

# CURACLE

Biopharma focusing on vascular health

Seoul, South Korea  
September 2023

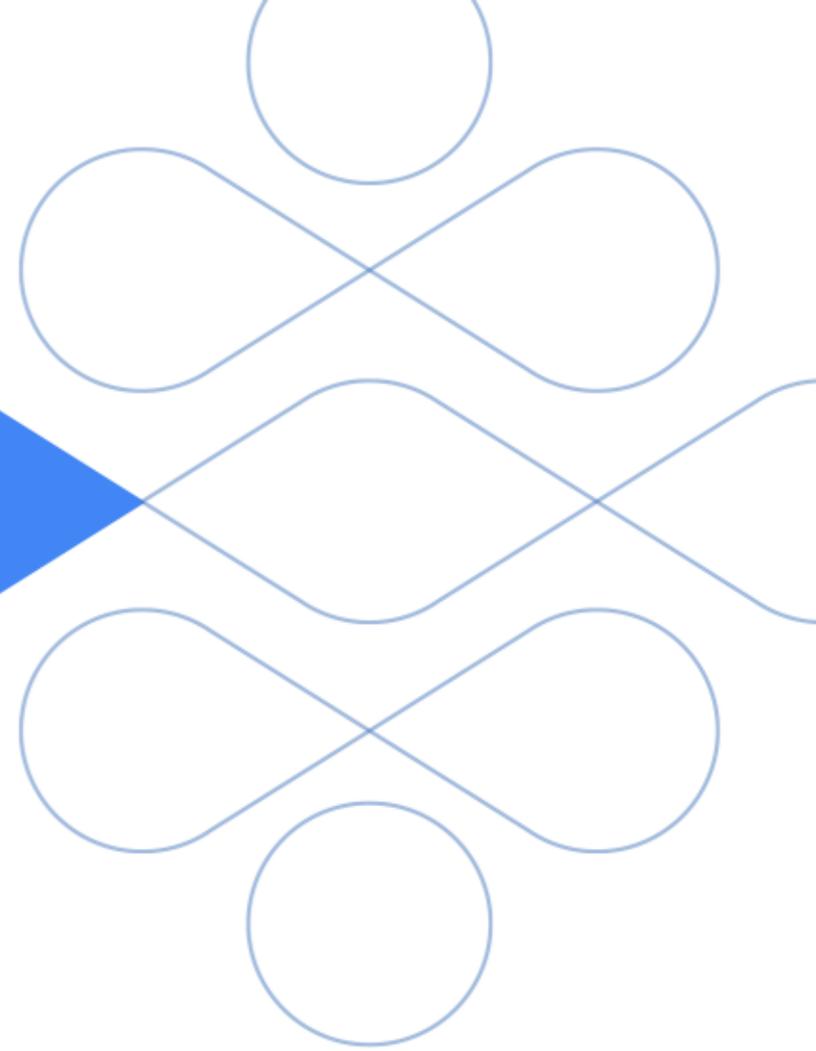
# Disclaimer

본 자료는 제안된 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 주식회사 큐라클(이하 "회사")에 의해 작성되었습니다. 본 자료에 포함된 "예측정보"는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '기대', '(E)' 등과 같은 단어를 포함합니다. 위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 "예측정보"에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다.

또한, 향후 전망은 Presentation 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며, 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로, 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다. 본 자료의 활용과 관련하여 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 과실 및 기타의 경우 포함하여 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. 회사의 사전 승인 없이 본 자료의 내용을 변경하여 무단 배포 및 복제를 할 경우 법적인 제재를 받을 수 있음을 유념해 주시기 바랍니다.

# TABLE OF CONTENTS

1. Company Overview & Key Assets
2. Clinical Status In Progress
3. Positioning-based R&D Strategy
4. Open Innovation



# 1. Company Overview & Key Assets



난치성 질환 치료의  
새로운 접근법 :  
혈관내피기능장애 차단

경쟁력을 갖춘  
Organic / In-Organic  
파이프라인

상용화 가능성을 높이기  
위한 연구개발 전략

다수의  
후기 임상 파이프라인  
및 임상 모멘텀

- 오픈 이노베이션을 통한 파이프라인 확보 및 공동개발(맵틱스 등)

- CU06 DME 미국 임상2a상 진행
- CU06 Wet-AMD 임상2상 계획(24년)
- CU01 임상2b상 진행
- CU03 임상2a상 완료
- CU104 글로벌 임상2a상 IND 제출



## 회사 개요

### • 연혁

- 2016년 5월 회사 설립
- 2021년 7월 코스닥 상장
- 2021년 10월 Thea Open Innovation에 CU06 기술이전

• 연구 분야 : 혈관내피기능장애/고령화 관련 만성 난치성 질환

• 보유 연구소: 신약연구소, 바이오연구소, 중앙연구소(분석, CMC)

## 연구개발 현황\*



\* 2023년 9월 13일 현재 각 단계를 진행중이거나, 이전 단계를 마치고 다음단계 진입 직전인 프로젝트 수 (오픈이노베이션을 통한 공동연구 프로젝트 포함)

# 연구개발과 사업화의 전문성 및 균형을 갖춘 경영진



## 권영근 이사회 의장

- 現 연세대학교 교수
- 연세대학교 생명시스템대학 학장
- 한국혈관학회 회장
- 국가과학기술자문회 전문위원
- 한국과학기술한림원 정회원
- 록펠러대학교 전임연구원, 미국



## 유재현 대표이사/사장

- 스페셜티 사업부 총괄전무, 안센 북아시아
- 아시아태평양 전략마케팅, 안센 아시아태평양
- 중국안센 (시안안센) 마케팅 이사
- 글로벌 전략마케팅, 존슨앤존슨 제약부문, 미국
- 한국안센 입사
- 서울대학교 약학대학 제약학과

## 경영진

### 신약&바이오연구본부/상무 이원일

- 서울대학교 약학대학 박사
- 대원제약 신약연구부 이사
- 제일약품 신약연구부 책임연구원
- 쥘백스앤카엘 연구개발본부 이사
- C&C 신약연구소 책임연구원

### 연구개발본부/이사 표정인

- 연세대학교 이학박사(의약화학)
- ㈜인트론바이오테크놀로지 팀장
- 삼육대 특임교수
- KIST, 박사 후 연구원 (당뇨병 치료제, 항히스타민제, 요실금 치료제 등)

### 임상개발본부/이사 김판경

- 경북대학교 의학과 석사
- 유영제약 임상팀장
- 현대약품 임상팀장
- 한미약품 임상팀장
- LG생명과학 Clinical Study Leader

### 사업개발본부/상무 김정한

- UC 버클리, 경영학 석사
- 동화약품 사업개발, 글로벌 마케팅
- 셀트리온 사업개발팀 팀장
- 한국BMS 마케팅 팀장
- Bayer 투자분석가, 미국

### 전략기획실/상무 최재진

- 서강대학교 경영학 석사
- 한독 Head of Commercial Excellence
- 한국엘러간 영업이사 Head of C.E.
- 바이엘 코리아 전략기획 이사 /Marketing Excellence 이사
- 한국안센 마케팅 팀장

# 큐라클 성장 전략 (2023년)

## CORE PIPELINE

- CU06 : 당뇨병성 황반부종, 습성 황반변성
  - 경구형 혈관내피기능장애 차단제
  - Thea Open Innovation으로 기술 이전 (21.10)
  - DME 미국 임상2a상 진행 중(22.10~), 24.1분기 임상 결과 수령 예정
- CU01 : 당뇨병성 신증
  - 임상2b상 진행 중(23.01~)
- CU03 : 습성 황반변성
  - 임상2a상 완료(22.01)

## GROWTH DRIVERS

### PRIORITIZED PIPELINE

- CU104 : 궤양성 대장염
  - 글로벌 임상2상 중 미국 IND 승인(23.06)
  - 유럽 3개국 IND 신청(23.07)
  - 고용량 임상1b상 식약처 IND 신청(23.08)
- CU106 : 면역항암제 병용요법
  - 고용량 임상1b상 식약처 IND 신청(23.08)

### OPEN INNOVATION & COLLABORATION

- MT-103 : 습성 황반변성, 당뇨병성 망막병증
- MT-101 : 급성신손상
- MT-102 : 허혈성 말초혈관 손상
- MT-201 : 염증성 혈전질환
- MT-301, MT-40X : 고형암
- Tie2 기반 이중항체-2,3... : 혈관 관련 난치성 질환
- 이중항체-1,2... : 난치성 질환
- 반려동물의약품 : 반려동물 신부전
  - 임상2b·3상 준비

## FUTURE PIPELINE

- CU07 : 차세대 혈관내피기능장애 차단제
- CU04, CU05 : First in Class 항암제
- New Target-1,2,3... : 난치성 질환

스탠다임  
공동개발

맵틱스 공동개발

반려동물신약개발사업단  
공동개발 기술계약

# 파이프라인별 연구·개발 진행현황

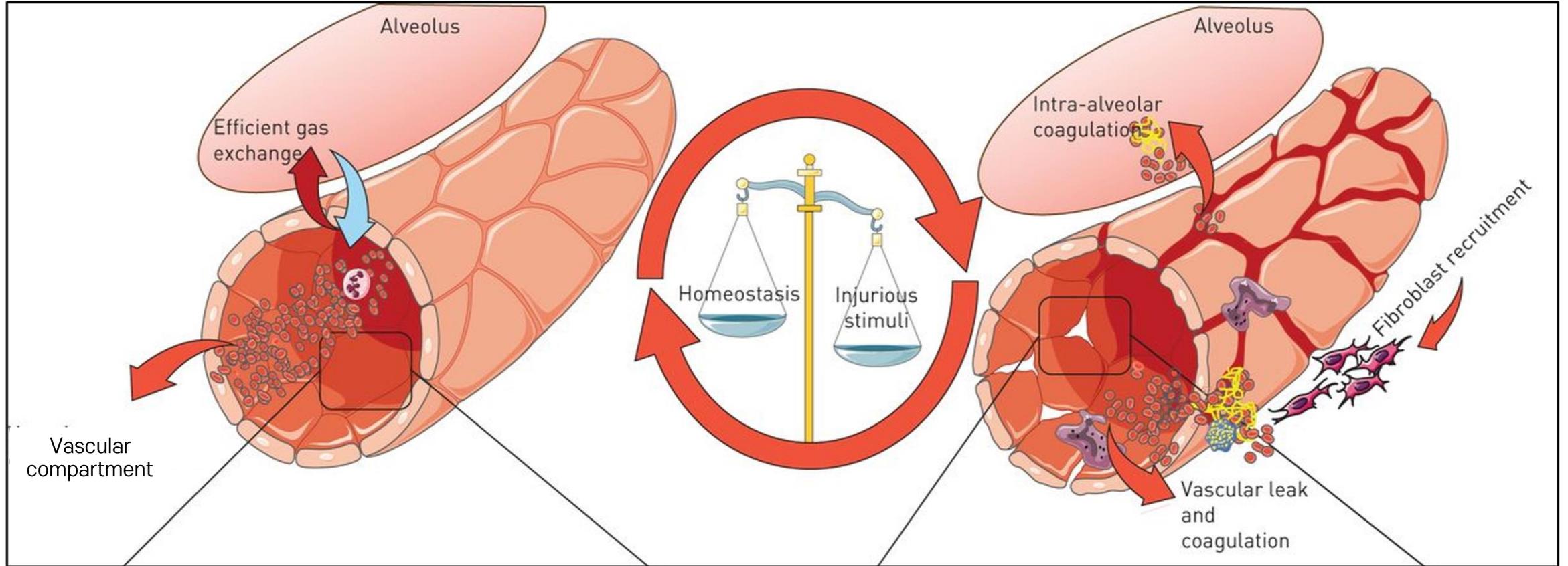
구분	파이프라인	적응증	비고	투여경로	Discovery	Preclinical	Phase I	Phase II	Partner
CORE Pipelines	CU06	DME (당뇨병성 황반부종)	아시아 제외 글로벌 L/O (2021.10.27)	경구	미국 임상 2a상 진행 중, 2022년 10월				
		경구		글로벌 임상 2상 IND 제출 예정, 2024년*					
	CU01	Diabetic Nephropathy (당뇨병성 신증)	경구	임상 2b상 진행 중, 2023년 1월					
	CU03	Wet-AMD (습성 황반변성)	주사제 병용요법	경구	임상 2a상 완료, 2022년 1월 (Co-positioning with CU06)				
GROWTH Drivers	CU104	Ulcerative Colitis (궤양성 대장염)	CU06 확장 파이프라인	경구	글로벌 임상 2상 미국 IND 승인, 유럽 IND 제출, 2023년 7월 고용량 임상 1b상 IND 제출, 2023년 8월				
	CU106	Immuno-Oncology Combination (면역항암제 병용)		경구	고용량 임상 1b상 IND 제출, 2023년 8월				
FUTURE Pipelines	CU04	Cancer (항암제)	R&D Collaboration	경구	후보 물질 발굴				
	CU05	Cancer (항암제)		경구	후보 물질 발굴				
	CU07	차세대 혈관내피기능장애 차단제		경구	후보물질발굴				

\* 스폰서인 테아오픈이노베이션의 계획에 따라 변경 가능

# 오픈 이노베이션 공동 연구·개발 진행현황

구분	파이프라인	적응증	비고	투여경로	Discovery	Preclinical	Phase I	Phase II	Partner
GROWTH Drivers	MT-101	급성신손상 (Acute Kidney Injury)	혈관 정상화 및 기능성 혈관 신생	주사	전임상 준비				 MabTics Make better Therapeutics
	MT-102	허혈성 말초혈관 손상		주사	전임상 준비				
	MT-103	습성 황반변성, 당뇨병성 망막병증	Tie2 이중항체 혈관 정상화 기반 항암 병용	주사	전임상 단계				
	MT-201	염증성 혈전질환	항혈소판 응집	주사	후보 물질 발굴				
	MT-301	Solid Tumor (고형암)	혈관 정상화 기반 항암	주사	후보 물질 발굴				
	MT-40X	Solid Tumor (고형암)	T세포 활성화/ 표적 약물 전달	주사	후보 물질 발굴				
	Tie2 기반 이중항체 2,3...	혈관 관련 난치성 질환	개발우선순위 검토 중	주사	후보 물질 발굴				
	다중항체-1,2...	난치성 질환	개발우선순위 검토 중	주사	후보 물질 발굴				
	반려동물 의약품	Kidney Disease (신부전)	CU06 - 반려동물 의약 품으로 개발 확장	경구	임상 2b·3상 준비				
FUTURE Pipelines	New Target- 1,2...	난치성 질환	개발우선순위 검토 중	경구	후보 물질 발굴				 Standigm <sup>®</sup> The workflow AI drug discovery company

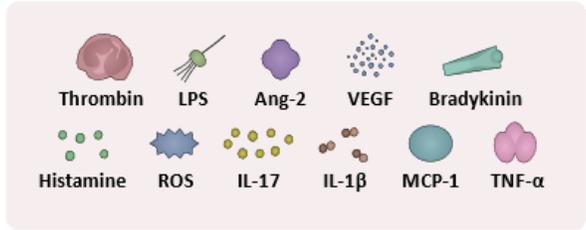
# 혈관내피기능장애 : 병리적 상태에서의 혈관 내피 세포의 변화



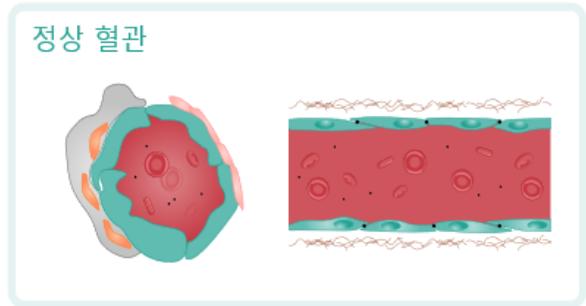
\* 본 자료는 공유가 금지되어 있으며, 상업적 용도가 아닌 투자자의 이해를 돕기 위한 용도로만 사용이 제한되어 있습니다.

