

# QG3030

폐경기 비만/골다공증 치료  
혁신 합성신약

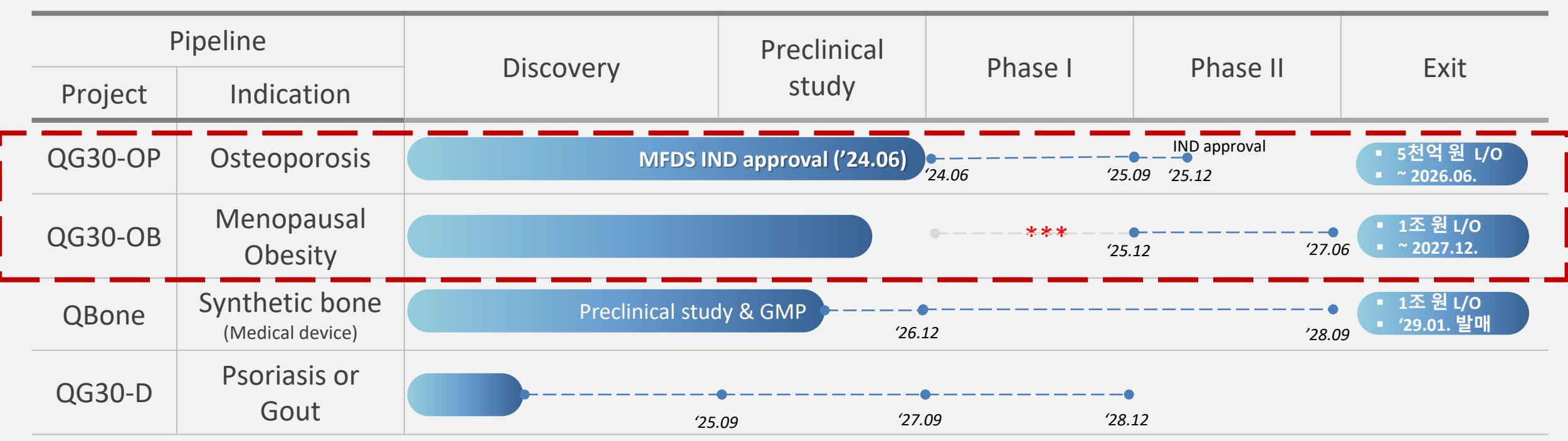


#### DISCLAIMER

This presentation contains certain forward-looking statements that are derived from the company's forecasts, business plans and strategy. While these statements represent our current judgment on future prospects, actual results may differ materially due to various factors such as modification of business plans and strategies, delays in bringing products to market, changes in regulations and so forth. Although Qgenetics, Inc. has taken great care in preparing the material, the company does not guarantee the accuracy or completeness of the material in this presentation. This material is neither an offer nor intended as investment, financial, legal, accounting, tax or any other advice.

## ■ 파이프라인

# QG3030을 골다공증 및 폐경기 비만치료제로서 동시 개발



\*\*\*: QG30-OP, QG30-OB project는 QG3030이라는 동일 신약후보 물질을 사용하는 것이므로, QG30-OP 임상 1상의 결과를 QG30-OB 임상 1상 결과로 동시 활용함.

# Core technology & Mission

## Core technology + Target technology

QG3030(NME) > 골다공증 치료제 >> 퇴행성 관절염, 비만, 근감소증으로 확대

### 고령층 다발성 질환 극복

#### Core technology

**MSC**(Mesenchymal Stem Cell)

분화세포

+

#### Target technology

Osteoblast



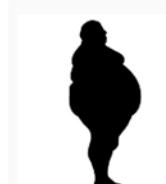
Osteoporosis

Chondrocyte



Degenerative arthritis

Adipocyte



Obesity

Myotube



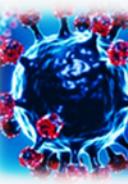
Sarcopenia

BChE, Ache, BACE



Alzheimer's Disease

RdRP



ssRNA virus Therapeutics HTS

#### 고령층 다발성 질환

#### 고령층 취약 질환

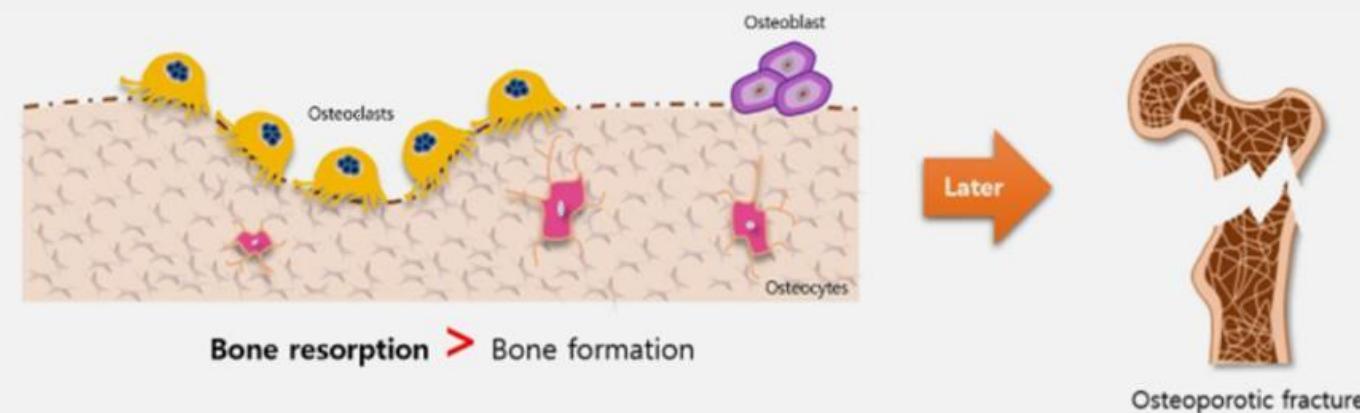
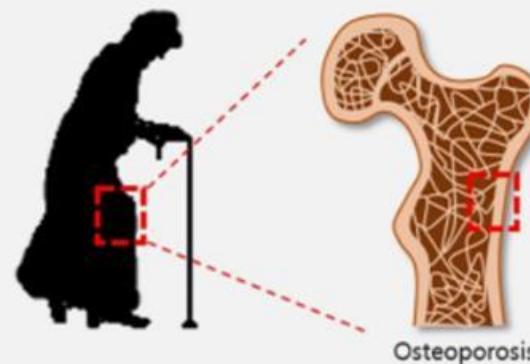
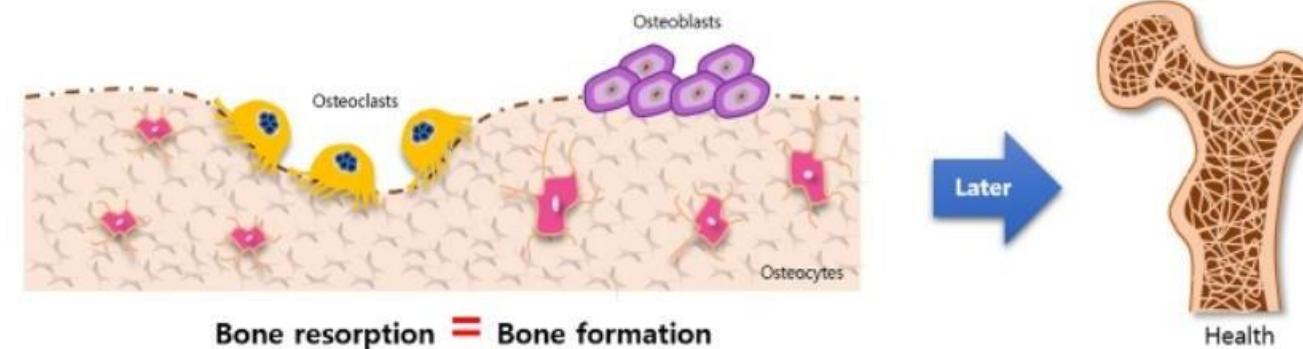
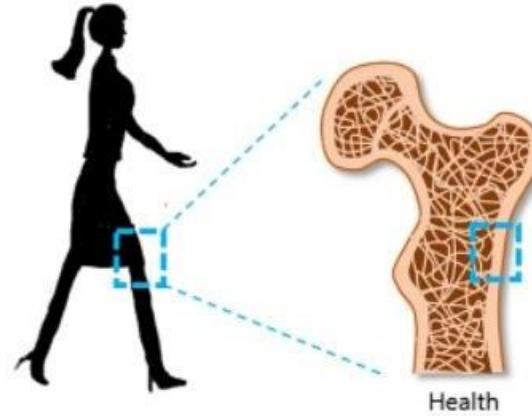
**QG3030**

**QG826**

**QG01**

# ■ 골다공증 원인

## ■ 뼈를 만드는 조골세포(osteoblast)와 뼈를 흡수하는 파골세포(osteoclast)의 불균형



# Market

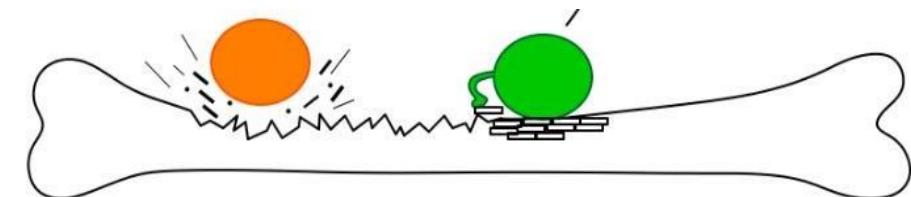
## 조골세포 촉진제가 35% 이상 시장 주도

- 파골세포 억제만으로 뼈의 생성 및 재생의 한계

Product Name (Ingredient Name)	Pharmaceutical Company	Classification	Category
Actionel (Risedronate)	Warner Chilcott	Bisphosphonate	Bone uptake inhibitors
Fosamax (Alendronate)	Merck		
Boniva/Boviva (Ibandronate)	Roche		
Aclasta (Zoledronic acid)	Norvatis		
Evista (Raloxifene)	Eli Lilly	SERM (Selective Estrogen Receptor Modulators)	
Viviant (Bazedoxifene)	Ligand, Pfizer		
Prolia (Denosumab)	Amgen	RANKL inhibitor	Osteogenesis Booster
Forteo (Teriparatide)	Eli Lilly	Parathyroid Hormone	

### 파골세포 억제제 (osteoclast inhibitor)

- Bisphosphonate
- SERM
- RANKL inhibitor

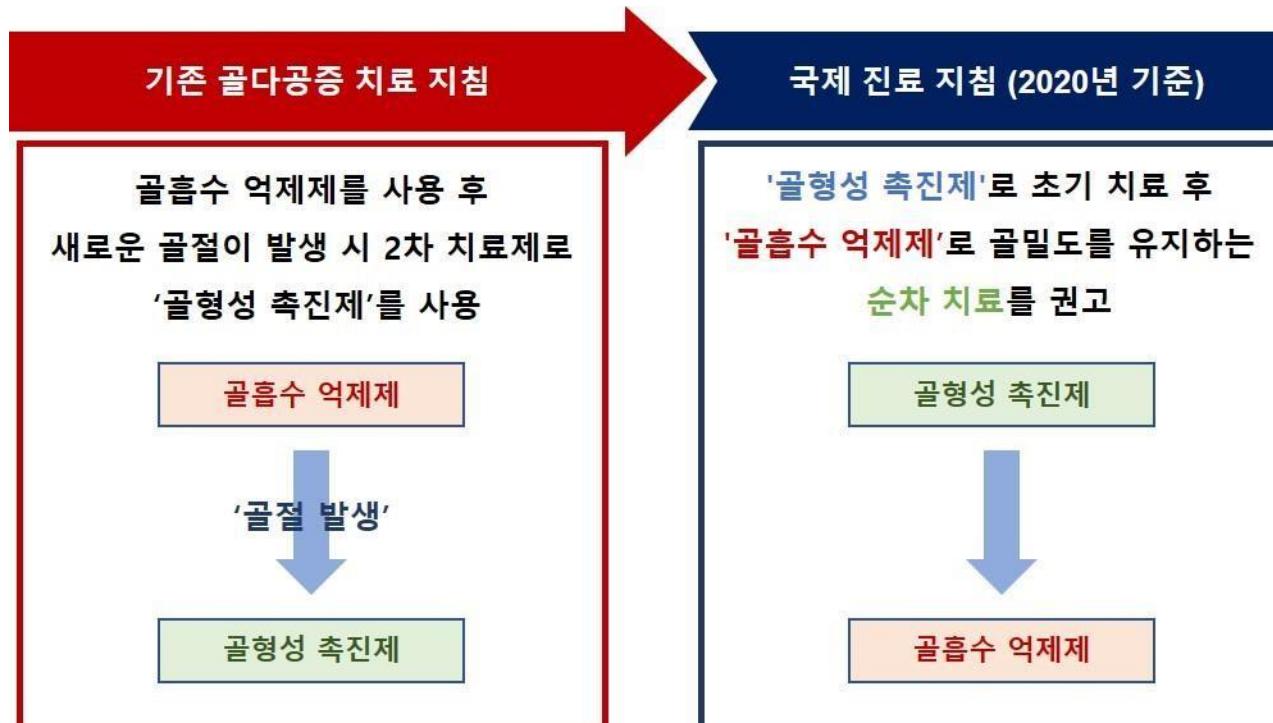


### 조골세포 촉진제 (osteoblast activator)

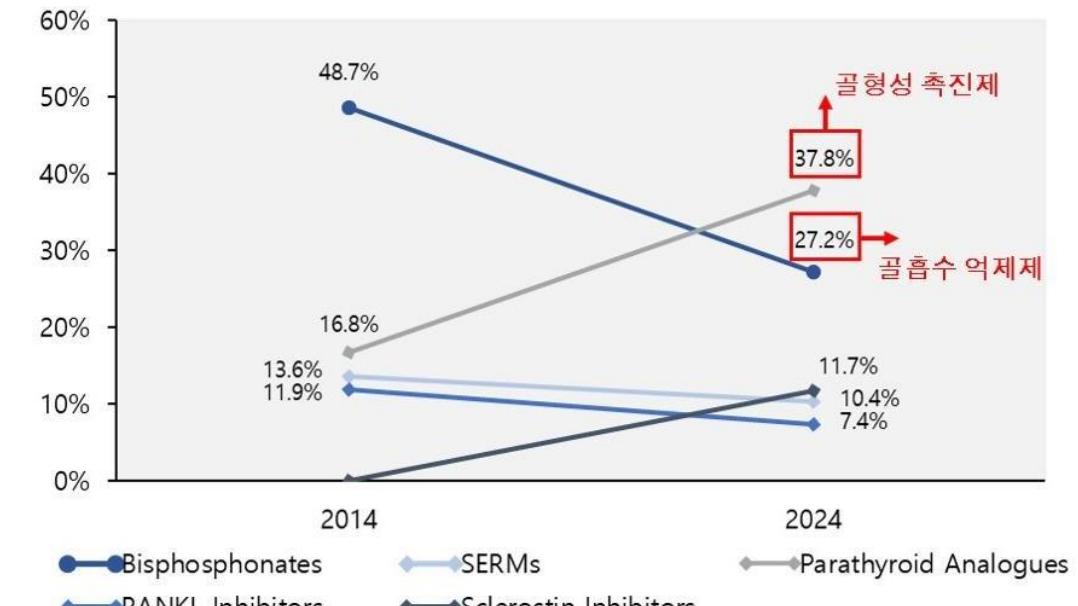
- Parathyroid hormone analogue (PTH)  
Teriparatide (Forteo), Lilly
- Sclerostin target monoclonal antibody  
Romosozumab (Evenity), Amgen

# Market

## 조골세포 촉진제가 향후에도 시장 점유 및 선도 확실



자료 : 2020년 골다공증 진단 및 치료 가이드라인 미국임상내분비학회 · 내분비학회(AACE·ACE)



자료 : Decision Resources Group, KHIDI

약물군별 시장 점유율 전망(2014~2024)

# ■ Problem

## 경쟁의약품(조골세포 촉진제)의 문제점

- 낮은 순응도, 높은 부작용, 비싸고, 투여기간 한계로 완치까지 사용 못함

# HIGH

Side effect

관절통,  
고칼슘혈증,  
발진, 피부염

Drug price

70~130만 원  
/ 6개월

# LOW

Compliance

주사제  
(내원)

Admin. period

12~24개월  
(옵션 한계, 불치)

# ■ Solution, QG3030

시장 점유 및 선도하는 경쟁 의약품의 문제점을 해결할 수 있는 신약후보물질

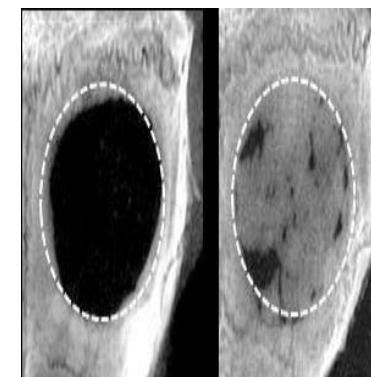
경구투여제

높은 순응도



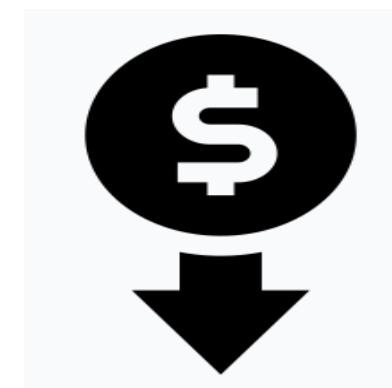
골형성 촉진제

효능 증가



합성의약품

의료비 절감



무독성

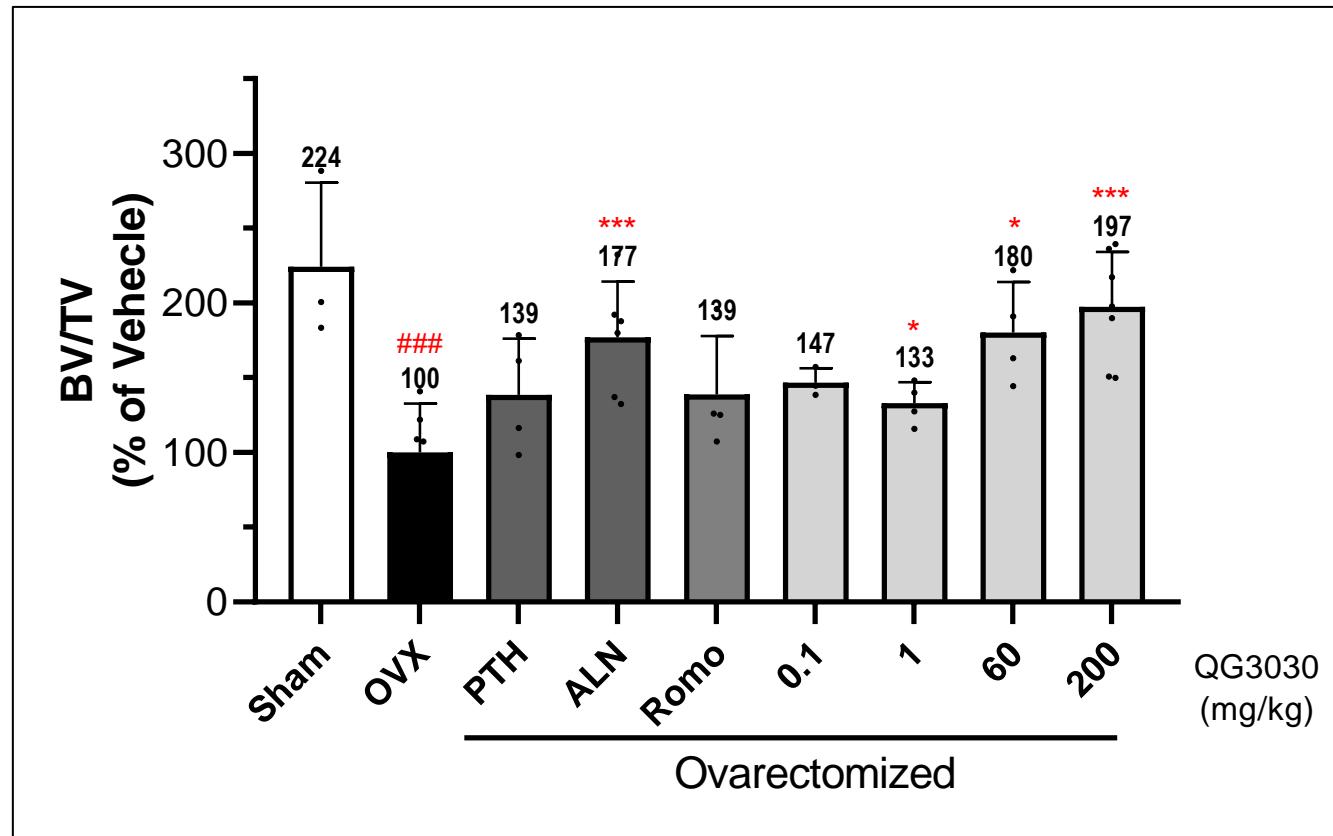
완치까지 투여



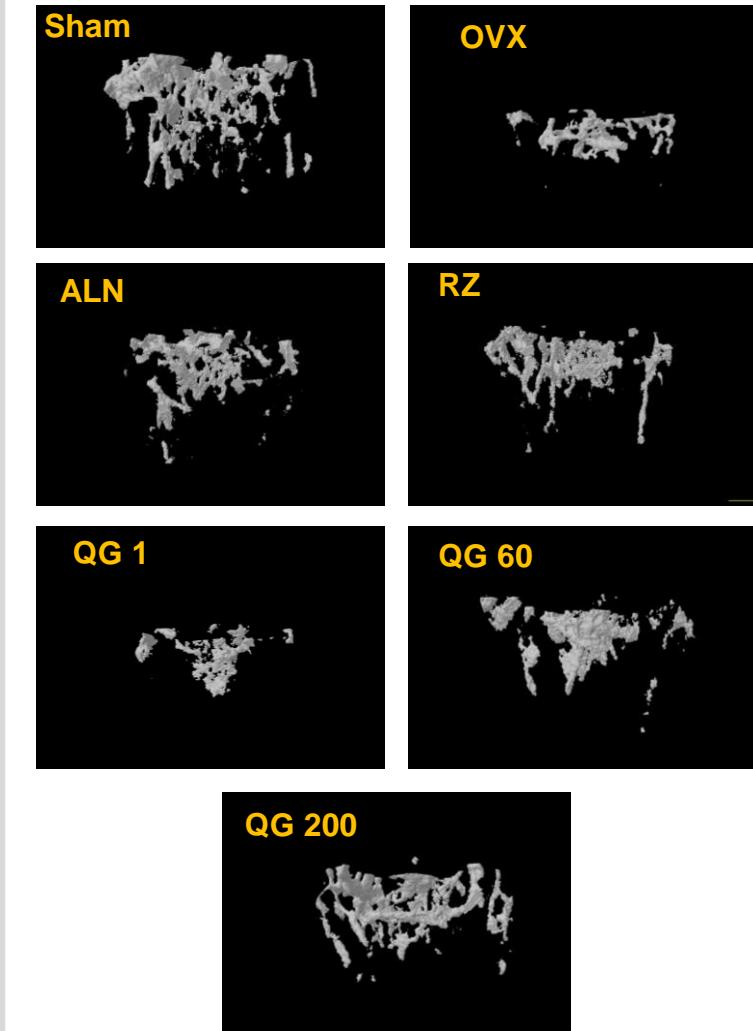
# ■ In vivo 효능

## 골다공증 마우스 모델(OVX)에서 골형성 확인(microCT)

- 양성대조군 대비 우수한 효능 및 DRF (1~200mpk) 확인



Trabecular bone (3D), microCT



# ■ 임상시험 1상 승인

## QG3030 임상(1상)시험계획 승인 (24년 6월 12일, 식약처) 및 관련 보도자료

제 102126 호				
<b>임상시험계획 승인서</b>				
의뢰자	업체명	주식회사큐제네틱스		
	성명	장문석		
	소재지	서울특별시 동대문구 경희대로 23 504호(경희대학교 (구)이과대학 서울바이오산학협력센터) 신약개발연구소		
시험약 정보	제품명 (또는 코드명)	QG3030정	주성분명 (또는 코드명)	QG3030
	제형	필름코팅정		
	주성분 함량	QG3030, 150.0 밀리그램		
	사용(유효)기간	제조일로부터 최대 36개월까지 (안정성시험계획에 따라 자체 검사)		
	「약사법」 제34조제1항 및 「의약품 등의 안전에 관한 규칙」 제24조제7항에 따라 위와 같이 승인합니다.			
2024.6.12				
식품의약품안전처장 				

**머니투데이**

VIP Q

☰ 뉴스 증권 정치 법률 유니콘팩토리 헬스바이오 칼럼 연예 이슈 MT리포트 속보 신세계 여전 프리미엄 아울렛 전화 점

### 큐제네틱스, 골다공증 신약후보물질 'QC3030' 임상1상 IND 승인

골형성 촉진 치료제 개발 기업 **큐제네틱스**는 골다공증 치료용 신약 후보물질인 'QG3030'가 지난 12일 식품의약품안전처로부터 임상 1상 임상시험계획(IND)을 승인받았다고 18일 밝혔다.

