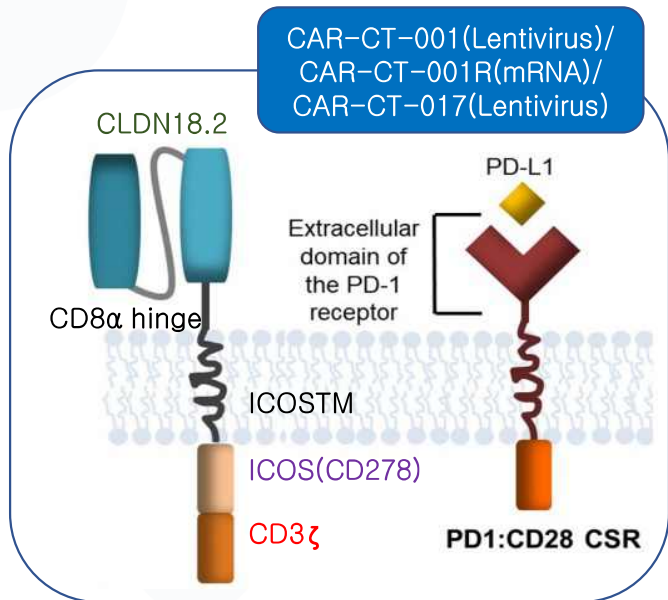
- TM: transmembrane domain
- CoStim: co-stimulatory domain
- TRUCK: T cell redirected for universal cytokine-mediated killing
- STAT3/5: Signal transducer and activator of transcription 3/5

3-1 핵심 기술

CAR-T 세포

카바이오테라퓨틱스 명칭	전체 구성	타겟 암항원 scFv
<ul style="list-style-type: none"> CAR-CT-001 CAR-CT-001R CAR-CT-017 	SP-C1dnVH-L3-C1dnVL-CD8αhinge/ICOSTM- ICOS(CD278)-CD3ζ-P2A-SP-PD1-CD28	CLDN 18.2

카바이오테라퓨틱스 명칭	전체 구성	타겟 암항원 scFv
<ul style="list-style-type: none"> CAR-CT-002 	SP-PD1-L3-C1dnVH-L3-C1dnVL-CD8αhinge/ICOSTM- ICOS(CD278)-CD3ζ-P2A-SP-PD1-CD28	CLDN 18.2



3-2 PIPELINE

Project			2024	2025	2026	2027	2028	2029	2030	2031	2032	
치료제	적응증	타겟										
CAR-T 치료제	위암	Claudin 18.2	후보물질 연구 개발	전임상	임상 1/2상	임상 3상	제품판매					
	췌장암							기술이전				
	간암	GPC3/ CD47	후보물질 연구 발굴 및 도입	전임상	임상 1/2상	임상 3상	제품판매					
	급성 골수성 백혈병 /T 세포성 백혈병 (AML/ T-ALL)	CD43						기술이전 /M&A				
			후보물질 연구 개발	전임상	임상 1/2상	임상 3상	제품판매					
유방암	HER2/CD47	후보물질 연구 개발	전임상	임상 1/2상	임상 3상	제품판매						
TCR-T 치료제	흑색종	NYES 01	후보물질 연구 개발	전임상	임상 1/2상	임상 3상	제품판매					
								기술이전				



4. 사업 개발

Business Development

4-1 사업 모델

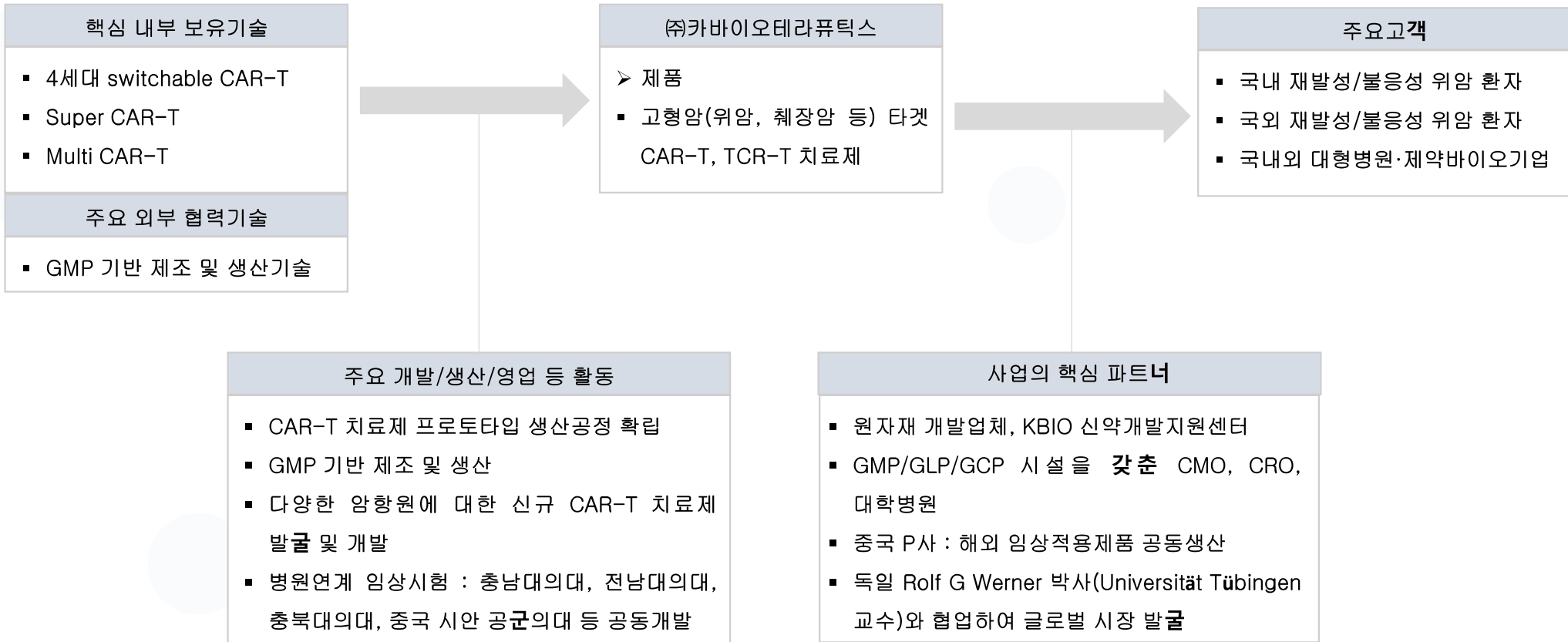
4-2 예상 소요 비용

4-3 MILESTONE

4-4 PARTNERSHIP

4-1 사업 모델

고형암 타겟 CAR-T 세포치료제 프로토타입 생산공정 확립 및 임상적용 제품 생산



4-2 예상 소요 비용

향후 5개년 자금소요 계획

(단위: 백만원)

	2024년	2025년	2026년	2027년	2028년	5년 합계
고정비	520	750	1,500	1,750	2,500	7,020
인건비	220	250	500	750	1,250	2,970
연구재료비 및 기타비용	300	500	1,000	1,000	1,250	4,050
외주연구비용	1,300	1,300	2,000	2,250	2,500	9,350
동물실험	300	300	500	500	500	2,100
분석 비용	500	500	1,000	1,000	1,000	4,000
생산세포주 개발비용	500	500	500	750	1,000	3,250
시설 및 설비투자	1,000	1,500	1,500	1,500	1,500	7,000
R&D 실험장비 구매	200	500	500	500	500	2,200
실험실 구축	300	500	500	500	500	2,300
연구소 확충	500	500	500	500	500	2,500
임상 비용	200	1,450	5,000	9,500	13,500	29,650
IND 컨설팅	100	300	500	500	500	1,900
글로벌 임상	100	1,150	4,500	9,000	13,000	16,050
총계	3,020	5,000	10,000	15,000	20,000	53,020

4-3 MILESTONE



• 연구원: 2

2024

- 연구소장: 1
- 연구행정: 1
- 연구원: 3

2021~2023

법인 설립
국가과제 연구개발
CAR-T 연구 개발
& 특허출원

위암 CAR-T 치료제
전임상 유효성 안전성
평가
췌장암 CAR-T 치료제
적응증 추가/전임상 유효성
평가
혈액암, 유방암, 전립선
암, 흑색종 CAR-T/TCR-T
치료제 개발/
전임상 유효성 평가

- 사업개발마케팅:
이사급: 2
- 임상, CMC: 3
- 연구원: 5

2025

위암/췌장암 CAR-T
세포치료제 IND 준비
및 임상시료 생산

간암 CAR-T 치료제
파이프라인 도입/추가

혈액암, 유방암, 전립
선암, 흑색종 CAR-
T/TCR-T 치료제 개
발/전임상 유효성 평
가

- 사업개발마케팅:
이사급: 2
- 연구행정: 2
- 임상, CMC: 3
- 연구원: 8

2026

위암/췌장암 CAR-T
치료제 임상 1상

간암 CAR-T 치료제
전임상 유효성 평가

혈액암, 유방암, 전립
선암, 흑색종 CAR-
T/TCR-T 치료제
전임상 완료 및
IND 준비 및 임상 시
료 생산

- 사업개발마케팅:
이사급: 4
- 연구행정: 3
- 임상, CMC: 3
- 연구원: 10

2027

위암/췌장암 CAR-T
치료제 임상 2상
기술이전/M&A

간암 CAR-T 치료제
임상 1상

혈액암 CAR-T 치료
제 임상 1상

유방암, 전립선암,
흑색종 CAR-
T/TCR-T IND 준비
및 임상시료 생산

- 사업개발마케팅:
이사급: 4
- 연구행정: 3
- 임상, CMC: 3
- 연구원: 15

2028

위암/췌장암 CAR-T
치료제 임상 2상
기술이전/M&A

간암 CAR-T 치료제
임상 1상

혈액암 CAR-T 치료
제 임상 1상

유방암, 전립선암, 흑
색종 CAR-T/TCR-T
치료제 임상 1상

- 사업개발마케팅:
이사급: 4
- 연구행정: 4
- 임상, CMC: 5
- 연구원: 17

2029

위암/췌장암 CAR-T
치료제 임상 2상
기술이전/M&A

간암 CAR-T 치료
제 임상 1상

혈액암 CAR-T 치
료제 임상 1상

유방암, 전립선암,
흑색종 CAR-
T/TCR-T 치료제
임상 1상

- 사업개발마케팅:
이사급: 5
- 연구행정: 5
- 임상, CMC: 5
- 연구원: 20

2030

위암/췌장암 CAR-T
치료제 임상 3상
기술이전/M&A

간암 CAR-T 치료제
임상 2상

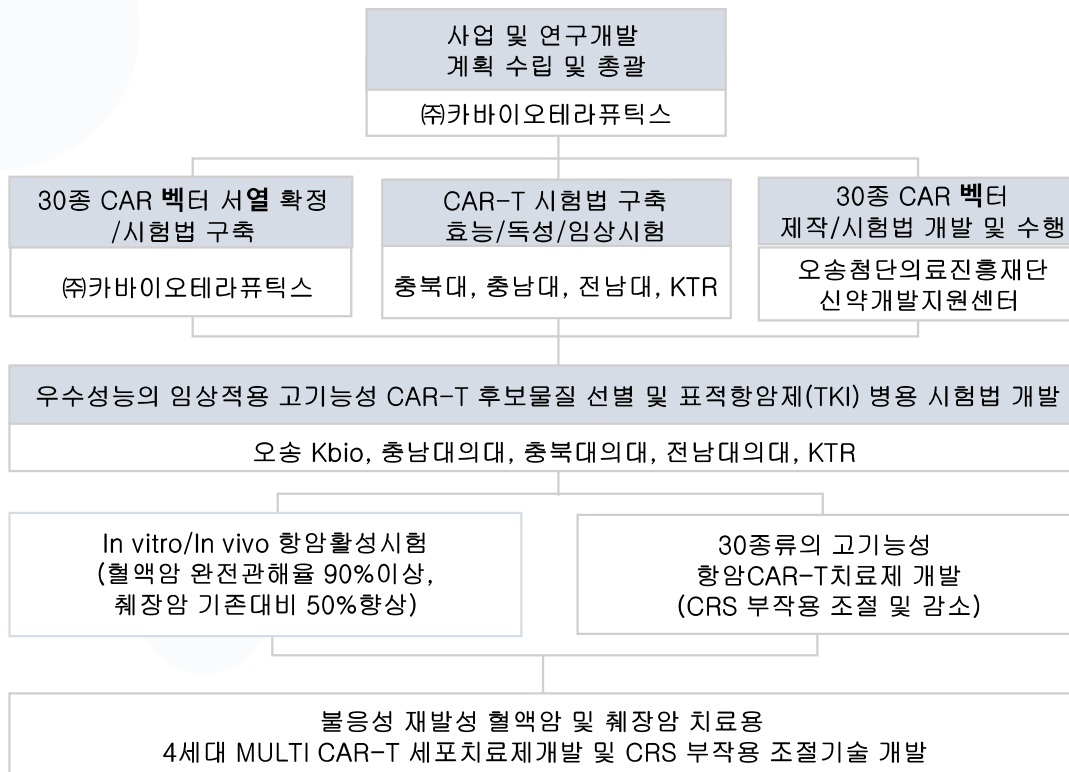
혈액암 CAR-T 치료
제 임상 2상
기술이전/M&A

유방암, 전립선암, 흑
색종 CAR-T/TCR-T
치료제
임상 2상
기술이전/M&A



4-4 PARTNERSHIP

- 국내 Big3 수준의 자체개발 인프라 보유 및 오송첨단의료산업진흥재단(KBIO HEALTH), 충북대, 충남대, 전남대 의대, KTR과 공동연구를 통해 혁신적인 CAR-T 치료제 개발
- 경험과 전문가 그룹과의 Open Innovation을 통한 Osong Perfect Team의 one-stop 개발
- 오송첨단의료산업진흥재단과 KTR에서 전임상 효능 및 독성시험 진행 → 충북대 의대 등과 임상시험을 통해 바이오 신약 개발과 품목 승인을 신속하고 효율적으로 진행 가능





INVESTOR RELATIONS

감사합니다

발표를 경청해 주셔서 감사합니다.

