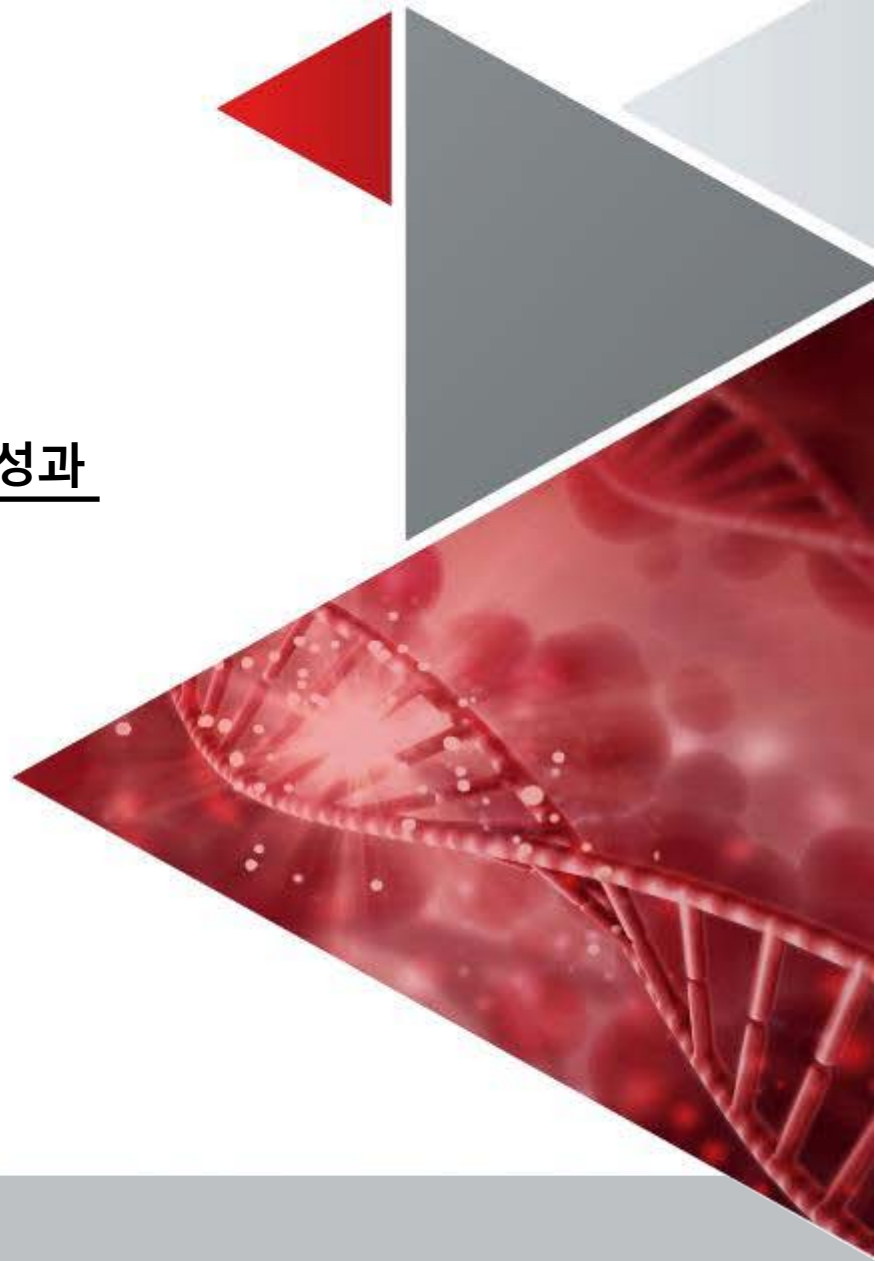


# 올릭스 주식회사

자체 RNAi 기반 기술을 이용한 신약개발 전략과 성과

이투데이 2018 바이오 기업 설명회



## RNA 간섭 (RNA Interference ; RNAi) 기술

- ➡ **제 3세대 신약 개발 플랫폼**: 올리고 핵산 (siRNA)을 세포 내 도입하여 질병 유전자로부터의 단백질 생성을 선택적으로 억제함으로써 신약 개발 가능
- ➡ **염기서열 변경만으로 다양한 유전자 표적 가능**: 저분자화합물 / 항체 등 기존 신약기술 적용이 불가능한 undruggable target에 대한 치료제 개발 가능

## 올릭스(주) (OliX Pharmaceuticals, Inc.)

- ➡ **자체 개발 siRNA 신약 개발 플랫폼 기술**을 바탕으로 의학적 미충족 수요가 큰 다양한 난치성 질환에 대한 혁신 신약 개발
- ➡ 기존 siRNA의 문제점을 개선한 신규한 **비대칭 siRNA 구조에 대한 원천 특허** 및 siRNA 치료제 개발의 최대 걸림돌인 세포 내 전달 문제를 해결한 **자가전달 siRNA 원천 기술 보유 (Freedom-to-operate 확보)**
- ➡ 당사의 기술적 강점을 가장 잘 살릴 수 있는 **국소 투여 질환에 집중**
- ➡ 자체 개발 원천 기술 플랫폼을 기반으로 **국내 유일, 아시아 최초 siRNA 치료제 임상 진입**



01

*Accelerate Drug Development  
using Oligonucleotides*



회사개요

*RNA간섭기술 기반 세계 최고 수준의 핵산 신약 기술과  
현실성 있는 사업 개발 전략을 통해  
단기간/저비용으로 다수의 제품 개발 및 기술이전을 통한 수익 창출*

## 일반 개요

회사명	올릭스 주식회사
대표	이 동 기 / CEO / CSO / Founder
설립일	2010년 2월 26일
본사	경기도 수원, 한국
임직원수	총 37명 (29 in R&D) - 박사급: 10명, 석사급: 15명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발
Funding	· 누적 기관투자유치 금액 : 약 290억원 · 누적 정부과제 유치 : 약 50억원
자본금 및 발행주식수	· 자본금: 2,602,772 · 발행주식수: 보통주 5,205,544 주
홈페이지	<a href="http://www.olixpharma.com">http://www.olixpharma.com</a>

## OliX CI



**Oligonucleotide**  **Xcelerate**

**Accelerate Drug Development using Oligonucleotides**



# 경영진의 신약개발 전주기적 역량

회사 개요

**이동기**

CEO / CSO

(경력 20년)

**기술경영 총괄**

연구개발 전과정에 대한 Top Level 전략 기술 사업화 주도

**기반기술**  
(R&D)

**선도물질**  
**효력검증**

**비임상**  
**인허가**

**임상**  
**개발**

**BD**  
**License out**

**홍선우** | 연구소장  
(경력 10년)

- 포항공대 화학 박사
- 동국대 연구교수
- 기반기술 개선 및 기초 연구 총괄

**김영희** | 핵산안센터장  
(경력 12년)

- 경상대 생물학 박사
- Univ. of Virginia 안과 석학인 J. Ambati 교수 연구실 연구교수 (OLX301 in-vivo 검증)
- 안과 적응증 개발 주도

