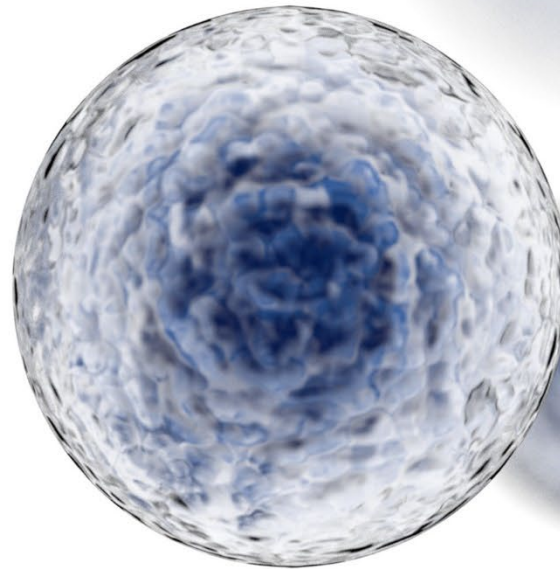




Investor Relations 2022

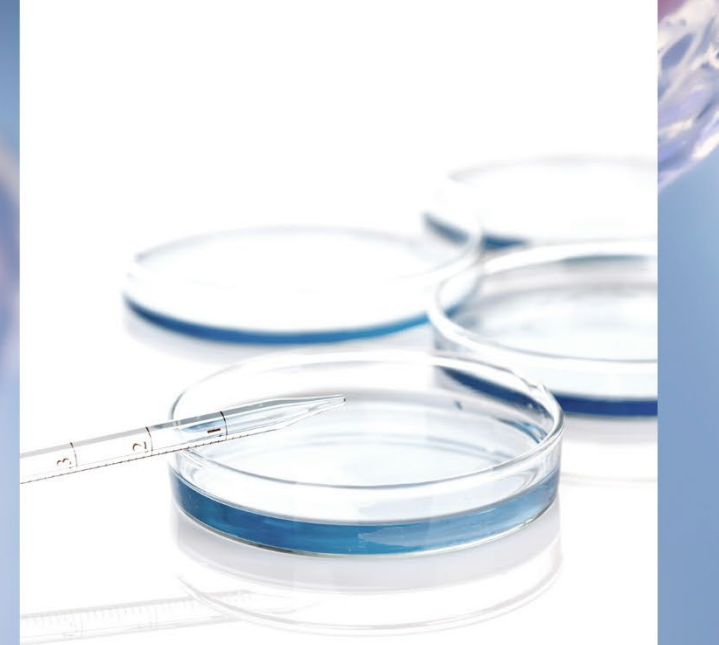
Biomarker-based innovative drug  
development company

**MEDPACTO**



Biomarker-based innovative drug  
development company

ME·PACTO



Chapter 1.

## 바이오마커 기반의 신약개발, 메드팩토

---

01. CEO 소개

## TGF-β와 암 연구의 세계적인 석학

**300여 편의 논문**

네이처 등의 저널에  
암, 염증, TGF-β 관련 연구결과 발표

**4,200회**

TGF-β 연구 논문 인용 횟수

**한국인 최초  
개인 유전체 해독**

개인 유전체로 세계 5번째

**한국인 위암  
유전체 해독**

한국인의 현미부수체  
불안정 위암의 유전체 최초 해독

**김성진**  
대표이사



### 주요 경력

- 2016.07 ~ 현재 : (주) 메드팩토 대표이사
- 2007.01 ~ 현재 : 미국케이스웨스턴리저브의과대학 초빙교수
- 2021.03 ~ 현재 : 길로 재단, 연구소장
- 2010.04 ~ 현재 : 일본 쓰쿠바 대학 초빙교수
- 2016.07 ~ 2021.02 : 서울대학교 차세대융합기술연구원 : 정밀의학연구센터 센터장
- 2011.03 ~ 2018.12 : (주) 테라젠이텍스, 부회장
- 2018.01 ~ 2018.12 : 대한암예방학회 회장
- 2010.09 ~ 2016.06 : 차 의과대학교 암연구소 연구소장/연구원장
- 2007.01 ~ 2010.08 : 가천대학교 이길여 암당뇨연구원 원장
- 1987.03 ~ 2007.02 : 미국 국립암연구소 종신수석연구원

### 주요 수상 실적

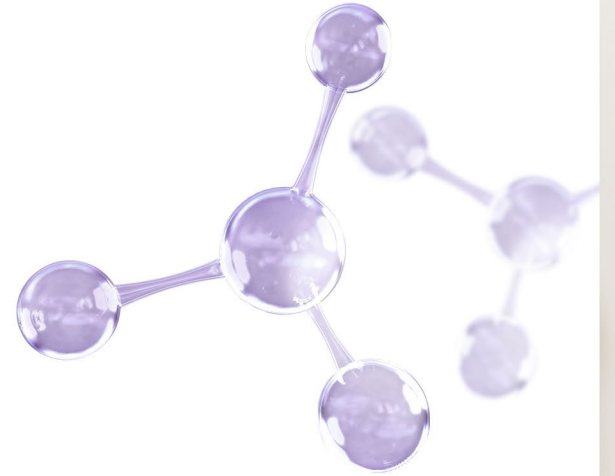
- 호암상 의학상 (2002)
- 자랑스런 강원인상 (2007)
- 상록학술대상 (2008)
- 제6회 동곡학술상 (2011)
- 페루 Congressional Medal (2011)
- 한국분자 세포생물학회 Gold Ribbon Award (2015)
- 일본암학회 국제상 (2017) (Japanese Cancer Association)





Biomarker-based innovative drug  
development company

ME·PACTO



Chapter 2.

## 신약 개발 트렌드 변화

---

01. 최근 항암제 개발의 동향
02. 항암제 개발 패러다임 변화
03. 바이오마커 기반 항암제 개발 현황
04. 바이오마커 기반 파이프라인



## 암 정복을 위해 기존 항암제의 한계를 극복할 새로운 치료법 개발 필요

의료기술 진화에도 미충족 수요 지속적 발생 (낮은 반응률, 높은 재발률, 내성 발생 등)

기존  
항암제

### 종양만타겟으로 하는 항암제

항체치료제, 화학요법제, 표적항암제는  
종양세포만을타겟으로함

### 환자는 다른데 같은 약을 처방

환자의 선별이 없는 평균적인 치료로 인한  
낮은 치료율과 높은 부작용

### 블록버스터급 단일 신약

최고 판매량을 달성하는  
블록버스터급 신약의 단일 투여

차세대  
항암제

### 종양미세환경의 중요성 (Tumor Microenvironment)

종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및  
진행을 가능하게 하는 환경을 제공  
이에, 종양미세환경의 조절을 통해  
암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복

