



Accelerate Drug Development  
using Oligonucleotides



**OliX**  
Pharmaceuticals

Investor Relations 2018

# Disclaimer

본 자료는 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보제공을 목적으로 올릭스 주식회사 (이하“회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 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 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 한국채택국제회계기준에 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’, ‘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 미래실적은 “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 변경될 수 있으며, 개별의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

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

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



# Contents

Prologue

Chapter 1. Company Overview

Chapter 2. Core Technology

Chapter 3. Pipeline

Chapter 4. Growth Potential

Appendix

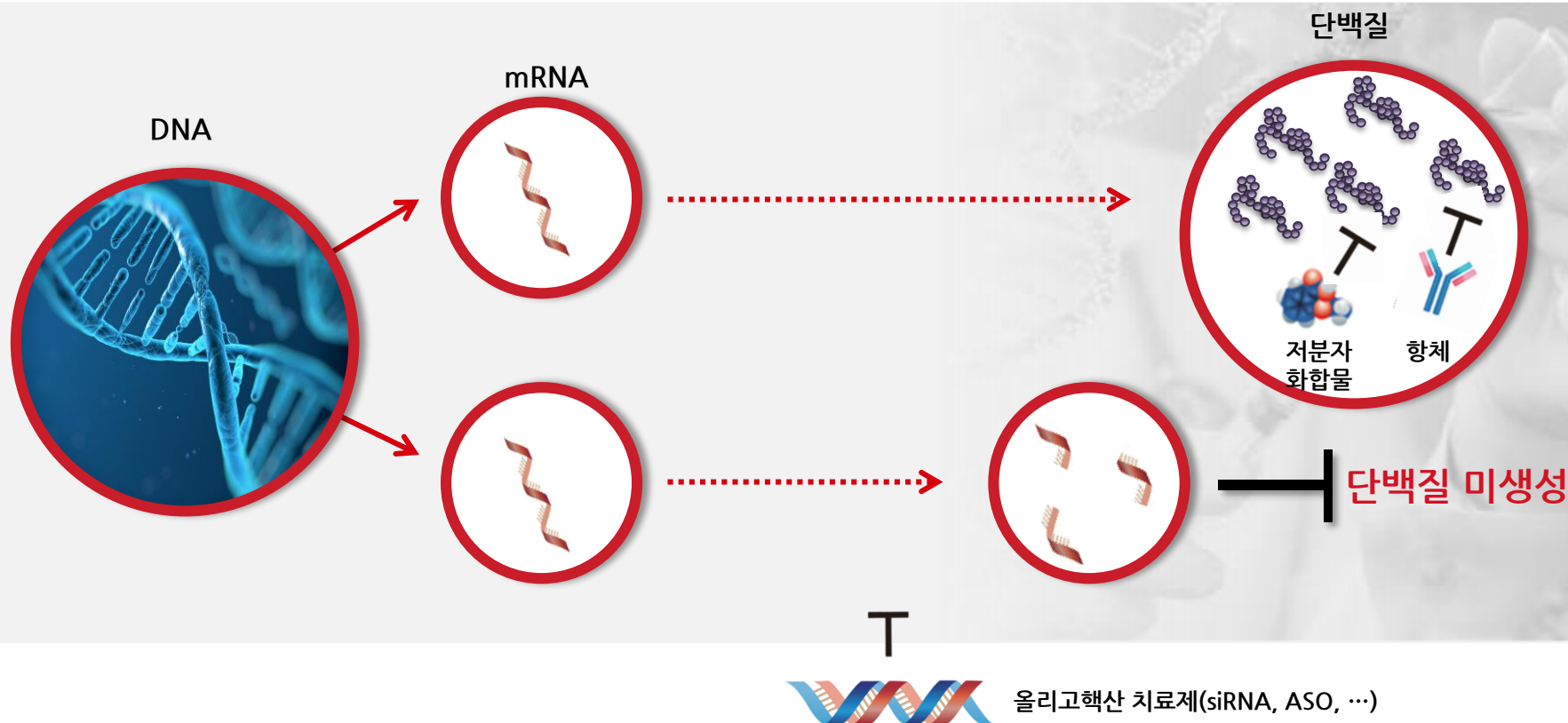


# Prologue

1. 신약개발 기술별 작용기전
2. 신약개발 기술별 접근성 (Druggability)
3. RNA 간섭기술이란?
4. Corporate Identity

# 1. 신약개발 기술별 작용기전

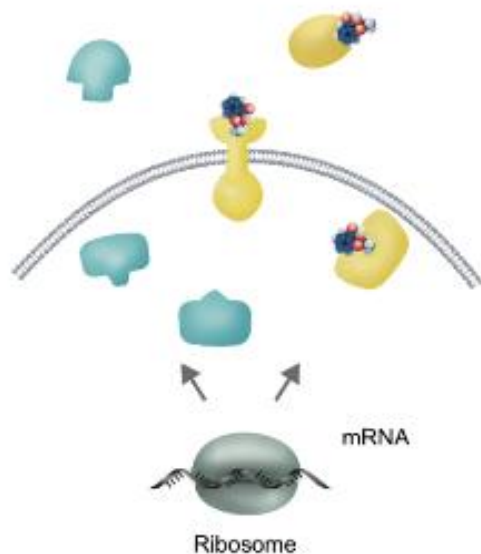
저분자화합물(1세대), 항체(2세대) 신약 개발 기술의 경우 생성된 단백질에 작용  
올리고 핵산(3세대) 신약 개발 기술의 경우 단백질 생성 전 단계에서 작용



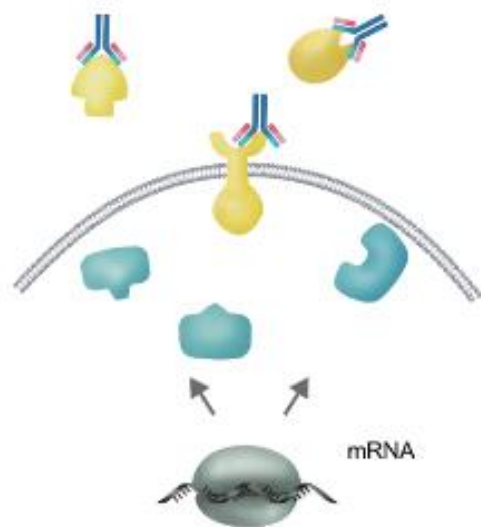
## 2. 신약개발 기술별 접근성 (Druggability)

저분자화합물 치료제: 활성자리가 있는 표적 단백질만 공략가능  
항체 치료제: 세포막이나 세포 외부에 존재하는 표적 단백질만 공략가능  
올리고핵산 치료제: 염기서열 변화로 간단하게 모든 표적 단백질 공략가능

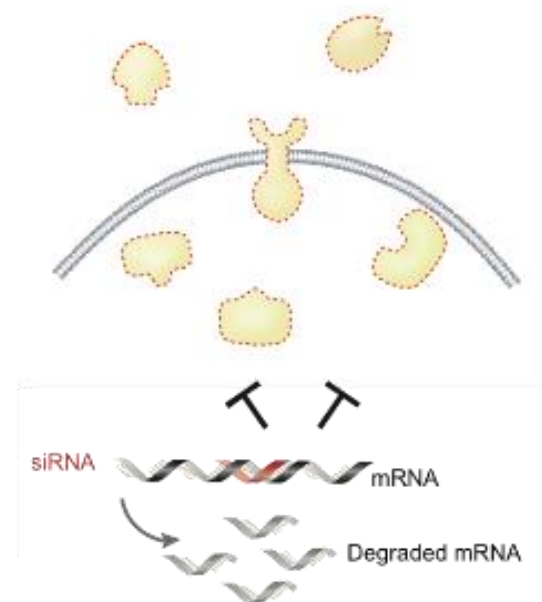
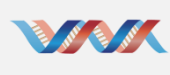
**1세대**  
저분자화합물 치료제



**2세대**  
항체 치료제



**3세대**  
올리고핵산 치료제

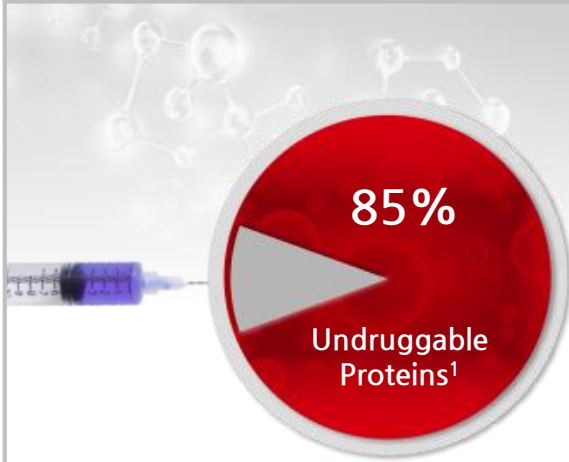


● 접근가능 단백질    ● 접근불가능 단백질

### 3. RNA 간섭기술이란?

RNA 간섭기술은 제 3세대 신약개발 기술인 올리고 핵산 기술로서  
모든 질병 단백질에 대해 접근 가능하고 효율적으로 질병 유전자 발현 억제 가능

1, 2세대 신약개발 기술  
(저분자화합물 치료제, 항체 치료제)



- ▶ 생성된 질병 관련 단백질에 결합하여 작용
- ▶ 대상 단백질의 형태 또는 위치에 따라 공략이 불가능한 단백질(undruggable target) 존재
- ▶ 신약 후보물질 도출기간 3~5년

제 3세대 신약개발 기술 - 올리고 핵산 치료제



- ▶ 화학적으로 합성된 DNA 또는 RNA 등 올리고 핵산을 치료제로 이용
- ▶ 단백질 생성 이전 단계인 mRNA<sup>2</sup>에 작용
- ▶ 질병 유발 단백질의 생성을 특이적으로 억제하여 Undruggable Target에 대한 신약 개발 가능
- ▶ 신속한 신약 후보물질 도출 가능

