



Kainos Medicine

www.kainosmedicine.com



Kainos Medicine

01

About Company

1. Corporate Identity
2. 기업 개요 및 주주현황
3. 핵심 개발분야 소개
4. 보유 기술의 성장 가능성

인류 건강을 위한 **First & Best** 혁신 신약개발 전문 기업, 카이노스메드

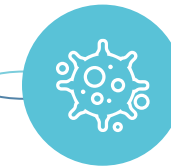
Global Leading Biotech
차별화된 물질과 기술력으로
뇌질환 및 난치병의 근본적 치료제 개발

First in-Class

Novel target FAF1
KM-819
파킨슨병 / 다계통위축증
치료제 등 뇌질환 연구 개발



FAF1



Novel delivery of FAF1
KM-1004
암 타겟
항암제 연구 개발

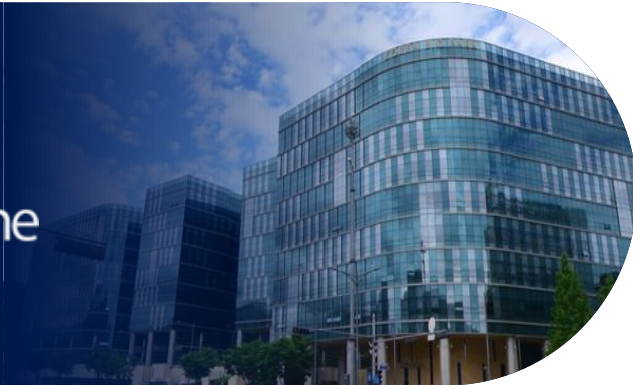
Best in-Class



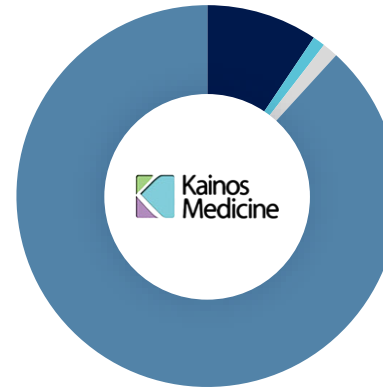
KM-023
에이즈 치료제

인류 건강을 위한 **First & Best** 혁신 신약개발 전문 기업, 카이노스메드

■ 기업 개요 (2024.06 기준)



■ 주주 현황 (2024.06 기준)



| | |
|---------------------|---------------|
| ● 최대주주 | 9.42% |
| ● 특수관계인 및 등가·미등기 임원 | 1.07% |
| ● 자사주 | 1.33% |
| ● 기타(기관, 법인, 개인 등) | 88.18% |

| | |
|------|--------------------------------------|
| 기업명 | (주)카이노스메드 |
| 대표이사 | 이 기 섭 |
| 설립연도 | 2007년 06월 |
| 임직원수 | 23명 |
| 사업영역 | 중추신경계 질환치료제, 항바이러스제, 항암제 연구개발 |
| 주소 | 경기도 성남시 분당구 대왕판교로 700 코리아바이오파크 A동 3층 |
| 연락처 | 대표번호 02-567-7419 FAX 02-552-1470 |
| 홈페이지 | kainosmedicine.com |
| 자본금 | 14,090,396,500원('2024.06) |

| 구분 | 해당 인원 | 소유 주식 수 | 지분율 |
|-------------------|---------|-------------------|----------------|
| 최대주주 | 1인 | 2,654,528 | 9.42% |
| 특수관계인 및 등가·미등기 임원 | 12인 | 300,506 | 1.07% |
| 자사주 | 1 | 375,585 | 1.33% |
| 기타(기관, 법인, 개인 등) | 14,107인 | 24,850,174 | 88.18% |
| 총 계 | | 28,180,793 | 100.00% |

의학적 Unmet Needs에 집중하는 글로벌 혁신 신약 개발 전문기업



KM-819



적응증 파킨슨 질환(PD), 다계통위축증(MSA)

작용 기전

FAF1(Fas-associated factor1)
저해를 통한 세포사멸 억제

- 도파민 신경세포의 보호 및 α-synuclein의 축적 억제

개발 현황

파킨슨 미국 임상 2상 진행중
MSA 한국 임상 2상 POC 결과 확인 중

KM-023



적응증 에이즈

작용 기전

비핵산 역전사효소 저해

개발 현황

ACC007 중국 의료보험 등재
(단일제) 2021년 중국시장 내 판매 개시
ACC008 중국 의료보험 등재
(단일복합제) 2023년 중국시장 내 판매 개시

KM-1004



적응증 암

작용 기전

암세포의 세포사멸 유도

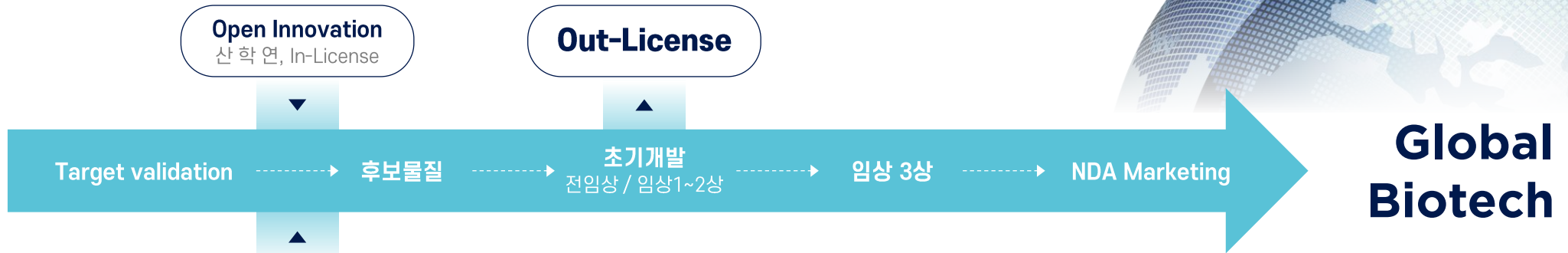
- FAF1의 novel delivery로써 항암효과 발생

개발 현황

플랫폼 개발중
전임상 후보물질 도출

Open Innovation과 L/O를 통해 기술력과 수익성 모두 극대화

성장전략 및 사업모델



R&D Scope

- 후보물질 창출
- 초기 임상개발

후보물질 확보

- 자체개발
- 기술도입
- 공동연구

사업화 전략

- 공동개발
- 기술이전



신약 혁신의 잠재력을 가진 **치료제 개발 및 검증** 후 Globalization 실현



Kainos Medicine

02

Investment Highlights

성장모델 및 사업전략



Creation → Validation → Formulation 을 통한 혁신 신약 검증/개발 후 Globalization 실현

Open Innovation과 L/O를 통해 기술력과 수익성 모두 극대화

KM-023 에이즈 치료제 L/O 성공 경험과 역량 기반
파킨슨 질환 / 항암 치료제 프로젝트 추진



타사 파킨슨 질환 치료제 기술 이전 사례(최근 3년)

| Date | Licensee | Licensor | Target | Deal stage | Deal size US\$B (KRW) |
|---------|---------------------|------------------------------|-----------------------|----------------------|-----------------------|
| 2024.05 | serina therapeutics | enable injections | dopamine (D1 & D2)수용체 | Preclinical | NA |
| 2024.01 | IONIS | VECT-HORUS BREAKING BARRIERS | a-synuclein, LRRK2 | Phase 2 ~Phase 3 | NA |
| 2023.12 | Dr.Reddy's | COYA THERAPEUTICS | CD80, CD86 | Phase 1 | 0.73B (0.9조 원) |
| 2023.03 | biohaven® | 高光制藥 HIGHLIGHTL PHARMA | TYK2, JAK1 | Preclinical | 0.97B (1.2조 원) |
| 2022.07 | ProPhase LABS | IMPACT BIOMEDICAL INC. | PIM Kinase | Preclinical | NA |
| 2022.06 | Biogen | Alectos | Glucosylceramidase 2 | Preclinical | 0.72B (0.9조 원) |
| 2022.04 | HUADONG MEDICINE | Ashvattha THERAPEUTICS | IKK, NF-κB | Phase 2 | 0.05B (0.06조 원) |
| 2022.04 | PHARMATHER | gesval | NMDA 수용체 | Preclinical ~Phase 2 | NA |
| 2022.01 | SANOFI | ablbio | a-synuclein | Preclinical | 1.08B (1.4조 원) |

\$ 1 USD = ₩ 1,300 won

<업데이트: 2024년 9월>

Unmet Medical Needs가 높은 혁신 치료제 기술 개발을 통해
기업 가치 및 수익 창출 극대화

KM-819의 임상 연구에서 경쟁사 대비 차별화된 경쟁 우위

| Target / 작용기전 | 약물 종류 | 개발사 | 개발현황 |
|----------------------------------|-------------------|----------------------|---|
| α-synuclein / 미토콘드리아 기능장애 | Antibody | Roche / Prothena | Phase 2 (실패) → 2023년 재개 |
| | | BioArctic/AbbVie | Phase 1 (종료) (2022) |
| | | Novartis / ABLbio | Phase 1(중단) → 2024년 재개 |
| | | Biogen | Phase 1(실패) (2021) |
| | Small molecule | Novartis / UCB | Phase 2 |
| LRRK2 / 미토콘드리아 분열 | Small molecule | Biogen / Denali | Phase 3 (실패) → Phase 2 재개 |
| | ASO | Biogen / Ionis | Phase 1 (완료) → Phase 1 MSA (2024) |
| FAF1 / 세포사멸 & autophagy 억제 | Small molecule | 카이노스메드 | Phase 2 |

