



Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



OliX
Pharmaceuticals

Investor Relations 2025

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

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 성남시 수정구 대왕판교로 953, 올릭스 주식회사
임직원수	총 95명 (66 in R&D) * OliX US 20명, OliX AU 2명 포함 - 박사 : 17명, 석사 : 38명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발

■ 주주현황

(2024.12.31 기준)

주주명	주식수(보통주)	지분율
최대주주 등	3,603,958	19.52%
미래에셋자산운용	965,000	5.23%
기타	13,890,615	75.25%
합 계	18,459,573	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	CMC, clinical, regulatory
OliX US San Diego	Chemistry lab for siRNA synthesis, purification, and analysis
OliX AU Sydney	Clinical Trials

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** 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)
- 2016년** 12 대표이사 보건복지부장관 표창
- 2017년** 01 OLX101A 한국 1상 임상시험계획 승인
10 기술성평가 통과 (A, A)
- 2018년** 05 OLX101A 영국 1상 임상시험계획 승인
05 OLX101A 한국 1상 임상시험 종료
07 코스닥 상장
10 OLX101A,
'범부처전주기신약개발 지원사업' 선정
10 OliX US, Inc. 설립 (Cambridge, US)
11 OLX101A 한국 2상 임상시험계획 승인
- 2019년** 01 San Diego (US) Lab 설립
03 OLX301A '떼아' 기술이전
11 OLX101A 영국 1상 임상시험 종료

기술 사업화

- 2020년** 03 GalNAc 기술도입 (AM케미칼)
10 OLX301A/301D '떼아' 기술이전 범위 확대
10 OLX101A 미국 2상 임상시험계획 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 '한소 제약' 기술이전
11 OLX703A, 보건복지부 정책과제 선정
11 혁신형 제약기업 보건복지부장관 표창
- 2022년** 08 OLX301A 미국 1상 임상시험계획 승인
10 OLX401A/B, 보건복지부 정책과제 선정
10 OliX AU Pty Ltd 설립 (Sydney, Australia)
- 2023년** 02 GalNAc-asiRNA '한소 제약' 옵션 1종 행사
03 OLX104C 호주 1상 임상시험계획 승인
06 OLX304C, 국가신약개발사업 과제 선정
09 OLX104C, 국가신약개발사업 과제 선정
12 OLX702A 호주 1상 임상시험 계획 승인
- 2024년** 04 OLX101A 미국 2상 임상시험 종료
- 2025년** 01 OLX104C 호주 1상 임상시험 종료
02 OLX702A '일라이 릴라' 기술이전



- 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



CEO
이동기 대표이사

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

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



개발총괄
박신영 수석부사장

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



경영기획총괄
강충길 부사장

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



IP/법무총괄
백영혜 전무이사

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



연구총괄
박준현 상무이사

- 삼성바이오에피스 책임연구원
- 서울대 생화학 석사/박사
- 美 오리건주립대학교 생화학 학사



Head/CMC
Debasis Patra
Vice President
(OliX US)

- Manager and Group Leader,
Curia (formerly AMRI)
- Manager, CMC
Integration/External Process
Development, Amgen
- M.B.A., LeMoyne College, US
- Ph.D. in Organic Chemistry,
Jadavpur University, India



Head/Clinical Development
Toni Bransford
Senior Vice President
(OliX US)

- Vice President, 89bio, Inc.
- Board Certified in Cardiovascular
Diseases (ABIM)
- M.D., University of Texas Health San
Antonio



Head/Chemistry
신동원
Executive Director
(OliX US)

- Synthesis specialist
- Senior Staff Scientist, TriLink
Biotechnologies, LLC
- Ph.D. in Organic Chemistry,
University of California, Riverside, US



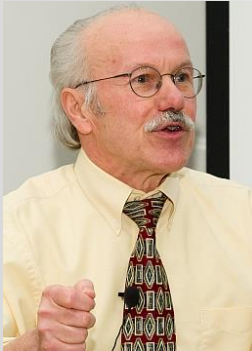
재무총괄
김영진 상무이사

- 한국공인회계사
- 삼정회계법인
- 삼일회계법인
- 한양대학교 사회과학 학사

4. Scientific Advisory Board

글로벌 전문가로 구성된 과학기술자문단을 통한
신속하고 성공적인 연구 및 임상 개발

■ Platform Technology (기반기술)



John Lis

Gene Expression, Oligotherapeutics

- Distinguished Professor, Cornell Univ.
- Member, National Academy of Sciences

■ Ophthalmology (안과질환)



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)



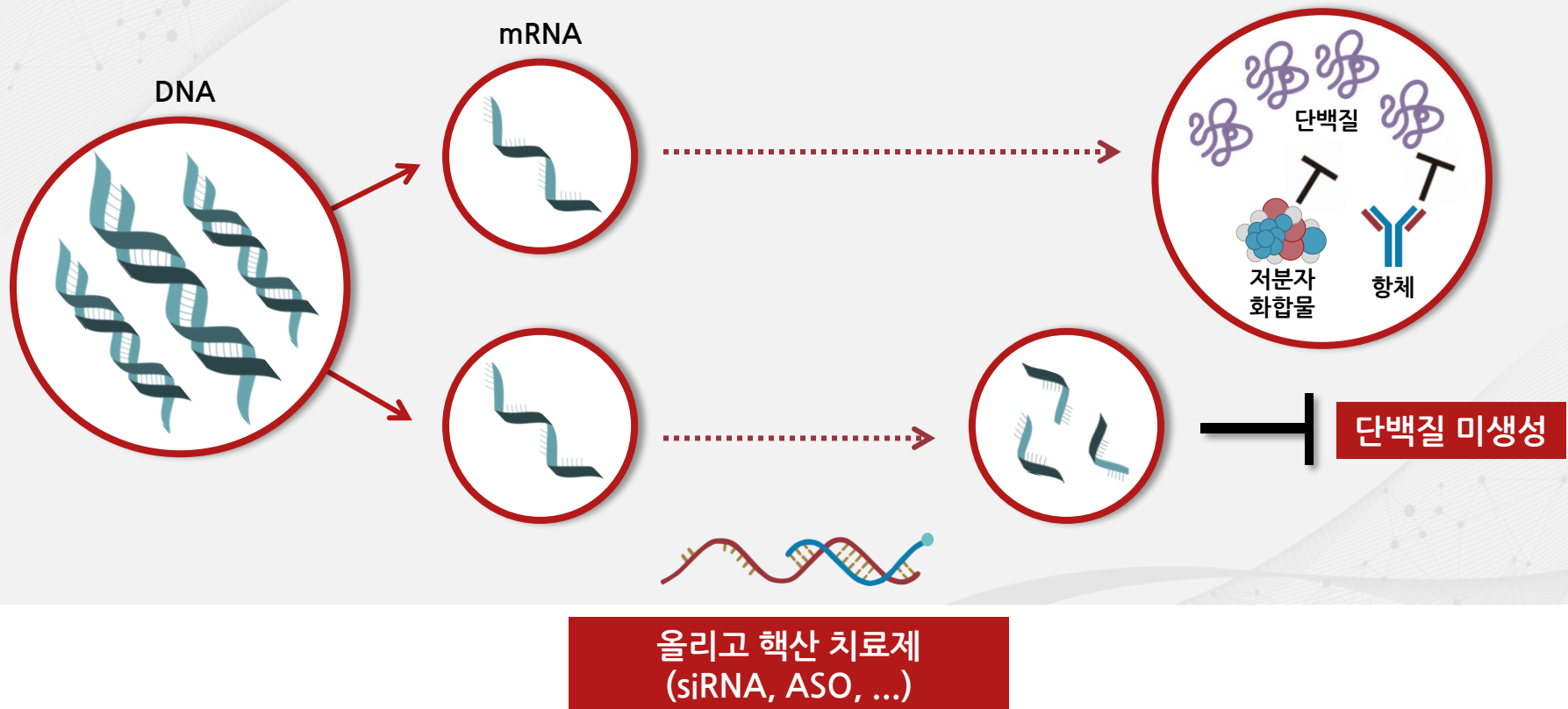
02

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

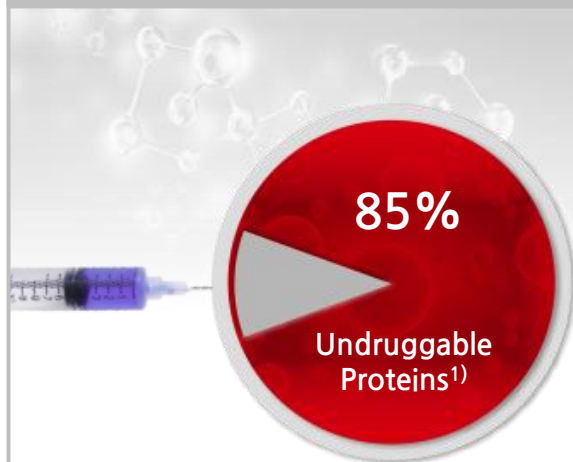
저분자화합물(1세대), 항체(2세대) 신약 개발 기술의 경우 생성된 단백질에 작용
올리고 핵산(3세대) 신약 개발 기술의 경우 단백질 생성 전 단계에서 작용



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 공약이 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)

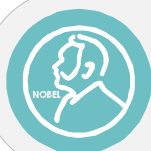
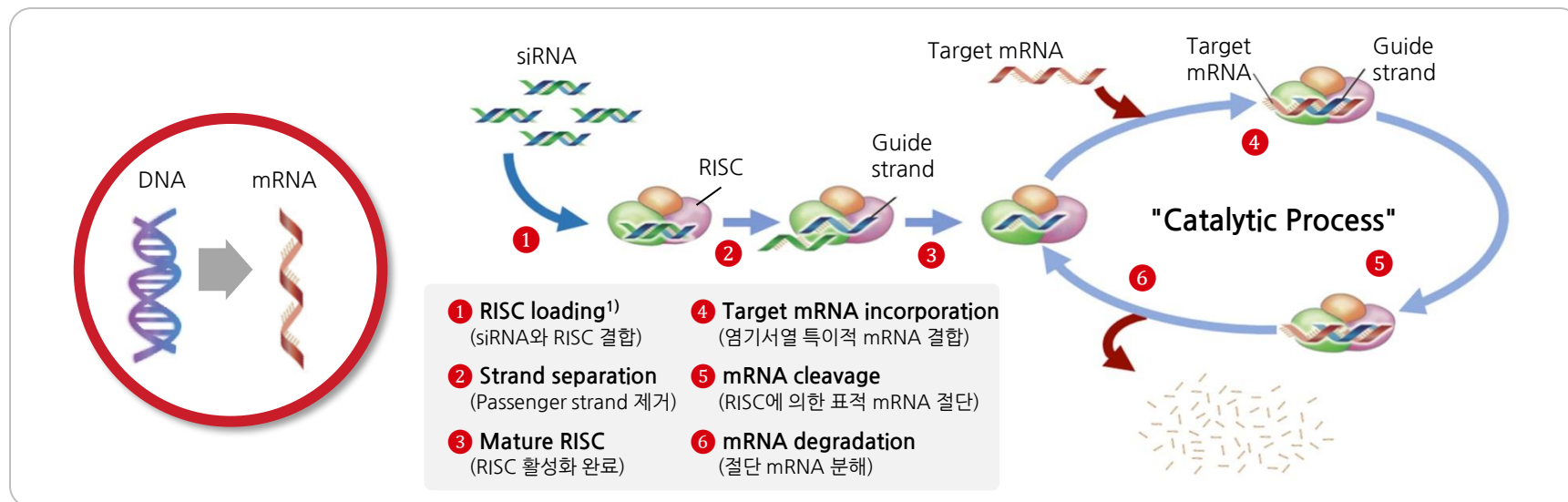
1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

