



NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY





NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY

Contents

- I. Ongoing dreams of Pharmicell
- II. New business area (Bio-chemical)
- III. Stem cell area
- IV. Appendix





NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY



I. Ongoing dreams of Pharmicell

1. Vision
2. After merging IDB Chem.
3. Business roadmap
4. Investment points

1. Vision

NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY

Ongoing Dreams of Pharmicell



Global top tier pharmaceutical company

기술 · 제품의 해외진출

국내외 Partner들과의 유통 · 기술협력

**Stem cell
therapy product**

**Banking
&
Cosmetic**

**New drug
R&D
(Stem cell +
Bio-chemical)**

**Bio-polymer
&
Nucleoside**

Bio-Pharmaceutical Business

Bio-Chemical Business

2. After merging IDB Chem.

NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY

Ongoing Dreams of Pharmicell

신약개발 Business area 강화

줄기세포
치료제(SCTP)

New SCTP
with PEG
with Nucleoside

HDP-tosylate

mPEG

Nucleoside

PHARMICELL

Flame
retardant

줄기세포
배양액 화장품

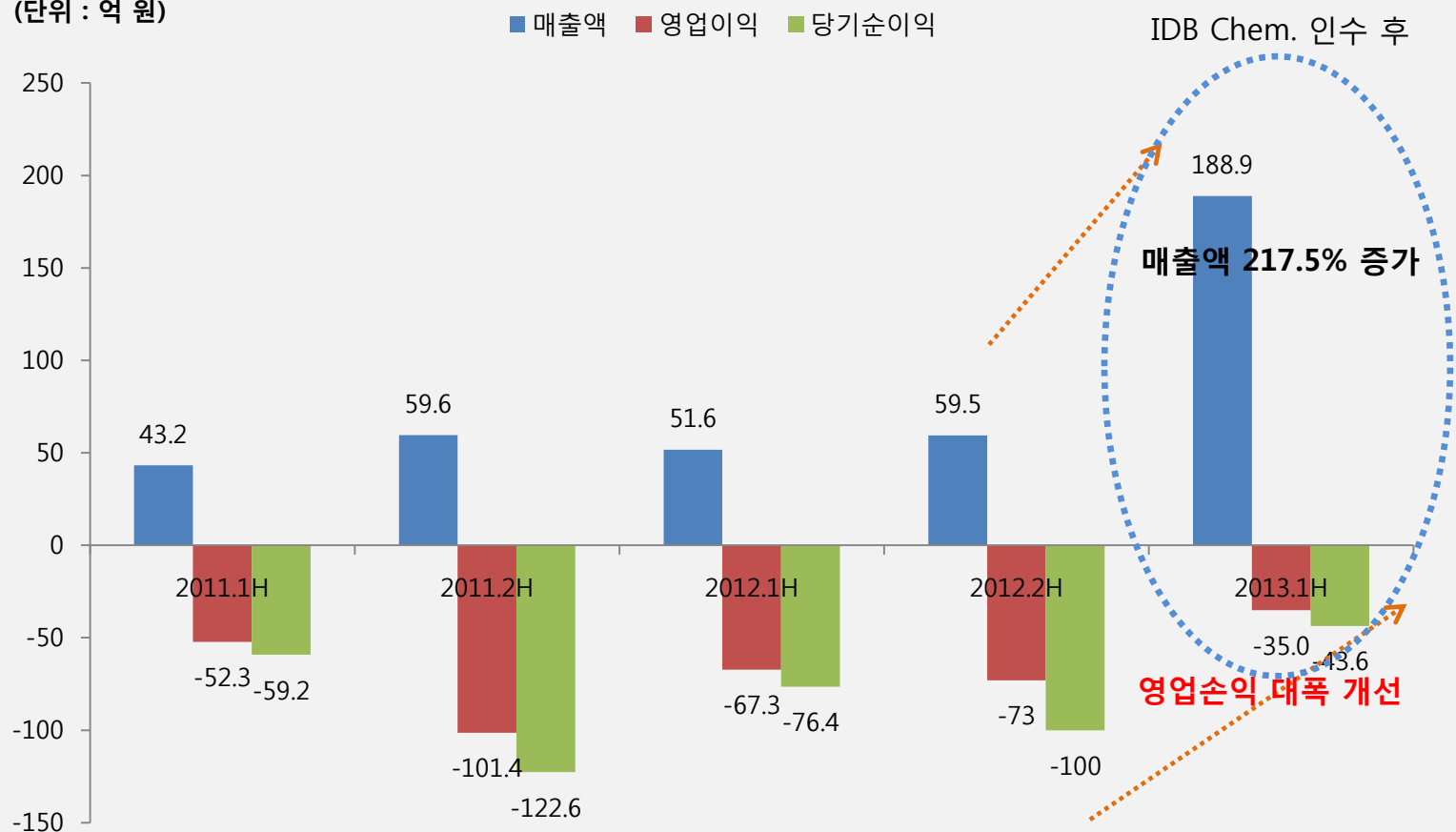
줄기세포
보관

안정적인 Cash cow portfolio 확보

2. After merging IDB Chem.

IDB Chem. 인수 후 매출 및 손익실적개선

(단위 : 억 원)



3. Business roadmap

2016년

Global top tier pharmaceutical company 도약

» 글로벌 바이오 제약 기업 위상 확립

1. 미국 / 중국 / 동남아 / 중동 등 글로벌 줄기세포치료제 생산거점 구축
2. 차세대 줄기세포치료제 개발
3. New Blockbuster drug 핵심 중간체 개발 / 공급

흑자전환 및 매출 확대

» 바이오 매출 확대 및 케미컬 지속 성장

1. 줄기세포치료제의 제조 / 판매 안정화 및 후속치료제 출시에 따른 출하량 증대
2. 케미컬사업부문 원료공급처(Sangart, Nektar 등) 상업화에 따른 매출 확대
3. 세포치료제 대규모 처리시설 확보 / 해외사업(Saudi Arabia, Hong Kong 등) 안정화
4. 후속 줄기세포치료제 개발(뇌졸중, 척수손상, 간부전, 발기부전, 항암제 등) 및 미국임상 진행
5. 전문서비스 제공 - CMO, 세포생산 배지, 제조 및 품질관리, 운송, 보관 등
6. 줄기세포치료 전문병원 설립 준비 및 실행

2013년

바이오 - 케미컬 결합으로 안정적 매출구조 확보

» 사업포트폴리오 안정화

1. 바이오 유통망 확보(국내제약사 판매제휴, 해외사업진출)를 통한 매출 안정화
2. 줄기세포치료제 보험등재 추진(4대중증질환 해당)
3. 성공적 M&A를 통한 안정적 매출구조 확보(완제의약품: 세포치료제, 의약품원료물질: PEG, Nucleoside)
4. 케미컬 거래처 확대 및 기존 공급처의 상업화 임박에 따른 매출 증가 기대
5. 후속치료제(뇌졸중, 척수손상, 간부전) 임상 가속화 및 미국임상 진입

4. Investment points

1. 줄기세포치료제 선두주자

- 2011년 7월 세계 최초 줄기세포치료제 Cellgram-AMI 개발
- 2011년 9월 생산개시
- 2012년 150건 판매 (2012년 시판개시)
- 2013년 320건 판매목표(2012년 대비 113.3% 실적개선 목표) → JW중외제약 판권계약
- 해외사업 가속화(미국임상, 홍콩수출계약, 사우디 기술이전 등)

2. 검증된 R&D 능력을 통한 New Pipeline 확보

- Cellgram-AMI 개발을 통해 줄기세포치료제 관련 가장 이슈가 되고 있는 안전성 및 유효성 확보
- 간경변 치료제에 대한 임상시험 2상 진행 (연세세브란스기독병원 임상결과 논문발표, Liver International, 2013)
- 급성뇌경색 치료제에 대한 임상시험 3상 진행 (아주대병원 임상결과 논문발표, Stem cells, 2010)
- 만성척수손상 치료제에 대한 임상 2/3상 동시진행 (서울아산병원 임상결과 논문발표, Neurosurgery, 2012)

3. 바이오케미컬사업부문 인수를 통한 신약 Portfolio 강화

- mPEG : 미국 Sangart가 개발 중인 Trauma, sickle cell disease 치료제 등의 원료로 공급
- Nucleoside : 유전자진단, Antisense/RNAi drug의 원료로 사용되고 있으며 ISIS사의 Amyloidosis, Spinal muscular atrophy, Hypercholesterolemia 등의 신약개발에 원료로 공급
- HDP-tosylate : HIV치료제, 천연두 치료제의 중간체로 공급, 미국 Chimerix가 미국방성과 진행 중인 탄저균 치료제 개발에 중간체로 공급

