

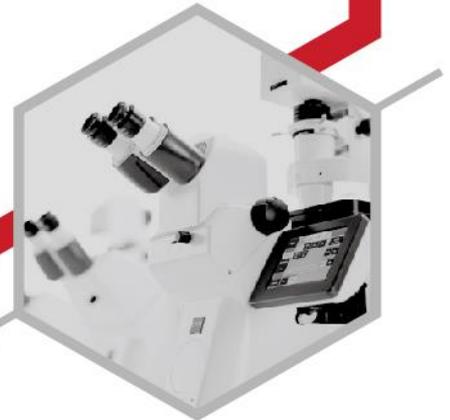


Accelerate Drug Development
using Oligonucleotides



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

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	경기 성남시 수정구 대왕판교로 953
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

(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	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



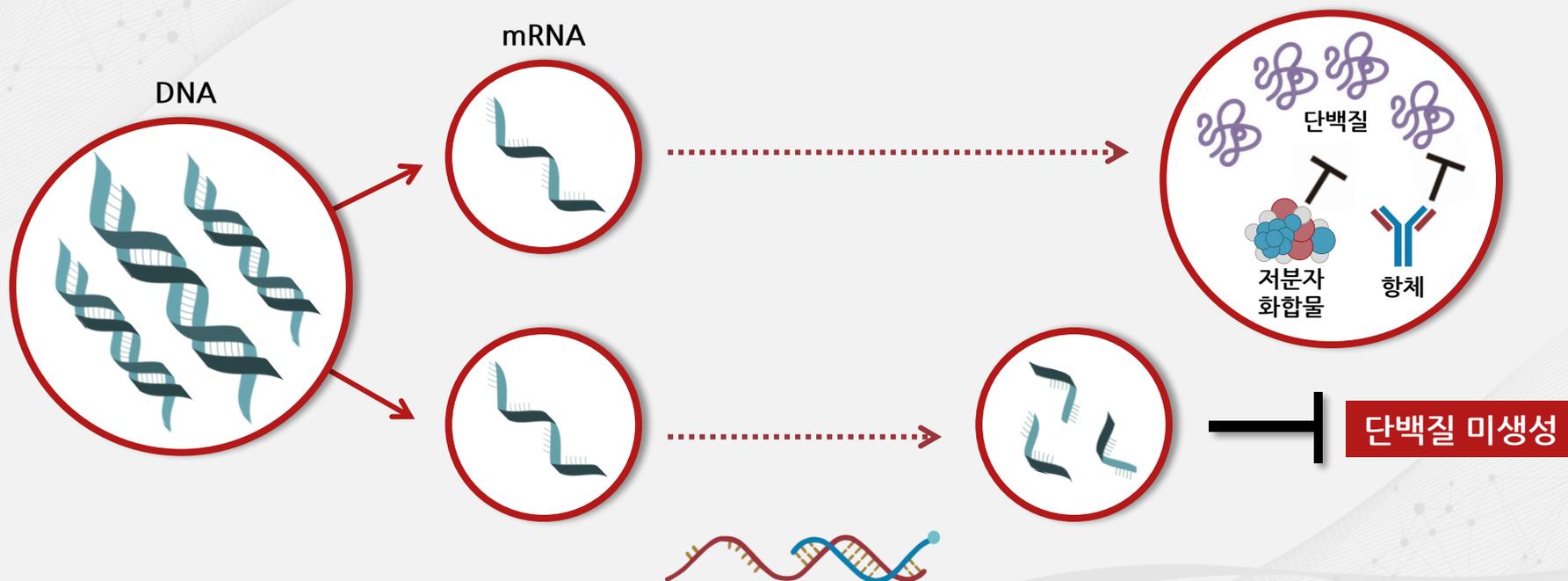
02

Core Technology

1. RNA 간섭 기술
2. OliX 비대칭 siRNA
3. OliX 자가전달 비대칭 siRNA
4. OliX GalNAc-asiRNA

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 (ONPATRO, Alynlam)

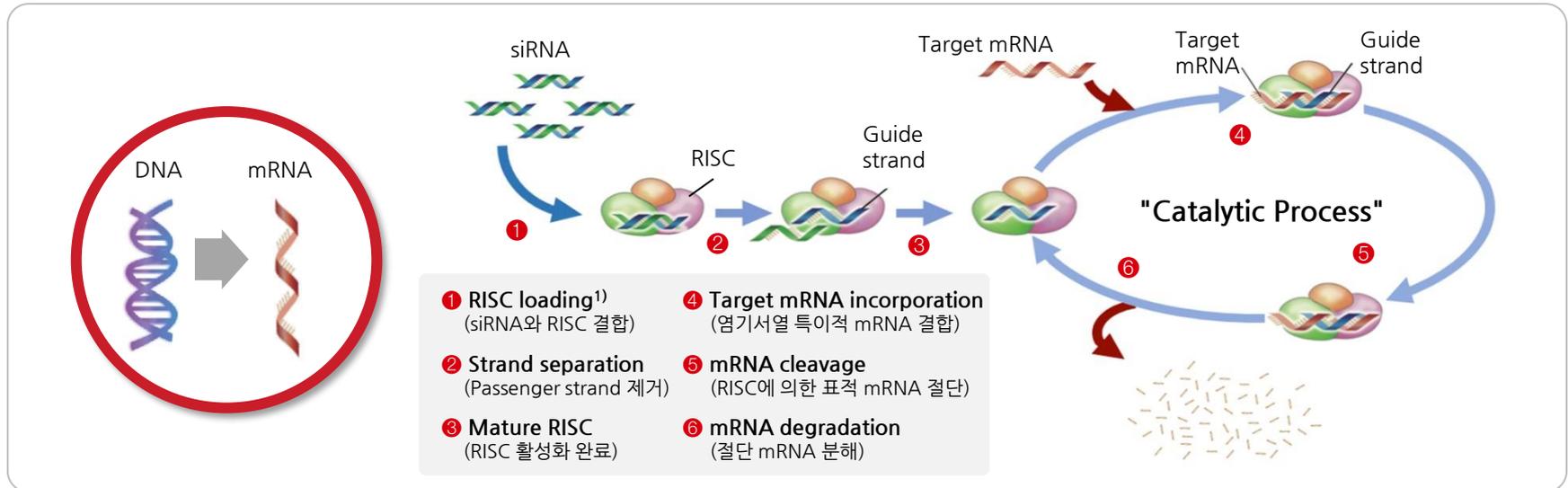
1) 출처: Pharmacol Ther. 2017 Jun;174:138-144

