



Olix 2.0 로드맵



Forward-looking Statements

This presentation is prepared by OliX Pharmaceuticals, Inc. (Hereinafter "OliX," or the "Company") to provide information to potential investors. Copying or distribution of any materials included in this presentation is strictly prohibited. Any violation of the rules may constitute a violation of the relative securities law.

All information regarding the Company's business performance and financial results included in the presentation are prepared based on Korean International Financial Reporting Standards. The forward-looking statements are not individually verified. The statements are related to future events, not past, and mean management status and financial performance based on the company's views and assumptions. They may be identified through the words such as "anticipate", "predict", "plan", "expect", "(E)" and other similar expressions. Actual results, performance or events may differ materially from those projected in such statements due to, without limitation, general economic and business conditions and other changes in the regulatory and legal environment. The matters discussed herein may also be affected by risks and uncertainties.

Also, the future prospects are based on the published date of this presentation with current market condition and the Company's management direction. They are subject to change without notice as a result of changes in the market conditions, the company strategies and other conditions.

The Company, its subsidiaries, advisors or representatives are not responsible for any loss including, without limitation, negligence resulted from using the information included in this presentation.

This presentation does not constitute a solicitation of any offer to purchase securities or an inducement to engage in any investment activity. No part of this presentation, or the fact of its distribution, should form the basis of or be relied upon in connection with any contract or commitment or investment decision whatsoever.



01

이IX 개요



■ 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 84명 (57 in R&D) * OliX US 12명, OliX AU 1명 포함 - 박사 : 15명, 석사 : 32명 |
| 주요사업 | RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발 |

■ 주주현황

(2025.06.30 기준)

| 주주명 | 주식수(보통주) | 지분율 |
|--------|------------|---------|
| 최대주주 등 | 3,628,958 | 18.33% |
| 기타 | 16,170,282 | 81.67% |
| 합 계 | 19,799,240 | 100.00% |

■ 경영철학

Our Mission
첨단 기술로 인류의 건강과 행복에 이바지함

Our Vision

- 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 San Diego | Chemistry lab for siRNA synthesis, purification, and analysis |
| OliX AU Sydney | Clinical Trials |

RNA 간섭(RNAi)을 기반으로 미충족 의료 수요가 높은 질환에 대한 치료제를 개발

독자적인 플랫폼을 보유한 임상단계 RNA 간섭(RNAi) 기업



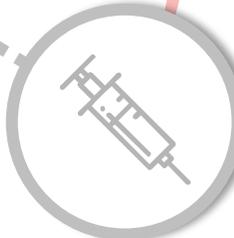
Asymmetric siRNA structural platform

- 차별화된 지식재산(IP) 포지셔닝 및 자유로운 기술 활용 권리 확보
- 기존 siRNA가 유발하는 비특이적 효과 감소



cp-asiRNA and GalNAc-asiRNA platform

- 별도의 약물 전달 시스템 불필요
- cp-asiRNA: 국소 투여를 위한 자가 전달 기술
- GalNAc-asiRNA: 간 표적 전신 전달 기술

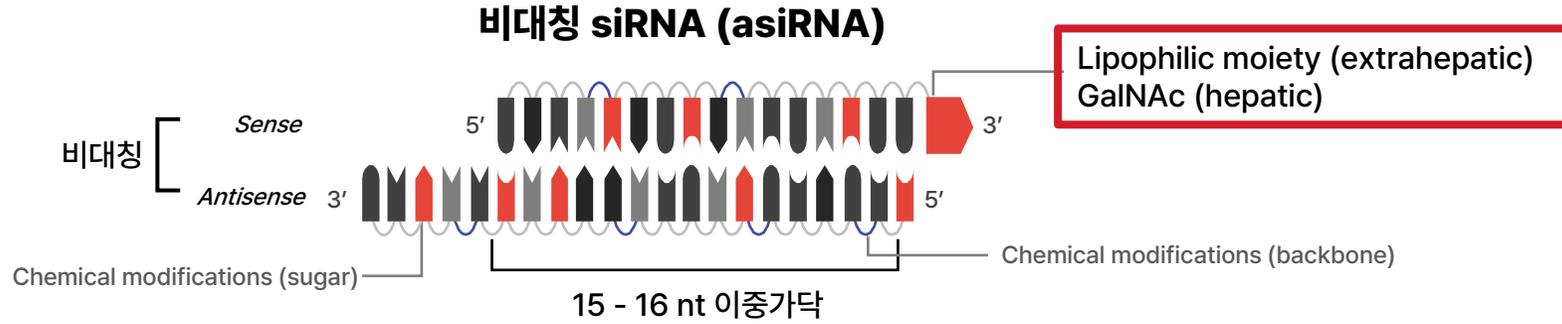


미충족 의료 수요 질환에 대한 RNAi 기반 신약 개발

- 독자적인 RNA 간섭(RNAi) 기술을 기반으로 새로운 치료제를 개발

■ OliX의 독자적인 RNAi 플랫폼

비대칭 siRNA + GalNAc or Lipid



- 염기 서열 변경만으로 모든 유전자 표적 가능
- 후보 물질 선정 기간 획기적 단축 (1년 이내)
- 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

original article

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

Chan Il Chang¹, Jae Wook Yoo², Sun Woo Hong², Shi Eun Lee², Hye Suk Harry A Rogoff¹, Changill Ban¹, Soyoun Kim¹, Chiang J Li¹ and Dong-ki Lee^{1*}

Efficient gene silencing with reduced nonspecific effects

Small interfering RNAs (siRNAs) are short, double-stranded RNAs that mediate gene silencing in a sequence-specific manner. However, this synthetic structure shows several sequence-independent, nonspecific effects. In this issue, Chang et al. report an asymmetric siRNA (asiRNA) backbone structure with duplex regions shorter than 19 bp that can efficiently trigger gene silencing in human cell lines. Importantly, this asiRNA structure reduces off-target effects triggered by conventional siRNA scaffolds, such as 19 bp-mediated off-target gene silencing and saturation of the RNAi machinery.

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

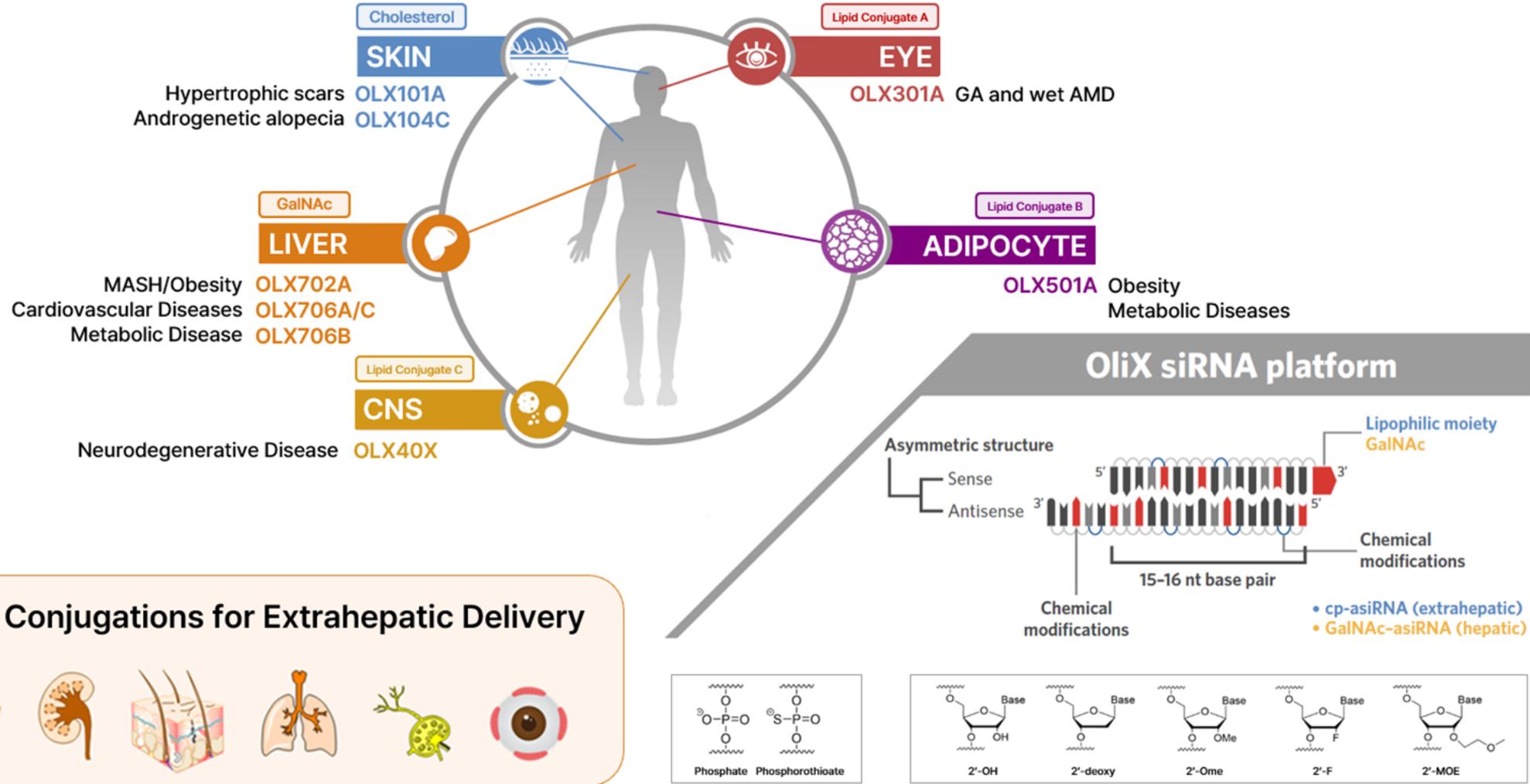
Seul-gi Jo^{1,3}, Sun Woo Hong¹, and Dong-ki Lee^{1,4}