‘KM-819’의 강점

- FAF1은 새로운 치료 타겟이며, KM-819는 FAF1을 표적으로 하는 **first-in-class** 약물
- KM-819는 질병의 근본적인 진행을 변화시키는 “**disease modifying drug**”
- KM-819는 **두 가지 주요 작용기전** 보유
(1) 도파민 분비 신경세포의 사멸 억제
(2) α-synuclein의 축적 억제
- 기존 항체들이 세포 외 α-synuclein 표적화에 실패한 반면, KM-819는 **세포 내 α-synuclein**을 공략하는 기전으로 차별화
- KM-819는 **경구 투여** 약물

파킨슨병(PD) 대상으로 개발 중인 약물의 임상시험 단계별 개수 (자료 출처: GlobalData, 2023 Clinialtrials.gov 2024)
- Phase 3: 12개 / Phase 2: 59개 / Phase 1: 68개



Kainos Medicine








03

Pipeline

1. 파이프라인 소개
2. KM-819 (파킨슨 질환)
3. KM-819 (다계통위축증)
4. KM-023 (에이즈)
5. KM-1004 (항암)

신속한 신약 개발 성공 및 수익화를 목표로 파이프라인 전략 설계

■ 전체 파이프라인

| 파이프라인 | 후보물질 개발 | 전임상 | 임상 | | | NDA | Marketing |
|---------|---------------------|------------|---|----|----|-----|---|
| | | | 1상 | 2상 | 3상 | | |
| KM-023 | NNRTI inhibitor | ACC007(중국) | ACC007 중국 시장 출시 | | | |  |
| | | ACC008(중국) | ACC008 중국 시장 출시 | | | |  |
| KM-819 | FAF1 inhibitor | 파킨슨 질환 치료제 |  FAScinate * US 자회사 | | | | |
| | | 다계통위축증 치료제 |  FAScinate * US 자회사 | | | | |
| KM-1003 | IRAK4 inhibitor | 혈액암 표적항암제 | 미국 전임상  | | | | |
| | | 자가면역질환 치료제 |  | | | | |
| KM-1004 | FAF1-novel delivery | 고형암 치료제 |  | | | | |

파킨슨 질환 치료분야의 Game Changer

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

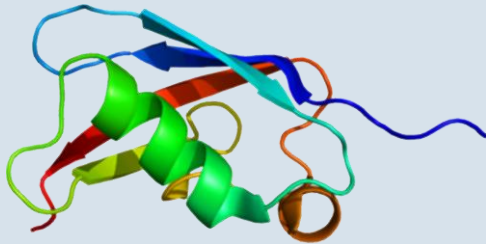
KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ 핵심 물질 개요

- + 핵심 물질 FAF1 단백질
- + 대상 질환 뇌신경 질환 및 암
- + FAF1 단백질 기능
 - 신경세포 사멸 유도 및 자가포식 억제로 α -syn 축적 유도
 - 다중기능 종양억제 인자

FAF1 Structure



증상 완화제가 아닌 근본적 치료제 개발로
Unmet Medical Needs가 높은 시장 선도

파킨슨 질환 치료분야의 Game Changer

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ KM-819 소개



- **적응증** 파킨슨 질환
- **물질개요** FAF1 저해제
- **작용기전** 이중작용 기전
 (1) 도파민 분비 신경세포의 사멸 억제
 (2) α-synuclein의 축적 억제

■ 적응증 소개

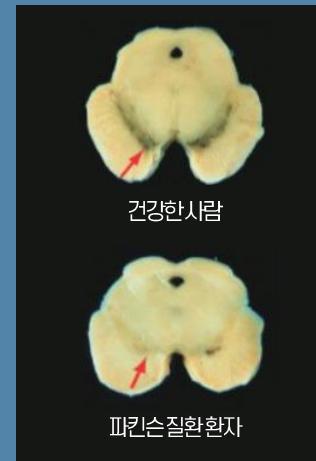
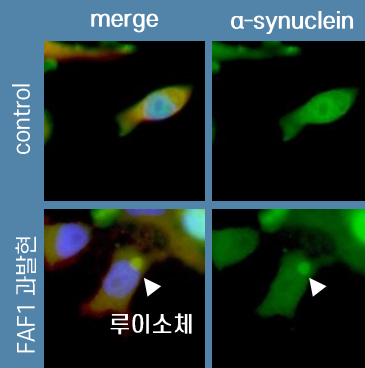
파킨슨 질환이란?

도파민 신경세포의 소실로 인해 발생하는 알츠하이머 다음으로 흔히 발병하는 만성 퇴행성 뇌 질환

신경세포내 FAF1의 비정상적활성및 α-synuclein 단백질의비정상적 축적

도파민 분비 신경세포 사멸 유도로써 도파민 감소

도파민 부족으로 인한 파킨슨 질환 발병 및 증상 발현



- 정신이상
- 인지기능 장애
- 근육경직, 강직
- 손발 떨림
- 자세 이상
- 관절 이상

파킨슨 질환 치료분야의 Game Changer


KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제


KM-1004 : 항암제

■ 핵심 경쟁력




KM-819

KM-819



대증 치료가 아닌 근원적 치료 제시


α-synuclein의 상위 조절자를 타겟팅하여 기존의 치료제보다 우월한 치료 효과를 제공할 것으로 기대



도파민
신경세포
기능 회복

도파민
신경세포
보호

**FAF1
저해**



FAF1(FAS-Associated Factor1)을 타겟으로 하는 새로운 기전의 근본적 치료제

신경사멸을 유도하는 단백질 억제로 신경 손상 및 신경보호 효과 유도

Apoptosis & Necrosis 저해 → 도파민 신경세포 보호

Autophagy 증가 → α-synuclein 분해 촉진

■ 경쟁사 개발 동향

해외 개발사

α-synuclein 응집저해를 직접 타겟으로 한 치료제 개발

Biogen, Sanofi의 임상 2상 자발적 중단 이후
KM-819와 같은 신경세포 사멸 & α-synuclein
축적 억제를 동시에 접근하는 방식 주목

| | | | |
|---|--|---|-----------------------------|
|  | <p>프로젝트명 Buntanetap</p> | <p>기전 α-synuclein/ Tau 저해제</p> | <p>임상단계 임상3상</p> |
|  | <p>프로젝트명 DNL151</p> | <p>기전 LRRK2 저해제</p> | <p>임상단계 임상2상</p> |
|  | <p>프로젝트명 UCB0599/ Minzasolmin</p> | <p>기전 α-synuclein 응집 저해</p> | <p>임상단계 임상2상</p> |
|  | <p>프로젝트명 BIIB094/ ION-859</p> | <p>기전 LRRK2 저해제</p> | <p>임상단계 임상2상</p> |
|  | <p>프로젝트명 ABL301</p> | <p>기전 α-synuclein Ab</p> | <p>임상단계 임상1상</p> |

파킨슨 질환 치료분야의 Game Changer

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

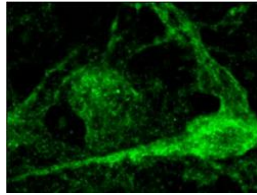
KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

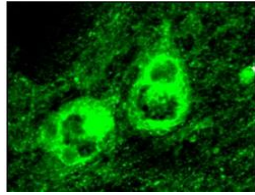
파킨슨 질환 환자의 뇌에서 FAF1과 α-synuclein의 공존 연구 보고 사례

파킨슨 질환 환자에서 FAF1의 높은 활성

정상인



파킨슨 질환 환자



Betarbet R et al, *Neurobiol Dis*, 2008; 31:309
논문에서 연구결과 발췌

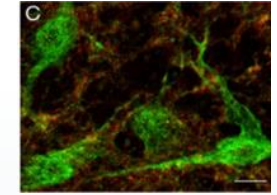
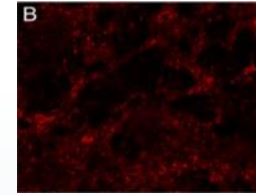
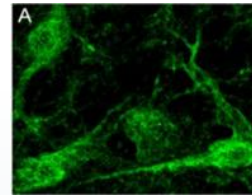
Fas Associated Factor 1 and Parkinson's disease

Ranjita Betarbet^{1,3}, Leah R. Anderson⁴, Maria Gearing^{1,2}, Tiffany R. Hodges⁵, Jason J. Fritz^{1,3}, James J. Lah^{1,3}, and Allan I. Levey^{1,3}
¹Center for Neurodegenerative Disease, Emory University, Atlanta, Georgia 30322
²Department of Pathology and Laboratory Medicine, Emory University, Atlanta, Georgia 30322
³Department of Neurology, Emory University, Atlanta, Georgia 30322
⁴Center for Science Education, Emory University, Atlanta, Georgia 30322
⁵School of Medicine, Duke University Medical Center, Durham, NC 27710.

