



# TOWARDS SUSTAINABLE & CURATIVE RNAi THERAPIES

*SAMiRNA™ Platform & Pipeline*

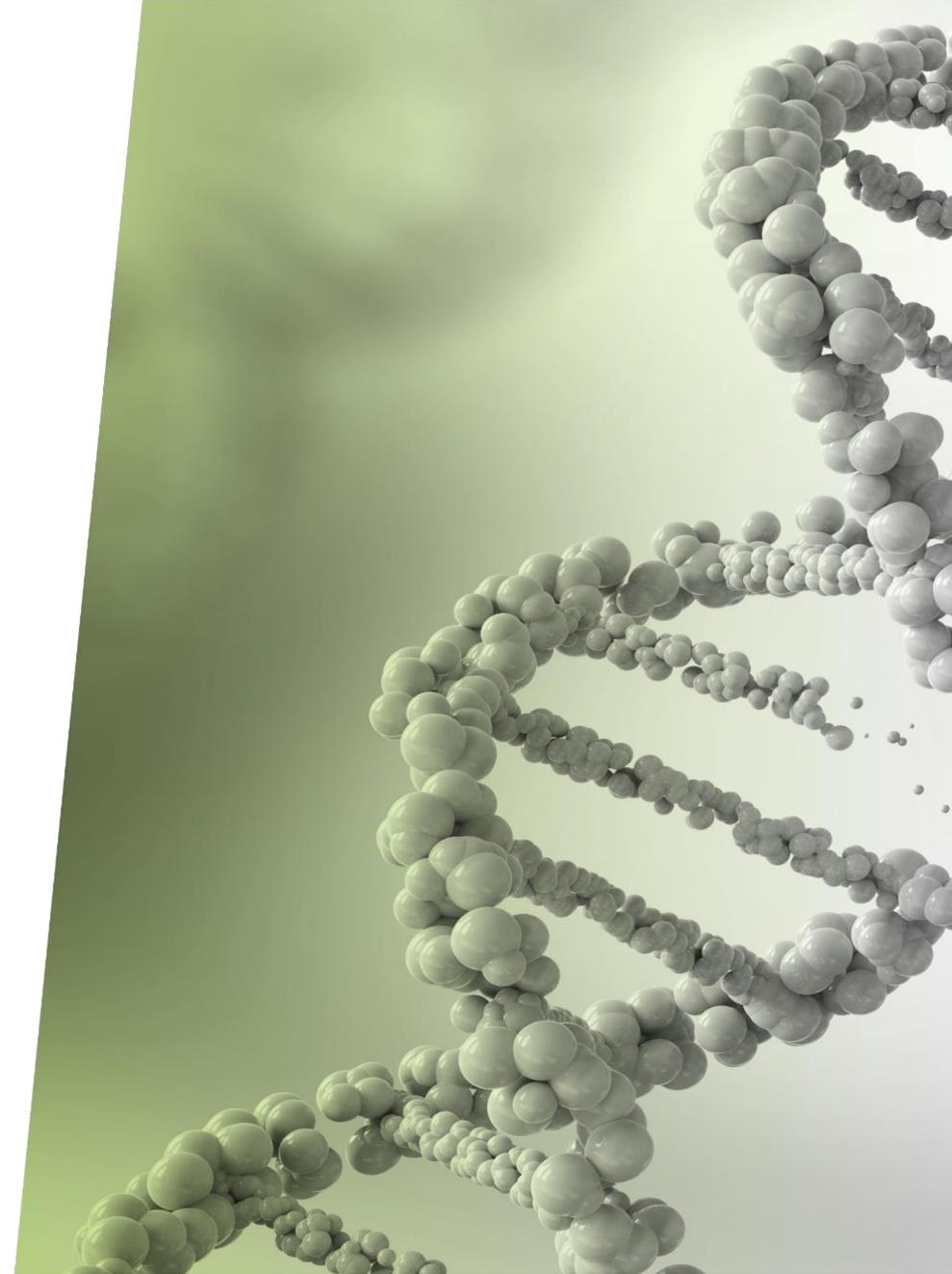
**Contact | June Park**  
junepark@siRNAgen.com



본 자료는 (주)씨나젠테라퓨틱스에 대한 이해를 돕기 위한 정보제공 목적으로 (주)씨나젠테라퓨틱스에 의해 작성되었습니다. 본 자료는 투자 판단 목적으로 작성된 자료가 아니므로 임의로 본 자료를 투자 판단 목적으로 활용하여 발생하는 손실 등에 대하여 회사는 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다. 또한, 당사의 명시적인 동의 없이는 본 자료의 전부 또는 일부의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드립니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. 본 자료에 일부 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 미래의 성과는 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 자료 작성일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

