



OliPass

we create breakthrough medicines

Investor Relations 2020



Disclaimer

본 자료는 투자자들을 대상으로 실시되는 presentation에서의 정보제공을 목적으로 올리패스 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 자본시장 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 변화등에 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.

독자적 인공유전자 플랫폼 “OliPass PNA” 기술에 기반한 혁신 RNA 치료제 개발 기업

기존 RNA 치료제 고질적 문제 = 낮은 세포투과성

올리패스는 이를 개선, 극저용량에서도 생리활성 유발해 다음의 기술적, 상업적 문제를 해결하고자 함

01. 용량 의존성 독성을 해결하여 안전한 치료제 개발
02. 체내 다양한 조직으로 분포를 가능하게 하여 광범위한 질환 적용
03. 주사 제형 외 경구, 경피 등 다양한 투여경로를 가능하게 하여 환자 친화적 치료제 개발
04. 높은 가격 경쟁력으로 희귀질환 외 범용질환으로 적용성 확장

RNA 치료제

- RNA 치료제는 mRNA 혹은 pre-mRNA에 결합해 유전자의 전사, 번역 단계를 조절해 궁극적으로 질환 유발 단백질 생산 기능을 조절하는 의약품
- 저분자화합물 및 항체로 해결할 수 없는 질환의 잠재적 해결책으로 초기 각광받았으나, 내재적 독성 및 제한적 효능으로 산업적 관점에서 최근까지 큰 발전 없었음

1

- 2013년 이후 미FDA의 잇따른 신약 승인 및 차세대 치료제로서 거대제약사 적극적 관심으로 RNA 치료제는 최근 새로운 전환점 맞이함
- 현재는 Alnylam(\$14.7b), Ionis(\$7.7b), Sarepta(\$8.8b) 등이 업계를 선도하고 있음

2

- RNA 치료제 시장 성장 거듭해 2024년 약 14.5조원 규모까지 성장할 것으로 예측
- 거대제약사와 바이오텍 간 1조원 규모 이상의 파트너링/라이센싱 계약 속속 이루어지고 있음

3

Executive Summary



OliPass 'OliPass PNA' 기존 DNA / RNA의 Sugar Backbone을 펩타이드로 치환한 인공 유전자 플랫폼

Target RNA에 강한 결합력 / 높은 선택성

- Cationic Lipid Chain 공유 결합 추가, 별도 Carrier/수용체의 도움없이 자유로운 이동 가능
- 아토몰라(aM, 10^{-18}),
zepto몰라(zM, 10^{-21}) 수준의
극저용량으로도 세포 및
조직내에서 활성 보임을 확인

타겟 mRNA에 따라 염기서열만 바꾸며 동일 구조 반복 가능

- 높은 생산성 가진 신약개발 플랫폼
- 현재 두 개의 기반특허 통해
전세계 독점권 유지
- 타겟 질환 별 새로운 염기서열
부착된 OliPass PNA 분자 개발 시,
개별 특허로 독점권 별도 유지 가능

'OliPass PNA' 투트랙 전략

In house

질환의 바이올로지가 잘 알려있고
시장 포텐셜이 큰 질환

Target X

신규 타겟으로 개발 리스크 크나
시장에 치료제가 없는 질환

- 3개의 자체개발 신약 파이프라인 보유
- 'OLP-1002' 영국 임상 1상 통과해 안전성 입증, 차세대 비마약성 진통제
- 연 60조 원의 진통제 시장에서 마약성 진통제에 대한 규제 당국의 엄격성 커지는 경향
- OA통증 환자 대상 Early POC P1/b 임상 이 후, Global Big Pharma 과 대규모 라이선싱 Deal 기대

Technology revolutionizes
our views of life sciences and
brings us great quality of life



**we create
breakthru
medicines**

CONTENTS

Chapter 1. Prologue

Chapter 2. Company Overview

Chapter 3. OliPass PNA 플랫폼

Chapter 4. OliPass 성장 전략

Chapter 5. OliPass Pipeline





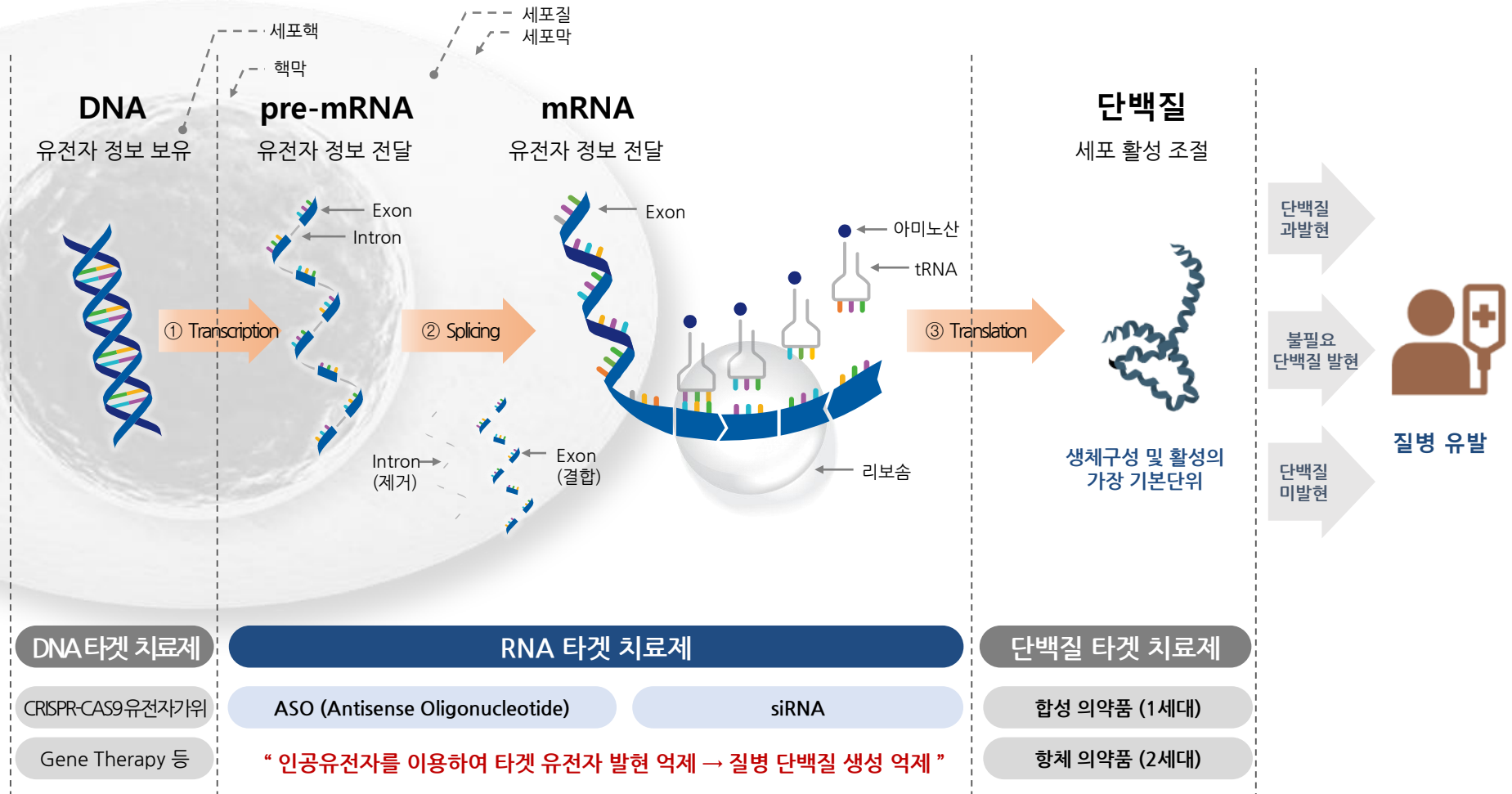
01 Prologue

1. 유전 정보의 발현 과정과 RNA치료제
2. RNA 치료제 장점 및 분류
3. 기존 RNA 치료제 플랫폼의 한계
4. RNA 치료제 개발 현황
5. RNA 치료제 시장 현황 및 전망

01 Prologue 유전 정보의 발현 과정과 RNA치료제



생물학의 기본 개념이 되는 Central Dogma에 입각한 RNA치료제



※ Exon: pre-mRNA 중 단백질을 합성하는 mRNA 유전 정보가 입력된 부분으로 '레고 블록'과 유사. ※ Intron: pre-mRNA 중 Exon과 Exon 사이를 연결하는 'RNA 블록'으로서 mRNA가 생성되는 Splicing 과정에서 제거됨.

※ Transcription: DNA는 아데닌(adenine), 구아닌(guanine), 사이토신(cytosine), 타이민(thymine)의 4개의 핵산의 중합체로서, 이 가운데 타이민만이 RNA에서 유라실(uracil)로 바뀌고 나머지 3개의 핵산은 그대로 RNA로 복제됨. 이 과정을 전사(transcription)라 부름.

※ Splicing: 핵 내에서 전사된 pre-mRNA는 'Intron 블록'이 제거된 후 mRNA로 변환되는 과정. ※ Translation: 세포질 내에서 mRNA에 입력된 유전 정보에 따라 아미노산들이 중합되어 단백질이 생성되는 과정.

기존 치료제 개발의 한계를 극복하고 타겟 유전자 발현 억제 통한 새로운 패러다임 선도



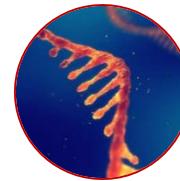
기존 단백질 타겟 치료제의
선택성 및 안전성의 한계점 봉착
심장독성으로 관절염 치료제 Vioxx 철수 (2004)
→ 합성의약품 안전성에 대한 우려 급증



인간 유전자 연구 가속화
Human Genome Project 1차 완성 (2003)
→ 인간 유전자 활성 조절에 대한 관심 증가



세계가 인정한 기술적 우수성
siRNA 노벨상 수상 (2006)
→ RNA 치료제에 대한 업계의 관심 증폭



RNA 치료제

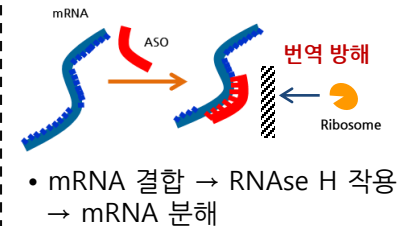
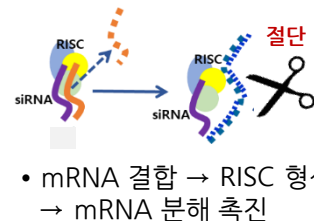
모든 질병 단백질에 대해 접근 가능하고
효율적으로 질병 유전자 발현 억제 가능

기술별 분류

siRNA

ASO

MoA (Mode of Action)