**박신영** | 수석부사장  
(경력 23년)

- 서울대 약학박사
- 전임상 독성 전문가
- KIT 재직 시 IONIS사 비임상 독성 Project Manager

**이광용** | 전무  
(경력 25년)

- KAIST 학사
- Pfizer, Janssen 등 다국적 제약사에서 글로벌 임상진행 경력

**라문호** | Business Development  
(경력 14년)

- KAIST 생물학 박사
- 삼양바이오팜 수석연구원 - siRNA delivery 연구
- 공동연구 / 기술이전 주도

**박준현** | 책임연구원  
(경력 8년)

- 서울대 생화학 박사
- 삼성바이오에피스 선임 연구원
- 기반기술 연구

**김경미** | 수석연구원  
(경력 9년)

- 서울대 분자생물학 박사
- 피부 및 폐섬유화 치료제 연구 주도

**경영지원**

**강충길** | 전무/ 경영기획  
(경력 23년)

- KAIST 경영과학 석사
- 성운파마코피아 경영기획본부장

**이상진** | 이사 / CFO  
(경력 15년)

- 서울대 통계학 학사
- 삼일회계법인, 한국투자파트너스

## 기반기술 자문



John Lis

- **Current Position**
  - Distinguished Professor, Cornell University
  - Member, National Academy of Sciences
- **Expertise**
  - Gene Expression, Oligotherapeutics

## 기반기술 자문



Mark Kay

- **Current Position**
  - Distinguished Professor, Stanford University, School of Medicine
- **Expertise**
  - Gene therapy, RNAi Therapeutics, miRNA

## 피부과 자문



Samir  
Mitragotri

- **Current Position**
  - Professor, Harvard University
- **Expertise**
  - Skin biology, Transdermal delivery

## 안과 자문



Jayakrishna  
Ambati

- **Current Position**
  - Professor, Vice Chair for Research and Director of the Center for Advanced Vision Science at Univ. of Virginia, School of Medicine
- **Expertise**
  - Ophthalmology (Macular Degeneration)

## 기술사업화 자문



Ekkehard  
Leberer

- **Current Position**
  - Senior Director, R&D Alliance Management, Sanofi
  - Scientific Managing Director, COMPACT Consortium, Innovative Medicine Initiative
- **Expertise**
  - Oligotherapeutics, Biopharmaceuticals





