

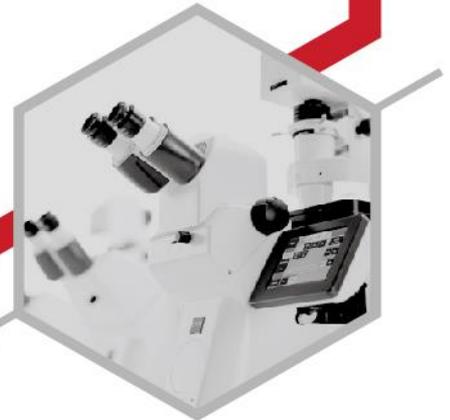


Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



Olix
Pharmaceuticals

Investor Relations 2024



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 수원시 영통구 이의동 에이스광교타워1, 1014호
임직원수	총 110명 (78 in R&D) * OliX US 29명, OliX AU 2명 포함 - 박사 : 23명, 석사 : 42명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발

■ 주주현황

(2023.12.31 기준)

주주명	주식수(보통주)	지분율
최대주주 등	4,068,826	25.40%
미래에셋자산운용	902,635	5.63%
휴젤(주)	355,592	2.22%
기타	10,692,706	66.75%
합 계	16,019,759	100.00%

■ 경영철학

Our Mission
첨단 기술로 인류의 건강과 행복에 이바지함

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

■ 관계법인

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

2. 성장연혁

다년간의 연구성과 기반, 축적된 파이프라인의 글로벌 시장 진출

기반기술 확립

- 2010년 02 비엠티(주) 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

기술 사업화

- 2019년 01 San Diego (US) Lab 설립
03 OLX301A '떼아' 기술이전
11 OLX101A 영국 1상 임상시험 종료
- 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 '한소제약' 기술이전
11 OLX703A, 보건복지부 국책과제 선정
11 혁신형 제약기업 보건복지부장관 표창
- 2022년 08 OLX301A 미국 1상 임상시험계획 승인
10 OLX401A/B, 보건복지부 국책과제 선정
10 OliX AU Pty Ltd 설립 (Sydney, Australia)
- 2023년 02 GalNAc-asiRNA '한소제약' 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



- 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
- 리앤목 특허법인
- 제일 특허법인
- KAIST 생물과학 학사/석사



연구총괄
박준현 이사

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



Head/CMC
Debasis Patra 부사장
(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/Chemistry
신동원 전무이사
(Olix US)

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



Head/Clinical Development
Alex Neumeister 전무이사
(Olix US)

- First-in-Human Studies Expert
- Translational Science Specialist
- Board Certified in Psychiatry and Neurology, University of Vienna, Austria
- M.D., University of Vienna, Austria

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)



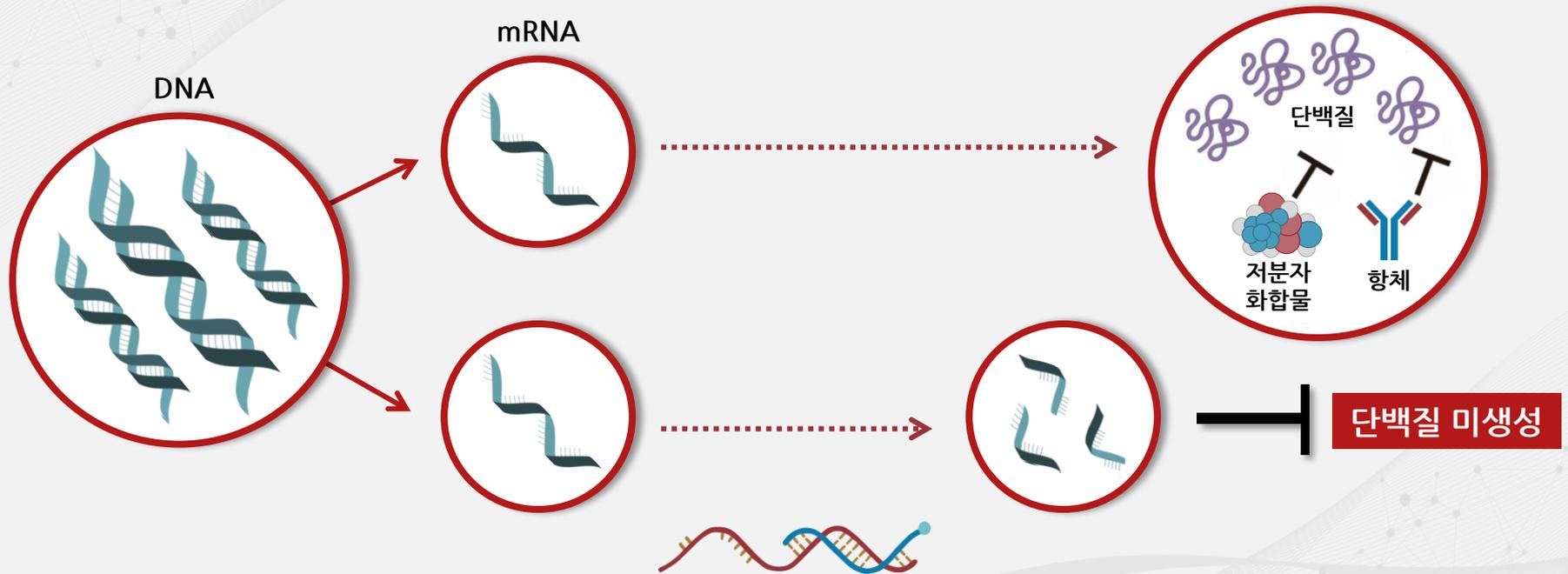
02

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



올리고 핵산 치료제
(siRNA, ASO, ...)

1. RNA 간섭기술

RNA 간섭기술은 제3세대 신약개발 기술인 올리고 핵산 기술로서 모든 질병 단백질에 대해 접근 가능하고 효율적으로 질병 유전자 발현 억제 가능

1, 2세대 신약개발 기술
(저분자화합물 치료제, 항체 치료제)



- ▶ 생성된 질병 관련 단백질에 결합하여 작용
- ▶ 대상 단백질의 형태 또는 위치에 따라 공략이 불가능한 단백질(undruggable target) 존재
- ▶ 신약 후보물질 도출기간 3~5년

제 3세대 신약개발 기술 - 올리고 핵산 치료제



- ▶ 화학적으로 합성된 DNA 또는 RNA 등 올리고 핵산을 치료제로 이용
- ▶ 단백질 생성 이전 단계인 mRNA²⁾에 작용
- ▶ 질병 유발 단백질의 생성을 특이적으로 억제하여 Undruggable Target에 대한 신약 개발 가능
- ▶ 신속한 신약 후보물질 도출 가능 3~5개월

RNA 간섭 기술

siRNA (RNA간섭 물질)



(이중가닥 짧은 간섭 RNA)

- ▶ 올리고 핵산 치료제 중 가장 효율적으로 유전자 발현 억제
- ▶ 원천특허 및 세포 내 전달기술 확보기업 중심으로 신약개발 진행 중
- ▶ 2018년 미국 FDA 첫 신약 승인 (ONPATTRO, Alnylam)

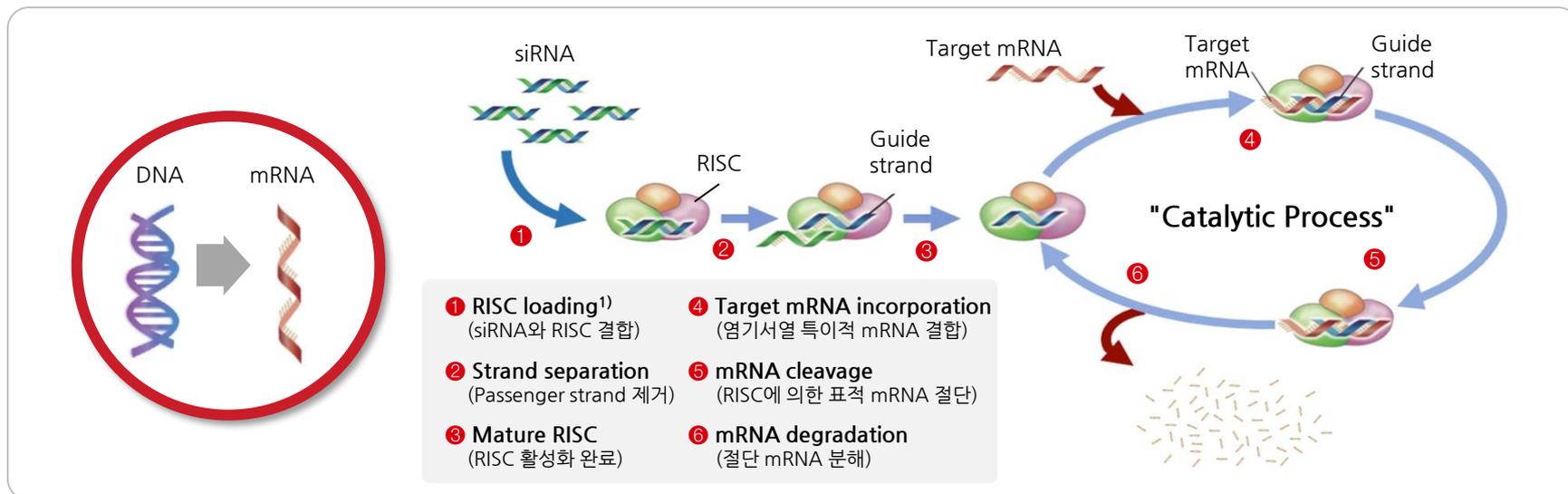
1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