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 GIVLAARI	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

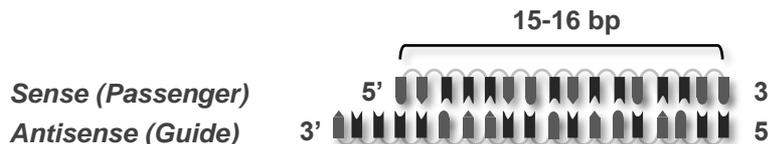
2. 비대칭 siRNA (asiRNA)

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 Dong

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

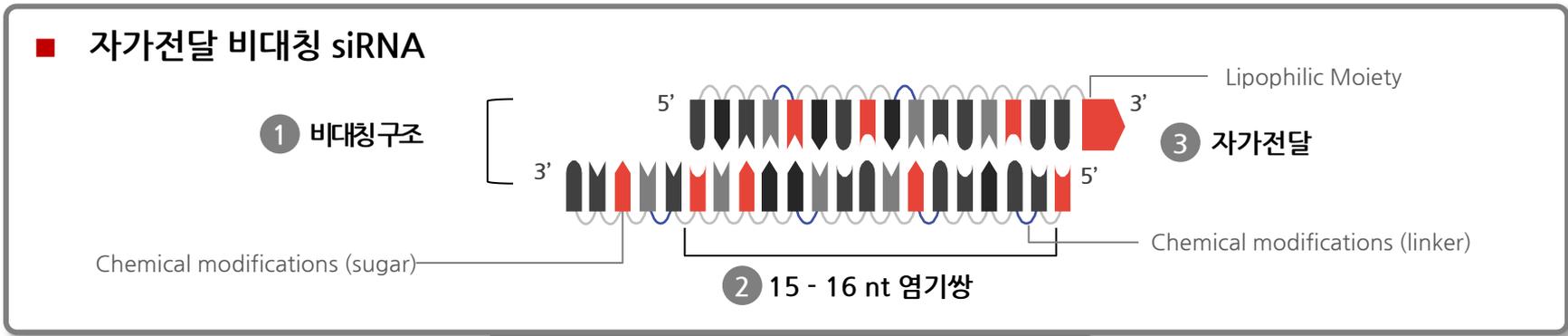
Effect of the guide strand 3'-end structure on the gene-silencing potency of asymmetric siRNA

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

3. 자가전달 비대칭 siRNA (cp-siRNA)

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



기존 기술의 부작용 개선



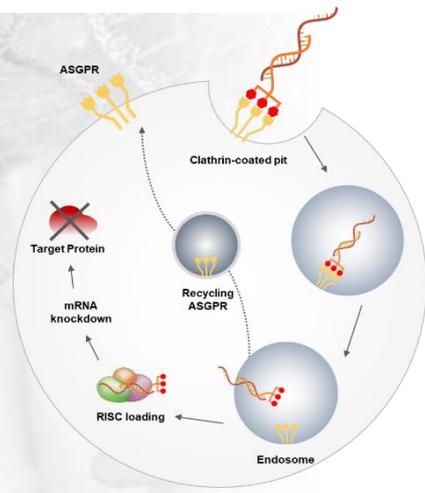
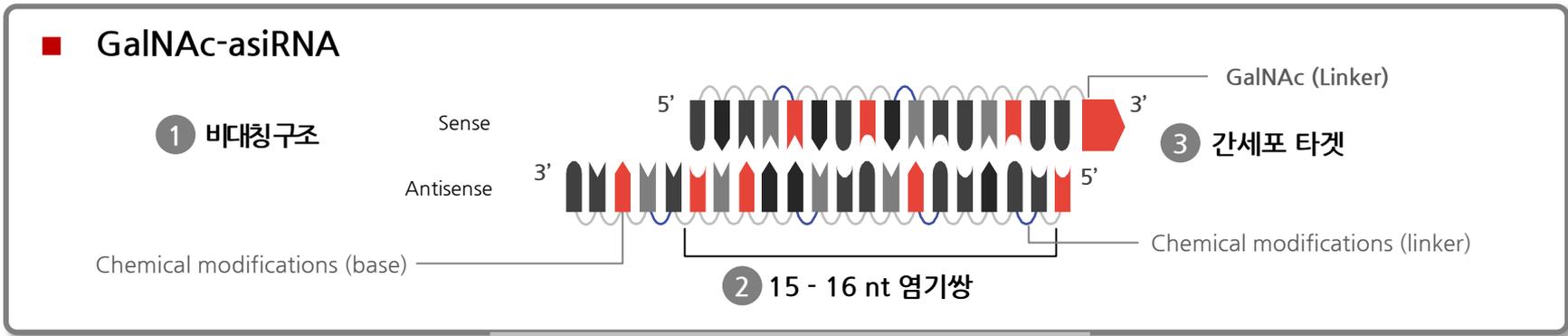
전달체에 의한 독성위험 제거