4. Investment points

4. 신약개발을 위한 Cash cow 확보

- 케미컬부문의 난연제와 바이오부문의 줄기세포배양액 화장품은 새로운 Cash Cow 역할 담당
- 난연제는 정밀화학을 이용한 반응형 난연제 제품으로 삼성, LG 등의 휴대폰기판과 독일 Trevira, 웅진, 효성 등에 난연 섬유용으로 공급
- 줄기세포배양액 화장품은 중국 위생허가 취득, 홍콩 BALS 및 중국 씨리앤메이와 수출계약 체결 등 해외시장 집중

5. 정부지원 계획

1. 세계 10대 제약강국 5개년 계획
 - 정부의 제약산업 육성 지원 2단계(2015~2017년) 목표 = 바이오의약품, 맞춤형 신약 등에서 글로벌 혁신기업 창출
 - 특히 바이오시밀러와 줄기세포치료제에 대한 R&D 투자 집중 강조
 - 5년간 신약개발 20개 목표로 민·관 합동 총 10조원 R&D 투자 계획
2. 건강보험 4대 중증질환 확대 지원 계획
 - 4대 중증질환(암, 심장질환, 뇌혈관질환, 희귀난치질환) 지원 확대로 줄기세포치료제(심근경색치료제)에 대한 건강보험지원 가능성 확대 예상
 - 필수의료가 아닌 선별급여 형태로 지급될 가능성

6. 2014년 실적 Turn around 예상

- 줄기세포치료제 및 줄기세포배양액 화장품의 매출 증가와 케미컬부문의 매출 호조에 힘입어 2013년 실적호전
- 바이오부문의 해외진출사업(Saudi KFMC Project, Hong Kong BALS) 등으로 2014년 흑자전환 예상



NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY



II. New business area (Bio-chemical business)

1. Portfolio of biologic/chemical products

- 1-1. mPEG
- 1-2. Nucleoside
- 1-3. HDP-tosylate
- 1-4. Flame retardant

2. Sales analysis

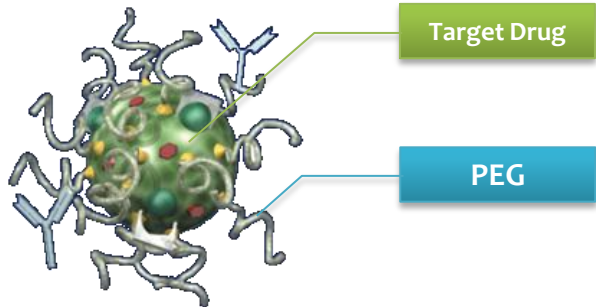
3. Strategy of sales

4. MP4 project

1. Portfolio of biologic products





New Bussiness Area

1. mPEG



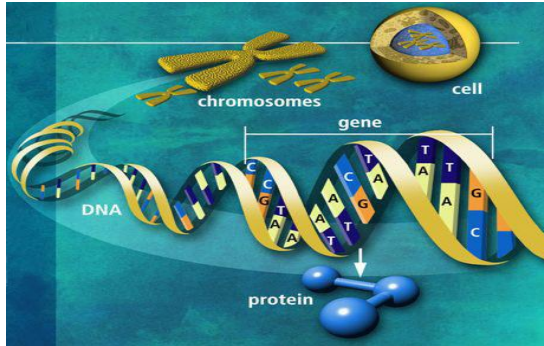
신약개발 관련 사항

- 미국 Nektar가 Baxter와 공동으로 임상 2/3 동시 진행 중인 혈우병 신약 BAX855에 mPEG 10K 공급 중
- 미국 Sangart의 MP4 Project에 mPEG 5K 공급 중, 2016년 판매 예상
 - 유럽에서 인공혈액으로 임상 3상까지 진행한 바 있으며, Trauma 치료제로 금년 말 유럽 임상 2C 진행 예정, 2016년 중반 상업화
 - Sickle cell disease 치료제로 2013년 9월 임상 2상 진행 예정, 2016년 초반 상업화
 - Stroke 치료제로 동물실험 진행 중

PEG (Polyethylene glycol)	<ul style="list-style-type: none"> • Ethylene Oxide(EO)로부터 중합된 고분자 물질인 PEG를 의약용으로 사용하기 위하여는 매우 까다로운 정제 과정을 거쳐야 사용할 수 있으며, 표적 화합물과 반응을 용이하게 하기 위하여 다양한 유도체의 제조 기술이 필요함
주요용도	<ul style="list-style-type: none"> • Protein-Peptide계 약물의 인체 내 독성을 경감시키고, 오랫동안 효과적으로 전달시키기 위한 전달체(Drug Delivery System)
시장상황	<ul style="list-style-type: none"> • PEG를 바이오 의약에 결합하면, 체내 반감 기간과 수용성 및 안정성을 증가시키며, 항원성 발현을 감소시키는 등의 장점을 가지고 있음 • PEG계 단백질/펩타이드 의약품, Hydrogel, 약품 전달체인 리포좀 등에 많이 응용 • DDS(Drug Delivery System)사업을 주도하고 있는 Nektar, Sangart, Merck, Roche 등과 전략적 제휴 체결, 제품 공급
주요제품	<ul style="list-style-type: none"> • mPEG OH(1K~40K), mPEG-Amine(1K~30K), 4-arm PEG(2K~40K) 외 기타 유도체
주요고객사	<div>     </div>



1. Portfolio of biologic products

2. Nucleoside



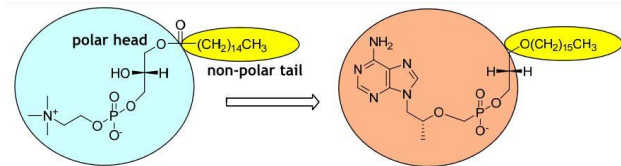
신약개발 관련 사항

- 미국 Thermo Fisher 및 독일 Sigma-Aldrich에 유전자 진단 및 치료제 원료 공급 중
- ISIS가 Kynamro® (Mipomersen sodium)의 2013년 FDA에서 familial hypercholesterolemia에 대해 허가를 받은 후 다수 글로벌 제약사에서 차세대 Anti sense 임상이 활발히 진행 중, ISIS에서 2018년 관련 제품 상업화

Nucleoside	<ul style="list-style-type: none"> • 생물의 유전자 기본 요소인 DNA, RNA의 구성 요소에 해당하는 물질 • 파미셀이 제조한 Nucleoside로부터 다른 사슬을 접목한 후 solid phase 중합을 거치면 원하는 유전자 구조의 DNA나 RNA 를 제조할 수 있음
주요용도	<ul style="list-style-type: none"> • 유전자 진단 및 치료제 (Anti sense/RNAi drug)등에 사용
시장상황	<ul style="list-style-type: none"> • 21세기에 접어들면서 유전자 지도가 완성되고 관련 Genomics가 발전함에 따라 유전자를 이용한 질병의 치료에도 관심이 고조되어 지난 10여 년전부터 활발한 임상실험이 진행되고 있음 • 질병의 진단, 유전자 증폭 등의 원료 등 관련 시장의 기반이 마련되어 현재 진단, 증폭의 분야에선 안정적 매출을 올리고 있으며 치료제가 본격 등장할 것으로 예상되는 4~5년 이후에는 급신장 전망 • 현재 파미셀은 관련 시장의 80~90% 시장 점유율을 유지하고 있음
주요제품	<ul style="list-style-type: none"> • DMT-DNAs, DMT-RNAs
주요고객사	<div>   </div>


1. Portfolio of biologic products

3. HDP-tosylate (Active Pharmaceutical Ingredient Intermediate)



신약개발 관련 사항


- 탄저균과 AIDS 치료제 개발의 원료로 공급되고 있으며 향후 프로젝트 완료 시 400~500억 원의 매출발생 예상
- 천연두, 탄저균 치료제와 HIV치료제는 2016년 상업화 예상

주요용도	<ul style="list-style-type: none"> • HDP-cidofovir(천연두, 탄저균 치료제), HDP-tenofovir (HIV치료제)의 중간체
시장상황	<ul style="list-style-type: none"> • 미 국방성에서는 천연두, 탄저균 등 생물학전 및 테러에 대비한 치료제 개발 및 비축을 준비 중임. 이를 위해 미국의 Bio 업체인 Chimerix로부터 이들 물질을 조달 할 계획으로 준비 중. 이미 양산 준비단계 • HIV치료제 신약인 HDP-tenofovir은 임상2상 진행 중. Chimerix-Merck 간 license 계약 진행 중으로 파악 됨. • 파미셀은 핵심 중간체인 HDP-tosylate를 Chimerix에 독점 공급 중 • 2013년 하반기에 양사간 공급 계약서 완료 예정
주요제품	<ul style="list-style-type: none"> • HDP-tosylate (API Intermediate)
주요고객사	