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



# siRNAgen Therapeutics

## 회사 소개

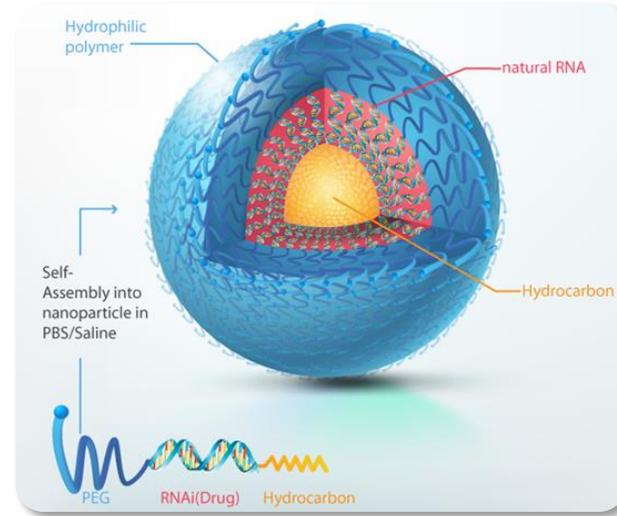
2019년 설립된 RNAi 플랫폼 스타트업  
(seed & clinical 단계)

모회사 바이오니아의 20년 이상 연구  
기반으로 개발한 SAMiRNA™ 플랫폼

## SAMiRNA™ 플랫폼

### SAMiRNA™ 플랫폼 강점

- 간 외 조직으로 선택적 전달 능력
- 입증된 안전성 및 PK/PD 효능
- 상온에서 1년 이상의 보존능력
- LNP보다 친환경적인 생산 프로세스
- 강력한 IP 포트폴리오



## 파이프라인

**17** candidates

*for today*  
**Fib | SRN-001**

**18** indications

**CosmeRNA**

**28** programs

**CNS | SRN-008/9**

	# programs
희귀 질환	8
중추신경계 질환	2
피부 질환	6
섬유화증	9

+ 대사성 질환, 자가면역 질환, 그리고  
그 외 영역에서도 전임상 연구 진행 중

## Opportunities

### 전략적 파트너십

**SRN-001** (PF&CKD)  
GMP production & IND filing

### Hair-loss Candidates

EU & US 진출 검토 위한  
파트너십

### SAMiRNA / CNS 플랫폼

빅파마 파트너십

“ ”

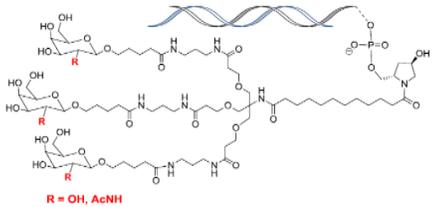
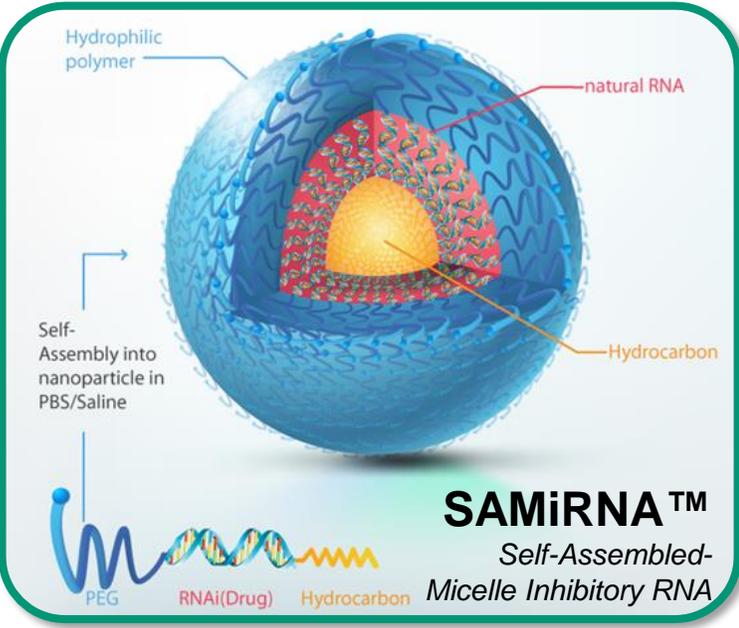
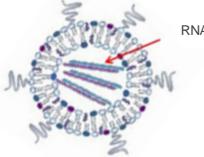
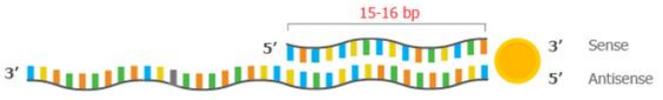
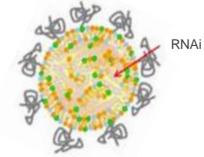
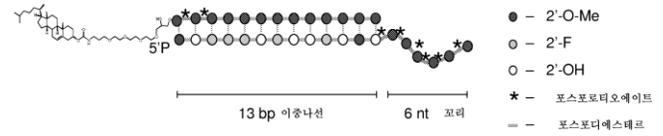
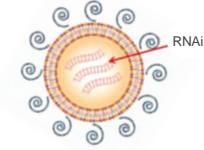
**“RNA 치료제가 해결하지 못한 난제는  
그 전달 능력이다”**

