



기반 기술 및 R&D현황 소개

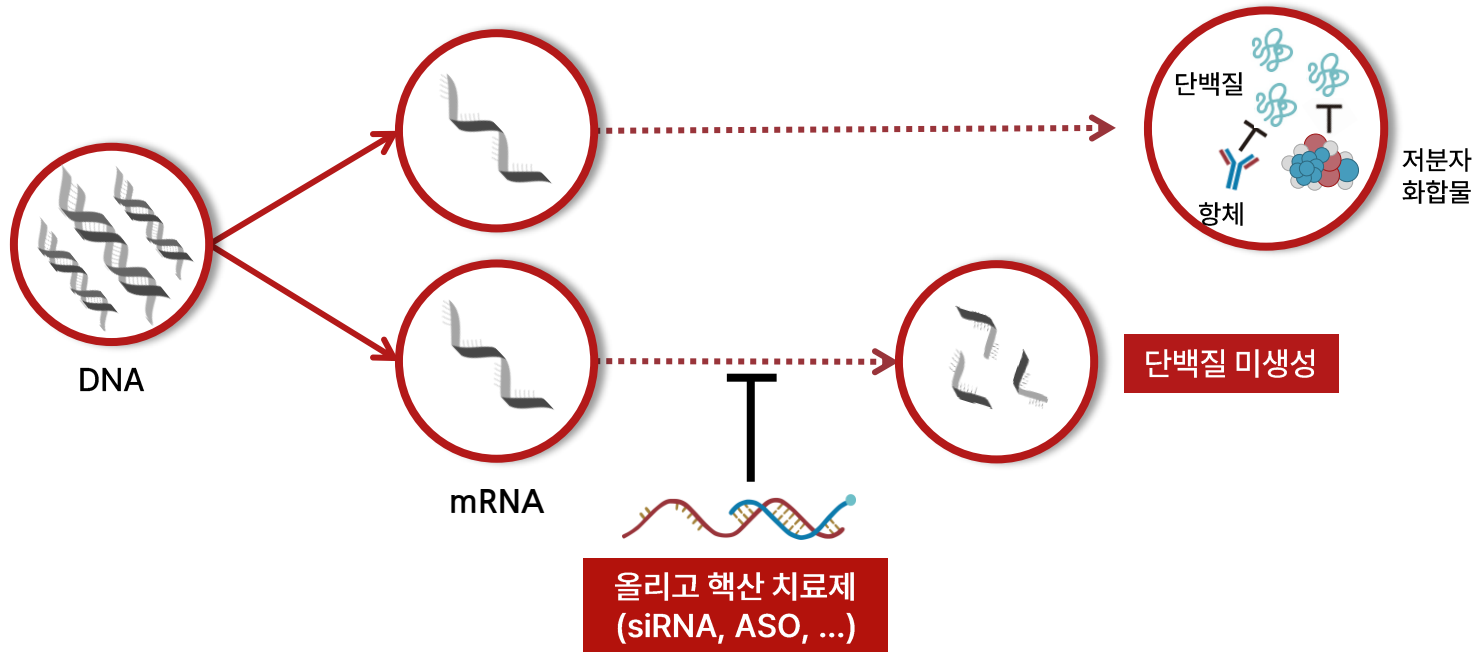
April 29, 2025

올릭스 대표이사 이동기



■ 핵산 치료제 (nucleic acid therapeutic, NAT)

siRNA, ASO: 단백질 생성 전 단계에서 작용 – 현실화된 가장 강력한 올리고 핵산 기술



후보물질 선정기간 획기적 단축

Hit 2개월, 선도물질 6개월
후보물질 도출 약 1년 소요

저분자, 항체 대비
획기적 단축

모든 유전자 표적가능

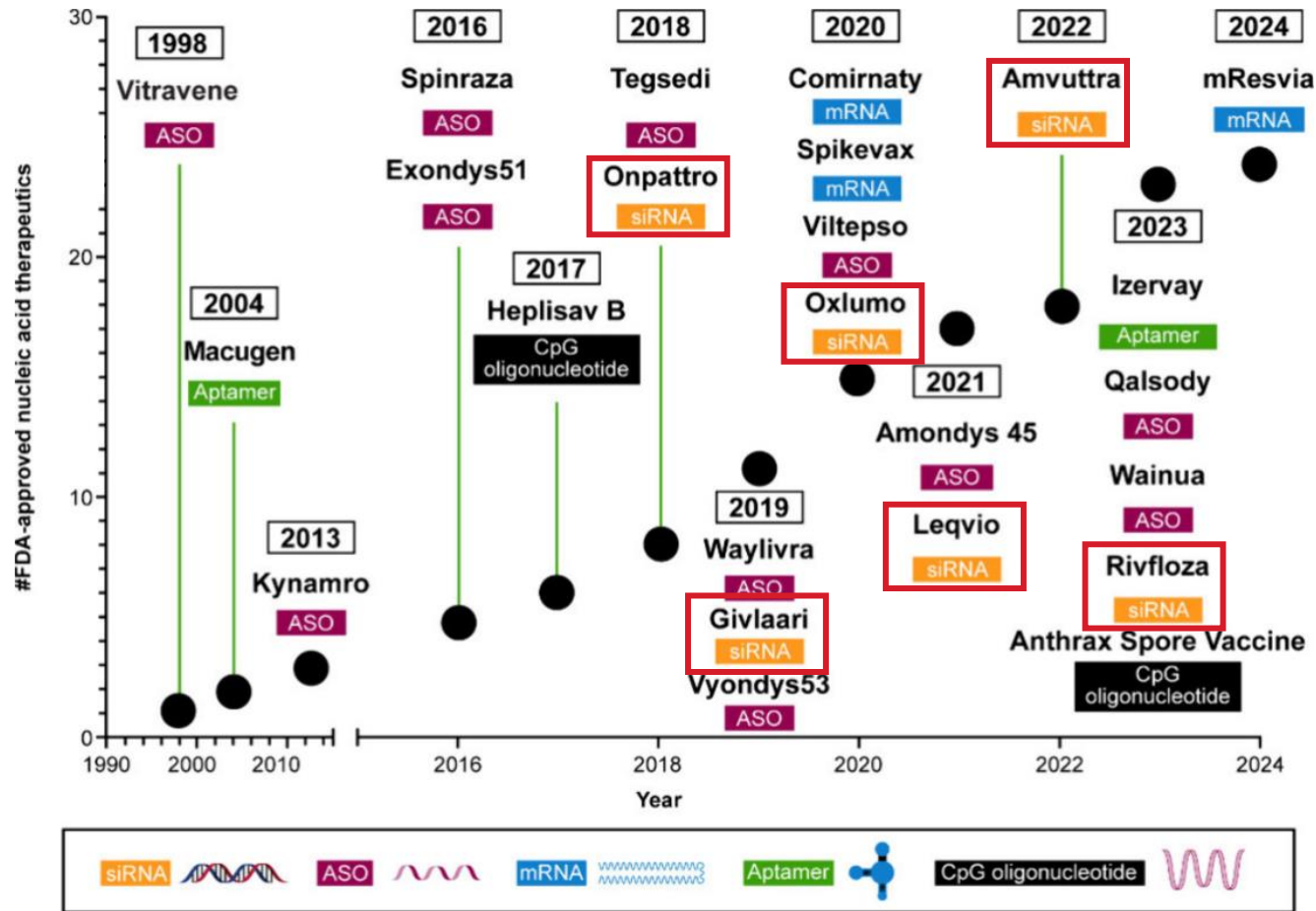
저분자, 항체로 접근 불가능한 표적 공략,
다수 파이프라인
단기간/저비용으로 확보 가능

파이프라인의 조기 기술이전 &
후속 파이프라인 개발 전략 가능

- 화학적으로 합성된 올리고 핵산을 통해 질병 유발 단백질의 생성을 억제
- 상보적 염기서열에 결합: 높은 특이성, 효율성
- 영구적인 유전자 변형 위험 없음

FDA 승인 핵산 치료제

RNA 간섭 치료제: 최근 신약 개발 시장에서 급부상



- ✓ FDA 승인 핵산 치료제 총 26개 중
지난 10년간 승인된 약물 23개
- ✓ 2018년, siRNA 약물 최초로 Onpattro가
FDA 승인을 획득한 이후
매년 1개 이상의 siRNA 약물이 추가 승인
- ✓ 22-24년 ASO, RNAi 치료제의 1상 진입 300% 이상 증가²

145개의 siRNA 약물이 임상 진행 중¹

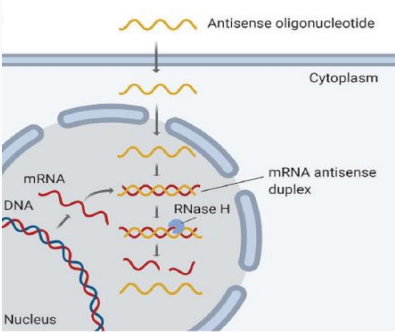
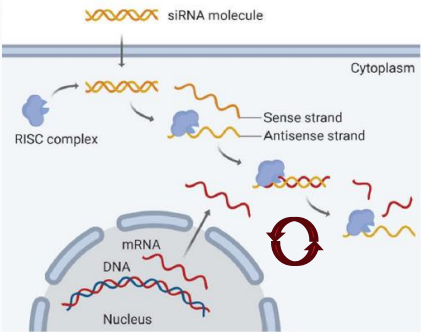
145 siRNA Programs in Development Across the Industry²



* Olezarsen 승인 (24.12.)
* Fitusiran 승인 (25.03.)

ASO 대비 siRNA 차별점

작용 기전 / 효력 / 지속력

	ASO	siRNA
작용 기전		
절단방식	RNaseH	AGO2 (RISC 핵심효소)
반복 사용	제한적	가능
지속력	우수	매우 우수
작용 위치	핵, 세포질, 미토콘드리아	세포질
단일염기표적 / 엑손스킵핑	가능	제한적

siRNA 차별성

효소 작용을 통해 지속적인 효력 유지
매우 낮은 생체내 EC50 (100 ng/g of tissue)
엔도솜의 느린 방출로 인한 타 치료물질 대비 긴 작용 기간

✓ ApoC3 표적 ASO(Olezarsen) vs siRNA(Plozasiran) 임상 효력비교

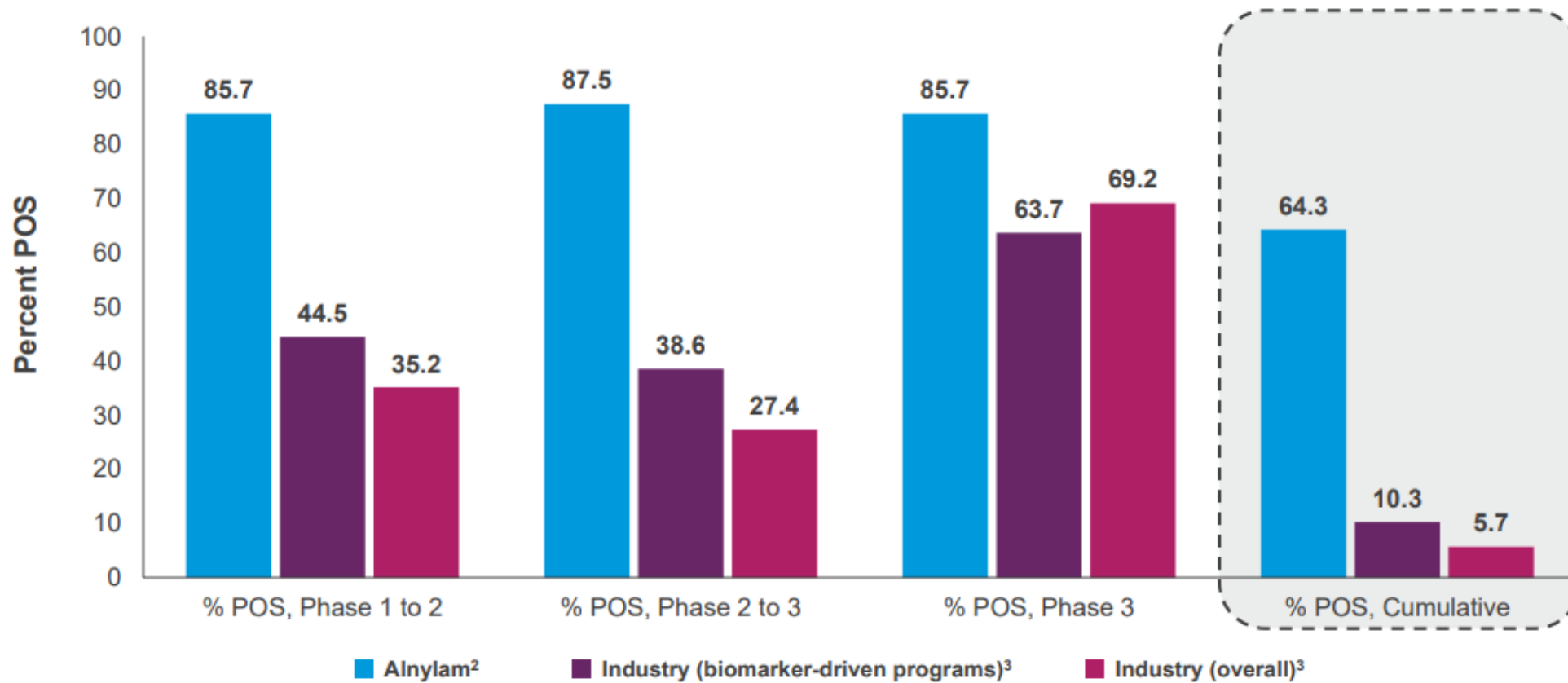
Treatment	Apo-cIII Percent Change vs Placebo	MD	95%-CI	pval
Plozasiran 100mg Q4W		-92.8	[-117.1; -68.5]	< 0.01
Plozasiran 50mg Q4W		-88.5	[-113.1; -63.9]	< 0.01
Plozasiran 25mg Q4W		-80.1	[-105.2; -55.0]	< 0.01
Plozasiran 50mg Q12W		-78.0	[-85.2; -70.7]	< 0.01
Olezarsen 80mg Q4W		-75.4	[-88.7; -62.1]	< 0.01

▶ 임상 결과에서 확인된
siRNA의 우수한 KD 및 지속력

■ RNAi 치료제의 높은 임상 단계 전환 성공률

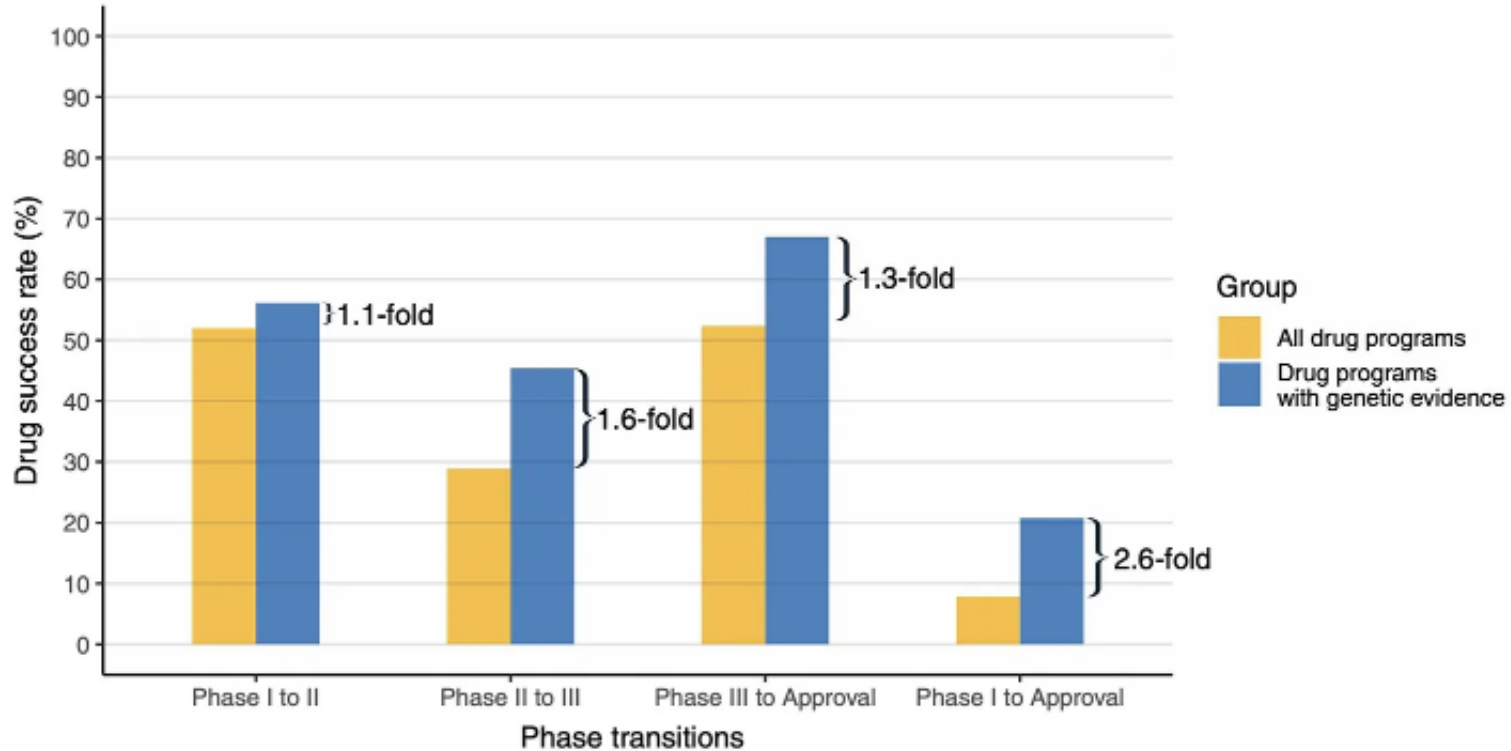
Alnylam case: 신약 개발 업계 평균 대비 6배 이상의 높은 임상 성공률

Probability of Success (POS) by Phase Transition



Alnylam R&D Day 2022

■ GWAS 기반 타겟의 높은 임상 성공률



- 유전적 증거 기반의 치료제는 업계 평균 대비 2.6배의 임상 성공률

→ GWAS 기반 GalNAc-asiRNA인 OLX75016의 상대적으로 높은 신약 승인 가능성

RNAi 치료제의 수익성

높은 성장 잠재력 존재하며, 수익 실현 가능한 단계 도달

RNAi 시장 전망

USD 5.28 Bn (by 2031)¹



Market Size:

US\$ 1.6 Bn
(2023)

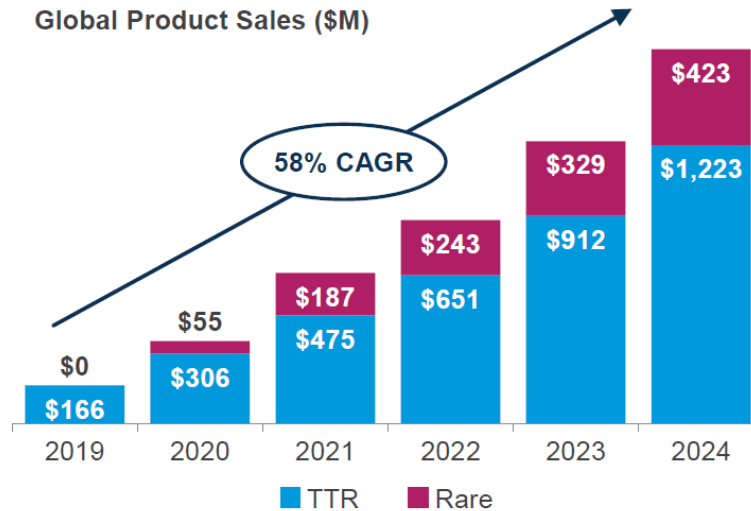
CAGR
(2024-2031)
16.0%

siRNA 치료제가 RNAi 시장을
주도해 나갈 것으로 전망

TTR siRNA in amyloidosis (Alynlam)

연간 1B 초과하는 매출 (시장의 20% 차지)

Global Product Sales (\$M)



경쟁약물	2024 FY
Vyndaquel (family)	5,451 (+90% US)

Inclisiran in hypercholesterolemia (Novartis)

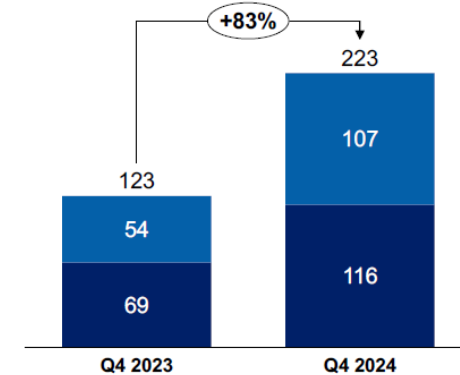
매출 급성장 (+83%, Praluent의 매출을 능가)

Sales evolution

USD m, % cc

■ US ■ Ex-US

FY USD 0.8bn
+114% cc



경쟁약물	2024 Q4
Repatha	606 (USD, +45%)
Praluent	110 (Euro, -6.8%)