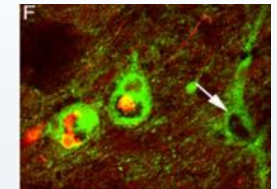
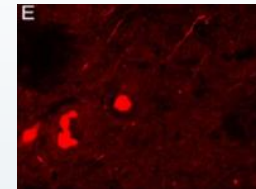
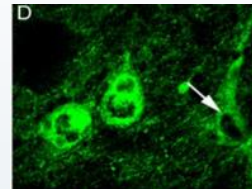
Abstract
Fas-associated factor 1 or FAF1 is a Fas binding protein implicated in apoptosis. FAF1 is the product

신경세포에서 FAF1 & α-syn 두 단백질의 공존

대조군



파킨슨 질환



FAF1

α-syn

FAF1와 α-syn의 병합

PD 환자 뇌의 흑질에서 FAF1과 α-synuclein의 발현이 증가하였고, 파킨슨 질환 환자의 신경세포에서 이 두 단백질은 공존

정상인에서는 FAF1의 발현이나 α-synuclein의 축적이 확인되지 않음

FAF1의 발현 저해와 α-synuclein의 축적 저해 메커니즘을 통한
파킨슨 질환의 근본 치료제 가능성 제시

우수한 신경세포 보호효과 확인 (세포 및 동물모델)

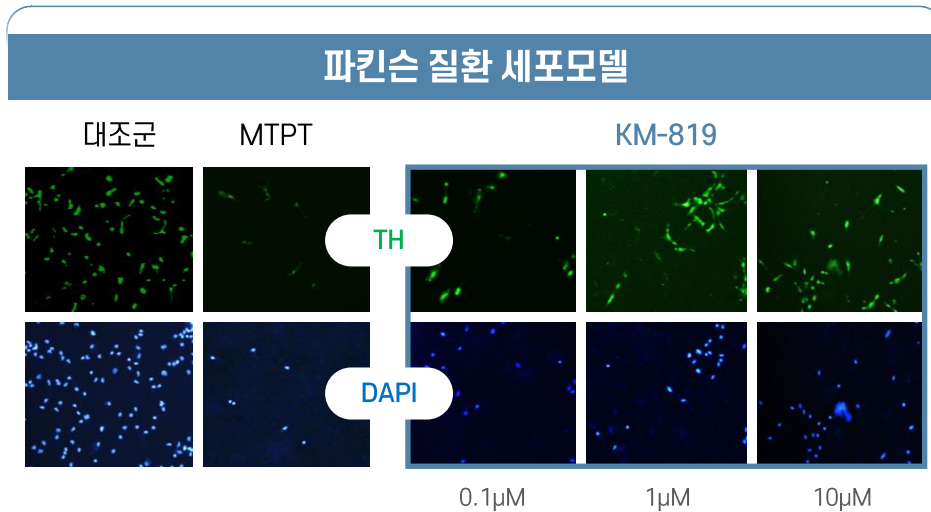
KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ KM-819의 신경세포 보호 효과



KM-819 처리시 도파민 분비 신경세포의 표지자 TH 증가

도파민성 신경세포가 보호됨을 확인

용량 의존적으로 신경세포 보호효과가 증대됨을 확인

1. TH : 도파민 분비 신경 세포(녹색)/ DAPI : 핵(보라색)
2. 세포모델 : Rat의 primary neuronal에 MPP+ 처리



KM-819 처리시 뇌의 흑질 및 선조체에서 KM-819의 도파민 신경세포 보호효과 확인

시판중인 L-Dopa 대비 KM-819의 우수한 도파민 신경세포 보호 효과 확인

1. L-Dopa : 도파민의 전구물질로, 파킨슨 질환 환자의 치료제로 사용됨

세포 및 동물모델 대상 연구를 통해
KM-819의 우수한 신경세포 보호 효과 확인

KM-819의 신경세포 회복 효능 확인 (PET 영상)

KM-819 : 파킨슨 질환

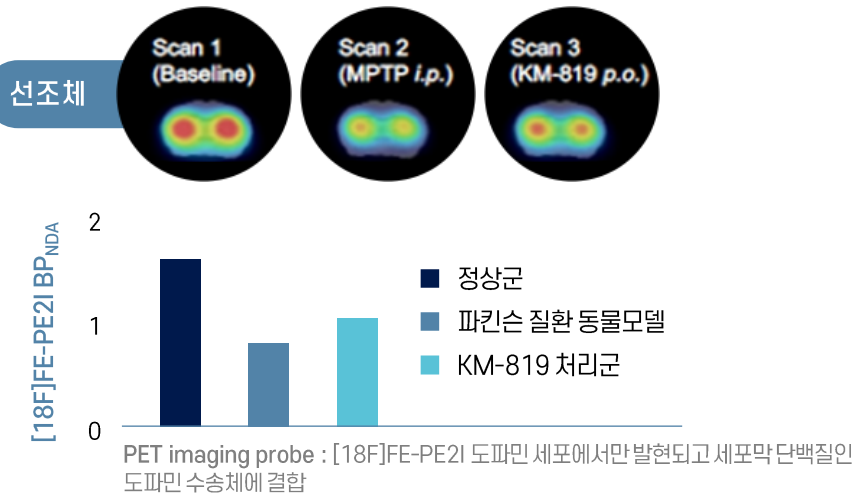
KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ KM-819의 신경세포 보호 및 회복 효과

파킨슨 질환 동물모델에서 양전자 단층촬영(PET) 영상 확인



도파민 전달
활성도 확인

파킨슨 질환 동물모델에서
KM-819를 처리한 경우,
도파민 수송체의 밀도 증가

KM-819에 의해 선조체로
도파민 전달 활성도가
약 20% 회복됨

분당서울대병원 핵의학과 김상은 교수팀과 공동연구로서 국제학술지에 게재
* Frontiers in Pharmacology. (2020) Vol 11. Article 953

> Front Pharmacol. 2020 Jun 25;11:953. doi: 10.3389/fphar.2020.00953. eCollection 2020.

Neurorestorative Effects of a Novel Fas-Associated Factor 1 Inhibitor in the MPTP Model: An [18F]FE-PE2I Positron Emission Tomography Analysis Study

Hyun Soo Park^{1, 2}, Yoo Sung Song¹, Byung Seok Moon³, Sung-Eun Yoo⁴, Jae Moon Lee⁴, Yeon-Tae Chung⁴, Eunhee Kim⁵, Byung Chul Lee^{1, 2, 6}, Sang Eun Kim^{1, 2, 6}

Affiliations — collapse

Affiliations

- 1 Department of Nuclear Medicine, Seoul National University Bundang Hospital, Seoul National University College of Medicine, Seongnam, South Korea.
- 2 Department of Transdisciplinary Studies Graduate School of Convergence Science and Technology, Seoul National University, Seoul, South Korea.
- 3 Department of Nuclear Medicine, Ewha Womans University Seoul Hospital, Ewha Womans University College of Medicine, Seoul, South Korea.
- 4 Kainos Medicine, Inc., Seongnam, South Korea.
- 5 Department of Bioscience and Biotechnology, Chungnam National University, Daejeon, South Korea.
- 6

PET 영상분석 결과 **신경세포 보호와**
신경세포 회복 효능 확인

L-dopa 대비 KM-819의 운동기능 및 행동 개선 효과 확인 (동물 모델)

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

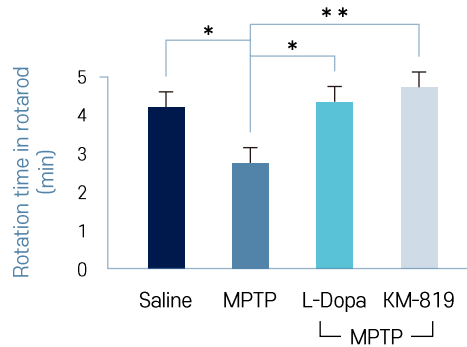
KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ 연구 결과 KM-819의 파킨슨 질환 동물모델에서의 운동기능 변화 관찰

Rotarod test

적외선 센서를 사용하여 회전막대에서 떨어지는 시간을 자동기록

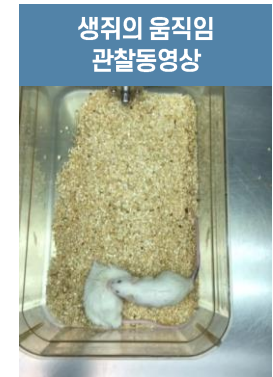
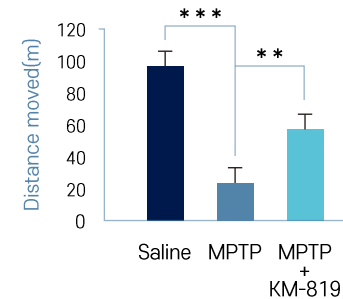


KM-819 처리 시 Rotarod test에서 떨어지는 빈도수 감소 확인

기존치료제 보다 향상된 운동기능 확인

Open field 시험

뚜껑이 없는 직육면체 상자안에서 마우스의 움직임을 관찰



KM-819 처리 시 행동반경이 개선됨을 확인

MPTP : 도파민 신경세포를 선택적으로 사멸하여 파킨슨 질환을 유도하는 신경독성물질

파킨슨 질환 동물 모델에서 KM-819에 의한 **운동 기능 개선 효과** 및 시판중인 L-Dopa 대비 **우월한 행동 개선 효과** 확인

임상시험 주요 내용



개발 현황 및 계획

| 파이프라인 | 후보물질 개발 | 전임상 | 임상 | | | NDA | 비고 |
|-------------------|---------|-----|----|----|----|-----|----------|
| | | | 1상 | 2상 | 3상 | | |
| KM-819 파킨슨 질환 치료제 | | | | | | | 미국 임상 2상 |

임상 1상 시험

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03022799

복용량
100mg ~ 400mg

복용방법
단회 투여 (총 48명) / 반복 투여 (총 40명)

투여 2~4시간 후, 혈중 최고 농도와 높은 생체흡수율 도달 및 노인층에서도 높은 혈중 농도가 관찰됨

Drug Design, Development and Therapy 2019;13 1011-1022

관련논문: Drug Design, Development and Therapy

A first-in-human study to investigate the safety, tolerability, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of KM-819 (FAS-associated factor 1 inhibitor), a drug for Parkinson's disease, in healthy volunteers