1. Portfolio of chemical products

New Bussiness Area

4. Flame Retardant

Flame Retardant	<ul style="list-style-type: none"> 플라스틱, 섬유 등과 같이 연소하기 쉬운 고분자 물질에 할로겐, 인, 수소, 수산화금속 화학물을 첨가함으로써 발화를 늦추고 연소의 확대를 막아주는 물질 난연제는 첨가형과 반응형이 있으며 반응형이 고가이며 화학적 결합을 통해 난연을 포함한 물리적 성능 우수
주요용도	<ul style="list-style-type: none"> 모바일 기기 내 인쇄회로기판용, 자동차 내장제, 섬유, 기타플라스틱 등
시장상황	<ul style="list-style-type: none"> 지난 10여년 전부터 일부 브롬계 난연제가 유럽을 중심으로 규제가 시작되면서 친환경적이고 저발연 재료로써 인계 화합물이 집중 검토되어 현재는 고분자 산업 전반에 걸쳐 폭넓게 사용되고 있음 특히 파미셀은 반응형 난연제 중 친환경적인 인계 난연제를 조기에 개발하여 현재 삼성, LG 등 휴대폰 내 인쇄회로기판용 난연제를, 독일 Trevira, 국내 웅진케미컬, 효성 등에는 섬유용 난연제를 독점적으로 공급하고 있으며, 그 외 반도체용 EMC, 플라스틱용 난연제를 생산, 판매하고 있음
주요제품	<ul style="list-style-type: none"> DPP-HQ, DPP, Phoretar-101(3-HPP), Phoretar-201 (Phosphazene)
주요고객사	

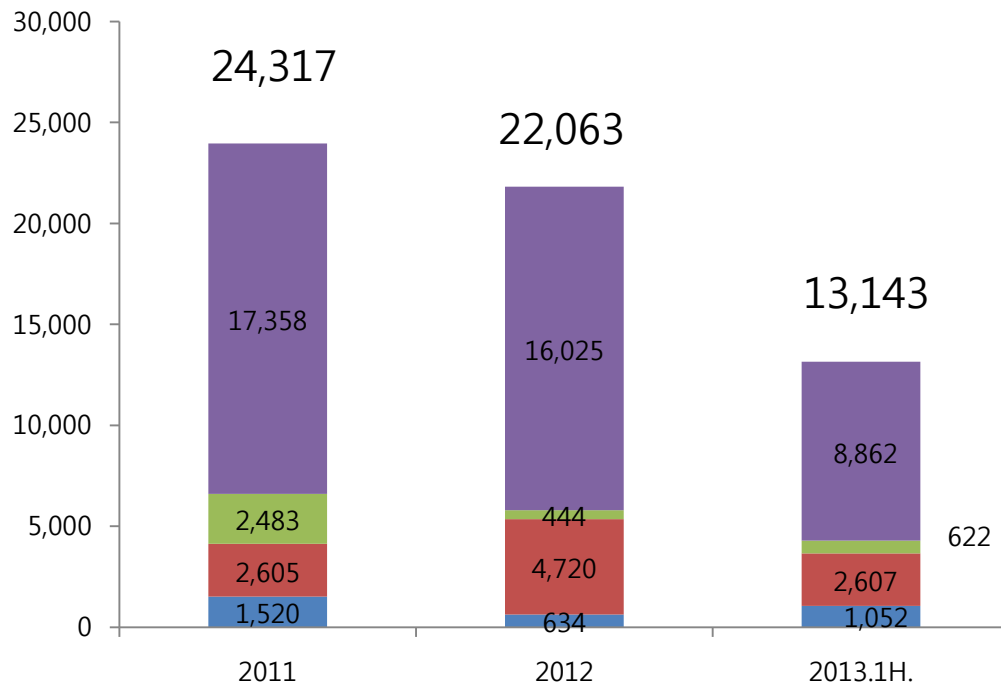
2. Sales analysis

New Bussiness Area

제품별 매출액 추이

(단위 : 백만 원)

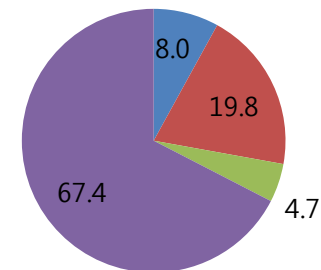
mPEG Nucleoside HDP-tosylate 외 난연제



2013년 1H 매출구성비

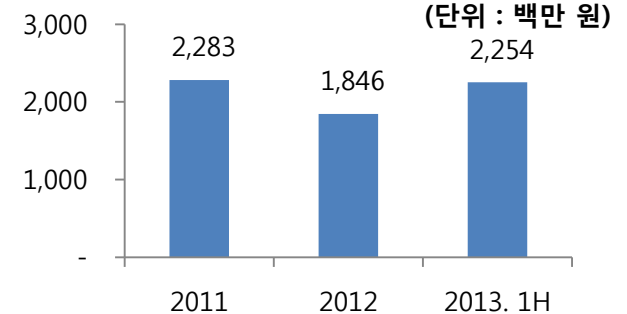
(단위 : %)

mPEG Nucleoside HDP-tosylate 외 난연제



영업이익 현황

(단위 : 백만 원)



- Nucleoside, mPEG, HDP-tosylate 등 신약 관련 제품들의 매출은 신약개발 일정과 연동되어 있기에 아직까지 매출기여도는 높지 않지만 수익성이 높음.
- 범용성 높은 난연제 매출이 현재 정밀화학 부문의 Cash cow 역할

3. Strategy of sales

New Bussiness Area

mPEG

- 특허를 보유한 분리, 정제 기술 및 대량생산 능력을 기반으로 고객사의 신약 개발초기부터 파트너로 참여하는 전략
- Sangart, Nektar 등의 주요 고객사와의 관계강화를 통한 안정적 매출 확보

Nucleoside

- 자체 기술을 이용한 원료 직접생산을 통한 원가 경쟁력 확보
- 세계최고의 품질을 바탕으로 최근 유전자치료제 임상 확대에 대응하는 공격적 마케팅 진행

HDP-tosylate

- 기존거래처 Chimerix와의 지속적인 유대관계 강화를 통해 임상 후, 상업화 시 대량 공급 체계 구축

신규 ITEM 창출

- 축적된 정밀화학 경험을 토대로 국내외 제약사와의 제휴를 통해 신약중간체를 개발하여 안정적 수익원 확보

난연제

- 차별화된 제조기술 및 중국 현지 생산을 통해 타 경쟁업체들 보다 원가 및 품질 경쟁력 확보
- 난연경화제, 신규 난연제 개발 등을 통한 다양한 제품군 확보

4. Artificial blood(인공혈액, MP4 project)

- **Product Platform : MP4**

- MP4는 산소가 부족한 조직에 선택적으로 신속하게 부족한 산소가 전달될 수 있도록 개발된 제품으로 헌혈로부터 얻어진 적혈구에서 헤모글로빈을 분리, 정제 후 당사에서 제공하는 mPEG 유도체와 화학 결합을 하여 안정화 시킨 제품

- **Oxygen Therapeutic Agents**

- 1) Trauma(외상성 출혈 치료제) : 금년 말 임상 2C 진행, 2016년 중반 상업화
 - 2) Sickle Cell Disease : 2013년 9월 임상2 진행, 2016년 초 상업화
 - 3) Stroke : 동물 실험 진행 중
- ※ 2013년 하반기에 원료물질 장기(~2026년)공급 계약 체결 예정

- **Artificial Blood**

- 상온 장기 보관이 가능하고 혈액형 Matching 필요없이 수혈이 가능한 진정한 인공혈액
- 유럽에서 임상3상으로 인공혈액의 안전성 확립
- 국내 헌혈량 및 희귀 혈액(RH-) 보유량 극히 부족. 국내에 MP4를 이용한 인공혈액 적용 검토 중

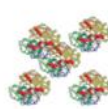
Unused Red Blood Cells
(already fully tested)



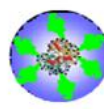
Membrane
Removal



Viral
Reduction
(SD, nano-filtration, Sartobind Q)



