

The background of the slide features three DNA double helix structures. One is a vibrant blue, another is a dark grey, and the third is a light grey. They are arranged diagonally across the frame, creating a sense of depth and movement.

Investor Relations 2024

**Genexine**

Saving  
Lives  
through  
Innovation \_\_\_\_\_

**Genexine**

Investor Relations 2024

## Disclaimer

---

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 투자미팅에서의 정보제공을 목적으로 주식회사 제넥신(이하 “회사”)에 의해 작성되었으며  
이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 투자미팅에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다.  
이는 과거가 아닌 미래에 발생할 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 ‘예상’, ‘전망’, ‘계획’, ‘예정’, 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 “예측정보”는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래실적은 “예측정보”에  
기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 투자미팅 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환  
경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려 드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함) 본 문서는 주식의 모집 또는 매매 및 청약을 위한  
권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.



Investor Relations 2024

# TABLE OF CONTENTS

## ■ Prologue

## ■ CHAPTER 1.

New Platform Technology

## ■ CHAPTER 2.

Core pipelines

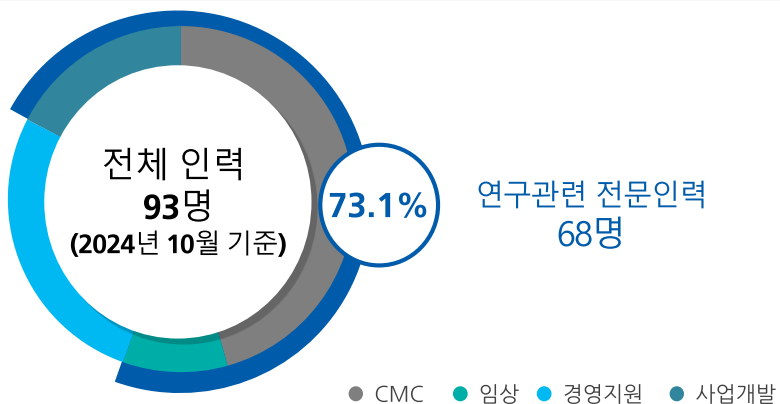
## ■ CHAPTER 3.

Growth Momentum

# 이 개요

## 기업개요

회사명	주식회사 제넥신
대표이사	홍성준
설립일	1999년 6월 8일
자본금	208억 원
임직원수	93명(2024년 10월 기준)
주요사업	의학 및 약학 연구개발업
본사주소	서울 강서구 마곡중앙로 172, 바이오이노베이션파크
홈페이지	www.genexine.com



주: KFRS 연결 기준

## 주요 경영진

### 홍성준 대표이사

- 연세대학교 MBA, Vanderbilt Law School LLM
- 한국(KICPA) 및 미국(AICPA) 공인회계사
- New York 주 변호사
- 前) 로킵헬스케어 COO
- 前) 한독, 슈나이더 일렉트릭, 나이키 CFO



성명	직위	담당 업무	주요 경력
최재현	부사장	R&D총괄	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 現) 제넥신 R&amp;D 총괄</li> <li>- 前) 이피디바이오테라퓨틱스 대표이사 Arvinas (USA)</li> <li>- Trillium Therapeutics (Canada)</li> <li>- 삼성전자 종합기술원</li> <li>- Transition Therapeutics (Canada)</li> <li>- LG 화학</li> <li>- Univ. of Toronto (PhD)</li> <li>- 서울대 미생물학과 (학사, 석사)</li> </ul>
변미선	본부장	임상개발	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 現) 제넥신 임상개발본부장</li> <li>- 前) 제넥신 임상개발실장</li> <li>- 제넥신 전임상개발팀장</li> <li>- 인하대학교 박사 후 연구원</li> <li>- 가톨릭대학교 의대, Ph.D.</li> </ul>

## 02 연혁

## 독자적인 원천기술 기반으로 차세대 혁신 치료제 개발 통한 지속 성장

## 1999년~2009년

## 사업 기반 구축(기술 확보)

- 1999 (주)제넥신 설립(Gene + Vaccine)
- 2000 AIDS치료 DNA백신 L/O 및 공동개발(동아제약, 녹십자)
- 2002 B형 간염 치료 DNA백신 개발 과제 공동연구계약 체결  
(동아제약, 대웅제약, POSCO, POSTECH)  
당단백질 생산 고효율 벡터 및 세포주 제조 기술 개발
- 2005 B형 간염 치료제 임상 1상 돌입  
연구소기업 등록
- 2006 hyFc 개발 및 동아제약과 공동 연구개발
- 2008 GX-G6 L/O(일동제약)
- 2009 Hybrid Fc 한국 특허 등록  
코스닥 기술 특례 상장