- 기업 주소: 충북 청주시 흥덕구 오송읍 오송생명로 1로 194-25 청주 SB 플라자 3층 A22호
- Tel: 82-10-4816-8201
- E-mail: leehj2014@naver.com

<https://www.carbiotcell.com/>

5. 부록

5-1 실험실 인프라

5-2 연구 성과

5-3 시제품 생산 및 기술이전

5-4 보도자료

5-5 실적

5-6 향후 계획

5-1 실험실 인프라

- CAR Vector 제조 및 각종 CAR-T 치료제 후보물질들의 효능 검증, 시험분석 최첨단연구실 setup

SB플라자 A03, 22호실

: 실험 및 화상회의실, 교육훈련실



PCR machine	1
Real Time PCR machine	1
Refrigerated Microcentrifuge	2
Microcentrifuges	>3
Centrifuges mini	>3
Vortex stirrer	>3
Pipet-aid	>3
Micropipette set	>3
Eppendorf Heat-Cool Block	1
Nano-drop	1
Multi-Purpose Table Top Centrifuge	1
Orbital Shaker for Microplate 100 ~ 1200 rpm	1
Microplate Washer	1
MICROPLATE READER Spectramax id5 standard	1
Multichannel pipette, 8-ch, 0.5~10µl	
Multichannel pipette, 8-ch, 10~100µl	
Multichannel pipette, 8-ch, 30~300µl	
연구원 책상	

404호

: 미생물 배양, 실험준비 및 보관실(장비 35종)
실험 준비 작업, 미생물배양, 전기영동



Ultra-Low Temp (ULT) Freezer (-80 °C)	2
Defrost-Free Freezer (-20 °C: Enzymes/ IBK boxes)	1
Cart, Movable Glassware Drying Station (2)	n.a.
Autoclave, 105 L, Drying oven	1
Milli-Q Direct, 60L Reservoir, ICE Maker	1
Chemical balance, balance	1
Hot plate stirrer, pH meter	1
Room Temp Stock Buffers (Ready-to-Use)	n.a.
Room Temp Storage Chemicals/ Reagents	n.a.
Biohazard safety cabinet, Bio-suction pump	1
37°C incubator (Bacterial Cell Culture Plate)	1
Floor standing shaking incubator (204L)	1
High Speed Centrifuge (Floor standing)	1
Orbital Shaker & Protein Gel Transfer Set	n.a.
Protein Gel Electrophoresis Sets, miniProtean 4	n.a.
DNA Gel Electrophoresis Sets, Mupid-exu	n.a.
Eporator	1
Chemi-Doc+Fluorescent (Gel Imaging Equipment)	1

405호

: CAR-T 세포배양 및 작업실(장비 35종)
동물세포배양 작업실



Biohazard safety cabinet	2
Bio-suction pump	2
Pipet Aid	2
CO2 incubator (165L)	3
CO2 gas cylinder& modulator set	2
Orbital shaker (N-Biotec): forSuspension Culture	2
Inverted microscope	1
Fluorescence module, 3 wave, LED illuminator	1
Low-speed refrigerated centrifuge (Floor standing)	2
Low-speed refrigerated centrifuge (Floor standing)	2
Low-speed refrigerated centrifuge (Floor standing)	1
CytoFLEX analyzer basic unit/& Monitor	1
LN2 tank, Mr. Frosty Containers	1
Water Bath (only for Animal Culture)	1
Refrigerator (4°C/-20°C: Cell culture mediums, PBS etc)	1
Refrigerator (4°C/-20°C: FACS Ab, Working Ab stock/)	1
Biohazard safety cabinet	2
Bio-suction pump	2

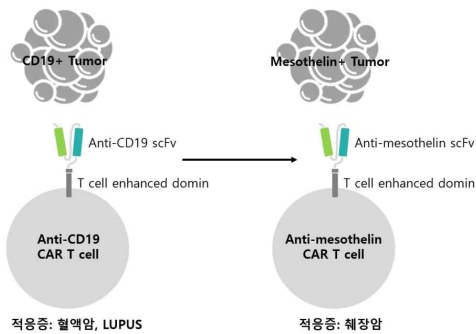
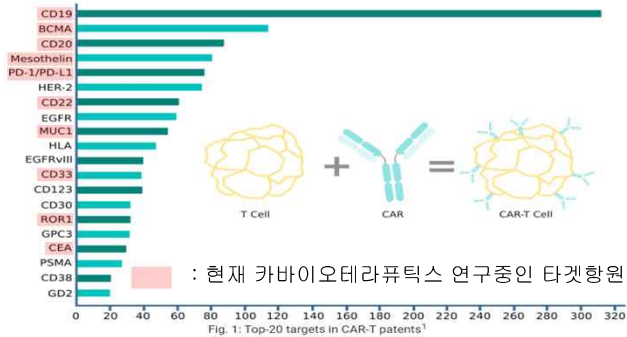
5-1 실험실 인프라



5-2 연구 성과

- **다기능성 CAR-T 치료제 후보물질 발굴을 위한 새로운 CAR-Pool Platform 기술 구축 완료**
- 25 종류의 세포치료제용 후보물질 및 암항원 타겟에 대한 항체 유전자 서열을 확보하여 벡터 디자인 구축 완료
- ✓ 혈액암 : CD19, CD20, CD22, CD43, CD47, CD19/20, CD19/22, CD19/20/22, ROR1 등
- ✓ 고형암 : MSLN, CLDN18.2, CD47, CD70, ROR1, CEA, FR-a, NYESO-1, GPC3, Her2, PMSA, cMet, GD2 등
- U.S Patent and Trademark Office(USPTO) data에 의하면, 지난 10년 동안 CAR-T 관련 분야들이 빠른 증가 추세를 보임
- 인공지능(AI)을 활용하여 활성 극대화 15종류 CAR 단백질 구조를 예측 완료

<Top-20 target in CAR-T patents>



구분	서열번호	염기서열
anti-CD19 scFv	2,939-3,664 (726)	gacatccagatgacacagactacatcctcctgtctgcctctct agggcaagtcaggacattagtaaatatttaatt tgatctaccatacatcaagat attattctctca ttcc g gagccaagttttctaaaaatgaacagctctgca gattcggcagc accacatactataattcagctct gagccaagttttctaaaaatgaacagctctgca gccaacattattactacgggtgtagctatgctatggactactg ggg gagtcaccgtctctca

Strictly Confidential

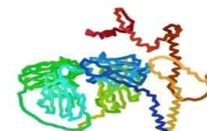
1. cJun-***-AntiCD19/**



2. cJun-AntiCD19-***-***



3. AntiCD19-CD**



4. AntiCD20-ROR1

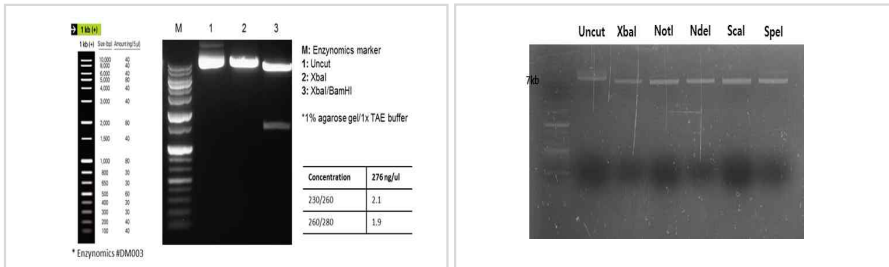
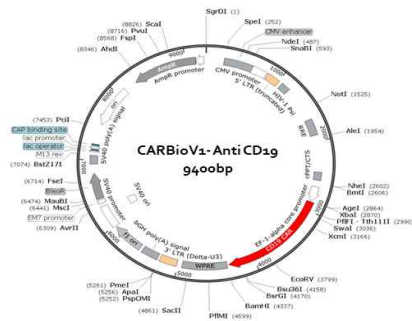


확보 서열들 중 후보물질서열의 SI 분석

5-2 연구 성과

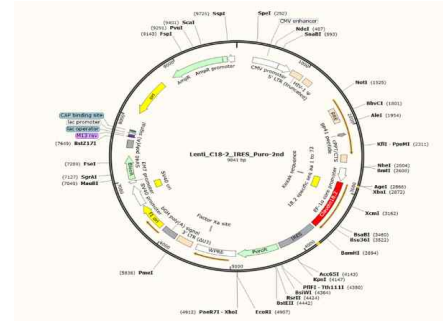
연구개발 현황

1. 확보 Vector : CARBio1 Anti-CD19 Vector & CARBio1 Anti-CD19 DNA 전기영동 확인

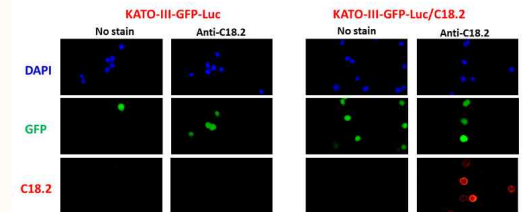


2. 자체적으로 제조한 항암활성이 뛰어난 Anti-CD19 급성림프구성백혈병(ALL) 세포치료제용 벡터에 대한 9,400개 염기서열을 분석 및 이를 활용하여 외주로 제작 완료된 20개의 치료용 CAR 벡터 확보 및 벡터 제작 예정인 추가 5개의 후보물질에 대한 서열 확보

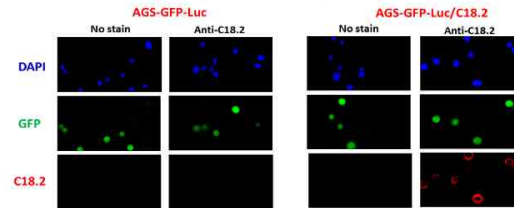
3. CLDN18.2 vector & 3종류의 위암 세포주 등 35종 개발 완료



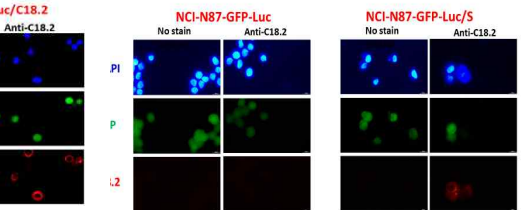
Construction of CLDN18.2-overexpressing KATO-III Cell line (KATO-III-GFP-Luc/C18.2)



Construction of CLDN18.2-overexpressing AGS Cell line (AGS-GFP-Luc/C18.2)



Construction of CLDN18.2 expressing NCI-N87 Cell line (NCI-N87-GFP-Luc/C18.2)



CAR vector와 암 세포주를 이용한 항암 유효성 평가 및 IND 신청 관련 기술 확보 및 KatoIII 세포주에 CLDN18.2를 발현시켜 기존 보다 우월한 Killing assay 확인, NCI-N87 및 AGS로 동물모델 구축 착수

5-2 연구 성과

- 오송첨단의료산업진흥재단(KBIO) 첨단 의약품팀에서 1~4차에 의한 서열송부 및 의뢰, 30종의 신규 혈액암, 자가면역질환, 췌장암, 위암, 유방암 치료용 다기능성 CAR 벡터를 용역 제작 완료
 - ◆ 혈액암 타겟: CD19, CD20, CD22, CD19/20, CD19/22, CD19/20/22, CD43, CD47, NY-ESO-1, BCMA, CS1/BCMA, FLT3, CD19/ROR1 등
 - ◆ 고형암 타겟: EGFR, EGFR vIII, Her2, MSLN, PSCA, PMSA, Muc1, Muc16, CD44, CD47, CD147, ROR1, c-Met, CEA, GPC, GD2, Claudin 18.2 등
- (주)이유노텍바이오판코리아로부터 CAR-T 세포치료제 개발 장비 및 세포주, 재료 등 자산 이전(FACS, PCR 등 필수 핵심장비군, 각종 세포주, 항체 시약 등 총 300종 이상)
- CAR Vector의 제조 및 효능 검증, 시험분석 연구실 setup 완료, 시험법 구축 및 시험수행중

1차 제작 완료된 8개의 신규서열의 치료용 벡터(예시)

1. SP-*****-P2A-SP-*****-hinge/TM-41BB-CD3ζ
2. SP-*****-hinge/TM-41BB-CD3ζ
3. SP-*****-hinge/TM-CD28-CD3ζ
4. SP-*****-hinge/TM-ICOS-CD3ζ
5. SP-*****-hinge/TM-ICOS-CD3ζ
6. SP*****-hinge/TM-ICOS-CD3ζ/****-***
7. SP-*****-hinge/TM-41BB-CD3ζ
8. SP-*****-hinge/TM-41BB-CD3ζ/P2A-SP-****-***