### 바이오마커가 이끄는 개인 맞춤 치료

암중에 상관없이  
바이오마커 발현의 유무로 환자를  
선별하여 치료하는 맞춤 치료 시대 도래

### 병용요법의 새로운 시대

최근 항암치료는 종양을 타겟으로 하는  
항암제와 종양미세환경을 조절하는  
약제의 병용투여에 관심이 많음

### 종양미세환경 중요성 부각

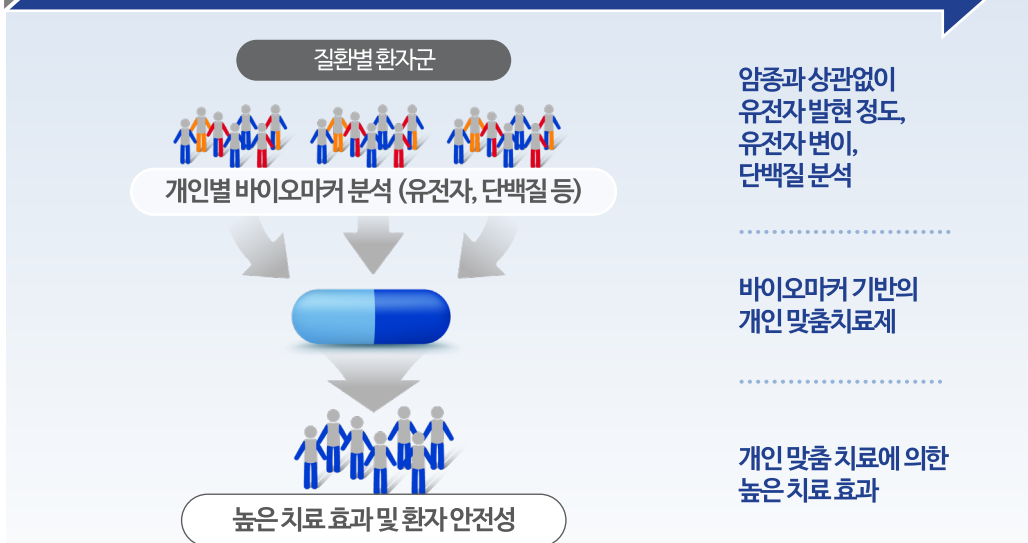
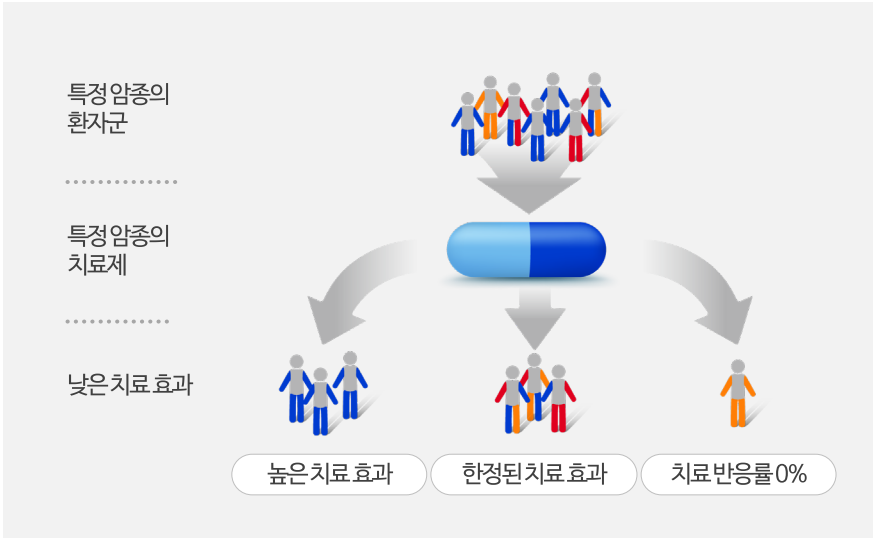
암은 암 주변의 환경 (종양미세환경)을 조절하여  
암의 성장, 전이, 암 줄기세포 형성을 촉진시키고  
면역활성을 억제하는 물질을 분비  
(대표적인 물질이 TGF-β1)

### 차세대 항암 신약 개발기업

# MED·PACTO

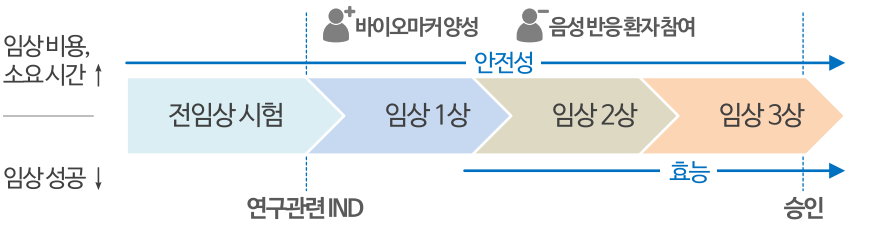
# 02. 항암제 개발 패러다임 변화

## 1 바이오마커 기반의 치료는 개인 맞춤의학의 핵심

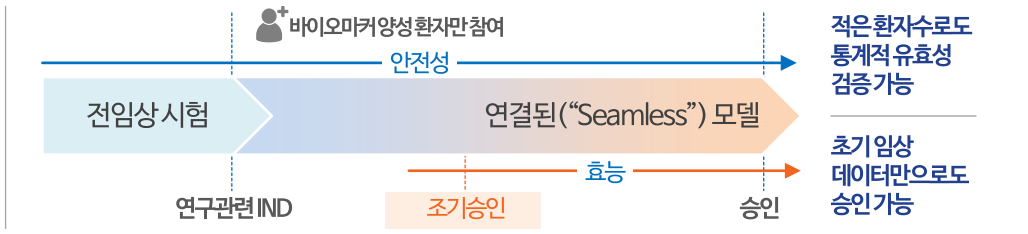


## 2 바이오마커 기반의 신약개발은 항암제 가치 극대화

### 이전 임상 모델



### 연결된 ("Seamless") 모델



## 암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 치료하는 혁신 신약 출시 본격화

### 혁신 신약의 가치

특정 유전자의 변이를 타겟으로 하는 항암제가 시장의 판도 변화 주도 전망



“조기 판매 승인 절차를 통해 암종과 무관하게 특정 유전자의 변이 (바이오마커)를 가지고 있는 환자만을 선별하여 치료할 수 있도록 이를 타겟으로 하는 혁신 신약에 대한 개발 장려”

### 바이오마커 기반의 신약 품목허가 현황 (총 3건의 FDA 승인)

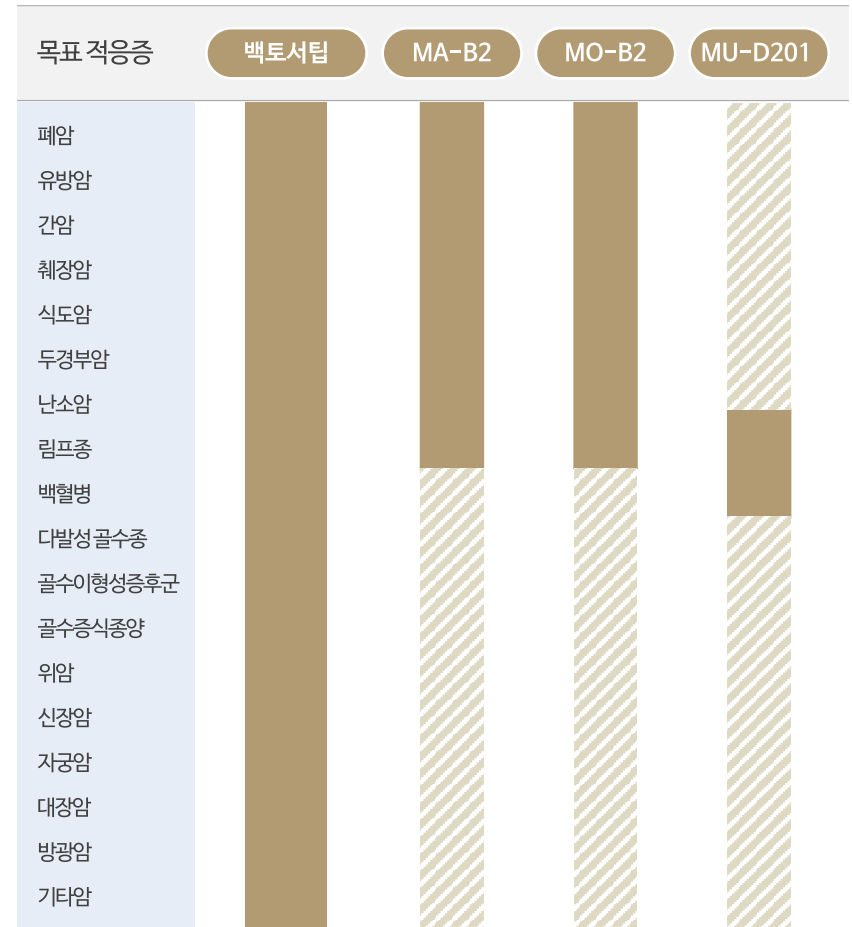
제약사	상품명 (성분명)	바이오마커	임상환자 수	FDA 허가현황	비고
	키트루다 (펨브롤리주맵)	MSI-H (현미부수체불안정) 또는 dMMR/TMB-H (종양변이부담 ≥ 10mut/Mb)	149명 (5개 임상)	2017. 5 18개의 암, 32개의 적응증 (2021년 현재)	2022년 글로벌 항암제 매출 <b>1위(197억 달러)</b> 전망 (2019년 111억 달러, 2020년 144억 달러)
	비트락비 (라로트렉티닙)	ETV6-NTRK 융합유전자	효능: 55명 안전성: 176명 (3개 임상)	2018. 11	<b>80억 달러</b> (9조원) 인수 결정
	로즐리트렉 (엔트렉티닙)	NTRK 융합유전자	54명 (3개 임상)	2019. 8  	  다수 글로벌 제약사들의 후보물질 도입과 기업 인수 추진 확대