Undruggable Target: 기존 치료제 및 신약으로 접근할 수 없었던 질환영역

2) mRNA(Messenger RNA): 전령 RNA, DNA를 주형으로 하여 생성되며, 염기서열을 바탕으로 번역 과정을 통해 단백질 생성

1. RNA 간섭기술

RNA간섭기술: 현실화된 가장 강력한 올리고 핵산 기술



1998년 최초 RNA 간섭현상 규명
206년 노벨 생리학 / 의학상 수상

기존의 신약기술로 표적 불가능한 "Undruggable Target" 신약 개발 가능

상용화 승인 RNA간섭 치료제

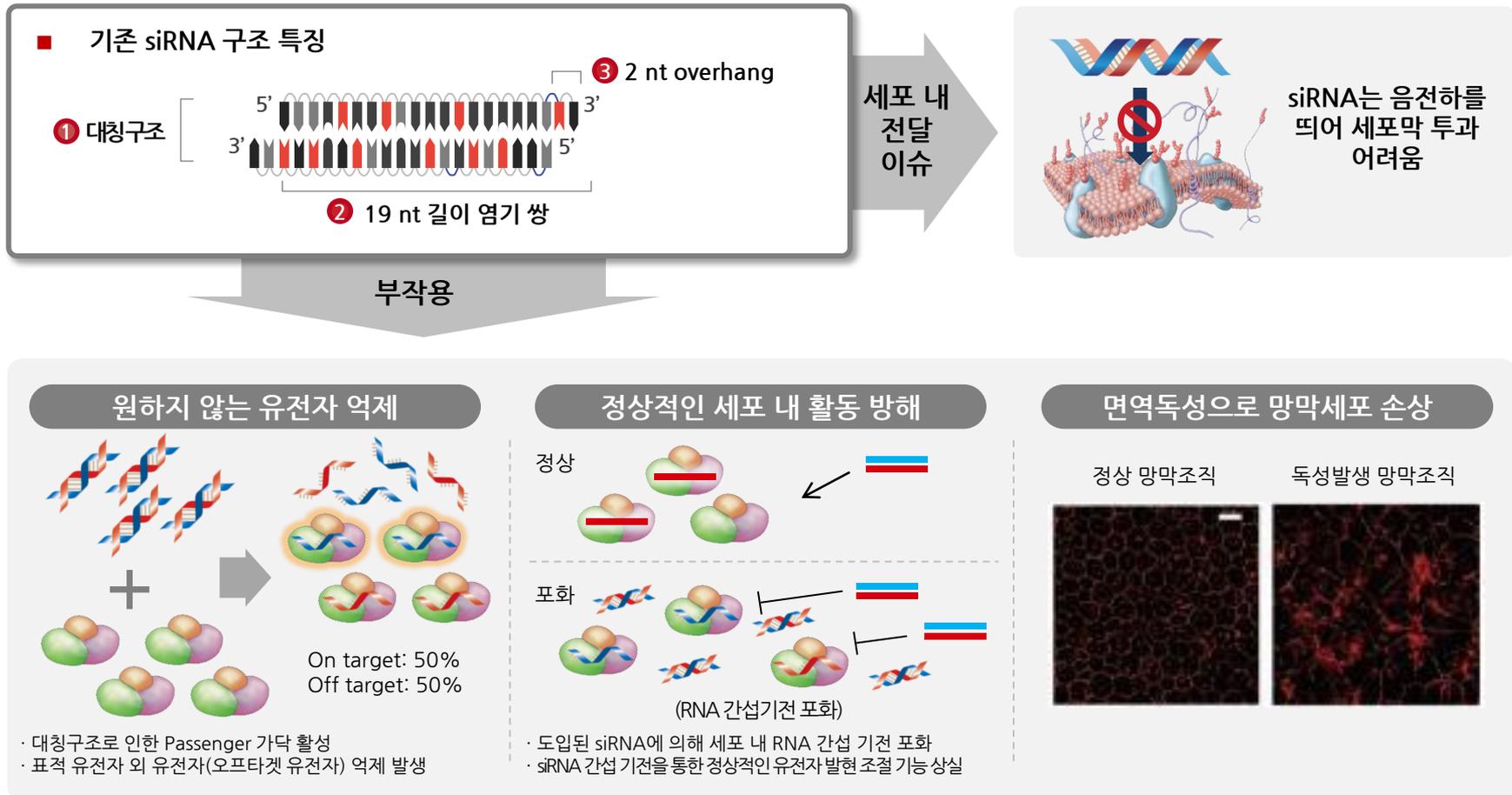
(Alnylam ONPATTRO	2018년 08월 by FDA)
(Alnylam GIMLAARI	2019년 11월 by FDA)
(Alnylam OXLUMO	2020년 11월 by FDA)
(Novartis LEQVIO	2021년 12월 by FDA)
(Alnylam AMVUTTRA	2022년 06월 by FDA)
(Novo Nordisk RIVFLOZA	2023년 10월 by FDA)

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

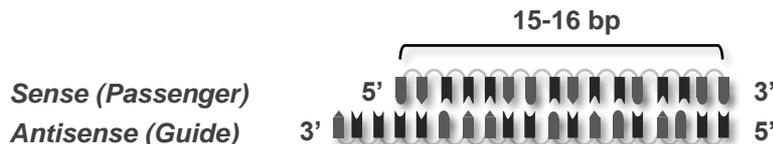
3. 비대칭 siRNA (asiRNA)

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

original article

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

Chan Il Chang¹, Jae Wook Yoo¹, Sun Woo Hong², Shi Eun Lee², Hy Harry A Rogoff³, Changill Bani¹, Soyeon Kim¹, Chiang J Li⁴ and Do

in this issue

Efficient gene silencing with reduced nonspecific effects

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

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

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

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

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

Biochem. J. (2014) 461, 427–434 (Printed in Great Britain) doi:10.1042/BJO1401407

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 YUN^{*}, Chang Han LEE^{*}, Chanseok SHIN^{†2} and Dong-ki LEE^{‡2}

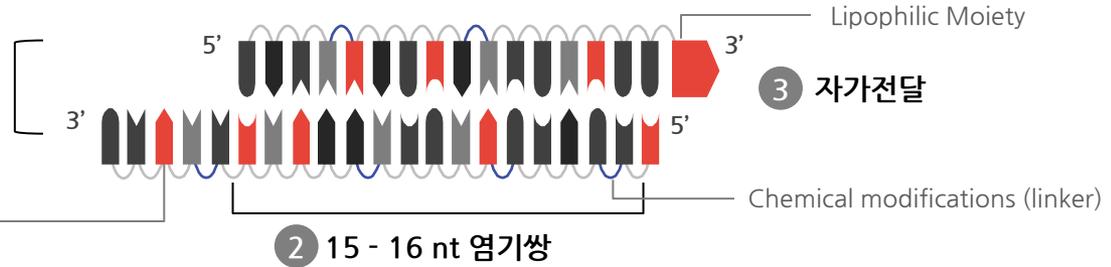
^{*}Global Research Laboratory for RNAi Medicine, Department of Chemistry, Sungkyunkwan University, Suwon 440-746, Republic of Korea
[†]Department of Agricultural Biotechnology, Seoul National University, Seoul 151-747, Republic of Korea
[‡]Plant Genomics and Breeding Institute, Seoul National University, Seoul 151-921, Republic of Korea

4. 자가전달 비대칭 siRNA (cp-siRNA)

기존 siRNA 치료제의 세포 내 전달 이슈 극복: 국소 투여 치료제 개발 플랫폼

■ 자가전달 비대칭 siRNA

① 비대칭구조



비대칭 및 15 - 16nt의 짧은 염기쌍



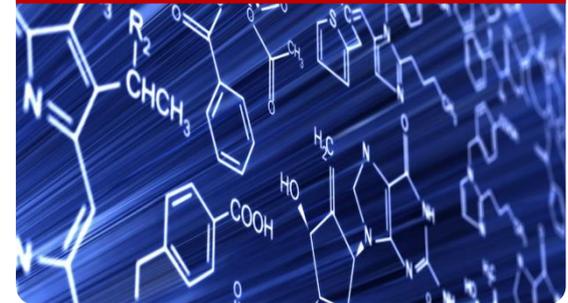
기존 기술의 부작용 개선

자가전달 기술



전달체에 의한 독성위험 제거

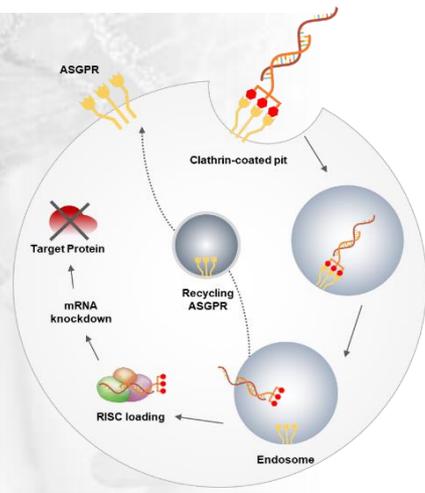
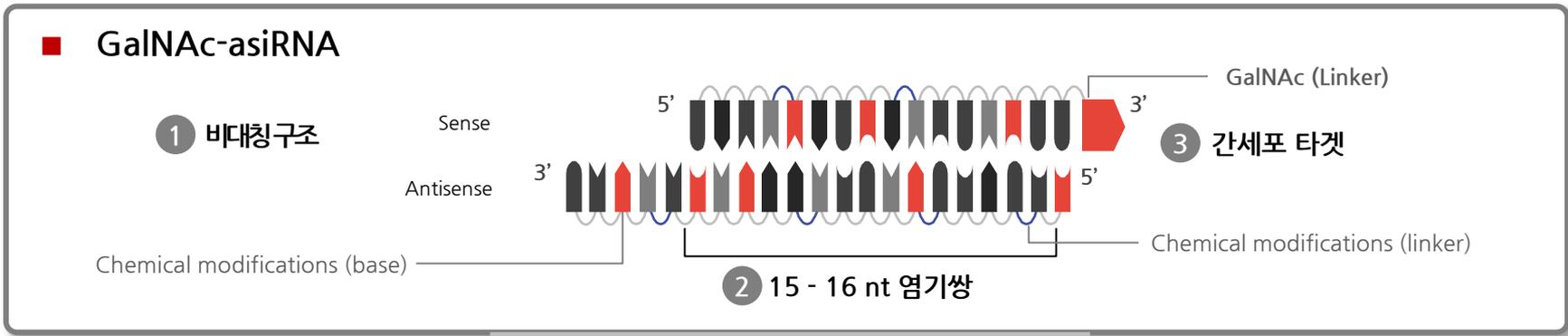
간단한 화학적 변형 도입



대량합성 / 분석 용이

5. GalNAc-siRNA

올릭스의 비대칭 siRNA 기술에 간 표적 리간드인 GalNAc chemistry 도입 완료



- 1. 간세포 특이적, 효율적 타겟
- 2. 긴 효력 유지기간
- 3. 피하 주사 방법으로 환자 친화적
- 4. 임상을 통해 검증된 기술

6. 글로벌 siRNA 치료제 기술이전 현황

글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전은
2,000억 원 이상 규모 Big Deal 17건 이상, 1조 원 이상 규모 **Mega Deal 13건** 이상

[글로벌 RNA 치료제 주요 기술이전 현황 (7개년)]

Licensor	Licensee	Year	Deal Size (USD)	Target Indication	Stage
Olix	Hansoh	2021	0.45B	심혈관 및 대사성 질환 등 (GalNAc)	Discovery
	Théa	2020 /2019	0.81B	안과질환 4개	Preclinical/Phase 1
Alynlam	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	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

