

Innovate Genome

Global Leader in Genome Editing Technology



Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 PRESENTATION에서의 정보제공을 목적으로 툴젠(이하 “회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 PRESENTATION에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 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’, ‘(F)’ 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 “예측정보”는 향후 경영 환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는바, 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 시장 상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략 수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 REPRESENTATIVE들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다(과실 및 기타의 경우 포함).

본 문서는 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.



01 Corporate Identity

02 Chapter 01 Technology&Competitiveness

03 Chapter 02 Business area

1. Platform
2. Therapeutics
3. GreenBio

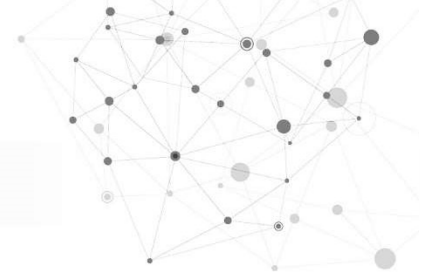
04 Appendix

1. Company profile
2. Infrastructure
3. Financial statement



Corporate Identity

1. VISION



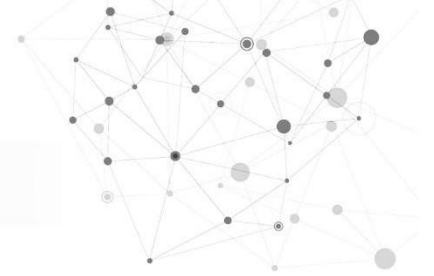
Innovate Genome



For better health, happier life.

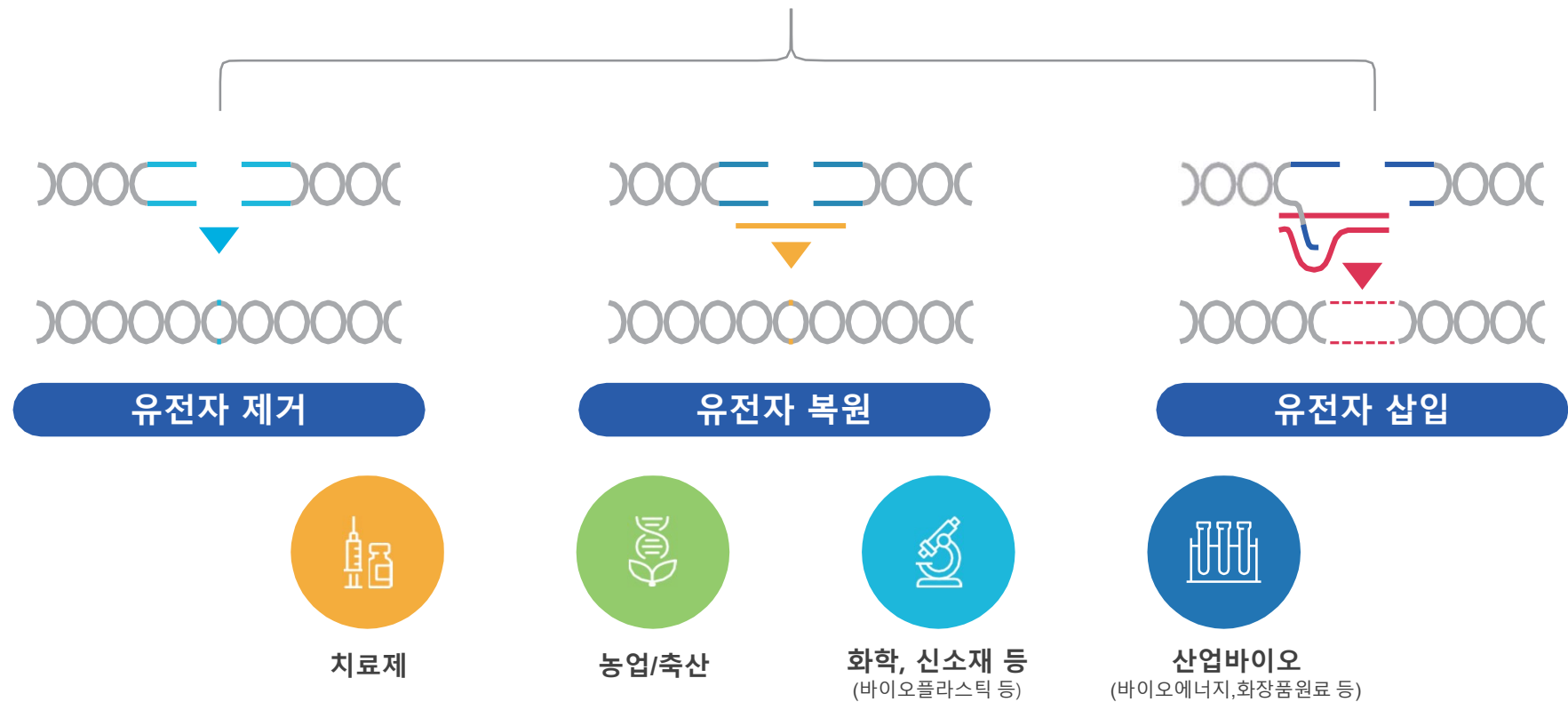


2. 유전자교정 기술



유전자가위 : 효율적인 유전자교정을 위해 유전자를 절단하는 분자도구

타겟 유전자 절단





01 Corporate Identity

02 Chapter 01 **Technology&Competitiveness**

03 Chapter 02 **Business area**

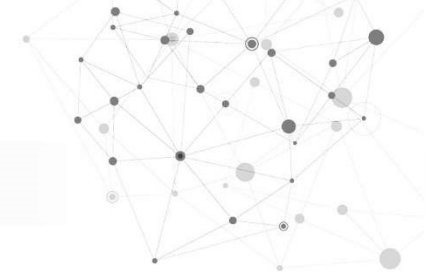
1. Platform
2. Therapeutics
3. GreenBio

04 **Appendix**

1. Company profile
2. Infrastructure
3. Financial statement



1. 비즈니스 영역확장



원천기술 IP ➤ 응용 IP 확대를 통한 다양한 사업 기회



IP 경쟁력 강화

원천기술 IP 추가 등록 및

응용 IP 확대를 통한 기술 경쟁력 확대



연구조직 강화

‘선택과 집중’ 전략

+

R&D총괄 대표이사 영입



사업개발 능력 확대

다양한 MOU 체결을 통한 플랫폼 및

치료제 개발 기술 License deal 기반 확대

다양한
사업 영역

Platform
Therapeutics
GreenBio



진핵세포에서
CRISPR를 사용한
세계 최초의특허

- 11개 관할국 출원
- Monsanto, Thermo 등 17개 기업에 기술이전

CRISPR 원천특허

9개 국가에서
특허 24건 등록

- 미국, 유럽, 중국, 호주, 한국, 일본, 싱가포르, 홍콩, 인도 등록 완료

유전자가위 항상 특허

70건 출원 및 등록
(37건 / 33건)

- 소형 Cas9
- 특이성 향상 가이드 RNA
- 특이성 향상 Cas9
- CRISPR 효소 전달기술
- 가이드 RNA 대량 검증

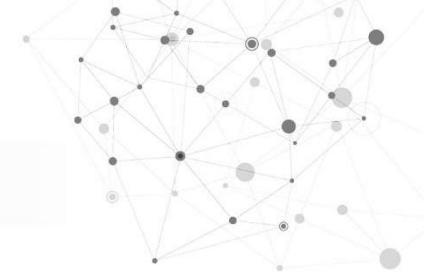
유전자가위 응용/제품 특허

치료제 적용 특허
136건 출원 및 등록
(111건 / 25건)

그린바이오 적용 특허
23건 출원 및 등록
(18건 / 5건)



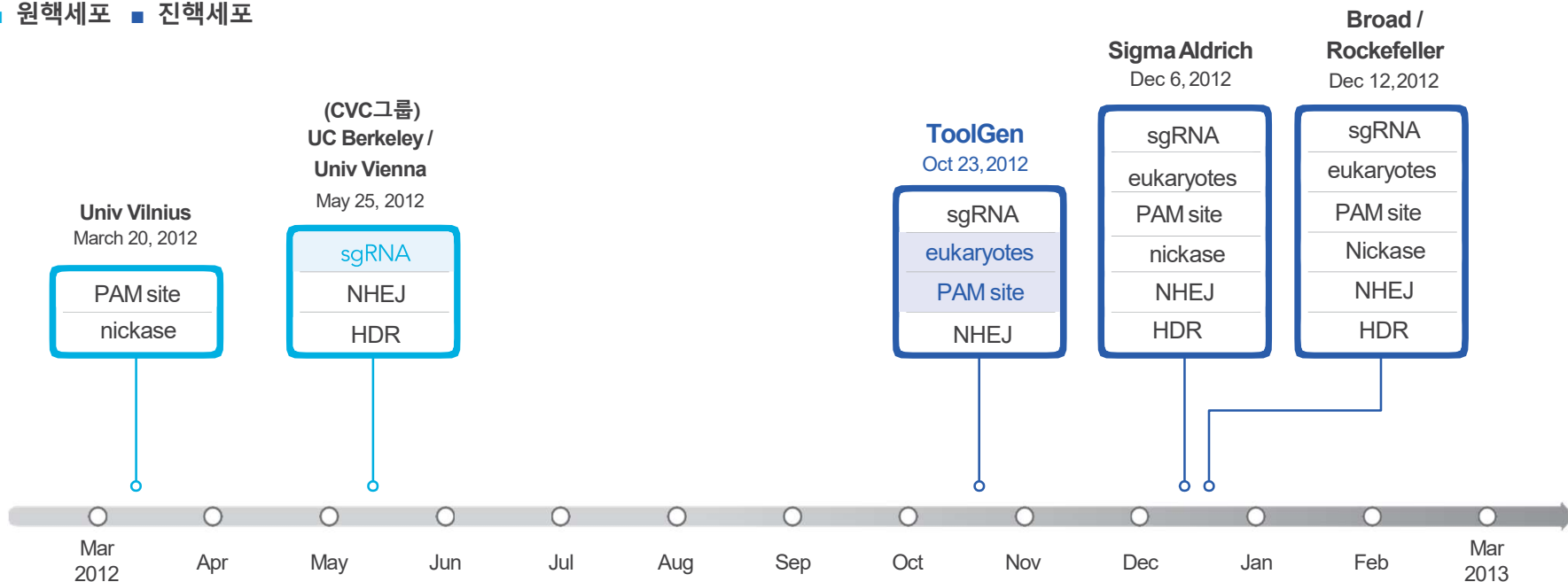
2. Patent Landscape of CRISPR Gene Editing Technology



진핵세포의 유전자교정에 CRISPR 시스템을 사용한 세계 최초의 특허

Journal of Biotechnology 265 (2018) 86-92

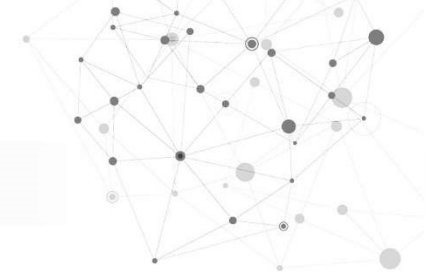
■ 원핵세포 ■ 진핵세포



- PAM(protospacer adjacent motif) site : CRISPR 시스템에서 핵산가수분해효소가 타겟 DNA를 인지하도록 도와주는 서열
- Nickase : DNA의 double strand 중 한가닥을 자르는 핵산분해효소
- SgRNA : PAM서열을 가지는 특정 DNA에 특이적으로 결합하여 핵산분해효소가 인지하고 자를 수 있도록 하는 RNA
- 모든 세포에는 유전자의 손상을 효과적으로 복구하는 두가지 수선체계가 존재 -NHEJ(Non-homologous end joining; 비상동재조합)과 HDR(Homology-directed repair; 상동재조합)



3. CRISPR 특허전략



주요 9개 국가에서 원천특허 등록 → 특허수익화사업의 가시권 진입
세계에서 유일하게 CRISPR 유전자가위 특허의 권리를 보유하고 사업을 전개하는 기업

IP strategy.