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

Sun Woo HONG^{1*}, June Hyun PARK^{1*}, Soyeong YUN¹, Chang Han LEE¹, Chanseok SHIN^{1,2} and Dong-ki LEE^{1,2}

¹Global Research Laboratory for RNAi Medicine, Department of Chemistry, Sungkyunkwan University, Suwon 440-746, Republic of Korea
²Department of Agricultural Biotechnology, Seoul National University, Seoul 151-747, Republic of Korea
³Plant Genetics and Breeding Institute, Seoul National University, Seoul 151-921, Republic of Korea

Overview: 다양한 표적 장기에 걸친 폭넓은 치료제 파이프라인 보유



R&D 현황

| | Program | Indication | Platform Development | Discovery | Animal POC | Preclinical | Clinical | Partnering status | |
|------------------------------|---------|--------------------|----------------------|-----------|------------|-------------|-----------------------|-------------------|------------------------|
| Liver | OLX702A | 대사이상 지방간염(MASH)/비만 | [Progress Bar] | | | | (호주) 1상 진행 중 | | Eli Lilly (Global) |
| | OLX706A | 심혈관 질환 | [Progress Bar] | | | | | | Hansoh (Greater China) |
| | OLX706B | 대사성 질환 | [Progress Bar] | | | | | | |
| | OLX706C | 심혈관 질환 | [Progress Bar] | | | | | | |
| | OLX702X | 비만 | [Progress Bar] | | | | | | |
| | OLX702R | 고혈압 | [Progress Bar] | | | | | | |
| Skin | OLX104C | 탈모 | [Progress Bar] | | | | (호주) 1b/2a상 임상시험계획 승인 | | |
| | OLX101A | 비대흉터 | [Progress Bar] | | | | (미국) 2a상 완료 | | |
| Eye | OLX301A | 건성 황반변성 및 습성 황반변성 | [Progress Bar] | | | | (미국) 1상 진행 중 | | |
| | OLX304C | 망막색소변성증 | [Progress Bar] | | | | | | |
| Adipocyte Targeting Platform | | 지방조직 | [Progress Bar] | | | | | | |
| CNS Targeting Platform | | 뇌신경 질환 | [Progress Bar] | | | | | | |

* 로레알(L'Oréal)과 피부 및 모발 재생 분야 파트너십 체결로 연구개발 진행 중 (구체적 협업 대상 비공개)

02

파트너사

일라이릴리

로레알

한소제약

■ 일라이릴리와 공동개발 및 라이선스 계약 체결

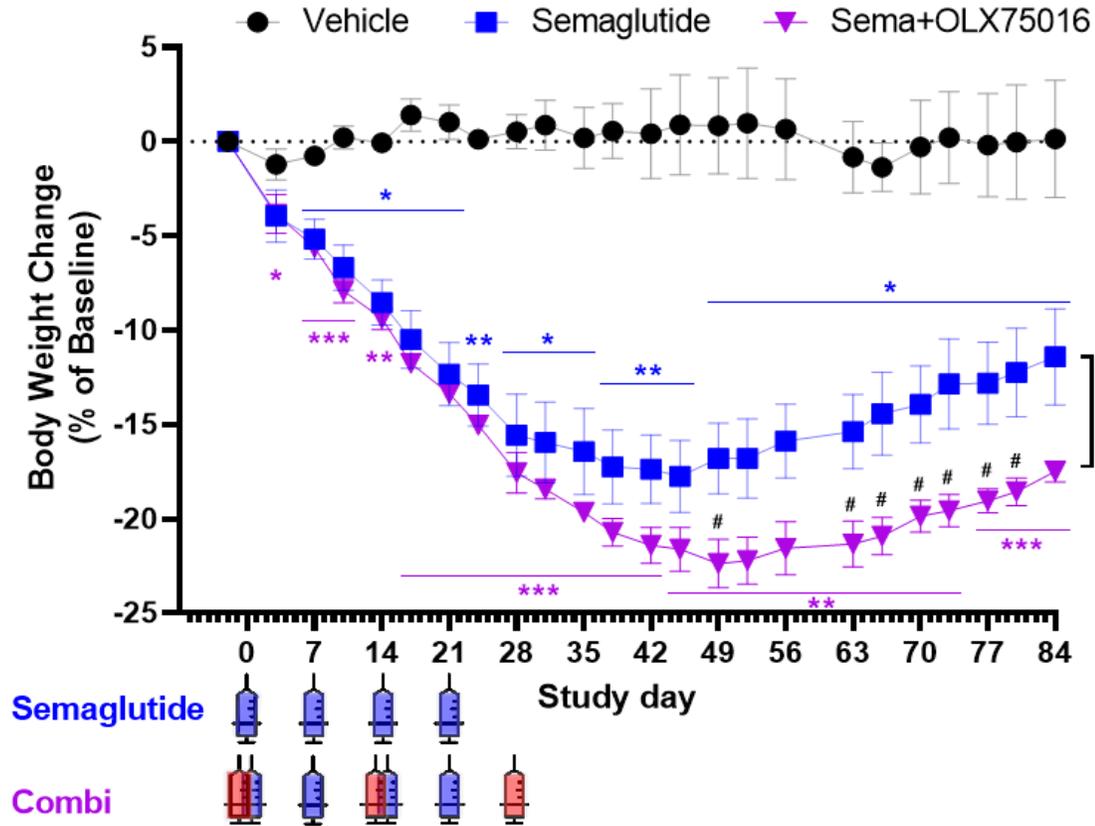


| | |
|------|--|
| 계약회사 | Eli Lilly and Company (“릴리”) |
| 계약일시 | 2025년 2월 |
| 계약규모 | USD 630,000,000 |
| 계약대상 | OLX702A – MASH 및 기타 심혈관 대사질환 적응증 |
| 계약내용 | <ul style="list-style-type: none"> • 계약체결 후 올릭스는 릴리에게 독점적 라이선스를 부여함 • 올릭스는 OLX702A에 대한 임상 1상 활동을 계속하여 완료하고 릴리는 후속 연구, 개발, 상업화를 수행함 <p>※ 타겟 유전자인 '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</p> |

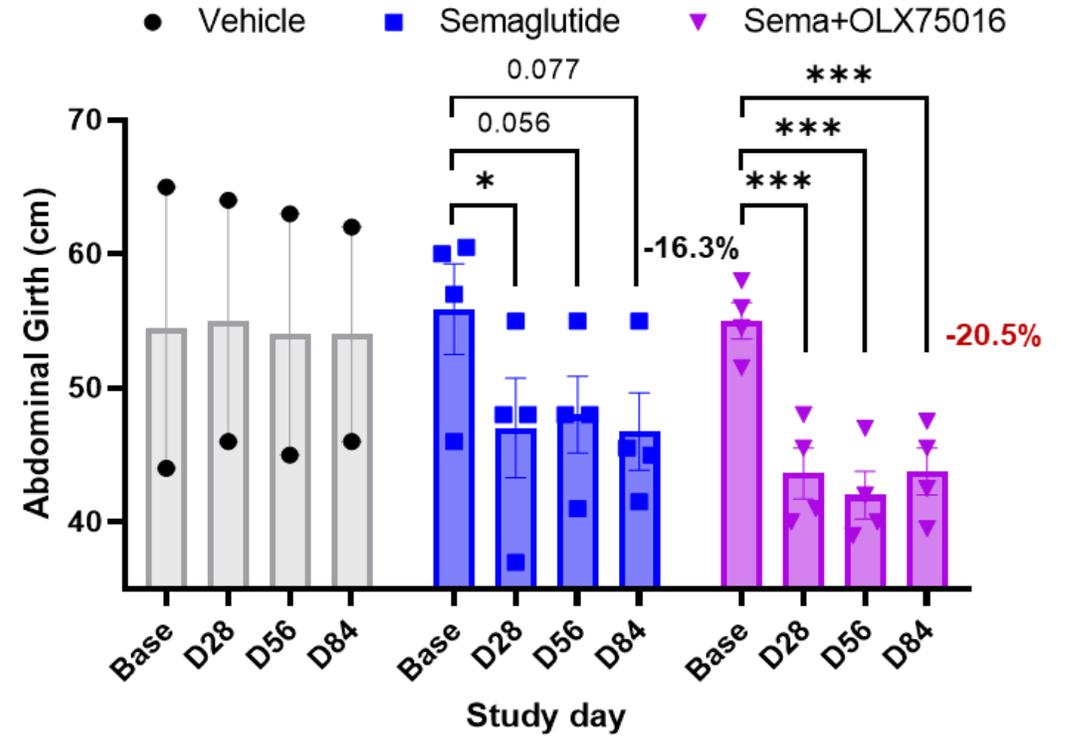
* 선금금, 세부 마일스톤 조건 및 금액은 계약 상대방 요청에 따라 비공개