Thiolation
PEGylation



Ultrafiltration



MP4

*MP4OX and MP4CO are sterile, universally
compatible membrane-free preparations*



NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY



III. Stem cell area

1. Stem cell therapy products

- 1-1. Cellgram-AMI
- 1-2. New pipelines
- 1-3. Strategy of sales

2. Stem cell banking

3. Stem cell conditioned media cosmetics

4. Overseas projects (Saudi Arabia, Hong Kong)

1. Stem cell therapy products

1. Cellgram-AMI (급성심근경색 치료제)

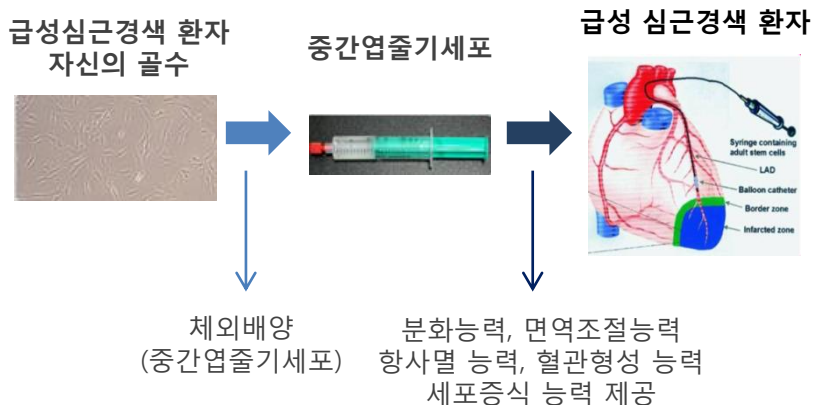
* Cellgram : 미분화 골수유래 중간엽 줄기세포치료제



세계 최초의 줄기세포치료제

2011년 7월 KFDA 허가 취득 → 2011년 9월 생산 개시 →
2012년 150건 판매 → 2013년 320건 판매목표

Cellgram-AMI 적용방법



Cellgram-AMI 소개

제품	Cellgram-AMI (자가골수유래 중간엽 줄기세포)
성상	유백색의 세포 현탁 용액이 무색투명한 플라스틱 주사기에 채워져 있고 주사기 말단에 폐색기로 고정되어 있는 프리필드시린지
효능,효과	흉통 발현 후 72시간 이내에 관상동맥성형술을 시행하여 재관류된 급성심근경색 환자에서의 좌심실 구혈률의 개선
시술방법	관상동맥 내 주입

1. Stem cell therapy products

2. New pipelines

구 분	상업화 단계	전임상단계	연구자임상	상업화 1상	상업화 2상	상업화 3상	품목허가	상용화 예상
Cellgram (MSC)	심장질환 치료제							
	급성근경색증 만성 심장질환							완료
	뇌/신경질환 치료제							
	급성뇌경색 척수손상							2015
	출혈성 뇌질환 파킨슨 증후군							2017
	폐 질환 치료제							
	중증호흡부전							2017
	간질환 치료제							
	간부전							2016
	기타							
DC	이식편대숙주질환 신장이식 발기부전 중증하지허혈							2017
	암질환 치료제							
	유방암/신장암/난 소암/전립선암 교모세포종 악성흑색종							2017

- Cellgram : 미분화 골수유래 중간엽 줄기세포치료제
- MSC(Mesenchymal stem cell, 중간엽줄기세포)
- DC(Dendritic cell, 수지상세포)

1. Stem cell therapy products

3. Strategy of sales

Stem cell Area



기존 파미셀 영업전략

전략	<p>소수 자체 영업인력을 통해 전국 132개 종합병원 대상으로 마케팅 진행</p> <p>현재 18개 병원 D/C 통과, 20개 병원 D/C 진행</p>
단점	<p>인지도 및 네트워크부족 문제와 적응증 제한으로 인해 매출 증가 폭 미흡</p>

전략

향후 파미셀 영업전략

- JW중외제약을 통한 영업/마케팅 제휴 (2013.3.)
 - JW중외제약 영업망 활용한 마케팅 영역 확대 (JW중외제약 순환기계 의약품 영업력 강점)
- 1, 2차 병원 영업망 확대 (전국 8만여 개 대상)
 - 1, 2차 병원의 경우 D/C 통과 필요 없음
- 자체 영업인력과 JW중외제약 영업인력과의 협업을 통해 시너지 효과 기대
- JW중외제약 줄기세포치료제 판권 독점계약 (2013.7.)
 - JW 줄기세포치료제 판권 독점계약을 통해 기존 업무제휴를 뛰어넘어 안정적인 매출성장 및 협력관계 확보

기대 효과

JW중외제약의 기존 영업네트워크를 활용한 종합 병원 매출확대 및 신규 치료제 개발로 인한 매출 다변화 기대

2. Stem cell banking



- 성체줄기세포은행
- 성인의 골수 혹은 말초혈액으로부터 줄기세포를 채집하여 보관하는 서비스



- 제대혈은행
- 태아의 제대혈 보관 서비스

복지부 제대혈 은행 허가 심사 통과

대한개원의협의회와 성체줄기세포보관
사업에 대한 업무제휴 협약체결

종합/대형병원과 줄기세포보관 협력

전문 위탁 판매 조직망 확대

줄기세포 보관업 확대에 따른 효과

줄기세포 बैं킹의 영업력 확대는 잠재적
줄기세포치료제 고객 확보로 이어짐

소비자 측면에서 줄기세포 बैं킹과 줄기세포
치료제를 일괄적으로 서비스 할 수 있어
편리성 및 신뢰성 제고

3. Stem cell conditioned media cosmetics



줄기세포배양액 화장품 항노화 효과 탁월

- 인체골수줄기세포배양액을 통한 피부 친화 핵심 성분과 나노리포좀 Technology 를 결합한 제품
- 의과대학 실험을 통해 주름개선 효과와 안정성에 대한 평가 확인
- 실험결과 주름면적의 233%, 주름깊이와 길이에서 약 10%대 개선효과

마케팅전략

- 자체브랜드 및 OEM, ODM을 통한 해외 시장공략
- 임상실험을 통한 유효성 확보 홍보
- 방문판매를 통한 Off-line 마케팅
- 중저가 브랜드 확대를 통한 저변 확대
- 피부과 전용 제품군 확대를 통한 전문 화장품 시장 공략

해외진출현황

- 중국 CFDA 위생허가증 획득 (2013년 2월)
- 홍콩증시 상장법인 라이프사이언스 100% 자회사인 BALS Distribution Limited사에 수출계약 체결 (2013년 3월)
- 중국베이징 에스테틱 유통업체 '씨리앤메이' 와 400만 달러 수출계약 (2013년 5월)

4. Overseas projects (Saudi Arabia, Hong Kong)



Saudi Arabia KFMC Twinning Project - 800억원 규모의 줄기세포연구센터 부문 총괄

- 2013년 4월 양국 보건부장관이 보건의료 6개 분야에 대한 포괄적 협력안 서명
- 쌍둥이(Twinning)프로젝트로서 한국의 선진 의료 시스템을 사우디에 전수하고, 의료 인력을 지원
- 당사는 줄기세포연구센터 설립 및 운영을 총괄 수행 예정

