



Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



OliX
Pharmaceuticals

Investor Relations 2022

Disclaimer

본 자료는 투자자들에게 정보제공을 목적으로 올릭스 주식회사(이하 ‘회사’)에 의해 작성되었습니다.

본 자료의 열람은 아래와 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 자료 게재일을 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 자문역 또는 관계자들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다.(과실 및 기타의 경우 포함)

본 자료는 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.

본 자료의 복사 또는 타인에 대한 재 배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

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. 주요 경영진
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 104명 (73 in R&D) * OliX US 22명 포함 - 박사 : 30명, 석사 : 32명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발

■ 주주현황

(2021.12.31 기준)

주주명	주식수(보통주)	지분율
최대주주 등	4,074,514	29.73%
국민연금공단	695,254	5.07%
휴젤(주)	355,592	2.60%
기타	8,577,800	62.60%
합 계	13,703,160	100.00%

■ 경영철학

Our Mission

첨단 기술로 인류의 건강과 행복에 이바지함

■ 기업 비전

- 자체 개발 플랫폼 기반 파이프라인 확장 및 글로벌 기술이전을 통해 '세계 3대 핵산 치료제 기업'으로 발돋움
- 우수 바이오 인력의 육성 및 영입을 통해 양질의 일자리 창출에 기여하고 '세계적인 수준의 첨단 바이오 신약 기술 연구기관'으로 성장

■ 관계법인

OliX US Boston	Preclinical development, pharmacology, CMC, clinical, regulatory, QA
OliX US San Diego	Chemistry lab for siRNA synthesis, purification, and analysis
엠큐렉스 주식회사	mRNA 백신 및 치료제 연구개발 기업

2. 성장연혁

다년간의 연구성과 기반, 축적된 파이프라인의 글로벌 시장 진출

기반기술 확립

- 2010년** 02 비엠티㈜ 설립
03 비대칭 siRNA 전용실시권 획득
- 2011년** 06 긴비대칭 siRNA 전용실시권 획득
12 자가전달 siRNA 기술 및 신약개발 개시
- 2013년** 05 cp-asiRNA 기술 특허출원
11 OLX101A '휴젤' 기술이전
- 2014년** 09 OLX201A, '한-싱가포르 R&D 사업' 선정
10 '올릭스 주식회사'로 사명 변경

기술 고도화

- 2015년** 06 전략적 투자유치(휴젤)
- 2017년** 01 OLX101A 한국 1상 임상시험 계획 승인
05 긴비대칭 siRNA 미국 특허 등록
10 기술성평가 통과 (A, A)
- 2018년** 07 코스닥 상장
10 OLX101A,
'범부처전주기신약개발 지원사업' 선정
10 OliX US, Inc. 설립 (Cambridge, US)
11 OLX101A 한국 2상 임상시험 계획 승인

기술 사업화

- 2019년** 01 San Diego (US) Lab 설립
03 OLX301A '떼아' 기술이전
11 OLX101A 영국 1상 임상시험 종료
- 2020년** 03 AM케미칼로부터 GalNAc 기술도입
06 GalNAc-siRNA 연구개발 공급계약 체결
10 OLX301A/301D '떼아' 기술이전 범위 확대
10 OLX101A 미국 2상 임상시험 계획 승인
12 혁신형 제약기업 및 가족친화기업 인증
- 2021년** 01 자회사 '엠큐렉스 주식회사' 설립
02 KNDA 기술수출상 수상
02 2021년 코스닥 라이징스타 선정
10 GalNAc-asiRNA '한소제약' 기술이전
11 OLX703A, 보건복지부 국책과제 선정
11 혁신형 제약기업 보건복지부장관 표창



올릭스 원천기술
연구이력

- 2004 RNA 간섭 기술 연구 (포항공대, 성균관대)
- 2009 비대칭 siRNA 구조기술 국제 저널 논문발표 (Molecular Therapy)
- 2010 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록

- 2013 긴 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록
- 2015 자가전달 비대칭 siRNA 구조기술 특허등록

3. 주요 경영진



R&D 및 임상시험, 사업화 영역 등 모든 단계별 전문인력으로 구성



개발총괄
박신영 수석부사장

- 서울대 약학 박사
- KIT 재직 시 Ionis사
비임상 독성 Project Manager
- 美 독성전문가 DABT



CEO
이동기 대표이사

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

- KAIST 화학과 학사
- 美 Cornell University 생화학 박사
- 포항공과대학교 화학과 조교수
- 現 성균관대학교 화학과 교수



경영기획총괄
강충길 부사장

- KAIST 경영과학 학사/석사
- 금호그룹, 파워로직스 이사
- L&S 벤처캐피탈 이사



Chemistry 총괄
신동원 상무이사
(OliX US)

- 美 University of California, Riverside
핵산화학/유기화학 박사
- 美 Trilink Biotechnologies, LLC
Senior Staff Scientist



연구총괄
홍선우 부사장

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



IP/법무총괄
백영혜 상무이사

- KAIST 생물과학 학사/석사
- 변리사
- 제일 특허법인
- 리앤록 특허법인
- LG 생활건강 법무팀

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

- Associate 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



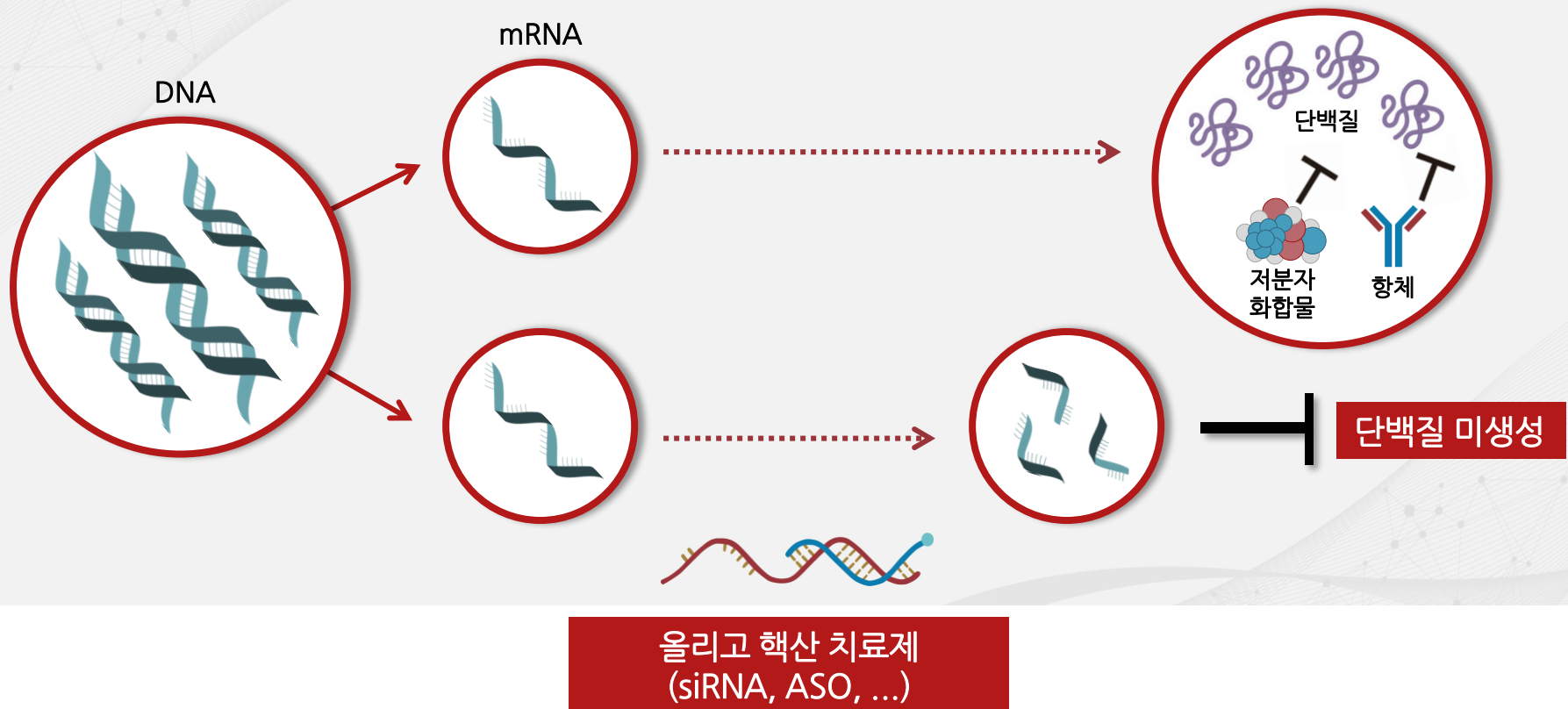
02

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. 글로벌 siRNA 치료제 기술이전 현황

1. RNA 간섭기술

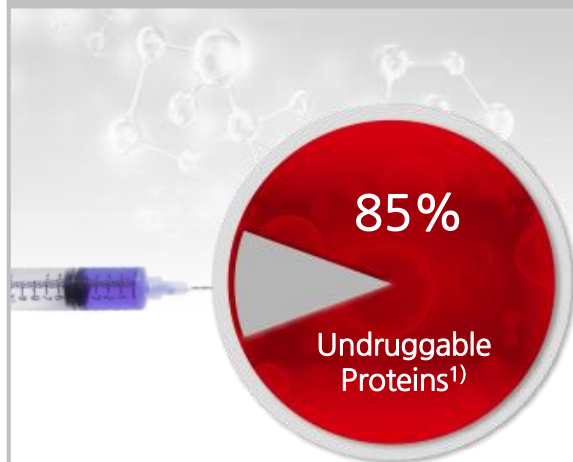
저분자화합물(1세대), 항체(2세대) 신약 개발 기술의 경우 생성된 단백질에 작용
올리고 핵산(3세대) 신약 개발 기술의 경우 단백질 생성 전 단계에서 작용