*“The conundrum of RNA therapeutics has  
always been delivery”*

- Nature Opinions, 2019

# SAMiRNA™ 는 단일분자로 구성된 나노입자형 RNAi 플랫폼으로, 안전성·안정성 동시 확보하며 독보적인 포지셔닝

비변형 RNAi를 친수성 및 소수성 모듈과 이중 결합시키는 설계로, 전달에 최적화 된 자가형성 나노입자 디자인

	컨쥬게이트(conjugate)	나노입자형 (nanoparticles)	
<b>Alnylam</b> GalNAc-siRNA Conjugates	 <p>R = OH, AcNH</p>	 <p>Hydrophilic polymer</p> <p>natural RNA</p> <p>Hydrocarbon</p> <p>Self-Assembly into nanoparticle in PBS/Saline</p> <p>PEG RNAi(Drug) Hydrocarbon</p> <p><b>SAMiRNA™</b> Self-Assembled-Micelle Inhibitory RNA</p>	 <p>RNAi</p> <p><b>Alnylam</b></p>
<b>Olix</b> Cell penetrating-long asymmetric siRNA (Cp-lasiRNA)	 <p>15-16 bp</p> <p>3' Sense</p> <p>5' Antisense</p>		 <p>RNAi</p> <p><b>Dicerna</b></p>
<b>RXi</b> self-delivering RNAi (sd-rxRNA®): RNAi + Antisense	 <p>13 bp 이중나선</p> <p>6 nt 꼬리</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>● - 2'-O-Me</li> <li>○ - 2'-F</li> <li>○ - 2'-OH</li> <li>* - 포스포로티오에이트</li> <li>- - - 포스포티에스테르</li> </ul>		 <p>RNAi</p> <p><b>Tekmira</b></p>

# 기존 RNAi 신약의 한계점을 모두 극복한 SAMiRNA™

## RNAi Challenges

 간 외의 표적 장기 전달 능력

 선천면역 및 독성반응

 어려운 생산 공정

 콜드체인 공급망

 국내외 복잡한 특허 현황

### 우수한 전달 효율

IV, ID, SC 주사 및 흡입 방식으로, 신장, 폐, 피부, 내장지방, 뇌의 염증/지방/종양 조직 등으로 전달

### 선천면역반응 및 독성반응 극복

자가형성되는 단일분자 구조로, 리포솜에 의한 선천면역반응과 나노입자 용해 등 기존의 안전성 및 독성 문제점 극복

### 친환경적·비용효율적 생산 프로세스

추가적인 formulation/encapsulation 없는 단일 스텝의 자동 합성 프로세스로 친환경적이며, 생산 및 QC 비용의 높은 경제성

### 안정적인 보존 능력

단일 분자 구조로 1년간 RT(room temperature) 및 습도에서 용해되지 않으며, 따라서 유리한 유통/공급 가능

### 강력한 IP 포트폴리오

SAMiRNA™ 플랫폼에 대한 190개 이상 물질 및 기술 기반 특허로 국내외 주요시장에서 보호되고 있음, (FTO completed)

# 다양한 치료 영역의 SAMiRNA™ 파이프라인

\*2022-23 SRN-001 임상허가신청 및 CosmeRNA 유럽시장 진출 예정

## Fib | SRN-001

## CosmeRNA

## CNS | SRN-008/9

			후보물질탐색	전임상	임상		
					1상	2상	3상
Chronic Kidney Disease (CKD)			Progressing	Completed			희귀 질환
Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF)			Progressing	Completed			중추신경계 질환
Confidential Indication			Progressing	Completed			피부 질환
Confidential Indication			Progressing	Completed			섬유화증
Confidential Indication			Progressing	Completed			
Confidential Indication			Progressing	Completed			
Confidential Indication			Progressing	Completed			
Confidential Indication			Progressing	Completed			
Confidential Indication			Progressing	Completed			
Androgenetic Alopecia (AGA)			Progressing	Completed	Completed	Completed	EU 기능성화장품 시장 진출 예정
Alzheimer's			Progressing	Completed			
Alzheimer's			Progressing	Completed			

full pipeline in appendix

# 신약후보물질 SRN-001의 가장 진전된 프로그램 중 만성신장질환(CKD), 현재까지도 근본적 치료제 부재



말기 만성신장질환에서 기인하는 신장 섬유증은 투석 및/또는 신장 이식을 요하는 신부전으로 발전 가능

## CKD | Today



만성신장질환에 대한  
근본적 치료제 없음



**\$15.8B**

Estimated Market Size by 2023<sup>2</sup>



**756 M**

WW Prevalence in 2020<sup>1</sup>

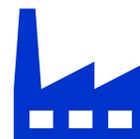
## CKD | SRN-001



SQ&IV 전달 방식으로 신장에  
전달 및 염증·섬유화와 관련된  
AREG를 타겟으로 함



IND filing 위한 전임상 연구  
마무리 단계



임상 1상 위한 GMP 공정 준비  
(예정)