대량합성 / 분석 용이

4. 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



03

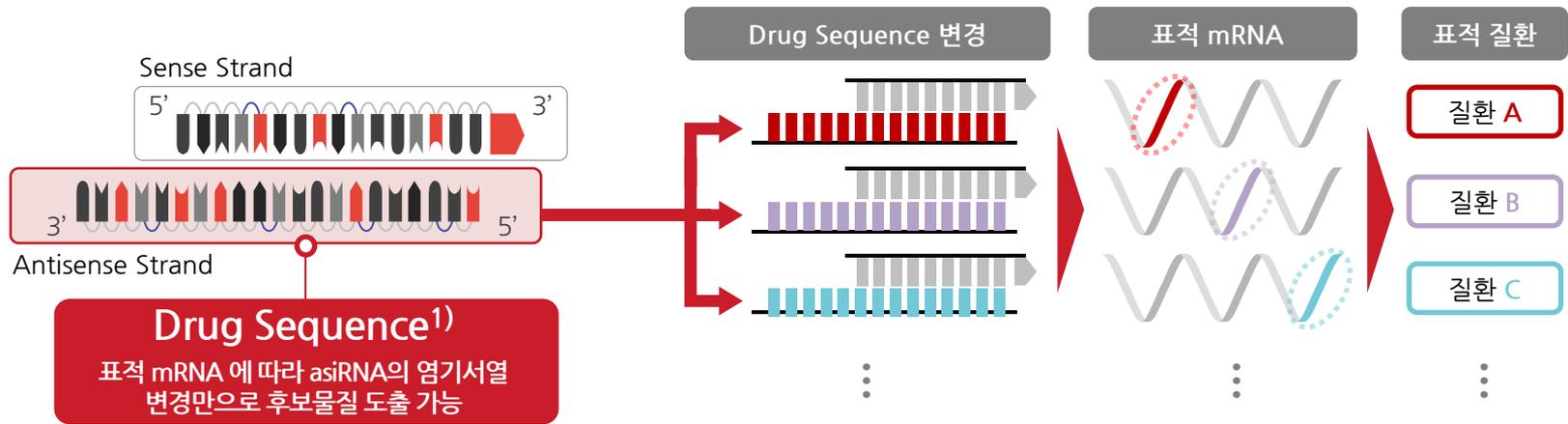
Growth Potential

1. 올릭스 기술 플랫폼의 확장성
2. 파이프라인 현황

1. 올릭스 플랫폼 기술의 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

분야	프로그램	적응증	Platform Development	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	비고
SKIN	OLX101A	비대흉터						
	OLX104C	탈모					(미국) Phase 2 (호주) Phase 1	
EYE	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성						
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성					(미국) Phase 1	
	OLX304C	망막색소변성증						
Liver	OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만						Eli Lilly and company
	OLX703A	B형 간염(HBV)					(호주) Phase 1	
	OLX706A	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX706B	대사성 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX706C	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
	OLX702N/P	비만						
	OLX702R	고혈압						
LUNG	OLX201A	특발성 폐섬유화						
CNS & Oncology	OLX801A	면역항암제						
	OLX401A/B	신경병성통증						
	OLX402	뇌 질환						



04

Core Programs

1. 남성형 탈모 치료제 (OLX104C)
2. 건성 & 습성 황반변성 치료제 (OLX301A)
3. 간 질환 치료제
 - MASH/비만 치료제 (OLX702A)

1-1. 남성형 탈모치료제(OLX104C) 현황



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

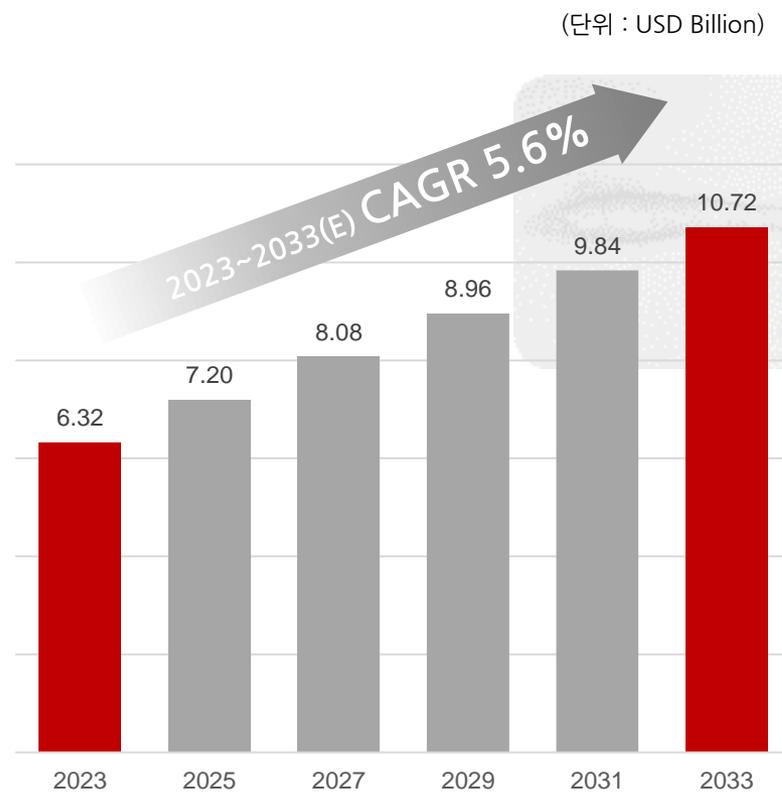
■ 남성형 탈모란?

	<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)

1-2. 남성형 탈모치료제(OLX104C) 임상 진행 현황

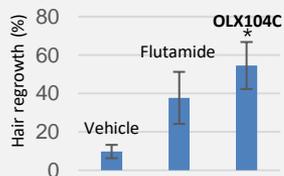
■ 치료제 개요

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

- ▶ 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 1상 임상시험 완료, CSR수령

■ 임상 시험 개요

호주 1상 임상시험

- 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

2-1. 노인성 황반변성 치료제(OLX301A) 현황

망막하 섬유화증 관련 치료제 부재 및 건성과 습성 노인성 황반변성은 연관 발생하여, 동시치료 신약에 대한 높은 상업적 가치 기대

■ 노인성 황반변성이란 ?