IP ownership

특허수익화사업 및 유전자가위 원천기술 IP 확장

IP portfolio 확장

치료제 (Therapeutics), 동식물 분야(GreenBio) 등



CRISPR/Cas9 원천기술 관련 특허 현황

- PCT/KR2013/009488



※2020년 12월, USPTO(미국특허청)은 CRISPR/Cas9 특허에 대해 저촉심사(Interference) 개시 선언

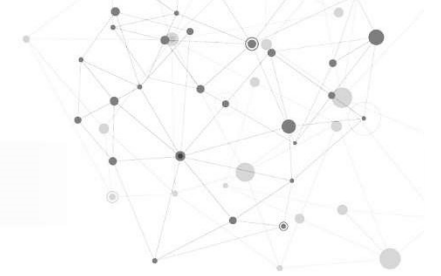
- Interference 1: ToolGen (Senior Party) vs CVC (junior Party)
- Interference 2: ToolGen (Senior Party) vs Broad Institute (junior Party)

* CVC : University of California-Berkeley, University of Vienna, Emmanuelle Charpentier

* Broad Institute : MIT and Harvard



3. CRISPR 특허전략 - 미국 저촉심사(Interference)



No	저촉심사(Interference) 대상 그룹	출원일	저촉심사(Interference) 지위	현재상황
Interference 1 (2019)	Broad Institute	2012년 12월	Senior Party	'priority phase 종료 → Broad 승' → appeal 중(CAFC)
	CVC그룹	2013년 01월	junior Party	
Interference 2 (2020)	ToolGen	2012년 10월	Senior Party	'motion phase 종료 → 툴젠 승'
	CVC그룹	2013년 01월	junior Party	
Interference 3 (2020)	ToolGen	2012년 10월	Senior Party	'motion phase 종료 → 툴젠 승'
	Broad Institute	2012년 12월	junior Party	

* CVC : University of California-Berkeley, University of Vienna, Emmanuelle Charpentier / ** Broad Institute : MIT and Harvard

🕒 저촉심사(Interference)를 진행하며 특허심판원(PTAB)은 각 발명자에게 'Senior party'와 'Junior party'라는 지위 부여.

🕒 'Junior party'는 특허심판원(PTAB)에게 자신의 발명일이 'senior party'보다 이르다는 것을 증명할 책임이 있음.

→ Senior party(선출원자): 객관적인 발명일(출원일)이 앞서 있는 발명자에게 부여 (쥬툴젠), 툴젠은 상대방보다 유리하게 저촉심사 진행 중

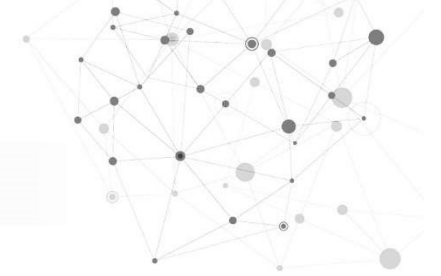
***선출원자 - 특허청에 발명 관련 서류를 가장 먼저 접수한 발명자

→ Junior party: 발명일(출원일)이 'Senior party'보다 늦은 발명자에게 부여 (CVC그룹, Broad Institute)

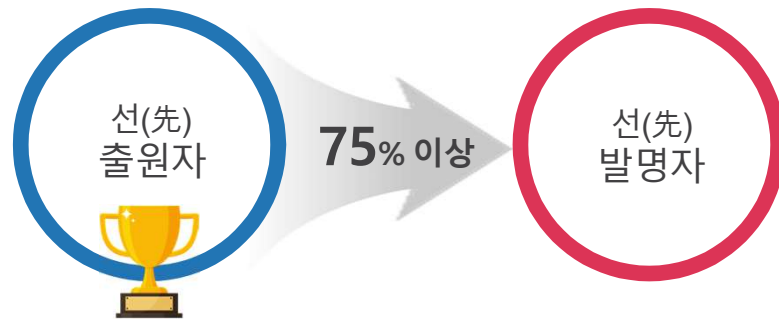
🕒 미국 특허청 통계에 따르면, 저촉심사에서 'Senior Party'(선출원자=쥬툴젠)가 선발명자로 인정될 확률이 **75% 이상**으로 높음.



4. 특허 및 영업비밀 분쟁 사례



저촉심사에서 선출원자가 높은 비율로 선발명자로 인정
저촉심사에서 **유리한 법적 위치 선점**



선 출원주의 전환
근거 타당성

실제 과거 저촉심사에서
대부분 선 출원자가
선발명자로 인정받아
선출원주의로 전환

미국 특허청 통계

75% 이상
선출원자가
선발명자로 인정

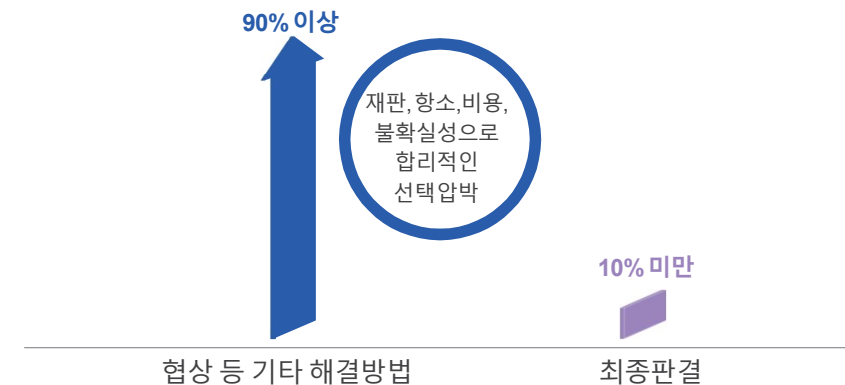
[출처]미국 특허개정법의 전개와 전망 (최승재, 변호사/변리사) Intellectual Property Litigation Risk Report, (Willis Towers Watson에서 발행, 2018년) 2019 Guide to patent litigation in federal court, (Fish & Richardson (로펌)에서 발행, 2019년)

협상을 통한 특허관련 분쟁 해결 (최종판결 10% 미만)

영업비밀 관련 분쟁 대표 Case

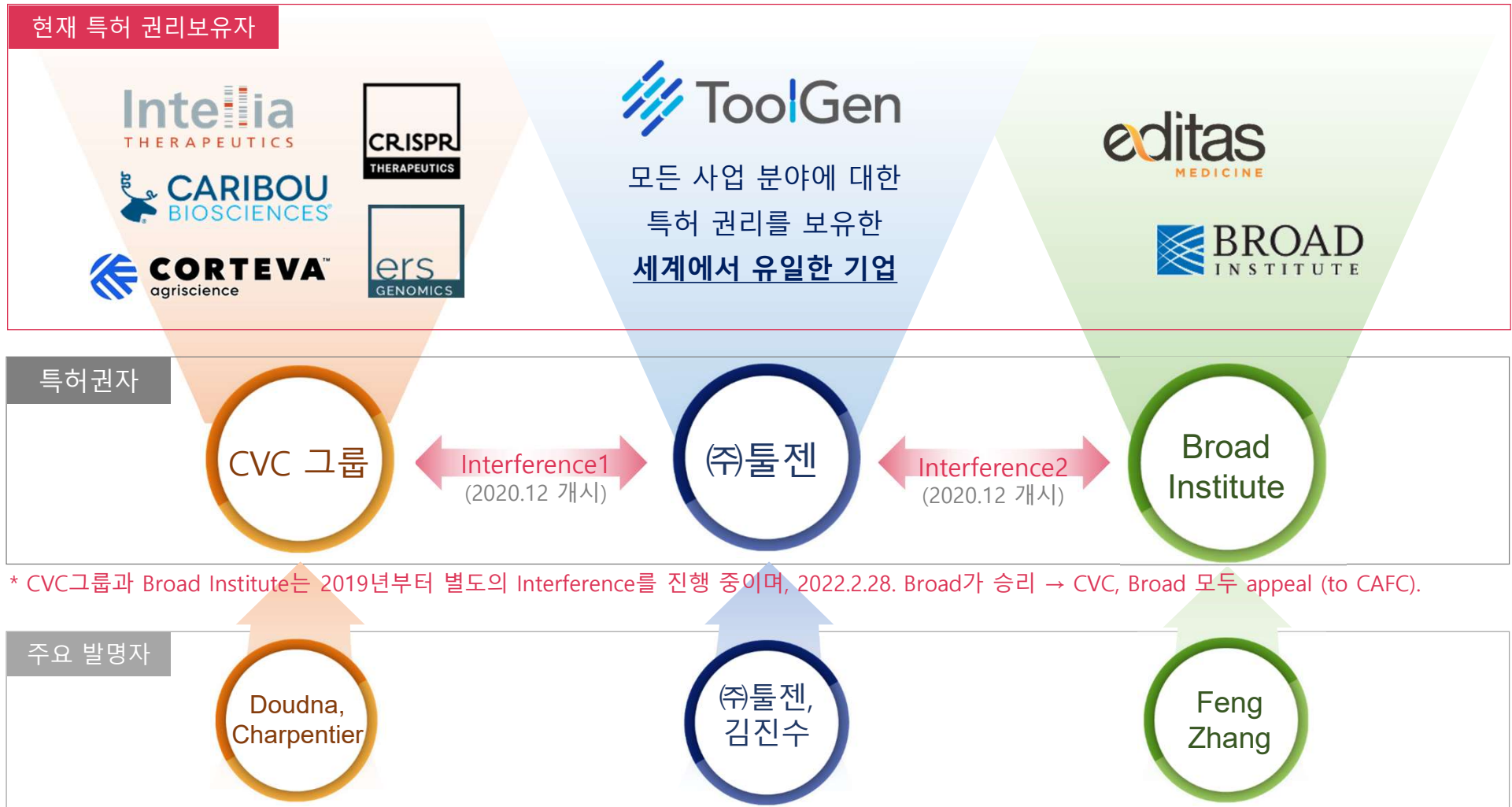
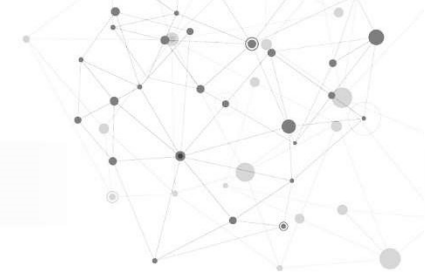
Date	Case	Amount
2018	Waymo v. Uber	\$245M (.34% stake in Uber)
2017	Tesla Motors v. Anderson et al	\$100k + ongoing audit expenses
2015	DuPont Co. v. Kolon Industries	\$275M + ongoing payments
2011	Starwood Hotels v. Hilton Hotels	\$75M + Permanent injunction + independent monitors

특허관련 분쟁 해결 케이스 비율



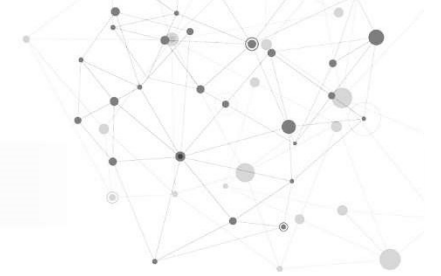


5. 글로벌 CRISPR 특허 권리 현황





5. 글로벌 CRISPR 특허 권리 현황(세부)

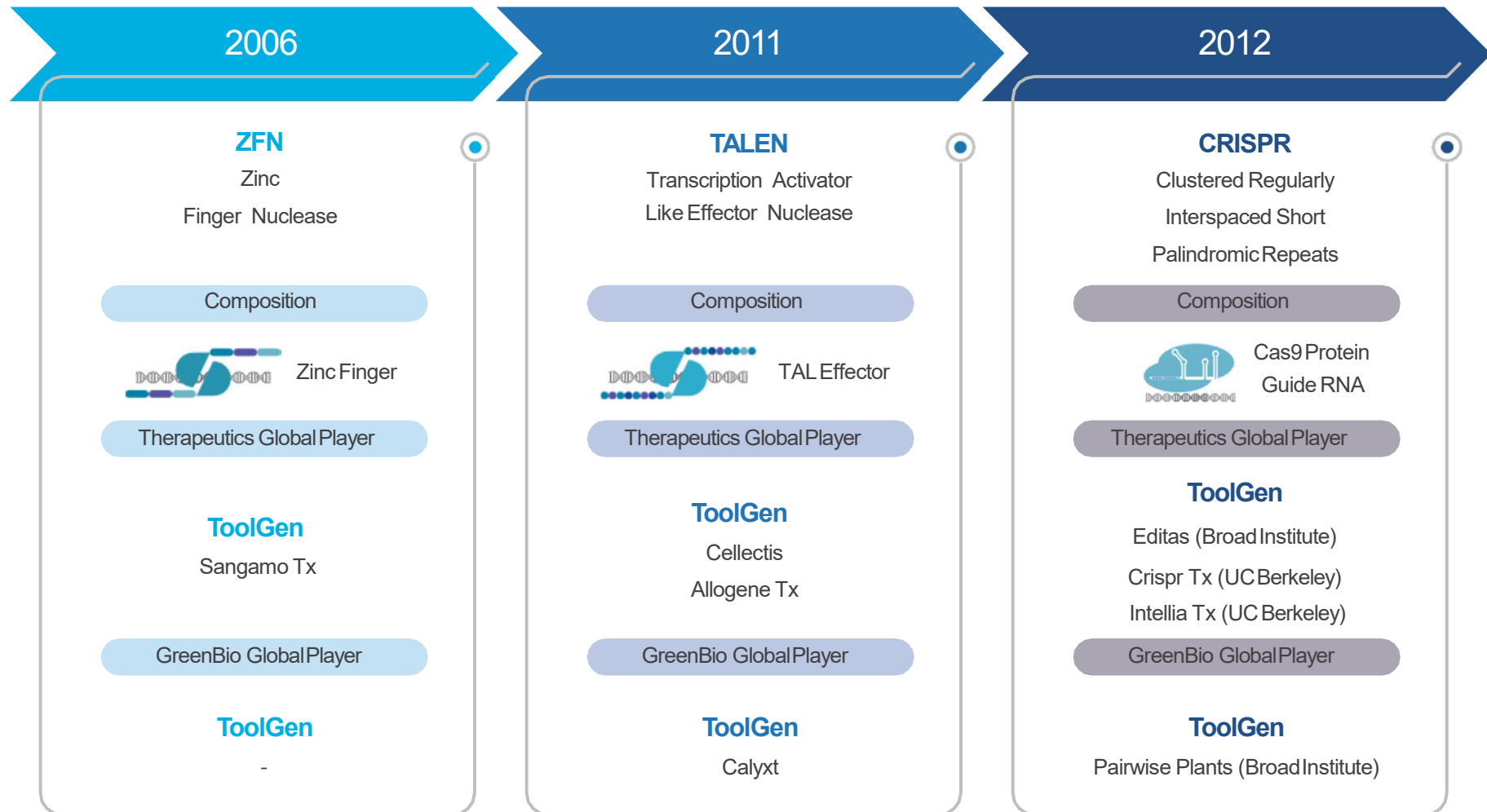
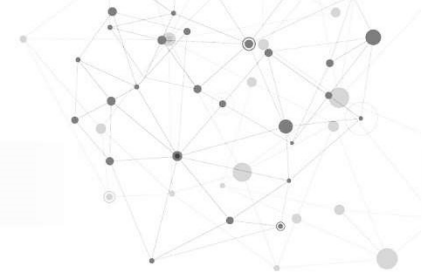


