



Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



OliX
Pharmaceuticals

Investor Relations 2020



Disclaimer

본 자료는 투자자들을 대상으로 실시되는 Presentation에서의 정보제공을 목적으로 올릭스 주식회사 (이하“회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재 배포는 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. Growth Potential

Chapter 4. Core Programs

Appendix



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

■ 일반현황

회사명	올릭스 주식회사 (OliX Pharmaceuticals, Inc.)
대표/창업자	이 동 기
설립일	2010년 2월 26일
상장일	2018년 7월 18일 (기술특례상장, 기술평가 A, A)
본사	경기도 수원시 영통구 이의동 에이스광교타워1, 1014호
임직원수	총 74명 (53 in R&D) * OliX US 10명 포함 - 박사 : 14명, 석사 : 31명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발

■ 주주현황

(2020.06.30 기준)

주주명	주식수(보통주)	지분율
최대주주 등	2,023,257	30.83%
휴젤(주)	177,796	2.71%
기타	4,361,868	66.46%
합 계	6,562,921	100.00%

■ 대표이사 창업자



이 동 기 | 이학박사

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

■ 해외법인

OliX US Boston	Preclinical development & pharmacology, CMC, Clinical, Regulatory/QA
OliX US San Diego	RNAi research through chemical modification of siRNA and develop analytical method for siRNAs

2. 성장연혁

다년간의 연구성과 기반, 축적된 파이프라인의 글로벌 시장 진출

기반기술 확립

2010년

- 02 비엠티㈜ 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 OLX101A 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 OLX101A, '범부처전주기신약개발 지원사업' 선정 (전임상)

2015년

- 04 OLX103, 기술개발지원사업 선정 (중소기업청)
- 06 전략적 투자유치(휴젤)

임상시험 승인

2016년

- 03 미백물질 국제화장품원료집 등재
- 07 OLX101A 논문 JID 게재
- 12 대표이사 보건복지부장관 표창

2017년

- 01 수원(광교) 신사옥 입주
- 01 OLX101A 한국 1상 임상 시험 승인
- 02 핵산안센터 개소
- 05 긴비대칭 siRNA 미국특허등록
- 06 박신영 수석부사장 식약처장 표창
- 10 기술성평가 통과 (A, A)

글로벌 임상시험 진입

2018년

- 05 OLX101A 한국 1상 임상 시험 종료
- 05 OLX101A 영국 1상 임상 시험 승인
- 07 코스닥 상장 (기술특례상장, 기술평가 A,A)
- 10 OLX101A, '범부처전주기신약개발지원사업' 선정 (글로벌 1상 완료 및 2상 임상 시험 승인 목표)
- 10 OliX US, Inc. 설립 (Cambridge, US)
- 11 OLX101A 한국 2상 임상 시험 승인

2019년

- 01 San Diego (US) Lab 설립
- 03 OLX301A 기술이전 (떼아, 대상지역: 유럽 등)
- 11 OLX101A 영국 1상 임상 종료

2020년

- 03 AM케미칼로부터 GalNAc 기술도입
- 06 GalNAc-siRNA 연구개발 공급계약체결



올릭스 원천기술
연구이력

2015 자가전달 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록

2013 긴 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록

2010 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록

2009 비대칭 siRNA 구조기술 국제 저널 논문발표 (Molecular Therapy)

2004 RNA 간섭 기술 연구 (포항공대, 성균관대)

3. 경영진의 신약개발 전주기적 역량

R&D 및 임상시험, 사업화 영역 등 모든 단계별 전문인력으로 구성

이동기
CEO/CSO

- 기술경영 총괄
- 연구개발 전 과정에 대한 Top Level 전략 및 기술 사업화 주도

- 경영기획총괄
KAIST 경영과학 석사

강충길
COO

기반기술 (R&D)

선도/후보물질 효력 검증

비임상 인허가

임상개발

홍선우 | 연구소장

- 포항공대 화학 박사
- 동국대 연구교수
- 기반기술 개선 및 기초 연구 총괄

김영희 | 이사

- 경상대 신경생물학 박사
- J. Ambati 교수연구실 연구교수 (OLX301 동물 효력 검증)
- 안과 분야 연구 및 개발

박신영 | 수석부사장

- 서울대 약학박사
- 전임상 독성 전문가
- KIT 재직 시 Ionis사 비임상 독성 Project Manager

이광용 | 전무

- KAIST 학사
- MBA, Sejong Syracuse
- Pfizer, Janssen 등 다국적 제약사에서 글로벌 임상진행 경력

박준현 | 수석연구원

- 서울대 생화학 박사
- 삼성바이오에피스 선임연구원
- 기반기술 연구

김경미 | 수석연구원

- 서울대 분자생물학 박사
- 피부/폐/신경 분야 연구 및 개발

Synthesis

신동원 | 이사
(OliX US, Inc.)

- Ph.D. in Organic Chemistry, Univ. of California, Riverside
- Senior Staff Scientist, Trilink Biotechnologies, LLC

CMC

Debasis Patra

- | Senior Director (OliX US, Inc)
- Ph.D. in Synthetic Organic Chemistry. Indian Association for the Cultivation of Science
- CMC Integration & External Process Development Manager, Amgen

Pooja Dua | 수석연구원

- Ph.D. in Biochemistry, Univ. of Mumbai (India)
- Assistant Professor, Dept. Microbiology, India

4. Scientific Advisory Board

각 분야 글로벌 전문가로 구성된 과학기술자문단이 R&D 및 임상 개발 자문

■ Platform Technology (기반기술)



John Lis

Gene Expression, oligotherapeutics

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

■ Hepatology (간질환)



Yury V. Popov

Hepatology

- Assistant Professor of Medicine, Beth Israel Deaconess Medical Center, Harvard Medical School

■ Ophthalmology (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)



Gordon Jiang

Hepatology

- Transplant hepatologist and physician-scientist at Beth Israel Deaconess Medical Center, Harvard Medical School



Hye-Won Chung

Ophthalmology (AMD, Retina, Retinitis pigmentosa)

- Associate Professor of Ophthalmology at Konkuk University
- Member, The Macular Society



Aaron Hakim

Hepatology

- Clinical Fellow in Medicine (EXT) Beth Israel Deaconess Medical Center, Harvard Medical School



02

Core Technology

1. RNA 간섭 기술
2. 기존 RNA 간섭 기술의 한계점
3. OliX 비대칭 siRNA
4. OliX 자가전달 비대칭 siRNA
5. OliX GalNAC-asiRNA
6. RNA 치료제 타사현황

1. RNA 간섭기술

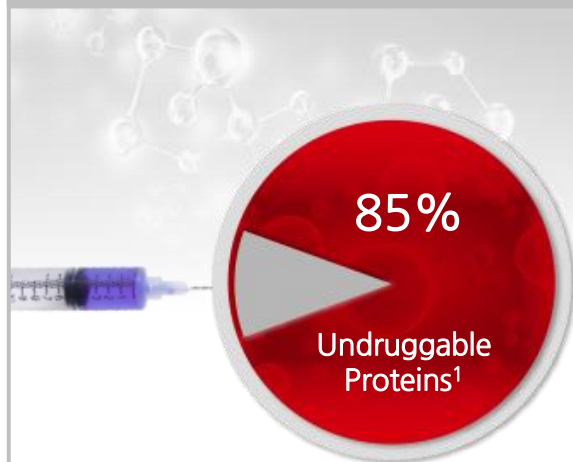
저분자화합물(1세대), 항체(2세대) 신약 개발 기술의 경우 생성된 단백질에 작용
올리고 핵산(3세대) 신약 개발 기술의 경우 단백질 생성 전 단계에서 작용