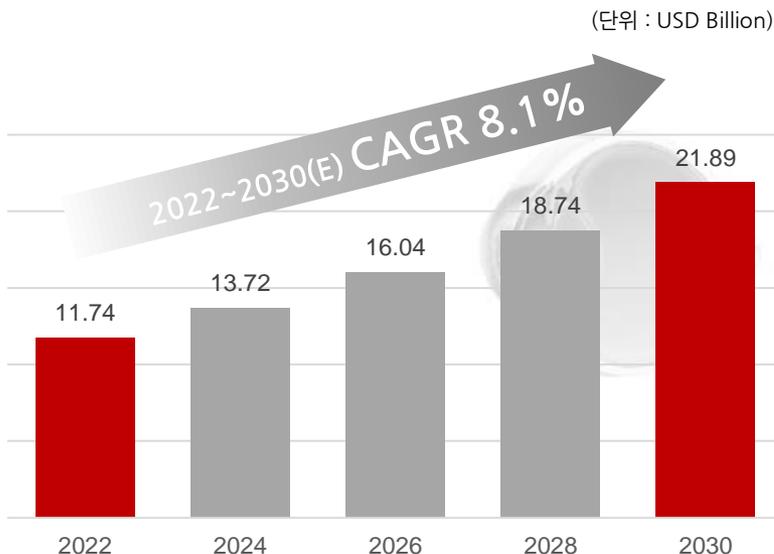
- ▶ 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생겨 실명 유발
- ▶ 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인

	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	• 2023년 8월 FDA 승인 ^[8]
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)

2-2. OLiX301A: 임상 진행 현황

건성 및 습성 노인성 황반변성 First-in-class 치료제

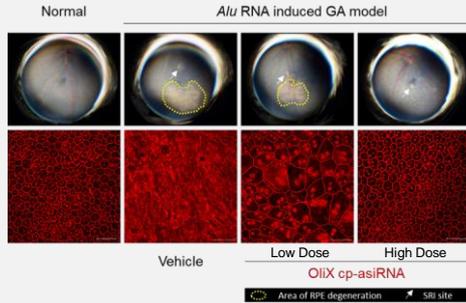
■ 치료제 개요

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

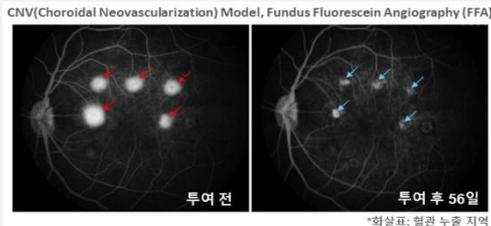
- ▶ 적응증: 건성 및 습성 노인성 황반변성 (AMD)
- ▶ Anti-VEGF 치료와 함께 단일 요법 및 복합 요법으로 개발

■ 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 다회용량상승투여(MAD) 연구 진행 중

■ 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

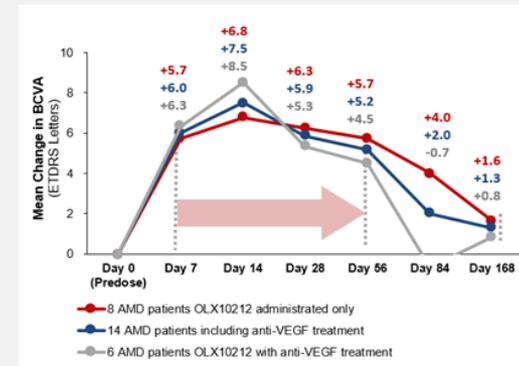
2-2. OLX301A: 임상 진행 현황

■ 미국 임상 1상 진행현황

- OLX301A 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 측정된 피험자들의 평균최대교정시력 (BCVA)은 OLX301A 물질 투여 후 7일부터 56일 사이에 가장 개선되는 것으로 나타남. OLX301A를 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 OLX301A만 투여받은 피험자들로 구분해 BCVA 변화를 분석. 최대 85%의 피험자에서 BCVA가 개선되는 양상을 확인. 'anti-VEGF 약물을 별도로 투여받은 피험자들'에서 시력 개선을 보인 비율과, 'OLX301A만 투여받은 피험자들'의 시력 개선율에 유의미한 차이가 없음