전임상 결과: GLP-1 와 OLX702A 병용투여

Body Weight Change



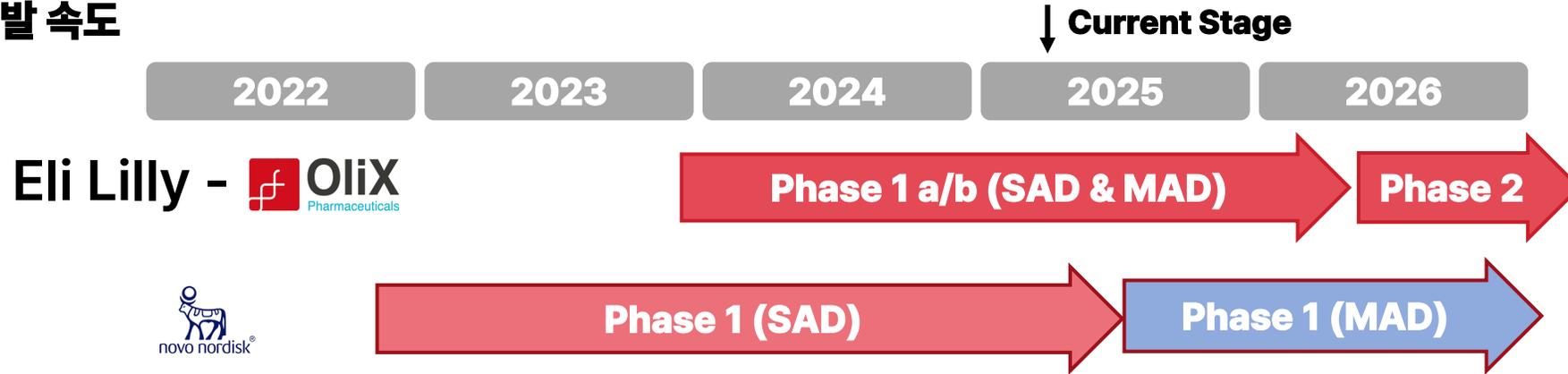
Abdominal Girth



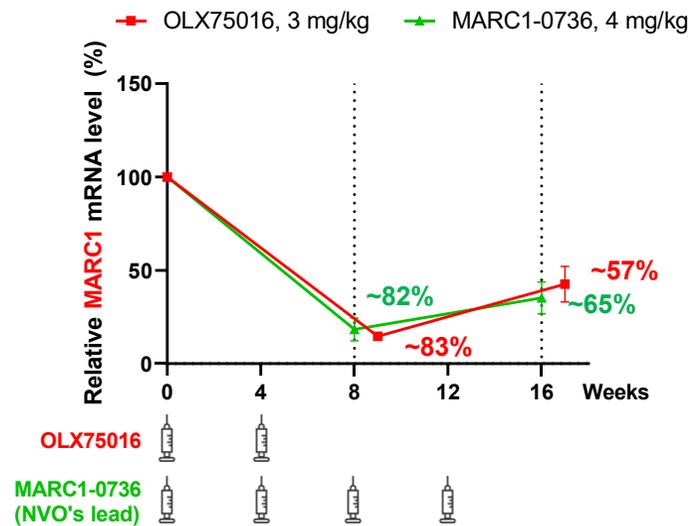
GLP-1과 OLX702A 병용투여 시 GLP-1 단독 대비 체중과 복부둘레에서 추가적인 감소 효과 확인 (NHP 연구 기반)

노보 노디스크 MARC1 siRNA 대비 우위 점

개발 속도



효력 (원숭이 비임상 시험 결과)

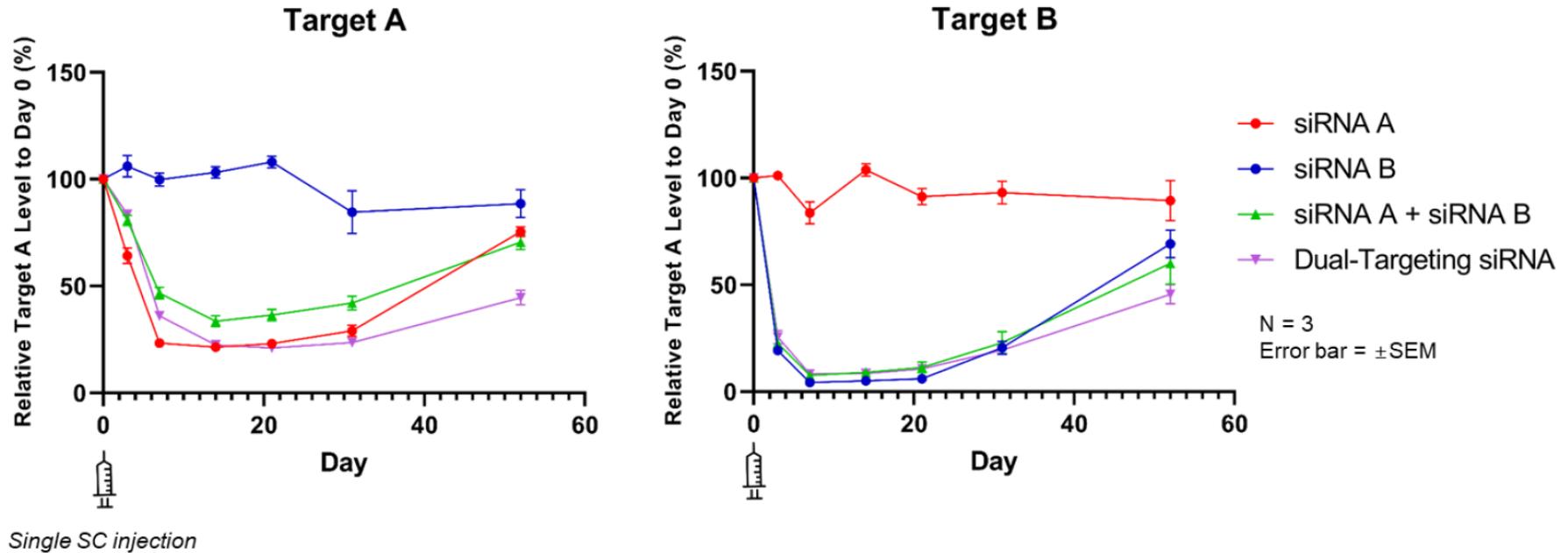


- OLX75016의 경우 노보의 MARC1-0736 (best efficacy in NHP) 대비 **3/4 용량에서 동등한 목표 유전자 억제능**을 보임
- OLX75016 마지막 투여 후 13주 시점의 효력이 Novo MARC1-0736 마지막 투여 후 4주 시점의 효력과 동등함
투여 후 효력 유지 기간에서 명확한 우위를 보임

| 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 진행 중)



- 두 GalNAc-asiRNA 혼합군(초록) 대비 dual 타겟팅 플랫폼(보라)의 동등 또는 일부 우수한 효력 및 지속기간 확인
- 복수 siRNA 개발 대비, 단일 분자 접근은 전달 균일성 및 개발 효율성(CMC, QC, 허가)을 동시에 확보
- **일라이릴리와 계약사항:** 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 계약 금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있음

■ 로레알과의 피부 및 모발 재생을 위한 과학적 공동 연구 협력

L'ORÉAL



 **OliX**
Pharmaceuticals

| | |
|------|---|
| 계약회사 | L'Oréal Groupe ("로레알") |
| 계약일시 | 2025년 6월 |
| 계약규모 | 수백만 유로 + α |
| 계약대상 | 피부 및 모발 재생과 수명 연장 |
| 계약내용 | <ul style="list-style-type: none"> • OliX는 siRNA 기반 피부·모발 재생 공동 연구의 결과물 개발을 주도하며 로레알은 이에 대한 연구비를 지원 • 로레알은 향후 라이선스 포함 추가 계약 체결에 대한 독점 협상권을 보유 |

* 계약세부사항 미공개

■ 한소제약과 공동개발 및 라이선스 계약 체결



| | |
|------|--|
| 계약회사 | Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co, Ltd (“한소제약”) |
| 계약일시 | October 2021 |
| 계약규모 | USD 451,000,000 |
| 계약대상 | 심혈관 및 대사질환 치료제 후보물질 |
| 계약내용 | <ul style="list-style-type: none"> • 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 |
| 한소제약 | <ul style="list-style-type: none"> • 중국 내 4위, 전 세계 37위 제약회사¹⁾ • 중화권 및 아시아 시장에서 CVM 및 항암 분야의 선도 바이오 기업 • 홍콩(HK 3692) 증시 상장기업 |

■ 파트너사와의 주요 개발 모멘텀 (2025년 하반기 및 2026년 상반기)

1) Lilly (MASH/비만):

- NAFLD SAD 환자에서 약 80%의 KD 및 6개월 이상 지속되는 전례 없는 간 지방 감소 효과 확인
- 향후 Lilly가 임상 2상을 주도할 것으로 기대
- MARC1 이중 표적화 → 후속 기술이전 가능성

2) L'Oréal (피부/모발):

- 피부 및 모발 재생/노화지연을 위한 공동 연구 협력 진행 중
- 초기 연구개발(R&D) 자금 확보 완료
- 긍정적인 개발 성과 → 계약 확대 가능성

3) Hansoh (심혈관 대사 질환):