1. Source: Datamonitor healthcare, Market spotlight: Idiopathic Pulmonary Fibrosis and renal disease (2020)  
2. Source: GlobalData (2020)

# 학문연구기관 및 CRO 독성연구로 SRN-001 안전성 및 내약성 입증

Data by KIT (Korea Institute of Toxicology) & Charles River Laboratories. \*NOAEL : No Observed Adverse Effect Level

## 일반독성시험

- a 정맥주사 방식으로 투여된 SRN-001은 명확한 독성 징후를 나타내지 않음
- b 임상적으로 유의한 영향 또는 농도에 따른 독성이 관찰되지 않음
- b SRN-001에 의한 부작용 유도 없음
- b 모든 평가 항목에서 SRN-001에 의한 독성학적 변화 보이지 않음

## 유전독성시험

소핵시험, 염색체 이상 시험, 미생물 복귀돌연변이 시험에서 SRN-001은 유전독성을 나타내지 않음

## 안전성약리시험

Irwin test(중추신경계 영향 평가 시험), 호흡 기능 검사, hERG test(hERG Potassium Channel Preliminary Study)에서 SRN-001에 의한 유의한 변화 확인되지 않음

## 심혈관계 영향 평가 시험

25-100mg/kg 투여량의 SRN-001은 원숭이의 심혈관계에 영향을 주지 않음  
- 원숭이에서의 SRN-001 NOAEL\*은 투여 최대 농도인 100mg/kg

\*NOAEL: No Observed Adverse Effect Level (무독성 용량)

<sup>a</sup>Mouse Study (NOAEL in mouse > 300mpk) Acute toxicity, 2 Weeks Dose Range Finding(DRF), Repeated Dose 4-Week Toxicity and Toxicokinetic Study with a 2-Week Recovery Period

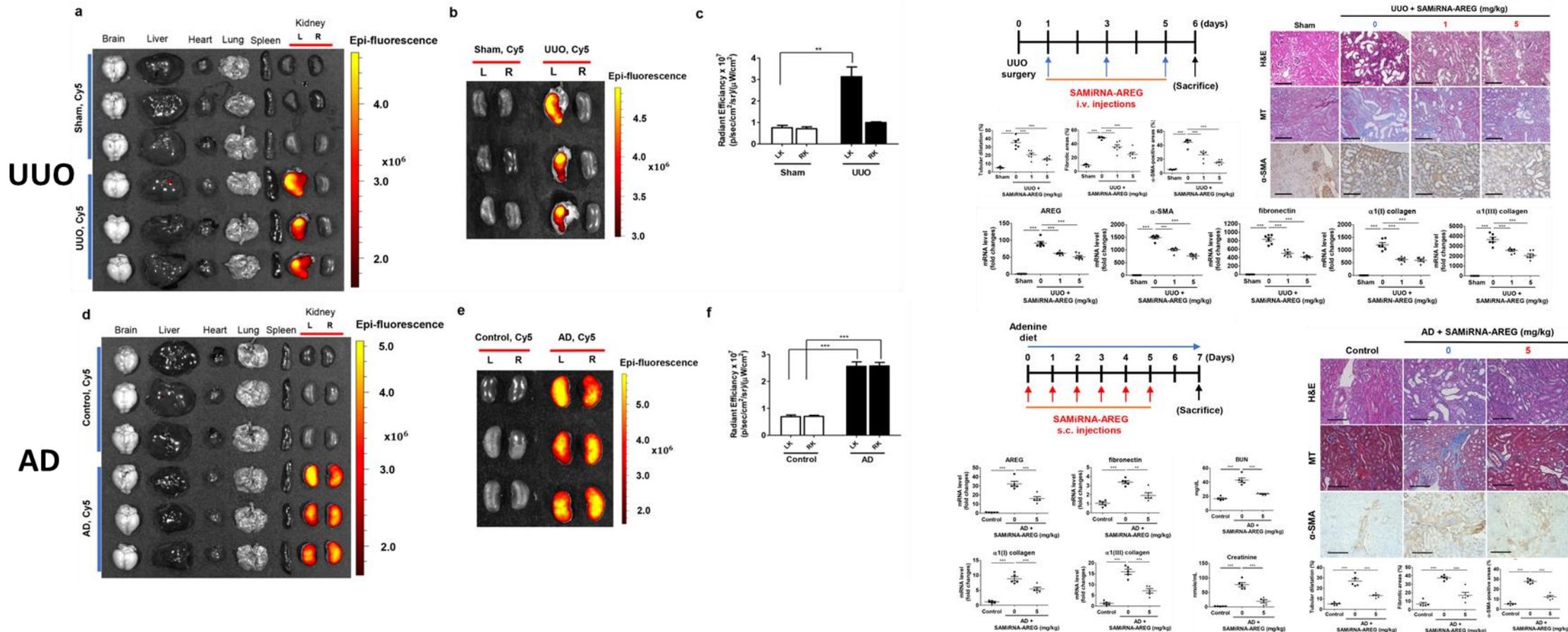
<sup>b</sup>Monkey Study (NOAEL in monkey > 100mpk) Stepwise dose-escalating study, 2-Week Dose Range Finding, Repeated Dose 4-Week Toxicity and Toxicokinetic Study with a 2-Week Recovery Period