## 2010년~2018년

## 성장 기반 마련(기술이전 및 연구 본격화)

- 2012 hyFc 개발 및 동아제약과 공동 연구개발
- 2013 일동제약에 기술 이전(GX-G6)
- 2014 GX-188E L/O(BSK, 중국)
- 2015 GX-I7 L/O(네오이문텍, 유럽, 미국)  
GX-3G, H9, G8, P2(전용실시권) L/O(I-Mab)  
GX-G6 (중국) L/O(I-Mab)  
GX-E4 L/O(KGBio)
- 2016 GX-E4 L/O(CWB, 중국)
- 2017 GX-I7 L/O(I-Mab, 중국)
- 2018 GX-I7, 고형암환자 대상 화학항암제 한국임상 1b/2a 진행  
GX-I7, TNBC 환자 대상 병용투여 한국임상 1b/2a 승인



## 2019년 ~

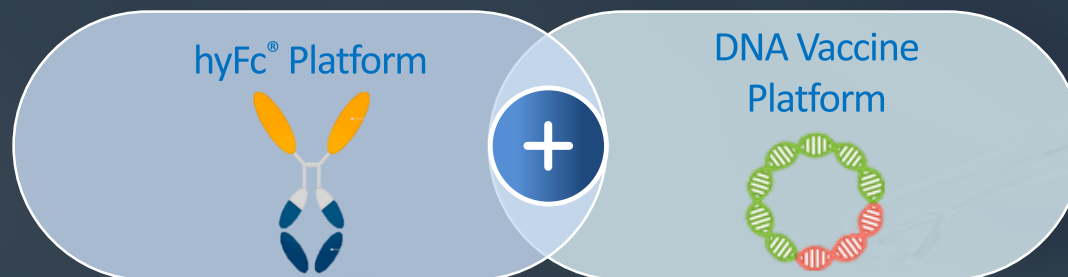
## 성장 가속(연구 결실 창출 및 제품화)

- 2019 GX-I7, 특발성 림프구감소증 대상 미국 희귀의약품 지정  
GX-188E, 자궁경부암 환자 대상 임상 2상 3단계 진행  
SITC 2019 학회에서 GX-I7 임상 1상 결과 발표
- 2020 GX-P1, GX-P10 기술이전(제넨바이오)  
GX-188E 식품의약품안전처 바이오 챌린저 선정  
GX-P1 L/O(Turret Capital)
- 2021 GX-I7 L/O(KG-Bio)  
제넥신 마국 신사옥 준공 및 사용승인 완료
- 2022 GX-E4 L/O(KG-Bio)  
GX-188E, 키트루다 병용 제1b/2상 CSR발표  
GX-H9 EMA(유럽의약품청)ODD 지정  
GX-I7 美 FDA ODD 지정
- 2023 GX-E4 인도네시아 BLA 승인  
GX-H9 임상 3상 종료
- 2024 Efesa(GX-E4)제품 출시  
EPD Biotherapeutics 합병

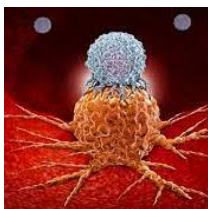


# 03 독자적인 원천기술 보유

차세대 혁신 치료제 개발을 위한 독자적인 원천기술 보유



## First in Class



**GX-I7**  
면역항암제

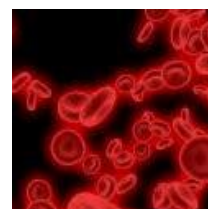


**GX-P1**  
면역억제제

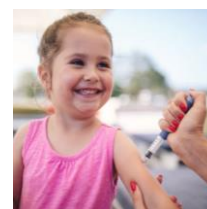


**GX-188E**  
항암DNA백신

## Best in Class



**GX-E4**  
신성빈혈  
치료제



**GX-H9**  
성장호르몬결핍증  
치료제



**GX-G6**  
비만/당뇨  
치료제



# 04 차세대 플랫폼 기술 'bioPROTAC' 확보

## '빅 파마'가 주목하는 차세대 플랫폼 기술 'bioPROTAC'

### 글로벌 빅파마들의 PROTAC 기술 투자



→ 화이자의 아르비나스 대규모 투자 진행  
: 2021년 프로탁 분야 선두기업인 아르비나스의  
파이프라인 'ARV-471'에 10억 달러(1조3000억 원) 투