장점

① 신약 후보물질 신속 도출

- 유전자 지도 정보에 따라
신약 후보물질 도출

② 예측 가능한 안전성

- 유전 정보에 따라 작동하기 때문에
약물의 안전성 예측 가능

③ 대부분 질환에 적용 가능

- 모든 유전자에 적용 가능 → 대부분의
질환 치료제 개발에 적용 가능

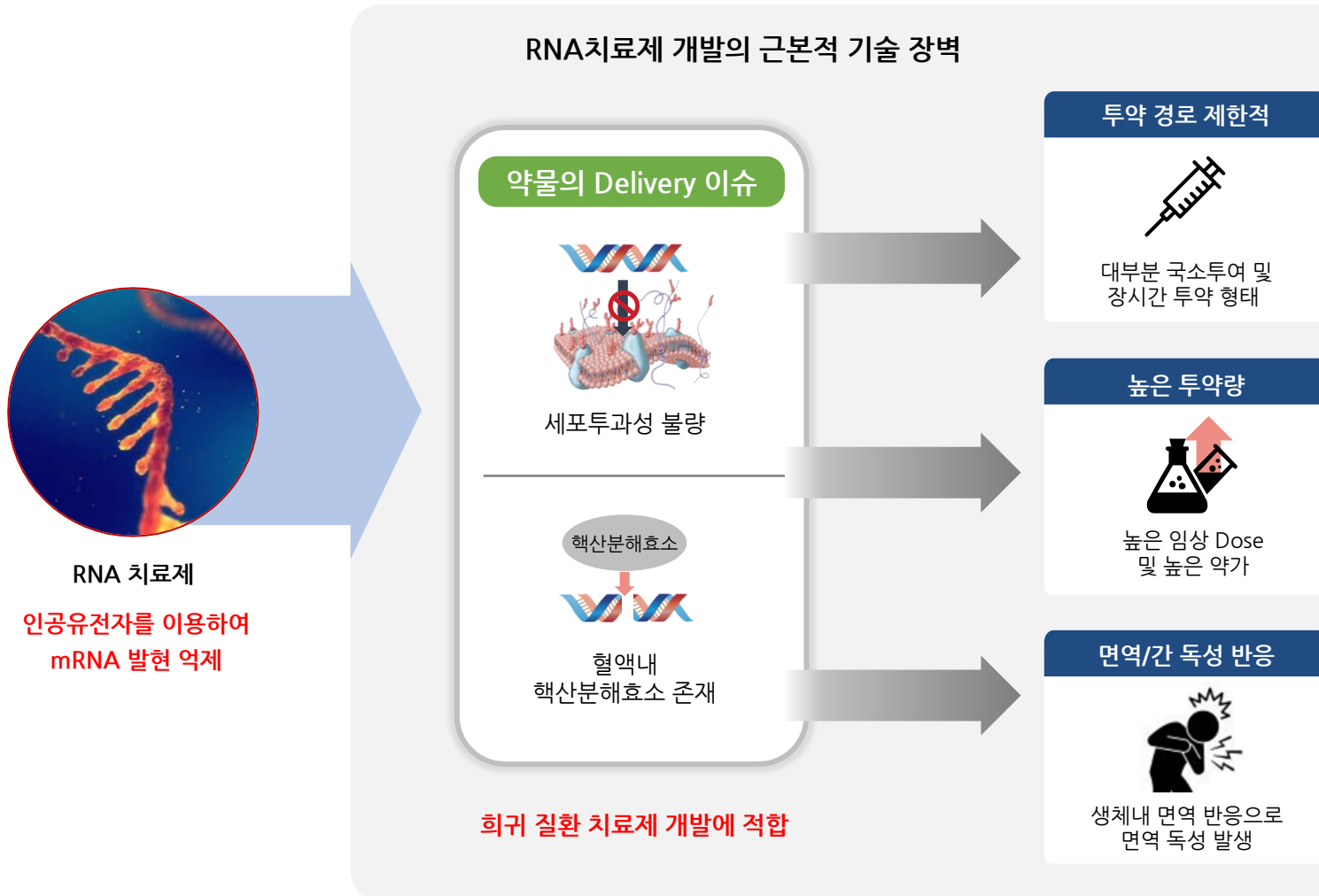
④ 윤리적 이슈 부재

- DNA에 미작용 → 윤리적 문제 X

03 OliPass PNA 플랫폼 기존 RNA 치료제 플랫폼의 한계



세포투과성 불량 → 과도한 임상 Dose → 간/신장/면역 독성 및 높은 약가



시판중인 RNA치료제는 희귀질환을 대상으로 개발



Kynamro (Mipomersen)



Spinraza (Nusinersen)



Exondys 51 (Eteplirsen)

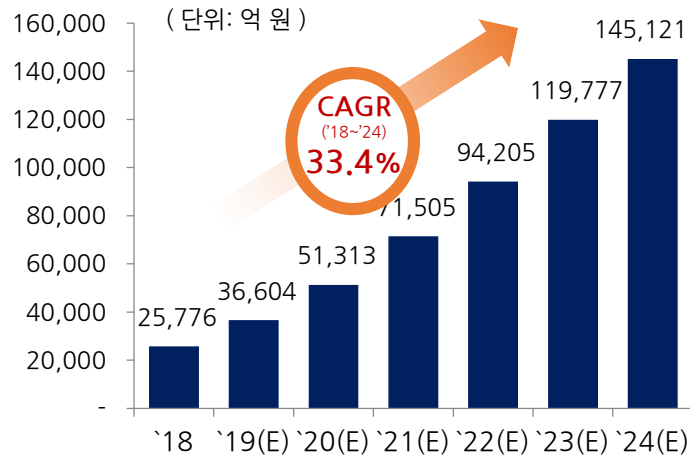


Onpattro (Patisiran)

개발사	Ionis		Sarepta	Alnylam
작용기전	Antisense (ASO)			siRNA
FDA승인	2013	2016	2016	2018
적응증	초고도 지혈증	척수성 근위축증(SMA)	DMD 근위축증	hATTR 아밀로이드증
임상 Dose	200 mg/week	25 mg/3 months	1 ~ 2 g/week	0.3 mg/kg/3 weeks
투약경로	피하 주사	척수 주사	정맥 주사	정맥 주사
1년 약가	176,000 USD	375,000-750,000 USD	300,000 USD	450,000+ USD
비고	2008년 Genzyme에 L/O (19억\$ 기술료)	2012년 Biogen에 L/O (2억7천만\$ 기술료) 2019년 매출: 21억\$	효능이 부족하나 환자들의 요구에 의해 FDA가 시판 승인 2019년 매출: 3.8억\$	최초의 siRNA 치료제 2019년 매출: 1.7억\$

글로벌 RNA 치료제 시장은 연평균 33.4% 성장 → 2024년 14.5조원 도달 전망

■ 글로벌 RNA 치료제 시장 전망



※자료: Globaldata

■ RNA 치료제 Business Deal 트렌드



7 건 최근 2년간 10억불 이상 Mega Deal



5 건 최근 4년간 FDA승인

■ RNA 치료제 개발 기업 주요 기업 Deal 현황

(단위: USD mil)

개발사	협력제약사	연도	계약 규모 (upfront)	Type	현재 진행상태
Ionis	Pfizer	2019	\$1,300M (\$250M)	제2형 당노 과중성지방혈증 NAFLD	임상 2상
	Biogen	2018	\$1,000M	뇌신경 질환	전임상
	Roche	2018	\$760M (\$75M)	AMD	임상 1상
Alnylam	Regeneron	2019	\$1,000M (\$800M)	안구, 신경계 간 관련 질환	전임상
	Vir	2017	\$1,000M	감염 질환	임상1상
Arrowhead	Janssen	2018	\$3,750M (\$250M)	ARO-HBV 및 신규타겟	임상1상
Dicerna	Roche	2019	\$1,700M (\$200M)	B형 간염	임상 1상
	Novo Nordisk	2019	타겟 당 \$358M	간질환 및 대사질환	전임상
The Medicines Company	Novartis	2020	\$9.7B	인수합병	-



02 Company Overview

1. 회사 개요
2. 성장 연혁
3. 우수 R&D 인력
4. 글로벌 수준 R&D 인프라
5. 주요 플랫폼 특허 현황
6. Roadmap Benchmark

CEO Profile



정 신 대표이사

- 現 올리패스(주) CEO
- 아모레퍼시픽 기술연구원 신약팀장 (아셀렉스/Polmacoxib 주 발명자)
- Sr. Scientist: CV/CNS Dept, Schering-Plough Research Institute
- PhD: Chemistry Department, Columbia University
- 서울대학교 화학과 학사 및 석사

일반 현황

회 사 명	올리패스 주식회사
대 표 이 사	정 신
설 립 일	2006년 11월 16일
본 사	경기도 용인시 기흥구 동백중앙로 16번길 16-4 에이스 동백 타워
임 직 원 수	88명 (2020.05 기준)
주 요 사 업	치료제, 바이오신약 연구개발 등 의학 및 약학 연구개발업체
홈 페이지	http://www.olipass.com

경영진 소개

성명	담당업무	주요 경력
윤흥식	부사장 (등기 임원)	• LG 바이오텍 책임연구원 • Director: LG BMI, 미국 San Diego • PhD: Chemistry Department, SUNY Stony Brook • 서울대학교 화학과 학사 및 석사
Brian McKittrick	부사장 (Global BD)	• Director: Exploratory Chemistry Dept, Merck • Director: CV/CNS Dept, Schering-Plough (고지혈증 치료제 Zetia 발명자) • PhD: Chemistry Department, Brandeis University
김영래	부사장 (임상 개발)	• 미국 통증 전문의 • Clinical associate Professor, USC Keck School of Medicine • 중앙대학교 의과대학교 M.D.
이장영	부사장/BD	• 메디포스트 사업개발 본부장 • 태평양제약 R&D 본부장 • 한국과학기술원 이학 석사 및 박사
박영엽	상무 (등기 임원)	• 안진회계법인 • 신한금융투자 • 한국공인회계사 • 연세대학교 경영학과 학사

강력한 RNA 치료제 플랫폼에 기반하여 글로벌 RNA 치료제 신약개발 선도

글로벌 성장 초기 진입

작용 기전 확립

OliPass PNA 물질 개발

- _ 2006년
 - 회사 설립 (자본금 5천만원)
- _ 2007년
 - OliPass PNA 합성 성공
- _ 2009년
 - OliPass PNA 물질에 대한 PCT 국제 특허 출원
- _ 2011년
 - 우수한 동물 진통 효능 확인
 - Antisense 작용 기전 추정
- _ 2012년
 - 32억원 보통주 투자 유치