# 혈관내피기능장애 : 습성 황반변성을 비롯한 여러 질환의 발생 및 악화의 원인

병리적 환경에서  
(노화, 당뇨, 감염 등)



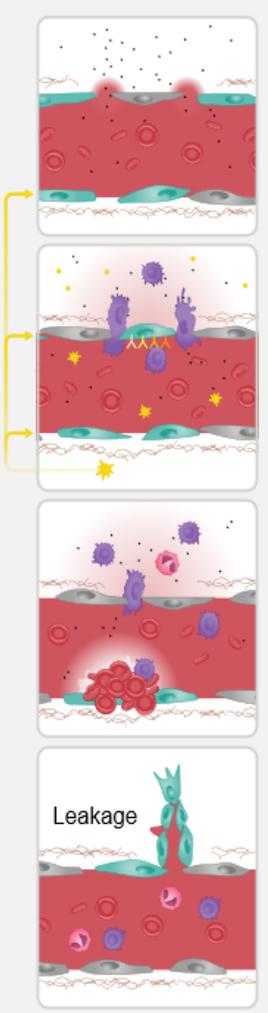
내피세포 자극



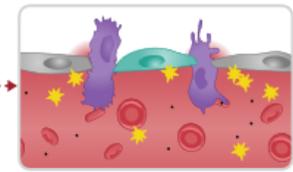
혈관 내피 세포 기능 변이 유발

## 내피 기능 장애

- [1] 혈관 누수 및 내피 세포 연접(junction) 파괴
- [2] 염증세포 부착
- [3] 내피세포 사멸 및 혈전 생성
- [4] 비정상적인 혈관신생



염증반응의 악화로 인한 조직 손상



## 급성&만성 질환

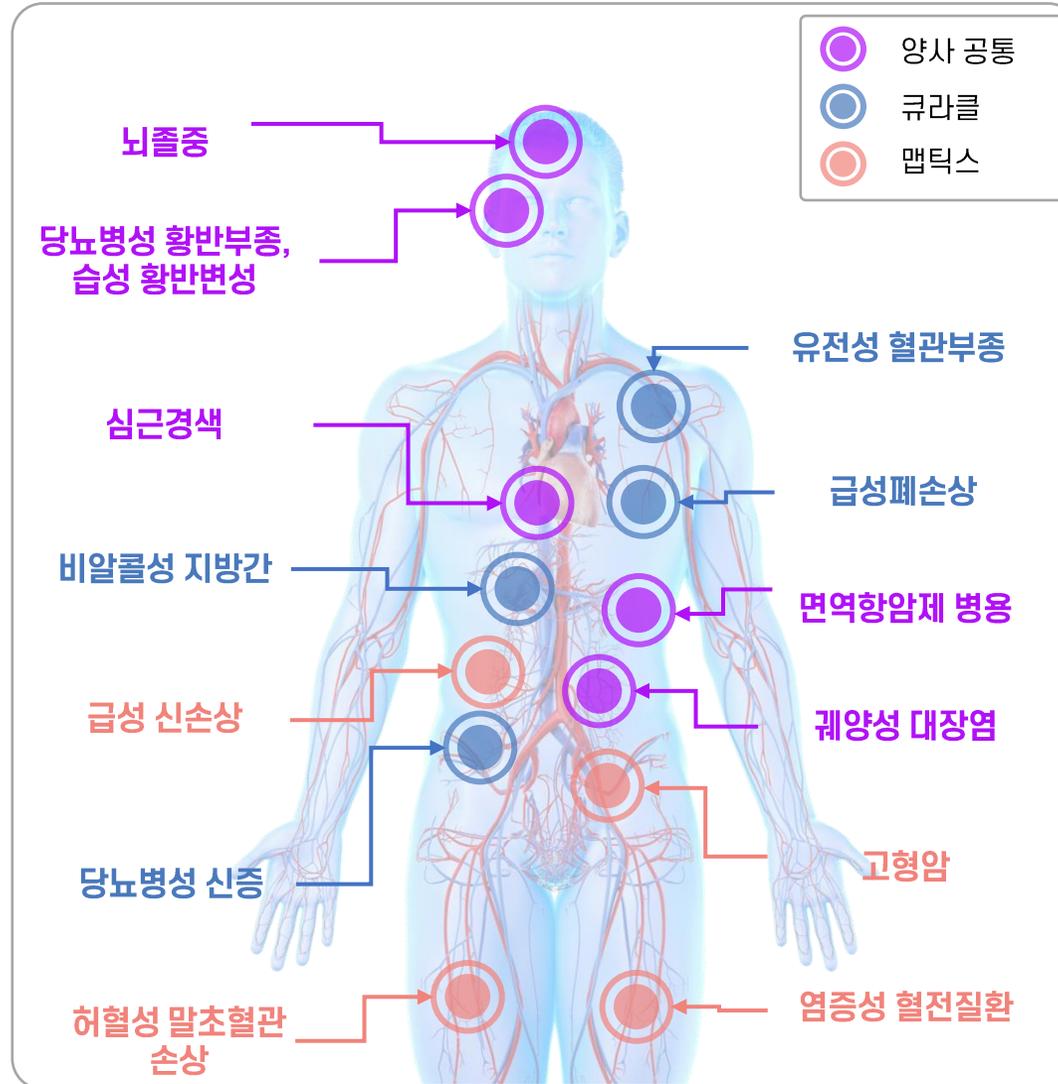
- 습성 황반변성
- 당뇨병성 황반부종
- 궤양성 대장염
- 종양
- 심근경색
- 뇌졸중
- 유전성 혈관부종
- 기타

# 혈관내피기능장애 차단을 활용한 치료제 개발: 큐라클 vs. 맵틱스

## 큐라클

### 내피세포 연접 안정화

- 내피세포 사멸 억제
- 과투과성 억제
- 염증 억제



## 맵틱스

### Tie2 신호전달경로 활성화

- 내피세포 사멸 억제
- 내피세포 증식 촉진
- 혈관 누수 억제 및 안정화
- 기능성 혈관신생 촉진

## 2. Clinical Status In Progress

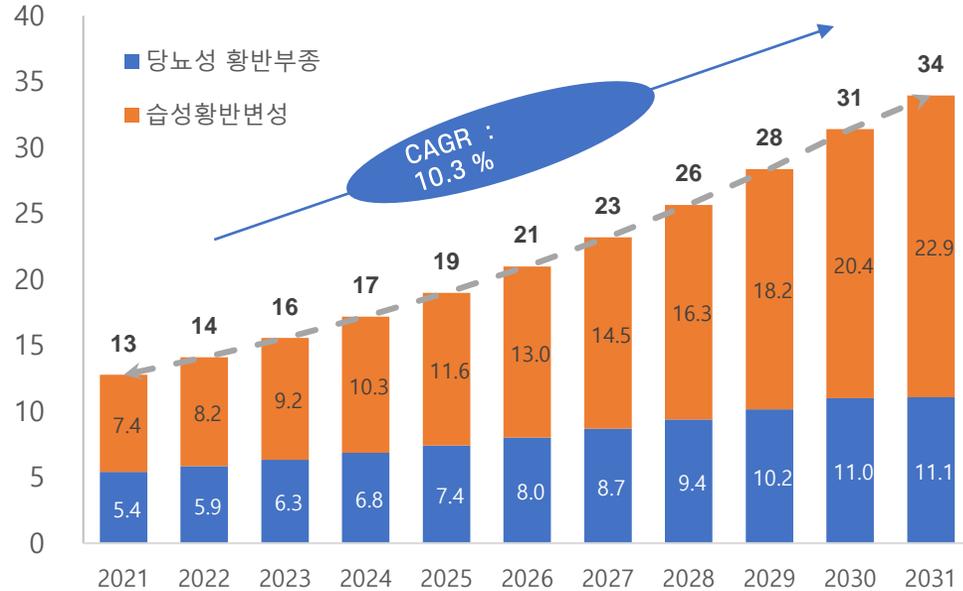
# CU06

- 당뇨병성 황반부종 (DME)
- 습성 황반변성 (Wet-AMD)

# CU06 고령화 및 당뇨병 증가에 의해 폭발적인 시장 성장 예측

## 1 시장 현황 및 전망

단위 : B USD



### [전체 시장]

- 주요 7개국 : 미국, EU 5국, 일본



### [당뇨병성 항반부종]

- 2021년 : 5.4 B USD
- 2031년 : 11.1 B USD
- CAGR : 8.2 %

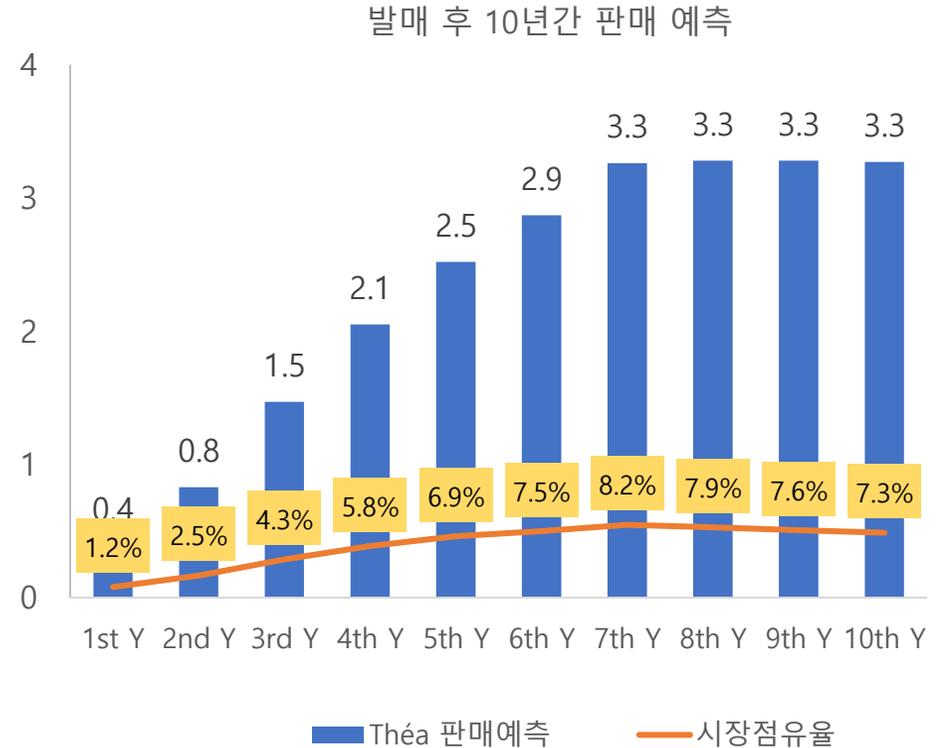
### [습성 항반변성]

- 2021년 : 7.4 B USD
- 2031년 : 22.9 B USD
- CAGR : 12 %

Source: Global Data Market Forecast 2021-2031, 2022

## 2 Théa 판매 예측 및 예상 시장 점유율 (%)

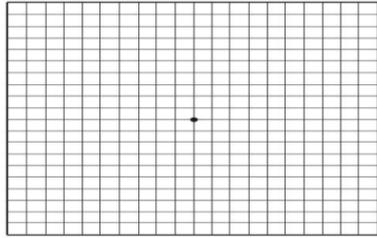
단위 : B USD



**보수적인 시장점유율 예측에도 불구하고 높은 시장성 기대**

Source: Théa Open Innovation's Consulting in 2021

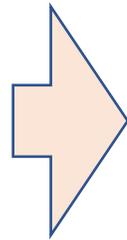
# CU06 출시로 인한 치료 패러다임의 변화



Amsler Grid



환자 모니터링



경구용  
Endothelial Dysfunction  
Blocker



안구내 직접 주사제

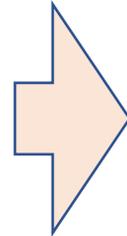
■ AREDS formulation

■ AREDS2 formulation

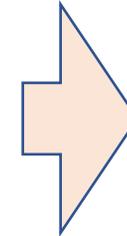


위 이미지는 실물과 다를 수 있습니다

# CU06 2a상 결과에 따른 CU06 약물 개발 전략 (후기임상)



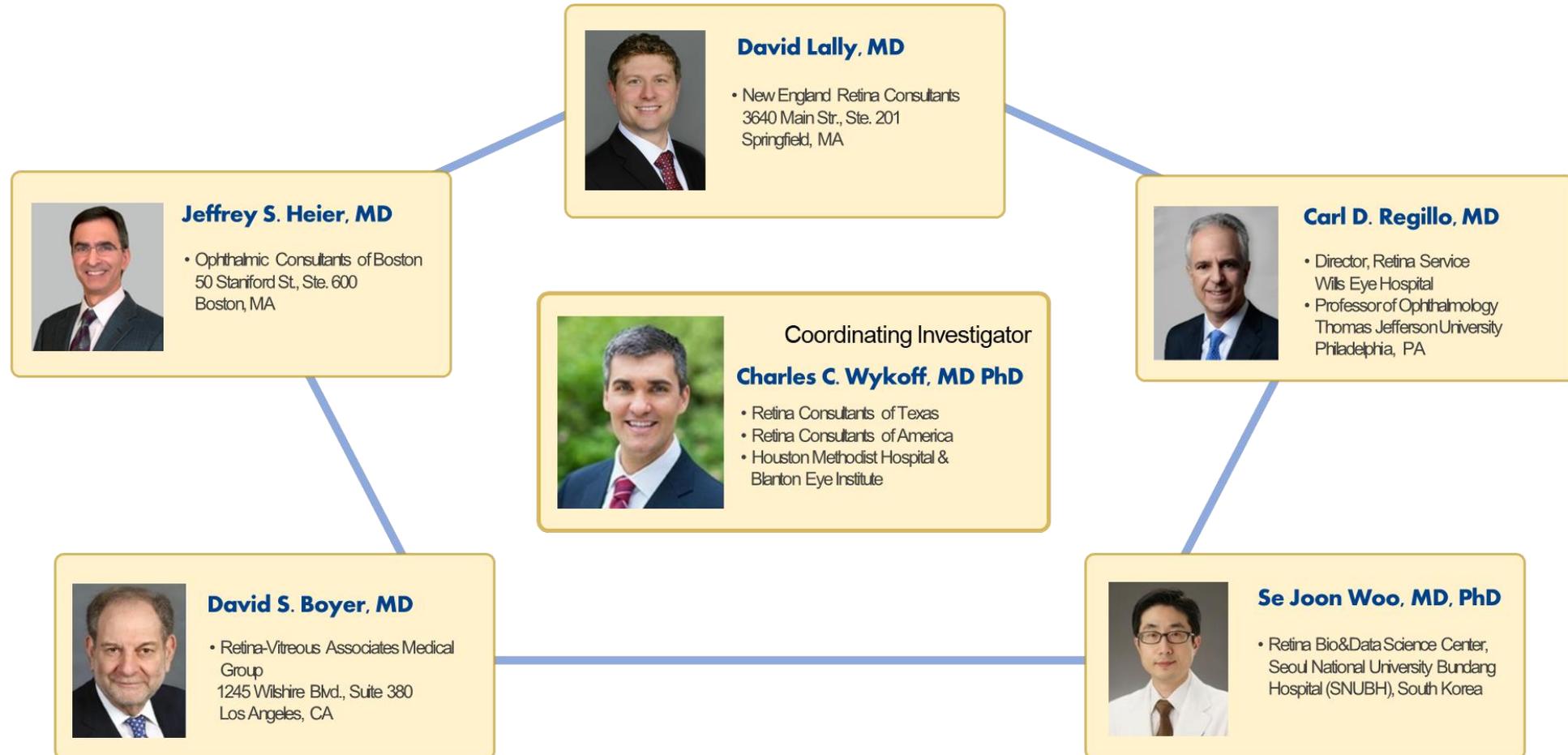
경구용  
Endothelial Dysfunction  
Blocker



안구내 직접 주사제

치료효과 가정	CU06 > 주사제 (동물실험결과)	CU06 =< 주사제	CU06 << 주사제
CU06 약물 개발 전략	CU06 : 주치료제	CU06으로 우선 치료 후 효과 부족 환자들은 주사제로 step up	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 병용투여 요법</li> <li>• 적응증 확장 (mild to severe)</li> </ul>