- CVM 공동개발 순항 중
- 추가 옵션 행사
- Hansoh의 개발 진전에 따라 최근 마일스톤 지급 수령



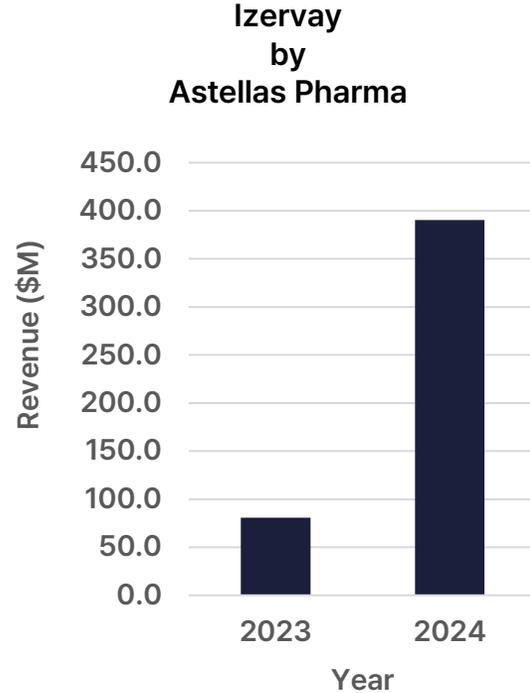
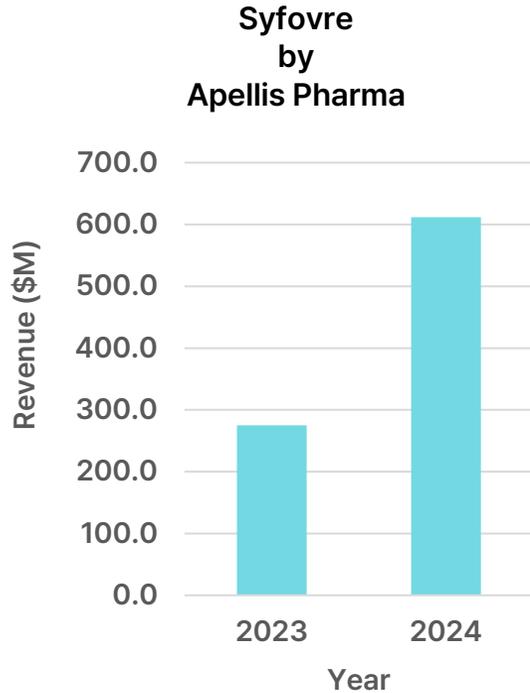
03

향후 기대 요소

황반변성 (AMD)

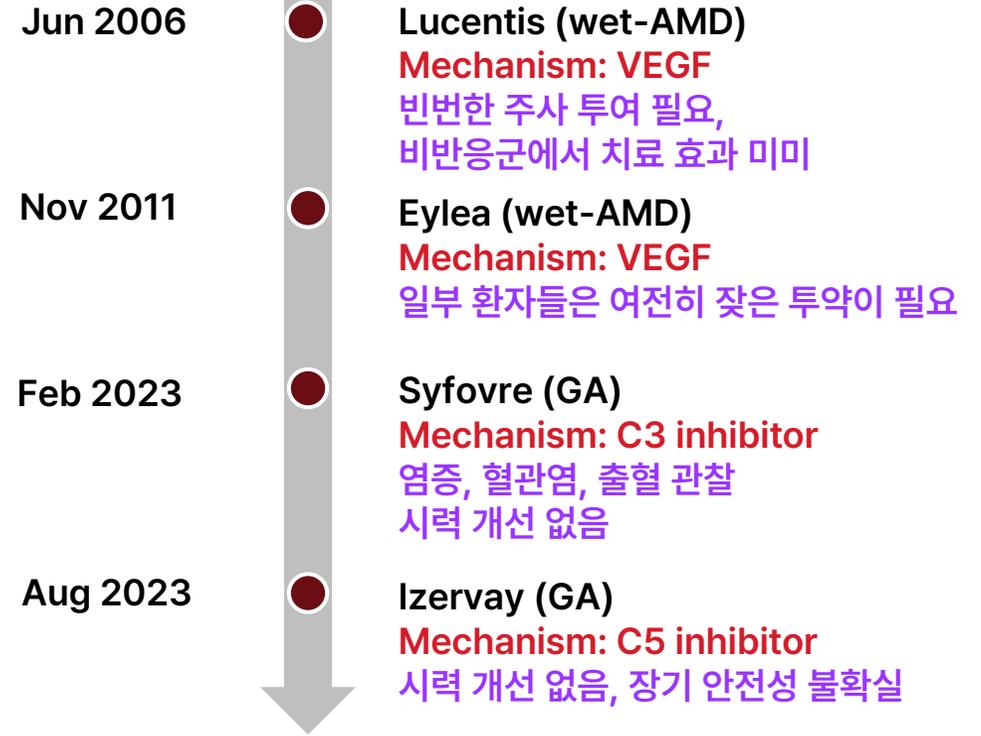
■ 황반변성: Age-related Macular Degeneration (AMD)

FDA 승인 건성 AMD(GA) 치료제의 매출 현황



- ✓ Astellas는 Izervay 확보 위해 Iveric Bio를 8.2조원에 인수
- ✓ 건성 AMD 치료제 Syfovre 와 Izervay는 블록버스터 시장 형성 중

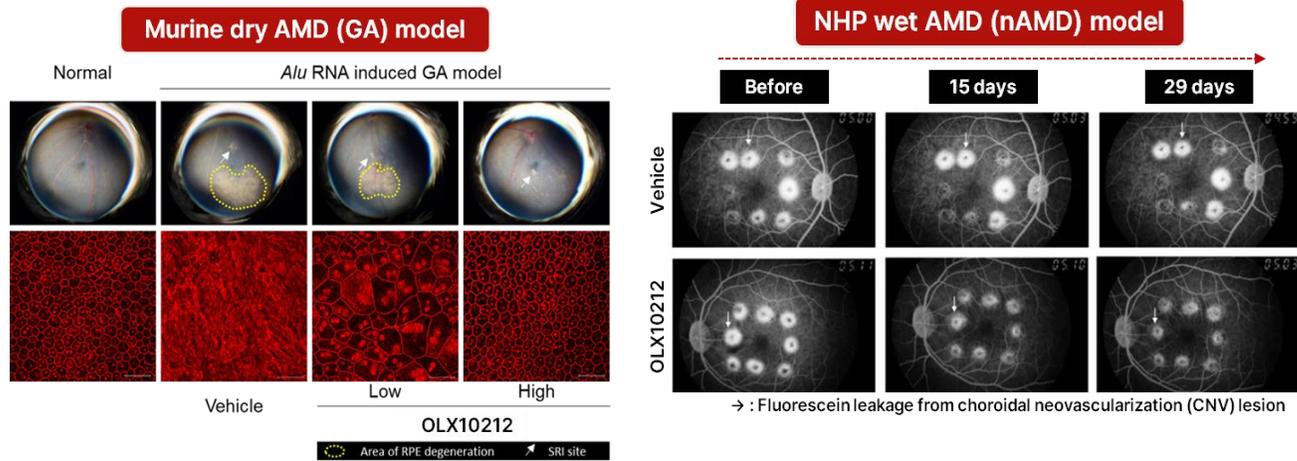
FDA 승인일시



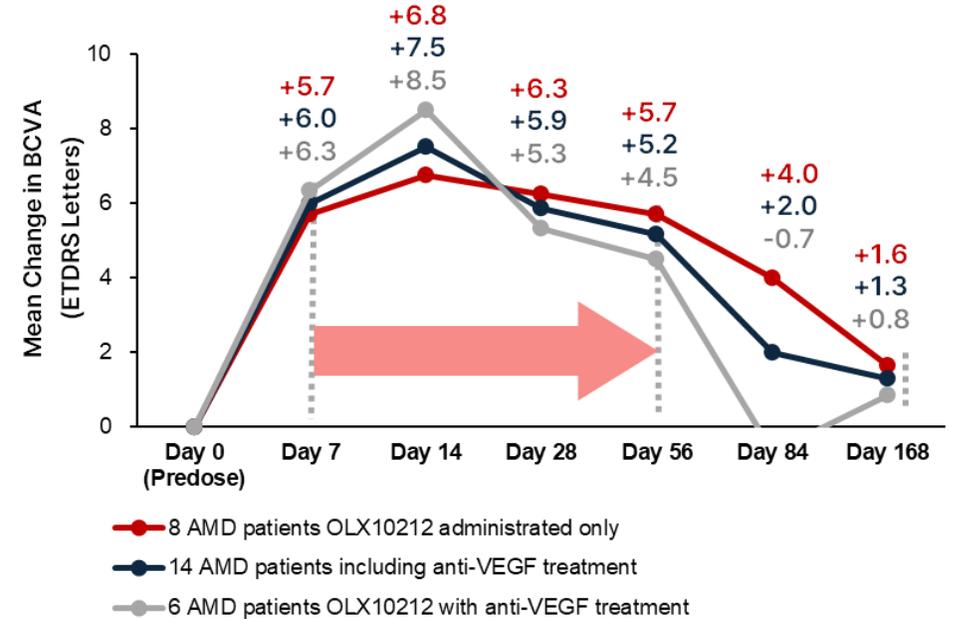
- ✓ 기존 치료제의 한계로 상당수 환자들이 유의미한 효과를 경험하지 못함
- ✓ 현재 AMD 치료제는 염증 및 시력 개선 지속성 측면에서 제약이 존재하여, 새로운 치료 접근법이 요구됨

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 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