글로벌 siRNA 치료제 기술 이전

Mega Deal (>1B) 다수

Licensors	Licensees	Year	Deal Size (USD)	Target Indication	Stage
Alnylam	Roche	2023	2.8B	고혈압	Phase 2
	Regeneron	2019	>1B	안과질환, 신경계질환, 보체 매개성 질환	Phase 2/Phase 3
	Sanofi	2018	>1B	혈우병 등 출혈질환	Phase 3
	Vir	2017	>1B	만성 B형 간염, COVID19 등 감염병	Phase 2
Dicerna (Novo Nordisk ¹)	Roche	2019	>1.7B	만성 B형 간염	Phase 2
Arrowhead	Sarepta	2024	10B (incl. royalties)	근육, 중추신경계, 폐 질환 등 7개	Preclinical/Clinical
	GSK	2021	>1.03B	비알코올성지방간염 (MASH)	Phase 1
	Takeda	2020	>1B	알파-1 항트립신 관련 간질환 (AATLD)	Phase 2
Silence	Hansoh	2021	1.3B	비공개 표적 3개	Undisclosed
	AstraZeneca	2020	>4.2B	심혈관, 신장, 대사, 호흡기 질환	Discovery

1. Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨

■ siRNA 치료제 성장 전망

희귀 질환에서 일반 질환으로

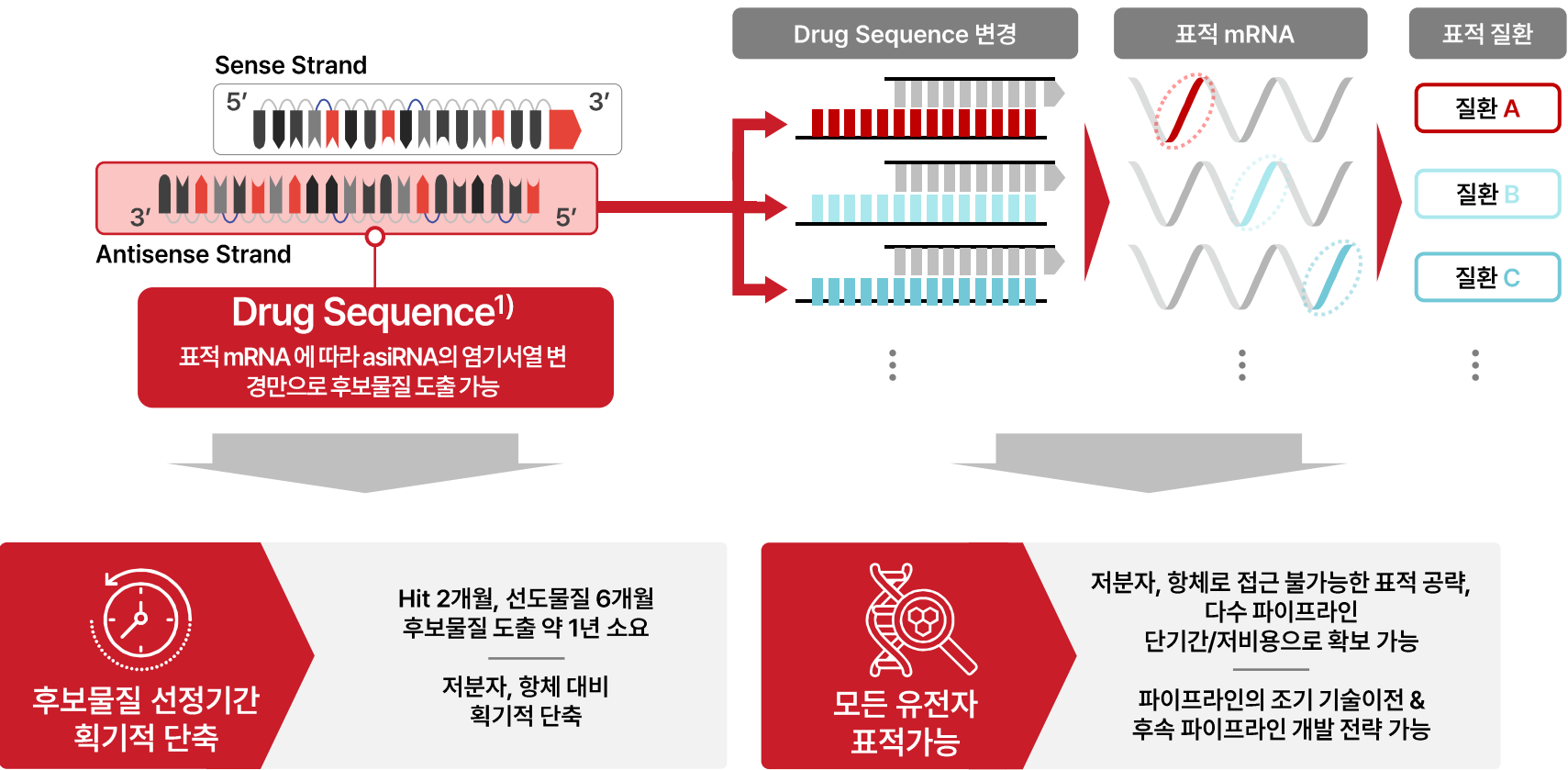
	약물	개발사	대상 환자	환자수
승인약물	Onpattro	Alnylam	가족성 TTR 아밀로이드증	초 희귀질환
	Oxlumo		1형 원발성 옥살산뇨증	희귀
	Givlaari		급성 간성 포피린증	0.2M
	Amvuttra		심근성 TTR 아밀로이드증	0.8M[1]
	Leqvio	Alnylam/Novartis	고도 지질강하 치료환자	1.3 M[2]
개발 진행약물	Plozasiran	Arrowhead	중증고중성지질혈증	>0.5 M [3]
	Lepodisiran / Zerlasiran	Eli Lilly / Silence	고 Lp(a) 지질 환자	16.4 M [2]
	OLX75016	OliX / Eli Lilly	대사성간염 (F0-cF4)	15.5M[1]
	Zilebesiran	Alnylam	미조절 고혈압 환자	87.5M[1]
	ARO-INHBE / WVE-007	Arrowhead / WAVE life	비만	>100 M[4]
	Aro-alk7	Arrowhead	비만	>100 M[4]
	Aln-4324	Alnylam	2형 당뇨	>100 M[1]



- 희귀질환 적용 후 적응증 확대 : 가족성(familiar) 질환 → 산발성(sporadic) 질환
- 유전체 연관 분석 연구 (GWAS) 를 통해 발굴된 신규 타겟 공략
- 기존 약물로 치료가 어려운 환자군 우선 집중

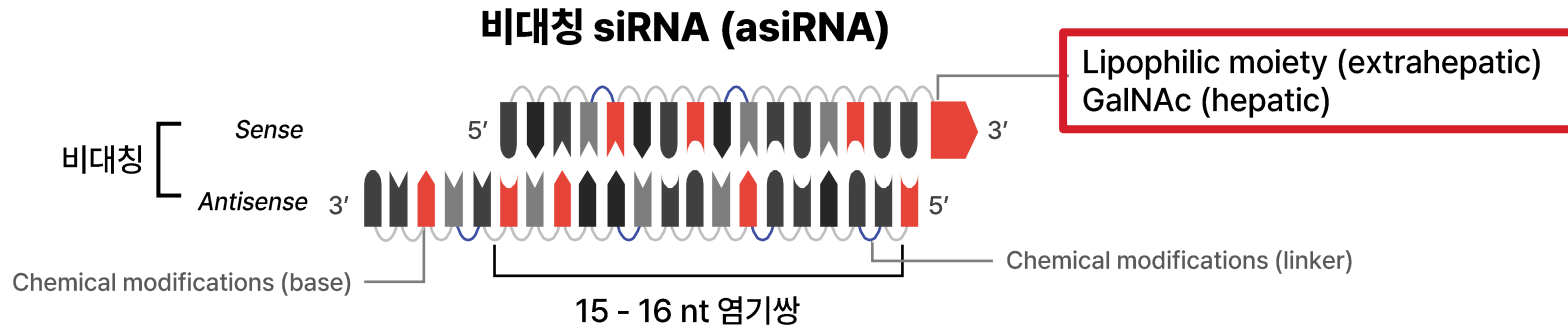
■ RNAi 플랫폼 기술의 범용성/확장성

플랫폼 기술 기반 신속한 후보 물질 선정과 이론적으로 모든 유전자에 대하여 높은 효율로 발현 억제 가능



■ OliX의 독자적인 RNAi 플랫폼

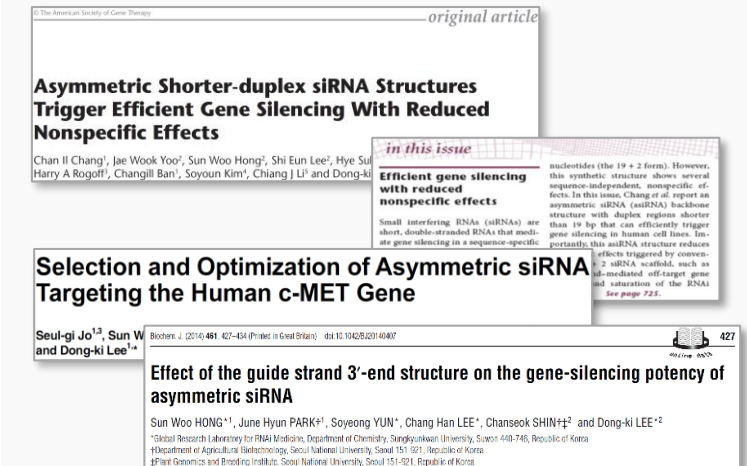
비대칭 siRNA + GalNAc or Lipid



- 염기 서열 변경만으로 모든 유전자 표적 가능
- 후보 물질 선정 기간 획기적 단축 (약 3개월)
- 비대칭 구조를 이용한 오프타겟 효과 및 면역 반응 유발 최소화
- 세포 내 전달 기술 확보
 - 간외 전달: 소수성 물질을 결합하여 별도의 전달체 없이 전달
 - 간 표적 전달: GalNAc과 OliX 독점 개발 링커를 통해 간세포내 전달 효율 상승
- 두 가지 유전자 표적 가능한 dual GalNAc 플랫폼 개발

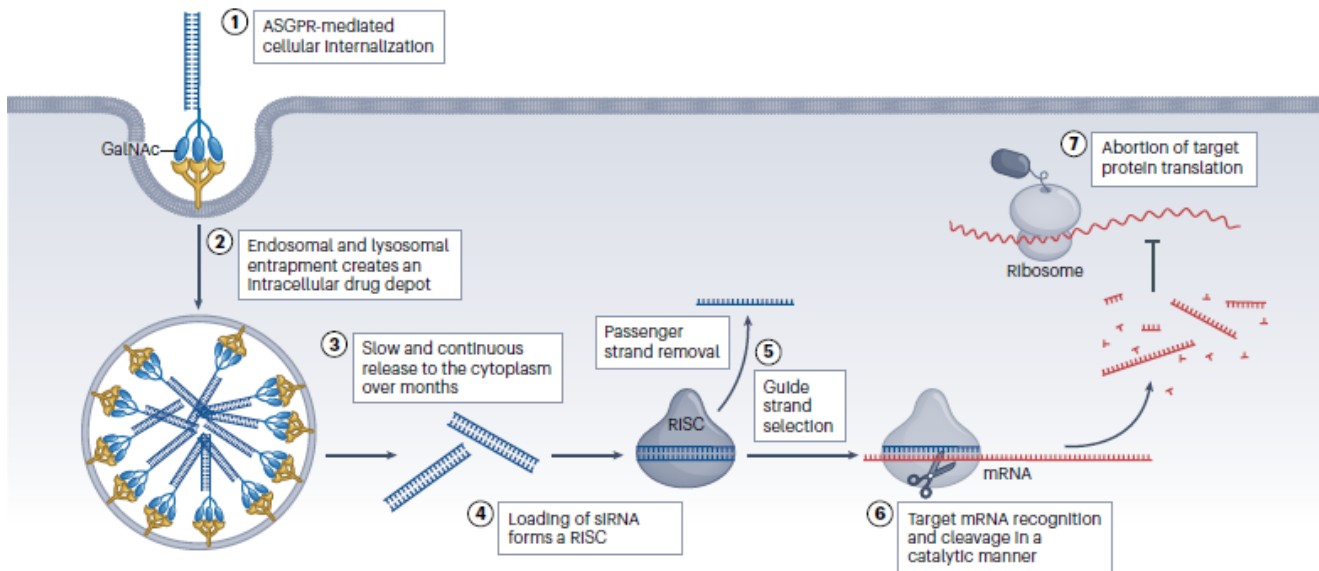
비대칭 RNAi 원천 기술 특허 등록

- "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



GalNAc-asiRNA: 간 표적 플랫폼

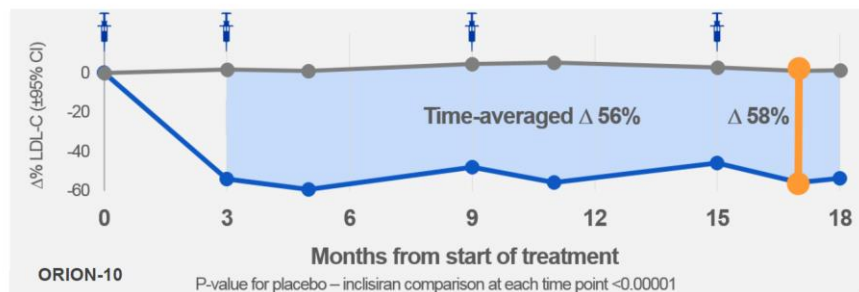
GalNAc 플랫폼 소개



- 수용체인 ASGPR의 간세포 특이적 발현
- GalNAc과 ASGPR의 매우 높은 결합력
- ASGPR 수용체의 높은 재활용률
- 높은 세포 내 유입 및 효율적인 RNAi 작용

RNAi 치료제의 장기 효력 지속능

Percent change in LDL-C over time – observed values in ITT patients



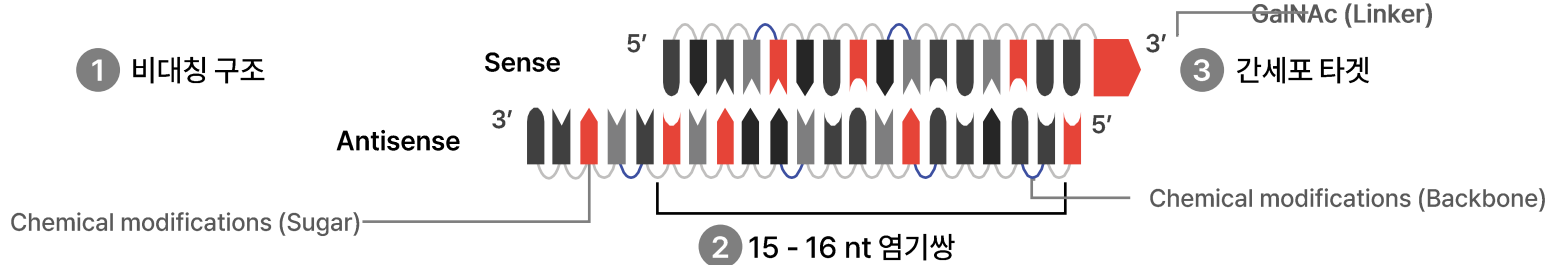
임상적으로 증명된 플랫폼

- ✓ 희귀질환에서 일반 대사질환으로 이동 중
- ✓ 신규 undruggable 타겟 선점 경쟁
- ✓ Best-in-class 약물 확보를 통한 시장성 확보 관건

GalNAc-asiRNA: 간 표적 플랫폼

올릭스의 비대칭 siRNA 기술에 간 표적 리간드인 GalNAc chemistry 도입 완료

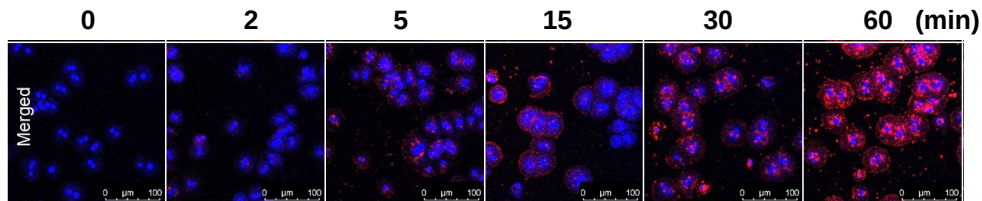
GalNAc-asiRNA



- 화학적 구조:
 - 비대칭구조를 통한 오프 타겟 최소화
 - 안전성 및 효력 극대화를 위한 화학적 변형
- GalNAc:
 - 최대 효력을 위한 3가 구조
 - 독자적 링커 구조 적용
 - 결합 위치 최적화 (진행중)
- 추가사항: 신규 PK enhancer 적용 (진행 중)

✓ 우수한 전달력

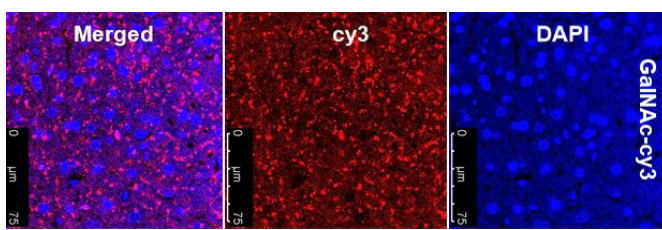
In vitro uptake in primary hepatocytes



Whole body

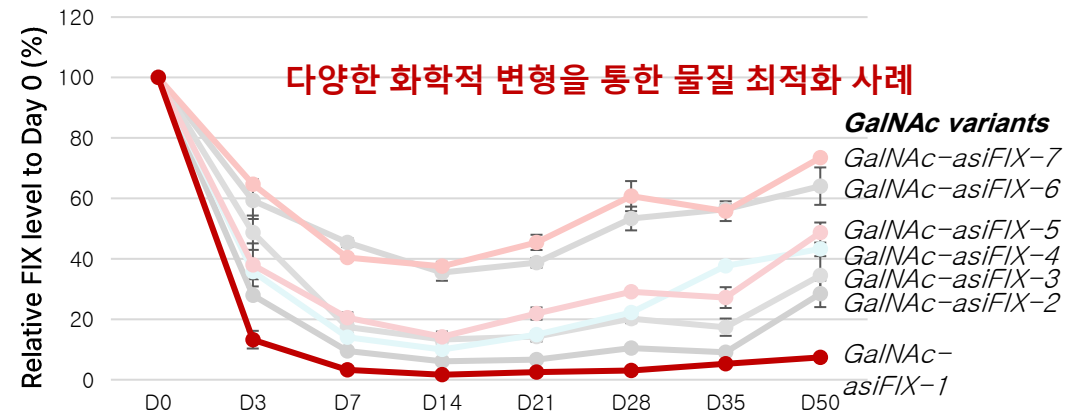


Liver Section



✓ 우수한 효력 및 유지 기간

GalNAc 플랫폼 효력 및 지속성



GalNAc-bi-siRNA 플랫폼

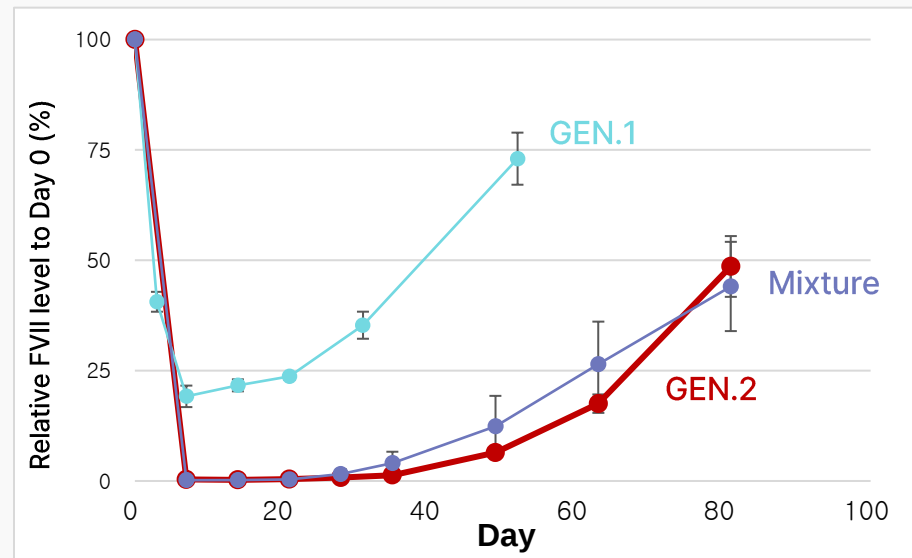
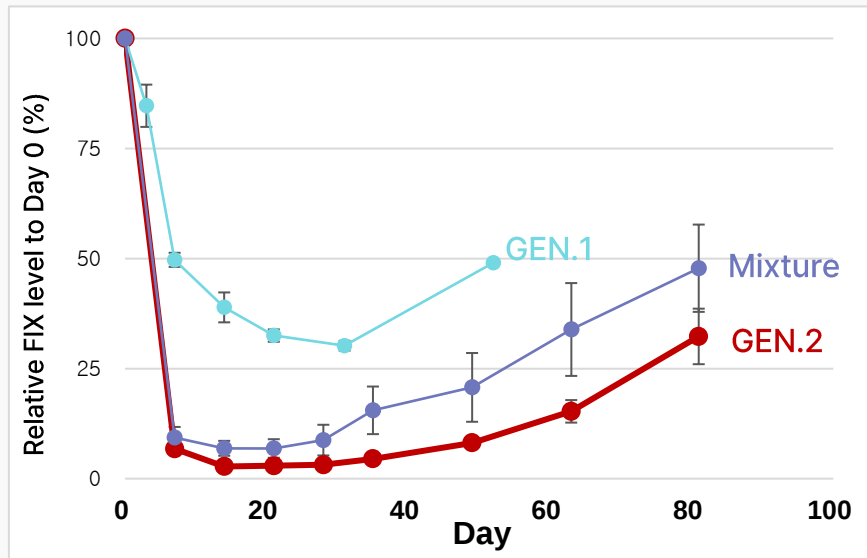
복합 요법과 동등한 역가 및 지속 기간 + 플랫폼 고유의 특징점을 갖춘 차세대 신약 개발 플랫폼