1. RNA 간섭기술

RNA 간섭기술은 제3세대 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 mRNA²⁾에 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)

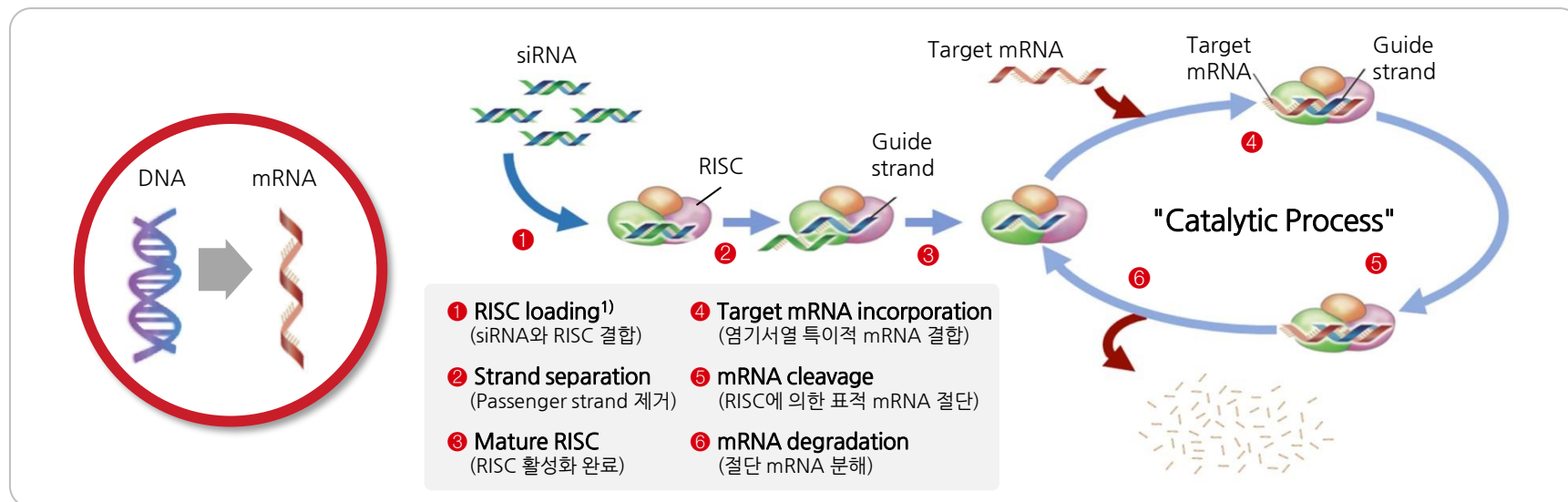
1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

Undruggable Target: 기존 치료제 및 신약으로 접근할 수 없었던 질환영역

2) 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



상용화 승인
RNA간섭 치료제

(Alnylam ONPATTRO	2018년 08월 by FDA)
(Alnylam GMLAARI	2019년 11월 by FDA)
(Alnylam OXLUMO	2020년 11월 by FDA)
(Novartis LEQVO	2021년 12월 by FDA)



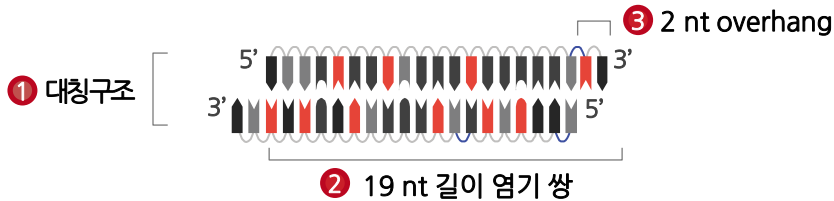
하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한
신약물질 단기간 제작 가능

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

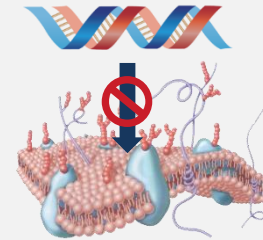
2. 기존 RNA 간섭 기술의 한계점

기존 siRNA 구조적 단점으로 부작용 및 세포 내 전달 이슈 존재

■ 기존 siRNA 구조 특징



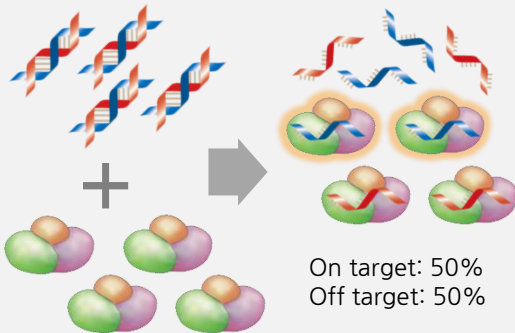
세포 내
전달
이슈



siRNA는 음전하를 띄어 세포막 투과 어려움

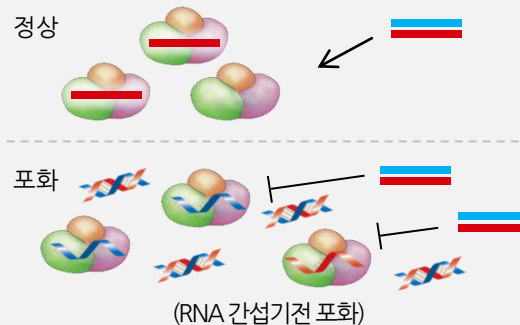
부작용

원하지 않는 유전자 억제



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

정상적인 세포 내 활동 방해

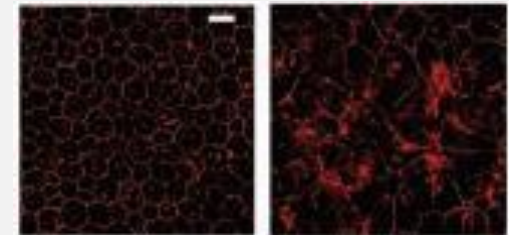


- 도입된 siRNA에 의해 세포 내 RNA 간섭 기전 포화
- siRNA 간섭 기전을 통한 정상적인 유전자 발현 조절 기능 상실

면역독성으로 망막세포 손상

정상 망막조직

독성발생 망막조직



※ Source: 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

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

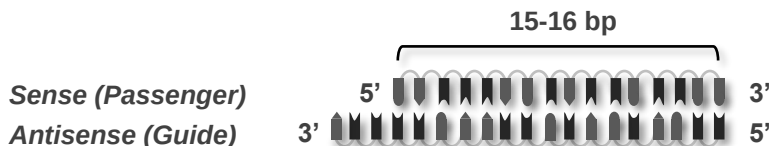
3. 비대칭 siRNA (asiRNA)

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 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

original article

Asymmetric Shorter-duplex siRNA Structures Trigger Efficient Gene Silencing With Reduced Nonspecific Effects

Chan Il Chang¹, Jae Wook Yoo², Sun Woo Hong², Shi Eun Lee², Hy Harry A Rogoff³, Changill Bani¹, Soyeon Kim¹, Chiang I Li³ and Dong-kil Lee^{1*}

in this issue

Efficient gene silencing with reduced nonspecific effects

Small interfering RNAs (siRNAs) are short, double-stranded RNAs that mediate gene silencing in human cell lines. Im-

nucleotides (the 19 + 2 form). However, this synthetic structure shows several sequence-independent, nonspecific effects. In this issue, Chang *et al.* report an asymmetric siRNA (asiRNA) backbone structure with duplex regions shorter than 19 bp that can efficiently trigger gene silencing in human cell lines. Im-

RNA structure reduces is triggered by conven- RNA scaffold, such as related off-target gene silencing of the RNAi page 725.

Selection and Optimization of Asymmetric siRNA Targeting the Human c-MET Gene

Seul-gi Jo^{1,3}, Sun and Dong-ki Lee^{1,3}

Biochem. J. (2014) 461, 427–434 (Printed in Great Britain) doi:10.1042/BJO140407

Effect of the guide strand 3'-end structure on the gene-silencing potency of asymmetric siRNA

Sun Woo HONG^{*1}, June Hyun PARK^{*1}, Soyeon YUN^{*}, Chang Han LEE^{*}, Chanseok SHIN^{†2} and Dong-ki LEE^{‡2}

^{*}Global Research Laboratory for RNAi Medicine, Department of Chemistry, Sungkyunkwan University, Suwon 440-746, Republic of Korea

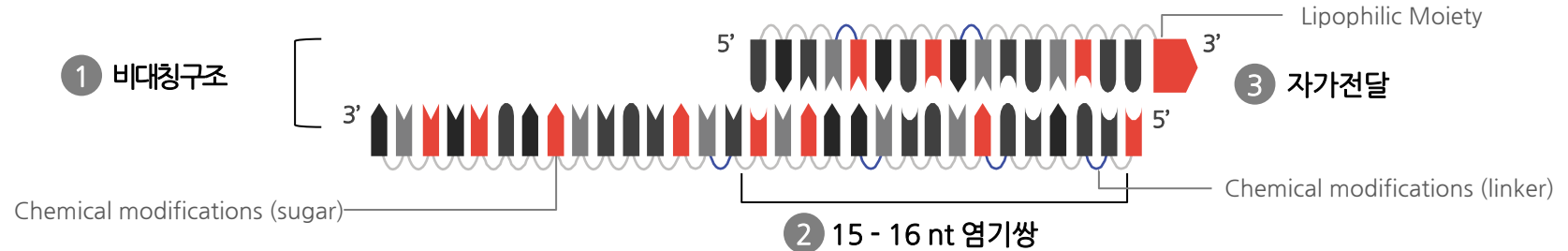
[†]Department of Agricultural Biotechnology, Seoul National University, Seoul 151-501, Republic of Korea

