

Investor Relations 2023

The Best **Target** The Best **Chemical**



Disclaimer

본 자료는 제안된 IPO공모와 관련하여 기관투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보 제공을 목적으로 주식회사 파로스아이바이오(이하 "회사")에 의해 작성되었습니다.

본 자료에 포함된 "예측정보"는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '기대', '(E)' 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래 실적은 "예측정보"에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다.

또한, 향후 전망은 Presentation 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며, 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로, 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용과 관련하여 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임직원들은 과실 및 기타의 경우 포함하여 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. 본 문서는 주식의 모집 또는 매출, 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.

주식 매입과 관련된 모든 투자 결정은 오직 금융감독원에 제출한 증권신고서 또는 투자설명서를 통해 제공되는 정보만을 바탕으로 내려져야 할 것입니다.

본 자료는 비영리 목적으로 내용 변경 없이 사용이 가능하고(단, 출처표시 필수), 회사의 사전 승인 없이 내용이 변경된 자료의 무단 배포 및 복제는 법적인 제재를 받을 수 있음을 유념해 주시기 바랍니다.

Table of Contents

Prologue

Chapter 1
Pipeline

Chapter 2
Strategy

Chapter 3
Introduction

Chapter 4
Investment Highlights

Appendix



Prologue

- 01. 글로벌 제약사의 AI 활용 및 M&A 확대
 - 02. AI 기반 글로벌 신약 개발 기업 현황
 - 03. 희귀·난치성 질환 치료제 시장의 특성
 - 04. 급성장하는 희귀·난치성 질환 치료제 시장
- Corporate Identity



01. 글로벌 제약사의 AI 활용 및 M&A 확대

글로벌 제약사의 AI 및 희귀의약품 투자 확대 # Nichebuster

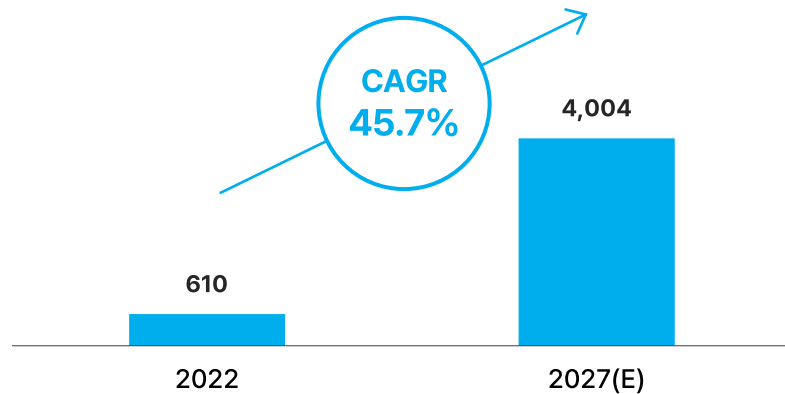
AI 신약 개발&투자 현황

글로벌 바이오텍 AI 파트너십 현황

NOVARTIS	Roche	sanofi
2021	2022	2022
마이크로소프트와 신약 개발 기간 단축을 위한 AI기술 개발	美, AI업체 리커전과 향후 10년간 최대 40개 신약 발굴 계약 체결	英, AI신약개발 기업 엑스사이언티아와 전략적 제휴

AI 기반 신약 개발 시장 규모*

단위: \$M



* 한국혁신의약품컨소시엄(KIMCo) AI 신약 개발 보고서(2022)

니치버스터
신약 개발
시장 급성장

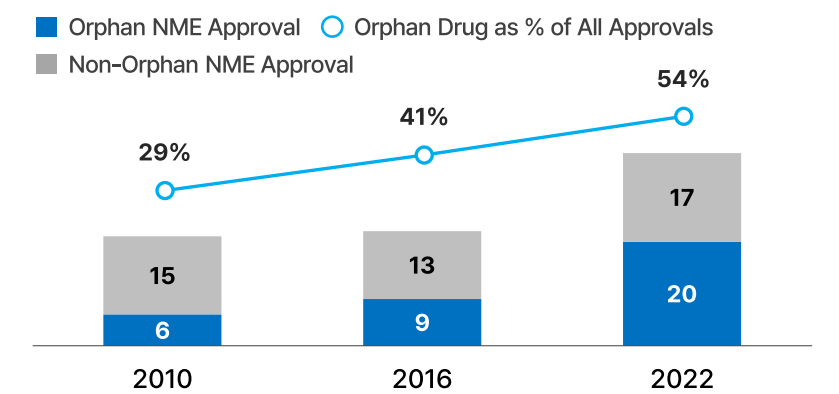
희귀·난치성 치료제 개발&투자 현황

글로벌 바이오텍 M&A 사례

AstraZeneca	Pfizer	AMGEN
2021	2022	2022
Alexion 인수 (390억 달러)	Biohaven 인수 (116억 달러)	HORIZON 인수 (278억 달러)

연도별 희귀의약품 승인 건수*

단위: 건, %



* FDA Center for Drug Evaluation & Research(2023)

02. AI 기반 글로벌 신약 개발 기업 현황

해외 논문에서 AI 기반의 글로벌 신약 개발 기업들과 비교 대상 기업으로 성장

글로벌 AI·바이오텍



Review

Advances of Artificial Intelligence in Anti-Cancer Drug Design: A Review of the Past Decade

Successful Cases Applying AI in Anti-Cancer Drug Design

Name	Company	Target./Function	Phase
PHI-101	Pharos iBio	FLT3 tyrosine kinase inhibitor	Phase 1
EXS-21546	Exscientia	A2aR	Phase 1
BPM31510	Berg	Protein bcl2 modulators	Phase 2
RLY-4008	Relay Therapeutics	FGFR	Phase 2
REC-2282	Recursion	HDAC	Phase 2/3

임상시험에 성공적으로 진입한 글로벌 항암제 사례로 소개

* 출처: Pharmaceuticals 2023, vol.16, 253

글로벌 AI 신약개발 기업 현황



기업 가치 1,809억 ~ 2,325억원

임상 단계 임상 1상(23년 내 완료 목표)



기업 가치 9,215억원

임상 단계 임상 1상

Berg

기업 가치 비상장

임상 단계 임상 2상



기업 가치 1조 9,178억원

임상 단계 임상 2상



기업 가치 1조 8,326억원

임상 단계 임상 2/3상

* 나스닥, 2023.06.27 종가 기준

03. 희귀·난치성 질환 치료제 시장의 특성

성장 잠재력이 높은 희귀·난치성 질환 치료제 시장 #블루오션

8.6%
치료제 O



91.4%
치료제 X

희귀·난치성 질환 시장 주요 수치 현황



4억 명

글로벌 희귀질환 환자 수



250여 개

매년 신규 희귀질환 발생 수



79%

글로벌 제약사의
신약개발 파이프라인 비중



44%

美 FDA 승인 신규의약품 비중

희귀·난치성 질환 치료제 시장의 높은 성장 잠재력

* 美 FDA, 2020 기준

04. 급성장하는 희귀·난치성 질환 치료제 시장

희귀·난치성 질환 치료제 시장의 급속한 성장

독점권

조기 상용화

AI

글로벌 희귀의약품 시장 규모

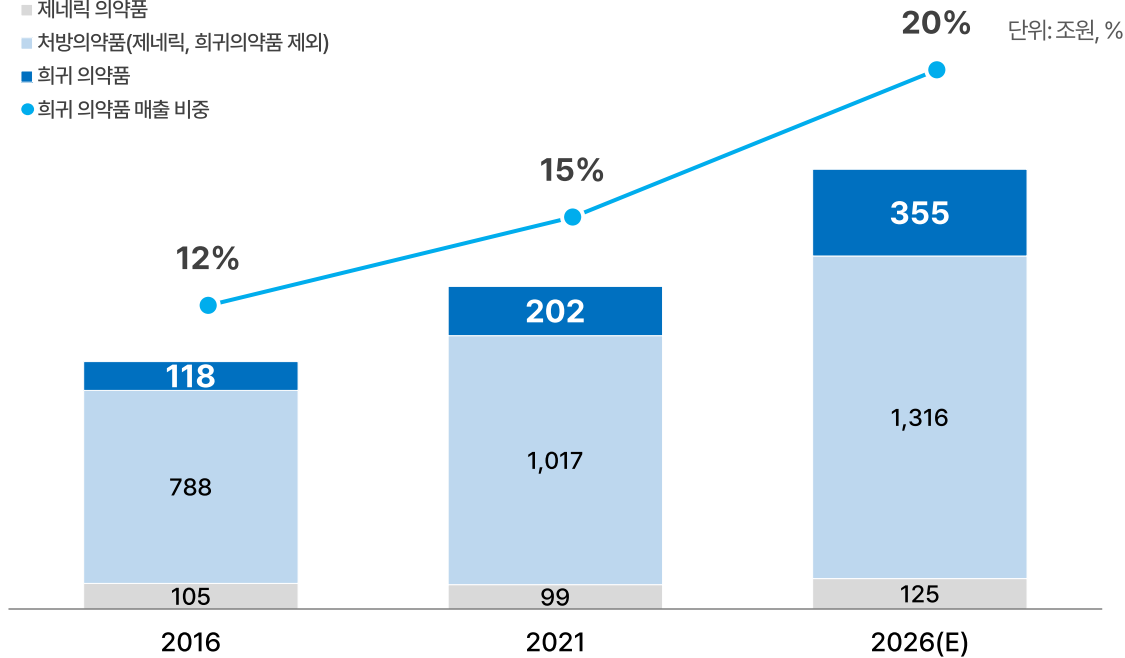
의약품별
시장 성장률 전망
(2016~2026(E))

희귀의약품
(+201%)

처방의약품
(+67%)

제네릭 의약품
(+19%)

- 제네릭 의약품
- 처방의약품(제네릭, 희귀의약품 제외)
- 희귀 의약품
- 희귀 의약품 매출 비중



* Evaluate Pharma, KIMCo 희귀의약품(Orphan drug) 시장 현황 및 전망

시장 성장 요인

1

신약 개발 시 독점적 수익성 확보

7년 독점권

- 안정적인 **Cash Cow** 확보 가능
- 독점적 판매 기반 **진입장벽** 구축

2

일반적인 신약 파이프라인 대비 빠른 승인 가능

조기 상용화

- 우선심사제도+가속승인 적용
- 임상 2상 이후 **조건부 판매 승인** 가능(美 FDA 기준)

3

AI 기술 고도화 등 신약개발 기술의 발전

AI

- 전통적 신약 개발 방식 대비 **비용 및 시간 절감 우수**
- 질병 원인 규명 및 치료제 개발 **성공 가능성 ↑**

Corporate Identity



AI 플랫폼 기반 희귀·난치성 질환 혁신신약 개발 전문 기업



희귀·난치성 질환 치료제 중심 핵심 파이프라인

- PHI-101 (급성골수성백혈병, 난소암 등)
- PHI-501 (흑색종, 대장암 등)
- PHI-201 (고형암)



신약 개발 성공률을 높이기 위한 차별화 전략

- 독자적 AI 플랫폼 Chemiverse 활용
- 희귀·난치성 질환 중심 파이프라인 구축
- 바이오마커 기반 신약 개발
- 오픈 이노베이션



효율적 R&D 구조

- AI 기반 국내 최고 R&D 역량
- 분야별 전문 인력 확보
- 다수 특허권 보유 및 정부과제 수행

Chemiverse Platform

LBD

Network

DTA

ADMET

ChemGEN

DeepRECOM

QM

VS

Search

Chapter 1.