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 ONPATRO	2018년 08월 by FDA)
(Alnylam GIMLAARI	2019년 11월 by FDA)
(Alnylam OXLUMO	2020년 11월 by FDA)
(Novartis LEQVIO	2021년 12월 by FDA)
(Alnylam AMVUTTRA	2022년 06월 by FDA)
(Novo Nordisk RIVFLOZA	2023년 09월 by FDA)

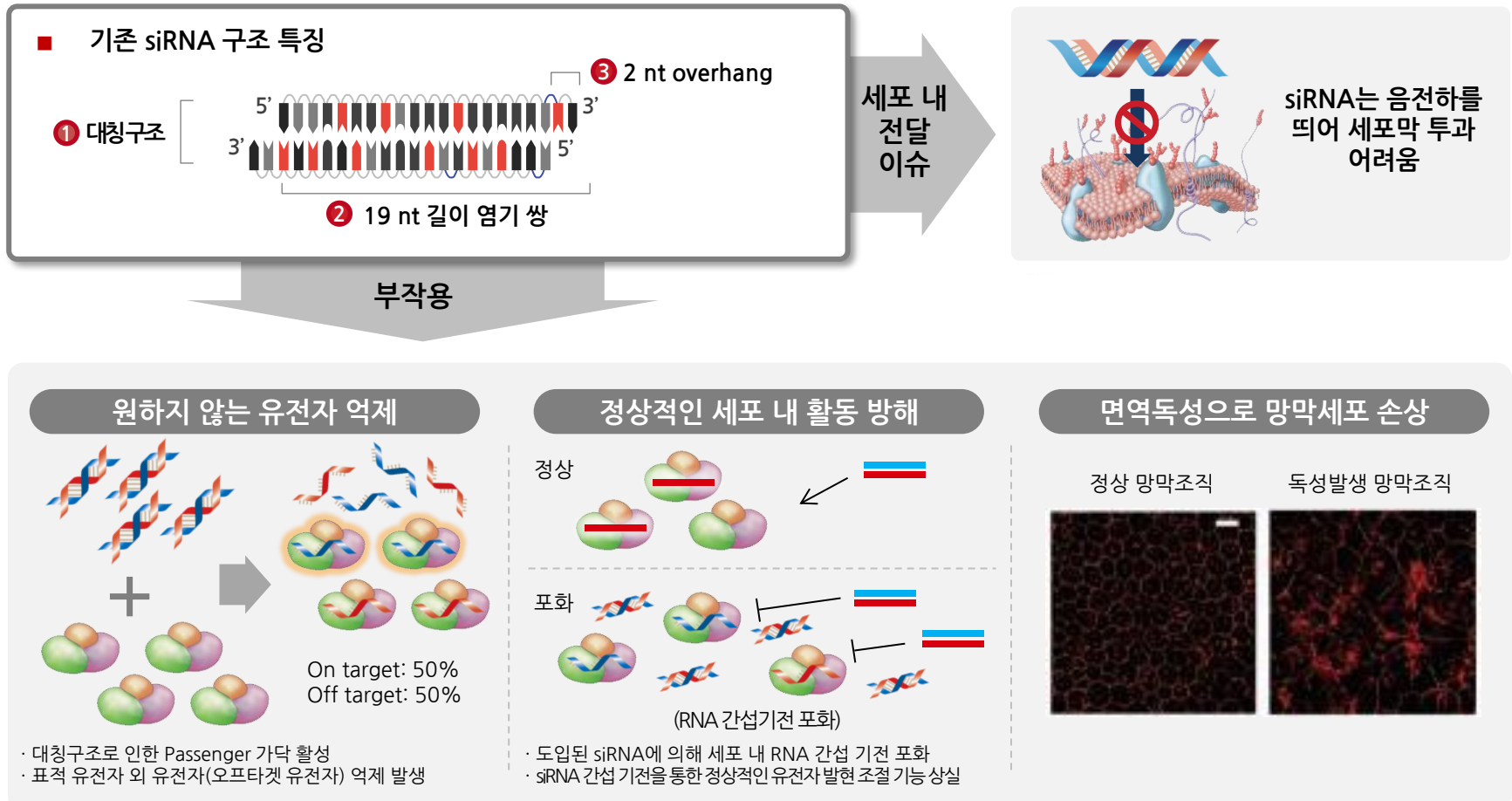


하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한
신약물질 단기간 제작 가능

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



※ 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

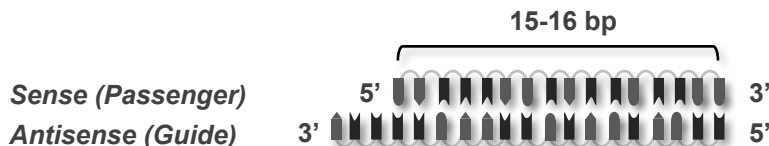
3. 비대칭 siRNA (asiRNA)

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

■ 기존 siRNA



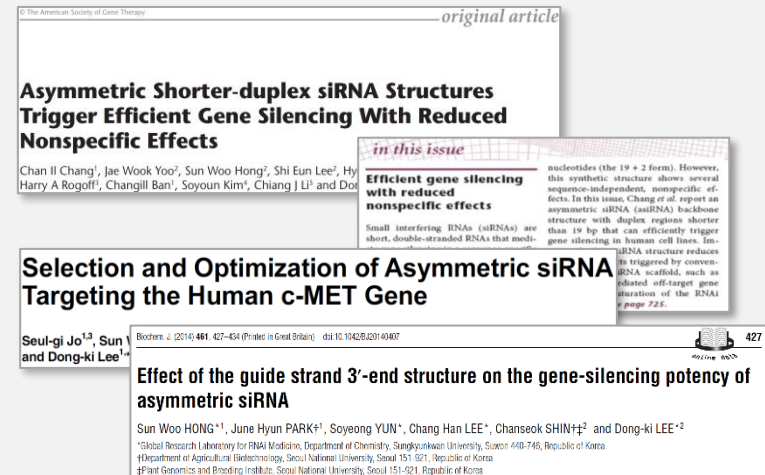
■ OliX 비대칭 siRNA (asiRNA)



올릭스 전용 실시권 확보

비대칭 RNAi 원천 기술 특허 등록

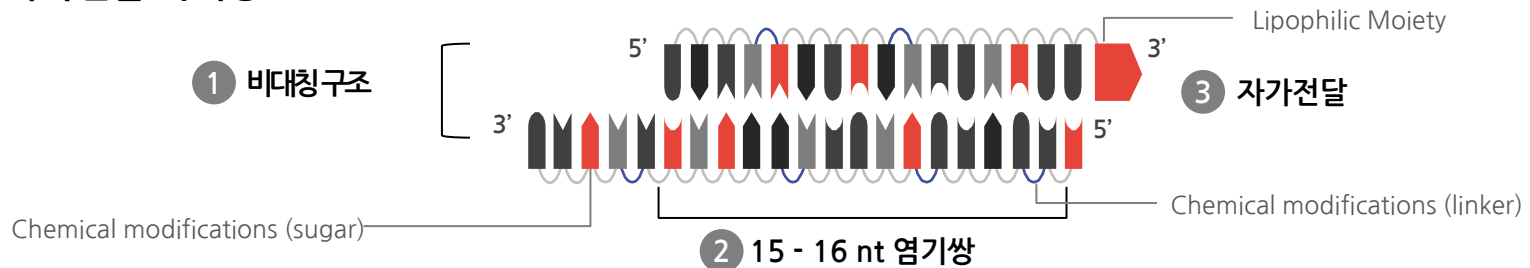
- “Novel siRNA structure for minimizing off-target effects and relaxing saturation of RNAi machinery and the use thereof” (우선권 주장 2007-12-18)
- 대한민국, 중국, 일본, 유럽, 호주 등록



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



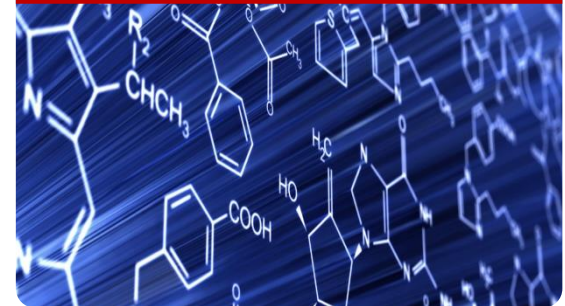
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

간단한 화학적 변형 도입

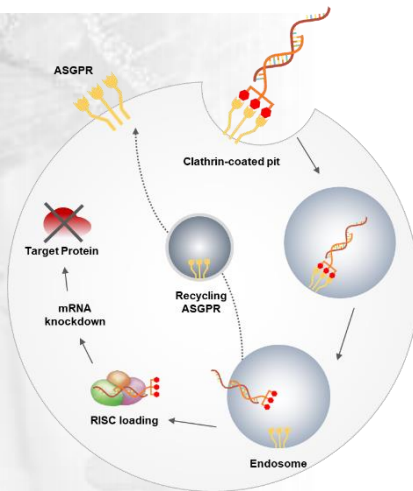
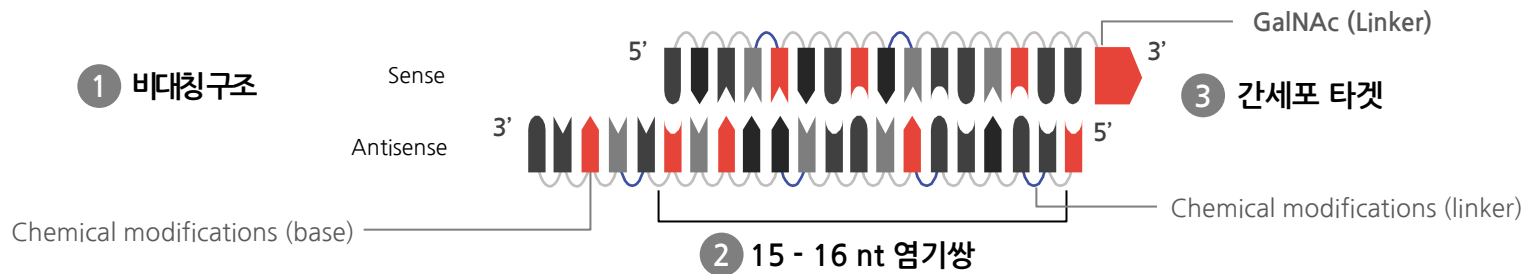


