



## Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 PRESENTATION에서의 정보제공을 목적으로 톨젠 (이하 "회사")에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리 는 바입니다.

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

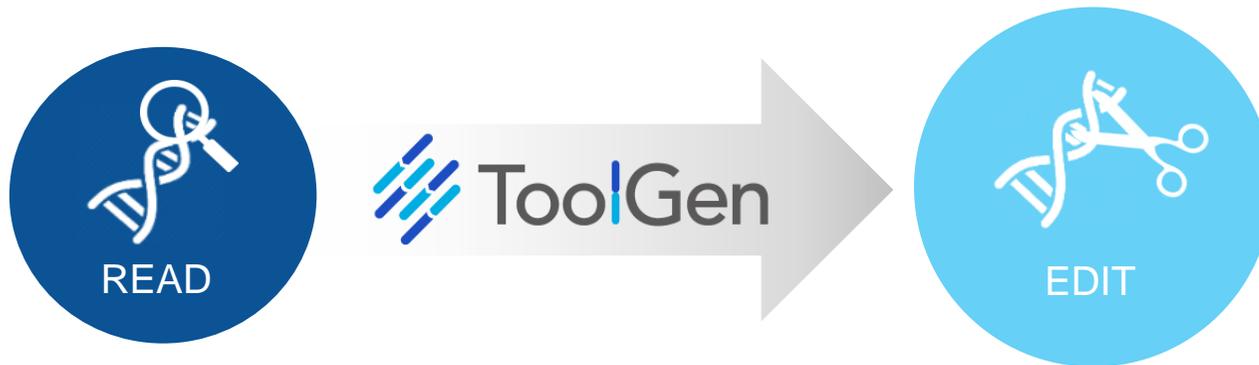
본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준 에 따라 작성되었습니다. 본 자료에 포함된 "예측정보"는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '기 대', '(F)' 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 "예측정보"는 향후 경영환경의 변화 등 에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성 으로 인하여 실제 미래실적은 "예측정보"에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이 가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 PRESENTATION 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경 의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 REPRESENTATIVE들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다(과실 및 기타의 경우 포함).

본 문서는 주식의 모집 또는 매매 및 청약을 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.

# Innovate Genome



**A healthy life** *without diseases*

**A wealthy life** *with evolved plants and animals*

# 툴젠 소개

유전자교정 원천기술의 발전을 통한 치료제와 농업 분야에서의 가치 창출



유전자교정  
기술 개발 전문성



다양한 세포/유전자치료제  
파이프라인



농업 분야의 기회



유전자교정  
지적 재산권

## 상반기 기업설명회 이후 주요 사항

No.	Date.	Event	비고
1.	2018.06	Styx-T 논문 발표 (Cancer Research)	-
2.	2018.07	중국 합자법인(GenStorm) 설립	-
3.	2018.08	ToolGen-NYSCF(뉴욕줄기세포재단)-nSAGE 3자 MOU 체결	
4.	2018.08	Sniper Cas9 발표 (Nature Communications)	-
5.	2018.08	유럽 특허 등록	-
6.	2018.08	코스닥 이전상장 신청	현재 심사 중
7.	2018.10	연구조직 개편	-
8.	2018.10	CMT 결과 국제 학술대회 발표 (ESGCT, selected for a talk)	-

# 유전자교정 기술

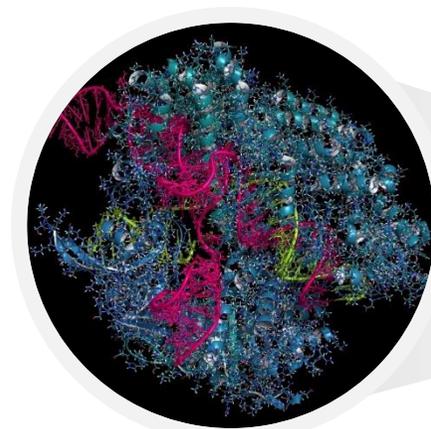
유전자가위 : 효율적인 유전자교정을 위해 유전자를 절단하는 분자도구



# CRISPR/Cas9 : 쉽고 정확한 유전자교정 도구

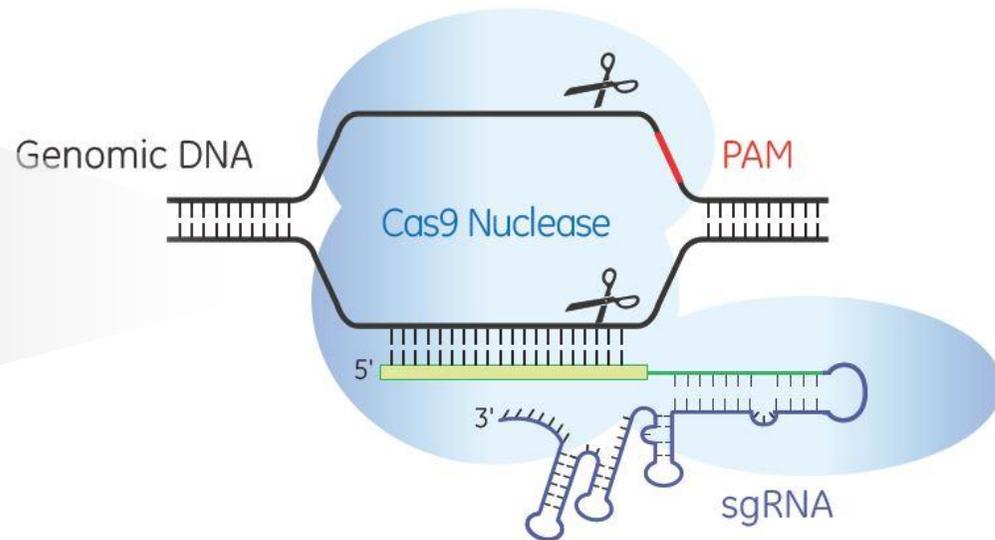
## CRISPR/Cas9 주요 구성요소

- **Guide RNA (sgRNA)** : 특정유전 서열 자리로 이끄는 RNA
- **Cas9** : 유전자를 자르는 역할을 하는 효소/단백질