복합 요법 대비 GalNAc-bi-siRNA 플랫폼 경쟁력

- ✓ 생물학적 측면: 한 세포에서 두 가지 유전자를 조절
- ✓ 개발 측면: 두 가지 물질 개발 대비 잠재적으로 간단해진 개발 과정

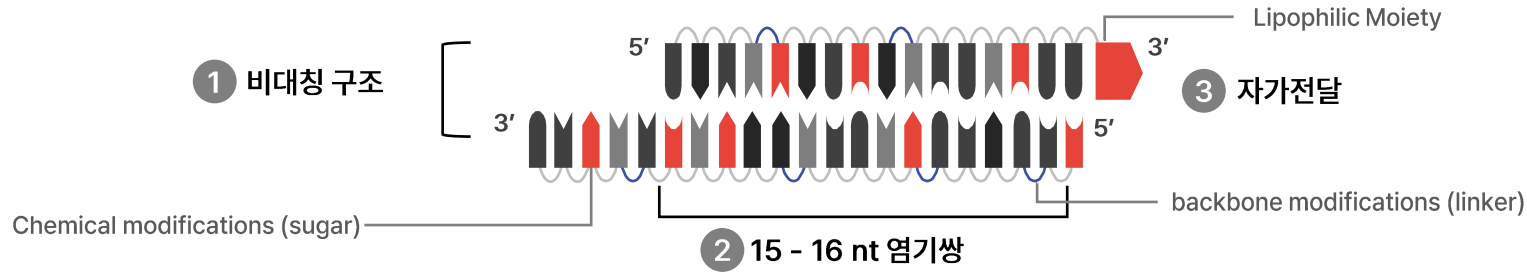
Potency and Durability



■ cp-asiRNA: 국소 투여 플랫폼

지질 결합체를 이용한 세포 내 전달 이슈 극복

■ 자가전달 비대칭 siRNA



- 화학적 구조:
 - 비대칭 구조를 통한 오프 타겟 최소화
 - 안전성 및 효력 극대화를 위한 화학적 변형
- 지질:
 - 세포 전달 극대화 및 안전성 확보
 - 효력 및 전달에 최적화된 링커 사용

✓ 국소 투여 접근 방식

- 약물을 질환 부위에 직접 적용하여 전신 부작용을 최소화하고 치료 효과를 극대화
- 피부, 안구, 비강, 관절 질환에 대한 활발한 접근 방식
- 척수강내 투여를 통해 BBB 투과를 회피하는 다수의 신경계 핵산 약물이 승인 또는 임상 진행 중

✓ 올릭스 국소 투여 플랫폼의 장점

- 부가적인 지질 전달체의 사용 불필요. 지질 전달체의 독성 회피
- 제조 과정의 단순화를 통한 대량 합성 용이
- 안구 및 피부에서 다수의 임상시험을 통한 안전성 확인

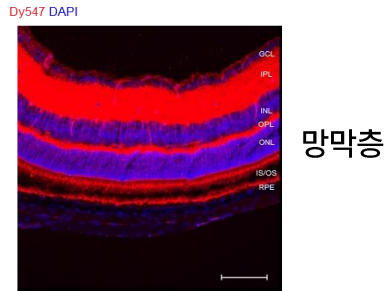
cp-asiRNA: 국소 투여 플랫폼

국소 투여 치료제의 전달 및 효력



신규 전달체에 의한 연 2회 투여 가능성¹

투여 후 2시간 후 안구내 물질 분포

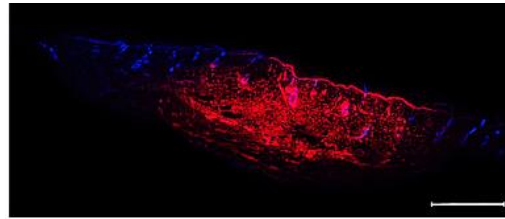


망막층



단회 투여로 최대 4주간 유의적인 KD 효력

투여 6시간 후 피부내 물질 분포

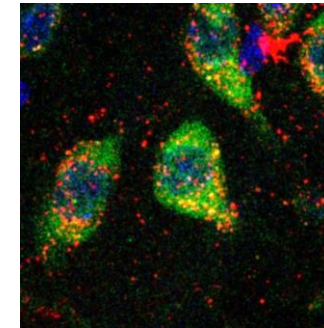


진피층

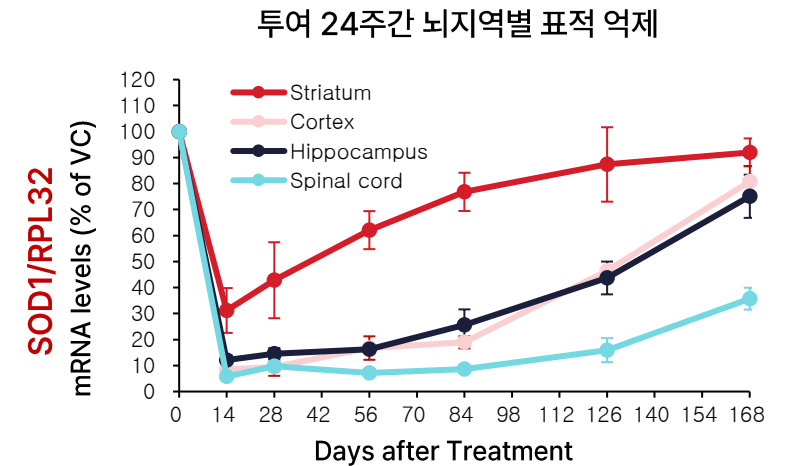
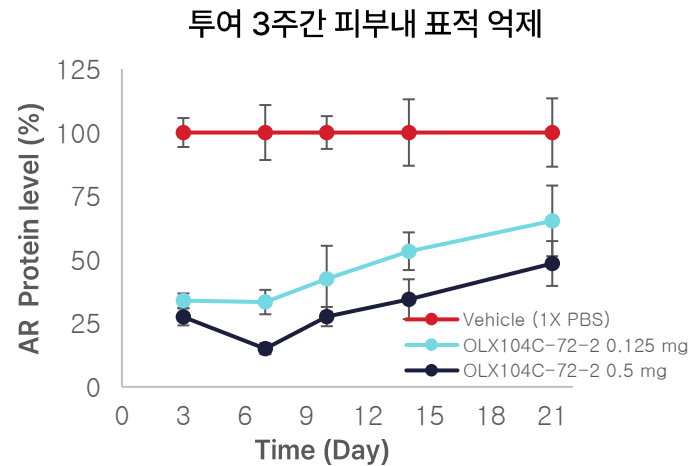
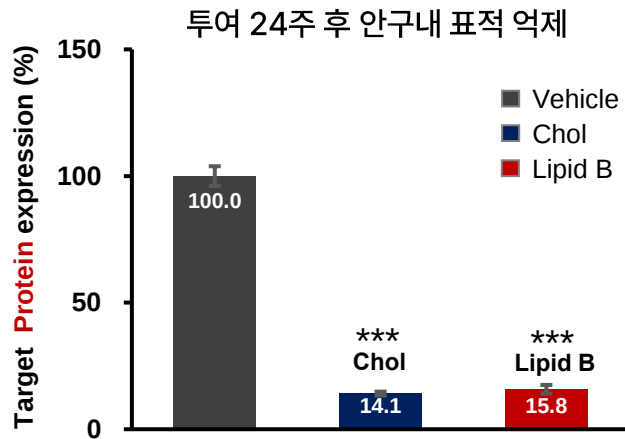


설치류 뇌/척수 내 표적 유전자 억제 기간 확인

투여 24시간 후 신경세포내 물질 분포



신경세포
투여물질



간외 전달을 위한 신규 접합체

지질 접합체를 이용한 지방 전달 기술

지방조직 타겟의 장점

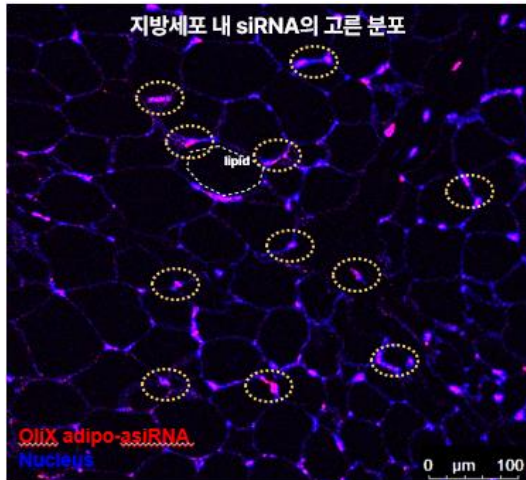
비만 치료제 가능성: 지방 특이적 체중 감량

다양한 대사질환: 비만 세포 유래 인자(Adipokine) 조절

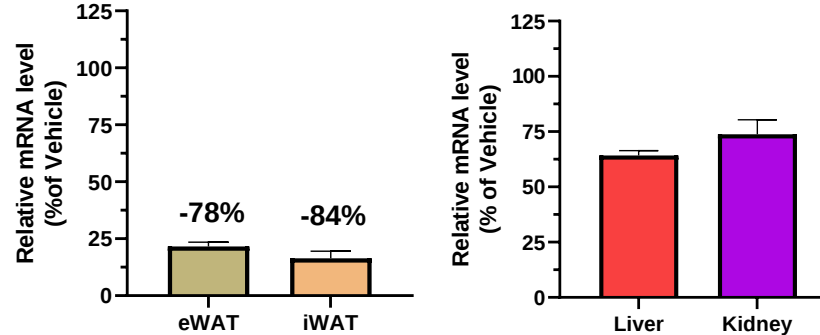


비임상 데이터

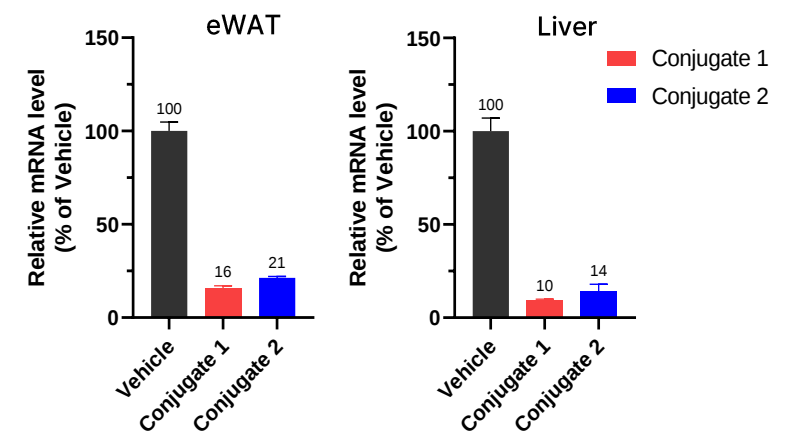
마우스 지방 조직 전달



지방 조직 선택적 표적 유전자 억제
SC, 3 mg/kg, Day 21



지방 및 간 조직 동시 타겟
SC, 20 mg/kg, Day 21



R&D Pipeline

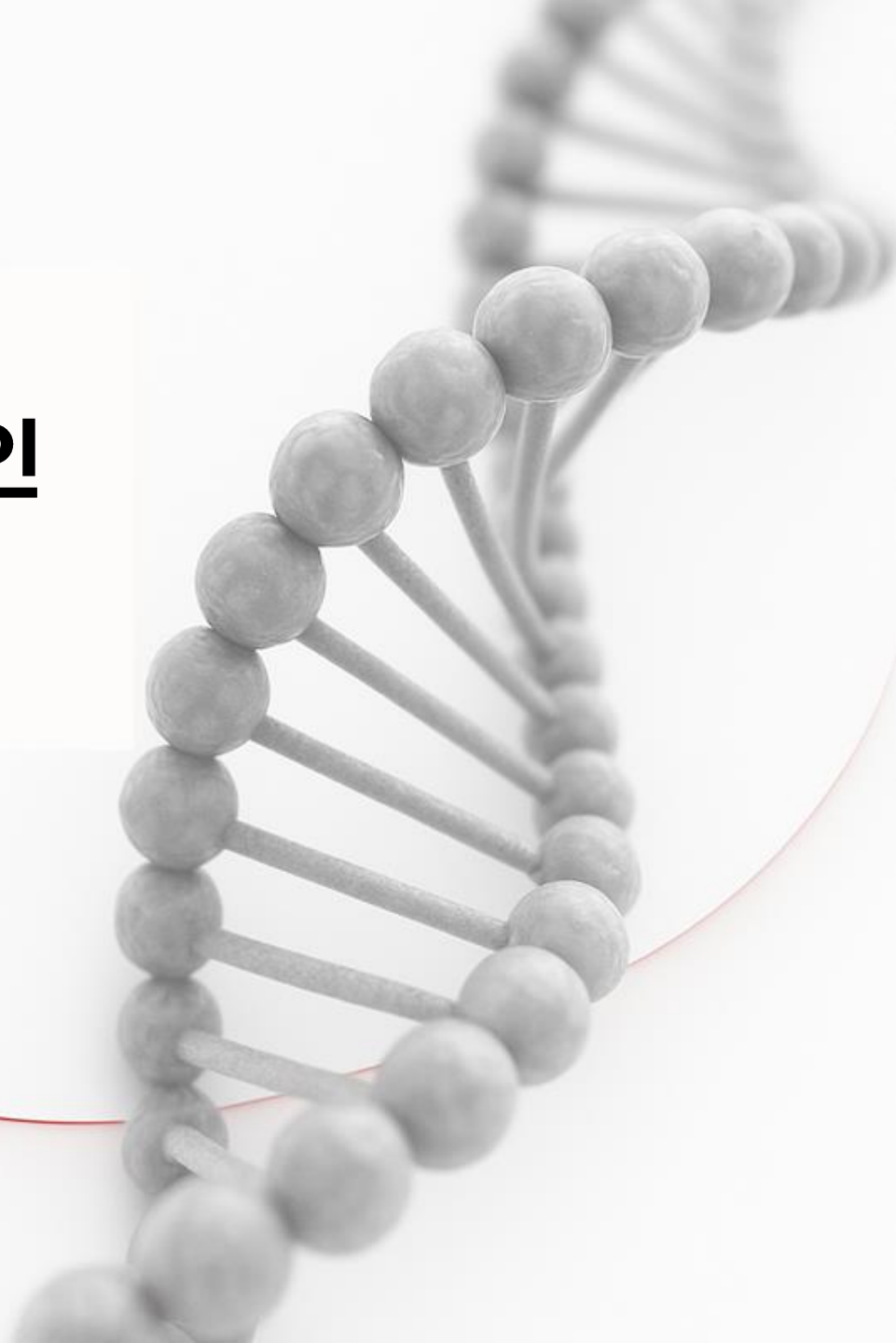
	Program	Indication	Platform Development	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	비고
 Liver	OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만					(호주) 1상	Eli Lilly (Global) 
	OLX706A	심혈관 질환						Hansoh (Greater China) 
	OLX706B	대사성 질환						
	OLX706C	심혈관 질환						
	OLX702X	비만						* 다수 파이프라인
	OLX702R	고혈압						
 Skin	OLX104C	탈모					(호주) 1상 완료	
	OLX101A	비대흉터					(미국) 2상 완료	
 Eye	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성					(미국) 1상	
	OLX304C	망막색소변성증						
 Adipocyte	OLX702X	비만						* 다수 파이프라인
 CNS	OLX40X	뇌신경 질환						



올릭스 RNAi 플랫폼 및 핵심 파이프라인

April 29, 2025

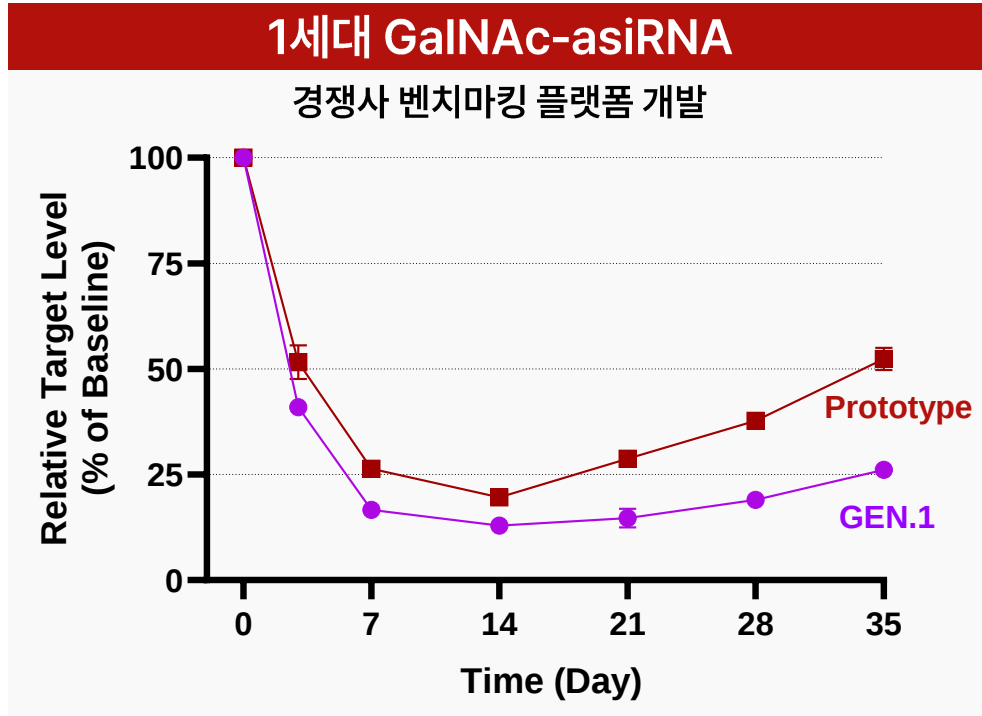
올릭스 박준현 연구소장



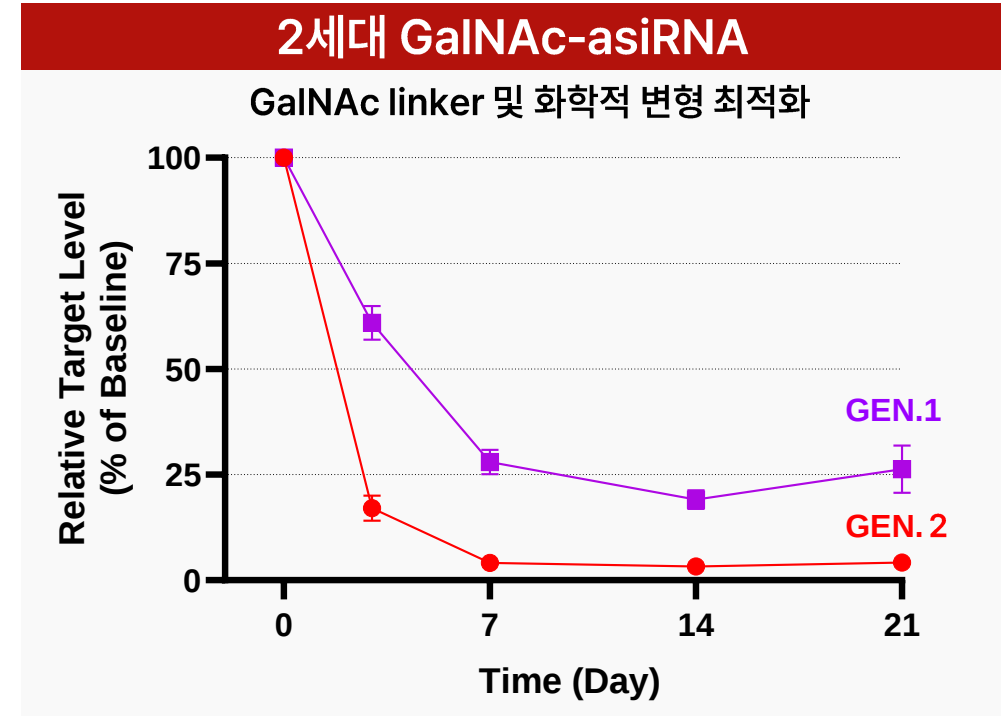
올릭스 GalNAc Platform

■ 올릭스 플랫폼 발전 역사

독자적인 GalNAc linker 및 화학적 변형을 적용한 GalNAc-asiRNA 플랫폼 확보



- 글로벌 권리 독점 AMC GalNAc linker 확보
 - 특허 기반 asiRNA 구조 및 당 2' 변형 스크리닝
 - 단회 피하투여로 장기간 유전자 억제
 - Alnylam ESC Platform 대비 동등성 확인
- Alnylam ESC Platform 기반 승인 신약:
Givosiran, Inclisiran, Fitusiran, Lumasiran