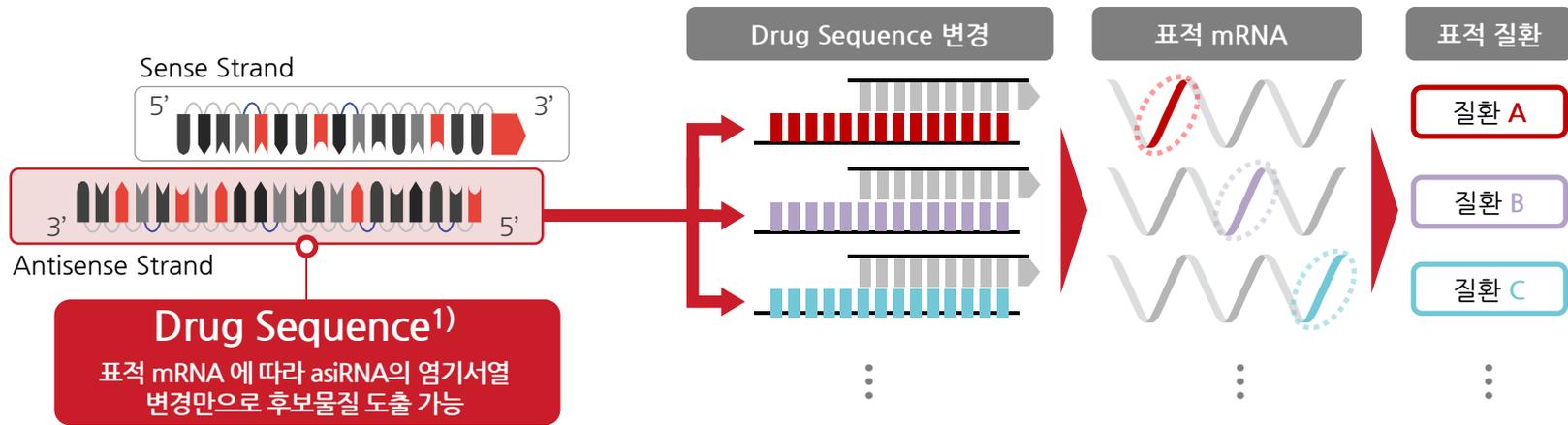
Growth Potential

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 조기 기술이전 & 후속파이프라인 개발 전략 가능

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

2. 파이프라인 현황

RNA간섭 치료제 플랫폼 활용 다양한 난치성 질환 대상 치료제 개발

프로그램	적응증	Platform Development	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	기술이전 공동개발	
OLX101A	비대흉터	[Red bar]						
OLX301A	건성 및 습성 황반변성	[Red bar]					(미국) Phase 2	
OLX104C	탈모	[Red bar]					(미국) Phase 1	
OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만	[Red bar]					(호주) Phase 1	
OLX703A	B형 간염(HBV)	[Yellow bar]					(호주) Phase 1	
OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성	[Yellow bar]						
OLX706A	심혈관 질환	[Yellow bar]						한소제약 (Greater China)
OLX706B	대사성 질환	[Grey bar]						한소제약 (Greater China)
OLX706C	심혈관 질환	[Grey bar]						한소제약 (Greater China)
OLX304C	망막색소변성증	[Grey bar]						
OLX702N/P	비만	[Grey bar]						
OLX702R	고혈압	[Grey bar]						
OLX801A	면역항암제	[Grey bar]						
OLX201A	특발성 폐섬유화	[Grey bar]						
OLX401A/B	신경병성통증	[Grey bar]						
OLX402	뇌 질환	[Grey bar]						

2. 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	[Red bar]						
	OLX104C	탈모	[Red bar]					(미국) Phase 2 (호주) Phase 1	
EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성	[Red bar]						
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성	[Yellow bar]					(미국) Phase 1	
	OLX304C	망막색소변성증	[Grey bar]						
Liver	OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만	[Red bar]						
	OLX703A	B형 간염(HBV)	[Yellow bar]					(호주) Phase 1	
	OLX706A	심혈관 질환	[Yellow bar]						한소제약 (Greater China)
	OLX706B	대사성 질환	[Grey bar]						한소제약 (Greater China)
	OLX706C	심혈관 질환	[Grey bar]						한소제약 (Greater China)
	OLX702N/P	비만	[Grey bar]						
	OLX702R	고혈압	[Grey bar]						
LUNG	OLX201A	특발성 폐섬유화	[Grey bar]						
CNS & Oncology	OLX801A	면역항암제	[Grey bar]						
	OLX401A/B	신경병성통증	[Grey bar]						
	OLX402	뇌 질환	[Grey bar]						



04 | Core Programs

1. 비대흉터 치료제 (OLX101A)
2. 남성형 탈모 치료제 (OLX104C)
3. 안질환 치료제
 - 건성 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301A)
 - 망막하 섬유화증 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301D)
 - 망막색소변성증 치료제 (OLX304C)
4. 폐 질환 치료제 (OLX20X)
5. 뇌/신경 질환 치료제 (OLX40X)
6. 간 질환 치료제
 - MASH/비만 치료제 (OLX702A)
 - B형 간염 치료제 (OLX703A)
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?

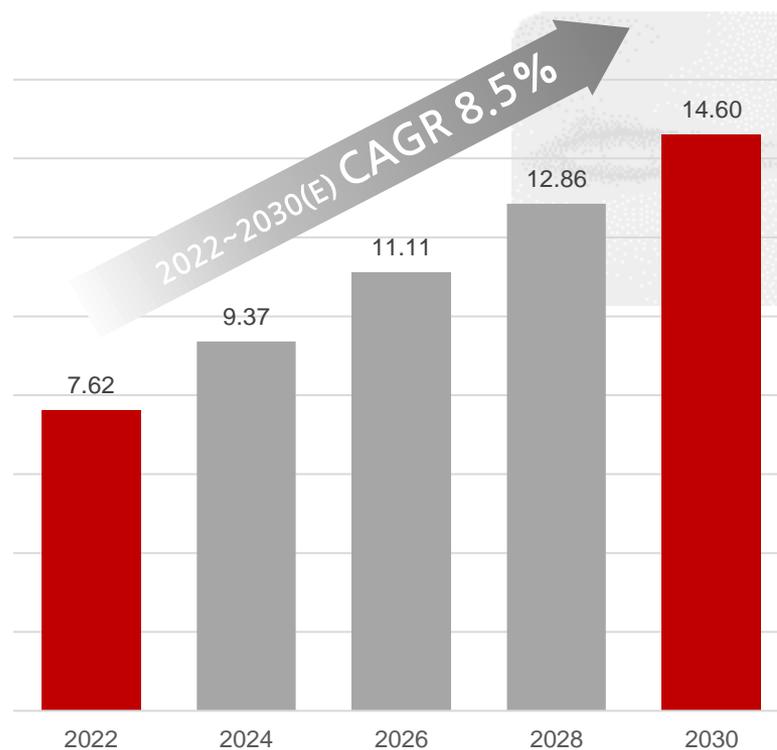
	<p>비대흉터 (Hypertrophic Scar)</p> <ul style="list-style-type: none"> - 외과적 수술·외상 후 진피층의 콜라겐이 과다하게 증식하여 비대한 흉터 생성 - 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인 - 외과 수술 환자 중 39~68%가 비대 흉터 발병
	<p>켈로이드 (Keloid)</p> <ul style="list-style-type: none"> - 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식 - 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인

■ 기존 치료법의 한계

기존 치료법	한계 및 Unmet Needs
실리콘 시트	<ul style="list-style-type: none"> · 효과 불확실 및 순응도 문제 · 장기간 (6개월~1년) 치료 필요
물리적 압박요법	<ul style="list-style-type: none"> · 작용 기전 및 효과 불확실 · 장기간 (6개월~1년) 치료 필요
스테로이드 주사	<ul style="list-style-type: none"> · 높은 재발률 (9~50%), 전신 독성 위험
외과적 수술법	<ul style="list-style-type: none"> · 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

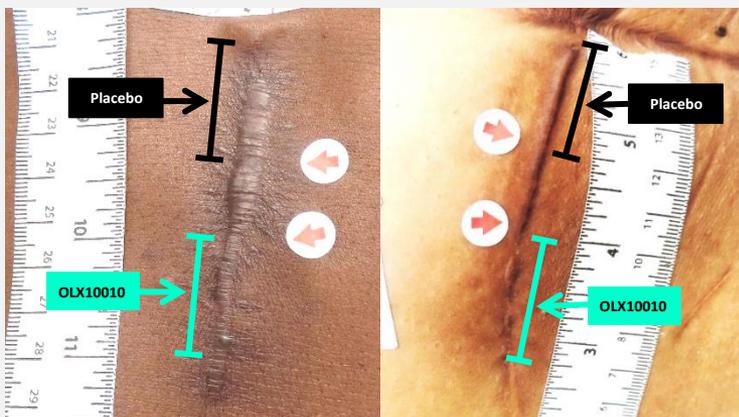
투약 24주 후 POSAS Score: 3.3점 → 평균 1.8점 감소

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

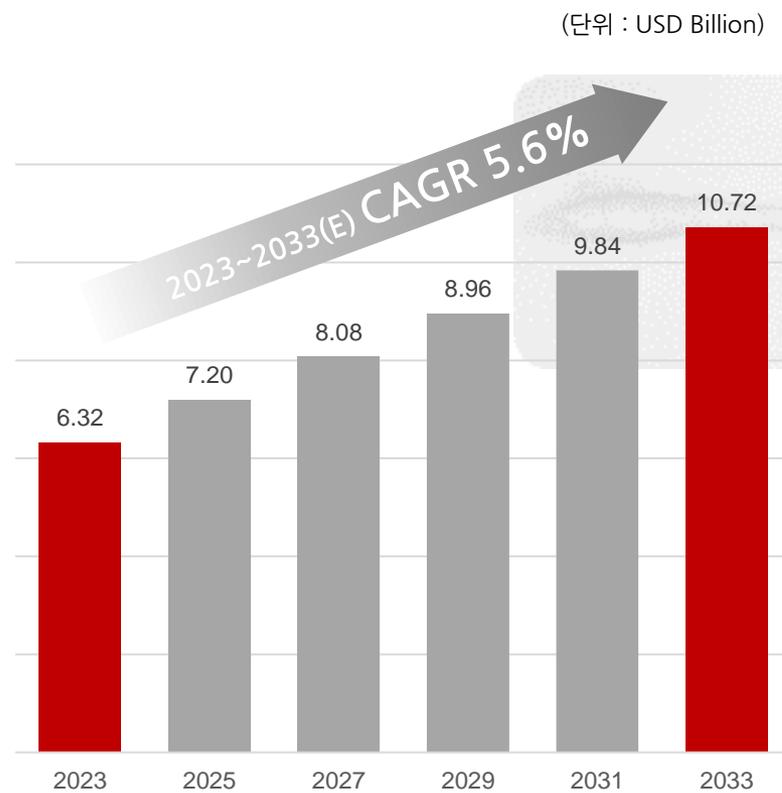
■ 남성형 탈모란?