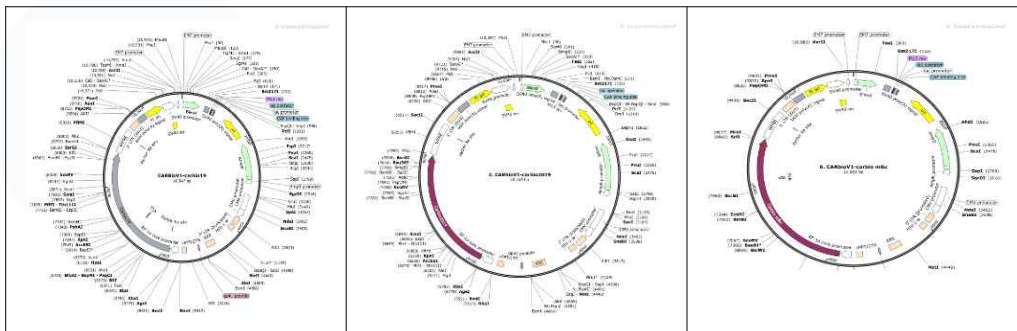
2차 제작 다기능성의 CAR 벡터 10개의 서열(예시)

1. SP- *****-hinge/TM-41BB-CD3ζ
2. SP-*****-hinge/TM-CD28-CD3ζ/****-***
3. SP-*****-hinge/TM-CD28-CD3ζ
4. SP-*****-hinge/TM-ICOS-CD3ζ
5. SP-*****hinge/TM-ICOS-CD3ζ/P2A-SP-****-***
6. SP-*****-hinge/TM-41BB-CD3ζ/P2A-SP-****-***
7. SP-*****-hinge/TM-CD28-CD3ζ 등

5-2 연구 성과

3세대 렌티바이러스 패키지 시스템을 이용하여 25종의 렌티바이러스 제작 및 제작된 렌티바이러스의 물리적 & 기능적 역가 확인

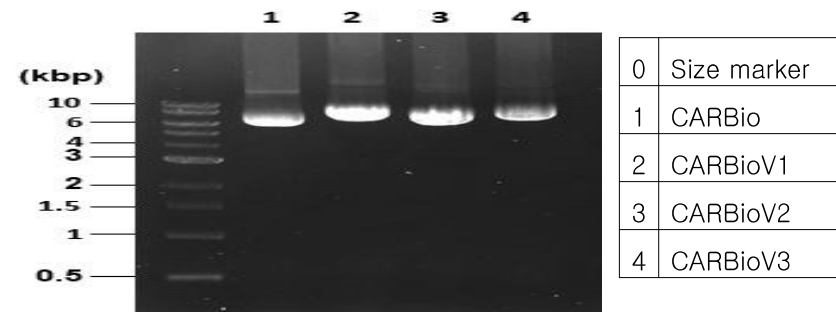
1. 각종 암특이적 CAR 벡터 서열 제작



• 물리적 역가 측정-qPCR

No.	Name	qPCR titration (copies/mL)	Total volume (mL)	Total copy number (copies)
1	CARBioV1	6.33E+08	11	6.96E+09
2	CARBioV2	2.43E+08	11	2.67E+09
3	CARBioV3	5.40E+08	11	5.93E+09

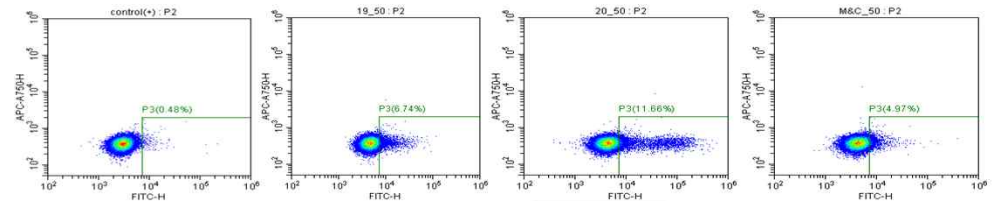
2. CAR 벡터 제작 및 확인



[제작된 CAR 발현 plasmid 전기영동 결과]

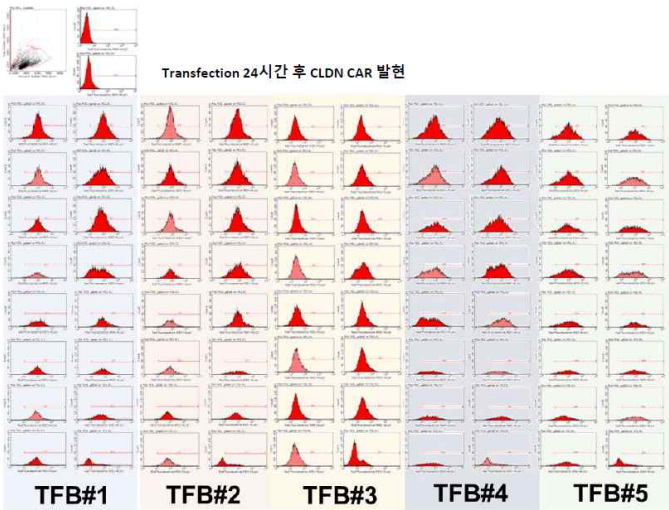
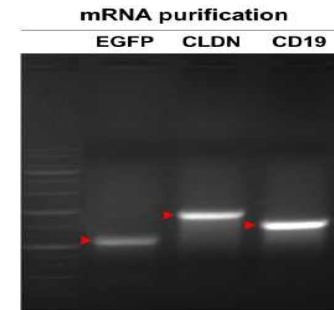
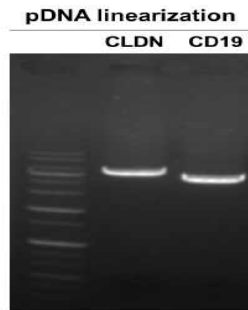
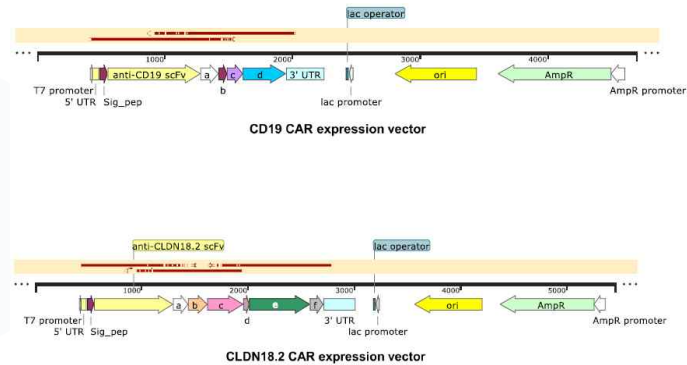
• 기능적 역가 측정-FACS

No.	Name	TU/mL
1	CARBioV1	2.7 x 10 ⁵ TU/ml
2	CARBioV2	4.7 x 10 ⁵ TU/ml
3	CARBioV3	2.0 x 10 ⁵ TU/ml

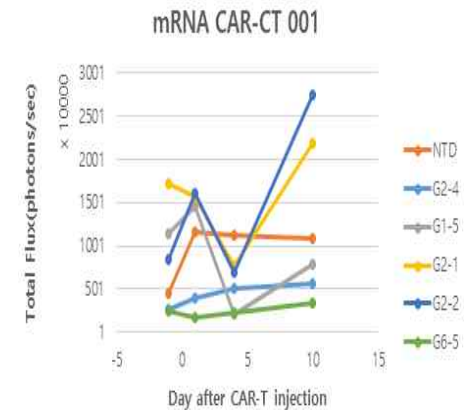
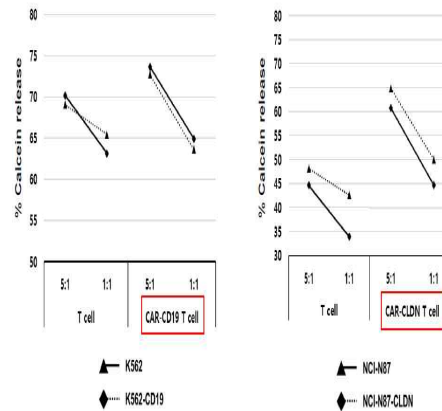


5-2 연구 성과

mRNA 기반 CAR-T의 위암세포주에 유의미한 효능 결과 기반 고형암종 (위암)에 대한 동물모델 대상으로 in vivo 전임상 동물실험 완료



TFB종류에 따라 다르지만 CLDN CAR는 24시간 평균 90% 이상의 발현율을 보였음

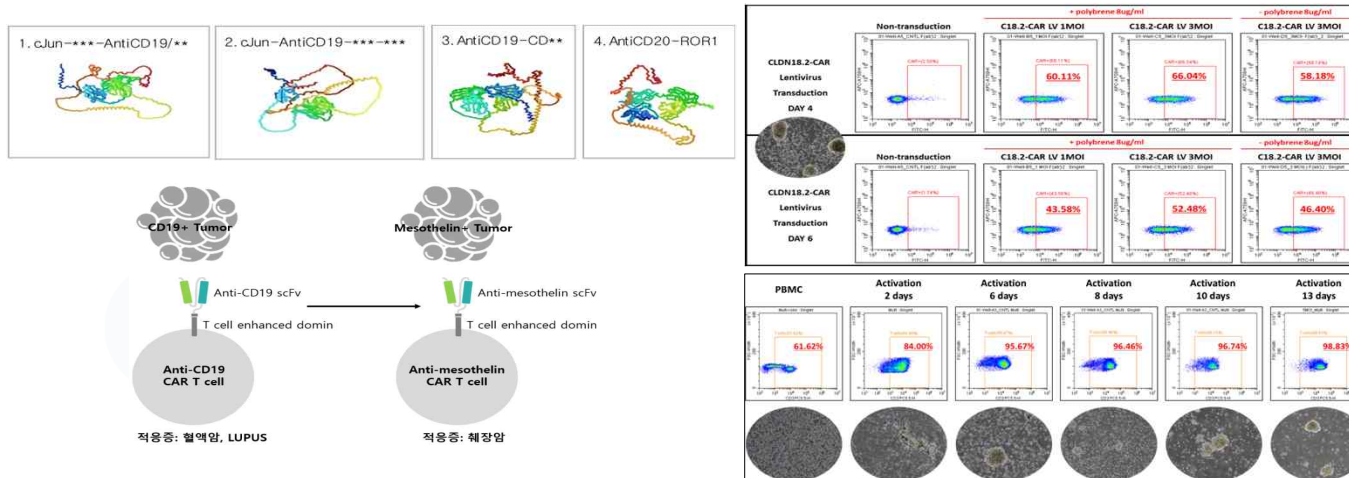


CAR-CLDN은 NCI-N87 및 NCI-N87-CLDN 세포를 이용하여 세포독성 평가를 진행함. CAR-CLDN은 CLDN 항원을 인지하여 보다 높은 세포 독성을 보이는 경향이 있음. In vivo결과, NTD와 비슷한 tumor 크기(G2-5, G6-5)를 비교 시 발광 크기가 줄어드는 개체도 있고 오히려 늘어나는 개체도 있음

5-2 연구 성과

CARBio 001, 002, 017 CAR-T cells의 고형암종 (위암)에 대한 in vitro 효능평가 시험법 구축 완료 및 국제 학회, 논문 발표

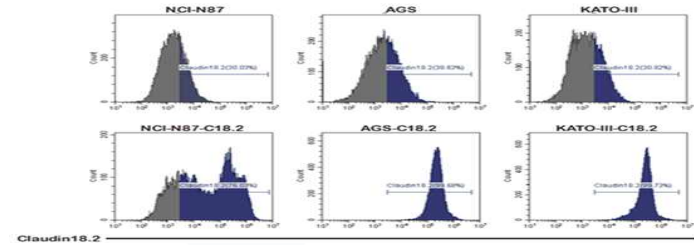
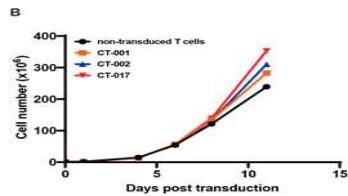
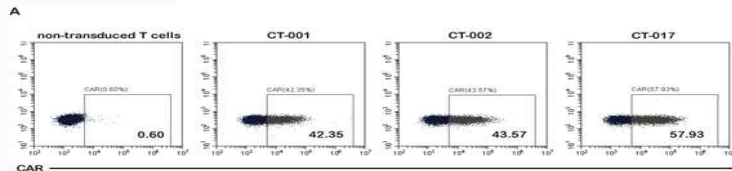
- ▶ **다기능성 CAR-T 치료제 후보물질 발굴을 위한 새로운 CAR-Pool Platform 기술 구축 완료**
 - 현재, 30 종류의 세포치료제 후보물질 발굴 및 암항원에 대한 항체 탑재 CAR 벡터 제조
 - ◆ 혈액암 : CD19, CD20, CD22, CD19/20, CD19/22, CD19/20/22, CD43, CD47, NY-ESO-1, BCMA, CS1/BCMA, FLT3, CD19/ROR1 등
 - ◆ 고형암 : EGFR, EGFR vIII, Her2, MSLN, PSCA, PMSA, Muc1, Muc16, CD44, CD47, CD147, ROR1, c-Met, CEA, GPC, GD2, Claudin 18.2 등
- ▶ **다기능성 CARBio CAR-T 세포치료제 개발 및 시험법 구축**
 - 렌티바이러스 생산 및 CAR-T cell manufacturing
 - 위암 타겟 CAR-T 개발 및 생산하여 in vitro/ in vivo 효능평가 시험법 구축
 - A : CAR-T 세포 제작 후 CAR expression 및 암세포주의 암항원 발현양 측정
 - B : CAR-T 세포의 Cell proliferation, Cytotoxicity assay, Cytokine release assay를 통한 효과 검증
 - CAR-T 세포의 효능평가에 사용될 다양한 암항원에 대한 각각의 재조합 암세포주 확보