큐제네틱스가 개발하는 골다공증 치료제 QG3030은 저분자 합성 화합물로, 중간엽 줄기세포로부터 조골세포로의 분화를 촉진해 골밀도를 증가시킨다. 기존 치료제와 다른 타겟 및 신호전달 기전을 가지고 골밀도를 증가시킬 수 있는 물질이라는 설명이다.

Ref. Money Today, 2024. 06. 18. 18:30, <https://news.mt.co.kr/mtview.php?no=2024061816093176564>

**70<sup>TH</sup> The Yakup 1954-2024**

창립 70년, 종이를 100년 먹력을 끌다.

☰ 뉴스  
전체기사 제도 산업 글로벌 학술·임상 인터뷰 오피니언 컬처

**큐제네틱스, 골다공증 치료용 저분자 합성 신약후보물질 임상1상 IND 승인**

서울바이오허브와 협력 통해 연구개발 가속화- 시리즈 B 투자 유치 추진

이권구 기자 | kwon9@yakup.com

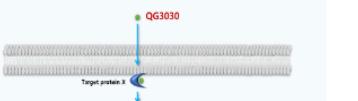
입력 2024-07-01 14:53 수정 2024.07.01 15:03

**- QG3030의 특장점 -**

- 경구투여제 높은 순응도
- 골형성 촉진제 효능 증가



**- 신규 타겟 및 신호전달 체계 -**



# ■ 임상시험 1상 진행

## ■ 충남대 CRC 진행(약리학 교실 홍장희 교수)

- MediData mock CRF 완료, IRB 승인, SRC 개시, IP 제조 완료(KMEDI-Hub), PK vendor(DT&CRO), Logistics(줄릭파마)



PI, 홍장희 교수  
충남대 CRC 센터장



임성빈 교수  
경희대 임상약리학과  
주임 교수

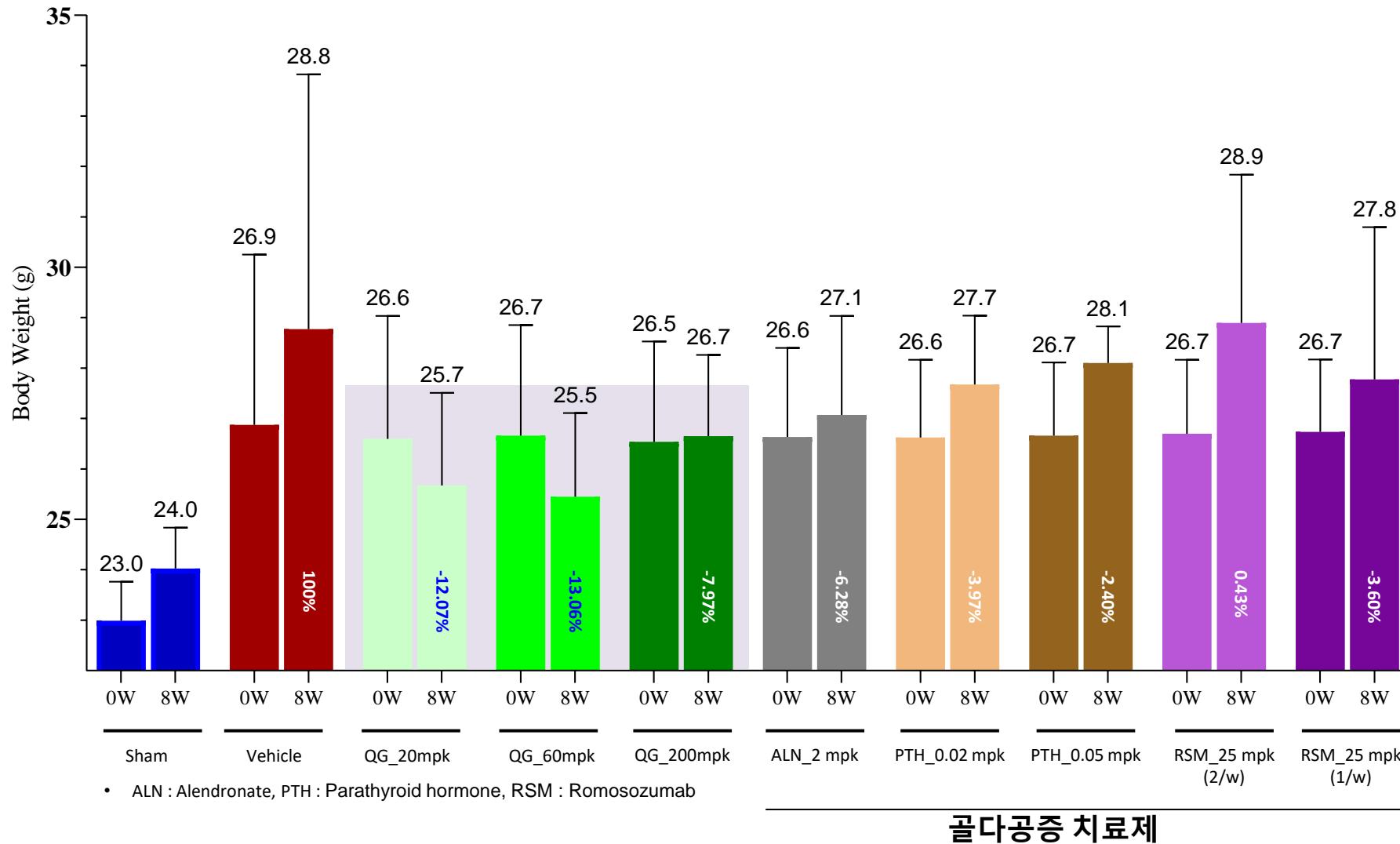


박지영 교수  
고려대 임상병리학과  
과장

Items	Planned Date	Complete
IND approval	2024.06.12	✓
Site Selection Visit	2024.06.19	✓
<b>IRB initial submission</b>	<b>2024.06.26</b>	✓
IRB approval	2024.08	✓
Site Contact execution	2024.09	✓
<b>Site Initiation Visit</b>	<b>2024.09</b>	✓
<b>First patient In (FPI)</b>	<b>2024.09</b>	<b>11/17</b>
Last Patient In (LPI)	2025.03	
Last Patient Out (LPO)	2025.04	
Final DBL	2025.06	
Site Close-out	2025.08	
CSR	2025.09	

# ■ 골다공증 연구 과정 중 비만 억제 효능 발견

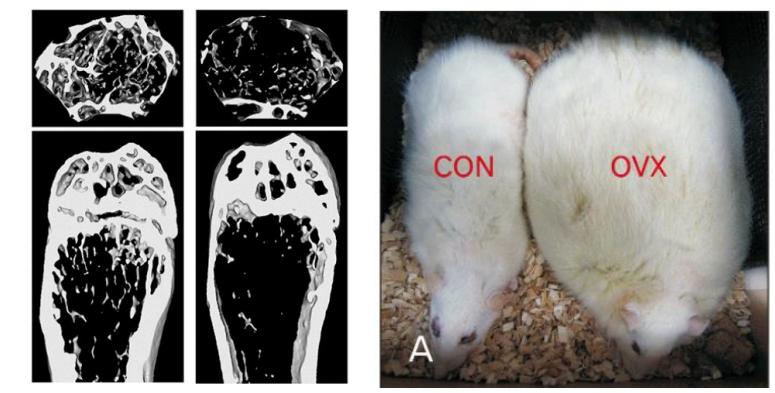
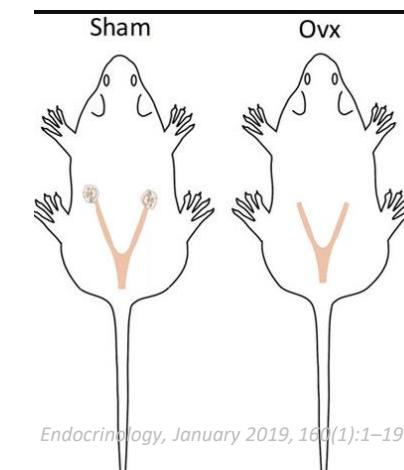
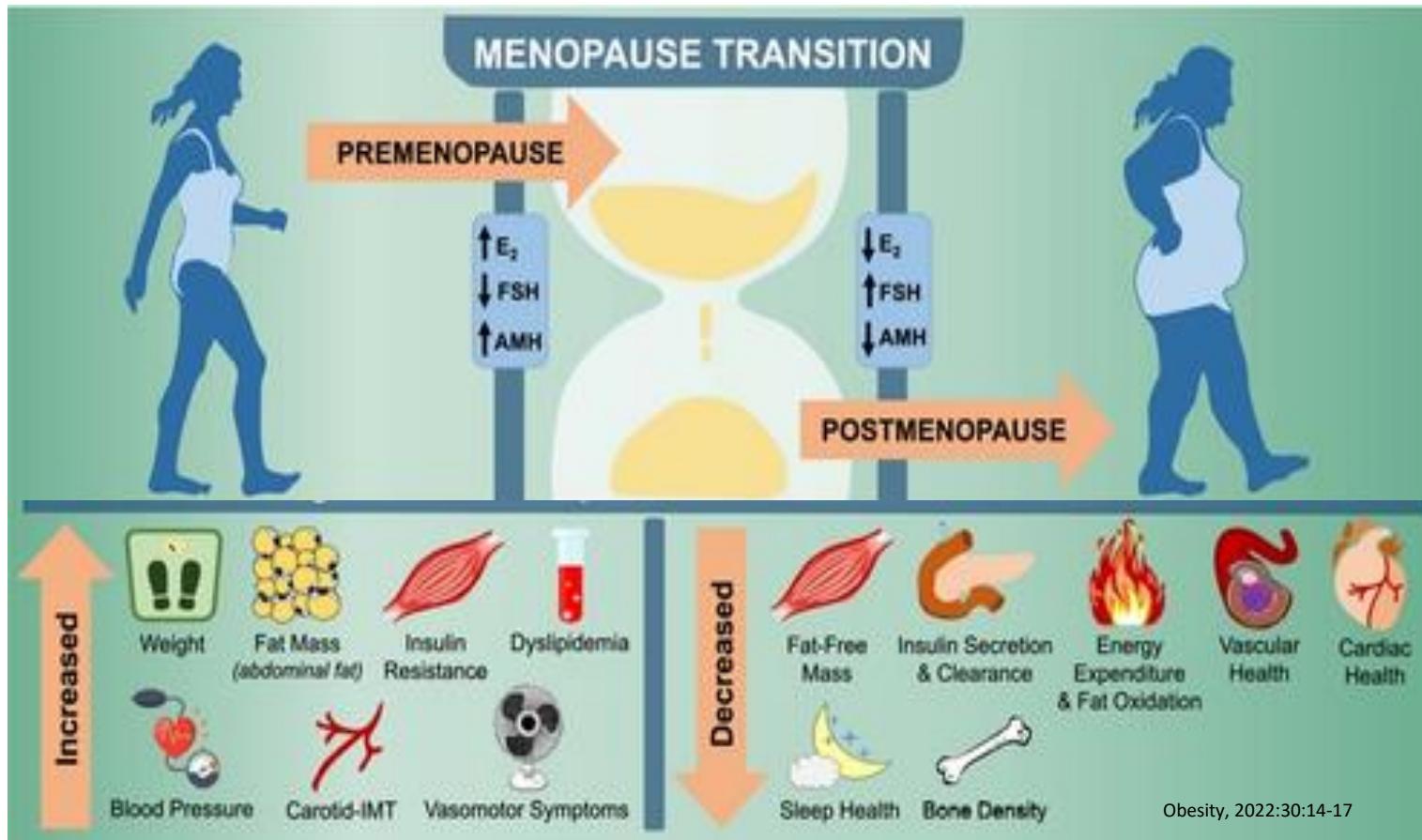
## ■ 난소절제 동물 모델(골다공증)에서 체중 변화 발견



# ■ Menopausal obesity mimic OVX mouse model

폐경기: 노화 → 대사(호르몬) 변화 → 골결손, 체중 증가

OVX: 난소 적출 → 대사(호르몬) 변화 → 골결손, 체중 증가



# ■ Menopausal obesity

폐경기 여성의 50% 이상이 weight gain

Standard therapy: GLP-1 RA 계열

## The facts

In developed countries, women live 1/3 of their lives (or about 30 years) after menopause. In these countries, 2/3 of women after the age of 40 are already overweight or obese.

Many women report that they gain weight at or near the time of their menopause. In a survey in Europe, post-menopausal women were asked about the influence of various hormonal events on their weight: 50% of these women claimed an increase of weight of at least 4.5 kg at the time of menopause and only 4% mentioned a decrease of the same order. The

Ref.: World Obesity Organization, Weight gain at the time of menopause

**BMI  $\geq 27\text{kg}/\text{m}^2$  with comorbidities**  
**BMI  $\geq 30\text{kg}/\text{m}^2$**

Balanced hypocaloric diet

Increased physical activity

Patient

Pharmacotherapy

Professional

### Drug Characteristics

Semaglutide 2.4 mg (\*)

Tirzepatide 15.0 mg

Liraglutide 3.0 mg

Lack of effect

Poor tolerance

Contraindicated

Ref.: ClimaCteriC2024, VOL. 27, NO. 4, 357–363

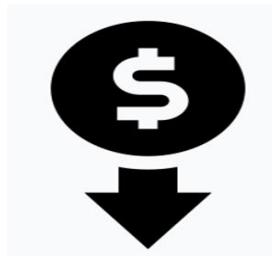
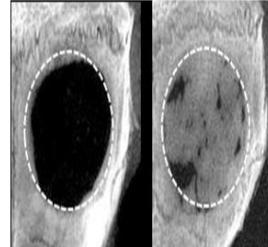
# ■ QG30-OB 경쟁력

## ■ GLP-1 RA 대비 경쟁력 확보 시 신시장(폐경기 비만 치료제) 독점

경구투여제  
높은 순응도



골형성 촉진제  
효능 증가



합성의약품  
의료비 절감



무독성  
완치까지 투여

QG3030 (QG30-OP)

- **효능 목표:** 임상 2상에서 GLP-1RA 비열등성 입증
- **제형 목표:** 경구제로 경쟁력 확보
- **MOA 및 타겟:** Adipocyte differentiation suppressor, target protein X를 통한 energy depletion

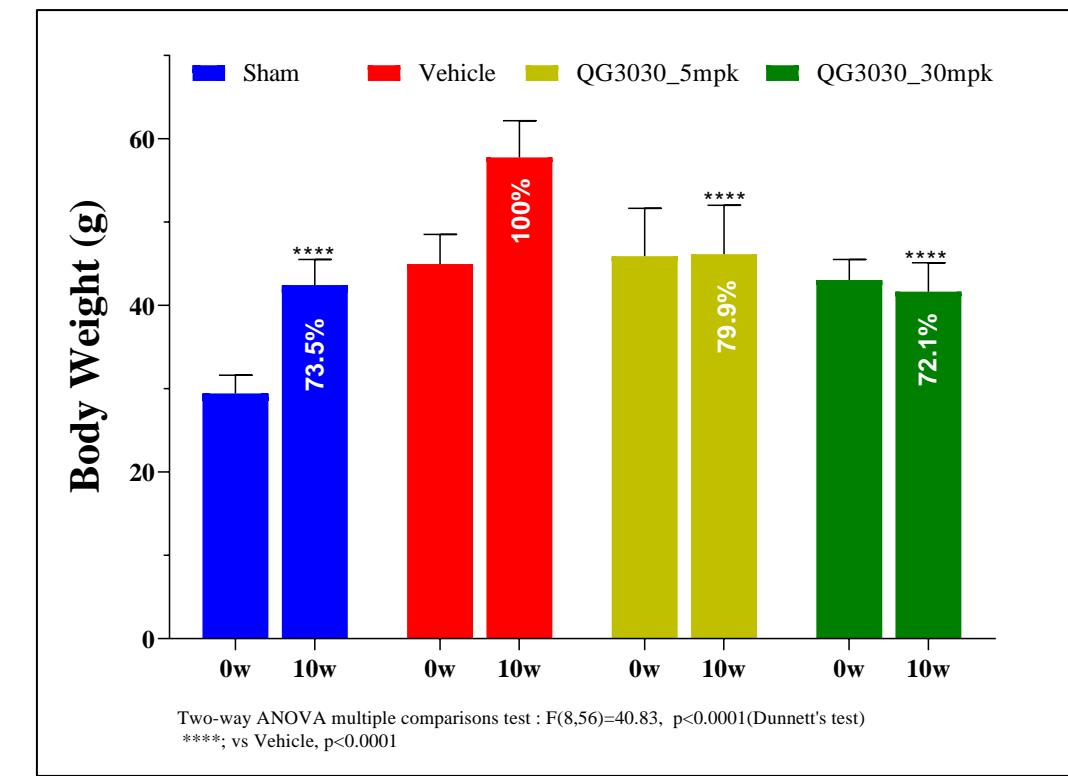
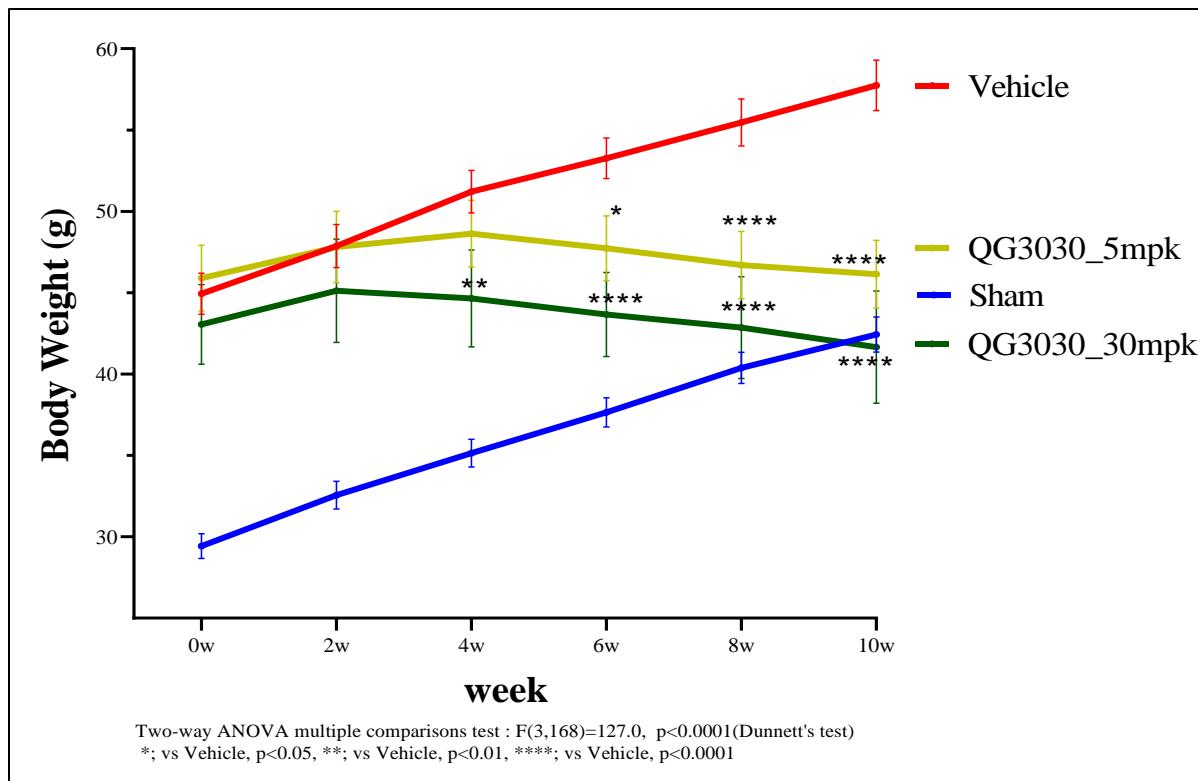
→ 폐경기 비만 치료제 신시장 창출 및 독점

# ■ QG30-OB: In vivo assay

## OVX induced mouse obesity model study

OVX mouse body weight (Vehicle) is increased 27% than normal group (Sham)

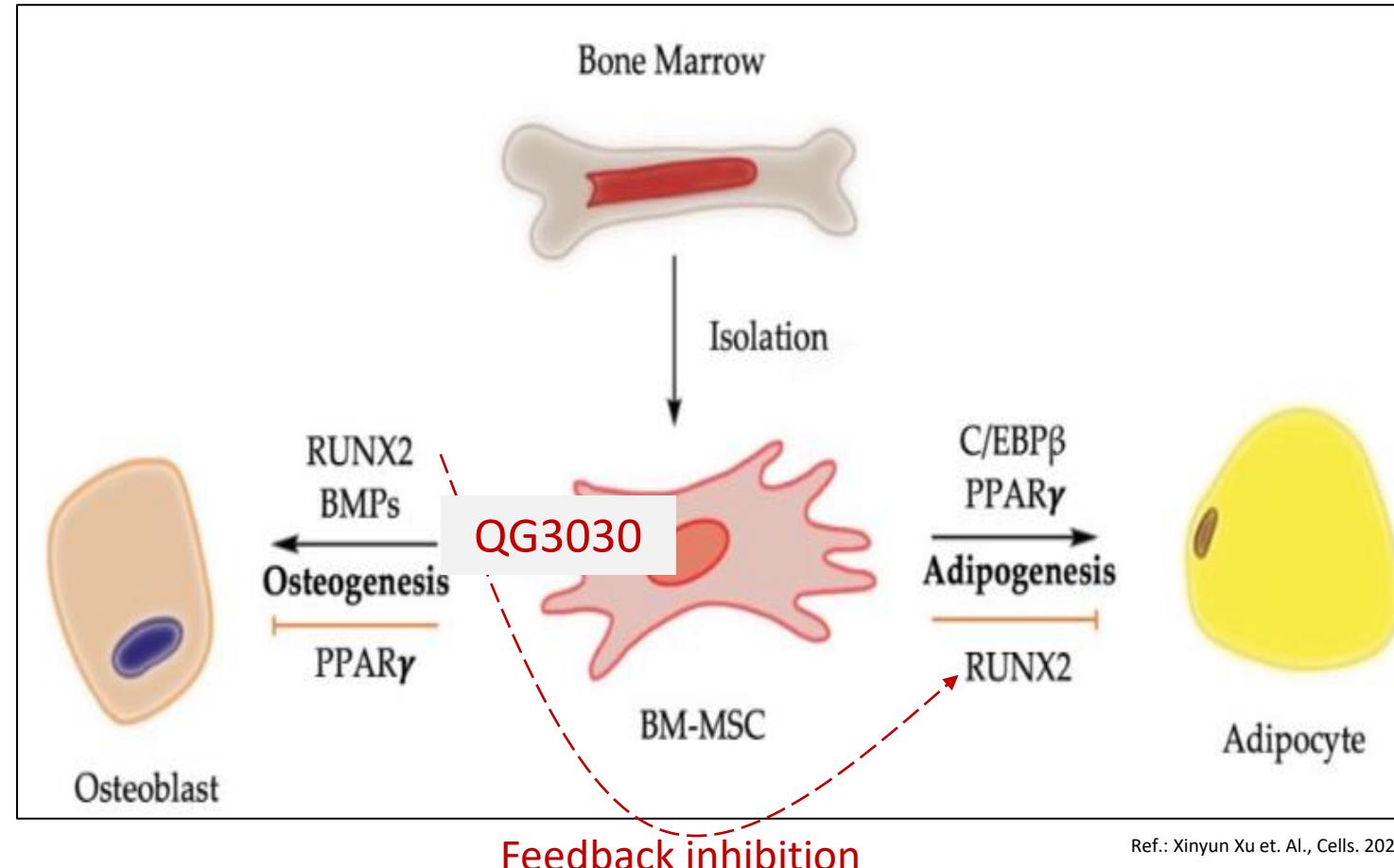
QG3030 reduced body weight of OVX induced obesity over 28%



# ■ QG3030 (비만치료제) MOA

## 골형성 효과 → 비만억제 효과

- 세포생물학적 기전: MSC로부터 osteoblast 분화 촉진 → MSC로부터 adipocyte 분화 제한
- 분자생물학적 기전: Target protein X에 의해 ATP소모 → 에너지 대사 촉진



# ■ 임상시험 1상 진행

## ■ 골다공증 임상 1상 + 비만 바이오마커 모니터링(BW, TG, LDL, HDL, Glucose in plasma)

- 7일간 반복투여(MAD) cohort에서 체중 및 비만 관련 바이오 마커 분석 예정(PRT, ICF 수정 완료)

**Part 1 (SAD study) – 단회투여**

코호트	용량군 및 투여 용량	시험대상자 수
S1	시험군	QG3030 150 mg
	대조군	QG3030 위약
S2	시험군	QG3030 300 mg
	대조군	QG3030 위약
S3	시험군	QG3030 600 mg
	대조군	QG3030 위약
S4	시험군	QG3030 1200 mg
	대조군	QG3030 위약
S5	시험군	QG3030 1500 mg
	대조군	QG3030 위약

**Part 2 (MAD study) – 반복투여**

<1일 1회 7일간 투여>

단, Part 2의 코호트 별 투여 용량, 투여 간격, 투여 기간 등은 Part 1과는 다른 경우가 있으므로 안전성 평가 결과에 따라 변경될 수 있다.