3-1. 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



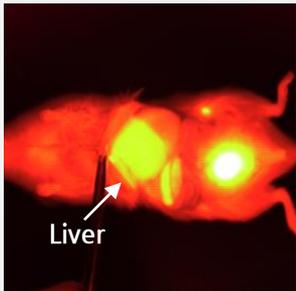
3-2. GalNAc-asiRNA의 효과적 전달

■ 비임상 간세포 전달 효력시험

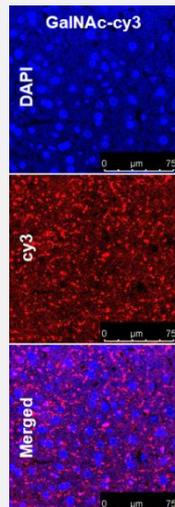
GalNAc-asiRNA 물질을 마우스에 10mg/kg 피하 투여

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

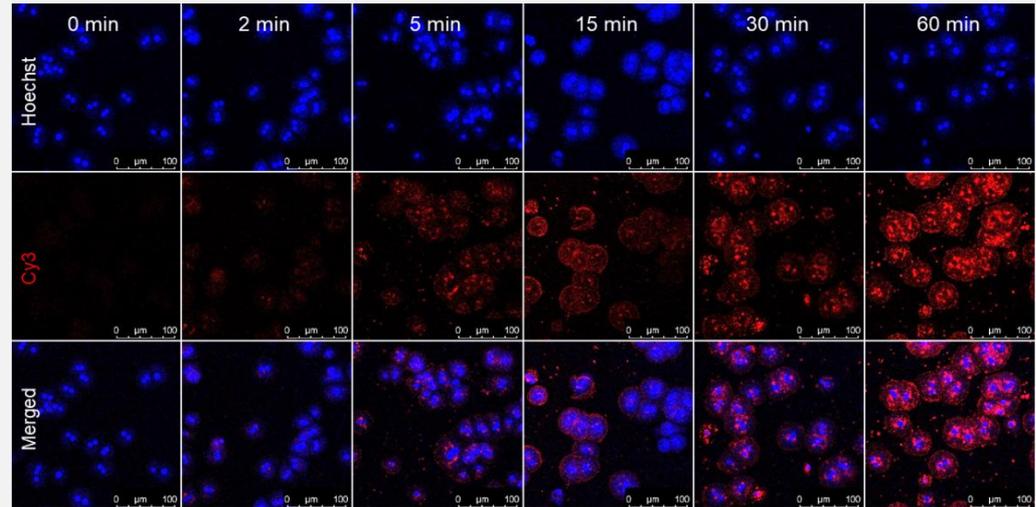
(A) 전신 분포



(B) 간 조직 분포

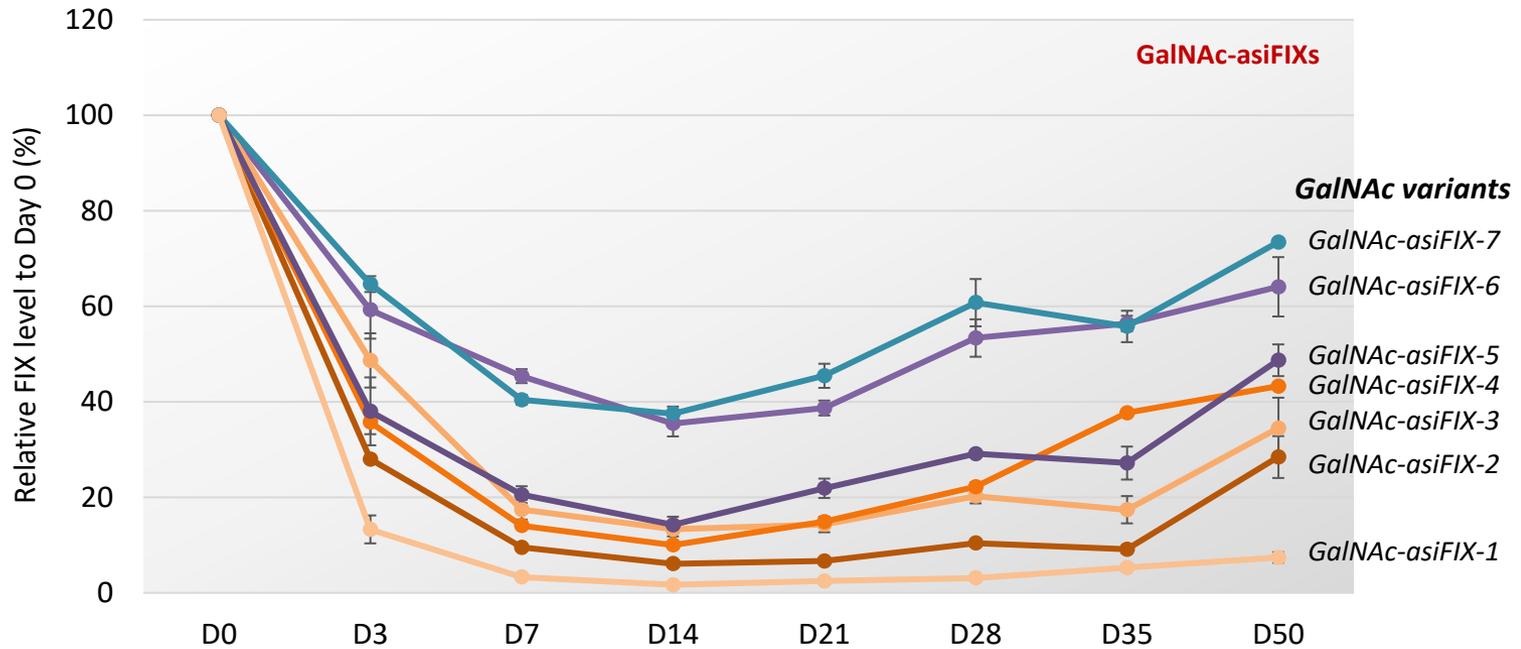


(C) 마우스 간세포 전달



3-3. OliX GalNAc 물질의 효력 및 유지기간

■ 효력 및 유지기간 확인

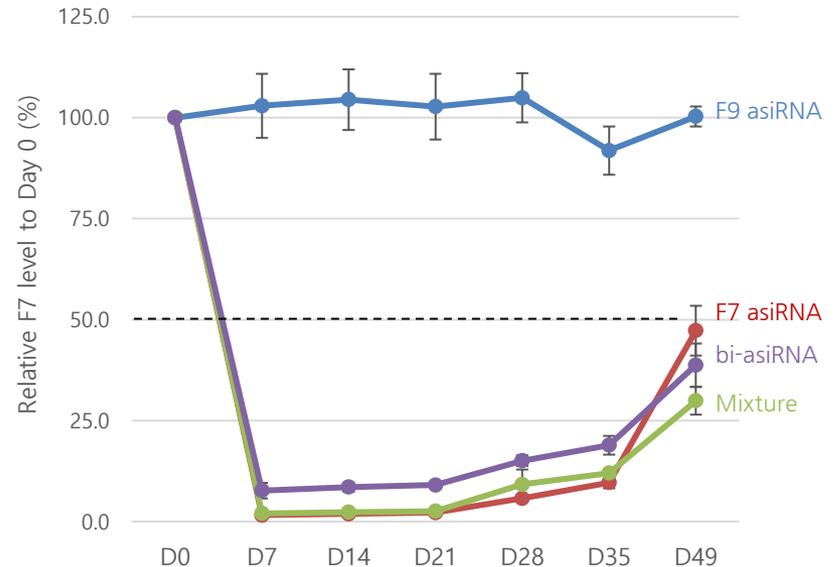
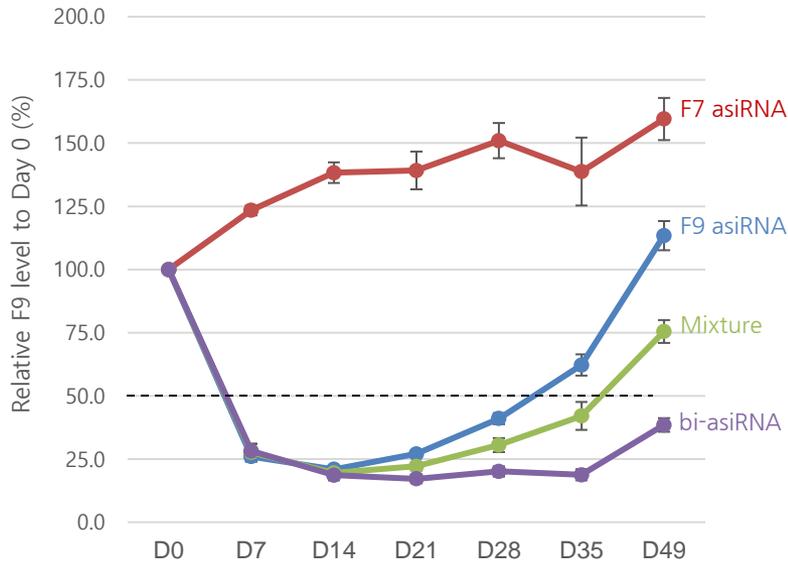