Pipeline

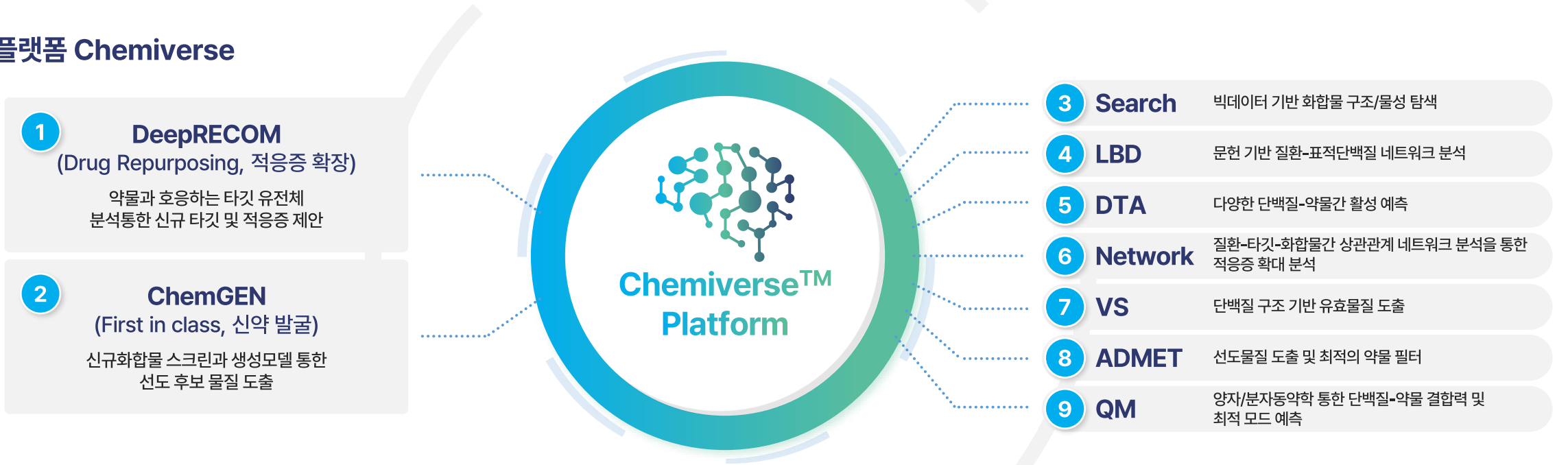
- 01. AI 플랫폼 Chemiverse의 모듈 및 강점
- 02. Pipeline Roadmap
- 03. PHI-101
- 04. PHI-501
- 05. PHI-201
- 06. 사업 계획



01. AI 플랫폼 Chemiverse의 모듈 및 강점

자체 개발 AI 신약개발 플랫폼으로 기초 연구 전체 영역에서 신약 파이프라인의 연구개발에 활용

독자적 AI 플랫폼 Chemiverse



PHI-101

활용 모듈 **6 8**

적용 내용 심장독성 예측을 통한 최종 후보물질 발굴 연구참여 및 네트워크 기반 적응증 확장 임상개발

PHI-501

활용 모듈 **1 5**

적용 내용 RAS-RAF 및 DDR 신호전달 체계 예측을 통한 적응증 확장

PHI-201

활용 모듈 **2 3 5 7 8 9**

적용 내용 선도화합물 약물설계, 최적화 및 합성&약리 기반 실험 진행

02. Pipeline Roadmap

희귀·난치성 질환 중심 전주기 파이프라인을 바탕으로 전략적 연구개발 및 사업화 지속

Pipeline Overview

구분	타겟	적응증	선도물질 도출	후보물질 도출	IND	임상1상	임상2상	임상3상
PHI-101 희귀의약품 FDA 지정	FLT3	급성골수성백혈병	글로벌 임상 1상			조건부 판매 승인 (2025)		
	CHK2	재발성 난소암	국내 임상 1상					
		삼중음성유방암	임상 1상 프로토콜					
		방사선 민감제	임상 1상 프로토콜					
PHI-501 희귀의약품 FDA 지정	Pan-RAF/ DDRs	악성 흑색종	전임상					
		난치성 대장암	전임상					
		삼중음성유방암	전임상					
PHI-201	KRAS	췌장암, 비소세포성폐암, 대장암	유신양행	공동연구 및 기술이전 계약 (2022)				
PHI-301	FAK	전이성 난소암						
PHI-401	FGFR	담관암		후보물질 도출				

Pipeline Highlights

1 조기 상용화

- PHI-101-AML 美 FDA 희귀의약품 지정 완료(2019)
- PHI-101-AML 조건부 판매 승인 목표(2025)

2 기술이전 및 공동연구

- PHI-201 선도물질 도출 단계 중 L/O
- 공동연구를 통한 물질 고도화 지속

3 희귀·난치성 질환 중심 파이프라인 구축

- 희귀의약품 지정: PHI-101-AML, PHI-501
- 난치성 질환 치료제: PHI-101-OC, PHI-201 등

희귀·난치성 질환 중심
파이프라인 확보 지속

03. PHI-101-AML

희귀

난치

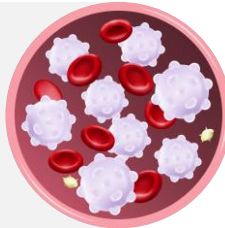
희귀약품 지정

Best in class

급성골수성백혈병의 높은 미충족 의료 수요를 극복한 Best-in-class 치료제

적응증 소개

- 개요** • 골수 또는 말초 혈액에 골수아세포가 20% 이상 차지하는 혈액암
- 주요인자** • 美 NCCN은 'FLT3 변이'를 중요 인자로 지목



급성골수성백혈병
(Acute Myeloid Leukemia)

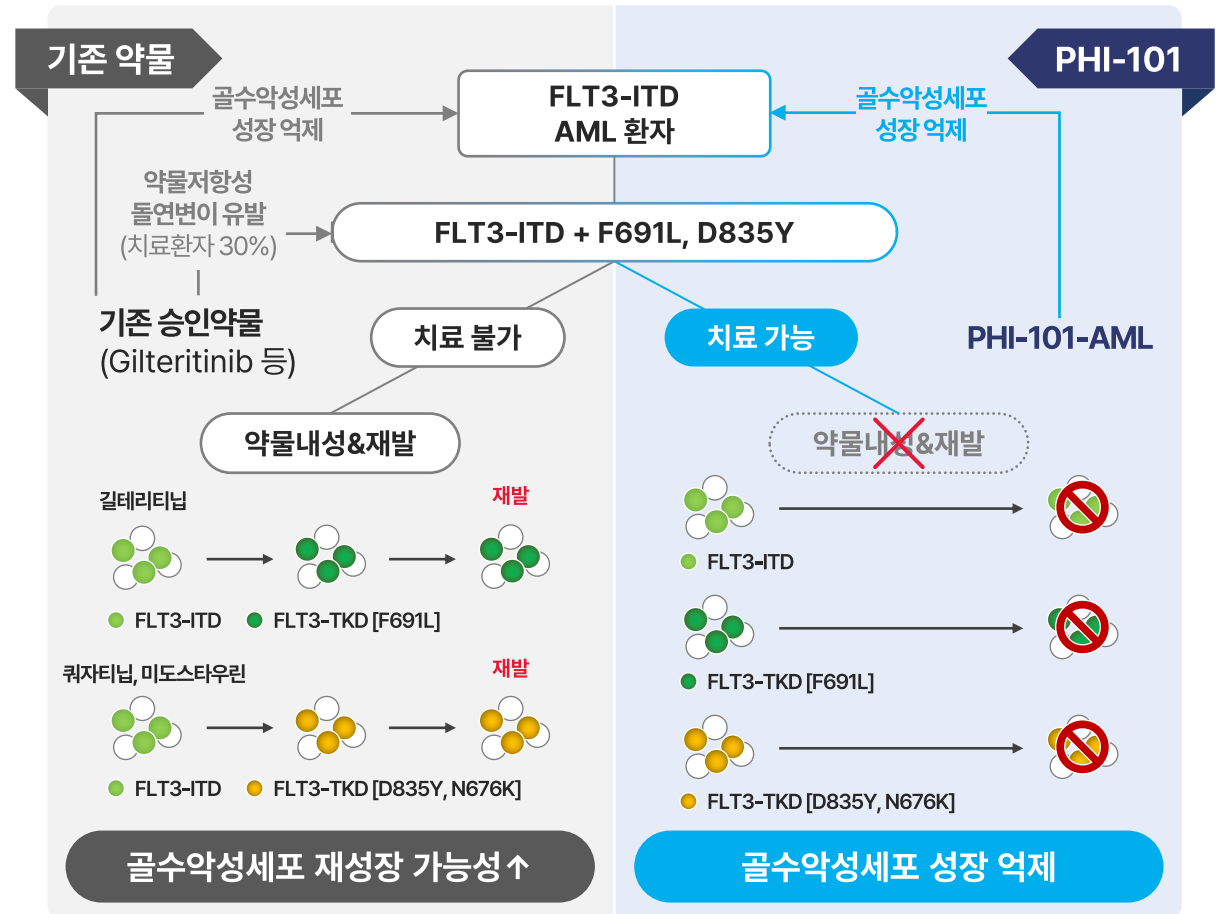
기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요

길테리티닙 (Gilteritinib)	개발 기업 (기업가치)	Astellas Pharma (니케이225, 35조 4,890억 원*)
	개발 단계	FLT3-ITD/D835 돌연변이 대상 제한적 FDA 허가
	특징	34% 반응률 (임상 3상)
	한계	30.5% 재발 (그 중 96%, 4주 이내)

- 기존 FLT3 저해제 단독 임상 시험에서 30~40% 재발
- FLT3-TKD의 돌연변이(D835, F691)로 인한 약물 내성 존재

* 2023.06.27 종가 기준

작용기전



03. PHI-101-AML

희귀

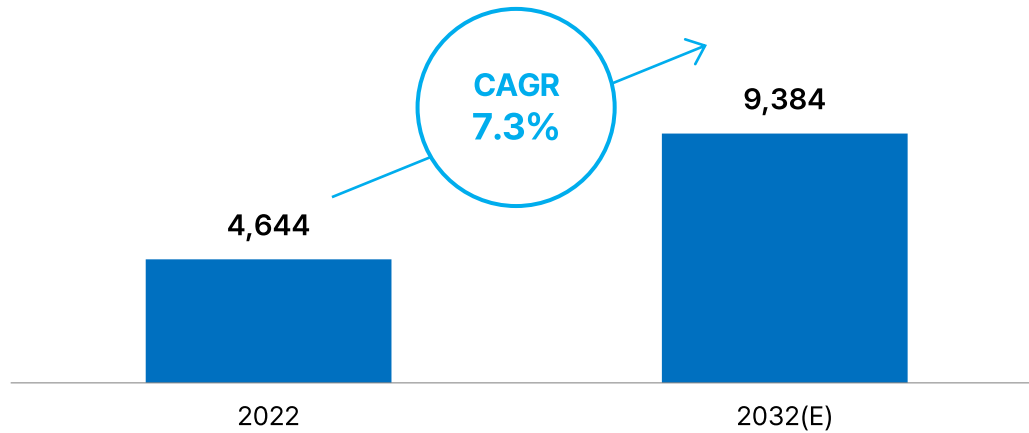
난치

희귀약품 지정

Best in class

차세대 FLT3 저해제, 급성골수성백혈병 표적치료제 시장 주도

글로벌 FLT3
저해제 시장 전망
(길테리티닙 등)

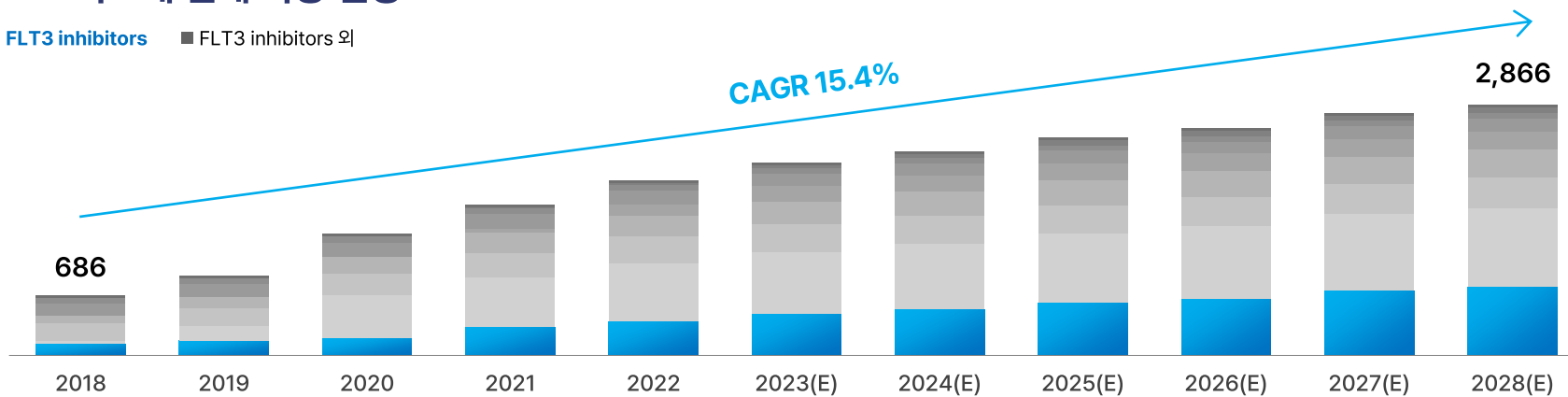


단위: 억 원

* 출처: Decision Research Group (2019), \$1 당 1,200원으로 환산

AML 치료제 전체 시장 전망

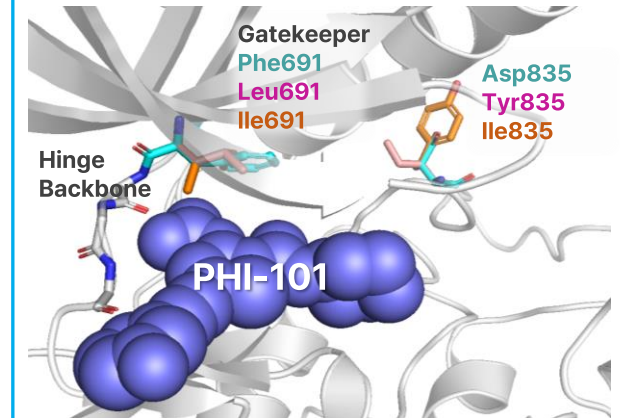
■ FLT3 inhibitors ■ FLT3 inhibitors 외



단위: \$M

* 출처: Decision Research Group (2019)