Saudi Arabia KFMC Twinning Project Schedule

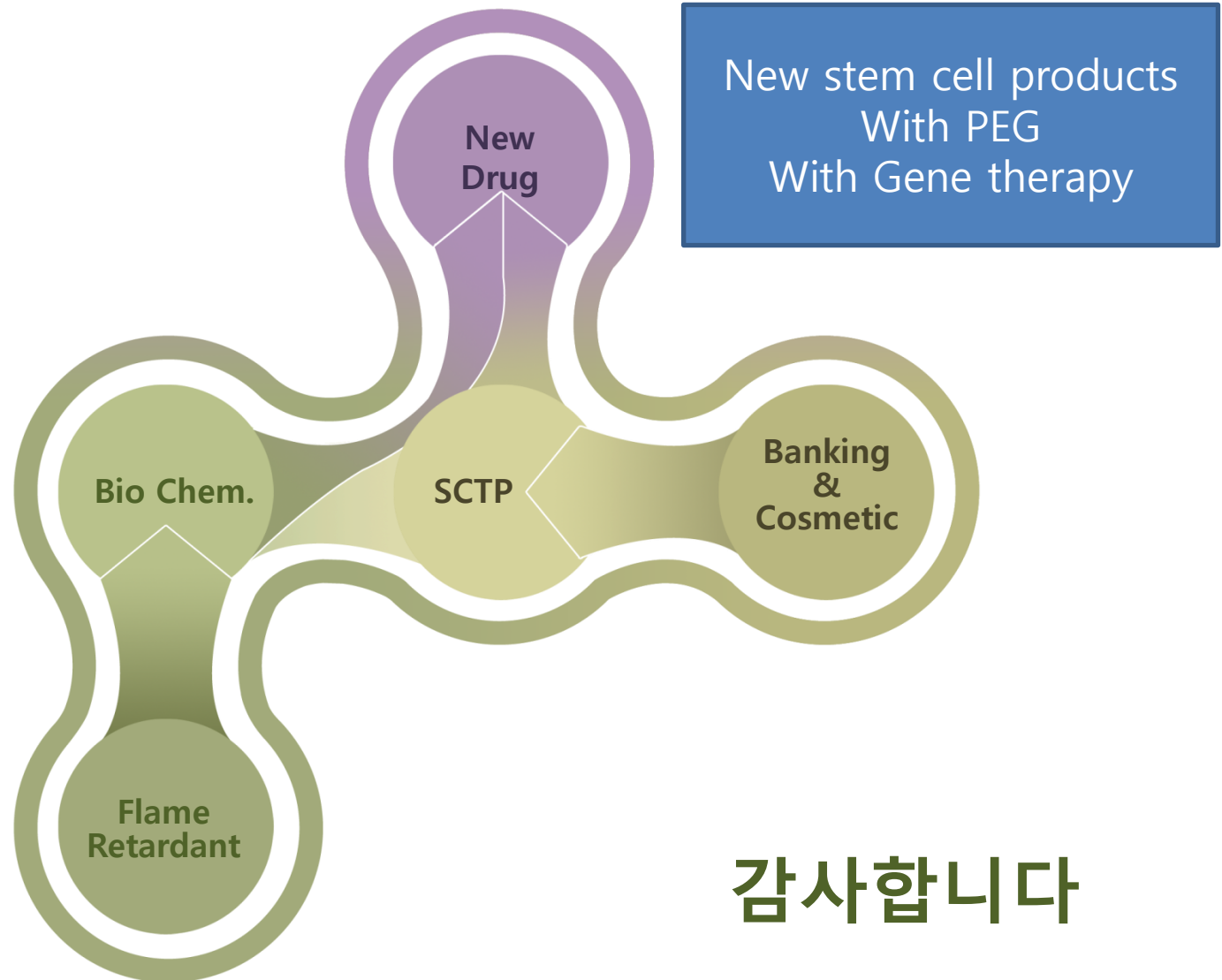
Classificatio	2014				2015				2016				2017			
	1	2	3	4	1	2	3	4	1	2	3	4	1	2	3	4
Preparation																
GMP Construction																
GMP Operation																
Technology Transfer																
Education & Training																
Clinical Trials Support																

Advanced Activities
Main Activities

Hong Kong Project – 줄기세포치료제 중국본토 남부, 중부권 진출의 교두보

- 2013. 3. 홍콩 BALS사와 줄기세포치료제 및 화장품 수출계약 체결
- 2013. 9. Hong Kong 현지법인 설립
- 2013.12. 홍콩식약청 Cellgram 등록
- 2014. 홍콩 공동 심포지움 (홍보주력)
홍콩 대학병원과 공동 임상 실험
- 2015. 홍콩 내 줄기세포치료제 생산 관련 시설 설립
- 2016. 줄기세포치료제 생산시설 가동을 통해 홍콩 및 중국본토 남부, 중부권 지역 진출





감사합니다



NO.1 STEM CELL
PHARMACEUTICAL COMPANY



IV. Appendix

1. Company information
2. 특허보유현황
3. 파미셀 관련 연구논문
4. 미국 줄기세포치료제 임상현황
5. 줄기세포 시장 자료
6. 줄기세포치료제 설명

1. Company information

회사개요

회사명	파미셀 주식회사	자회사	(주)투웰브 (99.17% 소유)
설립일	1968년 8월	종목코드	005690 (KOSPI 200)
자본금	209 억원	직원수	145명 (2013년 7월 31일 기준)
사업분야	줄기세포치료제, 정밀화학제품 생산 등	본사소재지	서울시 강남구 논현동 3-2 청호빌딩 12층

주요임원 소개

김현수 대표이사

- 연세대학교 원주의과대학 졸업
- 아주대병원 혈액종양내과 조교수
- 연세대 원주의대 겸임교수
- 복지부/과기부 줄기세포 위원
- 산자부 바이오산업전략회의 위원

김성완 고문

- 미국 유타대학교 약제학 및 생체공학과 석좌교수
- 미국 국립보건원(NIH) 자문위원
- 미국 식약청 첨단 바이오신약 특별자문단
- 미국 학술원 의학분야 및 美 국립공학학술원 종신회원
- 美 약제과학회 시상 최우수연구상('98), 美 약학대학 연합회 최우수연구상('02), 호암상 의학상('03)

History

1988 유가증권시장 상장	상호변경 (주)로이 → (주)에프씨비투웰브	아이디비켄(주) 지분 100% 인수
2002 파미셀 주식회사 설립	2010 줄기세포치료제 하티셀그램 상업화임상 완료	2013 중국SFDA위생허가 획득
2005 세레셀그램(뇌경색) 상업화임상 허가 자가유래 수지상세포를 이용한 상업화임상 승인	2011 세계 최초 줄기세포치료제 하티셀그램 품목허가 에프씨비파미셀(주)와 합병 완료	세계 최초 '이송용 장기 보존 냉장함' 특허 등록 홍콩 BALS와 줄기세포치료제, 줄기세포배양 액화장품 공급 계약 체결
2007 세레셀그램(척수손상) 상업화임상 허가	상호변경 (주)에프씨비투웰브 → 파미셀(주)	JW중외제약과 줄기세포치료제 '하티셀그램-AMI' 영업/마케팅 협력 제휴
2009 대표이사 변경(김현수 대표이사 취임) 본점 이전(서울 강남구 논현동 3-2 청호빌딩)	리버셀그램(간경변) 연구자임상완료	자회사 아이디비켄(주) 흡수합병
	2012 리버셀그램(간경변) 상업화임상 2상 진입	

1. Company information

History - 케미컬사업부문

2002. 11	아이디비캠(주) 설립 (이수화학(주) 정밀화학사업부 분사)
2003. 5	신약 개발사인 FOB Synthesis (미국 소재)와 전략적 제휴
2005. 10	ISO9001 획득
2006. 5	벤처기업 지정 (부산/울산 중소기업청)
2006. 10	ISO9001:2000 인증획득 (SBC인증원)
2006. 12	INNOBIS (기술혁신형 중소기업)지정
2008. 6	수출유망중소기업선정 (중소기업청)
2009. 11	300만불 수출탑 수상 (무역협회)
2010. 10	벤처기업 대상 수상 (중소기업청장상)
2010. 10	유망기업 지정 (울산테크노파크)
2011. 12	500만불 수출탑 수상(무역협회)
2013. 3	파미셀(주)에 흡수합병

2. 특허보유현황

Appendix

	특허내용	등록상태	출원/등록국가
1	인간 조혈 모세포로부터 분화되는 림프구성 수상돌기 세포 및 그의 생산방법	등록	대한민국, 중국, 유럽연합, 홍콩, 미국, 일본
		출원	캐나다
2	간엽 간세포를 신경세포로 분화시키는 방법	등록	대한민국, 미국, 일본, 유럽연합, 중국
		출원	캐나다
3	간엽 간세포로부터 분화된 신경세포를 유효분으로 함유하는 신경계 질환 치료용 약학 조성물	등록	대한민국, 호주, 일본, 유럽연합, 캐나다, 미국, 중국, 홍콩
4	아데노신 다이미네이즈 저해제 및 이를 생산하는 신규한 바실러스 아이에이디 에이-7 균주	등록	미국
		출원	유럽연합
5	중간엽 줄기세포의 심장성 세포로의 분화유도를 위한 PTK저해제의 용도	출원	대한민국
6	인체유래 줄기세포 배양액 추출물을 포접시킨 리포솜을 함유하는 화장품 조성물	등록	대한민국
7	이용송 장기 보전 냉장함	등록	대한민국
8	10-(2,5-디히드록시페닐)-10-히드록시-9-옥사-10-포스파-페난트렌-10-옥사이드의 신규의 제조방법(RIS)	등록	대한민국
9	효소 합성법에 의한 데옥시구아노신의 효율적 생산방법(RIS)	등록	대한민국
10	고순도의 벤질옥시폴리에틸렌글리콜 및 그의 유도체의 제조방법	등록	대한민국
11	고순도의 메톡시폴리에틸렌글리콜 및 그들의 유도체의 제조방법(mPEG)	등록	대한민국, 일본, 미국
12	고순도의 메톡시폴리에틸렌글리콜 에틸말레이마이드의 분석방법	등록	대한민국
13	고순도의 메톡시폴리에틸렌글리콜에틸말레이마이드의 제조방법	등록	대한민국
		출원	미국, 중국
14	유기 인계 난연제 및 이의 제조방법	등록	대한민국
		출원	중국, 일본
15	고순도 폴리에틸렌글리콜 알데하이드 유도체의 제조방법 (한미홀딩스㈜, 한미약품㈜ 공동개발)	등록	RU, SG, US, US, 대한민국, AR
		출원	MY, AU, BR, CA, CN, EGM, EP, HK, IN, JP, MX, PH, VN, ID, TH, TWM EG