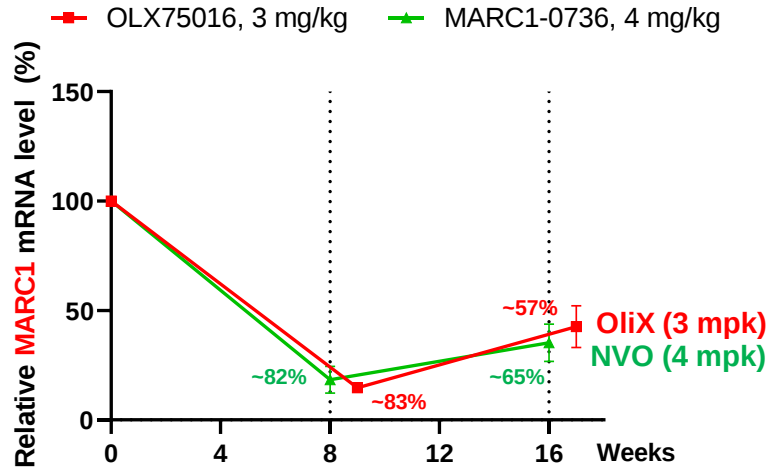
- 자체 GalNAc linker OLX XXV 개발
 - 안정성 향상 5'P 유사체 도입 및 당 2' 변형 최적화
 - 목표 유전자 최대 억제능 및 유지 기간 향상
 - Human PoC 확인
- 2세대 GalNAc-asiRNA 기반 약물/프로그램:
OLX702A, 한소제약 기술이전 프로그램

GalNAc-asiRNA 플랫폼 – 경쟁사 비교

업계 선두 경쟁사들 대비 최소 동등한 플랫폼 가치 확인

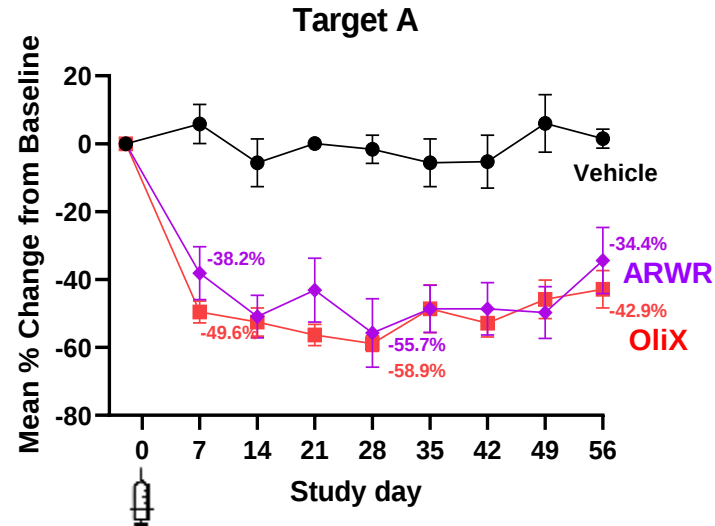
vs Novo Nordisk (NVO)

원숭이, 피하주사



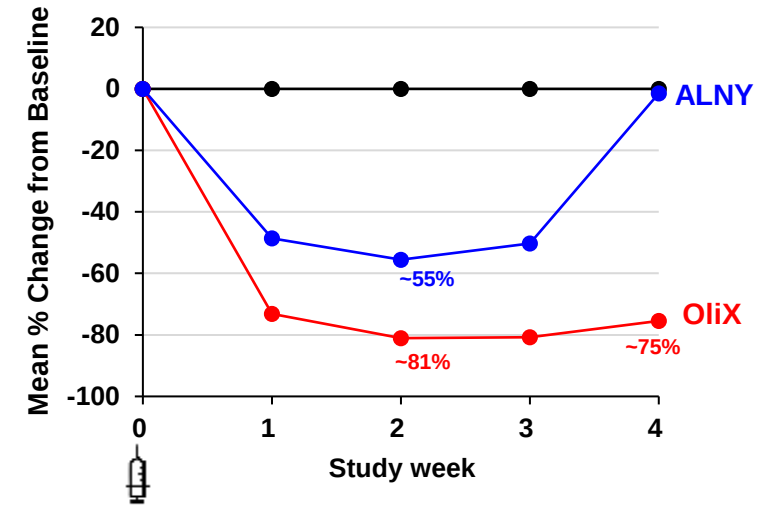
vs Arrowhead (ARWR)

원숭이, 3 mg/kg, 단회 피하주사



vs Alnylam (ALNY)

마우스, 3 mg/kg, 단회 피하주사



- 노보노디스크 대비 ¾ 용량에서 동등한 유전자 억제
- 13주 시점에서도 노보노디스크 4주 시점과 동일한 효력, 우수한 유지력

- 단회 피하주사로 8주 이상 유지
- ARWR 대비 동등한 최대 억제능 및 지속기간 확인

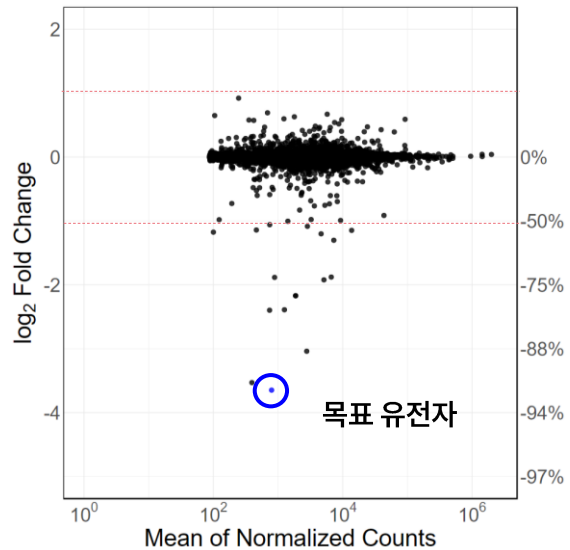
- 단회 피하주사로 4주 이상 유지
- ALNY 대비 마우스에서 더 강한 억제능 및 지속기간 확인

GalNAc-asiRNA 플랫폼

임상적으로 입증된 우수한 효능과 최소 반기별, 잠재적 연 1회 투여 가능한 장기 지속 플랫폼

우수한 목표 유전자 선택적 조절능

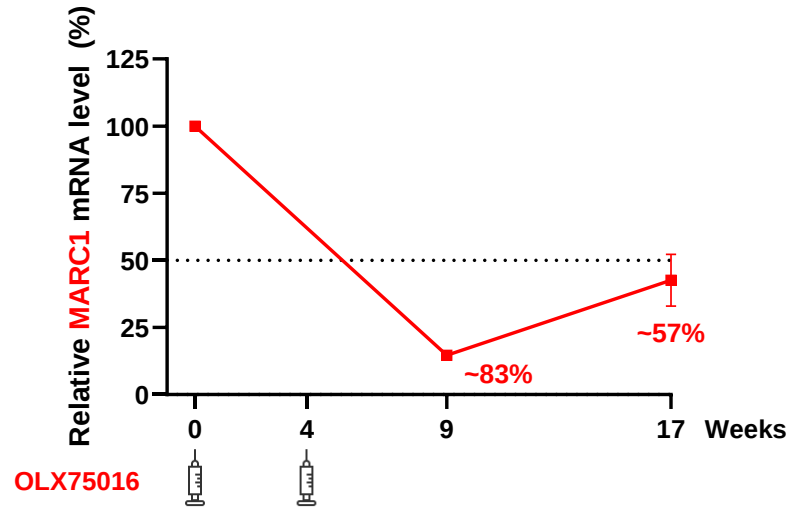
인간 1차 간세포, RNAseq 분석



- 대부분 비목표 유전자 발현 변화 $-1 \leq \log_2 \text{Fold Change} \leq 1$ 이내
- 선택적 목표유전자 발현 억제

뛰어난 목표 유전자 억제능 및 지속기간

원숭이, 3 mg/kg, 피하주사



- 3 mg/kg에서 목표 유전자 80% 이상 억제
- 마지막 투여 후 13주 시점까지 50% 이상의 목표유전자 억제능 확인

임상적으로 입증된 효능과 장기 지속성

90 mg (약 1 mg/kg), 단회 피하주사



- 단회 피하주사로 32주(8개월) 이상 효력 지속
- 투여 32주 시점 간 지방 투여 전 대비 평균 약 80% 감소
- 최소 반기별 투여, 잠재적 연 1회 투여 기대

02

OLX702A



■ 승인된 MASH 치료제 및 개발중인 치료제의 한계

- 승인약물 (Rezdiffra) 의 한계: 대상 환자군 및 치료 효력

대상환자		F2/F3 섬유화 환자
치료 효력 *	MASH 해소	환자의 14~23%
	섬유화 개선	환자의 8~13%
부작용	주요증상 (>5% 이상)	구토, 설사
		약물상호 작용 (스타틴 등)
	이상 사례	담석, 방광염 발생

*위약군 보정 수치

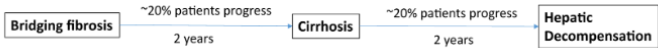
- 경쟁약물의 한계: 대상 환자군 및 치료 효력 개선 필요

		Efruxifermin	Pegozafermin
대상환자		F2/F3 섬유화 환자	F2/F3 섬유화 환자
치료 효력 *	MASH 해소	38-51%	20-24%
	섬유화 개선	24%	15-20%

*2상 결과를 바탕으로 환자수 적음. 측정 시점에 다소 차이가 있음 (24-96주)
FGF21 표적 약물에 대한 예시

- 간경화 환자의 경우 사망률 위험도 42배 증가

The 20% rule for progression in F3/4 NASH



(F2/F3 환자의 20%는 2년내 간경화 진행)

Cirrhosis (F4)

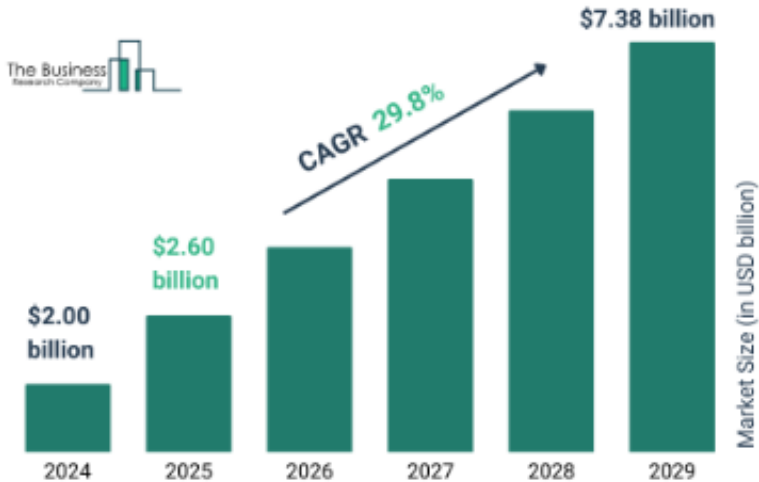
Cirrhosis is a chronic, progressive liver disease characterized by fibrosis and loss of liver function. It can lead to liver failure and portal hypertension which can result in complications like ascites, variceal bleeding and hepatic encephalopathy. Cirrhosis can also lead to liver transplant, liver cancer and death.

There is a **higher urgency to treat patients with cirrhosis** because of 42x higher risk of liver-related mortality.

목표 제품 특성 (Target Product Profile)

목표 적응증	- MASH 및 간섬유화 동반 MASH - 비만 (GLP-1 계열 비만 치료제와 병용투여)
목표 환자군	- NAS 지표 4점 이상의 MASH 환자 - BMI 30 이상의 비만 환자
투약 요법	~1 mg/kg 용량 반기별 (1회/6개월) 피하 주사
작용 기전	MARC1 mRNA 억제
목표 효능	- MASH 및 간섬유화 동시 개선 - GLP-1 계열 비만 치료제와 병용투여 시 추가 체중 감량 및 요요 현상 완화
목표 안전성	- 우수한 전신 내약성 - 심각한 부작용 (Severe Adverse Effect) 미발생

Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH) Treatment Global Market Report 2025



➤ 2035년까지 최대 35B 시장 규모 예상

MARC1 유전적 변이와 간경화 감소 연관성

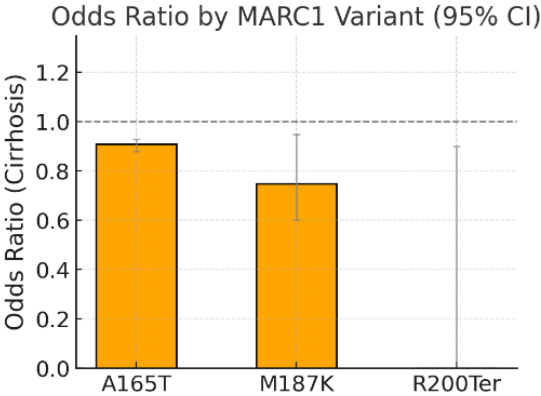
전장유전체상관분석(GWAS)

Table 2. An allelic series of variants in *MARC1* which associate with lower total cholesterol levels, alanine transaminase levels and reduced risk of cirrhosis.

MARC1 Variant	MAF	Total Cholesterol, Effect in SD (CI)	Alanine Transaminase, Effect in SD (CI)	Cirrhosis, Odds Ratio (CI)
A165T	29%	-0.030 (-0.035, -0.025), $p = 1.9 \times 10^{-36}$	-0.025 (-0.028, -0.021) $p = 3.7 \times 10^{-43}$	0.91 (0.88, 0.93), $p = 2.3 \times 10^{-11}$
M187K	1.1%	-0.053 (-0.074, -0.032), $p = 7 \times 10^{-7}$	-0.032 (-0.053, -0.012), $p = 0.001$	0.75 (0.60, 0.95), $p = 0.01$
R200Ter	0.009%	-0.16 (-0.32, -0.01), $p = 0.04$	-0.24 (-0.43, -0.05), $p = 0.02$	0 (0, 0.90), $p = 0.04$

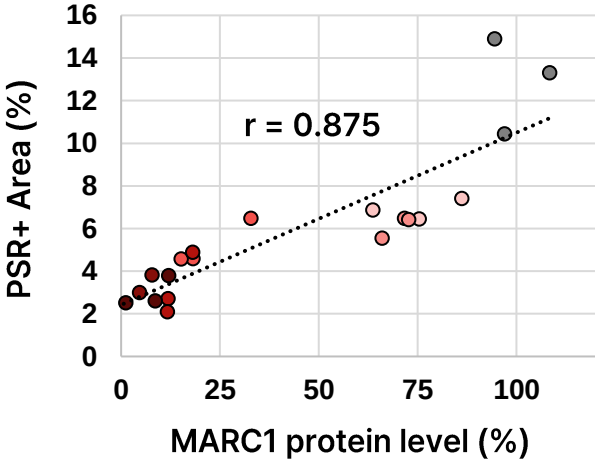
Loss-of-function variant

Minor allele frequency refers to minor allele frequency in UK Biobank. MAF, minor allele frequency; Dir., direction; SD, standard deviation; OR, odds ratio



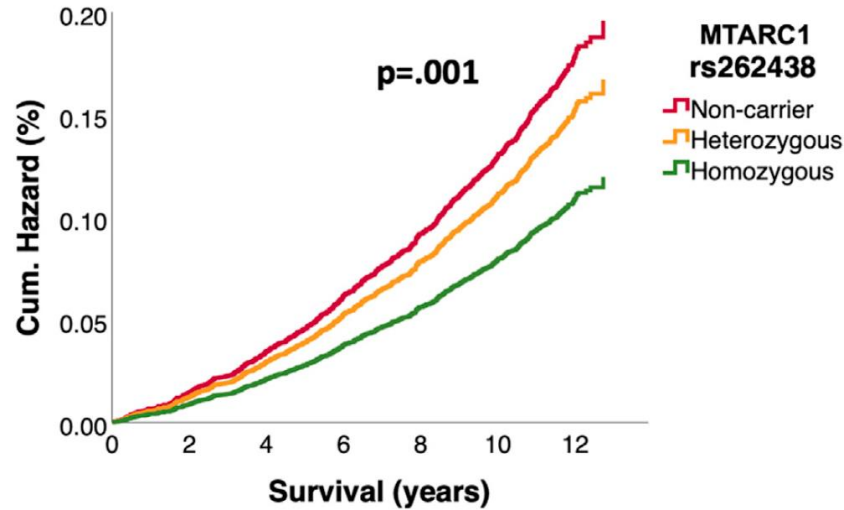
- MARC1 p.A165T, p. M187K and p.R200Ter 유전적 변이는 ALT, 혈중 콜레스테롤 증가 및 간경화 위험을 낮추는 것으로 보고됨.
- 특히, p.R200Ter 유전적 변이는 극적으로 간경화 발생을 낮춤:
 - 238명의 R200T carriers들 중 간경화 환자 0명.
- A165T 등은 missense variant(SNP)로 발현 억제 효과가 제한적이며, GalNAc-siRNA 접근시 R200Ter와 같은 LoF 변이에 근접한 강력한 억제가 가능함.