코호트	용량군 및 투여 용량	시험대상자 수
M1	시험군	QG3030 300 mg
	대조군	QG3030 위약
M2	시험군	QG3030 450 mg
	대조군	QG3030 위약

# ■ 회사 개요

2024

## Series B 투자 유치 중

- QG3030 임상1상 IND 승인(6/12, MFDS)
- 산자부 과제(이종기술융합, 25억) 선정
- Boston 소재 CIC 입주 기업 선정

2023

- Bridge B 투자 유치(33억)
- QG3030 임상1상 IND 신청

2022

- 비임상 연구, CMC 완료
- Scale-up TIPS 과제(6억) 선정
- SBA 하이서울 우수기업인증

2021

- Series A 투자 유치 (30억 원)
- BIG 3 혁신성장기업 선정
- SBA 유망스타트업 선정
- 중기부 창업기업지원 선정

2020

- Pre A 투자 유치 (10억 원)
- QG3030 물질 및 효능특허 출원
- 장문석 대표이사 취임

2018

- 과학기술정보통신부 과제 선정

2016

- BI 우수기업선정 (KIST 기술벤처재단)

(주)큐제네틱스 설립



## 장문석 대표이사

- 연세대학교 생화학과
- 서울대학교 생명과학부 박사
- Harvard 의대 선임연구원
- Harvard 의대 방문교수
- 경희대학교 교수
- MSC(중간엽 줄기세포)연구 전문가

항목	현황
SCI 급 논문	46 개
IP	국내 등록(16 건), 국제 등록(3 건), 국제출원(3 건)
정부과제 수주	<b>12건 (총 5,360 백만 원)</b>
투자유치	Pre A (10 억, 2020), Series A (30억, 2021년), Bridge B (33억, 2023)
자본금	335,980,000 원
임직원 수	16 명

# ■ 투자유치 현황(2024년 10월 현재)

폐경기 비만/골다공증 임상 1상, 글로벌 L/O 위해 series B 유치 중

## Bridge series B 2023. 05



- 투자금: 33억
- Post value: 353억
- 임상 1상 및 운영자금



## Series B ~2024. 12.

### • 투자유치목표금액: 70억

- 골다공증 임상1상연구, 적응증 확대(폐경기 비만) 전 임상 연구, Qbone 개발, L/O을 위한 글로벌 BD 활동 등
- 353억 원 pre-value
- 산자부 25억 과제 수주, Bridge B series B 기투자기관 투자 완료

# Appendix

# ■ 경영진



**이민석** 부사장, Ph.D.

- 사업개발, 상장, 투자 전문가
- CJ 제일 제당
- 한국바이오협회 전략기획실장
- 알테오젠 전무



**이태희** 전무, Ph.D.

- 줄기세포 분화 전문가
- Harvard 의과대학 전임강사
- 연세대학교, 경희대학교 연구교수



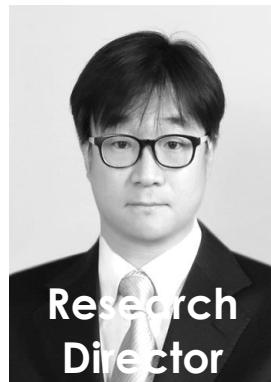
**김지완** 전무, Ph.D.

- 신약 R&BD 전문가
- NIH visiting fellow
- 대웅, 녹십자 웰빙 수석연구원
- 프롬바이오, 엔지켐생명과학, 지놈앤클퍼니 연구소장



**권진아** 전무, Ph.D.

- MIT, Research Faculty / Research Scientist
- (주) 지아이이노베이션/임상 개발팀장
- (주) HLB / 바이오사업총괄, 사업개발부문장
- 진원생명과학(주) / 사업개발 본부장



**이준호** 상무, Ph.D.

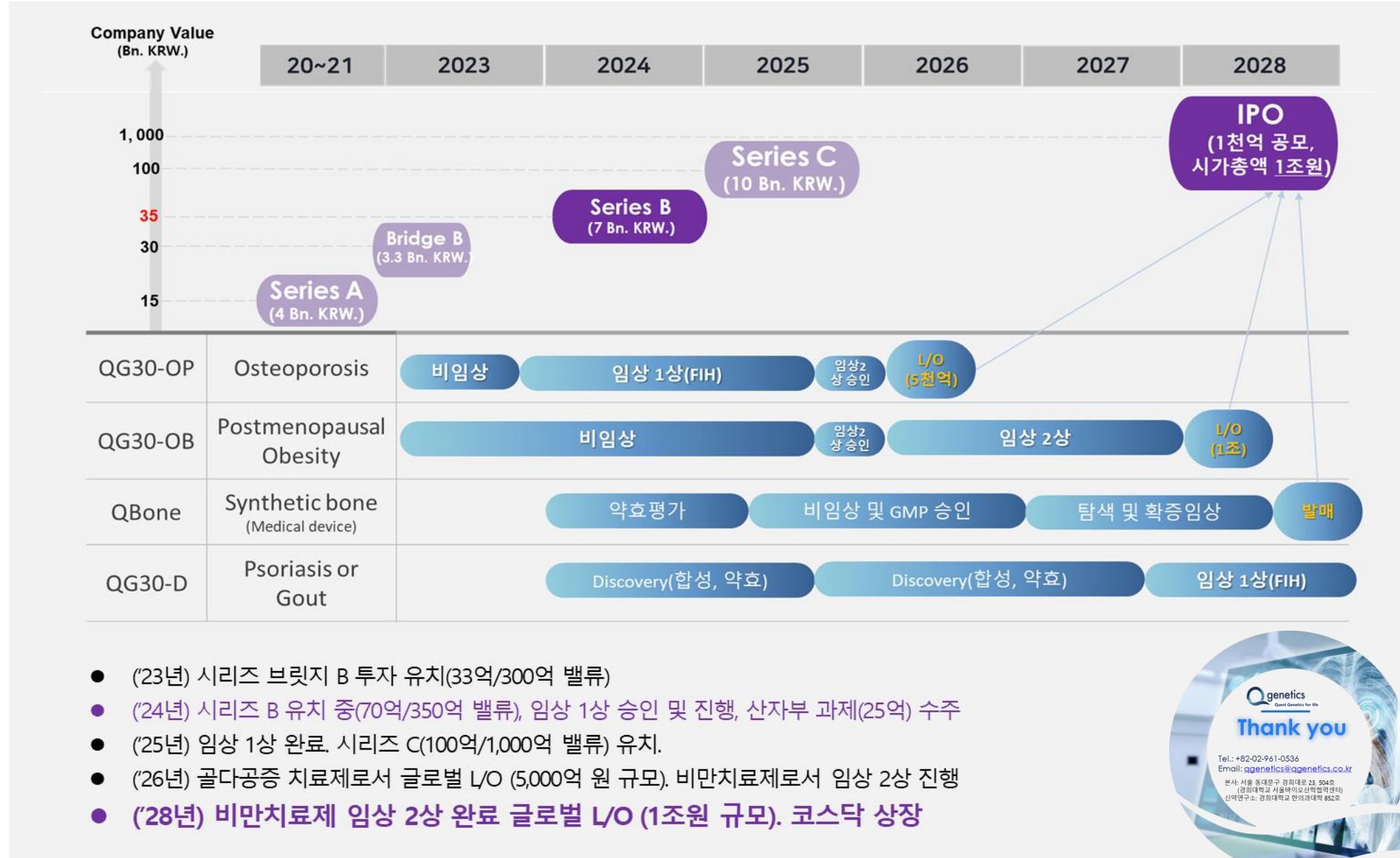
- 신약연구 전문가
- NIH visiting fellow
- 코오롱생명과학 PI
- 프롬바이오 연구소장



**박지영** 교수, MD, Ph.D.

- Harvard 의대 방문교수
- 고려대 임상약리학교실 교수
- 고려대학교 의과대학 교수
- 고려대학교 임상약리학과장

# ■ Exit plan & Thank you!

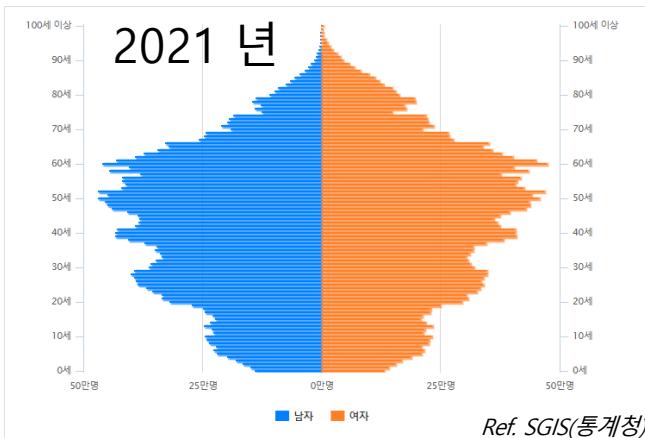
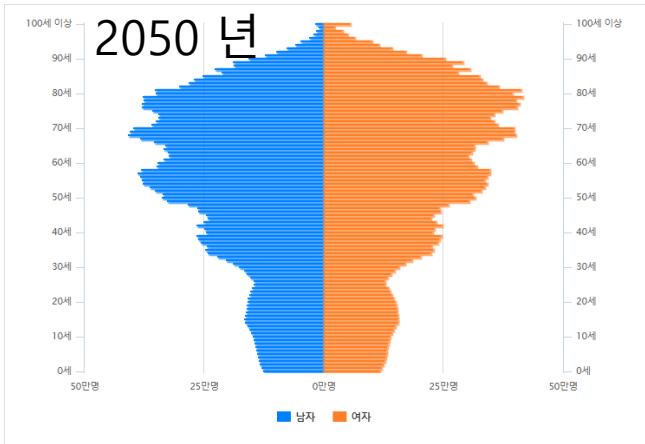


# ■ 골다공증 심각성 및 치료제 필요성

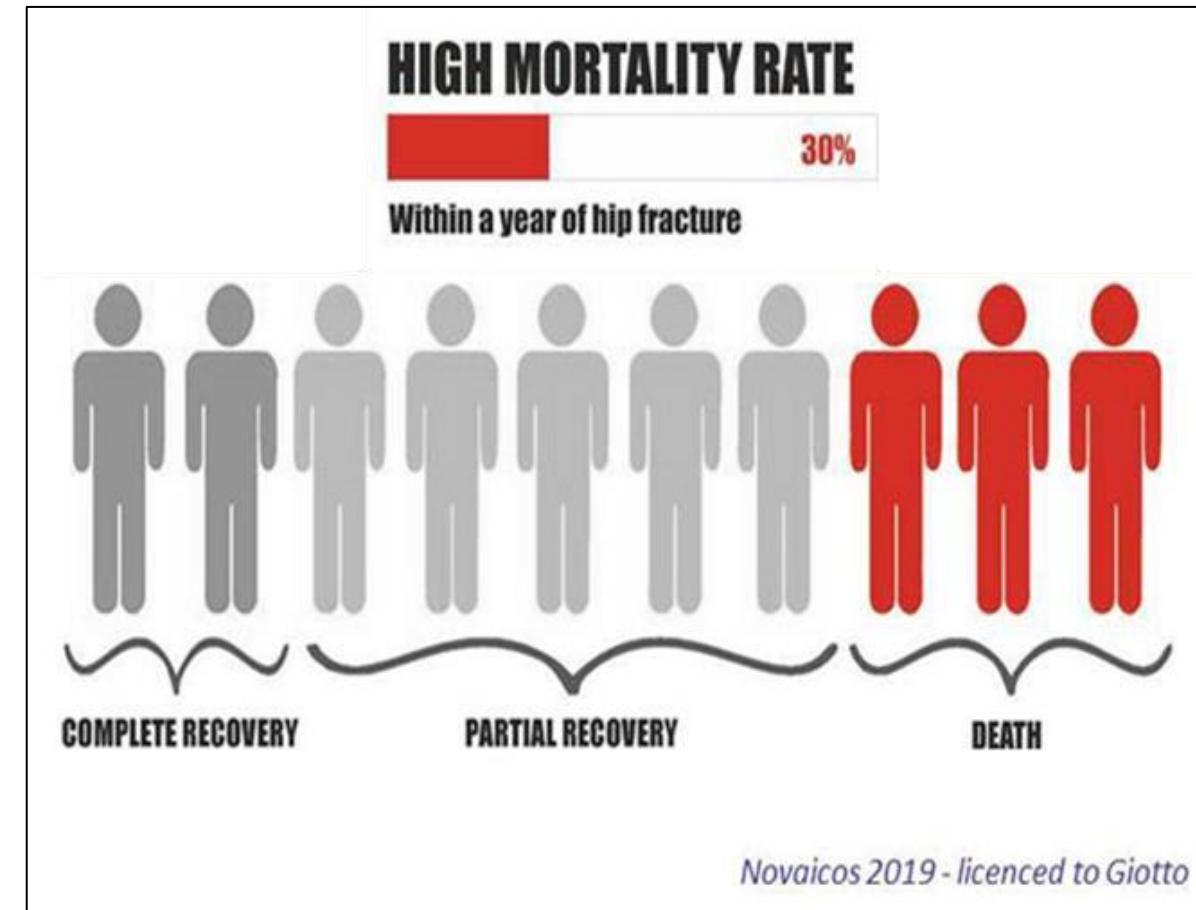
## ■ 골다공증성 골절 30% 사망률

- 골다공증 대상 연령의 증가, 치료제 신약개발 요구 절실
- 사전진단, 예방보다 치료제 의존도 높음

고령화 급가속화 → 속기증 → 환자증가 ↑



Ref. SGIS(통계청)



# ■ 골다공증 치료제 시장

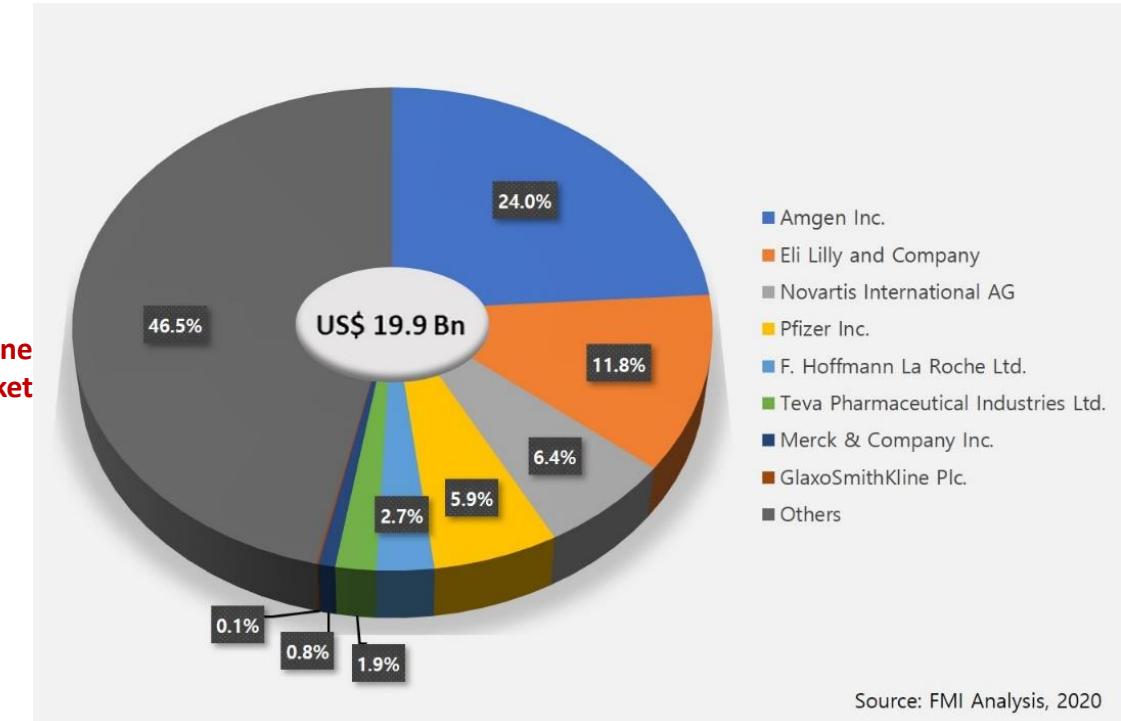
**Global market size: 11,936 US \$Mn**

- 골흡수 억제제에서 골형성 촉진제로 시장 이동

Global Osteoporosis Treatment Market Value Analysis (US \$Mn)



Osteoporosis medicine  
Increase in the market



## Antiresorptive agents

- Bisphosphonate
- SERM

## Anabolic agents

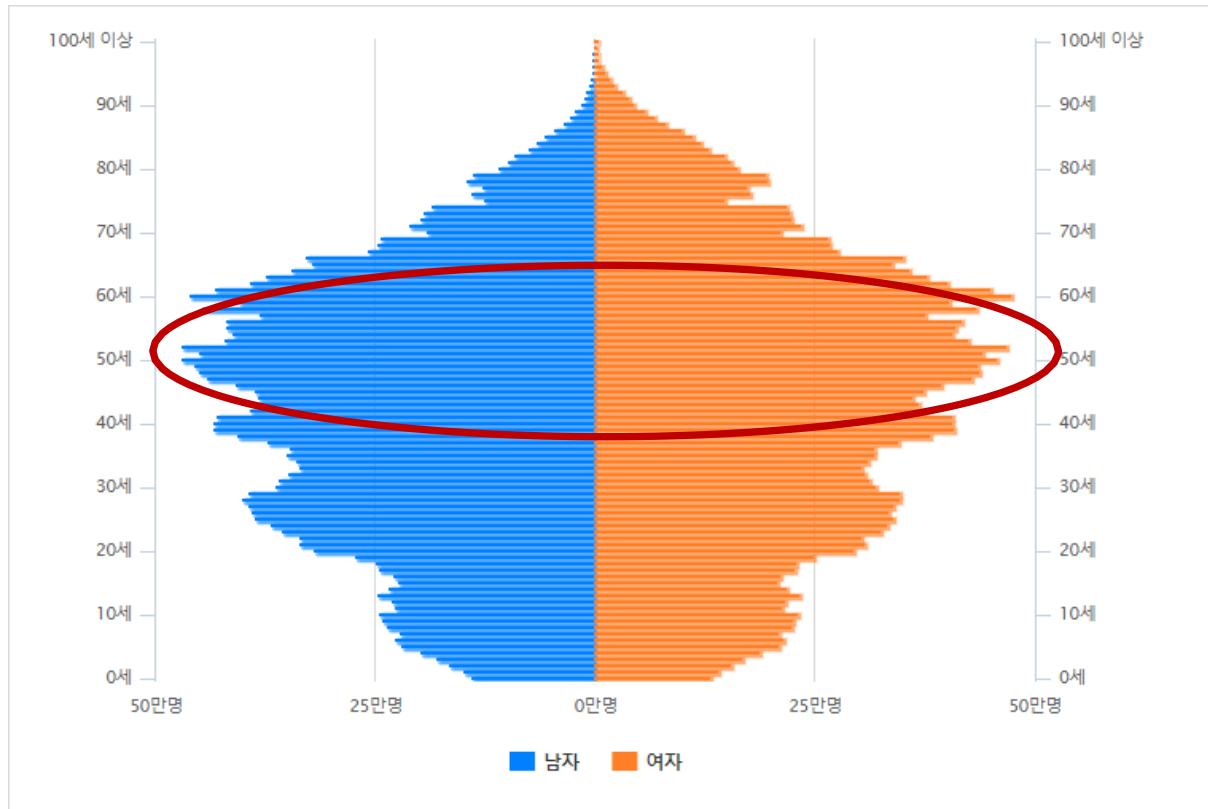
- PTH
- Sclerostin inhibitor

# ■ 미션 설정 배경

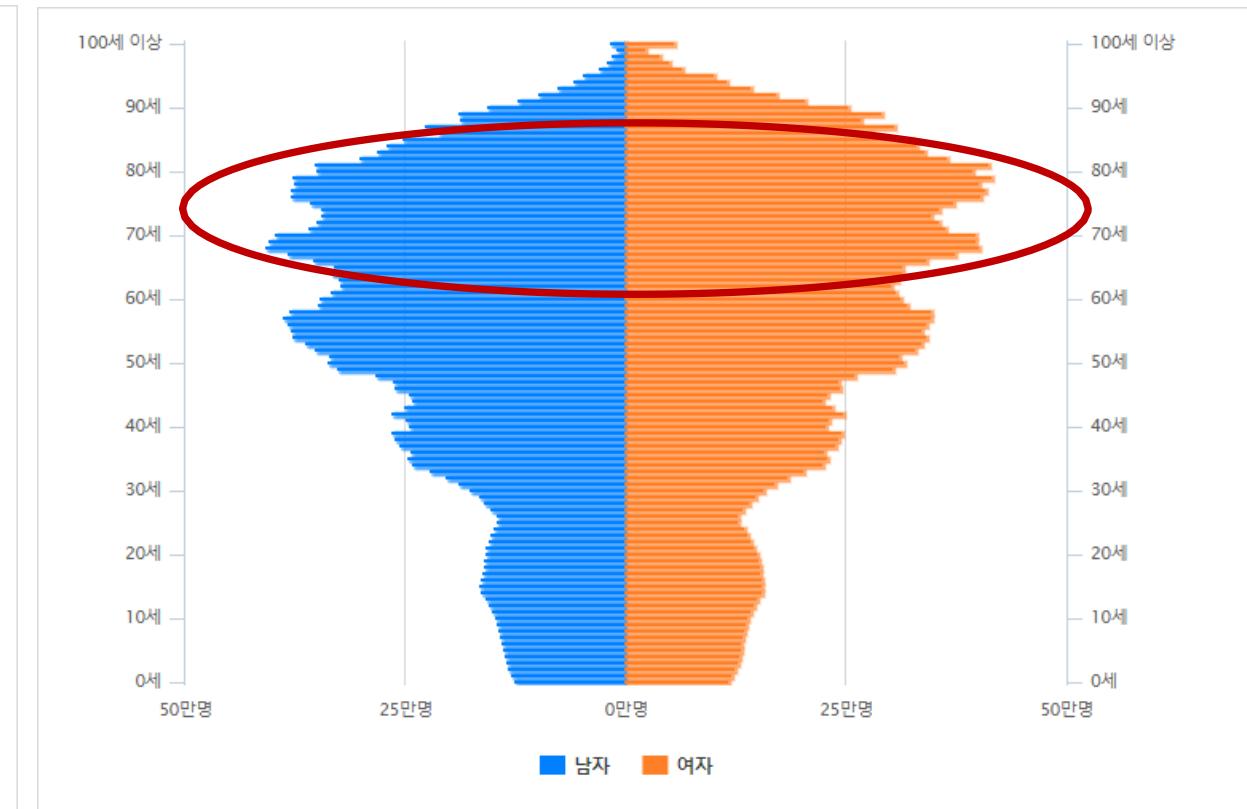
고령층 증가 → 고령층 다발성 질환 증가

## 한국 연령별 인구 분포 추계

2021년



2050년



Ref. SGIS(통계청, 2022)