PHI-101-AML의 시장 선도 가능



FLT3-ITD+TKD(D835, F691 등)
저항성 돌연변이에 대한
유일한 직접 저해 작용기전 치료제

임상 1상에서
완전관해(CRI) 사례 확인

낮은 독성과
혈액 내 안정성



03. PHI-101-AML

희귀

난치

희귀의약품 지정

Best in class

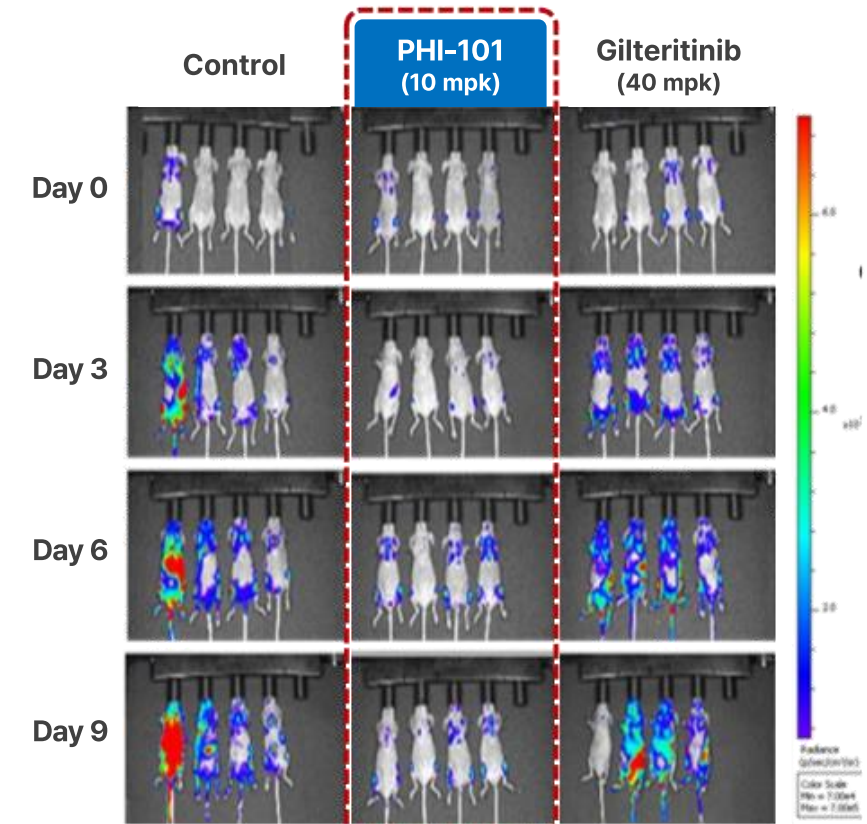
경쟁약물 대비 FLT3 약물 내성 돌연변이 암세포의 성장억제 효과 탁월

경쟁약물 대비 우수한 FLT3 변이세포 성장억제 효과

FLT3 (mutant type)	Ba/F3 cellular activity GI ₅₀ (nM)			
	PHI-101	길테리티닙	퀴자티닙	크레놀라닙
Control	2,400	482	>10,000	1,120
FLT3-TKD(D835Y)	2.3	15	11.8	4
FLT3-ITD	<2	2	0.7	<2
FLT3-ITD+TKD(F691L)	16	79	132	16
FLT3-ITD+TKD(F691I)	11	37	74	59
FLT3-ITD+TKD(D835Y)	3	-	30	-
FLT3-ITD+TKD(D835I)	0.63	1.54	56.9	2.88
FLT3-ITD+TKD(D835Y+F691L)	14	93	>10,000	-

특히 **FLT3-TKD 약물내성 돌연변이(F691L, D835Y)**를 가진 암세포의 경우, 경쟁약물 대비 PHI-101에 의한 **암세포성장 억제효과 2~10배 ↑**

승인약물 대비 우수한 종양 성장억제 효과



FLT3-ITD+TKD (D835Y+F691L)

03. PHI-101-AML

희귀

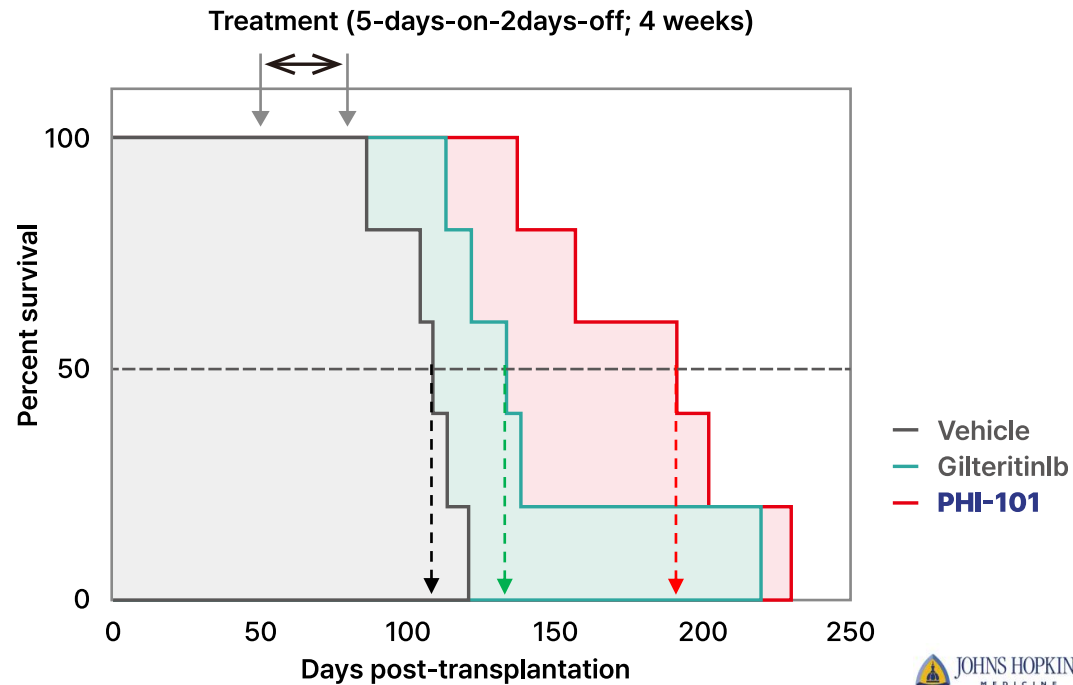
난치

희귀의약품 지정

Best in class

AML 환자 유래 암세포 이식(PDX) 마우스에서 기존 승인약물 대비 수명연장 효과 3배 이상 & 낮은 독성

PHI-101에 의한 PDX 마우스 수명연장 효과



(days)	PHI-101 (30 mpk)	길테리티닙 (30 mpk)
생명 연장효과	+83 3.3배 ↑	+25
평균 수명기간	191	133

PHI-101 무독성용량(NOEL)의 우수성

PHI-101

PHI-101 (4주)	무독성용량 (mpk/day)	독성 소견 장기
개	2.5	소화기관 뇌 조혈기관 비장 가슴샘
랫드	(M) 50.0 (F) 25.0	난소 조혈기관 비장 가슴샘

charles river

경쟁약물

길테리티닙 (4주)	무독성용량 (mpk/day)	독성 소견 장기
개	1.0	소화기관 면역계 조혈기관 눈 신장, 간 폐 눈물샘 비뇨기계

* NDA Multidisciplinary Review and Evaluation (2018) NDA 211349

03. PHI-101-AML

희귀

난치

희귀약품 지정

Best in class

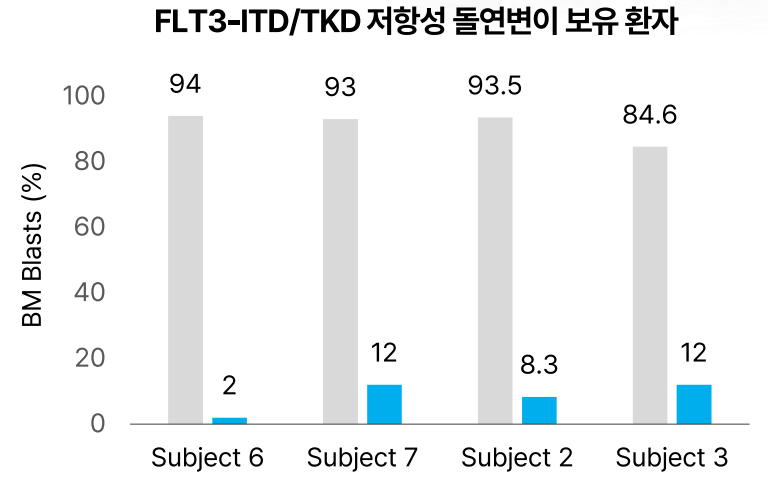
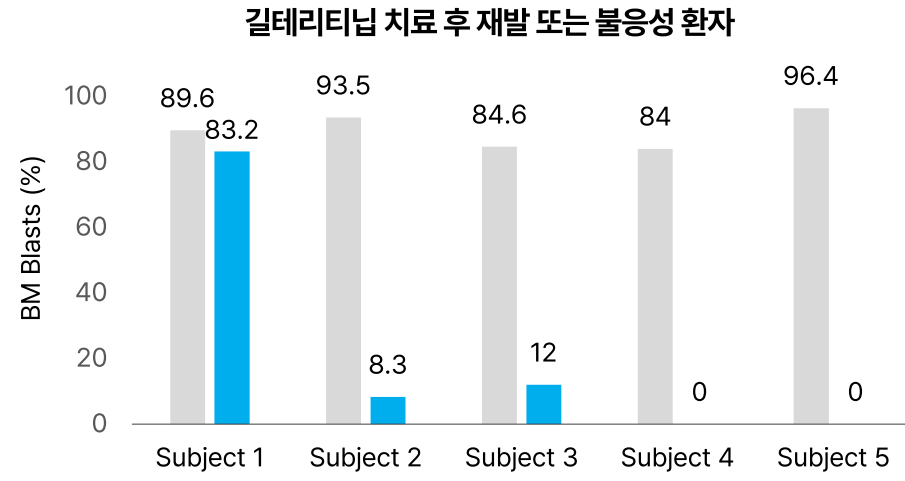
PHI-101-AML 다국적 임상 1상 (NCT04842370) 진행 중 : 재발/불응성 FLT3 돌연변이 AML 환자 대상 치료효과 우수



PHI-101-AML 임상 환자 특징

항목	Total (N=19)
나이 중간값 [세, 범위]	68 [22-81]
골수악성세포 중간값(%)	70 [7-96]
FLT3 돌연변이	야생형 5 (26%)
	ITD 10 (53%)
	ITD/TKD 4 (21%)
재발/불응성	재발성 13 (68%)
	불응성 6 (32%)
선행약물 처치 횟수 중간값[회, 범위]	3 [1, 6]
≤2	5 (26%)
3	8 (42%)
≥4	6 (32%)
FLT3 저해제 치료 선행 환자 (n, 비율)	11 (58%)
FLT3 저해제 치료 재발성	7 (37%)
FLT3 저해제 치료 불응성	4 (21%)

FLT3 약물내성 돌연변이 보유 재발/불응성 AML 환자 치료효과



#	Subject 1	Subject 2	Subject 3	Subject 4	Subject 5	Subject 6	Subject 7
FLT3 Mutation	(-)	ITD/TKD [D835E, D835Y]	ITD/TKD [Q580_R607dup, D835H]	ITD	ITD	ITD/TKD [N676K]	ITD/TKD [D835Y]
Prior FLT3i	길테리티닙 HM43239	길테리티닙	길테리티닙 HM43239 미도스타우린	길테리티닙	길테리티닙	HM43239	(-)
PHI-101	200mg	160 mg	160 mg	160 mg	160 mg	120 mg	120 mg
Other Mutation	DNMT3A	RUNX1 DNMT3A CEBPA JAK2	NA	NPM1 DNMT3A JAK2 KIT	NPM1 DNMT3A KMT2A	IDH1 DNMT3A TET2	RUNX1

* 美 혈액학회(ASH) 발표자료, 2022

03. PHI-101-OC

난치

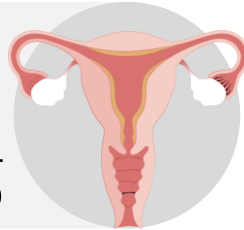
First in Class

케미버스를 활용한 적응증 확장으로 재발성 난소암 미충족 의료 수요를 해결하는 First-in-class CHK2 치료제

적응증 소개

- 개요**
 - 5년 생존율이 매우 낮은 여성암으로, 치료 후 85%가 재발
 - 재발성 난소암 환자의 80%는 치료제 부재
- 주요인자**
 - BRCA 변이 등 비정상적 세포손상복구 시스템이 중요인자로 보고

재발성 난소암
(Ovarian Cancer)