02

*Accelerate Drug Development  
using Oligonucleotides*

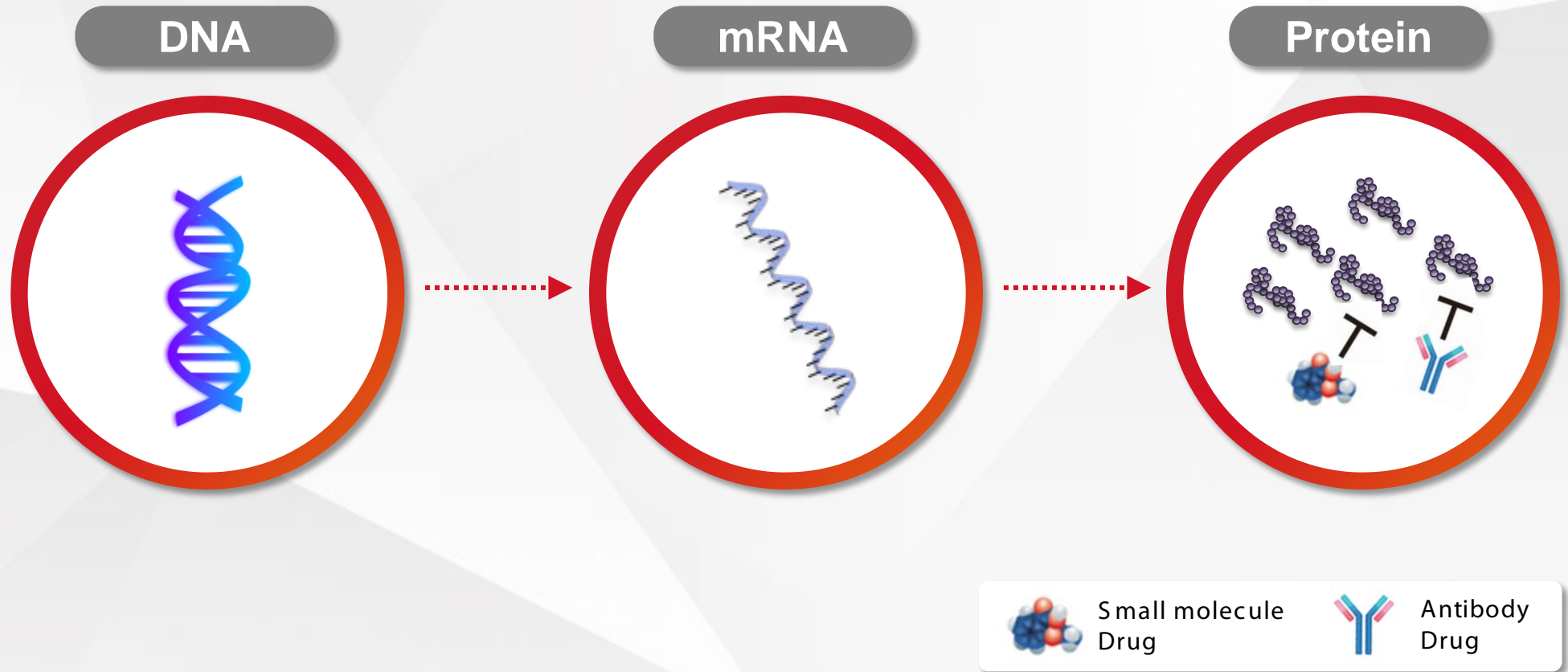


원천기술



# 유전정보의 흐름도: DNA to mRNA to Protein

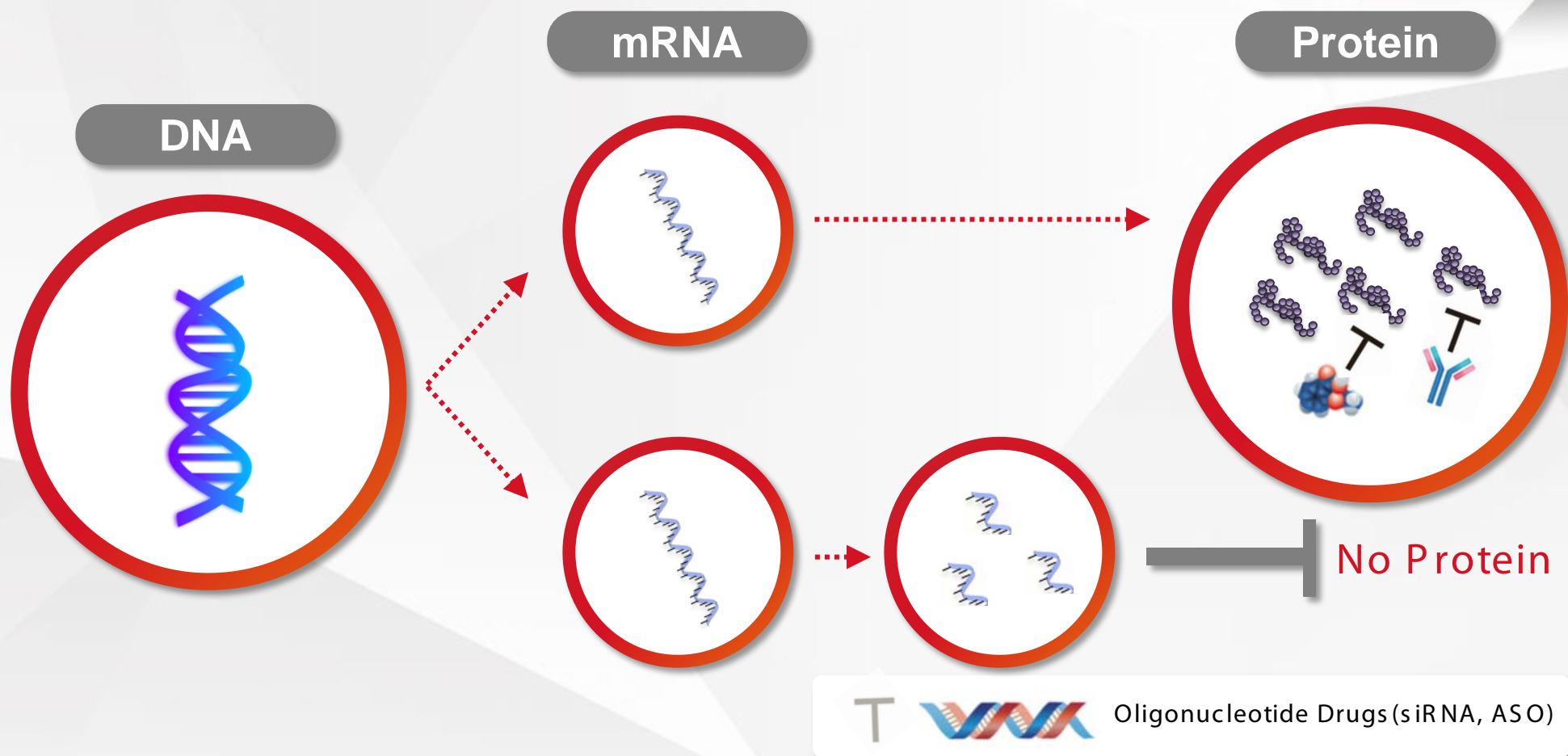
원천기술



➡ 저분자화합물 (1세대), 항체 (2세대) 신약: 기 생성된 단백질에 작용하여 활성 저해

# 올리고 핵산 치료제: 제 3세대 신약 플랫폼

원천기술

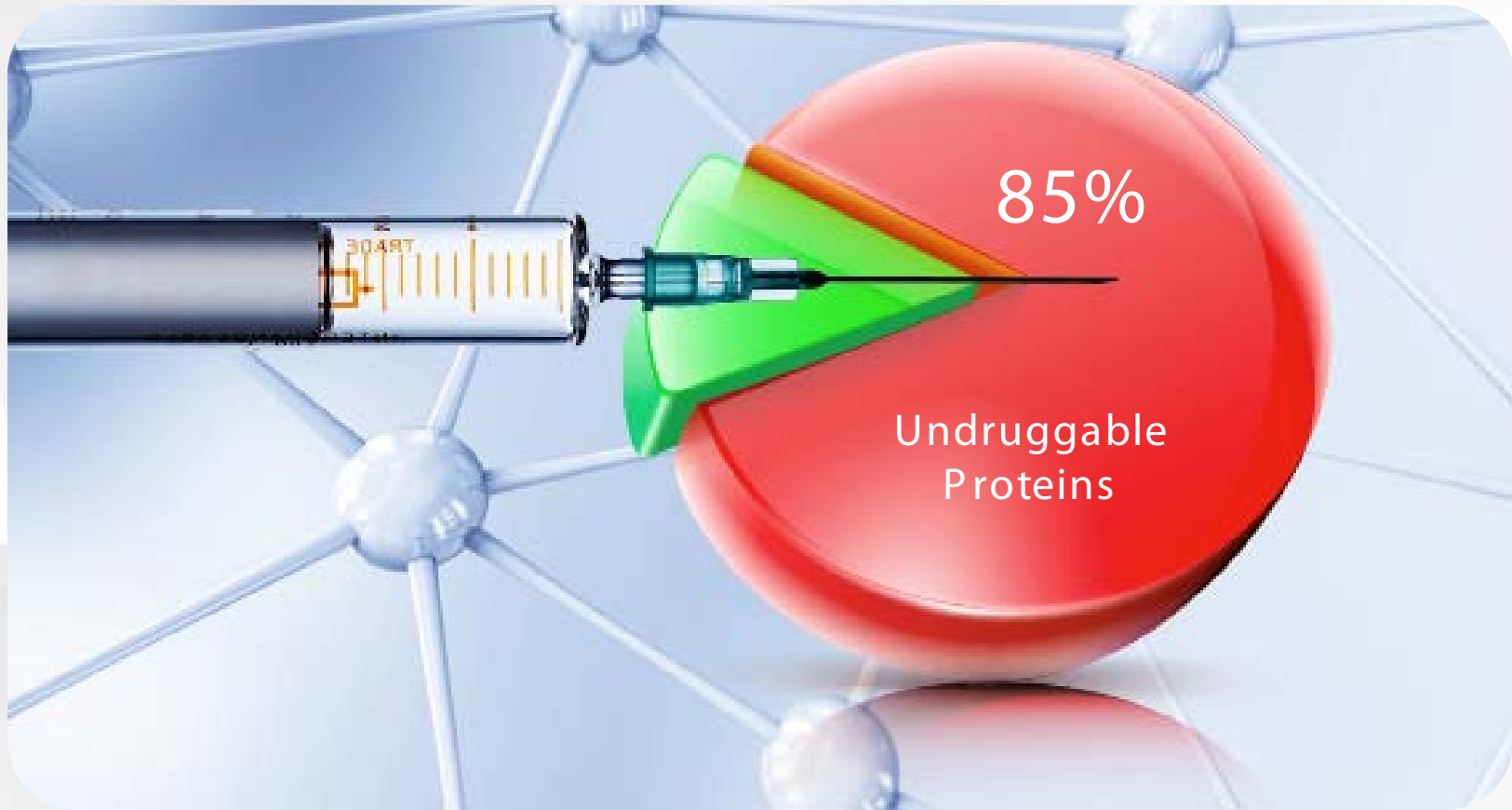


## ➡ 올리고 핵산 (3세대) 신약:

유전정보흐름의 중간산물인 mRNA에 결합하여 단백질 생성 원천 억제

## 기존 신약 기술의 한계: Druggability Issue

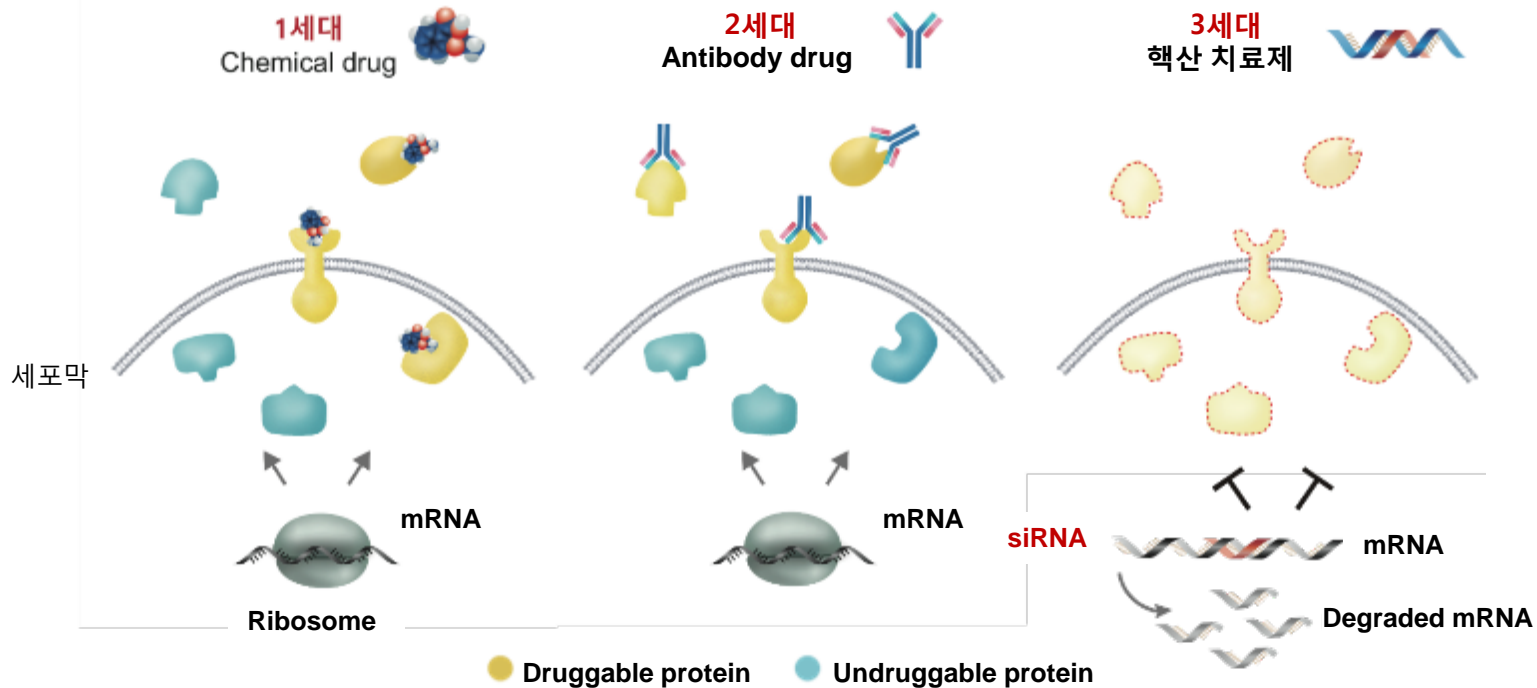
원천기술



➡ 인간 게놈프로젝트 수행으로 약 23,000개의 유전자 존재 확인  
이 중 1, 2세대 신약 플랫폼으로 표적가능한 유전자의 개수는 15% 이하

# 올리고 핵산 치료제: 모든 인간 유전자 공략 가능

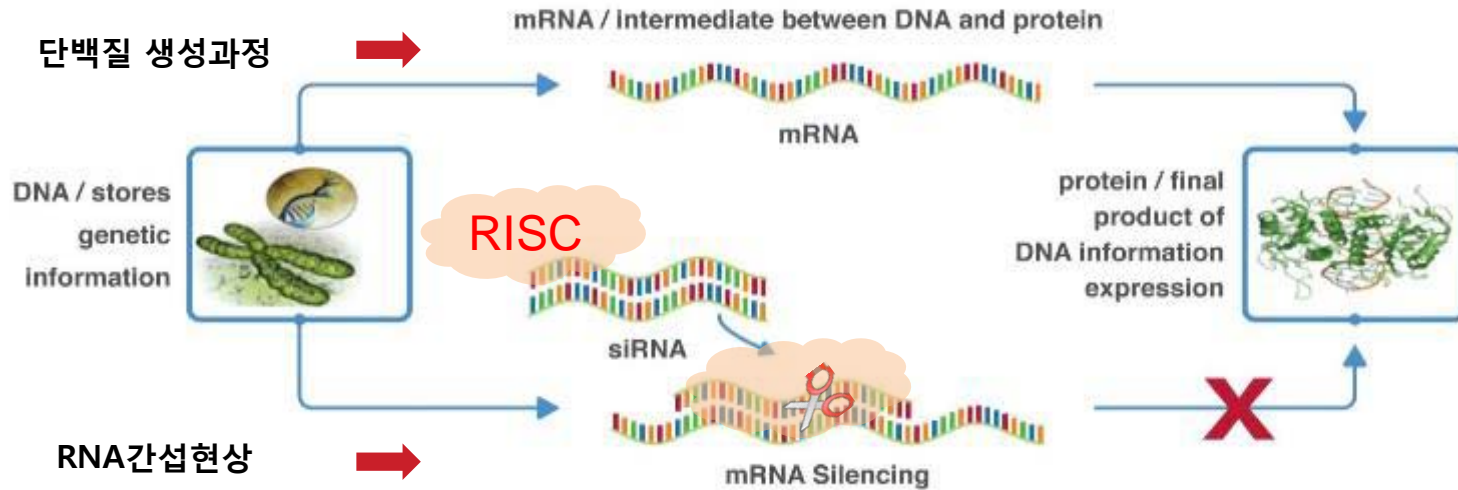
원천기술



- ➡ **저분자화합물** : 활성자리가 있는 표적 단백질만 공략가능
- ➡ **항체** : 세포막이나 세포 밖에 존재하는 표적 단백질만 공략가능
- ➡ **올리고핵산치료제** : 염기서열 변화로 간단하게 모든 표적 단백질 공략가능