■ 개발현황

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

3-4. 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

3-5. MASH/비만 치료제(OLX702A) 현황

간 섬유화를 동반한 MASH와 비만 두 적응증을 공략하는 블록버스터 신약

■ MASH란?



대사이상 지방간염
(MASH, Metabolic dysfunction-Associated SteatoHepatitis)

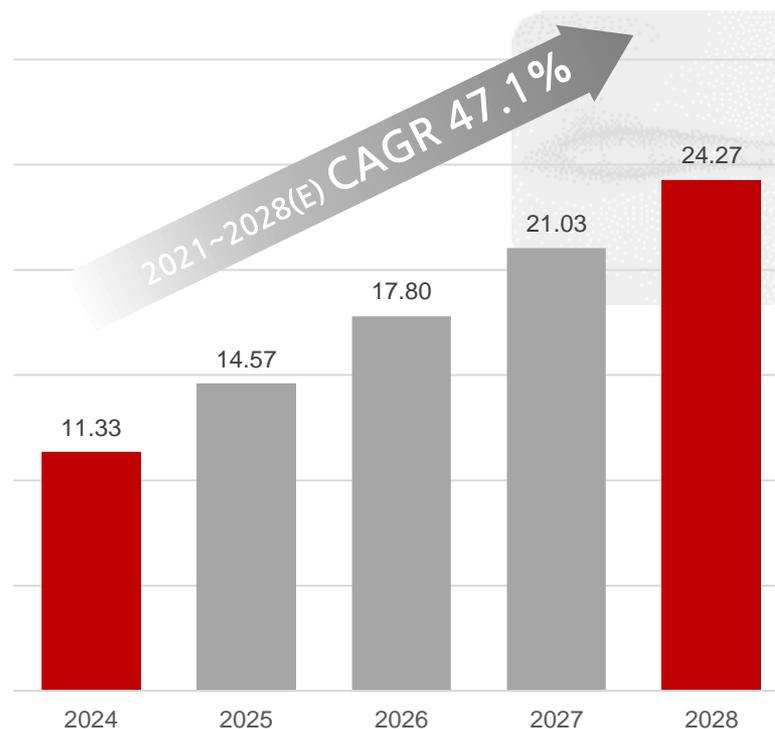
- 간 세포에 중성지방이 축적되어 염증 및 간 세포 손상을 일으키며, 점차 섬유화, 간 경변, 간암으로 확대
- 알코올 섭취와 관계 없이 비만이나 당뇨와 같은 대사 장애와 동반되어 발병

■ 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)

3-6. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

인간유전체 분석 타겟 기반 높은 신약 개발 성공률의 차세대 MASH 신약

■ 치료제 개요

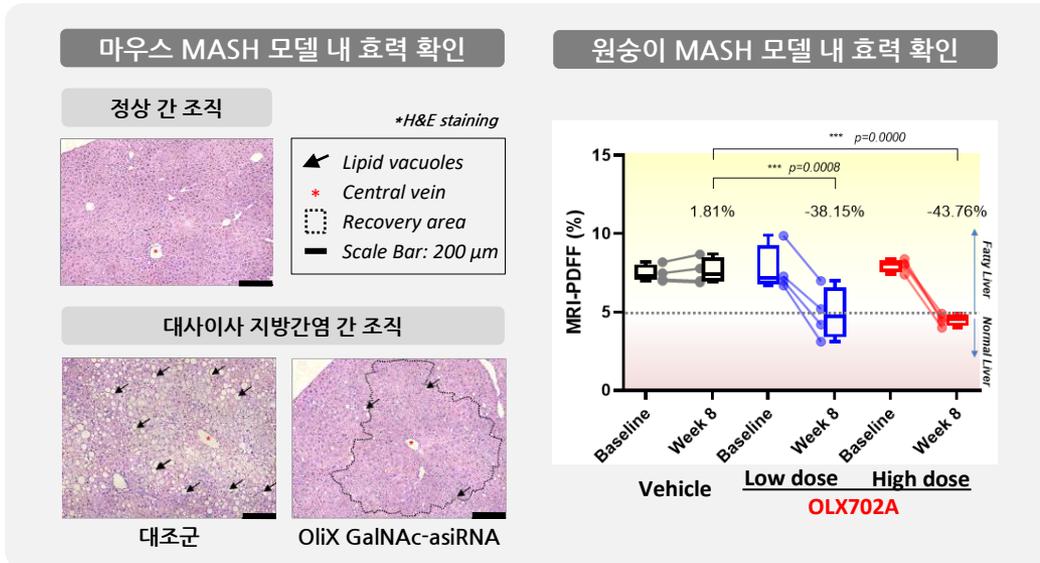
표적 유전자	투여방법	진행상황
MARC1	피하주사	호주 1상 임상 진행 중

- ▶ 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 (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

3-6. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황



■ 호주 임상 1상

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

(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 종료일: 2025년 12월 19일

임상방법 (단회/다회)