2025년 하반기 CSR 확보 예정, 글로벌 제약사들과 전략적 협력 구조 검토 중

04

성장 동력

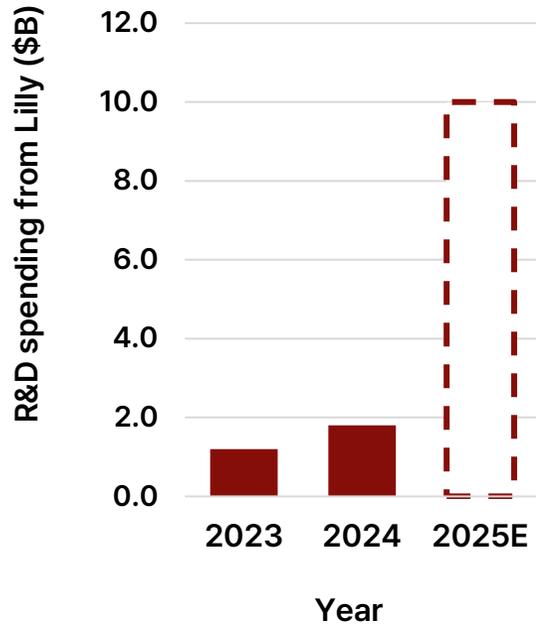
지방조직 표적

근육조직 표적

중추신경계 표적

지방조직 표적

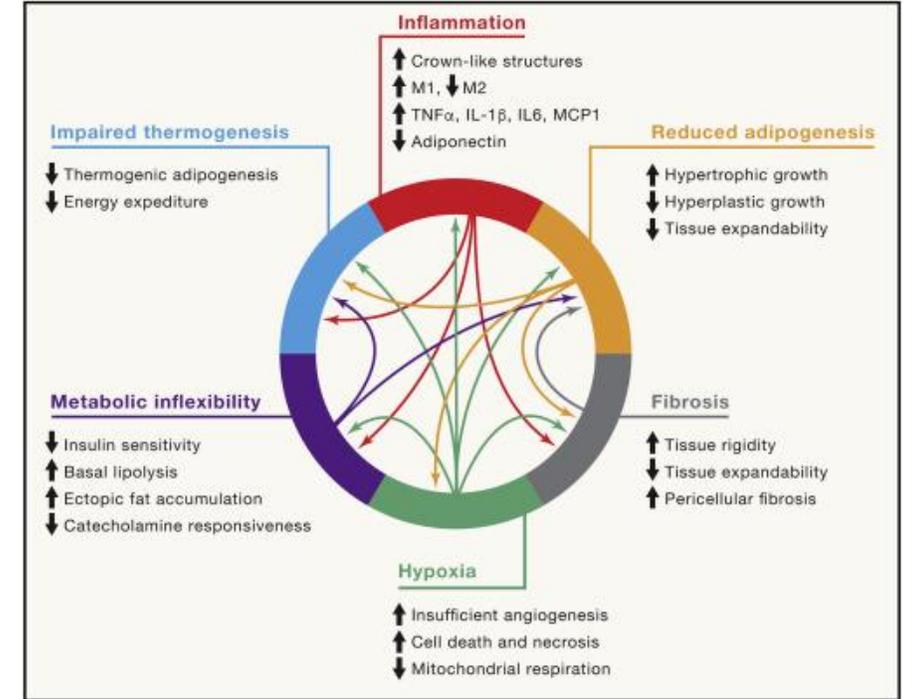
비만 연구 개발 규모



GLP-1

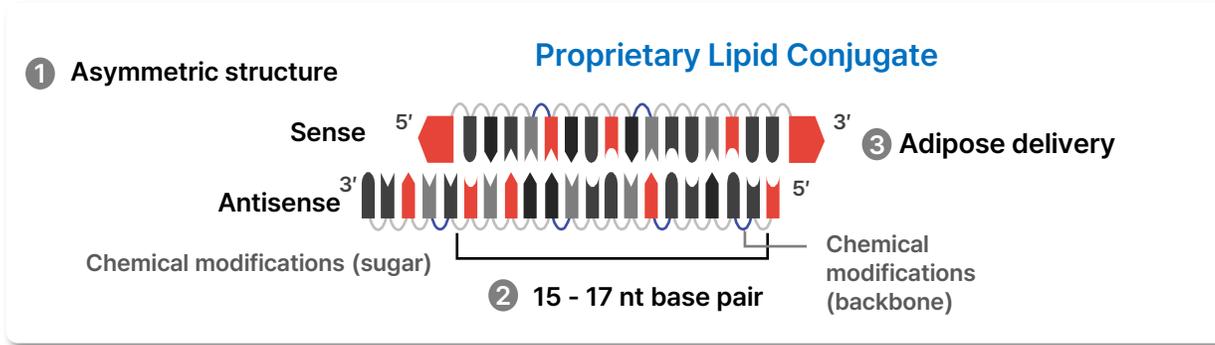
- 
 - 구역
 - 설사
 - 복통
- 
 - 갑상선암(특히 수질암) 발생 위험 증가
- 
 - 골절 위험
 - 영양 결핍 가능성
- 
 - 장기적인 데이터 부족
 - 저혈당 발생 사례
 - 신진대사 저하

- ✓ 글로벌 빅파마들의 공격적인 R&D 추진 → 새로운 시장 기회 확보
- ✓ GLP-1RA 한계가 당사 핵심 역량 기반의 대응 가능 시장을 제시