→ 암젠의 프로탁 신약개발 기업 투자 진행  
: 2022년 2월 프로탁 신약개발 벤처기업인 플렉시움  
(Plexium)에 5억 달러(6600억원) 규모를 지원하는 공동  
연구 계약



→ 노바티스의 공동 연구개발 계약  
: 두나드 테라퓨틱스(Dunad therapeutics)와 13억  
달러(1조 7000억 원) 규모의 공동 연구개발

### 새롭게 집중 되는 bioPROTAC

- 기존 PROTAC의 한계 극복을 위한 bioPROTAC: PROTAC으로  
현재까지 분해 불가능한 novel 타겟 분해 가능



- KHIDI-Amgen Science Academy Pitching Day 수상
- Takeda-Korea Startup/Biopharma Acceleration Program 2023 수상



### ADC이후 차세대 모달리티로 떠오르는 표적단백질분해제(TPD)



ADC 다음은 나야 나 '프로탁'...  
① 단백질분해표적 기술



TPD, 신약개발 게임체인저?  
...글로벌 빅파마 '주목'



PROTAC 항암제 시장 7년 뒤  
37억달러 전망



제약바이오, 신약 모달리티 경쟁  
후끈...'프로탁·ADC' 등 주목



# 05 플랫폼 기반 신약개발

## Original Platform Technology

### 차세대 혁신 치료제 개발 플랫폼

**hyFc®**

다양한 API 결합



**hyFc® : Fc fusion IgD + IgG4**

**지속형 치료제**

FcRn과 다양한 약물 융합이 가능하고, 반감기에 따른 지속력 극대화할 수 있는 지속형 융합 단백질 플랫폼 기술

#### 적용범위

암, 내분기계/면역계통 질환 등의 만성질환 대상

신성빈혈


당뇨·비만

림프구감소증, 고형암

성장호르몬

**bioPROTAC**

Target binder (nanobody)



**Modified E3 Ligase**

**차세대 표적단백질분해제**

암 유발 단백질을 분해 및 제거하여 난치암을 비롯한 다양한 질병 치료가능한 표적 단백질 분해 기술

#### 적용범위

Novel 단백질 타겟 제거


편평세포암

아토피 피부염

뇌신경질환

SOC 병용

**DNA Vaccine**



**항암DNA백신**

강력한 T세포 면역반응으로 예방+치료 백신으로 사용가능한 DNA 백신 플랫폼 기술

#### 적용범위

유전자 치료 등의 난치병 시장 대상

HPV 바이러스 치료백신

편평세포암

# 06 Pipelines

hyFc DNA Vaccine bioPROTAC

Completed On going Planning

	Indication	Phase1	Phase2	Phase3	BLA	Sponsor (partner)
<b>GX-E4</b> Long acting EPO	CKD-induced Anemia, Non-dialysis pts.	(NDD) Phase 2 in KR		Asia & Oceania	Indonesia Korea	KGbio (Genexine)
	CKD-induced Anemia, dialysis pts.	(DD) Phase 2 in KR		EU & Asia		Genexine
<b>GX-H9</b> Long acting hGH	Pediatric Growth Hormone Deficiency	Phase 2 in KR/EU		China	China	Genexine, Handok, TJ Bio
<b>GX-G6</b> Long acting GLP1	Type II Diabetes, Obesity	Phase 2 in KR/EU		China		CSPC
<b>GX-I7</b> Long acting IL-7	Pancreatic cancer, ARS, solid cancers etc.	Phase 1~2 in US				NIT
<b>GX-BP1</b> SOX2 bioPROTAC	LUSC	TBD				
<b>GX-188E +GX-I7</b>	HNSCC	Phase 2 in KR(IIT)				Severance Hospital, NIT
<b>GX-188E</b> HPV plasmid DNA	Cervical SCC	Phase 2 in KR		Asia & etc.		Genexine(MSD)