대량합성 / 분석 용이

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
2억불 이상 규모 Big Deal 19건 이상, 10억불 이상 규모 **Mega Deal 14건** 이상

[글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전 현황 (9개년)]

Licensors	Licensee	Year	Deal Size (USD)	Target Indication	Stage
OliX	Eli Lilly	2025	0.63B	MASH 및 기타 심혈관·대사질환	Phase 1
	Hansoh	2021	0.45B	심혈관 및 대사성 질환 등 (GalNAc)	Discovery
	Théa	2020 / 2019	0.81B	안과질환 4개	Preclinical/Phase 1
Alnylam	Roche	2023	2.8B	고혈압	Phase 2
	Regeneron	2019	>1B	안과질환, 신경계질환, 보체매개성질환	Phase 2/Phase 3
	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/Phase 1
	Alexion	2018	>0.64B	보체매개성질환	Preclinical
Arrowhead	Sarepta	2024	10B (incl. royalties)	근육, 중추신경계, 폐 질환 등 7개	Preclinical/Clinical
	GSK	2021	>1.03B	비알코올성지방간염 (MASH)	Phase 1
	Horizon	2021	>0.7B	통풍	Phase 1
	Takeda	2020	>1B	알파-1 항트립신 관련 간질환 (AATLD)	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	Discovery
	Mallinckrodt	2019	>0.7B	보체매개성질환	Phase 1

1) Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨



03

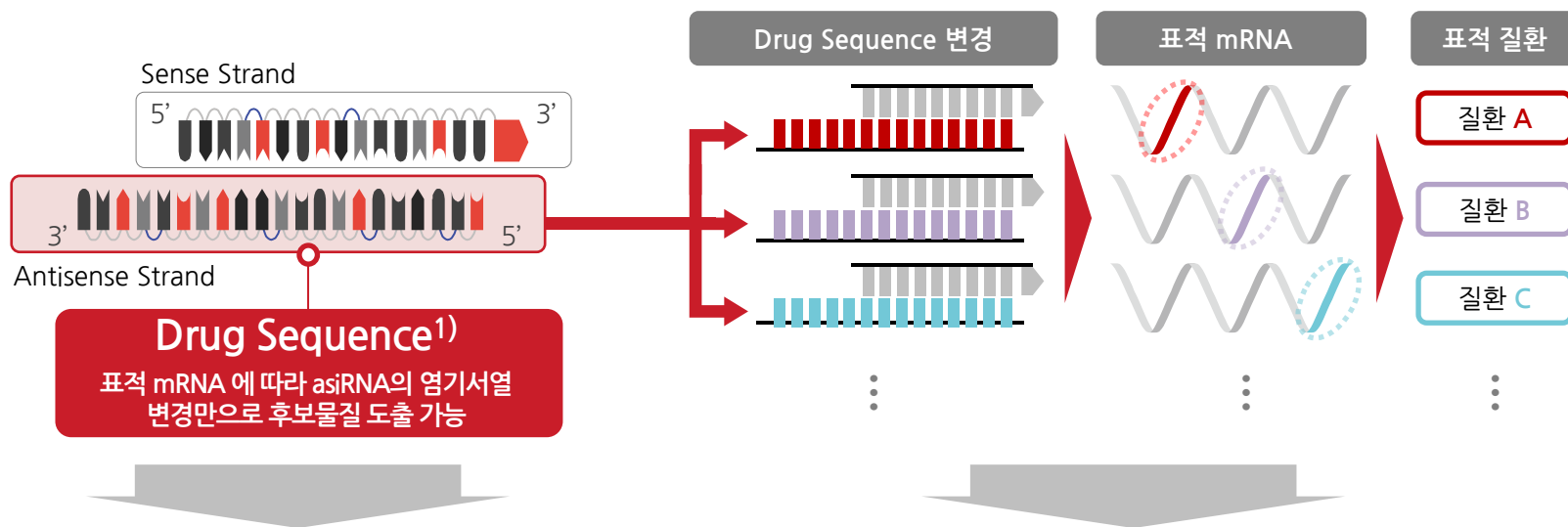
Growth Potential

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



후보물질 선정기간
획기적 단축

최종 후보물질 선정기간
약 3개월 소요

1,2 세대 신약개발 기술 대비
획기적 단축



모든 유전자
표적가능

1,2세대 기술로 접근 불가능한 표적 공략,
다수 파이프라인
단기간/저비용으로 확보 가능

파이프라인의 초기 기술이전 &
후속파이프라인 개발 전략 가능

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

2. 핵심 파이프라인 현황

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

분야	프로그램	적응증	Platform Development	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	비고
 SKIN	OLX101A	비대흉터					(미국) Phase 2 완료	
	OLX104C	탈모					(호주) Phase 1 완료	
 EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성					(미국) Phase 1	
	OLX304C	망막색소변성증						
 LIVER	OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만					(호주) Phase 1	일라이 릴리 (Global)
	OLX706A	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX706B	대사성 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX706C	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX702X	비만						*다수 파이프라인
	OLX702R	고혈압						
 CNS	OLX40X	뇌신경 질환						



04 | Core Programs

1. 비대흉터 치료제 (OLX101A)
2. 남성형 탈모 치료제 (OLX104C)
3. 안질환 치료제
 - 건성 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301A)
 - 망막색소변성증 치료제 (OLX304C)
4. 뇌/신경 질환 치료제 (OLX40X)
5. 간 질환 치료제
 - MASH/비만 치료제 (OLX702A)
6. 지방 조직 타겟 cp-asiRNA 플랫폼
7. 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)

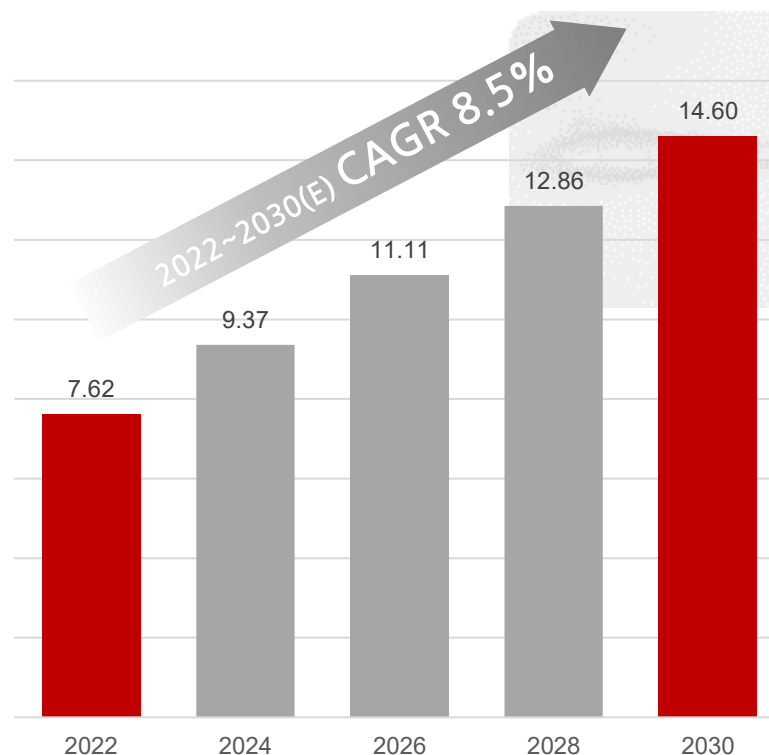
- 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

■ 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: RESEARCH AND MARKETS (2022)

1-2. 비대흉터 치료제(OLX101A) 임상 진행 현황

자체 개발 RNA간섭기술 플랫폼과 검증된 표적 유전자를 통해 우수한 효력 확인

■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
CTGF ¹	피내주사	미국 2상 임상 종료

대상 환자

▶ 제왕절개/성형수술, 외상 이후 발생한 비대흉터 환자

주1) 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)
- 미국 2상 임상시험 종료

■ 미국 2상 임상

미국 2상 임상시험 결과

• 1차 평가지표

흉터 재건술로부터 24주 시점에 연구자의 POSAS overall opinion score를 이용하여 비대흉터의 재발정도를 비교

• 임상 결과

1) 시험군 Baseline 평균 POSAS Score: 5.1점

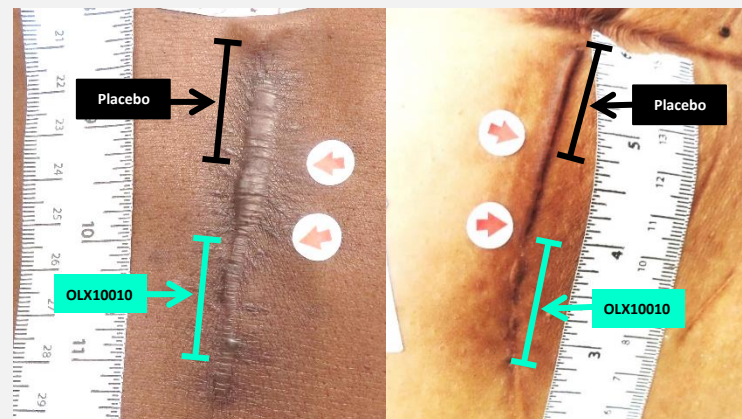
투약 24주 후 POSAS Score: 3.3점 → 평균 1.8점 감소

통계적 분석: 시험군의 Baseline 대비 평균 POSAS Score 감소는

통계적으로 유의함 ($p=0.017$)

2) 대조군의 Baseline 대비 평균 POSAS Score 감소는 통계적으로

유의하지 않음



OLX101A 물질(OLX10010) 투약 부위
위약(Placebo) 투약 부위

2-1. 남성형 탈모치료제(OLX104C) 현황

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

■ 남성형 탈모란?