- _ 2013년
 - 글로벌 기술 마케팅 개시
 - 20억원 CB 투자 유치 (SV 인베스트먼트)
- _ 2014년
 - 신약 공동 연구/개발 계약 체결 (BMS)
 - 비마약성 진통제 OliPass PNA 등 5개 치료제
 - OliPass PNA 작용 기전 (Antisense) 입증 목표
- _ 2015년
 - BMS 신약 공동 연구/개발 중단
 - OliPass PNA 작용 기전 (Antisense) 입증 실패
 - 170억원 신주 발행 (플래티넘, IMM, 타임폴리오 등)
- _ 2016년
 - 2세대 비마약성 진통제 OLP-1002 KDDF 과제 선정
 - Exon Skipping에 특화된 OliPass PNA 설계 특허 출원
- _ 2017년
 - 370억원 CB 발행(SV, 미래에셋, DS 자산운용 등)

- _ 2018년
 - OLP-1002 API 및 주사제 GMP 생산 성공
 - 비마약성 진통제 OLP-1002 유럽 임상 1상 허가 취득 (영국 MHRA)
 - NASDAQ 상장 기업 “A”사와 공동 연구/개발 계약 체결 (2020년 5월 종료)
- _ 2019년
 - OLP-1002 임상 1상 개발을 위한 KDDF 과제 선정
 - KOSDAQ 상장
 - 140억원 CB 발행
- _ 2020 ~ 21년(개시 혹은 예정)
 - OLP-1002 호주 임상1b
 - OLP-1003 전임상

【 강력한 플랫폼 기술을 기반으로 글로벌 RNA 치료제 신약개발 기업으로 진화 】

풍부한 글로벌 신약개발 경험을 보유한 R&D 전문인력으로 구성

정 신
CEO / PhD

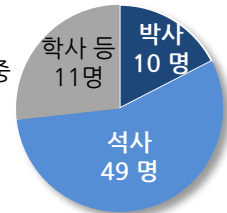
- 영국 임상 1상 CTA 3건 성공 / 책임자
(관절염 치료제 Polmacoxib 주 발명자)

전문 R&D 인력

총 인력의
77%
(2020년 5월)



석박사 비중
66%



국내 연구 / 개발 핵심 멤버

화학



윤홍식 | 부사장/PhD
(경력 28년)
• PNA 모노머 생산
및 공정 개발 총괄

의학



김영래 | 부사장/MD
(경력 27년)
• 글로벌 임상개발 담당

생물학



조봉준 | 이사/PhD
(경력 8년)
• 동물 효능 평가 담당

생물학



김종완 | 이사/PhD
(경력 12년)
• In Vitro & Ex Vivo
효능 평가 담당

화학



Brian McKittrick |
부사장/PhD (경력 34년)
• Merck Director 역임
(고지혈증 치료제 Zetia 발명자)

전략



이장영 | 부사장
(경력 23년)
• 사업개발담당
(메디포스트, 태평양제약 근무)

생물학



Kenny Wong |
외부자문/PhD (경력 27년)
• Merck Director 역임
(siRNA Biology & Pharmacology)

전략



이한용 | 이사
(경력 14년)
• Transaction & Liaison 담당
(Bank of America, KPMG 근무)

OliPass PNA 신약 개발에 적합한 R&D 인프라 확보

- OliPass PNA 신약 후보물질 도출 부터 임상 2상 개발 단계까지 지원 가능 -



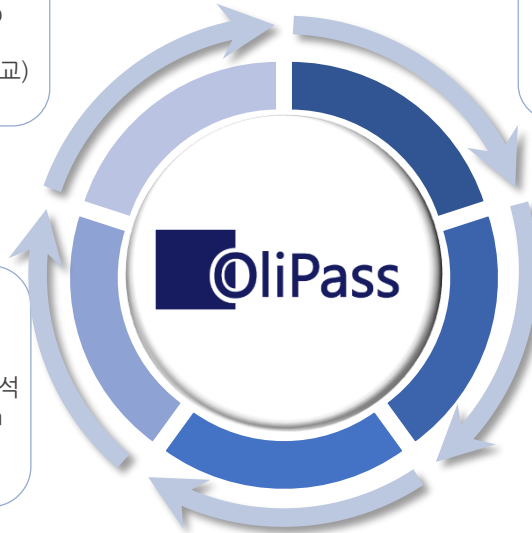
PNA Monomer 합성/생산

- Multi-Purpose Chemistry Lab
- 모노머 양산 설비 (Kilo-Lab)
- 경기바이오센터 11층 (수원 광고)



OliPass PNA 합성/생산

- OliPass PNA 신약후보물질 설계/합성
- OliPass PNA 양산 설비 (Gram-Lab)
- OliPass PNA 자동 합성 및 양산 시스템



Animal Research Facility (동물 효능 평가)

- 신약후보물질의 동물 효능 평가/분석
- SPF-Compatible Clean Room
- Histopathology & Immunohistochemistry



QC/QA

- OliPass PNA 및 모노머 QC/QA
- API 및 Drug Products QC/QA
- Nano/2D-LC/MS/MS, LC/TOF-MS, UPLC



In Vitro/Ex Vivo BioAssay (세포 효능 평가)