뇌경색 환자에서 자가골수유래 중간엽 줄기세포의 정맥주사요법은 매우 안전한 방법이며, 대조군과 비교하여 현저한 기능회복 향상 (신경학적 호전 - 일상생활 수행능력지표 향상, 기능적 호전 - 장애 정도를 나타내는 지표 향상) 이 관찰됨

Autologous Mesenchymal Stem Cell Transplantation in Stroke Patients

Oh Young Bang, MD, PhD,¹ Jin Soo Lee, MD,¹ Phil Hyu Lee, MD, PhD,¹ and Gwang Lee, PhD²

Mesenchymal stem cell (MSC) transplantation improves recovery from ischemic stroke in animals. We examined the feasibility, efficacy, and safety of cell therapy using culture-expanded autologous MSCs in patients with ischemic stroke. We prospectively and randomly allocated 30 patients with cerebral infarcts within the middle cerebral arterial territory and with severe neurological deficits into one of two treatment groups: the MSC group ($n = 5$) received intravenous infusion of 1×10^8 autologous MSCs, whereas the control group ($n = 25$) did not receive MSCs. Changes in neurological deficits and improvements in function were compared between the groups for 1 year after symptom onset. Neuroimaging was performed serially in five patients from each group. Outcomes improved in MSC-treated patients compared with the control patients: the Barthel index ($p = 0.011$, 0.017 , and 0.115 at 3, 6, and 12 months, respectively) and modified Rankin score ($p = 0.076$, 0.171 , and 0.286 at 3, 6, and 12 months, respectively) of the MSC group improved consistently during the follow-up period. Serial evaluations showed no adverse cell-related, serological, or imaging-defined effects. In patients with severe cerebral infarcts, the intravenous infusion of autologous MSCs appears to be a feasible and safe therapy that may improve functional recovery.

Ann Neurol 2005;57:874-882

다계통 위축증에 대한 중간엽 줄기세포 치료 결과, 증상의 악화를 나타내는 신경학적 결손수치가 호전되는 등 환자추적결과 효과가 있고, 진행속도를 현저하게 늦춰 다계통 위축증의 아주 빠른 병의 경과를 볼 때 매우 의미 있는 치료 방법임

Autologous Mesenchymal Stem Cell Therapy Delays the Progression of Neurological Deficits in Patients With Multiple System Atrophy

PH Lee^{1,2}, JW Kim¹, OY Bang³, YH Ahn², IS Joo¹ and K Huh¹

We evaluated the feasibility and safety of therapy with mesenchymal stem cells (MSCs) through consecutively intra-arterial and three repeated intravenous injections and compared the long-term prognosis between MSC-treated ($n=11$) and control multiple system atrophy (MSA) patients ($n=18$). The MSC-treated patients showed significantly greater improvement on the unified MSA rating scale (UMSARS) than the control patients at all visits throughout the 12-month study period. Orthostasis in UMSARS I items and cerebellar dysfunction-related items of UMSARS II items were significantly different in favor of MSC treatment compared to controls. Serial positron emission tomography scan in the MSC-treated group showed that increased fluorodeoxyglucose uptake from baseline was noted in cerebellum and frontal white matters. No serious adverse effects related to MSC therapy occurred. This study demonstrated that MSC therapy in patients with MSA was safe and delayed the progression of neurological deficits with achievement of functional improvement in the follow-up period.

중간엽줄기세포 이식치료수술을 받은 10명의 만성 척수손상 환자 중 6명은 전기 생리학적 변화를, 7명은 MRI 상의 변화를 나타냄.
특히 이 중 3명의 환자는 일상생활의 개선을 가져올 만한 팔의 운동기능 향상을 보임

Long-term Results of Spinal Cord Injury Therapy Using Mesenchymal Stem Cells Derived From Bone Marrow in Humans

Jin Hoon Park, MD*
Dae Yul Kim, MD‡
Inn Young Sung, MD‡
Gyong Hyo Choi, MD‡
Min Ho Jeon, MD‡
Kwang Kuk Kim, MD§
Sang Ryong Jeon, MD*

Departments of *Neurological Surgery,
‡Rehabilitation Medicine, and §Neurology,
Asan Medical Center, University of
Ulsan College of Medicine, Seoul, Korea

Correspondence:

Sang Ryong Jeon, MD, PhD,
Department of Neurological Surgery,
Asan Medical Center,
University of Ulsan College of
Medicine,
388-1, Poongnap-dong,
Songpa-gu, Seoul,
138-736, South Korea.
E-mail: srjeon@amc.seoul.kr

Received, December 10, 2010.

Accepted, November 9, 2011.

Published Online, November 29, 2011.

BACKGROUND: Although the transplantation of mesenchymal stem cells (MSCs) after spinal cord injury (SCI) has shown promising results in animals, less is known about the effects of autologous MSCs in human SCI.

OBJECTIVE: To describe the long-term results of 10 patients who underwent intra-medullary direct MSCs transplantation into injured spinal cords.

METHODS: Autologous MSCs were harvested from the iliac bone of each patient and expanded by culturing for 4 weeks. MSCs (8×10^6) were directly injected into the spinal cord, and 4×10^7 cells were injected into the intradural space of 10 patients with American Spinal Injury Association class A or B injury caused by traumatic cervical SCI. After 4 and 8 weeks, an additional 5×10^7 MSCs were injected into each patient through lumbar tapping. Outcome assessments included changes in the motor power grade of the extremities, magnetic resonance imaging, and electrophysiological recordings.

RESULTS: Although 6 of the 10 patients showed motor power improvement of the upper extremities at 6-month follow-up, 3 showed gradual improvement in activities of daily living, and changes on magnetic resonance imaging such as decreases in cavity size and the appearance of fiber-like low signal intensity streaks. They also showed electrophysiological improvement. All 10 patients did not experience any permanent complication associated with MSC transplantation.

CONCLUSION: Three of the 10 patients with SCI who were directly injected with autologous MSCs showed improvement in the motor power of the upper extremities and in activities of daily living, as well as significant magnetic resonance imaging and electrophysiological changes during long-term follow-up.

KEY WORDS: Activities of daily living, Axon regeneration, Human, Magnetic resonance imaging, Mesenchymal stem cells, Spinal cord injury

간경변 환자 11명을 대상으로 자가유래 중간엽 줄기세포를 투여한 후 4개월에서 6개월 간격으로 예후를 관찰한 결과, 간의 섬유화 정도를 나타내는 여러 가지 지표검사에서 6명의 환자가 조직학적 호전을 보였으며, 간의 활동성 정도를 나타내는 검사에서는 10명의 환자의 상태가 호전된 것을 확인.

Liver INTERNATIONAL

OFFICIAL JOURNAL OF THE INTERNATIONAL ASSOCIATION FOR THE STUDY OF THE LIVER

Liver International ISSN 1478-3223

CIRRHOSIS AND LIVER FAILURE

Histological improvement following administration of autologous bone marrow-derived mesenchymal stem cells for alcoholic cirrhosis: a pilot study

Yoon Ok Jang^{1,2*}, Young Ju Kim^{3*}, Soon Koo Baik^{1,2}, Moon Young Kim^{1,2}, Young Woo Eom², Mee Yon Cho⁴, Hong Jun Park¹, So Yeon Park¹, Bo Ra Kim¹, Jae Woo Kim¹, Hyun Soo Kim¹, Sang Ok Kwon¹, Eun Hee Choi⁵ and Yong Man Kim⁶

1 Department of Internal Medicine, Yonsei University Wonju College of Medicine, Wonju, Korea

2 Department of Cell Therapy and Tissue Engineering, Yonsei University Wonju College of Medicine, Wonju, Korea

3 Department of Radiology, Yonsei University Wonju College of Medicine, Wonju, Korea

4 Department of Pathology, Yonsei University Wonju College of Medicine, Wonju, Korea

5 Department of medical statistics, Yonsei University Wonju College of Medicine, Wonju, Korea

6 FCB-Pharmicell Co., Ltd., Sungnam, Korea

Keywords

bone marrow-derived mesenchymal stem cell – cirrhosis – hepatic fibrosis – liver function – portal hypertension

Abbreviations

AC, alcoholic cirrhosis; ALT, alanine aminotransferase; AST, aspartate aminotransferase; BM, bone marrow; BM-MSCs, bone marrow-derived mesenchymal stem cells; collagen-1, type 1 collagen; GAPDH, glyceraldehyde-3-phosphate dehydrogenase; H&E, hematoxylin and eosin; MELD, model for end-stage liver disease; MTC, masson's trichrome; γ GT, gamma glutamyl transferase; SD, standard deviation; TGF- β 1, transforming growth factor-beta 1; α -SMA, α -Smooth muscle actin.