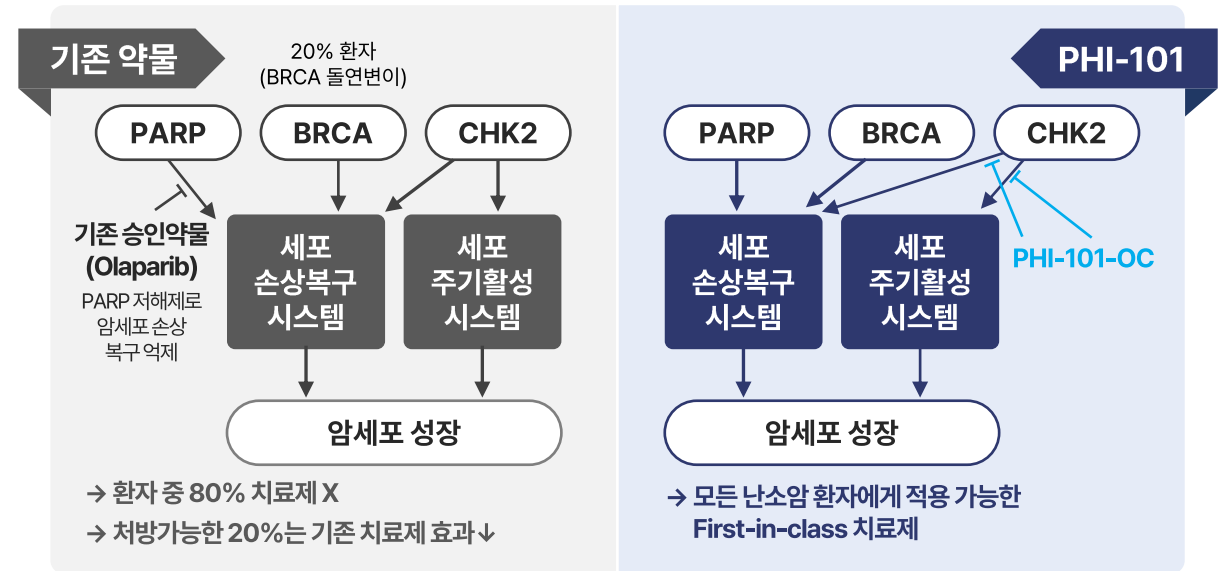
기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요

올라파립 (Olaparib)	개발 기업 (기업가치)	AstraZeneca & MSD 공동 개발 (나스닥, 289조 7,592억 원* & 다우존스, 373조 9,314억 원*)
	개발 단계	BRCA 돌연변이 난소암 환자 대상 치료제로 FDA 허가
	특징	PARP 저해제로서 암세포 손상복구를 억제
	한계	BRCA 돌연변이가 있는 10~18%의 환자에게만 적용가능

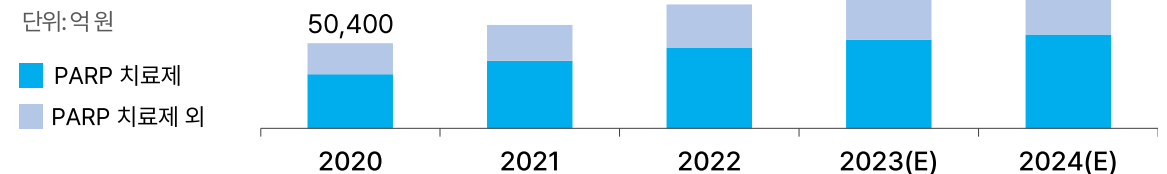
- ✔ 유일한 표적항암제인 올라파립은 10~18% 환자에게만 적용 가능
- ✔ 재발성 난소암에 대한 표적치료제 부재

* 2023.06.27 종가 기준

작용기전



글로벌 난소암 시장 규모



* DECISION RESOURCES GROUP(2020), Ovarian Cancer Disease Landscape & Forecast, Datamonitor Healthcare(2017), Ovarian Cancer-Forecast
* \$1 = 1,200원으로 환산

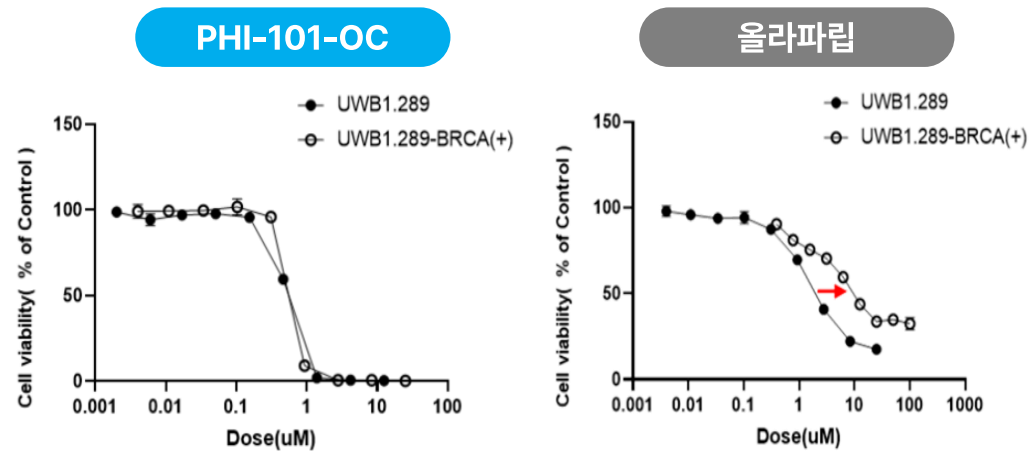
03. PHI-101-OC

난치

First in Class

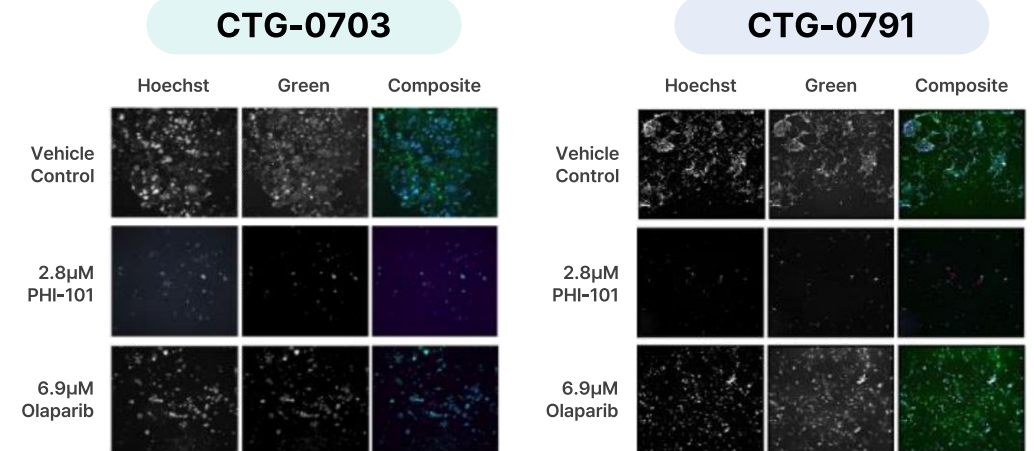
경쟁약물 대비 유전형과 무관하게 모든 난소암 세포에서 성장억제 효과 우수

경쟁물질과 BRCA 야생형 및 돌연변이형 항암효과 비교



난소암 세포주	PHI-101 IC50(μM)	올라파립 IC50(μM)
CAOV3	0.40	6.06
OVCAR3	1.48	2.17
SK-OV3	2.68	58.10
TOV112D	2.29	13.04
SNU251	0.86	59.16
UWB1.289	0.52	2.20
UWB1.289+wtBRCA	0.58	12.43

환자유래 난소암 모델에서 PHI-101-OC의 항암효과



		BRCA	P53	PHI-101 IC50(μM)	올라파립 IC50(μM)
BRCA 변이형 환자유래 난소암 세포	CTG-0703	BRCA1	MT	0.54	4.34
	CTG-0253	BRCA2	WT	1.11	1.96
	CTG-3226	BRCA1	WT	0.58	1.34
BRCA 야생형 환자유래 난소암 세포	CTG-0791	WT	MT	0.54	8.20
	CTG-0252	WT	MT	1.41	4.02
	CTG-0253	WT	WT	0.80	9.85

경쟁약물 대비 3~15배 우수한 항암효과 확인

03. PHI-101-OC

난치

First in Class

PHI-101-OC 국내 임상 1상 (NCT4678102) 진행 중 : 백금기반 치료제 재발/불응성 난소암 환자 대상 치료효과 우수



PHI-101-OC 임상 환자 특징

과거 항암치료 4번 이상의 극도 난치성 환자비율: **88%**

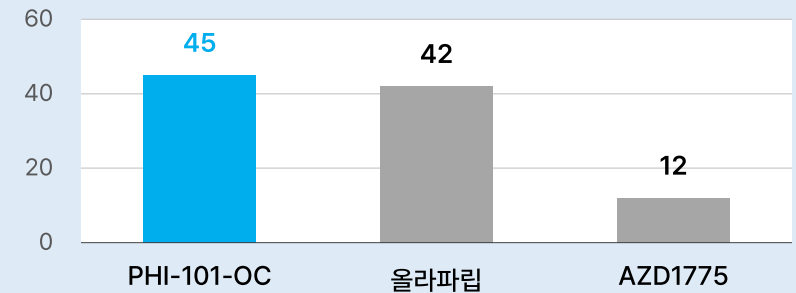
항목	Total (N=19)
나이 중간값 [세, 범위]	62 [50-81]
난소암 유병기간 중간값 [일, 범위]	1079 [762-3312]
PARP 저해제 선행 처치 환자 수 (n, %)	5 (26%)
Bevacizumab 선행 처치 환자 수 (n, %)	13 (68%)
선행약물 처치 횟수 중간값 [회, 범위]	5 [3-7]
	3 2 (11%)
	4 8 (42%)
	5 4 (21%)
	6 4 (21%)
	7 1 (5%)
백금기반 치료 선행 환자 (n, 비율)	19 (100%)
백금기반 치료 재발성	14 (74%)
백금기반 치료 불응성	5 (26%)

PHI-101-OC 임상 우수성

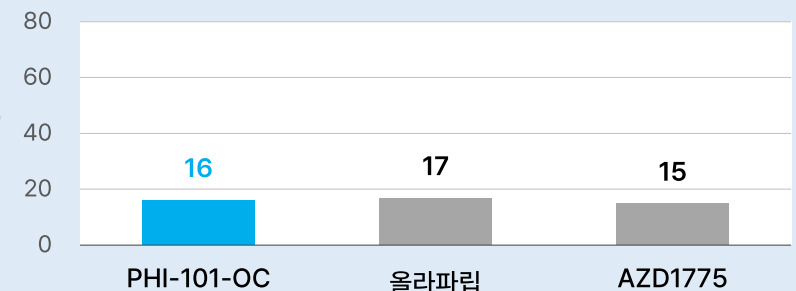
✔ 투약 편의성 경구투여 vs 정맥주사

✔ 높은 선택성 DNA 손상복구 신호전달 단백질 CHK2 에 대한 6.5배 높은 선택성

✔ 높은 치료효과
대조약물 대비 높은 질병관리율(%)



✔ 낮은 부작용
대조약물 대비 낮은 3단계 이상 부작용(%)



04. PHI-501

희귀



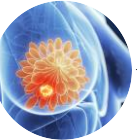



난치

희귀의약품 지정

First in Class

난치성 고형암에서 발생한 돌연변이를 타깃으로 하는 First-in-class 치료제, pan-RAF/DDRs 이중 표적 저해제

PHI-501 개요

Pharos iBio	악성 흑색종 	난치성 대장암 	삼중음성유방암 
적응증 개요	색소를 생성하는 피부 세포에서 시작되는 피부암	결장 또는 직장에서 발생하는 악성종양(선암)	유방암의 종류로, 세 가지의 호르몬 수용체(ER, PR, HER2) 부재로 발병
높은 미충족 의료 수요	악성 흑색종 기존 치료제 BRAF/MEK 저해제에 대한 약물 내성을 가진 재발환자 대상 치료 옵션 부재	BRAF 돌연변이 보유 대장암 환자 대상 기존 치료제의 약효 및 생존율 개선 효과 낮음	TNBC에 대한 표적 치료제 부재
환자 특징	흑색종 환자 중 약 45% 가 BRAF 돌연변이 약 25% 가 NRAS 돌연변이	대장암 환자 중 약 10% 가 BRAF 돌연변이 약 15% 가 NRAS 돌연변이 약 20% 가 KRAS 돌연변이	삼중음성유방암 환자 중 약 50% 가 RAS-RAF 활성화 양성
글로벌 시장 규모* (단위: 억 원)	 <p>13,335 (2020) 15,815 (2024E)</p>	 <p>7,360 (2020) 8,040 (2024E)</p>	 <p>14,060 (2020) 25,440 (2024E)</p>

* 흑색종 시장규모는 난치성 악성 흑색종 중 RAF 저해제 비중 약 23% 산정하여 계산, Malignant Melanoma(DRG, 2021), 2019년부터 2029년까지 CAGR 2.8%로 추정

* 글로벌 RAF 저해제의 경우 First-in-class 약물이므로 전체시장의 환자 인구 5% 비율로 추정해 대장암 시장규모 및 성장률 예상, Nature Reviews Drug Discovery 16, pages525-526(2017). Seminars in Cancer Biology 54 (2019) 29-39., 2016년부터 2026년까지 CAGR 2.2% 추정

* 유방암 전체시장의 TNBC 비율을 10%로 추정해 시장규모 및 성장률 예상, (Breast Cancer, Nature Reviews Drug Discovery 22 January 2021), CAGR 2.4%로 추정