5-2 연구 성과

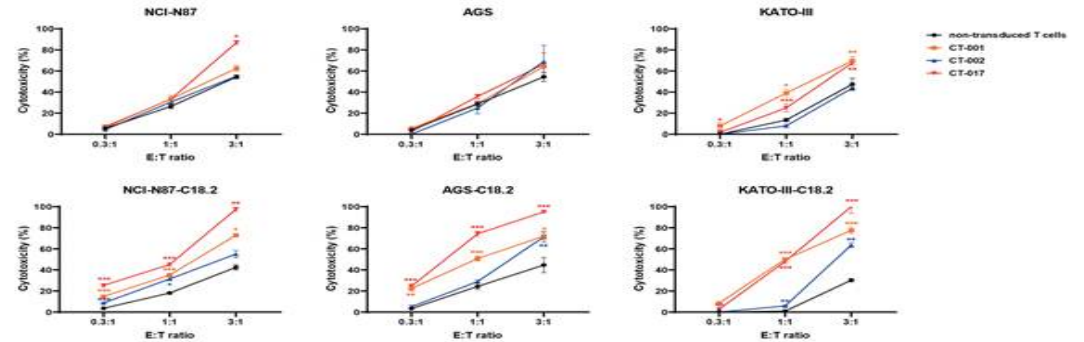
CARBio 001, 002, 017 CAR-T cells의 고휘암종 (위암)에 대한 in vitro 효능평가 시험법 구축 완료 및 국제 학회, 논문 발표

- **CAR-T 세포의 Cytotoxicity assay** : CAR-CT-017 경우, 형질도입되지 않은 T세포를 반응시켰을 때보다 NCI-N87-C18.2는 3배, AGS-C18.2는 5배, KATO-III-C18.2는 7배 이상 높은 CLDN18.2 특이적인 살상 효과를 보임. CAR-CT-002는 표적 암세포주에 대해서 2배 이상 높게 나타남
- **CAR-T 세포의 Cytokine release assay** : 표적 암세포주에 CAR-T 세포가 분비하는 사이토카인의 양 측정함. 면역반응 조절 및 항종양 활성을 갖는 사이토카인 IFN- γ 및 TNF- α 의 분비, 표적 암세포주와 형질도입되지 않은 T 세포를 반응시켰을 때보다 CLDN18.2 특이적으로 더 많은 양의 사이토카인을 분비함

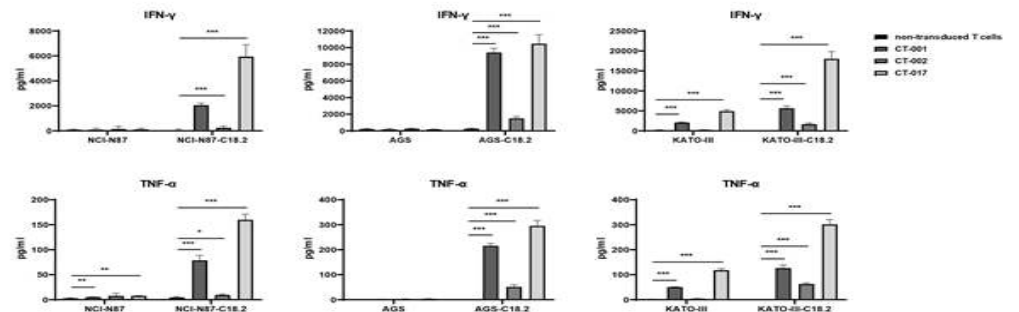


- CAR-T 세포 제작 후 CAR expression
- CAR-T 세포의 Cell proliferation
- 표적 암세포주의 암항원(CLDN18.2)의 발현양 확인

[CARBio CAR-T의 Cytotoxicity assay 결과]



[CARBio CAR-T의 Cytokine release assay 결과]



5-2 연구 성과

Cytotoxicity & Cytokine release assay

LDH assay (Cytotoxicity assay)

Used kit: CytoTox96 Non-Radioactive Cytotoxicity assay (Promega-Cat# G1780)

Assay condition

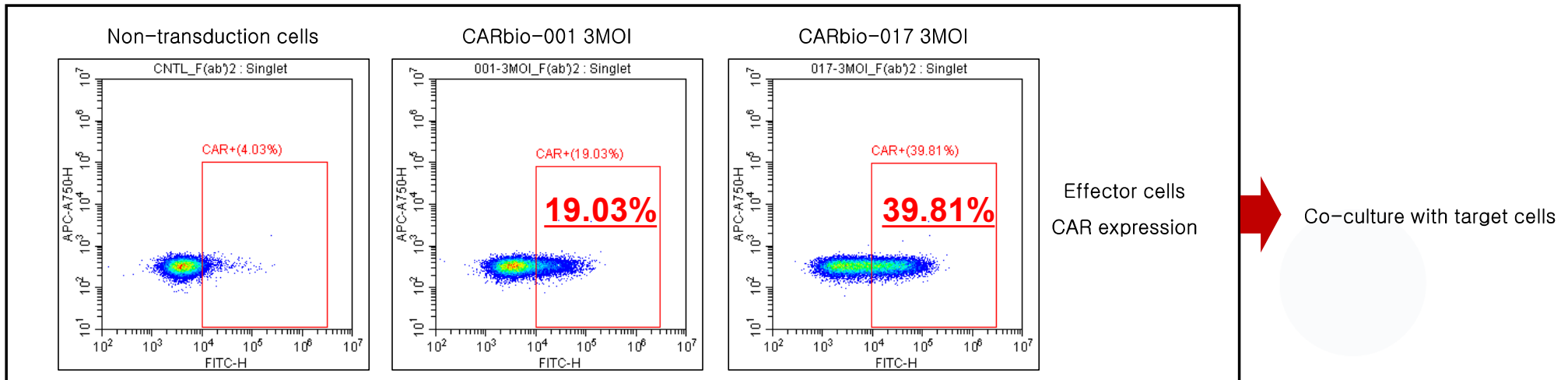
1. Target cells: NCI-N87, NCI-N87-C18.2, AGS, AGS-C18.2, KATO, KATO-C18.2
2. Effector cells: 001-CAR-T cells, 017-CAR-T cells (6 days after LV transduction)
3. E:T ratio = 1:1, 3:1
4. Co-culture time: 24 hrs
5. Cell seeding number: 2×10^4 cells/test well

ELISA (Cytokine release assay)

Used kit: Human TNF- α (R&D-Cat# DY210)
Human IFN- γ (R&D-Cat# DY285B)

Assay condition

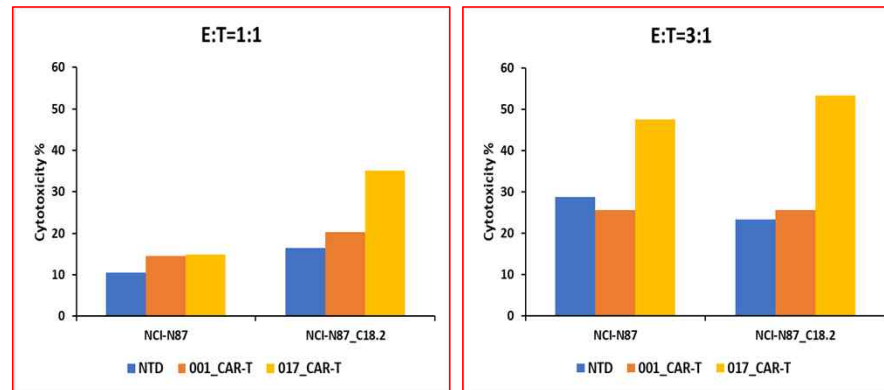
1. Target cells: NCI-N87, NCI-N87-C18.2, AGS, AGS-C18.2, KATO, KATO-C18.2
2. Effector cells: 001-CAR-T cells, 017-CAR-T cells (6 days after LV transduction)
3. E:T ratio = 1:5, 1:3
4. Co-culture time: 24 hrs
5. Cell seeding number: 2×10^4 cells/test well



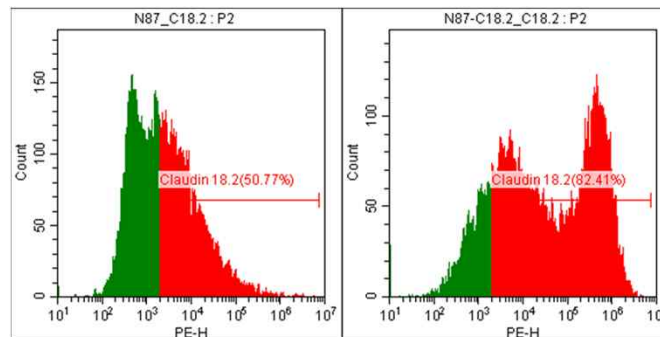
5-2 연구 성과

In vitro assay : Cytotoxicity

- NCI-N87 위암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001, CAR-CT-017)의 CLDN18.2 특이적 살상 효과 확인



Cytotoxicity in co-cultivation of CARbio-001, CARbio-017(effector) cells & NCI-N87, NCI-N87-Cldn18.2 (Target) cells

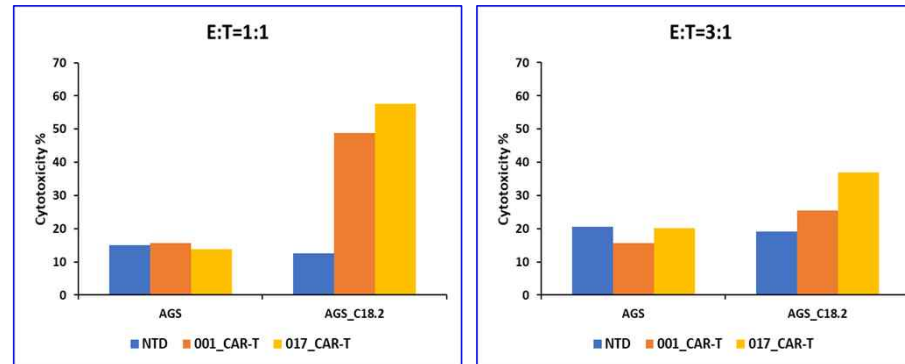


Claudin18.2 expression in NCI-N87, NCI-N87-Cldn18.2 (gastric cell lines) cells

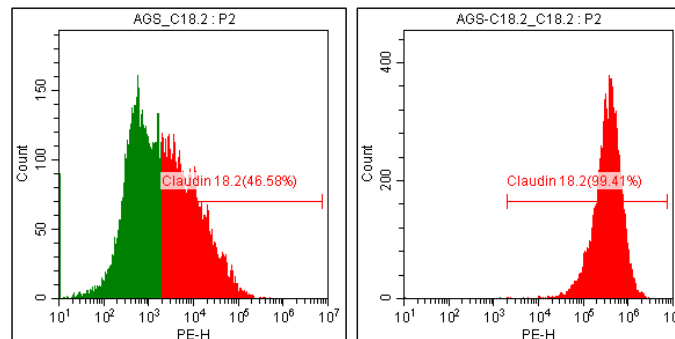
5-2 연구 성과

In vitro assay : Cytotoxicity

- AGS 위암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001, CAR-CT-017)의 CLDN18.2 특이적 살상 효과 확인



Cytotoxicity in co-cultivation of CARbio-001, CARbio-017(effector) cells & AGS, AGS-Cldn18.2 (Target) cells

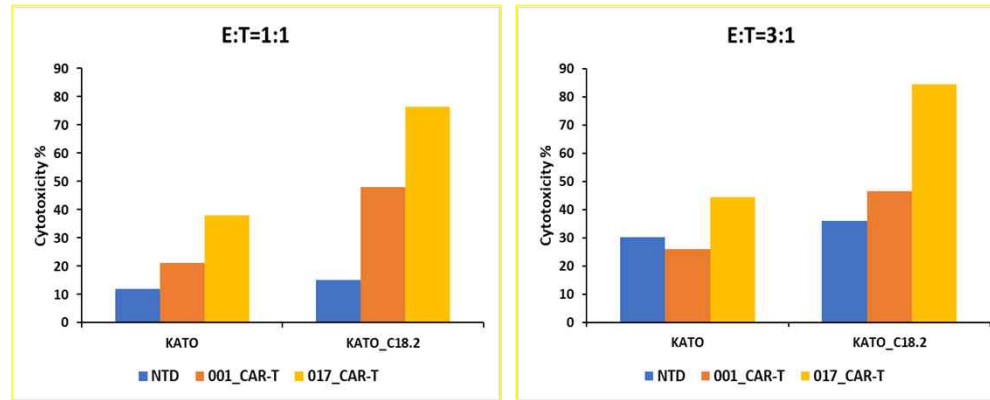


Claudin18.2 expression in AGS, AGS-Cldn18.2 (gastric cell lines) cells

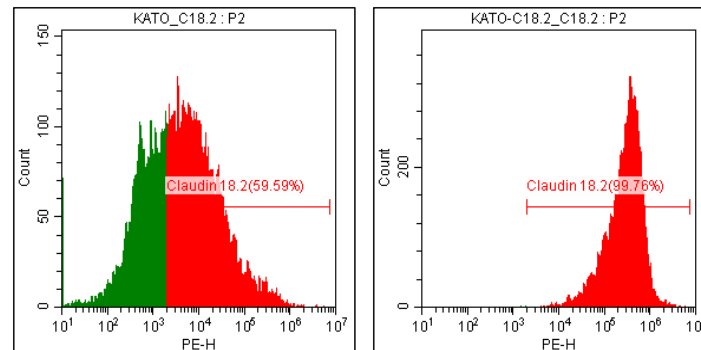
5-2 연구 성과

In vitro assay : Cytotoxicity

- KATO III 위암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001, CAR-CT-017)의 CLDN18.2 특이적 살상 효과 확인