1. RNA 간섭기술

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 (3~5개월)

RNA 간섭 기술

siRNA (RNA간섭 물질)



(이중가닥 짧은 간섭 RNA)

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

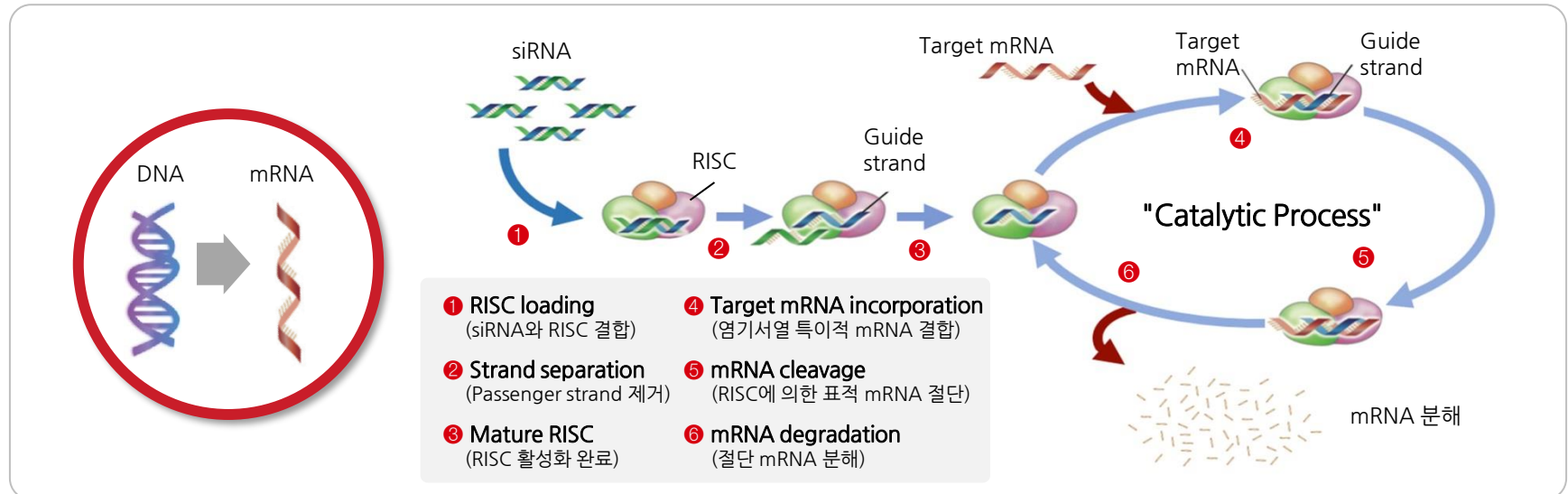
주1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

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

1. RNA 간섭기술

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 FDA 승인
(미국 Alnylam, ONPATTRO, 2018년 08월)
(미국 Alnylam, GIVLAARI, 2019년 11월)