* \$1 = 1,200원으로 환산

04. PHI-501

희귀

난치

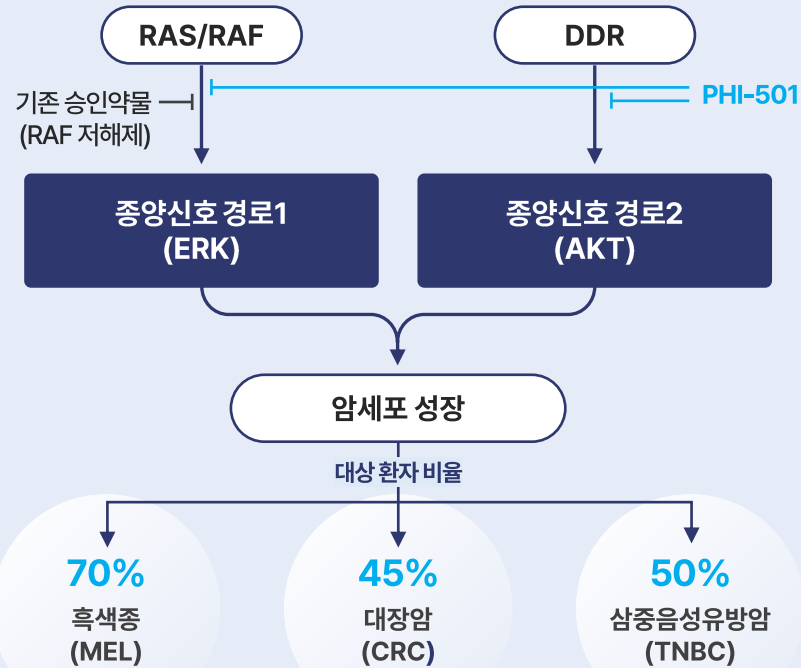
희귀의약품 지정

First in Class

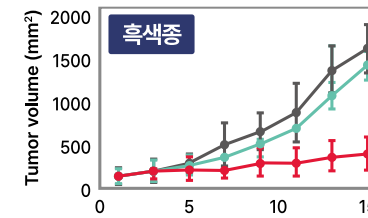
케미버스를 통해 적응증을 확장한 PHI-501은 기존 승인 약물 대비 반응을 및 내성 한계를 극복한 약물

작용기전_PHI-501

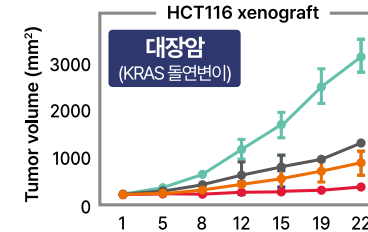
- 기존 치료제는 반응률↓ 또는 약물 내성 이슈 등의 한계 존재
- PHI-501은 RAF 및 DDR을 이중 저해해 **효과적 항암 효능 보유**



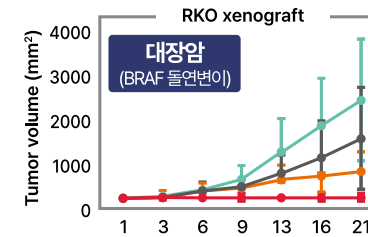
적응증별 경쟁약물 대비 종양억제 효과 검증



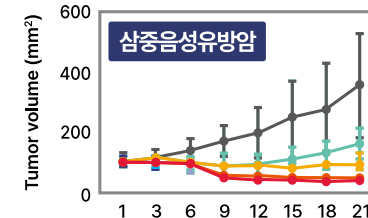
실험군	vehicle 대비%	TGI(%)
● vehicle	100.0	0.0
● Vemurafenib 20 mpk	87.7	12.3
● PHI-501 20 mpk	25.0	75.0



● vehicle	100.0	0.0
● PHI-501 30 mpk, QD	68.0	32.0
● PHI-501 30 mpk, BID	28.7	71.3
● Encorafenib 30 mpk, QD	245.1	-145.1



● vehicle	100.0	0.0
● PHI-501 30 mpk, QD	51.2	48.8
● PHI-501 30 mpk, BID	15.8	84.2
● Encorafenib 30 mpk, QD	157.5	-57.5



● vehicle	100.0	0.0
● Nintedanib 20 mpk	46.0	54.0
● PHI-501 20 mpk	25.0	75.0
● PHI-501 30 mpk	14.0	86.0
● PHI-501 40 mpk	13.3	86.7

05. PHI-201 난치 L/O

케미버스를 활용하여 도출한 PHI-201은 모든 KRAS 돌연변이를 치료할 수 있는 물질


적응증 소개

개요

- 폐에 생긴 악성 종양의 한 종류로 폐암의 85%를 차지

주요인자

- 'KRAS'가 약 30%로 암 발생 초기에 가장 높은 비율을 차지



비소세포성 폐암

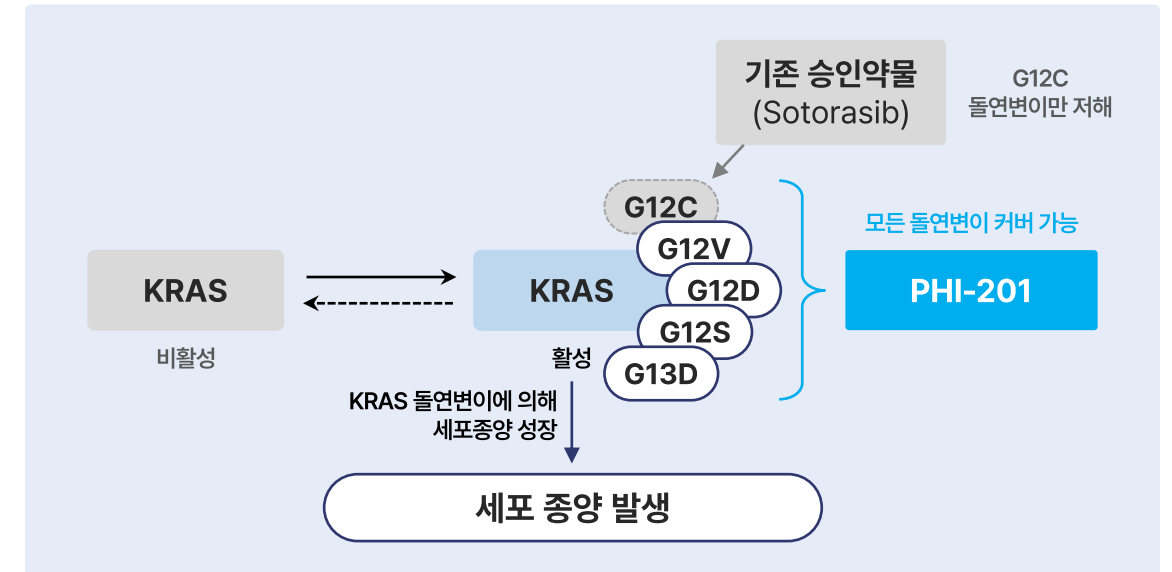
기존 치료제의 한계 및 높은 미충족 의료 수요

소토라십 (Sotorasib)	개발 기업 (기업가치)	Amgen (나스닥, 156조 4,872억 원*)
	개발 단계	G12C 돌연변이 환자에게만 적용 가능한 치료제로 FDA 허가
	특징	KRAS G12C 돌연변이 저해 약물
	한계	KRAS G12V, G12D, G13D 등의 환자에게 적용 가능한 치료제 부재

- ✓ KRAS 저해제 소토라십은 G12C 돌연변이 환자에게만 적용 가능
- ✓ G12C 외 KRAS 돌연변이 타깃 치료제 부재

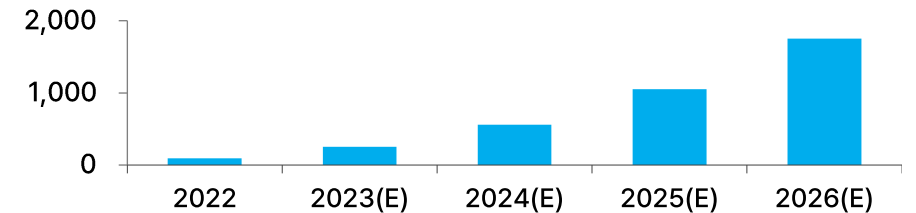
* 2023.06.27 증가 기준

작용기전



글로벌 KRAS 저해제 시장 규모

단위: \$M



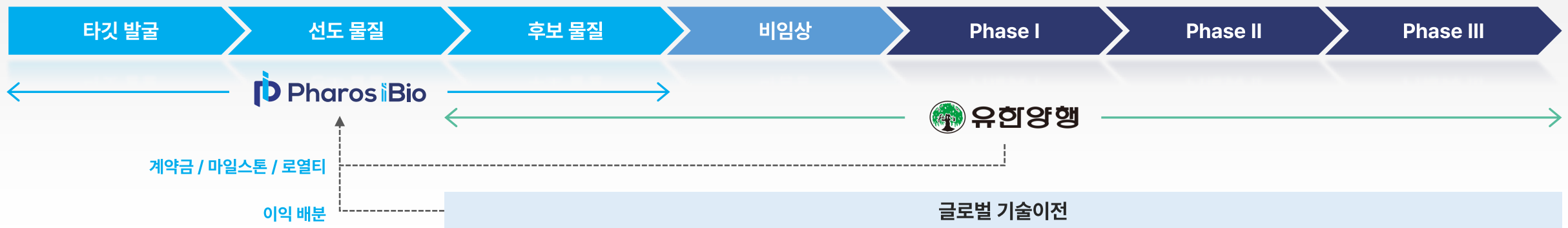
* 출처: EvaluatePharma, 2020

05. PHI-201 난치 L/O

신약 개발 초기 단계에서 국내 대형 제약사 대상 L/O를 통해 물질과 기술 우수성 입증



PHI-201 기술이전 모식도



06. 사업계획

초기 후보물질 1건 기술이전
3년 이내 상용화 및 기술이전 목표

파이프라인 개발현황
PHI-101
FDA 희귀질환 치료제 지정 승인
글로벌 임상 1상 IND 승인

파이프라인 계약 상대
대상권역
총 계약금액
개발현황
PHI-201
(주)유한양행
전세계
비공개
현재 선도물질 발굴 진행 중

2019

2022

2023

2024

2025

2026

2027

PHI-101 임상 1상 종료

PHI-101 조건부 품목허가 및 글로벌 기술이전

PHI-101 임상 2상 종료

지속적 파이프라인 창출

PHI-201 글로벌 기술이전
(유한양행 제3자 기술이전 시 수익 분배)

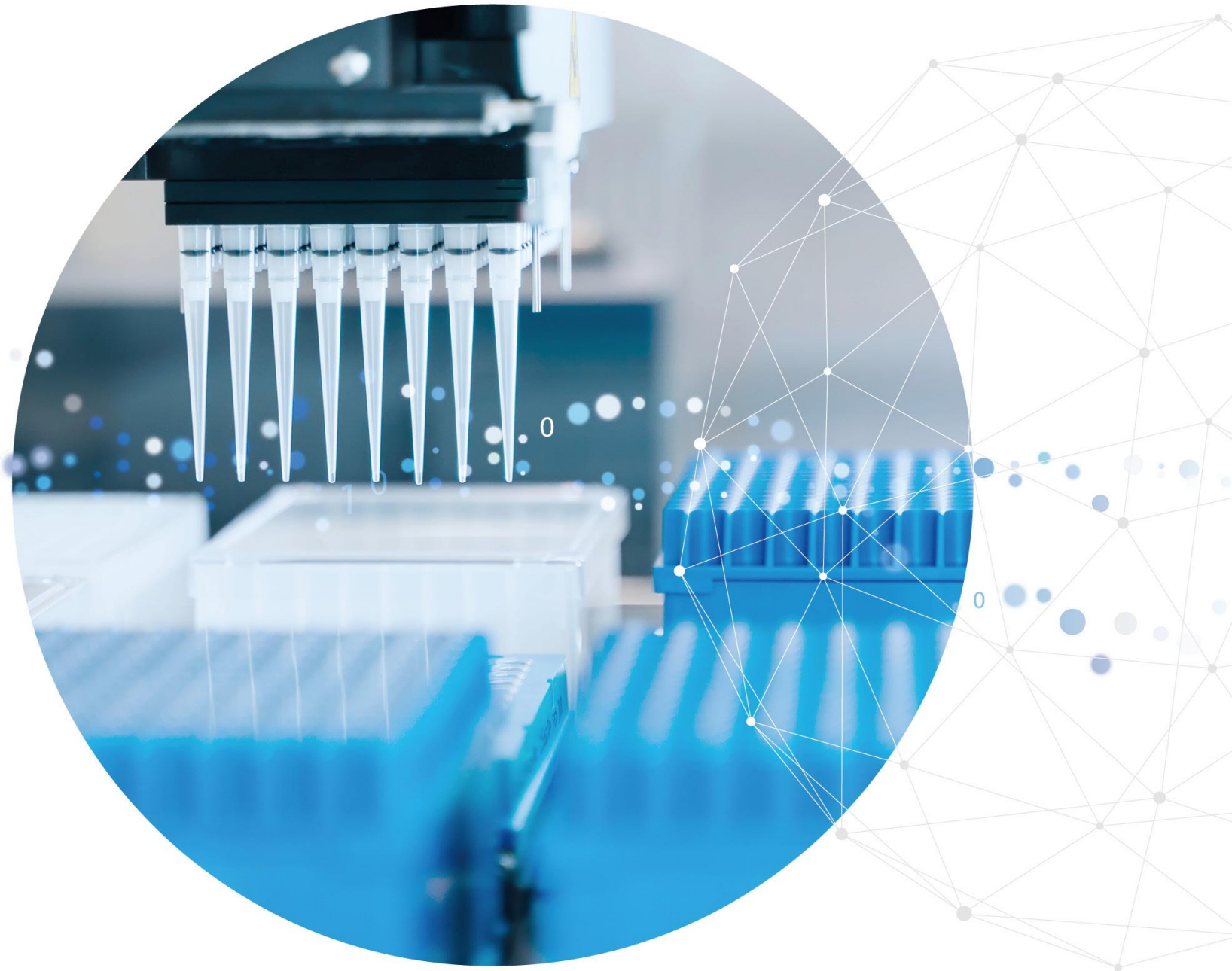
PHI-501 임상 IND 신청

PHI-501 글로벌 기술이전

Chapter 2.