RNA 간섭 기술

siRNA (RNA간섭 물질)



(이중가닥 짧은 간섭 RNA)

- ▶ 올리고 핵산 치료제 중 가장 효율적으로 유전자 발현 억제
- ▶ 원천특허 및 세포내 전달기술 확보기업 중심으로 신약개발 진행 중
- ▶ 2018년 미국 FDA 첫 신약 승인 (Alnylam)

주1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

Undruggable Target: 기존 치료제 및 신약으로 접근할 수 없었던 질환영역

주2) mRNA(Messenger RNA): 전령 RNA, DNA를 주형으로 하여 생성되며, 염기서열을 바탕으로 번역 과정을 통해 단백질 생성

## 4. Corporate Identity

**자체 개발 siRNA 플랫폼 기술을 바탕으로**  
**의학적 미충족 수요가 큰 다양한 난치성 질환에 대한 혁신신약 개발**

자체 개발 RNA 원천 기술 플랫폼을 기반으로 **임상에 진입한 국내 유일 / 아시아 최초 기업**



### 비대칭 siRNA 구조기술

기존 siRNA의 문제점을 개선한  
신규 **비대칭 siRNA** 구조에 대한 원천 특허 보유



### 자가 전달 기술

RNA 간섭 치료제 개발의 최대 걸림돌인 세포 내 전달 문제를  
해결한 **자가전달 비대칭 siRNA** 원천 기술 보유



### 국소투여 질환 중심 개발전략

당사의 기술적 강점을 가장 잘 살릴 수 있으며, 전신전달 투여시  
발생할 수 있는 리스크를 회피할 수 있는 **국소 투여 질환에 집중**



# 01

## Company Overview

1. 회사개요
2. 성장연혁
3. 경영진의 신약개발 전주기적 역량
4. Scientific Advisory Board

# 1. 회사개요

## 자체 개발 RNA간섭 플랫폼 원천기술 기반 난치성 질환 치료제 개발

### ■ 일반 현황

|         |                                                         |
|---------|---------------------------------------------------------|
| 회 사 명   | 올릭스 주식회사                                                |
| 대표이사    | 이 동 기                                                   |
| 설 립 일   | 2010년 2월 26일                                            |
| 본 사     | 경기도 수원시 영통구 이의동 에이스광교타워1, 1014호                         |
| 임 직 원 수 | 총 40명 <sup>1)</sup> (30 in R&D)<br>- 박사급: 10명, 석사급: 20명 |
| 주 요 사 업 | RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발                              |
| 홈페이지    | www.olixpharma.com                                      |

주1) 임직원 수는 2018.08.31 기준임.

### ■ 경영진 소개



#### 이 동 기 대표이사

- '15~現 올릭스(주) CEO
- '08~現 성균관대학 화학과 교수
- '04~'08 포항공과대학 화학과 조교수
- '94~'99 Cornell University 생화학 박사
- '89~'93 KAIST 화학과 학사

### ■ 주요 이력

**1**

2004년부터 RNA간섭 치료제 관련 원천기술 개발

**2**

Cell, Nature 저널 등 논문 80편 발표, 국내외 특허 11건 등록

**3**

자체 개발한 원천기술의 이전을 통해 올릭스 주식회사 창업

## 2. 성장연혁

### 다년간의 연구성과 기반, 축적된 파이프라인의 글로벌 시장 진출 발판 마련

#### 기반기술 확립

##### ▶ 2010년

- 02 비앤티(썬) 설립
- 03 비대칭 siRNA 전용실시권 획득
- 09 벤처기업 인증 (기술보증기금)

##### ▶ 2011년

- 06 긴비대칭 siRNA 전용실시권 획득
- 10 기업부설연구소 인증
- 12 자가전달 siRNA 기술개발 및 신약개발 개시

##### ▶ 2012년

- 11 가산디지털단지 연구소 설립 및 본사 이전

#### Pipeline 구축

##### ▶ 2013년

- 05 자가전달 비대칭 siRNA 기술 특허출원
- 11 비대칭 치료제 기술이전 (휴젤, 대상지역: 아시아)

##### ▶ 2014년

- 08 Series A 투자유치
- 09 특발성 폐섬유화 치료제, '한-싱가포르 R&D 사업' 선정 (보건복지부)
- 10 올릭스(썬)로 사명 변경
- 11 비대칭 치료제, '범부처전주기신 약개발지원사업' 주관기업 선정

##### ▶ 2015년

- 04 아토피 치료제, 기술개발지원사업 선정 (중소기업청)
- 06 전략적 투자유치(휴젤)

#### 임상시험 진입

##### ▶ 2016년

- 03 미백물질 국제화장품원료집 등재
- 07 비대칭 치료제 논문 JID 게재
- 12 대표이사 보건복지부장관 표창

##### ▶ 2017년

- 01 수원(광교) 신사옥 입주
- 01 OLX101 국내 임상시험 승인
- 02 핵산안센터 개소
- 05 긴비대칭 siRNA 미국특허등록
- 06 수석부사장 식약처장 표창
- 10 기술성평가 통과 (A, A)

#### 글로벌 임상시험 진입

##### ▶ 2018년

- 05 OLX101 국내 임상1상 종료
- 05 OLX101 영국 임상시험 승인
- 05 일동제약과 항반변성 신규 치료제 공동연구개발 협약



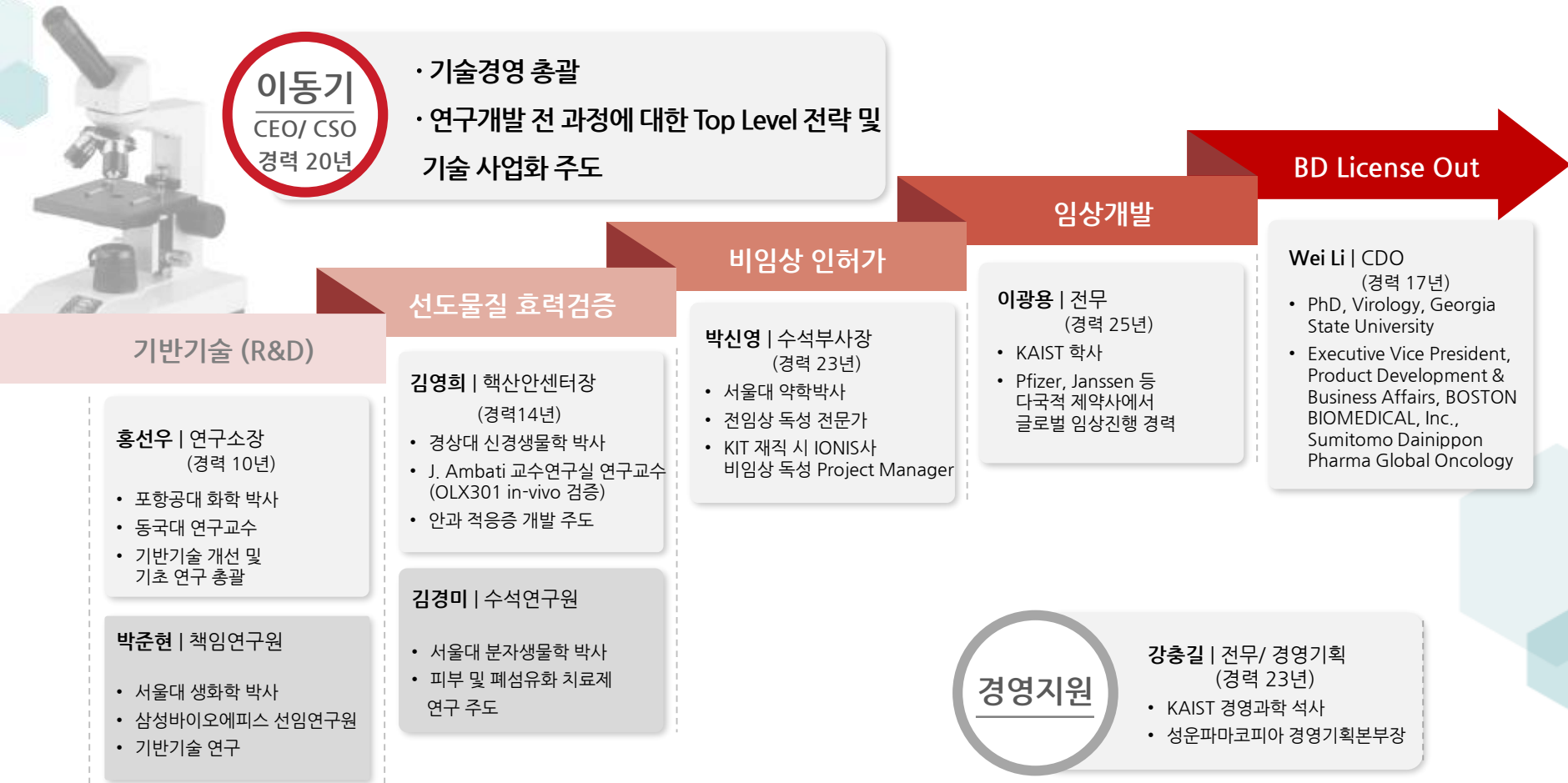
올릭스 원천기술  
연구이력

- 2011 \_ 자가전달 비대칭 siRNA 기술 연구
- 2010 \_ 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록
- 2010 \_ 긴 비대칭 siRNA 구조기술 특허출원
- 2009 \_ 비대칭 siRNA 구조기술 국제 저널 논문발표 (Molecular Therapy)
- 2007 \_ 비대칭 siRNA 구조기술 특허출원
- 2004 \_ RNA 간섭 기술 연구 (포항공대, 성균관대)



### 3. 경영진의 신약개발 전주기적 역량

R&D 및 임상시험, 사업화 영역 등 모든 단계별 전문인력으로 구성



# 4. Scientific Advisory Board

세계적 석학으로 구성된 과학기술자문단이 R&D, 임상 개발 및 기술사업화 자문

기술사업화 자문

적응증별 자문

기반기술 자문



John Lis

Gene Expression,  
Oligotherapeutics

- Distinguished Professor, Cornell University
- Member, National Academy of Sciences