## Corporate Identity

To be a Leading Bio Innovator  
Bringing better Lives for patients in the world

# Genexine

선제적으로 확보한  
신성장동력 파이프라인



**바이오프로탁(bioPROTAC)**

: 국내외에서 주목받고 있는 표적 단백질분해 플랫폼 기술

**GX-BP1**

비소세포폐암

**GX-BP2**

아토피 피부염/암

수년간 축적된  
신약개발 노하우



1999년 설립,  
25년의 기술 업력



국내 최초  
후보물질 발굴부터  
상업화까지



연구  
핵심 인력 보유

R&D 결실 맺는  
파이프라인 보유

**GX-E4(Efesa®)**

인도네시아 제품 출시, 한국 BLA 신청

**GX-H9**

임상 3상 종료, BLA 신청 후 제품 출시 계획

**GX-G6**

임상 3상 진행중, 추가 LO

Saving  
Lives  
through  
Innovation  
**Genexine**

CHAPTER

01

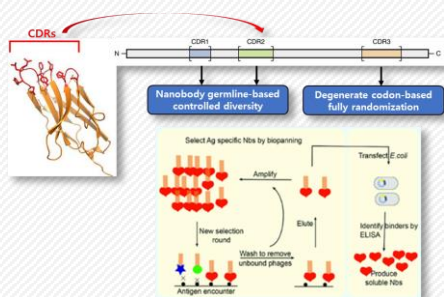
## New Platform Technology

bioPROTAC development



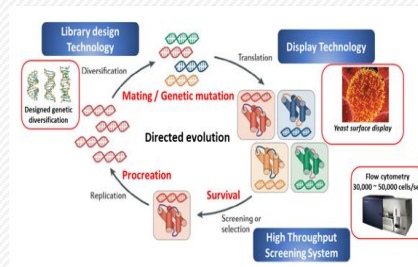
# 01 Core Technologies for bioPROTAC Development

## ■ 제넥신 고유의 synthetic 나노바디 라이브러리 구축



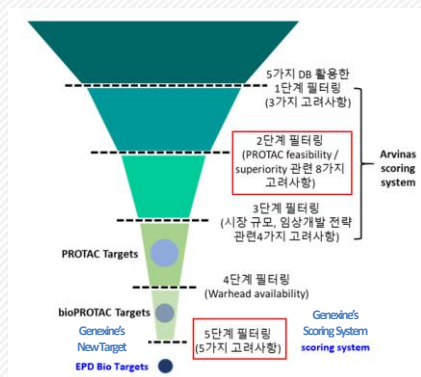
- 신규 target binder 내부 발굴 가능
- Nanobody 발굴 서비스 제공으로 부가 수입 창출 가능

## ■ Protein engineering 기술 보유



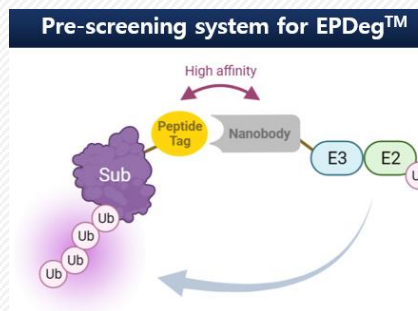
- yeast surface display & 하이-스루풋 스크리닝 시스템 활용
- Capable of affinity maturation
- Engineered E3 단백질 개발 가능

## ■ bioPROTAC으로 제거가능한 Novel 표적 단백질 선정



- New target evaluation 위한 A社의 scoring system 구현

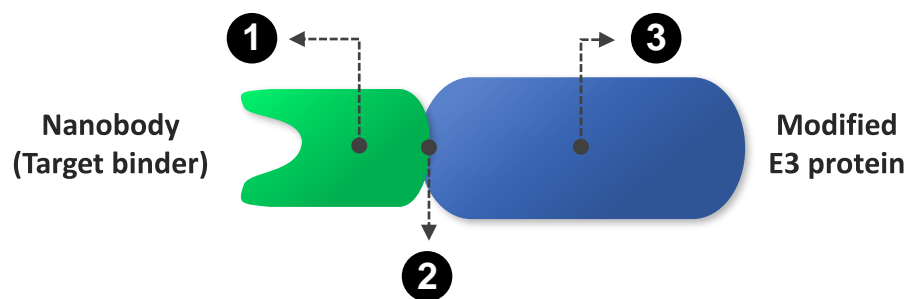
## ■ bioPROTAC 제작을 위한 핵심 기술 확보



- E3 pre-screening system
- NanoBRET target engagement assay
- IVT mRNA synthesis system