단회 및 반복 투여에서 유리한 약동학 및 안전성과 내약성 확인

임상 2상 PART 1

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05670782

투여량 결정 시험

- 건강한 성인 18명 대상

복용량
400mg / 600mg / 800mg

복용방법
1회/일, 7일간 경구 복용

시험 완료 : 안전성 확인

- 파킨슨 질환 환자 15명 대상

복용량
200mg / 300mg

복용방법
1회/일, 7일간 경구 복용

시험 완료 : 안전성 및 환자의 우수한 약물 흡수도 확인

임상 2상 PART 2

환자 대상 유효성 및 안전성 확인 시험

- 파킨슨 질환 환자 288명 대상 **2년간 투여**
- 글로벌 파마 수준의 임상, 통계적 유의성 결론 가능
- GBA변이 환자 20~50% 포함 예정
- GBA변이 환자와 일반환자의 비교 (GBA변이의 경우 희귀질환 치료제 가능)

UPDRS 등 endpoint 설정

글로벌파마의 Wearable App 적용

치료제가 없는 희귀질환 다계통위축증(다계통위축증) 치료제

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ KM-819 : 다계통위축증 소개

적응증

다계통위축증 (MSA)

물질개요

KM-819, FAF1
저해제

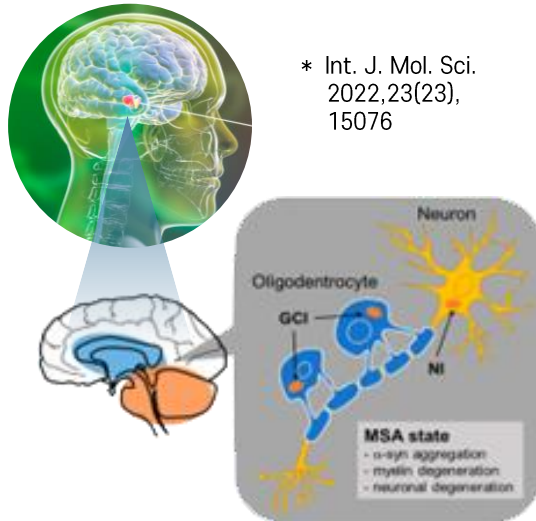
작용기전

α -synuclein
단백질 축적 저해

■ 적응증 소개

다계통위축증이란?

- 신경세포를 지원하는 신경(아)교세포의 소멸로 발생하는 특발성 질환으로 α -synuclein의 축적 및 과발현이 신경조직의 탈수초화 및 세포 사멸에 영향
- 초기 증상이 파킨슨 질환과 유사하지만 파킨슨 질환 대비 진행 속도가 빠르며 동일 치료제로 치료 불가



■ 핵심 경쟁력

효과

KM 819

α -synuclein
축적 감소

운동기능 개선

수명 연장

연구 및 임상

- 샌디에이고 캘리포니아 주립대학과의 공동연구
- 희귀질환 치료제로 분류되어 임상 2상 성공시 조건부 허가 가능
- 다계통위축증 임상 2상 결과의 성공은 파킨슨 질환 치료제 개발 성공 예측 기반으로 활용

α -synuclein 병원화

| | α -syn strains | leading α -syn inclusion pathology | main areas of neuronal loss |
|-----|-----------------------|---|---|
| PD | | 신경세포 LB | 흑질 치밀부 |
| MSA | | 희소돌기아교세포 GCI | 선조체 흑질 변성 올리브교소뇌 위축 뇌간핵 척수의 자율 신경핵 |

* Front. Neurol. 2021 Oct 5;12:737195

다계통위축증(다계통위축증) 대상의 임상시험 개발 내용

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

개발 현황 및 계획

| 파이프라인 | 후보물질 개발 | 전임상 | 임상 | | | NDA | 비고 |
|-------------------|---------|-----|----|----|----|-----|----------|
| | | | 1상 | 2상 | 3상 | | |
| KM-819 다계통위축증 치료제 | | | | | | | 한국 임상 2상 |

한국 임상 2상 IND 승인

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05695378

KM-819의 임상2상 IND 승인

희귀 퇴행성 뇌질환(CNS)에 속하는
다계통위축증 치료제 후보물질 KM-819



식품의약품안전처로부터 임상2상
임상시험계획(IND) 승인(2022.10.22)
자진취하(2024.08.19)

한국 임상 2상 (NEW IND 계획)

환자대상 유효성 및 안전성 확인 시험

복용량
400mg

복용방법
이종식 교수 담당
CHA 의료재단학교
분당차병원

마스터 임상연구 후 후속 임상연구

마스터
이종 눈가림 투여
(36주)

후속
공개라벨 투여
(36주)

Primary End Point : PET
이미지(1순위), UMSARS 설문

투약 완료 및 결과 분석

희귀의약품 지정 신청 추진



KM-819
다계통위축증

L/O 추진

운동기능 개선 효과 확인 (MSA 동물모델)

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

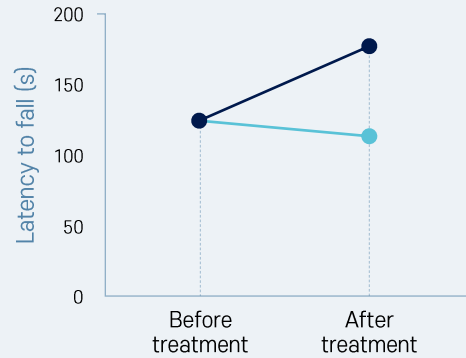
KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

■ KM-819의 운동기능 개선 효과

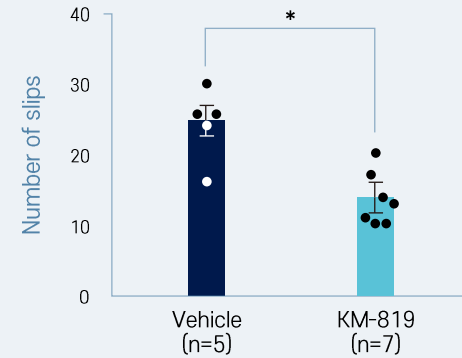
Rotarod test

● 다계통위축증 Tg with vehicle (n=7) ● 다계통위축증 Tg with KM-819 (n=9)



KM-819 처리군이 대조군에 비해
60% 이상의 차이로 유의미한 행동개선을 보임

Balance Beam



빔 균형 테스트에서 KM-819처리군은
대조군에 비해 45% 정도의 행동개선을 보임

UC San Diego
Collaboration

다계통위축증 동물모델에서 KM-819에 의한 **운동기능 개선 효과** 및
부작용 증상이 나타나지 않는 안전성 확인

KM-819의 α -synuclein 축적 감소 및 수명 연장 효과 확인 (MSA 동물모델)

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

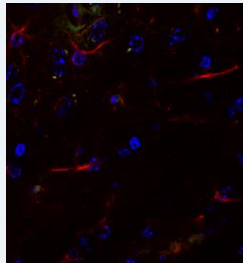
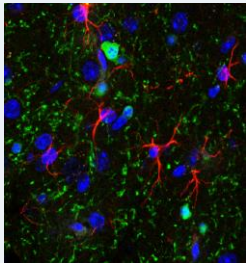
KM-1004 : 항암제

■ KM-819의 α -synuclein 축적 감소 및 수명 연장 효과

다계통위축증 동물 모델에서 희소돌기아교세포에서의 α -synuclein에 대한 면역조직화학 염색

대조군

KM-819



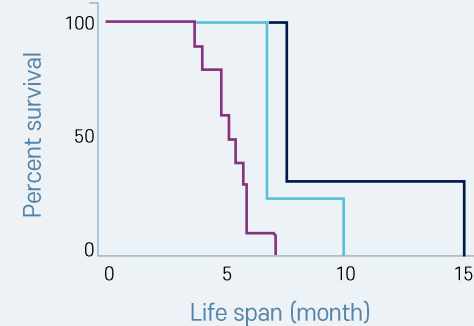
파란색 : 핵
 녹색 : α -synuclein
 적색 : GFAP
 Glial Fibrillary Acidic Protein,
 신경아교원섬유성산성 단백질, 성상세포의 활성화 지표

KM-819는 성상세포의 수에 영향을 미치지 않으면서
 희소돌기아교세포에 축적된 α -synuclein을 감소시킴 (70% 이상)

UC San Diego
 Collaboration

TG마우스의 배아발달 단계에서 KM-819 투여를 통한 수명연장

— Tg without any treatment (n=9)
 — Tg treated in embryos (E) (n=4)
 — Tg treated from embryonic to postnatal stage (n=3)



KM-819 처리군 배아에서
 대조군 대비 생존한 동물의 수 및 기간 증가

다계통위축증 동물모델에서
KM-819의 α -synuclein 축적 감소 및 수명 연장 효과 확인

KM-819의 임상 연구에서 경쟁사 대비 차별화된 경쟁 우위

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

| Target / 작용기전 | 약물 종류 | 개발사 | 개발현황 |
|----------------------------|----------------|-------------------|-----------------------------------|
| α-synuclein / 미토콘드리아 기능장애 | Antibody | Roche / Prothena | Phase 2 (실패) → 2023년 재개 |
| | | BioArctic/AbbVie | Phase1 (종료) (2022) |
| | | Novartis / ABLbio | Phase1(중단) → 2024년 재개 |
| | | Biogen | Phase1(실패) (2021) |
| | Small molecule | Novartis / UCB | Phase 2 |
| LRRK2 / 미토콘드리아 분열 | Small molecule | Biogen / Denali | Phase 3 (실패) → Phase 2 재개 |
| | ASO | Biogen / Ionis | Phase 1 (완료) → Phase 1 MSA (2024) |
| FAF1 / 세포사멸 & autophagy 억제 | Small molecule | 카이노스메드 | Phase 2 |