1. International Journal of Toxicology, Vol. 40 issue 5, page(s): 453-465, July 2021
2. Drug and Chemical Toxicology, DOI: [10.1080/01480545.2021.1908003](https://doi.org/10.1080/01480545.2021.1908003), April 2021
3. Toxicology Reports 8, 839-845, March 2021

# SRN-001, 신장 내 염증조직으로 정확한 전달 및 체내 타겟·섬유화 관련 유전자의 효과적인 억제 확인

종양 및 염증 조직으로 선택적 전달

신장 기능 향상 및 섬유화·염증 유전자·adhesion molecule 발현 감소





# 안드로겐성 탈모증(AGA), 미국 시장 규모가 가장 큼 기존 치료법은 환자 삶의 질을 저하시키는 부작용 수반



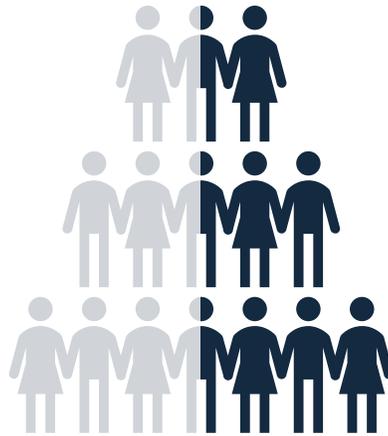
**\$3.5B**

**CAGR 6%**

global alopecia market (2019)<sup>1</sup>



58% sales from drug stores & retail pharmacies



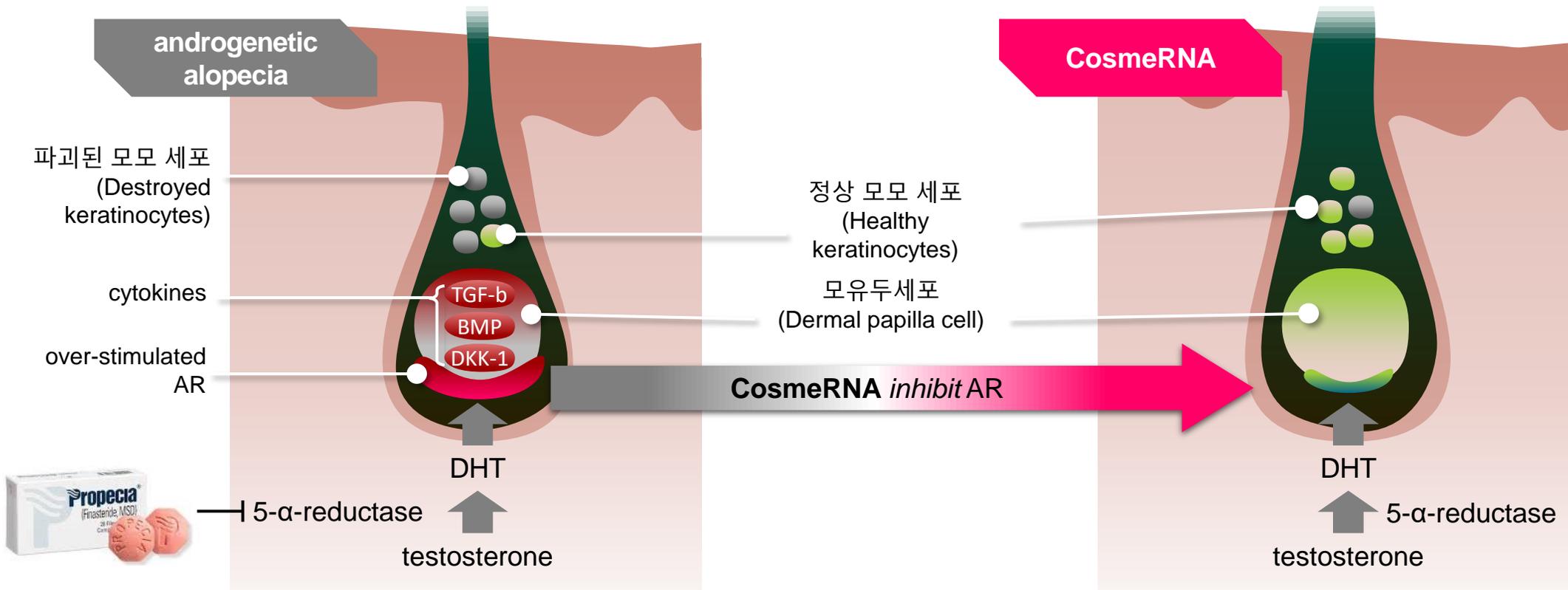
북미는 글로벌 탈모 시장의 1/2 를 차지하며, 매출 대부분은 드럭스토어 및 리테일 약국에서 발생함<sup>2</sup>