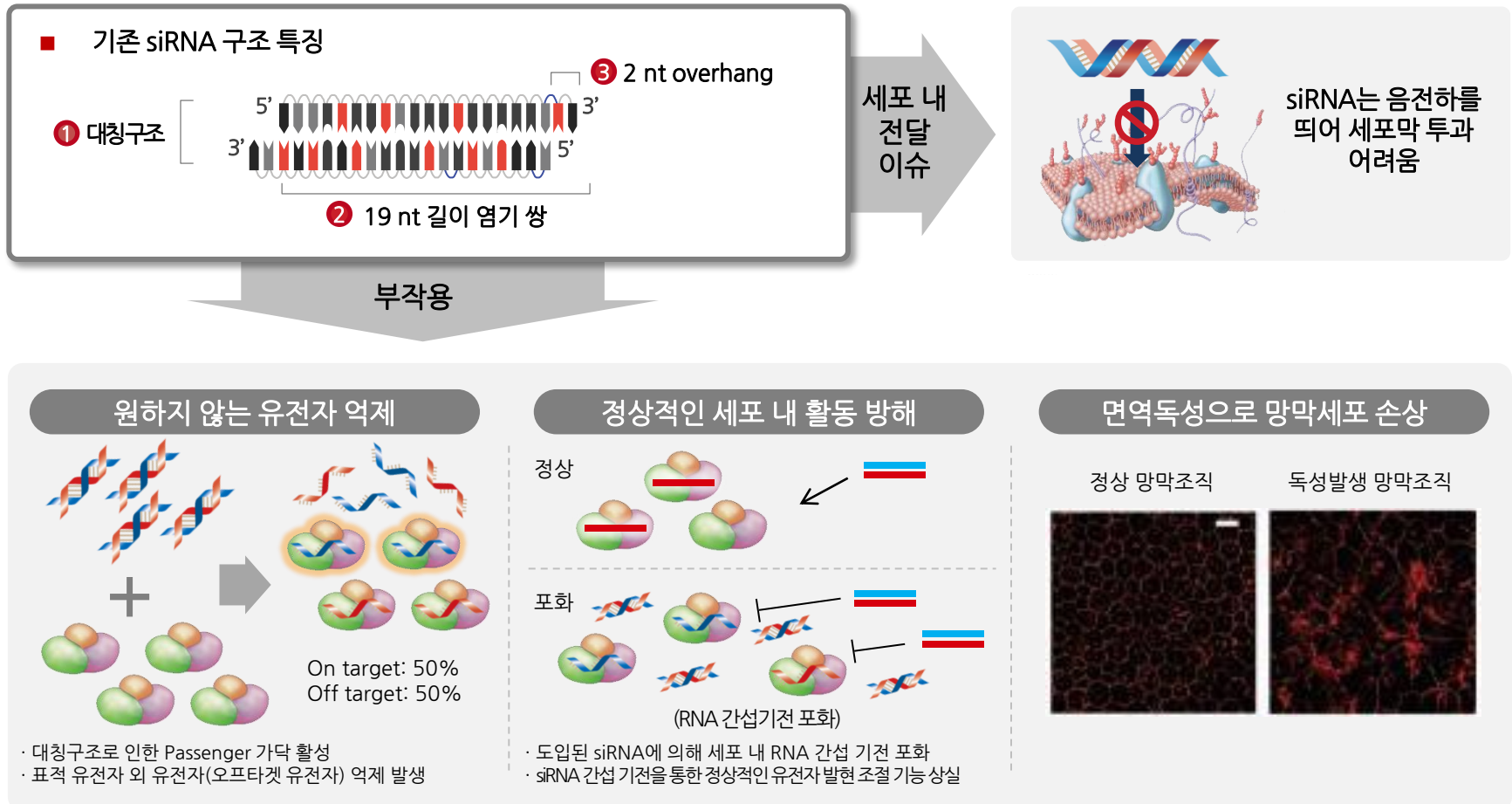


하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한
신약물질 단기간 제작 가능

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

2. 기존 RNA 간섭 기술의 한계점

기존 siRNA 구조적 단점으로 부작용 및 세포 내 전달 이슈 존재



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

※ Source: 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

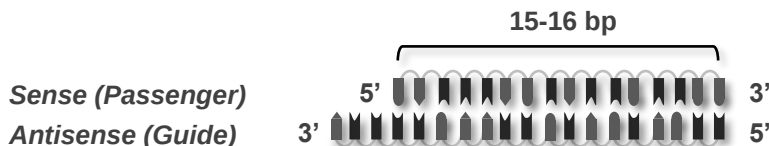
3. 비대칭 siRNA (asiRNA)

asiRNA는 현재까지 가장 효율적인 유전자 조절 기술로 알려진 RNA 간섭 기술을 바탕으로
OliX가 개발한 독자적인 유전자 억제기술

■ 기존 siRNA



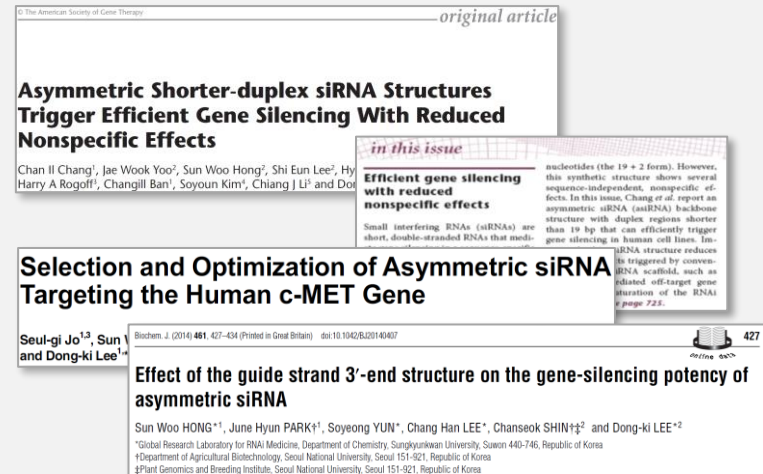
■ OliX 비대칭 siRNA (asiRNA)



올릭스 전용 실시권 확보

비대칭 RNAi 원천 기술 특허 출원/등록

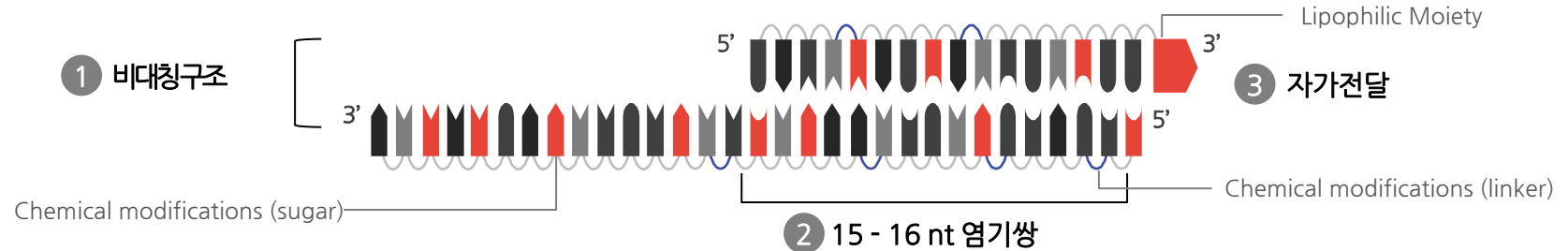
- “Novel siRNA structure for minimizing off-target effects and relaxing saturation of RNAi machinery and the use thereof” (우선권 주장 2007-12-18)
- 대한민국, 중국, 일본, 유럽, 호주 등록; 미국 출원



4. 자가전달 비대칭 siRNA (cp-siRNA)

기존 siRNA 치료제의 세포 내 전달 이슈 극복: 국소 투여 치료제 개발 플랫폼

■ 자가전달 비대칭 siRNA



비대칭 및 15 - 16nt의 짧은 염기쌍



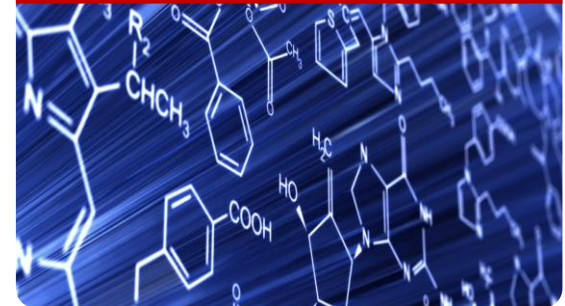
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

간단한 화학적 변형 도입

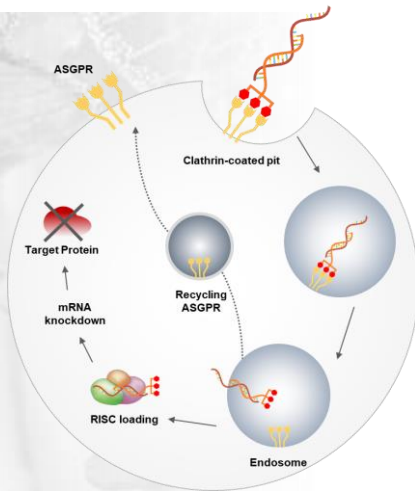
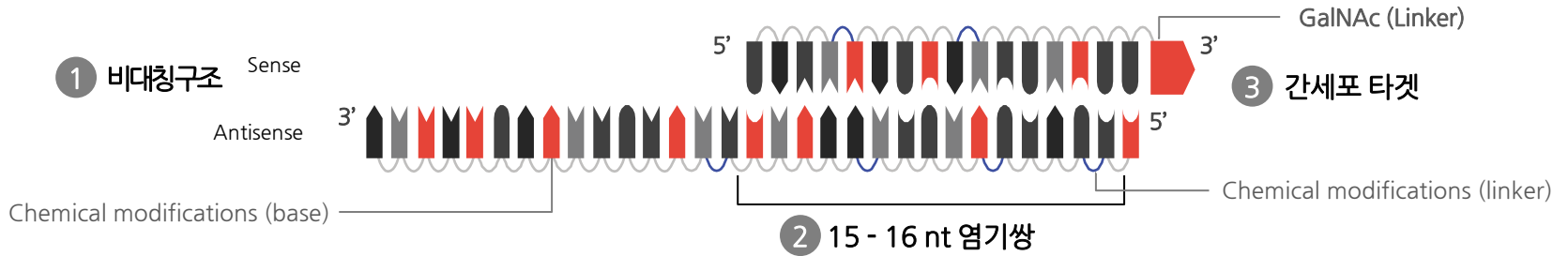