남성형 탈모 (Androgenic Alopecia)

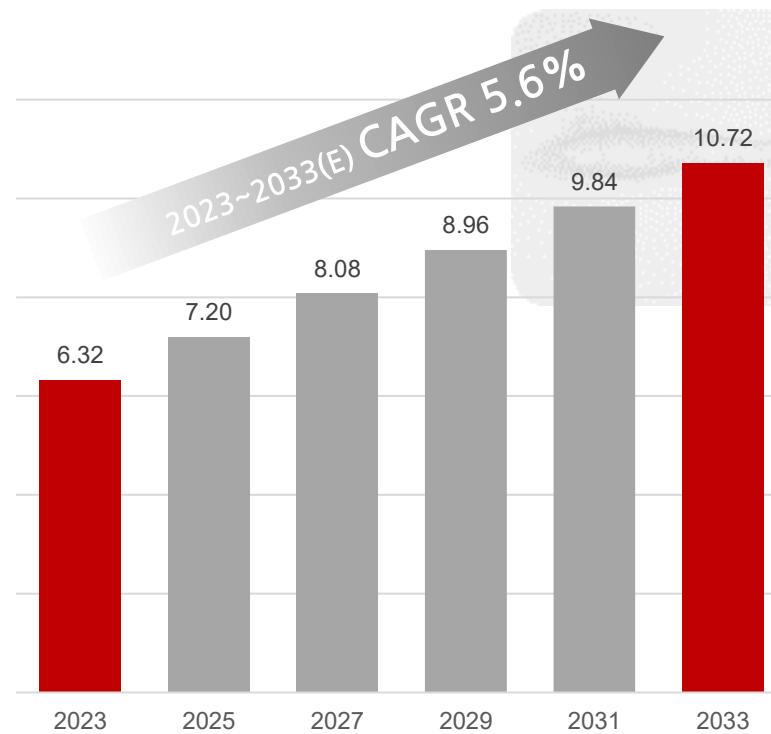
- M자 형태로 앞머리, 정수리 부근의 모발 밀도 감소
- 유전적 배경과 남성호르몬이 주요 발병 원인

■ 기존 치료법의 한계

기존 치료법	한계 및 Unmet Needs
피나스테리드	· 전신 노출에 따른 성기능 저하 우려 · 반감기가 짧아 자주, 지속적으로 복용 필요
두타스테리드	· 성기능 저하 부작용으로 탈모치료제로의 FDA 승인 실패
미녹시딜	· 단독 사용 시 효과 미비 · 피부 질환 유발 가능성

■ 남성형 탈모치료제 시장전망

(단위 : USD Billion)



※ 출처: JIMARC Group (2023)

2-2. 남성형 탈모치료제(OLX104C) 임상 진행 현황

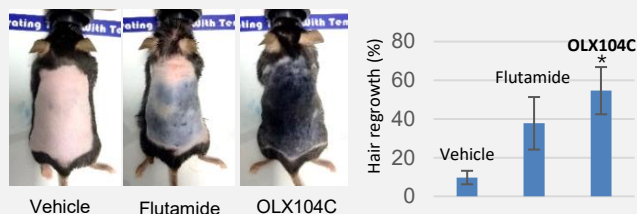
■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
AR (안드로겐 수용체)	피내 주사	호주 1a상 임상 종료

- ▶ 기존 탈모 치료제의 전신 노출에 따른 부작용을 최소화
- ▶ 잦은 투여에 따른 불편으로 치료의 어려움을 겪는 탈모 환자 대상
- ▶ 남성형 여성 탈모 환자 대상 부작용 없는 치료제로 개발

■ 비임상 효력시험 결과

탈모 생쥐 모델에서 발모 효력 확인



탈모환자 모근에서 효력 확인

Ex Vivo culture Day 3			
	Vehicle	Flutamide	OLX104C
휴지기 모근 / 전체 모근	6/7	0/8	0/9

■ 개발경과

- 1회 투여에 의한 장기 (3주 이상) 효력 유지 확인
- 임상 시험용 API GMP 생산 완료 (LGC바이오서치테크놀로지)
- 미국 특허 취득
- 2023년 2차 국가신약개발사업(KDDF) 과제 선정
- 호주 1a상 임상시험 종료

■ 임상 시험 개요

호주 1a상 임상시험 개요

- 의뢰기관: 올릭스 주식회사
- 디자인: 무작위배정, 이중 눈가림, 단일 용량 상승, 위약 대조
- 목적: 안드로겐성 탈모가 있는 남성을 대상으로 단회 피내 투여시의 안전성/내약성 평가 및 약동학적/약력학적 특성 파악
- 대상자 수: 25명 (*)
- 결과: **임상시험용의약품 투여 후 중대한 이상반응이 발생 하지 않음.**
(2025년 01월 10일 Clinical Study Report, CSR 수령)

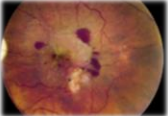
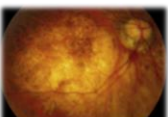
(*) 계획된 5개 코호트 중 3번째 코호트 완료 후 우수한 안전성이 확인되어 4번째 코호트를 생략하고 마지막 최고 용량 코호트를 진행하여 총 25명 대상으로 시험 종료

3-1. 노인성 황반변성 치료제(OLX301A) 현황

건성과 습성 노인성 황반변성은 연관 발생하여, 동시치료 신약에 대한 높은 상업적 가치 기대

■ 노인성 황반변성이란 ?

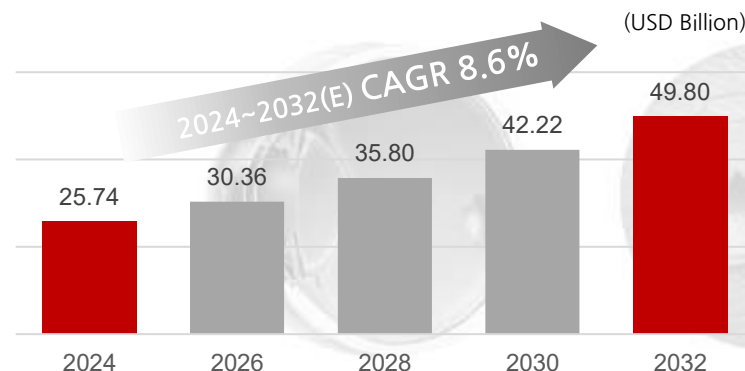
- ▶ 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발
- ▶ 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인

	습성 황반변성 • 후기 황반변성 환자 66% 비중 • 건성 황반변성 연관 발생 가능
	건성 황반변성(GA) • 후기 황반변성 환자 34% 비중 • 환자의 15%가 습성 황반변성 발생 가능

■ 기존 치료제의 한계

구 분	기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
습성 노인성 황반변성	Eylea	• 약 30% 환자에게 효과 없으며^[1], 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생^[2] • 건성황반변성 치료 불가^{[3]/[4]}
	Lucentis	
	Beovu	
건성 노인성 황반변성(GA)	Syfovre	• 치료 기전상 신생혈관 유도 가능성 및 잦은 주사요법에 따른 결막 출혈 (1년 후 6%; 2년 후 12%)^[5] • 안구 염증 유발^{[6]/[7]}
	Izervay	

■ 글로벌 건성 노인성 황반변성(GA) 치료제 시장 전망



※ 출처: SNSInsider

■ 기존 노인성 황반변성 치료제 연간 순매출액

구 분	치료제	Full Year 2024 Product Sales (Net Sales)	
건성 노인성 황반변성(GA)	Syfovre	\$612m	
습성 노인성 황반변성	Lucentis	\$1,044m (1)	(1)+(2)=\$7,012m
	Eylea	\$5,968m (2)	

※ 출처: Apellis(2024) / Novartis (2024) / Regeneron (2024)

3-2. OLiX301A: 임상 진행 현황

건성 및 습성 노인성 황반변성 First-in-class 치료제

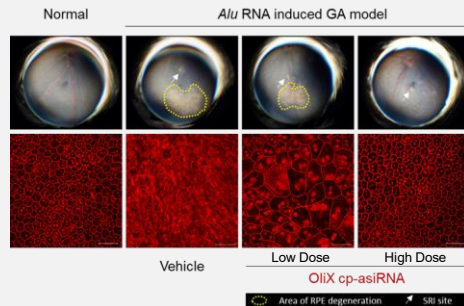
■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
MyD88	안구 내 주사	미국 1상 임상 진행 중

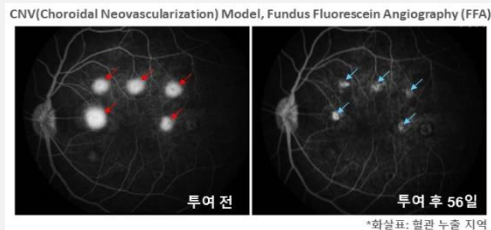
- ▶ 적응증: 건성 및 습성 노인성 황반변성 (AMD)
- ▶ Anti-VEGF 치료와 함께 단일 요법 및 복합 요법으로 개발

■ 비임상 효력시험 결과

건성 노인성 황반변성
효력 확인



습성 노인성 황반변성
효력 확인



■ 개발경과

- 건성 및 습성 황반변성과 관련성이 있는 핵심 경로와 연계된 undruggable target 유전자를 표적하여 first-in-class 치료제 개발
- 복수의 건성 및 습성 황반변성 비임상 모델에서 탁월한 효력 확인 완료
- 미국 1상 임상시험 환자투여 완료

■ 임상 시험 개요

미국 1상 임상시험 개요

- 의뢰기관: 올릭스 주식회사
- 디자인: 공개(open-label), 단회 및 반복투여 용량상승
- 목적: 노인성 황반변성 환자에게 안구 내 투여 후, 추적 관찰기간 동안 안전성 및 내약성 평가
- 대상자 수: 21명
- 상황: 미국 1상 임상시험 진행 중

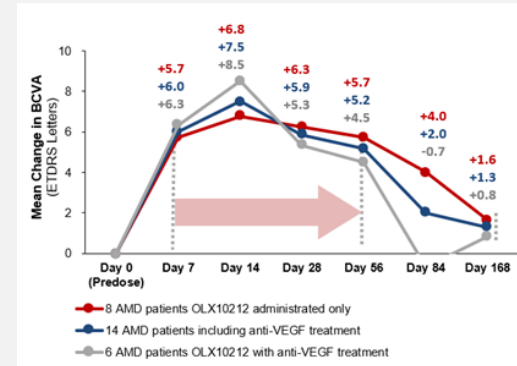
3-3. OLiX301A: 임상 진행 현황

■ 미국 임상 1상 진행현황

- OLiX301A 단회용량상승투여(SAD) 연구에서 고용량의 약물을 투여한 그룹에서 투여 후 24주까지의 추적 관찰 기간 동안 **약물 관련 이상반응**이 일체 관찰되지 않음.