Mark Kay

Gene therapy,  
RNAi Therapeutics, miRNA

- Distinguished Professor, Stanford University, School of Medicine

피부질환



Samir  
Mitragotri

Skin biology,  
Transdermal delivery

- Professor, Harvard University

안구질환



Jayakrishna  
Ambati

Ophthalmology  
(Macular Degeneration)

- Professor, Vice Chair for Research and Director of the center for Advanced Vision Science at Univ. of Virginia, School of Medicine



Ekkehard  
Leberer

Oligotherapeutics,  
Biopharmaceuticals

- Senior Director, R&D Alliance Management, Sanofi Scientific Managing Director, COMPACT Consortium, Innovative Medicine Initiative

## 4.1 Scientific Advisory Board

### 5<sup>th</sup> International Conference on RNAi Therapeutics





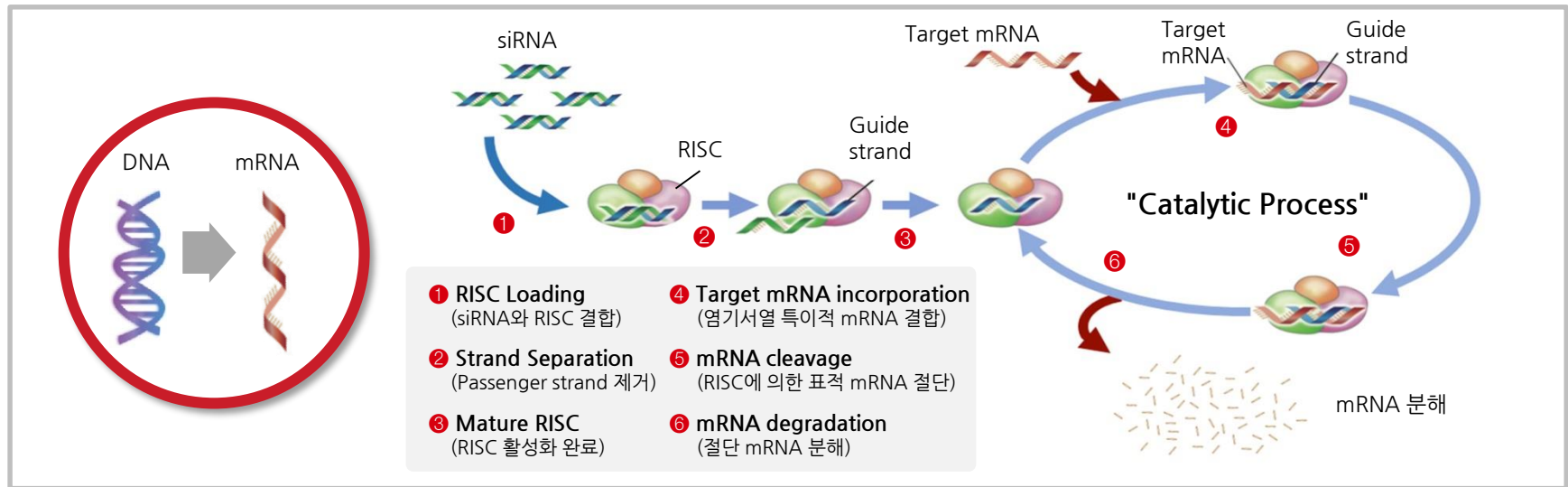
# 02

## Core Technology

1. RNA 간섭 치료제란?
2. 기존 RNA 간섭기술의 한계점
3. 자가전달 비대칭 siRNA (cp-asiRNA)
4. cp-asiRNA: 효과적인 표적유전자 억제
5. 핵심특허 현황

# 1. RNA 간섭 치료제란?

## RNA간섭기술: 현실화된 가장 강력한 올리고 핵산 기술



1998년 최초 RNA 간섭현상 규명  
2006년 노벨 생리학 / 의학상 수상



기존의 신약기술로 표적 불가능한  
"Undruggable Target" 신약 개발 가능



RNA간섭치료제 첫 FDA 승인  
(미국 Alnylam 사, 2018년 8월)



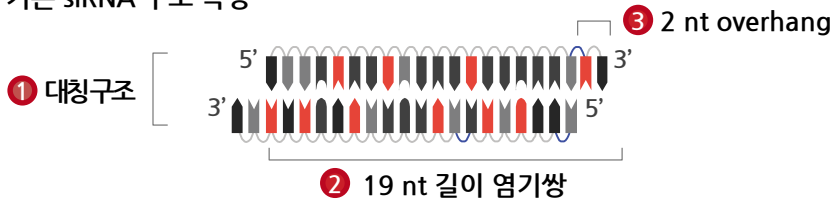
하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한  
신약물질 단기간 제작 가능

주1) RISC(RNA-induced silencing complex): siRNA와 결합하여 표적 mRNA를 인식, 절단하는 단백질 복합체

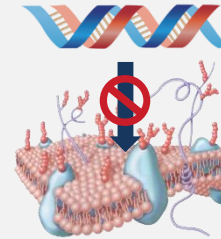
## 2. 기존 RNA 간섭기술의 한계점

### 기존 siRNA 구조적 단점으로 부작용 및 세포 내 전달 이슈 존재

#### ■ 기존 siRNA 구조 특징



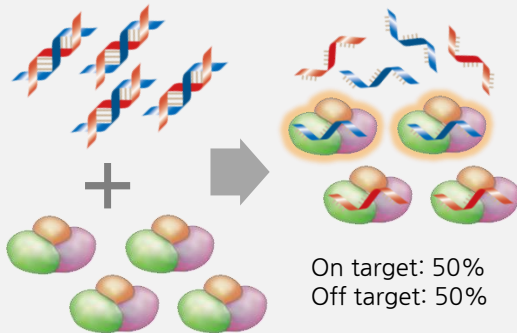
세포 내  
전달  
이슈



siRNA는 음전하를 띄어 세포막 투과 어려움

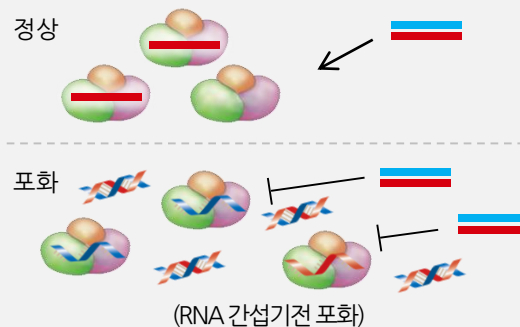
부작용

#### 원하지 않는 유전자 억제



- 대칭구조로 인한 Passenger 가닥 활성
- 표적 유전자 외 유전자(오프타겟 유전자) 억제 발생

#### 정상적인 세포 내 활동 방해

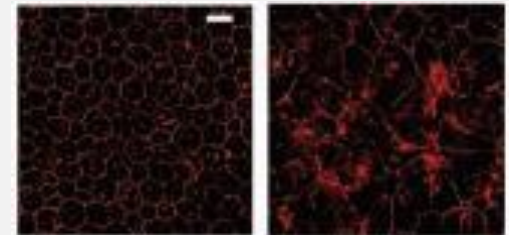


- 도입된 siRNA에 의해 세포내 RNA 간섭 기전 포화
- siRNA 간섭 기전을 통한 정상적인 유전자 발현 조절 기능 상실

#### 면역독성으로 망막세포 손상

정상 망막조직

독성발현 망막조직



- 기존 기술 siRNA에 의한 생체 내 면역 반응 활성
- 과도한 면역 반응에 의한 면역 독성 발생

※ 출처: Mol Ther. 2009 Apr;17(4):725-32 Mol Cells. 2011 Dec;32(6):543-8

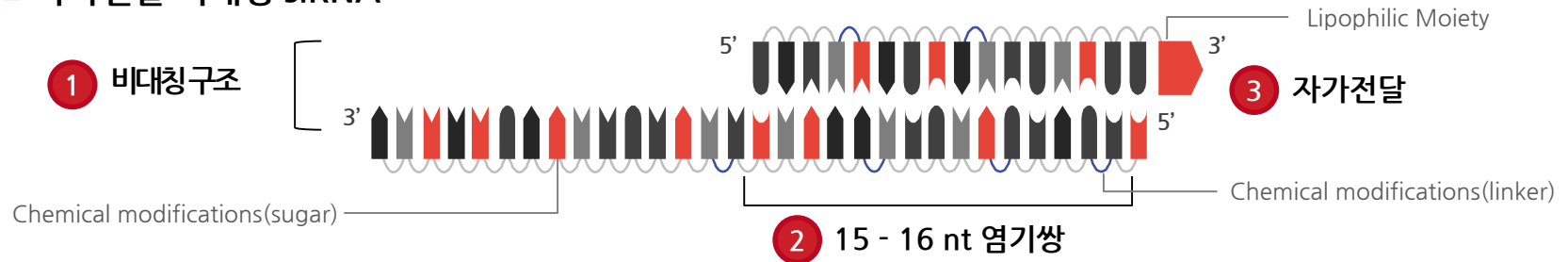
※ 출처: Biochem Biophys Res Commun.'08 Feb 29;367(1):78-83 Biochem Biophys Res Commun.2010 Jul 16;398(1):92-7

※ 출처: Nature. 2008 Apr 3;452(7187):591-7 Mol Ther. 2012 Jan;20(1):101-8

### 3. 자가전달 비대칭 siRNA (cp-siRNA)

기존 siRNA 치료제의 부작용 획기적 개선 및 세포 내 전달 이슈 극복

#### ■ 자가전달 비대칭 siRNA



비대칭 및 15 - 16nt의 짧은 염기쌍



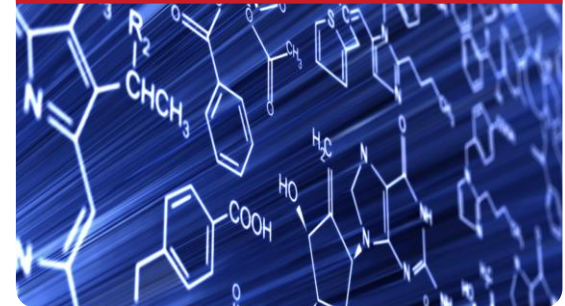
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