## 02 bioPROTAC platform: Differentiating Points



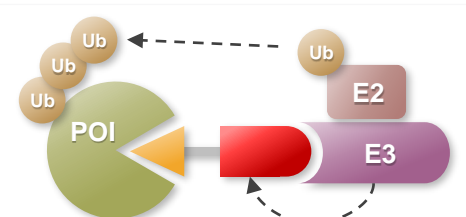
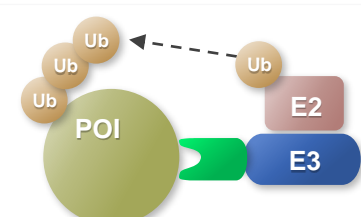
- EPDeg™ bioPROTAC EPDeg™ bioPROTAC은 Target binder와 E3 protein을 직접 fusion시킨 형태로서 저분자 화합물 기반 PROTAC 및 기타 bioPROTAC 대비 다음과 같은 장점이 있음



- 1 저분자화합물로는 결합 불가능한 most undruggable targets 까지도 분해 가능함
- 2 저분자화합물 기반 PROTAC 에 사용되는 링커가 필요 없는 관계로 더 적은 시간과 비용으로 약물개발 가능
- 3 E3 proteins에 결합 가능한 ligands (or antibodies)를 새로 찾을 필요 없는 관계로 현존하는 모든 E3 proteins 활용 가능함 & E3 proteins engineering으로 분해능 개선 가능함
- 4 당사가 기보유한 E3 proteins에 새로운 target binder만 fusion 시킴으로써 비교적 쉽고 빠르게 신규 EPDeg™ bioPROTAC 보유 가능



# 03 bioPROTAC: A Potential Solution to Overcome PROTAC's Challenges

	PROTAC	bioPROTAC
Structure	 <p>Heterobifunctional small molecules (SM ligand + Linker + E3 ligand)</p>	 <p>Fully engineered fusion proteins (BM binder + E3 ligase)</p>
MoA	 <p>SM ligand binds the target protein and recruits E3 ligase, inducing target ubiquitination and degradation</p>	 <p>BM binder engages the target protein while the modified E3 ligase directly catalyzes target ubiquitination and degradation</p>
Targetability	세포 내 단백질의 90% 이상에서 저분자화합물 리간드 작용불가.1) (PROTACtable targets은 세포내 단백질의 대략 6.85%로 추정)	대부분의 세포 내 단백질에 대한 접근 가능
Toxicity	오프타겟 효과로 인해 독성에 대한 우려	고도로 선택적인 표적 분해로 높은 안전성 기대
Constaruct	3가지 부분을 최적화하는 복잡성으로 인해 상당한 R&D 시간과 비용 필요	단순화된 구조로 설계-최적화-테스트 주기 가속화
Modularity	검증된 SM 리간드와 E3 리간드가 부족 다양한 타겟에 적용 제한적	바인더와 E3 리가제의 다양성은 효과적인 타겟 분해를 위한 다양한 옵션 제공

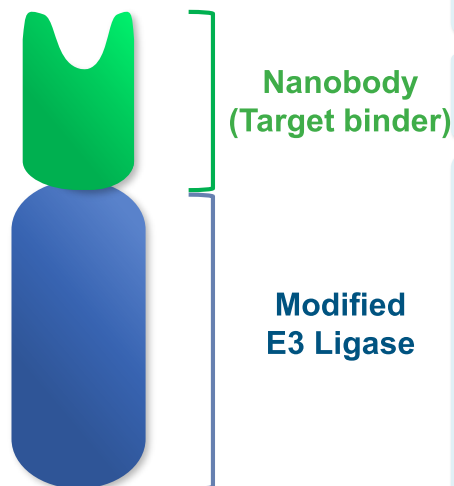
\* SM: Small molecule; POI: Protein of interest; BM: Biologics molecules