대량합성 / 분석 용이

5. GalNAc-asiRNA

올릭스의 비대칭 siRNA 기술에 간 표적 리간드인 GalNAc chemistry 도입 완료

■ GalNAc-asiRNA



1. 간세포 특이적, 효율적 타겟

2. 긴 효력 유지기간

3. 피하 주사 방법으로 환자 친화적

4. 임상을 통해 검증된 기술

6. RNA 치료제 타사현황

다양한 난치성 희귀 질환 치료제를 중심으로 글로벌 RNA 치료제 개발 활발

[글로벌 RNA 치료제 개발기업 주요 파이프라인]

개발기업	제품명	개발단계	적응증
Ionis Pharmaceuticals	SPINRAZA	Commercial	척수성근위축증
	IONIS-HTTRx	Late Stage	헌팅턴증후군
	Tofersen	Late Stage	근위축성 측삭경화증
	AKCEA-TTR-LRx	Late Stage	아밀로이드 신경병증
	AKCEA-APO(a)-LRx	Late Stage	CVD
Alnylam	Patisiran (Onpattro)	Commercial	아밀로이드 신경병증
	Givosiran (GIVLAARI)	Commercial	간성포르피린증
	Inclisiran	Registration	가족성 고콜레스테롤 혈증 등
	Fitusiran	Late Stage	혈우병
Dicerna	Nedosiran (DCR-PHXC)	Late Stage	Primary Hyperoxaluria.
	RG6346 (DCR-HBVS)	Early Stage	B형 간염바이러스
	DCR-A1AT	Early Stage	A1AT Liver Disease
Arrowhead	ARO-AAT	Late Stage	Alpha-1 Liver Disease
	ARO-APOC3	Early Stage	트리글리세리드 과잉혈(증)
	ARO-ANG3	Early Stage	이상지질혈증
AKCEA Therapeutics	TEGSEDI	Commercial	유전성 ATTR 아밀로이드증

Early Stage : IND or phase 2 | Late Stage : Phase 2b - Phase 3

6. RNA 치료제 타사현황

글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전은
2,000억원 이상 규모 Big Deal 17건 이상, 1조원 이상 규모 Mega Deal 9건 이상

[글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전 현황 (4개년)]

Licensor	Licensee	Year	Deal Size (USD)	License Target	Stage
Ionis	GSK	2019	262m	Hepatitis B program	Phase 2
	Biogen	2018	1,000m	Neurological Diseases	Phase 2
	Roche	2018	760m	AMD	Phase 1
	Dynacure	2017	>210m	CNM	R&D
	Janssen	2017	805m	GI Target	R&D
Alnylam	Regeneron	2019	>1,000m	Eye & CNS Diseases	R&D
	Sanofi	2018	>1,000m	Hemophilia	Phase 2
	Vir	2017	>1,000m	HBV	Phase 2
Dicerna	Roche	2019	>1,670m	HBV	Phase 1
	Novo Nordisk	2019	>580m	NASH	R&D
	Lilly	2018	>550m	10 targets in cardio-metabolic disease, neurodegeneration and pain	Phase 1
	Alexion	2018	> 247 m	Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH)	R&D
	Boehringer Ingelheim	2017	201m	NASH	R&D
	Janssen	2018	>3,700m	ARO-HBV, new targets	Phase 1
WAVE Life Sciences	Takeda	2018	>2,230m	Huntington's disease, ALS, FTD, CNS Diseases	R&D
Silence	Takeda	2020	Single-digit m of research funding ► Mega deal	Undisclosed diseases	Discovery and R&D
	AstraZeneca	2020	>2,000m	Cardiovascular, Renal, Metabolic and Respiratory diseases	R&D
	Mallinckrodt	2019	> 2,000 m	Complement-mediated diseases	Phase 1