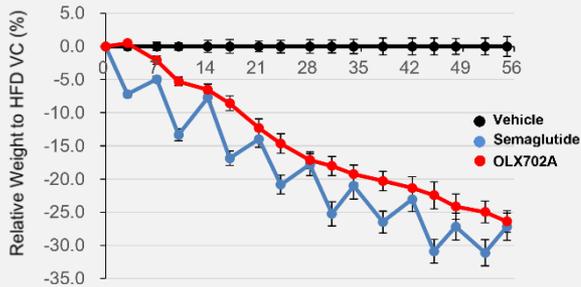
- 실시방법: 건강한 자원자 및 비알코올성 지방간 질환 환자를 대상으로 OLX75016의 안전성 및 내약성을 평가하기 위한 무작위 배정, 이중눈가림, 단일용량상승 및 다중용량상승, 위약대조 임상시험
 - ✓ 단회투여: 복부에 OLX75016 또는 위약을 단회 피하 투여 후 8주간의 추적관찰 진행
 - ✓ 다회투여: 복부에 OLX75016 또는 위약을 28일 간격으로 2회 피하 투여 후 건강한 자원자는 12주, 비알코올성 지방간염 환자는 간의 16주 추적관찰 진행
- 안전성평가: 이상반응, 투여 부위 국소 내약성, 실험실적 검사, 활력징후,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

3-7. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

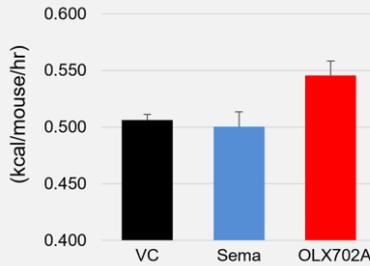


체중 감소 및 에너지 대사 증가 효력 확인 (고지방 식이 비만 생쥐 모델)

체중 변화 비교 (OLX702A vs Semaglutide)



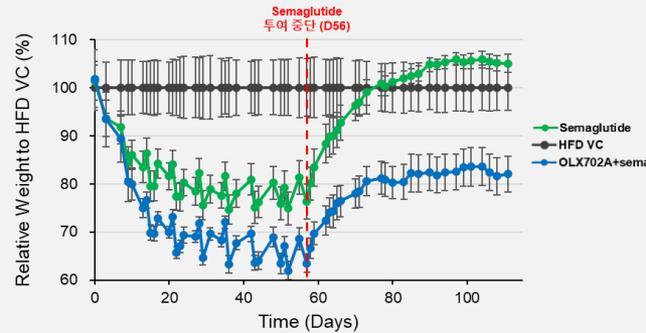
투여군 별 에너지 대사량



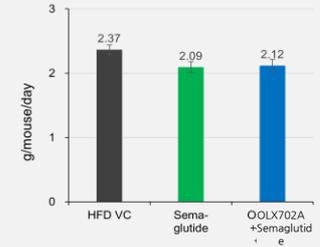
- ▶ OLX702A 투여군(2주 1회 투여)에서 26% 체중 감소 확인 (Semaglutide의 체중 감소 효력과 대등한 효력)
- ▶ OLX702A 투여군에서 Semaglutide와 달리 에너지 대사 증가 (~8%) 효력 확인 → 고유의 작용 기전 확인

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

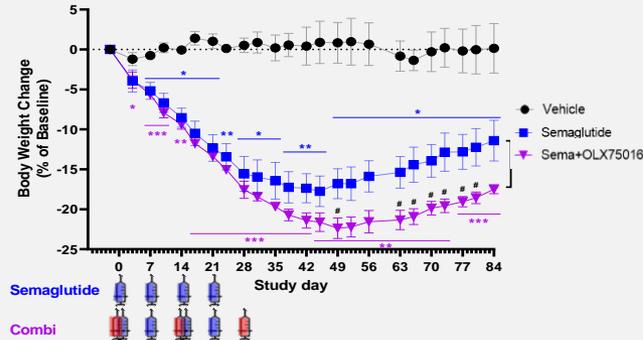
생쥐 체중 변화 비교 (Semaglutide 단독 vs OLX702A+Sema)



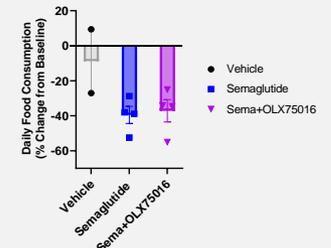
투여군 별 식이량 (일별)



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



투여군 별 식이량 (일별)

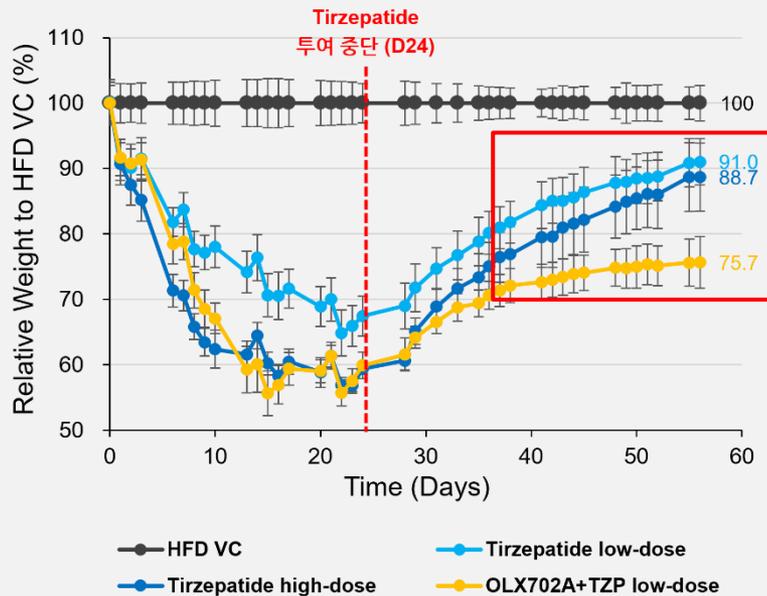


- ▶ OLX702A와 Semaglutide 병용 투여 시, 단독 투여군 대비 10% (마우스), 5% (원숭이) 추가 체중 감소 확인
- ▶ Semaglutide 투여 중단 시, 병용 투여군에서 대조군 대비 요요현상 완화 확인 (단독 투여군의 경우 급격한 체중 증가 확인)
- ▶ 병용 투여군과 단독 투여군의 식이 섭취량 차이는 미미한 수준 → 체중 감소 시너지 효과는 OLX702A의 에너지 대사 증진 효력에 기인한 것으로 확인