Cytotoxicity in co-cultivation of CARbio-001, CARbio-017(Effector) cells & KATO III, KATO III-Cldn18.2 (Target) cells

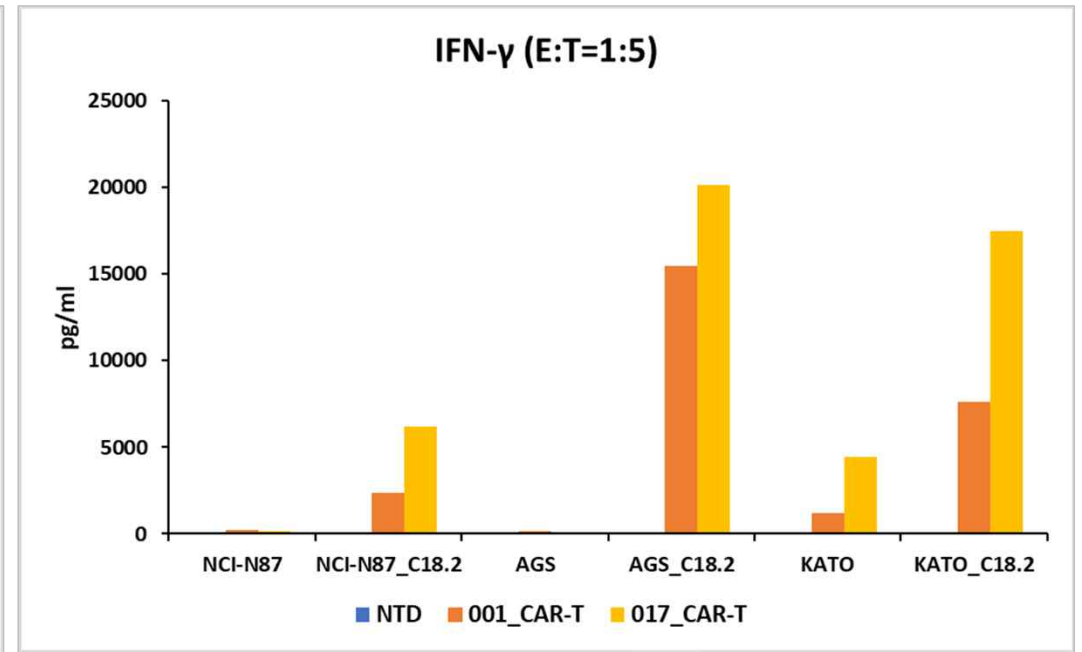
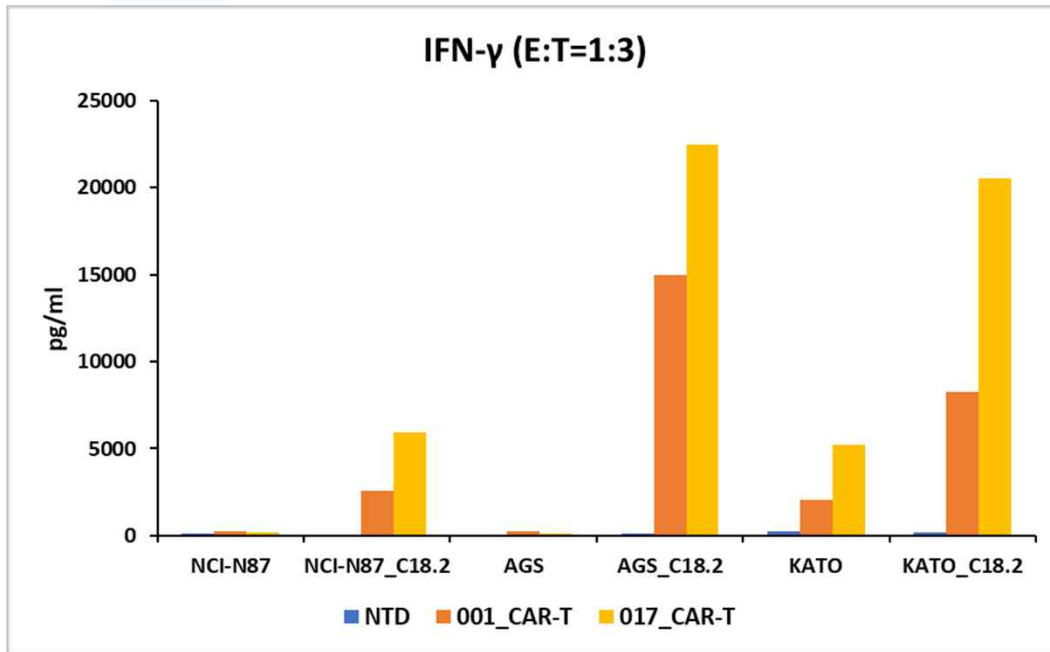


Claudin18.2 expression in KATO III, KATO III-Cldn18.2 (gastric cell lines)

5-2 연구 성과

In vitro assay : Cytokine release assay

- 3 종류의 위암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001, CAR-CT-017)의 CLDN18.2 특이적 사이토카인(IFN- γ) 분비 증가 확인

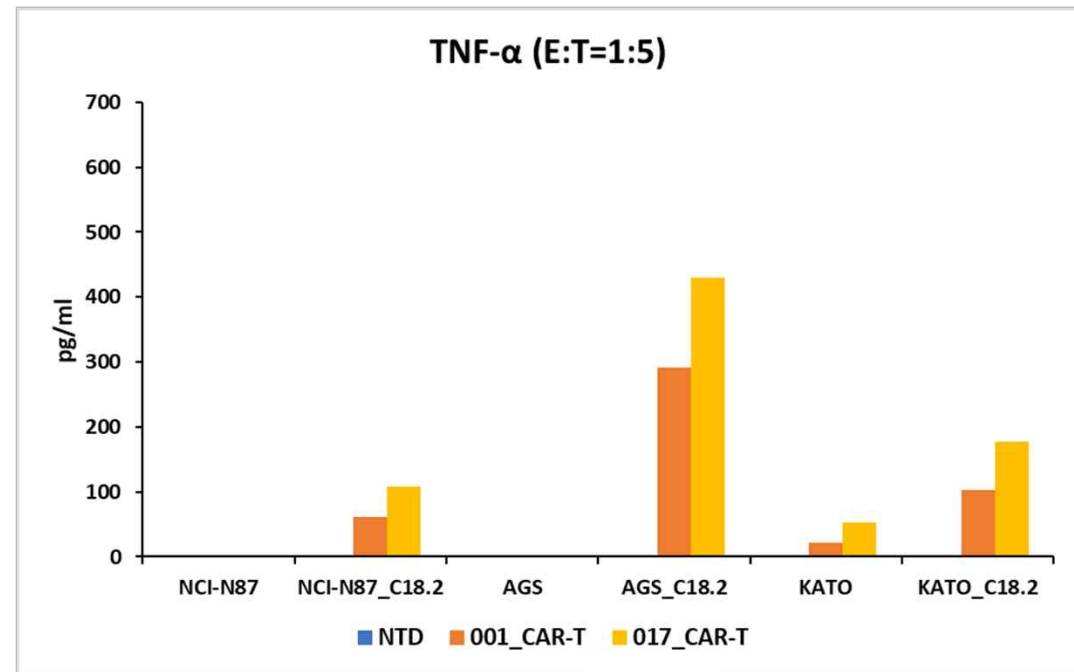
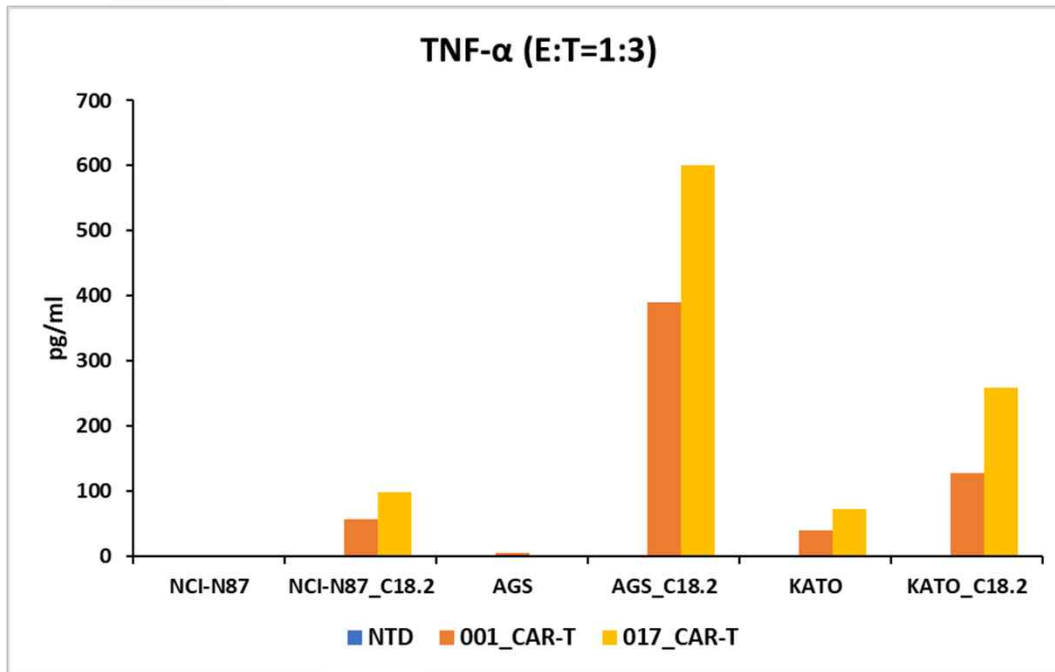


- Target: NCI-N87, NCI-N89-C18.2, AGS, AGS-C18.2, KATO III, KATO III-C18.2
- Effector: CARBio-001 CAR-T cell & CARBio-017 CAR-T cell

5-2 연구 성과

In vitro assay : Cytokine release assay

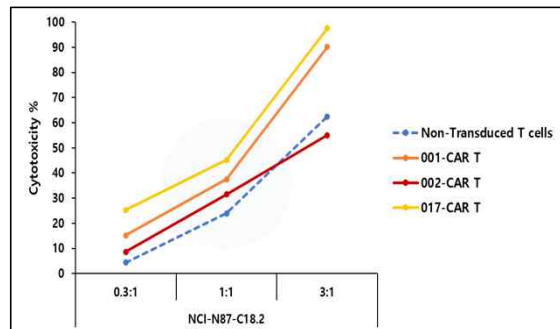
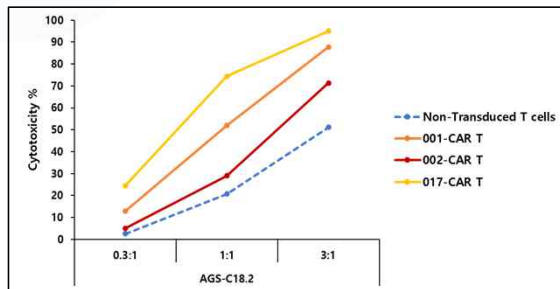
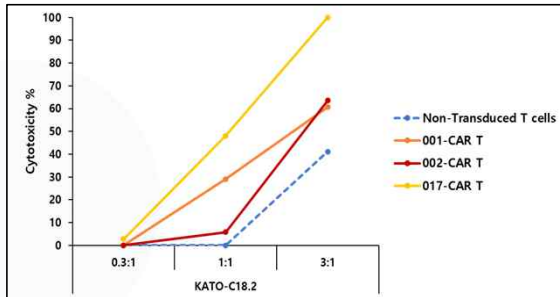
- 3 종류의 위암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001, CAR-CT-017)의 CLDN18.2 특이적 사이토카인 (TNF- α) 분비 증가 확인



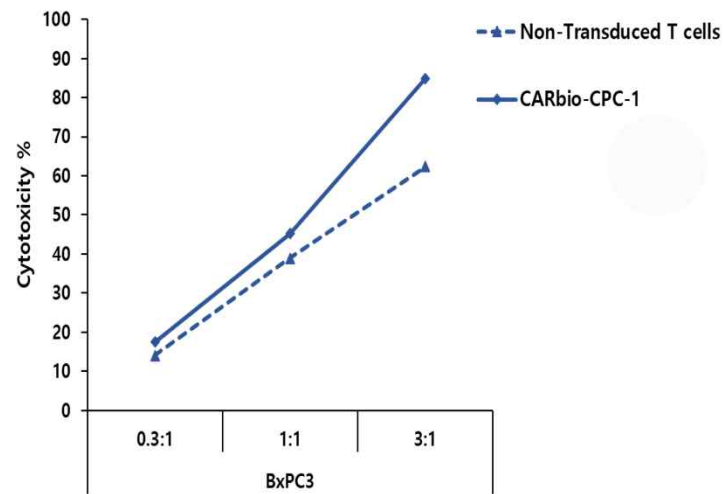
- Target: NCI-N87, NCI-N89-C18.2, AGS, AGS-C18.2, KATO III, KATO III-C18.2
- Effector: CARBio-001 CAR-T cell & CARBio-017 CAR-T cell

5-2 연구 성과

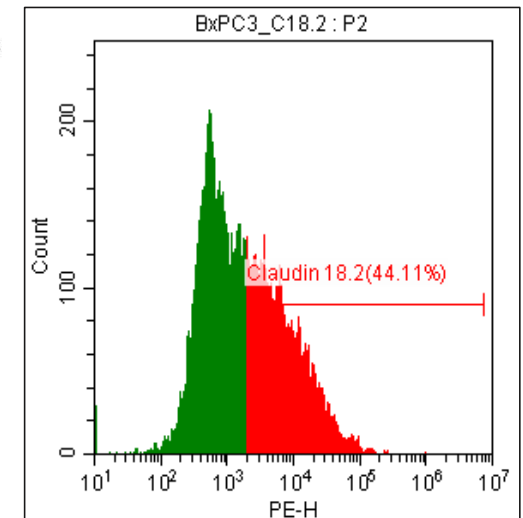
In vitro assay for pancreatic & gastric cancer cell lines