- 세포/동물조직의 유전자 발현량 분석/평가
- 질병 단백질 발현량 분석/평가
- 신약후보물질의 작용 기전 연구

물질 특허권

기존 물질 특허의
활용범위 최대화

OliPass PNA 물질 원천 특허

- PCT/KR2009/001256
- 세계 35개국 (유럽 21개국) 출원/등록
- 특허 만료 2028년

OliPass PNA 신물질 개발

RNA 치료제 설계 기술

*Exon Skipping*에 특화된
OliPass PNA

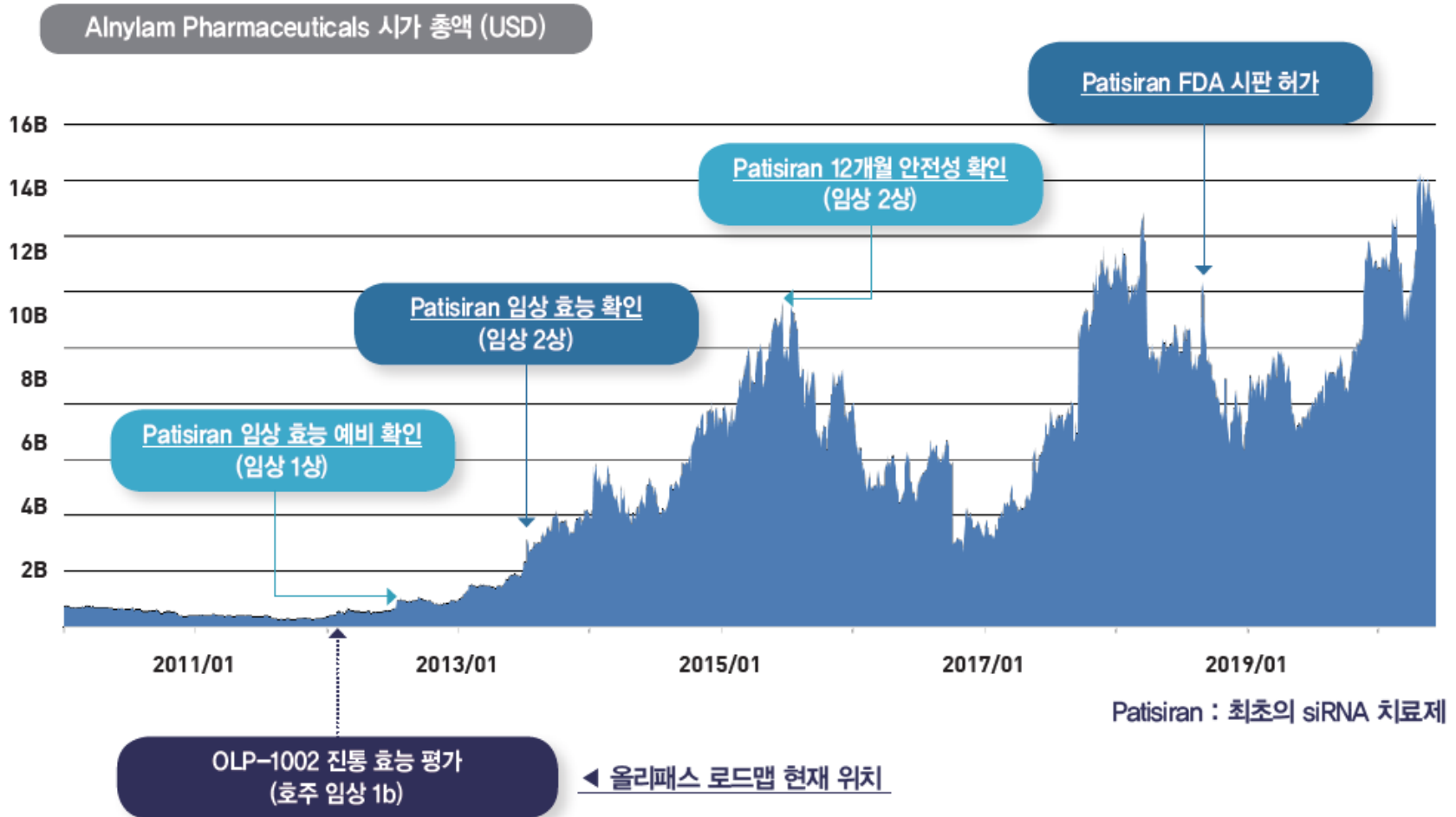
OliPass PNA Exon Skipping 설계 특허

- PCT/IB2017/001725
- 개별 국가 특허 출원 진행 중
- 특허권 만료 2036년

OliPass 플랫폼 기반 신규 후보물질 도출 시, 각각에 대한 물질특허 및 용도 특허 취득 가능

06 Roadmap Benchmark: Alnylam Pharmaceuticals

Company Overview

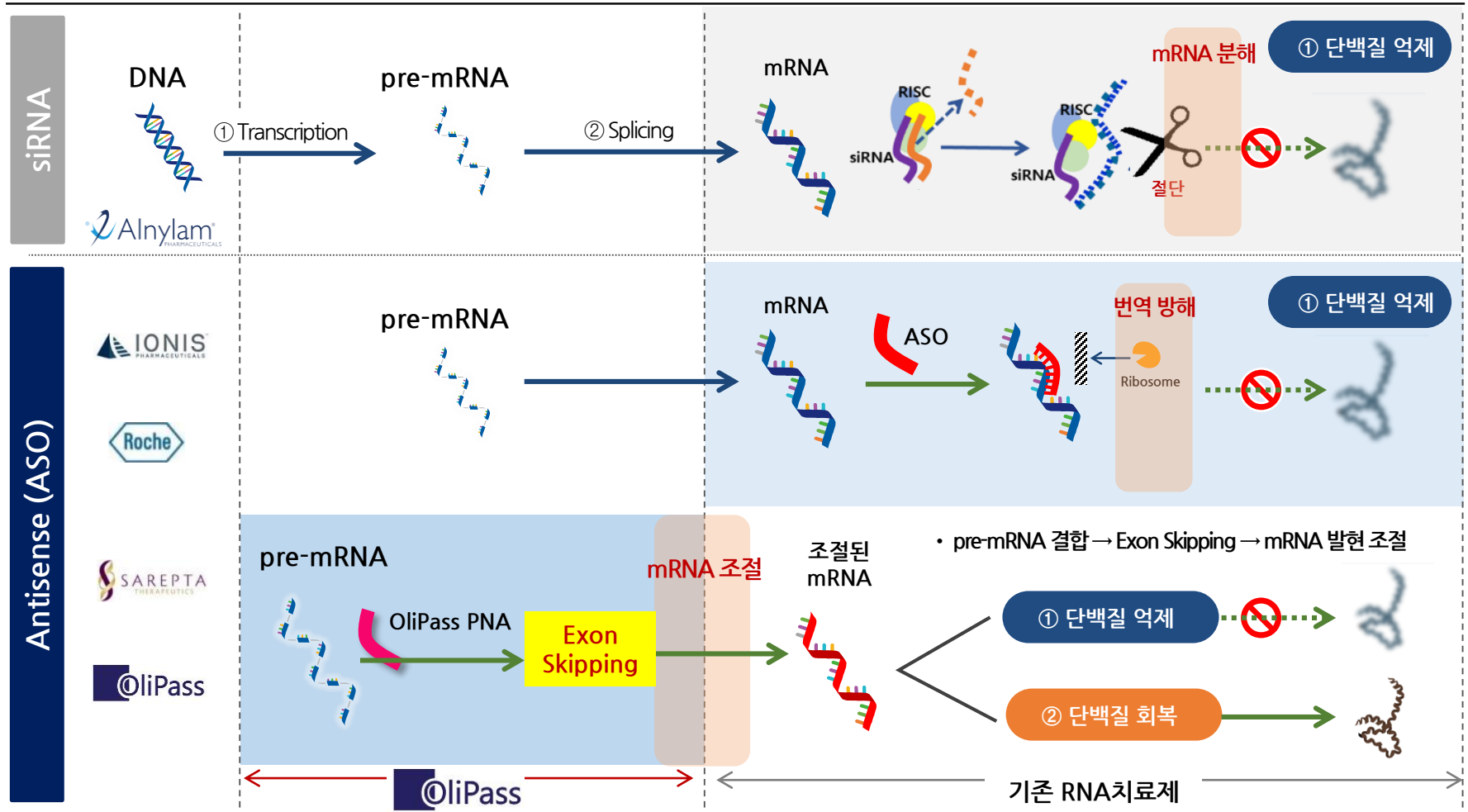




03 OliPass PNA 플랫폼

1. OliPass PNA 작용 기전
2. Exon Skipping
3. OliPass PNA 우수한 세포투과성
4. OliPass PNA 플랫폼 특 · 장점

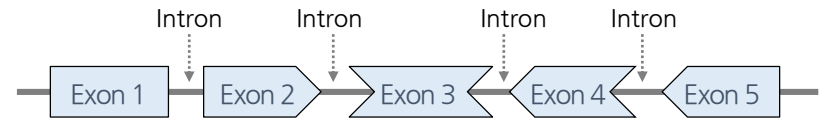
Exon Skipping 통해 mRNA를 조절하는 신개념 RNA 치료제



pre-mRNA에 특화된 OliPass PNA의 작용 기전

pre-mRNA → mRNA 변환 과정 (Splicing)

pre-mRNA

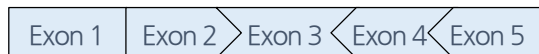


정상 Splicing
(Intron 제거)

Intron Intron

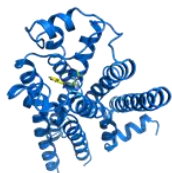
핵막

mRNA



세포막

단백질



단백질
과발현

불필요
단백질 발현

필요 단백질
미발현

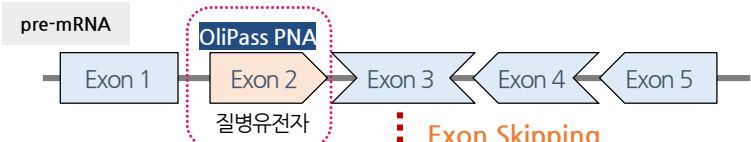


질병 유발

“ 모든 표적 mRNA에 대한 불활성화 및 재구성 가능 ”

① 단백질 억제 → 질병 유발 단백질의 비활성화

pre-mRNA



Exon Skipping

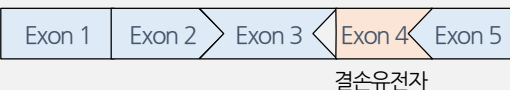
(Splicing 과정 중 타겟 Exon 함께 제거)

mRNA



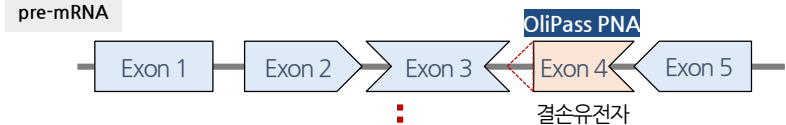
② 단백질 회복 → mRNA 조절(modulation) 통한 단백질 생성

비정상 mRNA



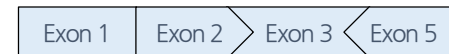
결손유전자

pre-mRNA



Exon Skipping

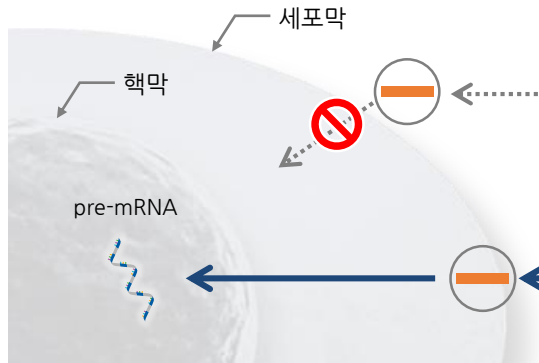
정상 mRNA
(변조)



단백질 발현
재구성 →
기능 회복

자유로운 세포막 및 핵막 투과 → 핵 내 약물 분포 → Exon Skipping에 최적화

세포투과도
및 용해도
문제 해결



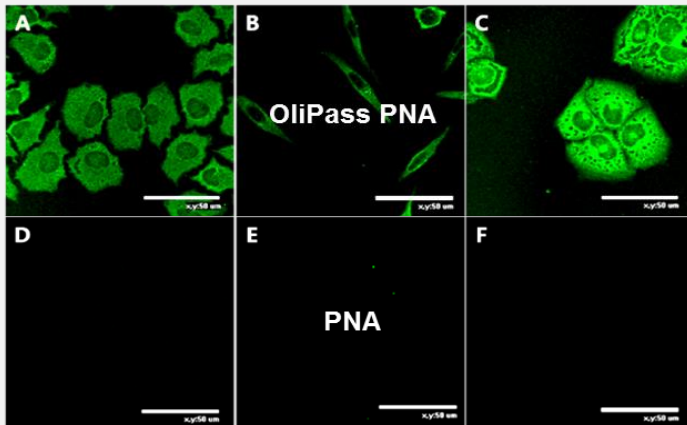
PNA(*)

(*) Peptide Nucleic Acids
PNA는 중성 전하를 나타냄
→ 음전하를 보유한 세포막 및 핵막 투과에 부적절
→ 용해도가 낮음

OliPass PNA

OliPass PNA는 양이온성 지질 보유
→ 세포막 및 핵막 친화력 우수
→ 핵 내 약물 분포 용이

[OliPass PNA vs. PNA 세포투과성 비교 실험]



녹색 형광체 FAM 기를 부착한 OliPass PNA 와 PNA 를 각각 세포에 처리 후 Confocal 형광 이미지

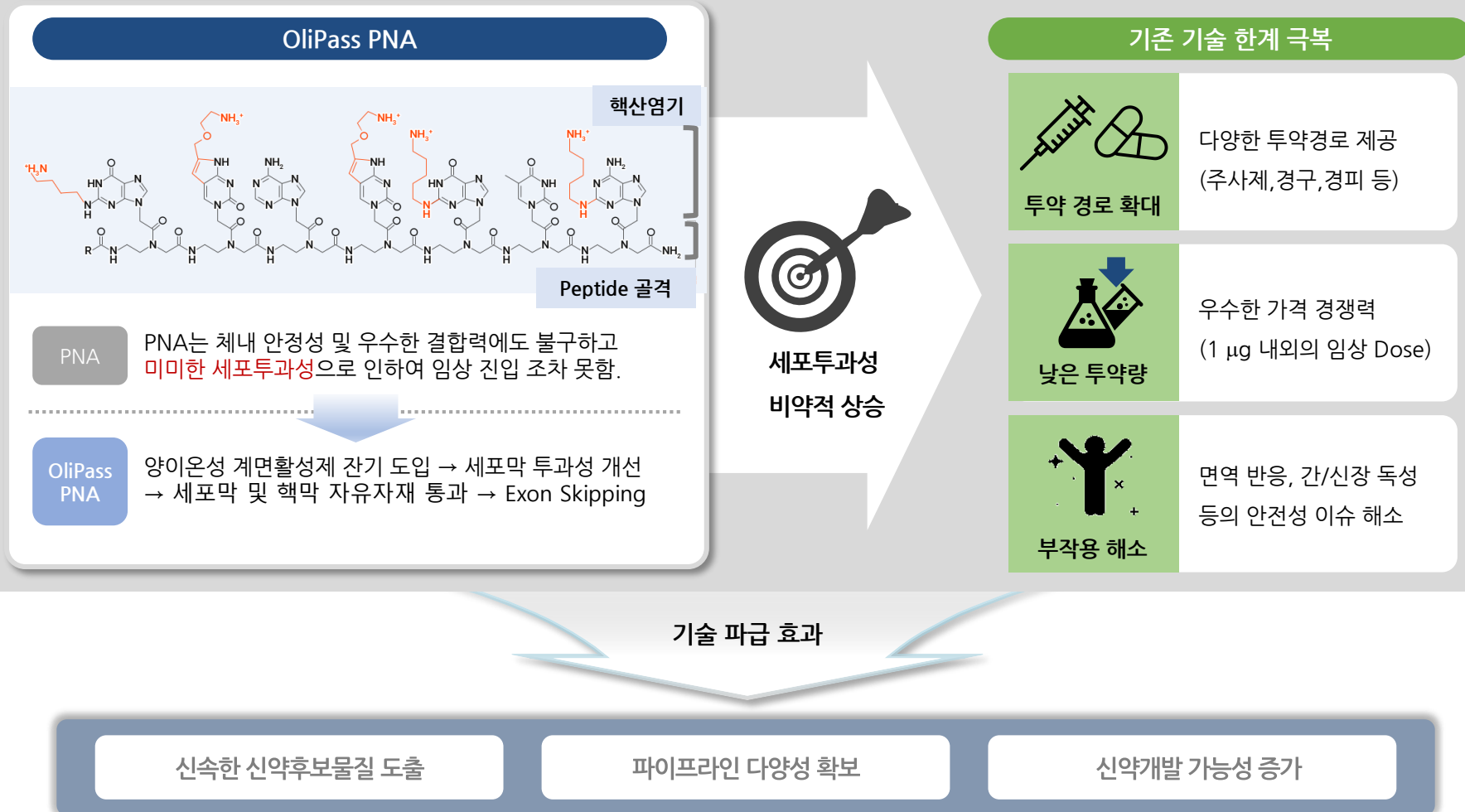
OliPass PNA

- 세포 종류와 관계 없이 세포 내 형광이 강함
→ 우수한 세포투과성
- OliPass PNA 를 처리한 세포는 세포 핵에서 형광 검출됨
→ pre-mRNA 타게팅에 적합한 성질