Strategy

01. AI 플랫폼 Chemiverse의 효과 및 성과
02. 희귀·난치성 질환 중심의 신약 개발 전략
03. 바이오마커 기반 신약 개발
04. 오픈 이노베이션 전략
05. 신약개발에 대한 이해와 과제 그리고 솔루션



01. AI 플랫폼 Chemiverse의 효과 및 성과

AI 플랫폼 기반 R&D 통해 '시간&비용 획기적 절감', '물질 가치 극대화'

신약개발 성공확률을 높이기 위한 전략 ①: AI 신약개발 플랫폼

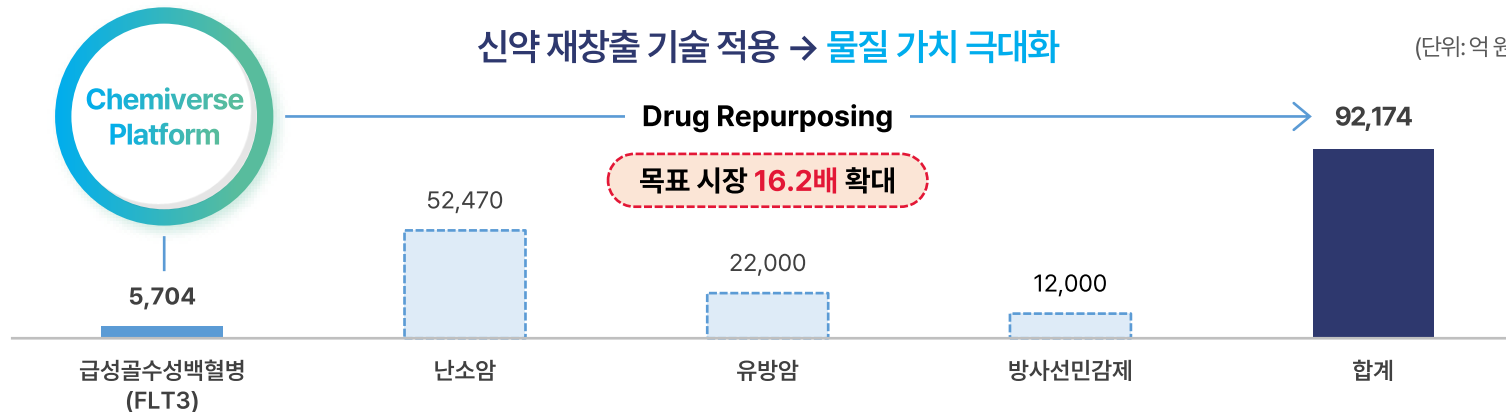
획기적인 개발비용 및 시간 절감 → R&D 생산성/효율성 극대화

(단위: 억 원, 년, %)

구분	개발 비용 ²⁾	개발 시간 ²⁾
KDDF 자료 (평균) ¹⁾	31.6	5.5
PHI-101-OC ³⁾	6.3	2.0
평균 대비 절감률	↓ 80.2%	↓ 63.6%

신약 재창출 기술 적용 → 물질 가치 극대화

(단위: 억 원)



최적 약물구조 제안 및 신약 재창출 기술 등 독자적 AI 플랫폼 경쟁력 확보

1) 2021년 KDDF(범부처신약개발사업단) 발표 자료 참조 → 신약개발 과제당 평균 정부출연금 기준
 2) 선도물질부터 비임상까지의 개발 기준(선도물질 → 후보물질 → 비임상)
 3) PHI-101-OC의 개발 비용과 시간 → 프로젝트 투입 인건비 포함 기준(간접비 제외)

글로벌 저널, 논문 등 인용&소개

FROM THE ANALYST'S COUCH | 07 February 2022

AI in small-molecule drug discovery: a coming wave?

nature REVIEWS

Madara K.P., Jayasinga, Wen Xie, Ludwig Ruder, Ulrik Schulte & Christoph Meier

Artificial intelligence (AI) offers the potential to transform drug discovery. Over the last few years, AI-enabled drug discovery has grown substantially through technological progress, such as the use of neural networks to design molecules and the application of knowledge graphs to understand target biology.

2022.02
네이처

Company	AI application	In-house assets from Clinical Pharmaprojects (or from internal research)		Comments and code names of clinical-stage assets (where available)
		Discovery/preclinical	Clinical	
Insilico Medicine*	Isomerformatics to novel target discovery (PandaOmics®), molecule generation and optimization with ADMET prediction (Chemistry42®), clinical trial prediction (Lit-Miner)	7*	0*	
Inluna*	Disease modelling, deconvolution of <i>in vitro</i> phenotypic disease models	2*	0*	
Nimbus Therapeutics	Molecular dynamics, ADMET prediction	6	2	Clinical-stage assets: NHT-010245, NHT-010110
Pharmaverse	Isomerformatics target discovery, Protein structure characterization (e.g. binding site ID), molecule optimization and ADMET prediction (Chemiverse)	4	1	Clinical-stage asset: PHI-101
Recurcom Pharmaceuticals	Isomerformatics target discovery, experimental target validation and hit identification with phenotypic screening (Recurcom Operating System)	11	3	Clinical-stage assets: REC-2282, REC-4881, REC-994

* 출처 : 2022년 Nature reviews drug discovery

The Roadmap of Drug Candidates Designed by AI

BiopharmaTrend.com

Nov 10, 2022

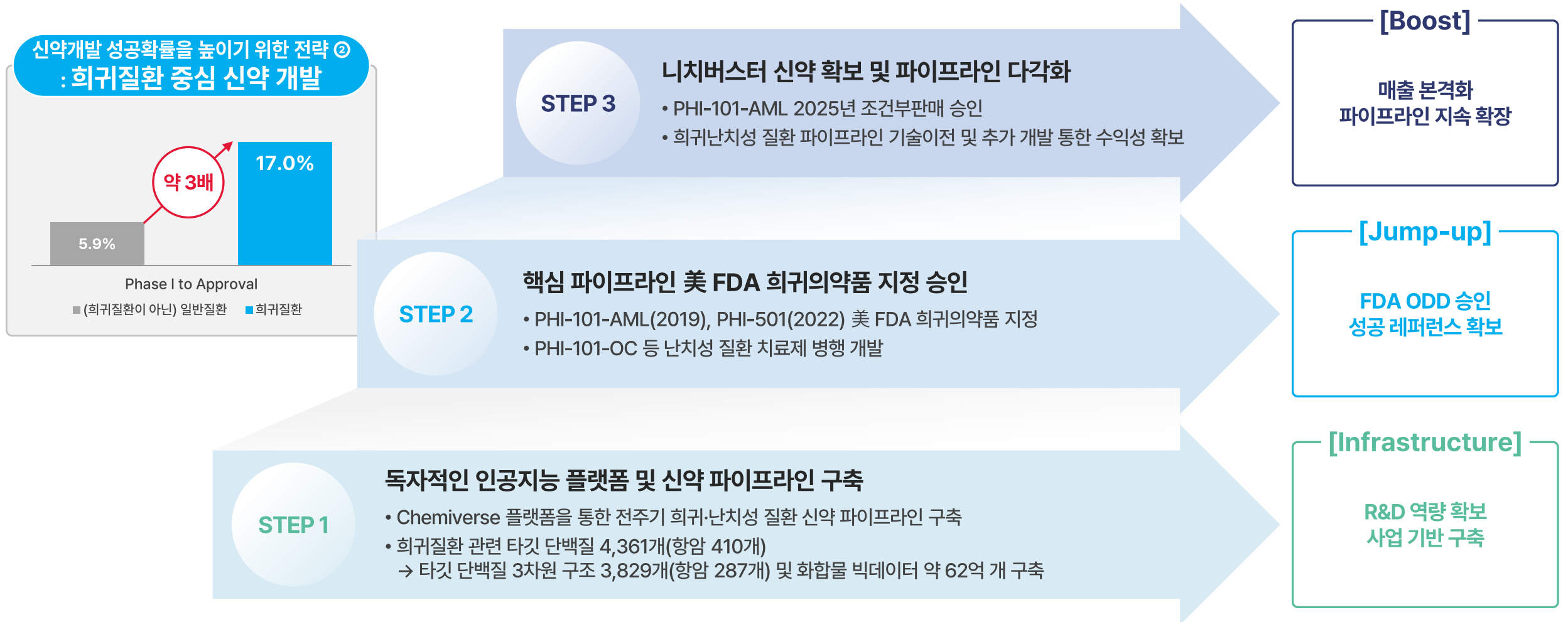


2022.11
바이오파마트렌드

대외 인지도 및 신뢰도 확보

02. 희귀·난치성 질환 중심의 신약 개발 전략

신약 개발 성공확률이 높은 희귀·난치성 질환 중심의 파이프라인 집중



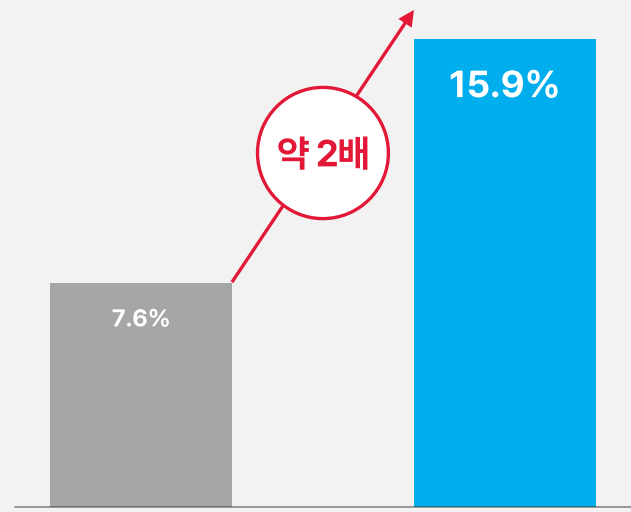
* Biotechnology Innovation Organization, Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011-2020(2021)

03. 바이오마커 기반 신약 개발

특정 바이오마커 타깃을 통해 대비 높은 임상 성공 확률 확보

신약개발 성공확률을 높이기 위한 전략 ③
: 바이오마커

신약개발 시 바이오마커 활용할 경우
약 2배 가량 성공 확률↑



■ 바이오마커 미활용 시 단계별 성공률
■ 바이오마커 활용 시 단계별 성공률

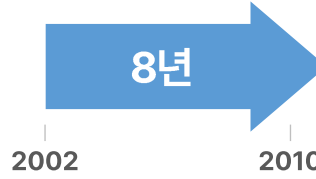
임상기간 단축 사례

PARP inhibition
(Olaparib, iniparib, MK-4827 등)



BRAF inhibition
(PLX-4032)

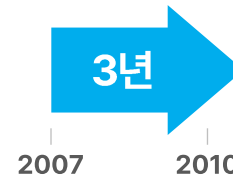
Plexxikon



• 바이오마커 동반진단을 통해 환자 선별
→ 통상 연구기간보다 단축된 8년 만에 허가

ALK inhibition
(crizotinib)

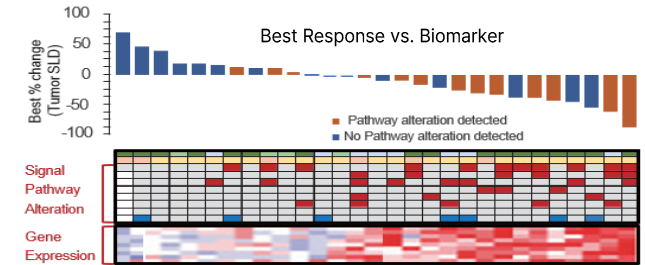
Pfizer



• 임상 2상에서 ALK-퓨전 유전자 동반진단 기반 환자 선별
→ 3년 만에 FDA 허가

바이오마커의 임상 활용

Chemiverse DeepRECOM → 바이오마커 예측



PHI-101

PHI-501



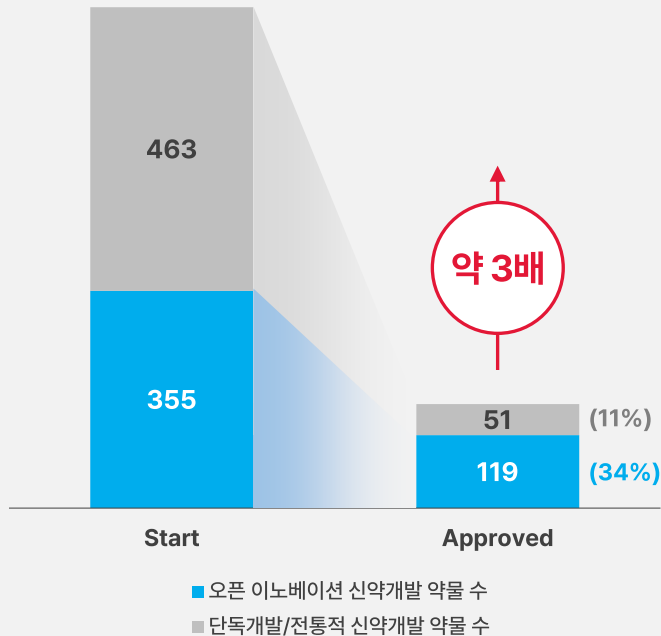
* Biotechnology Innovation Organisation, Clinical Development Success Rates and Contributing Factors 2011-2020(2021)