- ✓ 지방조직이 비만 연구의 차세대 핵심 영역으로 부상
- ✓ 지방조직 가소성과 심혈관·대사질환 간의 상관성 부각

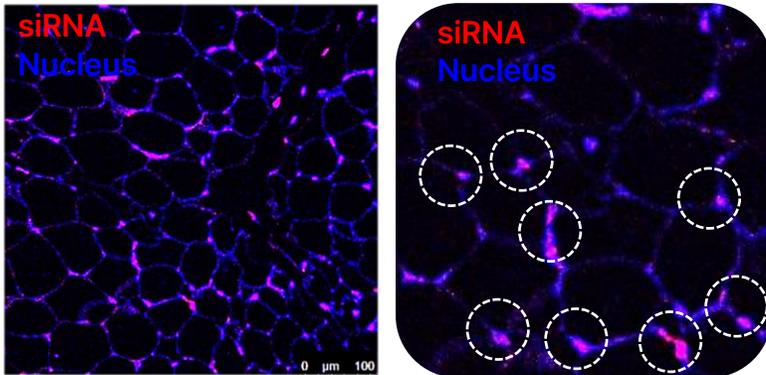
■ 지방조직 전달을 위한 cp-siRNA Platform



- 우수한 효능 및 표적 선택성을 위한 지질 화학적 변형 최적화

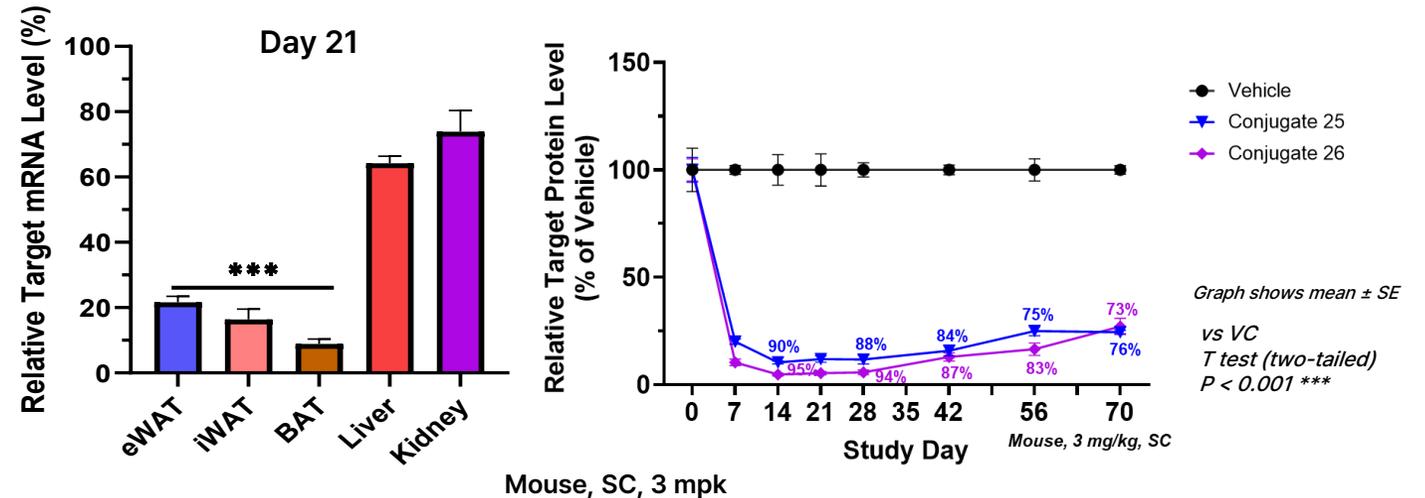
효율적인 지방조직 전달

Adipose Tissue Section



Mouse, SC, 10 mpk, 48 h

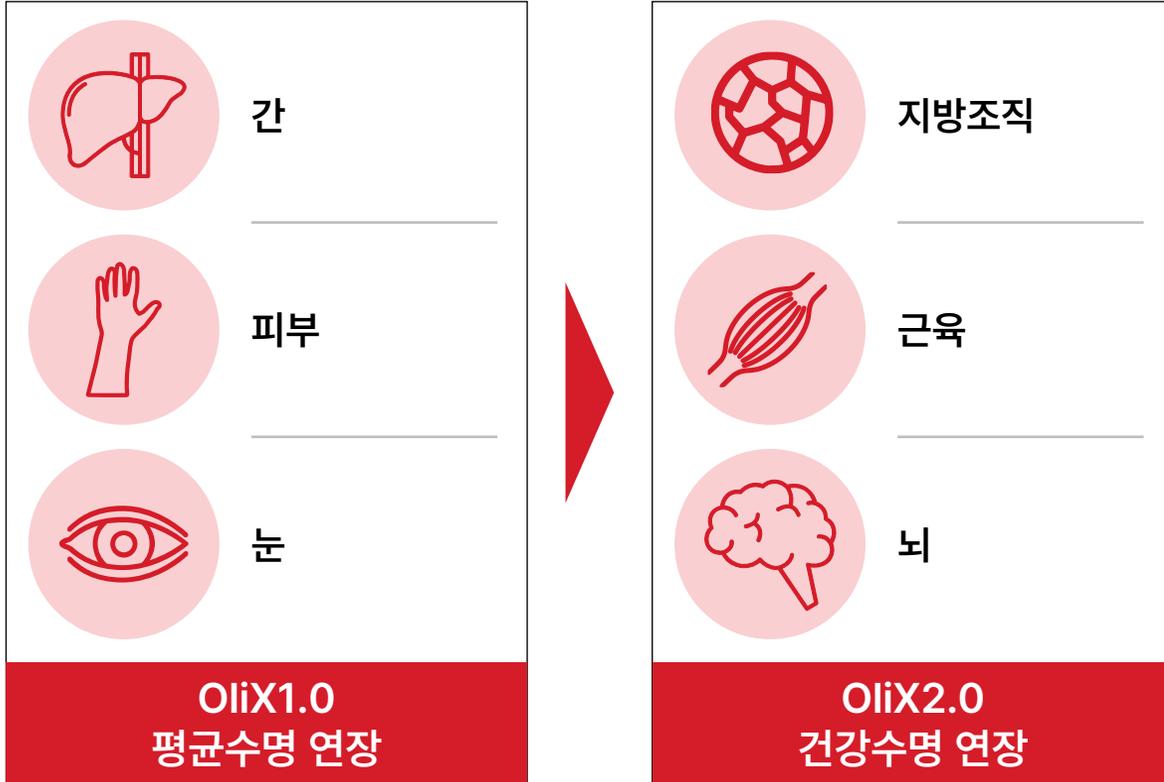
지방세포 특이적 지속적인 유전자 발현 억제(KD)



3 mg/kg 1회 투여로 약 80% knockdown 효과 그리고 마우스 모델에서 2개월 이상 유지

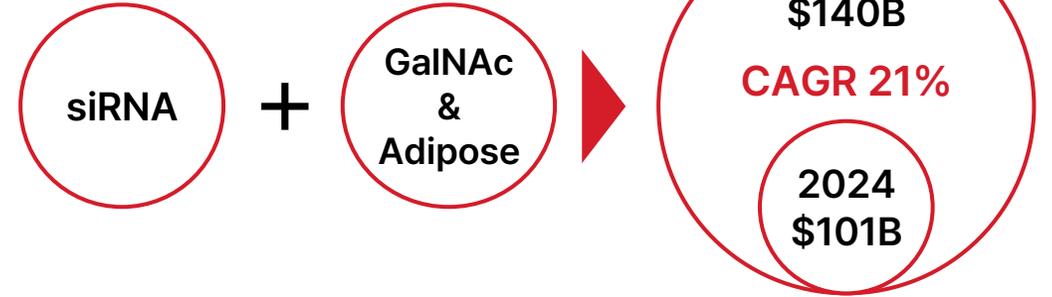
■ 근육조직 표적

올릭스 핵심 역량을 입증한 1.0 토대 위에서 2.0의 도약으로

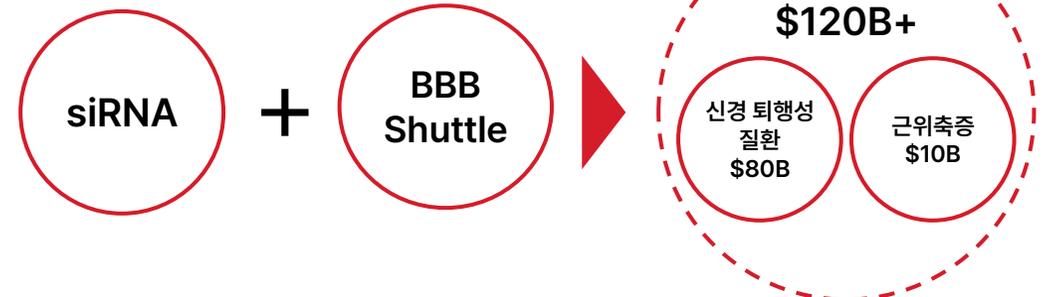


- ✓ OliX1.0: 간·피부·안과 질환을 겨냥한 GalNAc 및 국소 투여 플랫폼
- ✓ OliX2.0: 전신 투여로 근육·뇌 등 핵심 조직 타겟하는 차세대 플랫폼

간과 지방조직을 겨냥한 siRNA 전달 기술로
비만·대사질환 시장 Fast Follower

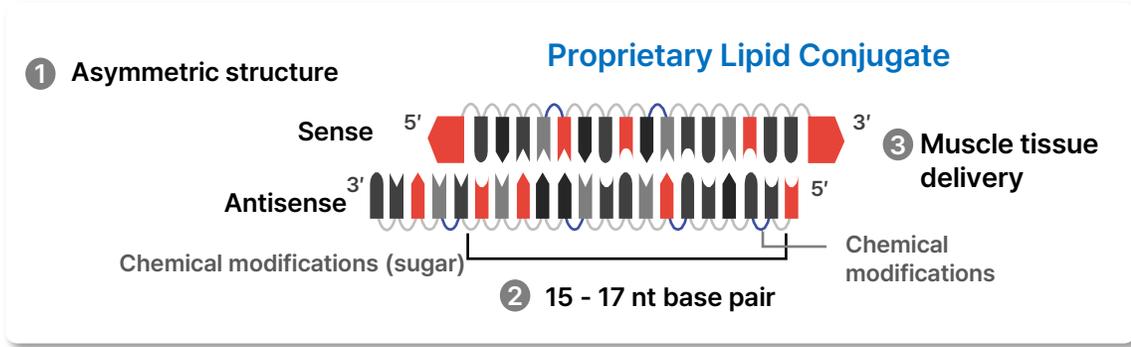


BBB 셔틀 업체와의 전략적 파트너십으로
근육조직·중추신경계 시장 First Mover

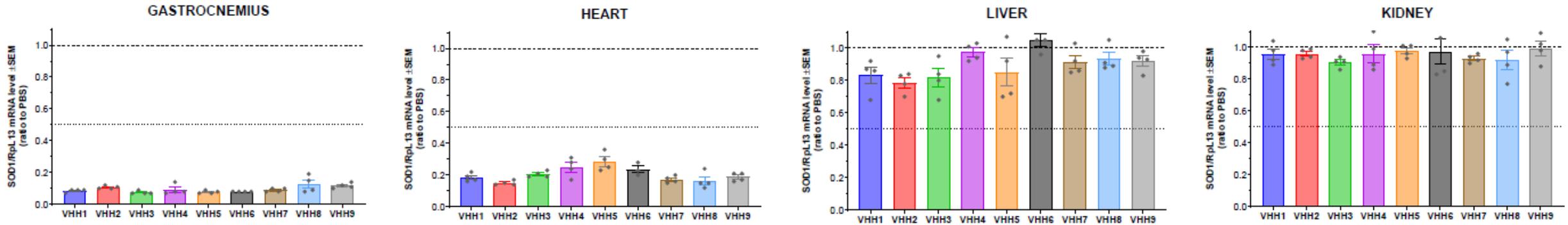


- ✓ MASH & 대사질환 시장에서의 성공 노하우를 바탕으로 근육조직 및 중추신경계 (CNS) 등 핵심 시장 공략
- ✓ siRNA와 BBB 셔틀 기술은 폭발적으로 성장하여 차세대 의료 패러다임 재편 기대