PNA

- PNA: 세포 내 형광이 없음 → 세포투과성 불량

우수한 세포투과성 → 1 µg 내외의 임상 Dose → 우수한 안전성 및 가격 경쟁력





04oliPass Pipeline

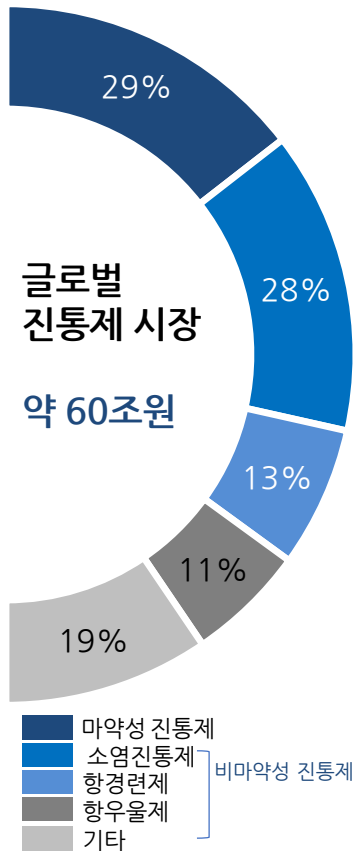
1. 주요 신약 Pipeline
2. 신개념 비마약성 진통제
3. OLP-1002 비마약성 진통제
4. OLP-1003 당뇨병 망막증 치료제
5. PCSK9 고지혈증 치료제

비마약성 진통제 선도프로그램 중심으로 다양한 투여경로(Route of Administration)의 파이프라인 개발

구 분	Target	'20	'21	'22	'23	'24	'25	'26	'27	'28	비고
비마약성 진통제 (OLP-1002)	SCN9A										• Original protocol 임상 1상 투약 완료 (영국 Covance) • 2020년 중 환자 대상 진통 효능 평가 계획 (임상 1b상)
당뇨성 망막증 치료제 (OLP-1003)	VEGFA										• 안구 점안액
고지혈증 치료제	PCSK9										• 경구용

기존 진통제의 심각한 부작용으로 인한 신개념 비마약성 진통제 개발 필요성 대두

■ 마약성 진통제와 비마약성 진통제 비교



구분	마약성 진통제	비마약성 진통제	
		소염 진통제	항경련제
대표적 약물	Morphine, Oxycodone, Codeine, Tramadol, Fentanyl 등	Aspirin, Naproxen, Celecoxib, Ketoprofen, Ketorolac, Tylenol 등	Gabapentin, pregabalin(Lyrica), Cymbalta 등
진통 효능	강함	약함	약함 ~ 보통
주요 부작용	식욕 감퇴, 호흡곤란, 중독성, 심장박동 이상	위/장관 출혈, 궤양, 심장마비, 뇌졸중	어지러움, 졸음, 시력 저하, 활력 저하, 부종, 구토, 구역질 등
약물 안전역	매우 작음	중간	중간

손해배상 청구 사태
제너릭 생산 금지



마약성 진통제
글로벌 판매 1위
옥시코돈

제조사 퍼듀파마
현재 파산신청 계획

**안전하고 우수한 효능을 보유한
신개념 진통제 개발 필요**

안전하고 우수한 진통 효능을 보유한 SCN9A Antisense 비마약성 진통제

Na_v1.7 타겟 비마약성 진통제 개발 개요



SCN9A 유전자
불활성화



Na_v1.7 단백질
발현 저해

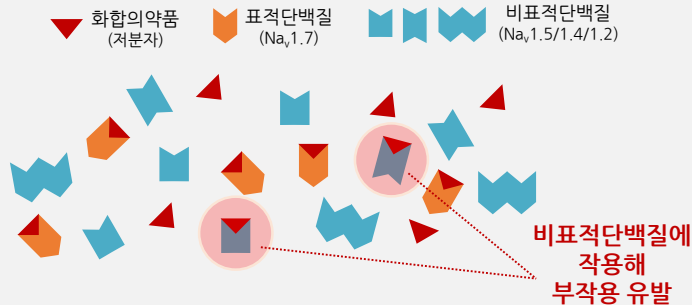


통증을 느끼지 못함
다른 감각 기능은 정상

※ SCN: Tetrodotoxin (복어독)이 결합하는 작용하는 유전자로서 10 여종의 매우 유사한 Subtype이 존재

기존 화합물의약품 개발 한계

Na_v1.7 선택적 저해제는 안전하고 강력한 진통제임에도
10여종의 유사한 Subtype이 존재해 정확한 선택성 부족

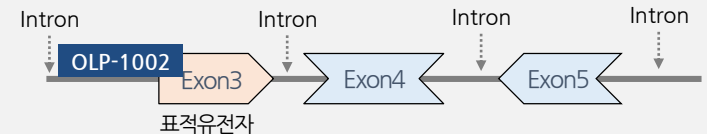


[주요 subtype 저해효과]

Subtype		저해 효과
유전자	단백질	
SCN9A	Na _v 1.7	강력한 진통
SCN5A	Na _v 1.5	심장마비
SCN4A	Na _v 1.4	근육 경직
SCN2A	Na _v 1.2	간질성 경련

안전성 높은 pre-mRNA 치료제 개발

pre-mRNA 단계 정확한 타겟 유전자 저해를 통해 강력한 진통 효과



[Na_v1.7타겟 비마약성 진통제 개발 현황]

치료타겟	개발 기업	Target	개발단계	설명
단백질 (저분자 화합물)	Merck	Na _v 1.7	선도화합물 도출	공동 연구 개발
	Pfizer		임상 II상 중단	진통효능 부족
	Xenon (Teva)		임상 I상 중단	선택성 및 안전성 부족
	Chromocell		전임상 중 L/O	2015년 임상 1상 후 L/O(5억달러)
pre-mRNA	올리패스	Na _v 1.7 (SCN9A)	임상 I상	매우 우수한 안전성 + 강력한 진통 효능

02 OliPass Pipeline OLP-1002 비마약성 진통제_Global 임상 1상



우수한 장기 투약 안전성 및 치료 효능 검증을 위한 Global 임상 1상 진행 중

세계 최초 OliPass PNA 약물의 성공적인 임상 개발을 위해
글로벌 임상 평가 기관인 Covance / Novotech과 공동 연구

최고의 임상 파트너



COVANCE

NT NOVOTECH

풍부한 RNA 치료제 전임상
및 임상개발 경험 보유
극미량 약물 분석기술 보유

기존 대비 장기적, 반복적 실험 통해 미국 전임상 완료

○ OLP-1002 주사제 전임상 개요

표적 단백질	물질명	진행상황
Na _v 1.7 단백질	OLP-1002	미국 전임상 완료 (영국 임상1상)

○ 13주 반복 투약 GLP Tox (미국) + ADME



당사는 전임상 독성 평가 모든 영역에서
다른 RNA 타겟 약물 계열에 비해 장기
반복 투약을 통해 넓은 안전성 영역 확보

영국/호주 임상1상 진행

○ OLP-1002 비마약성 진통제 임상1상 일정

영국 임상허가 승인 (2018.11)

임상1상 Original Protocol 투약 완료
(2019.12)

**No Severe
Adverse Event**

2020년 관절염 환자 대상
호주 임상1b상 진입

2021년 관절염 환자대상
preliminary POC 확인

임상2상 및 기술수출의 근간이 될 임상자료 확보를 위한 임상실험 진행

	[영국] OLP-1002-001	[호주] OLP-1002-001B
목 적	건강한 피실험자 대상 안전성, 약동학, 약리학, 내약성 평가	OLP-1002의 최초 환자대상 임상 안전성, 약동학, 약리학, 내약성, 유효성 평가
임상기관	Covance	Novotec
임상시험자 자격	건강한 성인 남녀	고관절 또는 슬관절에 중등증 이상 관절염으로 통증을 수반한 환자
임상시험자 수	총 116명 (추가임상: 40명) ^(주)	총 30명
시험군	그룹 A 51명, 그룹 B 36명 (추가임상: 그룹 A 18명, 그룹 B 6명) ^(주)	그룹 1(시험군) : 10명 그룹 2(시험군) : 10명
대조군	그룹 A 17명, 그룹 B 12명 (추가임상: 그룹 A 12명, 그룹 B 4명) ^(주)	그룹 3(대조군) : 10명
투약량	그룹 A (A1~A11): 30 ng ~ 160 µg 단회 투약 그룹 B (B1~B6): 2 µg ~ 10 µg/1회, 5회 투약	그룹 1: 5 µg, 3~4일 간격 1회, 총 5회 투약 그룹 2: 10 µg, 3~4일 간격 1회, 총 5회 투약 그룹 3: Placebo, 3~4일 간격, 총 5회 투약
투여 기간	Group B : 3일 간격 1회, 총 15일	총 15일

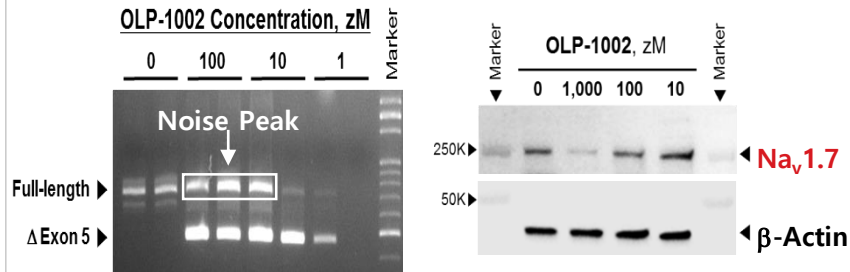
(주) 최초 임상 허가 승인받은 투약 외에 추가로 암 통증과 같은 과량 투약이 필요한 적응증으로 확대를 위해 영국 의약품 및 보건의료제품규제청 (MHRA) 추가 임상허가를 받아 투약을 진행