# ■ 미션

## Core technology + Target technology

QG3030(NME) > 골다공증 치료제 >> 퇴행성 관절염, 비만, 근감소증으로 확대

### 고령층 다발성 질환 극복

#### Core technology

MSC(Mesenchymal Stem Cell)

분화세포

+

#### Target technology

Osteoblast

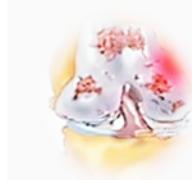
Chondrocyte

Adipocyte

Myotube



Osteoporosis



Degenerative arthritis



Obesity



Normal Muscle  
Sarcopenia

BChE, Ache, BACE



Alzheimer's Disease

RdRP



ssRNA virus Therapeutics HTS

#### 고령층 다발성 질환

#### 고령층 취약 질환

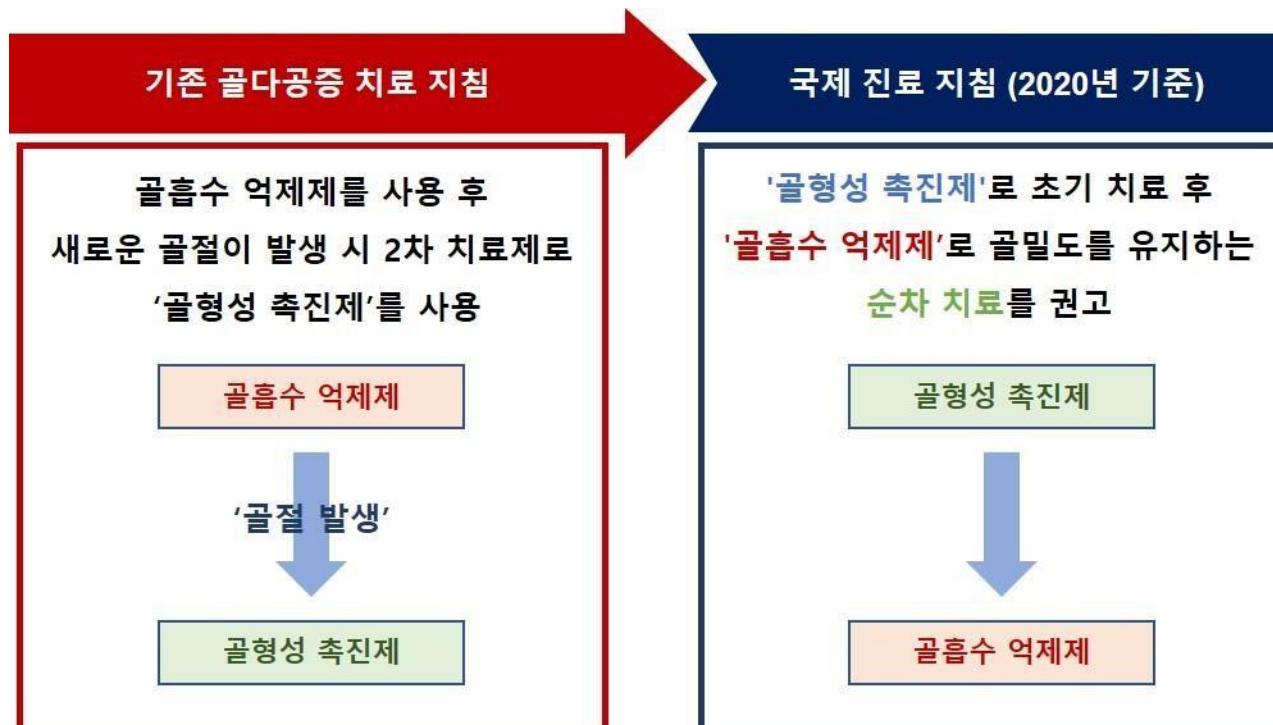
QG3030

QG826

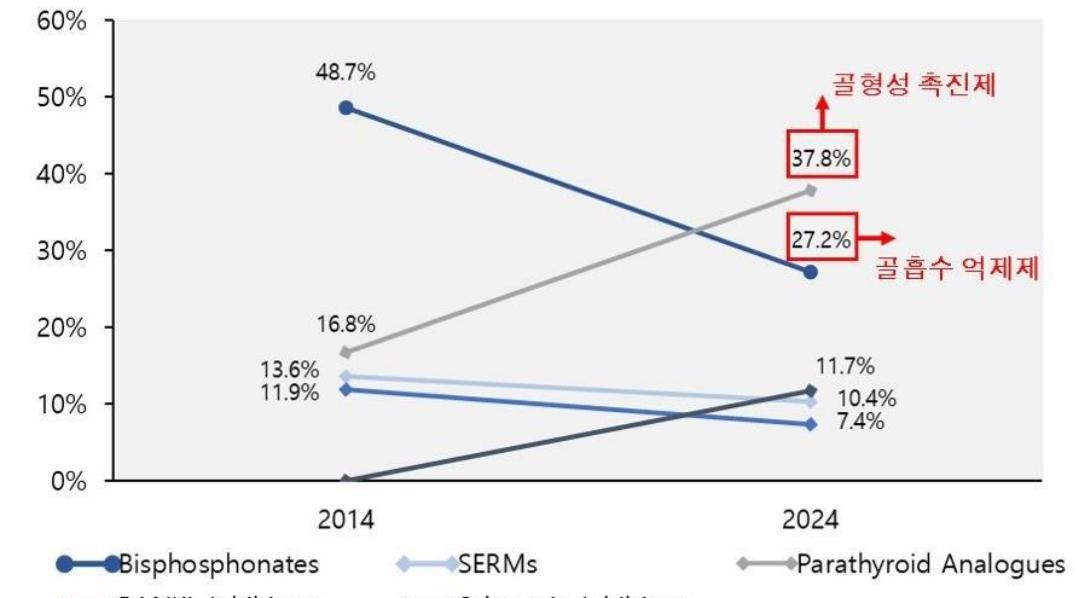
QG01

# ■ 치료제 시장 변화

## 2023년부터 조골세포 촉진제가 시장 점유 및 선도



자료 : 2020년 골다공증 진단 및 치료 가이드라인 미국임상내분비학회 · 내분비학회(AACE·ACE)



자료 : Decision Resources Group, KHIDI

약물군별 시장 점유율 전망(2014~2024)

# ■ 협력 네트워크

CMC



IP



Non-clinical  
study CRO



Development &  
Clinical CRO



Management  
accelerator



INVESTOR



# ■ QG3030 발견 경위

## 핵심기술에서 QG3030 발견에 이르기까지

- NCE(합성신약)로서 골다공증 치료제 후보물질 QG3030 발견 및 검증



전임상 및 CMC  
▪ 독성, 효능, 약리 검증  
▪ CMC, GMP 대량생산 완료

3 years (2020 ~2023)



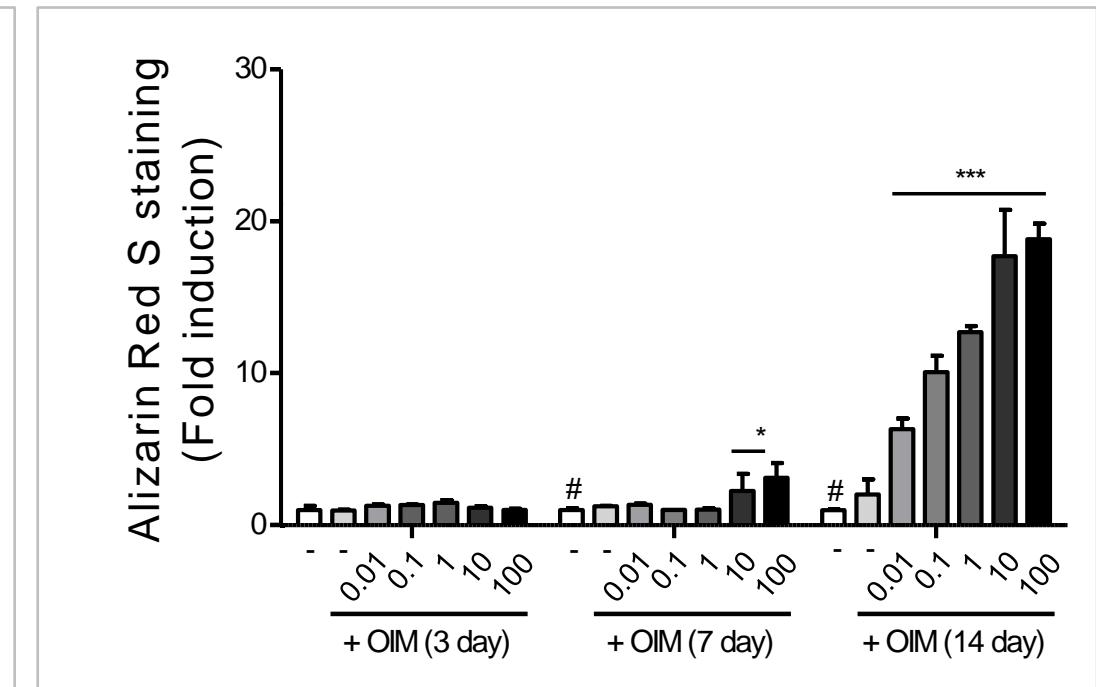
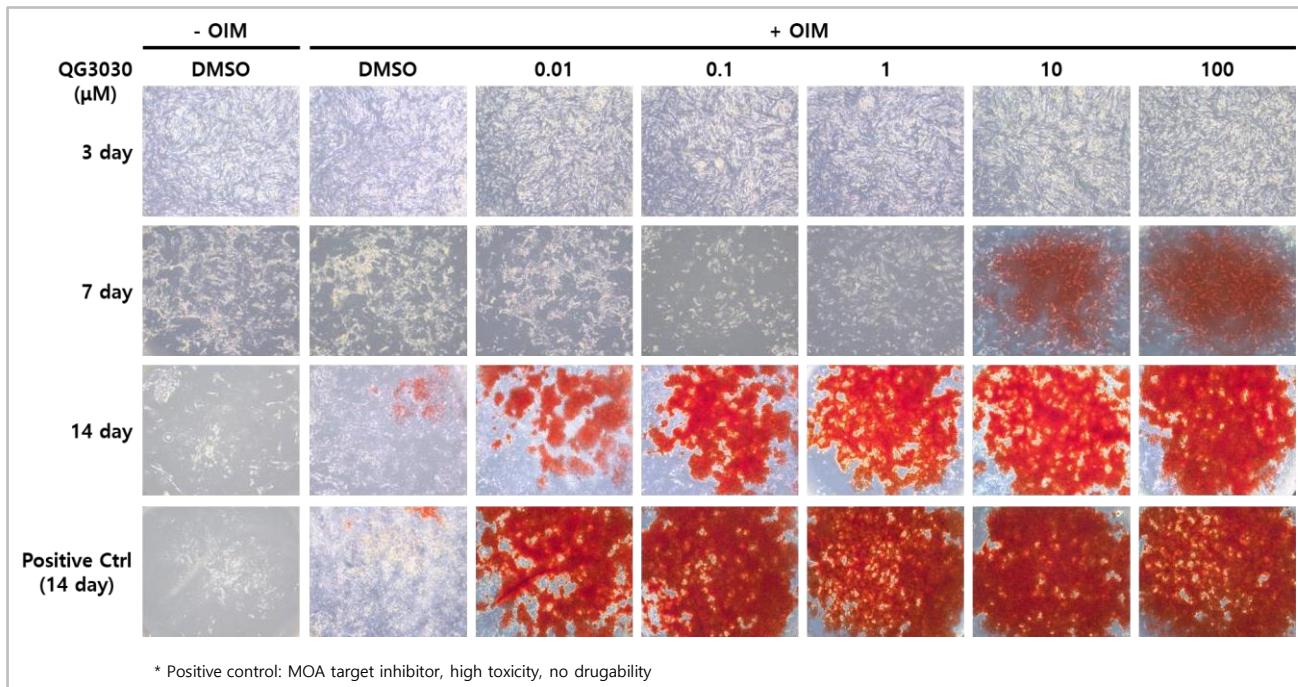
임상 1상 진행 중

2024년 10월(현재)

# ■ In vitro 효능

## ■ 골형성능 확인(Alizarin red staining)

- MSC 분화기간 동안 QG3030의 농도의존적 골형성(칼슘형성, 붉은 염색) 확인

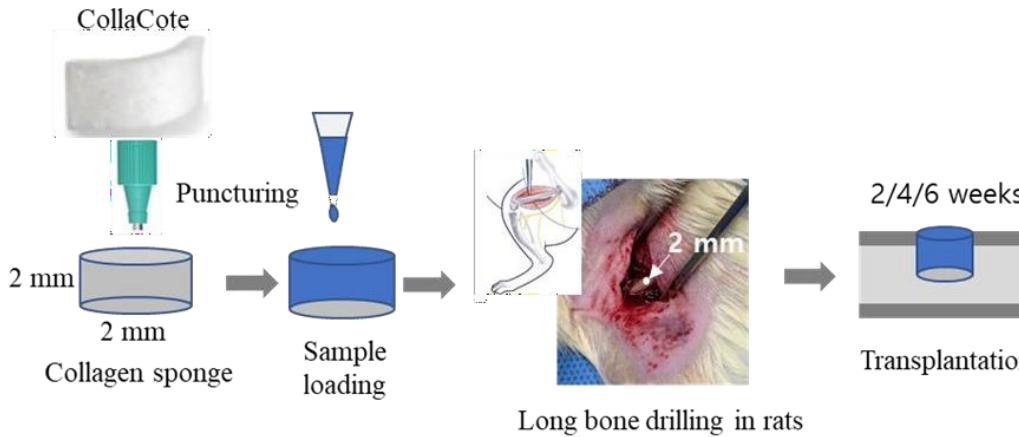


# In vivo 효과

## 골형성 효능: Rat 장골 골결손(drilling defect) 모델

2주 후부터 음성대조군(DMSO)대비 골형성 증가 확인

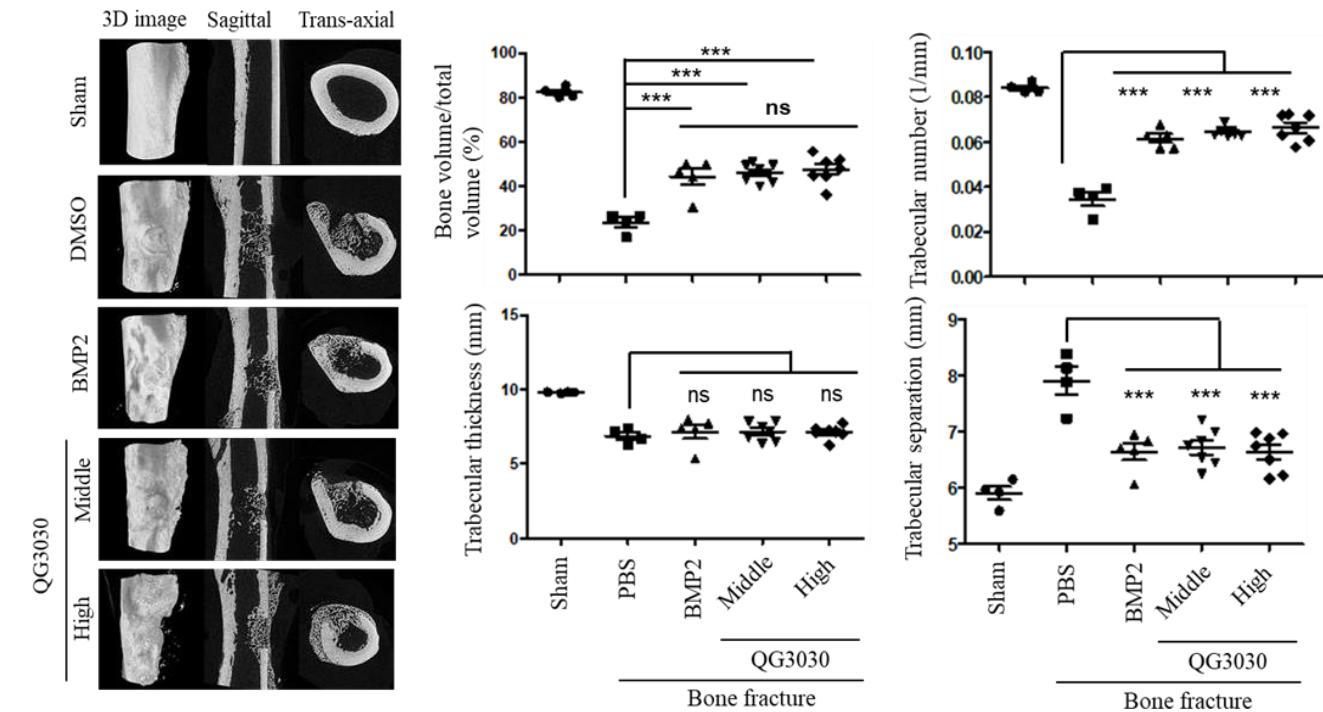
A



B

Animal group	Concentration	Animal number		
		2 wks	4 wks	6 wks
Sham		4	4	4
Fracture + DMSO	Collagen sponge + DMSO (10uL)	4	4	4
Fracture + BMP2	Collagen sponge + BMP2 (1ug/10uL)	5	5	5
Fracture + QG3030 (middle)	Collagen sponge + QG3030 (30 ug/10ul)	7	7	7
Fracture + QG3030 (high)	Collagen sponge + QG3030 (150 ug/10ul)	7	7	7