04. 오픈 이노베이션 전략

전통적 방식 대비 신약 개발 성공 확률이 높은 오픈 이노베이션 전략 적극적 활용

신약개발 성공확률을 높이기 위한 전략 ④
: 오픈 이노베이션

오픈 이노베이션 방식은 전통적 방식 대비
약 3배 성공 확률 ↑



신약 및 임상 전문 인력 확보



Donald Small 교수

- 세계 최초 FLT3 저해제 임상 책임자
- PHI-101 중개연구
- PHI-101 AML 임상개발 자문



신상준 교수

- 대장암 및 흑색종 전문 임상
- 임상 반응성 증가 및 바이오마커 발굴
- 로슈의 BRAF저해제 공동연구자



조병식 교수

- 서울성모병원 혈액내과
- 국내 AML 임상개발 전략



손우찬 교수

- 서울아산병원 병리과
- 전임상 독성개발 전략



심태보 교수

- 키나아제 개발 세계 최고 권위자
- PHI-501 적응증 확장연구

협력 기관

병원



교육기관



기업



* Deloitte Recap DEVELOPMENT optimizer™, Deloitte Consulting LLP analysis (2015)

05. 신약개발에 대한 이해와 과제 그리고 솔루션

신약개발의 난제를 극복한 파로스아이바이오의 신약개발 전략의 핵심 솔루션과 그 성과

파로스아이바이오의 핵심 전략

신약개발의 어려움

10년↑
장기간의 개발 기간

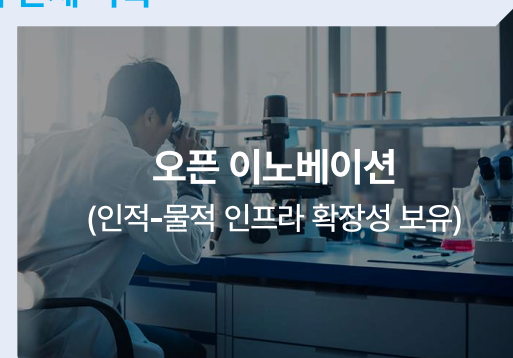
1조 원↑
높은 개발 비용

7.9%
낮은 성공 확률*

* 2011~2020년 후보물질에 대한 임상 1상부터 품목 허가 승인까지의 성공률



신약개발의 난제 극복



효과

개발 기간
min 3년



개발 비용
max 80%



성공확률
avg 2-3배



Chapter 3.

Introduction

- 01. 회사 소개
- 02. 성장 연혁
- 03. R&D 역량



01. 회사 소개

희귀·난치성 질환 혁신신약 연구개발 전문 기업, 파로스아이바이오

CEO

윤정혁
대표이사



- 연세대학교 화학과
- KAIST 화학과 박사
- KIST Post-Doc.
- 前) 목암생명공학연구소 선임연구원
- 前) 한국MSI 수석연구원(CTO)
- 前) (주)아이디알 연구이사
- 前) 국가과학기술심의회 전문위원
- 前) (주)이큐스앤자루 대표이사(바이오사업 부문 대표, KQ)
- 現) 파로스아이바이오 대표이사

CDO

한혜정
미국 법인 공동대표



- 동경대학교 분자의학 박사
- 서울대학교 의과대학 암연구소
- 前) 미국 버클리 국립연구소 상임연구원
- 前) Genentech/Roche 수석연구원
- 前) 스위스 Roche(로슈) 수석연구원
- Nature 논문 주저자
- CBP/P300 신약 및 바이오마커 개발
- AVENIO 항암 패널 개발

기업 개요

회사명	주식회사 파로스아이바이오
대표이사	윤정혁
설립일	2016. 04. 19
자본금	57.4억 원 (증권신고서 기준)
임직원수	32명 (증권신고서 기준)
주요사업	빅데이터 및 AI 기반 혁신신약발굴 및 개발 희귀질환치료제 분야 전문 혁신신약개발
본사주소	경기도 안양시 동안구 흥안대로 427번 길 38, 1408호
홈페이지	http://www.pharosibio.com

자회사 현황



02. 성장 연혁

BT & IT 역량을 모두 확보한 희귀·난치성 질환 혁신신약 개발 전문 바이오텍



설립기

성장기

도약기

신약개발 플랫폼 및 기반 구축

플랫폼 고도화 및 파이프라인 확대

지속 성장 가능 글로벌 바이오텍 도약

- 2016
 - 04 법인 설립 (주)파로스아이비티)
 - 07 미래부 신약개발지원센터 R&D 지원사업 선정
 - 12 급성골수성백혈병 치료제 후보물질의 자체 상용화 개시
- 2017
 - 08 PHI-101 전임상 시작
 - 틱스 R&D/창업사업화 과제 선정
 - 보건의료기술연구개발사업 선정
 - SUDNIA社와 시료 대량생산계약 체결
- 2018
 - 07 미국 존스홉킨스 Prof. Donald Small 자문계약 및 공동연구 진행
 - 08 시리즈 A 75억원 투자유치 (한국투자파트너스, 미래에셋 등)
 - 09 바이오인공지능연구소 증설
- 2019
 - 03 PHI-101-AML 국내 특허 등록
 - 04 PHI-101-AML 美 FDA 희귀의약품 지정 승인
 - 12 PHI-101 **호주 임상 1상 TGA 승인**



- 2020
 - 02 PHI-101-AML 국내 임상 1상 승인
 - 03 시리즈 B 160억원 투자유치 (KDB 산업은행, 컴퍼니케이파트너스 등)
 - 04 연세대의료원 표적항암제 혁신신약개발 공동연구 미국 현지법인 설립
 - 08 (주)파로스아이비오 사명 변경
 - 11 PHI-101-OC 재발성 난소암 국내 임상 1상 승인
- 2021
 - 04 보건복지부 보건의료 R&D 우수성과 사례 선정
 - 06 시리즈 C 180억원 투자유치 (UTC, 솔리더스, LSK 등)
 - 11 PHI-501 美 FDA 희귀의약품 지정 승인
- 2022
 - 02 UNIST 백혈병 초정밀 바이오 연구단 참여
 - 03 (주)지니너스 업무협약 체결
 - 04 **유한양행 기술이전 및 공동연구개발 계약 체결**
 - 05 기술성평가 최종 통과



- 2023
 - PHI-101-AML 임상 1상 종료
 - PHI-101-OC 임상 1상 종료
 - PHI-501 임상 1상 IND 신청
- 글로벌 임상 파이프라인 확대

글로벌 L/O 실적 체계화 및 상시화

글로벌 제약사와의 신약 출시 가시화
- 신약 개발 플랫폼 BM 확대

지속 성장 기반 구축

다양한 수익원 확보 및 매출 안정화



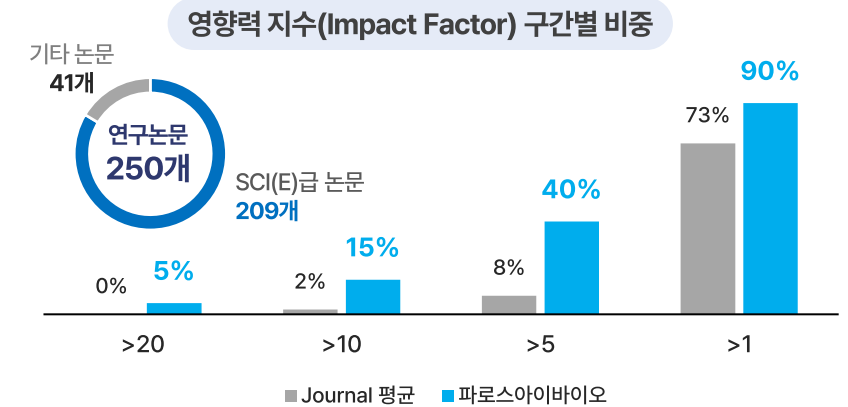
03. R&D 역량

희귀·난치성 신약 개발 및 AI 플랫폼 분야의 전문 인력과 연구개발 중심의 전문성 확보

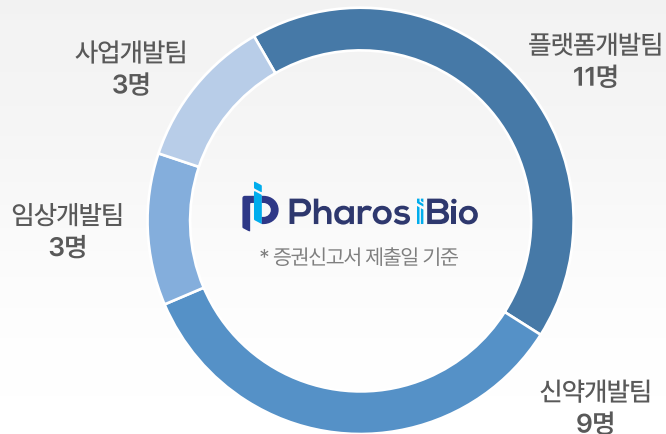
대표 인력 소개

<p>CTO 남기엽 최고 기술 책임자</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 전임상-임상 신약개발 및 병원 임상개발 전문가 • 前) 서울아산병원 유효성평가센터 파트장 	<p>CBO 김규태 호주 법인 공동대표</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 국내-글로벌 기술이전 전문가 • 前) 애플론 CSO / BD&L 디렉터 • 국내외 글로벌 기술이전 7건 성사 주도 	<p>CSO 채종철 최고 과학 책임자</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 인공지능 모델링 전문가 • 前) 삼성디스플레이 그룹장 - 인공지능 설계 자동화 • 前) 삼성전자 수석연구원 - CAE Driven 소자 모델링 	<p>CFO 문성원 최고 재무 책임자</p>  <ul style="list-style-type: none"> • 경영전략 및 투자금융 전문가 • 前) GS건설 기획팀 • 前) (주)백스톤투자자문 IB본부장 • 前) (주)퍼플인베스트먼트 대표(CEO)
---	---	--	--

연구실적 및 학회 참여



인력 구성



석·박사(84%)
중심의
연구개발
전문 인력 및 조직 구성

참여 학회



Chapter 4.

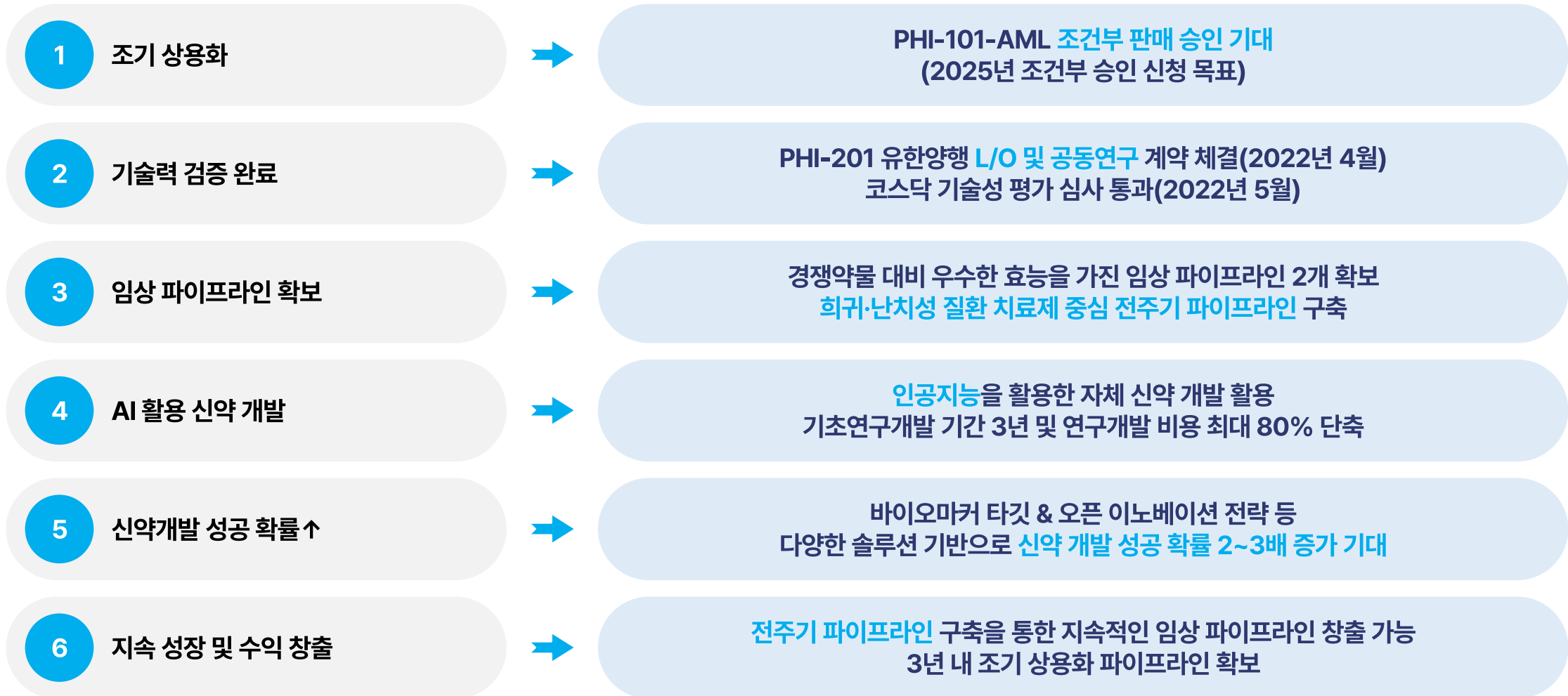
Investment Highlights

01. Investment Highlights

02. VISION



01. Investment Highlights





Vision

The Best Target, The Best Chemical!