## 암종과 무관한 바이오마커 기반의 혁신 신약 파이프라인

바이오마커에 따라 모든 암종으로 적응증 확대 및 모든 항암제와 병용투여 가능

파이프라인	종류	바이오마커	작용기전
백토서팁	항암제 (저분자화합물)	TBRS	TGF-β 1형 수용체 억제제
MA-B2	항암제 (항체)	혈중 BAG2 단백질	항 BAG2 항체
MO-B2	진단키트	혈중 BAG2 단백질	혈중 BAG2진단 키트
MU-D201	항암제 (저분자화합물)	EZH2유전자변이, 감마델타T-세포 수용체 변이	DRAK2 저해제



Biomarker-based innovative drug  
development company

ME·PACTO

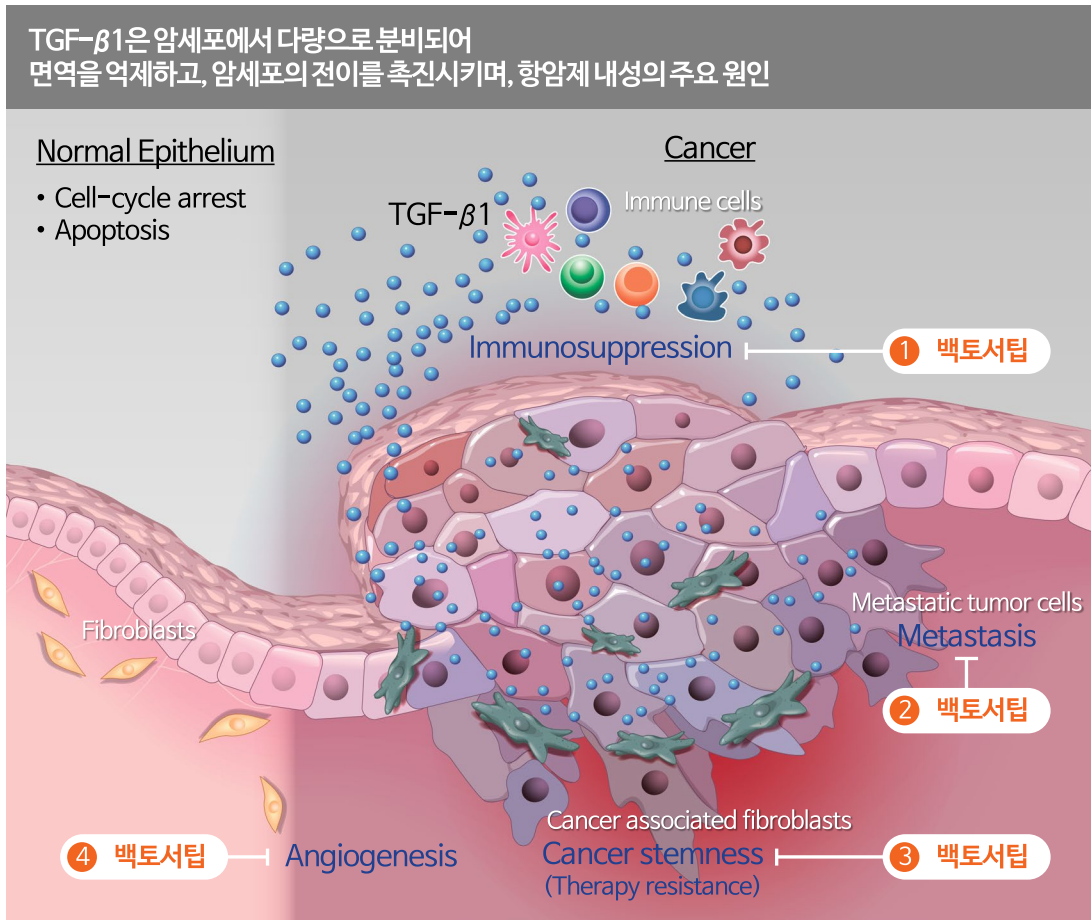


Chapter 3.

## 혁신 신약, 백토서팁

01. 종양 미세환경에서 TGF- $\beta$ 1의 역할
02. 백토서팁 작용 기전
03. TGF- $\beta$ : 발견에서 치료까지
04. 백토서팁의 시장성
05. 블록버스터 면역항암제와 공동임상
- 06-1. '백토서팁' 폐암 임상 유효성 확인 \_ AstraZeneca
- 06-2. '백토서팁' 재발/불응 다발성골수종 임상 유효성 확인
- 06-3. 위암 임상 1b상 유효성 확인
07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행

## TGF-β1은 종양 미세환경을 조절하여 암의 전이나 성장을 촉진



### 백토서팁 주요 기능

#### 1 면역세포의 암세포 사멸 활성 촉진

- T 세포와 NK 세포들이 효능을 발휘할 수 있게 함
- 조절 T 세포의 활성 억제
- T 세포 고갈 방지

#### 2 전이 억제

- 상피간엽전환 (EMT), 세포 이동, 전이 억제

#### 3 암줄기세포 생성 억제

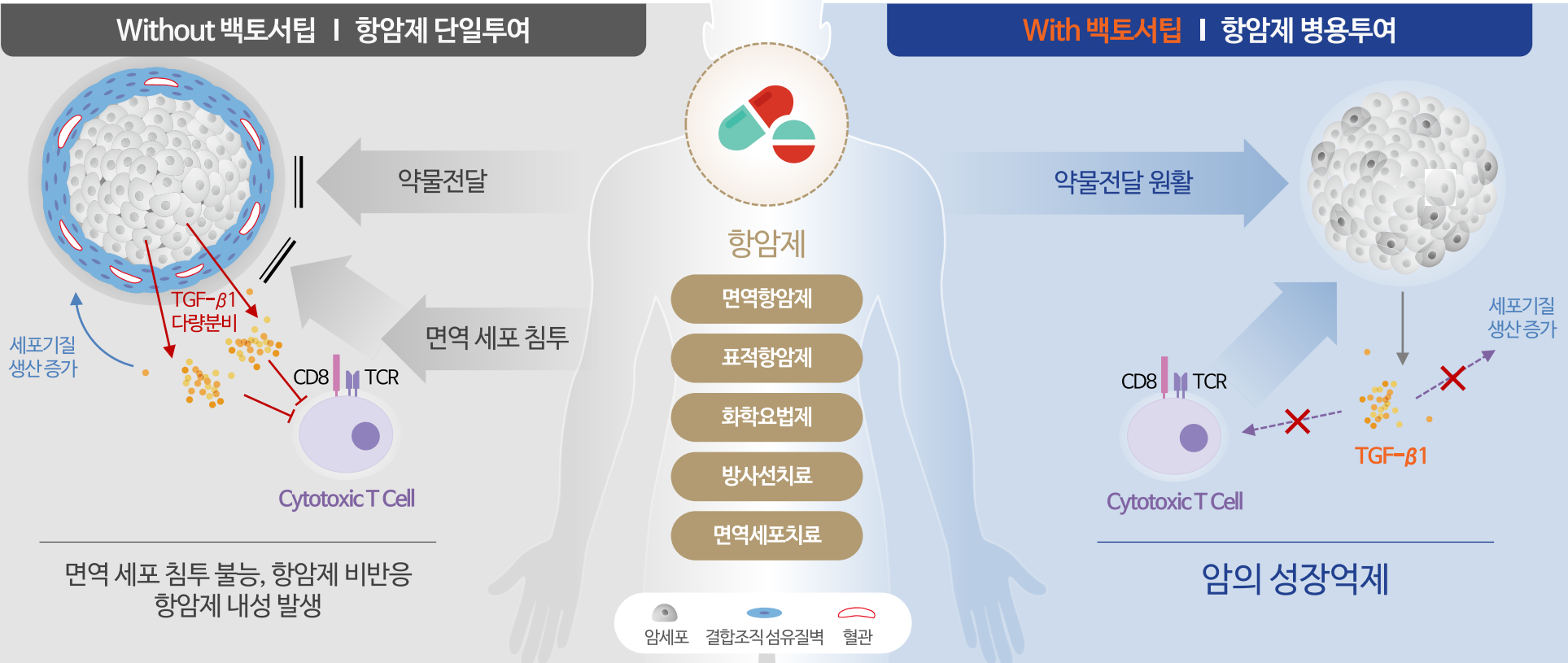
- TGF-β1에 의한 암줄기세포의 생성을 억제 (예: Paclitaxel 및 Imatinib 등 화학치료제의 주요 내성 원인)

