



Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



OliX
Pharmaceuticals

Investor Relations 2019

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

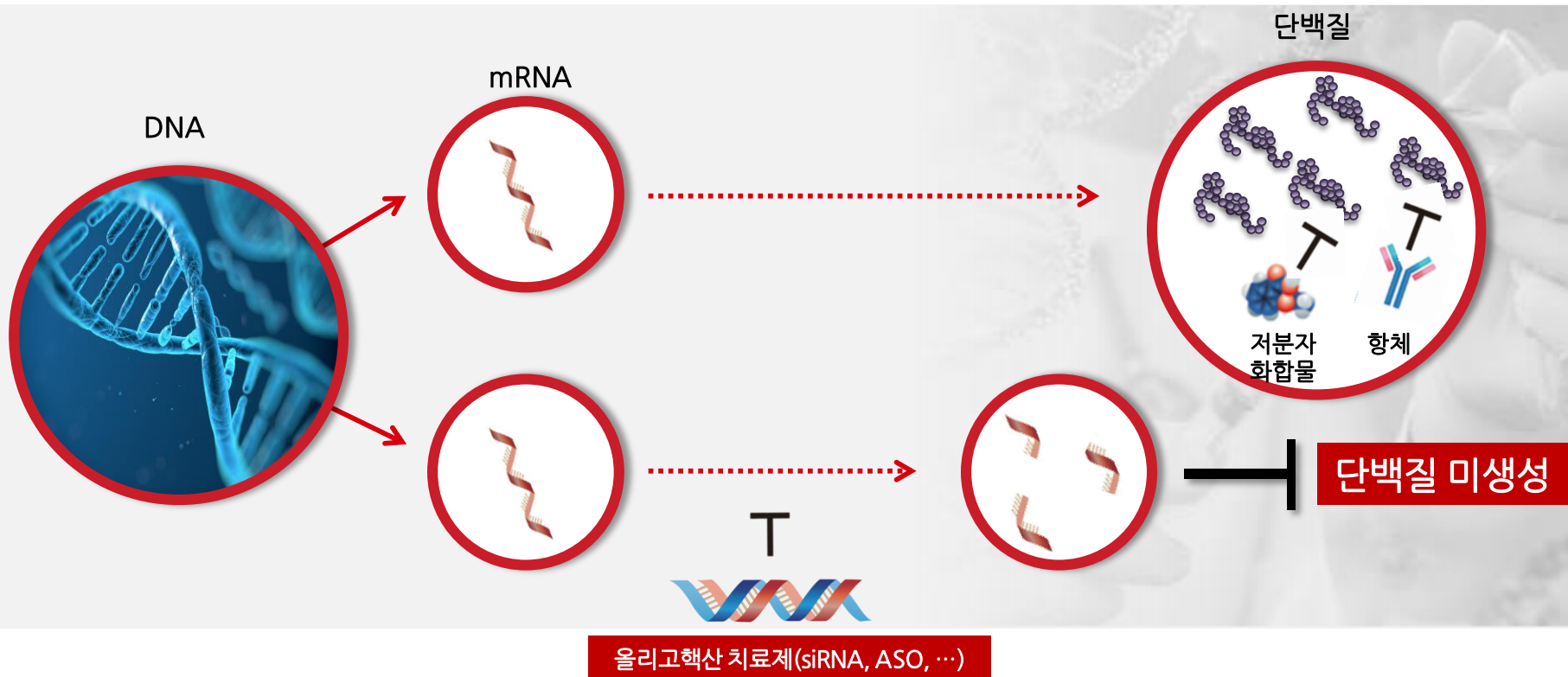


Prologue

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

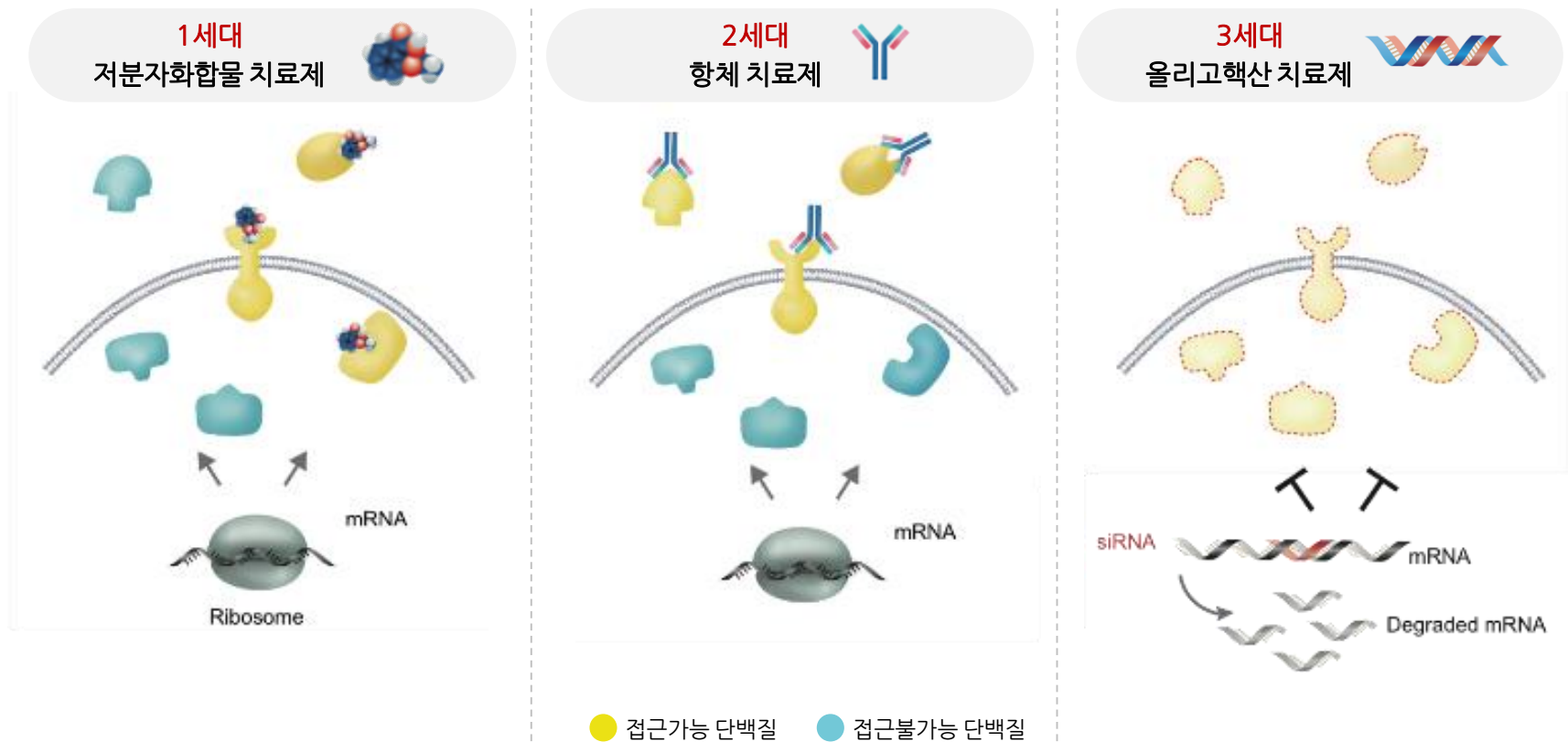
1. 신약개발 기술별 작용기전

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



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 mRNA²에 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