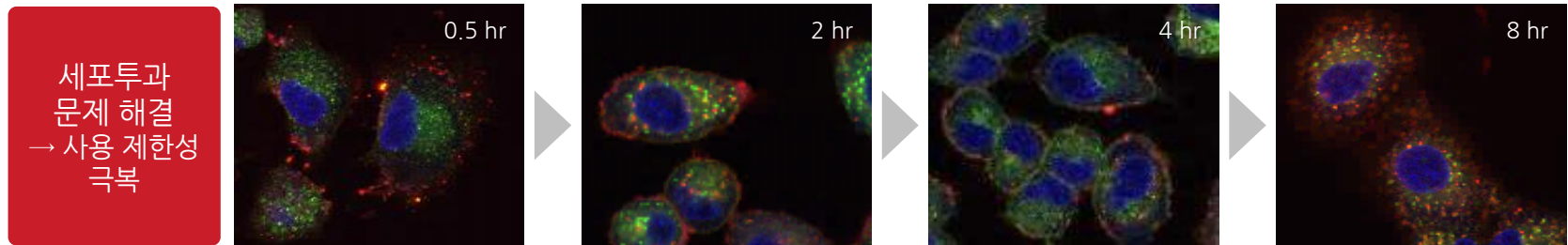
간단한 화학적 변형 도입



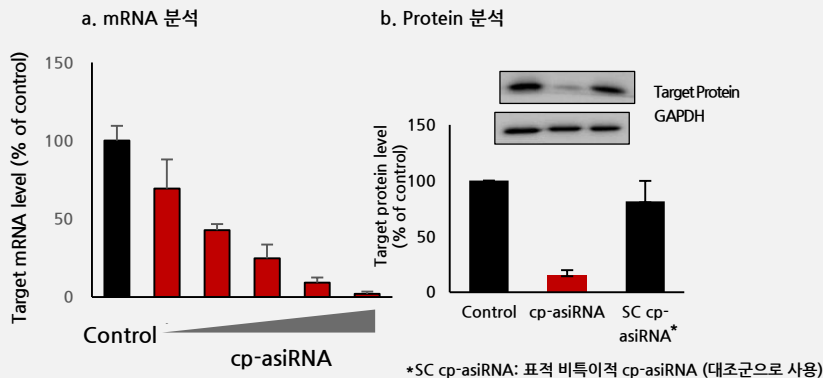
대량합성 / 분석 용이

# 4. cp-asiRNA: 효과적인 표적유전자 억제

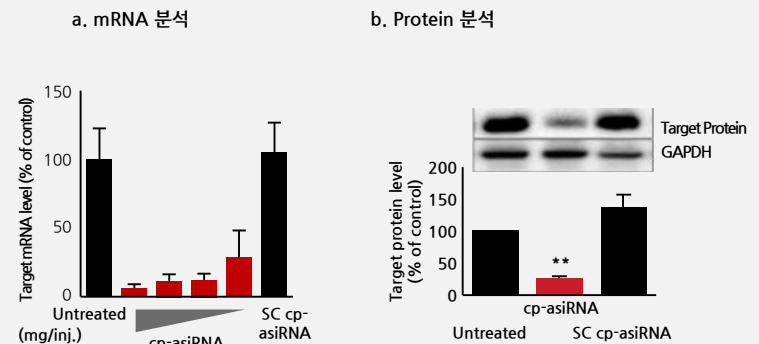
별도 전달체 없이 세포막 투과 및 탁월한 표적유전자 억제효과 확인



## In vitro data (세포주 분석)



## In vivo data (rat skin)



## 5. 핵심특허 현황

### 플랫폼 기술 관련 해외 주요 국가 등록 완료 및 등록 진행 중

#### ■ 비대칭 siRNA (asiRNA)

| Country   | Status | Patent No.      |
|-----------|--------|-----------------|
| Korea     | 등록     | 10-0949791      |
| Europe    | 등록     | 2222848         |
| Japan     | 등록     | 5624474         |
| China     | 등록     | ZL 200880126981 |
| Australia | 등록     | 2008339215      |
| USA       | 출원     |                 |

#### ■ 긴 비대칭 siRNA (lasiRNA)

| Country | Status | Patent No. |
|---------|--------|------------|
| Korea   | 등록     | 10-1328568 |
| Japan   | 등록     | 5795072    |
| USA     | 등록     | 9637742    |
| China   | 승인     |            |
| Europe  | 출원     |            |
| Canada  | 출원     |            |

#### ■ 자가전달 비대칭 siRNA (cp-asiRNA)

| Country | Status | Patent No.     |
|---------|--------|----------------|
| Korea   | 등록     | 10-1567576     |
| Japan   | 등록     | 6139671        |
| China   | 등록     | CN 104755620 B |
| USA     | 등록     | 14403121       |
| Europe  | 출원     |                |

“각각의 치료제 프로그램 관련  
별도의 특허출원 및 등록 진행 중”



# 03

## Pipelines

1. 신약 개발 전략: 국소투여 집중
2. 비대흉터 치료제 (OLX101)
3. 특발성 폐섬유화 치료제 (OLX201A)
4. 노인성 황반변성 치료제 (OLX301A, D)

# 1. 신약 개발 전략: 국소투여 집중

## RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 국소투여 질환 대상 치료제 개발

| 적응증 분야                                                                                             | 프로그램    | 적응증                | Research       |                  | Development        |      |      | 기술이전/<br>Co-Developer |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|--------------------|----------------|------------------|--------------------|------|------|-----------------------|
|                                                                                                    |         |                    | Lead Selection | Proof of Concept | Pre-clinical Study | 임상1상 | 임상2상 |                       |
|  SKIN             | OLX101  | 비대흉터               |                |                  |                    |      |      | 휴젤(지역: 아시아)           |
|                                                                                                    | OLX103  | 아토피                |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX104  | 탈모                 |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX106  | 당뇨병성 족부궤양          |                |                  |                    |      |      |                       |
|  EYE              | OLX301A | 건성 황반변성 및 습성 황반변성  |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX301D | 망막하 섬유화증 및 습성 황반변성 |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX301G | 습성 황반변성            |                |                  |                    |      |      | 일동제약                  |
|  LUNG            | OLX201A | 특발성 폐섬유화           |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX201C | 특발성 폐섬유화           |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX202  | 천식                 |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX203  | 독감                 |                |                  |                    |      |      |                       |
|  Others         | OLX401  | 신경병성통증             |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX701  | 간섬유화               |                |                  |                    |      |      |                       |
|  Cosme-ceutical | OLX102  | 미백                 |                |                  |                    |      |      |                       |
|                                                                                                    | OLX105  | 주름                 |                |                  |                    |      |      |                       |

- ▶ 특정 조직/장기에 대한 전달 기술 불필요
- ▶ 전신 노출 최소화로 독성 및 부작용으로 인한 실패 확률 감소
- ▶ 저비용 단기간에 다수의 신약 개발 전략

## 2-1. 비대흉터치료제(OLX101) 현황

### 외과수술 및 사고 등으로 진피층 손상시 높은 비율로 비대흉터 발생 - 기존 치료법의 한계로 Unmet Medical Needs 존재

#### ■ 비대흉터란?



##### 비대흉터 (Hypertrophic Scar)

- 외과적 수술·외상 후 진피층의 콜라겐이 과다하게 증식하여 비대한 흉터 생성
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인
- 외과 수술 환자 중 39~68%가 비대 흉터 발병



##### 켈로이드 (Keloid)

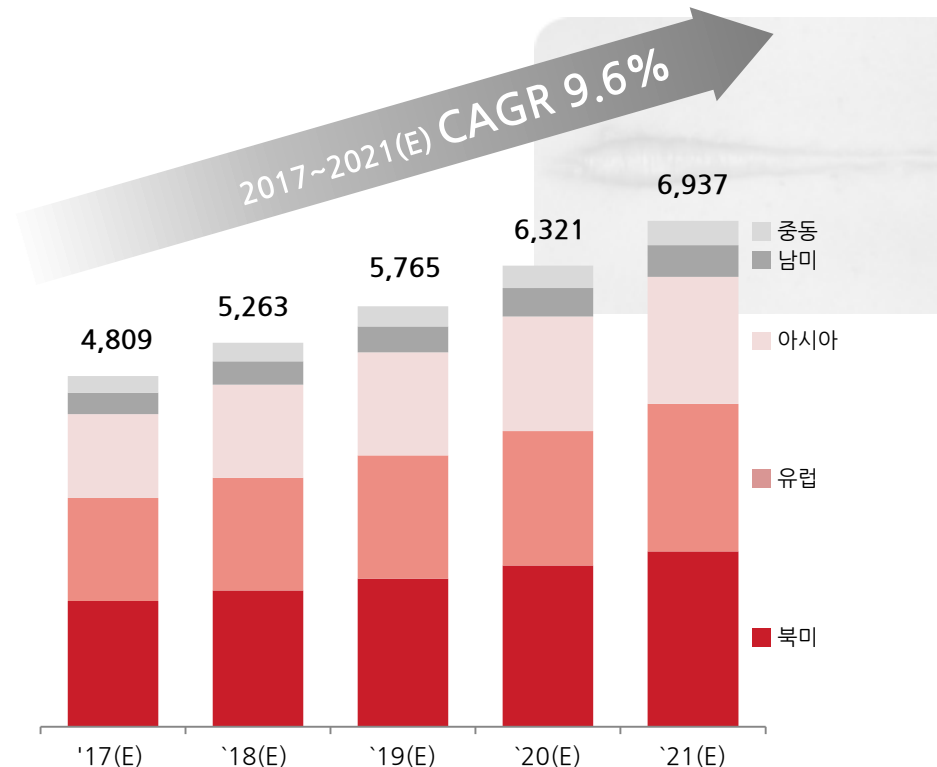
- 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