[‡]Plant Genomics and Breeding Institute, Seoul National University, Seoul 151-501, Republic of Korea

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



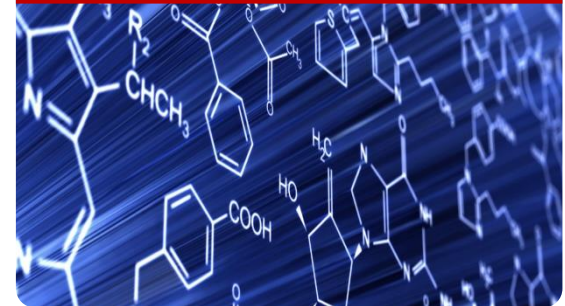
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

간단한 화학적 변형 도입

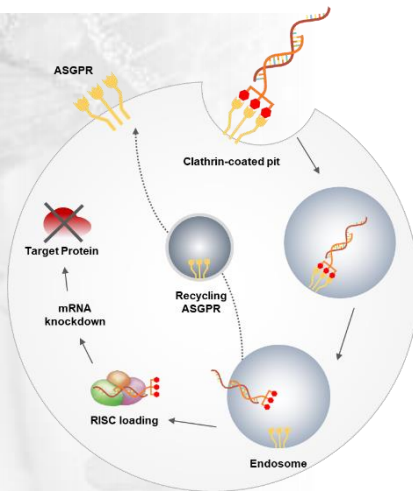
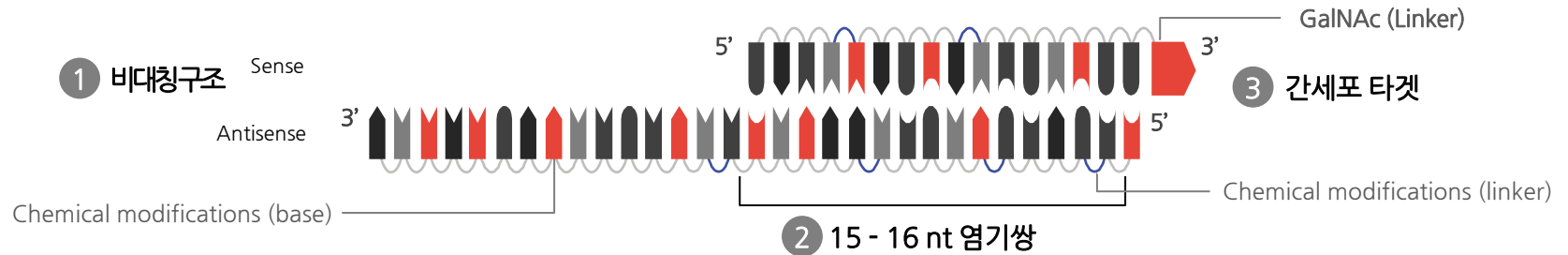


대량합성 / 분석 용이

5. GalNAc-siRNA

올릭스의 비대칭 siRNA 기술에 간 표적 리간드인 GalNAc chemistry 도입 완료

■ GalNAc-siRNA



1. 간세포 특이적, 효율적 타겟

2. 긴 효력 유지기간

3. 피하 주사 방법으로 환자 친화적

4. 임상을 통해 검증된 기술

6. 글로벌 siRNA 치료제 기술이전 현황

글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전은
2,000억 원 이상 규모 Big Deal 18건 이상, 1조 원 이상 규모 **Mega Deal 15건** 이상
[글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전 현황 (5개년)]

Licensor	Licensee	Year	Deal Size (USD)	Target Indication	Stage
OliX	Hansoh	2021	0.45B	심혈관 및 대사성 질환 등 (GalNAc)	Discovery
	Théa	2020 / 2019	0.81B	안과질환 4개	Preclinical
	비공개 (유럽소재 바이오사)	2020	Single-digit M research funding ▶ Mega deal	간질환 (GalNAc)	Discovery
Alnylam	Regeneron	2019	>1B	안과질환, 신경계질환, 보체매개성질환	Preclinical
	Sanofi	2018	>1B	혈우병 등 출혈질환	Phase 3
	Vir	2017	>1B	만성 B형간염, COVID19 등 감염병	Phase 2
Dicerna (Novo Nordisk ¹⁾)	Roche	2019	>1.7B	만성 B형간염	Phase 2
	Novo Nordisk	2019	0.36B/target ▶ Mega deal	간질환, 당뇨, 비만, 희귀병 등 30개	Preclinical
	Eli Lilly	2018	0.35B/target ▶ Mega deal	심혈관대사질환, 신경변성 등 10개	Preclinical/P1
	Alexion	2018	>0.64B	보체매개성질환	Preclinical
Arrowhead	GSK	2021	>1.03B	비알코올성지방간염 (NASH)	Phase 1
	Horizon	2021	>0.7B	통풍	Preclinical
	Takeda	2020	>1B	알파-1 항트립신 관련 간질환 (AATLD)	Phase 2
	Janssen	2018	>3.7B	만성 B형간염 등 3개	Phase 2
Silence	Hansoh	2021	1.3B	비공개 표적 3개	Undisclosed
	Takeda	2020	Single-digit M research funding ▶ Mega deal	비공개	Undisclosed
	AstraZeneca	2020	>4.2B	심혈관, 신장, 대사, 호흡기 질환	Preclinical
	Mallinckrodt	2019	>2.1B	보체매개성질환 관련 3개	Discovery/P1

1) Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨



03

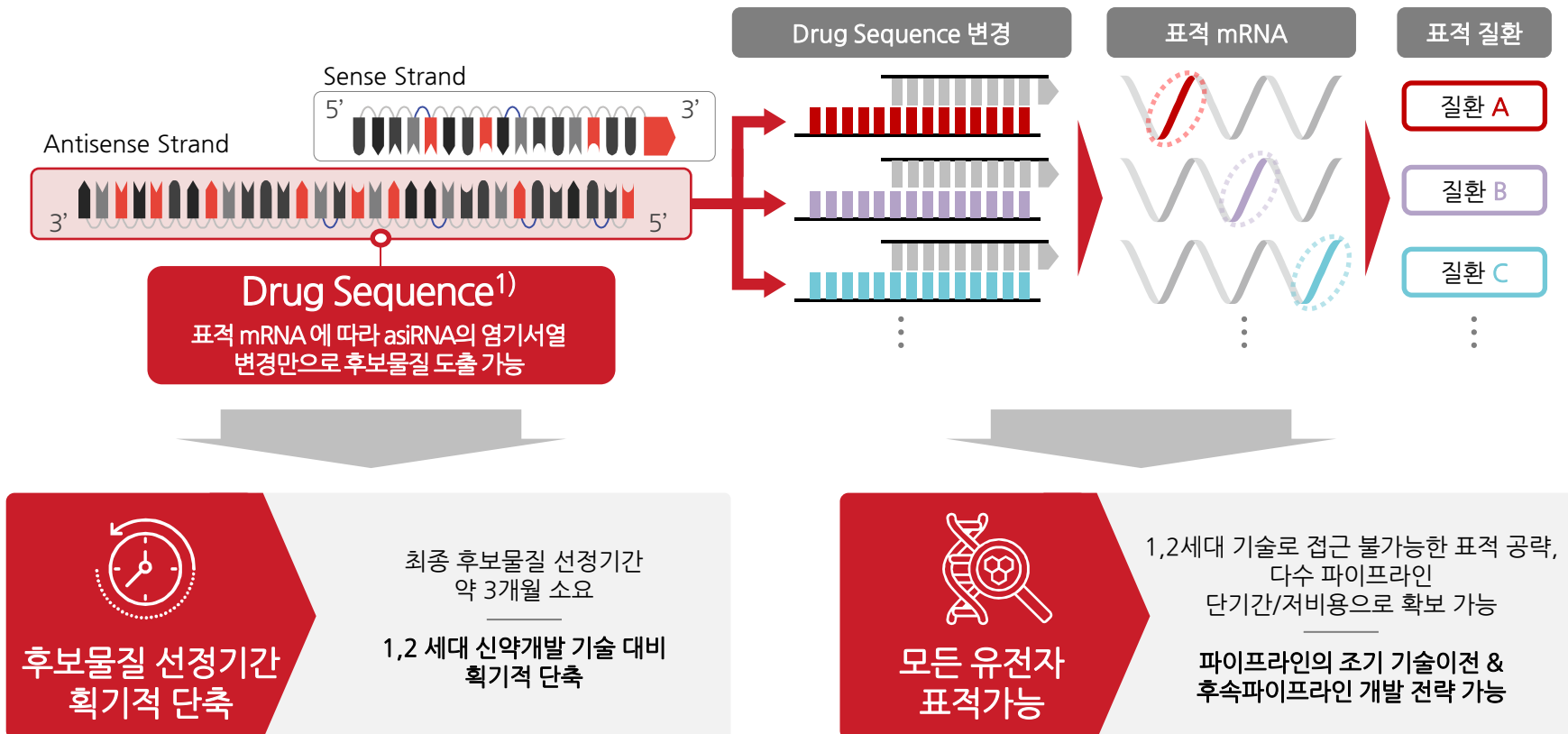
Growth Potential

1. 올릭스 기술 플랫폼의 범용성 / 확장성
2. 파이프라인 현황

1. 올릭스 플랫폼 기술의 범용성/확장성

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

■ 올릭스 asiRNA 플랫폼의 확장성



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

2. 파이프라인 현황



RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

프로그램	적응증	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	기술이전 공동개발
OLX101A	비대흉터					휴젤 (아시아)
OLX104C	탈모					(국내) Phase 2 진행 (미국) Phase 2 진행
OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성					Théa (전 세계; 아시아태평양 지역 제외)
OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성					Théa (전 세계; 아시아태평양 지역 제외)
OLX703A	HBV					
OLX201A	특발성 폐섬유화					
OLX702	간 질환 (NASH, Diabetes 등)					
OLX301E	습성 황반변성					
OLX304C	망막색소변성증					
OLX401A	신경병성통증					
OLX701	간 섬유화					
OLX402	뇌 질환					
OLX706A	심혈관 질환					
OLX706B	대사성 질환					
OLX801A	면역항암제					