※ 예비 효력 데이터 관련

- 평균 ETDRS(시력검사표) 문자 점수' 변화로 측정한 피험자들의 평균최대교정시력(BCVA)은 OLiX301A 물질 투여 후 7일부터 56일 사이에 가장 개선되는 것으로 나타남. OLiX301A를 투약한 피험자들의 BCVA는 평균 2개월(56일) 동안 지속되고, 최대 5개월(168일)까지도 지속되어 장기적인 약물 유지 효력을 확인.
- anti-VEGF 약물을 별도로 함께 투여받은 피험자들과 OLiX301A만 투여받은 피험자들로 구분해 BCVA 변화를 분석. 최대 85%의 피험자에서 BCVA가 개선되는 양상을 확인함.



3-4. OLX304C: 비임상 진행 현황

범용성 망막색소변성증(RP, Retinitis Pigmentosa) First-in-class 치료제

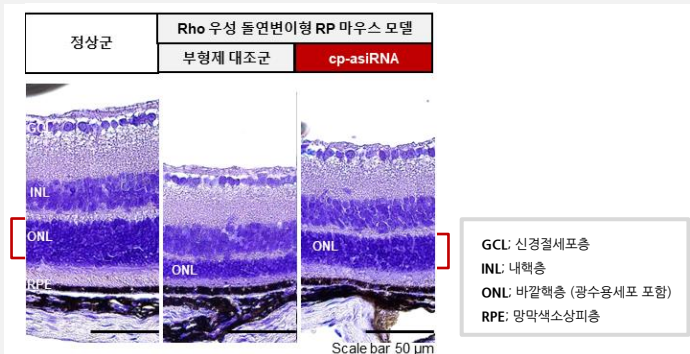
■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
Undisclosed	안구 내 주사	비임상 연구개발

- ▶ 3000종 이상의 망막 유전자 돌연변이 연관 난치성 실명 질환
- ▶ 전체 환자 99% 이상의 환자군(약 150만명)을 대상으로 승인된 치료제 부재
- ▶ 기존 유전자 돌연변이 별 바이러스 치료제의 개발 한계
 - 보다 넓은 범위의 환자군에 적용 가능한 범용성 치료제 개발 필요
- ▶ 바이러스 치료제 대비 비교적 안전한 투여 방식/투여횟수 감소/장기효력
 - 환자 및 의료진 부담 경감

■ 비임상 효력시험 결과

망막 변성/광수용체 세포사멸 억제 효력 확인

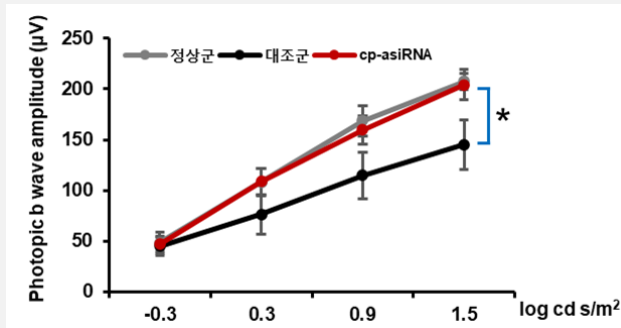


■ 개발경과

- 우수한 타겟 유전자 억제 효력 및 지속력을 보유한 선도 물질 발굴 및 최적화 연구 수행
- 양성 돌연변이형 RP 마우스 모델에서 치료 효력 확인
- 2023년 1차 국가신약개발사업(KDDF) 과제 선정

광반응 망막전위도 시각기능 회복 효력 확인

Rho 양성 돌연변이형 RP 마우스 모델



4. 뇌·신경 질환 타겟 cp-asiRNA 플랫폼 확립

자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 기술을 통한 다양한 뇌·신경 질환 파이프라인 개발

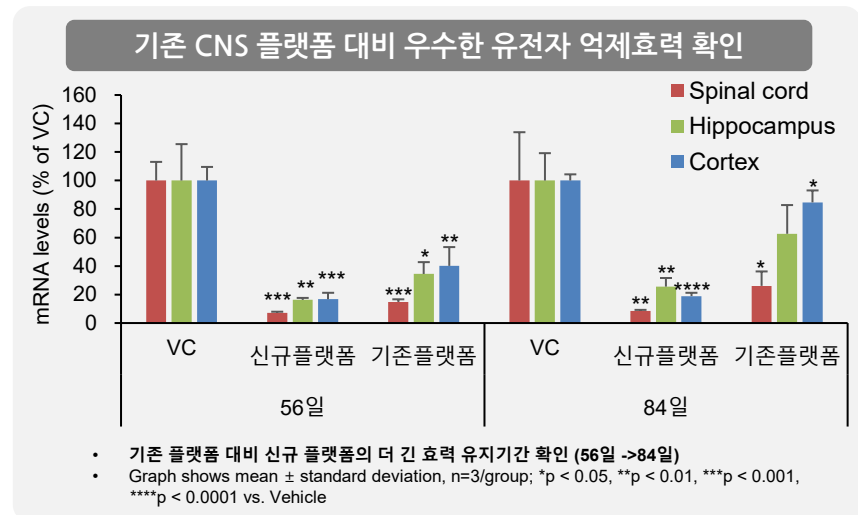
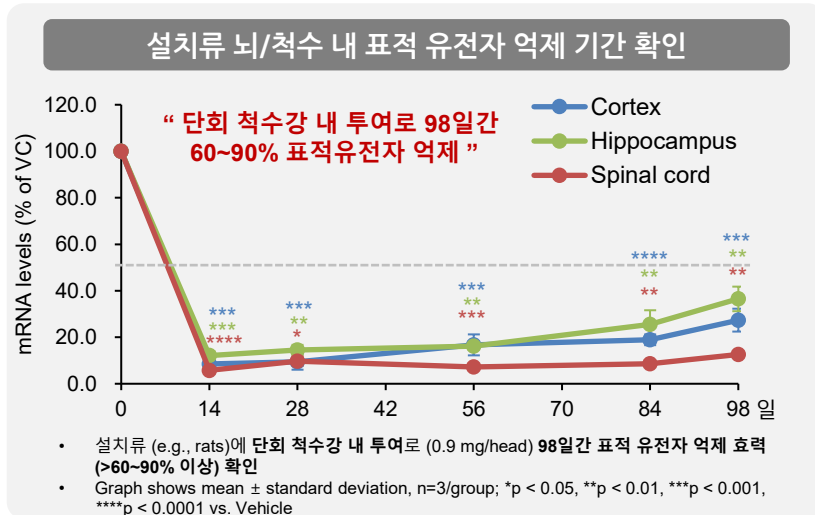
■ 치료제 개요

Active Pharmaceutical Ingredient	적응증	투여방법	비고
cp-asiRNA / Target undisclosed	신경병증성 통증, 퇴행성 뇌 질환	척수강 내 투여	연구개발 글로벌 파트너 발굴 중

■ 개발 현황 및 계획

- 단회 척수강 내 투여로 ‘뇌’ 및 ‘척수 조직’ 에서 cp-asiRNA 플랫폼 기술의 유전자 억제 효력 및 독성 개선 확인
- cp-asiRNA 플랫폼 기반 뇌·신경 질환 치료제의 동물 효력 검증 진행 중
- 신규 타겟/적응증 발굴 및 치료제 후보 물질 도출 진행 중

■ 비임상 효력시험 결과



5-1. OLiX70X: GalNAc 기반 간 질환 치료제

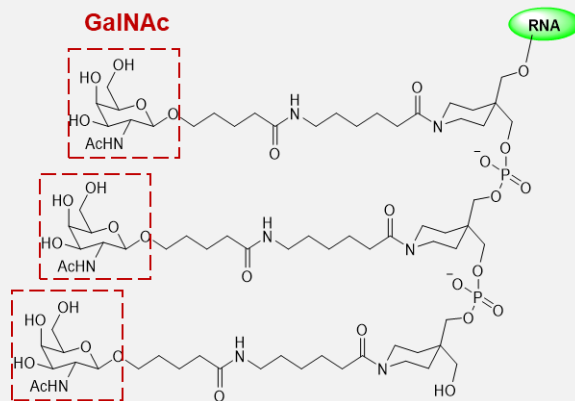
GalNAc 플랫폼 기술을 기반으로 간 질환 파이프라인 확장

■ 치료제 개요

Active Pharmaceutical Ingredient	적응증	투여경로	비고
GalNAc-asiRNA	MASH, 비만, 심혈관·대사질환 등	피하주사	- 한소제약과 GalNAc 플랫폼 기술 계약 체결 - 일라이 릴리(Eli Lilly)와 OLX702A 기술이전 계약 체결

■ 다양한 GalNAc 링커 기술 확보를 통한 간 질환 타겟팅 플랫폼 기반 강화

AM Chemical 社 GalNAc 링커 기술 도입 (전용실시권 확보)