Cas9 / Guide RNA / DNA

<https://www.twistbioscience.com/50-percent-you/>

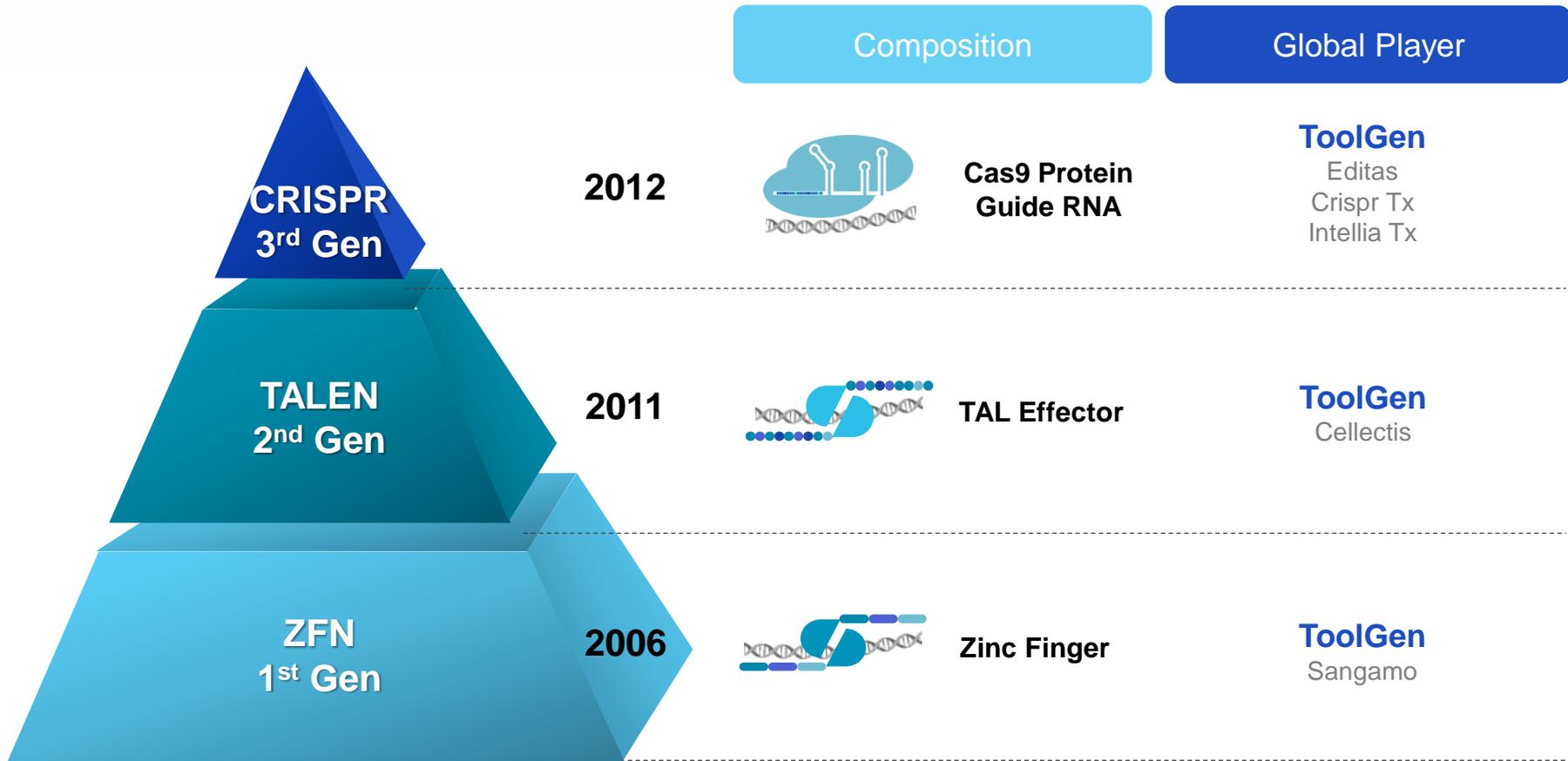


Cas9

+

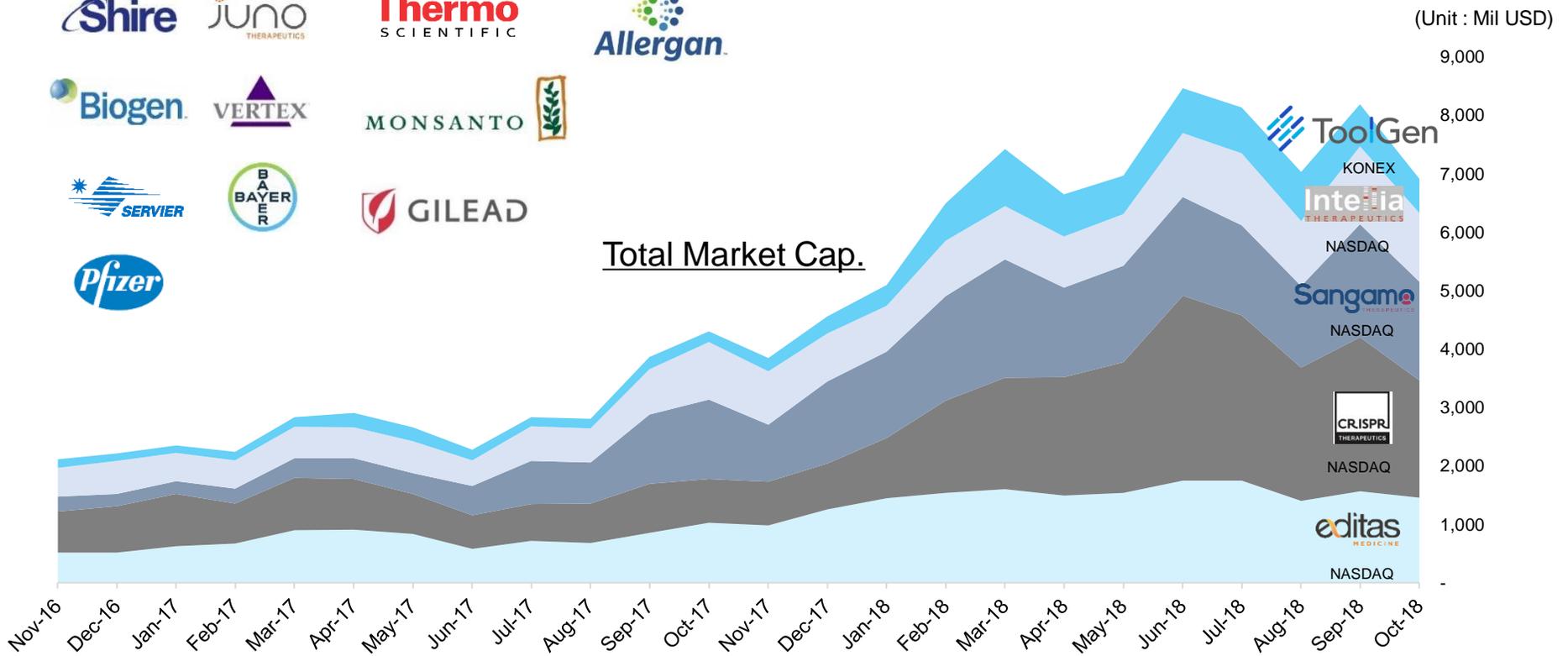
Guide RNA

# Global Player



# Global Peer 시가총액

[ 유전자교정 NI 회사 ]