02 OliPass Pipeline

비마약성 진통제 OLP-1002_비임상 Data

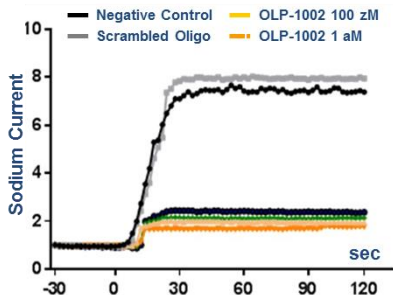


SCN9A "Exon 5"에 작용하여 Exon Skipping 유도

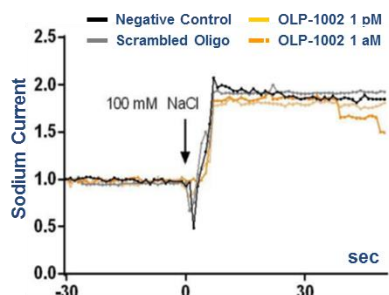


Nav1.7 발현을 선택적으로 억제 → 우수한 안전성

Sodium Current, DRG 신경 세포

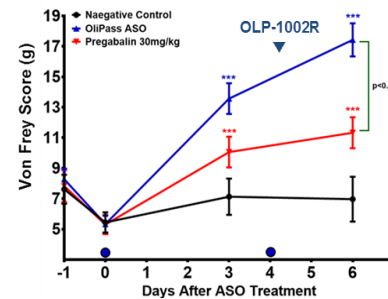


Sodium Current, 심장 근육 세포

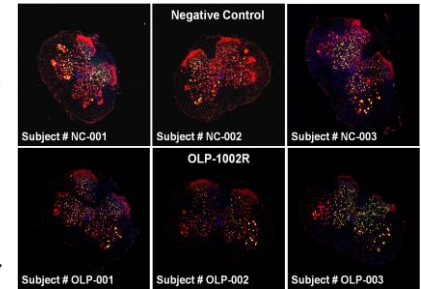


SNL 시술 동물에서 신경손상성 통증을 강하게 억제

SNL 시술 Rat 에서 진통 효능

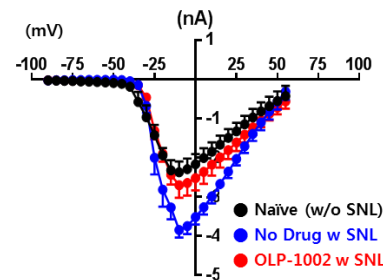


척추에서 Na_v1.7 발현 억제

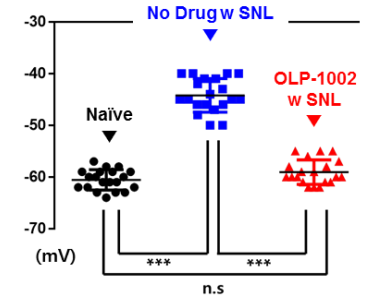


DRG 신경 세포에서 Sodium Current를 강하게 억제

Sodium Current 저해

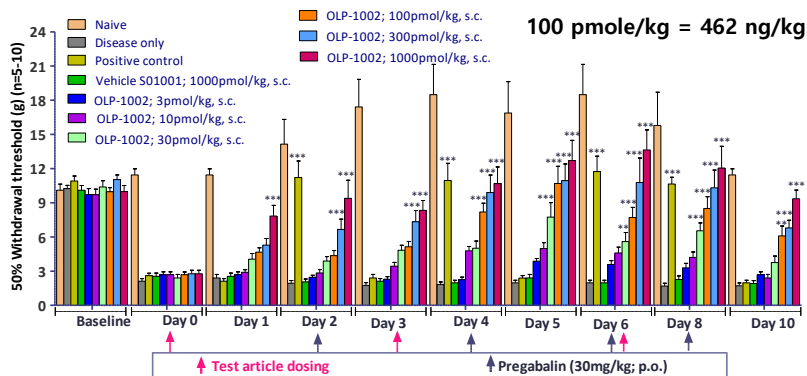


Resting Membrane Potential

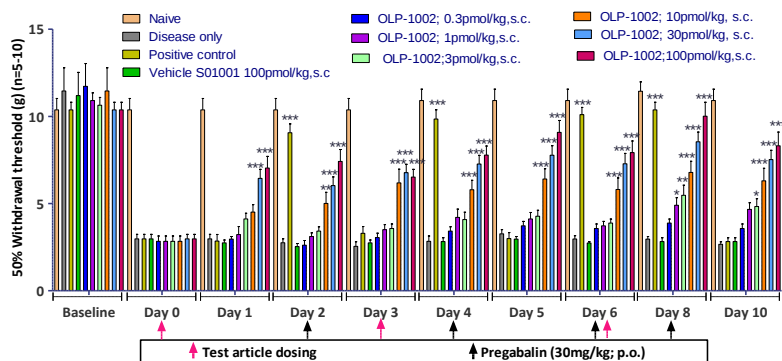


CIPN 및 DPNP Rat 모델에서 진통 효능 확인

Effect of test articles on CIPN pain in rats
Average (Left & Right hind paw)

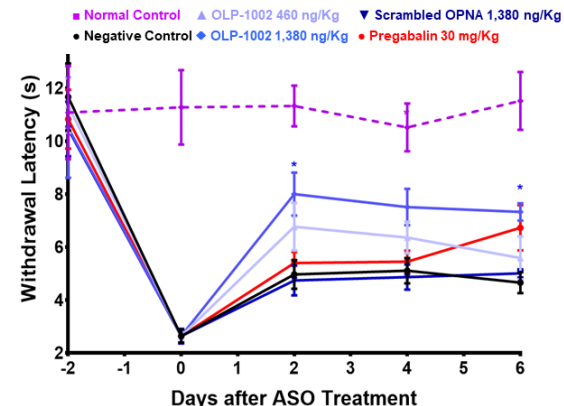


Effect of test articles in rat model of DPNP
Average (Left & Right hind paw)

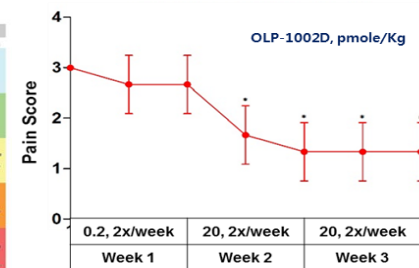
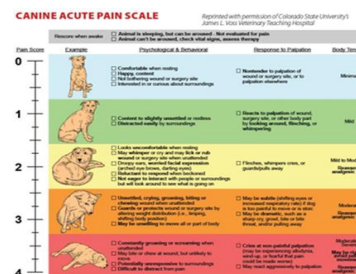


CIPN: Chemotherapy-induced peripheral neuropathy
DPNP: Diabetic peripheral neuropathic pain

염증성 통증 Rat 모델에서 신경손상성 통증을 강하게 억제

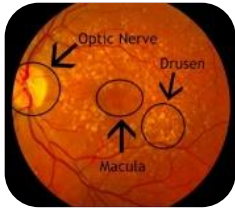


만성 악성 관절염 애완견 환자에서 우수한 진통 효능 확인



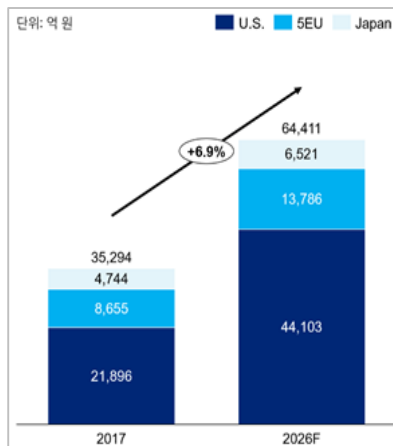
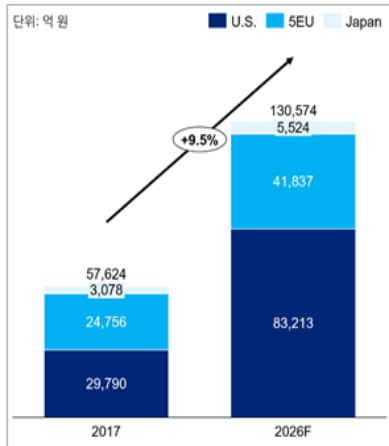
우수한 효능을 보유한 안구 점안액 → 저렴한 약가 + 우수한 안전성

■ 노인성 황반변성



■ 황반(망막의 중심부위, macula)의 망막색소상피 (retinal pigment epithelium)와 부르크막(Bruch's membrane) 및 맥락막(choroid) 모세혈관의 변성 (degeneration)을 특징으로 하는 만성질환

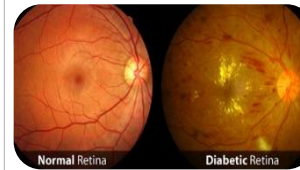
■ 글로벌 노인성 황반변성 및 당뇨병 망막증 치료제 시장 전망



자료: Globaldata

- 인구의 고령화 가속화로 50세 이상이 주요 발병 대상인 노인성 황반변성 환자군 확대 예상
- 당뇨병 황반부종의 치료율 개선과 제2형 당뇨병의 유병률 증가가 시장의 핵심 성장요인

■ 당뇨병 망막증



■ 당뇨병의 3대 미세혈관 합병증(microvascular complication) 중 하나로 지속적인 고혈당과 이에 따른 대사 이상으로 망막의 미세혈관이 점진적으로 변형, 폐쇄되어 망막으로의 원활한 혈액 공급이 되지 못하고 혈관투과성이 증가하여 망막에서 초자체로 신생혈관이 형성되는 것을 특징으로 하는 질환

■ 미충족 의학적 수요

- Lucentis, Eylea 등 고가의 주사 약물은 사용에 한계
- 안구 주사는 안구 손상, 감염, 공포감 유발하며 반복 투약에 부담

■ 치료제 개요

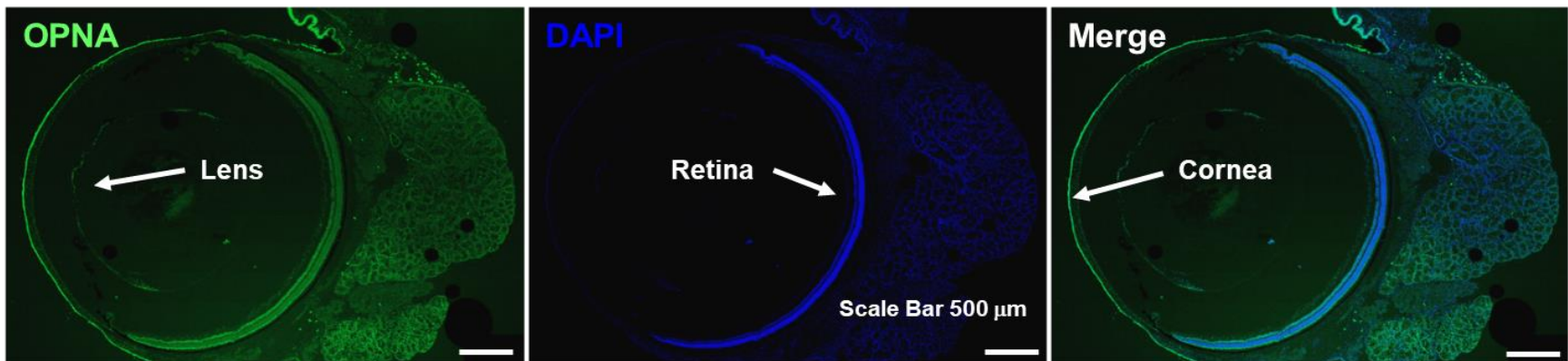
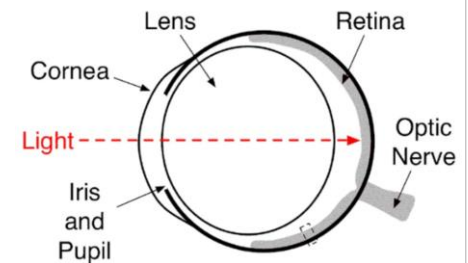
표적	물질명	투여방법	진행상황
VEGF	OLP-1003	안구 점안액 투여	선도물질 확보