간섬유화 동물 모델 (MARC1 vs 섬유화 연관성 분석)

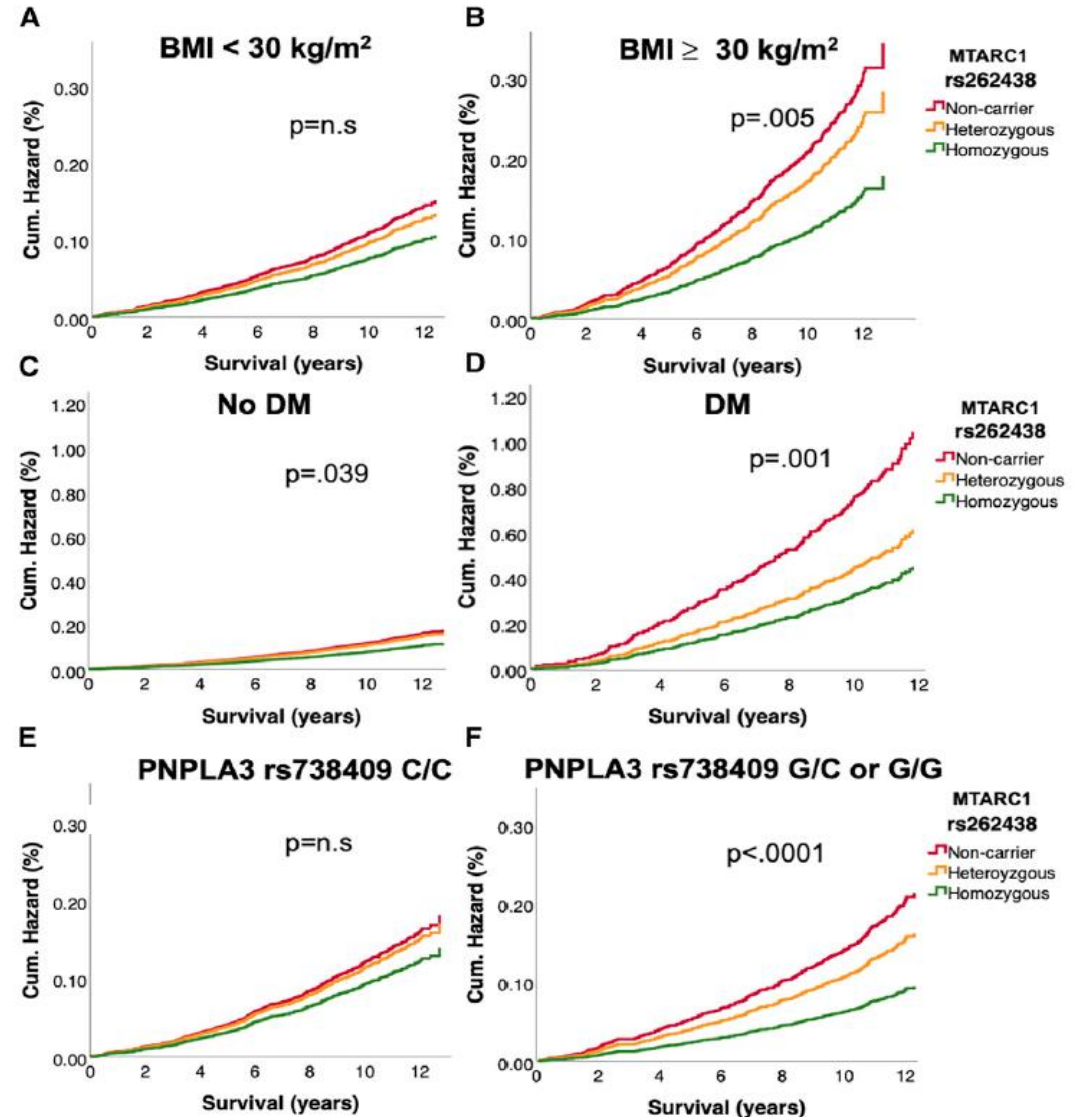


■ MARC1 변이와 간 질환 관련 사망률 감소 연관성

간 질환 관련 사망률 감소는 간경화 감소와 밀접한 연관

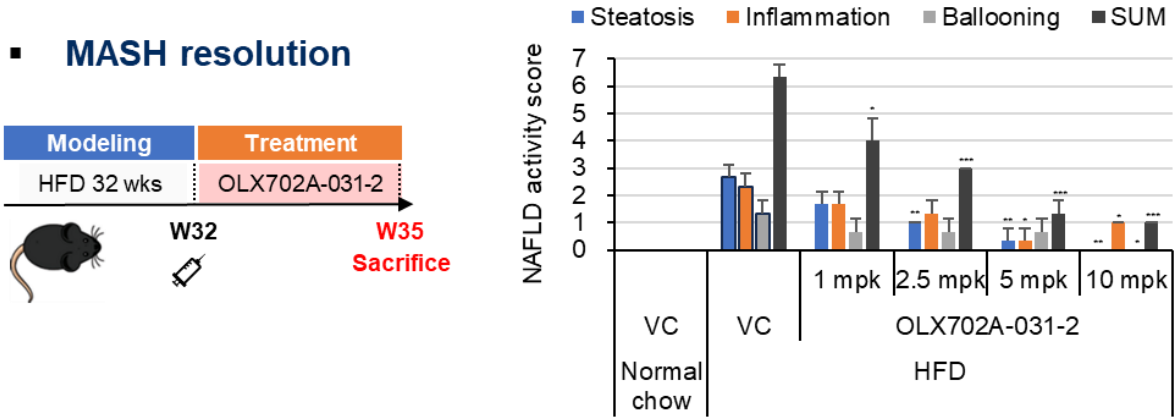


- MTARC1 rs2642438 변이는 간 관련 사망 위험을 감소시키고, 그 효과는 비만이나 당뇨병이 있는 환자에게 더욱 두드러짐 (우측 A-D그래프).
- 특히 경쟁 약물 중 하나인 PNPLA3 siRNA가 PNPLA3 rs738409:G/G(homozygotes)로 환자군이 제한되는 반면, MTARC1 rs2642438 변이는 **PNPLA3 rs738409:G/C(heterozygotes)** 에서도 간 질환 관련 최대 40% 사망률을 감소시킴 (우측 F 그래프)

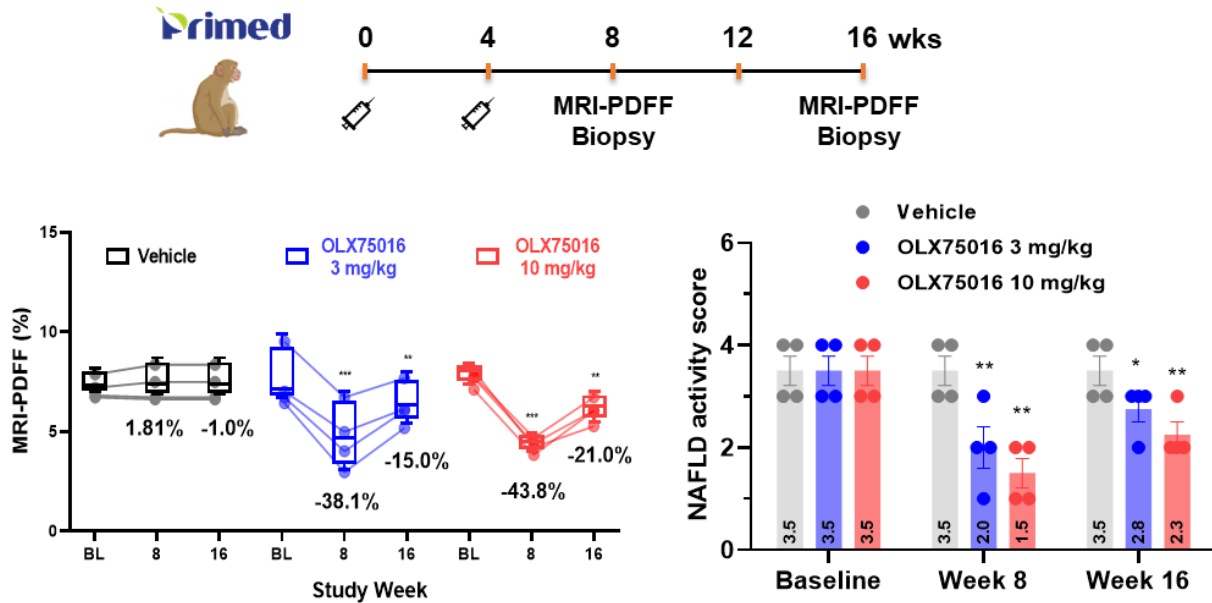


전임상 데이터로 GWAS 결과 완벽 재현

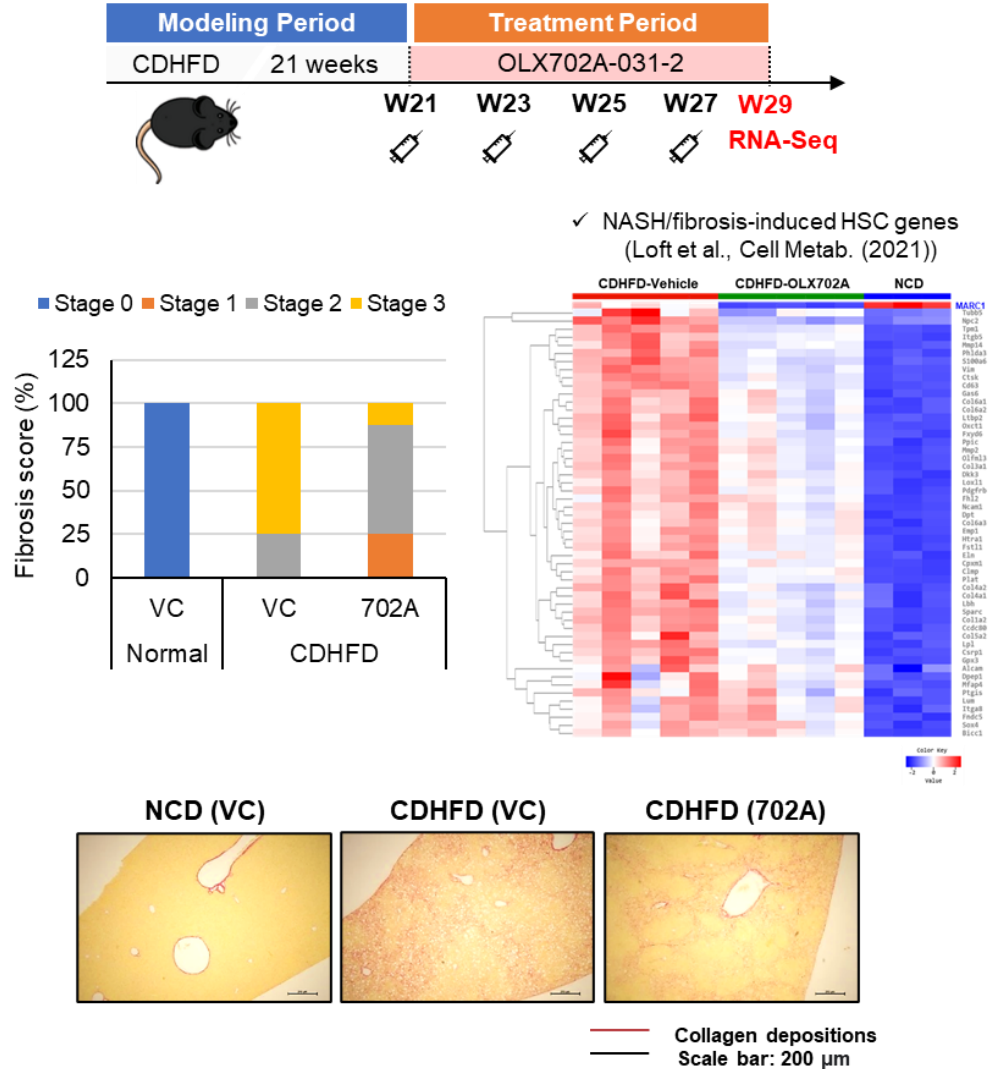
MASH resolution



Spontaneous NHP MASH model

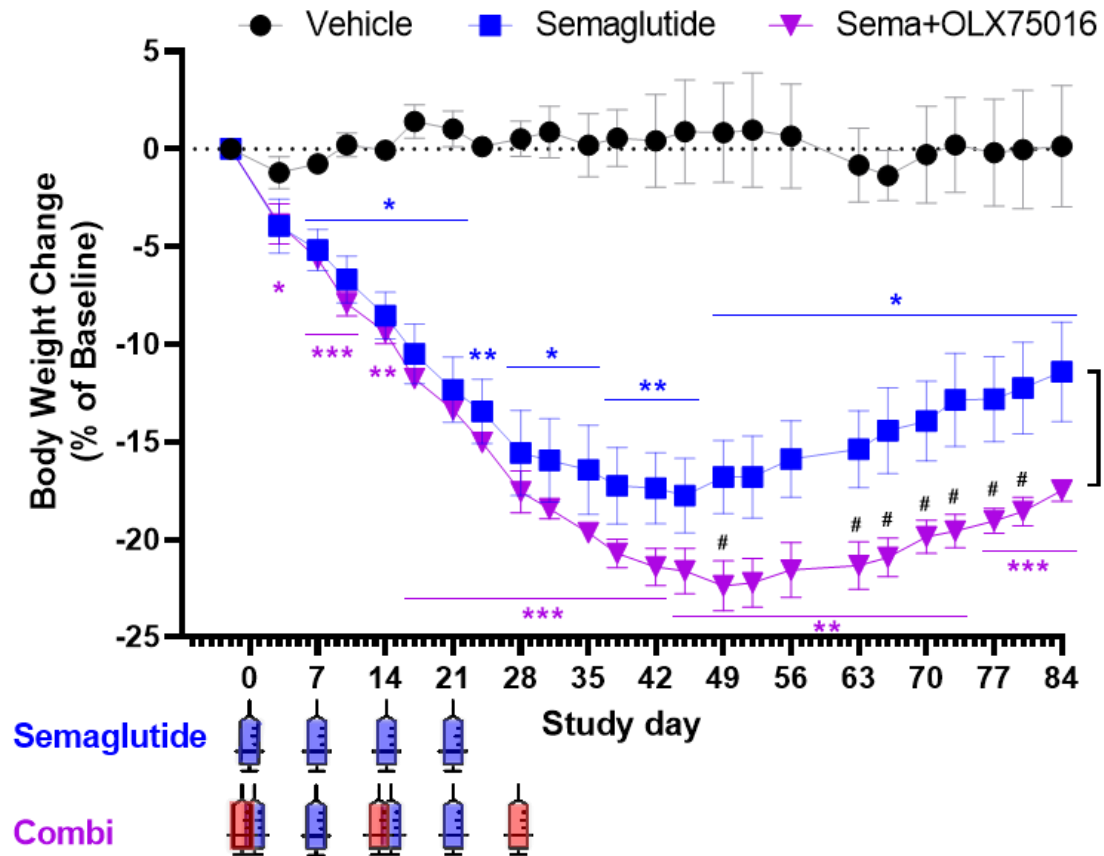


Fibrosis reduction

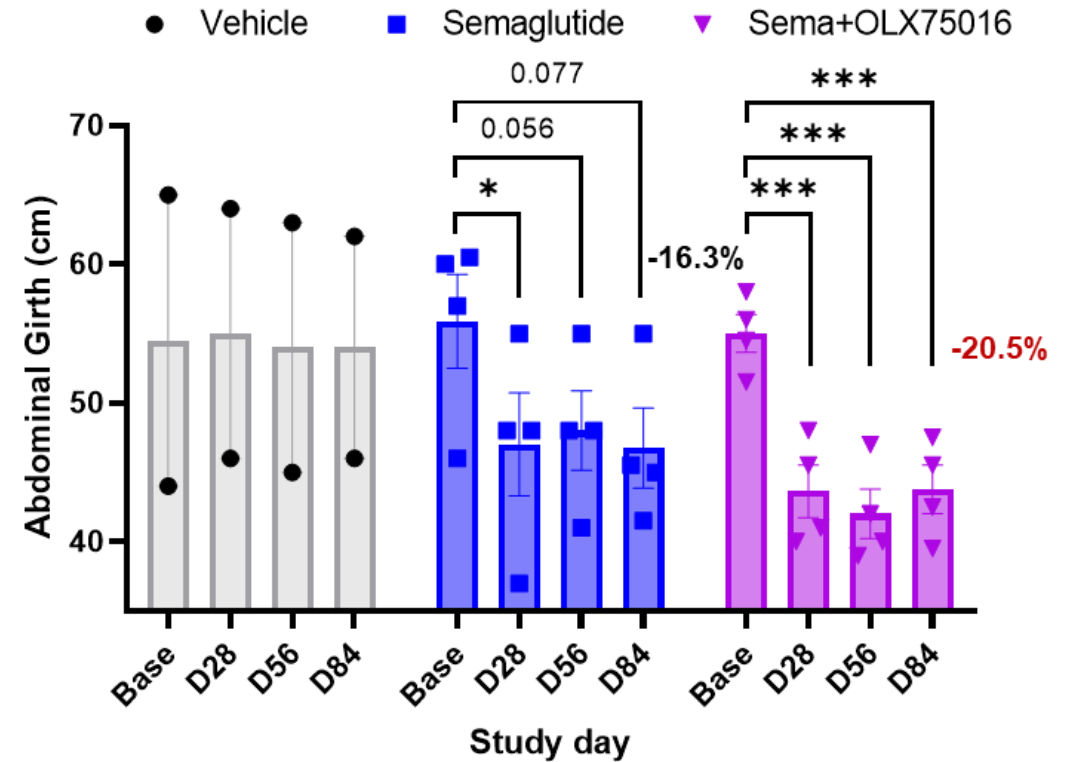


전임상 결과로 GLP-1 병용 시 비만 타겟 가능성 확인

Body Weight Change

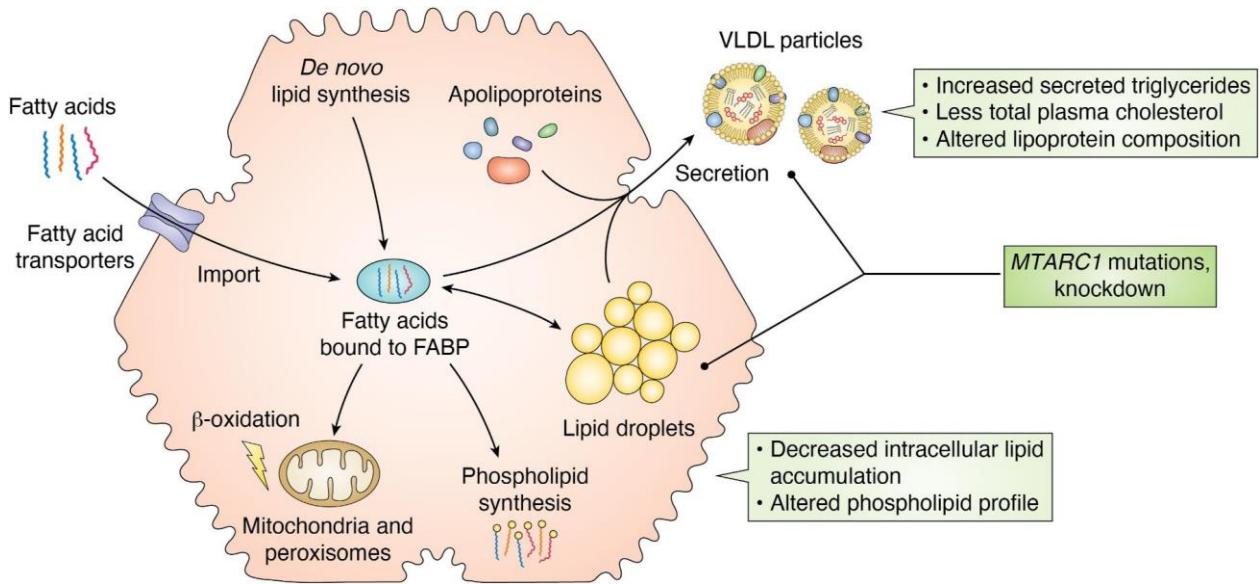


Abdominal Girth

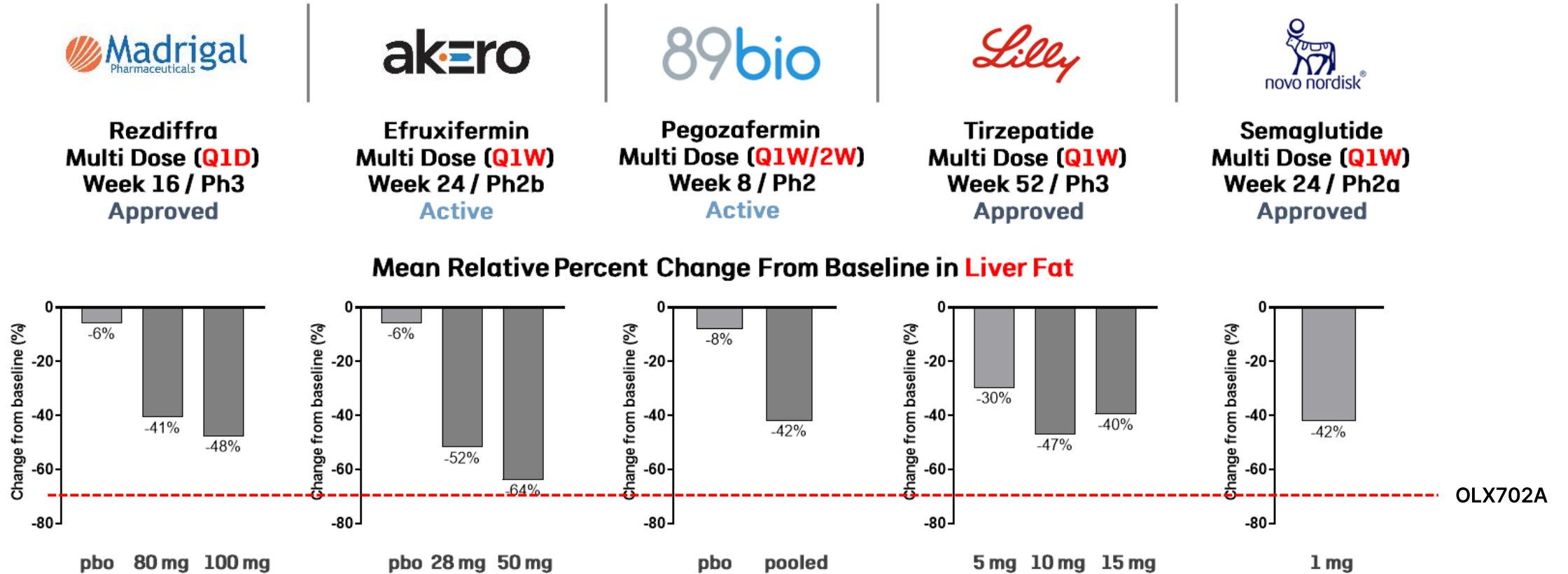


MARC1 siRNA 차별점: 미토콘드리아 기능 향상

항목	OLX702A (MARC1 siRNA)	THR-β 작용제 (예: Resmetirom)	FGF21 유사체 (예: Efruxifermin)
주요 기전	미토콘드리아 활성화	간 지방 산화 촉진	지질 대사 및 염증 억제
세포 보호	ROS/RNS 감소	지질 감소로 인한 염증 완화	항염·대사 조절 신호 활성화
지방 감소	지방산 산화 촉진 독성 지질 제거	지방산 산화 촉진 지방산 합성 억제	지방산 유입 억제 지방산 산화 촉진
섬유화 억제	지방 독성 감소 HSC 활성 차단	간 지방 감소로 간접적 섬유화 완화	대사 개선으로 간접적 섬유화 완화
유래	GWAS 기반	내인성 호르몬 기반	
투여 방식	피하 주사 (6개월 1회)	경구 (매일)	피하 주사 (주 1회)



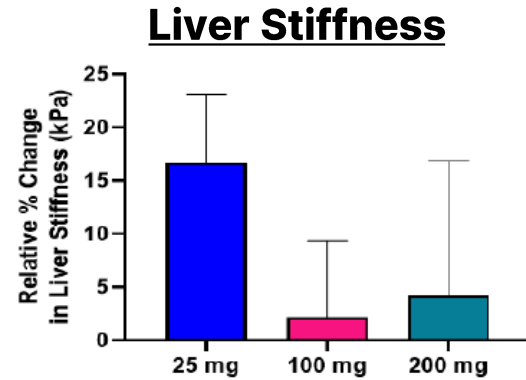
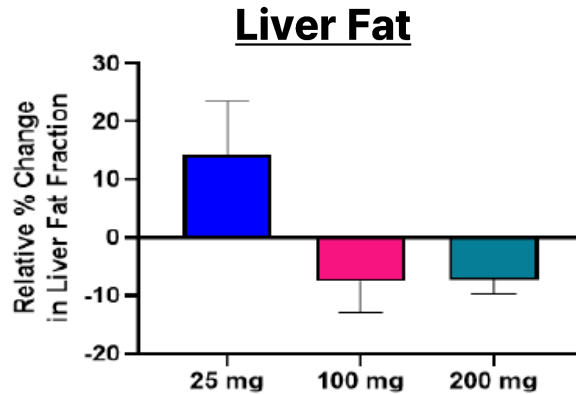
승인/임상 3상 MASH 치료제 대비 경쟁 우위점



- 효력: 현재 진행중인 OLX702A 임상 결과 **단회 투여**로 **평균 60-70%** 간 지방 함량 감소, **최대 90%** 간 지방 감소
경쟁 약물 **일 1회/주 1회 장기 투여**에도 간 지방 **평균 50-60%** 감소
- 투여 주기 (편의성): OLX75016은 **반기별(1회/6개월) 투여**로도 **일 1회/주 1회의 투여** 경쟁 약물 대비 동등/우월한 효력을 기대함.