# CRISPR 특허 전략

## ToolGen's CRISPR IP : 진핵세포의 유전자교정에 CRISPR/Cas9을 사용한 세계 최초의 특허

### IP Strategy

- IP ownership – L/O 및 유전자가위 원천기술 IP 확장
- IP portfolio 확장 - 치료제 (Therapeutics), 동식물분야(GreenBio) 등



PCT/KR2013/009488  
(National Phase in 10 countries)

호주

•2016.08 특허 승인

한국

•2016.09 특허 등록

유럽

•2018.07 특허 등록

8개

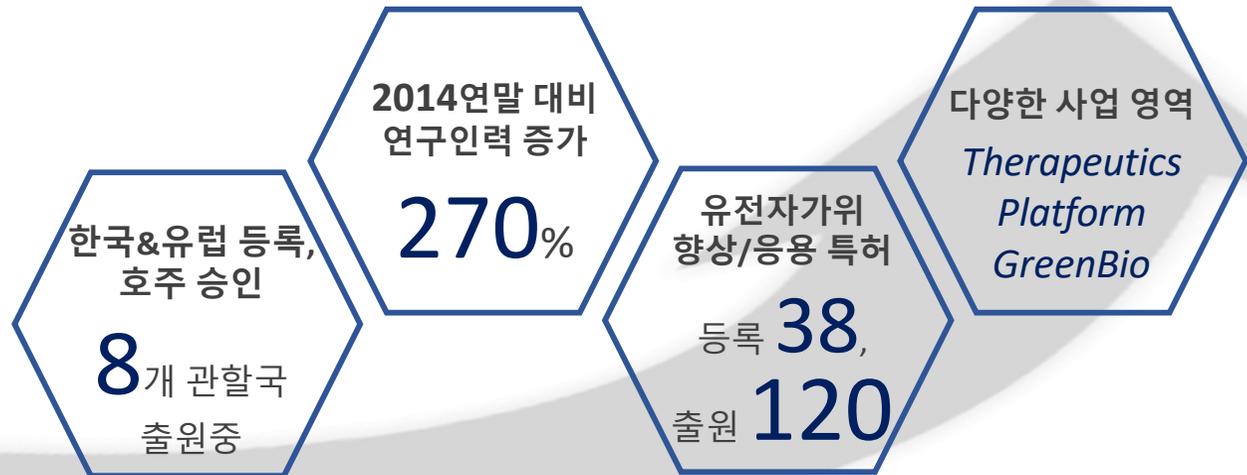
관할국

•원천기술 특허 출원 중

# 비즈니스 영역 확장

원천기술 IP → 응용 IP 확대를 통한 다양한 사업 기회

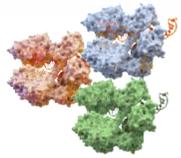
 ToolGen  
CRISPR-Cas9  
원천기술



-  IP 경쟁력 강화 : 원천기술 IP 추가 등록 및 응용 IP 확대를 통한 기술 경쟁력 확대
-  연구조직 혁신 : 프로젝트별 R&D '선택과 집중' 전략 + 종자연구소 신설
-  사업개발 능력 확대 : 다양한 MOU 체결을 통한 플랫폼 및 치료제 개발 기술 License deal 기반 확대

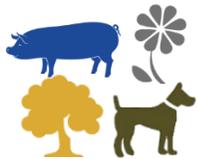
# 사업 전략 (Platform + Therapeutics + GreenBio)

## 최고 수준의 CRISPR 유전자가위



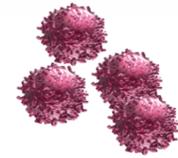
- 소형 Cas9
- 특이성이 향상된 Cas9

## 동·식물 유전자교정



- 동·식물 프로그램
- GenStorm (JV with Genovo Bio)
- 국내외 기관 공동개발 및 기술이전

## 유전자교정 치료 세포

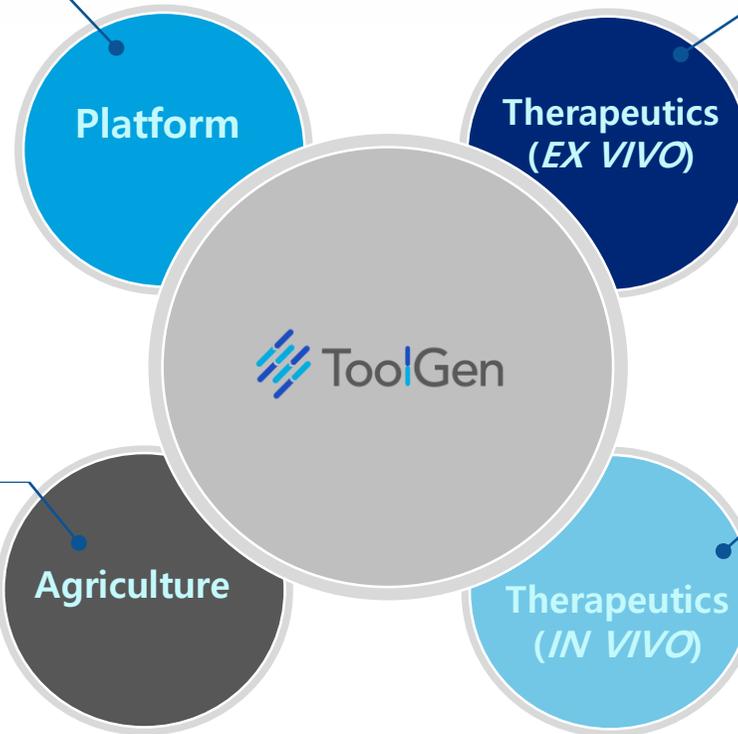


- 차세대 CAR-T 치료제
- 면역세포 치료제
- 중간엽줄기세포

## CRISPR 기반 유전자 치료제



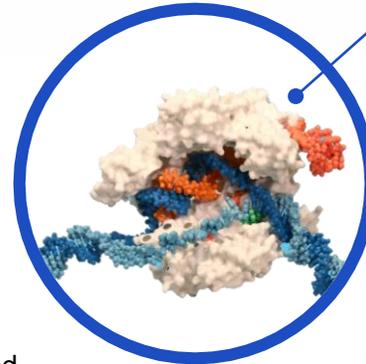
- 눈(Eye) 프로그램
- 간(Liver) 프로그램
- 신경(Neuro) 프로그램