회사명	올릭스 주식회사 (OliX Pharmaceuticals, Inc.)
대표/창업자	이 동 기
설립일	2010년 2월 26일
본사	경기도 수원시 영통구 이의동 에이스광교타워1, 1014호
임직원수	총 50명 (40 in R&D) - 박사급: 15명, 석사급: 25명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발
홈페이지 & 공식유튜브	www.olixpharma.com www.youtube.com/channel/UCFcE8Rqw1aU2XcmG5EPMX6g

■ 주주현황

2018.12.31 기준

주주명	주식수(보통주)	지분율
최대주주 등	1,988,817	30.58%
휴젤(주)	377,796	5.81%
기타	4,137,308	63.61%
합 계	6,503,921	100.00%

■ 대표이사 & 창업자



이 동 기 | 이학박사

- '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 13건 등록

3

자체 개발한 원천기술의 이전을 통해 올릭스 주식회사 창업

2. 성장연혁

다년간의 연구성과 기반, 축적된 파이프라인의 글로벌 시장 진출

기반기술 확립

- ▶ **2010년**
 - 02 비엠티(주) 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 cp-siRNA 기술 특허출원
 - 11 OLX101 기술이전 (휴젤, 대상지역: 아시아)
- ▶ **2014년**
 - 08 Series A 투자유치
 - 09 OLX201A, '한-싱가포르 R&D 사업' 선정 (보건복지부)
 - 10 올릭스(주)로 사명 변경
 - 11 OLX101, '범부처전주기신약개발지원사업' 선정 (전임상)
- ▶ **2015년**
 - 04 OLX103, 기술개발지원사업 선정 (중소기업청)
 - 06 전략적 투자유치(휴젤)

임상시험 진입

- ▶ **2016년**
 - 03 미백물질 국제확장품원료집 등재
 - 07 OLX101 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 박신영 수석부사장 식약처장 표창
 - 10 기술성평가 통과 (A, A)

글로벌 임상시험 진입

- ▶ **2018년**
 - 05 OLX101 국내 임상1상 종료
 - 05 OLX101 영국 임상1상 승인
 - 05 일동제약과 황반변성 신규 치료제 공동연구개발 협약
 - 10 OLX101, '범부처전주기신약개발지원사업' 선정 (글로벌 임상 1상, 2상 승인 목표)
 - 10 OliX US, Inc. 설립 (Cambridge, US)
 - 11 OLX101 국내 임상2상 승인
- ▶ **2019년**
 - 01 San Diego (US) Lab 설립
 - 03 OLX301A 기술이전 (떼아, 대상지역: 유럽 등)



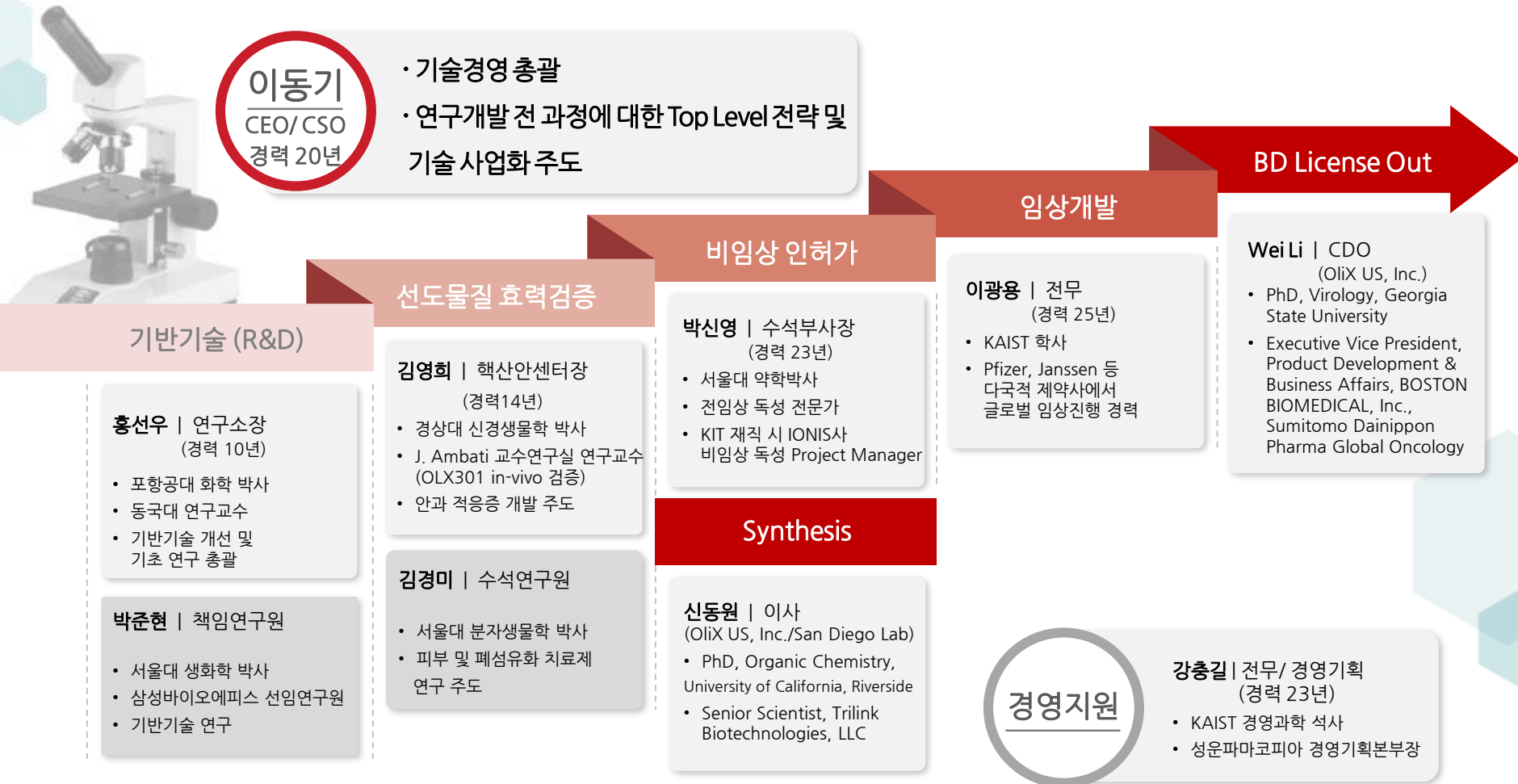
올릭스 원천기술
연구이력

- 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

기반기술



John Lis

Gene Expression,
oligotheapeutics

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

안구질환



Demetrios
Vavvas

Ophthalmology
(AMD, Retina, Diabetic, Glaucoma)