	<p>남성형 탈모 (Androgenic Alopecia)</p> <ul style="list-style-type: none"> - M자 형태로 앞머리, 정수리 부근의 모발 밀도 감소 - 유전적 배경과 남성호르몬이 주요 발병 원인
-----------------------------------------------------------------------------------	----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

■ 기존 치료법의 한계

기존 치료법	한계 및 Unmet Needs
피나스테리드	<ul style="list-style-type: none"> · 전신 노출에 따른 성기능 저하 우려 · 반감기가 짧아 자주, 지속적으로 복용 필요
두타스테리드	<ul style="list-style-type: none"> · 성기능 저하 부작용으로 탈모치료제로의 FDA 승인 실패
미녹시딜	<ul style="list-style-type: none"> · 단독 사용 시 효과 미비 · 피부 질환 유발 가능성

■ 남성형 탈모치료제 시장전망



※ 출처: IMARC Group (2023)

2-2. 남성형 탈모치료제(OLX104C) 임상 진행 현황

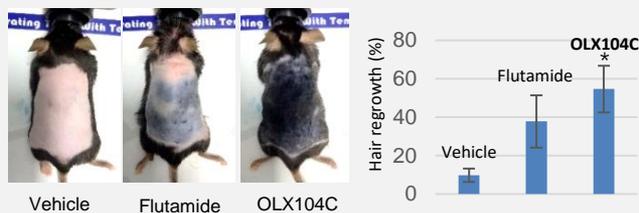
■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
AR (안드로겐 수용체)	피내 주사	호주 1상 임상 진행 중

- ▶ 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
- 호주 1상 임상시험 투약 종료
- 2023년 2차 국가신약개발사업(KDDF) 과제 선정

■ 임상 시험 개요

호주 1상 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
- 상황: 호주 1상 임상시험 진행 중

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



망막하 섬유화증 관련 치료제 부재 및

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

■ 노인성 황반변성이란 ?

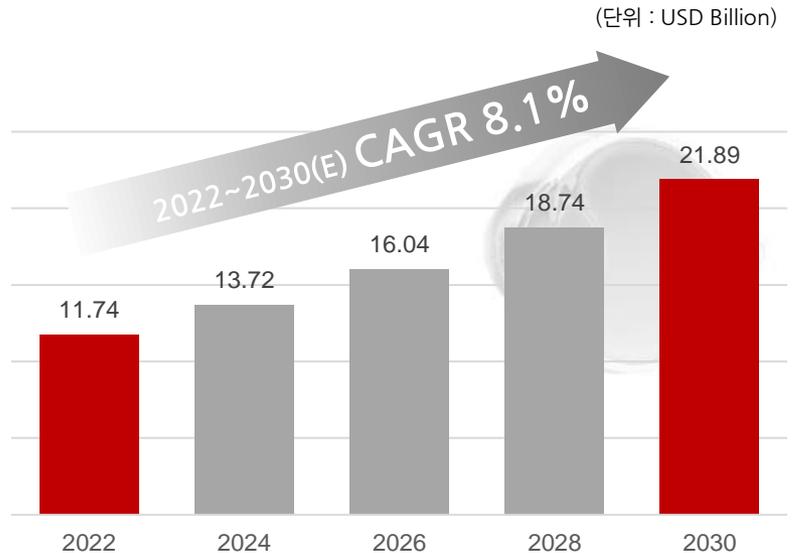
- ▶ 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발
- ▶ 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인

	습성 황반변성 • 후기 황반변성 환자 66% 비중 • 건성 황반변성 및 망막하 섬유화증 발생 가능
	건성 황반변성(GA) • 후기 황반변성 환자 34% 비중 • 환자의 15%가 습성 황반변성 발생 가능
	망막하 섬유화증 • 습성황반변성 진행과정 중 신생 혈관 생성 및 국소적 파괴로 발생

■ 기존 치료제의 한계

구분	기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
습성 노인성 황반변성	Eylea	• 약 30% 환자에게 효과 없으며 ^[1] , 2년 내 45% 환자에게 섬유화 발생 ^[2] • 망막하 섬유화증 및 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	
망막하 섬유화증	부재	Unmet Medical Needs

■ 글로벌 노인성 황반변성 치료제 시장 전망



※ 출처: GlobalData 2020

■ 기존 습성 노인성 황반변성 치료제 연간 순매출액

Full Year 2023 Product Sales (Net Sales):
 Lucentis: \$1,475m + Eylea: \$9,381m = \$10,865m

※ 출처: Novartis (2023) / Regeneron (2023)

3-2. OLiX301A: 임상 진행 현황



건성 및 습성 노인성 황반변성 First-in-class 치료제

■ 치료제 개요

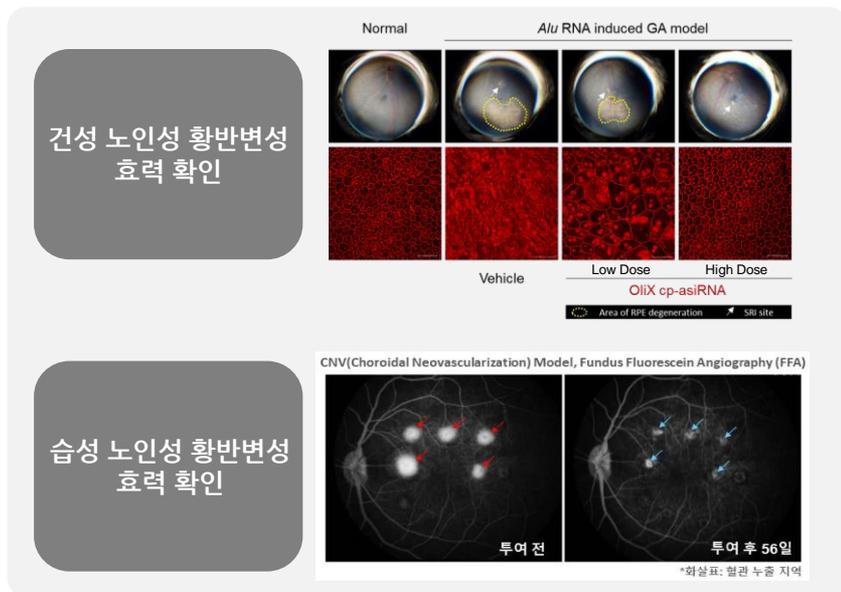
표적 유전자	투여방법	진행상황
MyD88	안구 내 주사	미국 1상 임상 진행 중

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

■ 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 다회용량상승투여(MAD) 연구 진행 중

■ 비임상 효력시험 결과



■ 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: 최대 60명
- 상황: 미국 1상 임상시험 진행 중

3-3. OLiX301D: 비임상 진행 현황

치료제 부재한 망막하 섬유화증 및 습성 노인성 황반변성 동시 치료 가능한 First-in-class 치료제

■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
CTGF	안구 내 주사	비임상 개발

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

■ 개발경과

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

■ 비임상 효력시험 결과

망막하 섬유화증 효력 확인 (마우스 모델)

[Choroidal neovascularization lesions]

[Fibrotic lesions]

망막하 섬유화증 효력 확인 (영장류 모델)