C



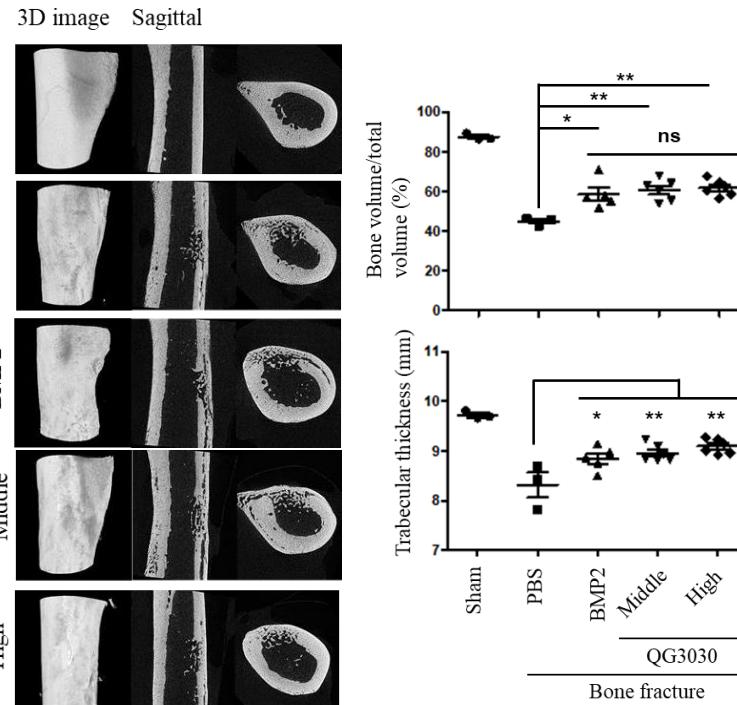
# In vivo 효과

## 골형성 효능: Rat 장골 골결손(drilling defect) 모델

양성대조군(BMP2)대비 10% 이상 높은 골형성 확인

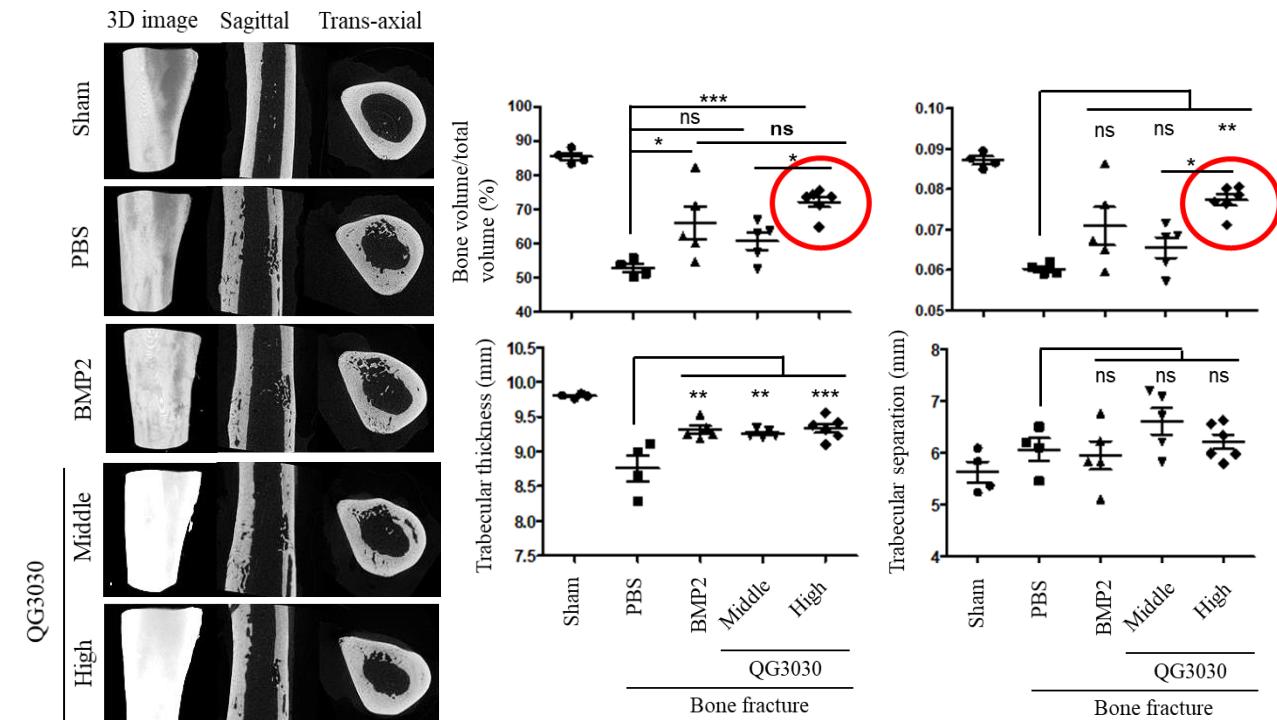
D

4 weeks



E

6 weeks

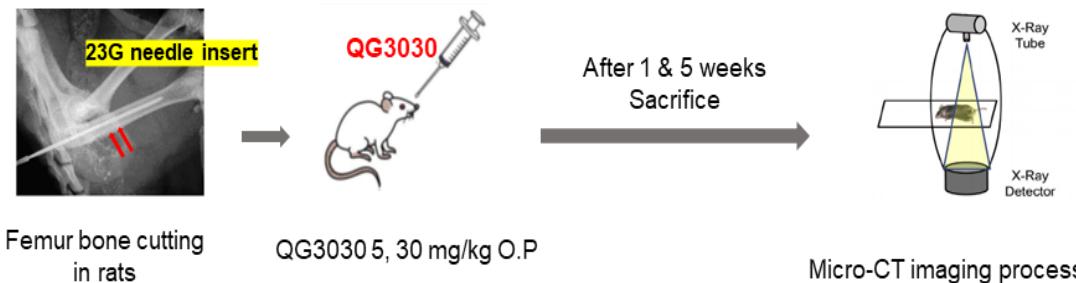


# In vivo 효능

## 골재생 효능: Rat 골절 모델

양성대조군(PTH)대비 30% 이상 높은 골형성 확인

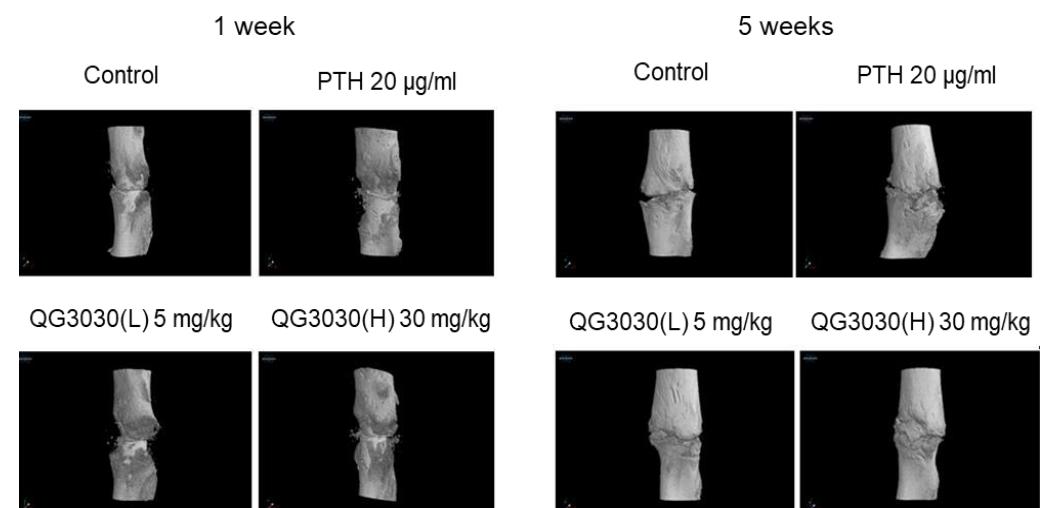
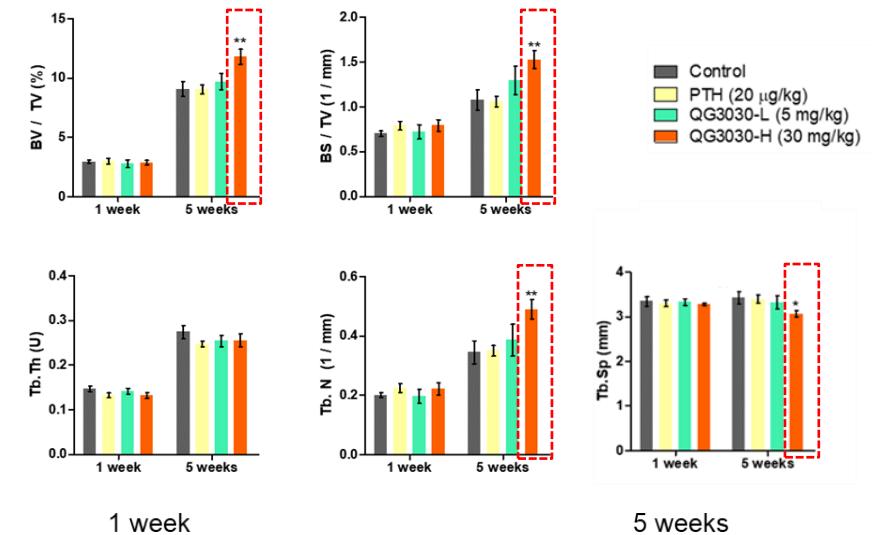
A



B

Animal group	Concentration	Animal number
Normal	-	6
Control	-	6
Fracture + PTH	20 µg/ml	6
Fracture + QG3030(Low)	5 mg/kg	6
Fracture + QG3030(High)	30 mg/kg	6

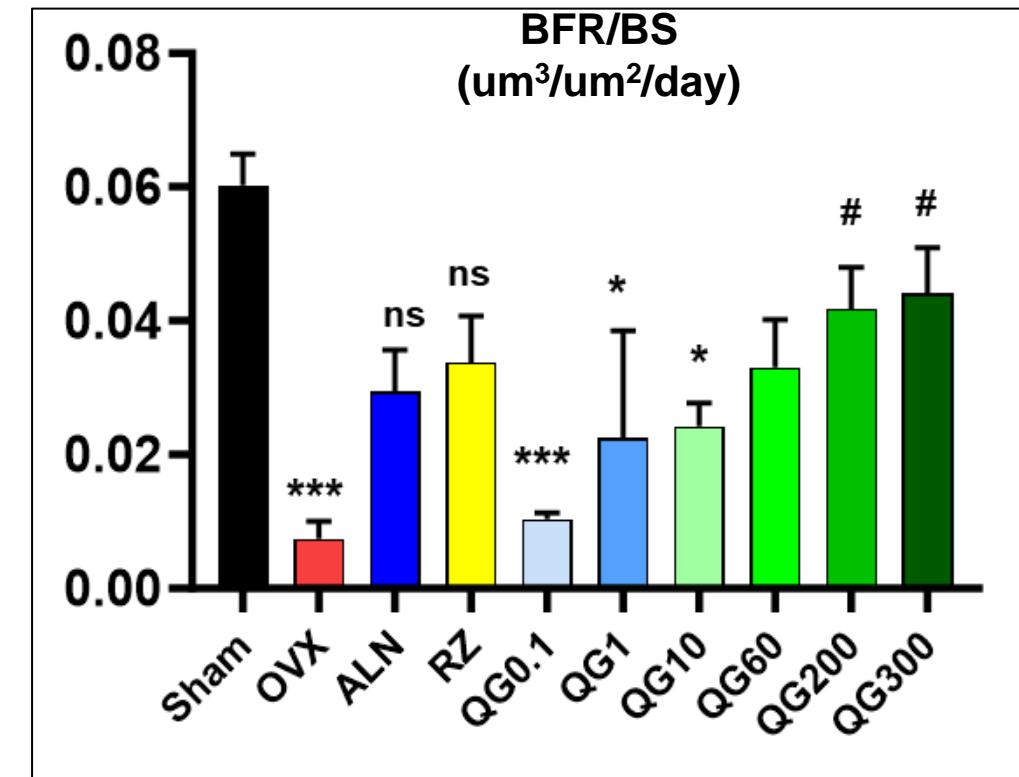
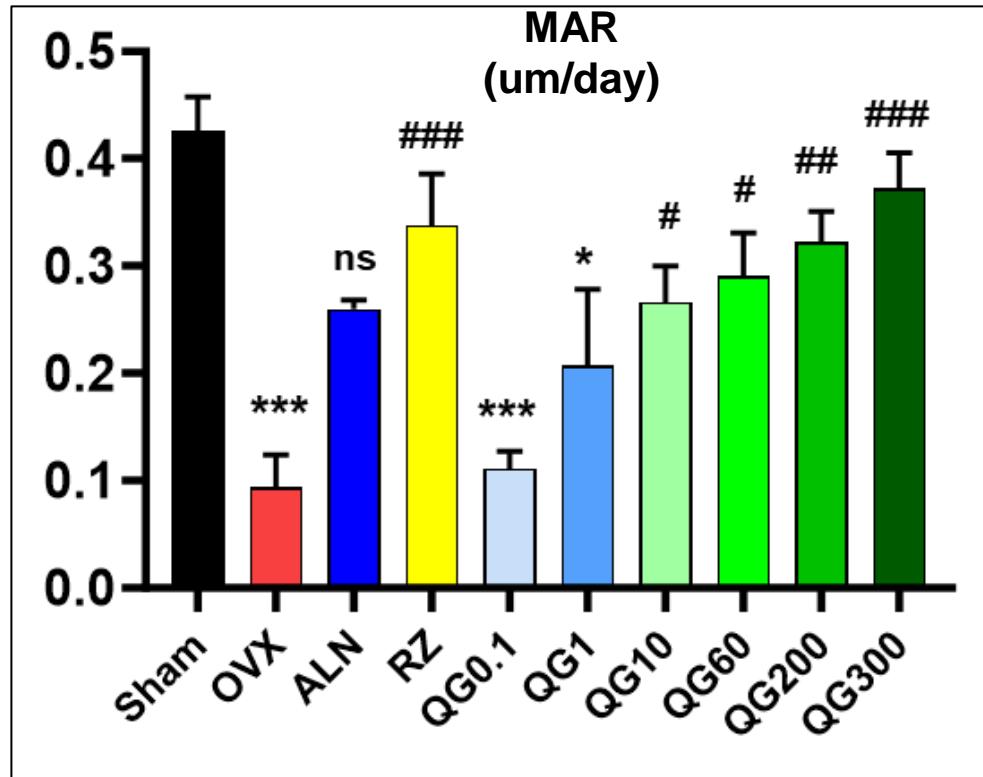
C



# ■ In vivo 효능

## ■ 골다공증 마우스 모델(OVX)에서 골형성 속도(BFR) 확인

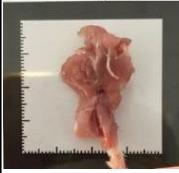
- 양성대조군 대비 우수한 골형성 효능 및 DRF (1~200mpk) 확인

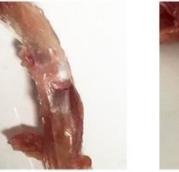
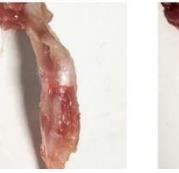


- Mineralization Apposition Rate (MAR)
- Bone Formation Rate/Bone Surface (BFR/BS)
- \*\*\*, \*\*, \*, compare to Sham
- ###, ##, #, compare to OVX

# ■ 골형성 기전 관련 부작용 검증

## ■ 이형골 및 석회화 골 형성 없음

	골다공증 유발 실험동물의 약물 투여 후 hindlimb back side incision 외형 변화
관련그림	          
연구내용	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 연부조직 내에 무기질 침착으로 인한 <b>석회화</b> 여부를 확인하기 위하여 생쥐의 다리 후면 knee를 중심에 두고 절개하였음. 연부조직의 석회화 및 뼈 기둥이나 피질 구조의 불확실성, 불규칙한 반점, 원, 선형 또는 고리 등의 불규칙성 구조물 등은 모든 군에서 관찰되지 않았음.</li> </ul>

	골다공증 유발 실험동물의 약물 투여 후 hind limb knee part 외형 변화
관련그림	          
연구내용	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 관절주위의 <b>석회화</b>를 관찰하기 위해 femur와 tibia를 연결된 상태로 유지하며 주변 근육을 제거하였고 무릎 관절 중심으로 확대하여 관찰하였음. 관절부위의 석회화가 진행되면 크기가 커지면서 종양처럼 보이는 경향이 있으나, 위 실험의 모든 군에서 관절 부위에 변화가 없음을 확인하였음.</li> </ul>

# ■ Novel target 발굴의 중요성

## 글로벌 신약의 specific target

글로벌 신약 개발은 효능 증대 뿐만 아니라 새로운 타겟 발굴이 필수임

Classification	Specific target
<b>Bisphosphonate (Fosamax, Merck)</b>	<b>Not defined</b>
<b>Estrogen receptor modulator (Evista, Lilly)</b>	<b>Estrogen receptor</b>
<b>RANKL inhibitor (Prolia, Amgen)</b>	<b>RANKL</b>
<b>PTH (Forteo, Lilly)</b>	<b>Parathyroid hormone receptor</b>
<b>Sclerostin inhibitor (Evenity, Amgen)</b>	<b>Sclerostin</b>
<b>QG3030</b>	<b>Target protein X (confidential)</b>

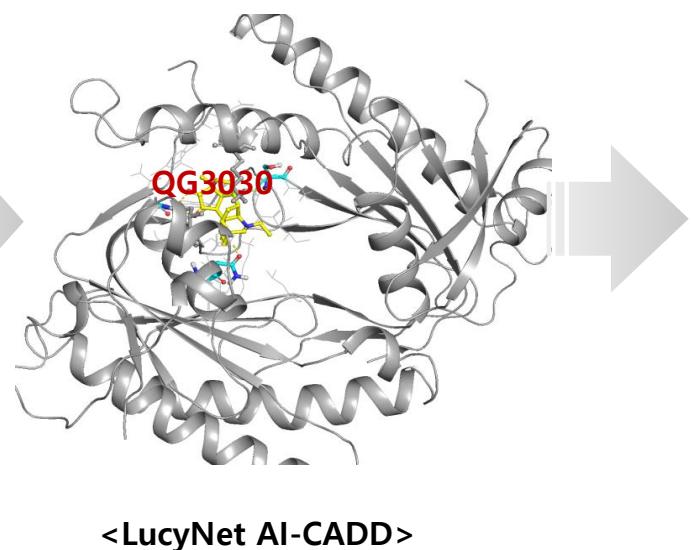
# ■ Specific target screening

## AI+Big data mining (LucyNet AI-CADD)

상위 10개 모두 Target protein X isotype으로 유력한 타겟으로 선정



A.I technology  
based Analysis



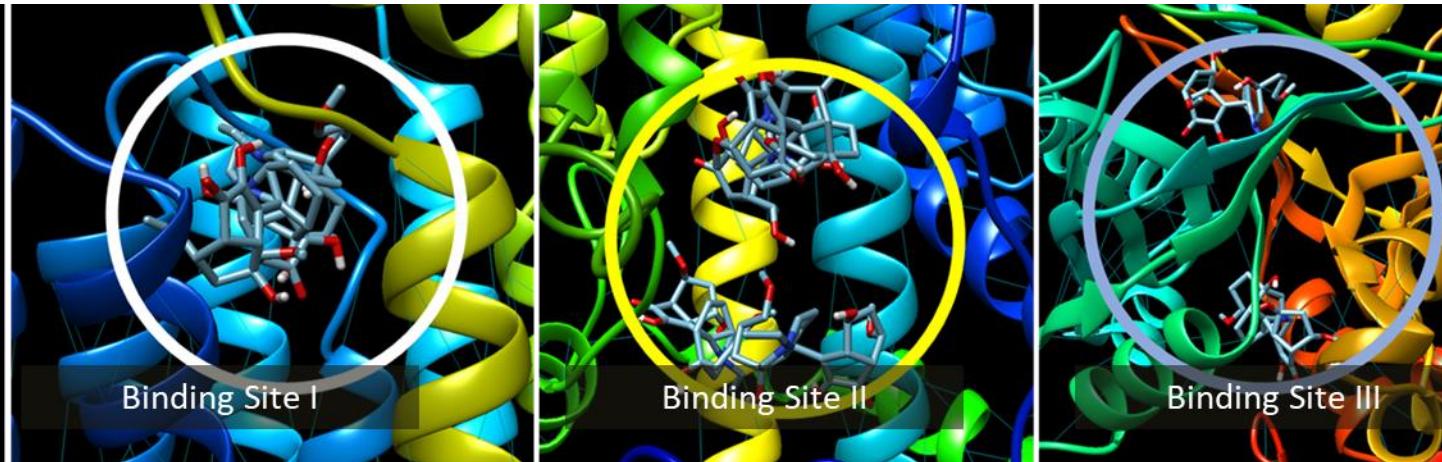
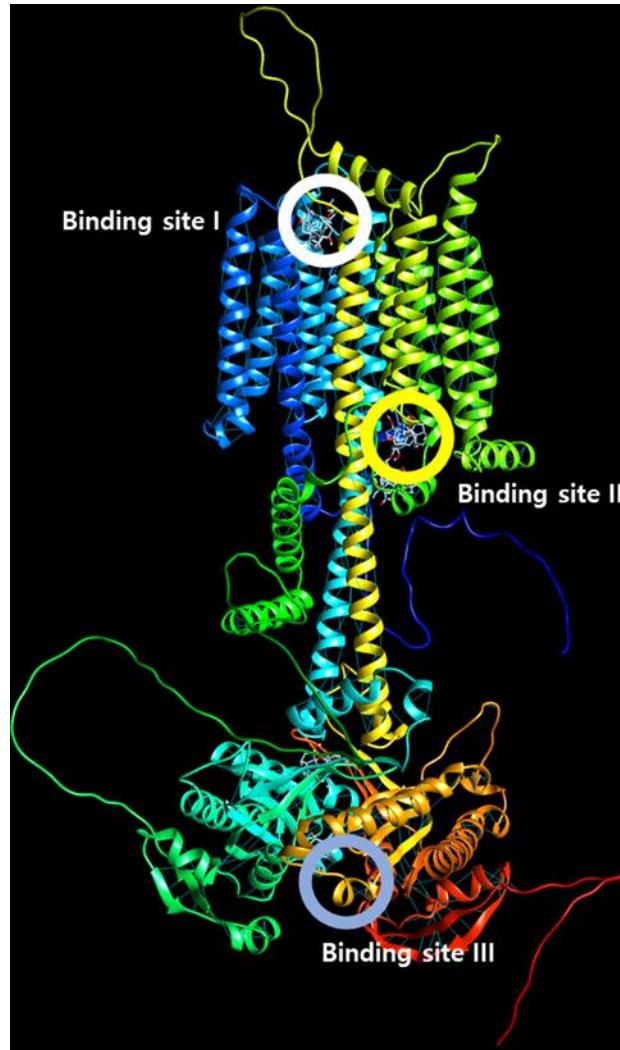
Index	FitValue	Pharmacophore	Name	Target 단백질
				Enzyme_name
1	0.67	1cjv	QG3030	
2	0.66	1cjt	QG3030	
3	0.65	1cul	QG3030	
4	0.63	1cju	QG3030	
5	0.62	1ckj	QG3030	
6	0.62	1tl7	QG3030	
7	0.61	1u0h	QG3030	
8	0.60	3maa	QG3030	
9	0.58	2gvd	QG3030	
10	0.58	1cs4	QG3030	
11	0.46	5hgc	QG3030	Thiamin pyrophosphokinase family protein
12	0.37	3mel	QG3030	Poly(A) polymerase
13	0.36	1fa0	QG3030	Peptidyl-prolyl cis-trans isomerase NIMA-interacting 1
14	0.29	3odk	QG3030	Poly(A) polymerase, putative
15	0.29	2q0g	QG3030	Orotidine 5'-monophosphate decarboxylase
16	0.28	3vi2	QG3030	Metallo-beta-lactamase type 2
17	0.26	4h0d	QG3030	Metallo-beta-lactamase type 2
18	0.20	4raw	QG3030	Adenylate cyclase type 2//Adenylate cyclase type 5
19	0.17	3c16	QG3030	Peptidyl-prolyl cis-trans isomerase FKBPS
20	0.15	4jfi	QG3030	Glyceraldehyde-3-phosphate dehydrogenase
21	0.14	3gnq	QG3030	Purine nucleoside phosphorylase
22	0.14	2bsx	QG3030	Oxygen-insensitive NAD(P)H nitroreductase
23	0.11	1oo6	QG3030	Interstitial collagenase
24	0.06	4ayk	QG3030	Carboxyethyl-arginine beta-lactam-synthase
25	0.06	1mc1	QG3030	Orf1a polyprotein
26	0.04	2gz8	QG3030	Mitogen-activated protein kinase 1
27	0.02	3erk	QG3030	Tryptophan synthase alpha chain
28	0.02	1k8y	QG3030	3,4-dehydrodipyl-CoA semialdehyde dehydrogenase
29	0.02	2vro	QG3030	Interstitial collagenase
30	0.01	3ayk	QG3030	Lysine-specific demethylase 4B
31	0.01	4ixl	QG3030	Glucose-1-phosphate thymidylyltransferase 1
32	0.01	1h5t	QG3030	Beta-lactamase
33	0.01	2r9w	QG3030	Enolase
34	0.01	4z17	QG3030	

Target protein X

# ■ Specific target discovery

## QG3030-Target protein X binding affinity simulation

7번위치와 8번위치가 가장 높은 ligand protein 결합력(-6. 7kcal/mol)을 가짐.