#### 4 혈관생성 억제



## 백토서팁은 기존의 모든 암치료제와 병용 가능

- TGF-β1은 암조직 주변의 기질세포에 작용하여 기질을 대량으로 생산해 암을 둘러싼 벽을 생성  
→ 항암제나 면역세포가 암조직에 침투하지 못하게 하는 역할
- TGF-β1 신호전달 억제제인 백토서팁은 암 조직 주변의 기질 벽의 생성을 억제  
→ 다양한 암 치료제가 암세포를 공격할 수 있도록 도움을 줌



면역 세포 침투 불능, 항암제 비반응  
항암제 내성 발생

암의 성장억제

## 35년간 TGF-β 연구 성과의 결실, TGF-β 신호전달 억제제 백토서팁

### TGF-β1 발견 및 작용기전 규명

~1980 년

TGF-β1 발견  
Sporn & Roberts  
(미국 국립 암 연구소)

- 단백질 분리와 특성분석
- TGF-β의 항암활성 발견
- 면역세포에서의 기능 발견

1987~2007 년

1987 김성진 대표  
미국 국립 암  
연구소 합류

- 암세포에서 TGF-β1 분비 기전 규명
- TGF-β 수용체의 유전체 결손을 암에서 처음으로 발견
- 면역항암제 내성원인 발견

### 2013년 메드팩토 설립 : TGF-β 신호전달 억제제 개발

2013 ~ 2015

- 미국 임상 1상 승인 및 완료 (안전성, 내약성 확보)

2016 ~ 2021

- 미국 임상 2상 승인
- 병용투여 임상 진행 중 (키트루다, 임핀지)

가치

글로벌 시장 내 가장 앞서있는  
TGF-β 신호전달 억제제, 백토서팁

MEᄡ·PACTO

First-in-Class 백토서팁 (저분자화합물)

EMD  
SERONO

M7824 (아중용합단백질)

Lilly

LY3200882 (저분자화합물)

abbvie

SANOFI

NOVARTIS

ISARNA  
THERAPEUTICS

GILEAD

Pfizer

2010 년 ~

다수의 글로벌 제약사들이 다양한  
TGF-β 신호전달 억제제 개발 중

~ 전임상

임상 1상

임상 2상

임상 3상

## 글로벌 시장에서 주목받는 TGF-β 신호전달 저해제, 백토서팁

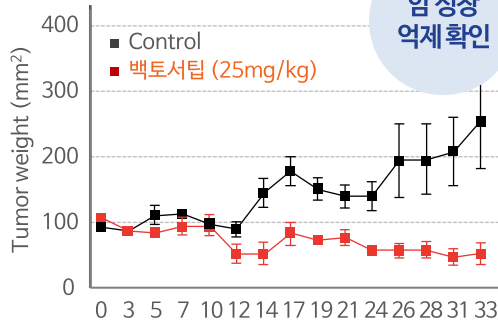




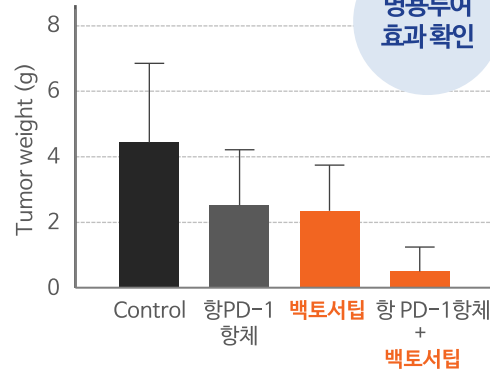
## 독성이 낮고 우수한 효능을 가진 백토서팁, 글로벌 제약사의 면역항암제와 병용 임상 진행

### 전임상 결과

위암 세포 이용한  
단독투여 동물실험 결과



위암 세포 이용한 항-PD1 항체와의  
병용투여 결과



### 미국 임상 1상 결과

진행성  
고형암

단독 투여 임상 결과  
높은 안전성

- 고농도 임상에서도 독성 안전성 확보
- 현재 병용 투여에서도 안전성 확보

### 공동임상 진행



키트루다 (항 PD-1항체)  
대장암

동일 계열 중 가장 많은  
적응증 확보 치료제

키트루다 (항 PD-1항체)  
비소세포폐암 1L

2021년 글로벌  
항암제 매출 1위 전망



임핀지 (항 PD-L1항체)  
비소세포폐암 2L

아스트라제네카의  
주력 면역항암제

임핀지 (항 PD-L1항체)  
방광암

단시간 내 블록버스터  
항암제 합류 전망

면역항암제 개발 글로벌 제약사와  
공동임상 진행

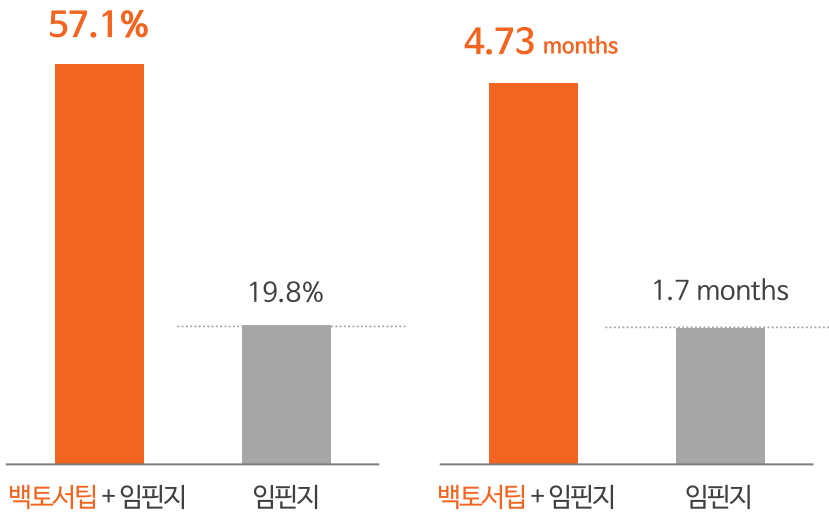
면역항암제 (키트루다, 임핀지) 무상 공급  
임상시험 전략 및 디자인 공동 개발

비소세포폐암에서 임핀지와 임상2a상 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

비소세포폐암 병용투여 임상 (2a상 중간결과)

반응율 (ORR)

무진행생존율 (PFS)



자료 : AstraZeneca ORR, PFS 데이터, Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085  
 주 : 병용투여 임상 결과와 AstraZeneca의 임핀지 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님.

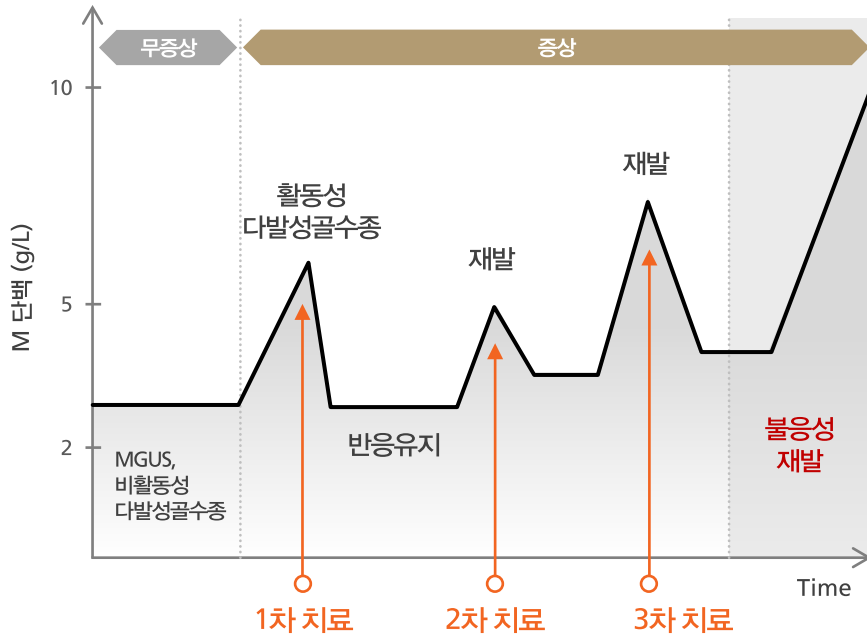
비소세포폐암 임상 결과 비교

	백토서팁	임핀지	키트루다	티센트릭	
임상단계	2a	I/II	III/III	III	
PD-L1	>1%	Any	>1%	Any	
ORR (ITT)	PD-L1 ≥ 1%	33.3% (10/30)	-	18% (62/344)	-
	PD-L1 < 25%	12.5% (2/16)	5.1% (5/98)	-	-
	PD-L1 ≥ 25%	57.1% (8/14)	19.8% (21/106)	-	-
	PD-L1 < 50%	22.2% (4/18)	-	9.8% (20/205)	12.6 (35/288)
	PD-L1 ≥ 50%	50.0% (6/12)	-	30.2% (42/139)	30.6 (22/72)
mPFS	4.73 months	1.7 months	4.0 months	-	