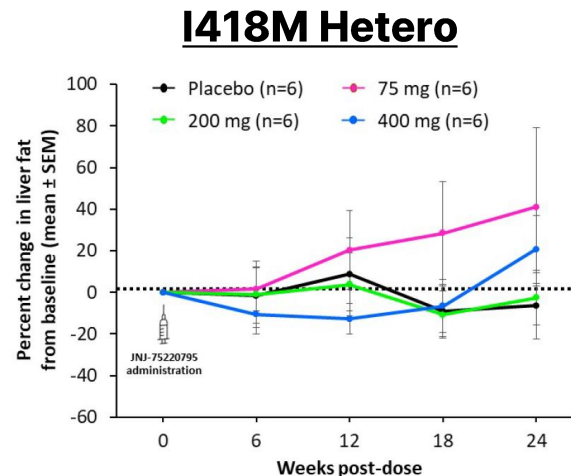
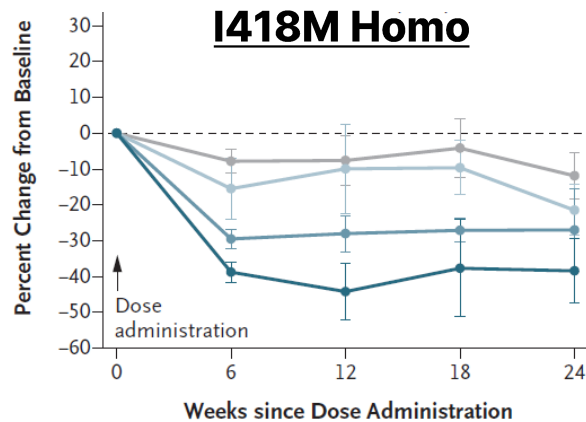
■ GWAS 기반 경쟁 약물 대비 우위 점: HSD17B13 & PNPLA3

■ HSD17B13: 간 지방 감소 미미, 일부 지표 악화



- ARWR 임상 1/2a상에서 한 달 간격 2회 투여에도 **매우 낮은 지방간 감소 효력**을 보였으며, 간섬유화 지표인 **간경도는 오히려 다소 악화됨**
- Alynlam Phase 1b 결과에서도 시장 기대에 못 미치는 결과 도출

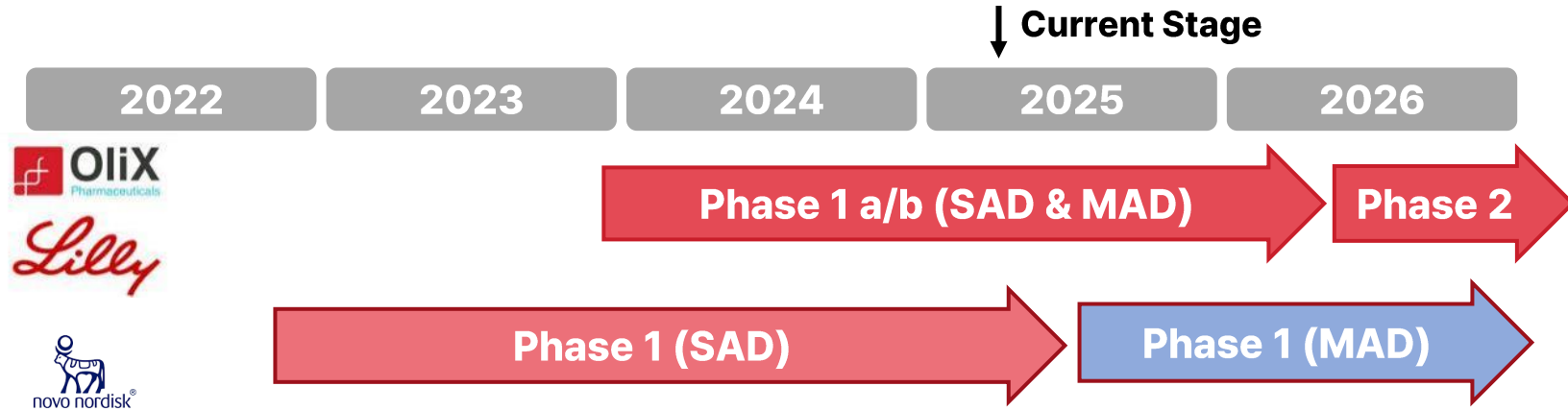
■ PNPLA3: 환자군 제한, 효능 열세



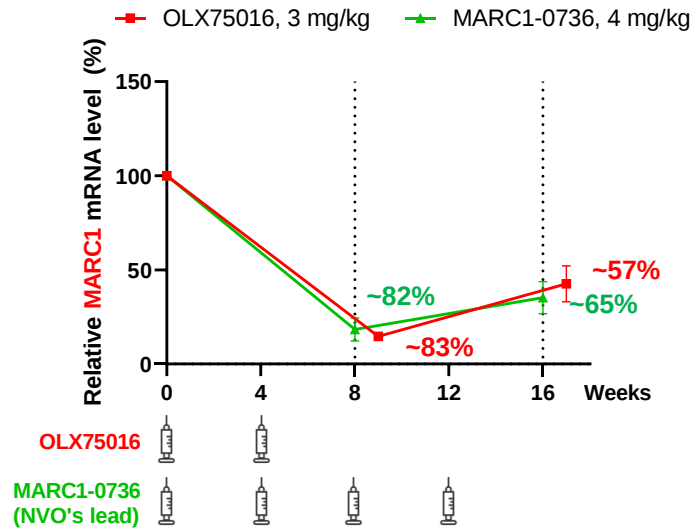
- 임상 1상 결과, 최고 용량(400 mg)군에서 **평균 ~40%의 간 지방 감소**로 **OLX75016 및 기승인 치료제 대비 열등한 효력**을 보임.
- 더욱이 해당 효력은 **PNPLA3 I418M homozygote**로 분류된 환자군으로 제한됨.

■ 노보노디스크 MARC1 siRNA 대비 우위 점

■ 개발 속도



■ 효력 (원숭이 비임상 시험 결과)

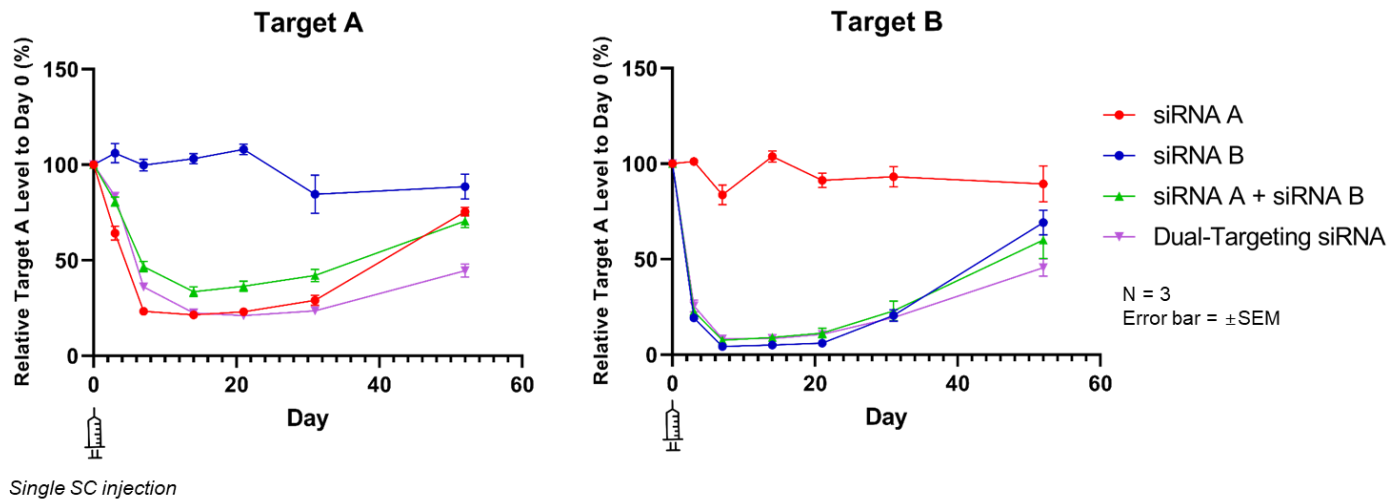


- OLX75016의 경우 노보의 MARC1-0736 (best efficacy in NHP) 대비 ¾ 용량에서 동등한 목표 유전자 억제능을 보임
- OLX75016 마지막 투여 후 13주 시점의 효력이 Novo MARC1-0736 마지막 투여 후 4주 시점의 효력과 동등함.
투여 후 효력 유지 기간에서 명확한 우위를 보임.

물질	마지막 투여 후 시점	
	4-5 주	13주
OLX75016	83% KD (5주)	57% KD
Novo MARC1-0736	65% KD (4주)	-

■ 올릭스 Dual 타겟팅 플랫폼을 통한 확장 가능성

MARC1 + 비만/심혈관 등 (선도물질 도출 활발히 진행중)



❖ 계약 사항: 타겟 유전자인 'MARC1'과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적으로 하는 치료제를 개발할 경우 릴리는 동 치료제에 대한 우선적인 권리를 가지며, 이로 인해 상기 총 계약금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있음

➤ 두 GalNAc-asiRNA 혼합군 (초록) 대비 dual 타겟팅 플랫폼 (보라)의 동등 또는 일부 우수한 효력 및 지속기간 확인

- 현재 MARC1 단독 개발과 병행하여, 병용 시 시너지가 기대되는 복수의 신규 타겟을 기반으로 다중 타겟 치료제 개발을 적극 추진 중
- 해당 치료제가 릴리의 우선권 대상이 될 수 있어, 기존 계약금 외에 추가 기술료 또는 독점적 협상 기회로 확장될 가능성도 열려 있음

03

OLX104C



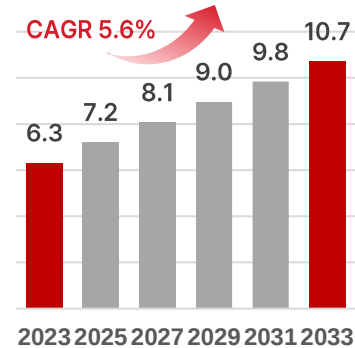
■ 안드로겐성 탈모 (Androgenetic alopecia, AGA)

유전적 배경과 남성 호르몬이 주요 발병 원인

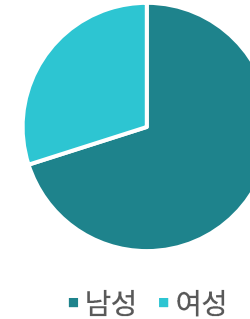


❖ 탈모 시장 정보

글로벌 남성형 탈모 시장 전망
(USD Billion)



글로벌 남성형 탈모 환자 성비
(2022)



남성형 탈모 치료, By End-use
(2023)

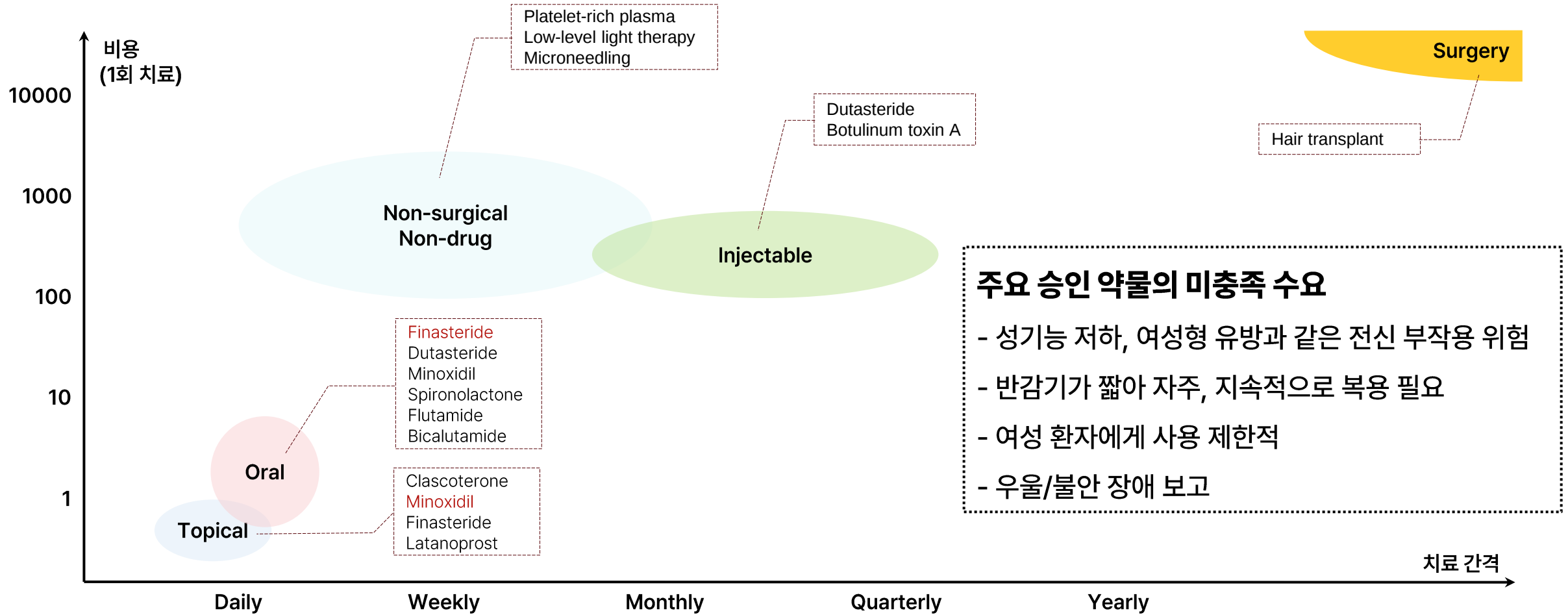


의료기관(병원, 클리닉)이 절반 이상

- 미국: NIH에 따르면 8,000만 명(남성 50M, 여성 30M)이 남성형 탈모 환자
- 한국: 남성형 탈모 유병률¹을 감안할 때 남성환자는 360만명, 여성 환자는 140만명으로 추정
최근 10-20대 젊은 층과 여성 탈모 환자 급증

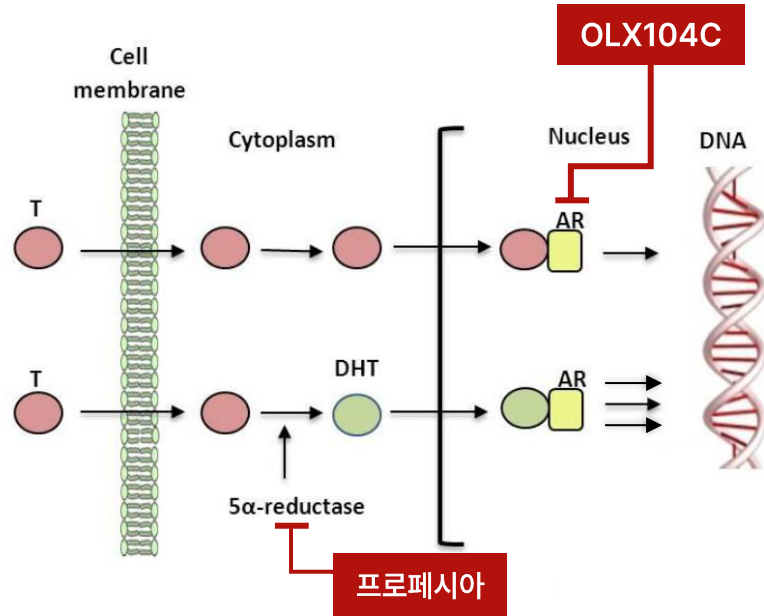
■ AGA 치료법 및 Unmet Needs

다수의 미승인 치료 진행중 [1] -> 신규 치료에 대한 수요 [2]



OLX104C의 차별점

타겟 우수성 / siRNA 모달리티 / 피내투여 방식



T: 테스토스테론
DHT: 다이하이드로테스토스테론

◆ AR 타겟 우수성

- 5α-환원효소 억제제 대비 여성 환자 안전성
- 여성 환자에 대해 기전적¹, 임상적²으로 우수

◆ siRNA 모달리티

- 낮은 투여 빈도 (효력 장기 지속)
- 낮은 전신 작용 (제한적인 조직 분포 및 전달)

◆ 피내 투여

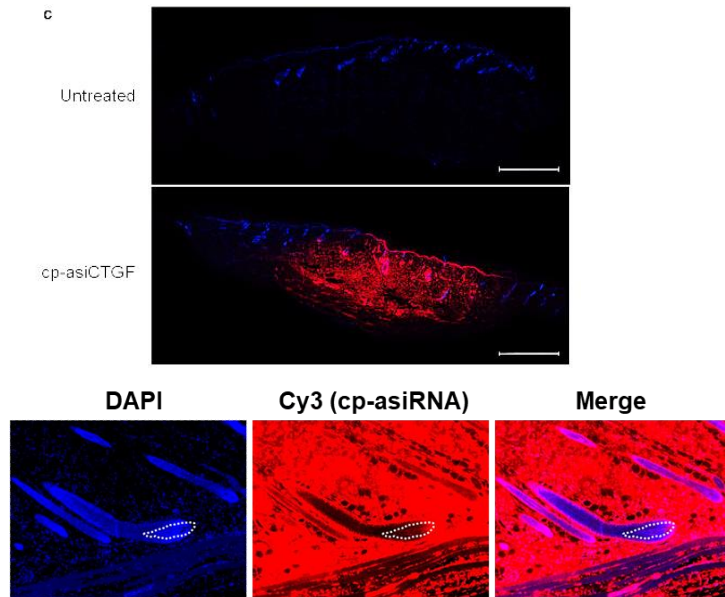
- 강한 국소 반응 (높은 국소 분포도)
- 낮은 전신 작용 (느리고 제한적인 전신 노출)

항목	Product Profile
적응증	안드로겐성 탈모
타겟 환자군	안드로겐성 탈모를 가진 남성 및 여성
투여경로 및 간격	탈모 부위 피내 투여 4주 1회 또는 8주 1회
작용기전	DHT가 결합하는 안드로겐 수용체(AR)의 발현을 억제 함으로써 그 하위의 탈모 유발 신호를 억제하는 기전
임상효과	탈모부위에서 총 모발 수의 개선
안전성	낮은 전신 노출로 인한 부작용 감소 전신 및 국소 안전성, 내약성 우수

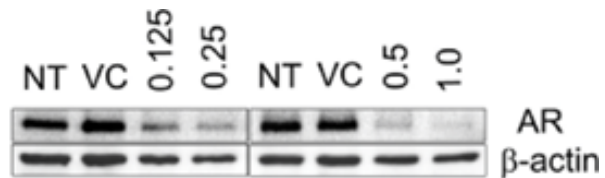
- AGA의 핵심 신호전달 경로: DHT 결합을 통해 활성화 되어 모낭 염증, 섬유화를 유발하는 유전자를 활성화
- AGA 환자의 탈모 부위에서 AR 유전자 발현 증가
- AR 녹아웃 마우스를 이용한 탈모 모델에서 발모 효력 증가