1) Nat Rev Drug Disc. 2021 Oct;20(10):789-797



# 04 GX-BP1: bioPROTAC-targeting SOX2

## GX-BP1 bioPROTAC-targeting SOX2

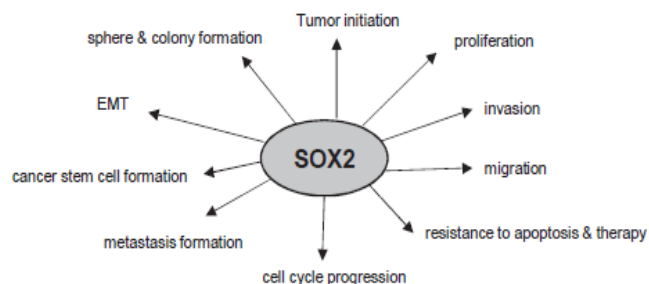


Classification	Description
Product Name	<ul style="list-style-type: none"> <li>GX-BP1</li> </ul>
MoA	<ul style="list-style-type: none"> <li>폐 표적 LNP+mRNA를 활용해 암세포를 찾아 이동하고 표적한 암세포 내부에서 발현</li> <li>SOX2에 선택적으로 결합하고 엔지니어링된 E3 리가아제의 유비퀴틴화 반응을 통해 표적 단백질을 분해</li> </ul>
Indication	<ul style="list-style-type: none"> <li>Non-small cell cancer - Lung squamous-cell carcinoma (NSCLC – LUSC)</li> </ul>
Progress Status	<b>SOX2 분해능</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>동일 전달농도에서 siRNA(경쟁약물) 대비 mRNA-LNP의 우월한 분해 확인</li> </ul>
	<b>암세포 성장억제 / 세포사멸 측정</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>경쟁약물 (carboplatin + paclitaxel) 단독처리군 대비 mRNA-LNP 약물과 병용처리군에서 동등이상 억제/사멸 확인</li> </ul>
	<b>Proteomics 분석</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>SOX2 단백질에 대한 선택적 분해 및 타 SOX family 단백질 유지 확인</li> </ul>
	<b>예비동물 유효성 연구(폐암 모델)</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>대조군 대비 70% 이상 항암 효능 확인</li> </ul>
	<b>예비 독성 연구</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>in vitro: DC50 10배 이상농도에서 normal cell에 처리 시 세포독성 없음 확인</li> <li>in vivo: DC50 10배 이상농도에서 폐사 및 몸무게변화 없음을 확인</li> </ul>
	<b>예비 분포 연구</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>일반 LNP 대비 폐로 약물전달 20배 이상 확인 (코로나백신에서 사용한 SM-102 제형 또는 이에 준하는 일반 LNP)</li> </ul>

# 05 GX-BP1: Novel Protein Target SOX2

현재 치료법의 한계를 극복할 수 있는 최초의 bioPROTAC 혁신 신약으로 새로운 LUSC 치료옵션 기대

## SOX2: most undruggable target for Oncology

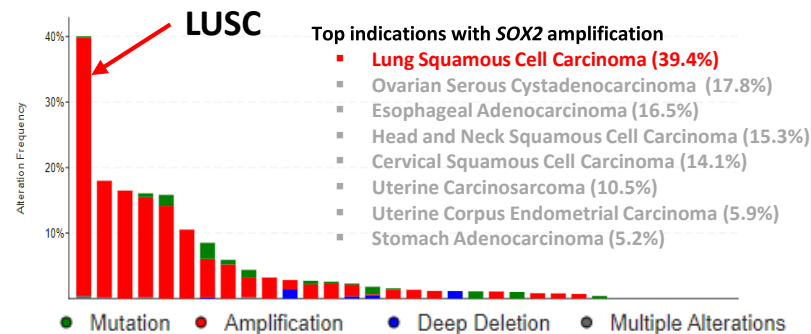


Novak et al., *Semin Cancer Biol.* 67 (2020) 74-82

- SOX2 암세포 분열, 생존, 전이 관련 역할
- Cancer stemness 유지 역할
- 표준치료제 저항성 획득 관련 역할
- 항암 면역반응 저해 관련 역할

현재까지 알려진  
Small Molecule  
SOX2 binder 없음

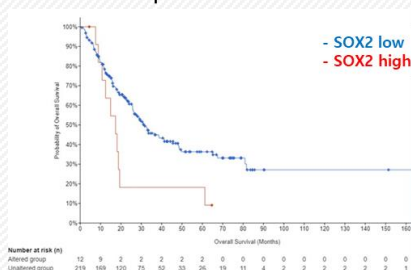
## SOX2 증폭된 대표적인 암 폐편평세포암 (LUSC)