Marker	Vehicle	OLiX301D
Collagen	1.00	~0.25
CTGF	1.00	~0.45

Masson's Trichrome Staining

Retina
RPE/choroid
Sclera

CTGF IHC Staining

Retina
RPE/choroid
Sclera

3-4. OLX304C: 비임상 진행 현황

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

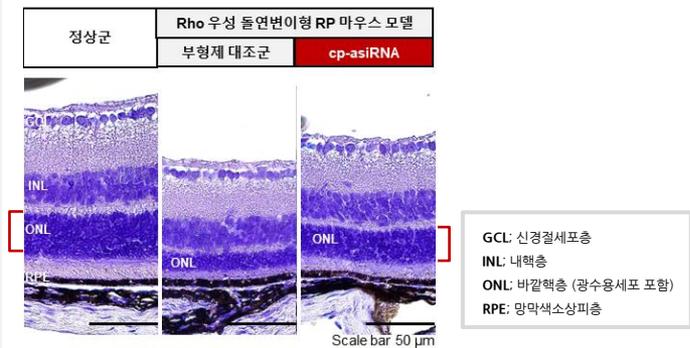
■ 치료제 개요

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

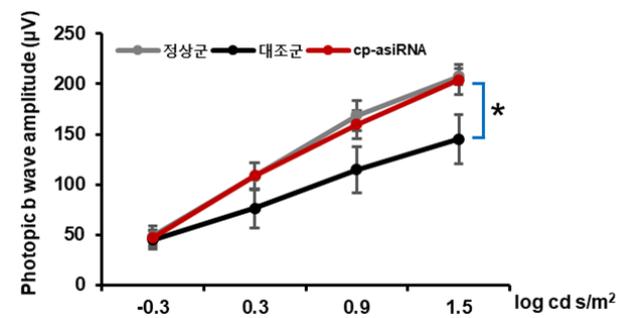


■ 개발경과

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

광반응 망막전위도 시각기능 회복 효력 확인

Rho 우성 돌연변이형 RP 마우스 모델



4. 폐 질환 타겟 cp-asiRNA 플랫폼 확립

자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 기술을 통한 다양한 폐 질환 파이프라인 개발

■ 치료제 개요

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

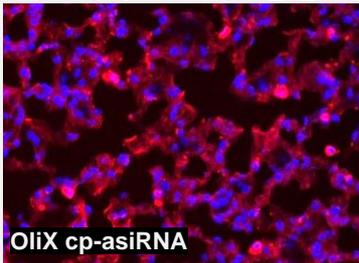
■ 개발 현황 및 계획

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

■ 비임상 효력시험 결과

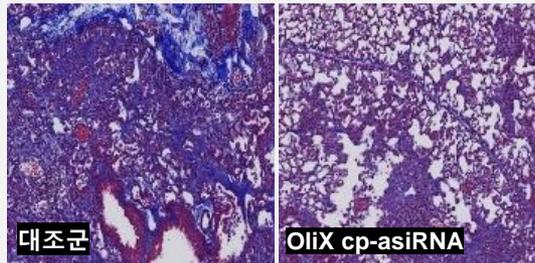
마우스 폐 조직 전달 확인

폐 조직 내 siRNA의 고른 분포

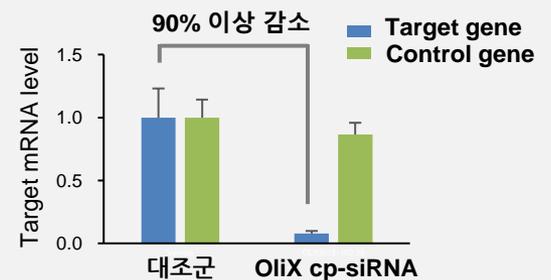


폐섬유화 동물 모델 효력 확인

섬유화된 폐 조직 정상 폐 조직 회복



표적 유전자 억제 효력 확인



5. 뇌·신경 질환 타겟 cp-asiRNA 플랫폼 확립

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

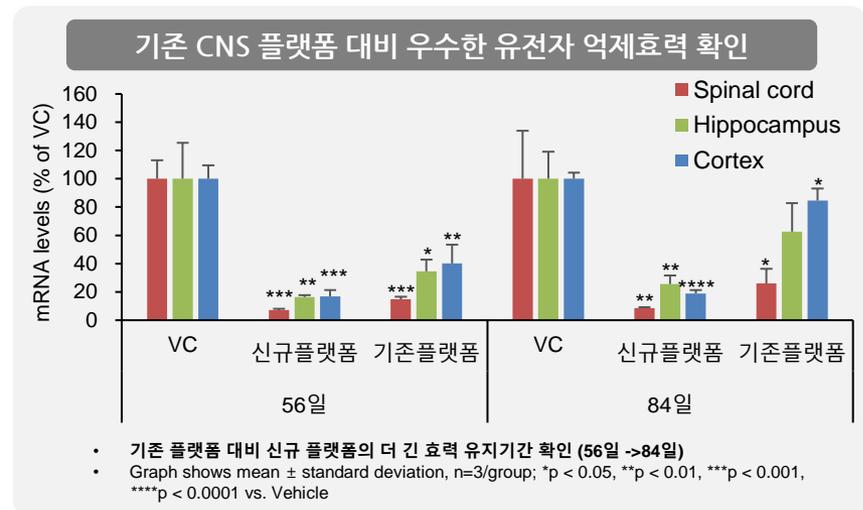
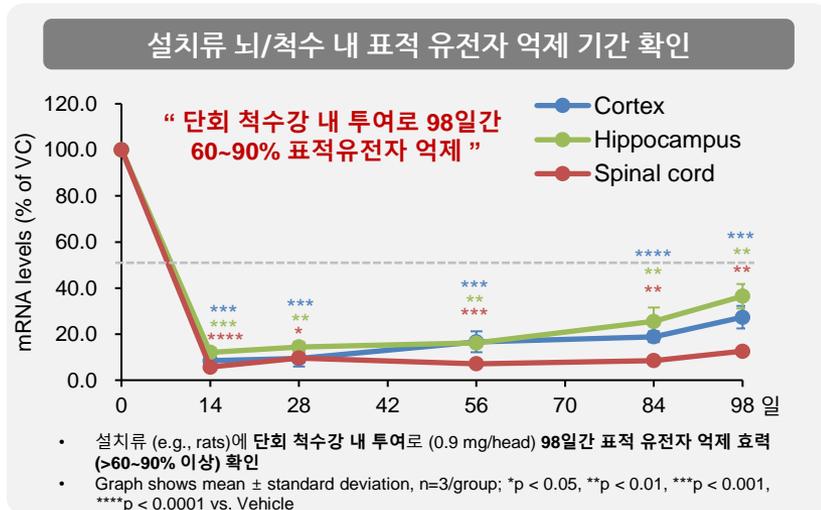
■ 치료제 개요

Active pharmaceutical ingredient (API)	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



6-1. OLiX70X: 간 질환 치료제 현황

GalNAc 플랫폼 기술을 통한 다양한 간 질환 파이프라인 개발

■ 치료제 개요

Active pharmaceutical ingredient (API)	적응증	투여방법	비고
GalNAc-asiRNA / Target undisclosed	HBV, MASH 등	피하주사	한소제약과 GalNAc 플랫폼 기술 계약 체결

■ 개발 현황 및 계획

- 올릭스 독자적인 GalNAc 플랫폼 기술 확립 완료
- 자회사 OLiX US 연구소가 자체 개발한 GalNAc 링커 'OLiX XI(올릭스 일레븐)' 특허 출원
- 간 질환 전문가(SAB)가 제안한 타겟 및 적응증에 대한 후보 물질 도출 진행 중

■ Hepatology (간질환) 분야 전문가 공동연구를 통한 표적 유전자 발굴



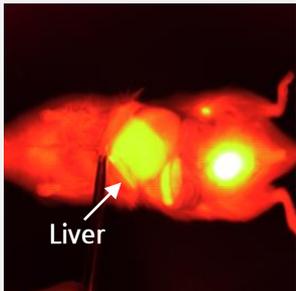
6-2. GalNAc-asiRNA의 효과적 전달

■ 비임상 간세포 전달 효력시험

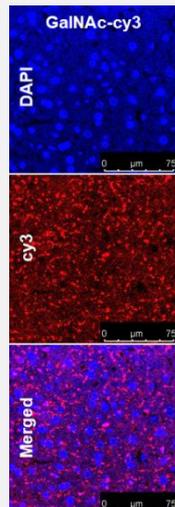
GalNAc-asiRNA 물질을 마우스에 10mg/kg 피하 투여

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

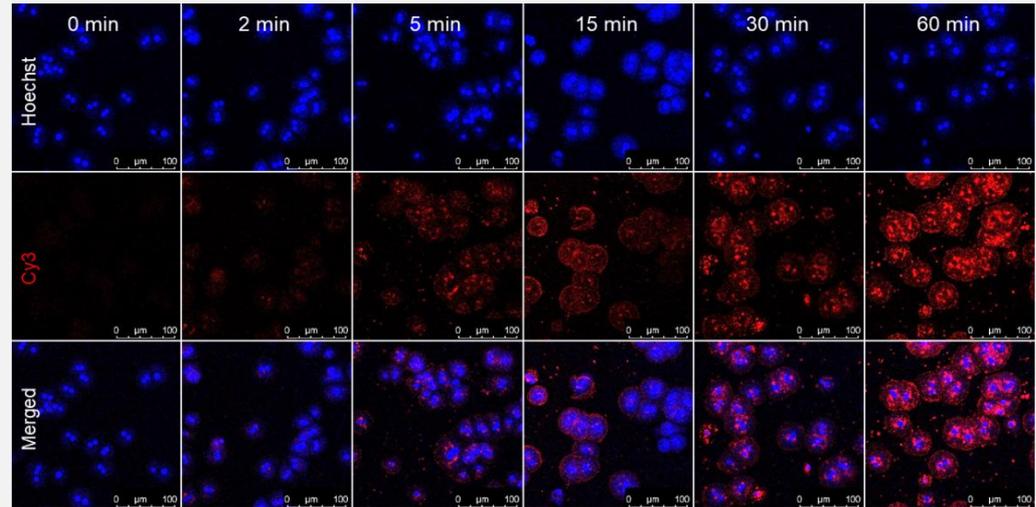
(A) 전신 분포



(B) 간 조직 분포

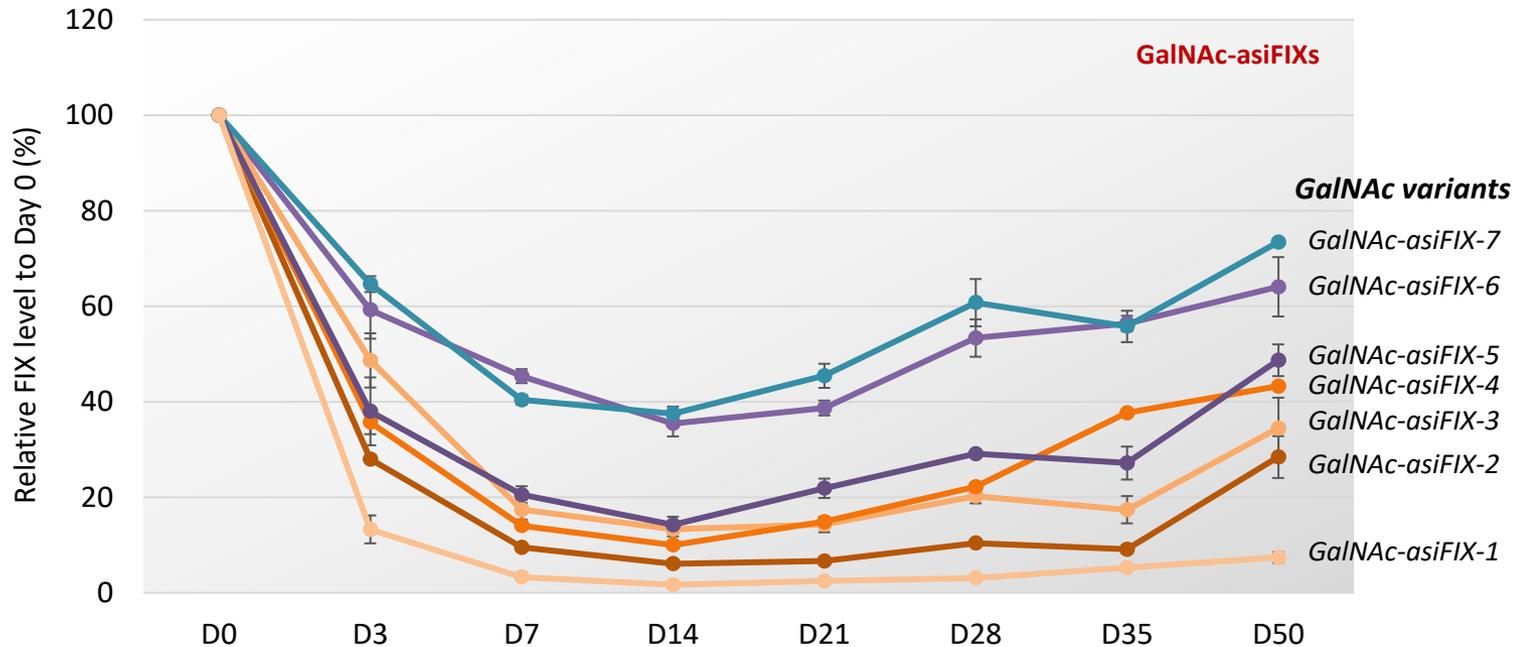


(C) 마우스 간세포 전달



6-3. OliX GalNAc 물질의 효력 및 유지기간

■ 효력 및 유지기간 확인

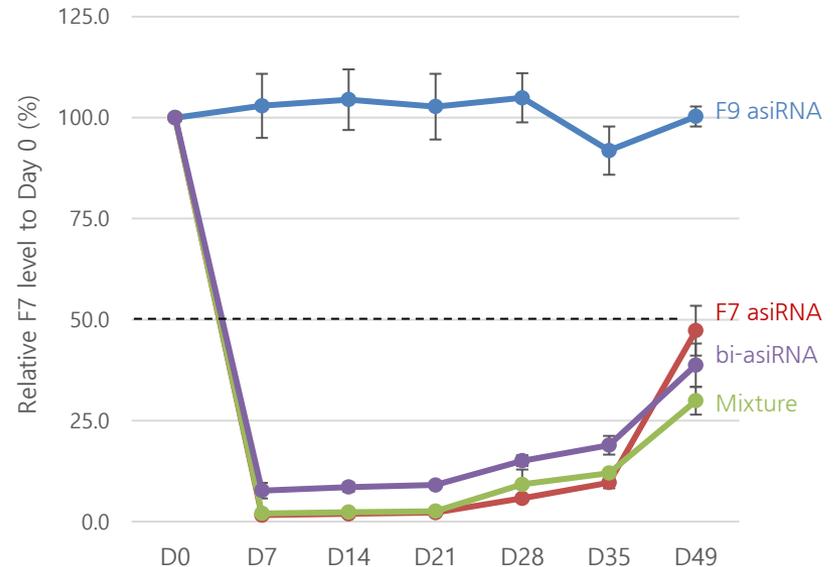
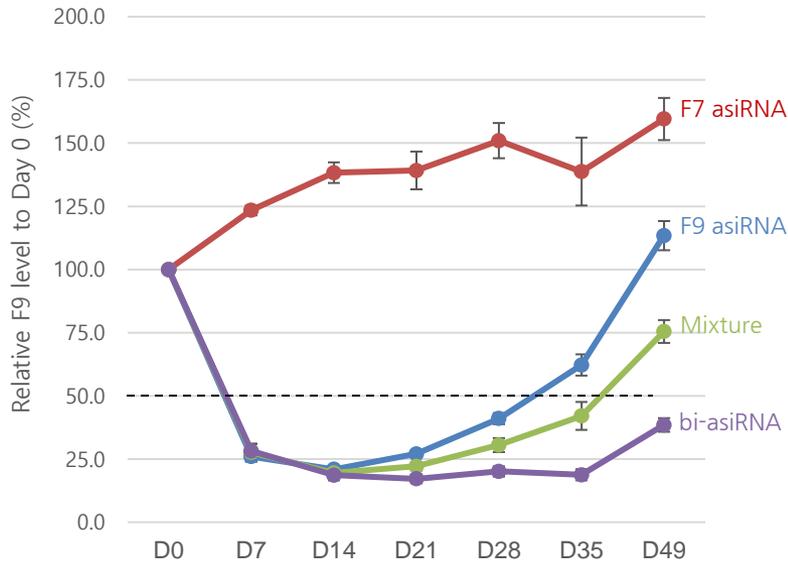


■ 개발현황

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

6-4. 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

6-5. MASH/비만 치료제(OLX702A) 현황

간 섬유화를 동반한 MASH와 비만 두 적응증을 공략하는 블록버스터 신약

■ MASH란?