■ 개발 경과

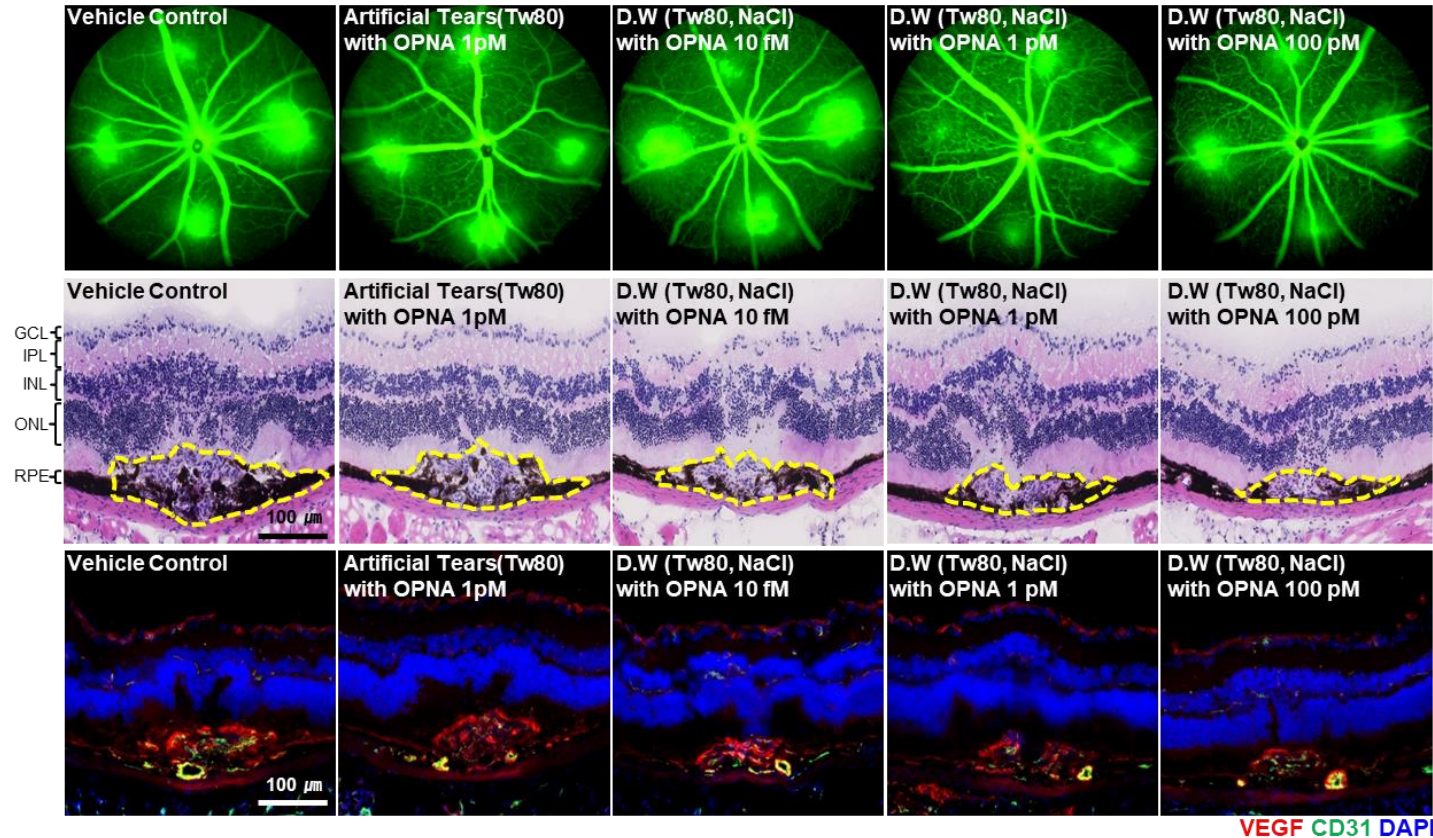
- In Vivo 효능검증이 완료될 것으로 예상되는 2020년에 GLP 비임상 안전성 평가를 진행할 예정
- 안구 질환관련 신약개발 경험이 풍부한 글로벌 CRO와 협업하여 개발을 진행할 예정

각막 첩포(Eye-drop)를 통한 안구 내 OliPass PNA 전달 확인

- FAM 형광 표지된 OliPass PNA 를 PBS에 희석하여 mouse의 각막(Cornea)에 직접 도포 (Topical, Eye-drop)
- 공초점 현미경을 이용하여 FAM 형광 표지된 OLP-1003의 안구 조직 내 분포를 확인
- FAM 형광 표지된 OliPass PNA가 Cornea 및 Retina에 전달됨을 확인. 또한 OliPass PNA가 렌즈(Lens) 전면부에 부착되는 것을 확인 하였으며 이는 직접 도포(Eye-drop)를 통해 OLP-1003이 각막(Cornea)을 통과하여 안구 심부 Retina 까지 전달됨을 증명함.

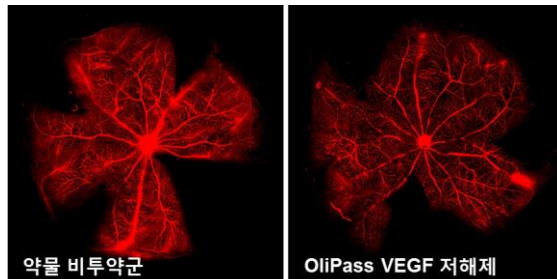


CNV Mouse 모델에서의 농도 별 효능 확인

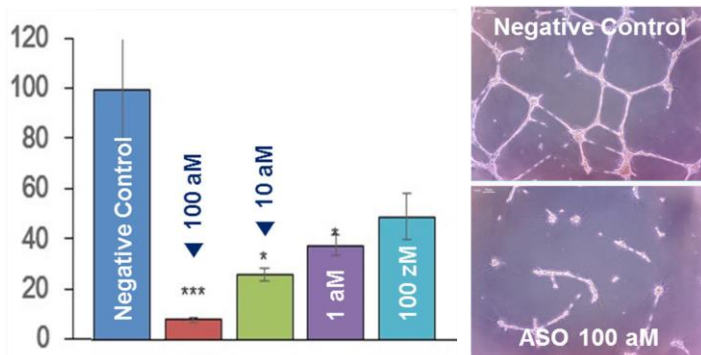


- 실험쥐 안구에 레이저 화상(Retinal Focal Laser Irradiations)을 처리한 후, CNV Lesion의 회복을 관찰
- OLP-1003 도포한 쥐에 작은 CNV Lesion 확인

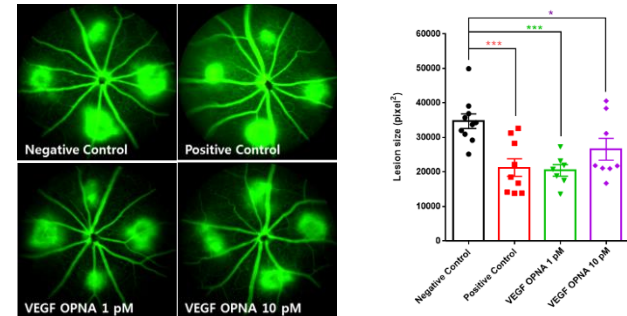
망막 내 혈관 과다 생성 억제



혈관 신생 억제

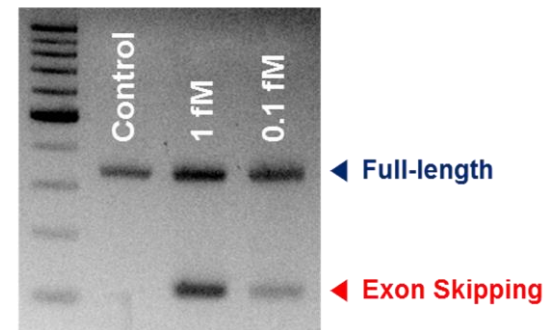


레이저 화상 조기회복 확인



Exon skipping 기전 확인

VEGFA OliPass PNA

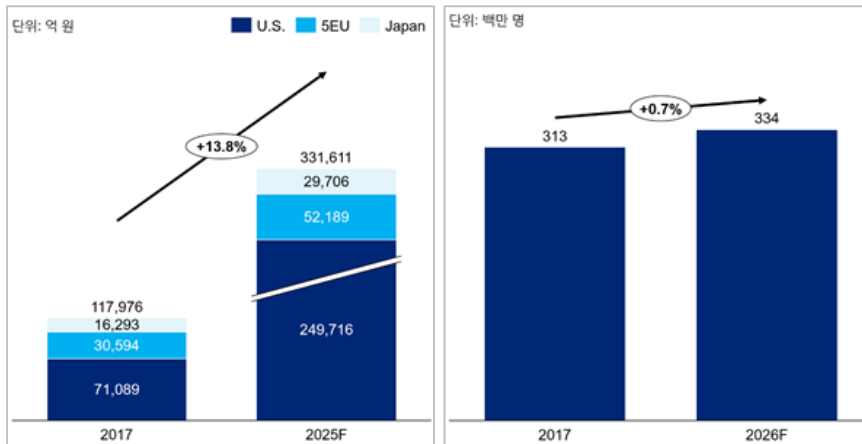


경구용 PCSK9 OliPass PNA 개발 → 가격경쟁력 높은 PCSK9 고지혈증 치료제 공급

■ 이상지질혈증

- 이상지질혈증 혹은 고지혈증
: 지방 대사의 조절 이상으로 인해 혈액 속 콜레스테롤 및 지방질성분 많은 질환
- 엄밀하게 고지혈증은 혈중에 콜레스테롤, 중성지방 등이 증가된 상태
이상지질혈증은 콜레스테롤과, 중성지방 등 지질의 상승 및
고밀도지단백 콜레스테롤(HDL cholesterol)이 감소한 상태 포함