- 췌장암 세포주에서 CAR-T 세포(CAR-CT-001)의 암세포에 대한 살상 효과 확인



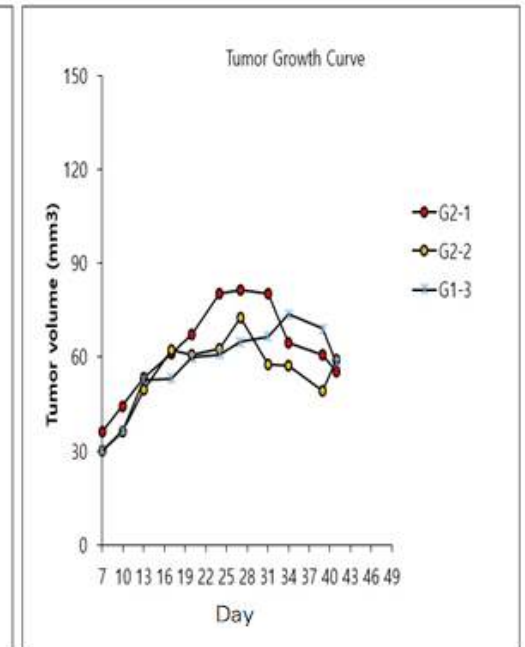
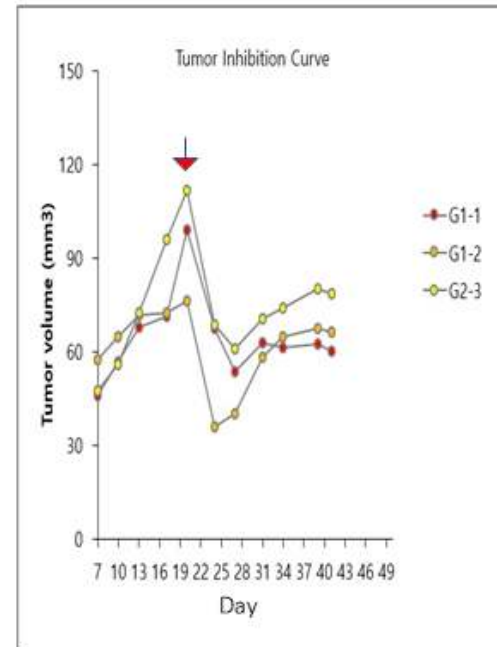
Cytotoxicity in BxPC3 (pancreatic cancer cell line)



Claudin18.2 expression in BxPC3

5-2 연구 성과

CARBio 017 CAR-T cells의 고형암종 (위암) 동물모델 대상으로 1차 in vivo 전임상 효능평가 실험 및 검증



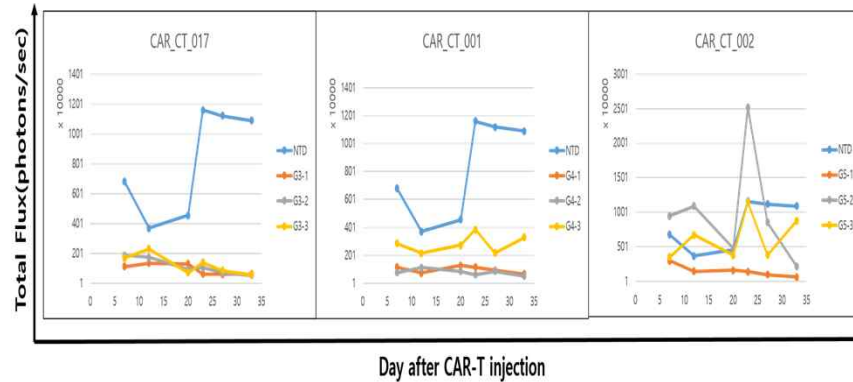
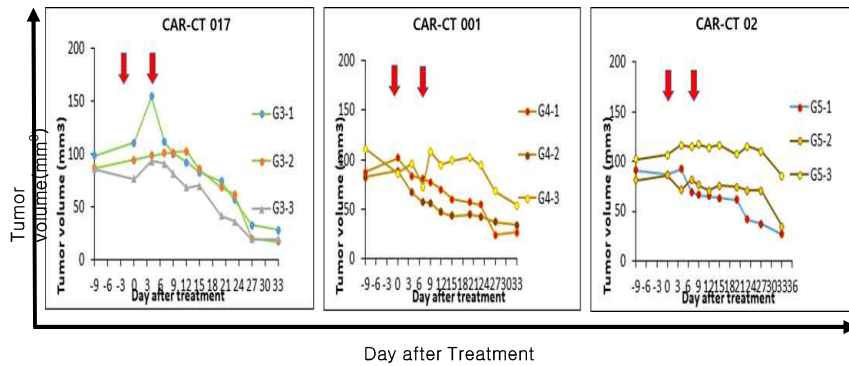
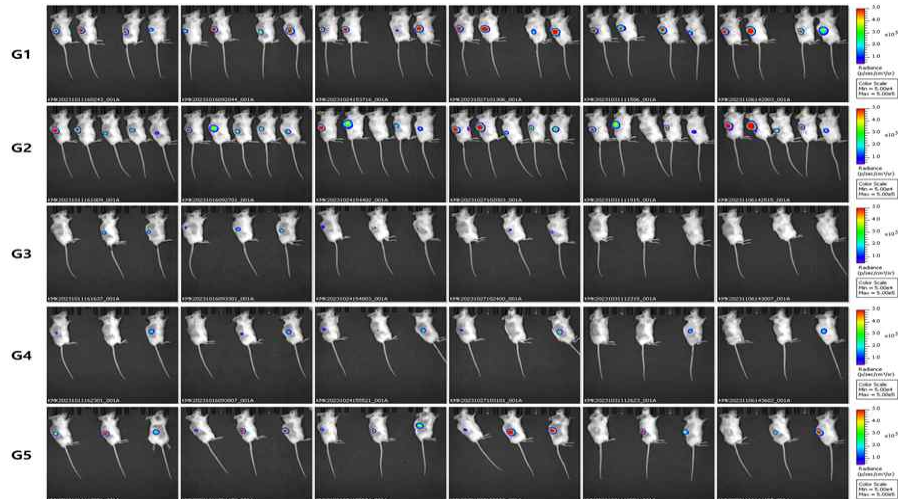
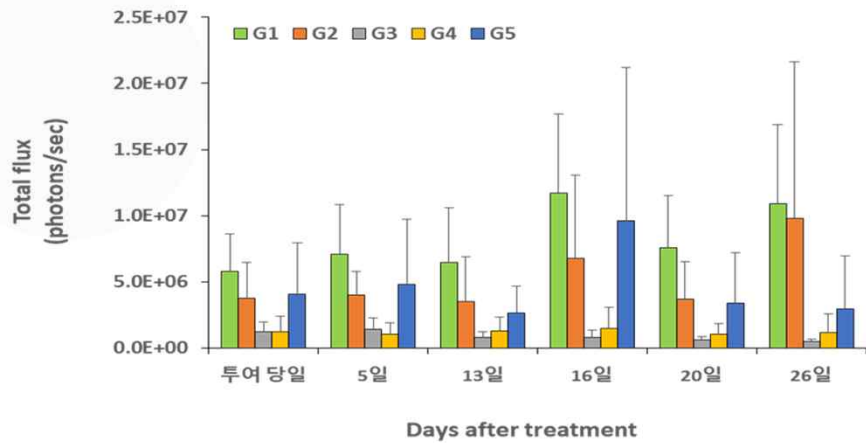
- Confirmation of excellent killing effect of CARBio CAR-T cells on NCI-N87 cell line expressing CLDN18.2 to evaluate the anti-cancer efficacy of CAR-T cells.
- After subcutaneously injecting 1×10^7 and 5×10^6 cancer cells, respectively, into NOG mice, inhibitory effect of CAR-T cells on the tumor growth was confirmed.

5-2 연구 성과

CARBio 001, 002, 017 CAR-T cells의 고형암종 (위암) 동물모델 대상으로 2차 in vivo 전임상 효능평가 실험 및 검증

- 위암 동물모델에서 CAR-T 세포(CAR-CT-017, CAR-CT-001, CAR-CT-002) 투여 후 IVIS 분석을 통한 종양 감소 확인

■ Anti-CLDN18.2 CAR-T세포의 in vivo 효능 평가



5-2 연구 성과

- 위암 동물모델에서 CAR-T 세포(CAR-CT-017, CAR-CT-001, CAR-CT-002) 투여 후 IVIS 분석을 통한 종양 감소 확인

UTD
(23 days after
cancer cell inoculation)

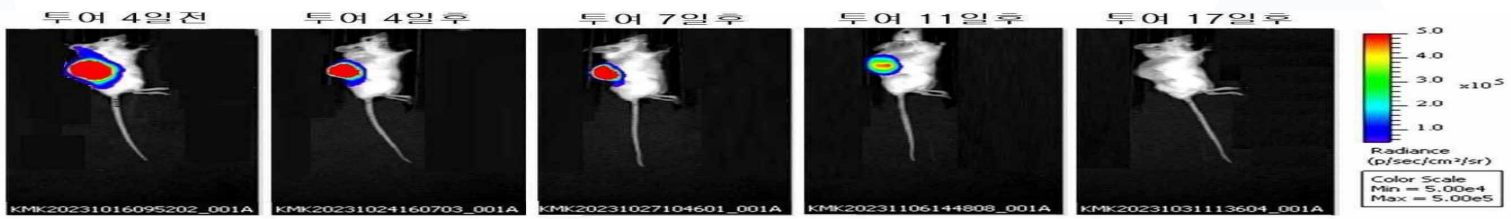
none

CT017
(23 days after
cancer cell inoculation)

CT001
(23 days after
cancer cell inoculation)

CT002
(23 days after
cancer cell inoculation)

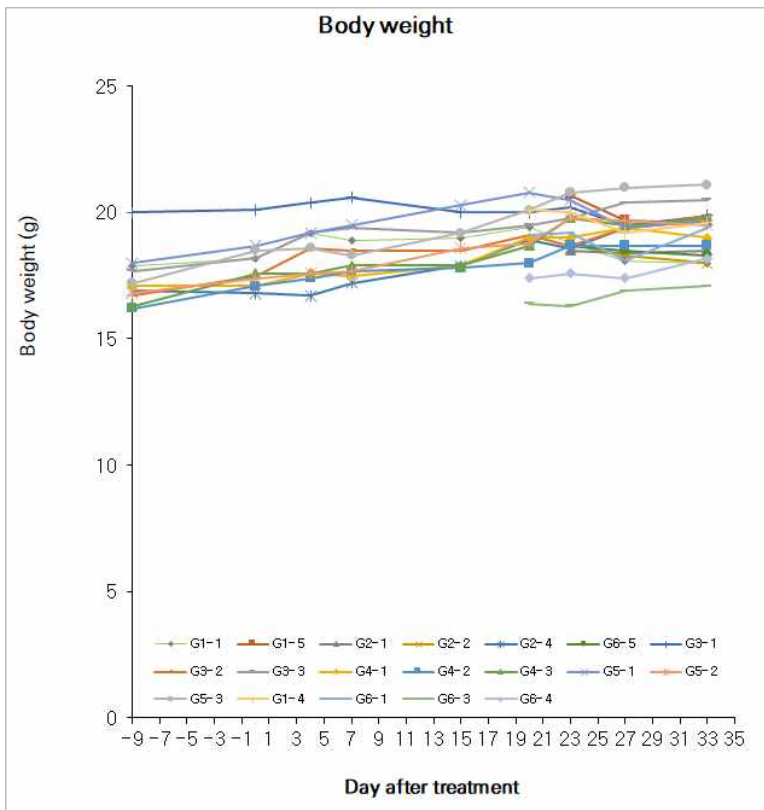
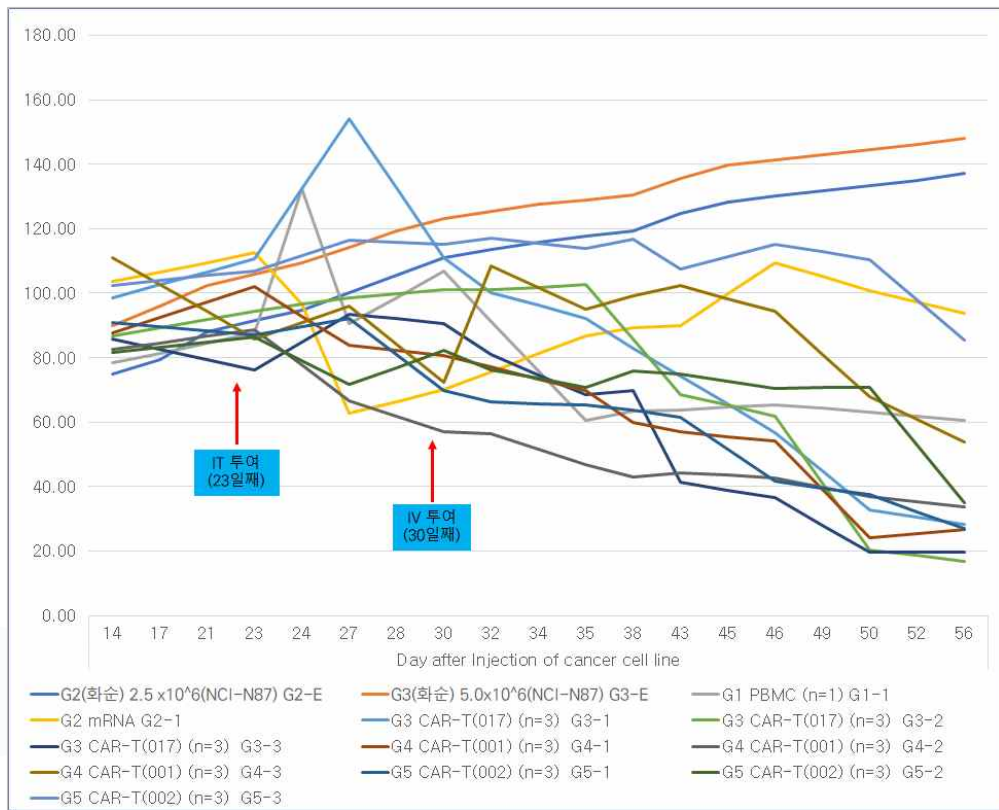
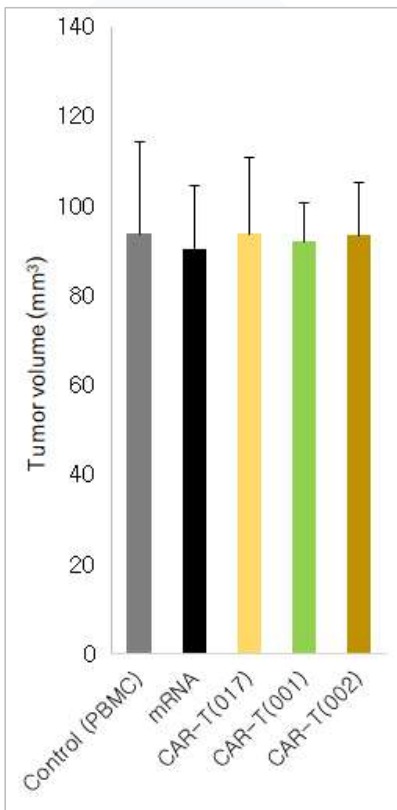
CT017
(40 days after cancer
cell inoculation)