# Platform\_ 확장된 CRISPR/Cas9 기술

진핵세포에서 CRISPR/Cas9을 사용한 최초의 출원

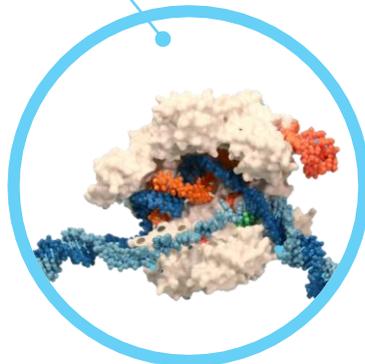
- CRISPR 특허 분야 위치 구축



우수한 특이성과 높은 기능성을 가진 Cas9

- 특허 출원  
- 논문 게재, 2018  
(Nature Communications)

Improved Cas9

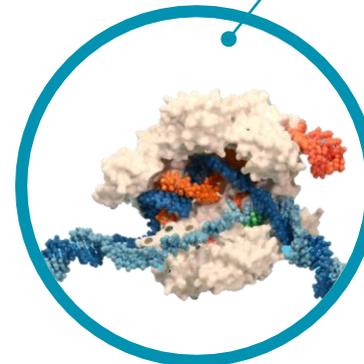


**Sniper Cas9™**  
(높은 정확도)

Improved Cas9

AAV 유전자 전달 기술과의 뛰어난 호환성

- 특허 출원/등록  
- 논문 게재, 2017  
(Nature Communications)



**Cj Cas9**  
(작은 크기)

**ToolGen`s  
CRISPR/Cas9**

# Therapeutics\_ 유전자교정기술의 치료제 분야 확장

## 유전자교정 기술

- CRISPR/Cas9 Platform
- Cas9의 발전
- Guide RNA 조절
- 심층적인 기능분석

## 유전자교정 전략

- 유전자 제거 (*Knockout*)
- 유전자 조절 (*Regulation*)
- 유전자 삽입 (*Addition*)
- 염색체 구조 변화

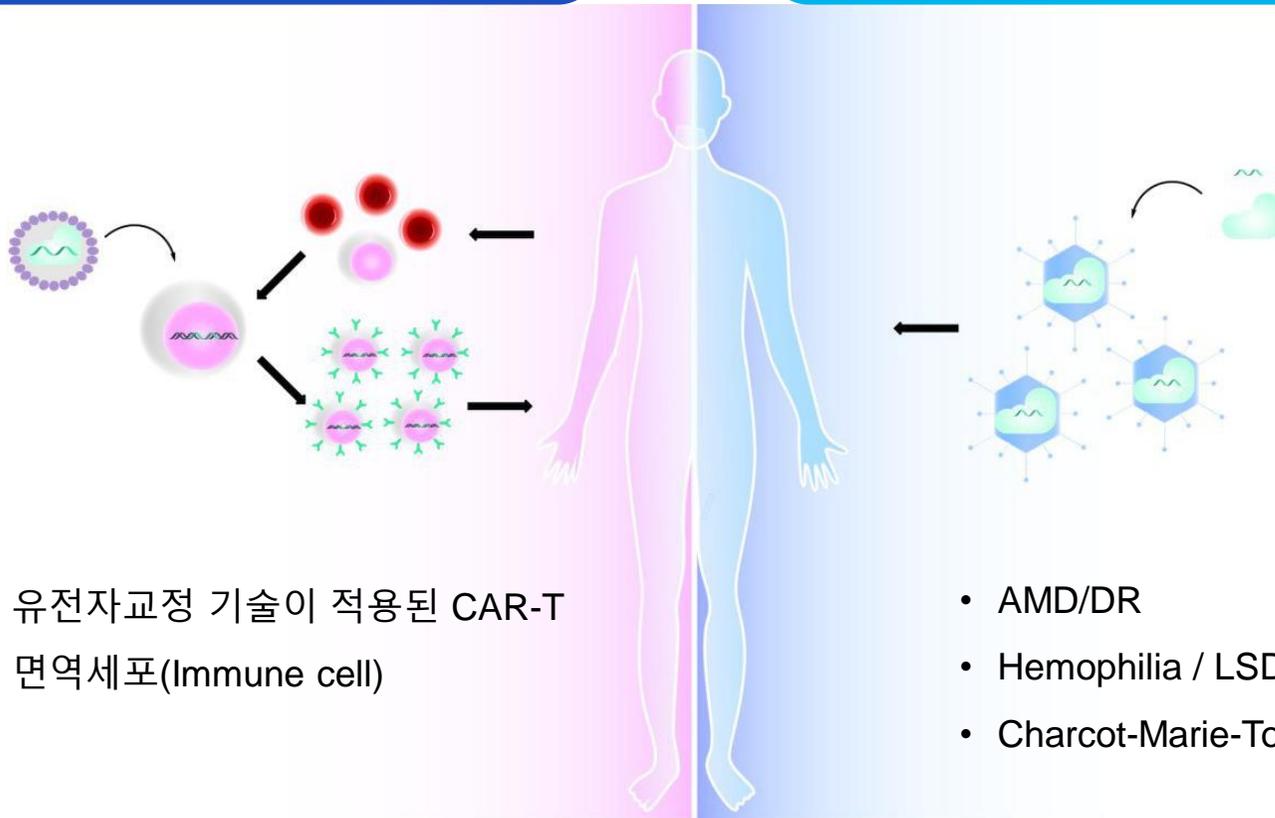
## 치료제 (Therapeutics)

- CAR-T
- 중간엽줄기세포 (*Mesenchymal stem cell*)
- 조혈모세포 (*Hematopoietic stem cell*)
- 아데노부속 바이러스 (*AAV*)
- 지질 나노입자 (*Lipid Nanoparticle*)

# Therapeutics\_ 치료제 개발 전략

## 체외(Ex-vivo) 유전자 교정

## 체내(In-vivo) 유전자 교정



- 유전자교정 기술이 적용된 CAR-T
- 면역세포(Immune cell)