대사이상 지방간염
 (MASH, Metabolic dysfunction-Associated SteatoHepatitis)

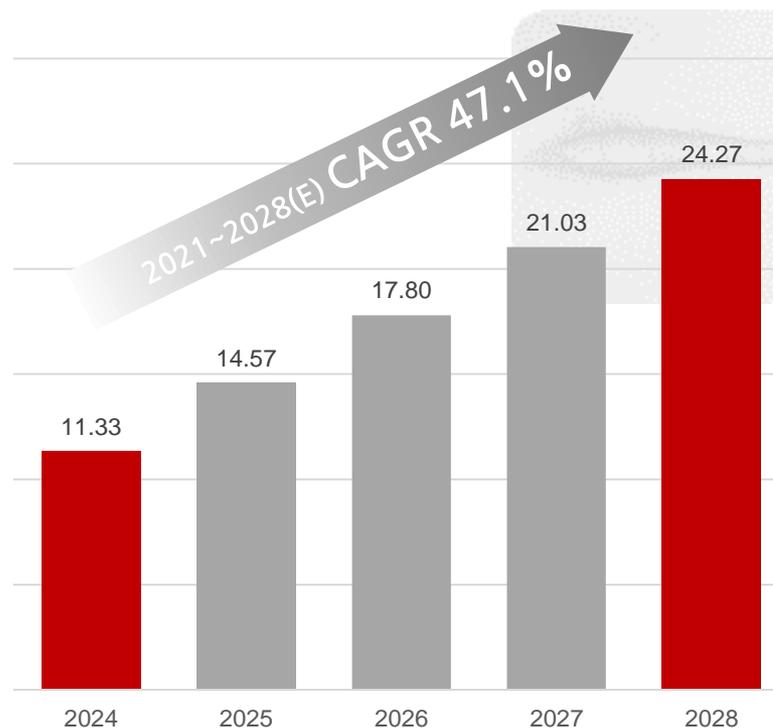
- 간 세포에 중성지방이 축적되어 염증 및 간 세포 손상을 일으키며, 점차 섬유화, 간 경변, 간암으로 확대
- 알코올 섭취와 관계 없이 비만이나 당뇨와 같은 대사 장애와 동반되어 발병

■ 기존 치료제의 한계

기존 치료제	한계 및 Unmet Needs
레즈디프라 (Rezdiffra)	<ul style="list-style-type: none"> 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(statin)과 복용 시 부작용 가능성

■ 글로벌 MASH 치료제 시장전망

(단위 : USD Billion)



※ 출처: The Insight Partners (2022)

6-6. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

인간유전체 분석 타겟 기반 높은 신약 개발 성공률의 차세대 MASH 신약

■ 치료제 개요

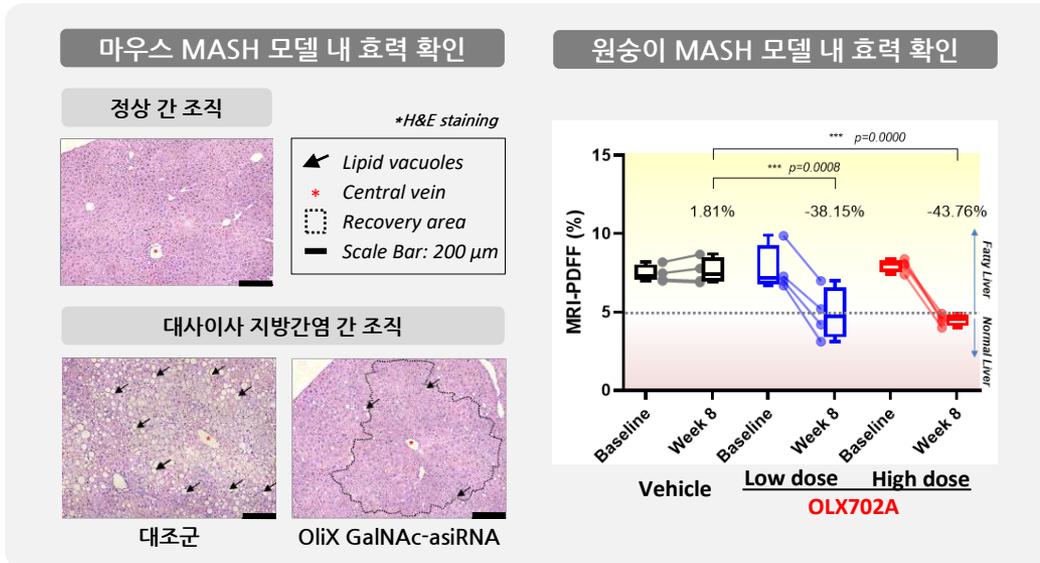
표적 유전자	투여방법	진행상황
Undisclosed	피하주사	호주 1상 임상 진행 중

- ▶ 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 (LGC바이오서치테크놀로지)
- 호주 1상 임상시험 진행 중

■ 비임상 효력시험 결과 (MASH 동물모델 효력 확인)



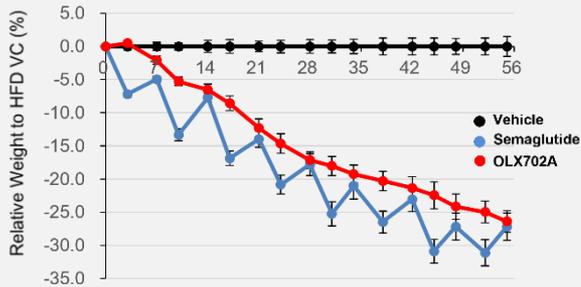
■ 임상 시험 개요

- #### 호주 1상 임상시험 개요
- 의뢰기관: 올릭스 주식회사
 - 디자인: 무작위배정, 이중눈가림, 단일용량상승 및 이중용량상승, 위약대조
 - 목적: 건강한 자원자 및 비알코올성 지방간 질환 환자를 대상으로 피하 투여 후, 추적 관찰 기간 동안 안전성 및 내약성 평가
 - 대상자 수: 최대 90명
 - 상황: 호주 1상 임상 진행

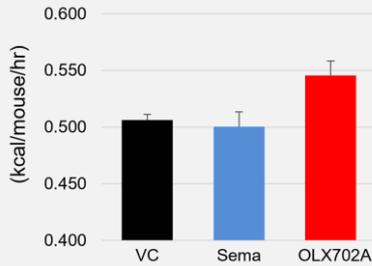
6-7. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

체중 감소 및 에너지 대사 증가 효력 확인 (고지방 식이 비만 생쥐 모델)

체중 변화 비교 (OLX702A vs Semaglutide)



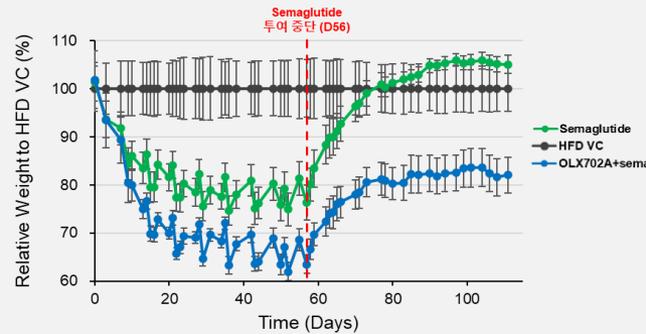
투여군 별 에너지 대사량



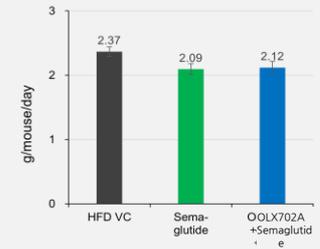
- ▶ OLX702A 투여군(2주 1회 투여)에서 26% 체중 감소 확인 (Semaglutide의 체중 감소 효력과 대등한 효력)
- ▶ OLX702A 투여군에서 Semaglutide와 달리 에너지 대사 증가 (~8%) 효력 확인 → 고유의 작용 기전 확인

OLX702A와 Semaglutide 병용 투여 시 체중 감소 시너지 효과 확인 (고지방 식이 비만 생쥐 / 비만 원숭이 모델)

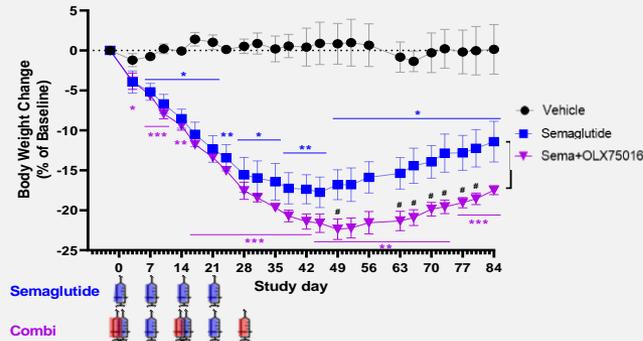
생쥐 체중 변화 비교 (Semaglutide 단독 vs OLX702A+Sema)



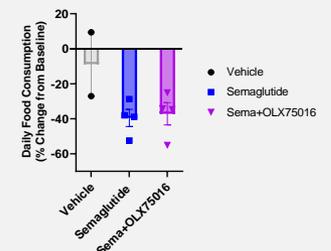
투여군 별 식이량 (일별)



원숭이 체중 변화 비교 (Semaglutide 단독 vs OLX702A+Sema)



투여군 별 식이량 (일별)