‘KM-819’의 강점

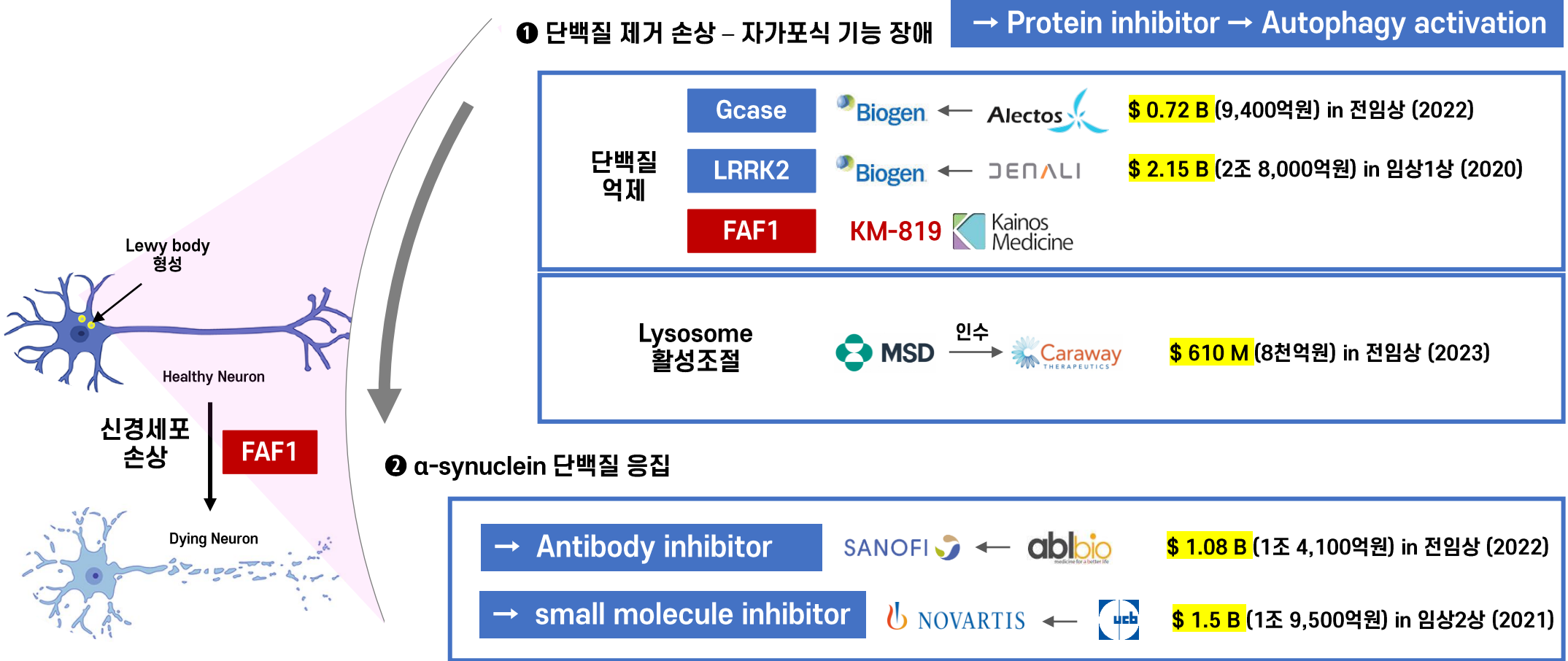
- FAF1은 새로운 치료 타겟이며, KM-819는 FAF1을 표적으로 하는 **first-in-class** 약물
- KM-819는 질병의 근본적인 진행을 변화시키는 “**disease modifying drug**”
- KM-819는 **두 가지 주요 작용기전** 보유
 - (1) 도파민 분비 신경세포의 사멸 억제
 - (2) α-synuclein의 축적 억제
- 기존 항체들이 세포 외 α-synuclein 표적화에 실패한 반면, KM-819는 **세포 내 α-synuclein**을 공략하는 기전으로 차별화
- KM-819는 **경구 투여** 약물

파킨슨병(PD) 대상으로 개발 중인 약물의 임상시험 단계별 개수 (자료 출처: GlobalData, 2023 Clinicaltrials.gov 2024)
 - Phase 3: 12개 / Phase 2: 59개 / Phase 1: 68개

Market Opportunity



KM-819와 같은 신경세포 사멸 & α-synuclein 축적 억제를 동시에 접근하는 방식 주목



1) 자가포식(Autophagy): 세포 내 불필요 물질 청소해 뇌세포 사멸·독성 억제

2) 리소좀(Lysosome)의 역할: 세포내 소화, 분해, 재활용등을 담당하는 세포소기관, 뇌 내에서 자가포식 활성화를 통해 신경세포 유지 및 독성단백질로부터 신경세포 보호

성공적인 License Out으로 기술력과 사업성 검증에 성공한 **에이즈 치료제**

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : **에이즈 치료제**

KM-1004 : 항암제

■ KM-023 : 소개

적응증

에이즈

물질개요

KM-023, HIV
치료제

작용기전

비핵산
역전사효소 억제

■ 핵심 경쟁력

- 기존 처방 약물인 **NNRTI 억제제**의 심각한 중추신경계, 순환기계, 호흡기계 **부작용 개선**
- Efavirenz(EFV)의 600mg 투여 용량 대비 150mg의 **적은 용량에도 동등한 치료 효과 확인**
- HIV 바이러스 및 기타 여러 변종바이러스에도 **우수한 항바이러스 효과**
- 높은 복약 순응도** : 타 약물과의 상호작용 가능성이 낮아 타 항바이러스 제제, 결핵약 등과 **안전하게 병용/복합제로 사용 가능**

효과성 증가

부작용 감소

편의성 향상

■ NNRTI 계열의 대표 경쟁 약물과의 비교

| | KM-023 | Efavirenz (EFV) | Rilpivirine (RPV) | Doravirine (DOR) |
|-------|-------------------------------------|--|---|---|
| 용량/용법 | 150mg / 1일 1회 | 600mg / 1일 1회 (공복시, 잠자기전) | 25mg / 1일 1회 부작용 개선, 효과 미비 | 100mg / 1일 1회 |
| 사용제한 | 없음 | <ul style="list-style-type: none"> 결핵약 Rifampin 병용시 증량(800mg/일) Elbasvir/Grazoprevir와 병용금지 Food effect로 반드시 공복 복용 | 결핵약과 병용X | <ul style="list-style-type: none"> 결핵약과 병용시 증량 CYP3A 유도제와 병용 금지 |
| 내성 | K103N / Y181C 변이 바이러스에 우수한 활성 확인 | K103N / Y181C 변이 바이러스에 내성발생/취약 | | EFV에 비해 K103N / Y181C 변이 바이러스에 우수한 활성 확인 |
| 부작용 | 없음 | 중추신경계 관련 부작용 (두통, 어지럼증, 수면장애, 우울증 등) 이사지질혈증, 간독성, 기형아 발생 | EFV에 비해 CNS 부작용 개선, 우울증, 불면증, 두통유발, 간독성 유발 | 오심, 두통, 어지러움, 피곤, 설사, 복통 증 |
| 단일정 | ACC008 추가 개발 (KM-023+TDF+3TC) | Atripla (EFV/TDF/FTC) (시판 중, 특허 만료) | Complera (RPV/TDF/FTC) (시판중) | Delstrigo (DOR+TDF+3TC) |

성공적인 License Out으로 안전성과 효과성 검증에 성공한 **에이즈 치료제**

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : **에이즈 치료제**

KM-1004 : 항암제

■ KM-023 사업화 현황



■ KM-023 출시 현황 및 계획



Ainoovirine
(단일제, ACC007)

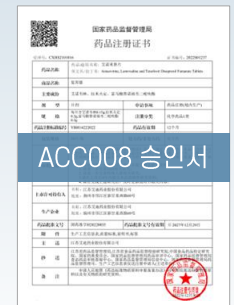
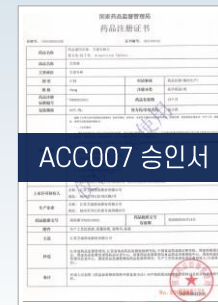


- KM-023 + 3TC(Lamivudine) + TDF(Tenofovir Disoproxil fumarate)
- 중국 품목허가 및 의료보험 등재
- 2021년 출시

Ainuomiti
(단일복합제, ACC008)



- 3 in 1 : KM-023 + 3TC + TDF
- 중국 품목허가 승인 및 의료보험 등재
- 2023년 출시



에이즈 치료제 시장 전망 및 비즈니스 확장 계획

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

- **중국** 시장 - 2027년경 약 2조원 시장 형성 (의료보험 시장 60%) : 파트너사 판매 매출액 2% 로열티
- **미국, 유럽** - Bridge 임상을 통한 FDA / EMA 인허가 및 글로벌 파트너쉽 공동 추진 (수익의 45% 분배)
- **아프리카** - Co-marketing 추진 계획 (수익 분배)