■ 국소 전달 cp-asiRNA 플랫폼을 통한 피부 전달 및 탈모 억제 효능 검증

■ 국소 주사를 통한 우수한 피부 전달

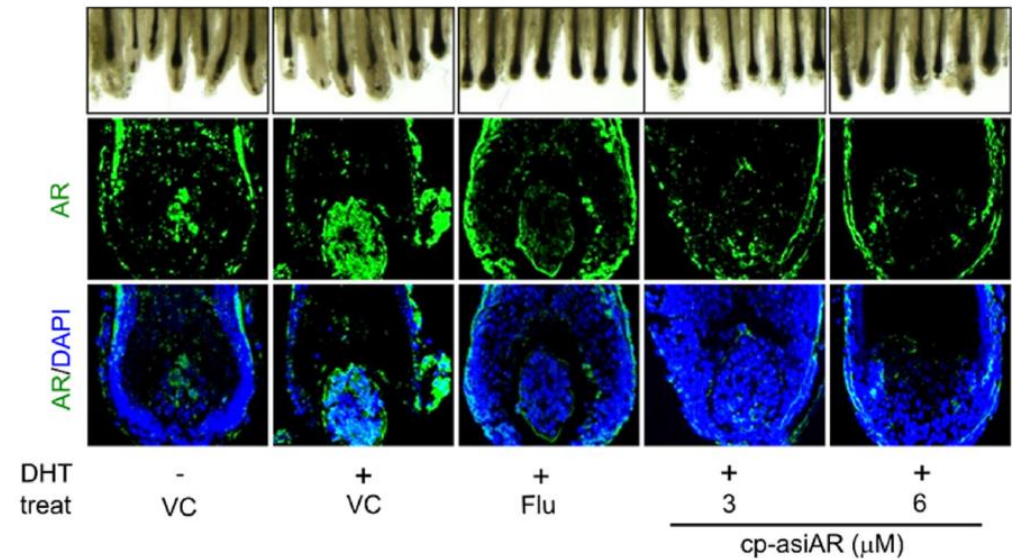


✓ 피부 및 모유두 세포 전달 확인

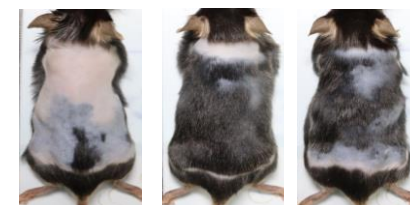


✓ 우수한 타겟 억제 효력 확인

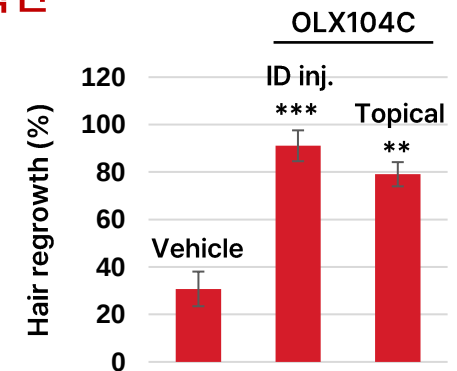
■ 탈모 환자 모낭 대상 ex vivo 검증



■ 마우스 AGA 모델 발모 효과 확인



Vehicle ID inj. (single) Topical (daily)
OLX104C



■ OLX104C 임상 1a상 결과 요약

단회용량상승(SAD) 시험에서 우수한 안전성 및 내약성 확보

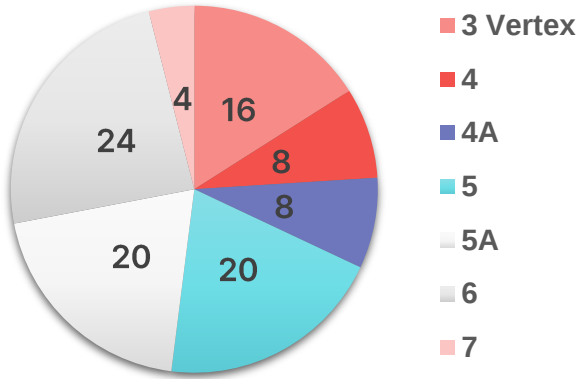
디자인	환자 수	환자군	투여 정보	1차 평가지표	2차 평가지표
무작위, 이중맹검, 위약 대조	25 (Active: 17, Placebo: 8)	Mild to Severe AGA	5군 (5단계 용량) ¹	안전성 및 내약성	PK

- ✓ 다양한 탈모 단계 환자군 참여

✓ 투여 관련(possibly) 중등도(moderate) 반응 2건²이며 그 외 모두 경증

✓ 시험 중도 탈락자 없음

Norwood-Hamilton Classification (%)
Total 25 participant in SAD study



	OLX72021 투여군(%)	Placebo 군(%)
투여 직후 반응 관찰된 환자 수	11 (64.7)	6 (75.0)
투여 관련 반응 관찰된 환자 수	3 (11.8)	2 (25.0)
신경계	2 (11.8)	1 (12.5)
↳ 두통	2 (11.8)	1 (12.5)
투여부위 반응	1 (5.9)	1 (12.5)
↳ 피로	1 (5.9)	0 (0)
↳ 열감	0 (0)	1 (12.5)

- Phase 1b/2a (예정)
 - 2025년 상반기 HREC 제출, 2025년 하반기 HREC 승인 및 환자 모집
 - 2026년 환자 투여, 2027년 상반기 주요 탑라인 데이터 확보 예정

1. 우수한 안전성으로 중간 용량 옵션을 생략. 2. 두통 반응으로 해열제 복용 후 당일 해소.

03

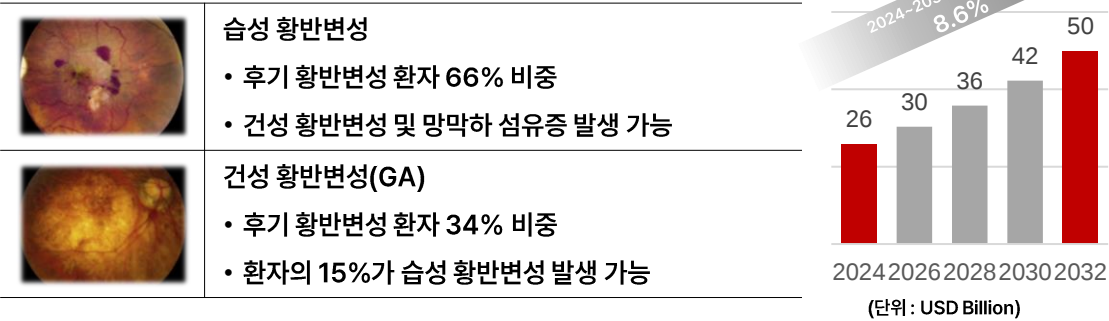
OLX301A



GA 시장의 성장과 MyD88 타겟 기반 신규 치료 전략

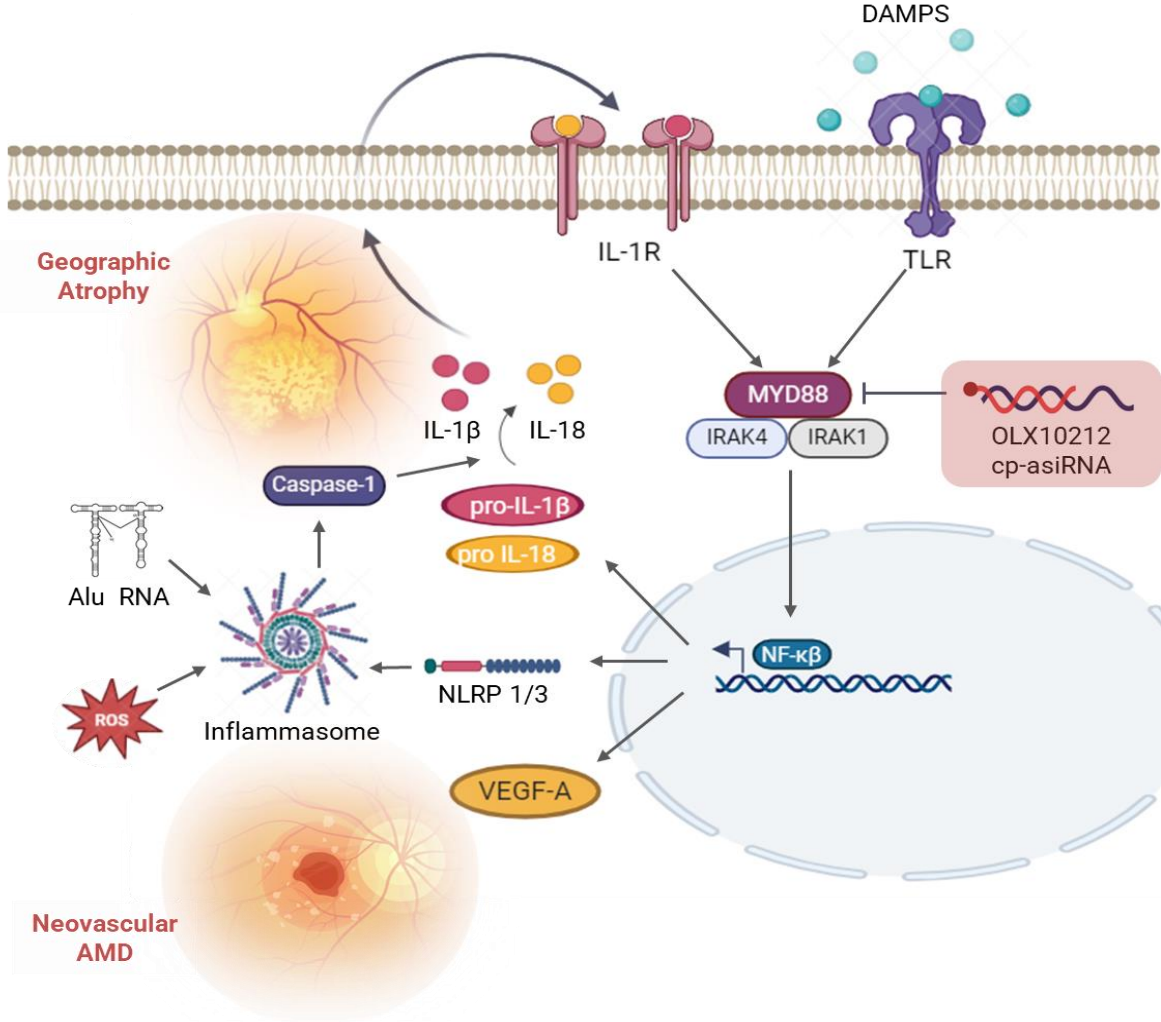
노인성 황반변성

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



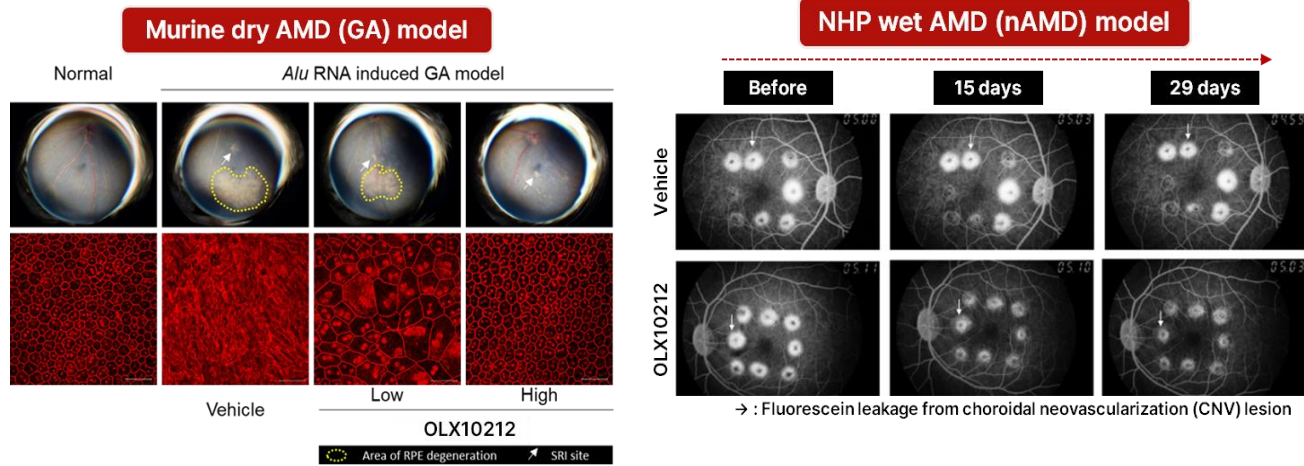
- 기존 치료제의 한계 (Syfovre, IZERVAY)
 - IOI 등 안전성 이슈 잦은 주사 필요, CNV 발생 위험 증가 (7% vs 3.6%)
 - 시력 개선 효과 없음, EMA 승인 실패, 유럽 등 주요 시장 미승인

MyD88 타겟을 통한 광범위 염증 경로 억제 기전

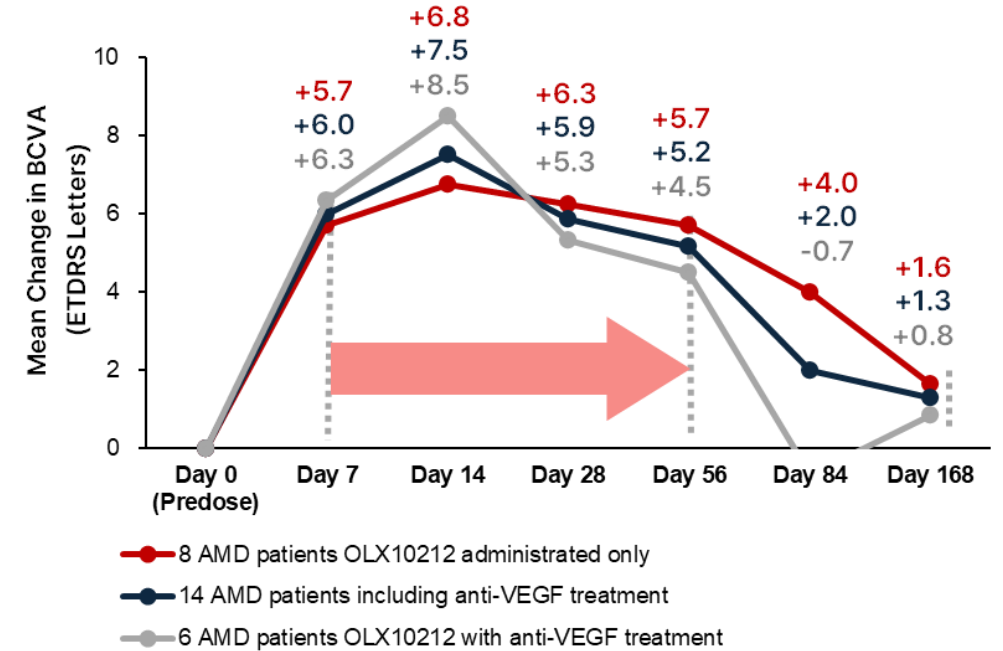


■ OLX301A: 건·습성 AMD 모두에 효과적인 first-in-class RNA 치료제

우수한 비임상 효능 및 초기 임상에서의 안전성·예비효력 확인



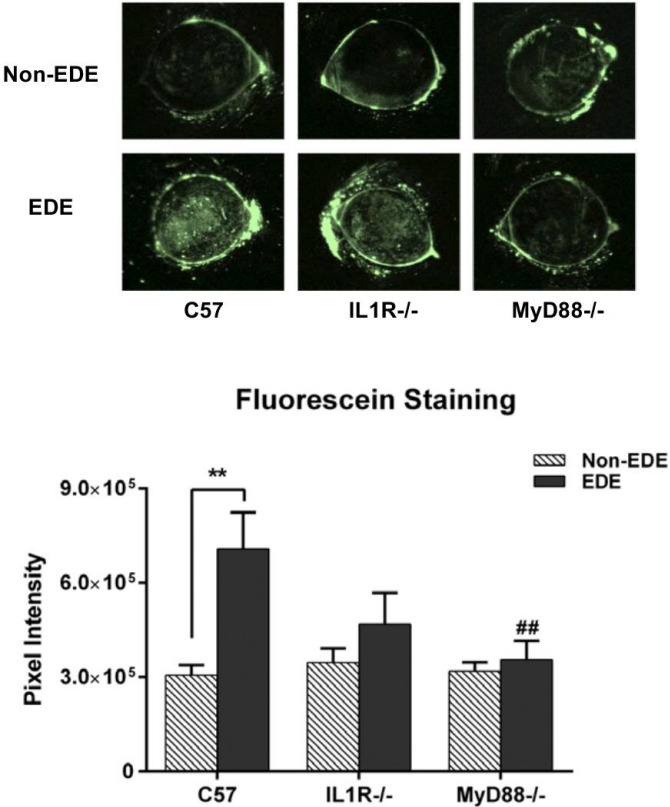
- MyD88을 타겟으로 한 first-in-class siRNA 치료제
- 건·습성 AMD 모델 모두에서 우수한 치료 효과 확인
- 마우스 모델에서 RPE 퇴화 억제 및 조직학적 정상화 유도
- 영장류 모델에서 CNV 형광 누출 억제, 시각적 병변 개선



- OLX301A SAD 연구에서 고용량 투여군에서 투여 후 24주간 약물 관련 이상반응 없음.
- BCVA 5자 이상 개선 환자 비율: SAD 환자 14명 중 9명
- 효과는 평균 2개월, 최대 5개월까지 지속되어 장기 효력 확인됨.
- GA 약물 중 드물게 시력 개선 가능성 제시

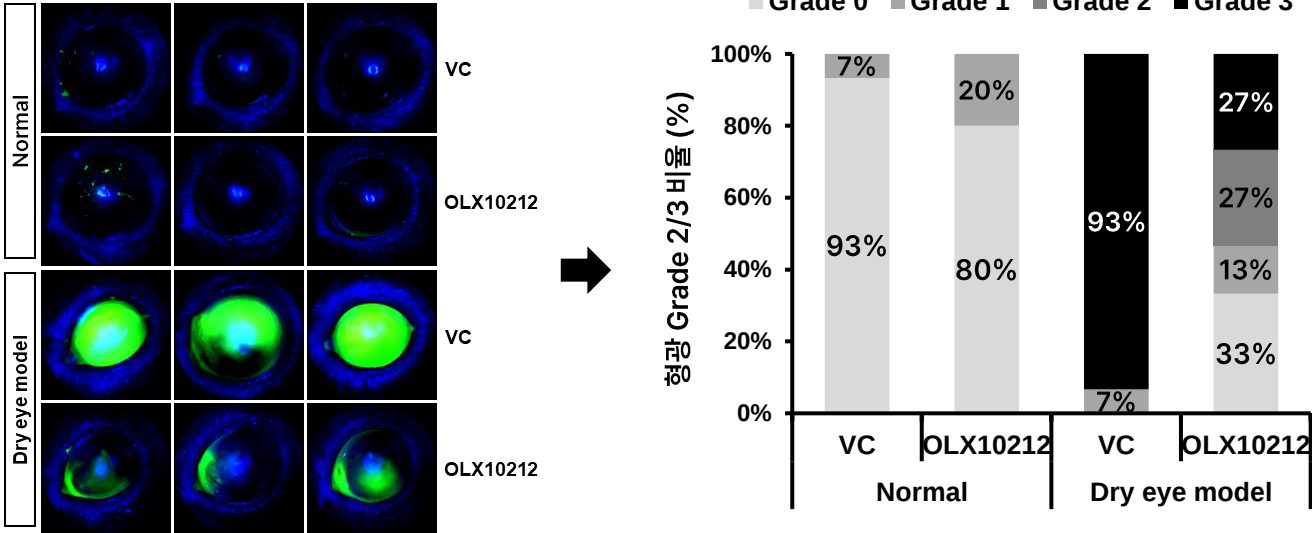
안구건조증 치료를 위한 적응증 확장가능성 및 전임상 유효성 확보

기존 문헌 보고 (IOVS, 2018)



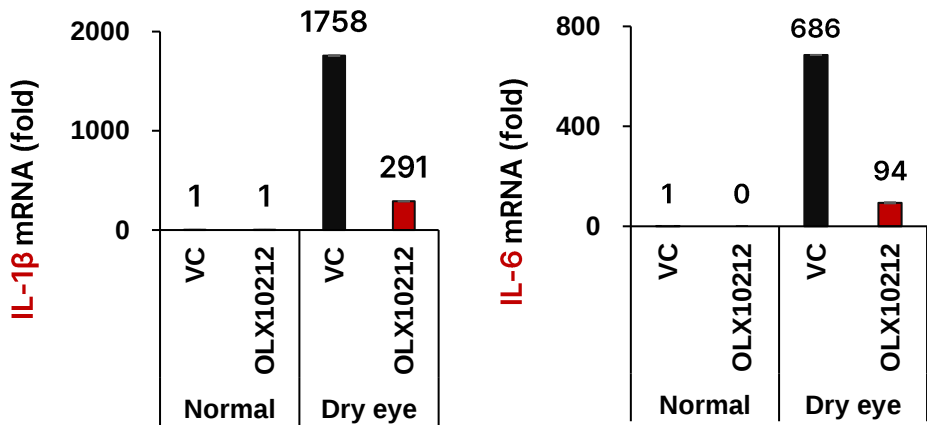
➤ MyD88 결핍 생쥐는 건성안에 의한 각막 손상으로부터 보호받음 (Reins et al., 2018)