* 하기 '권리 현황'의 '○'는 CRISPR 특허 권리를 모두 보유하고 있는 그룹이며, '△'는 일부 제한적으로 보유하고 있는 그룹

기업명	권리현황	사업모델
ToolGen (한국 기업)	○	* 치료제, 종자, 동물, 화학 등 모든 사업 분야에 대한 특허 권리를 보유한 세계에 서 유일한 기업 (SIGNIFICANT UPSIDE POTENTIAL) → 특허를 발명한 기업. 사업 분야에 대한 전용실시권(Exclusive License)이 L/O된 바 없음.
CVC 그룹 (미국, 유럽 소속 그룹)	△	* 사업화 주체 아님 → 특허를 발명한 대학 연구기관.
Broad Institute (미국 발명자 소속 그룹)	△	* 사업화 주체 아님 → 특허를 발명한 대학 연구기관.
Caribou Biosciences (NASDAQ 상장 기업)	△	* 인간 치료제, 종자 권리 없음 (해당 분야 License-out) → 특허 수익화 사업 기업. CVC 그룹의 미국 특허 권리를 License-in 한 플랫폼 기업
ERS Genomics (아일랜드 기업)	△	* 인간 치료제, 종자 권리 없음 (해당 분야 License-out) → 특허 수익화 사업 기업. CVC 그룹의 유럽 특허 권리를 License-in 한 플랫폼 기업
Editas Medicine (NASDAQ 상장 기업)	△	* 인간 치료제에 대한 권리보유 → Broad IP를 L/I - 인간 치료제에 대한 전용실시권(Exclusive License)
CRISPR Therapeutics (NASDAQ 상장 기업)	△	* 인간 치료제에 대한 권리보유 → CVC IP를 L/I - 인간 치료제에 대한 전용실시권(Exclusive License)
Intellia Therapeutics (NASDAQ 상장 기업)	△	* 인간 치료제에 대한 권리보유 → CVC IP를 L/I - 인간 치료제에 대한 전용실시권(Exclusive License)
Corteva Agriscience (NYSE 상장 기업)	△	* 종자에 대한 권리보유 → Caribou로 부터 L/I -종자에 대한 전용실시권(Exclusive License) → Broad IP를 L/I -종자에 대한 통상실시권(Non-Exclusive License)

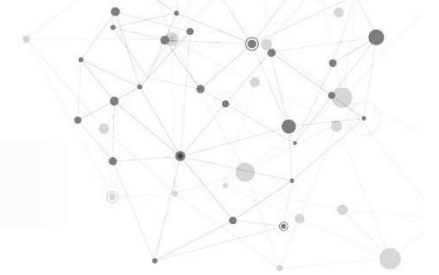


6. Global Player





6. Global Player



CRISPR THERAPEUTICS



- NASDAQ (CRSP)
- Market Cap: \$3.98B

Lead program

※ *EX VIVO Therapeutics*

- CTX001 (겸상 적혈구 질환, β -지중해성 빈혈)
 - Vertex와 공동개발, Phase 2/3 진행 중
 - 생명의약품 허가신청서 美 FDA에 제출 예정
- CTX110 (CD19 CAR-T) - Phase 1 진행 중
 - 2021.10 Phase1 긍정적인 안전성, 효능 결과
- CTX130 (CD70 CAR-T) - Phase 1 진행 중
 - 2022.06 Phase1 긍정적인 결과 발표

Intellia THERAPEUTICS



- NASDAQ (NTLA)
- Market Cap: \$ 3.52B

Lead program

※ *IN VIVO Therapeutics*

- NTLA-2001 (트랜스시레틴 유전성 아밀로이드증)
 - Regeneron과 공동개발, Phase 1 진행 중
 - 2022.06 긍정적인 중간 임상결과 발표
- ※ *EX VIVO Therapeutics*
- OTQ923 / HIX763 (겸상 적혈구 질환)
 - Novartis와 공동개발, Phase 2 진행 중
 - 2025.08 완료 예정

ditas MEDICIN



- NASDAQ (EDIT)
- Market Cap: \$0.7B

Lead program

※ *IN VIVO Therapeutics*

- EDIT-101 (레베르 선천성 흑암시)
 - Phase 1/2 진행 중
 - 2021.09 Phase1/2 preliminary results 발표
- ※ *EX VIVO Therapeutics*
- EDIT-301 (겸상 적혈구 질환, β -지중해성 빈혈)
 - 2022.07 Phase1/2 재개 (Cas12 활용)

*Market Cap (2023년 2월 기준)



01 Corporate Identity

02 Chapter 01 Technology&Competitiveness

03 Chapter 02 **Business area** 1.Platform 2.Therapeutics 3.GreenBio

04 **Appendix** 1.Company profile 2.Infrastructure 3.Financial statement

1. 사업 전략

1

특허수익화 사업 GE플랫폼 특허 자체 라이선싱

- 기술이전(L/O) 18건 기체결
 - Monsanto, Thermo Fisher, KeyGene 등 기술이전
- 다양한 기술이전(L/O) 후보자
 - CVC, Broad Institute
 - GE플랫폼 기술 이용 기업

유전자교정 (GE) 플랫폼 기술



- ▶ 원천 특허 → 주요 9개국 24건 등록, 25건 출원
- ▶ 응용 특허 → 63건 등록, 166건 출원

2

중점 R&D 분야 수익화 사업

(GE 플랫폼 특허 + 톨젠 개발 파이프라인 제품 기술 라이선싱)

- R&D를 통한 제품별 가치 향상
- 플랫폼 기술 기반 다양한 사업화 모델
(라이선싱, 공동연구개발, JV 등)
- 사업개발 및 공동R&D 네트워크를 통해 선제
적으로 사업화 파트너 후보와 연결

GE 치료제



- CMT1A
- LBP
- 차세대 CAR-T 기술이전
(1,500억 규모, CARTherics)

GE 종자



- 고올레산 콩 개발완료
- 중아시아 재배 중
- 기능성 감자, 옥수수 개발 등

GE 동물



- 이종장기 이식
- 옵티팜 기술이전 계약 체결
- 제넨바이오 공동업무협약 체결
- 근육강화 돼지
- 중국에서 사육 중

2. CRISPR/Cas9 : 효율적이고 정확한 유전자교정 도구

CRISPR/Cas9 주요 구성요소

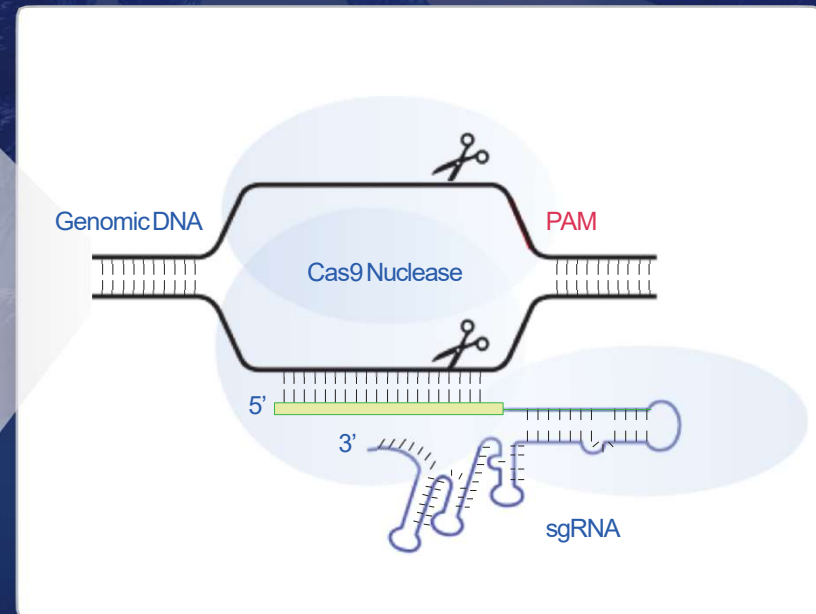
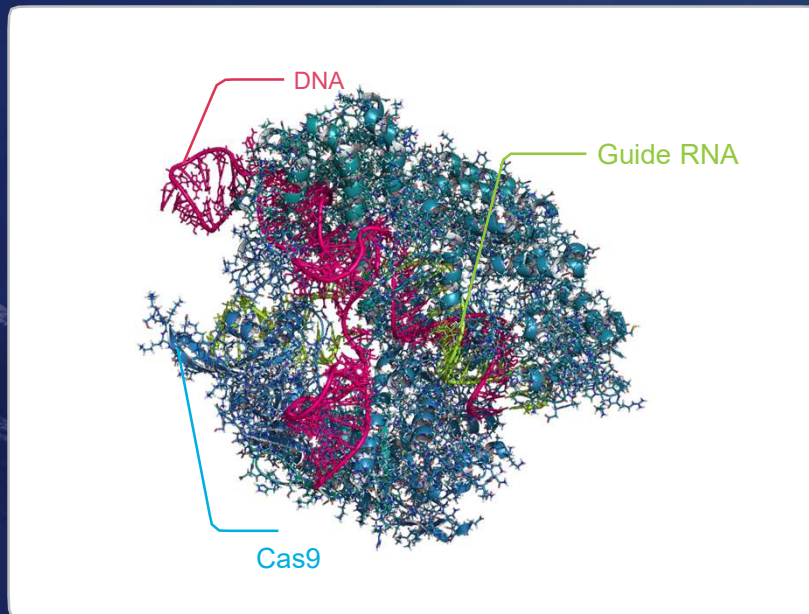
Cas9