# 당사 개발 기술: RNA간섭기술 기반 치료제 개발

## [세포내 단백질의 생성과정과 RNA간섭현상]



- ➡ RNA 간섭현상 1998년 발견 ▶ 2006년 노벨 생리학/의학상 수상
- ➡ 화학적으로 합성된 이중나선 RNA (siRNA)에 의한 효과적인 표적 유전자 억제
- ➡ 질병을 일으키는 유전자의 발현을 억제하여 치료제로 개발 가능
- ➡ 기존의 신약기술로 표적 불가능한 “undruggable target”에 대하여 신약 개발 가능
- ➡ 하나의 플랫폼으로 다양한 질환에 대한 신약물질을 단기간에 제작 가능

# 유전자 조절 올리고 핵산 치료제: 현실화된 제 3세대 신약 개발 플랫폼

## ASO (1978 발견)

- ➡ **Mipomersen (Ionis)** : Hyperlipidemia → FDA approved (2013)
  - ➡ **Eteplirsen (Sarepta)** : Duchenne muscular dystrophy → FDA approved (2016)
  - ➡ **Nusinersen (Ionis)** : Spinal Muscular Atrophy → FDA approved (2016)
- 출시 2분기만에 분기당 2억불 매출 달성 : 핵산치료제의 상업성 입증

## RNAi (1998년)

- ➡ **Patisiran (Alnylam)** : TTR Amyloidosis → expecting FDA approval in 2018

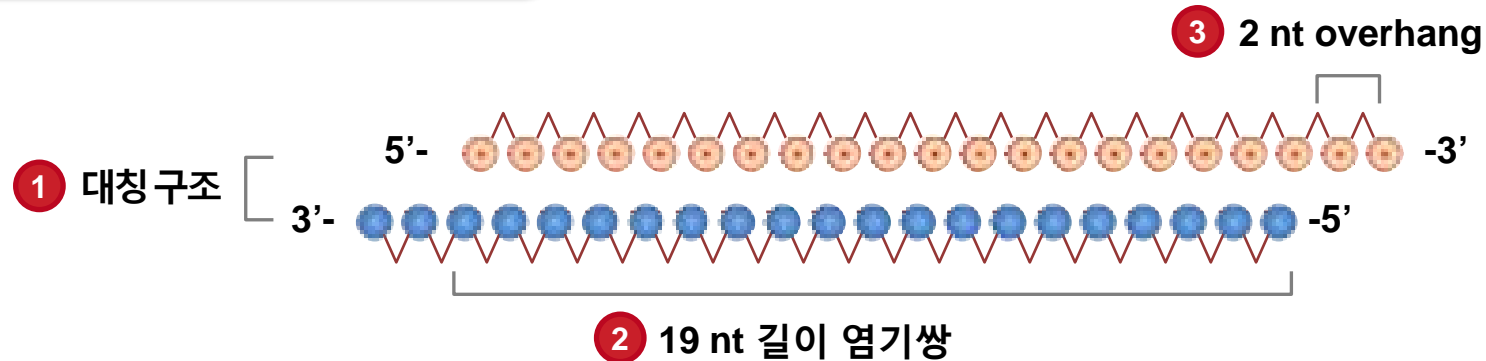
향후 3-5년 내에 다수의 유전자 조절 핵산 치료제  
**FDA 승인 및 시판 예상**