근육조직 전달을 위한 cp-siRNA Platform



당사 siRNA 플랫폼과 BBB 기술 도입으로 근육조직 · 심장근육 표적 유전자 KD 구현 가능

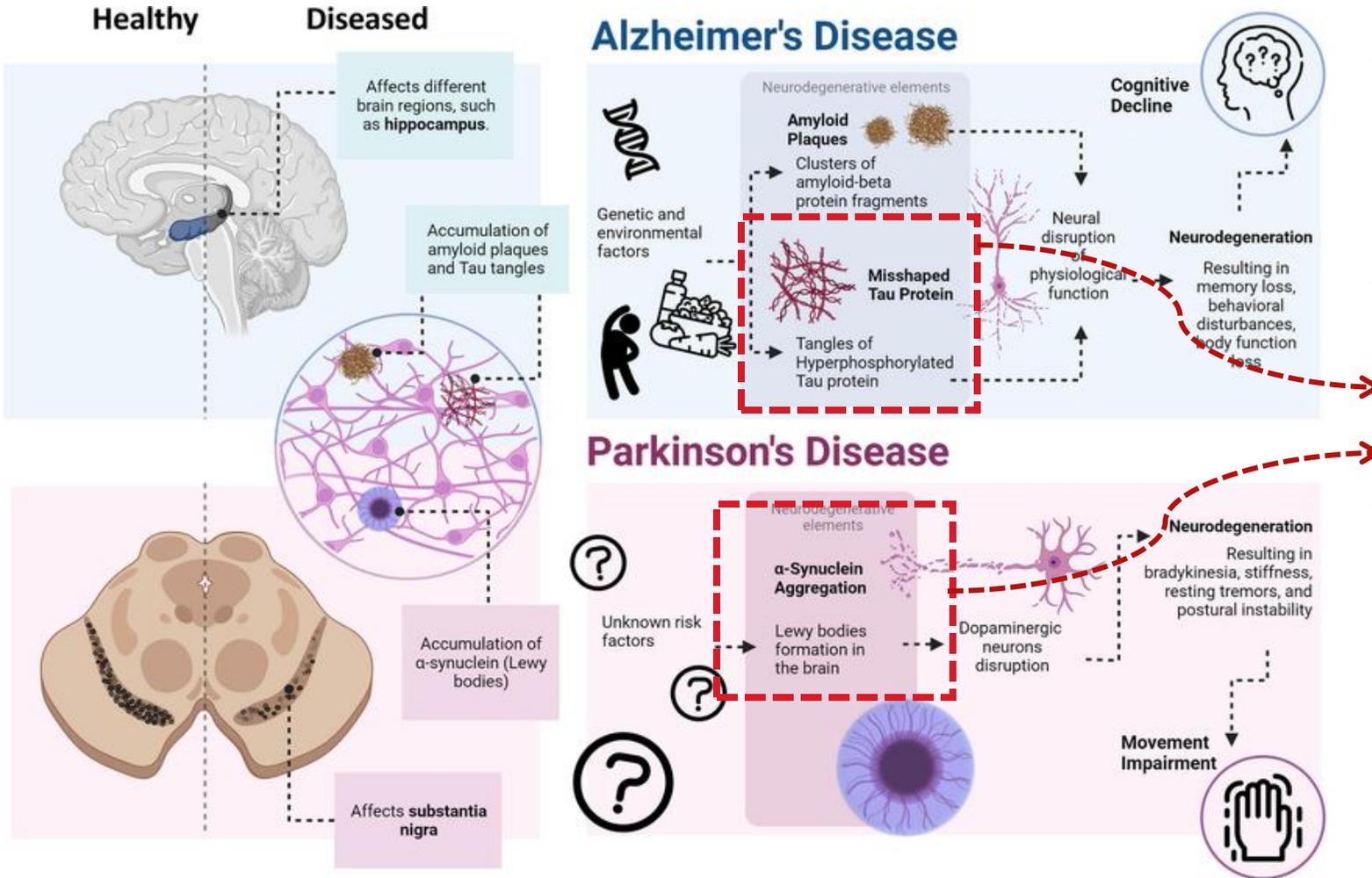


Mouse, single dose, SC 4.5 mpk siRNA, 14 days

BBB 전달 기술 글로벌 선도 기업과 파트너십을 통해 최적화 접합체 기반 Best-in-Class siRNA로 핵심 표적 유전자를 효과적으로 침묵

■ 중추신경계(CNS) 표적: CNS 질환에서 세포 내 표적 접근

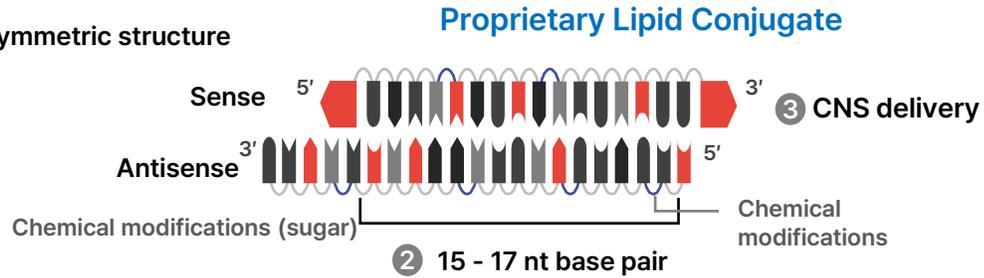
기존 치료가 닿지 못한 영역 표적: 혈뇌장벽(BBB)을 넘는 siRNA



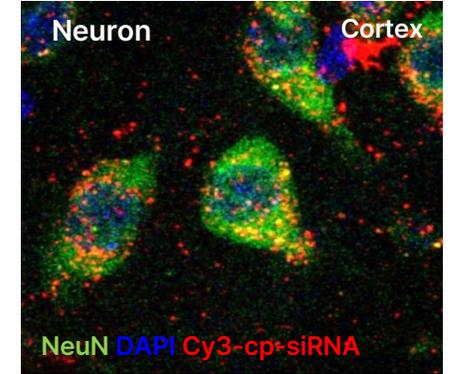
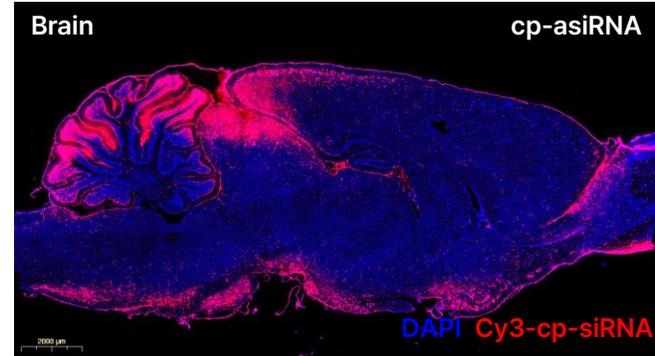
- siRNA 치료는 기존 항체 기반 치료제로는 접근이 어려웠던, 또는 '약물화 불가능'하다고 여겨졌던 세포 내 표적에 도달 가능
- 항체 치료제는 주로 세포 외 또는 분비성 표적에 국한되며, 세포질 또는 핵 내의 단백질 응집체(Tau, α-시뉴클레인)에는 효과가 없음
- siRNA와 혈뇌장벽(BBB) 표적화 기술은 상호 보완적인 치료 전략을 제공: RNAi의 세포 내 표적 접근과 BBB전달 기술을 통한 뇌 특이적 전달을 결합

CNS 전달을 위한 cp-asiRNA Platform

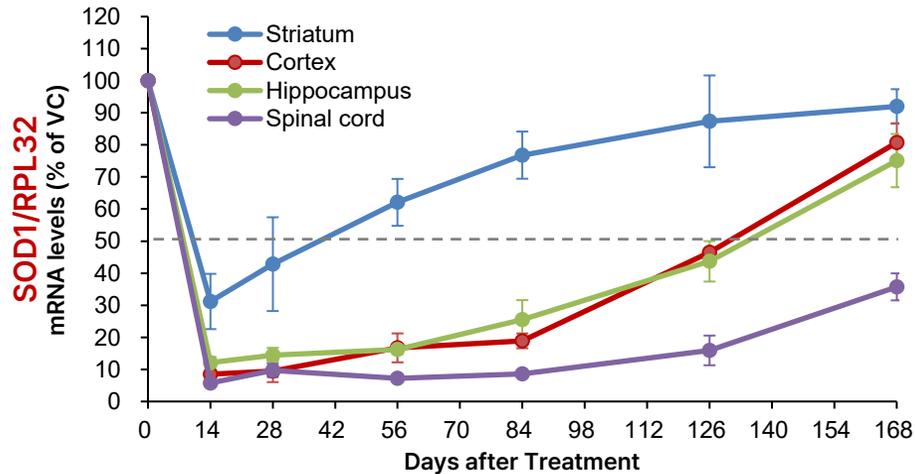
1 Asymmetric structure



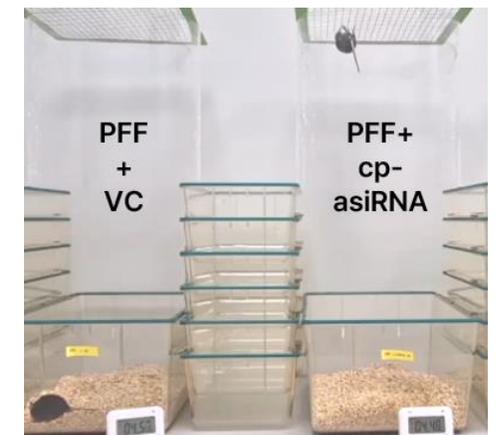
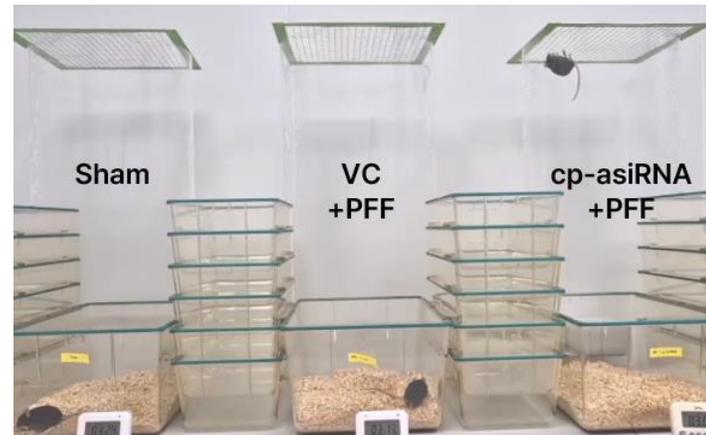
CNS 전달 (Rat 척수강내 투여, 0.5 mg)



KD효력의 지속성 (Rat 척수강내 투여, 0.9 mg)