. 유전자를 자르는 역할을 하는 효소/단백질

+

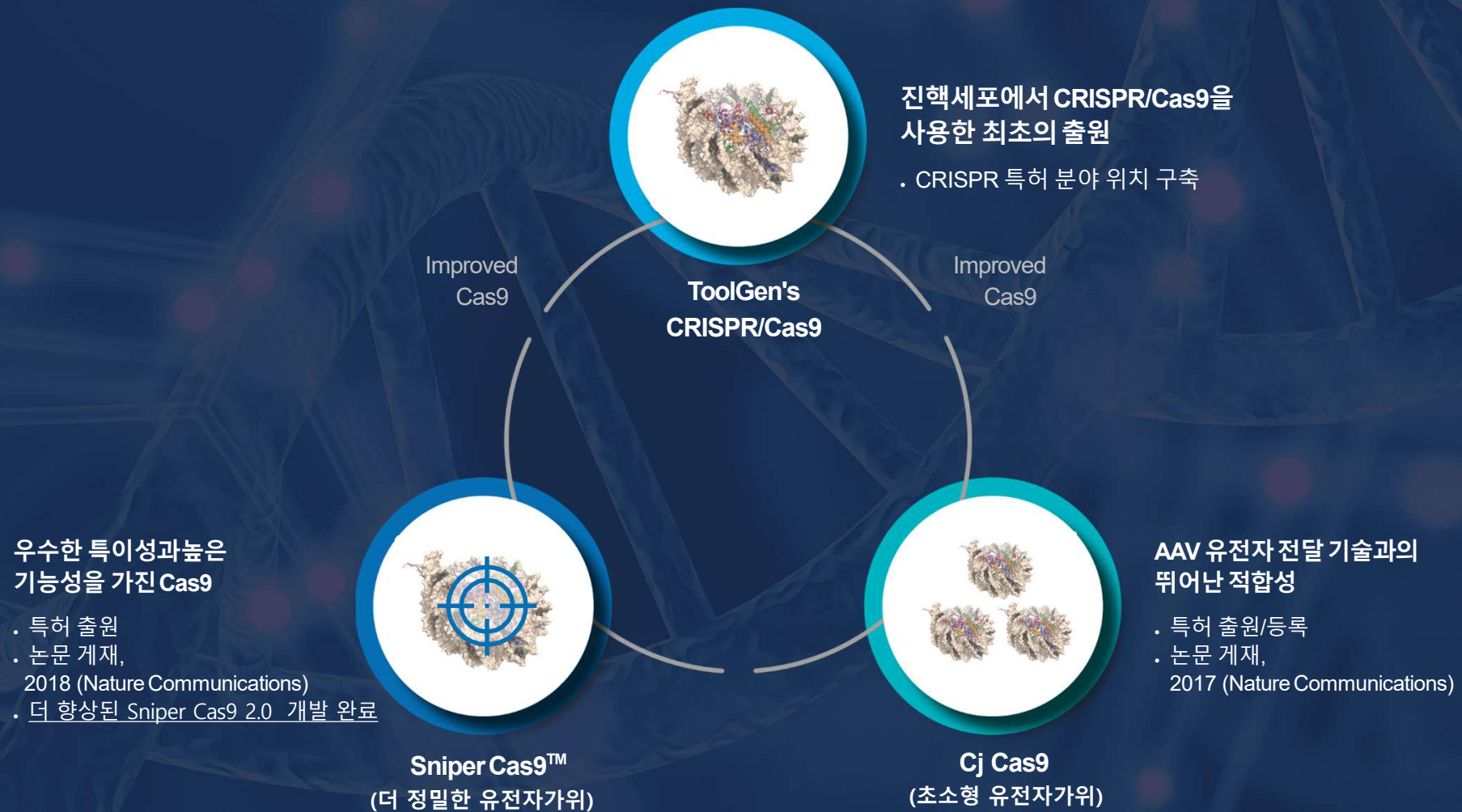
Guide RNA(sgRNA)

. 특정 유전 서열 자리로 이끄는 RNA



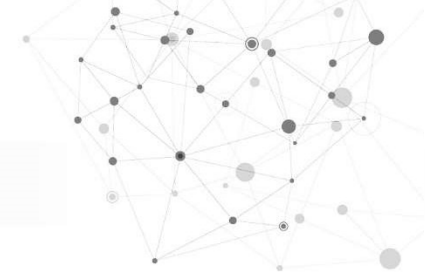
* <https://www.twistbioscience.com/50-percent-you/>

3. Platform – 차세대 CRISPR 유전자가위 기술





4. Opportunity – Therapeutics Business Model

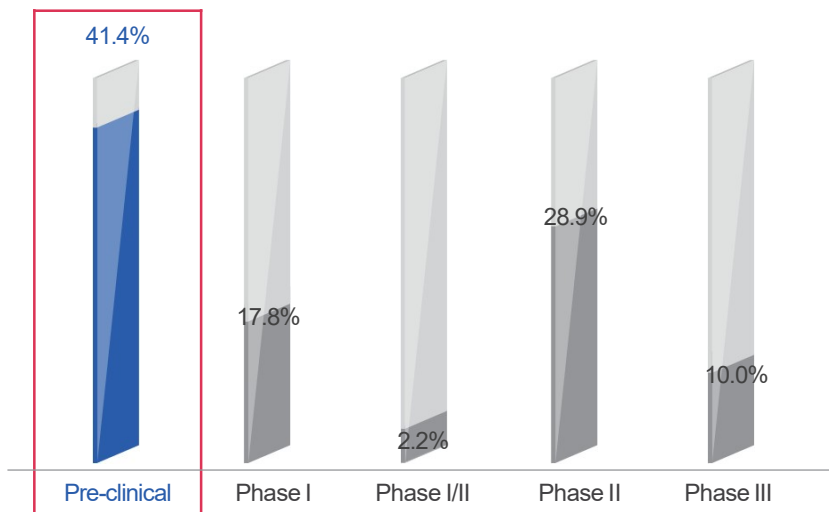


유전자교정 Platform 강화 + 혁신적인 치료제 Program

➤ 글로벌 치료제 개발 기업



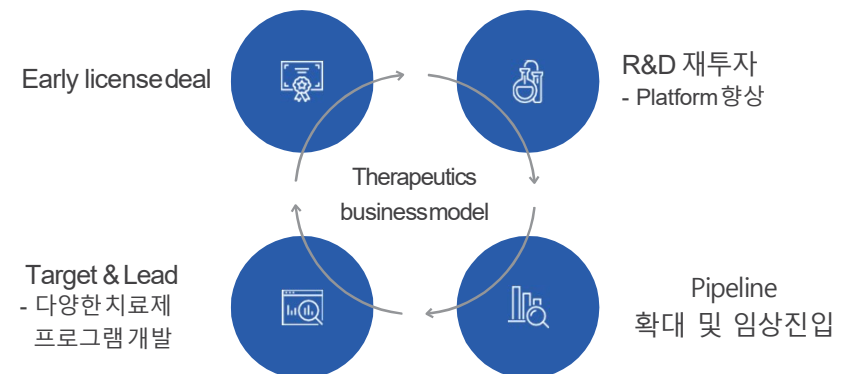
Pre-clinical 단계에서 기술이전(L/O) 가장 활발
임상 단계별 기술이전 (L/O) 현황



Source : Life Science Nation

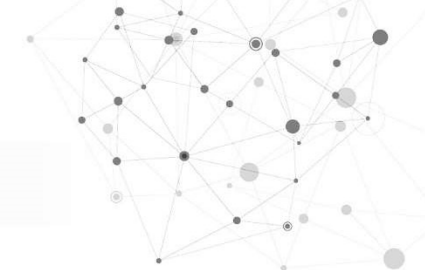
Business model – Virtuous circle (선순환 구조)
조기 기술이전(L/O) → 수익 안정성 확보

- 신약 개발 기회비용 최소화(▼)
- 동물과 인간 POC를 통해 연구 파이프라인 가치 최대화
- 임상개발과 상업화를 위한 Partnership & Collaboration

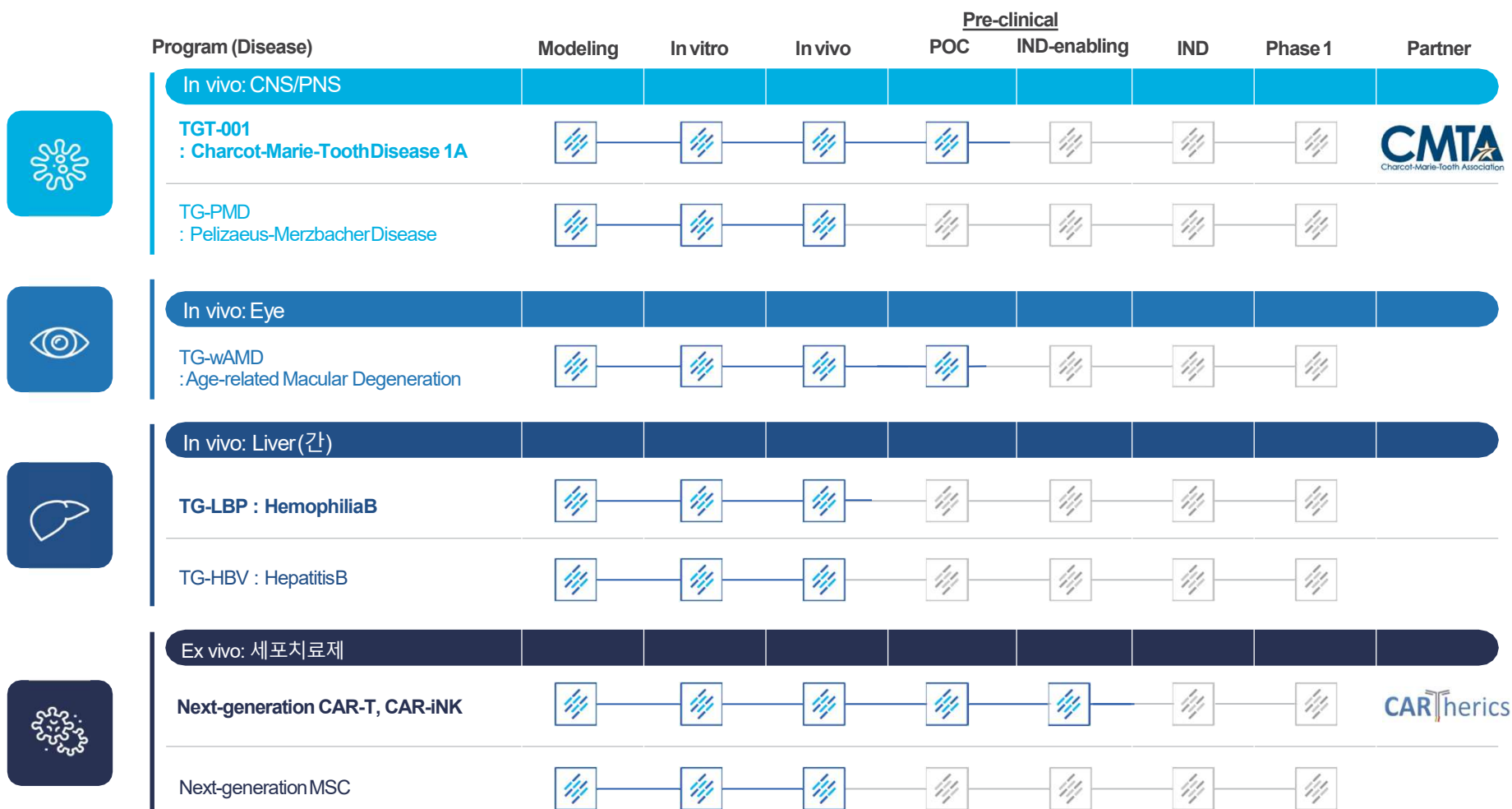




5. Therapeutics - Main Program

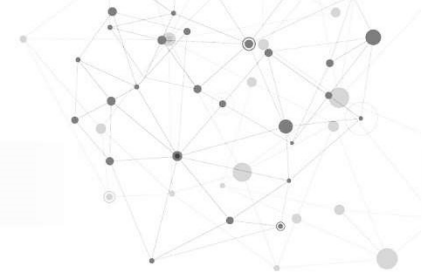


Neuro(CMT1A), Ocular (wet AMD), Next-generation CAR-T, CAR-iNK



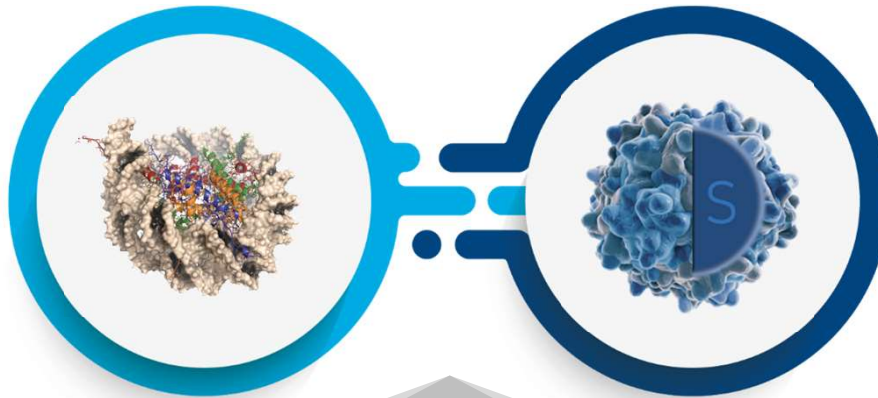


5. Therapeutics - *IN VIVO* : AAV Vector 를 이용한 유전자교정



임상적으로 구현 가능한 유전자 전달 기술 접목

ToolGen's
CRISPR/Cas9



AAV
(Adeno-associated Virus)

- AAV를 활용하여 목표 기관에 전달
- 단백질 약물을 통한 질병 치료를 넘어서서 한번의 치료로 반영구적인 치료 효과

신경(Neuro) Program

- Charcot-Marie-Tooth (샤르코-마리-투스)
- Huntington (헌팅턴)