#### ■ 기존 치료법의 한계

| 기존 치료법   | 한계 및 Unmet Needs                          |
|----------|-------------------------------------------|
| 실리콘 시트   | · 효과 불확실 및 순응도 문제<br>· 장기간 (6개월~1년) 치료 필요 |
| 물리적 압박요법 | · 작용 기전 및 효과 불확실<br>· 장기간 (6개월~1년) 치료 필요  |
| 스테로이드 주사 | · 높은 재발율 (9~50%), 전신 독성 위험                |
| 외과적 수술법  | · 높은 재발율 (>50%), 통증동반                     |

#### ■ 글로벌 비대흉터 / 켈로이드 흉터 시장 전망

(단위 : 백만 USD)



※ 출처: Grand View Research 2017

## 2-2. OLiX101: 비임상 효력 확인

### 자체 개발 RNA간섭기술 플랫폼과 검증된 표적 유전자를 통해 우수한 효력 확인

#### ■ 치료제 개요

| 표적 단백질            | 물질명      | 투여방법 | 진행상황                     |
|-------------------|----------|------|--------------------------|
| CTGF <sup>1</sup> | OLX10010 | 피내주사 | 국내 임상1상 종료<br>영국 임상1상 진행 |

#### 대상 환자

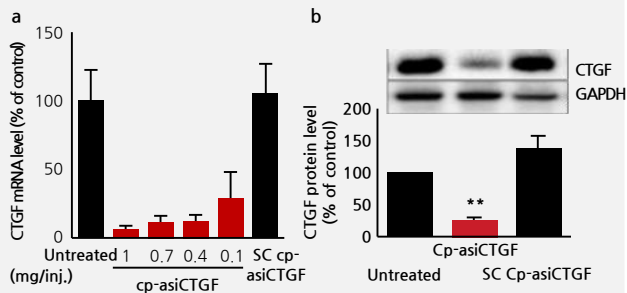
- ▶ 피부 진피층 손상 환자 (제왕절개 / 성형 등 수술환자 및 외상환자 등)
- ▶ 비대흉터 제거수술 환자

#### ■ 비임상 효력시험 결과

#### ■ 개발 경과

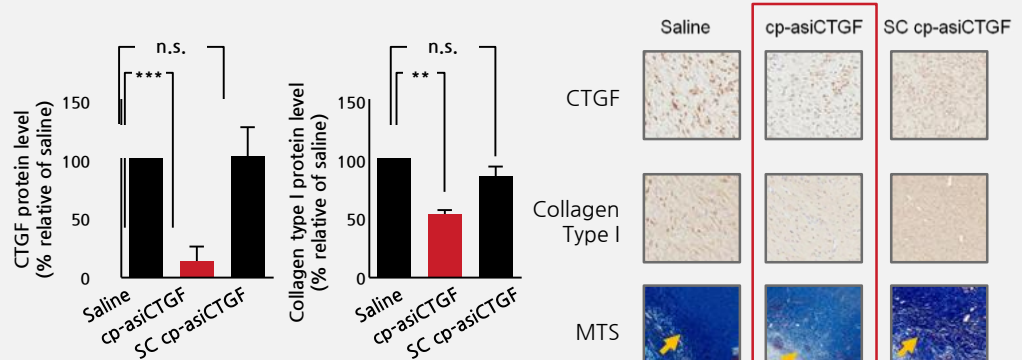
- 동물모델에서 효과적인 섬유화 억제 확인
- Journal of Investigative Dermatology 논문 발표(비임상 효력시험)
- 범부처전주기신약개발과제 선정 및 성공종료 (비임상 독성시험)
- 임상시험 진행 중

#### 표적 유전자 발현 억제 확인



- SD rat (n=3) / Intradermal injection (single)
- 24 h (mRNA), 48 h (protein) after injection

#### 효과적인 섬유화 억제 확인



※ 출처: J Invest Dermatol. 2016 Nov;136(11):2305-2313

주1) CTGF(Connective Tissue Growth Factor): 결합조직 생성인자, 연결 조직 성장 인자로 섬유화 촉진의 주요 인자

## 2-3. OLX101 국내임상1상시험 성공종료 및 영국임상1상계획

### 국내 임상

#### 일정

|             |                      |
|-------------|----------------------|
| 2017. 1. 23 | 1상 임상시험 IND 승인 (식약처) |
| 2017. 5. 17 | 서울아산병원 IRB 승인        |
| 2017. 8. 1  | 최초 투여                |
| 2018. 2. 12 | 최종 대상자 최종 방문         |
| 2018. 5. 14 | 임상시험결과보고서 (CSR)      |

#### 시험개요

- 의뢰기관: 휴젤(주)
- 디자인: 무작위 단일맹검 위약대조 1상연구
- 목적: 안전성, 약동학
- 용량: 1 - 10 mg
- 대상자 수: 4개 그룹 총 32명 (시험군 24명, 위약 8명)
- Reference: NCT03133130 (clinicaltrials.gov)

**임상1상 시험 종료 결과 유의한 안전성 이슈 없음**  
→ 2018년 하반기 임상2상 시험 진입 준비 중

### 해외 임상 (영국)

#### 일정

|              |                  |
|--------------|------------------|
| 2018. 3. 8   | 윤리위원회(EC) 승인     |
| 2018. 5.14   | MHRA CTA 검토 및 승인 |
| 2018. 6      | 최초 투여            |
| 2019. 2 (예상) | 최종대상자 최종 방문      |
| 2019. 5 (예상) | 임상시험결과보고서 (CSR)  |

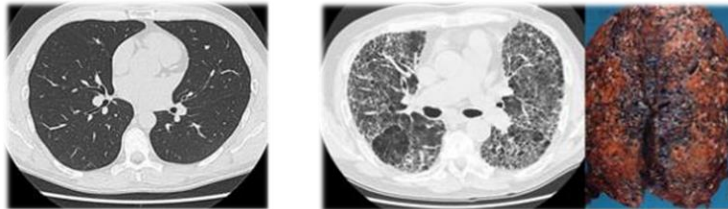
#### 시험개요

- 디자인: 무작위 부분이중맹검 단회 / 반복투여 위약대조시험
- 목적: 안전성, 약동학
- 용량: 1 - 20 mg
- 대상자수: 44명(단회투여 32명, 반복투여 12명)
- (재)범부처신약개발사업단 과제 선정 (미국 2상 IND 승인 목표)
- Reference: EudraCT No 2017-001675-23 and ISRCTN64317949

# 3-1. 특발성 폐섬유화 치료제(OLX201A) 현황

진단 후 3-5년 내 사망에 이르는 치명적 질환으로  
기존 신약의 효과가 제한적, 근본적 치료제 수요 증가 될 전망

## ■ 특발성 폐섬유화란?



건강한 폐

섬유화가 진행된 폐

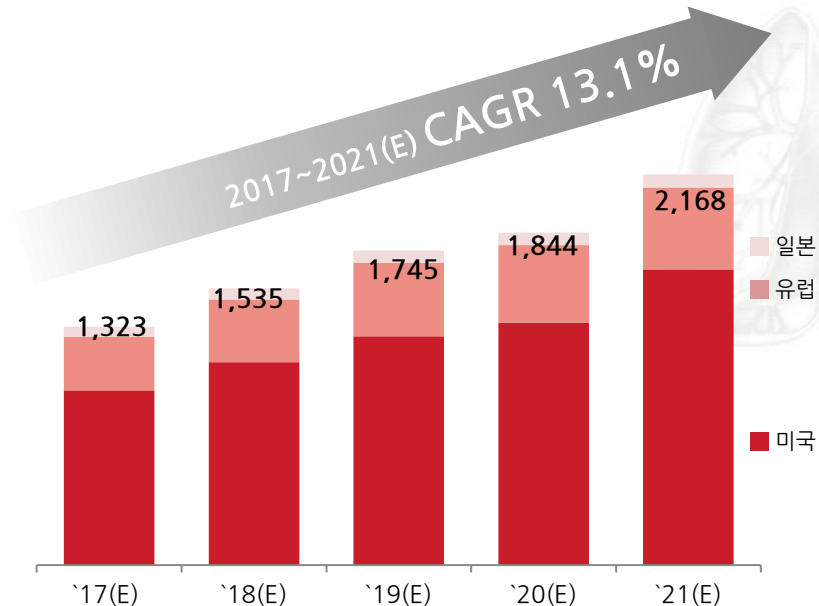
- 폐 조직 상피 세포에 지속적으로 상처 생성 및 섬유화와 염증반응 유발
- 만성적으로 진행되며 호흡 곤란을 특징으로 하는 질환
- 진단 후 3년 이내 50% 이상이 사망하며, 5년 생존율이 20~40%로 매우 낮음

## ■ 기존 치료법의 한계

| 기존 치료제                                            | 작용기전 및 Unmet Needs                                                                                                                                                       |
|---------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Esbriet</b><br>(Pirfenidone, Roche)            | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 종류: 저분자 화합물</li> <li>· 작용기전: TGF-β 및 TNF-α Inhibition</li> <li>· 부작용: 경구용 제제로서, 섬유화 진척 억제는 가능하나, 근본적 치료 불가/ 위장관계 부작용</li> </ul> |
| <b>Ofev</b><br>(Nintedanib, Boehringer Ingelheim) | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 종류: 저분자 화합물</li> <li>· 작용기전: RTK inhibitor</li> <li>· 부작용: 2014년 개발 약물로서, 기존 치료제 대비 효과 및 편의성 제한적 / 위장관계 부작용</li> </ul>          |

## ■ 글로벌 특발성 폐섬유화 치료제 시장 전망

(단위 : 백만 USD)