RESULT FOR TARGET: Target protein X

POSES	AFFINITY (KCAL/MOL)	ESTIMATED Ki	Ki UNITS	LIGAND EFFICIENCY
7	-6.7	12.27	uM	-0.23
8	-6.5	17.20	uM	-0.22
6	-1.0	0.18	M	-0.03
5	2.8	112.83	-	0.10
1	3.7	515.37	-	0.13
3	3.7	515.37	-	0.13
9	3.7	515.37	-	0.13
4	5.1	5474.20	-	0.18
2	8.1	865631.42	-	0.28

# ■ Specific target discovery

## ■ Target protein X의 10개 isotype의 발현 확인

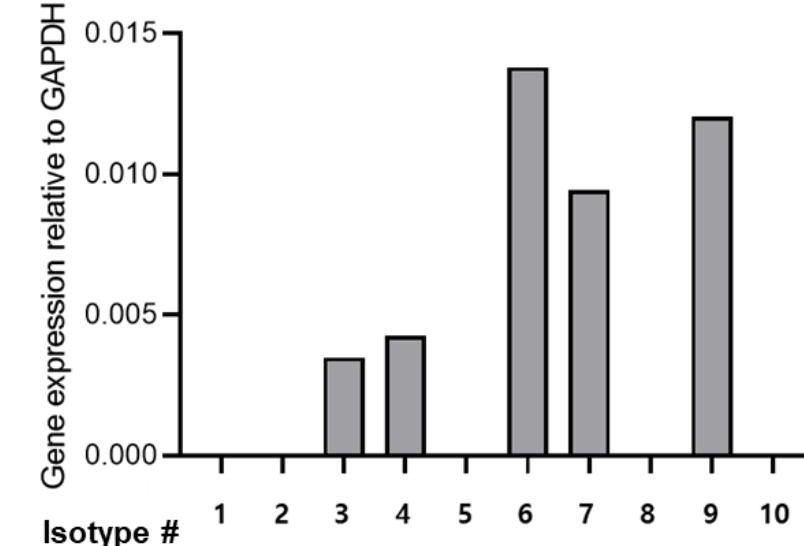
Normal tissue (A, NCBI data mining 결과), hMSC (B, RNS-seq 결과), hMSC (C, RT-PCR 결과) 3, 6, 9번의 발현 가능성 확인

A

PRO-X isoforms gene expression in normal tissue										
Tissue	PRO-X1	PRO-X2	PRO-X3	PRO-X4	PRO-X5	PRO-X6	PRO-X7	PRO-X8	PRO-X9	PRO-X10
Adrenal	0.82	1.207	4.24	1.648	1.28	5.12	3.536	0.001	2.483	0.031
<b>Bone marrow</b>	<b>0.001</b>	<b>0.001</b>	<b>3.961</b>	<b>1.732</b>	<b>0.001</b>	<b>0.353</b>	<b>10.789</b>	<b>0.001</b>	<b>0.386</b>	<b>0.001</b>
Brain	14.233	19.036	9.91	0.766	6.961	4.375	1.791	4.114	2.801	0.032
colon	0.33	0.211	6.15	1.642	2.198	11.056	5.22	0.001	4.583	0.001
Duodenum	0.142	0.381	3.879	1.327	1.415	7.828	3.915	0.001	4.031	0.04
Endometrium	1.002	1.325	11.867	7.108	3.117	8.603	3.113	0.001	3.967	0.034
Esophagus	0.32	0.953	7.97	2.534	5.781	3.909	7.801	0.001	3.662	0.001
Fat	0.804	0.392	12.242	11.517	5.469	24.835	3.649	0.001	2.934	0.001
Gall bladder	0.371	0.493	10.802	6.447	3.517	6.876	7.555	0.001	3.892	0.039
Heart	0.839	0.001	3.631	6.586	21.793	17.039	2.57	0.001	4.666	0.001
Kidney	0.688	0.001	3.942	2.48	2.935	7.224	1.484	0.061	7.553	0.031
Liver	1.167	0.001	0.96	0.348	0.524	0.91	1.393	0.001	2.11	0.269
Lung	0.239	0.104	7.961	8.836	1.284	6.561	14.133	0.786	8.419	0.001
Lymph node	0.172	0.001	7.104	2.817	0.742	1.893	16.372	0.001	0.953	0.001
Ovary	0.23	2.009	14.579	1.21	4.623	7.439	10.377	0.001	5.909	0.001
Pancreas	0.286	0.001	0.843	0.338	0.51	1.384	0.446	0.001	1.838	0.001
Placenta	0.211	0.569	27.381	14.373	1.668	6.677	10.029	0.001	5.531	0.054
Prostate	1.063	2.977	7.49	2.843	6.948	8.087	2.319	0.001	2.249	0.033
Salivary gland	0.001	0.001	1.522	0.838	0.611	5.207	1.652	0.213	2.605	0.001
Skin	0.001	2.909	7.243	3.495	0.26	4.432	6.629	0.001	2.267	0.001
Small intestine	0.128	0.348	5.57	1.758	1.531	9.014	4.644	0.001	4.583	0.047
Spleen	0.213	0.001	5.528	5.793	2.524	2.313	18.259	0.001	2.374	0.001
Stomach	0.471	0.669	2.802	1.544	0.835	6.616	4.557	0.001	2.24	0.001
Testis	1.605	1.848	7.488	1.371	4.293	3.236	2.687	0.267	3.572	5.061
Thyroid	1.206	0.001	4.787	3.638	0.216	5.31	1.721	0.001	11.063	0.001
Urinary bladder	0.282	0.539	9.959	4.509	4.097	5.729	6.603	0.001	3.803	0.001

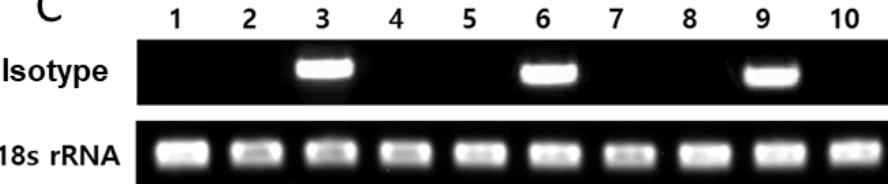
Target protein X isotype expression in normal organ tissue>

B



Analysis of RNA sequencing data in human MSC (NCBI)

C

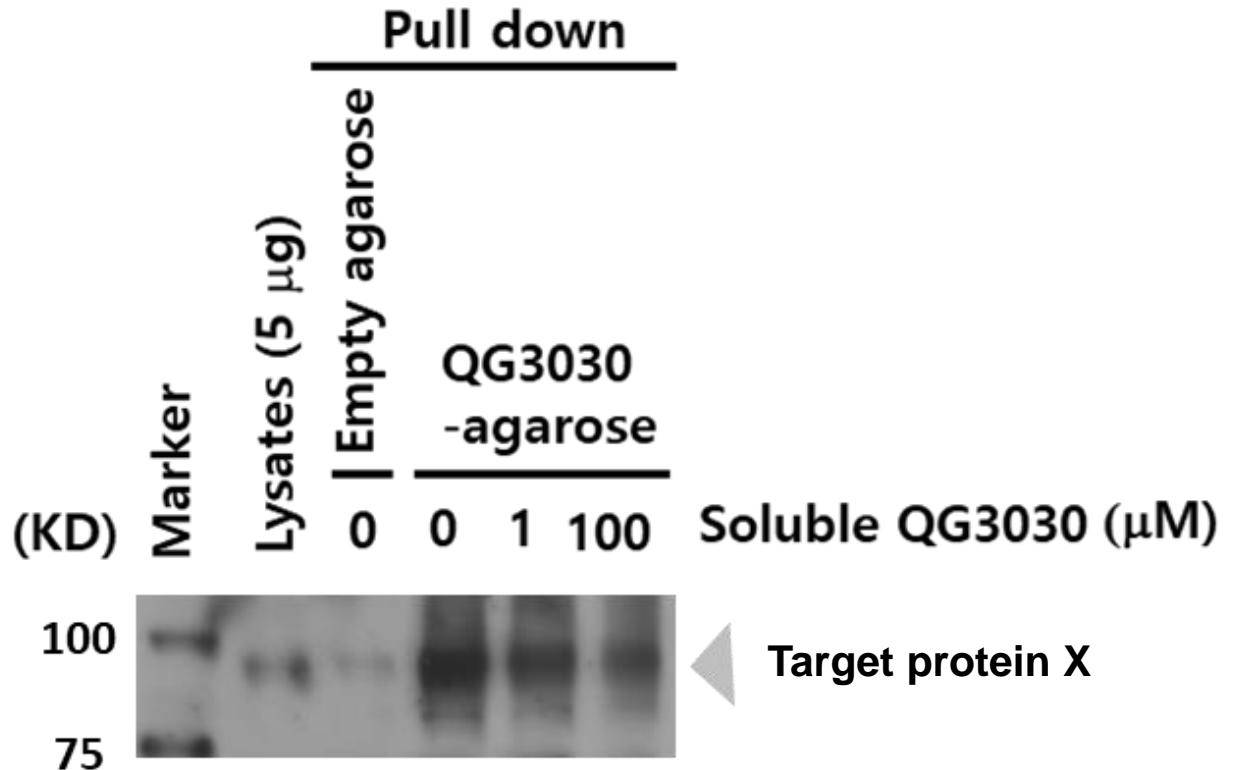
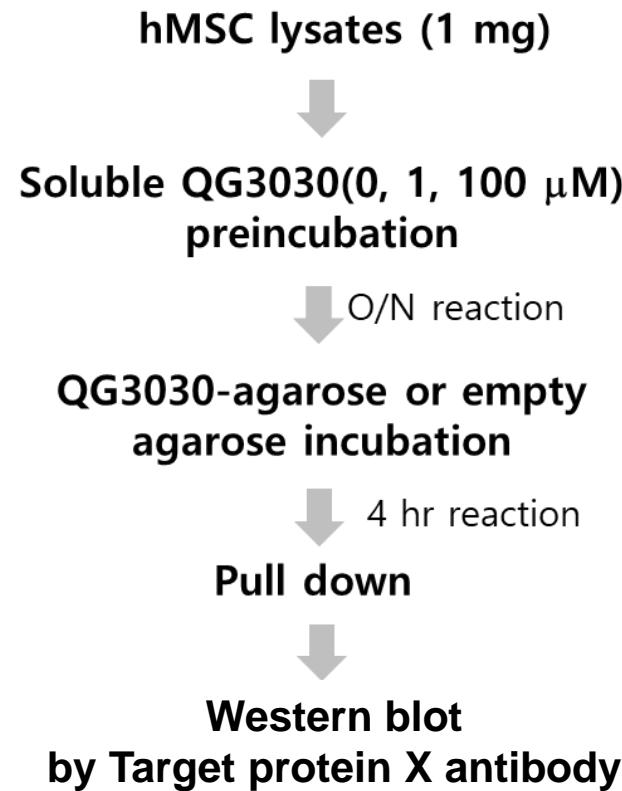


mRNA expression of Target-X isoform in human MSC

# ■ Specific target validation

## Competitive Pull down assay

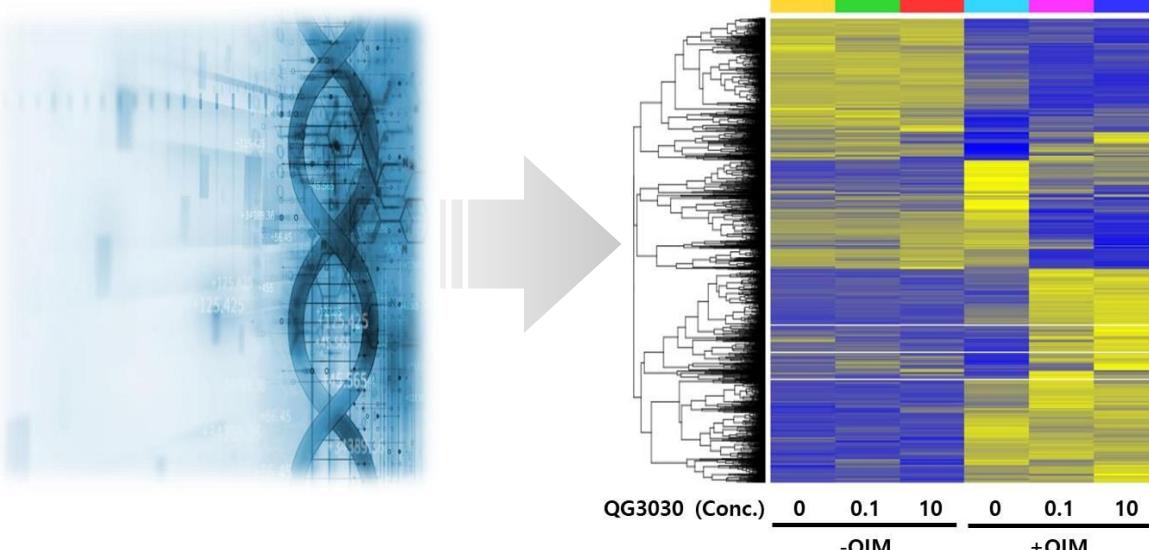
QG3030- Target protein X 결합 확인



# ■ Specific target validation

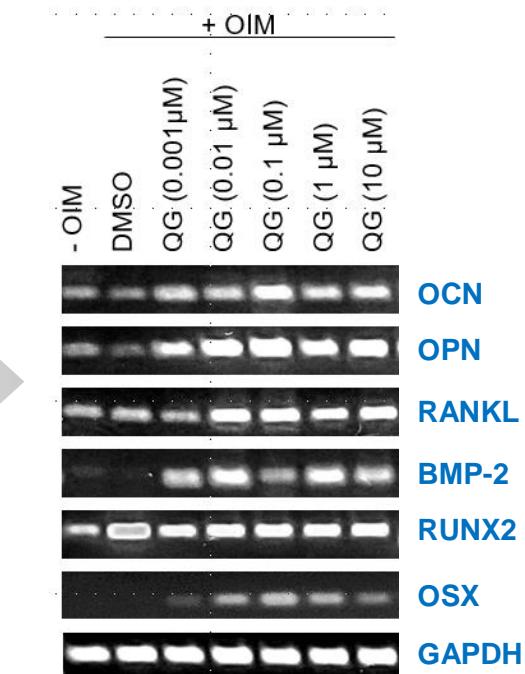
## ■ RNA-sequencing으로 QG3030에 의한 골형성 관련 유전자 발현 확인

-조골세포 분화 및 골형성 관련 유전자 및 관련 신호전달 유전자 확인



<RNA-seq 기반 후보유전자 탐색>

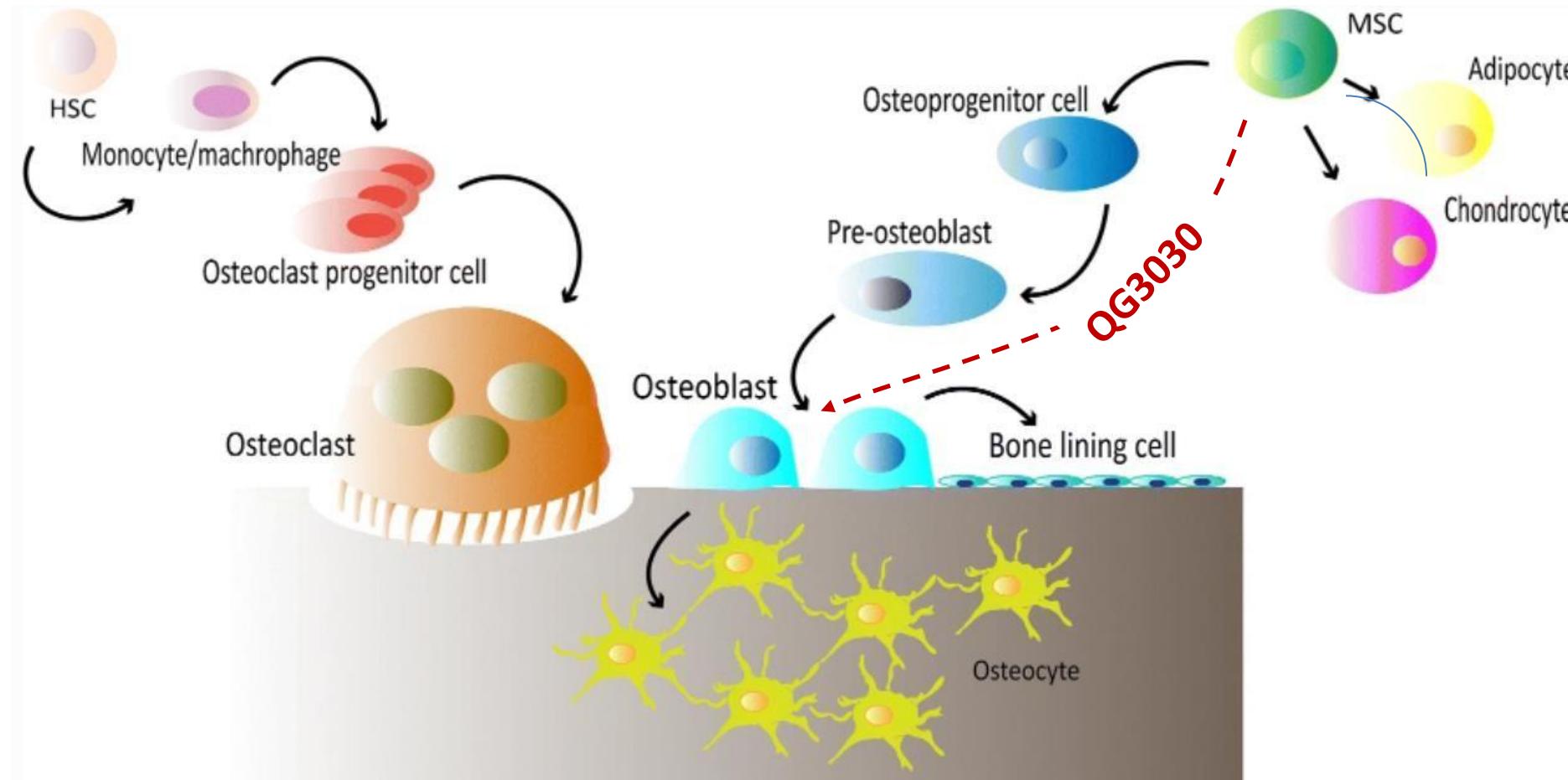
OCN  
OPN  
RANKL  
BMP-2  
RUNX1  
OSX  
ALP  
BMPER  
IGFBP  
FZD5  
⋮



<골형성 관련 인자 검증(hMSC)>

# ■ QG3030 MOA

## ■ QG3030: MSC(중간엽 줄기세포)로부터 osteoblast(조골세포) 분화 촉진 → 뼈 형성 촉진



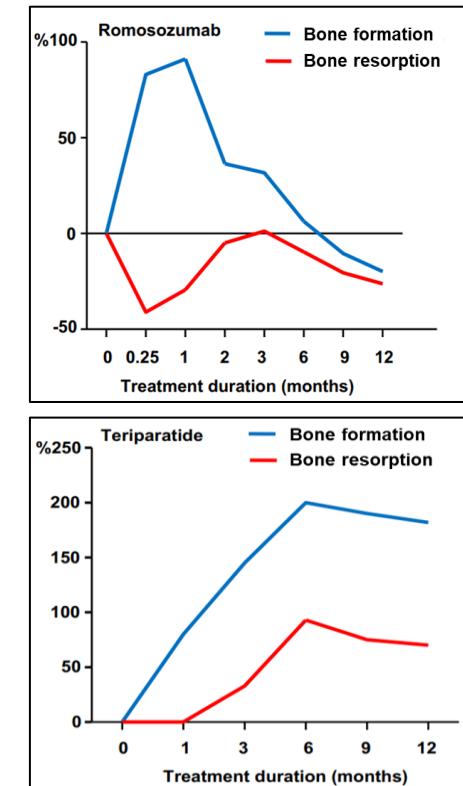
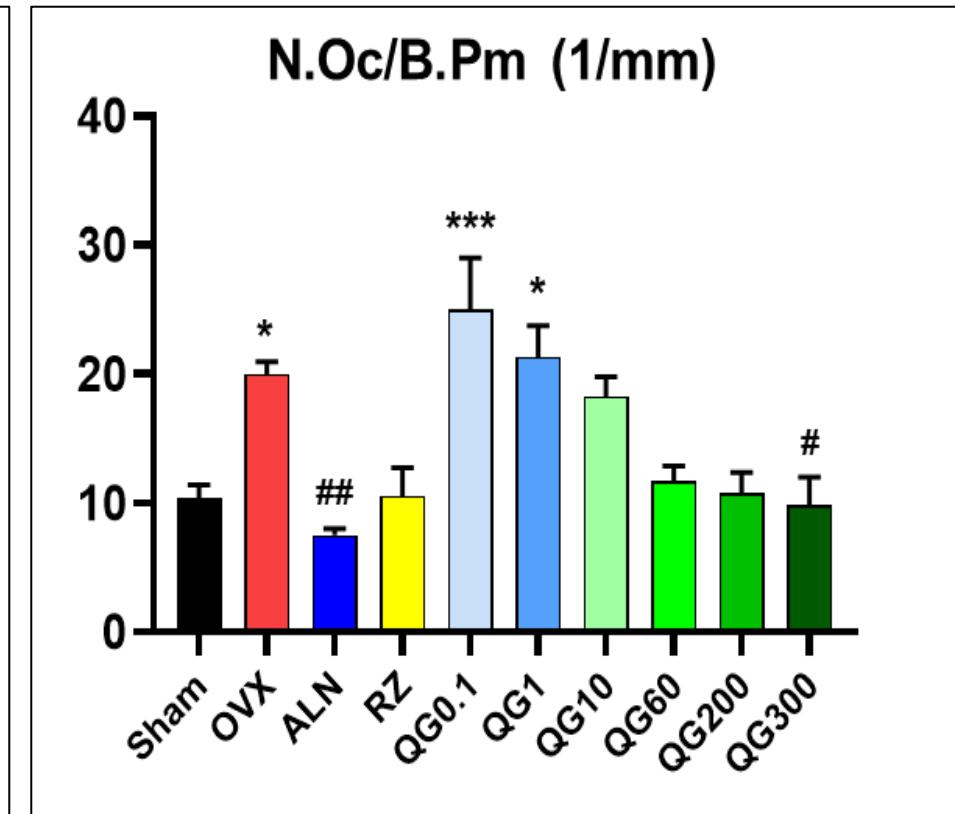
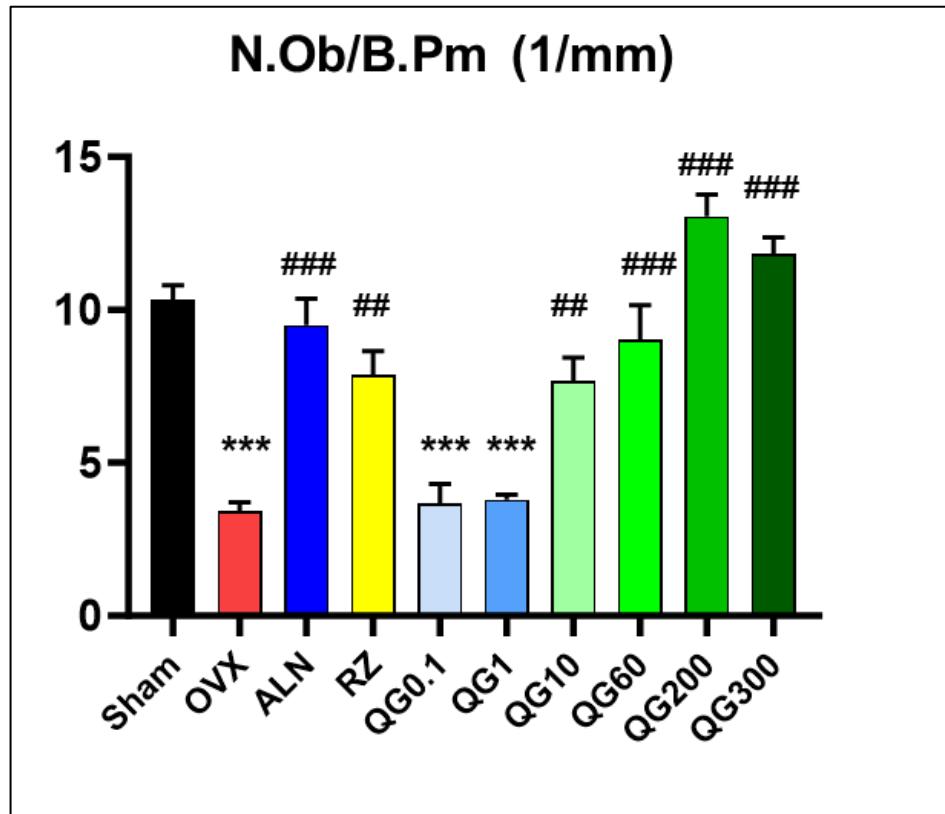
Bone progenitor cells and their differentiation into osteoblasts/osteocytes and osteoclasts