5-2 연구 성과

Preclinical efficacy test tumor volume & body weight measurement results (2023.9.11~11.6)

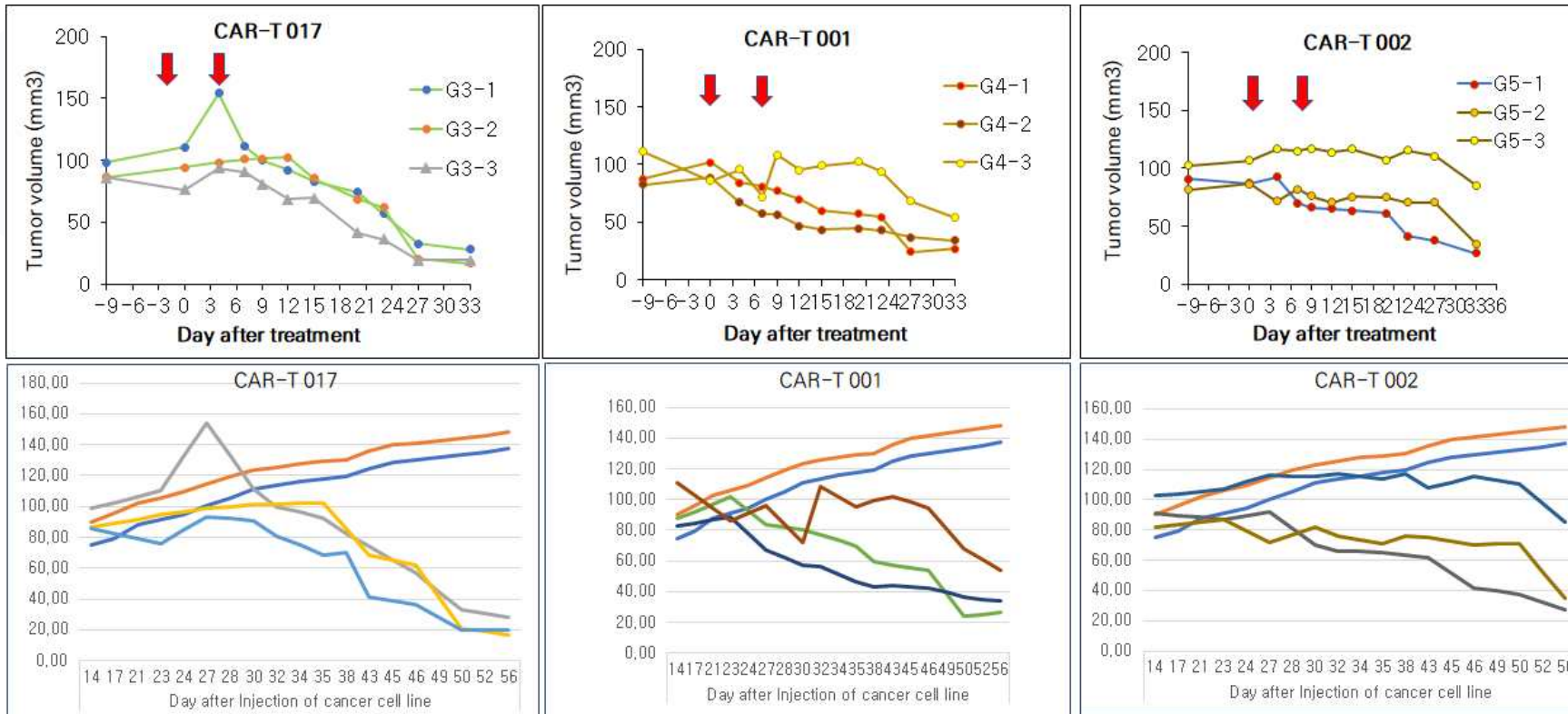
- 위암 동물모델에서 CAR-T 세포(CAR-CT-017, CAR-CT-002, CAR-CT-001) 투여 후 종양 크기 감소 확인



5-2 연구 성과

Preclinical efficacy test tumor volume measurement results (2023.9.11~11.6)

- 위암 동물모델에서 CAR-T 세포(CAR-CT-017, CAR-CT-001, CAR-CT-002) 투여 후 종양 크기 감소 확인



- Confirmation of excellent killing effect of CARBio CAR-T cells on NCI-N87 cell line expressing CLDN18.2 to evaluate the anti-cancer efficacy of CAR-T cells
- After subcutaneously injecting 5×10^6 cancer cells, respectively, into NOG mice, killing effect of CAR-T cells on the tumor growth was confirmed.

5-3 시제품 생산 및 기술이전

CAR-CT-017 세포치료제 1차 시제품

동물실험 (청주대학교) 시료 정보

: NCI-N87-CLDN18.2-(GFP) xenograft model 효능시험

작성자: ㈜카바이오테라퓨틱스 황서진

작성일: 2023년 10월 20일 금요일

1. 일정

- 1) 시료 준비기간: 2023.10.10~2023.10.20
- 2) 시료 전달 및 투여일: 2023.10.20

2. 시료 정보

1) **PBMC:** zenbio (Cat# SER-PBMC-200-F, Lot# PBMC041322B) 1×10^8 cells/vial

2) Lentivirus

(1) CARbio-001 (2023.06.02 제작 from. ㈜카바이오테라퓨틱스): Functional Titer 4.22×10^8 TU/ml

(2) CARbio-017 (2023.06.02 제작 from. ㈜카바이오테라퓨틱스): Functional Titer 6.54×10^8 TU/ml

- Transduction MOI: 3MOI

3) 배양환경

- 배지: CTS™ OpTmizer™ T Cell Expansion SFM (Gibco, Cat# A1048501) + Human Serum (Sigma, Cat# h4522) 5% + IL-2 200 IU/ml

- 온도 및 CO₂: 37°C, 5% CO₂

4) **투여세포 농도:** 2.48×10^7 cells(CAR+ 1×10^7 cells)/200 ul head (PBS) n=2 (최종 전달 시료: 4.96×10^7 cells/400 ul PBS_ice)

5) **투여세포:** CARbio-001, CARbio-017 CAR-T cells DAY8

- Cell viability

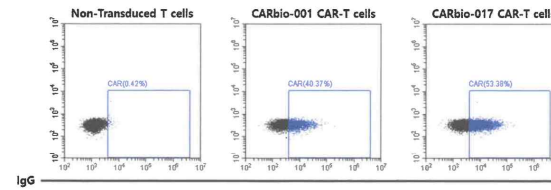
(1) CARbio-001 CAR-T: 97.29%

(2) CARbio-017 CAR-T: 97.10%

- CAR expression

(1) CARbio-001 CAR-T: 40.37%

(2) CARbio-017 CAR-T: 53.38%

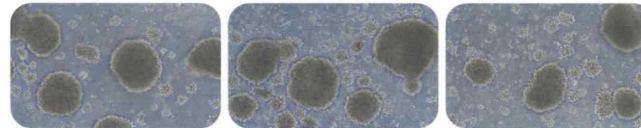


- Cell morphology

(1) CARbio-001 CAR-T



(2) CARbio-017 CAR-T



3. 비교

상기의 시료정보와 시험물질 제출을 승인합니다.

2023년 10월 20일

㈜카바이오테라퓨틱스 대표 이 현 주



5-3 시제품 생산 및 기술이전

CAR-CT-017 세포치료제 2차 시제품

KTR 단회독성시험 시료 정보

작성자: ㈜카바이오테라퓨틱스 황서진
작성일: 2024년 02월 14일 수요일

1. 일정

- 1) 시료 준비기간: 2024.01.23~2024.02.05
- 2) 시료 전달 및 투여일: 2024.02.14

2. 시료 정보

1) **PBMC**: zenbio (Cat# SER-PBMC-200-F, Lot# PBMC101823A) 1×10^8 cells/vial

2) Lentivirus

(1) CARBio-017 (2023.06.02 제작 from. ㈜카바이오테라퓨틱스): Functional Titer 6.54×10^8 TU/ml

- Transduction MOI: 5MOI

3) 배양환경

- 배지: CTS™ OpTmizer™ T Cell Expansion SFM (Gibco, Cat# A1048501) + Human Serum (Sigma, Cat# h4522) 5% + IL-2 200 IU/ml

- 온도 및 CO₂: 37°C, 5% CO₂

4) 투여세포 농도

(1) Untransduced T cells: 1.0×10^8 cells/200 ul PBS, n=6 (최종 전달 시료: 6.0×10^8 cells/1200 ul PBS)

(2) CARBio CT-017: 1.0×10^8 cells/200 ul PBS, n=6 (최종 전달 시료: 6.0×10^8 cells/1200 ul PBS)

(3) CARBio CT-017: 1.0×10^7 cells/200 ul PBS, n=6 (최종 전달 시료: 6.0×10^7 cells/1200 ul PBS)

5) **투여세포**: Untransduced T cells, CARBio CT-017 (2024.02.05 DAY11 동결보존한 세포)

- Cell viability

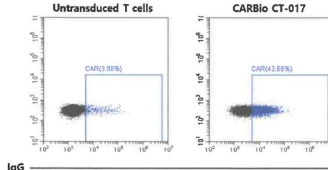
(1) Untransduced T cells: 89.46%

(2) CARBio CT-017: 87.47%

- CAR expression

(1) Untransduced T cells: 3.98%

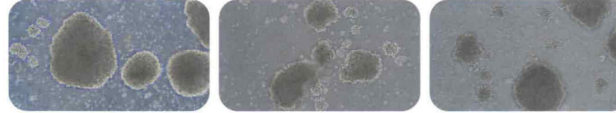
(2) CARBio CT-017: 43.68%



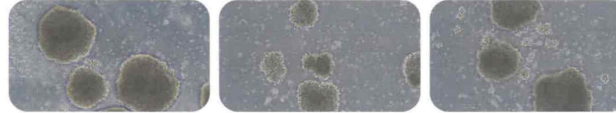
IgG

- Cell morphology

(1) Untransduced T cells



(2) CARBio CT-017



3. 비교

: 2024.02.05 DAY11 세포를 CS10 (STEMCELL, Cat# 100-1061) 동결보존액에 현탁하여 액체질소에 동결보존.

: 투여 당일, 동결보존한 세포를 해동하여 투여 시료 준비 진행.

: Cell morphology의 경우, 동결 전 세포의 morphology를 측정하였고 해동 후 세포의 morphology는 측정하지 않았음.

: Cell morphology를 제외한 cell viability, CAR expression은 해동 후 세포에 대한 결과임.

- 시료 운송업체: GC CELL (2024.02.14. 10:45 am 시료 pick up)

상기의 시료정보와 시험물질 제출을 승인합니다.

2024년 02월 14일

㈜카바이오테라퓨틱스 대표 이 현 주



5-3 시제품 생산 및 기술이전

기술이전 논의

- Strategic Complementary Partnership Agreement
- 중국 P사 와 공동연구 협약 논의중

Framework Agreement Strategic Complementary Partnership

is made effective as of **November 1st, 2023** (the "Effective Date").

between

- (1) **CARBio Therapeutics Co., Ltd.**, a corporation organized and existing under the laws of Republic of Korea under the Business Registration Number 445-86-02068, having its principal place of business at A03, Cheongju SB Plaza, 194-25, Osongsaengmyung 1-ro, Osong-eup, Heungdeok-gu, Cheongju-si, Chungcheongbuk-do, Korea.