점안 투여를 통한 각막 손상도 감소



* Grade 2/3: 중등도 이상의 각막 상피 손상

염증 수치 감소



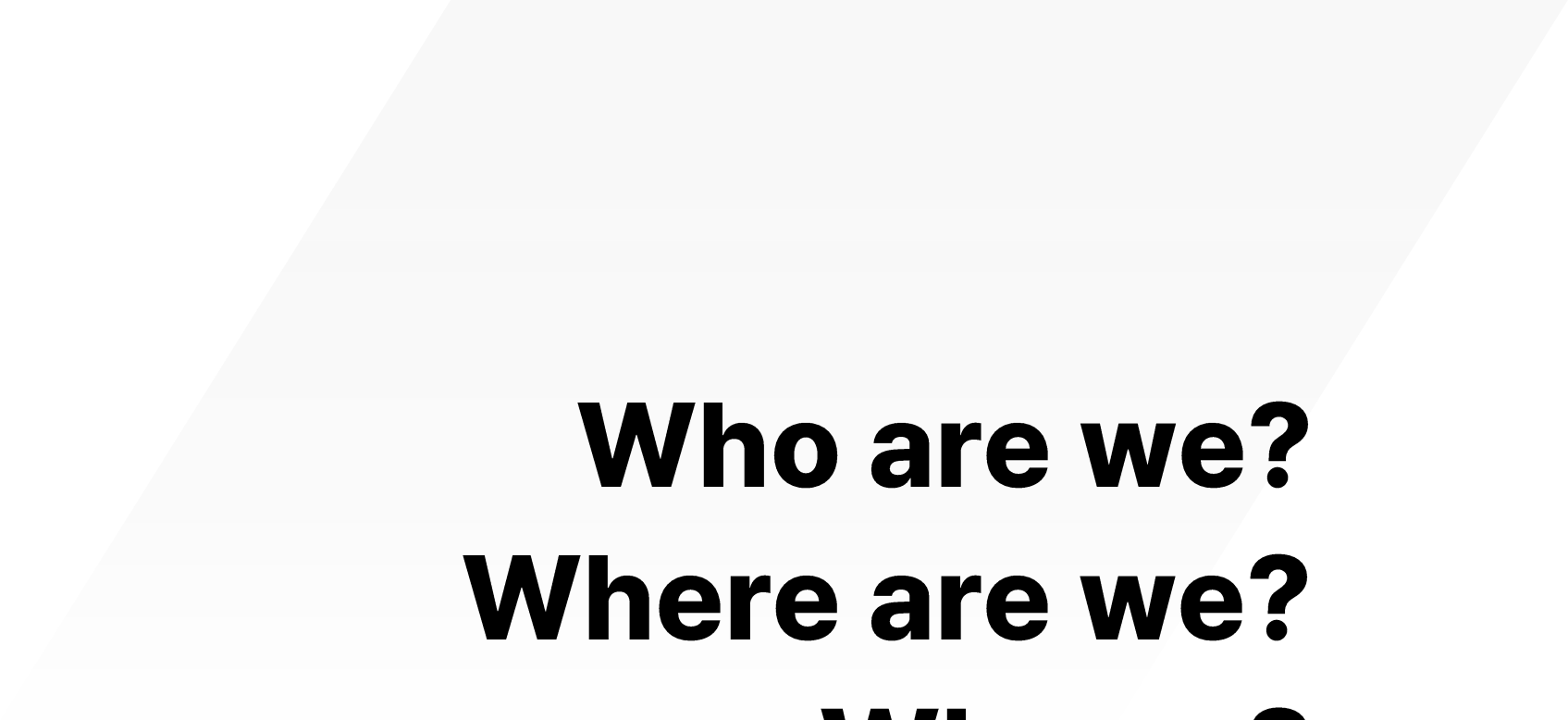


R&D Day 2025

April 29, 2025

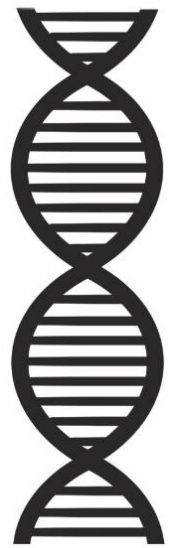
BD Kelly Kim





Who are we?
Where are we?
Why us?
What now?

Who We Are



DNA



RNA



단백질



Who We Are



■ Global siRNA Companies

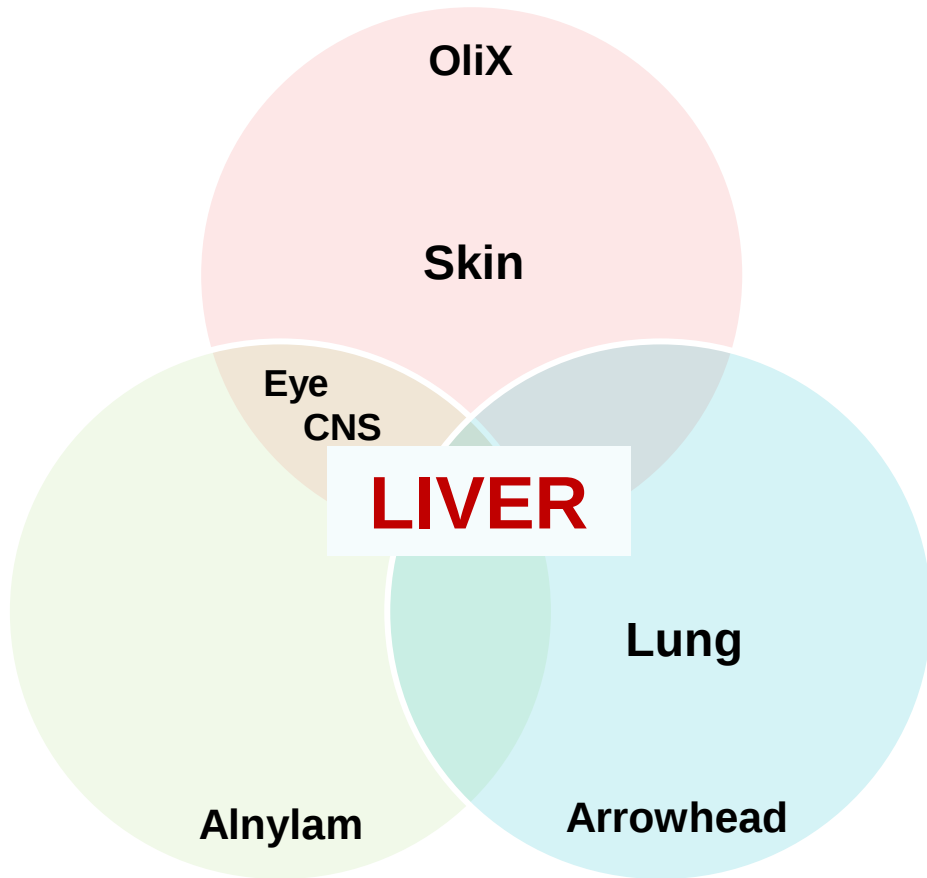


OliX Positioning

Company Name	Alnylam	Arrowhead Pharmaceuticals	OliX Pharmaceuticals
Founded	2002	2004	2010
Market Cap	\$30B	\$1.6B	\$710M
Revenue	\$2.25B	\$240M (2023) \$3.55M (2024)	\$3.86M
# of Employees	2230	610	95
# of Main Pipeline	22	13	12
Platform	ESC-GaINAc	TRiM™	cp-asiRNA / GaINAc-asiRNA

Dicerna acquired by Novo Nordisk for \$3.3B in 2021

Liver-targeting Trend



# of Clinical CVM Pipeline	
OliX	1 (6 preclinical)
Alnylam	7
Arrowhead	7
Novo Nordisk	36 (2 siRNA)
Lilly	27 (4 siRNA)

\$22B licensing deals + \$17B M&A in 2024, just for CVM (심혈관대사질환)



1. License and Collaboration w. *Lilly*

2. Upcoming Scientific Collaboration

License & Collaboration with Lilly



Agreement Overview

※ Details of the deal have not been disclosed

Contracting Party	Eli Lilly and Company (“Lilly”)
Contract Size	USD 630,000,000 (약 9100억원)
Program	OLX702A - MASH and Other Cardiometabolic Indications
Details	• OliX grants Lilly an exclusive, royalty-bearing global license for OLX702A. • OliX will continue and complete Phase 1 clinical activities, while Lilly will conduct further research, development, and commercialization. • ※ If OliX develops a treatment targeting MARC1 along with one or more additional target genes, Lilly will have a preferential right to these therapies. This may increase the total contract value or result in additional agreements.

About Eli Lilly and Company

- 1st among pharmaceutical companies by market value (2024)
- 7th in total U.S. market capitalization (2024)
- Developer of leading therapies **Mounjaro** (diabetes), **Zepbound** (obesity), and **Prozac** (depression)

■ Why Lilly Chose Us?

1. OLX702A, Strong GalNAc 프로그램

- MARC1, 검증된 타겟
- First-in-class 가능성
- GalNAc PT collaboration

2. 파트너십의 시작

- MASH + TZP 병용 데이터로 미팅 (11/2023)
- 약물 지속효과 및 플랫폼의 robustness 대한 높은 관심
- 긴밀한 논의 진행 → License 계약 체결

3. CVM을 위한 전략적 선택

- siRNA, hot, validated modality
- MASH: high unmet needs, 높은 시장 잠재력
- Obesity 등 다양한 CVM 적응증으로 확장 가능



Lilly's \$700M DNA/RNA R&D Center in Boston (Aug. 2024)

■ Why This Deal Matters?

1. Dual Targeting 옵션 → 파이프라인 확장성 확보

- MARC1 + α program 확보 시, deal 확장 and/or 추가 deal 가능
- 플랫폼 evaluation을 기반으로 계약

2. 확장 가능한 적응증 → 로열티 증가

- MASH를 넘어 다양한 CVM 질환으로 확대 가능
- 적응증 ↑ , Royalty ↑

3. Top pharma / Metabolic Leader → 파트너의 선택

- MASH: *Big Pharma*의 무덤 으로 불리는 어려운 영역
- siRNA 외에도 수많은 후보 중 OLX702A를 선택
- 기술력 + 잠재력 입증 → Strong reference point



1. OLX301A Out-licensing

- Robust ocular asset
- Huge unmet needs
- 복수의 big pharma와 논의 중

2. Platform Deal

- Hansoh-like deal 언제든지 가능
- 중국 포함 많은 global 회사들 관심
- 다수의 기술이전으로 platform potential 입증
 1. GalNAc Platform
 2. Cp Platform



Finance Strategy Overview for Sustainable Growth

April 29, 2025

CFO 김영진 상무



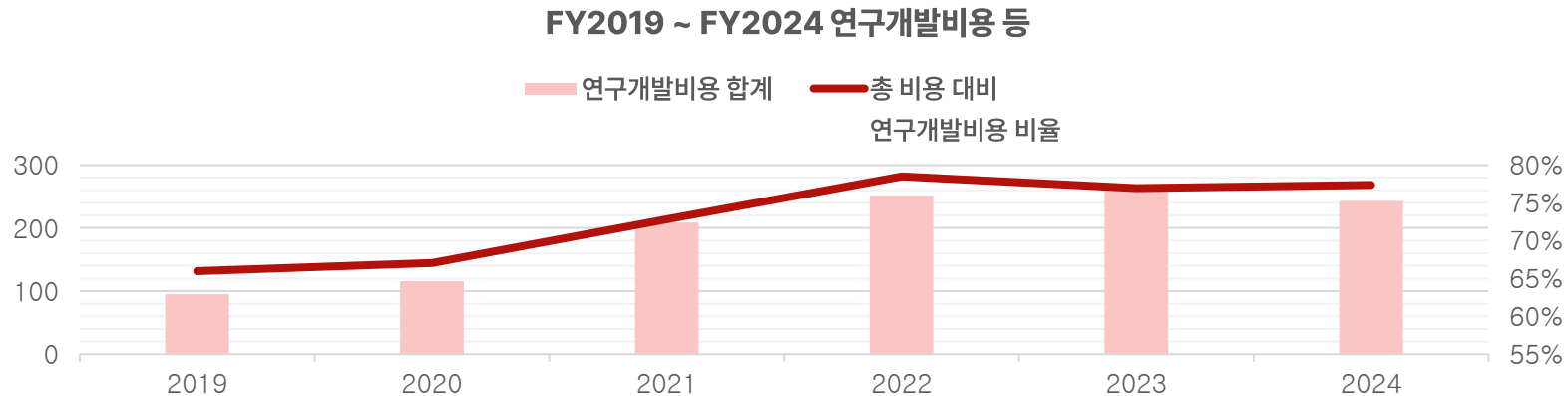
■ 비용집행 현황

“핵심 가치에만 자원을 집중, 불필요한 소모성 비용은 절제”

- 올릭스의 연구개발비용은 2019년 100억원 규모에서 2024년 250억 수준으로 증가, 연간 총 비용 대비로는 66%에서 77%로 증가

연구개발을 위한 지출에만 집중하고 있으며 2024년 전체 연구개발비용의 88%가 기초연구 및 핵심파이프라인(301A, 104C, 702A) 임상 개발 비용에 해당함

미래 성장 동력에는 아낌없는 선제적/전략적 투자, 기술이전을 통해 많은 비용이 투입되는 후기 임상 단계는 파트너사에서 담당 **효율적 자원 관리**



* 2021년, 2024년 사업보고서 - II 사업의 내용 - 6. 주요계약 및 연구개발활동 (3)연구개발비용 - 별도재무제표 기준

- siRNA/MASH 임상 경험 보유 전문가(임상 Head) 영입 및 임상 관련 자체 전문인력 보유에 따른 외부 임상 컨설팅 비용 최소화
- 호주에서 진행 중인 임상의 호주 임상 CRO 이용에 따른 R&D TAX incentive(*) 제도 적극 활용

(*) The tax offset for eligible R&D conducted from 1 July 2021 is based on a premium on top of your corporate tax rate.
For R&D entities with aggregated turnover of less than \$20 million, the refundable R&D tax offset is your corporate tax rate plus an 18.5% premium.
출처: <https://business.gov.au/>

재무위험 검토

“재무 위험관리 순항 중”

(1) 코스닥 상장유지 관리

- 보건복지부 혁신형제약기업 인증을 통한 연구개발 우수기업 매출액 특례조건 해당
- 21년(기술특례상장기업 3년 면제조건 종료 후) 이후 법인세차감전손실/자기자본 50% 비율을 적절히 관리해왔으며 ‘3년의 기간’을 종합적으로 고려
- 특히 법인세차감전손실/자기자본 비율관리는 손익과 자본을 동시에 관리 필요

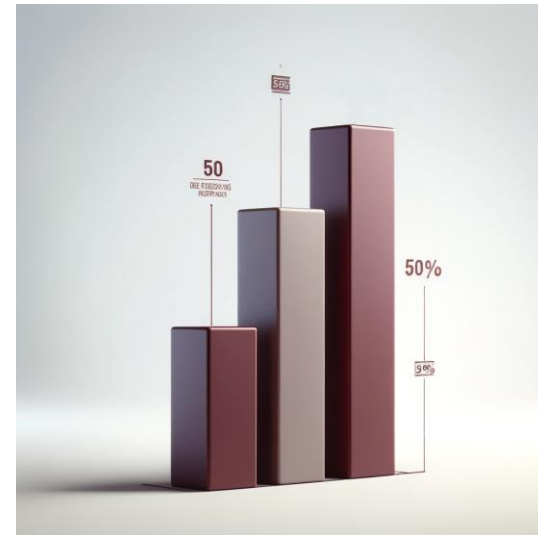
✓ **당기손익** : 기술이전 및 공동연구에 따른 계약금의 수익인식,

효율적인 비용집행, 임상비용 관련 마일스톤 지급 조절에 따른 관리

✓ **자기자본** : 2회차 3회차 전환사채 전환청구를 통한 부채의 자본대체(완료),

주식매수선택권의 행사를 통한 자본 확충

- 기타 자본잠식(50% 이상), 자기자본 미달(10억) 등 재무관련 상장유지 조건 관리
- 계속기업가정(Going Concern)과 관련된 비적정 감사의견과 관련한 리스크 관리



재무위험 검토

“재무 위험관리 순항 중”

(2) 외환 위험 관리

- 미국, 호주 임상에 따른 USD, AUD지급에 따른 외화강세에 따른 외환차손 위험 존재,

올릭스의 글로벌 기업과의 기술이전은 모두 USD, EUR의 외화로 수취 됨에 따라 이러한 외환차손의 상당부분이 hedge되고 있음



(3) 지분 희석 관리

- 전환사채, 유상증자 및 스톡옵션 행사를 통한 신주 발행을 통한 주주가치 훼손에 대한 우려
- 대주주 지분율이 과도하게 낮아지는 경우 발생할 수 있는 적대적 M&A, 경영 개입 위험과 같은 경영 안전성에 대한 리스크 증가
- “희석은 성장과 맞바꾼 선택” 아래 두 가지 원칙을 견지

첫 번째, 신주발행을 통한 지분가치 희석이 발생하는 경우에도 연구개발, 임상결과, 기술이전을 통한 더 높은 기업가치를 제시하는 것이 중요

두 번째, 불가피한 자금 조달이 발생하는 경우에도 회사의 미래 동력과 주주가치 제고를 동시에 달성할 수 있는 최선의 결정

■ 현금흐름 검토

“현금흐름 안정성과 전략적 자금조달 유연성”

(1) 단기 현금흐름

- 25년 현금흐름에서 cash burn은 발생하지 않는 상황임을 확신
특히 24년 외부감사에서 25년 초 확정된, 논의 중인 사안들을 통해 계속기업에 대한 가정(Going Concern)을 clear
(주요 수입 가정) 기술이전 및 공동연구 체결에 따른 계약금 및 영업외 수익 수취
(주요 비용 가정) 현재 임상 진행 중인 파이프라인의 추가 임상비용 및 내부 운용자금 반영
- 26년 현금흐름의 경우 계약상 추가적인 수입을 통해서 **25년 대비 더욱 양호한 현금흐름**을 예상

(2) 자금조달 전략

- OLX301A(황반변성 치료제)의 임상 1상 결과를 통한 자체 추가임상 여부 및
공동연구계약을 통한 개발전략에 관한 논의, 새로운 플랫폼 개발을 위한 선제적 투자 등에 따라 결정
- **“기회에는 과감한 투자가 필요하고 투자 또한 적시에 진행하는 것이 필요”**
- 명확한 자금조달 근거를 가지며, 시장에 미치는 영향을 최소화하는 자금조달 전략을 지향



올릭스 현황 및 향후 Vision

April 29, 2025

올릭스 대표이사 이동기



■ 올릭스 현황 및 향후 Vision- 1

■ 2025 글로벌 Top 3 RNAi 기업 달성

- RNAi 원천기술 보유 기업 5개 중 하나 (Alnylam, Arrowhead, Silence, Dicerna*, OliX)
- Novo Nordisk의 Dicerna인수로 남은 4개 기업 중 시가총액 기준 Top 3 진입
- 파이프라인·빅파마 파트너십 등 종합 비교 시 **글로벌 Top3 RNAi 신약기업으로 도약**

■ 주요 파트너십 기반 Upside 기대

- Lilly 딜: MARC1 관련 dual-siRNA 전임상 효능 확보 → 추가 계약 기대
- 당사 기술 기반 공동연구 + 피부 및 모발 regeneration (재생)을 위한 제품 개발
 - 글로벌 협력 공동제품 기대
 - 긍정적 결과 도출시 추가 확장 계약 가능

■ 올릭스 현황 및 향후 Vision- 2

■ 301A (AMD, 안구건조증) 기술이전 및 사업화 전략

- 복수 빅파마와 기술이전 논의 중, 스핀오프 제안 검토 병행
- 논의중에도 짧은 2a상 통해 휴먼 PoC 확보 가능 → 높은 가치로 기술이전 추진

■ 간 외 조직 타겟팅 확장 (Extra-hepatic delivery)

- 지방조직 타겟팅: Arrowhead·Alnylam 대비 기술 격차 1년 이내
- 심혈관·대사질환용 siRNA 파이프라인 구축
- 복수 타겟 개발 진행 중, 내년 말~후년 초 IND 목표

■ 2025년 현금흐름 첫 흑자 전환, 2026 폭 확대 기대

- 올해 영업 및 기타 수입 포함 시 **창사 이래 첫 연간 현금흐름 흑자 전환 예상**
- 글로벌 딜 기반 마일스톤 및 연구비 유입에 따른 흑자 폭 증가 기대
- Vision 2030 및 중장기 전략은 인력·자금 상황 고려해 하반기 발표 예정