

오스코텍 세비도플레넵 기술이전 설명회

2026. 06. 04

Oscotec-Agios Global License Agreement

- 오스코텍, 아지오스와 세비도플레닙 개발 및 상용화를 위한 글로벌 기술이전 계약 체결
 - 선금금(upfront) 2천5백만 달러 (약 375억원)
 - 총 마일스톤 6억4천만 달러 (약 9천6백억원)
 - 단계별 로열티 (높은 한 자릿수에서 십대 중반까지)
- 아지오스, 세비도플레닙 개발 지속
 - ITP를 중심으로 임상 3상 연구
 - 적응증 확장을 위한 개념 증명 임상 2상 연구
- 오스코텍, 진행 중인 생물학적 동등성 임상을 완료하고, ITP에 대한 연구자 주도 임상 시험 또한 지원
- 오스코텍, 2016년 계약에 따라 모든 수익의 25%를 제노스코에 분배

Agios Pharmaceuticals



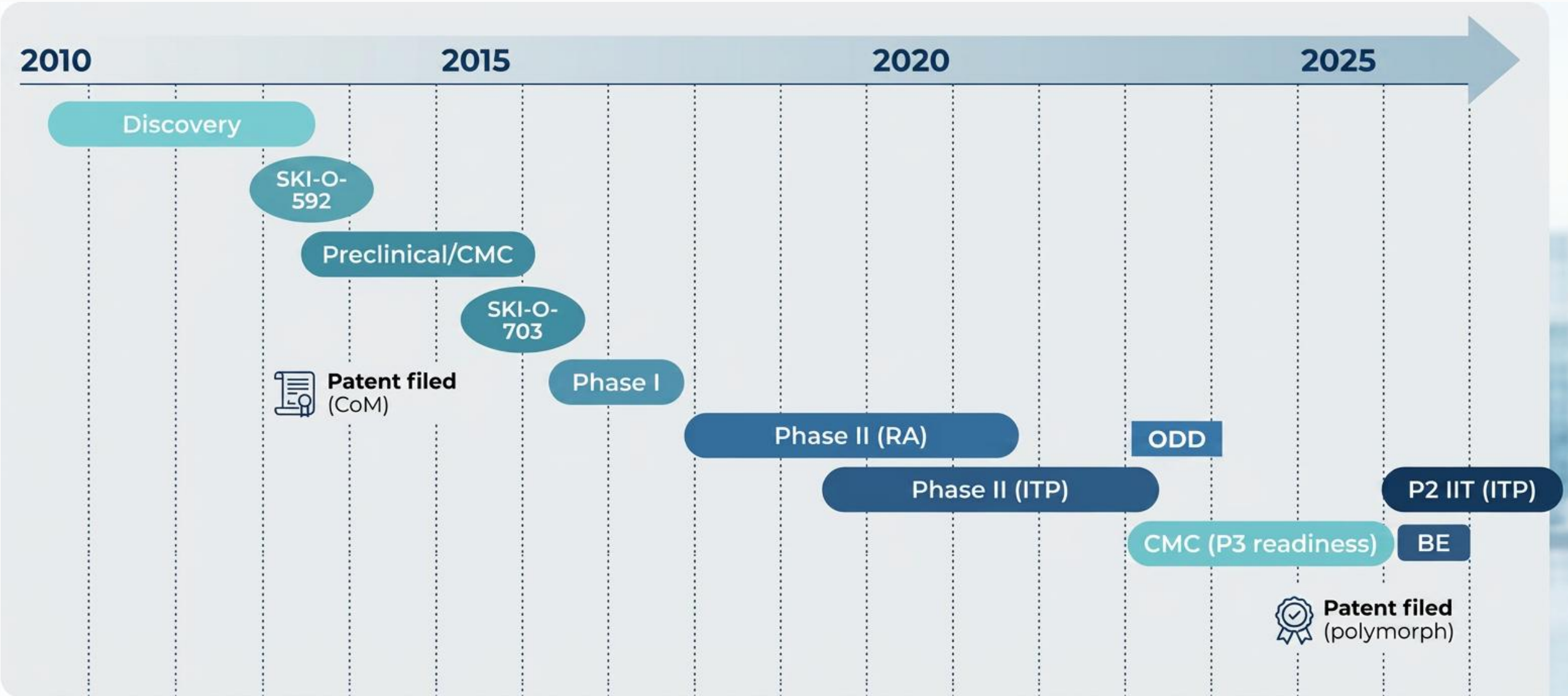
- 미국 매사추세츠주 케임브리지에서 설립 (2008)
- 나스닥 상장 (2013)
- AML 치료제로 IDHIFA®의 FDA 승인 (enasidenib, 2017)
- AML 치료제로 TIBSOVO®의 FDA 승인 (ivosidenib, 2018)
- 종양학 사업부문을 20억 달러에 프랑스 제약사 Servier에 매각(2021년)
- PKD(2022) 및 지중해성빈혈(2025)에 대한 PYRUKIND®/AQVESME® (mitapivat)의 승인 및 상용화; SCD에서 임상 3상 진행 중
- **Discovery** 단계에서부터 상업화까지 희귀 혈액 질환에 대한 집중적인 전문 지식을 보유한 기업