- AMD/DR
- Hemophilia / LSD
- Charcot-Marie-Tooth

# Therapeutics\_사업모델

유전자교정 Platform 강화 + 혁신적인 치료제 program → 글로벌 치료제 기업



# Therapeutics\_ *EX VIVO*\_세포 치료제

유전자교정 + 확립된 세포 치료제 → 혁신적 차세대 치료제

암(Cancer)  
자가면역

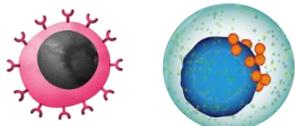
하지허혈(Limb Ischemia)  
자가면역

희귀 질환

면역세포  
(Immune Cells)

중간엽줄기세포  
(Mesenchymal Stem Cell)

조혈모세포  
(Hematopoietic stem cell)



T cell    NK cell

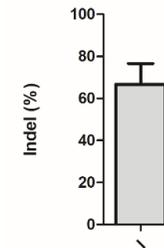
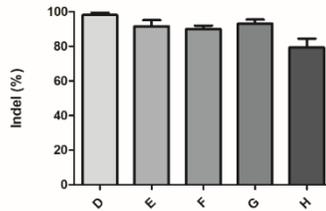
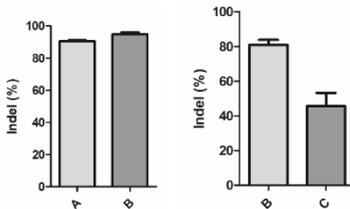