간(Liver) Program

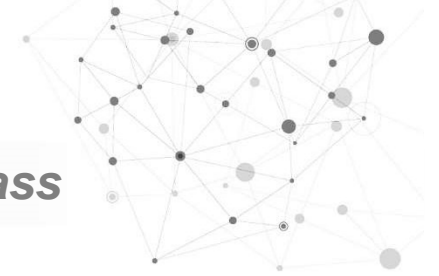
- Hemophilia B (혈우병 B)
- Lysosomal Storage disease (리소좀 축적질환)



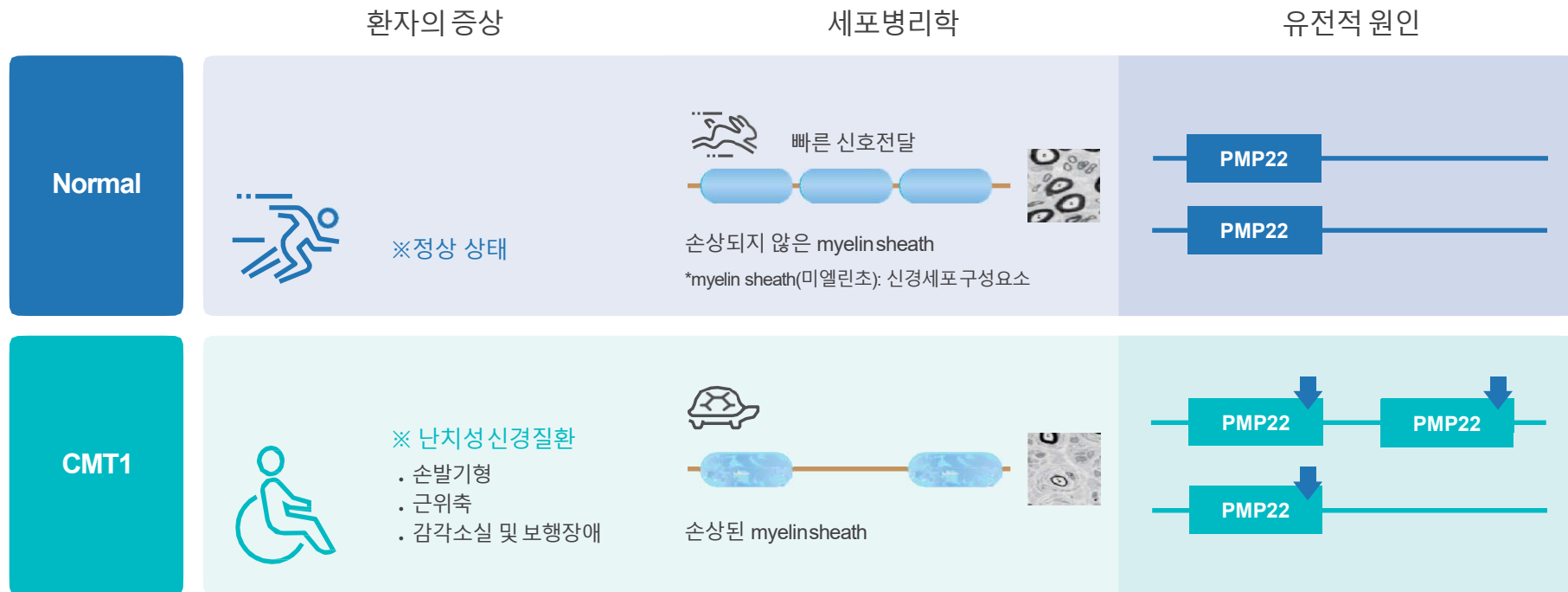
눈(Eye) Program

- Wet AMD (습성 황반변성)
- Diabetic Retinopathy (당뇨성 망막병증)



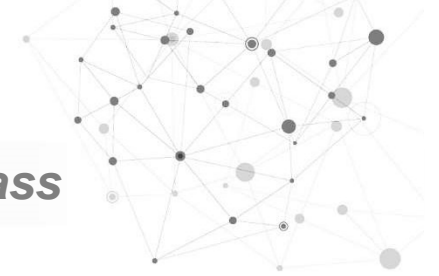


치료제가 없는 유전성 신경병증에 대한 최초의 근원적 치료제



- CMT1A는 가장 흔한 유전성 신경질환 (1:2500) / 150만명의 CMT1A 환자
- First-in-class potential, 신개념 치료전략의 유효성 확인 (2020, Nucleic Acid Res 논문 게재)
- 미국 최대의 CMT 환우회 (CMT Association)과 KOL, 임상준비/진행 관련 협력 체계 구축

*CMT : Charcot-Marie-Tooth



IND-enabling 진행 중

비임상 연구 CMTA 파트너십, CRO/CMO Network 확립
제약/바이오텍 회사와 파트너링 진행 중

🔍 치료 전략 검증

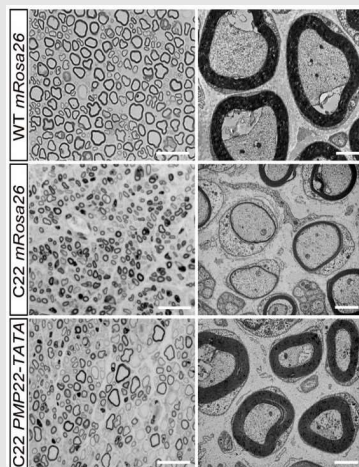
- 유전자교정 기반 PMP22 발현 조절 전략 확립
- CMT1A 동물 모델에서 치료 효능 확인

🔍 치료제 개발

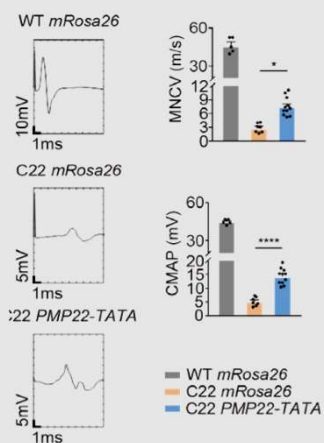
- AAV 벡터 전달 치료 효능 검증
- CRISPR/Cas9 특이성 검증
- 환자유래 세포에서 치료 효능 검증



Myelination



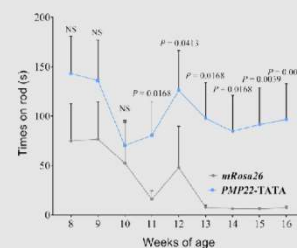
Nerve Conduction



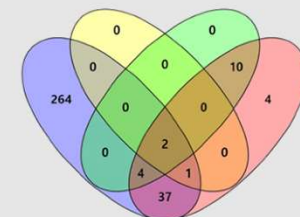
근육양 평가



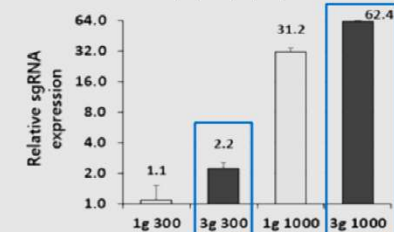
로타로드 시험

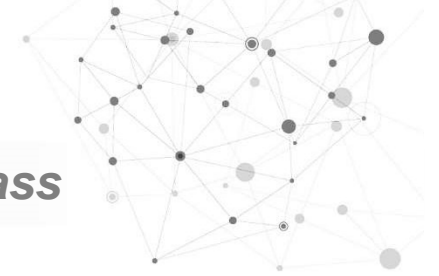


유전자가위 안전성 검증



벡터 최적화

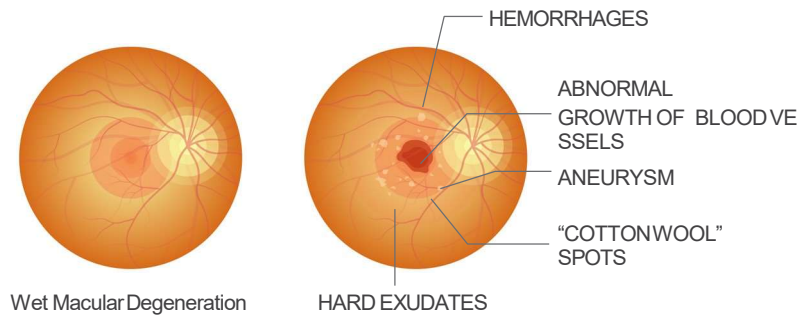




대표적 난치성 안구질환에 대한 장기 지속형 치료제 개발

눈(Eye) Program

- ▶ 8.6 billion USD / AMD therapy market (2020)
- ▶ anti-VEGF is currently used as standard-of-care (every 4~8weeks)



WetAMD

- 성인 실명의 주요 원인
- >1.2M wet AMD 환자(미국)
- ~200,000 new cases/year(미국)

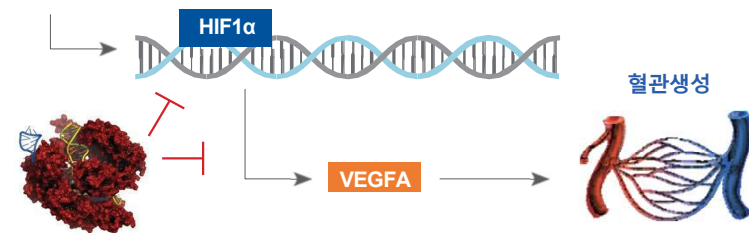
Diabetic Retinopathy

- 당뇨병 환자수 빠르게 증가 중
- >7M DR 환자(미국)

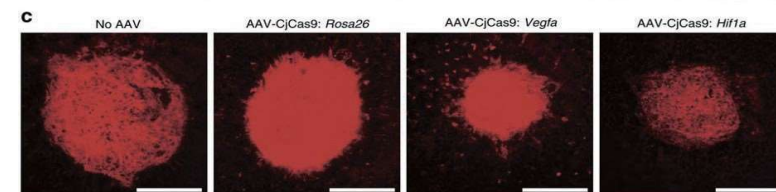
VEGF1 또는 HIF1 α 을 장기적으로 저해하는 유전자교정 치료제 개발

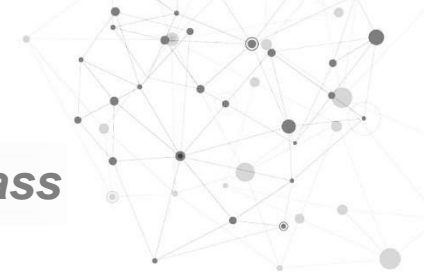
- ▶ 검증된 치료 표적 + 장기 관찰에서 기능/구조적 이상 無
- ▶ 임상 적용 투여경로인 망막하 투여(subretinal injection)을 통해 RPE 세포 효율적 유전자교정 검증 완료
- ▶ 질병 모델 연구 진행 중

저산소 환경



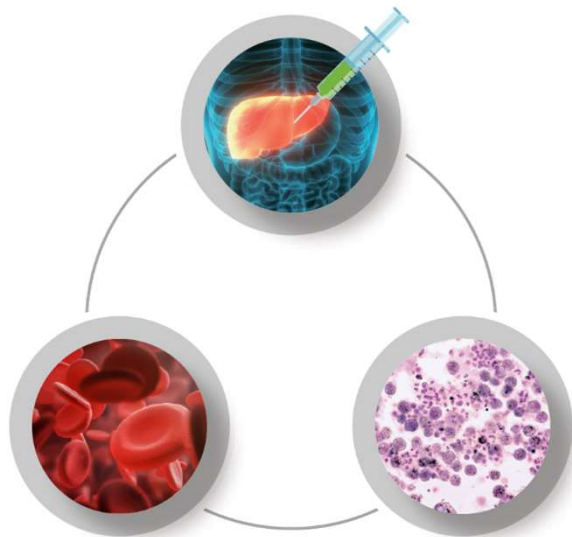
동물 모델에서 망막 혈관생성 저해





“단백질/효소 치료제”를 대체하는 완치형 유전자교정 치료제

단백질/효소 대체 치료제 시장



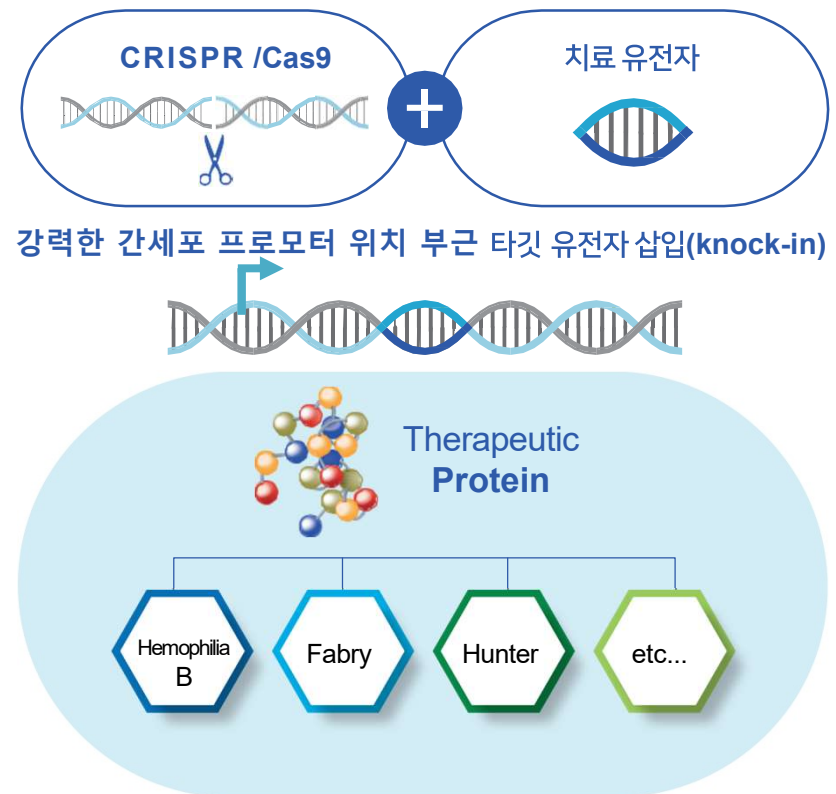
Hemophilia B (혈우병B)