03

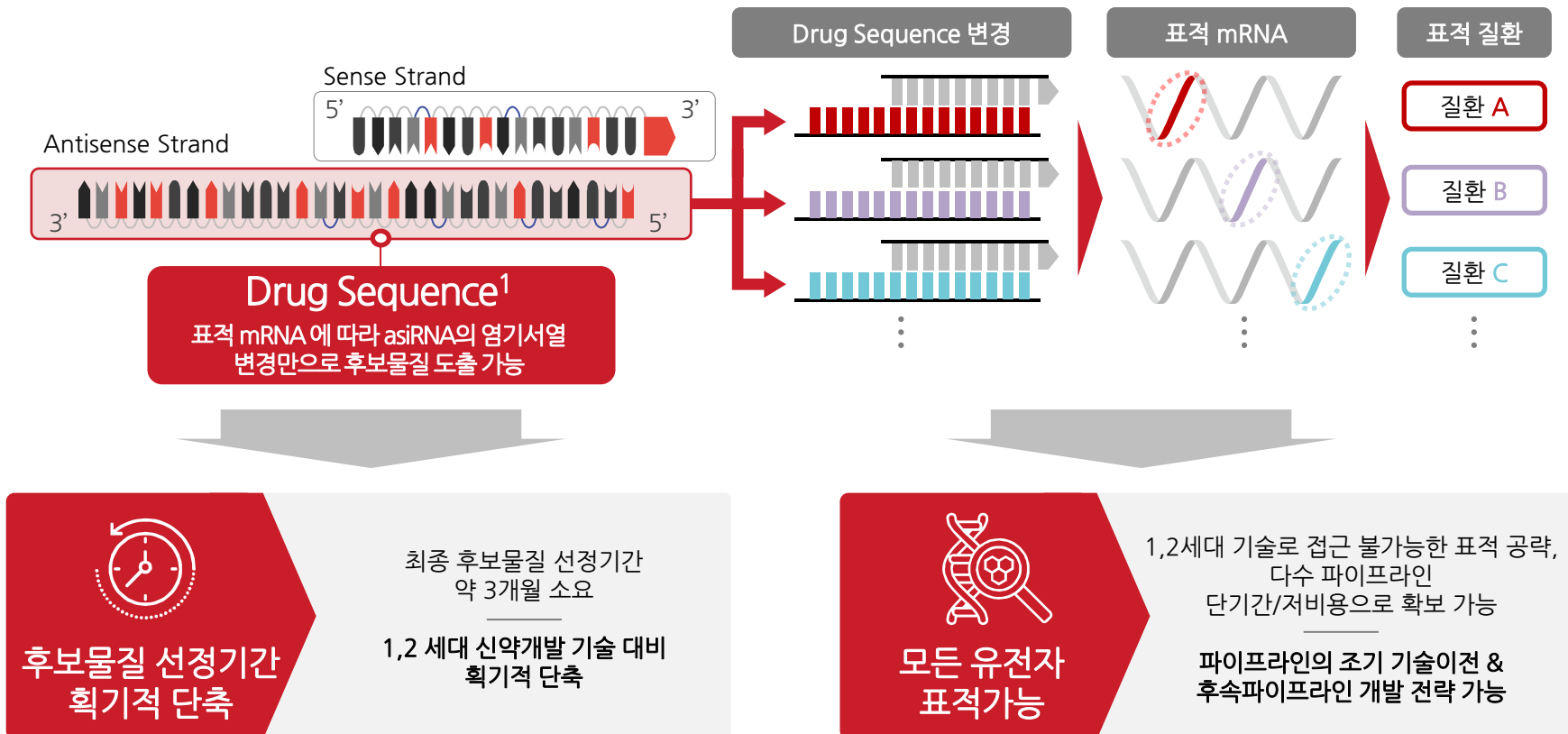
Growth Potential

1. 올릭스 기술 플랫폼의 범용성 / 확장성
2. 신약 개발 전략

1. 올릭스 플랫폼 기술의 범용성/확장성

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

■ 올릭스 asiRNA 플랫폼의 확장성



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

2. 신약 개발 전략

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

프로그램	적응증	OliX Clinical Development Pipeline				기술이전 공동개발
		R&D	Animal POC	Pre-clinical	Clinical	
OLX101A	비대흉터					휴젤(아시아)
OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성	(국내) Phase 2 진행 (영국) Phase 1 종료				Théa (유럽 등)
OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성					
OLX201A	특발성 폐섬유화					
OLX104C	탈모					
OLX301E	습성 황반변성					
OLX304A	망막색소변성증					
OLX401A	신경병성통증					
OLX204A	COVID-19					
OLX701	간 섬유화					
OLX702	간 질환 (NASH, Diabetes 등)					
OLX703	HBV					
OLX801A	면역항암제					

(국내) Phase 2 진행
(영국) Phase 1 종료

2. 신약 개발 전략

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

분야	프로그램	적응증	R&D	Animal POC	Pre-clinical	Clinical	비고
 SKIN	OLX101A	비대흉터					휴젤(아시아)
	OLX104C	탈모					(국내) Phase 2 진행 (영국) Phase 1 종료
 EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성					Théa (유럽 등)
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성					
	OLX301E	습성 황반변성					
	OLX304A	망막색소변성증					
 Liver	OLX701	간 섬유화					
	OLX702	간 질환 (NASH, Diabetes 등)					
	OLX703	HBV					
 LUNG	OLX201A	특발성 폐섬유화					
	OLX204A	COVID-19					
CNS & Oncology	OLX401A	신경병성통증					
	OLX801A	면역항암제					



04 | Core Programs

1. 비대흉터 치료제 (OLX101A)
2. 노인성 황반변성 치료제
 - 건성 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301A)
 - 망막하섬유화 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301D)
3. 특발성 폐섬유화 치료제 (OLX201A)
4. 코로나 바이러스 치료제 (OLX204A)
5. 간 질환 치료제 (OLX70X)

1-1. 비대흉터치료제(OLX101A) 현황

외과수술 및 사고 등으로 진피층 손상 시 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)

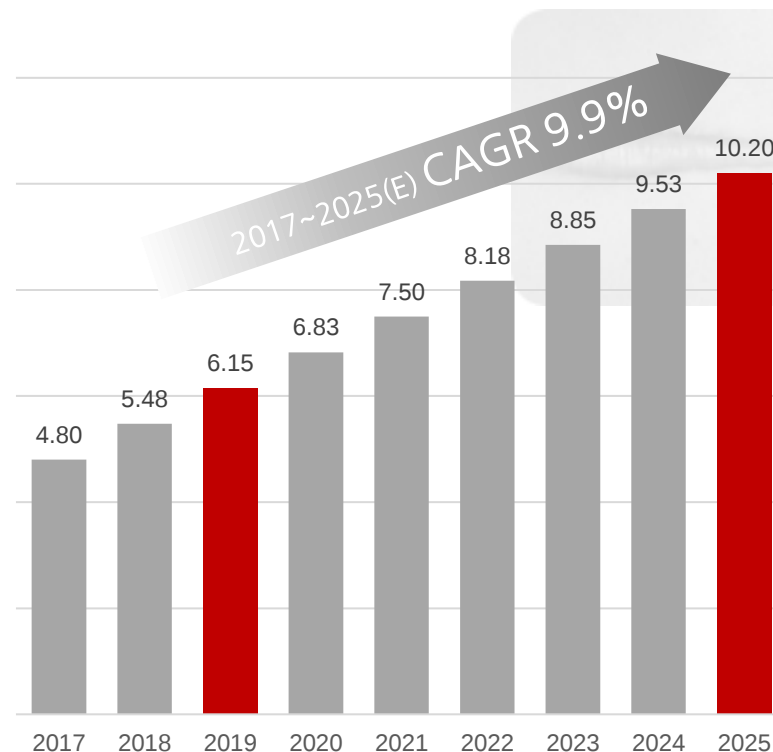
- 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

■ 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 재발률 (9~50%), 전신 독성 위험
외과적 수술법	· 높은 재발률 (>50%), 통증동반

■ 글로벌 비대흉터/켈로이드 흉터 치료제 시장전망

(단위 : USD Billion)



※ 출처: Grand View Research 2018

1-2. OLiX101A: 비임상 효력 확인 및 임상 진행 중

자체 개발 RNA간섭기술 플랫폼과 검증된 표적 유전자를 통해 우수한 효력 확인

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
CTGF ¹	피내주사	한국 2상 임상진행 미국 2상 임상예정

대상 환자

▶ 제왕절개/성형수술, 외상 이후 발생한 비대흉터 환자

주1) CTGF(Connective Tissue Growth Factor)

: 결합조직 생성인자, 연결 조직 성장 인자로 섬유화 촉진의 주요 인자

■ 한국 2상 임상 (휴젤)

한국 2상 임상 시험 개요

- 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
- 대상자 수: 총 30명
- 상황: 휴젤에서 한국 2상 임상 진행중
- 기타: 휴젤(주)에 기술이전 (아시아)

■ 개발경과

- 동물모델에서 효과적인 섬유화 억제 확인
- Journal of Investigative Dermatology 논문 발표(비임상 효력시험)
- 범부처전주기신약개발과제 선정 및 수행 (비임상 독성시험 및 영국 1상 임상시험)
- 한국 2상 임상시험 진행 중

■ 미국 2상 임상 (올릭스)

미국 2상 임상 시험 개요(예정)

- 의뢰기관: 올릭스(주)
- 디자인: 무작위대조 이중맹검 위약대조 POC 연구
- 목적: 예비효과 평가
- 대상자수: 20명
- 상황: 2상 임상 IND 2020.3Q 제출예정

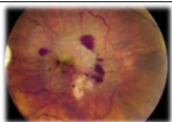
2-1. 노인성 황반변성치료제(OLX301A, OLX301D) 현황



건성 노인성 황반변성 및 망막하 섬유화증 관련 치료제 부재 및
습성 노인성 황반변성과 연관 발생하여 동시치료 신약에 대한 높은 상업적 가치 기대

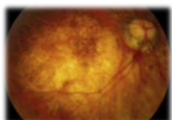
■ 노인성 황반변성이란 ?