MSC

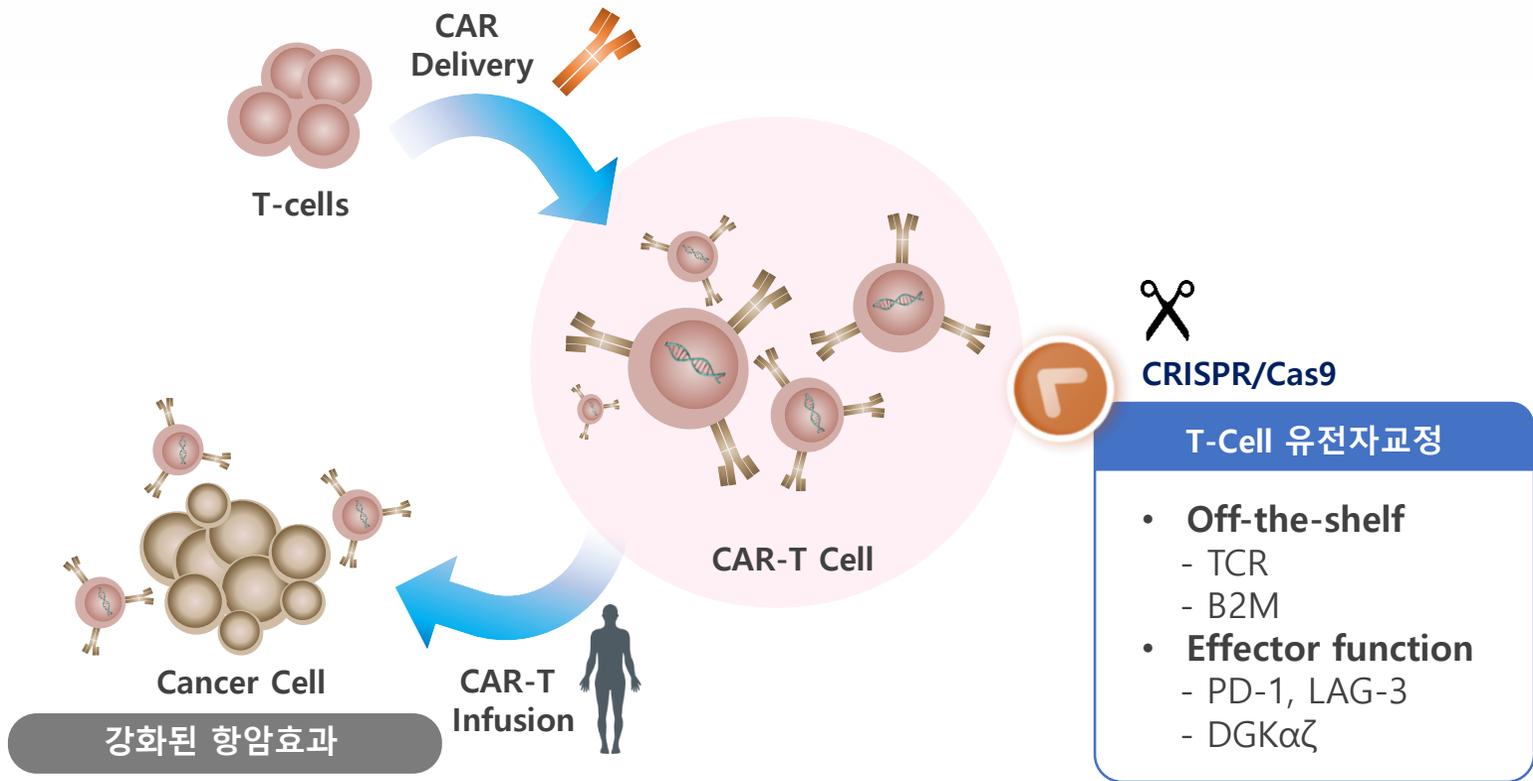


HSC

돌연변이 교정  
돌연변이 제거



# Therapeutics\_ *EX VIVO*\_차세대 면역세포 플랫폼(CAR-T)



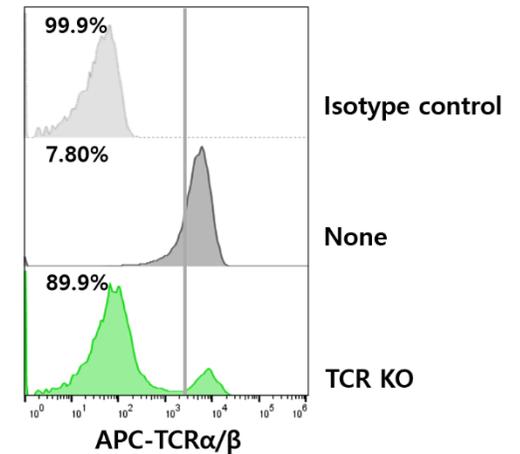
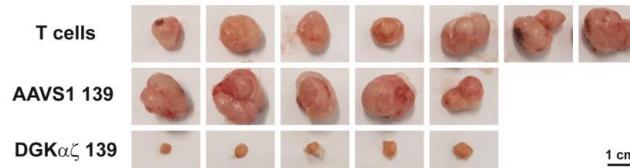
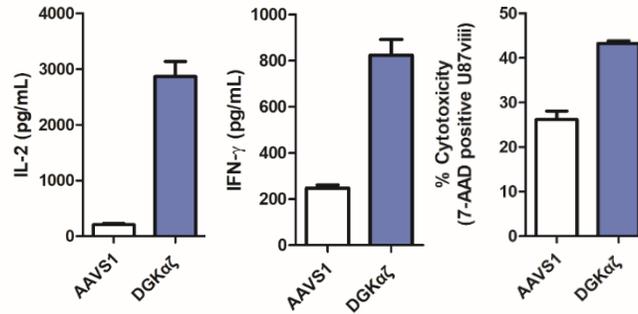
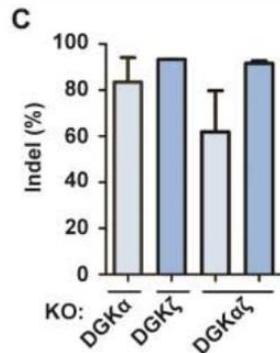
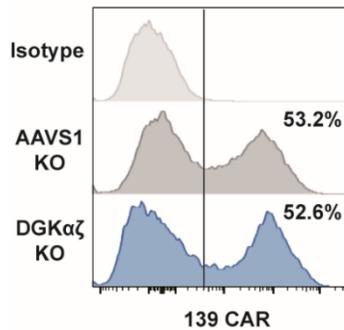
# Therapeutics\_ *EX VIVO*\_차세대 면역세포 플랫폼(CAR-T)

## CAR-T 분야 Unmet Need를 충족하는 기능 향상

유전자교정 CAR-T 생산

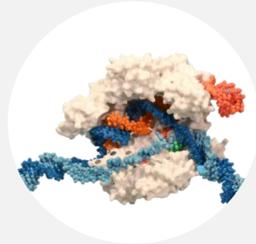
향상된 CAR-T 기능  
→ 고형암

동종 (Allogeneic) CAR-T  
→ 생산성

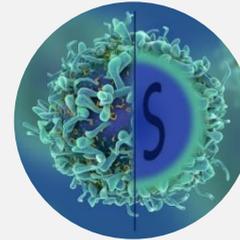


# Therapeutics\_ *IN VIVO*\_AAV Vector를 이용한 유전자교정

## 임상적으로 구현 가능한 유전자 전달기술 접목



ToolGen`s  
**CRISPR/Cas9**



**AAV**  
(Adeno-associated Virus)

- AAV를 활용하여 목표 기관에 전달
- 단백질 약물을 통한 질병 치료를 넘어서서 한번의 치료로 반영구적인 치료 효과

### 눈(Eye) Program

- Wet AMD (습성 황반변성)
- Diabetic Retinopathy (당뇨성 망막병증)

### 간(Liver) Program

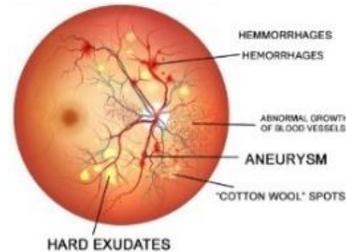
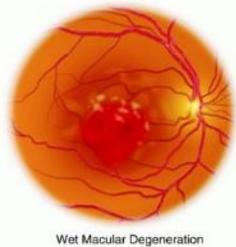
- Hemophilia A (혈우병 A)
- Hemophilia B (혈우병 B)
- Lysosomal Storage Disease (리소좀 축적질환)

# Therapeutics\_ *IN VIVO*\_눈(Eye) Program - AMD & DR

## 대표적 난치성 안구질환에 대한 장기 지속형 치료제 개발

### 눈(Eye) Program

- AMD 치료제 시장 4.7조원 (2014)
- 현재 표준치료는 VEGF 단백질 기능 억제제를 사용 (4~8주)



### Wet AMD (습성 황반변성)

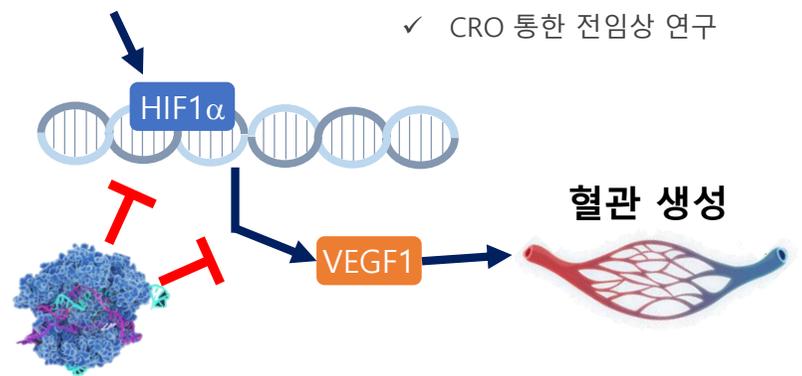
- 성인실명의 주요 원인
- >1.2M wet AMD 환자 (미국)
- ~200,000 new cases/year (미국)

### Diabetic Retinopathy (당뇨성 망막변성)

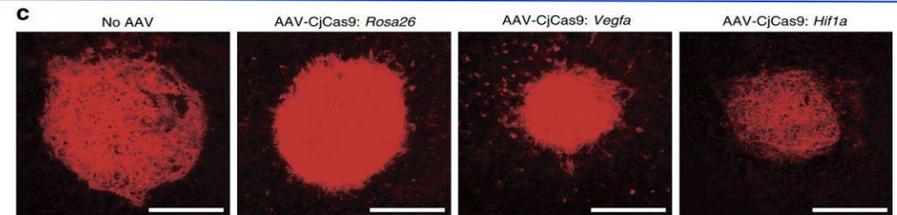
- 당뇨병 환자수는 빠르게 확장 중
- >7M DR 환자 (미국)

유전자가위를 이용하여 VEGF1 또는 HIF1 $\alpha$ 을 장기적으로 저해하는 유전자교정 치료제 개발

저산소 환경



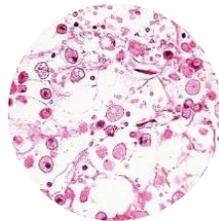
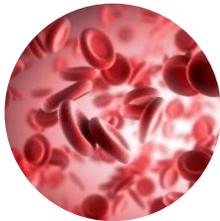
동물모델에서 망막 혈관생성 저해