깜깜한 어둠 속에서 사활을 걸고 나아가는 항선(航船)에게
방향성을 제시하던 고대 알렉산드리아의 “파로스의 등대”처럼

전세계 바이오 벤처 및 제약사들에게 새롭고 창의적인 신약개발 솔루션과 방향성을 제시할 수 있는
글로벌 바이오텍으로 성장하여 하루빨리 희귀·난치성 질환 치료제를 개발해

전세계적으로 고통받는 환자들에게 새로운 생명과 희망을 주고,
인류 건강 증진에 이바지하는 세계 최고 수준의 기업이 되겠습니다.

Appendix

- 01. IPO Plan
- 02. 요약재무제표
- 03. 독자적 AI 플랫폼 Chemiverse – 고도화 전략
- 04. 용어 설명



01. IPO Plan

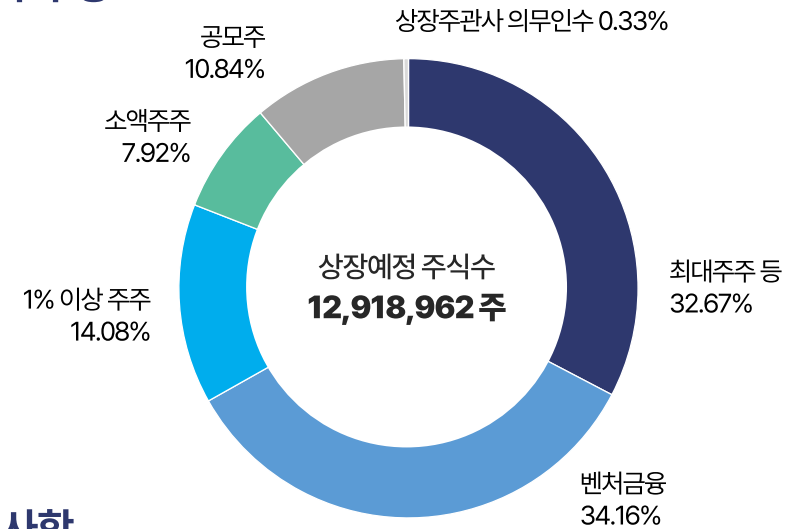
공모개요

공모주식수	1,400,000주
공모예정가	14,000원 ~ 18,000원
액면가	500원
총 공모예정금액	196억 원 ~ 252억 원
예상 시가총액	1,809억 원 ~ 2,325억 원
상장예정주식수	12,918,962주

공모일정

증권신고서 최초 제출	2023년 5월 18일
수요 예측일	2023년 7월 10일 ~ 11일
청약 예정일	2023년 7월 17일 ~ 18일
상장 예정일	2023년 7월 27일

공모 후 주주구성



보호 예수 사항

주주명	주식수(주)	비중(%)	기간
최대주주	2,730,000	21.13%	상장 후 3년
최대주주 등	1,491,000	11.54%	
벤처금융*	2,795,943	21.64%	상장 후 1개월
1% 이상 주주*	1,134,432	8.78%	
소액주주	358,965	2.78%	상장 후 3개월
상장주관사 의무인수	42,000	0.33%	
합계	8,552,340	66.20%	-

* 벤처금융은 컴퍼니케이 고성장펀드 등 19인으로 구성, 1% 이상 주주는 한국산업은행 등 6인으로 구성

02. 요약재무제표

재무상태표

단위: 백만 원

구분	2020	2021	2022	2023.1Q
유동자산	15,232	24,422	15,715	13,669
비유동자산	1,470	3,064	3,006	2,814
자산총계	16,702	27,486	18,721	16,483
유동부채	36,423	78,088	951	646
비유동부채	325	582	105	66
부채총계	36,748	78,670	1,056	713
자본금	967	2,902	5,738	5,738
자본잉여금	3,260	1,307	83,576	83,576
이익잉여금(결손금)	(24,454)	(55,997)	(72,913)	(74,968)
기타자본구성요소	180	605	1,264	1,424
자본총계	(20,046)	(51,184)	17,665	15,770

손익계산서

단위: 백만 원

구분	2020	2021	2022	2023.1Q
매출액	188	57	300	-
매출총이익	1	30	130	-
판매비와관리비	6,048	8,436	10,749	2,230
영업이익(손실)	(6,047)	(8,406)	(10,619)	(2,230)
기타수익	181	911	883	49
기타비용	190	11	23	6
금융수익	105	116	320	135
금융비용	7,448	24,081	7,622	3
법인세비용차감전순이익(손실)	(13,398)	(31,471)	(17,062)	(2,055)
당기순이익(손실)	(13,398)	(31,471)	(17,062)	(2,055)
충포괄이익(손실)	(13,475)	(31,506)	(16,875)	(2,033)

03. 독자적 AI 플랫폼 Chemiverse – 고도화 전략

① 양자 컴퓨팅 알고리즘 생성모델 적용 ② 고속 병렬분산처리 기술 ③ 거대 언어 모델 기술 연계 "케미버스" 고도화



- 대용량 데이터처리 기술 향상
- ULS¹⁾ Chemical DB 업그레이드
→ 60억 개 화합물 공간 확장
 - ULS기반 화합물 탐색, 도킹 및 가상 탐색에 고속 병렬분산 처리 도입

**대용량 초고속 데이터
처리 기술 도입**

**양자 컴퓨팅
케미버스 플랫폼 구축**

**거대언어모델(LLM²⁾
연계 기술 구축**

고전 컴퓨터 기반의 인공지능 신약개발 패러다임 전환

- 양자 알고리즘 이용 ChemGEN 생성모델 성능 향상
→ 생성 모델 최적화, 병렬 처리, 샘플링 효율성 확장



- 케미버스 인공지능모델 효율 향상
- 거대언어모델(BioNeMo, GPT, LLaMA) 기반 바이오 신약 도메인 특성 미세 조정
 - GPU/CPU 리소스 지속 확장
- 엔비디아와 인셉션 프로그램 참여 및 공동개발



1) ULS : Ultra Large-Scale Database
2) LLM : 거대 언어 모델 Large Language Model = Foundation Model

04. 용어 설명 (1)

용어	설명
급성골수성백혈병(AML)	급성백혈병은 백혈구가 악성세포로 변하여 골수에서 증식하여 말초혈액으로 퍼져 나와 전신에 퍼지게 되며 간, 비장, 림프선 등을 침범하는 질병 대개 골수나 말초 혈액에 골수아세포가 20% 이상 차지하는 경우를 골수성백혈병으로 정의
난소암(OC)	난소암(Ovarian Cancer)은 난소에서 발생하는 암종으로 가족력이 관여하는 것으로 알려져 있으나 뚜렷한 원인이 밝혀지지 않았으며 여성암 사망률 1위인 치명적인 암종
방사선 민감제(RS)	RS(Radiation sensitizer) 암세포를 방사선에 민감하게 만드는 것으로 2021년 처음으로 두경부암을 대상으로 하는 약제가 국내 임상 1상 허가를 받아 방사선 민감제에 대한 연구&투자 증가
삼중음성유방암(TNBC)	유방암의 경우 에스트로겐 수용체, 프로게스테론 수용체, 표피성장인자 수용체 세 가지 수용체의 유무에 따라 치료 방향이 결정되는데 세 가지 수용체가 모두 없는 경우를 삼중음성유방암(Triple negative breast cancer)이라 하며 치료 효과가 낮고 예후가 나쁨
선도물질(Lead Compound)	신약개발 과정에서 목적인 대상에 대하여 약리적, 생물학적 효능을 지닌 물질로서 최종 물질의 시작물질이 되는 물질
신약 재창출(Drug repurposing)	이미 승인된 의약품이나 개발 중인 약물의 새로운 용도를 개발하는 것으로 적응증 확장(indication expansion)과 같은 의미
저항성 돌연변이	약물의 영향을 받는 표적단백질의 돌연변이로 인하여 약물의 작용 능력을 감소시키는 돌연변이
적응증	규제기관으로부터 승인받은 약물의 적용 대상 질환
적응증 확장	연구대상 약물의 초기 적응증 이외에, 의학 평가 및 약효 검증을 통해 새로운 질환으로의 약효 적응을 찾는 과정 신약재창출(Drug repurposing)과 같은 의미로 사용

04. 용어 설명 (2)

용어	설명
조건부 허가	임상 2상 자료를 토대로 의약품 발매를 조건부로 허가하는 제도, 생명을 위협하는 질환과 증상 호전을 기대하기 어려운 중증의 비가역적 질환의 환자에게 치료 기회를 우선적으로 제공하고 이후 임상 3 상을 수행하는 조건이 요구됨
최대무독성 농도(NOEL)	No Observed Adverse Effect Level, 독성시험 시 대조군에 비해 바람직하지 않은 영향을 나타내지 않는 통계학적으로 유의한 차이를 보이지 않은 최대 투여용량
표적치료제	표적치료제는 암세포가 특이적으로 지닌 특정 표적을 대상으로 하여 정상 세포에 대한 영향을 최소화하는 치료제 환자에게 표적이 있는지 검사 후 투여 진행
허브 단백질(Hub protein)	세포신호전달의 중심에서 여러 단백질들과 상호작용을 하는 단백질(많은 가지와 연결되는 단백질)
후보물질	선도물질(Lead compound), 선도물질 최적화(Lead optimization) 과정을 거쳐 선도물질 유사체들 중에서 가장 약효가 좋고 선택성이 우수한 화합물을 선정하여 비임상 시험을 진행하는 화합물
흑색종	색소를 생성하는 멜라닌세포에서 시작되는 피부암으로 국내에서는 손톱 및 발톱에서 검은 줄무늬가 길게 발생하다가 점점 커지는 경우가 전체 환자 중 70~80%를 차지함
희귀 질환	유병인구가 2만명 이하이거나 진단이 어려워 유병인구를 알 수 없는 질환 혹은 적절한 치료법과 대체의약품이 개발되지 않은 질병(국가별 기준 상이)
희귀의약품	희귀질환을 진단하거나 치료하기 위한 목적으로 사용되는 의약품으로 대체가능한 의약품이 없거나 대체 가능한 의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품이 희귀의약품으로 지정

04. 용어 설명 (3)

용어	설명
BRCA1	유전자의 변형을 억제하는 단백질로써 유방암 및 난소암에서 항암제 처치 표지자로 사용
CHK2(Checkpoint kinase 2)	DNA 손상에 의해 활성화되어 세포주기의 정지 및 DNA 의 복구 및 세포의 사멸에 관여하는 단백질
DDRs	DDR 단백질은 DDR1 과 DDR2 가 있는데 이들 모두를 일컬어 DDRs라 함
FAK	다기능성 단백질이며 세포 부착 및 암 발생과 전이에 관여하는 것으로 알려져 있음
FLT3	FMS-related tyrosine kinase3, 인산화 효소 기능을 가진 수용체 중 하나로 급성골수성백혈병의 예후적 인자 중 하나
FLT3 저항성 돌연변이	FLT3 환자 중에 기존 약물 투여 이후 효과가 나타나지 않는 환자들을 분석하여 발견한 돌연변이로, FLT3 단백질의 F691, D835, N676 등에 발생함
IND	임상시험계획 승인신청, 임상시험을 실시하고자 하는 자가 해당 의약품의 안전성, 유효성 자료 수집 목적으로 FDA 등 규제기관에 승인을 신청하는 서류
KRAS	대표적인 종양유전자 중 하나이며 오랜 기간 치료제 개발의 대상이었으나 최근에서야 치료제가 개발되었음
pan-RAF	RAF 단백질은 ARAF, BRAF, CRAF 의 하위분류가 있는데 이들 모두를 일컬어 pan-RAF 라 함. EGFR-RAS-RAF-ERK 로 전달되는 세포신호전달이 활성화되어 종양성장이 활성화됨
PARP 저해제	DNA 손상 복구 단백질인 PARP 의 기능을 저해하는 약물로써 유방암 및 난소암에 사용되는 항암제 분류 중의 하나