2. 파이프라인 현황

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

분야	프로그램	적응증	R&D	Animal POC	Preclinical	Clinical	비고
 SKIN	OLX101A	비대흉터					휴젤 (아시아)
	OLX104C	탈모				(국내) Phase 2 진행 (미국) Phase 2 진행	
 EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성					Théa (전 세계; 아시아태평양 지역 제외)
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성					Théa (전 세계; 아시아태평양 지역 제외)
	OLX301E	습성 황반변성					
	OLX304C	망막색소변성증					
 Liver	OLX701	간 섬유화					
	OLX702	간 질환 (NASH, Diabetes 등)					
	OLX703A	HBV					
	OLX706A	심혈관 질환					한소제약 (Greater China)
	OLX706B	대사성 질환					한소제약 (Greater China)
 LUNG	OLX201A	특발성 폐섬유화					
 CNS & Oncology	OLX401A	신경병성통증					
	OLX402	뇌 질환					
	OLX801A	면역항암제					



04 | Core Programs

1. 비대흉터 치료제 (OLX101A)
2. 남성형 탈모 치료제 (OLX104C)
3. 노인성 황반변성 치료제
 - 건성 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301A)
 - 망막하 섬유화증 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301D)
4. 폐 질환 치료제 (OLX20X)
5. 간 질환 치료제
 - B형 간염 치료제 (OLX703A)
 - NASH 치료제 (OLX702A)
6. 올릭스 기술이전 현황

1-1. 비대흉터 치료제(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)

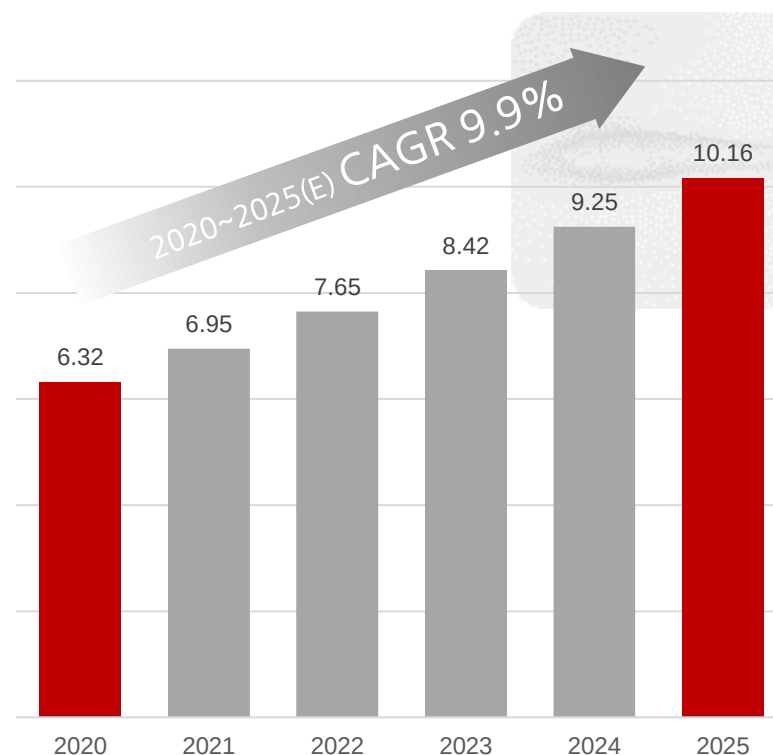
- 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

■ 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 2020

1-2. 비대흉터 치료제(OLX101A) 임상 진행 현황

자체 개발 RNA간섭기술 플랫폼과 검증된 표적 유전자를 통해 우수한 효력 확인

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
CTGF ¹	피내주사	한국 2상 임상 진행 미국 2상 임상 진행

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

■ 개발경과

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

■ 한국 2상 임상 (휴젤)

한국 2상 임상시험 개요

- 의뢰기관: 휴젤 주식회사
- 디자인: 독립적 평가자 눈가림, 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 진행
- 기타: 휴젤 주식회사에 기술이전 (아시아)

■ 미국 2상 임상 (올릭스)

미국 2상 임상시험 개요

- 의뢰기관: 올릭스 주식회사
- 디자인: 무작위배정, 이중맹검, 개체 내 비교, 위약 대조, 개념 검증
- 목적: 흉터 재건술을 시행한 환자에게 피내 투여 시 비대 흉터의 재발 억제 효과와 안전성 평가
- 대상자수: 20 또는 30명
- 상황: 미국 2상 임상 진행

2. 남성형 탈모치료제(OLX104C): 비임상 효력 확인

기존 탈모치료제가 야기하는 전신 부작용을 최소화한 국소투여 First-in-class 탈모치료제

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
AR (안드로겐 수용체)	진피 내 주사	비임상 개발

- ▶ 글로벌 시장규모¹⁾ : 2018년 84억 USD → 2027년 136억 USD (CAGR 5.51%)
- ▶ 기존 탈모 치료제의 전신 노출에 따른 부작용을 겪는 탈모 환자 대상
- ▶ 잦은 투여에 따른 불편으로 치료의 어려움을 겪는 탈모 환자 대상
- ▶ 남성형 여성 탈모 환자 대상 부작용 없는 치료제로 개발

¹⁾ Inkwood Research (2019)

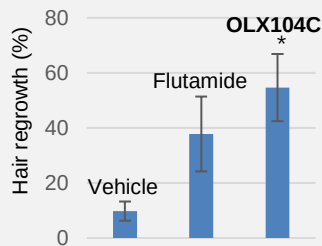
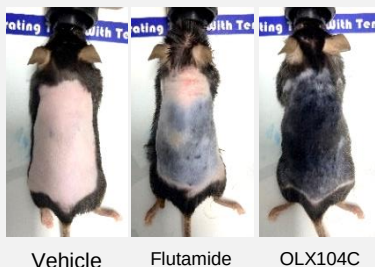
소비자 전망(홈케어, 피부과 등), 판매/유통 전망(처방전, OTC 일반약 등) 포함

■ 개발경과

- 1회 투여에 의한 장기 (3주 이상) 효력 유지 확인
→ 기존 약물의 전신노출에 의한 부작용 및 잦은 투여에 따른 불편을 해소하는 First-in-class 치료제로 높은 상업성 기대
- 비임상·임상 시험용 API GMP 생산계약 체결 (LGC바이오서치테크놀로지)
- 미국 특허 취득
- 글로벌 CRO 기업과 독성 시험 진행 중
- 2022년 3-4분기 식약처 임상시험 신청 예정

■ 비임상 효력시험 결과

탈모 생쥐 모델에서 발모 효력 확인



탈모환자 모근에서 효력 확인

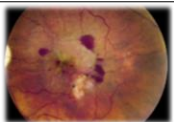


3-1. 노인성 황반변성 치료제(OLX301A, OLX301D) 현황

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

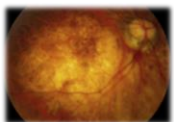
■ 노인성 황반변성이란 ?

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



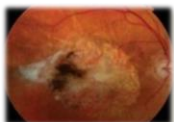
습성 황반변성

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



건성 황반변성(GA)

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



망막하 섬유화증

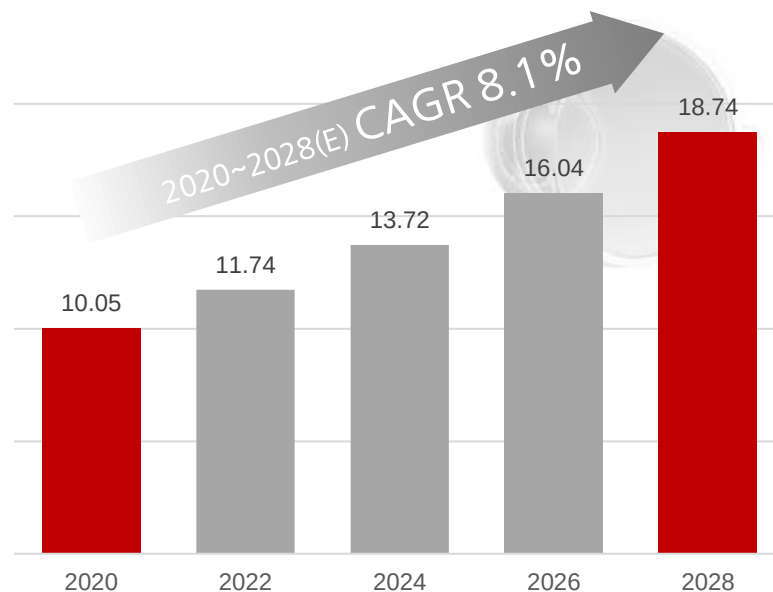
- 습성황반변성 진행과정 중 신생 혈관 생성 및 국소적 파괴로 발생

■ 기존 치료제의 한계

구 분	기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
습성 노인성 황반변성	Eylea	• 약 30% 환자에게 효과 없으며, 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생 • 망막하 섬유화증 및 건성황반변성 치료 불가
	Lucentis	
	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 2020 Product Sales (Net Sales):