- Associate Professor of Ophthalmology
at **HARVARD Medical School**
- **Monte J Wallace Ophthalmology Chair**
in Retina at Mass. Eye & Ear Infirmary (MEEI)

비즈니스전략



Ekkehard
Leberer

Oligotherapeutics,
biopharmaceuticals

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

피부질환



Samir
Mitragotri

Skin biology,
transdermal delivery

- Professor, **Harvard University**

안구질환



Jayakrishna
Ambati

Ophthalmology
(AMD)

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

4.1 Scientific Advisory Board

5th International Conference on RNAi Therapeutics





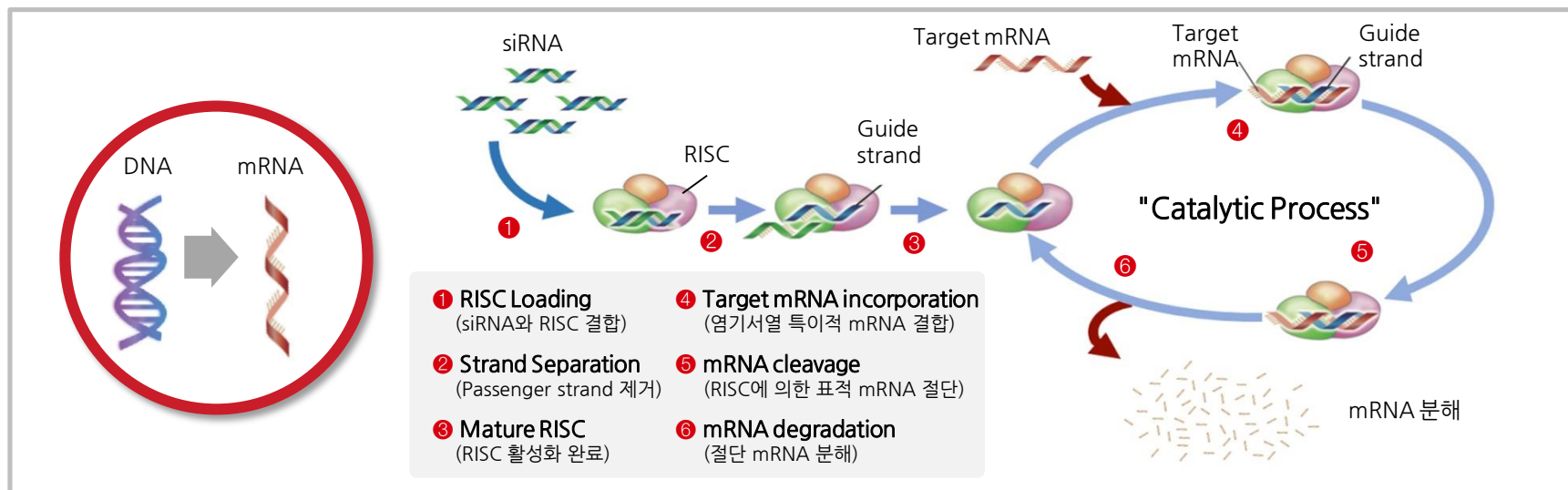
02

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



RNA간섭 치료제 첫 FDA 승인
(미국 Alnylam, 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

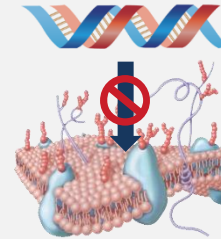
2. 기존 RNA 간섭기술의 한계점

기존 siRNA 구조적 단점으로 부작용 및 세포 내 전달 이슈 존재

■ 기존 siRNA 구조 특징



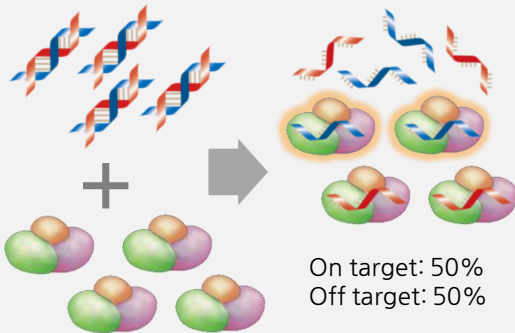
세포 내
전달
이슈



siRNA는 음전하를 띄어 세포막 투과 어려움

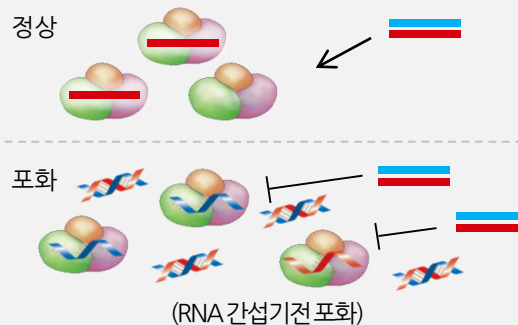
부작용

원하지 않는 유전자 억제



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

정상적인 세포 내 활동 방해

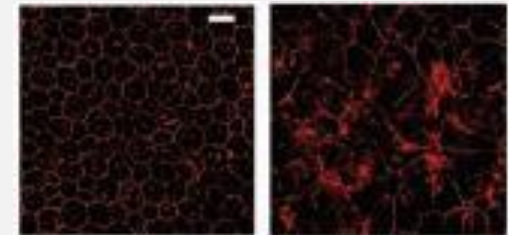


- 도입된 siRNA에 의해 세포내 RNA 간섭 기전 포화
- siRNA 간섭 기전을 통한 정상적인 유전자 발현 조절 기능 상실

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

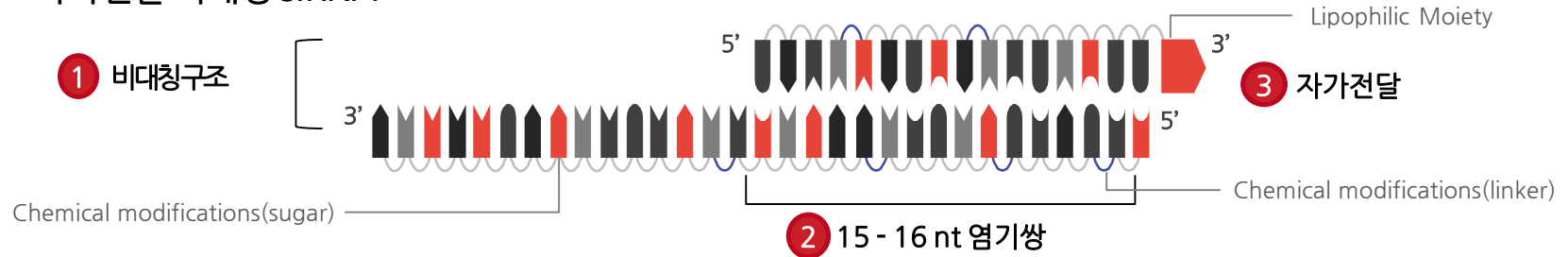
※ 출처: Biochem Biophys Res Commun.'08 Feb 29;367(1):78-83
Biochem Biophys Res Commun.2010 Jul 16;398(1):92-7