Correspondence

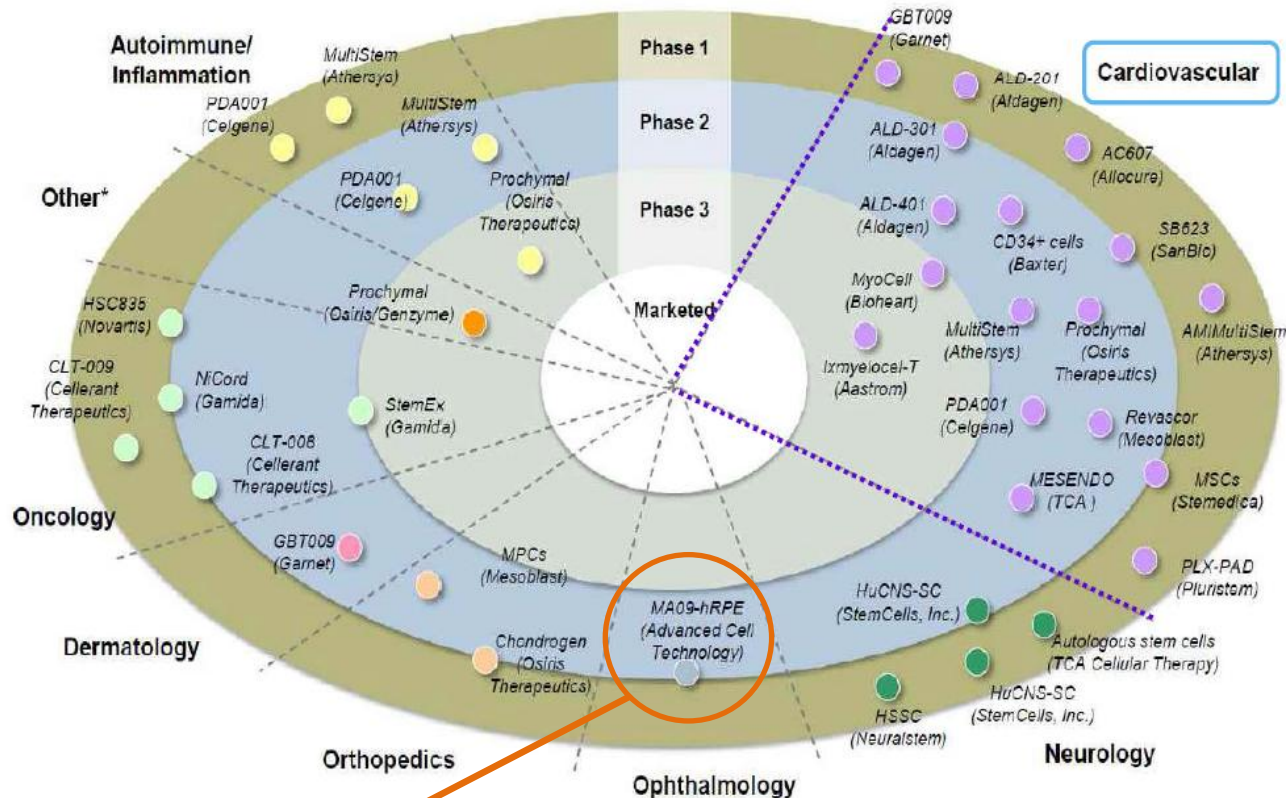
Professor Soon Koo Baik, Department of Internal Medicine, Yonsei University, Wonju College of Medicine, 162, Ilisan-dong, Wonju, Korea

Abstract

Background: In experimental models, bone marrow-derived mesenchymal stem cells (BM-MSCs) have the capacity to differentiate into hepatocytes and exhibit antifibrotic effects. However, there have been no studies in humans with alcoholic cirrhosis. **Aim:** The aim of this study was to elucidate the antifibrotic effect of BM-MSCs in patients with alcoholic cirrhosis, as a phase II clinical trial. **Methods:** Twelve patients (11 males, 1 female) with baseline biopsy-proven alcoholic cirrhosis who had been alcohol free for at least 6 months were enrolled. BM-MSCs were isolated from each patient's BM and amplified for 1 month, and 5×10^7 cells were then injected twice, at weeks 4 and 8, through the hepatic artery. One patient was withdrawn because of ingestion of alcohol. Finally, 11 patients completed the follow-up biopsy and laboratory tests at 12 weeks after the second injection. The primary outcome was improvement in the patients' histological features. **Results:** According to the Laennec fibrosis system, histological improvement was observed in 6 of 11 patients (54.5%). The Child-Pugh score improved in ten patients (90.9%) and the levels of transforming growth factor- β 1, type 1 collagen and α -smooth muscle actin significantly decreased (as assessed by real-time reverse transcriptase polymerase chain reaction) after BM-MSCs therapy ($P < 0.05$). No significant complications or side effects were observed during this study. **Conclusions:** Bone marrow-derived mesenchymal stem cells therapy in alcoholic cirrhosis induces a histological and quantitative improvement of hepatic fibrosis.

4. 미국 줄기세포치료제 임상현황

미국 줄기세포치료제 임상현황 중 배아줄기세포 기반의 치료제는 Advanced cell Technology 사의 MA09-hRPE(안과치료제) 1종이며, 나머지 35종의 임상중인 줄기세포치료제는 성체줄기세포 기반임. 아직 임상단계에 진입한 만능유도줄기세포 기반의 줄기세포치료제는 없음.



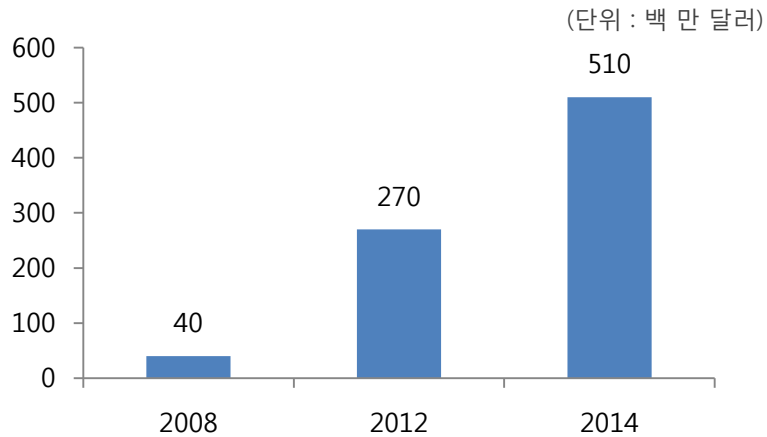
배아줄기세포기반

(자료 : 'US Stem Cell Therapeutics Market' Frost & Sullivan 2012)