■ 글로벌 이상지질혈증 치료제 시장 및 환자 규모 전망



자료: Globaldata

서구화된 식습관의 전파로 비만인구 증가, 흡연/음주인구 증가
→ 이상지질혈증 유병 환자군 꾸준한 성장세 예상

■ 미충족 의학적 수요

- Statin 계열 복용 약 1% 환자, 근육 소실 및 심장마비 등 치명적 독성
- 피하주사 투여 방식, 환자 편의성 개선 필요
- 항체 의약품 Repatha 효능 우수, 치료비 고가 (\$10,000/년)

■ 치료제 개요

표적	물질명	투여방법	진행상황
PCSK9	PCSK9 OliPass PNA	경구용	선도물질 확보

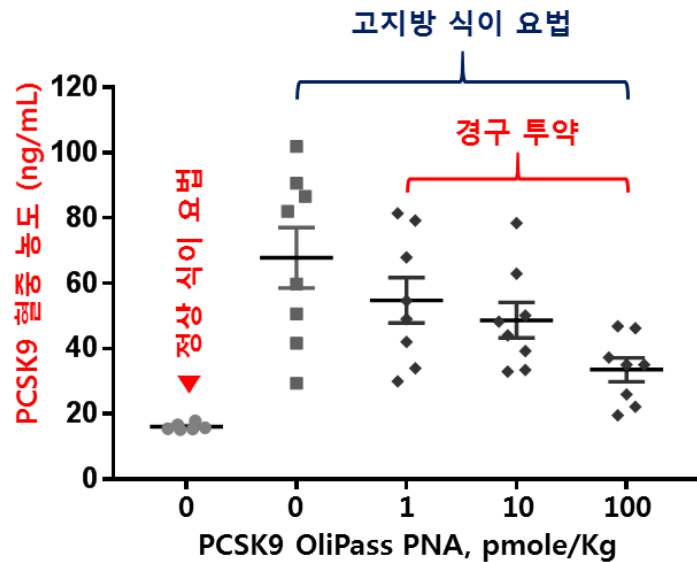
■ 개발 경과

- 2017년 6월 중소기업청 글로벌 스타벤처 육성 R&D과제로 선정 (정부 연구비 4.8억원)
- 2020년 중 GLP 비임상 안전성 시험 등 신약개발 단계 진입 예정
- Global "Top 3" 전임상/임상 CRO인 Covance 사와 진행 예정

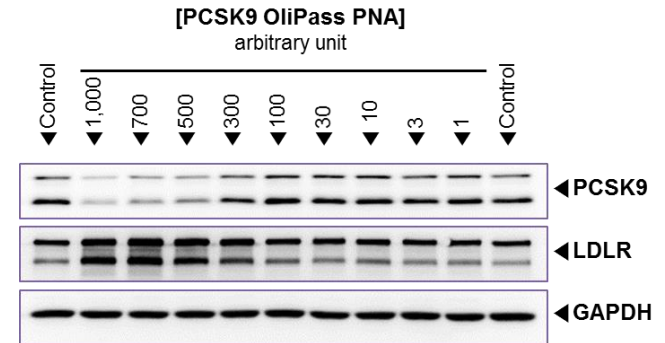
04 OliPass Pipeline PCSK9 고지혈증 치료제_비임상 DATA



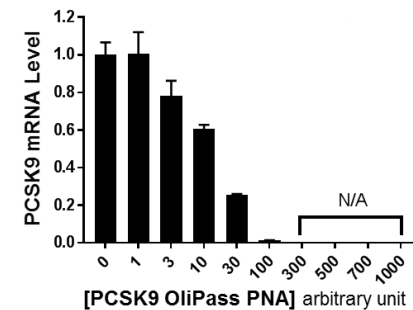
경구 투여 시 단백질 혈중 농도 감소



PCSK9 단백질 발현 억제



PCSK9 mRNA 생성 억제





05 OliPass 성장전략

1. 2030 OliPass Vision
2. “Two Track” OliPass 사업 모델
3. Target X Collaboration
4. Academic Collaboration

01 OliPass 성장전략

2030 OliPass Vision



2030 OliPass Vision

Global #1 Exon Skipping
Platform Company

OliPass PNA 유래 신약 30종 FDA 시판 승인



사업전략 파트너



기존 In-house target

- Mega Market 적응증 타겟으로 구성
- Global 제약사와 Collaboration 목표
- 피하주사, 안구점안액 및 경구용 등 다양한 투여경로의 치료제로 개발하여 플랫폼 기술로서의 가치 제고



신규 Target (Target X 포함)

- 신속한 신규 적응증 타겟 발굴
- Pipeline Portfolio의 분석 및 우선순위 선정
- 가치 변곡점(Value Inflection Point) 정의하여 기술 수출을 위한 최적의 파트너, 시점 및 단계 선정



해외사업 확장

- 기술력 가치 제고를 위해 해외사업 확장이 필수
- 개발 타겟 기반의 Spin-out 자회사 설립
- 자회사의 Financial / Strategic 투자자

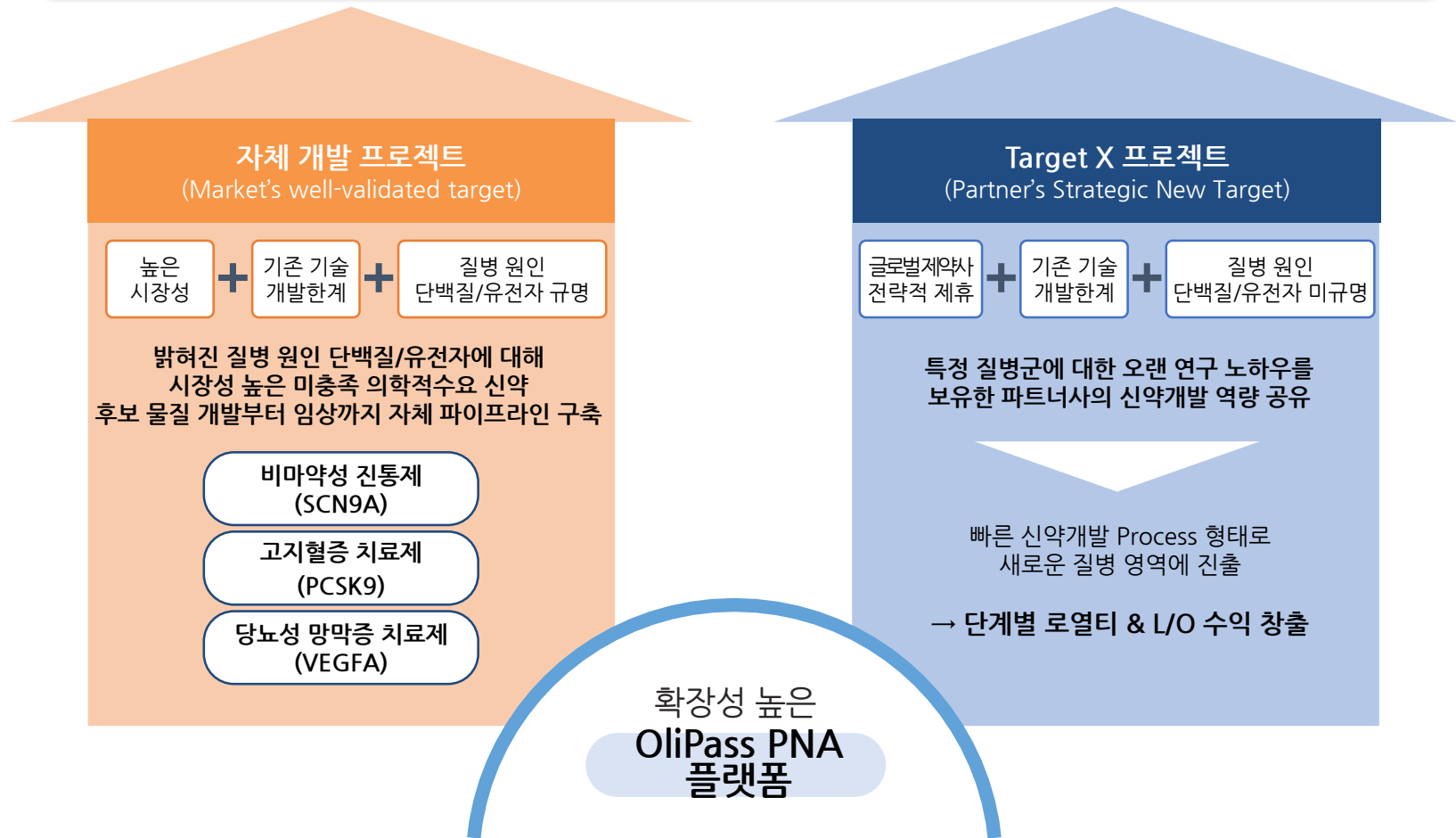
02 OliPass 성장전략

“Two Track” OliPass 사업 모델



자체 개발 신약 L/O + Target X 신약 공동 개발 → 다수의 OliPass PNA 신약 조기 시판

글로벌 제약사 대상 각 단계 기술이전 계약 체결로 로열티 수익 확보 및 L/O으로 수익 창출



파트너 제약사가 희망하는 “Target X” 유전자에 대한 RNA 치료제 공동 개발

Target X

기존 Modality로
개발 불가능한 Target

Exon Skipping 기전
특화 Target

기존 RNA 치료제의
한계점 극복하는 Target

RNA 치료제 중
“Me-Better” Target

NASDAQ 상장사와
희귀질환 치료제 2종
공동 개발 계약 체결

확장성 높은
OliPass PNA 플랫폼

■ Target X 프로젝트란?

- 올리패스의 플랫폼과 **파트너 제약사의 신약 개발 역량을 접목**하는 공동 연구/개발
- 파트너 제약사가 원하는 유전자 타겟(Target X)대상 **공동 연구개발**
- 신속한 신약 후보물질 도출이 가능하여 **제약사들이 적극 관심 표명**

■ Target X 프로젝트 특징점

- 파트너 제약사의 바이오 신약 개발 역량을 활용한 **빠른 신약 개발 진행**
- 파트너 제약사의 전문 치료제 분야에 **공동 진출 용이**
- Target X 프로젝트를 통해 **올리패스 플랫폼 기술에 대한 자연스러운 홍보**
- 다수의 Target X Collaboration → **안정적 매출 Source 확보**

■ Academic Collaboration



올리패스 - 아주대의료원 신경퇴행성 질환 및 재생 분야 공동연구

- 신경퇴행성 질환 및 재생분야 공동연구를 위한 협력
- 혁신적 의학 연구개발을 위한 상호협력
- 양 기관이 보유한 연구시설 공동 활용
- 의생명과학분야 인적자원 개발 및 지원
- 협력 네트워크 공동 활용 등



Stevens Institute of Technology (New Jersey, USA)

RNA Platform 세포 효능 공동연구



Temple University (Philadelphia, USA)

신경질환 관련 공동 연구