# Therapeutics\_ *IN VIVO*\_간 (Liver) Program - B형 혈우병

“단백질 대체 치료”를 대체하는 완치형 유전자교정 치료제

단백질/효소 대체 치료제 시장

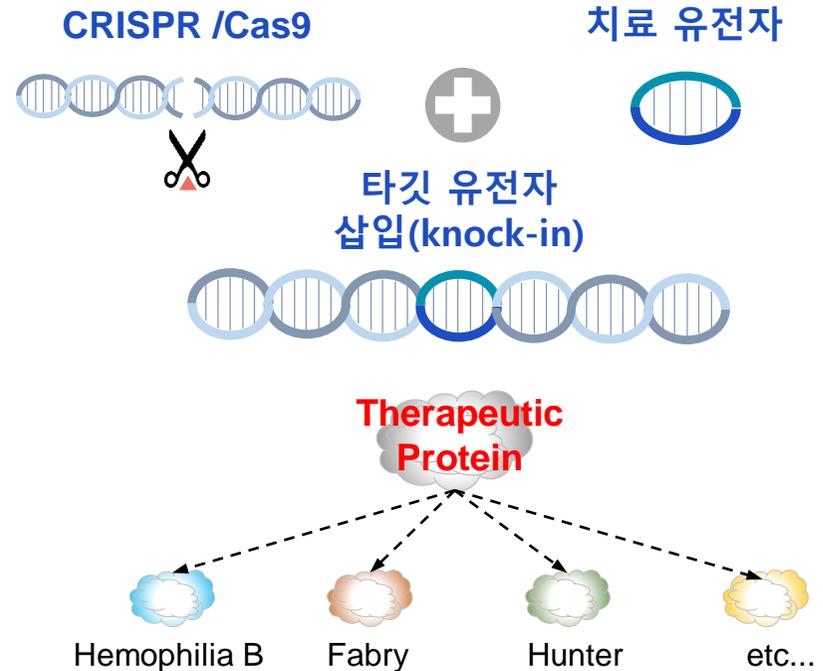


**Hemophilia B**  
(혈우병 B)

- 전 세계 환자 : 287,000
- 시장 : > 18억 달러

**Lysosomal Storage Disease**  
(리소좀 축적질환)

- 전 세계 환자 : 30,000~50,000
- 시장 : > 40억 달러



확장가능한 플랫폼

# Therapeutics\_ *IN VIVO*\_ 신경 (Neuro) Program - CMT1A

- CMT는 가장 흔한 유전병(1:2500) / 140만명의 CMT1A환자
  - 승인된 치료제 전무

\*CMT : Charcot-Marie-Tooth



# GreenBio\_농업 분야의 적용 기회

## 기술적 혁신성과 규제 환경이 만들어내는 독특한 사업환경

### 규제 관련 장점

- Non GMO

MAR 31, 2018 11:12 AM PDT



USDA Will not Regulate Crops Edited by CRISPR

WRITTEN BY: Carmen Leitch

### 기회 창출

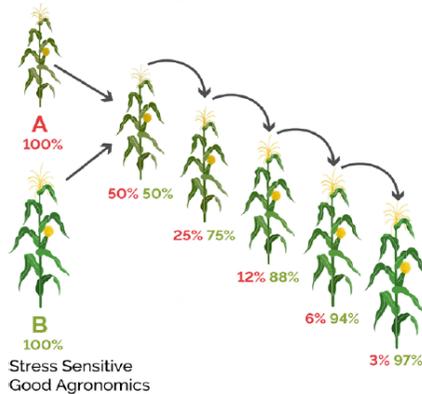
- 개발 기간 및 비용 절감  
(13year/>100M to 3~6 years)
- 작은 회사들을 위한 실현가능한 BM

### 사업 전략

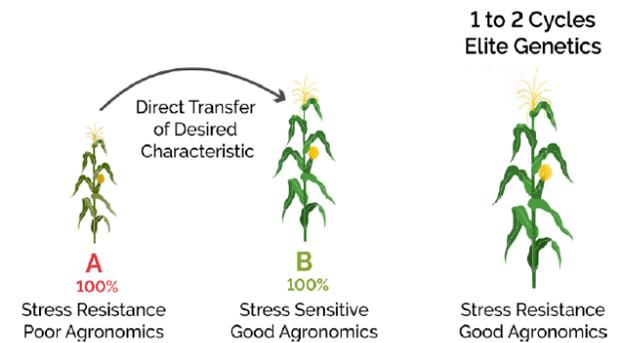
- License out
- Collaboration
- JV

### 전통적 육종법

Stress Resistance  
Poor Agronomics



### 유전자교정 육종법



## GreenBio 사업화 확장 전략



### GreenBio business items

- **Solive** : 올리브 기름보다 높은 Oleic acid(올레인산) 함량
- **FIT Pig** : 특정 유전자발현 제거 → 생산성과 육류 품질 향상

### 사업 기반 확장 전략 → 국내외 다양한 기업과 MOU 체결

- Plant sector : **Nexgen plants**(Australia), **Danziger**(Israel) etc
- Animal sector : **MK Biotech** (Korea), **Orient Bio**(Korea) etc