안드로겐성 탈모증은 전세계 50% 이상의 남성 및 여성에 영향을 미침

현재 탈모 치료법은 발기부전, 성욕감퇴, 부종, 남성유방암, 현기증, 두통, 발진, 불편한 복용량 및 투여량 등 심각한 부작용이 있음

1. Data Bridge Market Research, 2020  
2. Allied Market Research (AMR), 2021

# 안드로겐성 탈모증(AGA), CosmeRNA의 타겟 안드로겐 수용체의 과발현에 기인

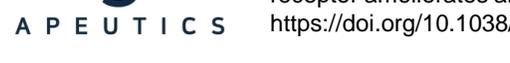


디하이드로테스토스테론(DHT)는 안드로겐 수용체(AR)과 결합해 탈모의 주원인 모근세포 자살 유도물질 생성

CosmeRNA는 안드로겐 수용체 발현을 억제함으로써 탈모 방지

# CosmeRNA, 기능성 화장품 임상 시험으로 탁월한 안전성과 효능 입증

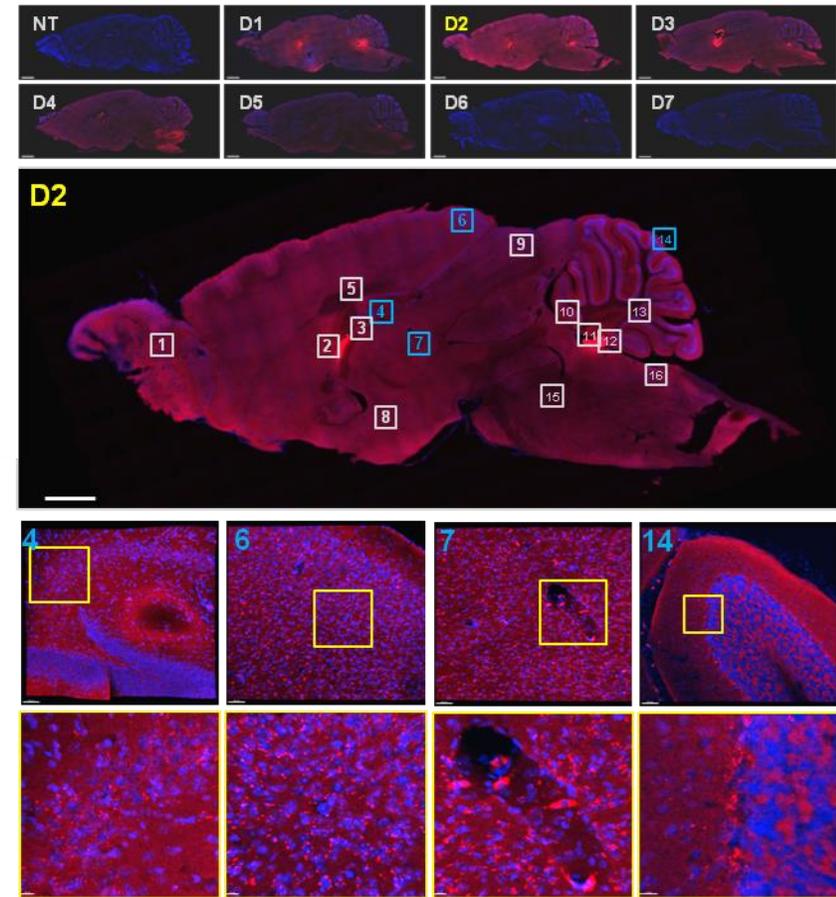
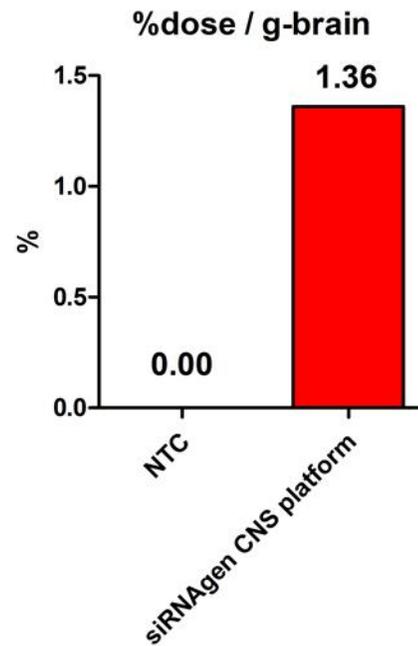
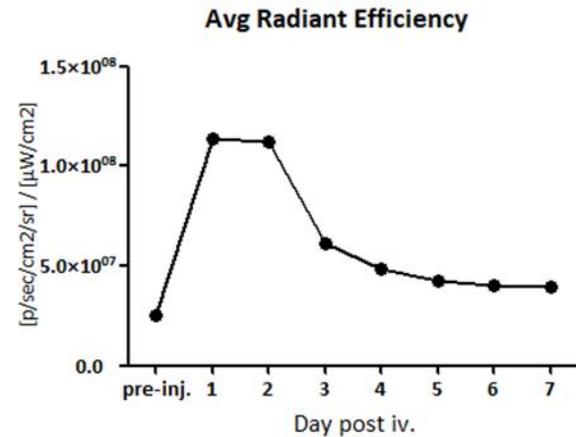
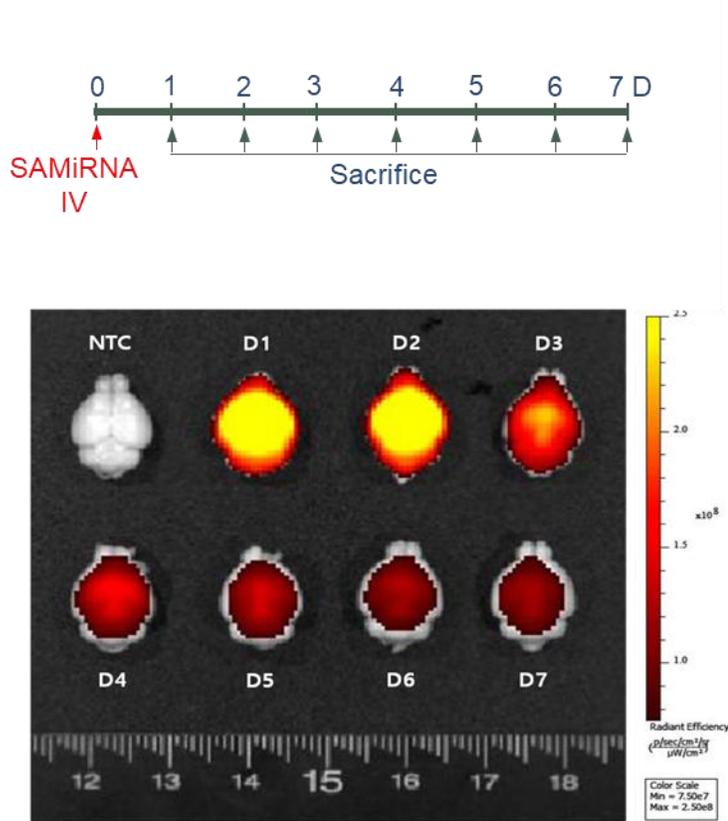
국내 기능성 화장품 등록 절차를 위한 인체 적용 시험(n=60) 및 안전성 시험(n=35)에서 약물 관련 이상반응 확인된 바 없음