5. 줄기세포 시장 자료

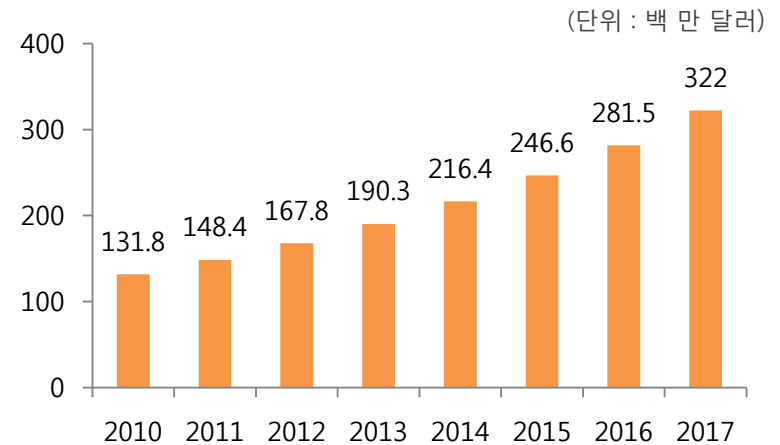
Appendix

세계 줄기세포 시장규모 전망



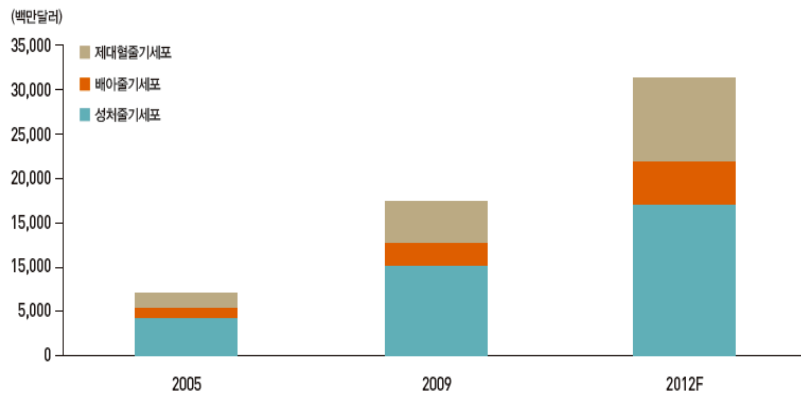
자료 : GBI Rearch 'Stem Cell Research Market to 2017'

유럽 줄기세포 시장규모 전망



자료 : Frost & Sullivan 'Strategic of European Stem Cell Research Tools Market'

줄기세포 분야별 세계시장 현황



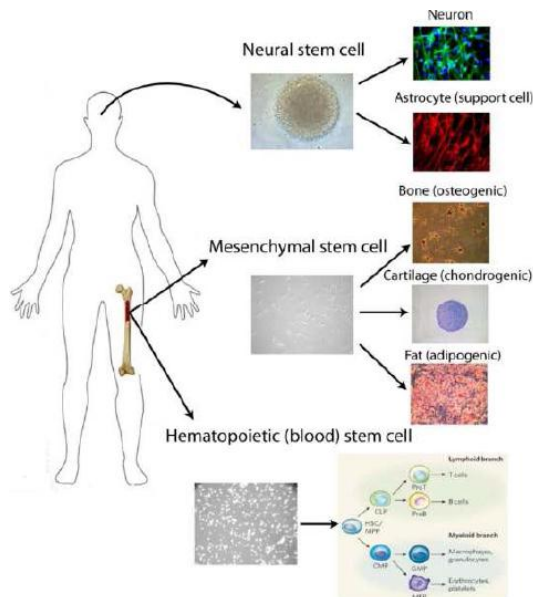
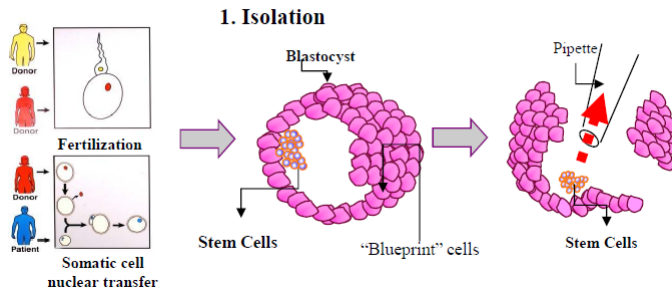
자료 : Research Impact Technologies

- 전세계 줄기세포 시장은 초기 단계로 매년 CAGR 52.2%의 높은 성장세가 전망
- 분야별로는 성체줄기세포 시장과 연구 논문이 가장 집중되어 있으며, 배아줄기세포는 윤리논란 문제 등으로 인해 연구논문 수도 줄어들고 있는 상황
- 새롭게 iPS(만능줄기세포) 분야의 연구가 활발하게 진행되고 있으나, 상업화 시점까지는 상당한 시간이 소요될 것으로 전망

6. 줄기세포치료제 설명

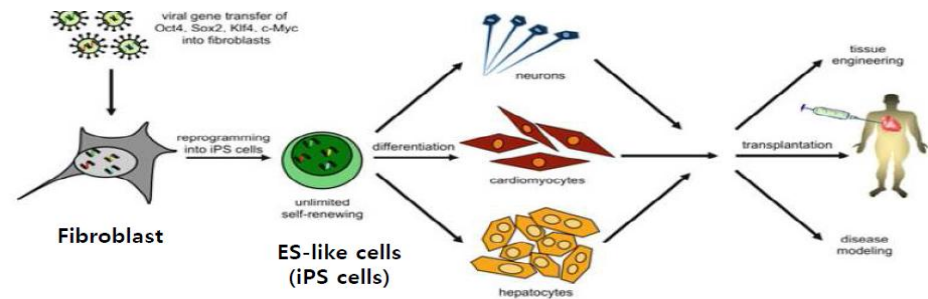
줄기세포(Stem cell)란?

Stem은 줄기라는 뜻이며, 인체의 모든 세포나 조직을 만들어 내는 기본, 즉 근간이 되는 세포가 되기 때문에 줄기세포라 명칭



배아줄기세포 (Embryonic stem cell) : 배아줄기세포는 배아의 발생과정에서 추출한 세포로 모든 조직의 세포로 분화할 수 있는 능력을 지닌 세포. 수정란은 세포분열을 통해 배반포를 형성하는데 그 안쪽에 내세포괴라는 세포 덩어리가 있어 이것이 배아를 형성. 이 내세포괴는 세포를 배반포로부터 분리하여 배양하면 분화는 일어나지 않지만 분화 능력은 지니고 있어 배아줄기세포라 함

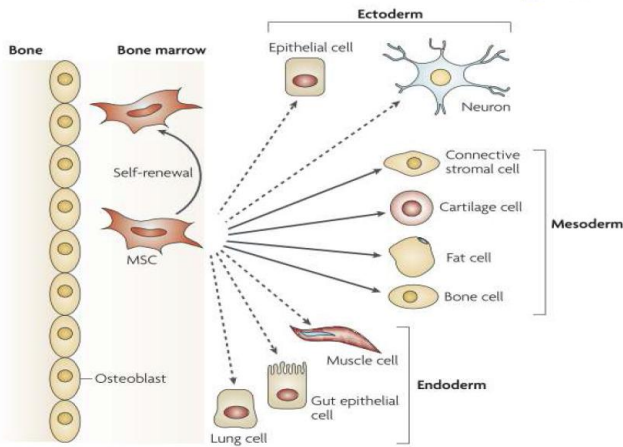
성체줄기세포 (Adult stem cell) : 외부의 충격이나 노화 등으로 죽은 세포는 그 기능을 계속해 나갈 새로운 세포가 생겨야 하는데, 이러한 새로운 세포를 공급하는 것이 성체줄기세포. 유래에 따라 신경/중간엽/제대혈 줄기세포로 분류



유도만능줄기세포 (induced Pluripotent stem cell) : 성숙한 체세포에 줄기세포능 유지와 관련된 유전자를 주입해 배아줄기세포와 유사한 세포 생성 초기의 만능세포 단계로 되돌아간 세포(iPS)로 '역분화줄기세포'라고도 함

6. 줄기세포치료제 설명

중간엽줄기세포(Mesenchymal Stem Cells : MSC) 를 이용한 줄기세포치료제 : Cellgram-AMI 세계 최초의 줄기세포치료제이며 환자 본인의 골수에서 채취한 중간엽 줄기세포 이용



시판중인 줄기세포치료제

	Cellgram-AMI	카티스탬	큐피스탬
제조사	파미셀	메디포스트	안트로젠
방식	자가골수유래 중간엽줄기세포	동종 제대혈유래 중간엽줄기세포	자가지방유래 중간엽줄기세포
효능	흉통 발현후 72시간 이내에 관상동맥성형술을 시행 재관류된 급성심근경색 환 자의 좌심실구혈률 개선	퇴행성 혹은 반복적인 외상 으로 인한 골관절염환자의 무릎연골결손 치료	크론병으로 인한 누공 개선
시술방법	관상동맥내 주입	관절부위 절개하여 시술	누공 부위 세척 봉합 주사

줄기세포 기원별 치료제 개발동향

배아줄기세포	줄기세포 연구 초창기에 많은 연구가 진행되었으나 윤리 및 안전성 문제로 인해 연구진행이 부진하다, 최근들어 연구가 재진행되는 상황
성체줄기세포	가장 많은 연구가 진행되고 있는 분야이며 특히 중간엽줄기세포를 통한 개발이 가장 활발하며 국내에서 세계 최초의 관련 치료제를 개발
만능유도줄기세포	최근 부각되고 있는 방법으로 배아줄기세포의 윤리문제를 해결 그러나 상업화까지는 상당한 시간이 필요할 것으로 전망