- ▶ 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발
- ▶ 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인



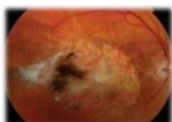
습성 황반변성

- 후기 황반변성 환자 66% 비중
- 건성 황반변성 및 망막하 섬유증 발생 가능



건성 황반변성(GA)

- 후기 황반변성 환자 34% 비중
- 환자의 15%가 습성 황반변성 발생 가능



망막하 섬유화증

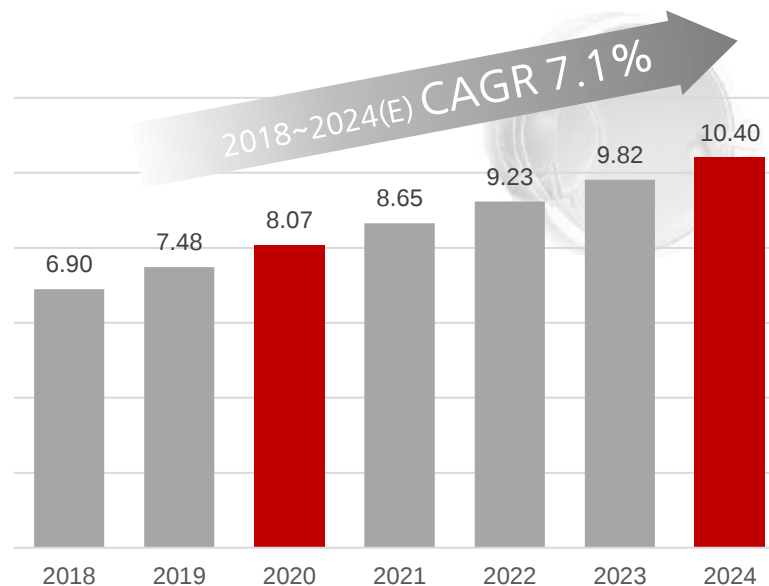
- 습성황반변성 진행과정 중 신생 혈관 생성 및 국소적 파괴로 발생

■ 기존 치료제의 한계

구 분	기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
습성 노인성 황반변성	Lucentis	• 약 30% 환자에게 효과 없으며, 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생 • 망막하 섬유화증 및 건성황반변성 치료 불가
	Eylea	
	Beovu	
건성 노인성 황반변성(GA)	부재	Unmet Medical Needs First-in-class 가능
망막하 섬유화증		

■ 글로벌 노인성 황반변성 치료제 시장 전망

(단위 : USD Billion)



Full Year 2019 Product Sales (Net Sales):

Lucentis: \$2,086m + Eylea: \$7,541m = \$9,627m

▶ 시장 추정규모대비 약 29% 상회

※ 출처: Report Linker 2019

2-2. OLiX301A: 비임상 효력 확인

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

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
Undisclosed	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

건성 노인성 황반변성 효력 확인

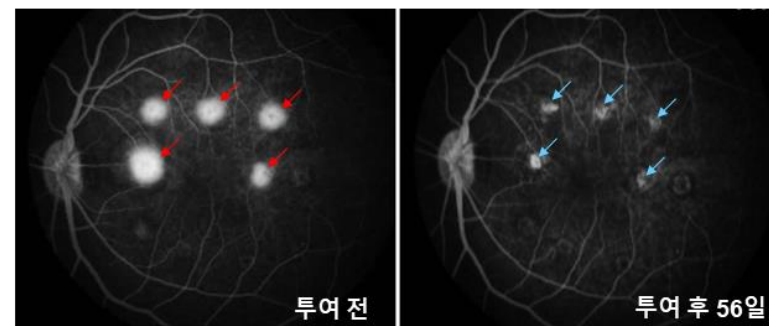


■ 개발경과

- 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

습성 노인성 황반변성 효력 확인 (영장류)

CNV(Choroidal Neovascularization) Model, Fundus Fluorescein Angiography (FFA)



*화살표: 혈관 누출 지역

2-3. OLiX301A: 기술이전 계약 체결

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



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 70여 개국의 마케팅 네트워크를 갖추고 있으며, 작년 매출 약 5억2천5백만유로 (약 6,700억원)의 매출을 기록.

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	두자리 수 (비공개)
대상지역	유럽, 중동, 아프리카 (향후 임상 단계별 가치를 극대화 하여, 미주와 아시아 지역 추가 기술이전 계약 달성 전략)

2-4. OLiX301D: 비임상 효력 확인

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

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
CTGF	안구 내 주사	비임상 독성시험

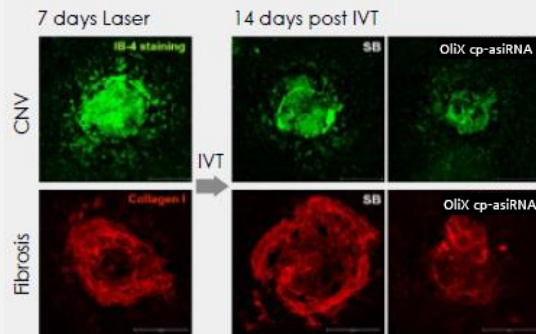
- ▶ 습성 황반변성은 항 VEGF 치료제는 약 30% 환자에게 효과 없으며, 지속처방시 2년 내 45% 환자에서 섬유화 발생 및 실명 주요원인
- ▶ 치료제가 없는 망막하 섬유화증 및 습성 황반변성에 동시 효력

■ 개발경과

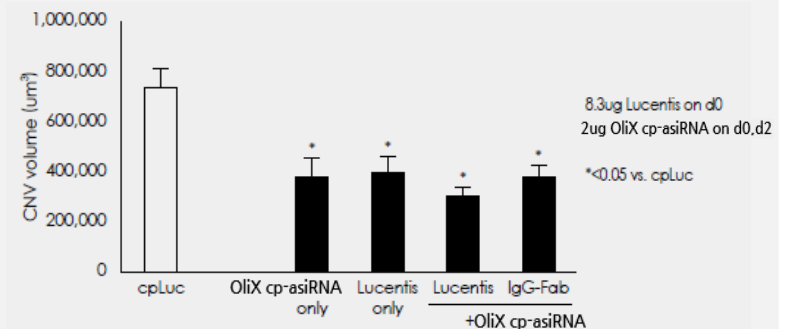
- 망막하 섬유화증 동물 모델에서 효력 확인 완료
- 습성 황반변성 동물 모델에서 효력 확인 완료
- 망막하 섬유화증과 습성 황반변성에 동시 효력확인으로 First-in-class 및 높은 상업성 기대
- LGC바이오서치테크놀로지(LGC)와 비임상 및 임상시험용 API(원료의약품, Active Pharmaceutical Ingredient) 생산계약 체결