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-203: Cho BC et al. SITC 2020, #P363  
 Durvalumab Study 1108: Antonia et al. Journal of Clinical Oncology 2017;35:9085-9085  
 Pembrolizumab Keynote 010: Herbst et al. The Lancet 2016;387:1540-50  
 Atezolizumab Oak: Rittmeyer et al. The Lancet 2017;389:255-265

치료 대안이 없는 재발/불응 다발성골수종의 포말리스트와 병용투여 임상 결과 획기적인 치료 효과 입증

재발/불응 다발성골수종의 질환 경과



화학요법에 민감도

높음

낮음(내성)

낮음(내성)

이상반응 위험도

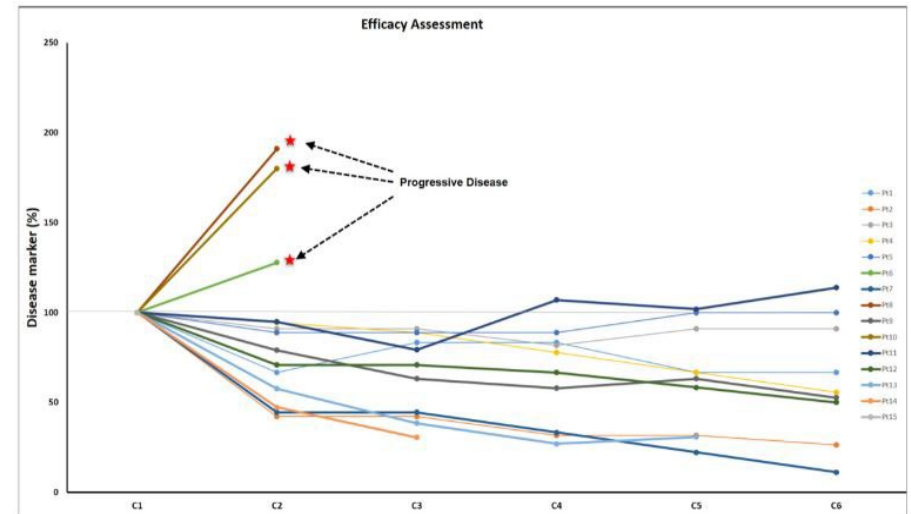
낮음

높음

높음

병용투여 임상1b상 결과 무진행생존율 80%

기존 치료(포말리스트와 스테로이드 제제인 덱사메타손)에 비반응 다발성 골수종 환자 대상의 임상1b상 결과



임상결과

백토서팁 병용

ELOT +Pd

DARA +Pd

POM+ DEXA(Pd)

POM

6개월 무진행 생존율, PFS

80%

62%

58%

40%

20%

주 : 다라투무맙 임상 출처 (Chari et al. (2017) Blood. 130:974)

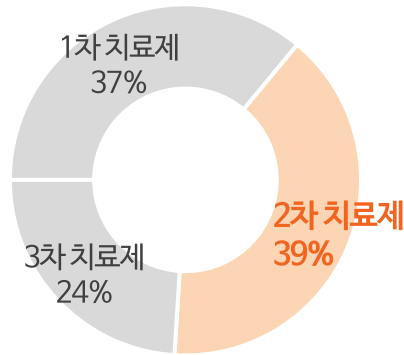
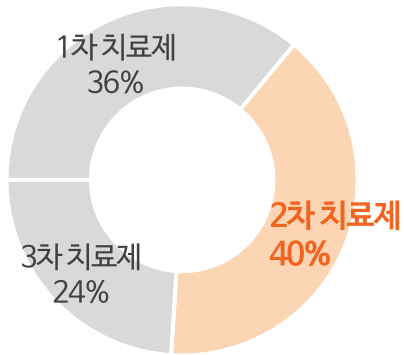


진행성 위암에서 파클리탁셀과 병용투여 결과 획기적인 치료 효과 입증

2차 치료제 사용빈도\*

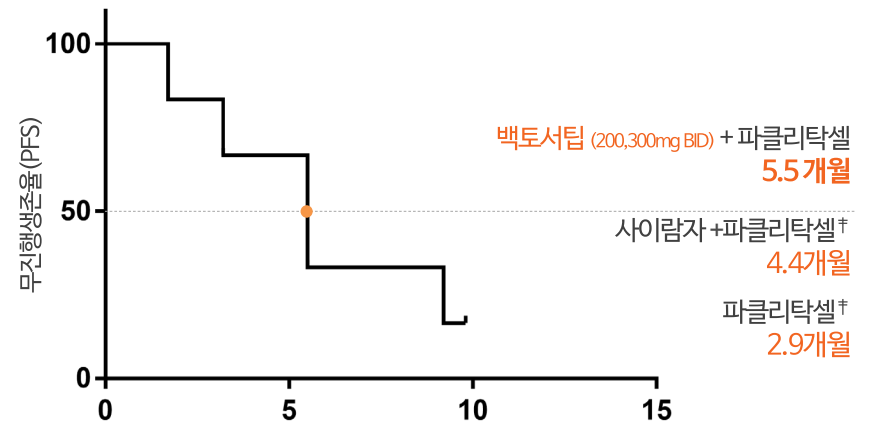
국소적 재발

4기전이 및 원격 재발 환자



위암 병용투여 임상 (1b상 진행 결과)

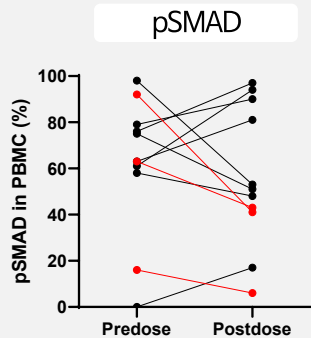
무진행생존율 (PFS) †



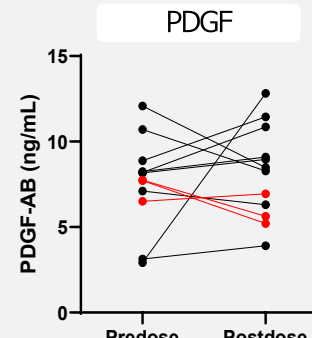
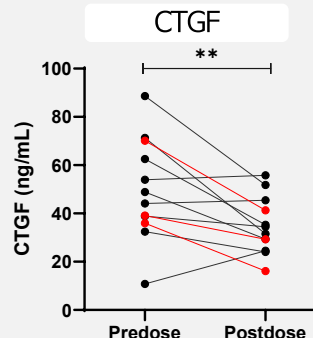
자료 : \* Datamonitor 2016 Gastric Cancer Database  
 주 : 2차 치료제 간의 점유율은 고려하지 않음

자료 : † 메드팩토 ESMO 2020 포스터, † Lancet Oncol. 2014 Oct; 15(11):1224-35  
 주 : 병용투여 임상 결과와 사이람자 결과는 직접 비교한 연구 결과가 아님