- 전세계 환자 : 287,000
- 시장 : > 18억 달러

Lysosomal Storage Disease (리소좀 축적질환)

- 전 세계 환자 : 30,000 ~ 50,000
- 시장 : > 40억 달러

확장 가능한 플랫폼 (LBP, Liver Biofactory Platform)



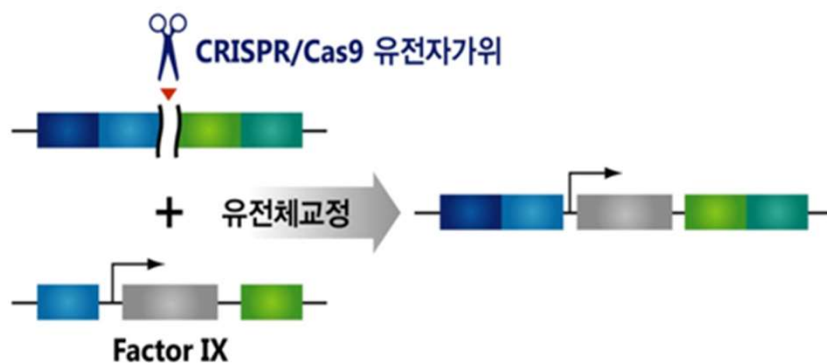
▶ 관련 연구성과 Molecular Therapy Nucleic Acids 논문 게재 (2022.08.)

6. Therapeutics - *IN VIVO* : TG-LBP (혈우병)*Best in Class*

B형 혈우병 타겟 최적화

파이프라인 확장 진행 중
제약/바이오텍 회사와 파트너링 진행 중

플랫폼 컨셉

**Liver safe harbor**

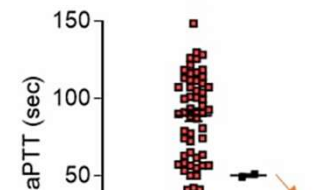
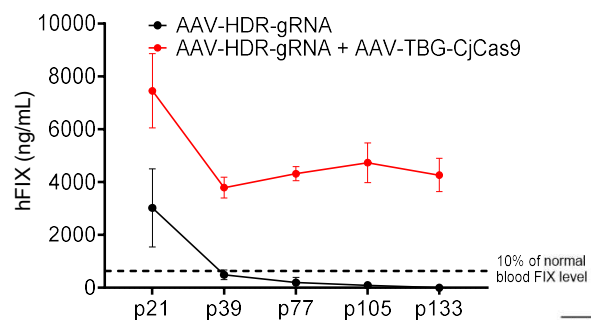
Secreted/surface proteins

Highly expressed locus (e.g. >100x F9)

Severe
(<1%)0.01~0.05%
유전자 도입Moderate
(1%~5%)

B형 혈우병 모델에서의 치료효능 검증

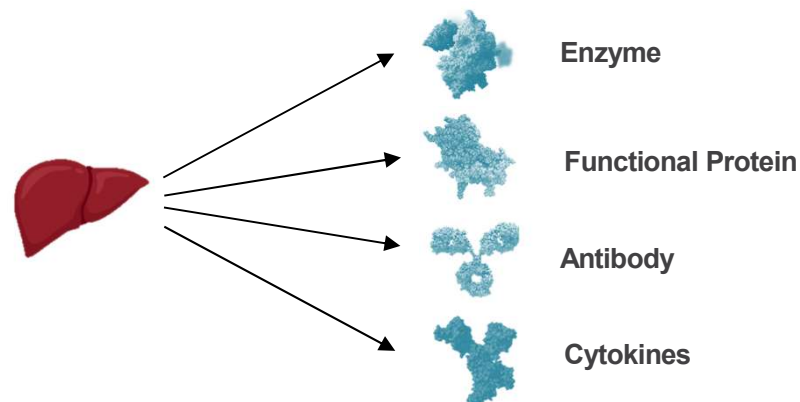
혈중 FIX 수치



Genotype	WT	KO	KO	KO
AAV-HDR-gRNA	-	-	+	+
AAV-TBG-CjCas9	-	-	-	+

B형 혈우병 모델 정상화

확장 가능한 플랫폼 (LBP, Liver Biofactory Platform)

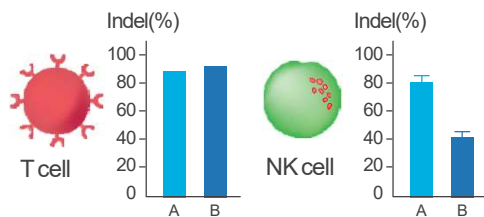


6. Therapeutics - *EX VIVO* : 세포 치료제

확립된 세포 치료제 + 유전자교정 ➤ 혁신적 차세대 치료제

면역세포(Immune Cells)

- 암, 자가면역 질환



유전자가위 적응 CAR-T

유전자교정을 통해 CAR-T 효능 향상

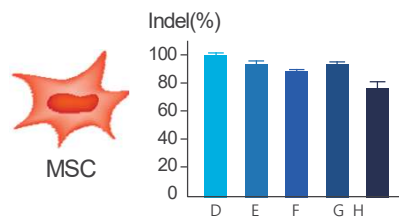
- 생산비용 절감 (Allogeneic)
- 치료 효과 향상
- 치료가능한 암 범위 확대

Strategic partnership & Collaboration



줄기세포 (중간엽줄기세포, 유도만능줄기세포 등)

- 염증질환, 재생의료 등

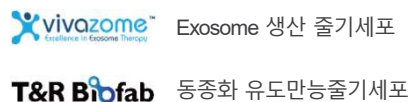


기능성 강화 줄기세포

유전자교정을 통한 줄기세포 기능성 강화

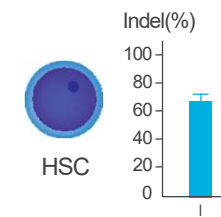
- 체내 잔존성, 스트레스 저항성 등 기능성 강화
중간엽줄기세포 플랫폼 개발
- 동종화 기술 적용 유도만능줄기세포 개발

Strategic partnership & Collaboration



조혈모세포

- 희귀유전질환 (유전성 빈혈, 면역결핍 등)



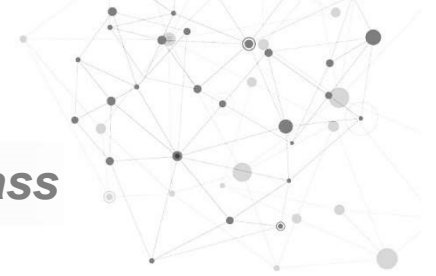
개발 영역 확대를 위한 R&D 지속

추가적인 세포치료제 개발을 위한 연구개발

- 세포치료제 파이프라인 확대



➤ 돌연변이 교정 ➤ 돌연변이 제거



Next-generation CAR-T



▶ 항암 치료 효능 및 지속성 확인

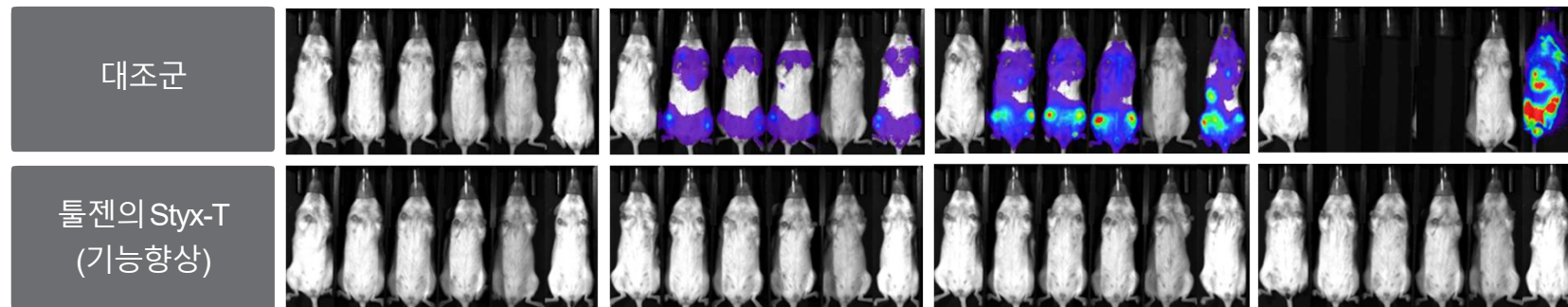
- 기존 CAR-T 치료제 대비 월등한 암세포 사멸효과
- 대표적인 면역관문억제제와 병용투여시 시너지 가능성
- Cancer research 논문 게재 (2018)
- 특허 등록 : 한국, 호주 / 특허 출원 : 미국, 유럽, 중국 등 8개국 출원



치료 효능 및 지속성 증가 확인

CAR-T 이식 4주 후 완치된 쥐에 암세포 재이식

* CD19-BBzCAR-T

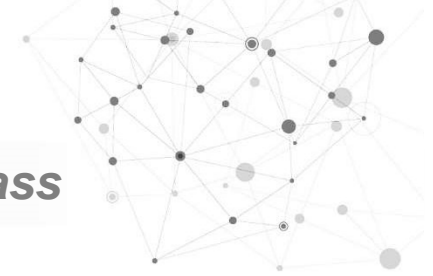


[그림 설명] CD19-CAR-T(대조군=유전자교정 미적용, 기능성 향상=유전자교정 적용)를 암이 이식된 동물 모델에 주입하여 1차 완치 후, 다시 암을 주입하였을 때 나타나는 치료 효능 및 지속성 시험. 대조군 (기존 CAR-T)은 재 주입된 암에 대해 제한적인 암 억제 후 암의 증식이 관찰되지만 유전자교정 적용 기능성 향상 CAR-T는 효율적으로 재주입된 암을 제어 함.