- hereinafter referred to as "CARBio"-

and

- (2) **Jiangsu Pacific Meinuoke Biopharmaceutical Co., Ltd.**, a limited incorporated company organized and existing under the laws of People's Republic of China, having its principal place of business at 128 Hehai West Road, Changzhou, Post code 213022, Jiangsu Province, China,

- hereinafter referred to as "PMBP"-

CARBio and PMBP may each be referred to herein individually as a "Party" or, collectively referred to as the "Parties."

Considering the foregoing, the Parties agree upon the following terms:

1 General Cooperation Structure

- 1.1 The Parties will establish a Strategic Complementary Partnership (hereinafter referred to as the "Project"), for target identification, plasmid construction, Lentiviral vector design, Process development, GLP manufacturing of pre-clinical-, and toxicology-material, GMP manufacturing, clinical trials, and marketing & sales of CAR-T Cell Therapeutics. The **Potential CAR-T Cell Therapeutic Products** carried out by the Project are, among others, the following CAR-T Cell Therapeutic Products:

- | | | |
|-------|--------------|-------------------------------|
| 1.1.1 | CD 19 CAR-T | Non-Hodgkin's Lymphoma |
| 1.1.2 | Claudin 18.2 | Gastric and Pancreatic Cancer |
| 1.1.3 | GPCE | Liver Cancer |
| 1.1.4 | HER 2 | Breast Cancer |
| 1.1.5 | NYES 01 | Sarcoma |
| 1.1.6 | CD147 | Liver Cancer (PMBP Product) |

(Hereinafter together referred to as "Potential CAR-T Cell Therapeutic Products". Other products may be added to the "Potential CAR-T Cell Therapeutic Products" from time to time as agreed by the Parties).

Attachment 1: **CARBio Patent situation in Korea and China for CAR-T Cell Therapeutic Products**

Attachment 2: **CARBio CAR-T Cell Therapeutic Products development timelines**

Place, Date	Place, Date
Hoenu Lee, PhD., CEO CARBio Therapeutics Co., Ltd. (CARBio)	Xiaochun Chen, CEO Jiangsu Pacific Meinuoke Biopharmaceutical Co. Ltd (PMBP)

Attachment 1, CARBio/PMBP:

CARBio Patent situation in Korea and China for CAR-T Cell Therapeutic Products

Attachment 2, CARBio/PMBP:

CARBio CAR-T Cell Therapeutic Products development timelines

Attachment 3, CARBio:

CARBio Market Potential in Korea for the Potential CAR-T Cell Therapeutic Products

Attachment 4, PMBP:

Table of content for CAR-T Cell Therapeutic Products IND

Attachment 5, CARBio/PMBP:

Timelines of individual Potential CAR-T Cell Therapeutic Products in Market

5-4 보도자료

충청타임즈(2023.01.30)

[기획/ 2023 바이오 창업 메카를 꿈꾸는 오송바이오밸리]
환자 맞춤형 암세포 킬러 세포 만든다

14 2023년 1월 30일 월요일

기획 / 2030 바이오창업 메카를 꿈꾸는 오송바이오밸리

충청타임즈

❶ 유니콘 도전하는 충북바이오 벤처기업 (지약)

남의 기술로 돈버는 시대는 끝났다. 국가 간 무한경쟁 시대에서 자원이 부족한 나라의 미래는 벤처기업의 손에 달렸다. 게다가 최근이다. 충북바이오밸리산업혁신센터는 아이디어와 뛰어난 기술력으로 성장잠재력이 높은 유망 바이오 벤처기업을 발굴·지원하기 위해 오송 바이오 밸리프로젝트 팀이 10곳을 선정했다. 유니콘을 꿈꾸는 네스틸 프로젝트 선정기업을 소개한다.

환자 맞춤형 암세포 킬러 세포 만든다

카바이오테라퓨틱스

충주 오송 SBB리저 연구실에서 미래기술혁신 바이오밸리 유니콘 기업을 꿈꾸고 있는 카바이오테라퓨틱스는 '난치성 혈액암 및 고령암 단계 다기능성 CAR-T 세포유전자 치료제'를 개발 중이다. 카바이오테라퓨틱스가 주목하고 있는 프로젝트는 암세포 킬러인 환자 맞춤형 세포를 개발하는 것이다. 핵심 기술인 CAR-T는 인위적으로 만든 항체, 즉 난치성 환자의 맞춤형 세포를 만들어 암세포를 잡는 기술이다. 이 프로젝트는 선진국에서는 개발이 활발히 진행되고 있지만 국내에서는 카바이오테라퓨틱스가 유일하다. 이원주 카바이오테라퓨틱스 대표(60·사진)는 "지난해까지 국내에서 역량이 있는 3명의 과학자들과 우리 회사가 CAR-T 세포유전자 치료제

국내 유일 '다기능 CAR-T 세포유전자 치료제' 개발 단기간 위암 맞춤형 세포주 완성 성과- 동물실험 박사 이원주 대표 "단 한 명의 난치병 환자 살리는 데 주력"

개발에 도전하고 있었다"며 "하지만 개발환경이 여의치 않아 3명이 포기하면서 우리만 도전을 이어가고 있다"고 밝혔다. 2021년 8월 오송에서 창업한 카바이오테라퓨틱스는 현재 위암 맞춤형 세포주를 완성하고 전임상단계인 동물실험을 준비 중이다. 이 대표는 "최저 3년~5년 개발 기간이 걸릴 것으로 예상한다. 이 대표는 "최저 3년~5년 개발 기간이 걸릴 것으로 예상한다. 이 대표는 "최저 3년~5년 개발 기간이 걸릴 것으로 예상한다."

5~6년의 연구력을 쌓았다. 평가받고 있을 정도로 아주 짧은 시간에 많은 성과를 냈다"고 설명했다. 2021년 8월 오송에서 창업한 카바이오테라퓨틱스는 현재 위암 맞춤형 세포주를 완성하고 전임상단계인 동물실험을 준비 중이다. 이 대표는 "최저 3년~5년 개발 기간이 걸릴 것으로 예상한다. 이 대표는 "최저 3년~5년 개발 기간이 걸릴 것으로 예상한다."

두하고 있다. 이 대표는 "현재 개발된 기술로는 치료에 한계가 있는 난치성 암과 가족들이 질병을 전염해서 이 분야에 관심을 갖고 실천이 중요하다"며 "이 기술개발의 목표는 돈을 버는 것이 아니라 단 한 명의 난치병 환자도 살리는 데 있다"고 강조했다. 그는 "오송의 바이오연구 인프라가 우수해 큰 도움이 되고 있다"며 "그 덕분에 짧은 시간에 많은 성과를 낼 수 있었다"고 밝혔다. 다만 "벤처기업 여건상 많은 인력과 자본을 투입할 수 없으니 혼자서 여러 역할을 하는 것이 힘들다"고 토로했다. 지난 해 바이오스타트업 기업으로 선정된 카바이오테라퓨틱스는 황주대외 협업체 프로젝트도 수행하고 있다. 이 회사는 오송첨단의료산업진흥재단의 시범과 전문인력을 활용해 기술개발에 박차를 가하고 있다. /정승민 선임기자



스타트업 투데이(2024.01.19)

[스타트업 101 시즌2 #64] 카바이오테라퓨틱스, 환자 맞춤형 세포 유전자 치료제 및 CAR 유전자 기반 플랫폼 기술 개발

[스타트업 101 시즌2 #64] 카바이오테라퓨틱스, 환자 맞춤형 세포 유전자 치료제 및 CAR 유전자 기반 플랫폼 기술 개발

다기능성 CAR-T와 TCR-T 유전자 플랫폼 기술 개발 위암, 췌장암, 간암 치료제에 대한 다국가 임상시험 진행 예정 환자의 경제적 부담 줄이고 부작용 제거하는 방법으로 개발



충주 바이오밸리 카바이오테라퓨틱스 연구센터

[스타트업 투데이] '스타트업 101' 프로젝트가 시즌2로 돌아왔습니다.

'스타트업 101'은 스타트업의 친구이자 동반자 <스타트업 투데이>가 빛나는 101개의 스타트업을 소개하는 프로젝트입니다. 유망 스타트업에는 투자자와 대중에게 눈도장 찍을 기회를, 투자자에게는 성장 가능성이 높은 스타트업을 발굴할 수 있는 기회를 제공합니다. [편집자 주]

▶ 관련기사: [스타트업 101] '시즌2로 돌아왔다' 제롬-서비스 알리고 싶은 101개 스타트업을 찾습니다!

예순네 번째 주인공은 카바이오테라퓨틱스입니다.



장인 공을 다 대표 맡고 있는 카바이오테라퓨틱스

▲ 주력 서비스 혹은 제품은 무엇인가요?

카바이오테라퓨틱스는 위암, 췌장암 등 고위험의 전임상 시험을 통해 2024년 하반기부터 위암, 췌장암, 간암 치료제에 대한 다국가 임상시험을 진행할 예정입니다. 2026년 기업공개(IPO)를 목표로 하고 있습니다. 현재 혈액암, 유방암, 흑색종 등 6개 제품군 파이프라인으로, 최신 설비와 여러 경험을 보유한 핵심 연구진과의 글로벌 협력을 통해 개발하고 있습니다. 카바이오테라퓨틱스가 개발 중인 기술과 서비스는 환자 혈액으로부터 T세포를 추출한 뒤, 림프 바이러스 벡터에 암세포를 찾아내 죽이는 CAR: 키메라 항원수용체를 장착시킨 후 다시 환자에게 주입하는 항암 면역 세포 치료제입니다. 난치성 질환 치료제 후보 물질 발굴을 위한 CAR-플랫폼(Pool Platform) 기술 구축과 T세포의 암세포 살상 기능이 강화된 CAR-T 생산, 동종세포(Allogeneic cell)를 이용해 환자의 경제적 부담을 줄이고 부작용을 제거하는 방법으로 개발을 진행하고 있습니다. 이를 이용하는 기술도 현재 다수의 특허를 출원 중입니다.

5-5 카바이오테라퓨틱스 정주 및 대외 활동 실적

No.	추진 실적	추진 시기	세부 내용
1	투자유치	'21.10, '23. 10	엔젤투자 7.06억원 유치
2	중기부 창업성장기술개발사업 과제	2022. 07-2023. 06	중소기업기술개발지원사업 디딤돌과제, 초기창업패키지 과제 등 10개 정부지원사업 유치 및 수행 완료
3	전남 백신 세포치료제 기술 사업화 지원사업	2023.05.-2023.11.	백신 세포치료제 기술사업화 오픈이노베이션 랩 구축 비임상 효능 및 GLP독성시험
4	국제학회 좌장 및 발표	2023.06.14.-15	송도 Cell & Gene Therapy World East Asia 2023 학회
5	국제학회 연자 발표	2023.10..20	제6회 International Biotech China
6	인건비 지원 과제 선정	2023.05-24.04 /2023.09-24.08	WISET R&D 경력복귀 지원 사업 수행 중
7	하계 충북지역 대학생 실험실습	2023.06.18.-2023.08.18	청주대 제약바이오메디칼, 임상병리학과 권기은, 최아윤 2명 하계실습교육 수료
8	충북대 약대 첨단 연구 특강	2023.03.23	2023 충북대 약학대학 정기 세미나(1차) 연자 초청 강연
9	오송 혁신살롱 특강	2023.07.11	혁신 신약 살롱 오송 7월 유전자치료제 주제발표
10	KBIO 비임상지원센터 특강	2023.10.30	'CAR-T 세포치료제 비임상시험'에 관한 발표
11	서원대 기업탐방 프로그램 취창업 상담	2024.01.24	2023 서원대학교 Twin-Pulse 프로그램 3단계 제약 및 식품공학과 기업탐방 프로그램 화상회의 상담
12	충북 지역 정주 활동 및 공동 연구계약 체결	2023.04.-2024.02.	오송첨단의료산업진흥재단 신약개발지원센터, 비임상지원센터, 청주대 바이오메디칼학과, 오창생명공학연구분원 상용화지원센터, 충북창조경제혁신센터 A03, A22호 본사 입주 및 충북바이오산학융합원 기업연구2관 404호 405호 507호 등 실험실 입주 계약
13	도전! K 스타트업 범부처 창업경진대회 신청	2024.02 - 06	중소벤처기업 공고 제2024-70호 『도전! K-스타트업 2024』 부처 통합 창업경진대회 참여 : 중소기업부 혁신창업리그(일반리그) 로 참여 예정



혁신신약살롱 오송 2023년을 돌아보며.....

5-6 향후 계획

CLDN CAR-T 등 확보된 25개의 신규후보물질의 in vitro 시험, 임상시료 생산 및 in vivo 전임상 유효성 평가 시험 등 수행

▪ R&D 및 제품 개발 계획

- 글로벌 시장에서 경쟁가능한 다기능성 CAR-T & TCR-T Gene Platform 기술개발을 구축하여 신속하게 Switchable & super CAR-T 세포치료제를 생산.
- 위암, 췌장암 동물모델의 전임상 시험을 통해 2024년 하반기부터 위암, 췌장암, 간암 치료제에 대해 다국가 임상시험을 진행하여 2027년 IPO를 목표로 준비중임.
- 혈액암, 유방암, 흑색종, 직장암 등 7개 제품군 파이프라인으로 개발 중이며 최신 설비 및 경험 보유, 핵심 연구진으로 글로벌 협력을 통해 개발.

- ✓ CD19 CAR-T Non-Hodgkin's Lymphoma
- ✓ Claudin 18.2 Gastric and Pancreatic Cancer
- ✓ GPCE Liver Cancer
- ✓ HER 2 Breast Cancer
- ✓ NYES 01 Sarcoma
- ✓ CD147 Liver Cancer(P사 Product)
- ✓ PMSA Prostate Cancer