올릭스 자체 개발 GalNAc 링커 기술(OliX XXV) 확보



5-2. GalNAc-asiRNA의 효과적 전달

■ 비임상 간세포 전달 효력시험

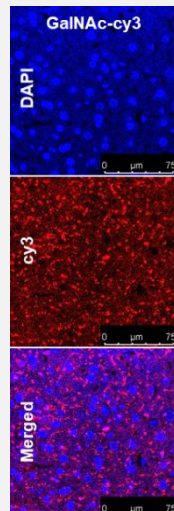
GalNAc-asiRNA 물질을 마우스에 10mg/kg 피하 투여

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

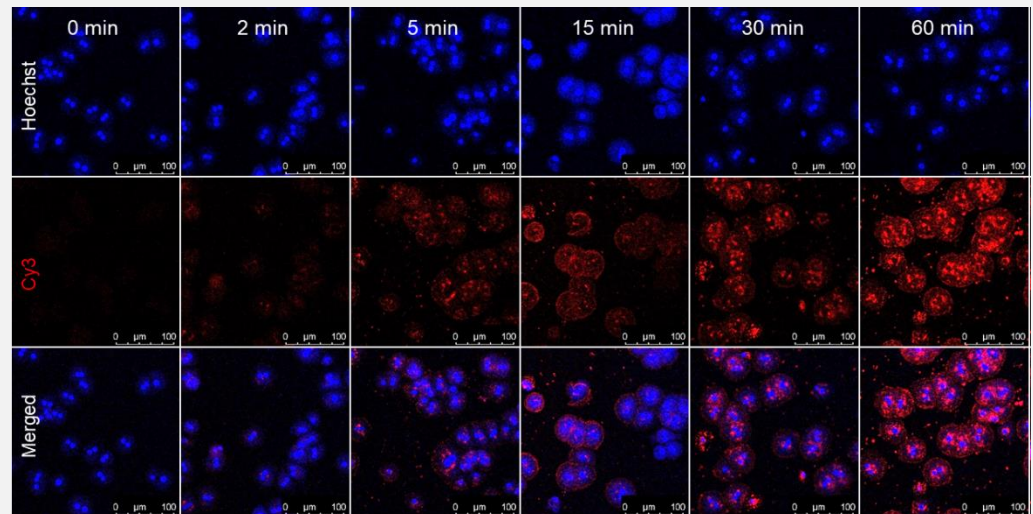
(A) 전신 분포



(B) 간 조직 분포

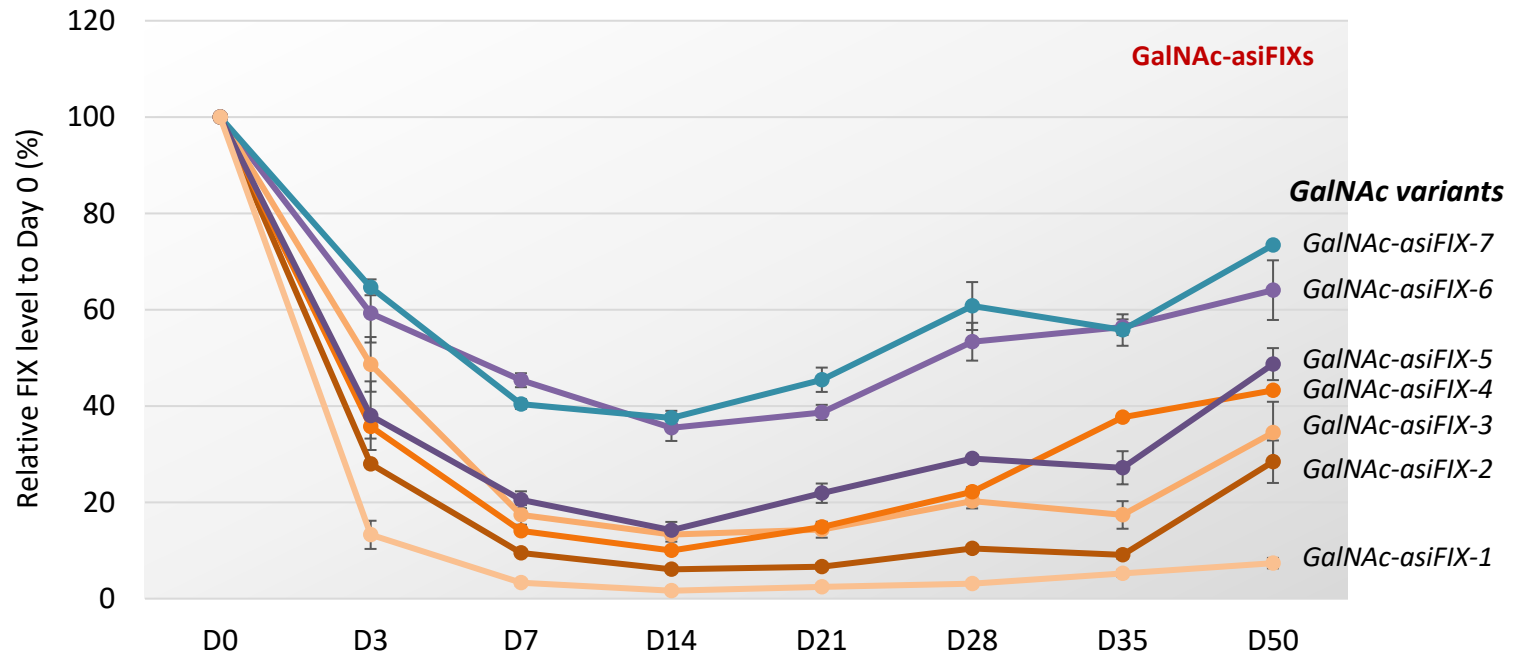


(C) 마우스 간세포 전달



5-3. OliX GalNAc 물질의 효력 및 유지기간

■ 효력 및 유지기간 확인

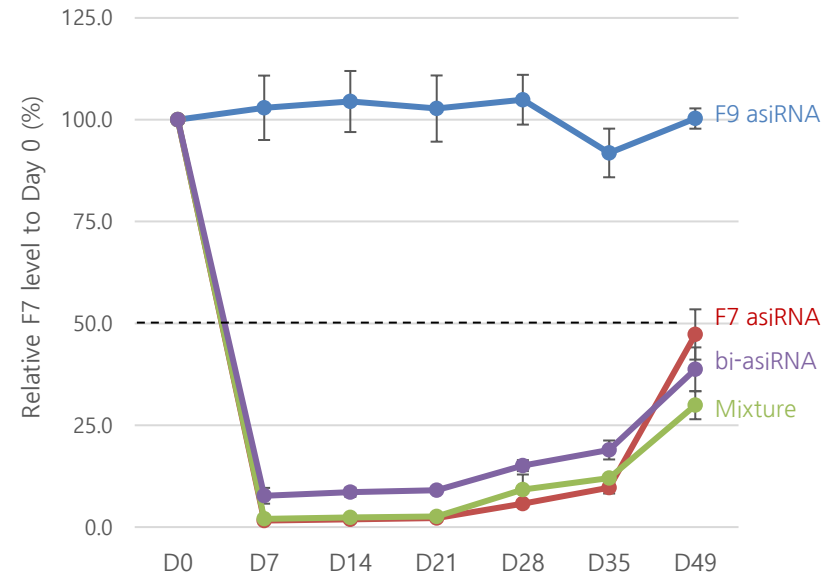
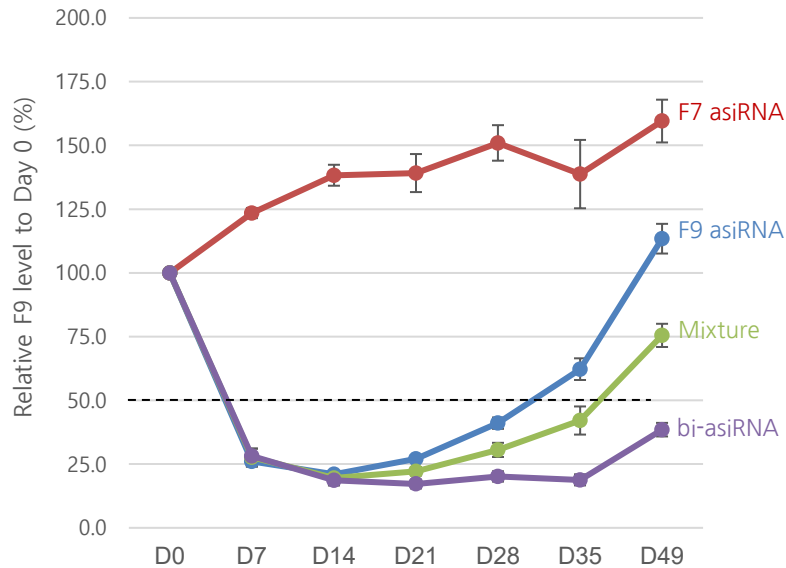


■ 개발현황

- 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. MASH/비만 치료제(OLX702A) 현황

간 섬유화를 동반한 MASH와 비만 두 적응증을 공략하는 블록버스터 신약

■ MASH란?

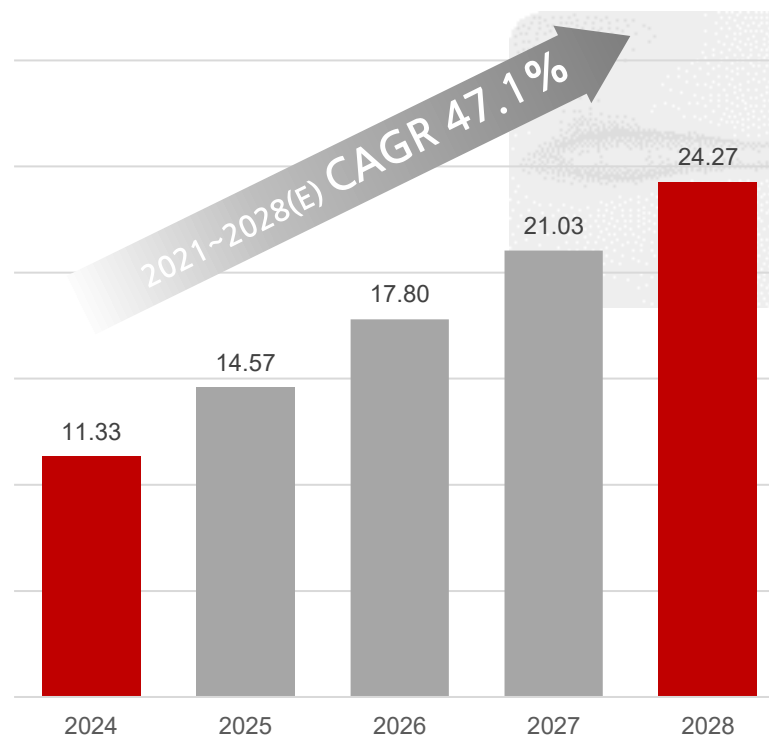
	대사이상 지방간염 (MASH, Metabolic dysfunction-Associated Steatohepatitis) - 간 세포에 중성지방이 축적되어 염증 및 간 세포 손상을 일으키며, 점차 섬유화, 간 경변, 간암으로 확대 - 알코올 섭취와 관계 없이 비만이나 당뇨와 같은 대사 장애와 동반되어 발병
---	---

■ 기존 치료제의 한계

기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
레즈디프라 (Rezdiffra)	- 최초의 MASH 치료제 (2024년 3월 FDA 가속 승인) - 약 25%-30% 환자에서만 개선 확인 (식이 및 운동요법 필수적으로 동반) - 간 독성 및 당뇨병 유발 가능성 - 고지혈증 치료제 스타틴(statins)과 복용 시 부작용 가능성

■ 글로벌 MASH 치료제 시장전망

(단위 : USD Billion)



※ 출처: The Insight Partners (2022)

5-6. MASH/비만 치료제(OLX702A)

인간유전체 분석 타겟 기반 높은 신약 개발 성공률의 차세대 MASH 신약

■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
MARC1	피하주사	호주 1상 임상 진행 중

- ▶ 전장유전체상관분석(GWAS) 기반으로 MASH 타겟 발굴; 정상군과 MASH 환자군의 유전정보 비교 결과, 표적 단백질과 질환 사이의 연관성 확인
- ▶ 간 섬유화를 동반한 MASH 환자 대상