PKD = Pyruvate Kinase Deficiency; SCD = Sickle Cell Disease

Confidential

Cevidoplenib Development History



CMC = Chemistry Manufacturing and Control; CoM = Composition of Matter; RA = Rheumatoid Arthritis, ITP = Immune Thrombocytopenia; IIT = Investigator-Initiated Trial; BE = Bioequivalence

Cevidoplenib Summary

- 강력하고 선택적인 **SYK** 억제제
 - 다수 임상 시험을 통해 안전성 및 내약성을 확인
 - 임상 2상에서 '초기' RA 환자의 **MoA** 정렬 하위 집합에 대한 효능 확인
 - 새로운 결정다형성 형태를 통해 특허 수명 연장 (2025년 특허출원)
- 신속한 허가 및 시장 진입 가능; 면역혈소판감소증 (ITP)
 - 희귀의약품 지정
 - 임상 2상 (2차)에서 효능과 안전성 입증; 임상 3상 준비 완료
 - 1차 라인으로의 잠재적 확장 가능 (IIT 진행 중)
- 무한한 적응증 확장 가능성; '제품 내 파이프라인'
 - 류마티스 관절염('초기 RA'에 대한 정밀 면역학) ← 임상 2a상 데이터
 - ITP와 유사한 따뜻한 자가면역 용혈성 빈혈(wAIHA) ← ITP와 유사한 기전
 - 만성 이식편대숙주질환(cGVHD), 루푸스 신염 ← 연구자 제안
 - 기타 AbMR, AAV, APS 등

Phase 2 secondary endpoints show clinically meaningful platelet responses aligned with registrational standards