Lucentis: \$1,933m + Eylea: \$7,908m = \$9,841m

※ 출처: GlobalData 2020

3-2. 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 개발

- ▶ 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

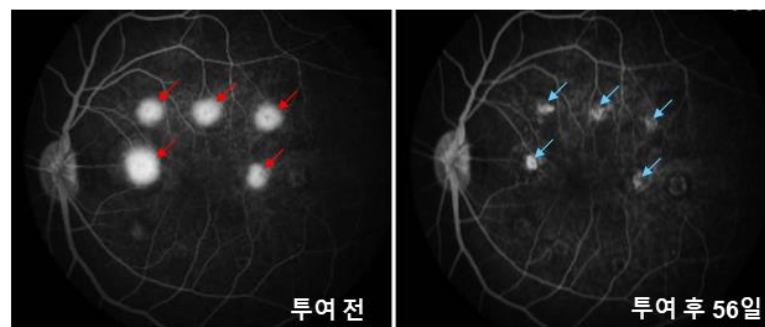


■ 개발경과

- J.Ambati 교수 연구진이 발굴한 Undruggable Target 유전자 표적 : First-in-class 약물
- 복수의 건성 황반변성(GA) 및 습성 황반변성(CNV 모델) 동물 모델에서 탁월한 효력 확인 완료
- 비임상·임상 시험용 API GMP 생산 완료 (LGC바이오서치테크놀로지)
- 글로벌 CRO 기업과 독성 시험 진행 중
- 2022년 2-3분기 임상시험 신청 예정

습성 노인성 황반변성 효력 확인 (영장류)

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



*화살표: 혈관 누출 지역

3-3. OLX301D: 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 개발

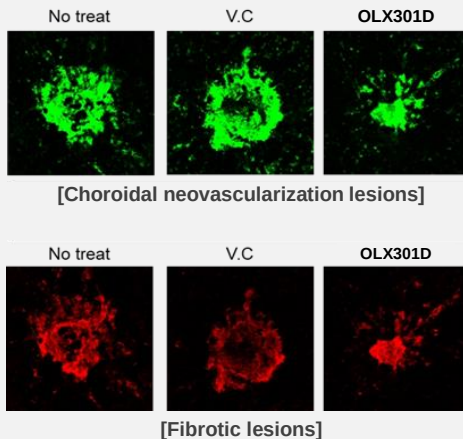
- ▶ 습성 황반변성은 항 VEGF 치료제는 약 30% 환자에게 효과 없으며, 지속처방시 2년 내 45% 환자에서 섬유화 발생 및 실명 주요원인
- ▶ 치료제가 없는 망막하 섬유화증 및 습성 황반변성에 동시 효력

■ 개발경과

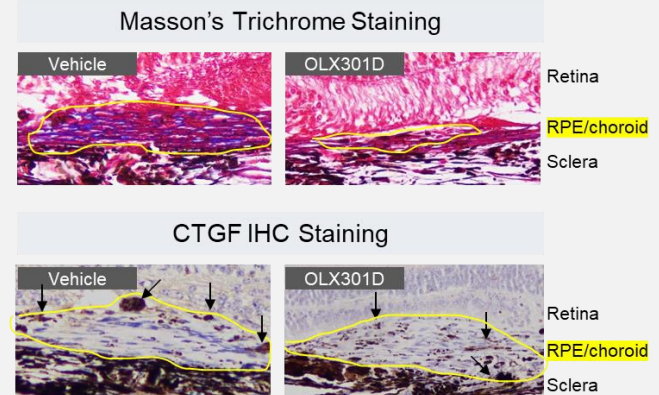
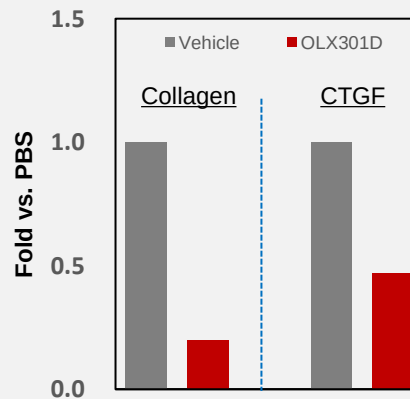
- 망막하 섬유화증과 습성 황반변성 동물 모델에서 효력 확인
→ 양질환에서 동시 효력 확인으로 First-in-class 및 높은 상업성 기대
- 비임상·임상 시험용 API GMP 생산 중 (LGC바이오테크놀로지)
- 글로벌 CRO 기업과 독성 시험 진행 중

■ 비임상 효력시험 결과

망막하 섬유화증 효력 확인 (마우스 모델)



망막하 섬유화증 효력 확인 (영장류 모델)



3-4. 글로벌 기술이전 계약 확장 체결

2019년 프랑스 안과 전문기업 '떼아(Théa)'에 총 807억 원 규모 기술이전 계약 체결 이후
동사에 최대 9,138억 원 규모 기술이전 계약 확장 체결 (2020.10.06)



■ 2020년 기술이전 확정 계약 개요

프로그램	세부내용
OLX301A	기존 기술이전 계약 범위 확대 (기존 유럽, 중동, 아프리카에 미주 지역 추가 → 아시아태평양 지역 제외 전 세계)
OLX301D	전 세계 범위 기술이전 계약 (아시아태평양 지역 제외)
안과질환 프로그램 (2개)	향후 2년 이내 동일 조건의 기술이전 계약 권리 부여

■ 최대 계약규모 : EUR 668,000,000 (약 9,138억 원)

선급금 (OLX301A/D)	EUR 10,600,000 (약 145억 원) → 2019년 EUR 2,000,000 (약 27억 원) 포함
마일스톤 (OLX301A/D)	EUR 323,300,000 (약 4,422억 원)
옵션 계약금	EUR 200,000 (약 2억 7천만 원)
옵션 계약 규모	EUR 333,900,000 (약 4,567억 원)
로열티	순 매출액의 5% 또는 10% 비율
대상지역	전 세계 (아시아태평양 지역 제외)

4. 폐 질환 타겟 cp-siRNA 플랫폼 확립

자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 기술을 통한 다양한 폐 질환 파이프라인 개발

■ 치료제 개요

Active pharmaceutical ingredient (API)	적응증	투여방법	비고
cp-siRNA / Target undisclosed	폐섬유화 등 폐 질환	흡입	연구개발 글로벌 파트너 발굴 중

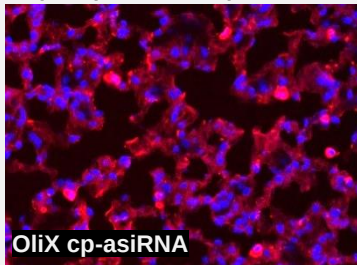
■ 개발 현황 및 계획

- cp-siRNA 플랫폼 기반 폐 질환 치료제의 동물 효력 검증 완료
- 폐 조직 내 효력 및 독성 개선된 cp-siRNA 플랫폼 기술 확립 완료
- 신규 타겟 / 적응증 발굴 및 치료제 후보 물질 도출 진행중

■ 비임상 효력시험 결과

마우스 폐 조직 전달 확인

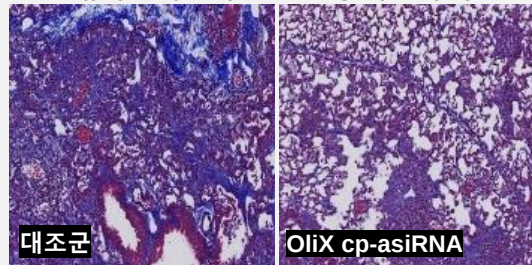
폐 조직 내 siRNA의 고른 분포



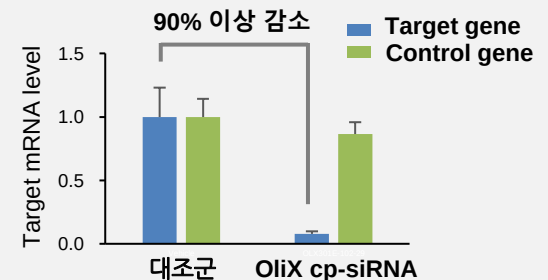
폐섬유화 동물 모델 효력 확인

섬유화된 폐 조직

정상 폐 조직 회복



표적 유전자 억제 효력 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	HBV, NASH 등	피하주사	한소제약과 GalNAc 플랫폼 기술 계약 체결