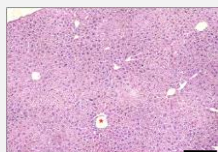
■ 개발 현황 및 계획

- 마우스 MASH 모델에서 우수한 간 섬유화 개선 효력 확인
- 원숭이 MASH 모델에서 간내 지방 함량이 정상 수준으로 감소되고, 최소 3개월 이상의 약물 유지효력 확인
- 임상 시험용 API GMP 생산 완료 (LGC바이오텍테크놀로지)
- 호주 1상 임상시험 진행 중
- 미국 일라이 릴리(Eli Lilly)에 글로벌 권리 기술이전 (2025년 2월 7일)

■ 비임상 효력시험 결과 (MASH 동물모델 효력 확인)

마우스 MASH 모델 내 효력 확인

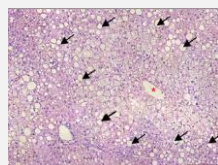
정상 간 조직



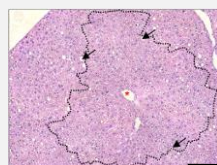
*H&E staining

- ▲ Lipid vacuoles
- * Central vein
- Recovery area
- Scale Bar: 200 μm

대사이사 지방간염 간 조직

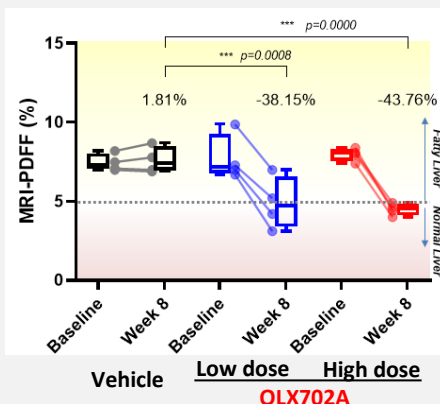


대조군



OliX GalNAc-asiRNA

원숭이 MASH 모델 내 효력 확인



■ 임상 시험 개요

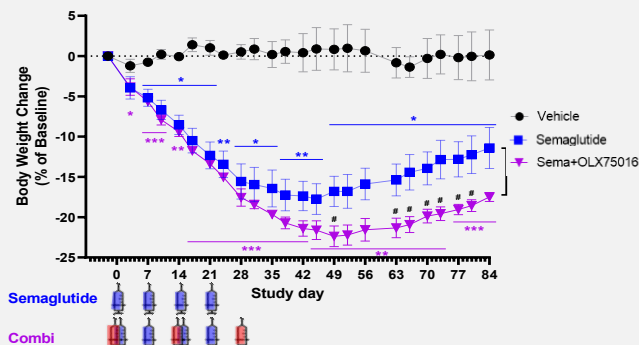
호주 1상 임상시험 개요

- 의뢰기관: 올릭스 주식회사
- 디자인: 무작위배정, 이중눈가림, 단일용량상승 및 다중용량상승, 위약대조
- 목적: 건강한 자원자 및 대사이상 지방간 (MASLD) 환자를 대상으로 피하 투여 후, 추적 관찰 기간 동안 안전성 및 내약성 평가
- 대상자 수: 최대 90명
- 상황: 호주 1상 임상 진행 중

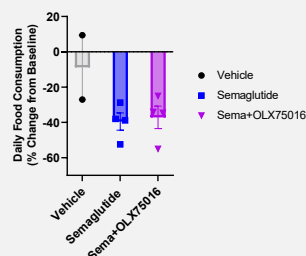
5-7. MASH/비만 치료제(OLX702A): 전임상 결과

OLX702A와 Semaglutide 병용 투여 시 체중 감소 시너지 효과 확인 (비만 원숭이 모델)

체중 변화 비교 (Semaglutide 단독 vs OLX702A+Sema)



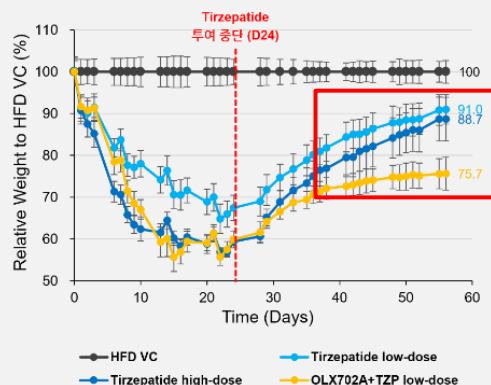
투여군 별 식이량 (일별)



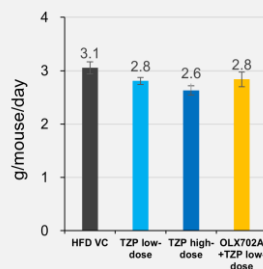
- OLX702A와 Semaglutide 병용 투여 시, 단독 투여군 대비 **5% 추가 체중 감소 확인**
- Semaglutide 투여 중단 시, 병용 투여군에서 대조군 대비 **요요 현상 완화 확인** (단독 투여군의 경우 급격한 체중 증가 확인)
- 병용 투여군과 단독 투여군의 식이 섭취량 차이는 미미한 수준
→ 체중 감소 시너지 효과는 **OLX702A의 에너지 대사 증진 효과에 기인한 것으로 확인**

OLX702A와 Tirzepatide 병용 투여 시 체중 감소 시너지 효과 확인 (고지방식이 비만 생쥐 모델)

체중 변화 비교 (Tirzepatide 단독 vs OLX702A+TZP)



투여군 별 식이량 (일별)



- 병용투여 시 **최대 44.4% 체중 감소**
(동일 시점 TZP 저농도 단독투여군 29.4%, 고농도 단독투여군 39.8% 체중 감소)
- TZP 단약 이후 병용투여군에서 고농도 TZP 단독투여군 대비 **체중 리바운드 완화된 폭으로 발생**하며, 시간이 경과하며 점차 큰 폭의 체중 격차 관찰
- 병용 투여군과 단독 투여군의 식이 섭취량 차이는 미미한 수준

5-8. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

■ 호주 1상 임상시험

23년 12월 20일 호주 임상 1상 계획 승인 / 24년 05월 30일 호주 임상 1상 계획 변경 승인

(변경 사유: 건강한 자원자 외 환자 대상으로 단회 및 다회 피하투여시의 안전성 및 내약성을 평가하기 위하여 비알코올성 지방간 질환 환자를 시험 대상자에 추가)

1차 평가지표

임상시험의약품 투여 이후 발생한 이상반응, 중대한 이상반응 및 연구 중단으로 이어지는 TAEAs의 발생률, 심각도 및 관계

- Baseline 대비 변화 (피하 투여 부위 국소 내약성, 활력징후 등)
- 염증 지표 평가
- 대사 패널 평가

임상시험 기간 (스크리닝 및 추적관찰 기간 포함)

- ✓ 단회투여
 - 건강한 자원자 및 비알코올성 지방간 질환 환자: 최대 87일
- ✓ 다회투여
 - 건강한 자원자: 최대 143일
 - 비알코올성 지방간 질환 환자: 최대 172일

목표 시험대상자 수 / 예상 종료일

- 목표 시험 대상자 수: 90명
- 예상 종료일¹⁾: 환자등록 및 임상진행 상황에 따라 변동될 수 있음

¹⁾ 관련 공시 상 2025년 12월 19일 경

임상방법 (단회/다회)

- 실시방법: 건강한 자원자 및 비알코올성 지방간 질환 환자를 대상으로 OLX75016의 안전성 및 내약성을 평가하기 위한 무작위 배정, 이중눈가림, 단일용량상승 및 다중용량상승, 위약대조 임상시험
 - ✓ 단회투여: 복부에 OLX75016 또는 위약을 단회 피하 투여 후 8주간의 추적관찰 진행
 - ✓ 다회투여: 복부에 OLX75016 또는 위약을 28일 간격으로 2회 피하 투여 후 건강한 자원자는 12주, 비알코올성 지방간염 환자는 간의 16주 추적관찰 진행
- 안전성평가: 이상반응, 투여 부위 국소 내약성, 실험실적 검사, 활력징후, 12 유도 심전도 검사, 부정맥 원격측정 등을 통해 안전성을 평가

5-9. 글로벌 기술이전 계약 체결

OLX702A(OLX75016)에 대한 최대 약 9,116억원 공동개발 및 라이선스 계약 체결 (2025. 02. 07)



■ 기술이전 계약 개요

* 선금금, 세부 마일스톤 조건 및 금액은 계약 상대방 요청에 따른 비공개

계약회사	Eli Lilly and Company (이하 '릴리')
계약규모	USD 630,000,000 ((911,673,000,000원) * 1,447.1원/달러 적용)
계약대상	OLX702A (OLX75016)
계약내용	• 올릭스는 OLX75016에 대한 임상 1상 활동을 계속하여 완료하고 릴리는 기타 연구, 개발, 상업화를 수행함. • 계약체결 후 올릭스는 릴리에게 독점적 라이선스를 부여함. ※ 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.