# CU06 글로벌 임상2a상 SAB (Scientific Advisory Board)



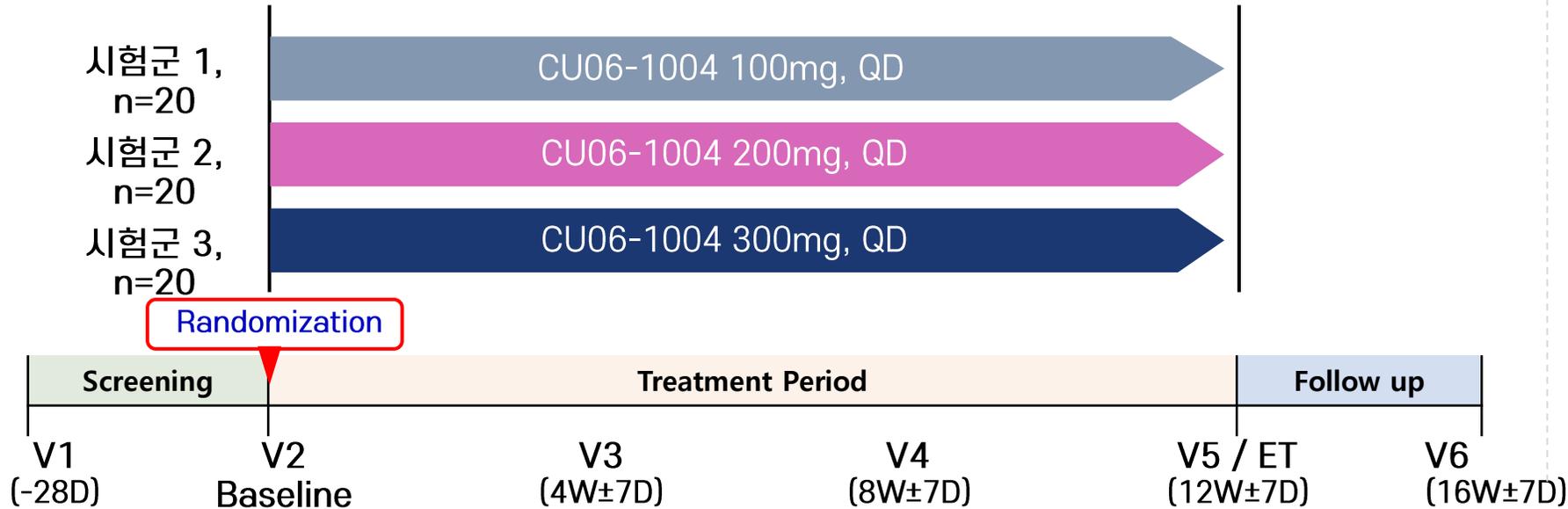
# CU06 DME 미국 임상2a상 시험 디자인 및 진행과정

Phase 2a Study to Evaluate the Efficacy and Safety of CU06-1004 for 12 Weeks : 당뇨병성 황반부종(DME) 환자 대상

\* Randomized, Open-label, Parallel-group, Multi-center Phase 2a Study

임상연구 마일스톤

- Protocol No.: CU06-RE-P2A-01
- ClinicalTrials.gov Identifier: NCT05573100



- 연구자 미팅
- 첫 환자 등록 (2022-12-21)
- Boosting Visit (2023년 1분기)
- 마지막 환자 등록
- 데이터 분석
- CSR (1Q 2024 계획)

\*[Stratification factor] Treatment-naïve (50%) : Non-treatment-naïve (50%) = 1:1

ET : End of Treatment

시험기관 수

**11/10**  
(110%)

스크리닝 대상자 수

**92/100**  
(92%)

모집 대상자 수

**67/60**  
(112%)

Progression

**112%**

계획 대비 정상 진행 (+10%)

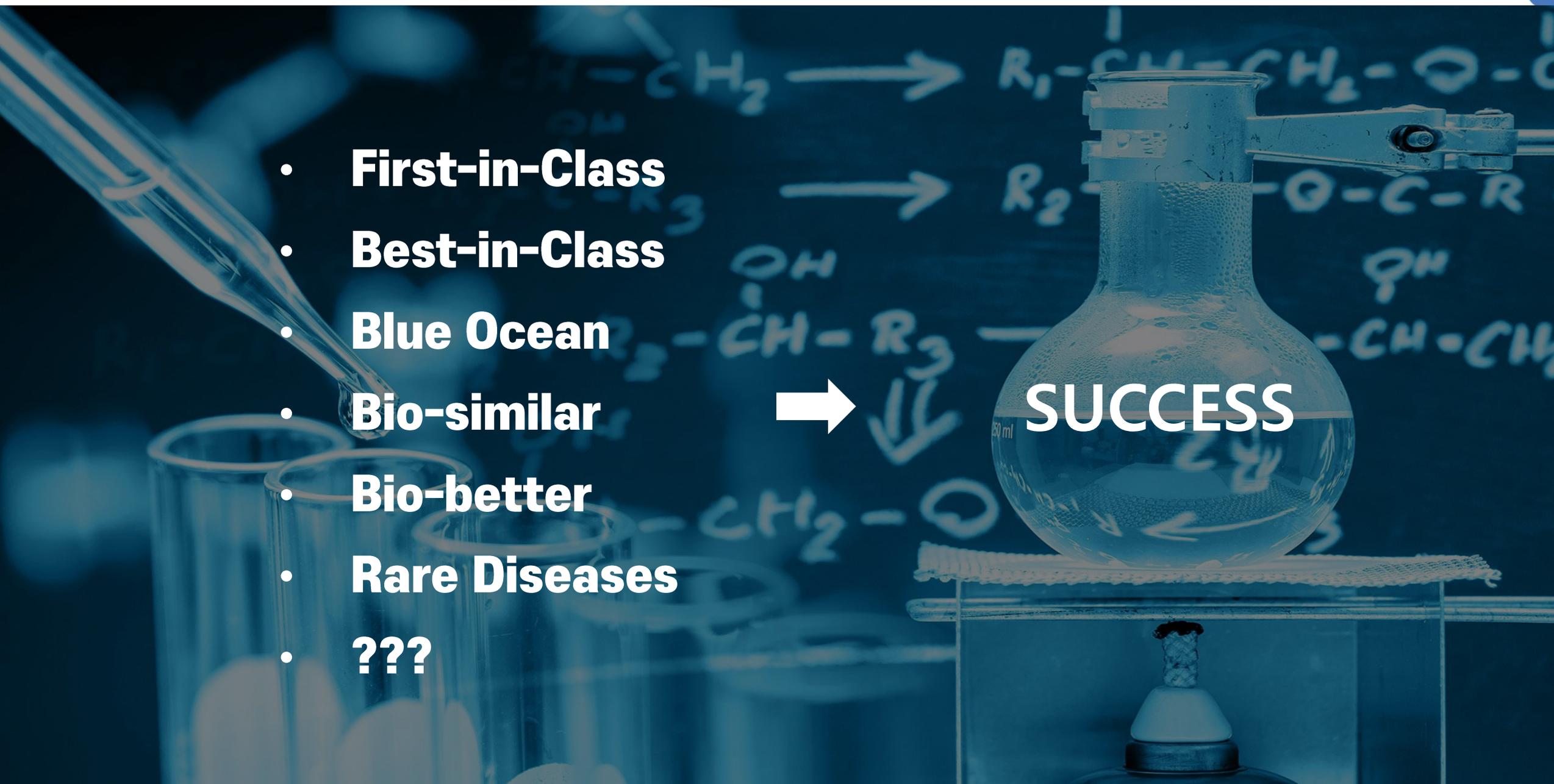
- Boosting Visit 후 시험기관 추가
- 4월 이후 대상자 모집 가속화
- 전기관 등록 및 주요 시험기관 스크리닝 대상자 증가세(Waiting 증가)

# 3. Positioning-based R&D Strategy

- **First-in-Class**
- **Best-in-Class**
- **Blue Ocean**
- **Bio-similar**
- **Bio-better**
- **Rare Diseases**
- **???**



**SUCCESS**



# 오테즐라(AMGEN) : 제일 많이 처방되는 건선 치료제

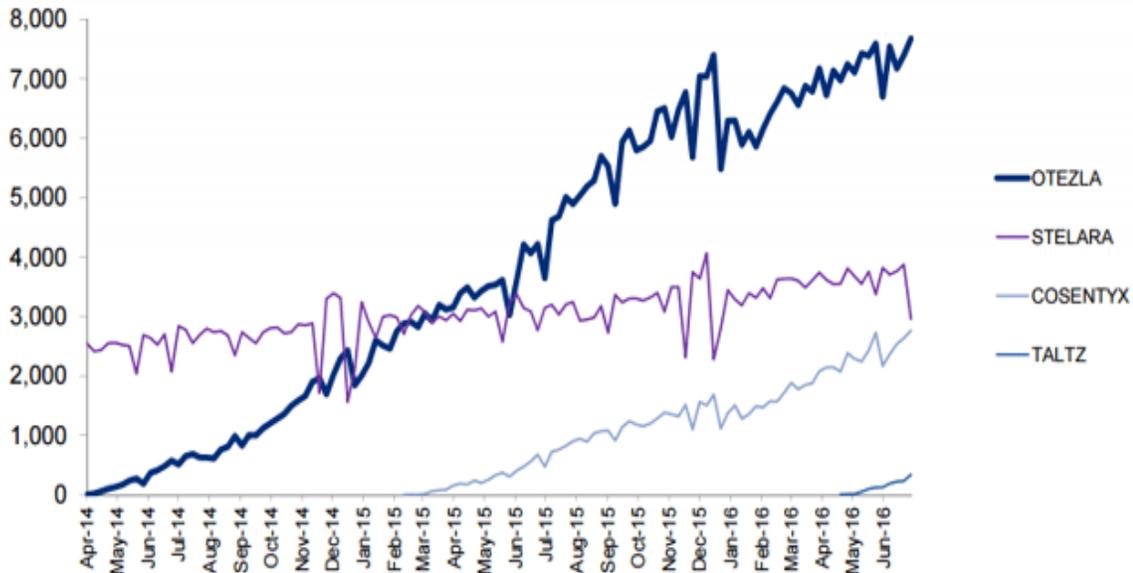
#1

Otezla is the **#1** prescribed brand for psoriasis patients starting systemic treatment <sup>2,†</sup>

THE ONLY ORAL THERAPY Indicated for plaque psoriasis & psoriatic arthritis

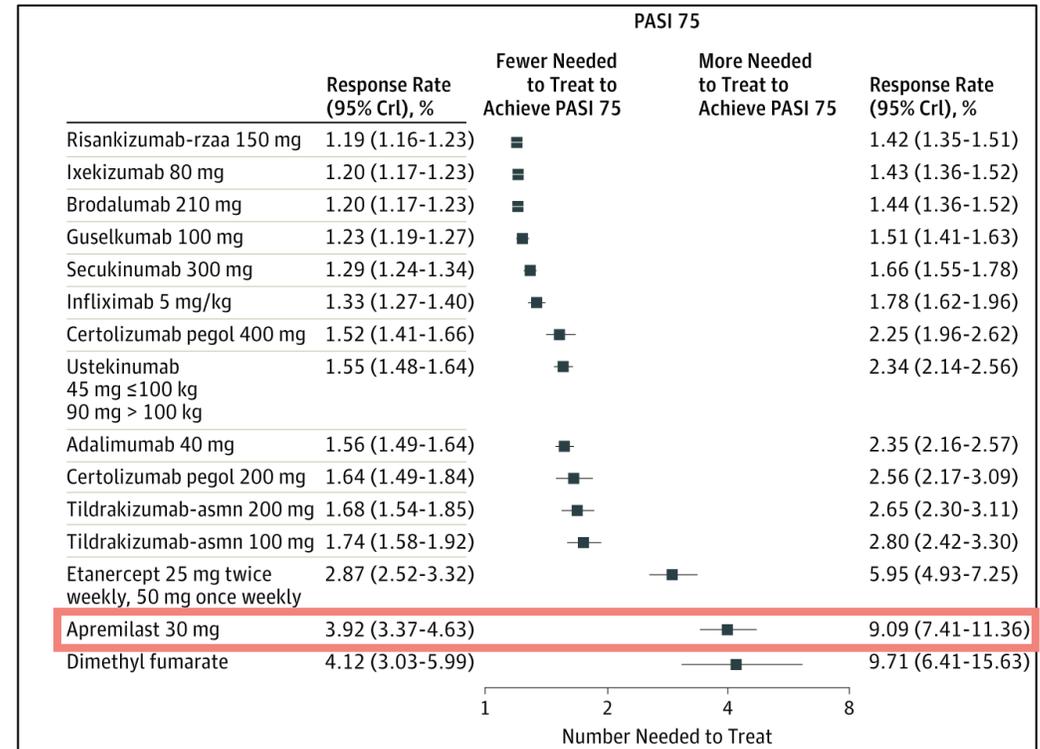
The only oral therapy approved for all severities of adult **plaque psoriasis** and **psoriatic arthritis**

US Weekly TRx <sup>2)</sup>



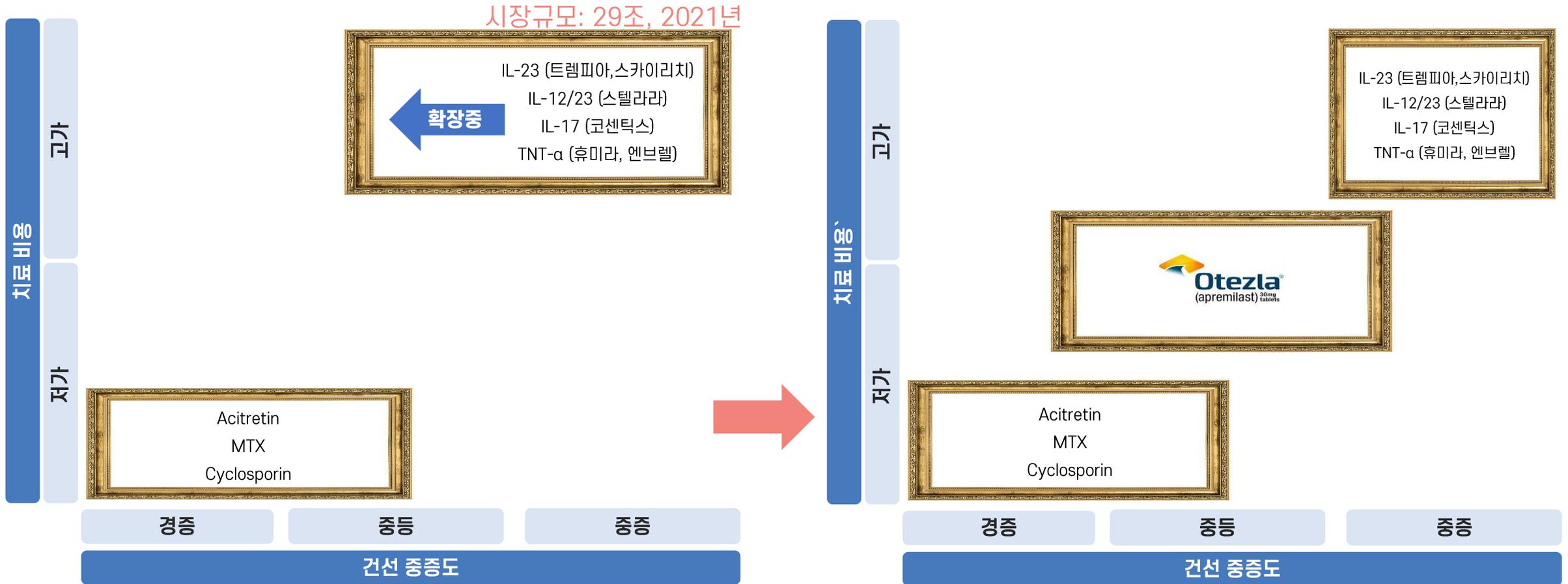
## 건선 치료제별 효과 비교를 위한 Meta-분석<sup>3)</sup>