※ 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



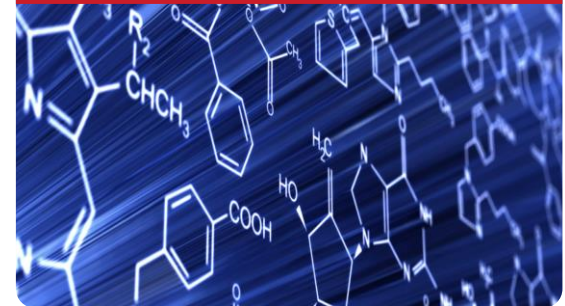
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

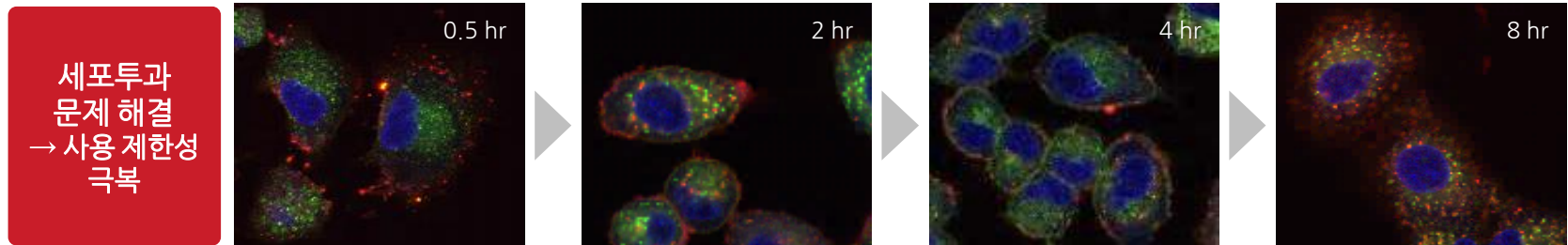
간단한 화학적 변형 도입



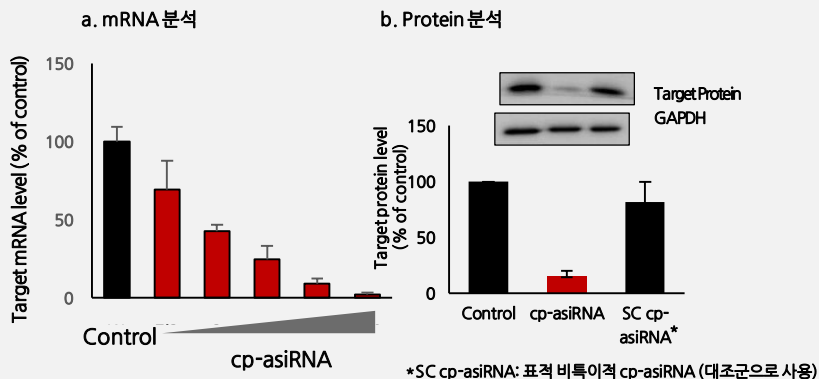
대량합성 / 분석 용이

4. cp-asiRNA: 효과적인 표적유전자 억제

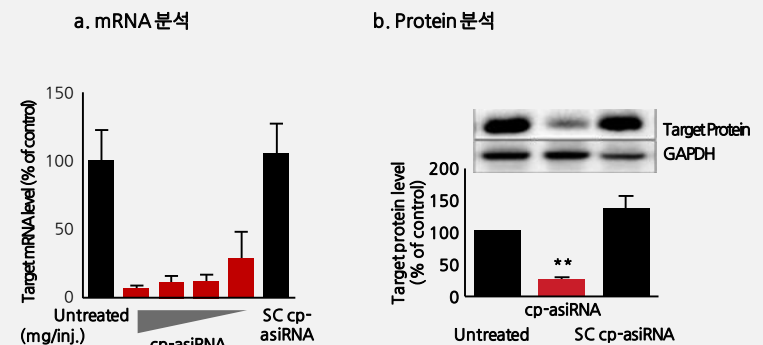
별도 전달체 없이 세포막 투과 및 탁월한 표적유전자 억제효과 확인



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	No.
Korea	등록	10-0949791
Japan	등록	5624474
China	등록	ZL200880126981
Europe	등록	2222848
USA	출원	

■ 긴 비대칭 siRNA (lasiRNA)

Country	Status	No.
Korea	등록	10-1328568
Japan	등록	5795072
China	등록	201180062076
Europe	등록	11834541.2
USA	등록	9637742

■ 자가전달 비대칭 siRNA (cp-asiRNA)

Country	Status	No.
Korea	등록	10-1567576
Japan	등록	6139671
China	등록	CN 104755620 B
Europe	등록	13794539.0
USA	등록	14403121



“각각의 치료제 프로그램 관련
별도의 특허출원 및 등록 진행 중”



03

Pipeline

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

1. 신약 개발 전략

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 국소투여 질환 대상 치료제 개발

적응증 분야	프로그램	적응증	Research		Development			기술이전 공동개발
			Lead Selection	Proof of Concept	Pre-clinical Study	임상1상	임상2상	
 SKIN	OLX101	비대흉터						휴젤 (지역: 아시아)
	OLX103	아토피						HUGEL
	OLX104	탈모						
	OLX106	당뇨병성 족부궤양						
 EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성						Théa (지역: 유럽 등)
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성						
	OLX301G	습성 황반변성						일동제약 (공동개발)
 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)

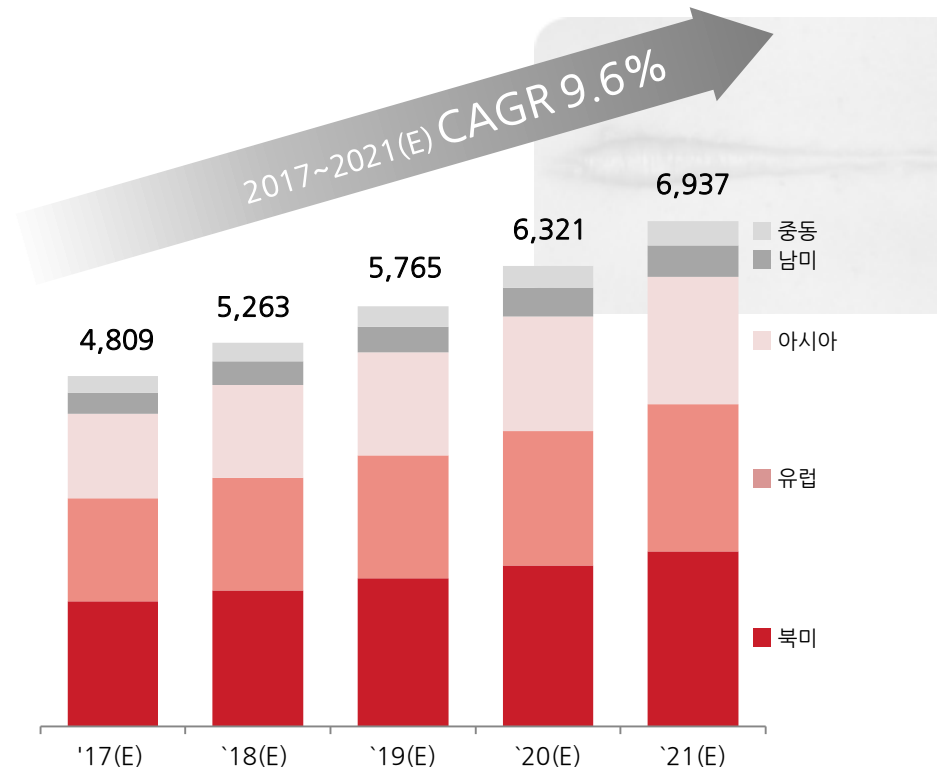
- 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