■ 일라이 릴리 개요

- Eli Lilly and Company (1876년 창립)
- 뉴욕증권거래소 (NYSE: LLY) 증시 상장기업
- 미국 전체 주식시장 시가총액 7위 (2024년 기준)
- 글로벌 제약사 시가총액 기준 1위 (2024년 기준)
- 당뇨병 치료제(Mounjaro), 비만치료제(Zepbound), 항우울제(Prozac) 등 출시
- 2023년 매출 약 325억 달러(약 44조 원)

*1 USD=1,358.30 KRW

5-10. 글로벌 공동연구 계약 체결

피부 및 모발 재생의학 관련 공동 연구 계약 체결 (2025.06.05)



■ 파트너십 계약 개요

* 총 계약 금액, 선금금, 세부 마일스톤 조건 및 금액은 계약 상대방 요청에 따라 비공개

계약회사	L'Oréal Groupe (이하 '로레알')
계약규모	비공개
계약내용	• 올릭스는 siRNA를 활용하여 피부 및 모발 관련 공동 연구 결과물(Collaboration Product) 개발을 수행하며, 로레알은 올릭스의 요청에 따라 공동 연구 결과물과 관련하여 자문적이고 구속력 없는 조언을 제공함 ※ 로레알은 추가 공동 연구 계약을 체결할 수 있는 독점적 협상 권리(추가 공동 연구 권리)를 가지며, 이는 기술이전 계약을 포함하나 국한되지 않음

■ 로레알 개요

- L'Oréal S.A. (1909년 창립)
- 유로넥스트 파리 (Euronext Paris: OR) 증시 상장기업
- 프랑스 대표 주가지수 CAC 40 구성 종목
- 글로벌 뷰티 및 퍼스널케어 산업 시가총액 기준 1위 (2024년 기준)
- 스킨케어 및 헤어케어 매출 비중 55%, 약 239억 2,000만 유로(약 38조 원) (2024년 연간 보고서 기준)
- 2024년 매출 약 434억 8,700만 유로(약 69조 원), 전년 대비 5.6% 증가

*1 EUR=1,590.66 KRW

5-11. 글로벌 기술이전 계약 체결

GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술 기반 최대 약 5,300억 원 규모의 기술이전 계약 체결 (2021. 10. 12)
추가 옵션 1종 행사 (2023. 02. 27)



■ 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

주계약 후보물질 2개	선급금	USD 6,500,000
	마일스톤	USD 220,000,000
옵션계약 추가 후보물질 1개당	선급금	USD 2,250,000
	마일스톤	USD 110,000,000
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. 지방 조직 타겟 cp-asiRNA 플랫폼

자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 기술을 통한 지방 세포 타겟 대사질환 파이프라인 개발

■ 치료제 개요

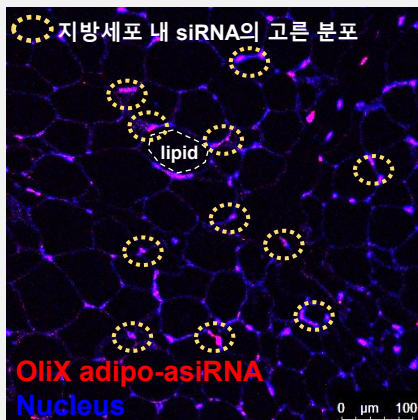
Active Pharmaceutical Ingredient	적응증	투여방법	비고
cp-asiRNA / Target undisclosed	비만	피하주사	연구개발 글로벌 파트너 발굴 중

■ 개발 현황 및 계획

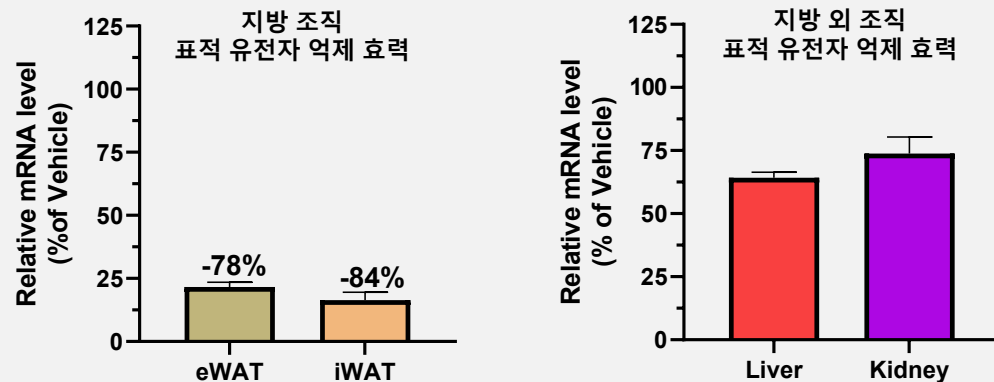
- 내장 지방 조직에서 cp-asiRNA 플랫폼 기술의 유전자 억제 효력 확인
- cp-asiRNA 플랫폼 기반 치료제 후보 물질 도출 진행 중
- Genome-wide association study (GWAS) 기반 비만 타겟; 표적 단백질과 복부비만 사이의 연관성 확인

■ 비임상 효력시험 결과

마우스 지방 조직 전달 확인



지방 조직 선택적 표적 유전자 억제 효력 확인

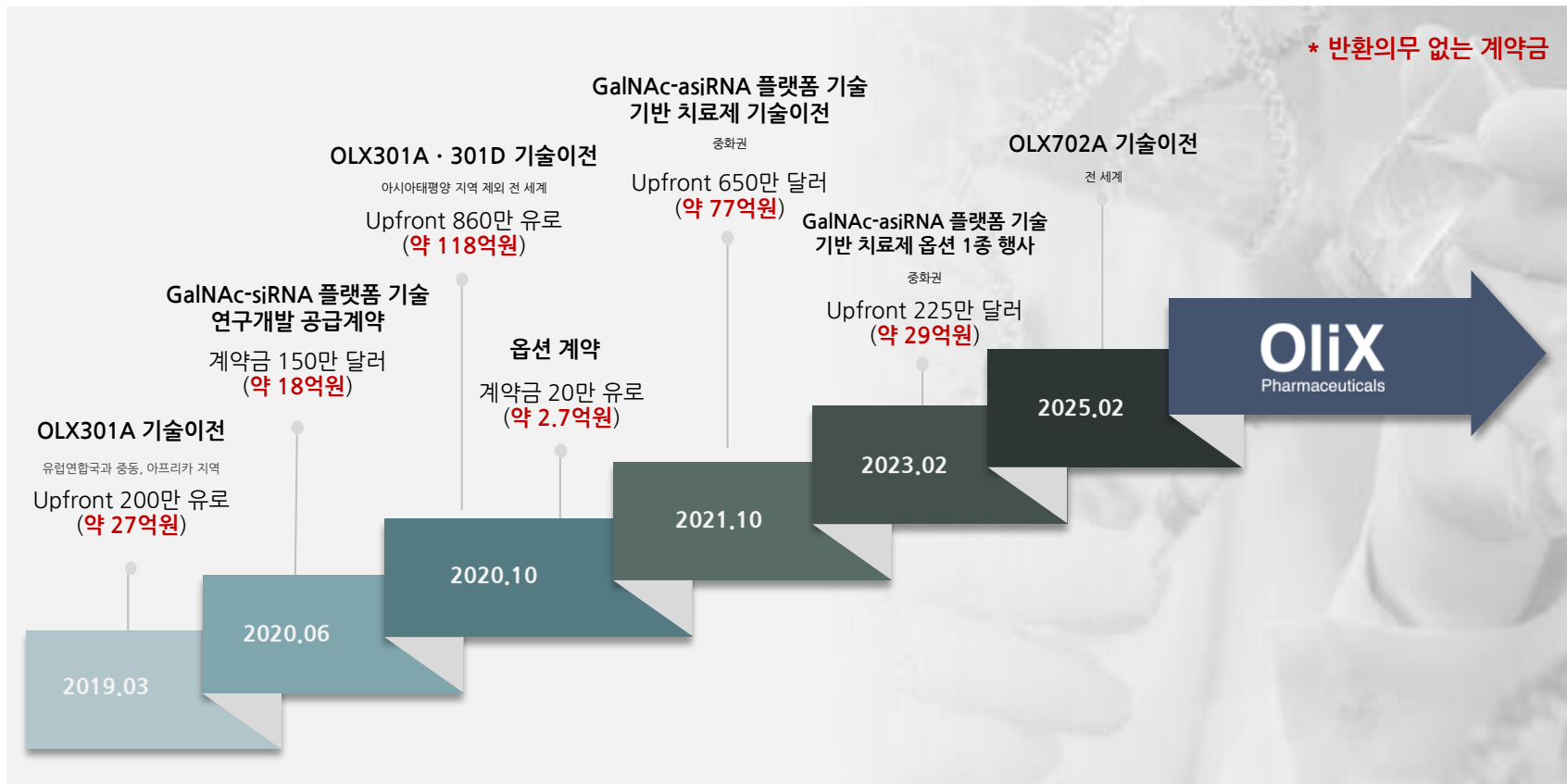


- 마우스에 단회 피하주사 후 21일 후 지방 조직 선택적 표적 유전자 억제 효력 (>75~90%) 확인

7. 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 7개년)





Appendix

1. 요약 재무제표
2. 타사 RNA 치료제 개발 현황

1. 요약 연결재무제표

■ 요약 연결재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2022	2023	2024
유동자산	65,046	32,142	15,534
비유동자산	67,606	70,683	55,715
자산총계	132,651	102,825	71,249
유동부채	39,543	6,563	30,060
비유동부채	26,906	45,926	22,716
부채총계	66,449	52,489	52,777
자본금	8,352	8,447	9,230
자본잉여금	141,865	142,342	160,860
기타자본	18,915	21,976	15,545
이익잉여금	(103,224)	(122,910)	(167,785)
비지배지분	295	481	624
자본총계	66,203	50,336	18,473

■ 요약 연결손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2022	2023	2024
영업수익	9,320	17,064	5,677
영업비용	31,696	35,250	36,596
영업이익(손실)	(22,376)	(18,185)	(30,919)
법인세차감전 순이익(손실)	(29,108)	(18,170)	(41,071)
법인세비용(수익)	(995)	932	(412)
계속영업당기순이익(손실)	(28,113)	(19,102)	(40,659)
중단영업당기순이익(손실)	6,225	0	0
당기순이익(손실)	(21,888)	(19,102)	(40,659)

2. 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	hATTR Amyloidosis-PN
	Givosiran (GIVLAARI)	Commercial	Acute Hepatic Porphyria
	Lumasiran (OXLUMO)	Commercial	Primary Hyperoxaluria Type 1
	Inclisiran (Leqvio)	Commercial	Hypercholesterolemia
	Vutrisiran (AMVUTTRA)	Commercial	hATTR Amyloidosis-PN
	Fitusiran	Phase 3	Hemophilia
	Cemdisiran (+/- pozelimab)	Phase 3	Myasthenia Gravis
	ALN-HBV02	Phase 2	HBV
Arrowhead	Plozasiran (ARO-APOC3)	Phase 3	Hypertriglyceridemia
	Olpasiran (ARO-LPA)	Phase 3	Cardiovascular Disease
	Fazirsiran (ARO-AAT)	Phase 3	Alpha-1 Liver Disease
	ARO-HBV (JNJ-3989)	Phase 2	HBV
	Zodasiran (ARO-ANG3)	Phase 2	Dyslipidemia / Homozygous Familial Hypercholesterolemia
Dicerna (Novo Nordisk ¹⁾)	Nedosiran (Rivfloza)	Commercial	Primary Hyperoxaluria
	RG6346	Phase 2	HBV
	Belcesiran	Phase 2	AAT Liver Disease
Silence	Zerlasiran (SLN360)	Phase 2	Cardiovascular Disease
Sylentis	Tivanisiran	Phase 3	Dry Eye Disease
	SYL1801	Phase 2	Macular Degeneration
Arbutus	AB-729 Combo trial	Phase 2	HBV
Sirnaomics	STP705	Phase 2	isSC / BCC / Keloid / Hypertrophic Scar

1) Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