건선 중증도 평가지수(PASI)별 위약 대비 필요한 치료 횟수 비교에서 오테즐라가 타 치료제 대비 많은 치료 횟수를 요함\*



\*Head-to-Head 스터디가 아닌 각각의 연구결과를 종합분석한 Meta-분석 결과임

# 오테즐라(AMGEN) : 적합한 포지셔닝 전략으로 처방 1위



# 3. Positioning-based R&D Strategy

**1. MT103**

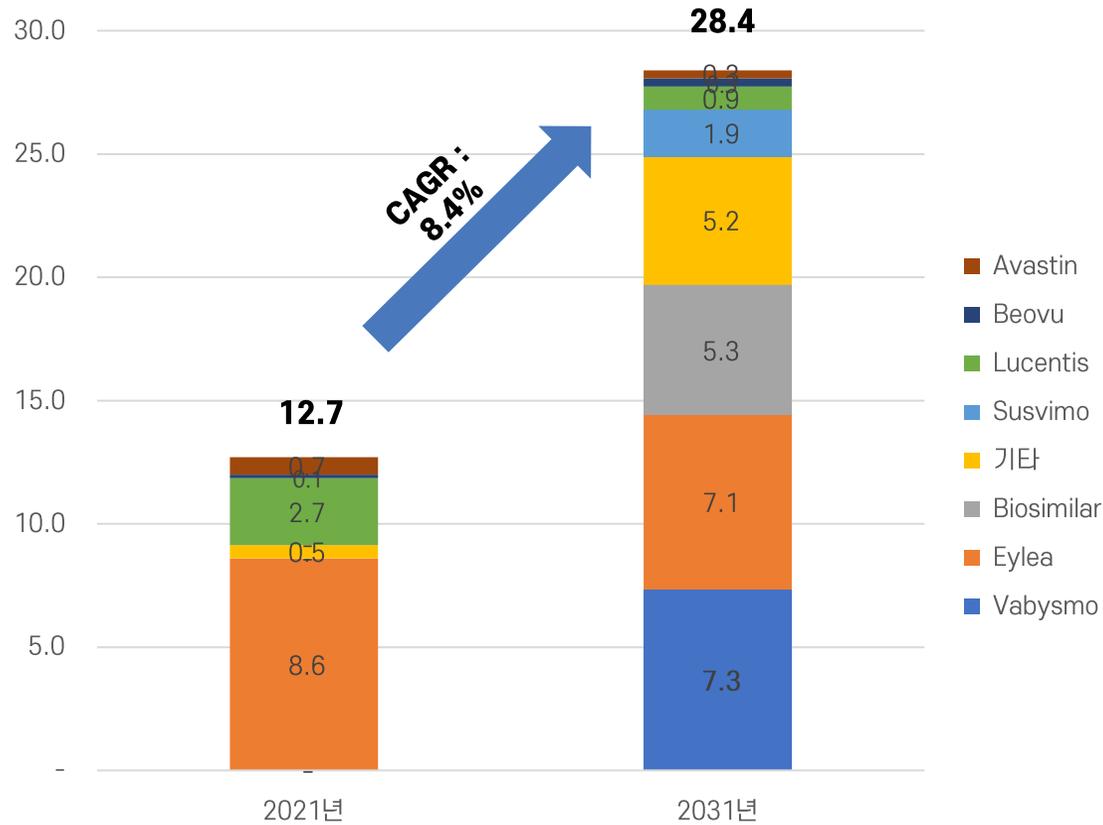
2. CU104

3. CU106

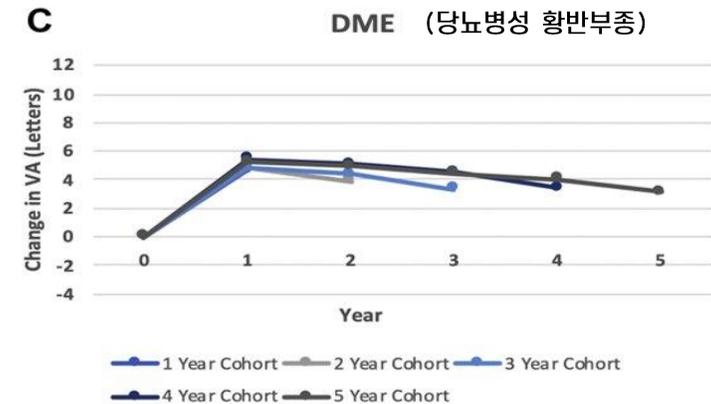
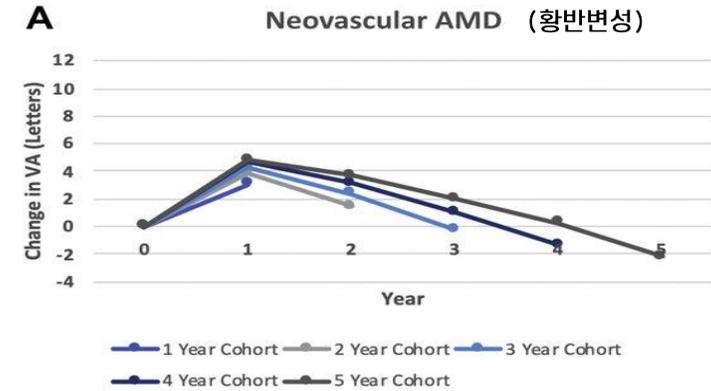
# 당뇨병성 황반부종/습성 황반변성 시장 전망 및 VEGF 차단 항체 치료제의 한계

〔 항체시장 : 2031년 38조 규모로 폭발적 성장 예상<sup>1)</sup> 〕

기준 : 선진국 7개국 단위 : 십억달러



〔 시간이 지나면서 효과가 감소 : 교체 투약 필요<sup>2)</sup> 〕

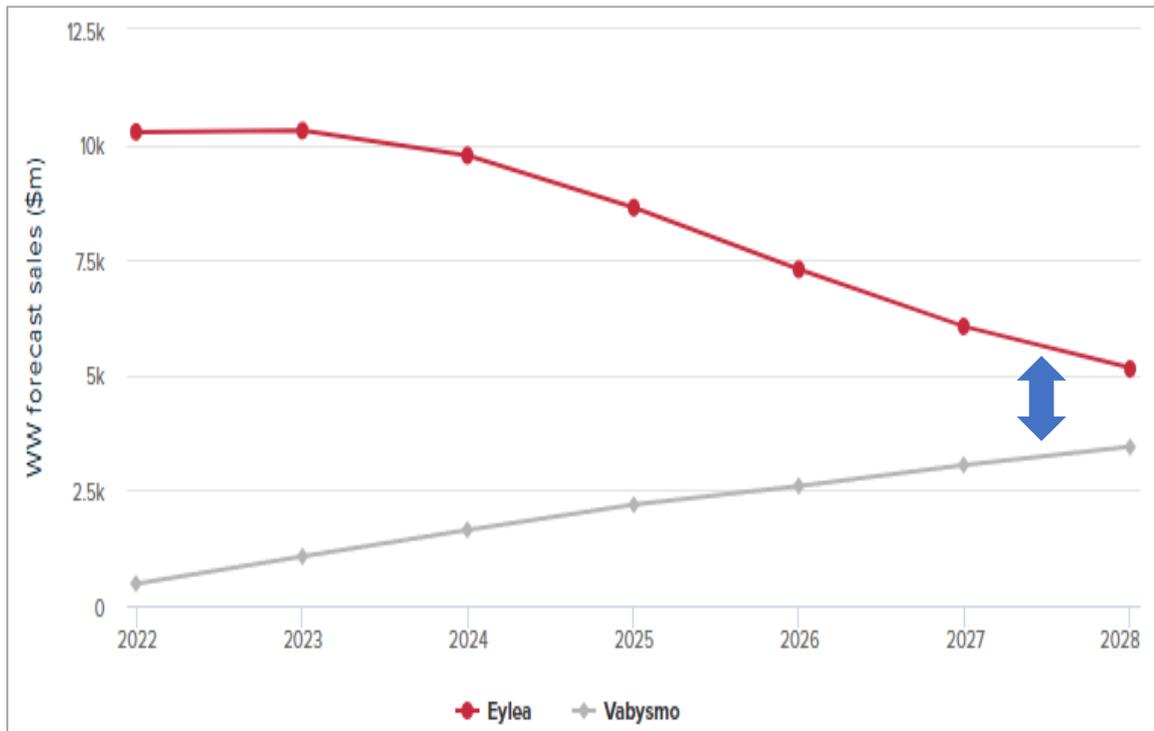


1) Global Data Drug Forecast and Market Analysis (2022), 2) Ciulla et al., Ophthalmol. Retina (2022)

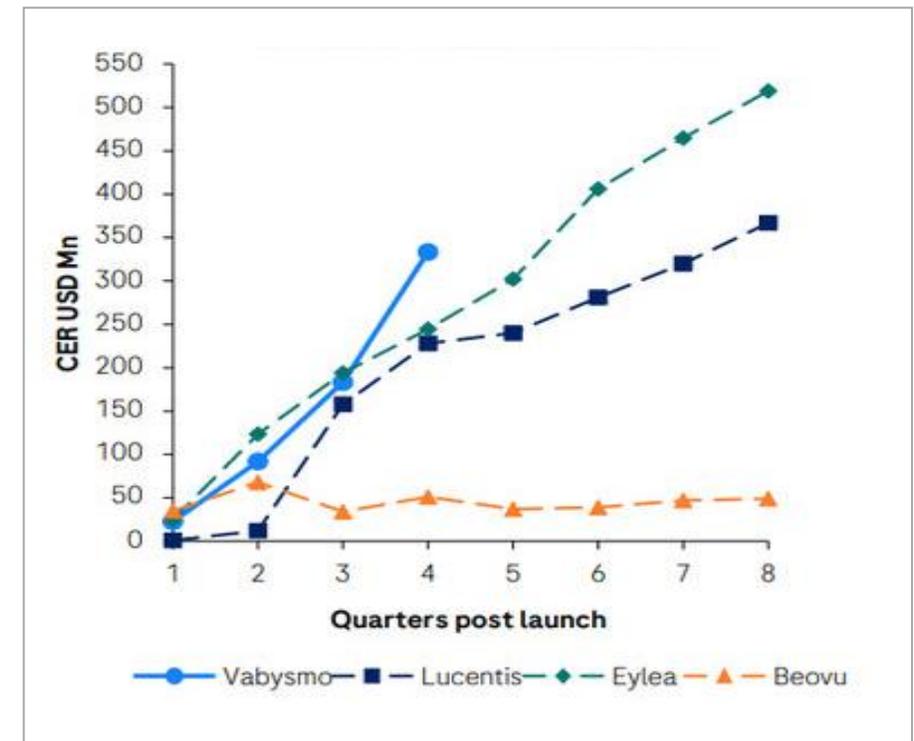
# VEGF와 Ang-2를 동시에 차단 하는 이중항체 (바비스모, 로슈)의 시장 전망

## 〔 바비스모 vs. 아일리아 글로벌 판매 예측 차이1) 〕

2030년 이후 바비스모가 아일리아 매출을 추월할 것으로 전망

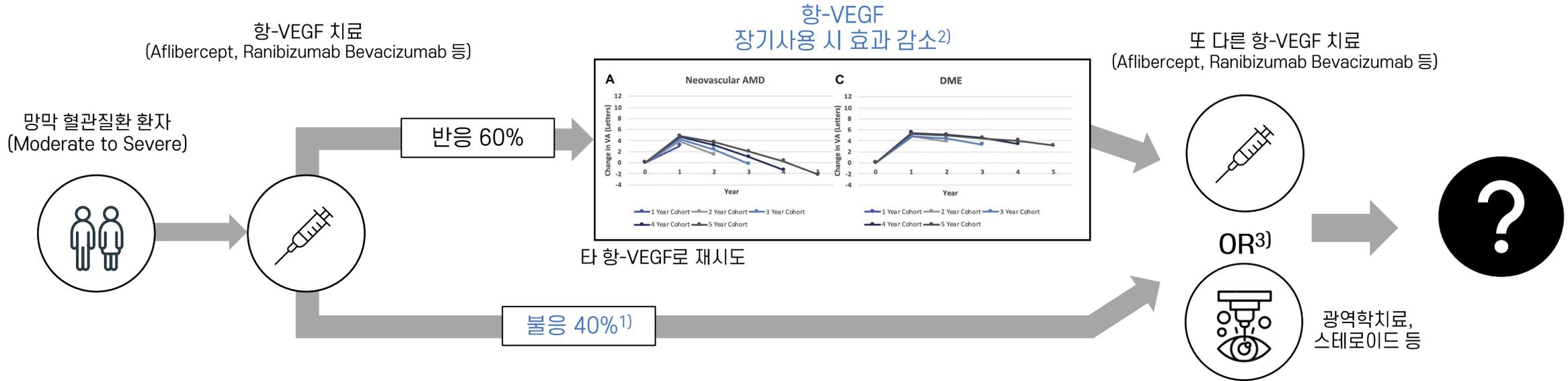


## 〔 항체 치료제 출시일 기준 분기별 매출 차이2) 〕



1) Evaluate Oct 2022 2) Evaluate Feb 2023

# 항 VEGF 투여 기반의 치료 패러다임 (현재)



1) <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fendo.2023.1108097/full> 2) Ciulla et al., Ophthalmol. Retina (2022) 3) Wong et al., Ophthalmology(2018)

# 이중항체 등장으로 망막 혈관질환 치료 패러다임의 변화 예측

## 새로운 치료 패러다임

1차 치료: 단일항체



2차 치료: 이중항체



## 미래 치료 패러다임

3차 치료: ??



1차 치료: 이중항체



2차 치료: ??



1차 치료: ??



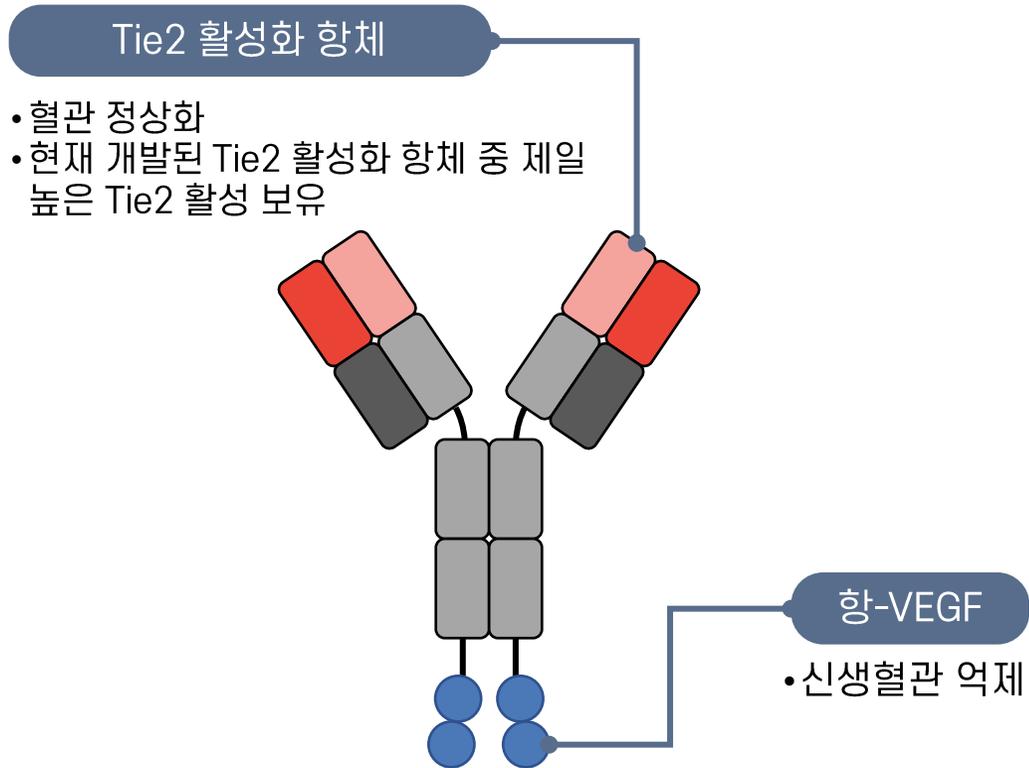
2차 치료: 이중항체



# MT-103 : 혈관 망막 질환 치료의 차세대 이중 항체\*

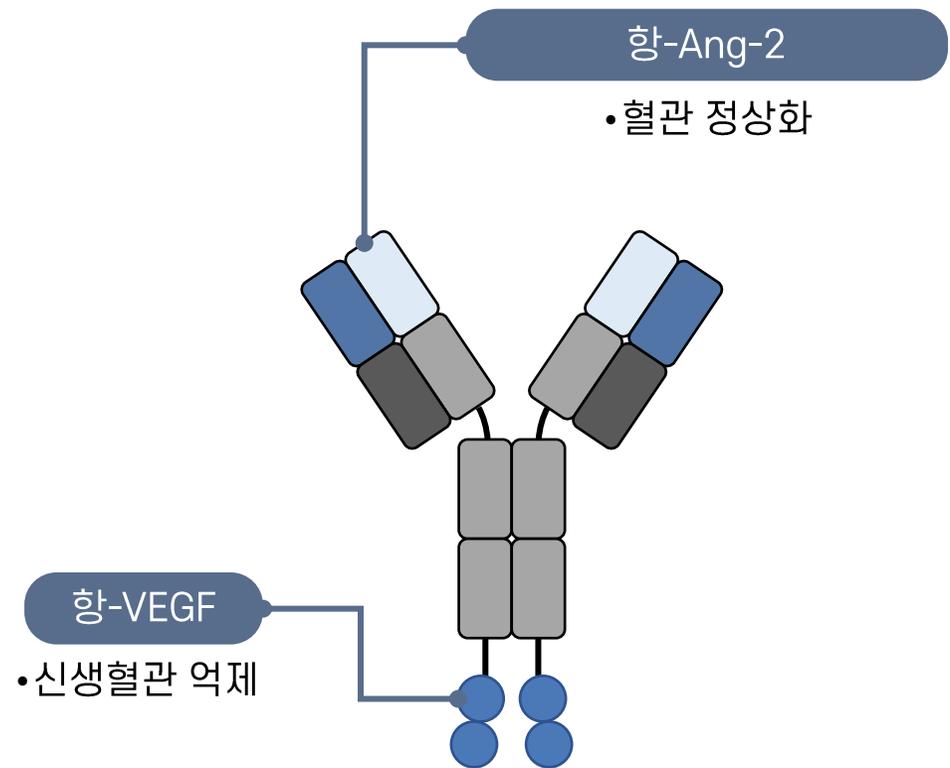
## MT103(맵틱스)