기존 치료제의 낮은 효력과 부작용으로 인하여 시장형성 초기  
=> 신규 치료제 개발에 따라 확대 예상

※ 출처: Global Data, 2016

## 3-2. OLX201A: 비임상 효력 확인

### 국제 공동연구를 통한 효력 검증 및 폐질환에 최적화된 제형연구 진행

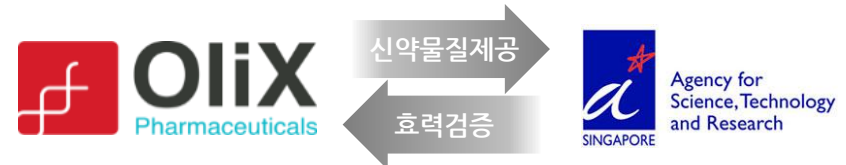
#### ■ 치료제 개요

| 흡입제형백질 | 물질명      | 투여방법 | 진행상황     |
|--------|----------|------|----------|
| CTGF   | OLX10010 | 흡입제형 | 비임상 독성시험 |

#### 대상 환자

- ▶ 비대흉터치료제(OLX101)와 같은 **cp-asiCTGF(OLX10010)** 사용
- ▶ OLX101 개발을 통해 확보한 전신 독성 자료 바탕으로 흡입독성만 추가하여 임상 진입 가능

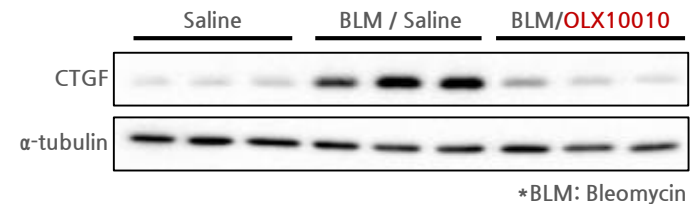
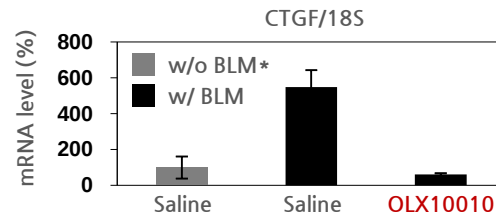
#### ■ 개발 경과



- ▶ 한국·싱가폴 국제 공동연구 과제 지원 수행
- ▶ 동물모델에서 탁월한 효력 확인 (논문 발표 준비 중)
- ▶ 흡입제형 개발 중

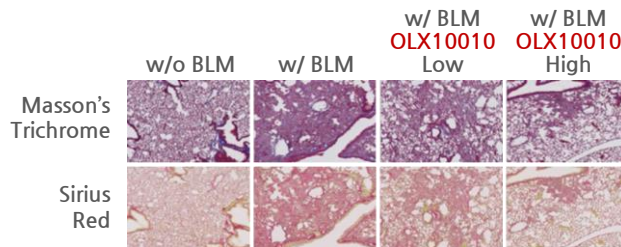
#### ■ 비임상 효력시험 결과

표적 유전자 발현  
억제 확인

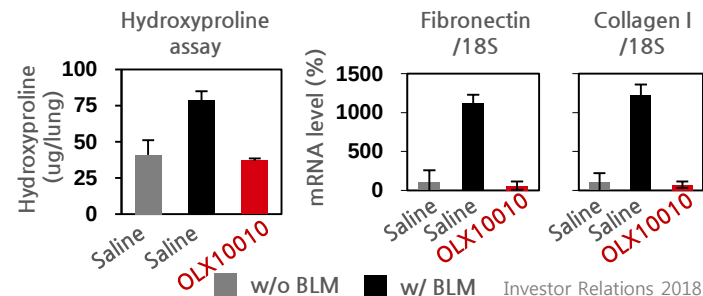


\*BLM: Bleomycin

효과적인 섬유화  
억제 확인



Data from intratracheal instillation study

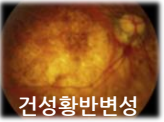
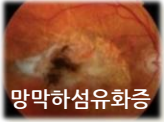


# 4-1. 노인성 황반변성치료제(OLX301A, OLX301D) 현황



## 건성 노인성 황반변성 및 망막하섬유화증 관련 치료제 부재 및 습성 노인성 황반변성과 연관발생하여 동시치료 신약에 대한 높은 상업적 가치 기대

### ■ 노인성 황반변성이란 ?

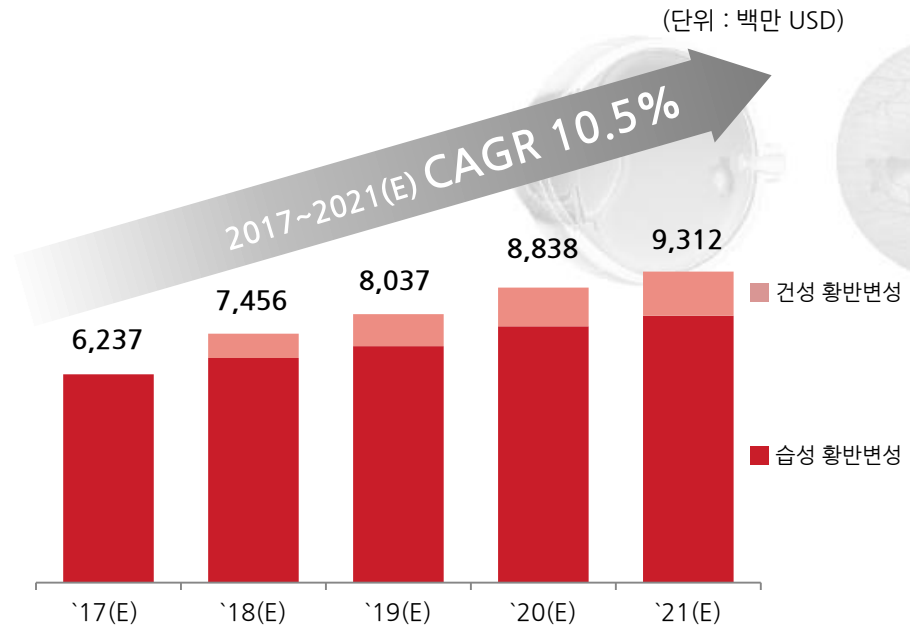
|                                                                                  |              |                                                                                                                                  |
|----------------------------------------------------------------------------------|--------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
|  | 황반변성         | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발</li> <li>• 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인</li> </ul> |
|  | 습성 황반변성      | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 후기 황반변성 환자 66% 비중</li> <li>• 건성 황반변성 및 망막하섬유증 발생 가능</li> </ul>                          |
|  | 건성 황반변성 (GA) | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 후기 황반변성 환자 34% 비중</li> <li>• 환자의 15%가 습성 황반변성 발생 가능</li> </ul>                          |
|                                                                                  | 망막하 섬유화증     | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 습성황반변성 진행과정 중 신생 혈관 생성 및 국소적 파괴로 발생</li> </ul>                                          |

### ■ 기존 치료제의 한계

| 구 분             | 기존 치료제          | 한계 및 Unmet Needs                                                                            |
|-----------------|-----------------|---------------------------------------------------------------------------------------------|
| 습성 노인성 황반변성     | Lucentis (항체신약) | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 약 30% 환자에게 효과 없으며, 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생</li> </ul> |
|                 | Eylea (재조합단백질)  | <ul style="list-style-type: none"> <li>• 망막하 섬유화증 및 건성황반변성 치료 불가</li> </ul>                 |
| 건성 노인성 황반변성(GA) | 부재              | Unmet Medical Needs                                                                         |
| 망막하섬유화증         |                 |                                                                                             |

주1)AMD(Age-related Macular Degeneration): 노인성 황반변성

### ■ 글로벌 노인성 황반변성 치료제 시장 전망



2017년 실제 매출액:  
 - Eylea : 8,260 백만달러 / Lucentis : 3,302 백만달러  
 => 시장 추정규모대비 약 85% 상회

※ 출처: GlobalData

## 4-2. OLiX301A: 비임상 효력 확인

치료제 부재한 건성 노인성 황반변성 및 습성 노인성 황반변성 동시 치료 가능한 First-in-class 치료제

### ■ 치료제 개요

| 표적 단백질      | 물질명      | 투여방법    | 진행상황     |
|-------------|----------|---------|----------|
| Undisclosed | OLX10020 | 안구 내 주사 | 비임상 독성시험 |

- ▶ 치료약물 부재한 건성 황반변성 환자 중 Geographic Atrophy 환자 타겟
- ▶ 습성 황반변성 환자 중 기존 약물에 내성 또는 불응 환자 적용 가능성
- ▶ 건성 / 습성 황반변성 말기 환자 대상 동시 처방 가능한 유일 치료제

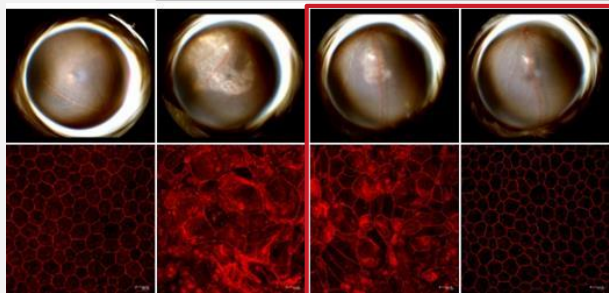
### ■ 비임상 효력시험 결과

### ■ 개발 경과

- 현재 치료제가 전무한 건성 황반변성(GA) 치료제
- J.Ambati 교수 연구진이 발굴한 Undruggable Target 유전자 표적 : First-in-class 약물
- 복수의 건성 황반변성(GA) 동물 모델에서 탁월한 효력 확인 완료
- 습성 황반변성 동물 모델(CNV모델)에서도 효력 확인 완료
- 비임상 독성시험 진행중