■ 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
- 2022년 전임상 연구 진행

■ Hepatology (간질환) 분야 과학기술자문단



5-2. GalNAc-asiRNA의 효과적 전달

■ 비임상 간세포 전달 효력시험

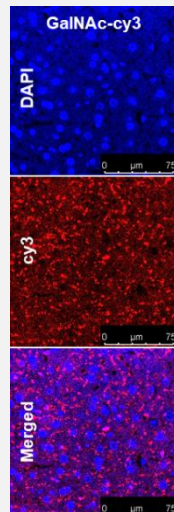
GalNAc-asiRNA 물질을 마우스에 10mg/kg 피하 투여

- (A) 전신, (B) 간 조직으로 전달됨을 확인
- (C) 마우스 간세포 내에 효과적으로 유입됨을 확인

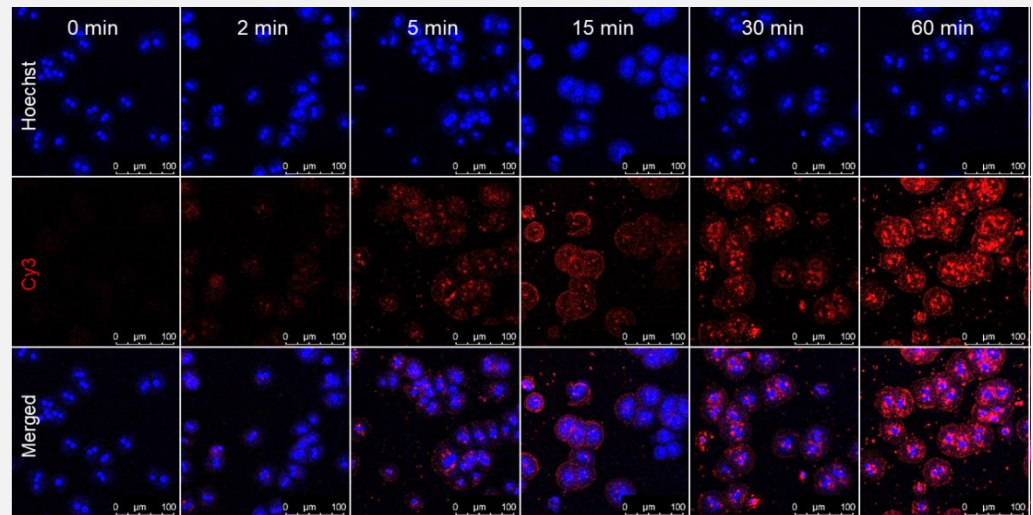
(A) 전신 분포



(B) 간 조직 분포

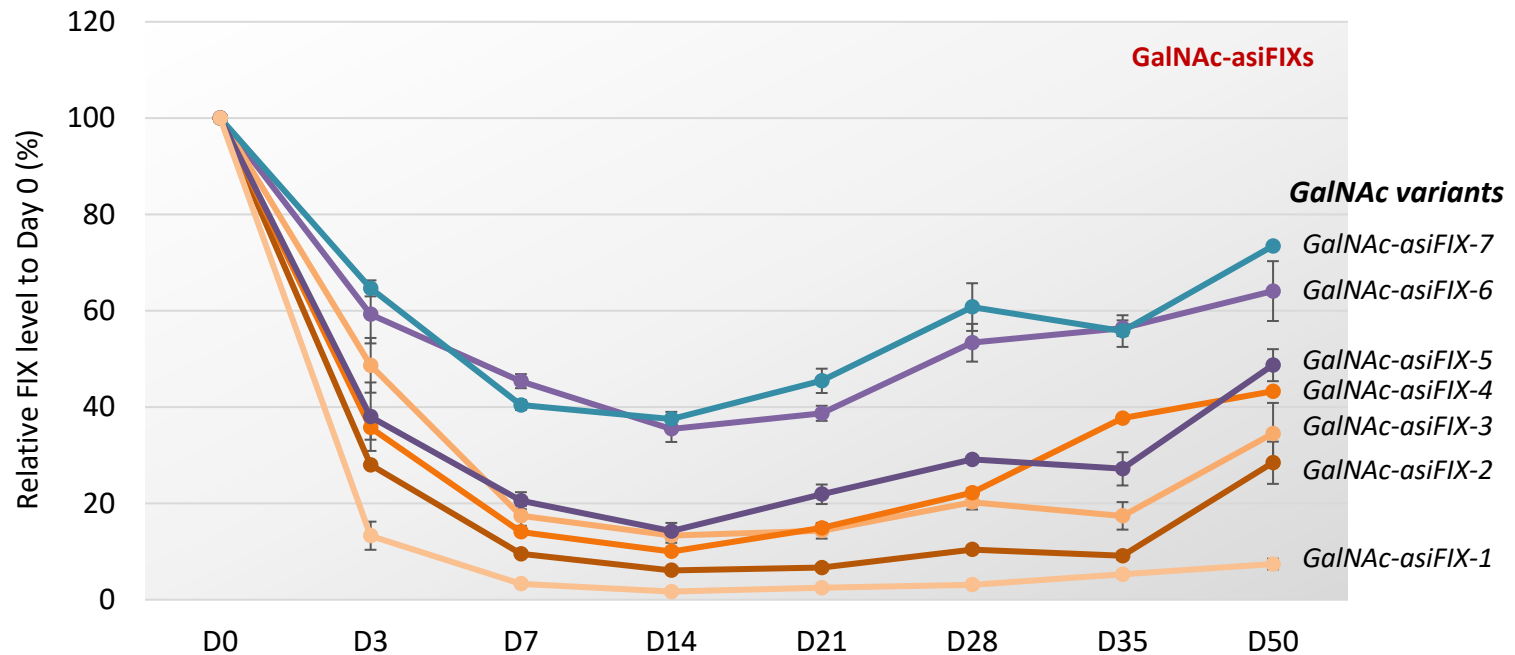


(C) 마우스 간세포 전달



5-3. OliX GalNAc 물질의 효력 및 유지기간

■ 효력 및 유지기간 확인

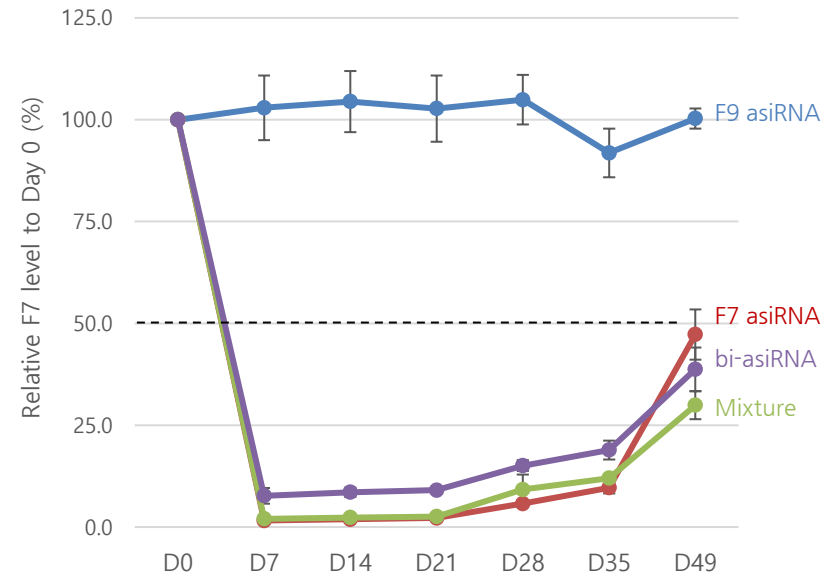
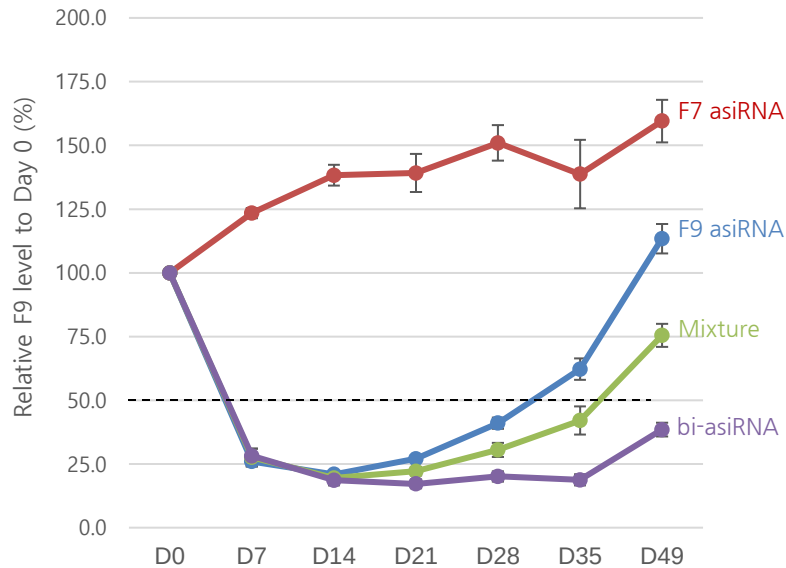


■ 개발현황

- GalNAc 물질의 안정화를 위한 자체 chemistry 개발
- 단회 피하투여로 50일에 달하는 유전자 억제 효력 (>90% 이상) 확인
- 경쟁사 대비 동등성 확인

5-4. Dual 타겟팅 GalNAc 플랫폼

■ 두 가지 표적 유전자를 타겟 가능한 GalNAc 플랫폼 개발



* bi-asiRNA : F7-F9 asiRNA를 linker로 연결한 dual 타겟팅 GalNAc-asiRNA

■ 개발현황

- 안정화를 위한 chemistry 및 두 asiRNA 연결을 위한 bi-asiRNA 개발 · 최적화 완료
- 두 GalNAc 물질의 복합체 (mixture) 대비 비열등성 확인

5-5. B형 간염 치료제(OLX703A): 비임상 효력 확인

바이러스 게놈을 직접 타겟함으로써 근원적 치료효과를 나타내는 치료제

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
HBV 전사체	피하 주사	효력시험

- ▶ 글로벌 시장규모¹⁾: 2014년 236억 USD → 2024년 297억 USD (CAGR 5.3%)
- ▶ 전 세계 약 2억 5000만명 이상 만성 B형 간염 환자
- ▶ 기존 치료제의 부작용과 항바이러스제의 내성을 갖는 환자 대상
- ▶ 잦은 투여에 따른 불편으로 치료의 어려움을 겪는 환자 대상