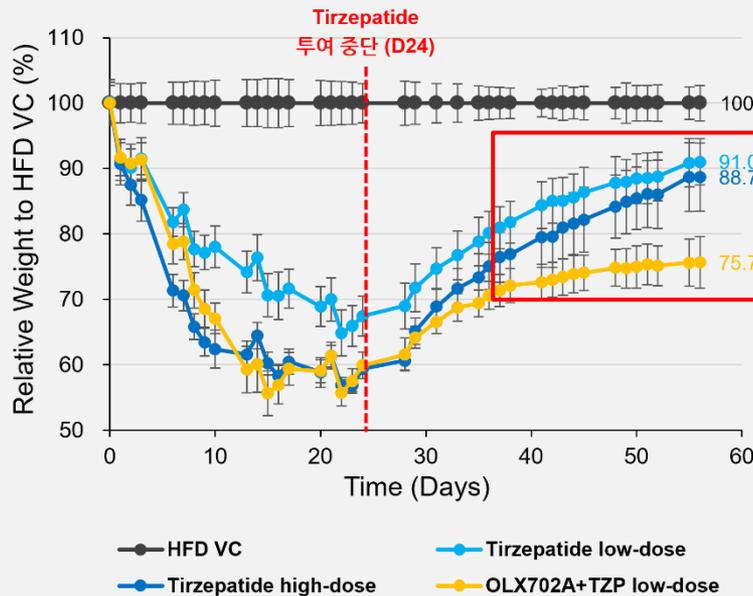


- ▶ OLX702A와 Semaglutide 병용 투여 시, 단독 투여군 대비 10% (마우스), 5% (원숭이) 추가 체중 감소 확인
- ▶ Semaglutide 투여 중단 시, 병용 투여군에서 대조군 대비 요요현상 완화 확인 (단독 투여군의 경우 급격한 체중 증가 확인)
- ▶ 병용 투여군과 단독 투여군의 식이 섭취량 차이는 미미한 수준 → 체중 감소 시너지 효과는 OLX702A의 에너지 대사 증진 효력에 기인한 것으로 확인

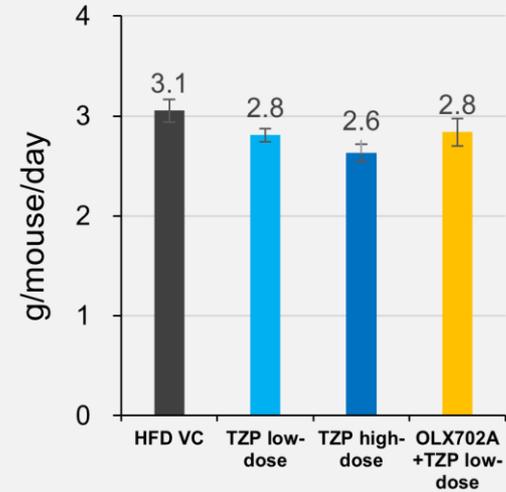
6-8. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

OLX702A와 Tirzepatide 병용 투여 시 체중 감소 시너지 효과 확인 (고지방 식이 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 리바운드가 완화된 폭으로 발생하며, 시간이 경과하며 점차 큰 폭의 체중 격차 관찰
- ▶ 병용 투여군과 단독 투여군의 식이 섭취량 차이는 미미한 수준

6-9. B형 간염 치료제(OLX703A): 비임상 진행 현황

바이러스 게놈을 직접 타겟함으로써 근원적 치료효과를 나타내는 치료제

■ 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
HBV 전사체	피하 주사	비임상 개발

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

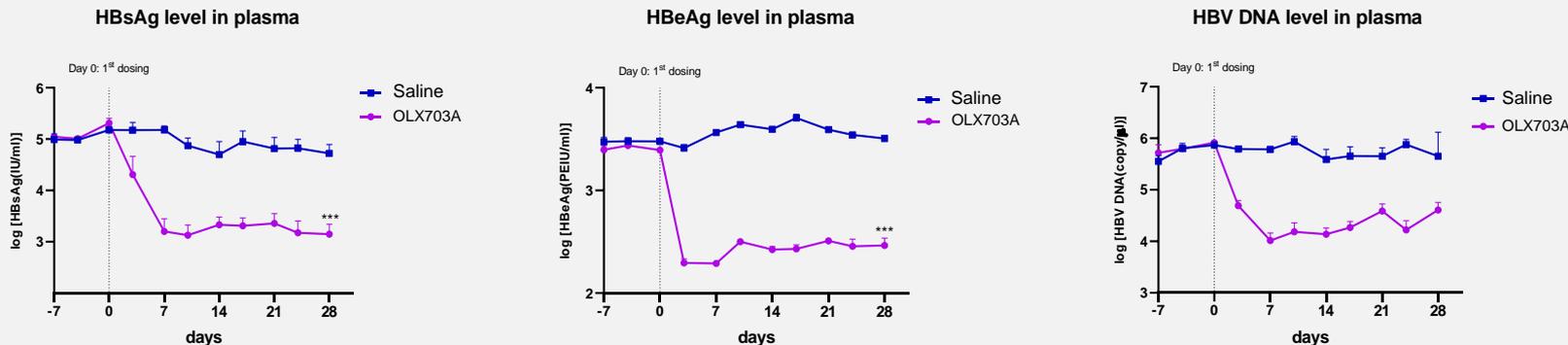
1) Global Data, Pharma eTrack

■ 개발 현황 및 계획

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

■ 비임상 효력시험 결과

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



6-10. 간질환 파이프라인 현황

적응증	프로그램	Stage of the Program			
		Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical
대사이상 지방간염 (MASH)	OLX702A	[Red bar spanning Discovery, Animal POC, and Preclinical stages]			
비만	OLX702N	[Grey bar in Discovery]			
	OLX702P	[Grey bar in Discovery]			
B형 간염 (HBV)	OLX703A	[Yellow bar spanning Discovery, Animal POC, and Preclinical stages]			
심혈관 질환	OLX706A	[Yellow bar spanning Discovery and Animal POC stages]			
	OLX706C	[Grey bar in Discovery]			
	OLX702R	[Grey bar in Discovery]			
대사성 질환	OLX706B	[Dark grey bar spanning Discovery and Animal POC stages]			

6-11. 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	<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

■ 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

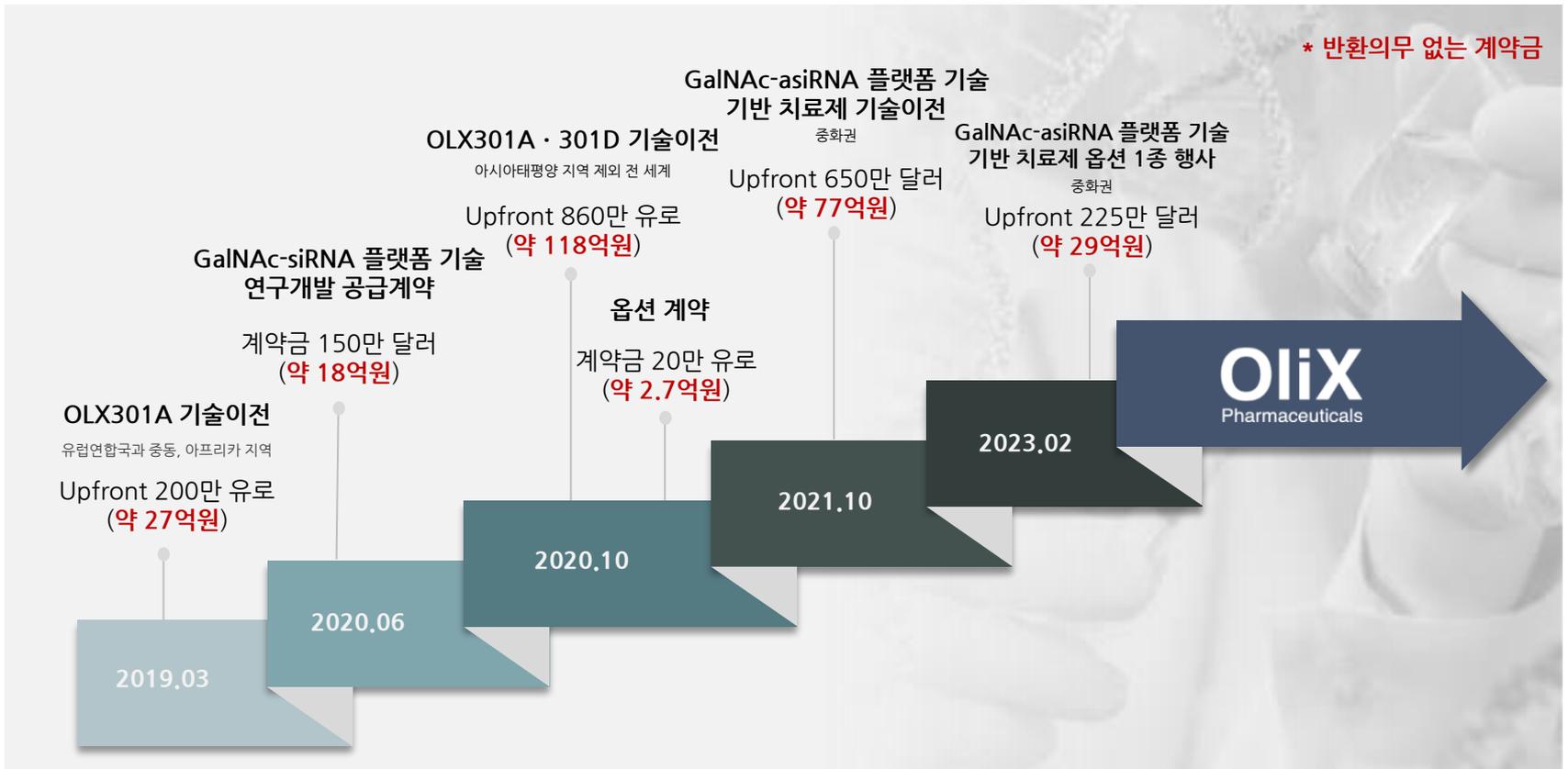
- Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co., Ltd.
- 중국 내 대표적 항암 API 제조업체
- 홍콩(HK 3692) 증시 상장기업
- 중국 내 4위, 전 세계 37위 제약회사¹⁾
- 중국 최대 제약기업 항서제약 관계사