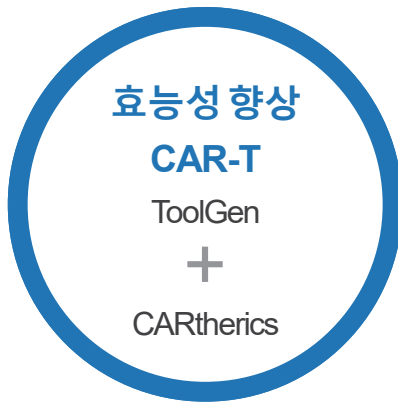


6. Therapeutics - EX VIVO : Next-generation CAR-T

First in Class

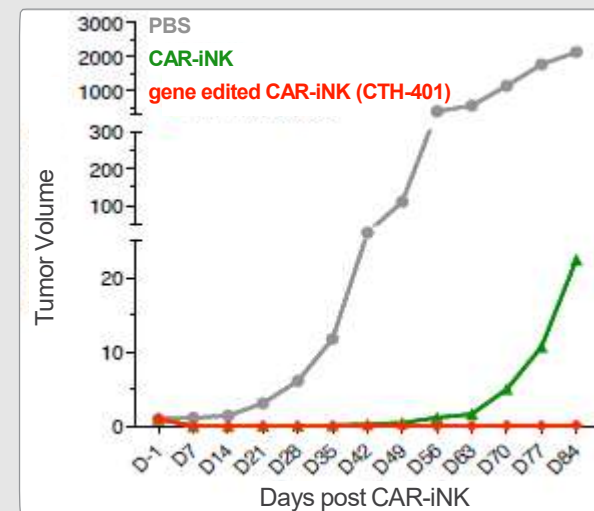
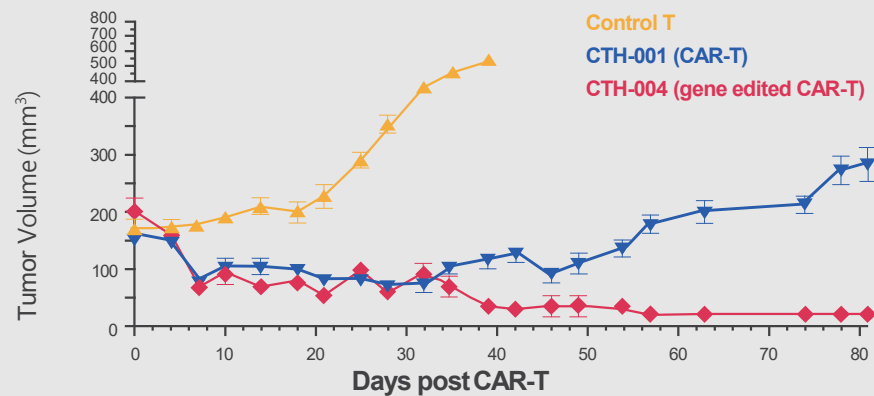


Next-generation CAR-T, CAR-iNK



- ▶ CARtherics 와 2019년 부터 공동연구개발 2021년 1,500억 규모 기술 이전
- 차세대 CAR-T 치료제의 항암치료 효능 및 지속성 증가 확인
- 현재 호주에서 전임상 진행 중, 고형암 대상 임상 1상(2023년) 예정
- CAR-T 외에 iPSC-CAR-NK 등의 분야로 확장 기대
- 타 면역세포치료제 개발 회사와 공동개발 및 파트너링 진행 중

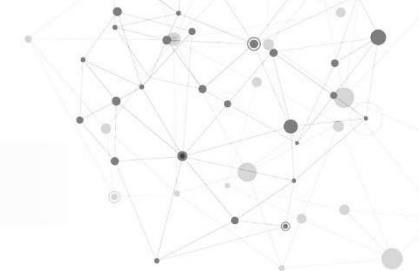
난소암 동물 모델에서 치료 효능/지속성 향상 확인



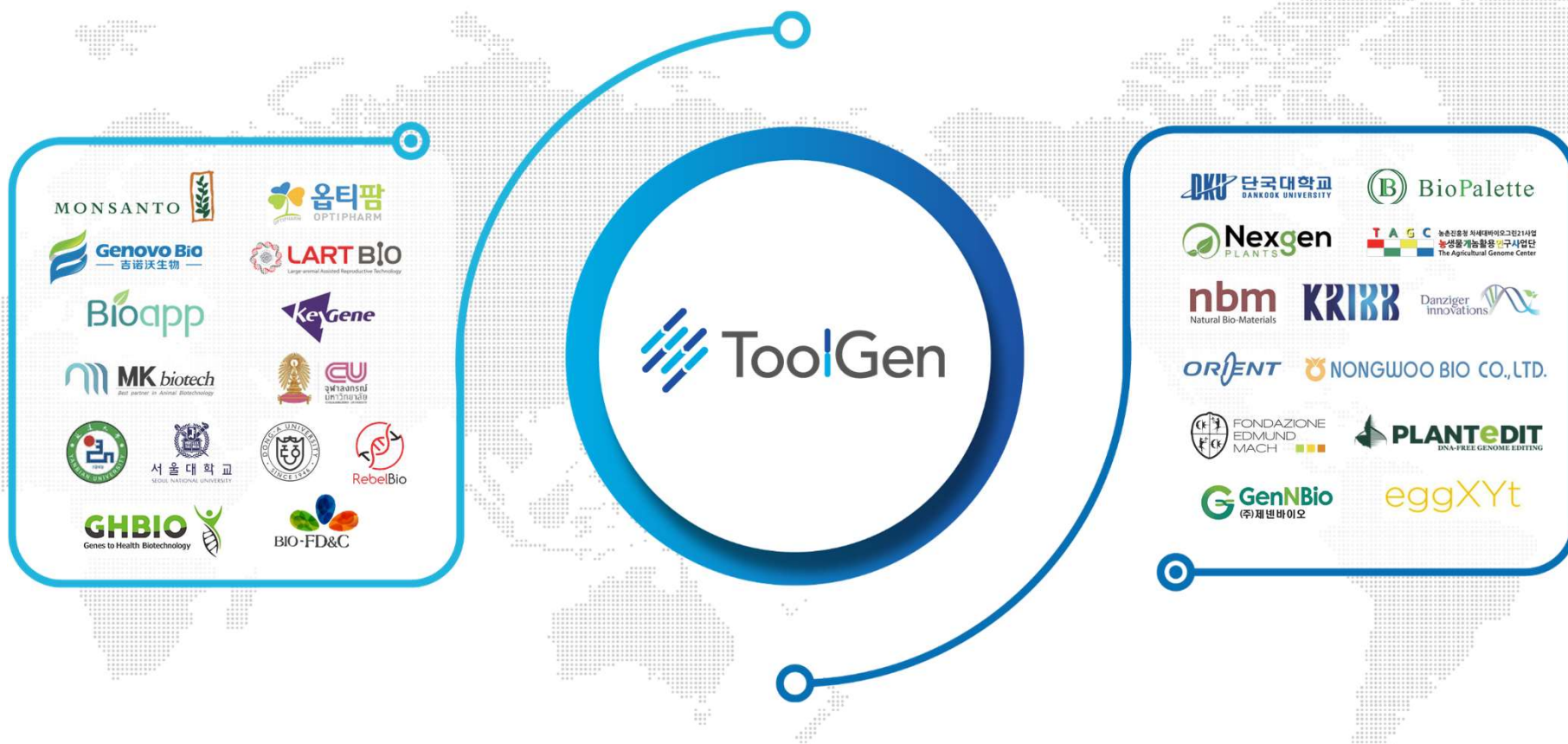
[그림 설명] ㈜툴젠과 CARtherics가 공동연구한 TAG-72 CAR-T (왼쪽 그래프) 및 TAG-72 CAR-iNK (오른쪽 그래프)의 난소암 전임상 동물 모델에서의 치료효능 및 지속성 증가



7. GreenBio

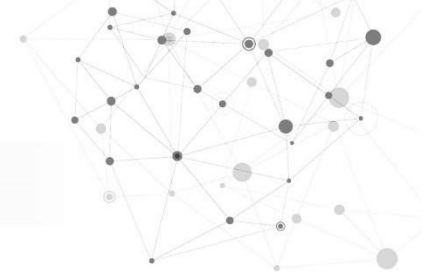


Open innovation & Collaboration





7. GreenBio – Opportunity : 기술의 확장성



유전자교정 동식물 개발의 다양한 확장성

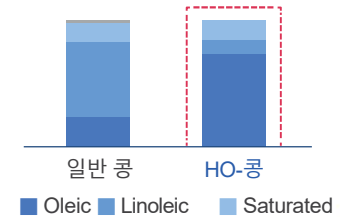


Genome Editing

FAD

HO-Soybean

- 올리브유보다도 높은 단일 불포화지방산 (Oleic Acid) 함유
- 툴젠 유전자교정 종자 중 첫번째 상품
- 미국 규제 기관 (USDA-APHIS)에서 non-GMO로 판정 받아 자유로운 제배 및 상업화 가능

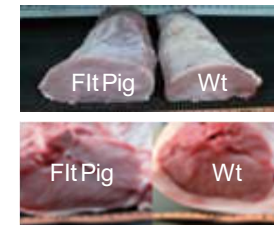


Genome Editing

MST

FIT pig

- 지방층 저하 / 살코기 양 증가
→ 생산성과 육질 향상 품종



Genome Editing

F3H

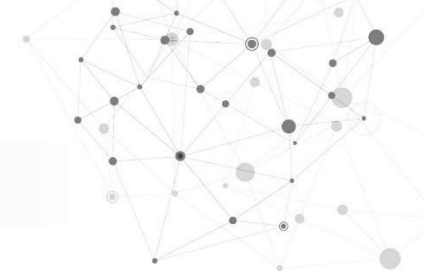
DNA-free Petunia

- 툴젠의 첫번째 유전자교정 화훼 종자
- 미국 규제 기관 (USDA-APHIS)에서 non-GMO로 판정 받아 자유로운 제배 및 상업화 가능





7. GreenBio - Opportunity : 종자 개발 과정과 규제시스템



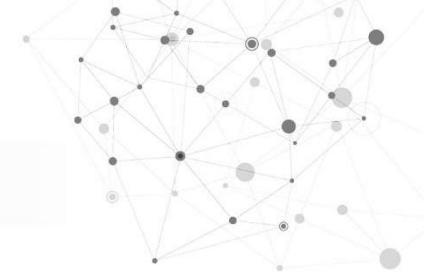
유전자교정 종자개발 ➤ 개발 기간 최소화 & 저비용으로 고부가가치 종자개발 가능



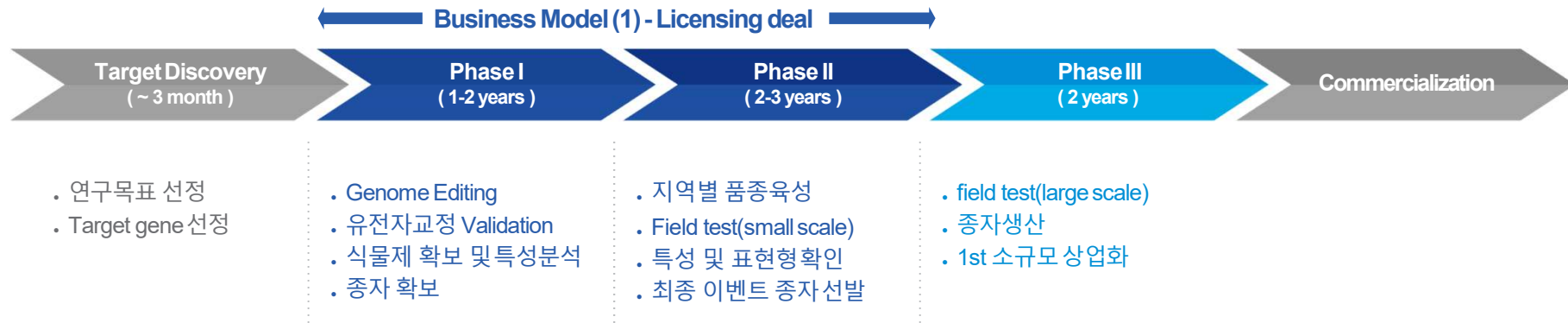
*전통육종은 유전자원의 한계에 의해 경쟁력이 매우 약함



7. GreenBio - Seed : Business Model



유전자교정 Platform 강화 + 고부가가치 종자 개발 ➡ 유전자교정 종자개발 선도기업



Business Model (1) – Early stage L/O

Phase I ~ II 단계에서 Licensing deal 목표

- 사전 시장조사를 통해 Target Discovery 단계부터 L/O 목표 개발
ex) 감자 등
- 짧은 개발기간(2~4년)으로 선순환 구조
- 신품종 종자 개발 비용 최소화 (↓)

Business Model (2) – Commercialization of genome edited crops

고부가가치 종자에 대해 상업화 추진

- 고부가가치 종자의 상업화 ex) HO-콩 등
- 해외 재배 검증 후 세계 시장 공략
- 생산, 가공, 유통 등 현지기업 아웃소싱을 통해 사업 효율성 극대화 및
리스크 최소화 (↓)



Genome Editing in Potato

Phase I ~ II 단계에서 Licensing deal 목표

2024년 Phase II 완료 목표

- 글로벌 감자 시장 1,000억 달러 (한화 약 120조원)
- 냉동 감자시장 전체 감자시장의 약 40%
- 글로벌 감자 기업들에게 Licensing deal 목표
- 종자 개발 비용 최소화하며 로열티를 통해 지속적인 매출 창출 목표
- 美농무부(USDA)의 “Secure Rule” GMO 규제면제 승인 (2022.09)

* USDA Secure Rule

2020년 개편된 GMO 여부 확인 제도이며, GMO에 해당되지 않는다고 승인된 작물에 대해 별도의 규제 없이 일반 작물과 동일하게 시장에 출시할 수 있음.