■ 기존 치료법의 한계

기존 치료법	한계 및 Unmet Needs
실리콘 시트	· 효과 불확실 및 순응도 문제 · 장기간 (6개월~1년) 치료 필요
물리적 압박요법	· 작용 기전 및 효과 불확실 · 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 ¹	OLX10010	피내주사	국내 임상2상 승인 영국 임상1상 진행

대상 환자

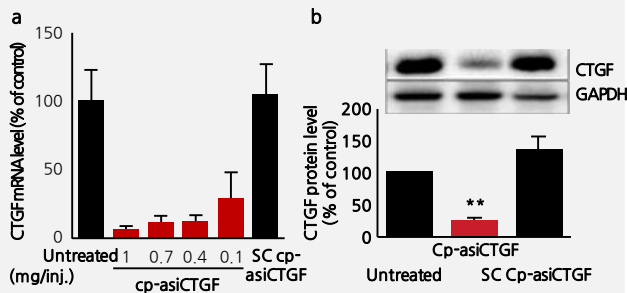
- ▶ 피부 진피층 손상 환자 (제왕절개 / 성형 등 수술환자 및 외상환자 등)
- ▶ 비대흉터 제거수술 환자

■ 비임상 효력시험 결과

■ 개발 경과

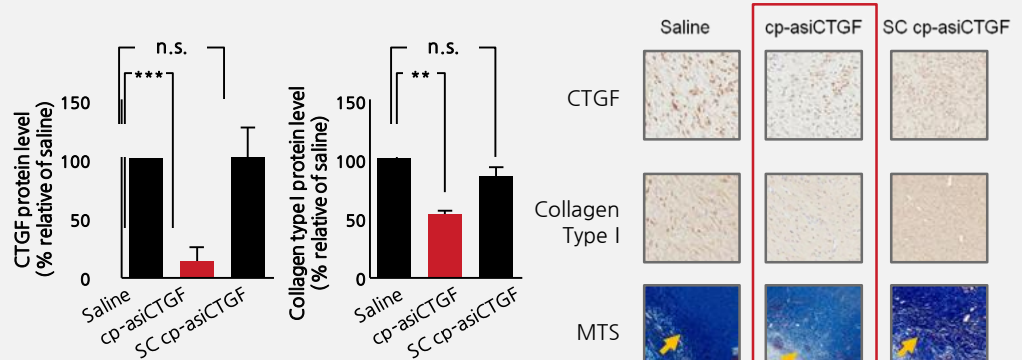
- 동물모델에서 효과적인 섬유화 억제 확인
- Journal of Investigative Dermatology 논문 발표(비임상 효력시험)
- 범부처전주기신약개발과제 선정 및 성공종료 (비임상 독성시험)
- 임상시험 진행 중

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. OLiX101 국내임상2상 시험승인 및 영국임상1상 진행

국내 임상 2상

일정

2018. 4Q 2상 임상시험 IND 승인 (식약처)
2019. 1Q 강남성심병원 IRB 승인
2019. 2Q 최초 투여
2019. 3Q 예비 효과 결과확인 (예정)

국내 2a상 시험개요

- 의뢰기관: 휴젤(주)
- 디자인: 독립적 평가자 눈가림, 무작위배정, 비치료 대조, 개체 내 비교, 제 2a상 치료적 탐색
- 목적: 비후성 반흔 예방에 대한 유효성 및 안전성 평가
- 용량: 1 - 10 mg
- 대상자 수: 총 30명

임상 2a상 시험 유효성 평가 진행 (H.POC)

글로벌 (영국) 임상 1상

일정

2018. 1Q 윤리위원회(EC) 승인
2018. 2Q MHRA CTA 승인
2018. 2Q 최초 투여
2019. 3Q 예비 안전성 결과확인 (예정)

글로벌 1상 시험개요

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

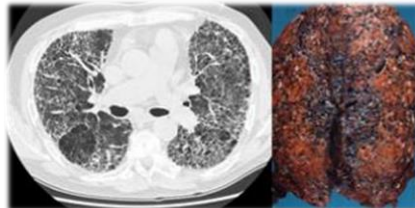
3-1. 특발성 폐섬유화 치료제(OLX201A) 현황

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

■ 특발성 폐섬유화란?



건강한 폐



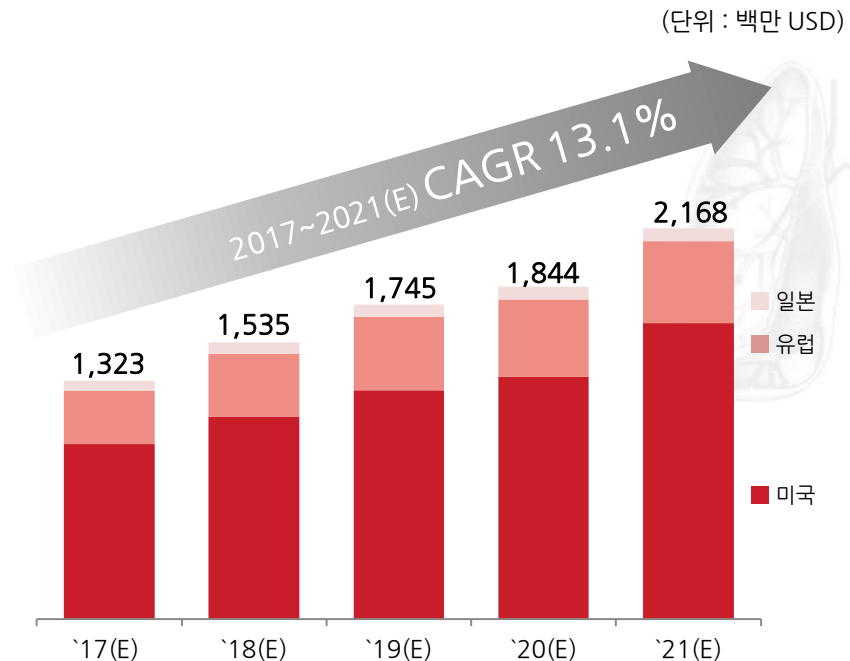
섬유화가 진행된 폐

- 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
Esbriet (Pirfenidone, Roche)	· 종류: 저분자 화합물 · 작용기전 : TGF-β 및 TNF-α Inhibition · 부작용 : 경구용 제제로서, 섬유화 진척 억제는 가능하나, 근본적 치료 불가/ 위장관계 부작용
Ofev (Nintedanib, Boehringer Ingelheim)	· 종류: 저분자 화합물 · 작용기전 : RTK inhibitor · 부작용 : 2014년 개발 약물로서, 기존 치료제 대비 효과 및 편의성 제한적 / 위장관계 부작용