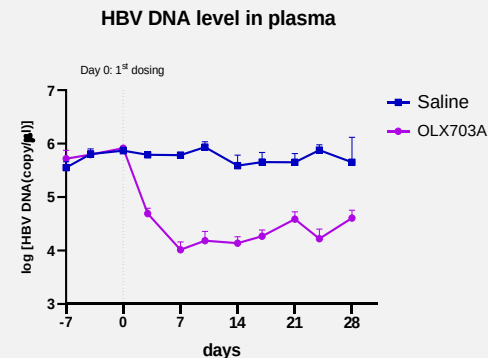
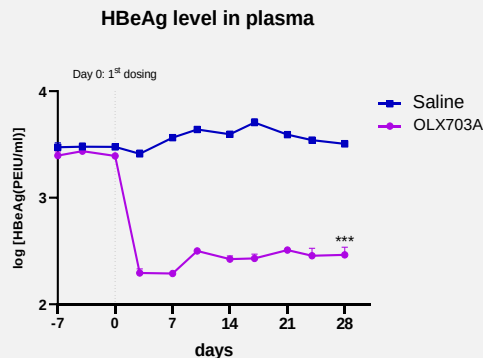
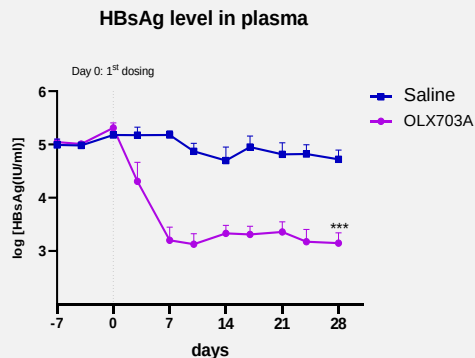
1) Global Data, Pharma eTrack

■ 비임상 효력시험 결과

■ 개발 현황 및 계획

- AAV/HBV 감염 마우스 모델에서 B형 간염 표면 항원 (HBsAg)의 >2 log₁₀ 감소 효능 확인
- Best-in-class 치료제로의 개발 가능성 기대
- 1회 투여에 의한 장기 (4주 이상) 효력 유지 확인
- 비임상·임상 시험용 API GMP 생산 중 (LGC바이오서치테크놀로지)
- 중국 CRO 기업과 독성 시험 진행 중
- 2023년 상반기 임상시험 신청 예정

AAV/HBV 감염 마우스 모델에서 B형 간염 항원 (HBsAg, HBeAg) 및 HBV DNA 억제 효능 확인



5-6. NASH 치료제(OLX702A): 비임상 효력 확인

비알코올성지방간염(NASH) 치료 가능한 First-in-class 치료제

■ 치료제 개요

표적 단백질	투여방법	진행상황
Undisclosed	피하주사	효력시험

- ▶ 글로벌 시장규모¹⁾ : 2021년 37억 USD → 2026년 68억 USD (CAGR 13%)
- ▶ 전 세계적으로 가장 흔한 간 질환이나, 치료제 부재(Unmet Medical Need)
- ▶ 정상군과 비알코올성지방간염 환자군의 유전정보 비교 결과, 표적 단백질과 질환 사이의 연관성 확인

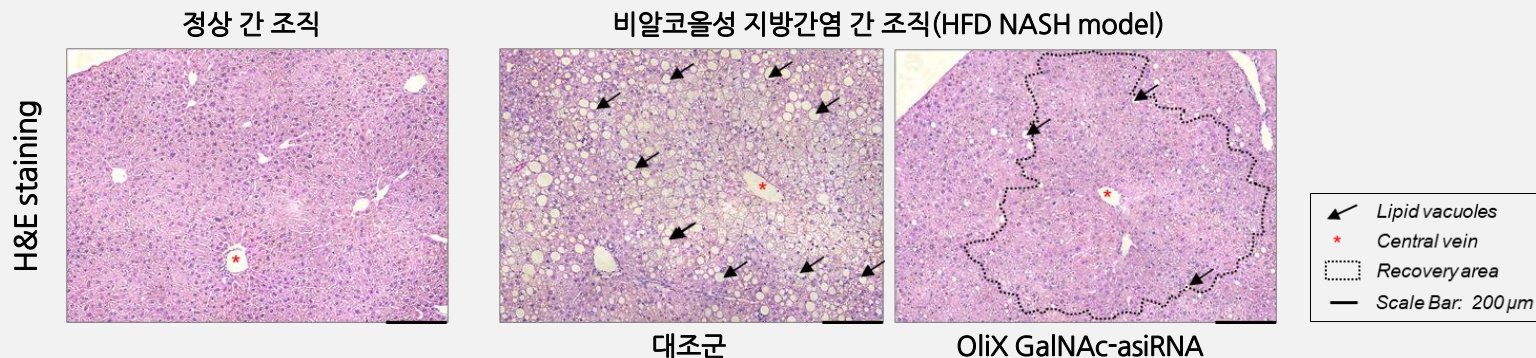
1) Global NASH Market, Azoth Analytics 2021

■ 개발 현황 및 계획

- 전장유전체상관분석(GWAS) 기반 NASH 타겟 발굴
- GalNAc-asiRNA 플랫폼 기반 NASH 동물 모델에서 효력 확인
→ First-in-class 치료제로 높은 상업성 기대
- 글로벌 CMO 및 CRO 업체와 계약 체결

■ 비임상 효력시험 결과

비알코올성지방간염 동물모델 효력 확인



5-7. 간질환 파이프라인 현황

적응증	프로그램	Stage of the Program		
		Discovery	Preclinical	Clinical
간 섬유화 (Liver Fibrosis)	OLX701C			
	OLX701D			
비만 / 제2형 당뇨 (Obesity / T2DM)	OLX702B			
	OLX702C			
	OLX702D			
비알코올성지방간염 (NASH)	OLX702A			
	OLX702E			
	OLX702F			
	OLX702G			
	OLX702H			
B형간염(HBV)	OLX703A			
심혈관 질환	OLX706A			
대사성 질환	OLX706B			

5-8. 연구개발 공급계약

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

(계약 상대방의
영업비밀 요청)



유럽 소재 글로벌 제약바이오사

총 계약규모 : USD1,500,000 (약 18억원)

올릭스의 GalNAc-siRNA 플랫폼 기술을 활용하여
고객사가 요청한 간 질환 관련 타겟 4종에 대해
RNA간섭 치료제 후보물질을 도출



현재 계약 상대방 측에서
도출된 후보물질에 대해 동물모델 효력 검증 중

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

5-9. 글로벌 기술이전 계약 체결

GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술 기반 최대 약 5,300억 원 규모의 기술이전 계약 체결 (2021. 10. 12)



■ 기술이전 계약 개요

계약회사	한소제약 (Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co, Ltd)
계약대상	심혈관 및 대사질환 치료제 후보물질
계약내용	- 주계약 : 올릭스의 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술을 이용해 한소제약이 제시한 타겟에 대한 2종의 신약 후보물질을 제공 - 옵션계약 : 올릭스가 주계약의 첫번째 후보물질 도출을 완료한 때부터 90일 전까지 한소제약은 올릭스의 GalNAc-asiRNA 기반 기술을 이용한 최대 2종의 추가 후보물질에 대해 옵션 행사 가능

■ 최대 계약규모 : USD 451,000,000 (약 5,300억 원)

주계약 후보물질 2개	선급금	USD 6,500,000 (약 77억 원)
	마일스톤	USD 220,000,000 (약 2,600억 원)
옵션계약 추가 후보물질 1개당	선급금	USD 2,250,000 (약 26억 원)
	마일스톤	USD 110,000,000 (약 1,300억 원)
로열티		순 매출액의 10% 비율
대상지역		중화권 (중국본토, 홍콩, 마카오, 타이완 포함)

■ 한소제약 개요

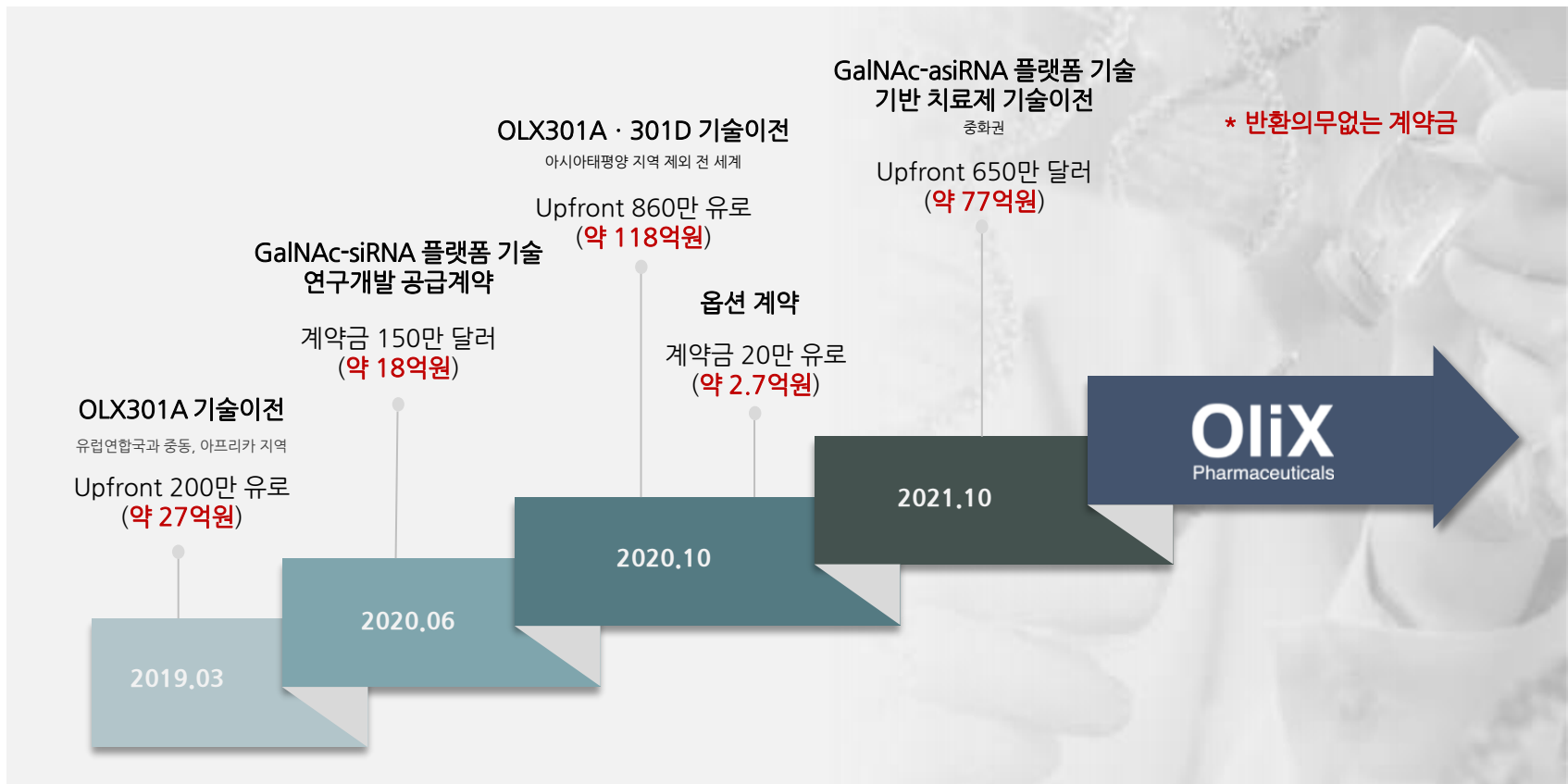
- Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co., Ltd.
- 중국 내 대표적 항암 API 제조업체
- 홍콩(HK 3692) 증시 상장기업
- 중국 내 4위, 전 세계 37위 제약회사¹⁾
- 중국 최대 제약기업 항서제약 관계사