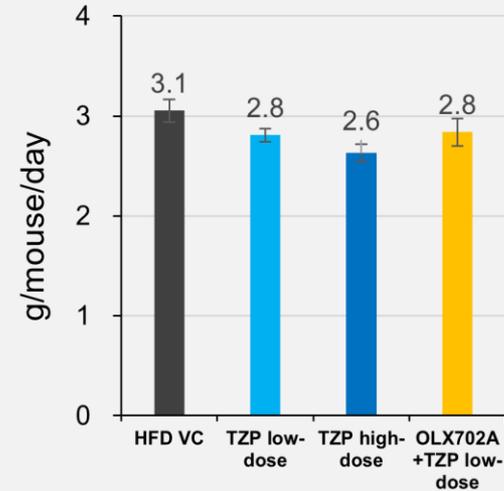
3-8. MASH/비만 치료제(OLX702A): 임상 진행 현황

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

3-9. 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]			

3-10. 글로벌 기술이전 계약 체결

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



■ 기술이전 계약 개요

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	<ul style="list-style-type: none"> • 올릭스는 OLX75016에 대한 임상 1상 활동을 계속하여 완료하고 릴리는 기타 연구, 개발, 상업화를 수행함. • 계약체결 후 올릭스는 릴리에게 독점적 라이선스를 부여함. <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 따른 비공개

3-10. 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

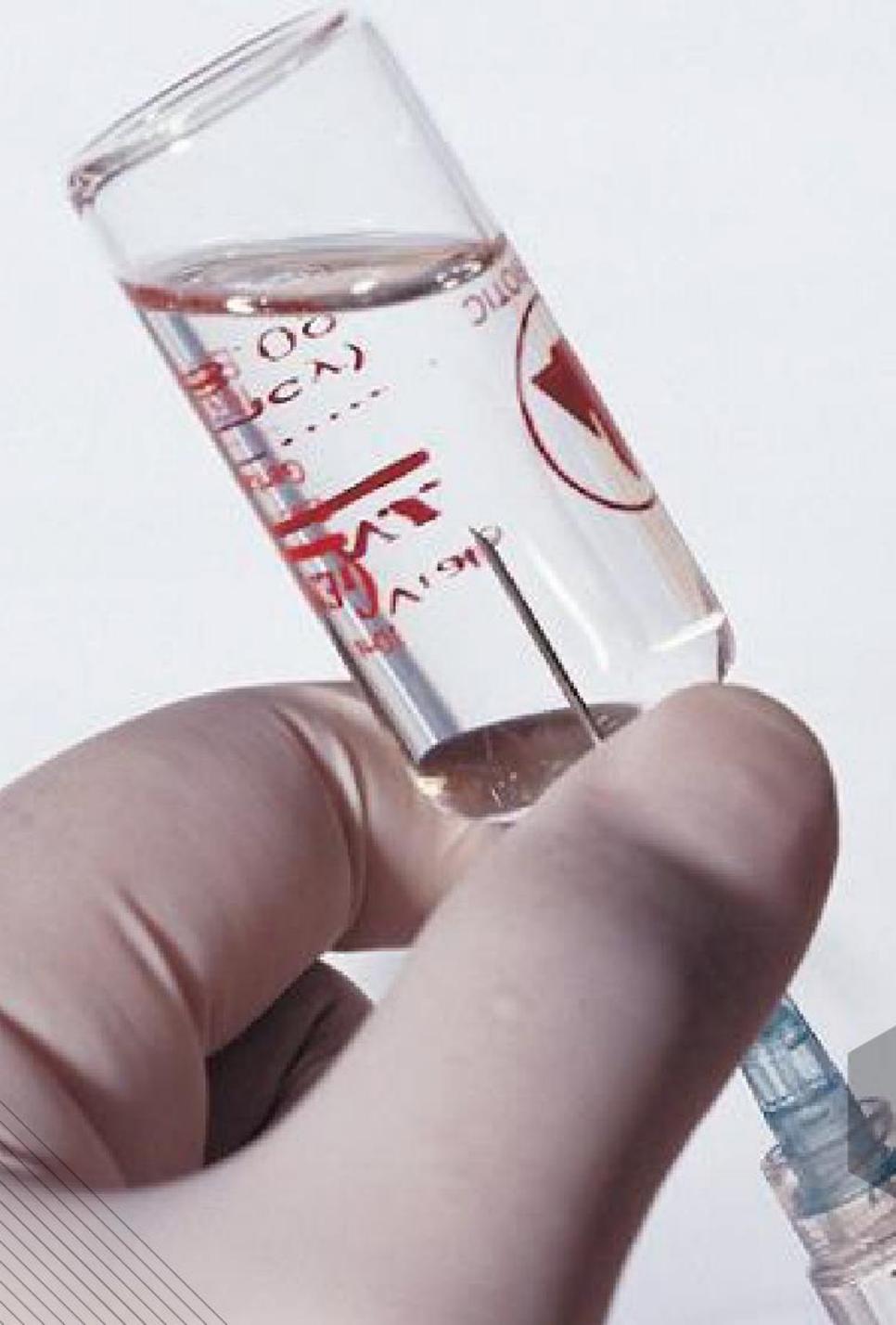
■ 최대 계약규모 : USD 451,000,000

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.>



Appendix

1. 타사 RNA 치료제 개발 현황

1. 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
	NN6581	Phase 1	MASH
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