Tie2 활성화 항체 + 항-VEGF



## 바비스모(로슈)

항-Ang-2 + 항-VEGF

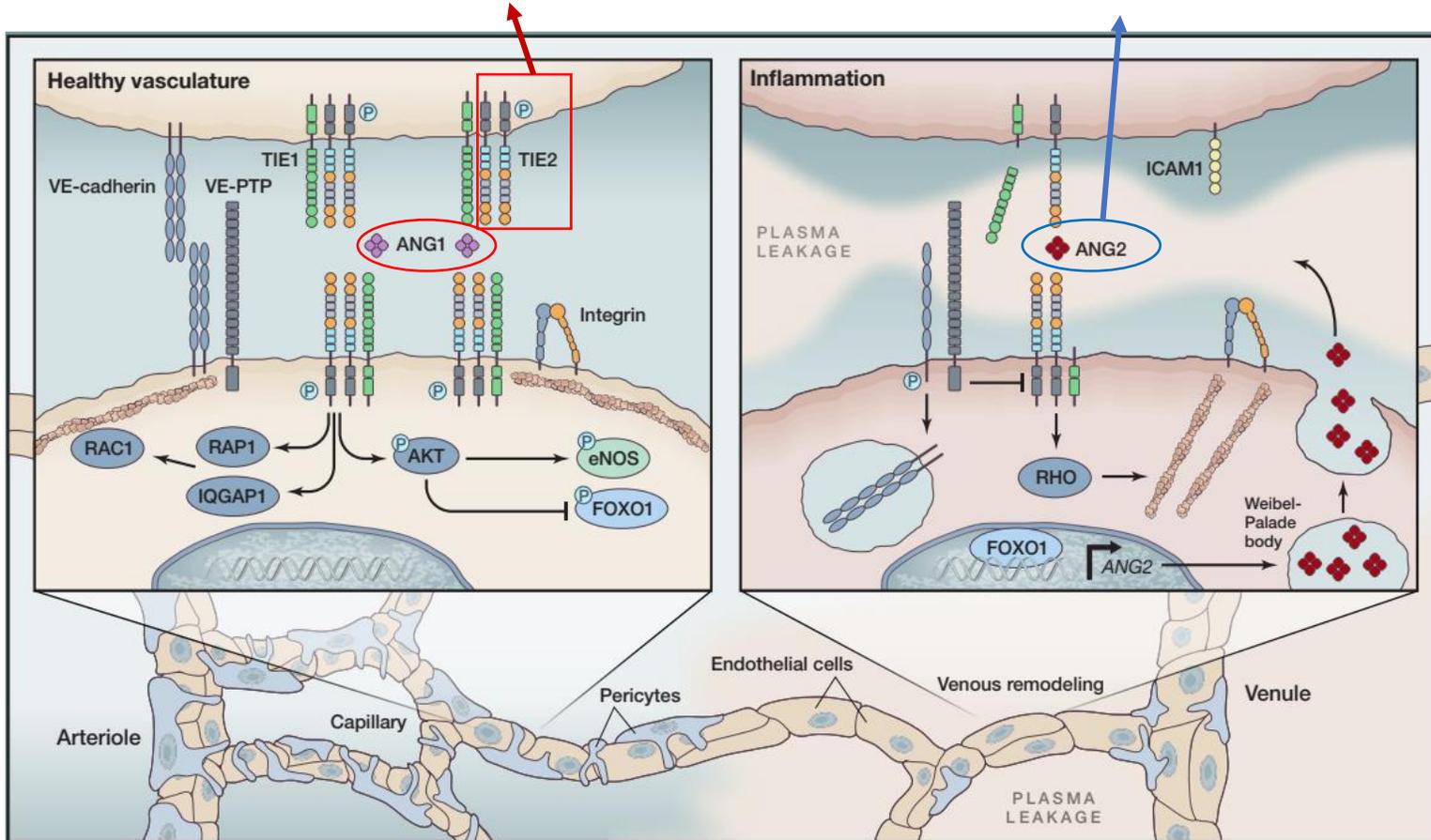


\* 각 이중항체는 이해를 돕기 위해 임의로 제작되어 실제와 다를 수 있습니다.

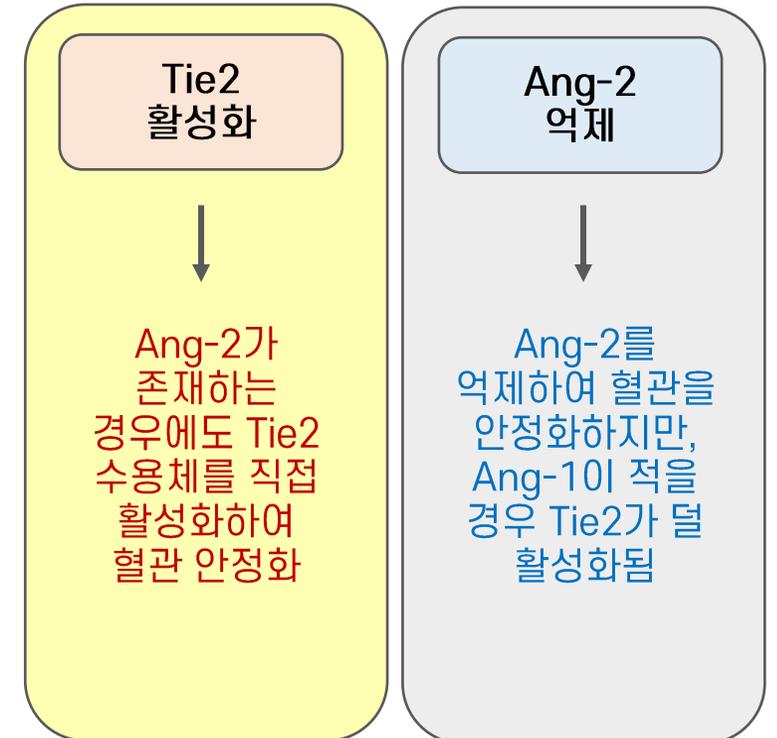
# Tie2를 직접 활성화 함으로써 Ang-2를 억제하는 것 이상의 효과 기대

- **Ang-1/Tie2 신호 전달**
  - 내피 세포 투과성 유지
  - 혈관 안정화/정상화

- **Ang-1/Tie2의 길항제인 Ang-2**
  - 혈관 불안정화
  - 내피 염증 ↑



## Therapeutic approach



# 3. Positioning-based R&D Strategy

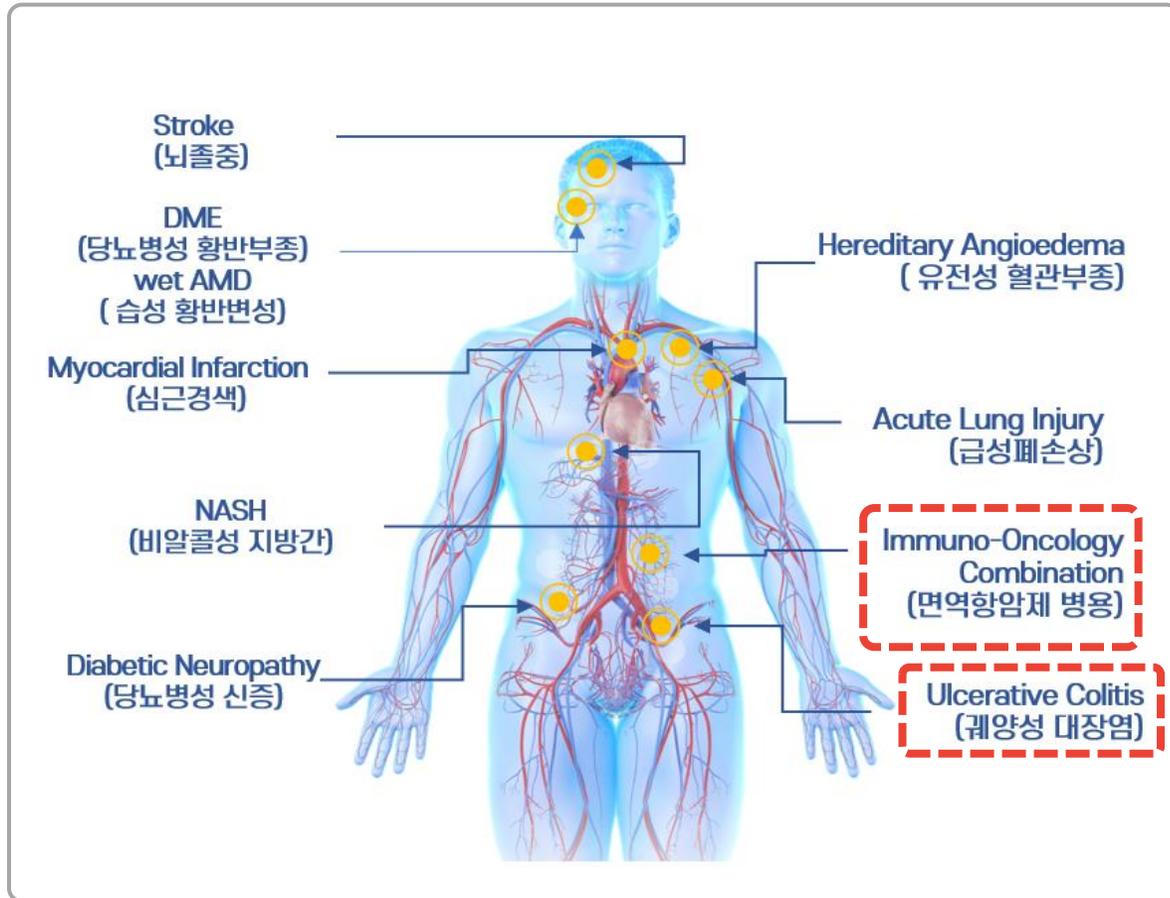
1. MT103

**2. CU104**

3. CU106

# 미충족 의료수요 + 사업적·임상적 차별화를 고려하여 개발 우선순위 선정

## 〔혈관내피기능장애 연관 질환〕

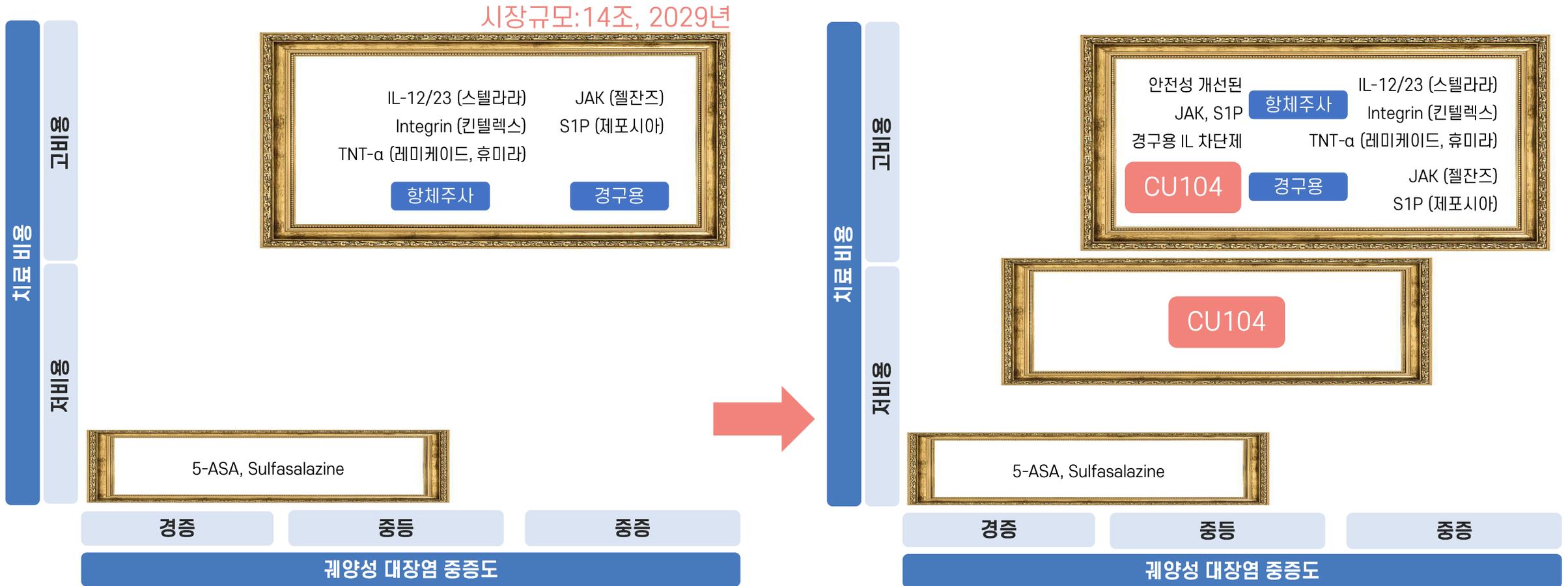


사업화 가능성  
+  
의학적 차별화 가능성  
+  
보험 약가  
+  
확장성 등



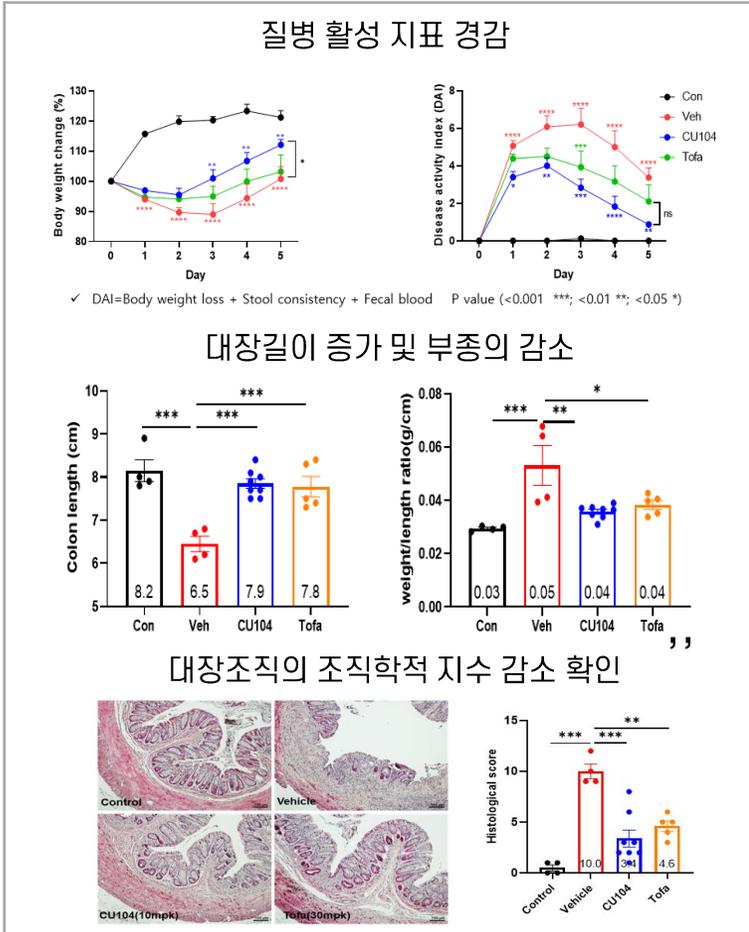
**CU104(궤양성 대장염)**  
**CU106(면역항암제 병용요법)**