Week 0	Category	CosmeRNA (n=60)	Best in class (n=3177)
	유효성분	CosmeRNA	finasteride
	분류	기능성 화장품	처방약
	제제	국소	경구
	타겟	Androgen Receptor Inhibitor	5α-reductase Inhibitor
	사용주기	1회 / week	1회 / day
	효능 (per 1 cm <sup>2</sup> )	반응률: 91% <b>Primary end point: +1.9 hairs/mo</b> (7.6 in 4 mo)	반응률: 87.1% <b>Primary end point: +1.6 hairs/mo</b> (9.3 hairs in 6 mo)
	부작용	없음	발기부전, 성욕감퇴, 부종, 남성유방암, 현기증, 두통, 피부 발진 등



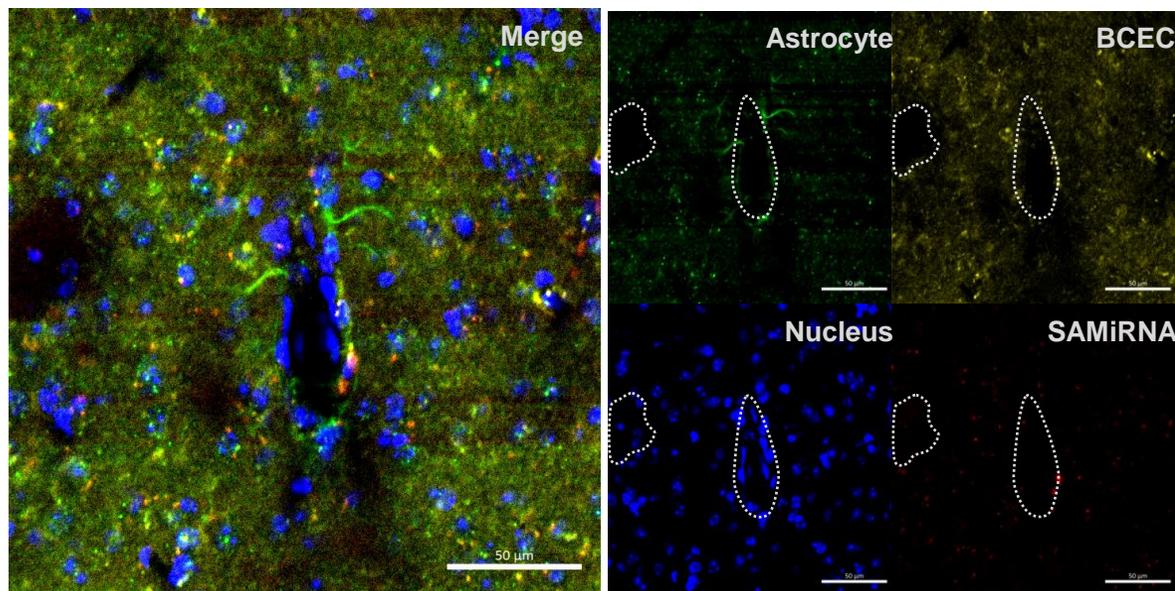
**Research  
Update**

# 정맥 투여 방식으로 SAMiRNA 뇌에 전달 성공 : siRNA 기반 CNS 치료법에 대한 무궁무진한 가능성 확대

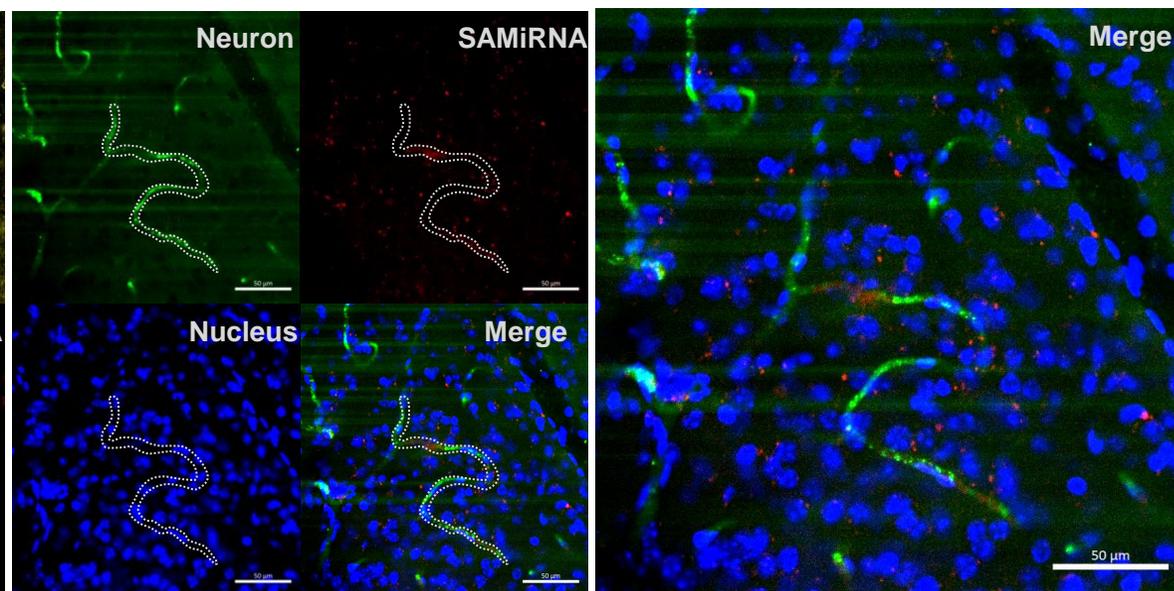


# SAMiRNA, 정맥 투여 방식으로 뇌혈관장벽(BBB) 통과, 모세혈관 거쳐 신경 세포까지 전달도 확인

BBB 통과 후, 모세혈관 외부까지의 전달 이미지



신경세포(neuronal cells)까지 전달



\*PoC 실험 설계 및 실행 관련하여 바이오파마와 협업 착수 단계

# siRNAgen Therapeutics 후보 물질들

17

candidates

18

indications

능동적, 혁신적, 다양성 있는 치유적 치료제로 구성된 파이프라인



**fibrosis**  
(섬유화증)

- SRN-001
- SRN-013
- SRN-014
- SRN-015
- SRN-016
- SRN-017



**CNS**  
(중추신경계 질환)

- SRN-008
- SRN-009



**autoimmune**  
(자가면역 질환)

- SRN-003
- SRN-004



**dermatology**  
(피부질환)

- SRN-010
- SRN-011
- SRN-012



**metabolism**  
(대사성질환)

- SRN-005
- SRN-006



**infectious**  
(전염성 질환)

- SRN-002
- SRN-007

\*Grouped by primary indication, overlapping assets not shown