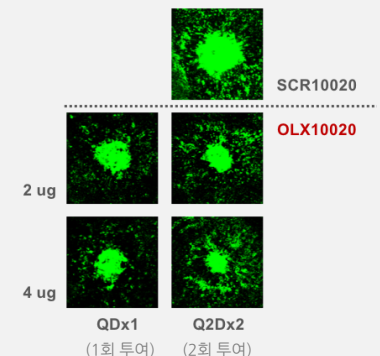
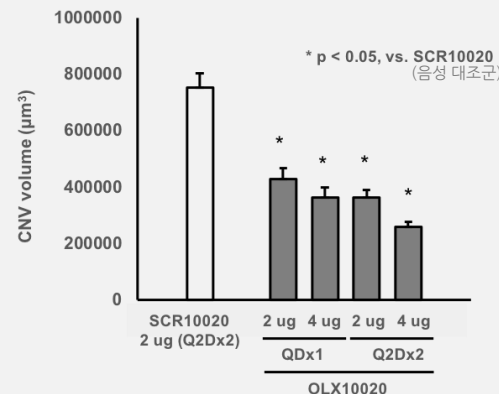
#### 건성 노인성 황반변성 효력 확인

정상상태      건성황반변성 상태(Alu model)



대조군      OLiX301A Low Dose      OLiX301A High Dose

#### 습성 노인성 황반변성 효력 확인



## 4-3. OLiX301D: 비임상 효력 확인

### 치료제 부재한 망막하섬유화증 및 습성 노인성 황반변성 동시 치료 가능한 First-in-class 치료제

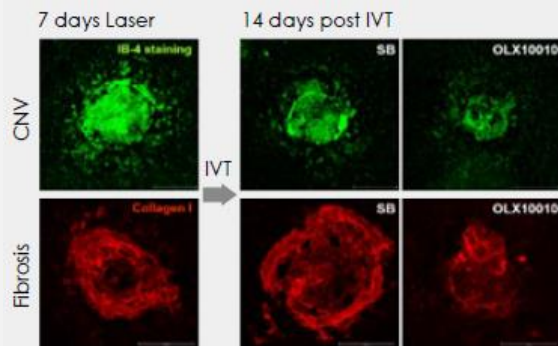
#### ■ 치료제 개요

| 표적 단백질 | 물질명      | 투여방법    | 진행상황     |
|--------|----------|---------|----------|
| CTGF   | OLX10010 | 안구 내 주사 | 비임상 독성시험 |

- ▶ 습성 황반변성은 항 VEGF 치료제는 약 30% 환자에게 효과 없으며, 지속처방시 2년 내 45% 환자에서 섬유화 발생 및 실명 주요원인
- ▶ 비대흉터치료제와 동일물질인 OLX10010의 적응증 확장
- ▶ 치료제가 없는 망막하섬유화증 및 습성 황반변성에 동시 효력

#### ■ 비임상 효력시험 결과

##### 망막하 섬유화증 효력 확인

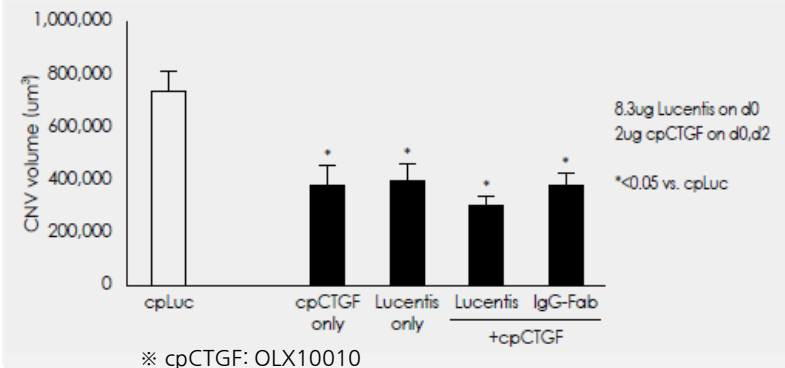


#### ■ 개발 경과

- 장기 효력 검증 및 안전성 데이터 확보된 OLX10010 물질로 개발
- 망막하섬유화증 동물 모델에서 효력 확인 완료
- 습성 황반변성 동물 모델에서 효력 확인 완료

→ 망막하섬유화증과 습성 황반변성에 동시 효력확인으로 First-in-class 및 높은 상업성 기대

##### 습성 노인성 황반변성 효력 확인





# 04

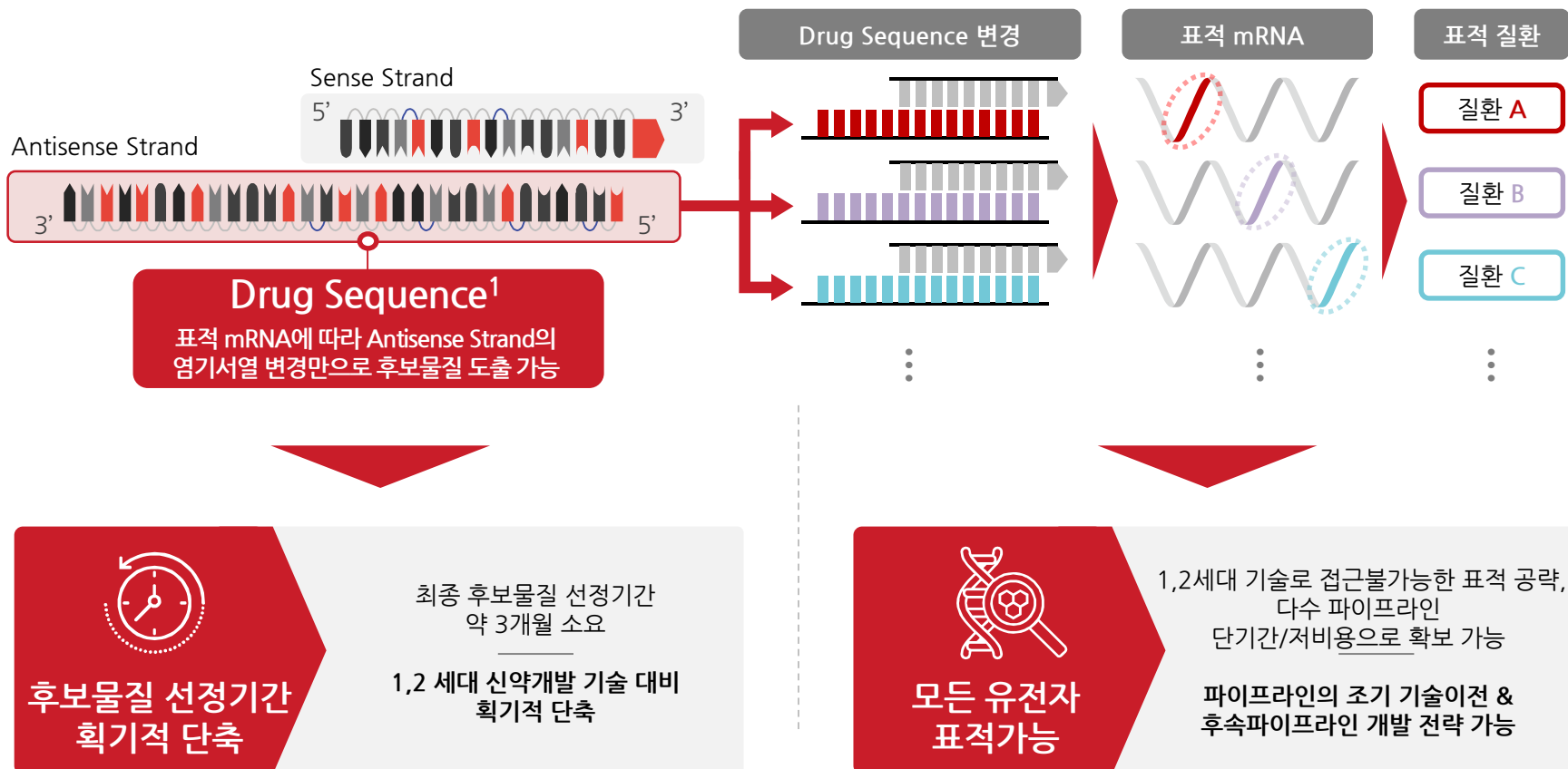
## Growth Potential

1. 올릭스 기술 플랫폼의 범용성 / 확장성
2. 개발 전략
3. R&D Roadmap
4. Vision: 핵산 치료제 Leading Company