Ref: Current Osteoporosis Reports (2021) 19:88–100

# ■ In vivo 기전 확인

## ■ Osteoclast number of OVX mouse femur (Histology analysis)

QG3030: increase Osteoblast number (bone formation increase) and decrease Osteoclast number (bone resorption)



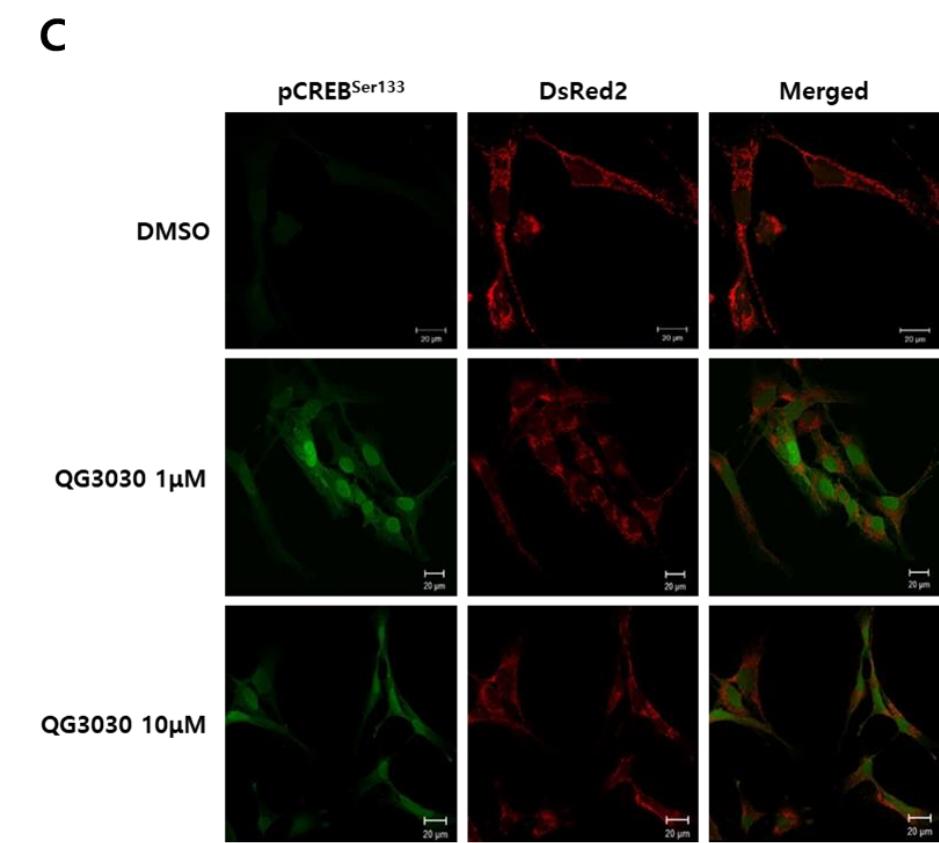
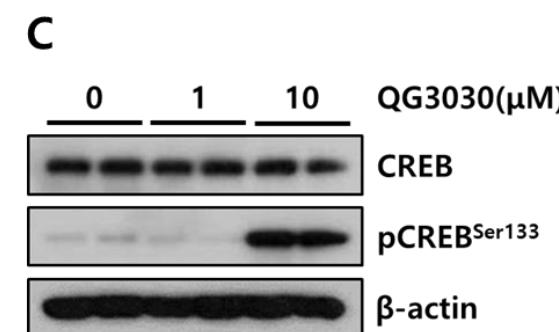
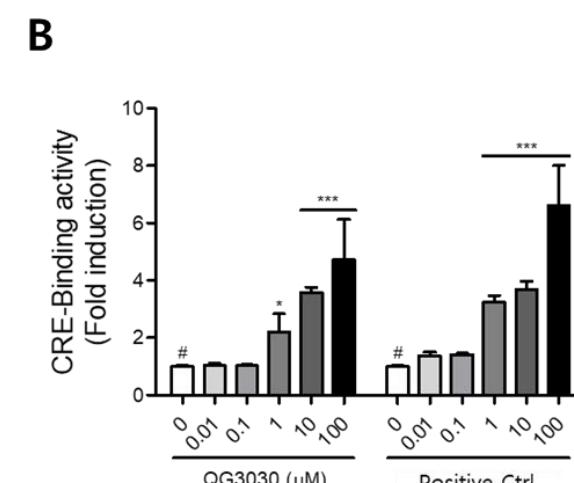
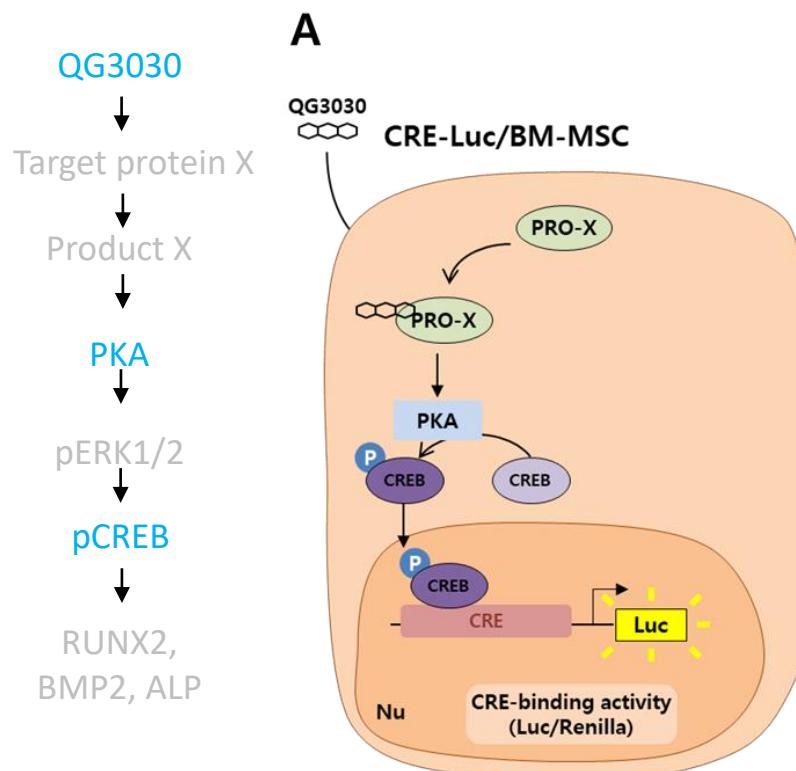
Ref.: *Calcif Tissue Int* (2016) 98:370-380

- N.Ob/B.Pm (1/mm) = Number Osteoblast/Bone perimeter
- N.Oc/B.Pm (1/mm) = Number Osteoclast/Bone perimeter
- \*\*\*, \*\*, \*, compare to Sham
- ###, ##, #, compare to OVX

# ■ Specific target discovery

## PKA를 통한 CREB phosphorylation 증가 및 CRE 결합 증가

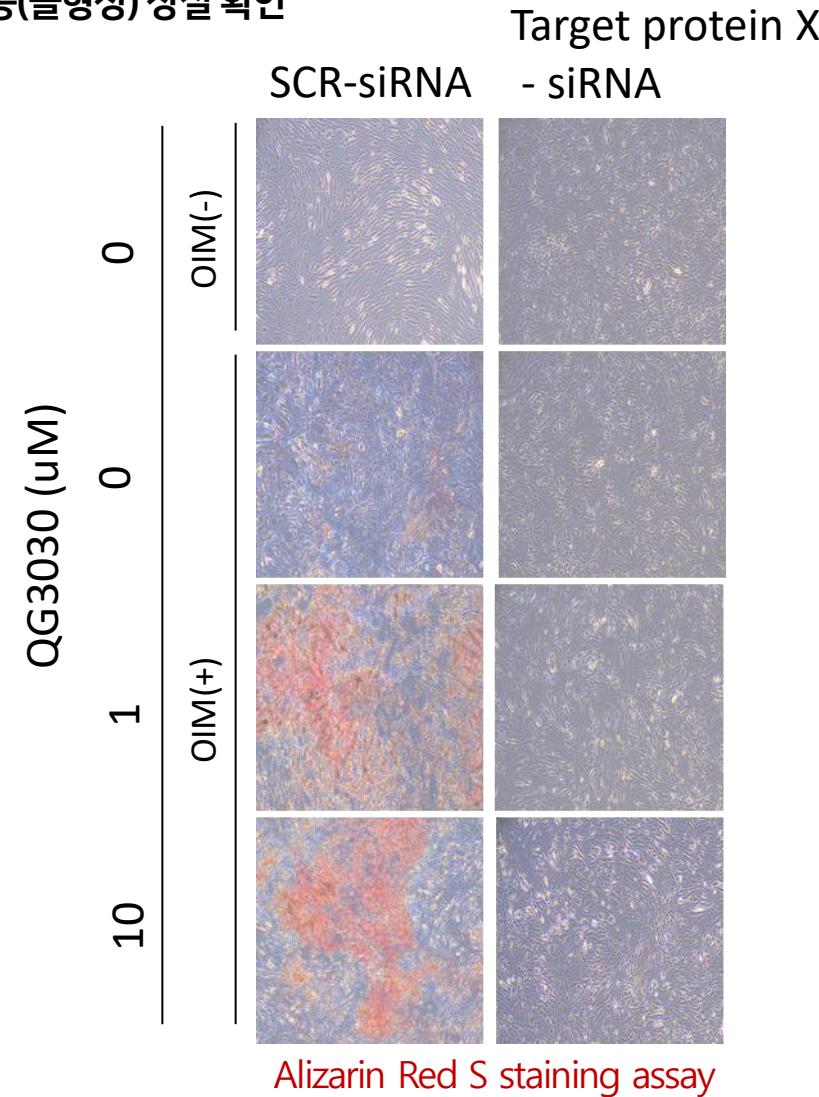
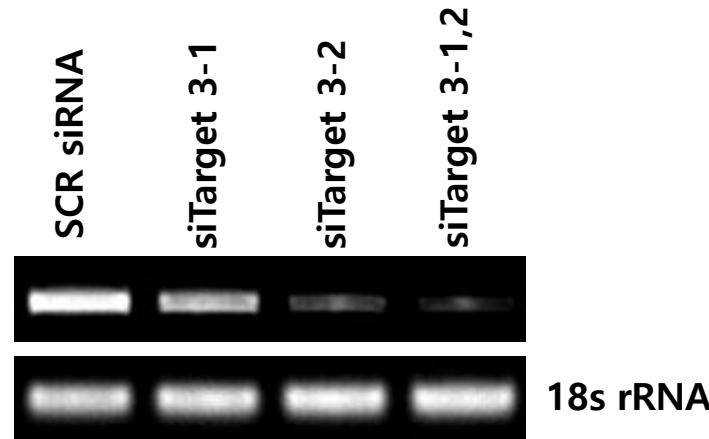
Western blot 및 형광현미경을 통해 확인



# ■ Specific target validation

## Target protein X loss functional study

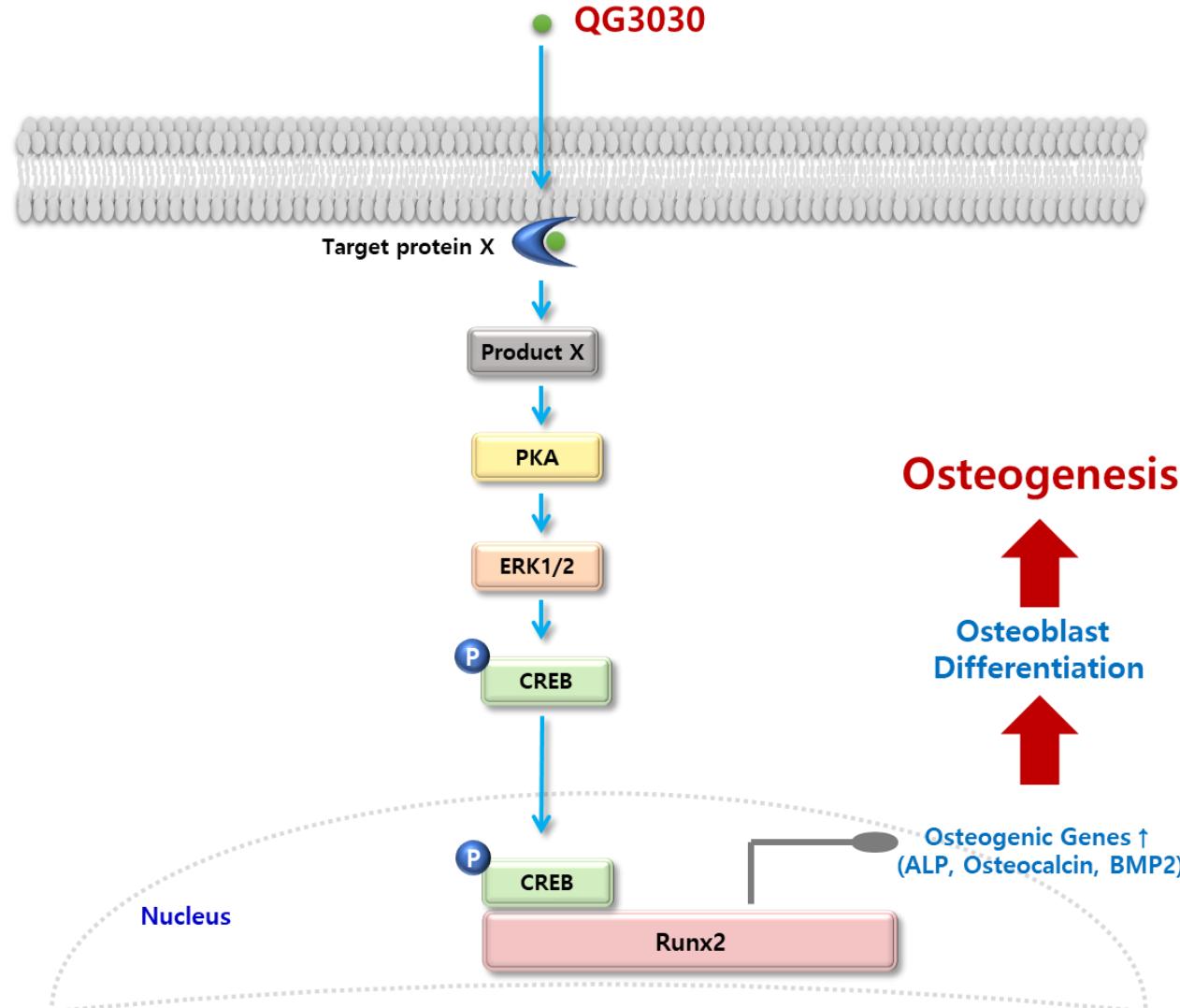
Target protein X knockdown (siRNA)에 의해 QG3030의 기능(골형성) 상실 확인



# ■ Specific target and signal pathway

## ■ AI+BigData mining (발굴) → hMSC (검증 및 validation)

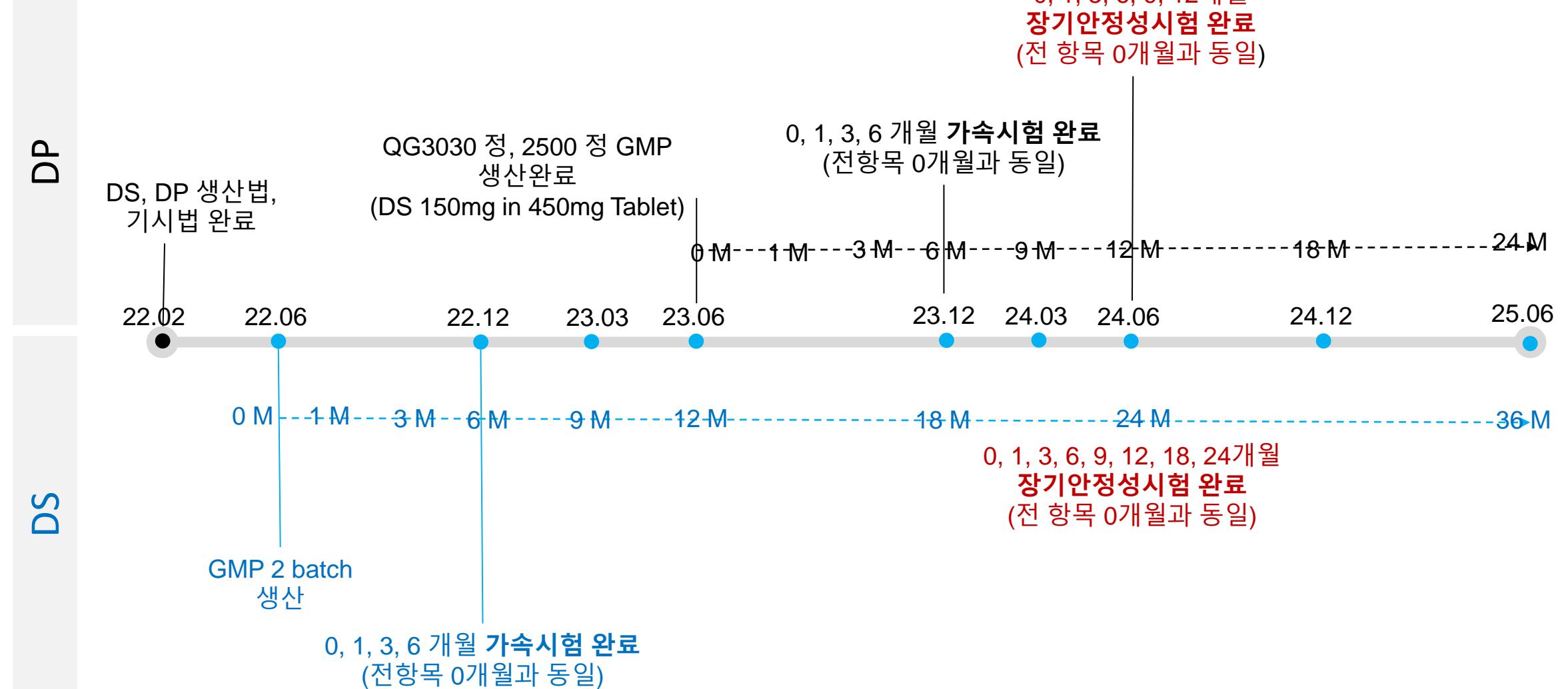
기존치료제와 구별되는 골다공증 치료제의 새로운 타겟(Target protein X) 제시



# ■ CMC 및 GMP 생산

## ■ 기시법, GMP 생산 완료, 안정성 연구 진행 중

- 24년 6월 현재, DS 장기 안정성(24개월) 및 DP 장기안정성(12개월) 완료. 전 항목 0개월과 동일 유지 중

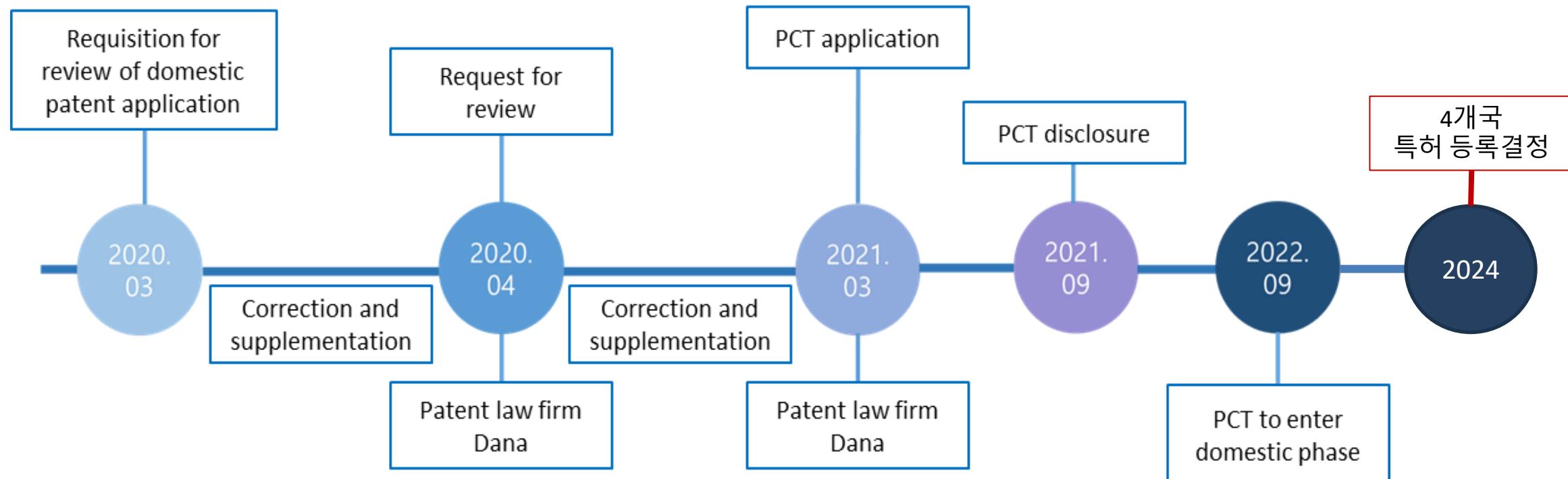


# ■ IP history

## 2024년, 대한민국, 일본, 중국, 인도 특허 등록 결정

- 미국, 유럽 OA 진행 중. 24년도 내 등록 예정

### <PCT Disclosure & Entry Into Individual Countries>



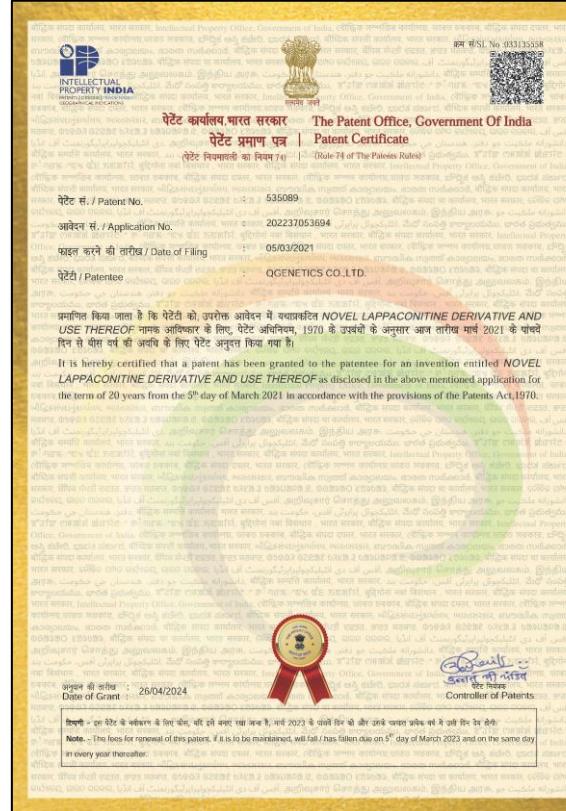
## ■ IP asset

 genetics  
start, fresh tomorrow

## 4개국 특허 등록('24.04. ~'24.08)



# 대한민국



인도



일본



중국

# ■ QG3030(골다공증 치료제) 경쟁력 분석

## ■ 시장점유, 선도의약품(골형성 촉진제) 대비 정량적 경쟁력 확보 완료

비교항목	Q genetics QG3030	Lilly FORTEO <sup>(1)</sup>	AMGEN EVENITY <sup>(2)</sup>
골형성 촉진 기전	✓	✓	✓
전임상 효능(%) <sup>(3)</sup>	130	100	-
약가(6개월,원)	342,536 <sup>(4)</sup>	1,370,706	742,200
투여경로	경구투여	주사제	주사제
순응도	고	중	중
최대투여기간 <sup>(5)</sup>	미정(계속 투여 예상)	24개월	12개월
Target	Target protein X	PTH1R	Sclerostin