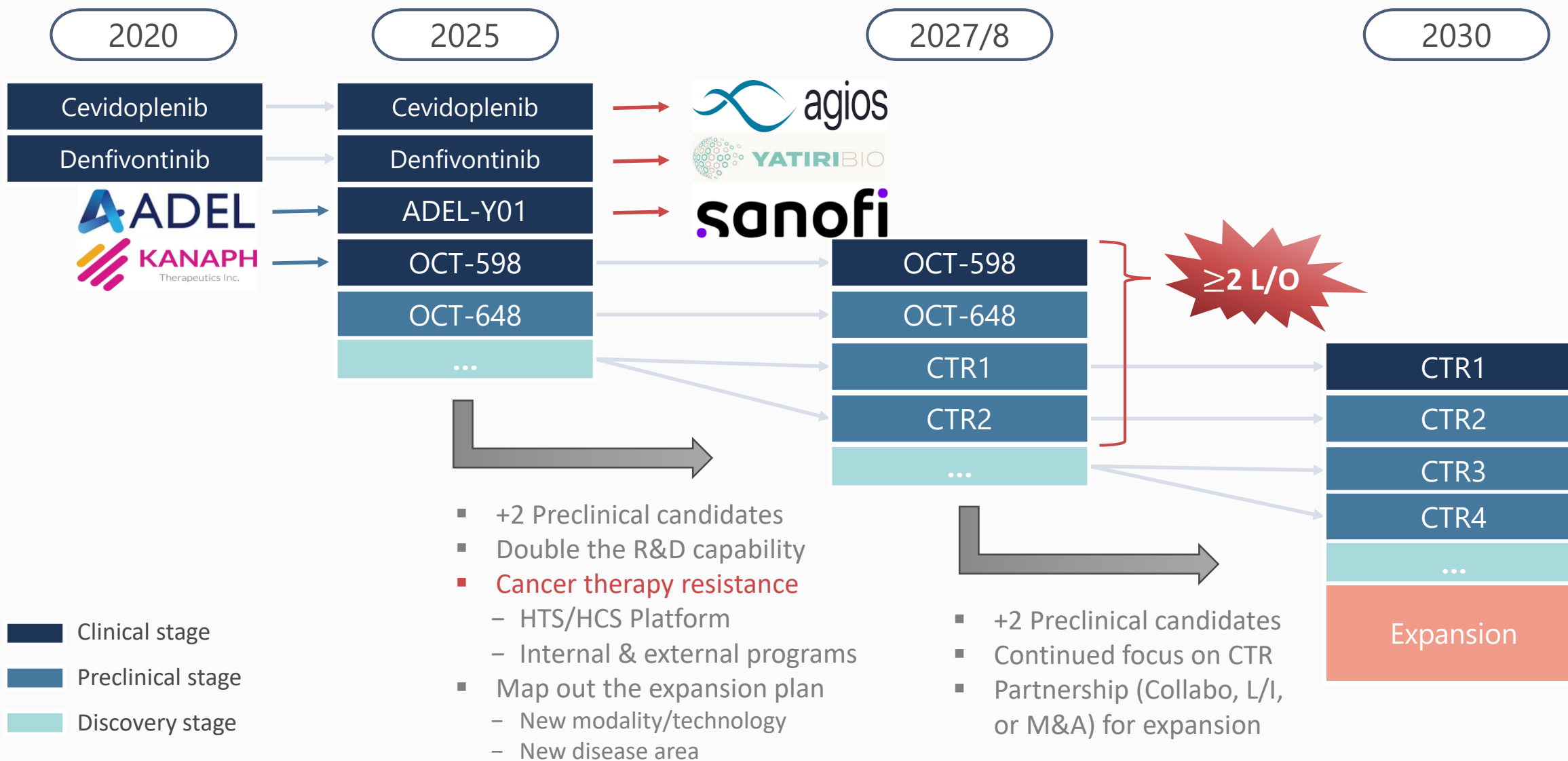
		Cevidoplenib (400mg; N = 22)	Placebo (N = 12)	2-sided P-value	
Primary endpoint	PLT $\geq 30,000/\mu\text{L}$ AND AVG PLT $\geq 2\times$ baseline at any visit during 12-wk treatment period ¹	63.6%	33.3%	0.151	Primary endpoint limited assessment of benefit - Does not measure durability of PLT response - Response dependent on baseline PLT level - Not aligned with ITP regulatory precedent
Key secondary endpoint	≥ 2 consecutive PLT $\geq 30,000/\mu\text{L}$	50.0%	8.3%	0.015 ²	
Other secondary endpoints	PLT $\geq 50,000/\mu\text{L}$ in ≥ 4 of the last 6 visits	27.3%	0%	-	Secondary endpoints evaluated durability - Repeated PLT responses over time - Endpoints aligned with ITP regulatory precedent
	PLT $\geq 50,000/\mu\text{L}$ in ≥ 4 of the last 8 visits	36.4%	0%	-	

Phase 2 results show clinically meaningful, durable platelet responses

1. Without the use of rescue medications. 2. Nominal p-value. AVG = Average; PLT = platelet; ITP = Immune Thrombocytopenia.

“임상2상 1차 지표는 미충족이었으나, 등록임상 기준에 더 근접한 2차 지표에서 내구성 있는 혈소판 반응(durable platelet response)이 확인됨”

향후 R&D 전략; Roadmap to 2030





감사합니다