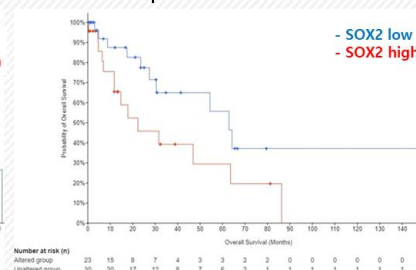
- SOX2가 증폭될 때 예후가 좋지 않은 폐암 환자의 하위 집단
  - 뇌 전이가 있는 비소세포폐암
  - PIK3CA 돌연변이, PTEN 돌연변이/삭제 또는 EGFR 돌연변이가 있는 LUSC
  - 도세탁셀 또는 파크리탁셀로 치료한 LUSC 환자

- NSCLC (LUSC) 환자 OS와 강력한 상관관계
- SOX2의 증폭은 편평세포암 (폐, 두경부, 자궁경부 등)에서 주로 관찰됨
- SOC, 특히 ICI 에 비교적 낮은 반응
- 現 임상단계 SOX2 표적 치료제 없음

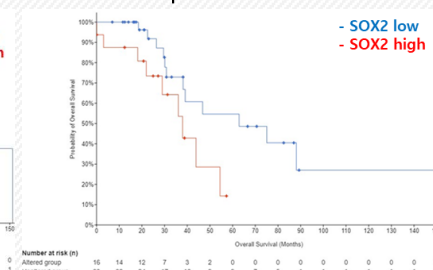
OS in NSCLC patients with brain metastasi



OS in LUSC patients with PIK3CA mutation



OS in LUSC patients with PTEN mutation

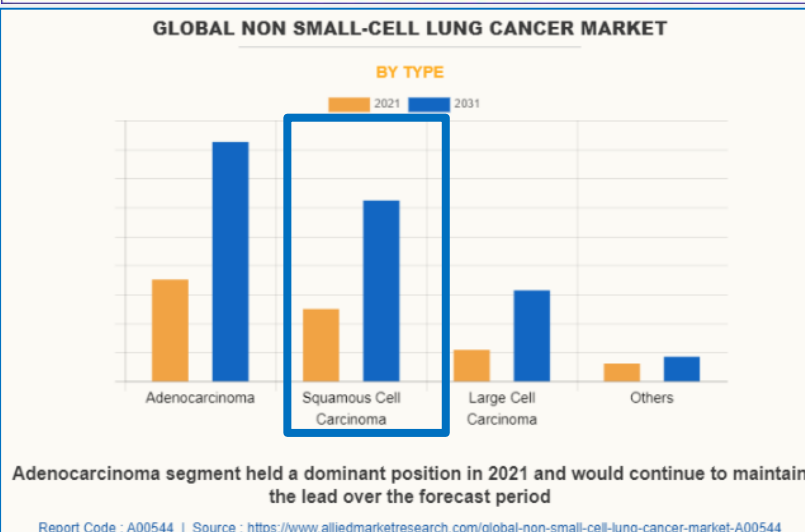
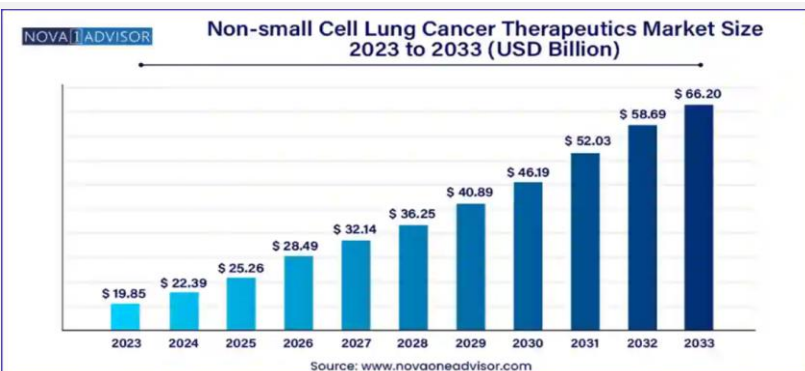


# 06 GX-BP1: LUSC Market Expectations

GLOBAL NSCLC market \$19.8 B (2023) → \$66.2 B (2033) (CAGR of 9.3%)