약력학적 마커



• TGF-β의 신호전달의 주된 마커인 SMAD의 인산화 감소









• TGF-β 신호전달경로의 타겟 유전자 발현의 감소

## 07. 다양한 치료제와의 병용임상 진행

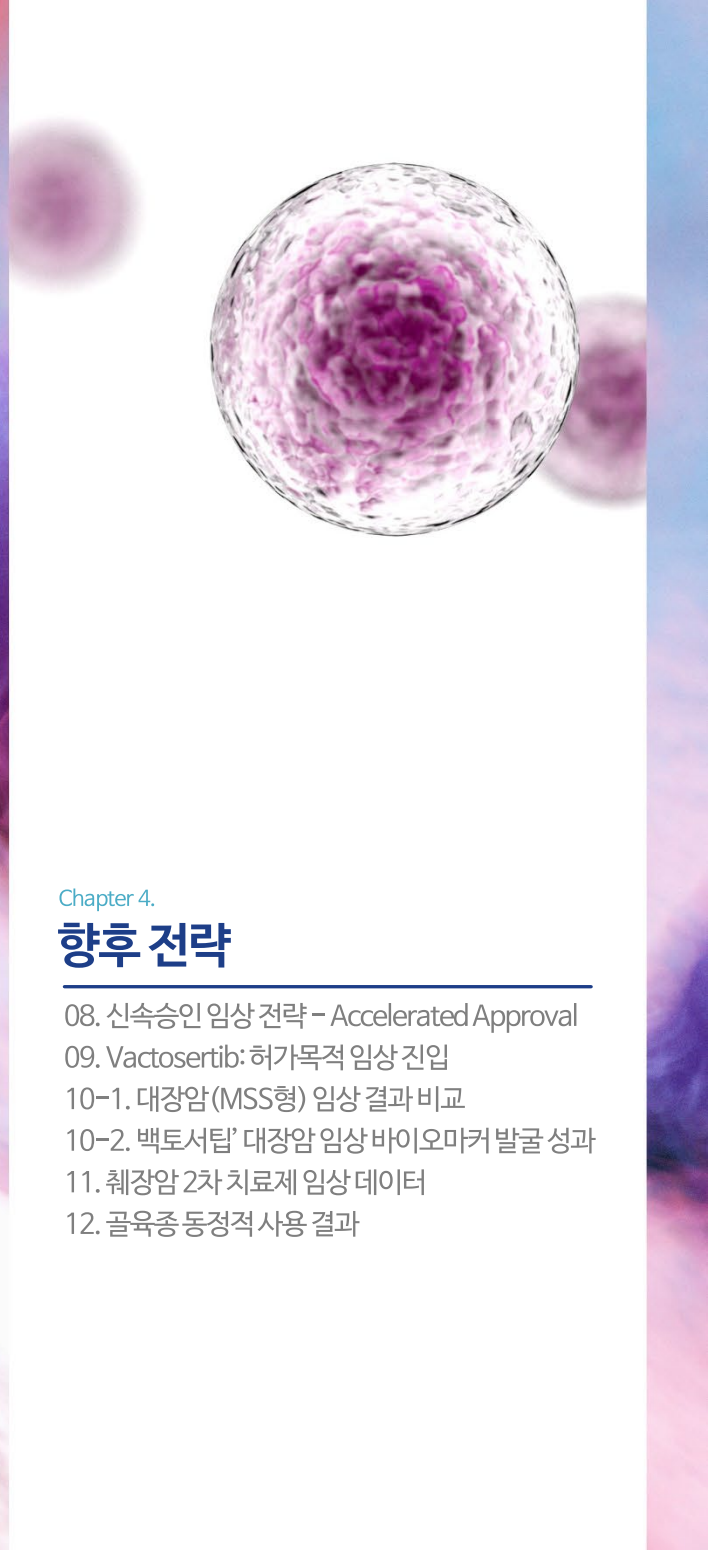
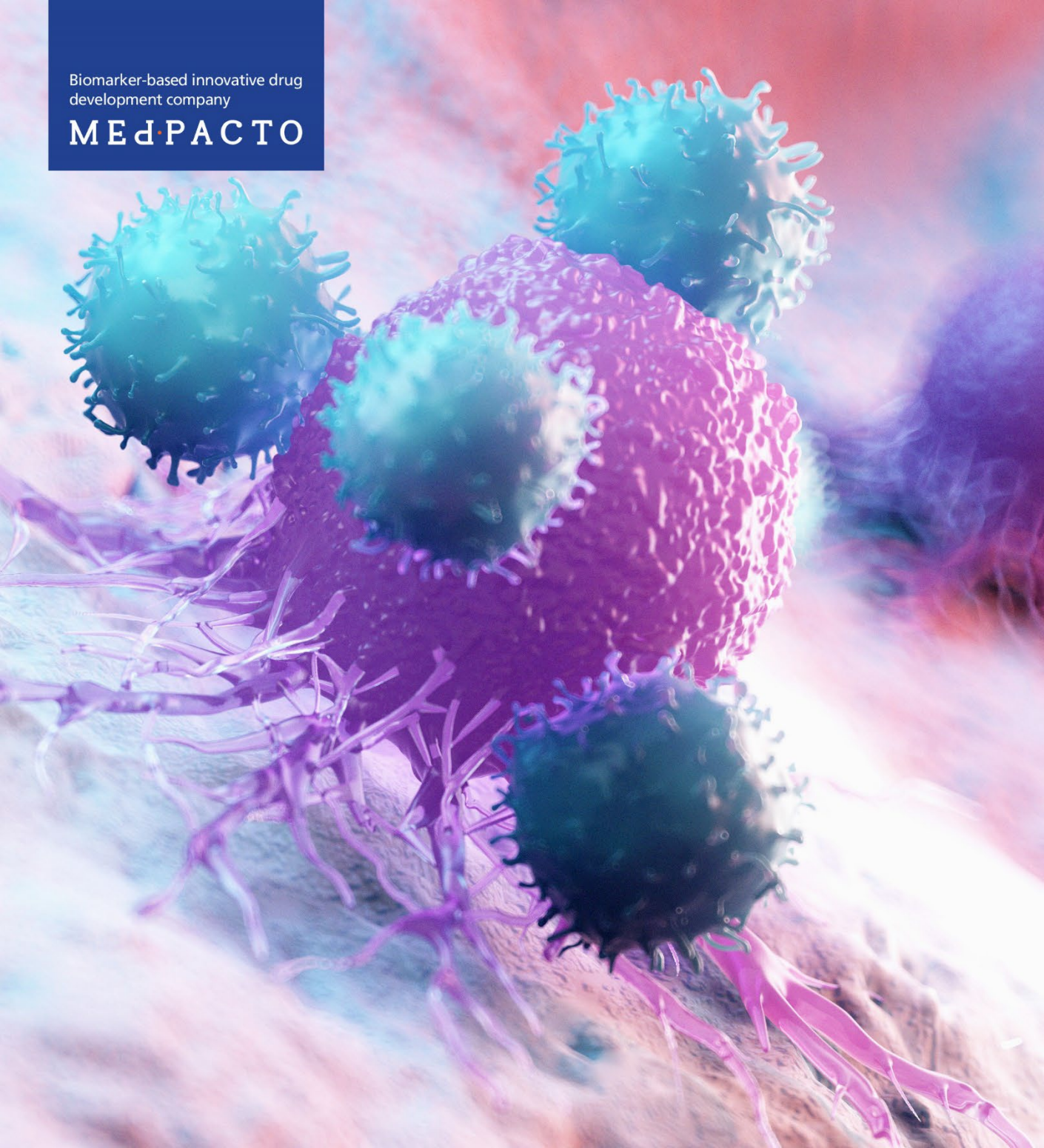
### 백토서팁의 가치를 높이기 위해 기존의 모든 암치료와 병용 가능성을 증명하는 다수의 임상 진행 중

○ SIT ○ IIT

구분	암종	목표 환자수	[국가] 치료요법	임상시험 개발 진행현황				
				Preclinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3	
화학요법 병용 임상	백토서팁 단독 골육종	54	[미국] 백토서팁 단독요법	[Progress bar to Phase 2]				
	위암	62	[한국] + 파클리탁셀	[Progress bar to Phase 2]				
		43	[한국] + 파클리탁셀 + 라무시루맙	[Progress bar to Phase 2]				
	췌장암	36	[한국] + 폴폭스	[Progress bar to Phase 1]				
		24	[한국] + 5FU/LV/오니바이드 	[Progress bar to Phase 1]				
		준비중	[한국, 미국]	[Progress bar to Phase 2]				
표적항암제 병용 임상	데스모이드 종양 (침윤성 섬유종증)	33	[한국] + 이마티닙	[Progress bar to Phase 2]				
고형암	NK세포치료제 병용 임상	대장암/혈액종양	12	[미국] + NK세포치료제+인터루킨 (IL-2)	[Progress bar to Phase 1]			
	면역항암제 병용 임상	대장암	67	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 	[Progress bar to Phase 2]			
대장암		준비중	[한국, 미국] + 키트루다 (anti-PD-1) 	[Progress bar to Phase 3]				
대장암 neoadjuvant		19	[미국] + 키트루다 (anti-PD-1)	[Progress bar to Phase 2]				
비소세포폐암 1L		55	[한국] + 키트루다 (anti-PD-1) 	[Progress bar to Phase 2]				
비소세포폐암 2L		63	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 	[Progress bar to Phase 2]				
방광암		48	[미국] + 임핀지 (anti-PD-L1) 	[Progress bar to Phase 2]				
위암		55	[한국] + 임핀지 (anti-PD-L1)	[Progress bar to Phase 2]				

Biomarker-based innovative drug  
development company

MEPACTO

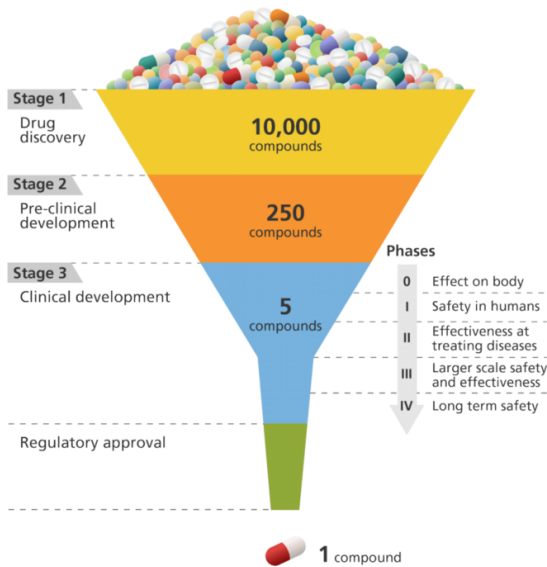


Chapter 4.