# 원천기술 개발 경위: 기존 RNA간섭기술의 부작용

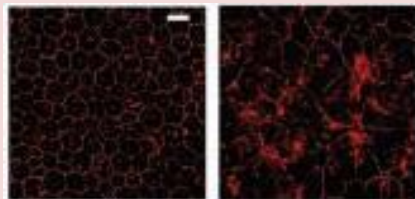
원천기술

## 기존 siRNA 구조 특징 1 2 3



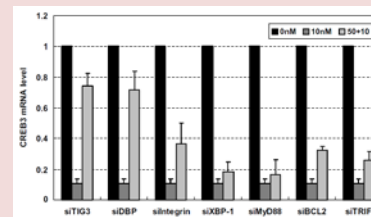
## 기존 기술의 다양한 부작용

### 1. Immune toxicity



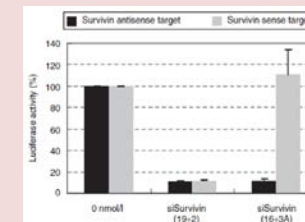
J Ambati et al.  
Nature. 2008 Apr 3;452(7187):591-7  
Mol Ther. 2012 Jan;20(1):101-8

### 2. Competition



Dong-ki Lee et al.  
Biochem Biophys Res Commun.  
2008 Feb 29;367(1):78-83  
Biochem Biophys Res Commun.  
2010 Jul 16;398(1):92-7

### 3. Sense strand mediated off-target effects



Dong-ki Lee et al.  
Mol Ther. 2009 Apr;17(4):725-32  
Mol Cells. 2011 Dec;32(6):543-8

# 원천기술: 자가전달 비대칭 RNAi 기술

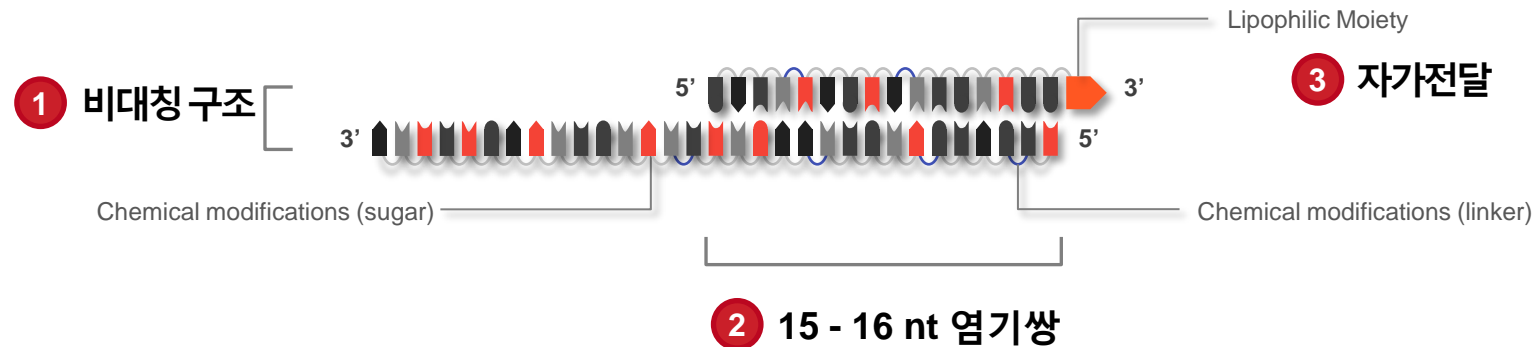
원천기술

siRNA 는 전기적으로 음전하를 띄고 있어 지질로 구성된 세포막 투과가 어려움

➔ 세포막 투과를 위한 전달기술 필요

cp-siRNA

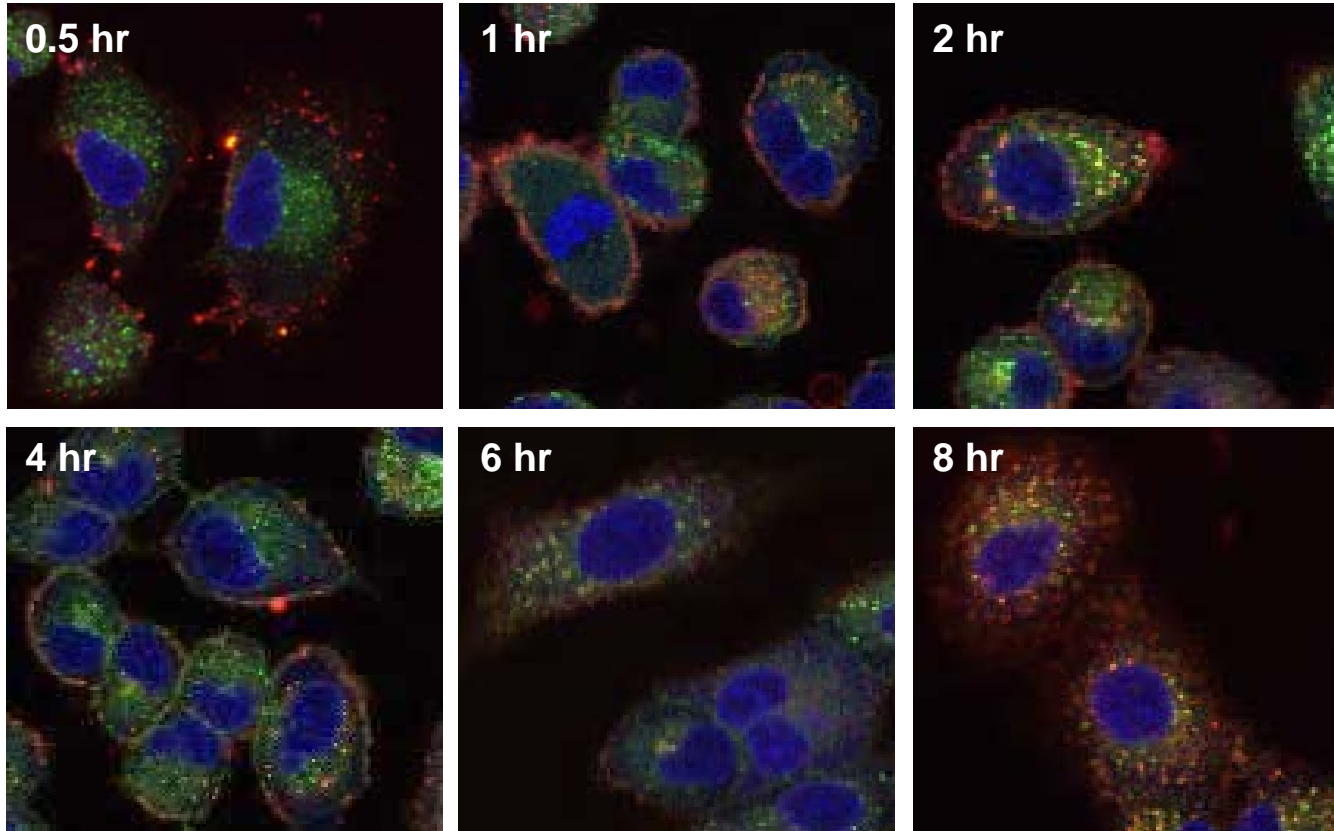
## Cell penetrating asymmetric siRNA (cp-siRNA)



- cp-siRNA: 비대칭 siRNA의 새로운 화학적 변형으로 생성
- 별도의 전달체가 필요없는 자가 전달 기술: 전달체에 따른 독성위험 제거
- 간단한 화학적 변형만 도입: 합성/대량생산 용이