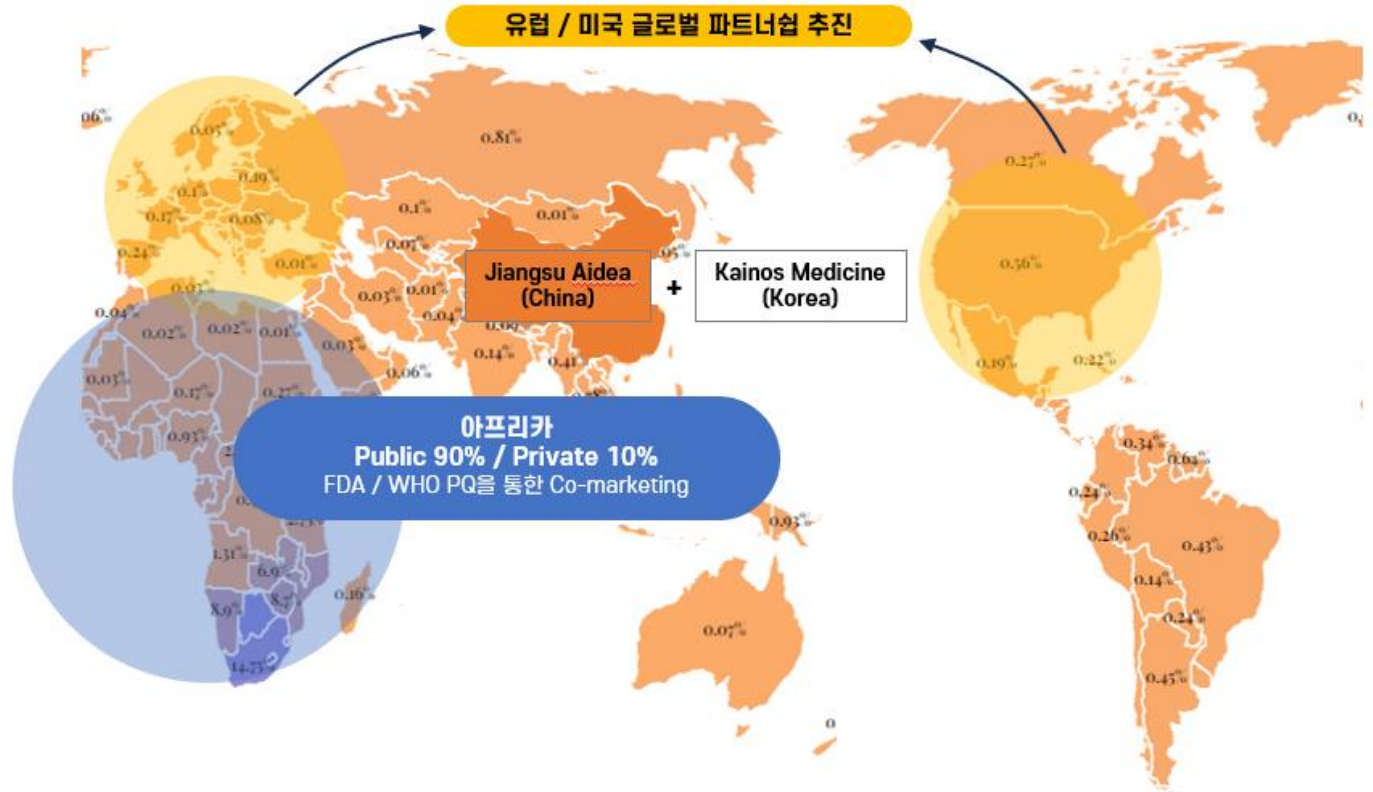
WHO PQ 인증을 통한 아프리카 Public market(WHO, Global Fund) 공적조달 시장 출시 계획

| | |
|------------|-----------------------|
| 전세계 | 3,900만명 환자수 추정 |
| 아프리카 | 2,560만명 (전세계 66%) |
| 동남아시아 | 390만명 (전세계 10%) |
| 아메리카 | 380만명 (전세계 10%) |
| 유럽지역 | 300만명 (전세계 8%) |

CHINA (120만명)
 2023년 50억 위안(약 9천억~1조원)
 → 2027년경 110억 위안 (약 2조원)으로 성장

Africa (2,560만명)
 \$321.6 million 시장 전망
 - 남아프리카 시장 규모 \$210 million 추정

| 순위 | 지역 | 환자수 |
|----|--------|--------|
| 1 | 남아프리카 | 890 만명 |
| 2 | 모잠비크 | 278 만명 |
| 3 | 케냐 | 190 만명 |
| 4 | 탄자니아 | 180 만명 |
| 5 | 우간다 | 165 만명 |
| 6 | 잠바abwe | 145 만명 |
| 7 | 잠비아 | 142 만명 |
| 8 | 말라위 | 120 만명 |
| 9 | 레소토 | 44 만명 |
| 10 | 보츠와나 | 42 만명 |



성공적인 License Out으로 안전성과 효과성 검증에 성공한 **에이즈 치료제**

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : **에이즈 치료제**

KM-1004 : 항암제

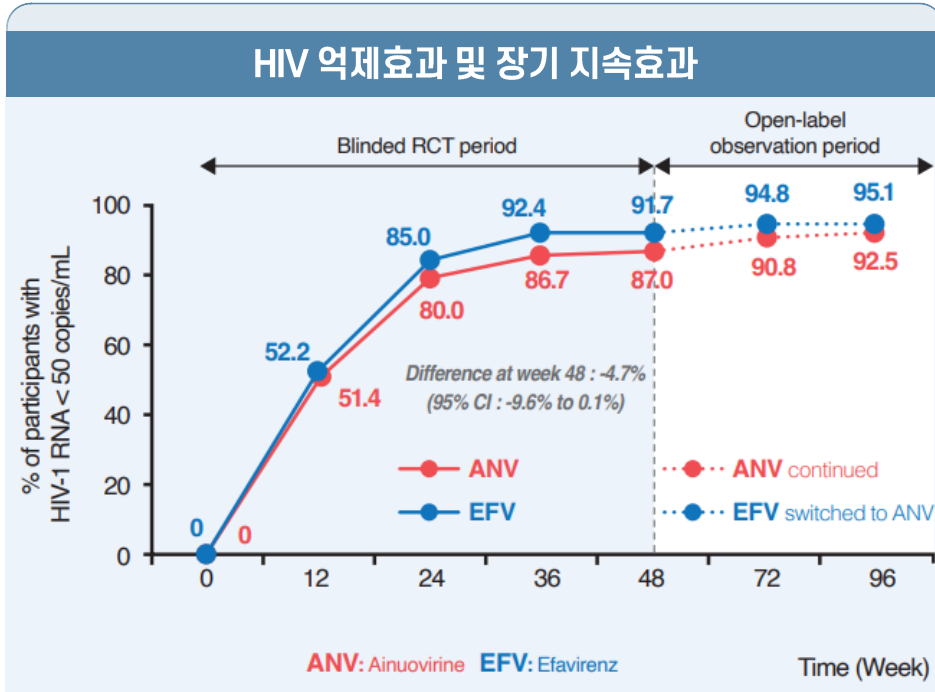
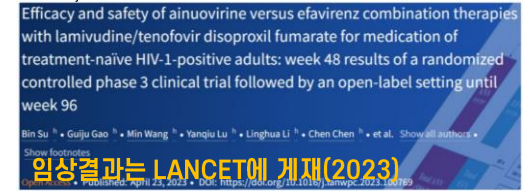
■ Ainuovirine(단일제) 임상결과

자료 제공  艾迪药业
Aidea Pharma

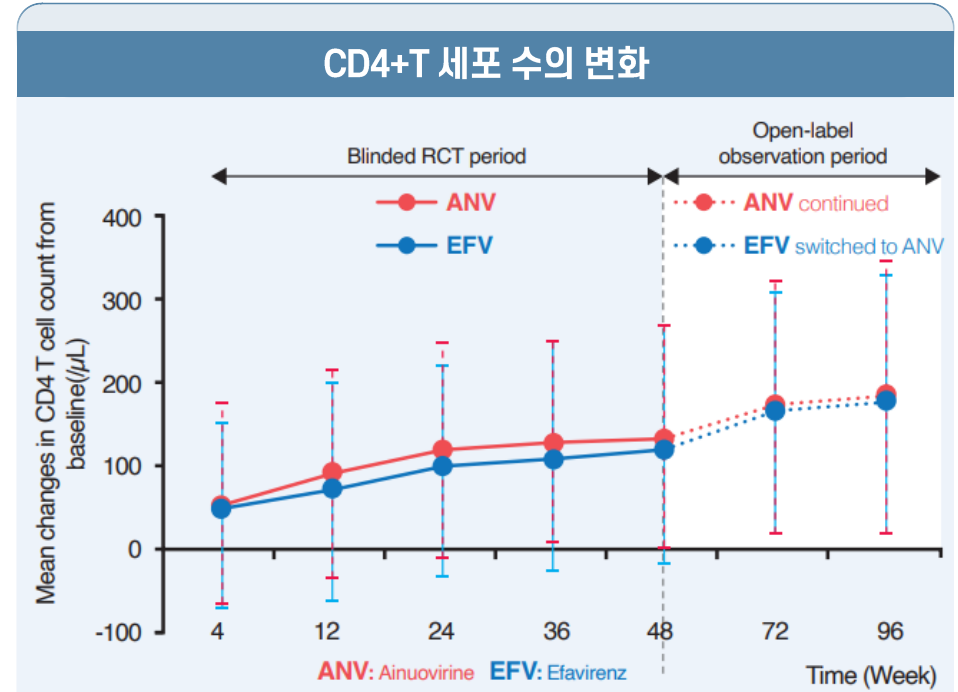
<표준 치료제로 오래 사용되어 온 NNRTI 약물 Efavirenz와의 비교임상>

- 임상단계: 중국 임상 3상
- 대상환자: 항레트로바이러스 요법을 받지 않고 신규 HIV 감염 진단을 받은 630명의 피험자
- 시험설계: 무작위, 이중맹검, 양성 병렬그룹, 비열등성 시험으로 1차 48주, 2차 48주
- Site: 중국 베이징 수도의과대학 부설 중국 베이징의 유안병원(YouAn Hospital)