1) Torrey A 발간, <The Pharma 1000 Top Global Pharmaceutical Company Report, September 2020.>

6. 올릭스 기술이전 현황

(1) 올릭스 자체 개발 파이프라인에 대한 기술이전 및 (2) 올릭스 자체 RNAi 플랫폼 기술을 이용해
파트너사가 원하는 질환을 타겟하는 siRNA 후보물질을 도출하는 **유연한 파트너링 구조**

■ 올릭스 기술이전 현황 (최근 4개년)





Appendix

1. 요약 재무제표
2. 자회사 (엠큐렉스 주식회사)
3. 타사 RNA 치료제 개발 현황

1. 요약 재무제표

■ 요약 재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2019	2020	2021.06
유동자산	37,440	69,047	63,925
비유동자산	7,767	9,530	10,095
자산총계	45,207	78,577	74,020
유동부채	2,754	4,488	8,347
비유동부채	645	28,738	30,457
부채총계	3,399	33,226	38,804
자본금	3,265	6,771	6,852
기타불입자본	71,540	81,099	82,879
기타자본구성요소	1,801	11,859	13,190
이익잉여금	(34,799)	(54,379)	(67,706)
자본총계	41,807	45,350	35,215

■ 요약 손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2019	2020	2021.06
영업수익	1,130	2,474	1,991
영업비용	16,247	18,715	13,174
영업이익	(15,117)	(16,241)	(11,183)
법인세차감전 순이익	(14,244)	(20,511)	(14,074)
법인세비용	109	(1,126)	(687)
당기순이익	(14,353)	(19,385)	(13,387)

2-1. 자회사 (엠큐렉스 주식회사) 소개

■ 일반현황

회사명	엠큐렉스 주식회사 (mCureX Therapeutics, Inc.)
대표이사	홍 선 우
설립일	2021년 1월 20일
본사	경기도 성남시 분당구 판교역로 225-15, 6층
주요사업	mRNA 기술 기반 차세대 백신 및 치료제 개발

■ 대표이사



홍 선 우 | 이학박사

- '21~現 엠큐렉스 대표이사
- '10~現 올릭스 기업부설연구소장
- '10~13 동국대 연구교수
- '05~08 포항공대 화학 박사

■ 주요인력



신동원 | 연구총괄

- 美 University of California, Riverside, 핵산화학/유기화학 박사
- 美 University of California, San Diego, Postdoc
- 美 Trilink Biotechnologies, LLC, 올리고핵산 및 mRNA 연구
- COVID-19 백신 적용 'mRNA 5'-Capping' 기술 개발 발명자
- OliX US, Chemistry 총괄



Anton McCaffrey | Scientific Advisory Board

- 美 University of Colorado Boulder, 생화학 박사
- 美 Stanford University, Postdoc
- 美 University of Iowa School of Medicine, 조교수 C형간염 microRNA 관련 연구
- 美 Trilink Biotechnologies, LLC, Senior Director 올리고핵산/NTP/mRNA 연구
- mRNA 백신/치료제, RNAi 및 올리고 핵산 분야 자문역

2-1. 자회사 (엠큐렉스 주식회사) 소개

“mRNA + Cure + X[Acce]lerating” mCureX

- mRNA 기술 기반 백신 및 치료제 연구개발 기업
- 독자 mRNA 분자 플랫폼 기술을 이용한 신속한 mRNA 백신 및 치료제 개발
- 관계사 OliX 및 OliX US의 핵산 치료제 연구개발 전주기 역량 협력



2-2. mRNA 신약 기술 개요

“mRNA 신약 기술”

- 3세대 신약 (핵산 치료제) 기술
- 치료에 필요한 단백질을 생체 내 기전을 통해 생성하는 기술
- mRNA 투여를 통해 모든 단백질 및 항원 (백신) 생성 가능



효소반응으로 합성된 mRNA를
치료제 및 백신으로 이용



신속한 신약 후보물질 도출 및 대량생산 가능
(3~5개월)

하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한
신약물질 단기간 제작 가능



아미노산 서열이 알려진
모든 단백질 생성 가능



2020년 최초로
mRNA 백신 미국 FDA 승인 (EUA)

Pfizer/BioNTech | BNT162b2 | 2020년 12월 by FDA
Moderna | mRNA-1273 | 2020년 12월 by FDA



질병 관련 단백질의 생성을
특이적으로 유도



원천특허 및 세포 내 전달기술 확보 기업 중심으로
치료제 및 백신 개발 진행 중

2-3. mRNA 백신 개발 업무협약

삼양홀딩스 바이오팜 그룹과 코로나19 mRNA 백신 개발 위한 업무협약 체결 (2021.04.21)



엠큐렉스 - 삼양홀딩스 바이오팜 그룹 기술협력 MOU

엠큐렉스는 기존의 mRNA 백신 대비 **우수한 보관성과 효능**을 지닌
국산 코로나19 mRNA 백신의 개발을 위해 삼양홀딩스 바이오팜 그룹과
기술협력을 약속하는 업무협약(MOU) 체결.

양사가 오랜 현장 경험을 통해 보유 중인 mRNA 기술력(엠큐렉스)과,
전달체 기술력(삼양홀딩스 바이오팜 그룹)으로 신속한 코로나19 mRNA
백신 개발 및 향후 발생 가능성이 높을 것으로 예상되는 **변종 바이러스**에
대한 대응 기반을 마련할 것.



▲ 엠큐렉스 홍선우 대표와 삼양홀딩스 조혜련 의학바이오연구소장

2-4. 투자 유치 실적

2021년 6월, 총 65억 원 규모의 Pre-Series A 투자를 유치하여 COVID-19 백신 및 치료제 연구개발 자금 확보

■ 투자 유치 개요

구분	투자금액
재무적투자자 (FI)	45억 원
전략적투자자 (SI)	20억 원
총계	65억 원

올릭스의 자회사 엠큐렉스가 mRNA 백신 및 치료제의 연구개발을 위해 국내 기관 투자자들로부터 총 65억원 규모의 프리시리즈 A(Pre-Series A) 투자를 유치했다고 24일 밝혔다.

엠큐렉스는 모회사인 올릭스의 기존 주주이기도 한 아주IB투자, 키움인베스트먼트, 위드원인베스트먼트를 비롯해 스닉픽인베스트먼트를 대상으로 45억원 규모의 상환전환우선주(RCPS)를 발행했고, 올 4월 MOU를 체결한 삼양홀딩스를 비롯해 올릭스, 피씨엘을 대상으로 20억원 규모의 보통주를 발행했다.

(출처 : 한국경제TV 2021년 6월 24일자 보도자료)

■ 자금 활용 계획

- ▶ COVID-19 mRNA 백신 개발을 위한 R&D 비용 (플랫폼 기술, 후보물질 도출, 효력·독성 시험 및 CMC 등)
- ▶ 시설장치를 비롯한 연구 설비 도입
- ▶ 그 외 관련 연구개발 자금으로 활용

3. 타사 RNA 치료제 개발 현황

다양한 난치성 희귀 질환 치료제를 중심으로 글로벌 RNA 치료제 개발 활발

[글로벌 RNA 치료제 개발기업 주요 제품/파이프라인]

개발기업	제품/파이프라인	개발단계	적응증
Alnylam	Patisiran (ONPATTRO)	Commercial	Hereditary ATTR Amyloidosis
	Givosiran (GIVLAARI)	Commercial	Acute Hepatic Porphyria
	Lumasiran (OXLUMO)	Commercial	Primary Hyperoxaluria Type 1
	Inclisiran (Leqvio)	Commercial	Hypercholesterolemia
	Fitusiran	Late Stage	Hemophilia & Rare Bleeding Disorders
	Vutrisiran	Late Stage	ATTR Amyloidosis
Arrowhead	ARO-AAT	Late Stage	Alpha-1 Liver Disease
	JNJ-3989	Late Stage	HBV
	AMG 890	Late Stage	Cardiovascular Disease
	ARO-ENaC	Early Stage	Cystic Fibrosis
Dicerna (Novo Nordisk ¹⁾)	Nedosiran	Late Stage	Primary Hyperoxaluria
	RG6346	Early Stage	HBV
	Belcesiran (DCR-A1AT)	Early Stage	AAT Liver Disease
Silence	SLN360	Early Stage	Cardiovascular Disease
	SLN124	Early Stage	Beta Thalassemia / Myelodysplastic Syndrome

1) Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨

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