# GreenBio\_ Leadership



**한지학**  
Ph.D.  
종자연구소 소장

- 美럿거스대 식물분자생물학 박사
- 100여건 이상의 논문/특허/저서/수상

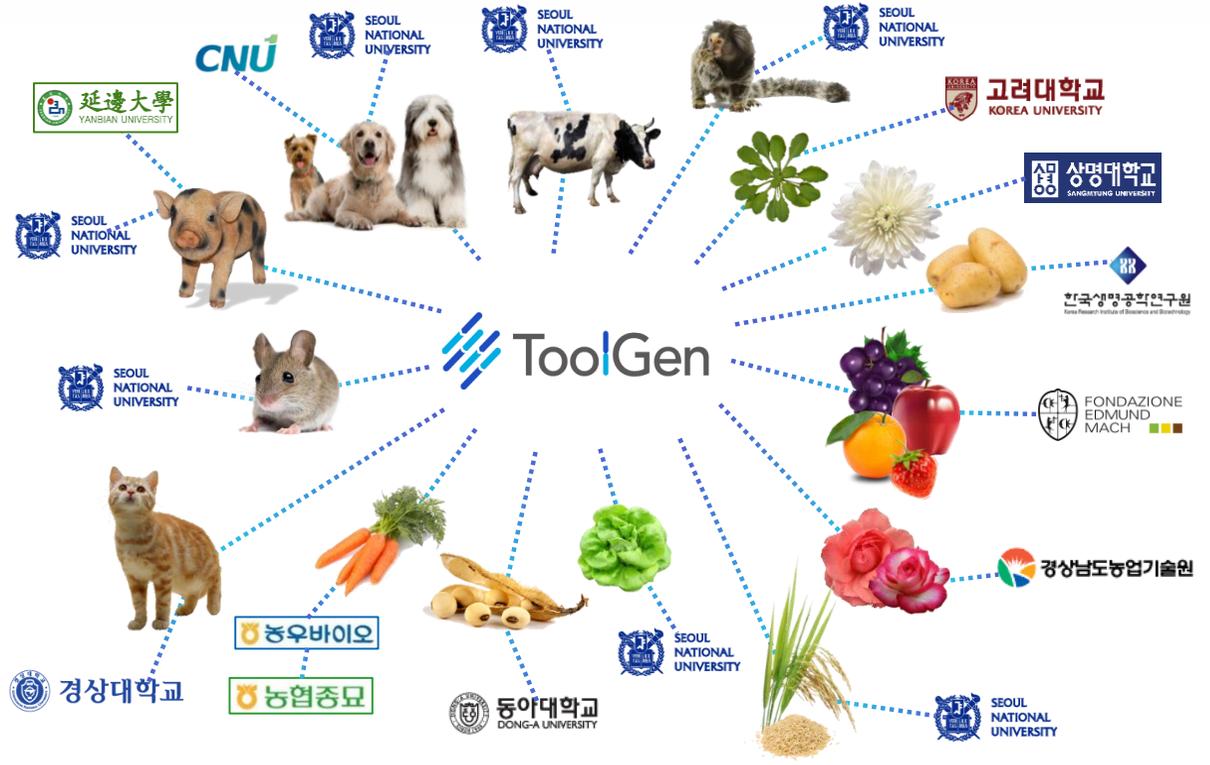
前) ㈜농우바이오 R&D본부장  
국내외 8개 이상 학회 임원  
10여개 이상 정부 자문위원



**구옥재**  
DVM, Ph.D.  
그린바이오 사업부장

- 서울대학교 수의학 박사
- 美국립보건원 (NIH)

前) 삼성전자 종합기술원



# GreenBio\_ 중국 Joint venture 설립

## 중국 시장 사업기반 마련

### Genovo Bio

- 기술고문 : 중국과학원 Caxia Gao Ph.D.  
→ 식물분야 유전자교정의 세계적인 권위자
- 유전자교정 작물개발 전문기업  
→ 옥수수, 밀, 쌀 등 주요 경제 작물들의 연구개발

### Business Strategy

- Step1. 유전자교정 제품의 중국시장 진출
- Step2. 유전자교정 기술을 활용한 다양한 종자 개발
- Step3. 육종사업으로 확장

Jin-soo Kim Ph.D.  
(Science Stars of East Asia ; Nature, 2018)



 ToolGen  
Editing “tools/IP”



Caxia Gao Ph.D.  
(Science Stars of China; Nature, 2017)



Genovo Bio  
Editing “industrial crops”

Joint venture  
“Genstorm”

# Appendix\_ Company profile

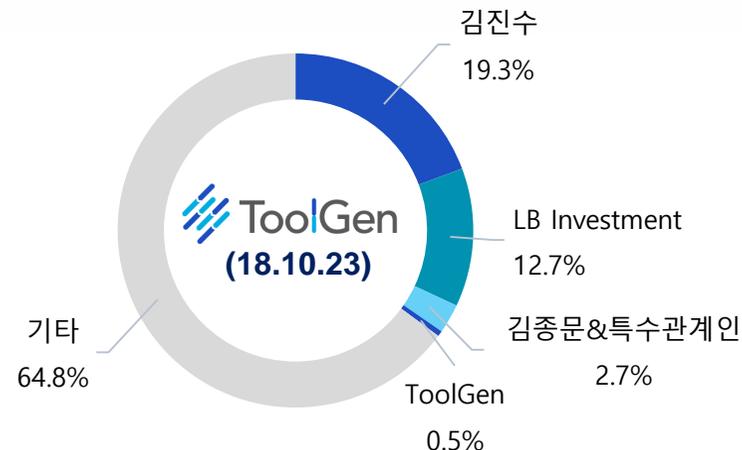
## ➤ Information

설립일	1999.10.08
본사 위치	서울특별시 금천구 가산디지털1로 219 (가산동, 벽산디지털밸리 6차) 1204호
직원수	52명
KONEX	199800: KS ToolGen Inc (2014.06)
기준 주가	92,000원
52주 주가	38,000원 – 173,700원*
시가총액	5,922억원*
2017 매출	33억원 (CRISPR reagents/licensing)
Cash Balance**	37,513백만원

\* As of October, 23<sup>th</sup> / \*\*, 2018

\*\*Cash Balance = Cash + Cash equivalents / As of June, 30<sup>th</sup>, 2018

## ➤ Shareholders



구분	보유 주식수	지분율(%)
최대주주(김진수)	1,243,345	19.32
특수관계인(임원 포함)	172,318	2.68
자기주식	32,500	0.50
<b>소 계</b>	<b>1,448,163</b>	<b>22.50</b>
5%이상 주주(LB)	814,806	12.66
유통주식수	4,173,830	64.84
<b>총 발행주식수</b>	<b>6,436,799</b>	<b>100.00</b>

# Appendix\_ Financial statement

## ➤ Balance sheet

(단위: 백만원)	1H'18	2017	2016
<b>자산총계</b>	<b>44,087</b>	<b>15,161</b>	<b>18,278</b>
유동자산	38,146	9,233	14,266
비유동자산	5,941	5,928	4,012
<b>부채총계</b>	<b>3,610</b>	<b>2,173</b>	<b>1,393</b>
유동부채	3,469	1,781	584
비유동부채	141	392	809
<b>자본총계</b>	<b>40,477</b>	<b>12,988</b>	<b>16,886</b>
자본금	3,218	2,918	2,905
기타불입자본	59,651	28,554	27,656
결손금	(22,393)	(18,484)	(13,676)

## ➤ Income statement

(단위: 백만원)	1H'18	2017	2016
<b>매출액</b>	<b>706</b>	<b>3,338</b>	<b>1,540</b>
매출원가	208	436	658
매출총이익	497	2,902	882
판관비	4,627	6,965	3,614
<i>연구개발비</i>	<i>1,414</i>	<i>1,456</i>	<i>1,381</i>
<b>영업이익</b>	<b>(4,130)</b>	<b>(4,063)</b>	<b>(2,732)</b>
법인세차감전순이익	(3,806)	(4,023)	(3,143)
<b>당기순이익</b>	<b>(3,806)</b>	<b>(4,343)</b>	<b>(3,017)</b>
총포괄이익	(3,908)	(4,809)	(3,072)
주당순이익(원)	-604	-747	-551