* 글로벌 냉동감자기업

콘아그라푸드(ConAgra Foods), 심플로트(Simplot), 맥케인푸드(McCain Foods) 등



갈변 억제

* 갈변 억제 기술 특허등록 (한국, 2021)



아크릴아마이드 감소

개발 중

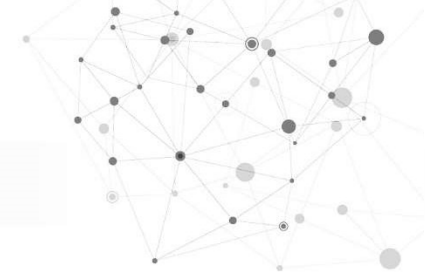


솔라닌독소 억제

개발 중



7. GreenBio - Seed : Business Model(1) - Potato



기존 감자 대비 갈변 관련 PPO2 단백질 활성 감소 확인

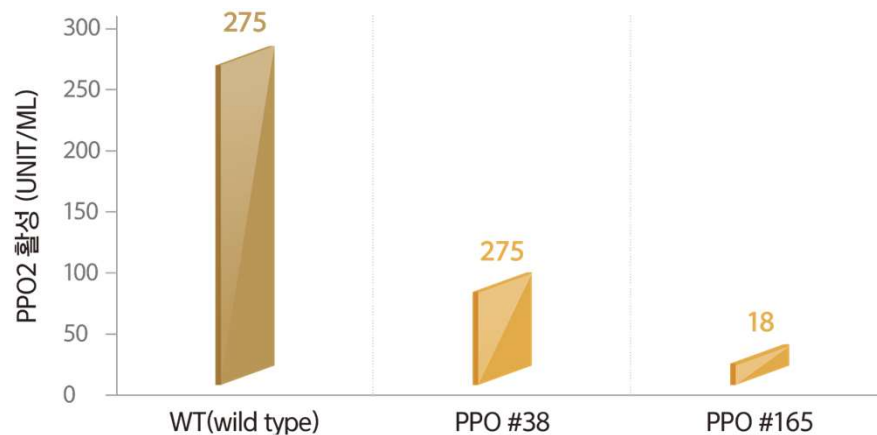
- ▶ PPO2 유전자교정된 감자(PPO #38 & PPO #165) 개발 완료
→ PPO2 단백질 활성이 뚜렷하게 감소함을 확인.



WT(wild type)

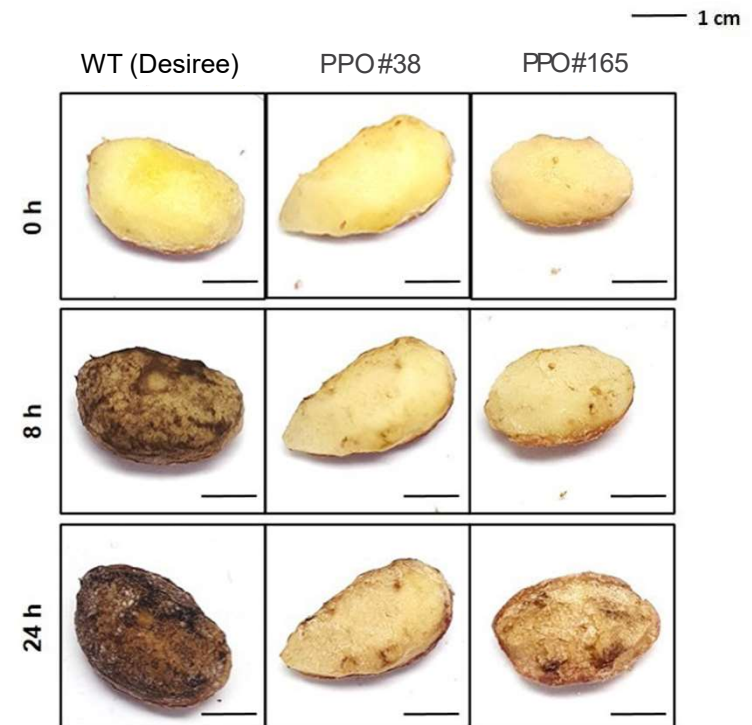
PPO #38

PPO #165



갈변현상 억제 확인

- ▶ 유전자교정된 감자(PPO #38 & PPO #165)의 갈변 현상 분석 결과
→ 시간이 지나도 갈변 현상이 뚜렷하게 줄어드는 것을 확인.
- ▶ 현재, 이들 갈변 억제된 개체들에 대한 씨감자 확보 및 증식 중





Genome Editing Soybean



HO콩 - 2022년 사업화 기반 마련

- ▶ 올레익산 콩(Non-GMO) 2018년 개발 완료
 - 글로벌 시장 규모 대두 1,500억 달러, 대두유 760억 달러, 대두박 882억 달러
 - 美농무부(USDA)의 "Am I Regulated?" 승인(2020.07) : GMO 규제면제 승인
 - 현재 중앙아시아에서 재배 검증 中
 - 추후 임대면적을 확장하여 HO-콩기름 및 부산물에 대한 상업화 계획

* "Am I Regulated?" 제도란? (現 Secure Rule)

유전자가위 기술 등의 신육종기술로 개발된 작물에 대해 GMO여부를 확인할 수 있도록 마련된 절차이며, GMO에 해당되지 않는다고 승인된 작물에 대해 별도의 규제 없이 일반 작물과 동일하게 시장에 출시할 수 있음.



HO-대두



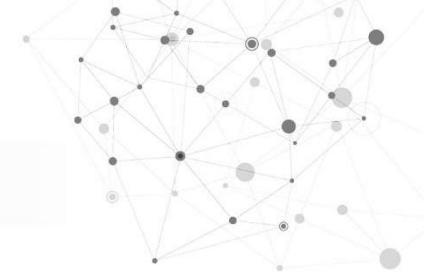
HO-콩기름



HO-대두박



7. GreenBio - Seed : Main Program



고부가가치 유전자교정 종자 개발

No.	Program	Target Discovery	Phase I	Phase II	Phase III	L/O or Commercialization
1	고함량 올레익산 콩*					
2	단백질구성 변이 콩					
3	제초제저항성 콩*					
4	갈변 억제 감자*					
5	아크릴아마이드 억제 감자					
6	솔라닌독성 억제 감자					
7	제초제저항성 옥수수*					
8	가뭄내성 고추					
9	무름병내성 배추					
10	독성억제 담배					

* GMO 대체

8. GE동물 등 신사업 - 분야별 협력





01 Corporate Identity

02 Chapter 01 Technology&Competitiveness

03 Chapter 02 Business area

1. Platform
2. Therapeutics
3. GreenBio

04 Appendix

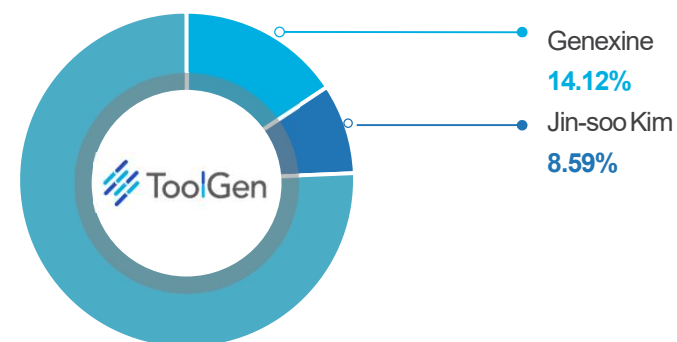
1. Company profile
2. Infrastructure
3. Financial statement

1. Company profile - Information

Information

Founded	1999.10.08
Headquarters	서울 강서구 마곡중앙로 172 8층
KOSDAQ	ToolGen Inc (199800) - 2021년 12월, KOSDAQ시장 상장
Employee	92명
Total Shares Outstanding	7,919,274주
Face Value	500 원
Paid in Capital	39.6억원

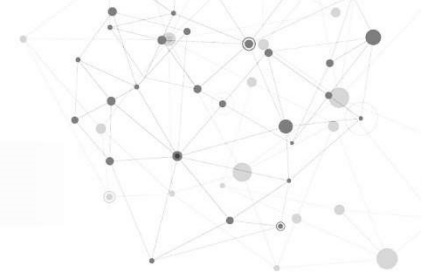
주주구성



구 분	보유 주식수	지분율(%)
최대주주(제넥신)	1,118,347	14.12%
창업자(김진수)	680,144	8.59%
자기주식	2,500	0.03%
소 계	1,800,991	22.74%
기타	6,118,283	77.26%
총 발행주식 수	7,919,274	100.00%



1. Company profile - Leadership



이병화 대표이사
경영 총괄

- 연세대학교 경영학과
- 한국장기신통은행/국민은행
- (주)마크로젠 대표이사
- (주)엠지메드 대표이사



김유리 부사장
IP사업본부장

- 피츠버그대학교 로스쿨
- Blakely Sokoloff Taylor & Zafman
- Intellectual Ventures
- 삼성전자 상무이사
- 한국산업은행 벤처기술금융실



한지학 전무이사
중자사업본부장

- 릿거스대학교 식물분자생물학 박사
- 농우바이오 R&D 본부장
- 국가과학기술심의회 전문위원



유영동 전무이사
치료제사업본부장

- 켄터키대학 생물학 박사
- 코넬대, 미시간대 박사 후 연구원
- 서울대 의과대학 연구교수
- (주)메디프론디비 CTO



강윤구 상무이사
전략본부장

- UC버클리 경제학과
- SK텔레콤
- 씨티그룹 글로벌마켓증권
- 비엔앰홀딩스



구현영 상무이사
사업개발실장

- 일리노이주립대 이학박사
- 노스웨스턴대 연구원
- 시카고대학 연구원
- 에이투젠 사업개발 본부장



김소한 상무이사
임상허가전략실장

- 인하대학교 생명공학 석사
- 셀트리온
- 삼성바이오에피스
- 펜타메딕스



조준성 이사
사업개발실

- 고려대학교
- 영남대학교 로스쿨
- 삼성에버랜드
- 국회사무처 6급
- (주) 언더독스



이형규 이사
지원본부장

- 경남대학교
- 경남은행
- (주) 마크로젠
- (주) 파이젠



이재영 이사
치료제개발실장

- Monash University 의학 박사
- Monash University 박사 후 연구원
- 삼성종합기술원



이정준 이사
플랫폼연구소 소장

- Stanford University Chemistry 박사
- 삼성종합기술원
- 서울대학교



권순일 이사
중자연구1실 실장

- 서울대학교 식물분자생물학 박사
- 고려대학교 생명공학원 연구교수
- 차세대융합기술연구원 책임연구원

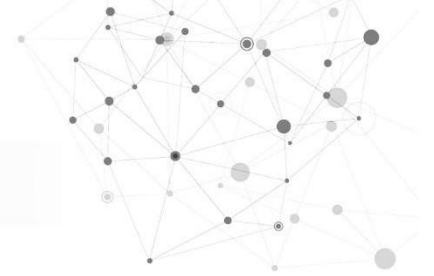


김철용 이사
툴젠키르시스 법인장

- 경북대학교 국제대학원 석사
- 농업회사법인 다산 (주)
- 사단법인 한키르시스 친선교류협회 회장



2. Infrastructure



서울 바이오이노베이션파크 (서울시 강서구)



- ▶ Management department (8F)
- ▶ Therapeutics R&D Center (8F)
 - 유전자 치료제 후보물질 선별 및 분석 – 유전자교정 전략 POC

서울 벽산디지털밸리 6차 (서울시 금천구)



- ▶ Seed R&D Center (종자사업본부, 12F)
 - 고부가가치 신제품 종자 개발

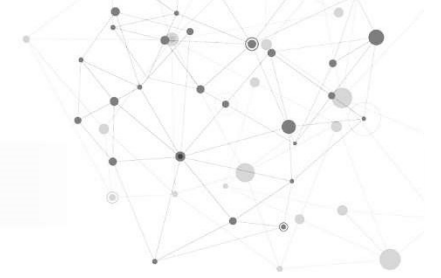
오송 R&D Center (충북 청주시 흥덕구)



- ▶ 오송 R&D Center
 - 착공일 : 2022년 1월 10일
 - 준공예정일 : 2023년 4월
 - 예상건축비 : 100억원
 - 건축규모 : 지상 3층
 - 연면적 : 1,500평



3. Financial statement



Balance sheet

(단위: 백만 원)

구 분	2023.1Q	2022	2021
자산총계	71,114	75,431	87,673
유동자산	50,850	56,666	75,489
비유동자산	20,264	18,764	12,184
부채총계	2,840	4,962	3,010
유동부채	1,669	3,859	1,985
비유동부채	1,170	1,103	1,025
자본총계	68,274	70,469	84,663
자본금	3,957	3,943	3,926
기타불입자본	141,270	140,010	138,560
기타자본구성요소	20,045	19,810	17,107
이익잉여금	-96,998	-93,294	-74,930

Income statement

(단위: 백만 원)

구 분	2023.1Q	2022	2021
매출액	148	743	1,597
매출원가	41	185	511
매출총이익	107	558	1,086
판관비	4,468	19,944	21,817
영업이익	-4,360	-19,386	-20,731
법인세차감전순이익	-3,794	-18,177	-20,692
당기순이익	-3,794	-18,177	-20,692
총포괄이익	-3,700	-18,374	-20,494
주당순이익(원)	-480	-2,314	-3,015



Innovate Genome

INVESTOR RELATIONS 2023