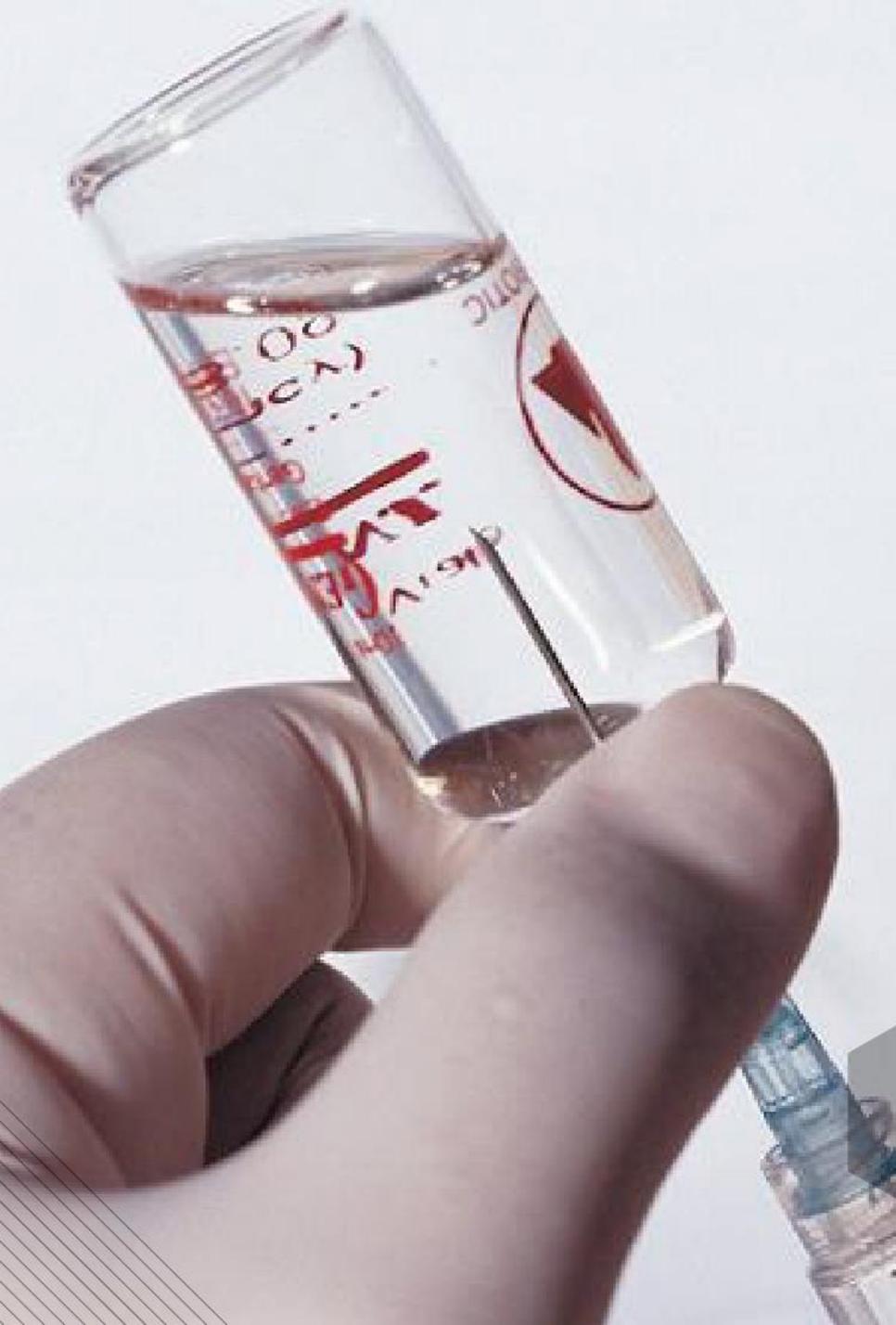
1) Torreya 발간, <The Pharma 1000 Top Global Pharmaceutical Company Report, September 2020.>

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 5개년)





Appendix

1. 요약 재무제표
2. 타사 RNA 치료제 개발 현황
3. 투자 체크포인트 등

1. 요약 연결재무제표



■ 요약 연결재무상태표

(단위: 백만원)

구 분	2021	2022	2023
유동자산	52,239	65,045	32,142
비유동자산	34,432	67,606	70,683
자산총계	86,671	132,651	102,825
유동부채	40,365	39,543	6,563
비유동부채	26,899	26,905	45,926
부채총계	67,264	66,448	52,489
자본금	6,852	8,352	8,446
자본잉여금	82,879	141,865	142,342
기타자본	13,093	18,914	21,976
이익잉여금	(84,303)	(103,224)	(122,910)
비지배지분	886	295	481
자본총계	19,407	66,202	50,335

■ 요약 연결손익계산서

(단위: 백만원)

구 분	2021	2022	2023
영업수익	3,674	9,320	17,064
영업비용	27,902	31,695	35,249
영업이익(손실)	(24,228)	(22,375)	(18,185)
법인세차감전 순이익(손실)	(29,997)	(29,107)	(18,169)
법인세비용(수익)	(821)	(994)	932
계속영업당기순이익(손실)	(29,176)	(28,113)	(19,101)
중단영업당기순이익(손실)	(1,102)	6,225	0
당기순이익(손실)	(30,278)	(21,888)	(19,101)

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 & Rare Bleeding Disorders
	Cemdisiran (+/- pozelimab)	Phase 3	Myasthenia Gravis / Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria
	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

3-1. 주요 파이프라인 기술이전논의 및 임상현황

“주요 파이프라인 기술이전을 통한 지속적인 성장 모멘텀을 확보”

	 OLX702A (MASH/비만 치료제)	 피부, 모발 관련 공동연구	 OLX301A (건성 및 습성 황반변성 치료제)
기술 이전	<ul style="list-style-type: none"> 글로벌 빅파마와 기술이전 계약체결에 근접해 있으며 계약조건의 세부사항을 논의 중에 있음 	<ul style="list-style-type: none"> Collaboration 세부사항 논의 중에 있음 	<ul style="list-style-type: none"> 최신 임상데이터에서 확인된 우수한 안전성 및 예비효력 결과를 바탕으로 글로벌 빅파마와 CDA를 체결하고 글로벌 판권 기술이전 논의를 진행 중
관련 임상 현황	<ul style="list-style-type: none"> 현재 임상 1상 SAD 단계로 25' 상반기 1상완료와 함께 2상 진입 예상시기는 26' 상반기내 가능할 것으로 예상 	<ul style="list-style-type: none"> 104C(탈모치료제)의 경우 임상 1상 마지막 환자 투약이 완료되었으며 연내 임상시험 결과보고서를 받을 것으로 예상 	<ul style="list-style-type: none"> 임상1상 MAD 단계로 곧 환자투약이 마무리될 예정이며 25' 상반기내 임상 시험 결과보고서를 받을 것으로 예상

GalNac 플랫폼 확립을 통한 추가 기술이전

- 기존 한소제약에 총 3종의 후보물질을 이전하였으며 예상되는 OLX702A(MASH/비만 치료제)의 추가 기술이전으로 siRNA 치료제 시장에서 당사 GalNac 플랫폼에 대한 가치가 입증될 것으로 예상
- 비만, HBV, 심혈관 질환, 대사성 질환 등 간질환 관련 추가 기술이전 논의가 가능할 것으로 전망

3-2. 기타 투자 체크포인트



기술이전(L/O) 수익, 주요 매출 실적 견인 중

국내 다수 바이오테크사의 매출에 의약외품, 기타 제품 및 상품 등의 매출액이 상당 수 구성 되어있는 것과는 달리, 올릭스의 지난 3개년 평균 전체 매출액 대비 기술이전 수익 비율은 약 93.1% (2023년 약 95.5%, 2022년 약 99.1%, 2021년 84.6%)로 대부분을 구성하며 지속적인 매출액 증가를 통해 대외적으로 올릭스 기술에 대한 잠재력과 성장성을 인정받고 있음.



R&D투자 비용에 대한 운영 관리 용이

개발 중인 후보물질의 기술이전 이외 자체 RNAi 플랫폼 기술을 이용해 파트너사가 원하는 질환을 타겟 하는 siRNA 후보물질을 도출하는 유연한 파트너링 비즈니스 모델을 보유하고 있어 후보물질 이전 이후 개발비용이 발생하지 않는 등 **비임상 및 임상진행에 따른 비용증가가 제한적**이므로 **비용조정**에 따른 효율적인 운영관리가 가능할 것으로 예상



독자 개발 플랫폼에 대한 원천 특허 보유

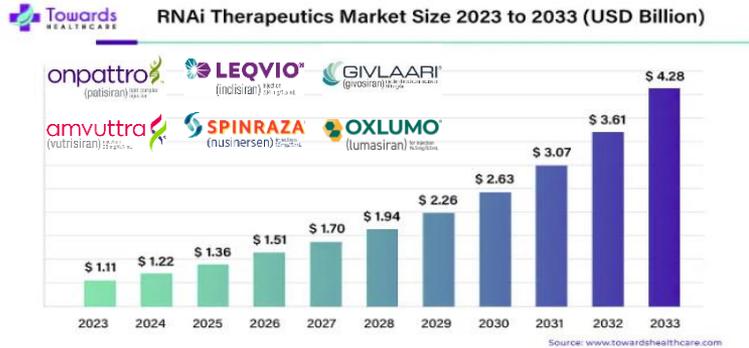
asiRNA는 현재까지 가장 효율적인 유전자 조절 기술로 알려진 RNA간섭 기술을 바탕으로 올릭스가 개발한 독자적인 유전자 억제 기술로서 동사가 원천기술에 대한 특허를 보유하고 있어 **기술이전 · 사업화 용이**



관리종목 지정 관련 이슈 없음

최근2개년('22, '23) 법인세비용차감전계속사업손실('법차손')이 자기자본 대비 50% 이상에 해당하지 않았으며(3년 2회 요건). 법차손 요건 외 관리종목 지정사유에 해당하는 매출액 30억원 미만, 자본잠식을 50% 이상 또한 해당사항이 없을 것으로 예상되어 24년 관리종목 지정 관련 이슈는 발생하지 않을 것으로 추정

3-3. siRNA 치료제 시장 및 개발기업 현황



- **siRNA 치료제**로서 상업화에 성공한 품목은 총 6종으로 매년 1개 제품이 치료제로서 승인 받고 있음. siRNA 상용화 가능성에 긍정적인 배경으로 작용
- 글로벌 RNAi치료제 시장규모는 2024년 약 12억 2천만 달러 (약 1조 7천억) 로 추산되며, 2033년까지 42억 8천만 달러 (약 5조 9천억) 에 도달할 것으로 전망. (Source: www.towardshealthcare.com)



- **Anylam사**의 ATTR-CM (아밀로이드 심근병증)에 대한 임상3상 긍정적 결과 및 2024년 말 NDA(품목허가) 예정
- 해당 임상결과와 함께 설립이후 최고가 갱신 중 (시가총액 320억 USD / 43조원)

Indication	Target	Discovery	Preclinical	Phase I	Clinical Ph II	Ph III
Zerlirasiran (SLN360)	Cardiovascular Disease Lp(a)	[Progress bar]				
Divelesiran (SLN124)	Polycythemia Vera (PV) TMPRSS6	[Progress bar]				
SLN-COMP-1	Complement-mediated diseases Undisclosed	[Progress bar]				
SLN-COMP-2	Undisclosed	[Progress bar]				
SLN-HAN-1*	Undisclosed	[Progress bar]				
SLN-HAN-2*	Undisclosed	[Progress bar]				
Multiple programs	Undisclosed	[Progress bar]				

SILENCE THERAPEUTICS

- 올릭스 상위 Tier의 **Silence사**의 최근 시총은 8.8억 USD/1.2조원.
- Silence사의 23년 매출액은 420억원, 영업손실은 820억원에 해당.
- 임상 2상 진행 중 1개, 임상 1상 진행완료 1개의 파이프라인을 보유
- 주요 기술이전 내용으로는 AstraZeneca(2020), Hansoh(2021)와 GalNAc 플랫폼 딜을 체결한 바 있음