(1) Forteo : Parathyroid hormone (teriparatide)

(2) Evenity: Romosozumab, sclerostin monoclonal antibody

(3) 마우스 골다공증 모델(난소적출)에서 골다공증 유발 후 uCT 결과 중 골형성 항목(BV/TV)에서 Forteo를 100% 기준으로 비교

(4) GMP 생산 단가(대구첨복 용역비)로 추정한 금액임. 생산단가대비 5배 마진으로 계상

(5) 비임상 독성 결과(단회, 반복, 기타독성 등) 최대투여 허용 가능 용량인 2,000mg/kg까지 독성이 없어 미정으로 설정



- Osteoblast activator: FORTEO, EVENITY, QG3030

- Osteoclast inhibitor: FORSAMAX, VIVIANT, PROLIA

- FORTEO: parathyroid hormone analogue

- EVENITY: sclerostin target monoclonal antibody

# ■ QG3030의 수익 산정

**SOM: 2025년 임상 1상 완료 후 L/O 시, 1600 ~5000억원 기술이전료 예상**

**TAM** 전체시장

Global : 15조 원  
Domestic : 2천억 원

**SAM** 유효시장

Global : 5조 원  
Domestic : 7백억 원

**SOM** 수익시장

Global : 5천억 원  
Domestic : 1.6천억원

TAM: Global (FMI analysis, 2020), Domestic(IQVIA)

SAM: Amgen (Evenity) + Lilly (Forteo) = 35% market share, SAM = TAM x 0.35

SOM: 실제 시장이 아닌 기대 수익금액. 국내 L/O 사례 최고 및 최저 기술이전료

Licensor	Licensee	Year	L/O fee	Modality	Etc.
동화약품	P&G	2007	5억1천만 달러(약 5천억 원)	저분자	골재생 및 골흡수 저해, 유럽 1상 후
동화약품	일본 데이진제약	2008	9천7백만 달러(약 970억 원)	동일	동일
녹십자	독일 BDD/CCDRD	2006	1억3천만 유로(약 1,600억 원)	재조합 PTH	골재생 및 골흡수 저해, 유럽 2상 후

# ■ QG3030(골다공증 치료제) Sales forecast

**5천 억 원(L/O 규모) 투자 후 3년 후 BEP 달성.  
12년(BEP 후 독점기간) 동안 총 27억 5500만 달러(글로벌) 누적 순이익 추정**

		Global market	Domestic market
<b>독점기간</b>		<b>2030 ~2045년</b>	
<b>예상 발매년도</b>		2030년	
<b>투자비용</b>		<b>458 Mn. USD.</b> (L/O fee 5천 억 원 + 임상연구비 500억원)	<b>500억 원</b> (L/O fee 제외, 임상 및 연구개발비 500억 원)
<b>매출액 산정 기준</b>		전체 환자의 10%	Evenity 매출액의 50%
<b>CAGR(%)</b>	Market	4.88	10
	QG3030	10	5
<b>BEP</b>		2033년	
<b>독점기간까지 누적 순이익</b>		<b>2,755 Mn. USD.</b>	<b>3,470억 원</b>

# ■ QG3030(비만치료제) 경쟁력 분석

## 폐경기여성의 비만 시장 경쟁력 확보

비교항목	Q genetics QG3030	novo nordisk® WEGOVY <sup>(1)</sup>	novo nordisk® SAXENDA <sup>(2)</sup>
비만 억제 기전	✓	✓	✓
비임상 효능 농도	<60mg/kg <sup>(3)</sup>	10ug/kg	1ug/kg
약가(6개월,원)	342,536 <sup>(4)</sup>	12,000,000 (\$1,350/월)	11,000,000 (\$1,300/월)
투여경로	경구투여	주사제	주사제
순응도	고	중	중
최대투여기간 <sup>(5)</sup>	미정(계속 투여 예상)	68주 이상	56주 이상
Target	-	GLP-1	GLP-1

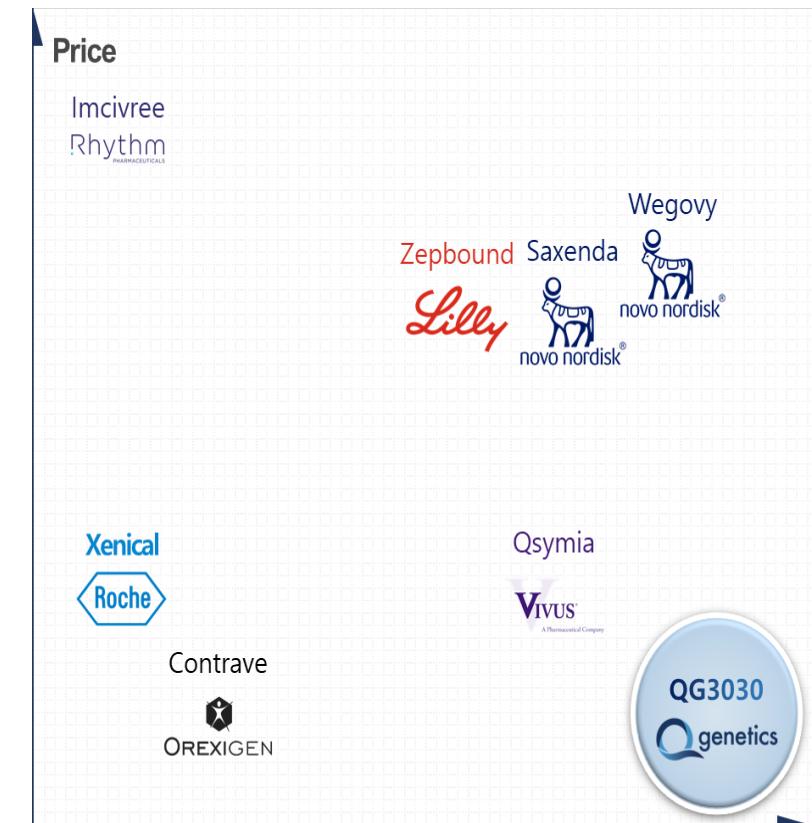
(1) Wegovy : GLP-1 agonist (Semaglutide)

(2) Saxenda: GLP-1 agonist (Lilaglutide)

(3) 마우스 골다공증 모델(난소적출)에서 체중측정 결과

(4) GMP 생산 단가(대구첨복 용역비)로 추정한 금액임. 생산단가대비 5배 마진으로 계상

(5) 비임상 독성 결과(단회, 반복, 기타독성 등) 최대투여 허용 가능 용량인 2,000mg/kg까지 독성이 없어 미정으로 설정



- Zepbound : GLP-1 and GIP receptor agonist
- Qsymia : Increase the release of norepinephrine and dopamine
- Contrave : Dopamine and norepinephrine reuptake inhibitor, opioid receptor antagonist
- Imcivree : Melanocortin 4 receptor (MC4R) agonist
- Xenical : lipase inhibition

# QBone

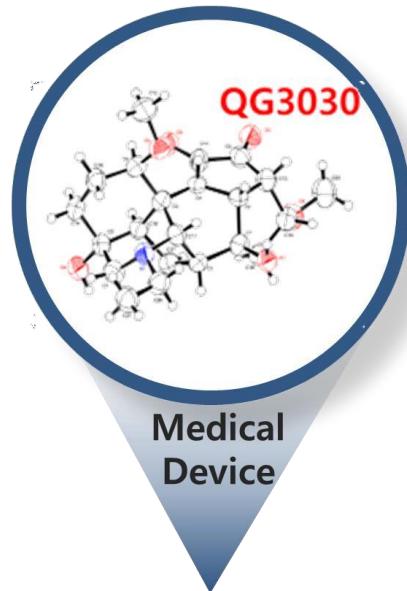
## (융복합 의료기기)

- Combination product
- QBone development (Grant)
- In vivo efficacy
- Competitiveness analysis
- Launch and goals
- Sales forecast

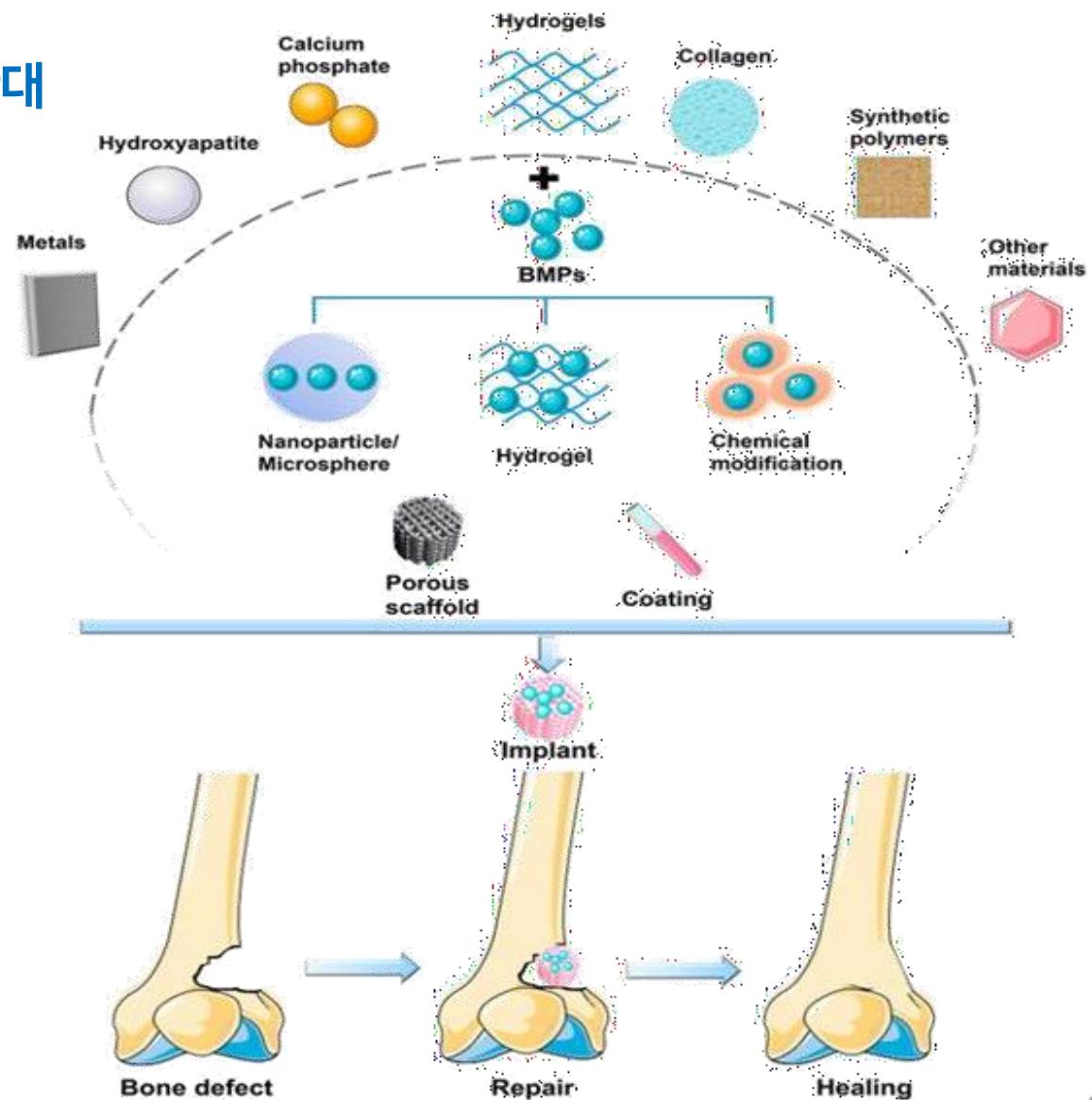
# ■ QG3030 의료기기 영역

## ■ 골재생 효과를 합성골 이식재 의료기기로 확대

- BMP 대체 융복합의료기기로 사업영역 확대



골이식재·  
치조골 이식·  
임플란트·  
척추 융합·

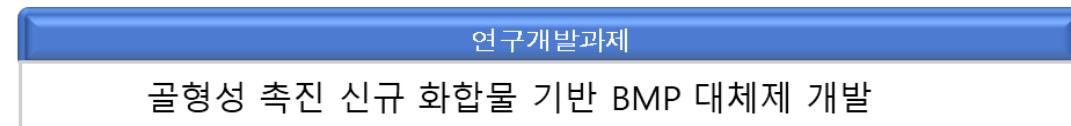


Ref.: H. IBRAHEIM ET AL, EXPERT REVIEW OF GASTROENTEROLOGY & HEPATOLOGY, 2018

# ■ QG3030 의료기기(QBone) 개발

■ 합성골 이식재 개발 주제로 “ScaleUp TIPS”과제 선정 (2023~2024, 6억/2년)

산자부(소부장) 과제 선정 (24.07~26.12, 25억/30개월)



1차 년도	2차 년도
<p><b>Q genetics</b> 큐제네틱스</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Type-1 &amp; -2 골형성 부스터 제작</li> <li>▪ 골형성 부스터 함유 골이식재 제작</li> <li>▪ 국내 합성골 회사와 공동개발을 위한 협약(MOU) 추진</li> </ul>	<p><b>Q genetics</b> 큐제네틱스</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ GMP 등급 골형성 부스터 제작</li> <li>▪ GMP 등급 골형성 부스터 함유 콜라겐/바이오세라믹/시판 합성골 기반 골이식재 제작</li> <li>▪ MOU 참여 국내 합성골 회사와 공동개발 및 기술이전 추진</li> </ul>
<p><b>서울대학교 치과대학</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 랫드 두개골 골절 모델을 이용한 골형성 부스터 효력 및 유효 용량 결정 시험</li> </ul>	<p><b>서울대학교 치과대학</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 비글견 치조골 모델을 이용한 골형성 부스터 함유 골이식재와 BMP-2 함유 골이식재의 골형성 성능 비교</li> </ul>

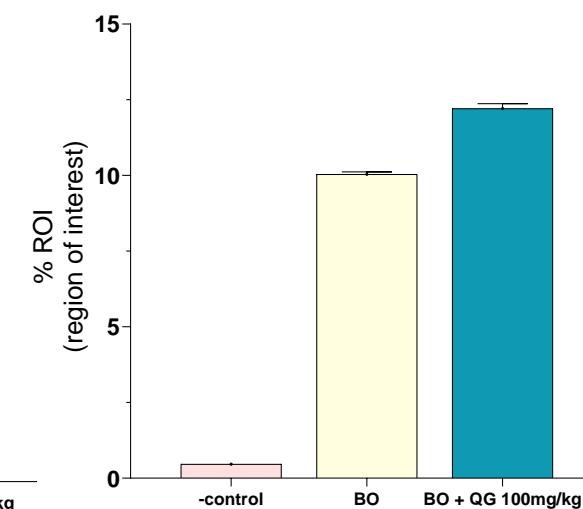
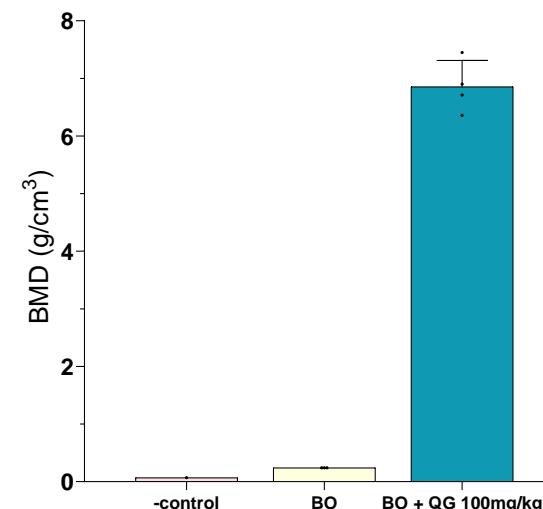
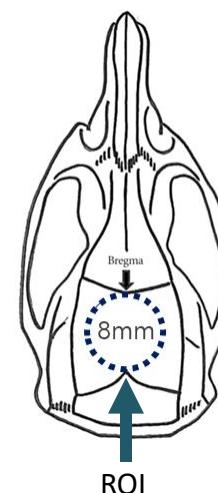
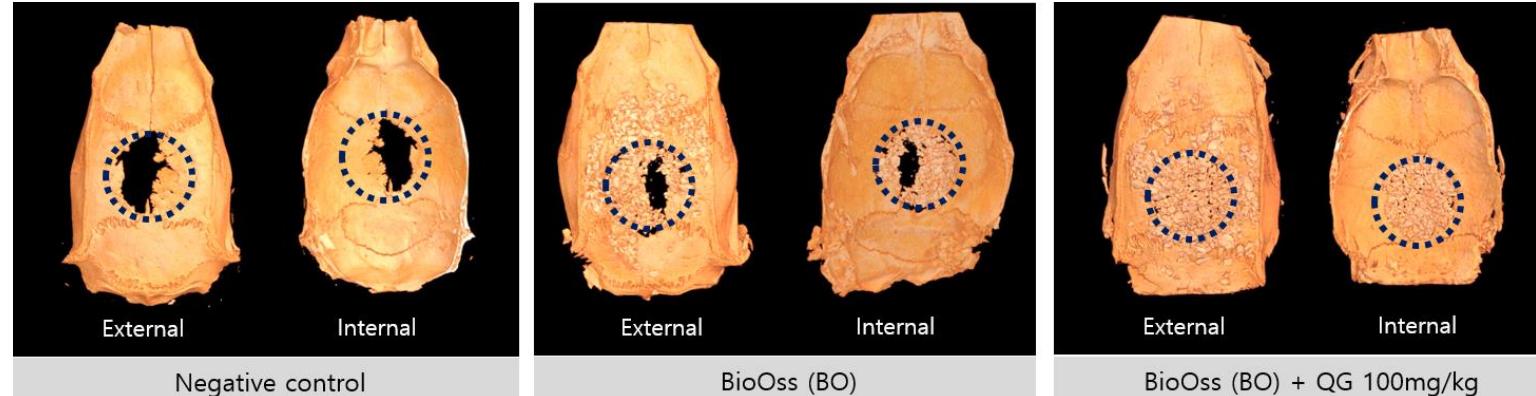
연구 개발 계획서

보안등급		일반 [✓] 보안[ ]						
보안등급 체크		일반형 [✓]	통합형(세부) [ ]					
병렬형(세부) [ ]		신청용 [✓]	협약용 [ ]					
차단계 제출용 [ ]		보안등급						
총 양행장기 관명 <sup>(2)</sup>	사업통상지원부	사업명	서부사업명 <sup>(4)</sup> 소재부품기술개발					
전문기관명 <sup>(5)</sup>	한국산업기술기획평가원	내역사업명 <sup>(4)</sup>	이종기술융합형					
공고번호 <sup>(6)</sup>	제2024-115호	총괄연구개발 고지번호 <sup>(7)</sup>	(해당 시 작성)					
선정방식 <sup>(8)</sup>	정책지정 [ ] 지정공모 [ ]	연구개발 과제 번호 <sup>(9)</sup>	RS-2024-00419955					
기 술 류	업체명 <sup>(10)</sup>	품목지정 [ ]	자유공모[ ]					
	산업기술분류 <sup>(10)</sup>	품목지정	자유공모					
	국가과학기술분류 <sup>(11)</sup>	제품명	제품명					
	총괄연구개발과제명 <sup>(12)</sup> (해당 시 작성)	국문	골형성 효능이 입증된 융복합 의료기기 후보물질(QG3030)의 치조골 이식용 의료기기 제품화					
		영문	Commercialization of a medical device for alveolar bone transplantation of a convergence medical device candidate (QG3030) with proven bone formation efficacy					
	기관명	큐제네틱스	사업자등록번호	390-81-00348				
주관연구개발기관	주소	(우)02447 서울시 동대문구 경희대로 23, 경희대학교 (구)이과대학 서울비 미오산학협력센터 504호	법인등록번호	110111-598256				
	설명	직장전화	기관유형 <sup>(13)</sup>	중소기업				
	연락처	02-961-9443	직위	대표이사				
	전자우편	mschang@qgenetics.co. kr	국가연구자번호	10180341				
	전체 <sup>(14-1)</sup>	2024.07.01 ~ 2026.12.31( 2년 6개월)						
연구개발기간 <sup>(4)</sup>	단계 <sup>(14-2)</sup>	1년차	2024.07.01 ~ 2024.12.31( 1년 6개월)					
		2년차	2025.01.01 ~ 2025.12.31( 1년 개월)					
		3년차	2026.01.01 ~ 2026.12.31( 1년 개월)					
	당해연도 개발기간(1차년도) <sup>(14-3)</sup>	2024.07.01 ~ 2024.12.31( 0년 6개월)						
연구개발비 <sup>(5)</sup> (단위: 천원)	정부지원 연구개발비 <sup>(5-1)</sup>	기관부담연구개발비 <sup>(5-2)</sup>	그 외 기관 지원금 <sup>(5-3)</sup>	총 연구개발비				
			지방자치단체 등					
단계	연도	현금	현금	현금	현금	현금	현금	합계
1	1차년도	375,000	18,470	166,231	-	-	393,470	166,231, 559,701,
	2차년도	750,000	36,940	382,462	-	-	786,940	382,462, 1,119,402
	3차년도	750,000	36,940	382,462	-	-	786,940	382,462, 1,119,402
	합계	1,875,000	92,350	831,156	-	-	1,967,350	831,156, 2,798,507

# ■ QBone 연구 현황

## 랜드 두개골 결손 모델에서 골형성 확인

- 기존 합성골(BioOss)과 혼합시 효능(결손부위 채움(ROI) 및 골밀도(BMD)) 극대화 확인



8mm의 원형결손부 (ROI, Regions of interest) 내 골이식재(bone graft, BioOss ± QG3030, 100mg/kg)를 처리하여 ROI 내 전체골의 골 밀도 (BMD, Bone mineral density)와 골 재생 정도 (% ROI)를 측정함.

# ■ 경쟁제품 비교

## QBone: rhBMP2(경쟁제품) 대비 효능, 안전성, 생산단가가 우수함

	QG3030 + β-TCP/HA* (가칭: Qbone)	경쟁제품: 코웰 BMP	경쟁물질 : rhBMP-2
구성	QG3030 함유 β-TCP/HA	hrBMP2 coated β-TCP/HA peptide	hrBMP-2
성상	chemical powder	protein + chemical powder	Protein powder
타깃 수용체	Target protein X	BMPR	BMPR
기전	MSC의 osteogenesis	MSC의 osteogenesis	MSC의 osteogenesis
특성	골형성 촉진	골형성 촉진	골형성 촉진
적용분야	치과용 임플란트 치조골 포함 정형외과용	치과용 임플란트 상부구조물	치조골 포함 정형외과용
Off target	지방분화 억제	지방분화 촉진	지방분화 촉진
부작용	- 경구 투여, 부작용 없음 (비임상 시험 결과) - 생체 이식용 비임상 독성시험 필요	1)과다 골분화 2)출혈 3)극심한 통증 4)사망	1)과다 골분화 2)출혈 3)극심한 통증 4)사망
제조 비용	6원/g	198,000원/0.25g	고가
관련 제품 세계 시장 규모	-	비공개	5조 원대 (2022년)

\*TCP/HA: Tricalcium phosphate/hydroxyapatite

# ■ QBone 출시 및 목표

## ■ rhBMP2 시장(5조 원)의 10% 이상(5천억 원) 확보 목표