## 향후 전략

- 08. 신속승인 임상 전략 - Accelerated Approval
- 09. Vactosertib: 허가목적 임상 진입
  - 10-1. 대장암(MSS형) 임상 결과비교
  - 10-2. 백토서팁® 대장암 임상바이오마커 발굴 성과
- 11. 췌장암 2차 치료제 임상데이터
- 12. 골육종 동정적 사용 결과

## “신속 승인” 절차를 통해 최대한 빨리 미국 FDA에서 판매 승인을 받을 수 있는 임상에 집중



### 1 단계 임상 (2018~현재)

모든 암종으로 적응증 확대 및 모든 항암제와 병용 투여 가능성을 증명하는 임상

- 암종: 위암, 대장암, 췌장암, 침윤성섬유종증, 비소세포 폐암, 방광암, 다발성 골수종.
- 병용항암제: 화학요법제, 표적항암제, 면역항암제, 세포치료제 (NK 세포), 면역조절제

### 2 단계 임상 (2022~ )

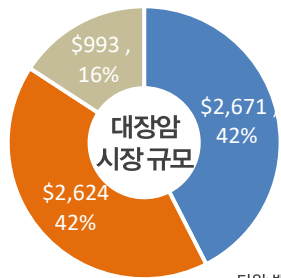
신속 승인은 다른 치료 옵션이 없을 때 환자가 유망한 신약을 받을 수 있는 한 가지 방법

- 암종: 대장암 (MSS 형), 췌장암, 골육종
- 병용항암제: 화학요법제 (Onyvide), 면역항암제
- Vactosertib 단독: 골육종

대장암/췌장암/골육종 허가목적 임상 진입

파이프라인	암종	치료요법	stage	타겟국가
백토서팁	대장암	키트루다 병용	3상	미국/EU/한국
	췌장암	오니바이드 병용	2상	미국/한국
	골육종	백토서팁 단독	1/2상	미국

〈대장암 시장 규모〉

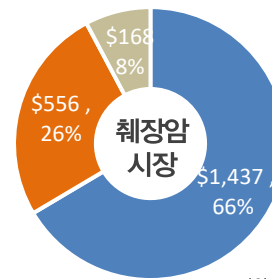


'21년도말 기준 \$7.0B  
'26년도 기대시장규모 \$8.1B(CAGR 2.4%)

단위: 백만달러

- 미국
- EU(주요 5개국)
- 일본

〈췌장암 시장 규모〉



'21년도말 기준 \$2.2B

'26년도 기대시장규모 \$2.5B(CAGR 5.7%)

단위: 백만달러

- 미국
- EU(주요 5개국)
- 일본



## 10-1. 대장암(MSS형) 임상 결과 비교

## 대장암(MSS형) 임상 결과 비교

## 대장암 표준요법 대비 MP-VAC-204 비교

## 대장암(MSS형) 임상 진행 또는 완료 (2021 ASCO 포함)

구분	MP-VAC-204 (백토서티브 +키트루다)	Regorafenib mono CORRECT	Lonsurf mono	Atezolizumab + cobimetinib	Pembrolizumab mono	M-7824	Lonsurf + Nivolumab	Regorafenib + Avelumab	Pembrolizumab + Lenvatinib	Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab	Regorafenib + Nivolumab
mOS (Median Overall Survival)	15.8 months	6.4 months	7.1 months	8.9 months	5.0 months	-	-	10.8 months	7.5 months	5.7 months	11.9 months
ORR (Overall Response Rate)	16.0% (8/50)	1% (5/505)	1.6% (9/534)	2.7% (5/183)	0.0% (0/18)	3.4% (1/29)	0% (0/35)	0% (0/43)	22% (7/32)	0% (0/15)	7.1% (5/70)

자료 : Vactosertib Study MP-VAC-204

Regorafenib(Stivarga) mono : Highlights of prescribing information, Revised 09/2012

Lonsurf mono : Mayer RJ, Van Cutsem E, Falcone A, et al. Randomized Trial of TAS-102 for Refractory Metastatic Colorectal Cancer. NEJM. 2015;372:1909-1919.

Atezolizumab+cobimetinib : The Lancet Oncology June 2019, Pages 849-861

Pembrolizumab : Le et al. New Eng J MED(2015)

M-7824: Oncology 2018 36:4\_suppl, 764-764

Lonsurf + Nivolumab : 10.1200/JCO.2019.37.8\_suppl.48 Journal of Clinical Oncology 37, no. 8\_suppl (March 10, 2019) 48-48

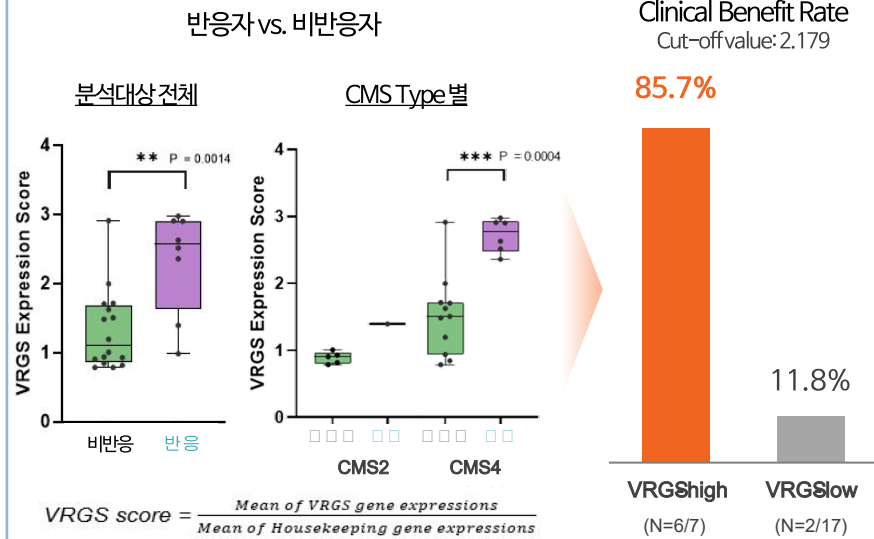
Regorafenib+Avelumab : Cancer Treat Rev. 2018 Jan;62:61-73. doi: 10.1016/j.ctrv.2017.10.011. Epub 2017 Nov 10.