# 1. 올릭스 플랫폼 기술의 범용성/확장성

플랫폼 기술 기반 신속한 후보물질 선정과  
이론적으로 모든 유전자에 대하여 높은 효율로 발현억제 가능

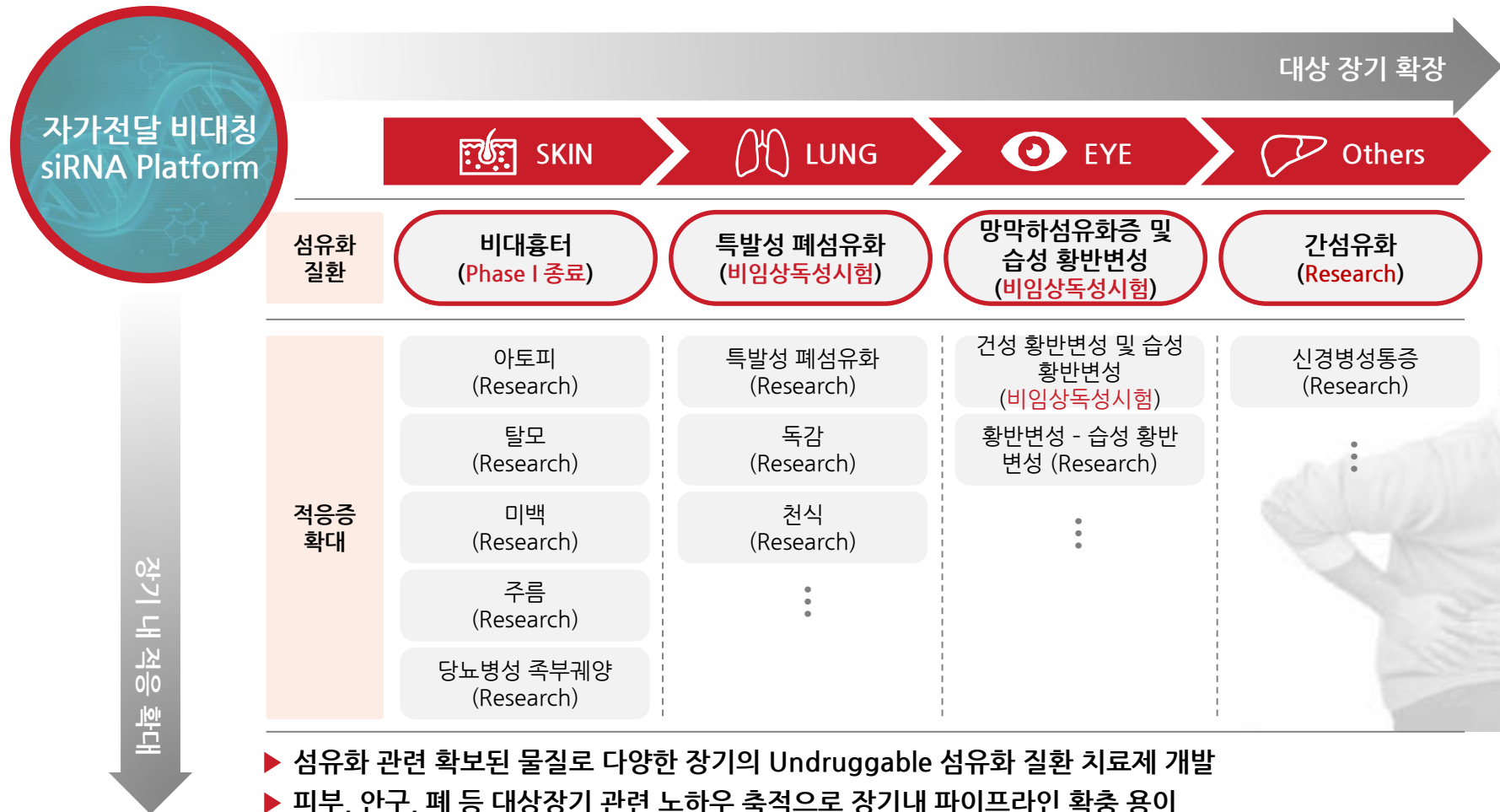
## ■ 자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼의 확장성



주1) Drug sequence: 표적 mRNA의 상보적 염기서열로 표적 mRNA와 결합하여 분해를 유도

## 2. 개발 전략

### 자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 기반 다양한 장기 및 적응증으로 파이프라인 확장



### 3. R&D Roadmap

#### 비대흉터 치료제를 선두로 단계별 임상개발 진행

1

Global 임상 1상 또는 2a상 후 지역별 단계별 L/O

2

플랫폼 기반 기술 사업화

| 구 분                                                   | '18    | '19        | '20        | '21   | '22     | '23 | '24 | '25 | '26 | '27 | '28 | 비고                                                                                                                                                |
|-------------------------------------------------------|--------|------------|------------|-------|---------|-----|-----|-----|-----|-----|-----|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 비대흉터 치료제<br><b>OLX101</b><br>(국내 임상 기준)               | 임상 1상  | ★<br>임상 2상 | 임상 3상      | 출시    | (국내 임상) |     |     |     |     |     |     | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 휴젤에 기술이전 (아시아 지역)</li> <li>· 국내 임상 1상 시험 성공종료 (아시아 최초, 국내 유일)</li> <li>· 영국 임상 1상 진행 중</li> </ul>        |
| 폐섬유화 치료제<br><b>OLX201A</b>                            | 비임상 시험 | 임상 1상      | ★<br>임상 2상 | 임상 3상 | 출시      |     |     |     |     |     |     | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 한국-싱가폴 국제공동 R&amp;D 과제 선정 (보건복지부)</li> <li>· 싱가포르 A*STAR 에서 동물효력 테스트</li> <li>· 비임상 독성시험 진행 중</li> </ul> |
| 건성 노인성 황반변성 및<br>습성 노인성 황반변성<br>치료제<br><b>OLX301A</b> | 비임상 시험 | 임상 1상      | ★<br>임상 2상 | 임상 3상 | 출시      |     |     |     |     |     |     | <ul style="list-style-type: none"> <li>· SAB인 J.Ambati 교수와 협업</li> <li>· 건성 황반변성 및 습성 황반변성 동시 효력</li> <li>· 비임상 독성시험 진행 중</li> </ul>              |
| 망막하섬유화증 및 습성<br>노인성 황반변성 치료제<br><b>OLX301D</b>        | 비임상 시험 | 임상 1상      | ★<br>임상 2상 | 임상 3상 | 출시      |     |     |     |     |     |     | <ul style="list-style-type: none"> <li>· SAB인 J.Ambati 교수와 협업</li> <li>· 망막하섬유화증 및 습성 황반변성 동시 효력</li> <li>· 비임상 독성시험 진행 중</li> </ul>              |

★ Target L/O 시점

## 4. Vision: 핵산 치료제 Leading Company

글로벌 경쟁사 대비 국소투여 질환에 대한 플랫폼 기술력 우위,  
시장성 크고 Speedy한 개발 가능한 난치성 질환 관련 치료제 개발





# Appendix

1. IPO Information
2. 요약 재무제표

# 1. IPO Information

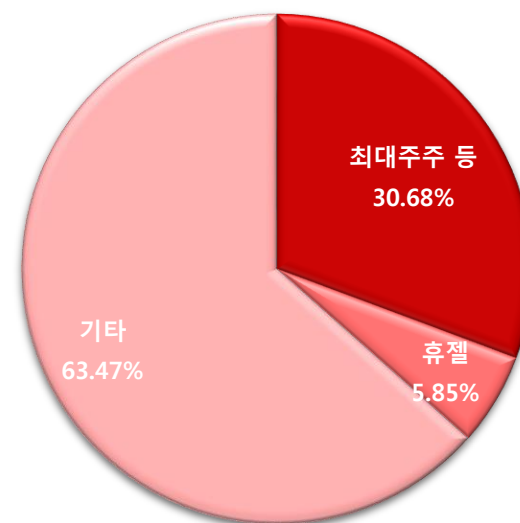
## ■ 공모에 관한 사항

|                  |                                                     |
|------------------|-----------------------------------------------------|
| 액면가              | 500 원                                               |
| 공모주식수            | 1,200,000 주                                         |
| 배정비율             | 기관투자자 : 80%<br>일반투자자 : 20%                          |
| 공모희망가액<br>확정공모가액 | 공모 희망가액 1주당 26,000 ~ 30,000 원<br>확정공모가 1주당 36,000 원 |
| 공모금액             | 확정공모금액 43,200백만원                                    |
| 공모시가총액           | 확정 공모시가총액 2,316억원                                   |
| 수요예측일            | 2018년 7월 2일 ~ 7월 3일                                 |
| 청약예정일            | 2018년 7월 9일 ~ 7월 10일                                |
| 납입예정일            | 2018년 7월 12일                                        |
| 매매개시예정일          | 2018년 7월 18일                                        |
| 대표주관회사           | NH투자증권                                              |

## ■ 주주현황

2018.10.12 기준

| 주주명    | 주식수(보통주)  | 지분율     |
|--------|-----------|---------|
| 최대주주 등 | 1,976,218 | 30.68%  |
| 휴젤(주)  | 377,796   | 5.85%   |
| 기타     | 4,097,308 | 63.47%  |
| 합 계    | 6,455,921 | 100.00% |



■ 최대주주 등 ■ 휴젤 ■ 기타

## 2. 요약 재무제표

### ■ 요약 재무상태표

(단위: 백만원)

| 구 분          | 2015         | 2016          | 2017          | 2018,1H       |
|--------------|--------------|---------------|---------------|---------------|
| 유동자산         | 6,645        | 10,084        | 16,174        | 11,922        |
| 비유동자산        | 1,826        | 5,065         | 5,466         | 5,644         |
| <b>자산총계</b>  | <b>8,471</b> | <b>15,149</b> | <b>21,640</b> | <b>17,566</b> |
| 유동부채         | 668          | 832           | 1,033         | 708           |
| 비유동부채        | 715          | 1,760         | 1,931         | 2,029         |
| <b>부채총계</b>  | <b>1,383</b> | <b>2,592</b>  | <b>2,964</b>  | <b>2,737</b>  |
| 자본금          | 968          | 2,263         | 2,603         | 2,603         |
| 자본잉여금        | 9,588        | 17,291        | 27,990        | 27,991        |
| 기타자본구성<br>요소 | 29           | 155           | 411           | 644           |
| 이익잉여금        | -3,497       | -7,152        | -12,328       | -16,409       |
| <b>자본총계</b>  | <b>7,088</b> | <b>12,557</b> | <b>18,676</b> | <b>14,829</b> |

### ■ 요약 손익계산서

(단위: 백만원)

| 구 분                   | 2015          | 2016          | 2017          | 2018,1H       |
|-----------------------|---------------|---------------|---------------|---------------|
| <b>영업수익</b>           | <b>908</b>    | <b>392</b>    | <b>244</b>    | <b>34</b>     |
| 영업비용                  | 3,085         | 4,214         | 5,654         | 4,210         |
| <b>영업이익</b>           | <b>-2,178</b> | <b>-3,822</b> | <b>-5,410</b> | <b>-4,176</b> |
| 기타손익                  | 4             | 20            | 155           | 1             |
| 금융손익                  | -808          | 146           | 91            | 96            |
| <b>법인세차감전<br/>순이익</b> | <b>-2,982</b> | <b>-3,656</b> | <b>-5,164</b> | <b>-4,080</b> |
| 법인세비용                 | -             | -             | -             | -             |
| <b>당기순이익</b>          | <b>-2,982</b> | <b>-3,656</b> | <b>-5,164</b> | <b>-4,080</b> |
| 기타포괄손익                | -             | -             | -12           | -             |
| <b>총포괄손익</b>          | <b>-2,982</b> | <b>-3,656</b> | <b>-5,176</b> | <b>-4,080</b> |