## cp-asiRNA: 효과적인 세포 투과

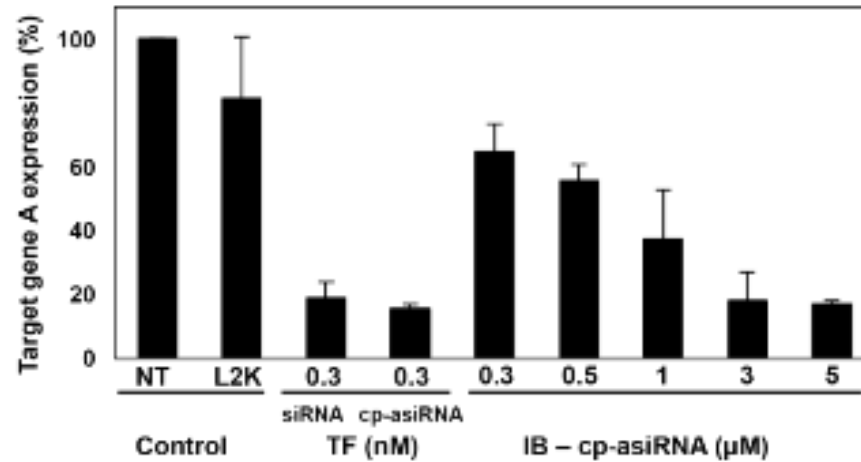
원천기술



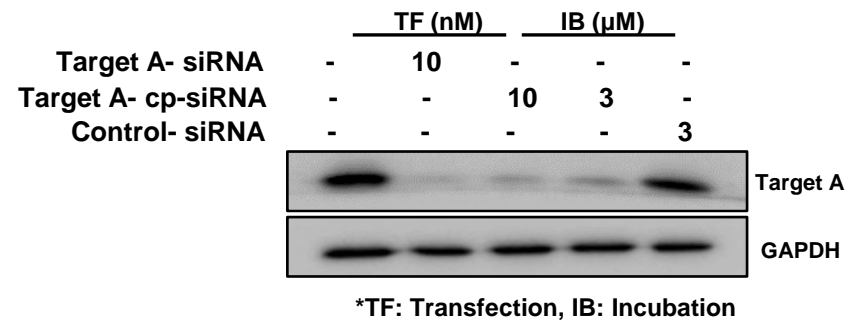
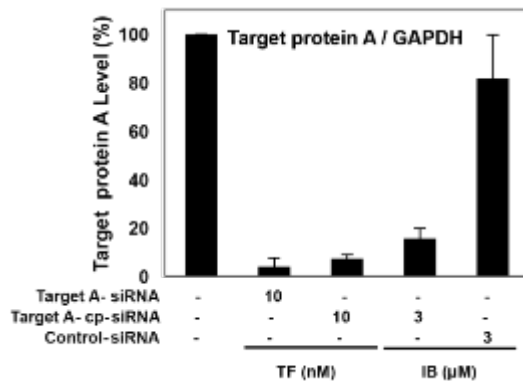
- 별도의 전달체 없이도 자체 구조만으로 높은 효율로 세포내 전달됨을 확인함

# cp-siRNA: 효과적인 표적유전자 억제

## mRNA Level



## Protein Level



siRNA 구조 관련 원천 특허  
비대칭 siRNA/긴 비대칭 siRNA (PCT/KR2008/007530;PCT/KR2011/006632)

siRNA 세포 내 전달 기술 특허  
cp-siRNA (PCT/KR2013/004463)

치료 물질 특허

**OLX101**

치료 조성물 특허

**OLX201**

치료 물질 특허

**OLX301A**

치료 조성물 특허

**OLX301D**

RNA간섭효과 증진용 화합물 관련 특허(Enhancer)

## 특허존속 기간

### 기반기술 특허

- asiRNA: ~ 2027.12
- lasiRNA: ~ 2031.11
- cp-siRNA: ~ 2033.5
- Enhancer: ~ 2037.6

### 치료 물질별 특허

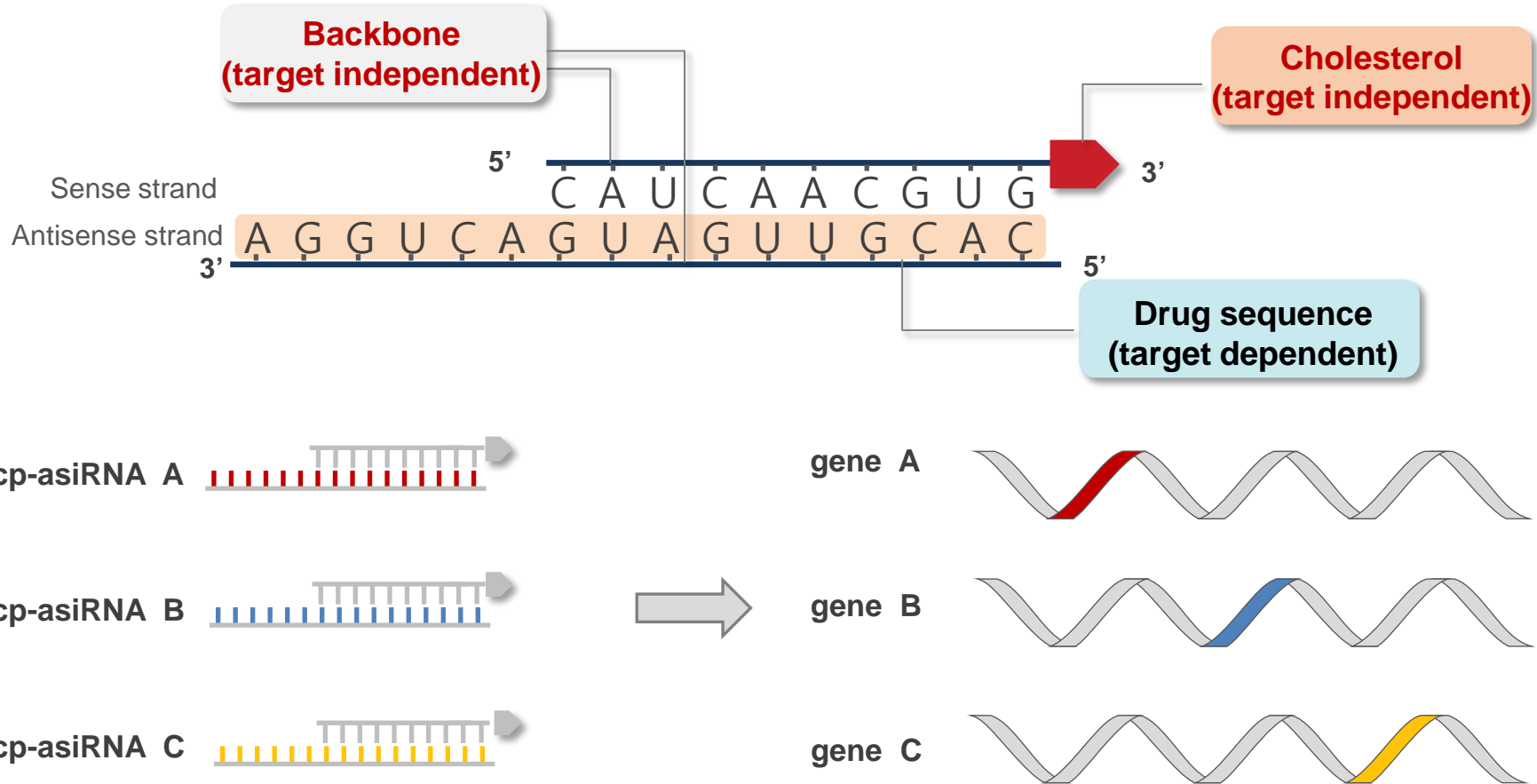
- OLX101: ~ 2033.5
- OLX201: ~ 2037.4
- OLX301A: ~ 2036.11
- OLX301D: ~ 2037.9