PFF 파킨슨 마우스 모델에서의 치료 효력: wire hanging test



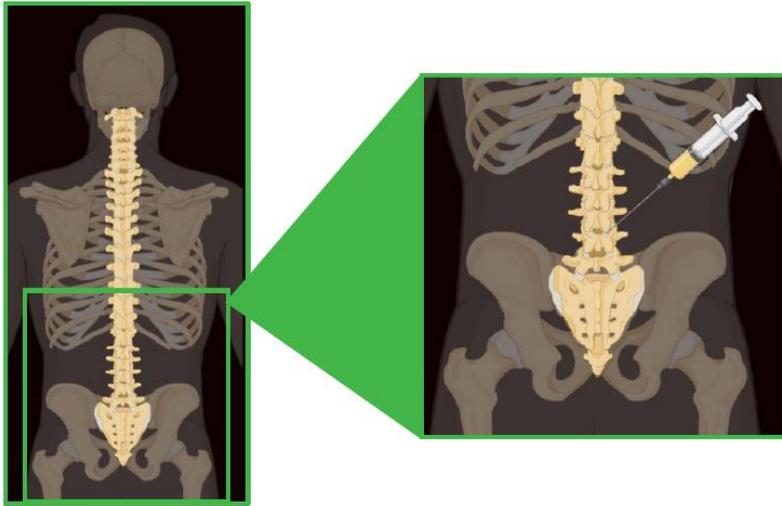
Pre-treatment

Post-treatment

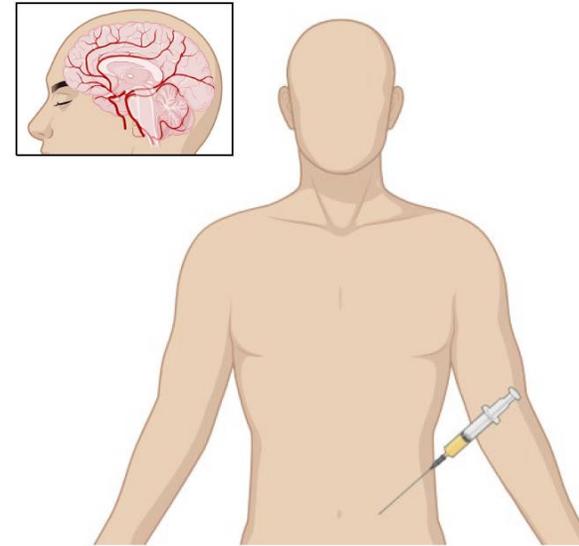
■ CNS 전달 향후 계획

국소 vs 전신 투여

- 현재 검토 사항
 - ✓ OliX siRNA를 위한 BBB 셔플 플랫폼 도입 추진
 - ✓ BBB 전달 기술을 보유한 바이오텍들과의 공동 연구 협력 진행 중

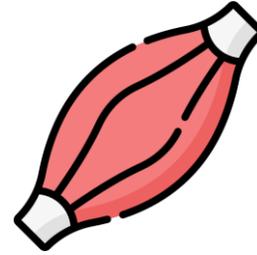
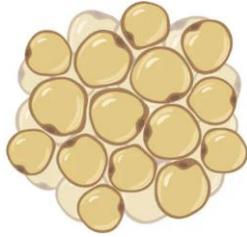


- 척수강내 투여
 - ✓ 뇌척수액(CSF)에 직접 주사
 - ✓ 주사 부위에서부터 중추신경계(CNS) 전반으로 확산
 - ✓ 심부 뇌 영역까지의 약물 전달에 한계



- 전신(피하) 투여 방식
 - ✓ 피하 주사를 통한 높은 투약 편의성 제공
 - ✓ 중추신경계 내 혈관내피세포 수용체를 활용하여 혈뇌장벽(BBB) 통과
 - ✓ 광범위한 중추신경계 내 약물 분포 가능

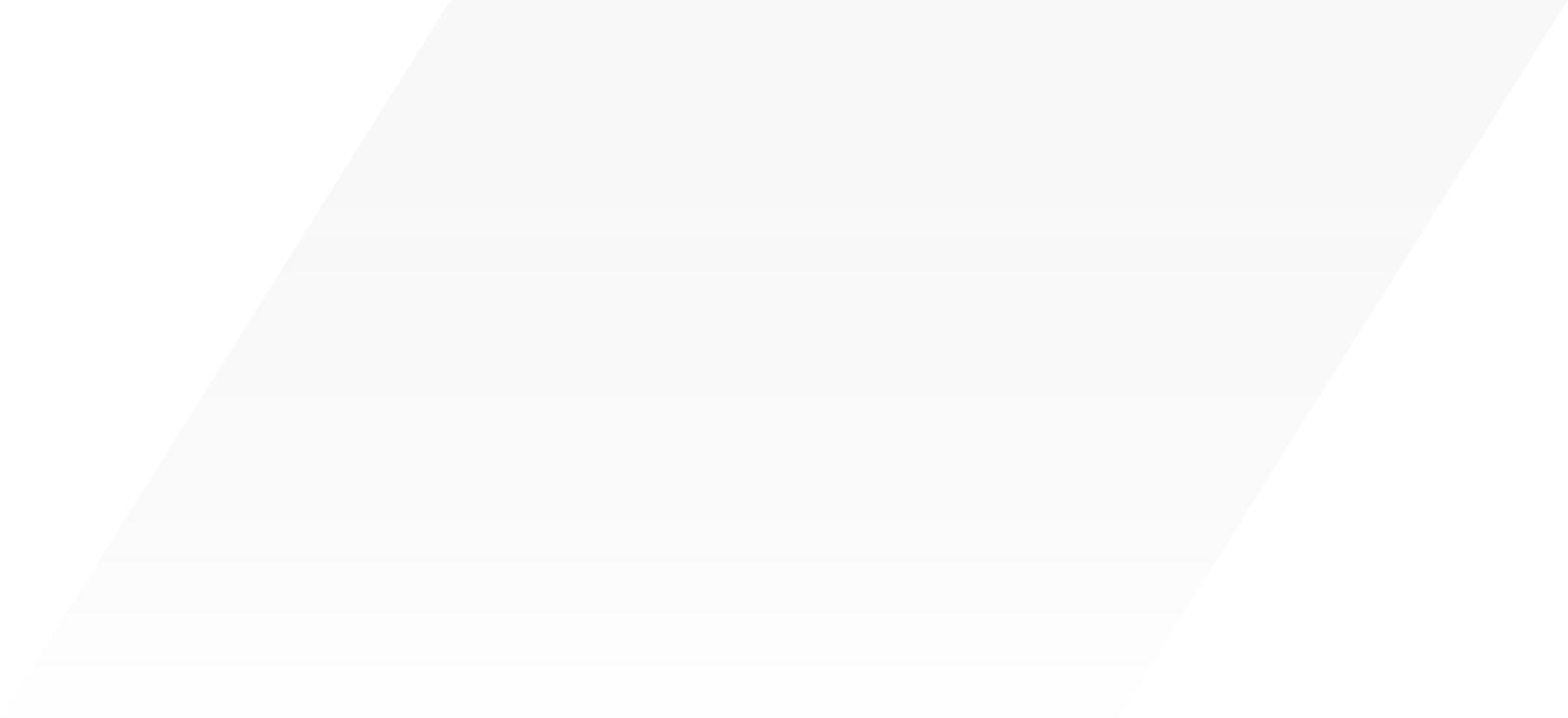
2026년 이후 중점 투자 영역



| | | | |
|--------|---|---|--|
| 전달 표적 | <ul style="list-style-type: none"> 지방조직 | <ul style="list-style-type: none"> 근육조직 | <ul style="list-style-type: none"> 중추신경계 (CNS) |
| 하이라이트 | <ul style="list-style-type: none"> 마우스에서 eWAT · iWAT 조직에서 80% 유전자 억제 효과 확인 (2개월 이상 지속) | <ul style="list-style-type: none"> 당사 siRNA 플랫폼에 BBB 기술 도입을 통한 근육조직 · 심장근육 표적 유전자 KD 구현 가능 | <ul style="list-style-type: none"> 마우스 파킨슨병 모델에서 치료 효과 입증 |
| 일정 | <ul style="list-style-type: none"> IND 제출 (2026 2H) | <ul style="list-style-type: none"> IND 제출 (2027) | <ul style="list-style-type: none"> IND 제출 (2027) |
| 확장 가능성 | <ul style="list-style-type: none"> 독자적인 지방조직 전달 시스템 기반 플랫폼 파트너십 구축 | <ul style="list-style-type: none"> siRNA 전달을 위한 선도적인 BBB(혈뇌장벽) 기술 기업들과의 파트너십 진행 중 | |

05

요약



■ 요약

- 간 및 간의 조직 모두에 효율적으로 전달되는 이중 플랫폼 보유
- 양 플랫폼을 활용한 제약 및 헬스&뷰티 업계 선도 기업들과의 견고한 파트너십 확보
 - ✓ Lilly, Hansoh (GalNAc-siRNA)
 - ✓ L'Oréal
- 기존 파트너십으로부터 지속적인 마일스톤 수익 기대
- siRNA 안과 및 피부과 분야의 유일한 기업
- 국내 RNAi/올리고핵산 분야에서 독보적인 입지 확보
- 지방조직, 근육조직 및 중추신경계(CNS) 등 간의 적응증으로 파이프라인 확장 중



Thank You

953, Daewangpangyo-ro, Sujeoung-gu,
Seongnam-si, Gyeonggi-do, Republic of Korea

TEL : +82-31-779-8400

www.olixpharma.com/eng