The Lancet Regional Health - Western Pacific
2023;36: 100769



- ✓ EFV 보다 1/4 적은 용량으로도 5% 미만 동등한 치료효과 확인
- ✓ 96주까지 바이러스 억제 장기지속 유지치료효과 확인



- ✓ 1/4 적은 용량으로도 면역 회복력을 측정하는 CD4+T 세포수 동등한 증가 확인
- ✓ 96주까지 장기치료까지 면역 회복력 지속 유지

성공적인 License Out으로 안전성과 효과성 검증에 성공한 **에이즈 치료제**

KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : **에이즈 치료제**

KM-1004 : 항암제

■ Ainuomiti(단일복합제) 임상결과

자료 제공  **艾迪药业**
Aidea Pharma

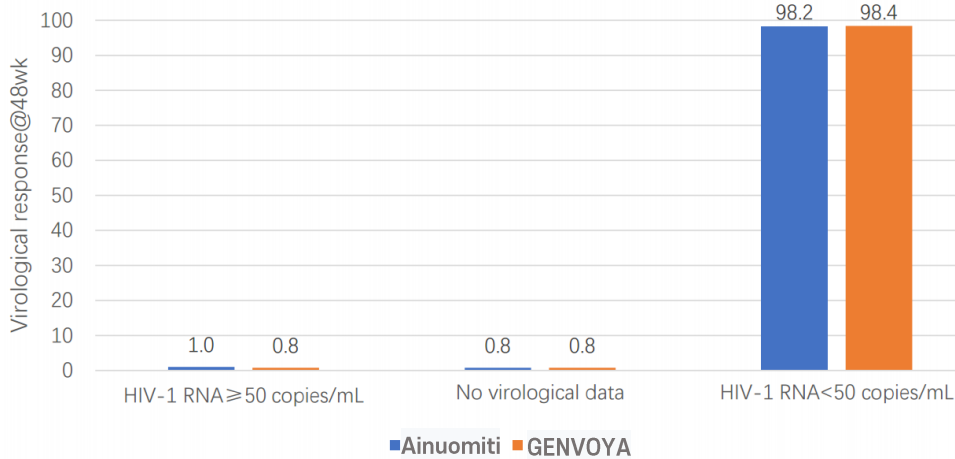
<Gilead Sciences가 개발한 GENVOYA 와 1:1 로 비교한 중국 내 최초 대규모 임상>

- 임상단계: 중국 임상 3상
- 대상환자: **항레트로바이러스 치료 경험이 있는 762명의 피험자**
- 시험설계: 무작위, 이중맹검 시뮬레이션, GENVOYA(중국내 최초 의료보험 등재 에이즈 치료제)와의 비열등성시험
- Site: 중국 베이징 수도의과대학 부속 베이징디탄병원을 포함한 10개 임상센터

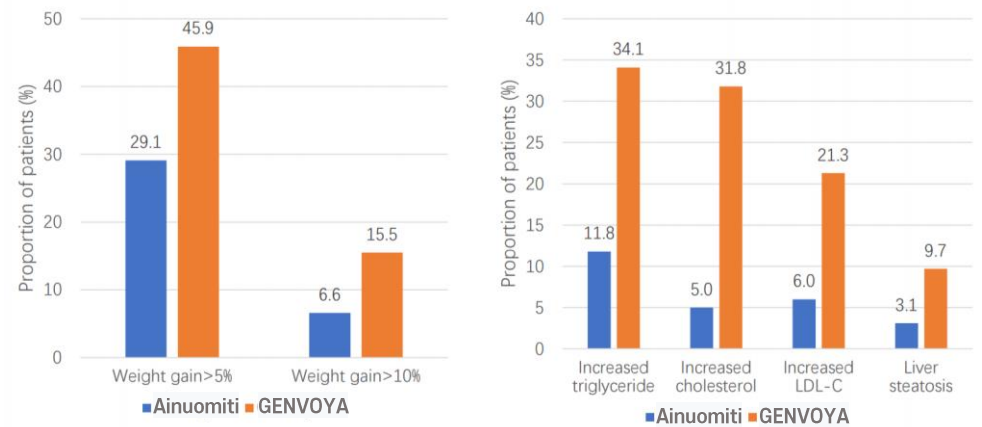
Ainuvirine + Lamivudine + Tenofovir 3개의 성분을
조합한 단일정복합제



[Ainuomiti vs. GENVOYA] HIV 억제효과



[Ainuomiti vs. GENVOYA] 체중 증가 및 이상지질혈증 빈도 감소



- ✓ 48주차에서 바이러스 양이 <50 copies/ml 미만으로 **바이러스 억제 장기간 유지**
- ✓ Ainuomiti 복용한 환자들의 **체중 증가 및 이상지질혈증 빈도 감소 확인**

효율적인 침투율과 뛰어난 안정성을 겸비한 Novel Delivery 기반 항암제

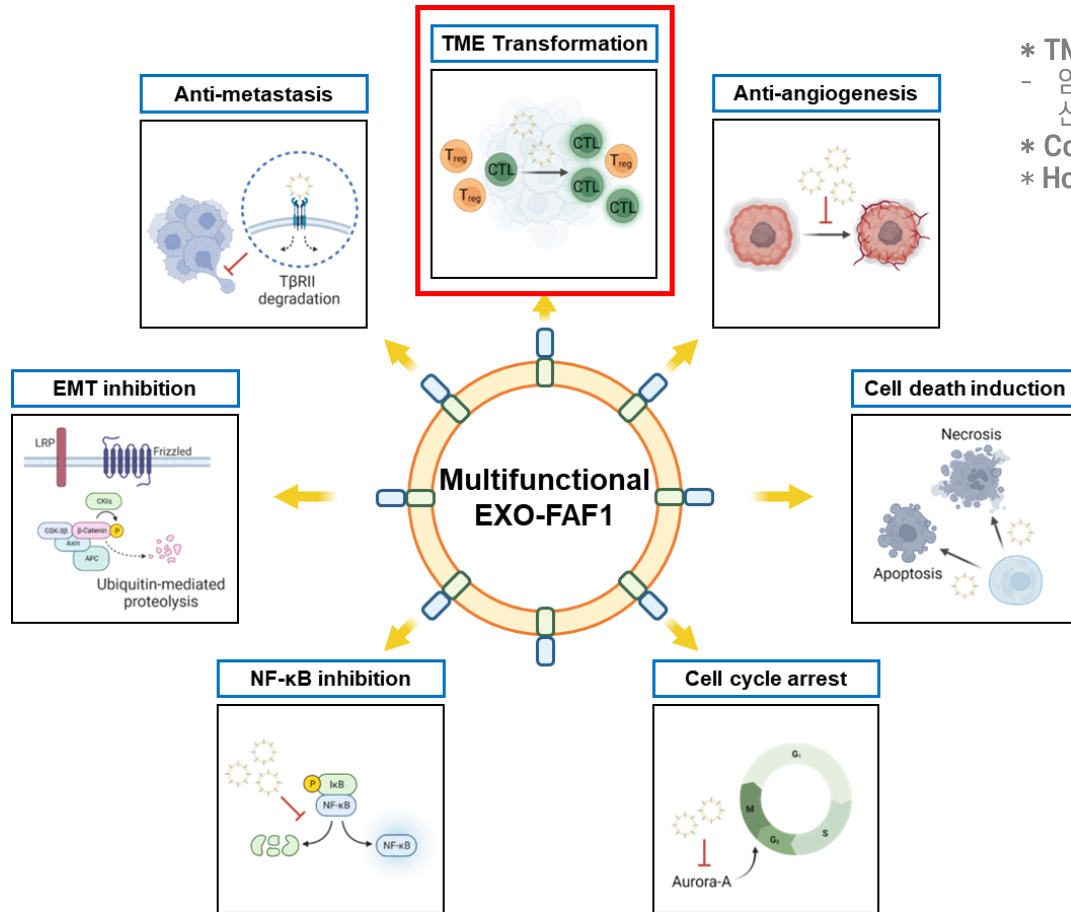
KM-819 : 파킨슨 질환

KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

KM-1004 : 항암제

다기능의 항암 콘텐츠, FAF1



- * TME: Tumor microenvironment, 종양미세환경
- 암 세포 주변의 다양한 세포들과 세포외 기질, 성장호르몬, 신호전달 물질 등의 복잡하고 다양한 요소로 구성된 총체
- * Cold tumor: 면역항암제에 반응하지 않는 암
- * Hot tumor: 면역항암제에 반응하는 암

세포 내 다양한 항암 작용기전 – “종양미세환경을 cold tumor에서 hot tumor로 전환” 시킬 수 있는 FAF1과 면역체크포인트 억제제의 병용 가능성 제시