■ 글로벌 특발성 폐섬유화 치료제 시장 전망



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

※ 출처: Global Data, 2016

3-2. OLX201A: 비임상 효력 확인

흡입제형을 이용한 폐섬유화 억제 효력 확인으로 비임상 독성시험 단계 진행

■ 치료제 개요

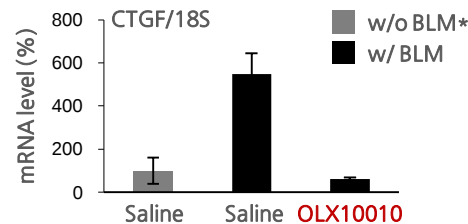
흡입제형백질	물질명	투여방법	진행상황
CTGF	OLX10010	흡입제형	비임상 독성시험

대상 환자

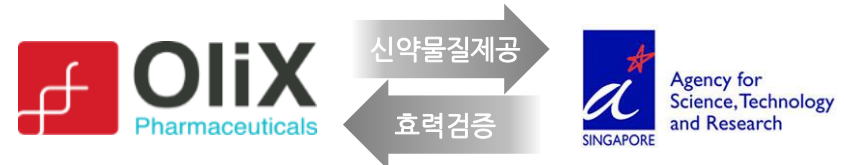
- ▶ 비대흉터치료제(OLX101)와 같은 **cp-asiCTGF(OLX10010)** 사용
- ▶ OLX101 개발을 통해 확보한 전신 독성 자료 바탕으로 흡입독성만 추가하여 임상 진입 가능

■ 비임상 효력시험 결과

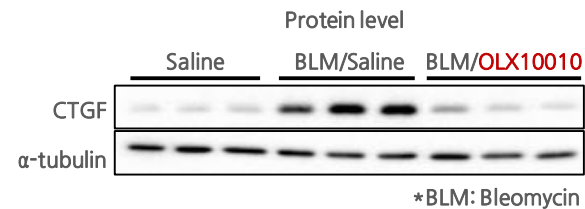
표적 유전자 발현
억제 확인



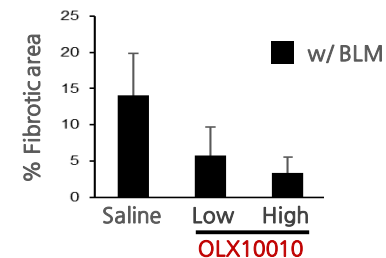
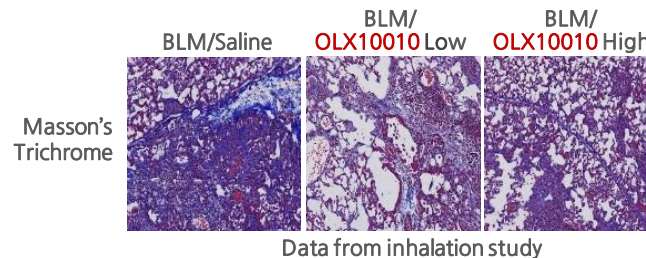
■ 개발 경과



- ▶ 한국·싱가폴 국제 공동연구 과제 종료
- ▶ 동물모델에서 탁월한 효력 확인 (논문 발표 준비 중)
- ▶ 폐 전달에 적합한 흡입 제형 개발
- ▶ 비임상 독성시험 진행중



효과적인 섬유화
억제 확인



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 ?

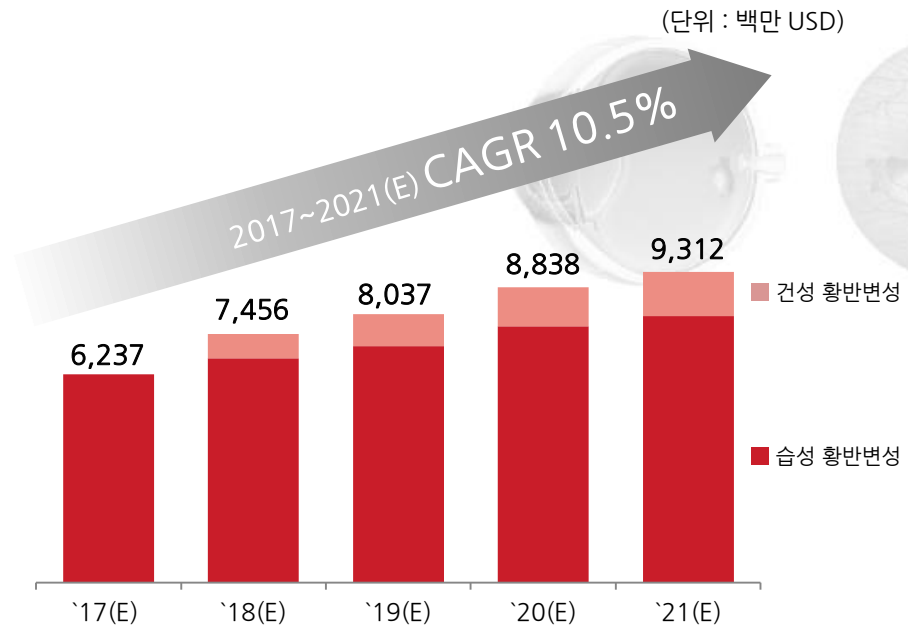
	황반변성	• 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발 • 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인
	습성 황반변성	• 후기 황반변성 환자 66% 비중 • 건성 황반변성 및 망막하섬유증 발생 가능
	건성 황반변성 (GA)	• 후기 황반변성 환자 34% 비중 • 환자의 15%가 습성 황반변성 발생 가능
	망막하 섬유화증	• 습성황반변성 진행과정 중 신생 혈관 생성 및 국소적 파괴로 발생

■ 기존 치료제의 한계

구 분	기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
습성 노인성 황반변성	Lucentis (항체신약)	• 약 30% 환자에게 효과 없으며, 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생
	Eylea (재조합단백질)	• 망막하 섬유화증 및 건성황반변성 치료 불가
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