Pembrolizumab+Lenvatinib : 2021 ASCO Gastrointestinal Cancers Symposium

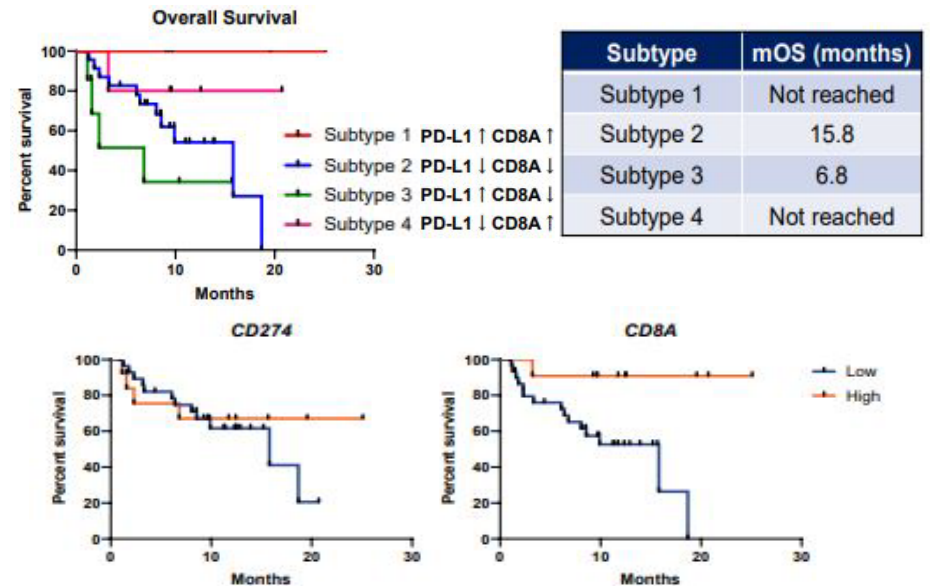
Atezolizumab + Imprime PGG + bevacizumab, Regorafenib+Nivolumab : 2021 ASCO Abstract

## 진행성 대장암에서 VRGS 분석 결과 및 TME 면역 타입별 Survival Analysis

### VRGS 분석 결과 및 CBR 비교



### TME 면역 타입별 Survival Analysis



### 바이오마커 분석 성과 및 향후 계획

- VRGS (Vactosertib Response Gene Signature)는 MSS형 대장암 환자군에서 백토서팁+키트루다 병용 치료 목적의 예측 바이오마커로 개발 중에 있으며, 백토서팁+키트루다 반응환자와 높은 상관관계가 있음을 확인하였음. VRGS-high 환자군은 VRGS-low 환자군 대비 획기적인 CBR (Clinical Benefit Rate) 을 보였으며, 백토서팁+키트루다 반응환자를 예측하는데 약 88%의 정확도를 보임
- PD-L1 및 CD8A 발현도에 따라 환자의 전체생존기간과 상관관계가 있음을 확인하였으며, 백토서팁+키트루다 병용요법은 PD-L1 및 CD8A 발현이 높을수록 전체생존기간을 높일 수 있음.
- 향후 대장암 임상에 있어 Validation 단계를 거쳐 선별된 임상을 진행할 수 있으며, 이 경우 높은 치료 효과 기대

## Vactosertib 병용 투여 시, 기존 치료법 대비 월등한 치료 효과 향상

### Second-line chemotherapy for PDAC

#### Vactosertib + FLOFLOX vs FOLFOX Monotherapy

FOLFOX: 췌장암 2차 치료제 시장 점유율 **3위**

Category	Vactosertib + FOLFOX	FOLFOX (FIRGEM Prospective Observational Cohort Study)	FOLFOX (SEQUOIA Study)
ORR (Overall Response Rate)	23.1%	0%	5.6%
mPFS (Median Progression-free Survival)	4.2 months	1.7 months	2.1 months
mOS (Median Overall Survival)	9.3 (mOS)	4.3 (OS)	6.3 (mOS)

#### Vactosertib + Onivyde vs NAPOLI-1

Onivyde : 췌장암 2차 치료제 시장 점유율 **1위**

Category	Vactosertib + Onivyde	Onivyde + 5FU+LV (NAPOLI-1)
ORR (Overall Response Rate)	‘23년 Q1 (TBD)	7.69%
mPFS (Median Progression-free Survival)		3.1 months
mOS (Median Overall Survival)		6.1 (mOS)

자료 : Vactosertib Study ASCO2022

<https://clinicaltrials.gov/>

Global data\_Pancreatic Cancer 2<sup>nd</sup> line product sales

ONIVYDE + 5-FU/LV EXTENDED OVERALL SURVIVAL (OS) : <https://www.onivyde.com/hcp/clinical-trial/efficacy-results/>

FOLFOX as second-line chemotherapy in patients with pretreated metastatic pancreatic cancer from the FIRGEM study 2014

Randomized Phase III Study of FOLFOX Alone or With Pegilodocakin as Second-Line Therapy in Patients With Metastatic Pancreatic Cancer That Progressed After Gemcitabine (SEQUOIA) 2021.02.08

# 12. 골육종 동정적 사용 결과

## 호스피스 치료 받던 골육종 환우, FDA 동정적 사용(Compassionate Use)을 통해 '백토서팁'의 치료 효과 확인

### "희망 없던 암 환아에 '백토서팁' 투여..." 일상생활 거뜬"

파이낸셜뉴스 입력 2022.08.22 09:00 수정 2022.08.22 18:05

본문줄임 표시  
여러 번 표시된 광고  
관심없는 광고  
부적절한 광고

관련종목 ▶ 메드팩토(235980)

골육종 항암치료에도 폐·뇌 전이  
머서 동정적 승인 받아 단독투여  
부작용·합병증 없고 전이도 멈춰

메드팩토는 호스피스 치료 받던 골육종 환아가 '백토서팁' 투여 후 학교 생활을 할 정도로 호전됐다고 22일 밝혔다.

미국인 A군(14)은 5세였던 지난 2014년 경골 원위부(정강이뼈) 국소 골육종 진단을 받았다. 골육종은 일반적으로 만 15세에 진단이 이뤄진다. A군은 상당히 이른 시점에서 진단을 받은 것이다. 골육종은 뼈 또는 뼈 주변의 연골 등 유골 조직에서 발생하는 악성종양을 말하며, 유종양 중 5.6%을 차지하는 희귀암이다. 어린이와 청소년에서

존 레터리오 미국 사이드먼암센터 부소장(케이스웨스턴리저브대학 교수)은 "이 케이스는 희귀병에 대한 약물 개발의 중요성에 대한 놀라운 증거"라며 "백토서팁의 치료 효과에 대한 경험이 골육종을 가진 다른 환자들에게도 확대되길 기대한다"고 말했다.

하지만 의료진은 포기하지 않았다. 메드팩토에서 개발한 백토서팁의 전임상 데이터에 주목, 이를 근거로 미국 식품의약국(FDA)으로부터 동정적 사용(Compassionate Use) 승인을 받아 지난 2월 A군에게 백토서팁을 단독 투여하기로 결정했다.

동정적 사용은 허가 이전 임상시험 단계에 있는 신약을 중증질환자 또는 응급상황 환자들에게 무상으로 우선 처방해 환자의 임상시험용 의약품에 대한 접근권을 넓히기 위한 목적으로 도입됐다.

### "호스피스 치료 받던 골육종 아이, 메드팩토 '백토서팁' 투여 후 학교 생활까지"

파이낸셜뉴스 입력 2022.08.22 09:00 수정 2022.08.22 09:11

가+

Google에 의해 종료된 광고입니다.

관련종목 ▶ 메드팩토(235980)

[파이낸셜뉴스] 미국인 A군(14)은 5세였던 지난 2014년 경골 원위부(정강이뼈) 국소 골육종 진단을 받았다. 골육종은 일반적으로 만 15세에 진단이 이뤄진다. A군은 상당히 이른 시점에서 진단을 받은 것이다.

A군은 항암 치료를 진행했지만 종양 과사가 심해 오른쪽 다리를 절단할 수밖에 없었다. 수술 후 중앙 조직을 살펴본 의료진은 화학요법에 대한 반응이 좋지 않다는 것을 확인했다. 이는 암 재발 위험이 상당히 크다는 의미다. 모든 치료를 마친 3년 뒤인

A군의 주치의 알렉스 황 미국 레인보우소아병원 소아면역 치료센터 소장(케이스웨스턴리저브대학 교수)은 "백토서팁은 현재 치료 옵션이 거의 없는 진행성 골육종 환자에게 유망한 무독성 경구용 치료 옵션이 될 수 있다"고 설명했다.

폐 전이가 확인된 후 거의 2년간 골육종과 싸우며 살던 A군. 하지만 2020년 A군에게 청천벽력 같은 소식이 전해졌다. 폐에 이어 뇌에서도 전이가 확인된 것이다. 짧은 그의 인생 반 이상을 암과 싸워왔지만 정강이뼈에서 시작된 골육종은 재발은 물론 폐, 뇌까지 전이됐다.

**K Car**

더 K9	쏘나타 뉴파워	G80	렉스턴 W
5,840만원	1,720만원	3,550만원	1,350만원

체로키(KL) 2,490만원 | 렉스 제네시스 1,340만원 | 제네시스 DH 1,940만원 | 랩티바 1,150만원

많이 본 뉴스  
1 "검사입니다" 한마디에 41억 입금한 의사...  
2 '재중선' 신종환 69대 남성 비안도에서 순직

컴퓨터 있는 사람이면 무조건 해야 하는 게워