효율적인 침투율과 뛰어난 안정성을 겸비한 Novel Delivery 기반 항암제

KM-819 : 파킨슨 질환

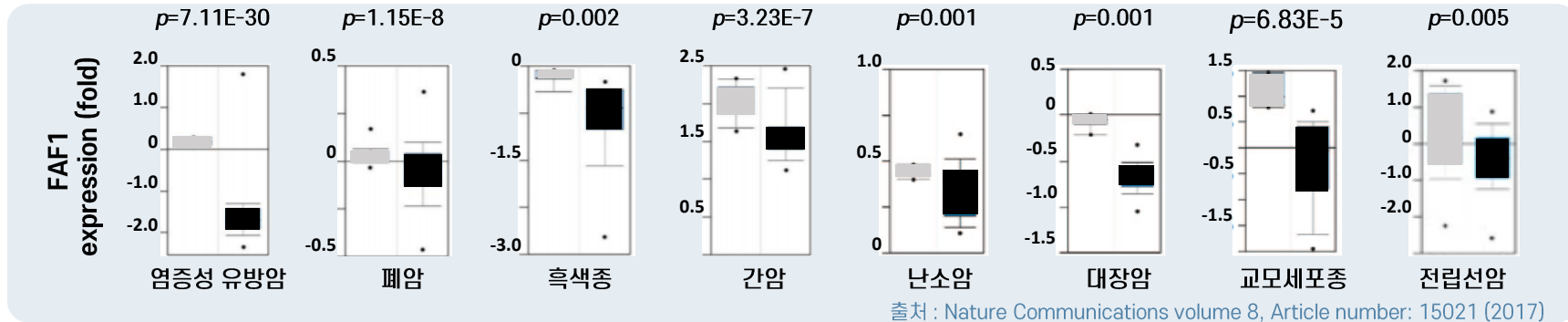
KM-819 : 다계통위축증

KM-023 : 에이즈 치료제

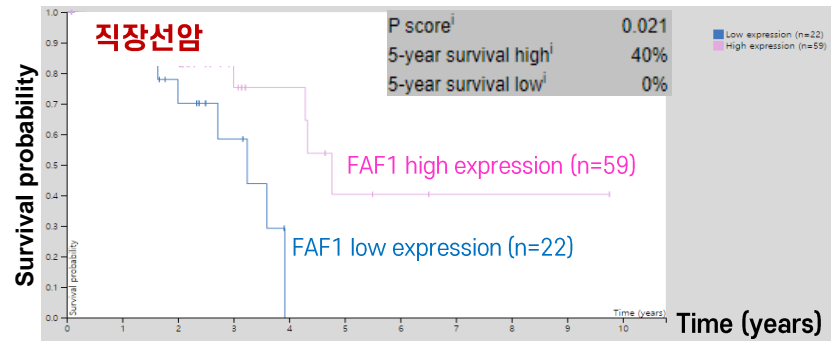
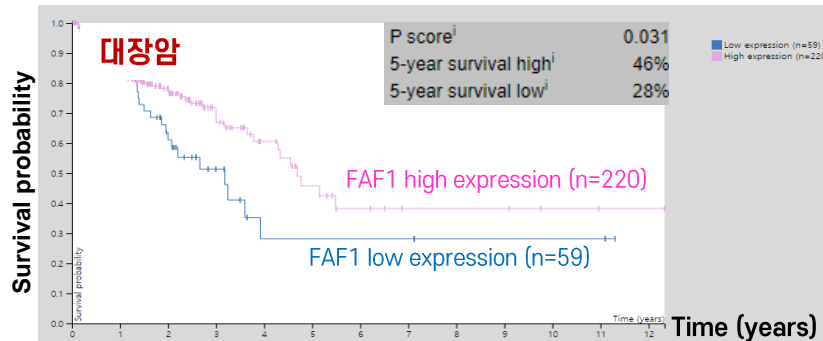
KM-1004 : 항암제

■ FAF1의 항암제 개발 가능성-임상적 의미

암 환자에서 FAF1의 낮은 발현 Profile



FAF1 발현과 대장암 · 직장선암 환자 생존기간 간의 긍정적인 상관관계



FAF1의 높은 발현과 암환자 생존 간의 긍정적인 상관관계

→ 암에서 FAF1 발현의 임상적 의미를 시사



Kainos Medicine

05

About Company

1. 우수한 맨파워
2. 기업연혁
3. 요약재무제표

세계 일류 수준의 기술력과 풍부한 사업 경험을 겸비한 핵심 인력

Chief Executive Officer

이 기 섭



(주)카이노스메드 대표이사

- 미국 뉴저지 Kernel Enterprise Inc., USA President/CEO
- 미국 Silicon image 창업 & 나스닥 상장
- 미국 GCT Semiconductor Inc., USA 창업/대표이사
- 미국 벤처캐피탈 Altos Venture, USA Special 파트너

Chief Business Officer

김 인 철



(주)카이노스메드 부회장

- 주요 분야: 사업개발 총괄 / 신약 개발
- LG 생명과학 CEO, 사업개발
 - LG 화학 의약개발 연구소장
 - 국립암센터 항암사업단장
 - Duke, GSK 연구원
 - 일리노이 대학 약학 박사
 - 서울대 약대 학사/석사

Chief Medical Officer

Carolee Barlow



- (주)카이노스메드 CMO
- SAB, FASciate Therapeutics
- Consultant, Drug Development Consultant LLC
- CMO, Arialys
- CMO, ESCAPE Bio
- 미국 파킨슨 연구소 및 클리닉 센터, CEO
- Merck
- MD from the University of Utah

Chief Clinical Officer

이 재 문



- (주)카이노스메드 CCO
- FASciate President
- 주요 분야
 - 파킨슨 질환 치료제 (KM-819)
 - 다계통위축증 치료제 (KM-819)
 - 기타 항암제
- 미국 Duke University 생화학박사
- EXELIXIS Pharmaceuticals 책임연구원
- ARAGEN BIOSCIENCES 책임연구원

Chief Technology Officer

김 은 희



- (주)카이노스메드 CTO
- 주요 분야
 - 파킨슨 질환치료제 (KM-819)
 - FAF1 항암제 (KM-1004)
- 미국 Tufts University 분자생물학박사
- 한국화학연구원 선임연구원
- 배재대학교 교수
- 충남대학교 생물학과 교수
- 충남대학교 신약전문대학원 원장

Scientific Advisory Board

조 경 옥



- 카이스트 생명과학과 명예교수
- 베일러 의과대학 분자세포 생물학과 조교수, 부교수
- Stanford University 박사
- 서울대학교 미생물학과

난치병 치료제의 혁신을 향해 끊임없이 도전하는 카이노스메드

설립기 2007~2009

2008

- 07 기업부설연구소 설립
- 05 지식경제부 바이오스타프로젝트 선정

2007

- 07 벤처기업 인증
- 05 카이노스메드 회사 설립

성장기 2010~2013

2013

- 02 PCT 특허출원(당뇨비만치료제)
- 01 고려대학교와 '글로벌 신약개발 산학협력 공동연구 계약' 체결

2012

- 11 한국화학연구원과 '에이즈치료제 기술 독점실시권 계약' 체결

2011

- 06 에이즈치료제 국내임상1상 개시
- 03 KFDA 에이즈치료제 국내 임상1상 IND 승인
- 02 기술부설연구소 설립

2010

- 12 기관 투자
- 09 INNO-BIZ 기업 선정
- 04 한국화학연구원과 에이즈치료제 공동개발 협약체결

도약기 2014~2017

2017

- 10 KM-819 임상 1상 완료
- 10 University of California San Diego와 '파킨슨병 치료제 공동연구 계약' 체결

2016

- 10 KM-819 임상 1상 완료

2015

- 12 후성유전학 항암제 기술이전
- 12 세포독성 항암제 기술이전
- 09 코넥스(KONEX)시장 상장
- 09 KM-819(파킨슨병 치료제) 기술도입계약 체결

2014

- 11 당뇨비만치료제 기술이전
- 10 에이즈치료제(KM023) 기술이전

혁신기 2018~

2023

- 12 에이즈 치료제 ACC008 중국 의료보험 등재
- 04 에이즈 치료제 글로벌 독점 기술실시권 이전
- 01 에이즈 치료제 ACC008(단일복합제) 중국 품목 허가

2021

- 12 국가신약개발 사업(KDDF) 참여기업으로 선정
- 11 파킨슨 질환 임상2상 IND승인 (미국 FDA)
- 10 다계통위축증 임상2상 IND승인
- 08 판교바이오 연구소 설립
- 06 에이즈치료제 ACC007(단일제) 중국 NDA 승인

2020

- 06 코스닥시장 상장

2019

- 05 기술성 평가 통과

2018

- 12 에이즈치료제 중국 임상 3상 돌입
- 10 유성은 각자대표이사 선임
- 08 미국 현지법인 설립 (FASciate Therapeutics Inc.)

최근 3개년 요약 재무제표

■ 요약 재무상태표

단위: 백만원

| 구분 | 2024(2분기) | 2023 | 2022 |
|-------------|---------------|---------------|---------------|
| 유동자산 | 13,494 | 17,117 | 31,236 |
| 비유동자산 | 4,231 | 3,868 | 7,746 |
| 자산총계 | 17,725 | 20,985 | 38,982 |
| 유동부채 | 5,127 | 5,129 | 8,677 |
| 비유동부채 | 315 | 85 | 388 |
| 부채총계 | 5,442 | 5,214 | 9,065 |
| 자본금 | 14,090 | 13,961 | 13,961 |
| 주식발행초과금 | 103,234 | 102,367 | 102,367 |
| 기타자본구성요소 | 12,847 | 11,837 | 10,960 |
| 결손금 | (121,968) | (116,414) | (101,179) |
| 비지배지분 | 4,080 | 4,020 | 3,808 |
| 자본총계 | 12,283 | 15,771 | 29,917 |

■ 요약 손익계산서

단위: 백만원

| 구분 | 2024(2분기) | 2023 | 2022 |
|------------------|----------------|-----------------|-----------------|
| 매출액 | 315 | 267 | 130 |
| 매출원가 | 79 | 62 | 39 |
| 매출총이익 | 236 | 205 | 91 |
| 판매비와 관리비 | 5,987 | 17,017 | 16,247 |
| 영업이익 | (5,751) | (16,812) | (16,156) |
| 금융 기타수익 | 306 | 1,999 | 3,237 |
| 금융 기타비용 | 108 | 425 | 2,994 |
| 법인세 차감전 순이익 | (5,553) | (15,238) | (15,913) |
| 법인세비용 | 1 | 1 | 1 |
| 당기순이익(손실) | (5,554) | (15,239) | (15,914) |

코스닥 기술특례상장(2020)으로 재무요건에 관한 상장관리 유예 적용

2024년까지 매출액 30억원 미만 요건 면제

2022년까지 법인세비용차감전계속사업손실 요건 면제

장기영업손실 요건은 계속면제(기술성장기업)



 Kainos
Medicine

www.kainosmedicine.com