RNAi 플랫폼 구조 원천특허 이외에도  
미백, 아토피, 황반변성 등 각각의 치료제 물질에 대한 특허 출원 (미국 선출원)

**이 분야 확고한 IP 지위 확보를 위해**  
**미국 대형 law firm인 Foley Hoag 및 Morgan Lewis 와 Partnership**

# cp-asiRNA 플랫폼의 범용성/확장성

원천기술



· 표적 유전자 별 염기서열만 변화시켜 신규 신약 후보물질 확보 용이

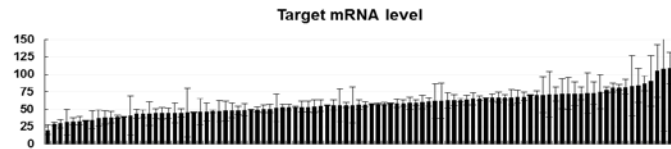


# cp-asiRNA 기반 신약 물질 도출 과정

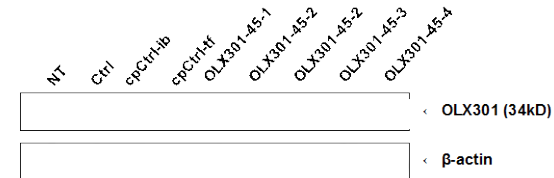
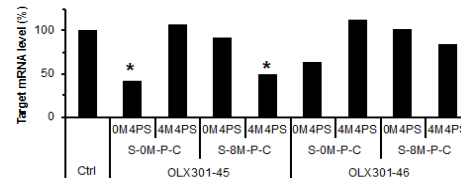
원천기술

최 약 3 개 월  
후 보 물 질  
선 정 기 간

- 1 asiRNA design / synthesis
- 2 1<sup>st</sup> round screening (in vitro mRNA level analysis)
- 3 2<sup>nd</sup> round screening (in vitro protein level analysis)



- 4 cp-asiRNA design / synthesis
- 5 cp-asiRNA efficacy analysis and optimization



- 6 Select cp-asiRNA for in vivo efficacy test

· 1,2 세대 플랫폼 대비 (3-5년) 신약 후보 물질 도출 기간 획기적 단축

과제명	사업명	지원기관	연구기간	구분
부작용이 최소화된 핵산구조체 기술을 이용한 신개념 항암치료제 개발	예비 기술창업자 육성사업	중소기업청	2010.03 ~2011.01	과제종료
다기능 핵산 나노 구조체 기반 유전자 조절 기술 개발	기업부설연구소 설립지원사업	중소기업청	2011.06 ~2013.05	과제종료
전달체가 필요없는 RNA 간섭 기술 기반 난치성 피부질환 치료제 개발	기술혁신개발사업 (글로벌강소기업과제)	중소기업청	2013.06 ~2015.08	과제종료
검증된 섬유화 억제 유전자 조절 핵산 물질을 이용한 특발성 폐섬유화증 치료제 개발	기술료사업 (한싱가포르R&D국제협력 연구지원)	보건산업 진흥원	2014.10 ~2018.03	과제종료 보고 진행중
자가전달 RNAi 유전자 조절 기술을 이용한 난치성 비대 흉터 억제 신약의 전임상 시험 및 IND신청/승인	범부처전주기신약개발사업	범부처전주기 신약개발사업단	2014.11 ~2016.10	과제종료
차세대 RNA 간섭 기술 기반 아토피성 피부염 치료제 개발	기술혁신개발사업 (투자연계과제)	중소기업청	2015.08 ~2017.10	과제종료



03

*Accelerate Drug Development  
using Oligonucleotides*

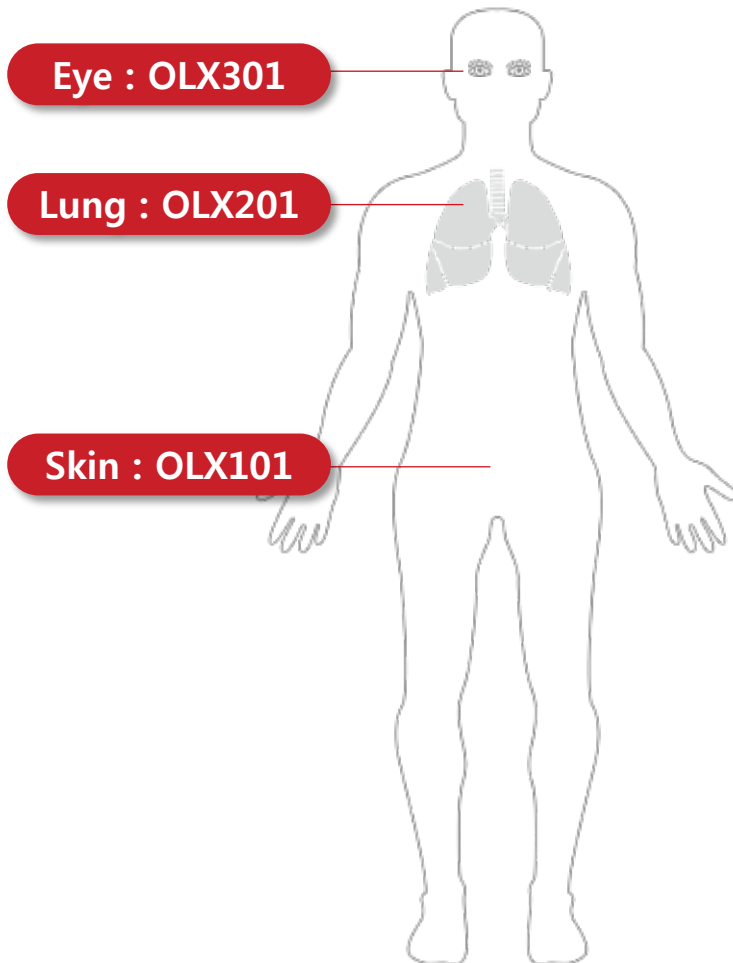


제품

# 당사의 주력 개발 제품

제품

## 국소 투여 표적 전략



## 주요 제품

### Phase

#### Skin

OLX101: 비대흉터/켈로이드

(국내) 임상1상 투여완료  
(해외) 임상1상 시험승인  
신청

#### Lung

OLX201: 특발성 폐섬유화

동물모델 효력확인  
글로벌 비임상진입

#### Eye

OLX301D: 망막하 섬유화/  
습성황반변성

동물모델 효력확인  
글로벌 비임상진입

OLX301A: 건성황반변성(GA)/  
습성황반변성

동물모델 효력확인  
글로벌 비임상진입

# 비대흉터 및 켈로이드 치료제: OLX101

# OLX101: 치료제 현황 및 Unmet Needs

제품



- **비대 흉터 (hypertrophic scar):** 외과적 수술/외상 후 진피층의 콜라겐이 과다하게 증식하여 비정상적인 흉터 생성
- **켈로이드 (keloid):** 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식
- 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주요 원인
- 외과 수술 환자 중 39~68%가 비대 흉터 발병
- 통증, 가려움증 등의 증상 동반/  
흉터가 노출부위에 위치할 경우 환자의 콤플렉스, 우울증 및 대인 기피증 등의 후유증 야기