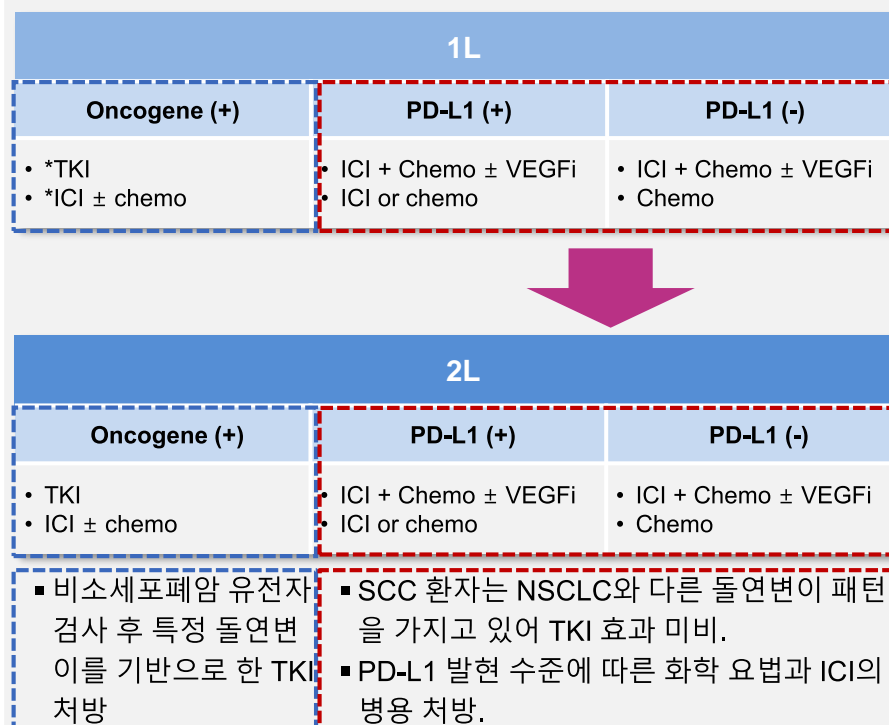
## Global LUSC Market Approx. \$19.86 B

- 전체 폐암환자중 NSCLC환자 85%
- 전체 NSCLC 환자 중 LUSC 환자 유병률 약 30%



## NSCLC: Subtype and Treatment algorithm

- Advanced or Metastatic NSCLC (Stage IV): NSCLC 환자의 약 40%



Saving  
Lives  
through  
Innovation  
**Genexine**

CHAPTER

## 03 Growth Momentum

- 01. 중점 추진전략
- 02. Investment Highlights
- 03. VISION

# 01 중점 추진전략

파이프라인 상용화 및 신규 파이프라인 발굴을 통한 지속성장동력 확보

Genexine

글로벌  
바이오텍 기업

신 성장동력  
확보

보유  
파이프라인  
결실

Growth Factor  
III

Growth Factor  
II

Growth Factor  
I

안정적 선순환 구조

新 파이프라인 연구

+

現 파이프라인 상용화

차세대 성장동력 준비

- 신규 파이프라인 'bioPROTAC' 확보
- 기존 R&D 역량 활용, 신규 플랫폼 및 파이프라인 구축

기존 사업 다각화

- 기존 파이프라인 상용화 통한 안정적 매출 구조 확보
- 글로벌 기술이전
- 전략적 투자 및 공동개발

## 02 Investment Highlights

희귀질환 치료제, 항암제 시장의 패러다임을 선도하는 글로벌 혁신 기업으로 도약

- 1 국내 최초 후보물질 발굴부터 상업화까지 진행한 바이오 신약개발 노하우
- 2 선제적으로 확보한 차세대 모달리티 'bioPROTAC': Amgen-진흥원, Takeda 피칭 수상
- 3 신규 파이프라인 디스커버리 지속: 'CAR-X 프로젝트', 바이오프로탁 적응증 확대 등...
- 4 기존 파이프라인 상용화 결과 발표 – 신규 파이프라인 연구 결과 발표
- 5 글로벌 파트너사 통한 협력체계 보유: Handok, Toolgen, TJ bio, KG bio, CSPC, CWB, Rezolute...

## 03 VISION

To be a Leading Bio Innovator  
Bringing better Lives for patients in the world

Genexine



바이오 신약 상용화

독보적 기술력을 기반으로 한  
바이오 신약 상용화 기업  
→ 상용화 레퍼런스 확보



글로벌 네트워크

미국, 인도네시아, 중국 등  
견고히 형성된 글로벌 네트워크  
→ Global 시장 경쟁력 확보



신규 파이프라인

신규 파이프라인  
확보를 통한 지속 성장

감사합니다