■ 비임상 효력시험 결과

망막하 섬유화증 효력 확인



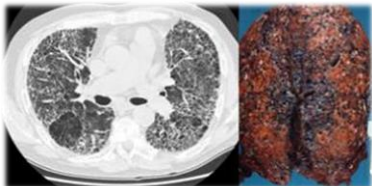
습성 노인성 황반변성 효력 확인



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

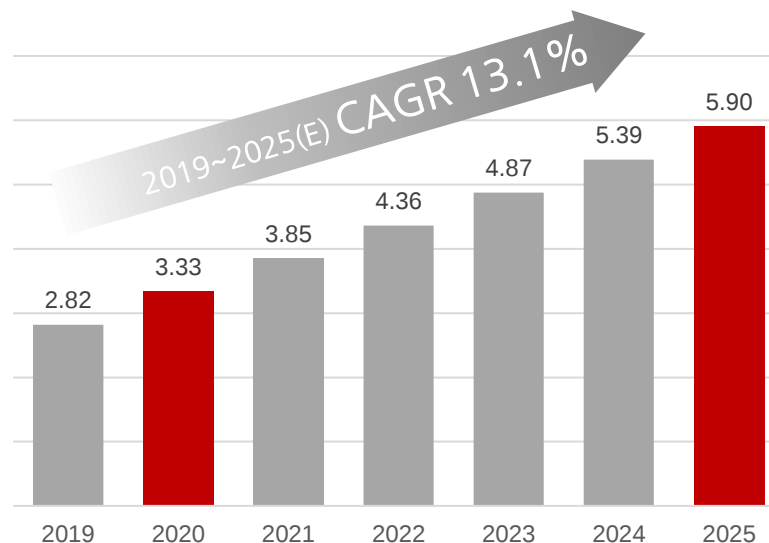
■ 치료제 개요

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

■ 글로벌 특발성 폐섬유화 치료제 시장 전망

(단위 : USD Billion)



■ 기존 치료법의 한계

기존 치료제	작용기전 및 Unmet Needs
Esbriet (Pirfenidone, Roche)	· 2011년 유럽 최초승인 · 작용기전 : TGF-β 및 TNF-α Inhibition · 부작용 : 섬유화 진척 억제는 가능하나, 근본적 치료 불가/ 위장관계 부작용
Ofev (Nintedanib, Boehringer Ingelheim)	· 2014년 미국 최초승인 · 작용기전 : RTK inhibitor · 부작용 : 기존 치료제 대비 효과 및 편의성 제한적 / 위장관계 부작용

기존 치료제의 낮은 효과와 부작용으로 인하여 시장형성 초기

▶▶ 신규 치료제 개발에 따라 확대 예상

※ 출처: iHealthcareAnalyst, Inc. 2019

3-2. OLiX201A: 비임상 효력 확인

흡입제형을 이용한 폐섬유화 억제 효력 확인으로 비임상 독성시험 단계 진행

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
CTGF	흡입제형	비임상 독성시험

- ▶ OLiX201A 개발을 통해 확보한 전신 독성 자료를 바탕으로 흡입독성만 추가하여 임상진입이 가능

■ 비임상 효력시험 결과

■ 개발경과



OliX
Pharmaceuticals

신약물질제공

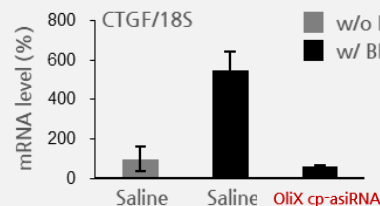
효력검증



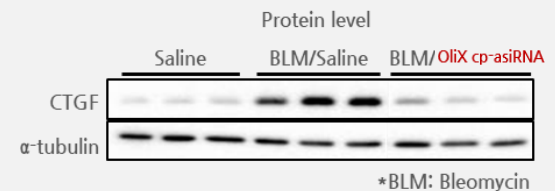
Agency for
Science, Technology
and Research
SINGAPORE

- 한국 · 싱가포르 국제 공동연구 과제 성공 종료
- 동물모델에서 탁월한 효력 확인
- 폐 전달에 적합한 흡입 제형 개발
- 비임상 독성시험 진행중

표적 유전자 발현
억제 확인

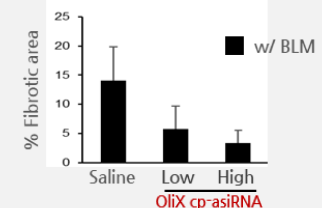
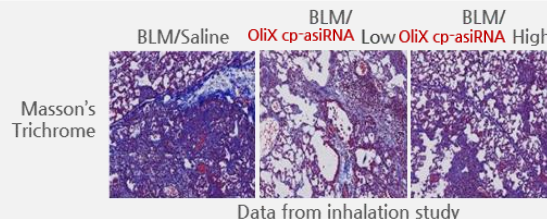


CTGF
α-tubulin



*BLM: Bleomycin

효과적인 섬유화
억제 확인



4-1. OLiX204A: 코로나 바이러스 치료제 현황

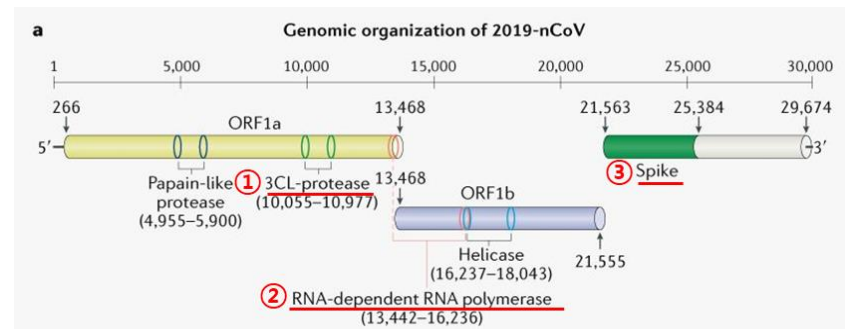
후보 물질 도출 및 비임상 효력 시험 진행중

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	개발전략
SARS-CoV-2	흡입제형	비임상 동물 효력 시험 (자가 전달 cp-asiRNA 플랫폼)

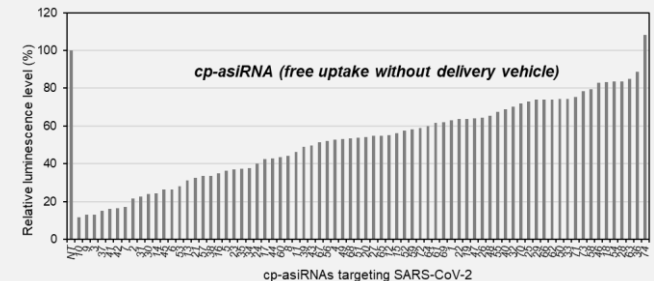
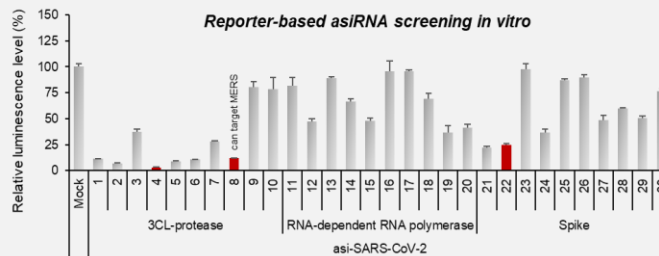
- 코로나 바이러스 주요 단백질 부위 타겟
- COVID19 외 SARS 및 MERS 타겟 가능
- 세포수준에서 탁월한 효력 확인
- 폐 전달에 적합한 흡입 제형 개발