# 효과/안전성 높은 경구용 약제에 대한 미충족 수요 및 포지셔닝 옵션

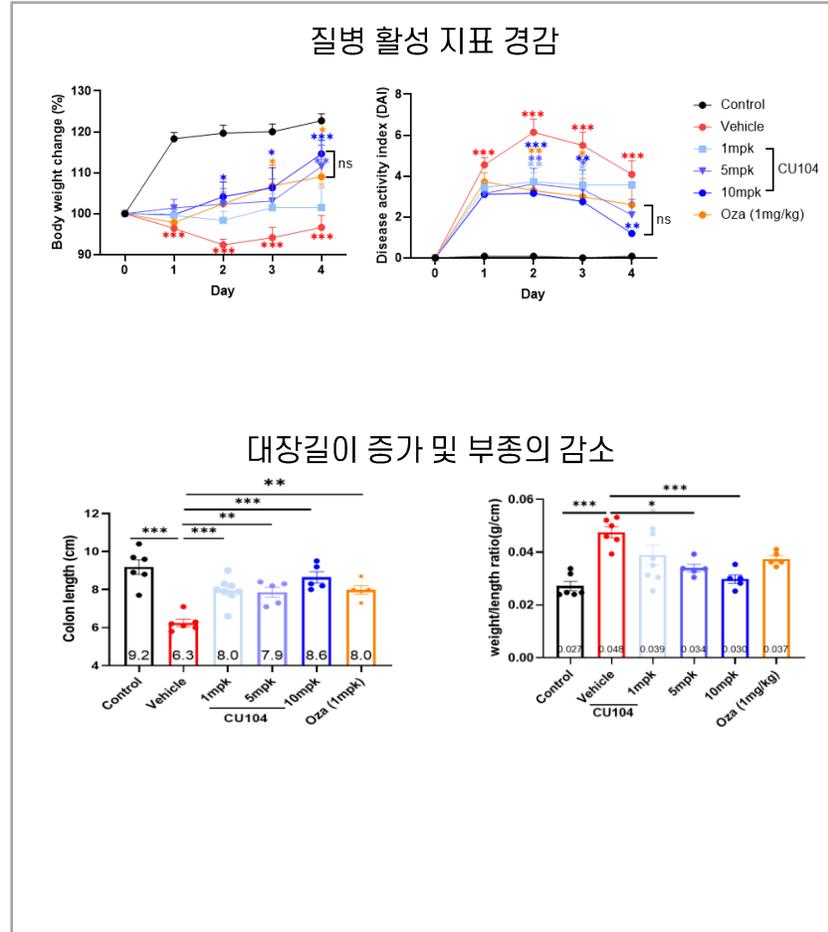


# CU104 : 다양한 동물 모델에서 기존 치료제와 최소 동등 이상의 효과

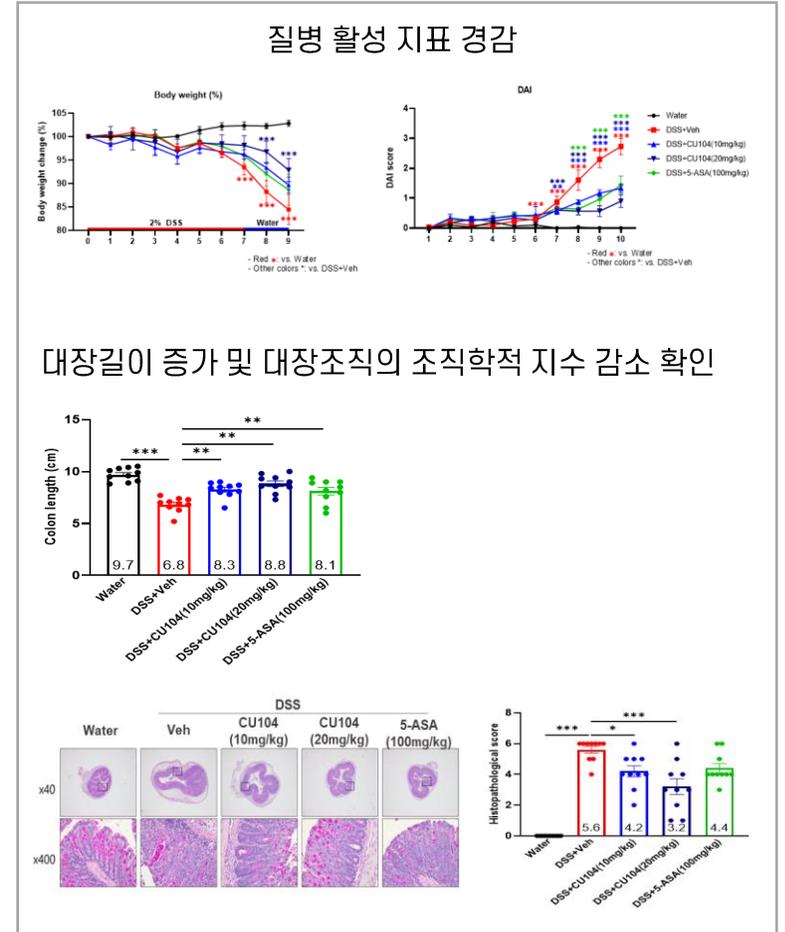
## DNBS 동물모델(JAK 억제제 비교)



## DNBS 동물모델(S1P 수용체 조절제 비교)



## IL-10 Knockout 동물모델





## 큐라클

- 항체 및 자가면역 질환에서 10년 이상의 비즈니스 경험
- 비임상 시험에서 기존 치료제 대비 최소 동등 이상의 효과 확인 (JAK 억제제, S1P 수용체 조절제)



## 신촌세브란스병원 연구실

- 비임상 시험 공동연구
- 질환 특성을 잘 나타내는 IL-10 Knockout 동물실험에서 효능 확인



## 서울아산병원 염증성장질환센터

- 글로벌 임상 연구 관련 자문



## 국가임상시험지원재단

- 임상 디자인 설정 협업

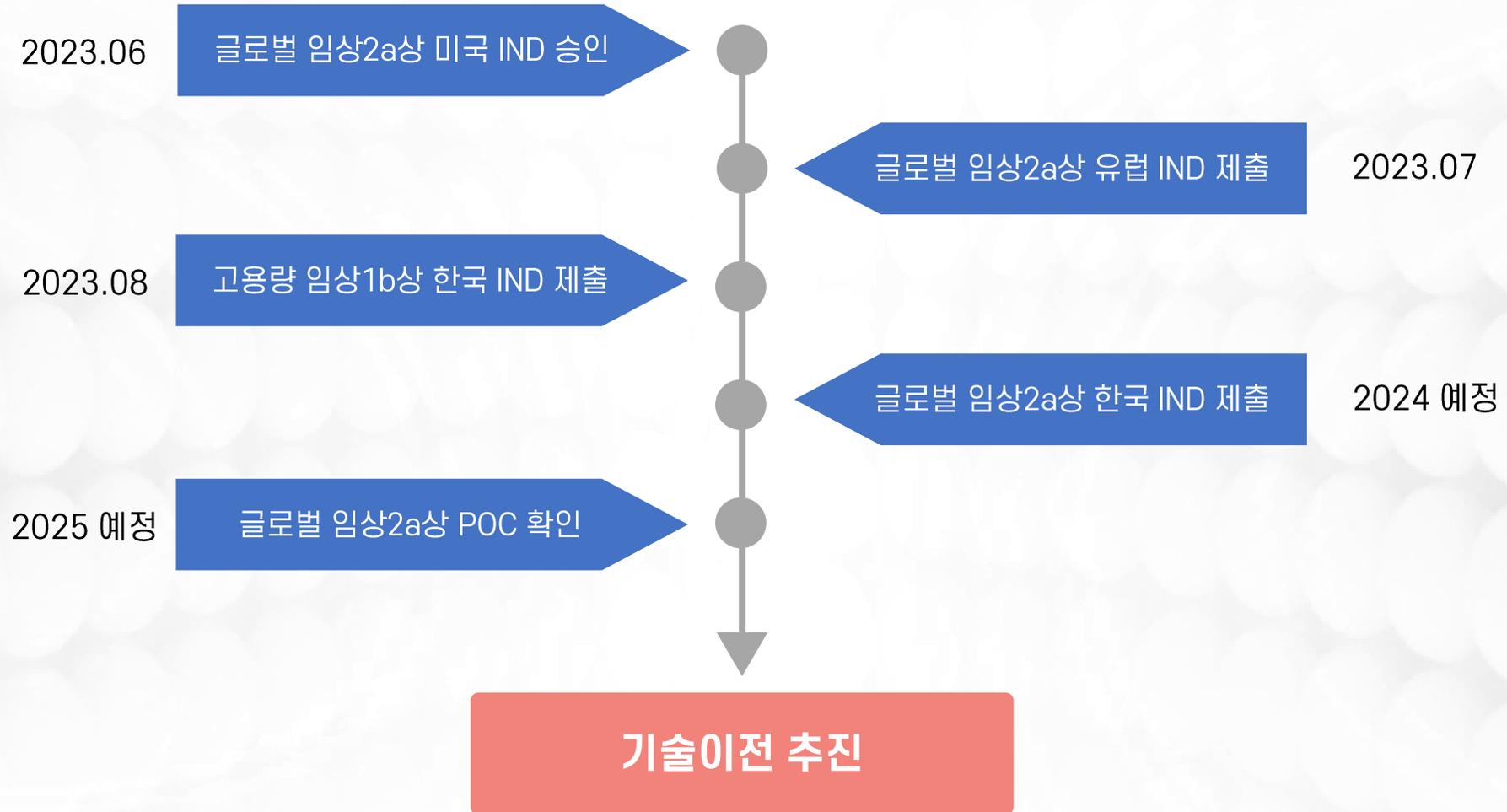


## 서울대학교 약학대학 임상약학 연구실

- 임상 결과 해석과 임상 디자인 설정을 위한 MOU



# CU104 : Key Events

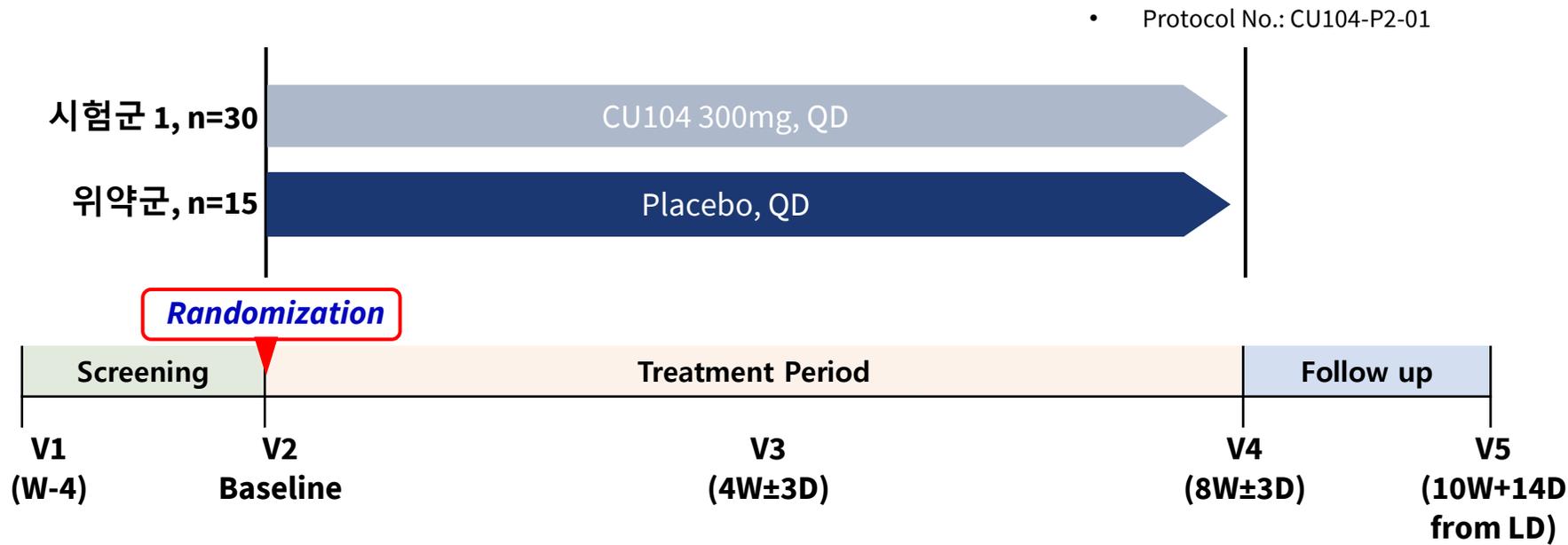


# [CU104] 글로벌 임상2상 연구디자인 및 진행과정

## Phase 2 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of CU104 in Patients with Moderate to Severe Ulcerative Colitis

\* Randomized, Double-blind, Placebo-controlled, Multi-center Phase 2 Study

임상연구 마일스톤



- 연구자 미팅
- 첫 환자 등록
- 마지막 환자 등록
- 데이터 분석
- CSR

\*Clinical sites located in the United States, Europe, and South Korea

\*LD=Last Dose

# 3. Positioning-based R&D Strategy

1. MT103
2. CU104
- 3. CU106**

# CU106 : 종양미세환경 개선을 통해 면역항암제 치료효과를 높이기 위한 연구 증가

〔암종별 면역항암제의 낮은 반응률<sup>1)</sup>〕



〔종양미세환경 개선에 대한 글로벌 제약사의 관심 증가<sup>2)</sup>〕



머크사는 면역항암제의 효과·안전성을 높이는 새로운 치료법의 발견을 가속화하기 위해 **종양미세환경 연구 진행 중**

**Uniting expertise to accelerate discovery and development of new treatments**

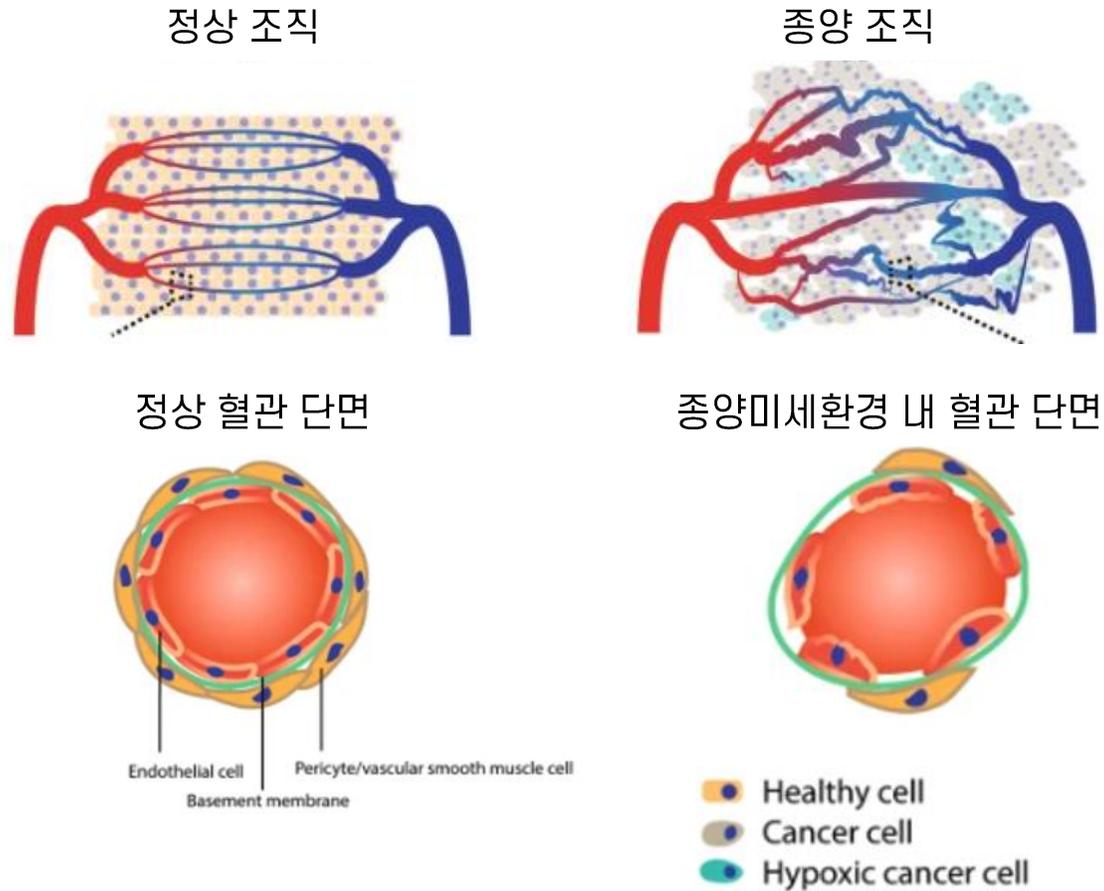
The journey to creating access to treatments begins with new discoveries. In cancer, every moment counts. By uniting our colleagues across our research departments and laboratories and with external research partners and academia, we can combine our expertise to innovate more efficiently and effectively.