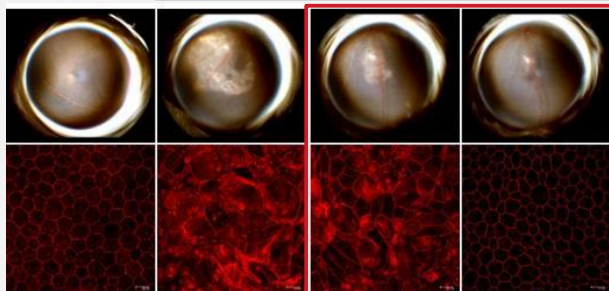
■ 비임상 효력시험 결과

■ 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)

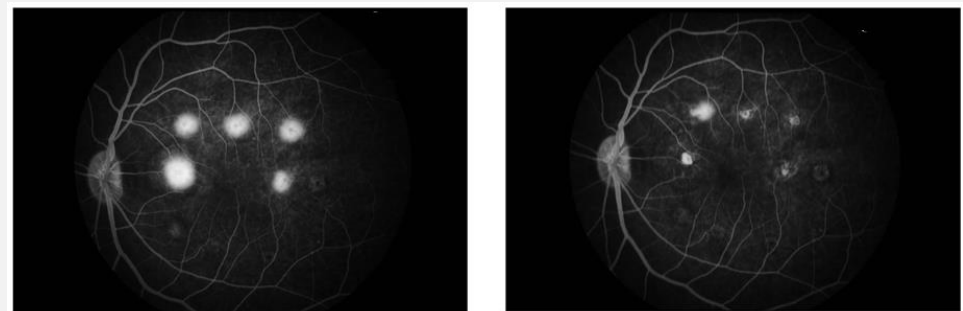


대조군

OLX10020
Low Dose

OLX10020
High Dose

습성 노인성 황반변성 효력 확인 (영장류)



Pre-treatment

Day 28

현재 56일까지 뛰어난 효력을 확인했으며,
향후 효력지속기간은 늘어날 것으로 예상

4-3. OLiX301A: 기술이전 계약 체결



프랑스 안과 전문기업 '떼아'에 총 807억원 규모 기술이전 계약 체결 (2019.03.15, 프랑스)

* Théa Open Innovation by Laboratoires Théa S.A.S

Théa는 유럽을 대표하는 안과 전문의약품 개발 및 제조사로, 프랑스 치브레 (Chibret) 가문이 5대째 경영하고 있는 150년 전통의 회사. 글로벌 27개국의 자회사와 70여개국의 마케팅 네트워크를 갖추고 있으며, 작년 매출 약 5억2천5백만유로(약 6,700억원)의 매출을 기록. (홈페이지: <https://www.laboratoires-thea.com/en>)

* 총 계약규모 : EUR 63,000,000 (약 807억원)

- 선금금 : EUR 2,000,000 (약 26억원)
- 마일스톤 : EUR 43,500,000 (약 557억원)
- 추가 옵션 마일스톤 : EUR 17,500,000 (약 224억원)
- 로열티 : 두자리수 (비공개)
- 대상 지역 : 유럽, 중동, 아프리카 (향후 임상 단계별 가치를 극대화 하여, 미주와 아시아 지역 추가 기술이전 계약 달성 전략)