■ 코로나 바이러스 표적부위



■ asiRNA 및 cp-asiRNA 후보 물질 도출 완료, 동물 효력 시험 진행 중

표적 유전자
발현억제 확인



5-1. OLiX70X: 간 질환 치료제 현황

GalNAc 플랫폼 기술을 통한 다양한 간 질환 파이프라인 개발

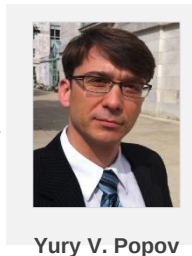
■ 치료제 개요

Active pharmaceutical ingredient (API)	적응증	투여방법	비고
GalNAc-asiRNA / Target undisclosed	Undisclosed	피하주사	연구개발 글로벌 파트너 발굴 중

■ 개발 현황 및 계획

- 올릭스 독자적인 GalNAc 플랫폼 기술 확립 완료
- 간 질환 전문가(SAB)가 제안한 타겟 및 적응증에 대한 후보 물질 도출 진행중
- 2020년 하반기 비임상 연구 예정

■ Hepatology (간질환) 분야 과학기술자문단



5-2. GalNAc-siRNA : 연구개발 공급계약

아시아 최초 GalNAc-siRNA 플랫폼 기술 연구개발 공급계약 체결 (2020.06.24)

(계약 상대방의
영업비밀 요청)



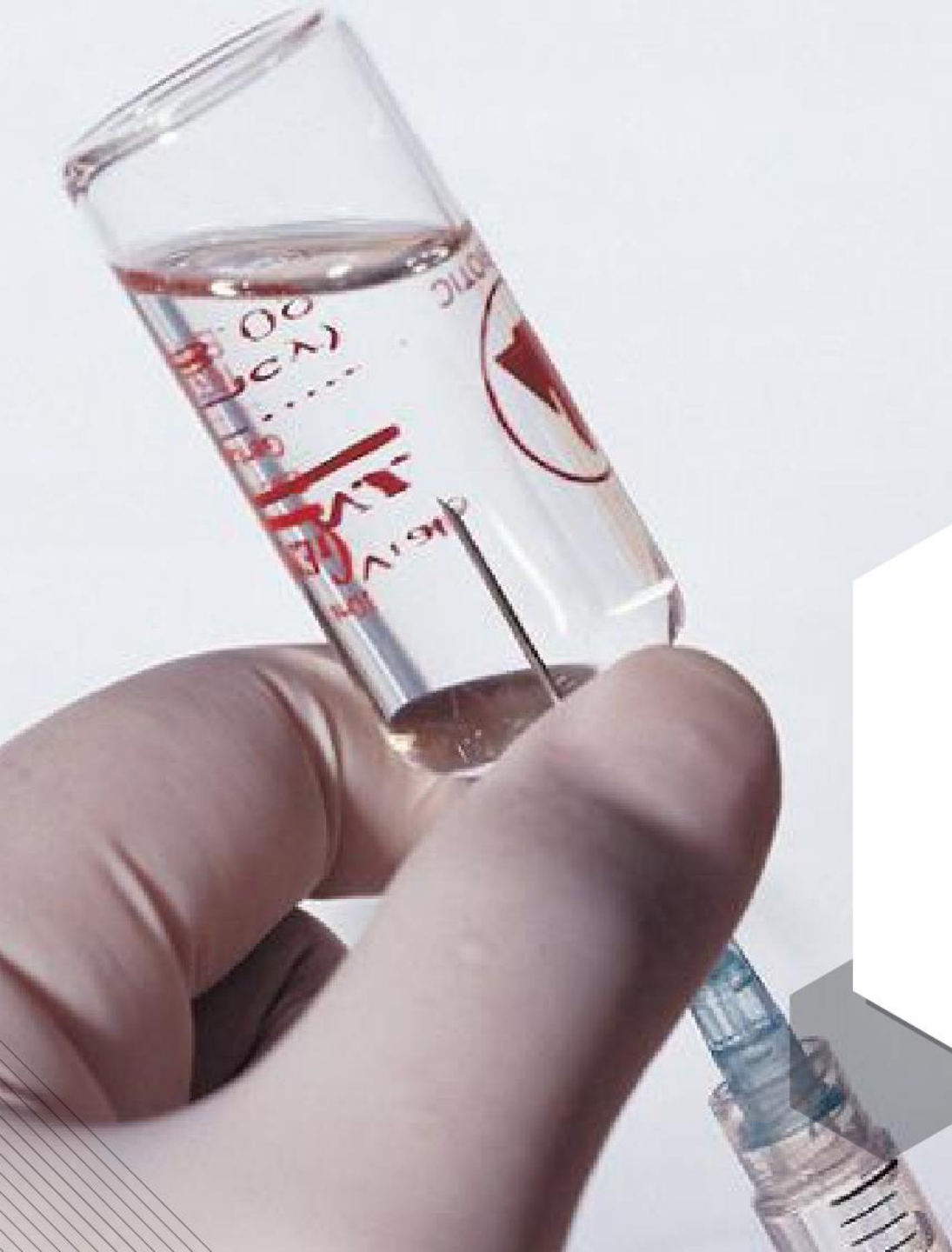
유럽 소재 글로벌제약바이오

올릭스 주식회사는 GalNAc-siRNA 플랫폼 기술을 활용하여
고객사가 요청한 간 질환과 관련한 타깃 4종에 대해 RNA간
섭 치료제 후보물질을 도출할 계획.

** 올릭스 주식회사는 지난 2020년 3월 미국 AM케미칼로부터 핵산 치료
제를 간 조직으로 전달할 수 있는 GalNAc접합기술의 특허권과 노하우에
대한 전세계 권리를 독점 도입한 바 있다.*

총 계약규모 : USD1,500,000 (약 18억원)

계약 상대방	유럽 소재 글로벌제약바이오 회사
내용	GalNAc siRNA 연구개발 공급계약
계약기간	2020.06.24 - 2021.06.23
판매공급방식	자체생산



Appendix

1. 요약 재무제표

1. 요약 재무제표

■ 요약 재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2018	2019	2020.1H
유동자산	48,698	37,440	29,107
비유동자산	6,939	7,768	8,168
자산총계	55,637	45,207	37,274
유동부채	314	2,754	1,998
비유동부채	385	645	855
부채총계	699	3,340	2,854
자본금	3,252	3,265	3,281
기타불입자본	71,168	71,540	72,102
기타자본구성요소	766	1,801	1,367
이익잉여금	(20,248)	(34,799)	(42,330)
자본총계	54,938	41,807	34,421

■ 요약 손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2018	2019	2020.1H
영업수익	302	1,130	318
영업비용	8,536	16,247	8,105
영업이익	(8,234)	(15,117)	(7,788)
법인세차감전 순이익	(7,742)	(14,244)	(7,531)
법인세비용	-	109	-
당기순이익	(7,742)	(14,353)	(7,531)