An example of this in action is IMMUcan, a public-private consortium under Merck Healthcare leadership. In a true collaborative effort between multiple pharma partners and high-profile academic institutions, IMMUcan is generating patient-derived molecular and cellular profiling data of the human tumor microenvironment supplemented with clinical data. This data set will allow us to much better understand how the immune system and tumors interact, to delineate the impact of current therapies, and eventually, to discover new biomarkers and maximize therapeutic opportunities for patients.

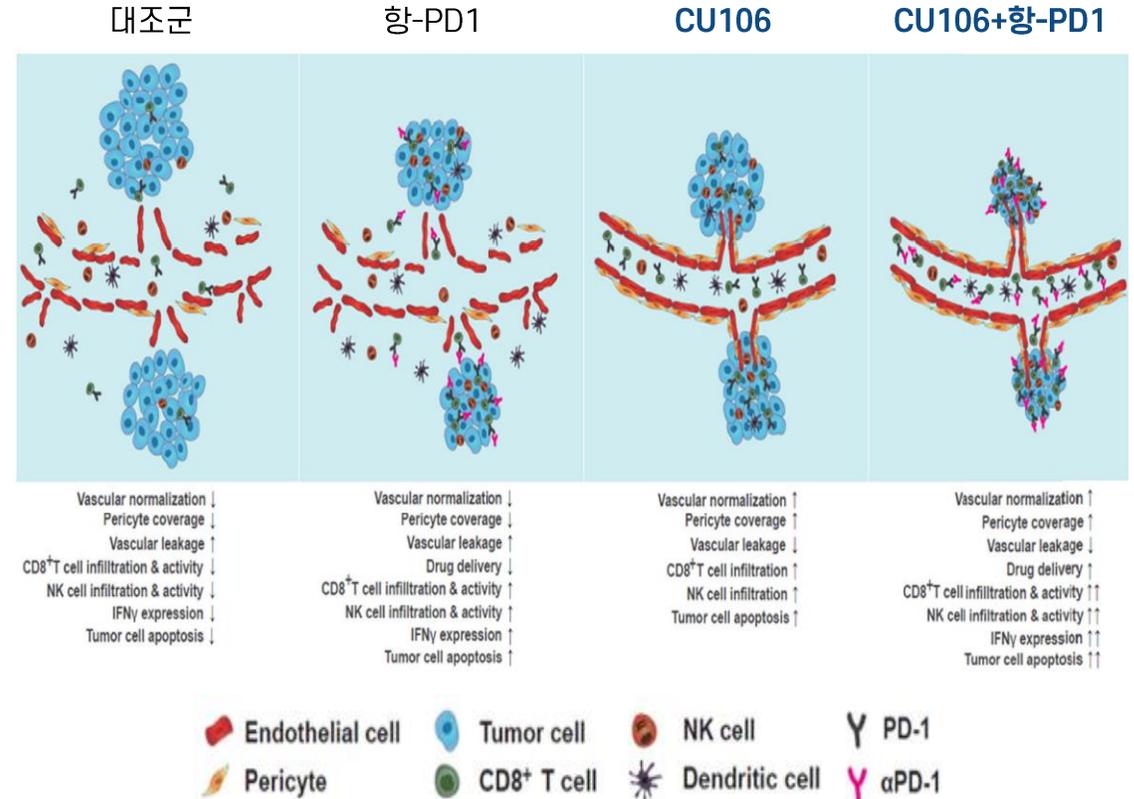
1) 한경바이오인사이트 2) merck.com

# CU106 : 면역항암제 치료범위를 확장시키는 새로운 시장

## 〔종양미세환경\*(TME)으로 인한 항암치료 효과 제한<sup>1)</sup>〕



## 〔면역항암 치료에서의 CU106 역할〕



\*종양미세환경 : Tumor MicroEnvironment. 종양 내에 존재하는 혈관세포, 기질세포, 면역세포 등 구성세포 집단 뿐 아니라 이들의 환경 (약산성화 및 저산소증)까지 총칭하는 포괄적인 개념

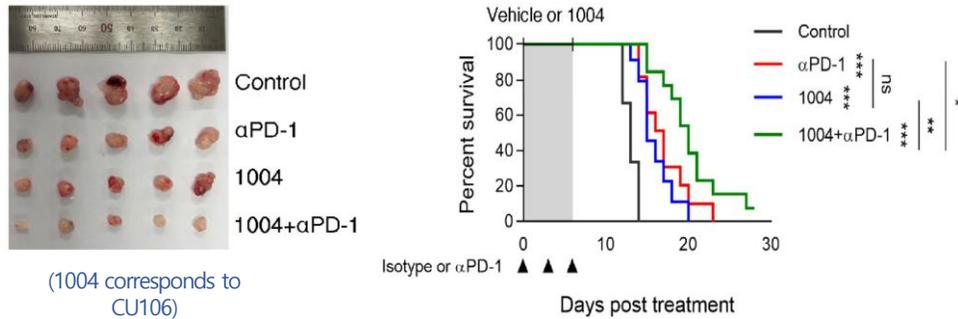
1) <https://www.nature.com/articles/s41419-017-0061-0>

# CU106 : 항-PD1, IL-2 면역항암제 병용 동물모델에서 효과·안전성 증가 입증

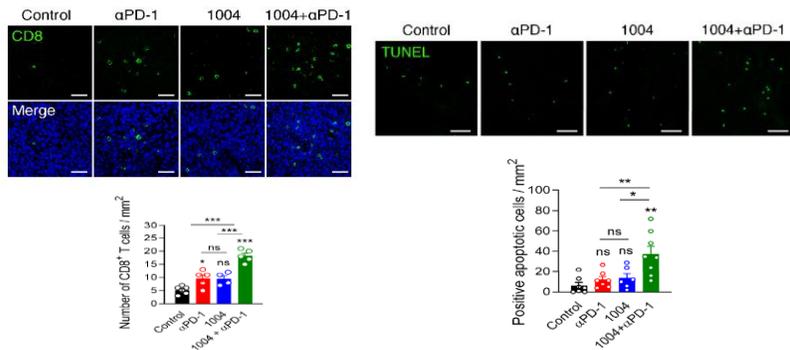
## 항-PD1 병용 모델에서 종양 성장 억제 및 T세포 증가 확인

종양 성장 억제 및 생존율 증가 확인

[CU106: 1 mpk, IV, mouse MC38 colon cancer model]



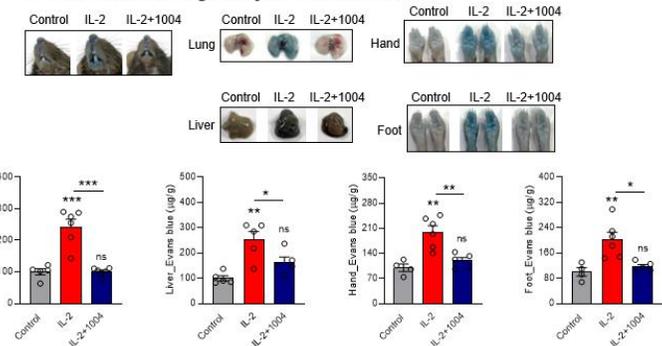
암조직에서 CD8+ T세포 증가 및 암세포 사멸 증진 효과



## IL-2 병용 모델에서 VLS 개선 및 내피세포 손상 억제 확인

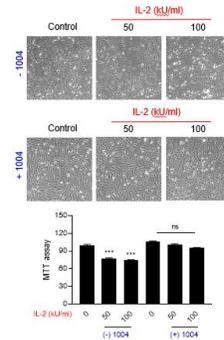
혈관누수증후군(VLS)\* 개선 확인

❖ Evans blue staining/ analysis in normal mouse

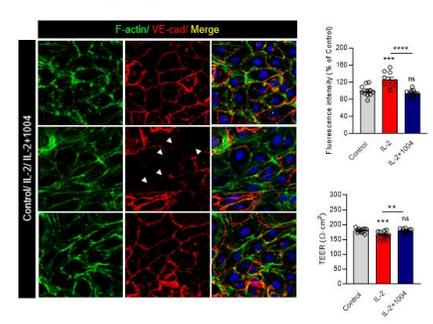


IL-2에 의한 내피세포 손상 억제 및 과투과성 완화 확인

❖ Cell viability assay



❖ Permeability assay



\*혈관누수증후군(VLS) : IL-2 면역항암제의 부작용으로 혈관 긴장도 소실과 혈장 단백질 및 수분의 혈관 외 유출이 발생

## 허가된 면역항암제와 공동개발

- 빠른 기술이전 가능성
- 빠른 상업화 가능성

**FDA**  
**APPROVED**

&

## 개발중인 면역항암제와 공동개발

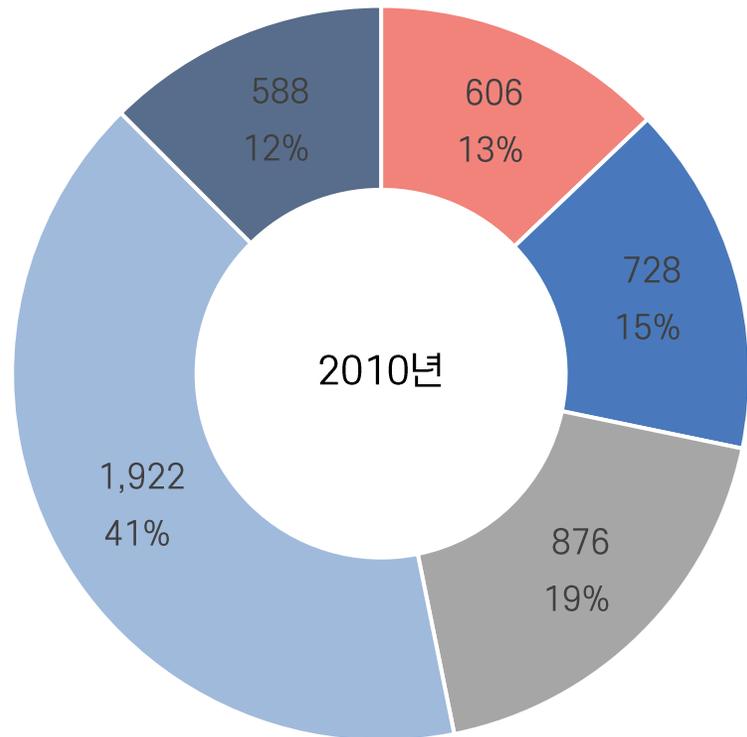
- 빠른 공동연구 진입
- 전략적 투자와 동반성장



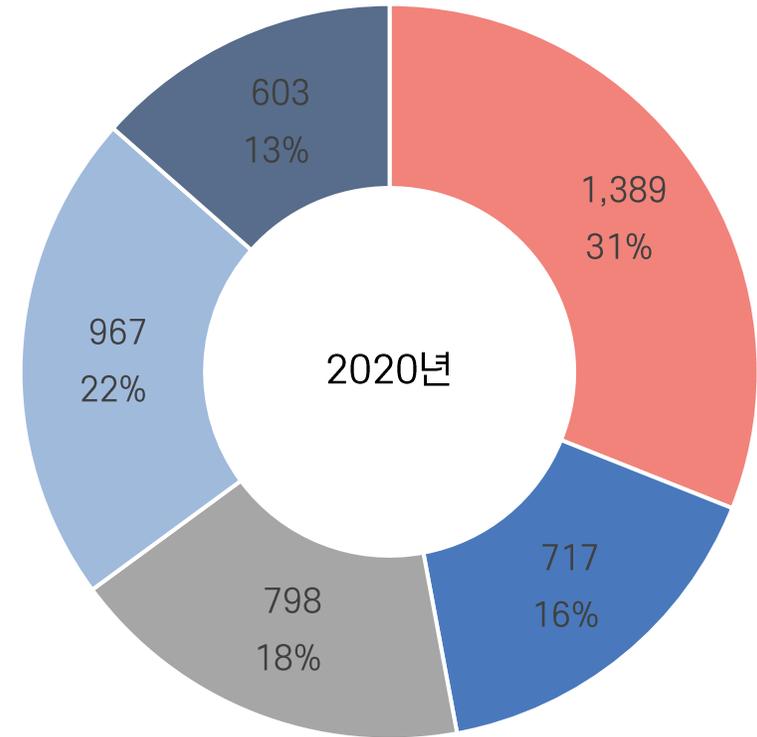
# 4. Open Innovation

# 오픈 이노베이션을 통한 제약·바이오 파트너십 증가

〔 제약·바이오 회사간 딜 건수&비율<sup>1)</sup> 〕



- 임상 협력
- 상업적 협력 및 조인트 벤처
- 라이선싱
- 재무적 투자
- M&A



1) Innovation sourcing in biopharma: Four practices to maximize success | McKinsey

# 오픈 이노베이션 : 다양한 형태의 협업을 통한 R&D 시너지 극대화



## 개방형 혁신을 통한 혈관내피기능장애 연구개발 강화

- 글로벌 혁신신약 개발을 위한 Collaboration
- 혈관내피기능장애에 대한 새로운 치료제 발굴

## 신사업을 통한 사업영역 확장

- 반려동물용 혈관내피기능장애 치료제 탐색 및 개발
- 노인성, 혈관성 질환 관련 사업기회 탐색(건기식, MedTech...)

## 23.04 서울대 약학대학 임상약학 MOU



궤양성 대장염 치료제 CU104 임상시험 결과해석, 임상 디자인 설정 지원 등 임상개발을 위한 업무협약 체결

## 23.06 반려동물신약개발사업단 MOU



반려동물의약품 신약개발 관련 임상연구, 상용화 및 해외 진출에 대한 상호협력을 위한 업무협약 체결

## 23.06 맵틱스 MOU



혈관내피기능장애 치료제인 Tie2 활성화 항체 공동 연구개발 및 전략적 사업화를 위한 업무협약 체결

## 23.07 스탠다임 MOU



AI 플랫폼을 활용한 기존 파이프라인 개발 가속화 및 혁신적인 신약 타겟 발굴을 위한 업무협약 체결

# 신약개발 글로벌 경쟁력 확보를 위한 자문위원 네트워크

## 임상개발



### Jee Eun Lee

- 前 US FDA 소속(2009-2018)
- Office of Clinical Pharmacology Reviewer(NDA·BLA·IND Review)

### Ju-Yeun Lee

- 서울대학교 약학대 부교수
- 서울대학교 약학대학 임상약학 박사
- 서울대학교 약학과 졸업

## Pipeline R&D



### Byong Duk Ye

- 現 서울아산병원 의사, 교수
- 염증성 장 질환 등 소화기 내과 전문의
- 서울대학교 대학원 의학과 박사

### Jae-Hee Chun

- 연세대 교수, 세브란스병원 의사
- 대한장연구학회(KONNECT) 소속
- 서울대학교 대학원 의학과 박사

## 법률·전략 자문



### Chris KJ.Choi

- 現 CnP법률사무소 대표
- 前 김·장 법률사무소 변호사
- 서울대학교 약학대학 제약학과 졸업

### Bernard K.Ham

- 現 법무법인 지평 시니어 변호사
- 前 (주)씨젠 전무(제조, BD, 법무)
- Seton Hall University School of Law(J.D)

# 맵틱스 : Tie2 활성화 항체와 이중/다중 항체 기술을 보유한 전도유망한 기업

구분	파이프라인	적응증	비고	투여경로	Discovery	Preclinical	Phase I	Phase II	Partner
GROWTH Drivers	MT-101	급성신손상 (Acute Kidney Injury)	혈관 정상화 및 기능성 혈관 신생	주사	전임상 준비				
	MT-102	허혈성 말초혈관 손상		주사	전임상 준비				
	MT-103	습성 황반변성, 당뇨병성 망막병증	Tie2 이중항체 혈관 정상화 기반 항암 병용	주사	전임상 단계				
	MT-201	염증성 혈전질환	항혈소판 응집	주사	후보 물질 발굴				
	MT-301	Solid Tumor (고형암)	혈관 정상화 기반 항암	주사	후보 물질 발굴				
	MT-40X	Solid Tumor (고형암)	T세포 활성화/ 표적 약물 전달	주사	후보 물질 발굴				
	Tie2 기반 이중항체 2,3...	혈관 관련 난치성 질환	개발우선순위 검토 중	주사	후보 물질 발굴				
	다중항체-1,2...	난치성 질환	개발우선순위 검토 중	주사	후보 물질 발굴				