4-4. OLiX301D: 비임상 효력 확인

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

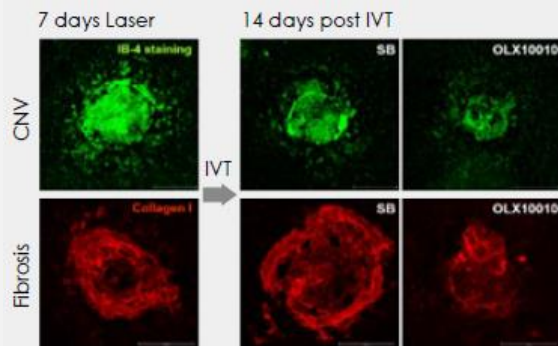
■ 치료제 개요

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

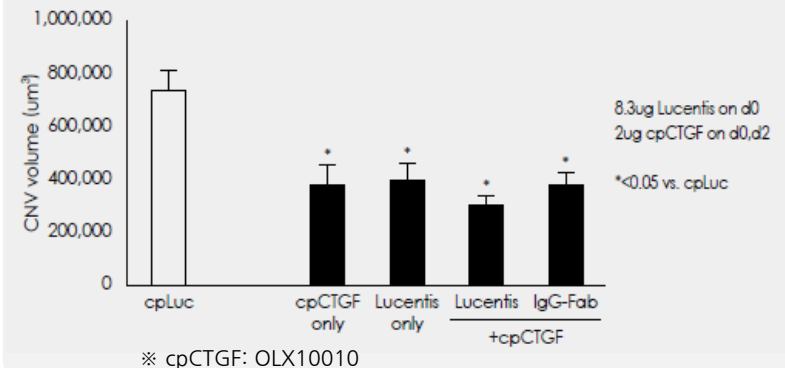


■ 개발 경과

- 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





One more thing
Vision

OliX Special Event

2019.05.10금 오전10시
한국투자증권 4층 대강당





04

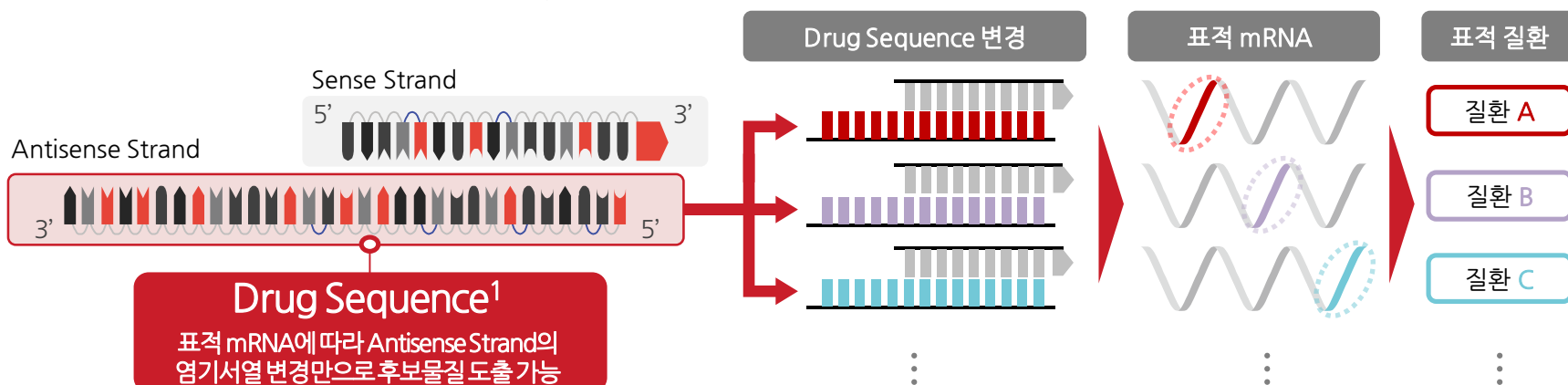
Growth Potential

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



후보물질 선정기간 획기적 단축

최종 후보물질 선정기간
약 3개월 소요

1,2 세대 신약개발 기술 대비
획기적 단축

모든 유전자 표적가능

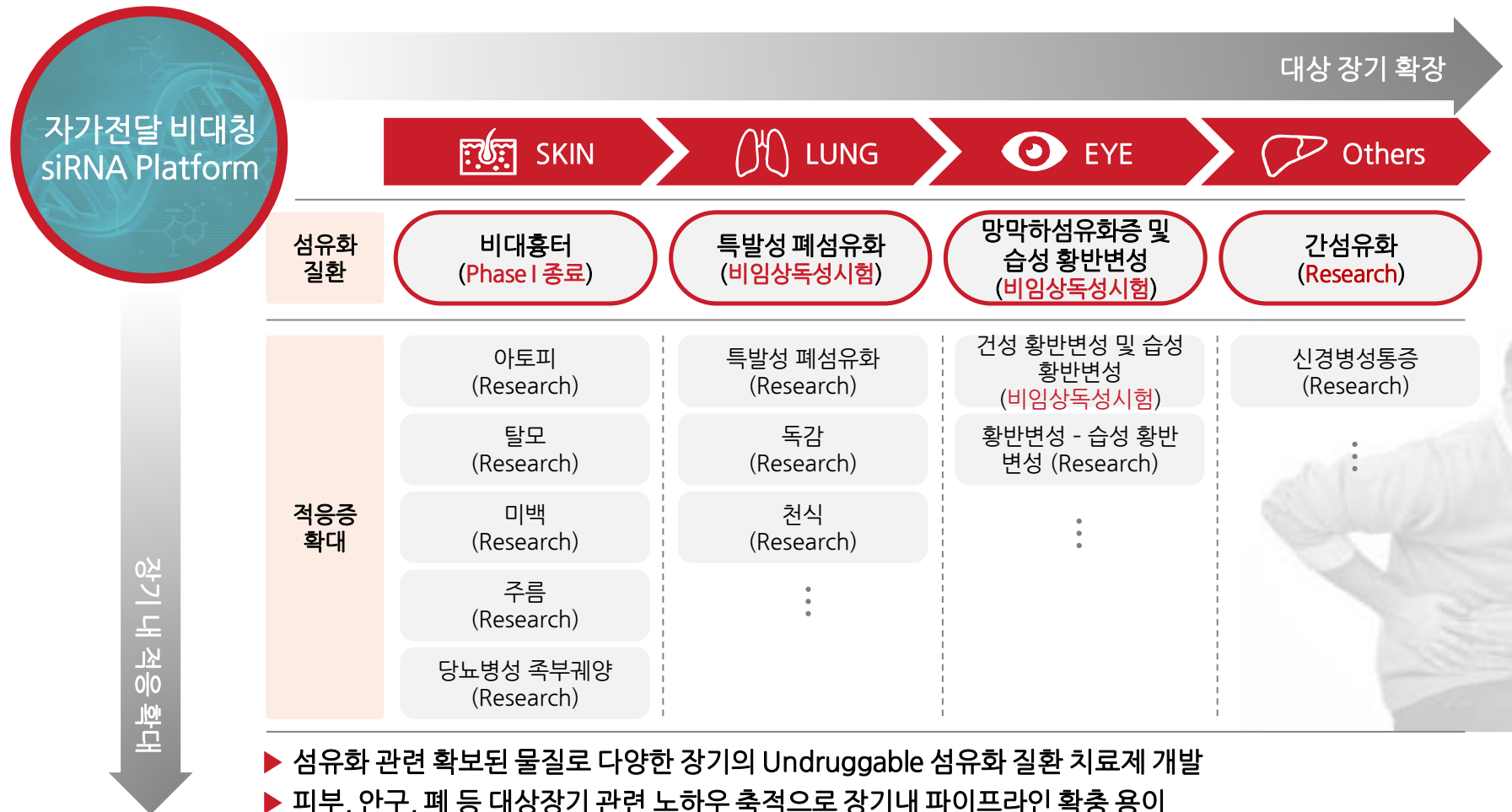
1,2세대 기술로 접근불가능한 표적 공략,
다수 파이프라인
단기간/저비용으로 확보 가능

파이프라인의 초기 기술이전 &
후속파이프라인 개발 전략 가능

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

1

각 프로그램의 지역별 또는 단계별 기술이전

2

cp-asRNA 플랫폼 기술이전

구분	'18	'19	'20	'21	'22	'23	'24	'25	'26	'27	'28	비고
비대항터 치료제 OLX101												
	P1	P2	P3	출시	(국내 임상)							· 휴젤에 기술이전 (2013년, 아시아 지역) · 국내 임상 2상 시험 승인 (아시아 최초, 국내 유일) · 글로벌(영국) 임상 1상 진행 중
	P1	P2	P3	출시	(글로벌 임상)							
폐섬유화 치료제 OLX201A	Preclinical	P1	P2	P3	출시							· 한국-싱가폴 국제공동 R&D 과제 선정 (보건복지부) · 싱가포르 A*STAR 에서 동물효력 테스트 · 비임상 진행 중
건성 노인성 황반변성 및 습성 노인성 황반변성 치료제 OLX301A												
	Preclinical	P1	P2	P3	출시							· Théa 기술이전 (유럽, 중동, 아프리카 지역) · SAB인 J.Ambati 교수와 협업 · 건성 황반변성 및 습성 황반변성 동시 효력 · 비임상 진행 중
망막하섬유화증 및 습성 노인성 황반변성 치료제 OLX301D	Preclinical	P1	P2	P3	출시							· SAB인 J.Ambati 교수와 협업 · 망막하섬유화증 및 습성 황반변성 동시 효력 · 비임상 진행 중

* 상기 일정은 임상 진행 상황에 따라 유동적일 수 있습니다.

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

요약 재무제표

요약 재무제표

■ 요약 재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2015	2016	2017	2018
유동자산	6,645	10,084	16,174	48,698
비유동자산	1,826	5,065	5,466	6,939
자산총계	8,471	15,149	21,640	55,637
유동부채	668	832	1,033	314
비유동부채	715	1,760	1,931	385
부채총계	1,383	2,592	2,964	699
자본금	968	2,263	2,603	3,252
기타불입자본	9,588	17,291	27,990	71,168
기타자본구성 요소	29	155	411	785
이익잉여금	-3,497	-7,152	-12,328	-20,248
자본총계	7,088	12,557	18,676	54,938

■ 요약 손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2015	2016	2017	2018
영업수익	908	392	244	302
영업비용	3,085	4,214	5,654	8,536
영업이익	-2,178	-3,822	-5,410	-8,234
기타손익	4	20	155	3
금융손익	-808	146	91	489
법인세차감전 순이익	-2,982	-3,656	-5,164	-7,742
법인세비용	-	-	-	-
당기순이익	-2,982	-3,656	-5,164	-7,742