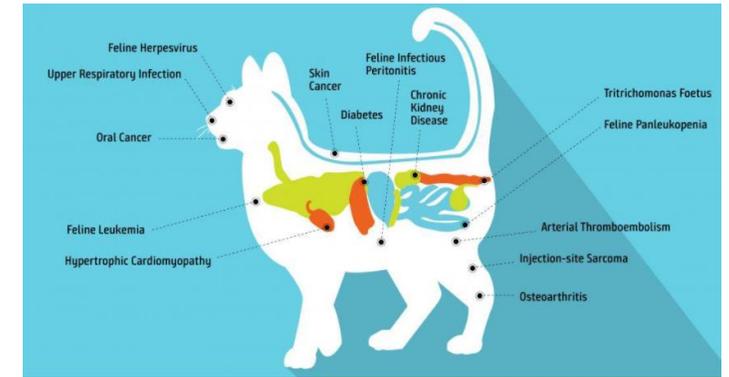
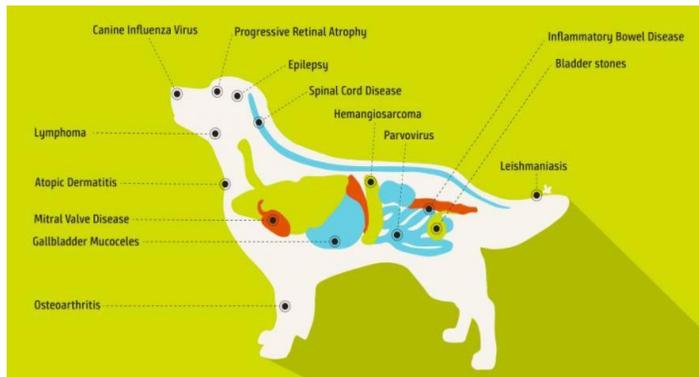
# 반려동물신약개발사업단 : 반려동물 난치성 질환 치료제 공동개발

- 혈관내피기능장애 연관 반려동물 난치성 질환의 미충족 의료수요(Medical Unmet Needs) 존재
- 공동개발 기술계약 체결(23.09.11) : CU06 → 반려동물 신부전 적응증 치료제로 개발

## 반려동물 질환 유병률 Top 10<sup>1, 2)</sup>

■ 혈관내피기능장애 연관 질환

	<u>Dogs</u>	<u>Cats</u>
1	■ Skin Allergies	Bladder or Urinary Tract Disease
2	Ear Infection	Periodontitis/Dental Disease
3	Non-cancerous Skin Mass	■ Chronic Kidney Disease
4	■ Skin Infection	Vomiting/Upset Stomach
5	Arthritis	Excessive Thyroid Hormone
6	Vomiting/Upset Stomach	Diarrhea/Intestinal Upset
7	Periodontitis/Dental Disease	Diabetes
8	Diarrhea/ Intestinal Upset	■ Inflammatory Bowel Disease
9	Bladder or Urinary Tract Infection	Upper Respiratory Infection
10	Soft Tissue Trauma (Bruise or Contusion)	Lymphoma



1) Veterinary Pet Insurance(VPI) Co. USA 2015) 2) NationwideDVM.com, 2009~2018년간)

# 스탠다임 : AI 플랫폼을 이용한 신약 개발 가속화 & 포트폴리오 확충

## 〔 AI 활용 신약 개발 이점<sup>1)</sup> 〕

**신약 개발  
기간 및 비용  
단축**



### 후보 물질 도출 단계

- 100만 건 이상의 논문을 빠르게 탐색
- ▶ 시간과 인건비 최소화

---

### 임상시험 단계

- 신약 후보 물질 제시
- 최적의 임상 대상 환자군 도출

## 〔 큐라클과 스탠다임 AI 플랫폼의 시너지<sup>2)</sup> 〕

Discover first-in-class leads within average 7 months with our optimized workflow



- CU04, CU05, CU07 개발 가속화
- New Target 차세대 약물 발굴

1) 한국보건산업진흥원 2) 히트뉴스



# THANK YOU

문의: [curacle\\_ir@curacle.com](mailto:curacle_ir@curacle.com)



**CURACLE**  
GLOBAL LEADING R&D INNOVATOR

# APPENDIX

본문 외 파이프라인 현황(CU01, CU03)  
요약 재무제표(2023)

# CU01

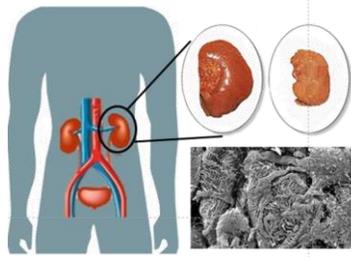
당뇨병성 신증

# [CU01] 당뇨병성 신증 치료제

## 당뇨병성 신증

### 1 정의

당뇨병의 합병증으로  
신장의 세포와 혈관이  
손상되는 질환



### 2 미충족 의료수요

고혈압 치료제 및 당뇨 치료제를 제한적으로 사용  
(현재는 혈압약을 적정 최고용량까지 사용)

개발 중인 신장 섬유화 치료제 부재  
(경쟁약물 SGLT-2 억제 당뇨 치료제는 효과 한계)

### 3 작용기전

Nrf2 활성화를 통한 항산화, 항염증 작용

TGF-β/Smad3 억제를 통한 섬유화 억제 작용

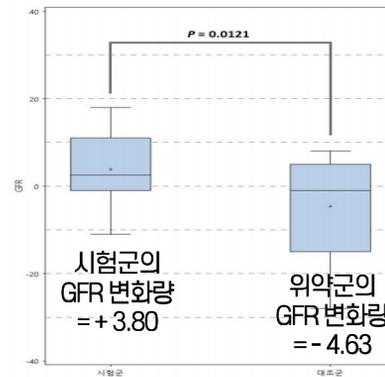
Nrf2 : 항산화 반응을 조절하는 인자. 활성화되면 산화 스트레스를 감소하고 전염증성 신호전달을 억제하여 염증 해소를 촉진 TGF-β/Smad3 : 활성화되면 섬유화가 진행되는 인자  
FAS분석 : 무작위 배정된 대상자 중 제외사유가 정당한 최소한의 대상자들을 제외한 분석군

## 임상 2상, 우수한 효능 및 안전성 확인

### CU01 복용 후, 사구체 여과율(GFR) 기능 향상

### 복용 안전성 확인

#### 기저치 대비 12주 투여 종료 시점의 GFR 변화량 (FAS 분석)



CU01 3.80±8.72mL/min/1.73m²

위약군 -4.63±11.14 mL/min/1.73m²

투여군 간 유의미한 차이 확인  
(p-value=0.0121)

#### 기저치 대비 12주 투여 종료시점의 ACR 변화량

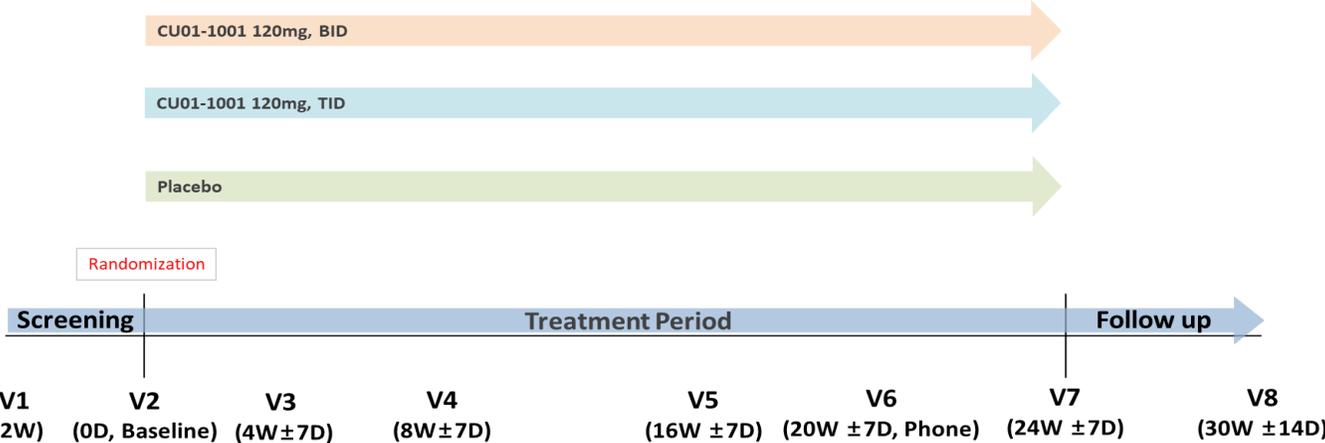
ACR 변화량 중앙값: 시험군 -39.65, 위약군 -16.9  
→ 즉, 시험군의 ACR 이 더 감소하였음을 확인

- GFR(Glomerular Filtration Rate) : 사구체여과율
- ACR(Albumin Creatinine Ratio) : 알부민 크레아티닌 비율

시험약과의 관련성 있는  
중대한 약물 이상반응 0건,  
사망사례 0건

23년 1월 국내  
2b상 임상 연구 개시

# [CU01] 당뇨병성 신증 치료제 - 임상 2b 계획

<b>Study Title</b>	A multi-center, randomized, double-blinded, placebo-controlled, parallel Phase IIb clinical trial for the efficacy assessment and safety evaluation by treating CU01-1001 for 24 weeks in type 2 diabetic nephropathy patients with albuminuria
<b>Inclusion/Exclusion Criteria</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Type 2 Diabetes</li> <li>• ACEi or ARB use at least 8 weeks before the screening</li> <li>• <math>200 \text{ mg/g} \leq \text{uACR} \leq 1000 \text{ mg/g}</math></li> </ul>
<b>Study Design</b>	 <p>The diagram illustrates the study design timeline. It is divided into three main phases: Screening, Treatment Period, and Follow up. The timeline is marked with visits V1 through V8. V1 (-2W) is the start of screening. V2 (0D, Baseline) is the start of randomization. V3 (4W ± 7D) is the first treatment assessment. V4 (8W ± 7D) is the second treatment assessment. V5 (16W ± 7D) is the third treatment assessment. V6 (20W ± 7D, Phone) is the fourth treatment assessment. V7 (24W ± 7D) is the end of the treatment period. V8 (30W ± 14D) is the end of the follow-up period. Three treatment groups are shown: CU01-1001 120mg, BID (orange arrow), CU01-1001 120mg, TID (teal arrow), and Placebo (green arrow). All groups start at V2 and continue through V7.</p> <p>A multi-center, randomized, double-blinded, placebo-controlled, parallel Phase IIb clinical trial</p>
<b>Subject Number</b>	N=240 (3 groups: low dose/high dose/placebo, 80 subjects/group )
<b>Primary Efficacy Outcome</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Change in urine albumin creatine ratio (uACR) at 24 weeks</li> </ul>

ACEi : ACE 를 억제하여 혈압을 낮추고 혈압의 상승으로 인한 신장의 기능저하를 개선 uACR : 뇨중 알부민 크레아티닌 비율로 30mg/g 미만인 정상뇨

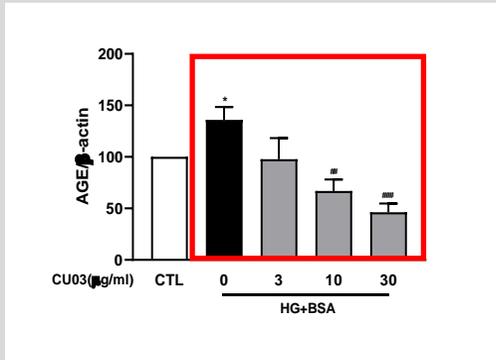
# CU03

습성 황반변성

# [CU03] 습성 황반변성 치료제 - 임상 2a상 종료

## 전임상

당뇨 및 노화 유발 물질 AGE 과생성을 억제



기준 :  $89.50 \pm 3.16$  mg/mL

CU03 :  $13.40 \pm 0.32$  mg/mL

AGEs의 생성을 약 85% 억제

\* 최종 당화산물 생성을 감소시키는 기존 aminoguanidine에 비해 더 높은 활성을 보임



## 국내 임상 2a상 진행

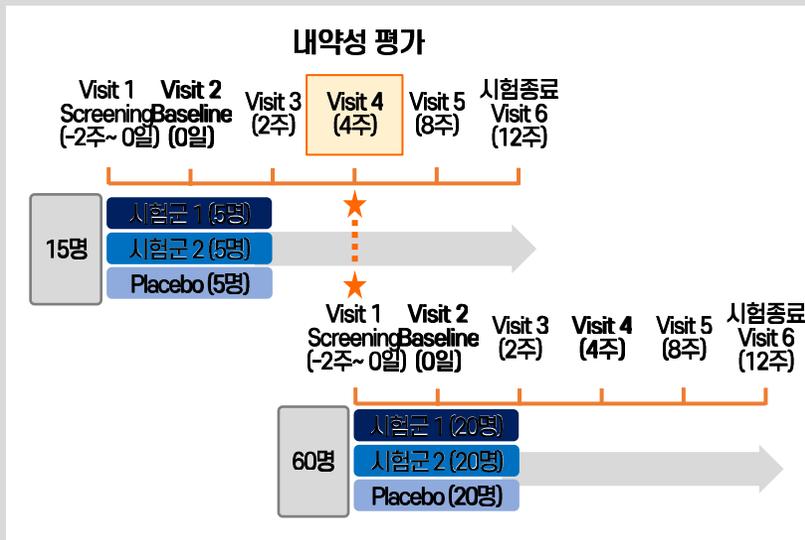
중심 황반 두께 및 최대교정시력 (BCVA) 개선 측정 (75명 환자 모집 완료)

전체 환자수 75명에게 1일 2회, 총 4정을 12주간 투여

전체 대상자 수 : 75명

내약성 평가 (15명)

투약 후 4주 시점에서 내약성 평가 결과, 임상적으로 유의한 이상조건 발견되지 않음

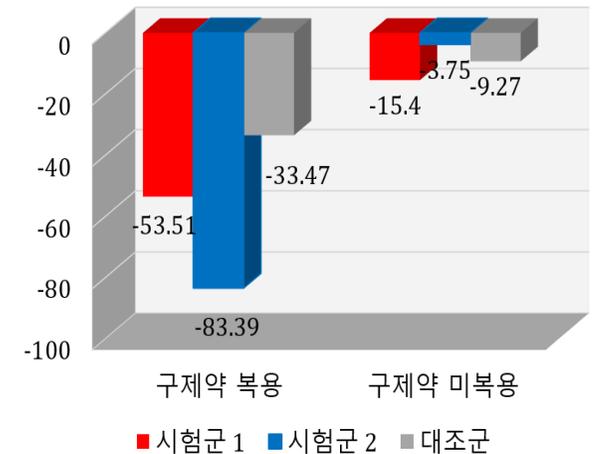


## 임상 2a 결과

12주차 중심 황반 두께 변화량

중대한 약물 이상반응 0건, 약물과 관련이 있는 중대한 이상반응 0건

중심황반두께 (μm)



# 요약 재무제표 (2023년)

## 재무상태변동표

(단위: 백만원)

구분	2020	2021	2022	2023.1H
유동자산	10,735	46,522	33,407	50,598
비유동자산	1,952	19,007	22,251	23,949
자산총계	12,687	65,529	55,657	74,547
유동부채	5,262	2,384	1,371	984
비유동부채	699	8,128	8,116	22,737
부채총계	5,961	10,513	9,487	23,722
자본금	5,475	6,844	6,923	6,928
자본잉여금	45,989	99,848	101,263	101,361
기타자본	1,718	1,650	2,597	9,561
이익잉여금	(46,456)	(53,325)	(64,613)	(67,024)
자본총계	6,726	55,017	46,171	50,825

## 손익계산서

(단위: 백만원)

구분	2020	2021	2022	2023.1H
영업수익	-	6,255	3,583	6,756
매출액*	-	6,255	3,583	6,756
매출총이익	NA	NA	NA	NA
판관비	7,853	13,125	15,565	9,541
영업이익	(7,853)	(6,870)	(11,982)	(2,785)
기타수익	22	84	34	58
기타비용	61	165	85	2
금융수익	139	363	1,098	612
금융비용	20,856	91	471	292
세전이익	(28,610)	(6,678)	(11,406)	(2,409)
당기순이익	(28,610)	(6,678)	(11,406)	(2,409)