## • 기존 물리적 치료법 및 치료제는 근본적 예방 및 치료 불가

기존 치료법	효과 및 unmet needs
Silicone Sheeting	• 6개월이상 매일 사용필요. 효과 불확실
Compression Therapy	• 물리적 압박요법으로 6개월 ~ 1년 이상 치료 필요하며, 효과 불확실
스테로이드 주사	• 스테로이드 독성문제, 재발율 10 ~ 50%
외과적 수술법	• 재발률 50% 이상, 통증동반

## • 개발중인 타사 후보물질

제약사	약물 특성	임상 단계
RXi Pharmaceutical	<ul style="list-style-type: none"> <li>• RXI-109 (siRNA)</li> <li>• 표적 단백질: CTGF</li> </ul>	임상 2상

**당사 물질과 효능 비교 통해 잠재적 우위 가능성 확인 (OLX10010 물질이 CTGF 발현 억제 효력면에서 우위)**

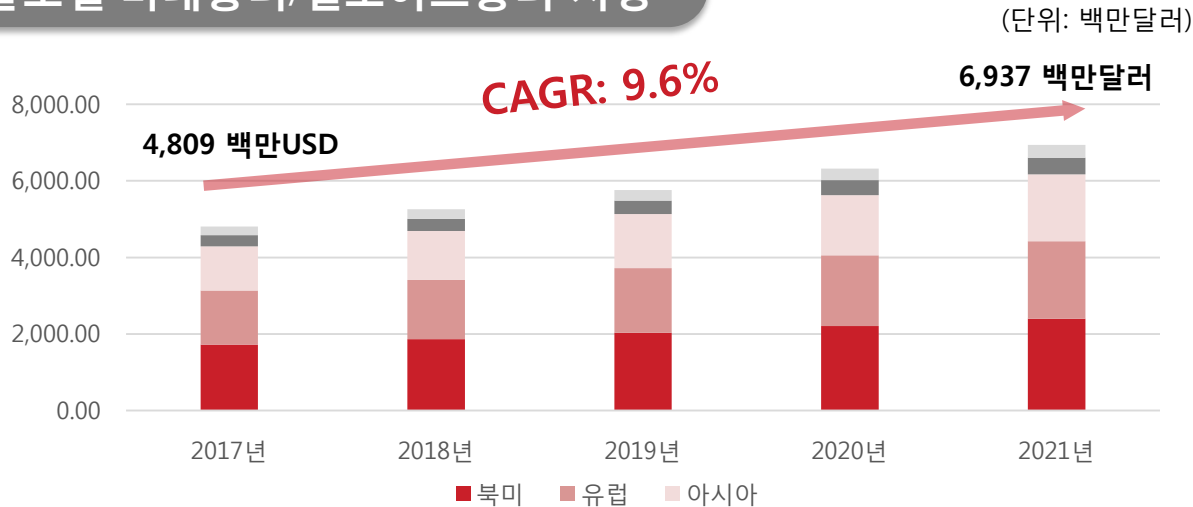
- **높은 unmet medical needs:** 기존 치료법 및 치료제의 낮은 효과와 높은 재발률
- **효력/가격 등 경쟁력에 기반한 best-in-class 신약으로 시장 진입 가능**



# OLX101: 비대흉터/켈로이드흉터 시장

제품

## 글로벌 비대흉터/켈로이드흉터 시장



외모 관련 지출비중  
증대에 따라  
시장규모 확대예상

(Source: Grand View Research  
Hypertrophic and keloid scar treatment  
market analysis and segment forecasts)

## 비대흉터 발생원인 및 환자 수 추정(2017년 기준 추정)

### 성형수술 및 재건수술

- 북미 성형수술(가슴성형, 지방흡입, 복벽성형): 669천명
- 북미 재건수술: 5,874천명
- 글로벌 성형/재건수술 추산: 18,696천명(비대흉터시장규모 고려)

(source: Plastic Surgery Statistics Report 2015)

### 제왕절개수술

- 글로벌 제왕절개 수술: 19,779천명

(source: WHO World Health Report)

### 사고 (열상)

- 글로벌 열상환자 : 21,616천명

(source: Global Scar Treatment Market Size, Share, Development, Growth and Demand Forecast to 2022)

비대흉터  
발생비율:  
44.6%

Addressable  
Market 환자수:  
"연 26백만명"

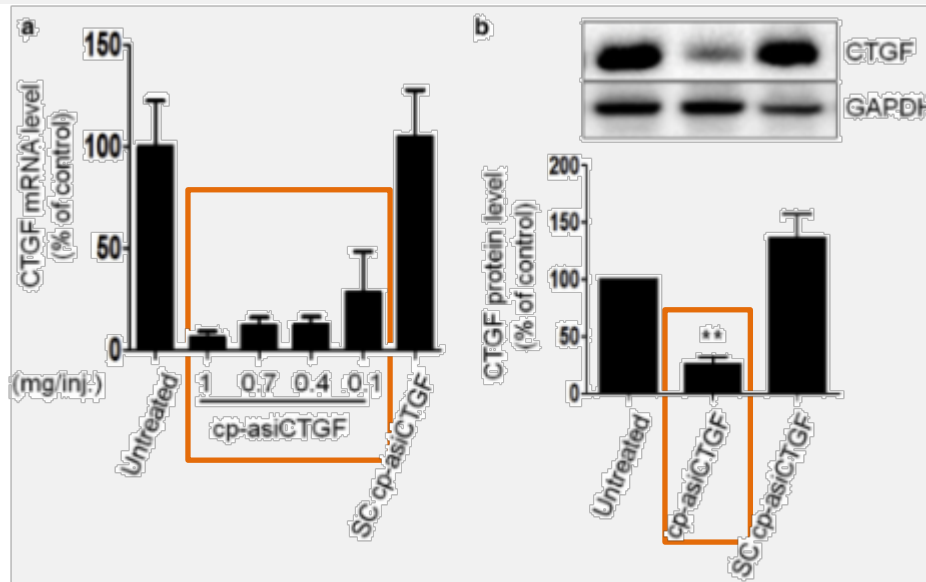
# OLX101: 효력 검증

제품

동물모델 (rat skin)에서 효과적인 표적 유전자 발현 억제 확인



물질: OLX10010



*J Invest Dermatol.* 2016 Nov;136(11):2305-2313.

- SD rat (n=3)
- Intradermal injection (single)
- 24 h (mRNA), 48 h (protein) after injection

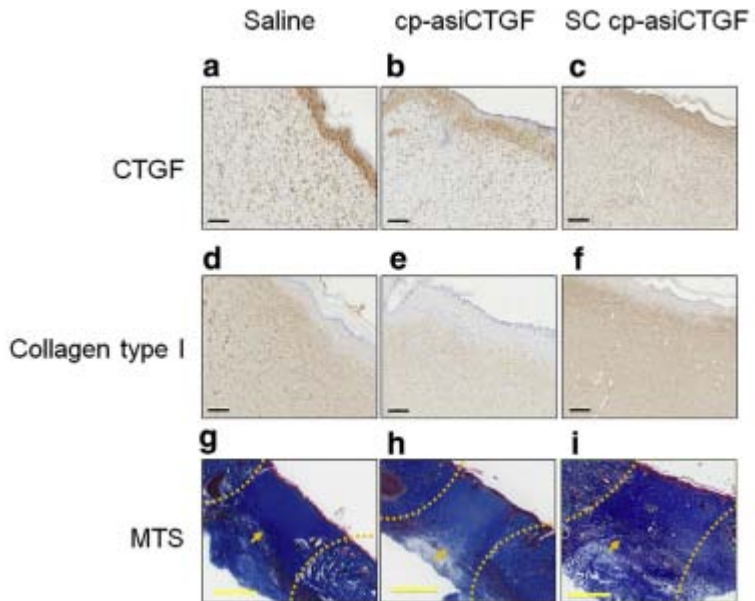
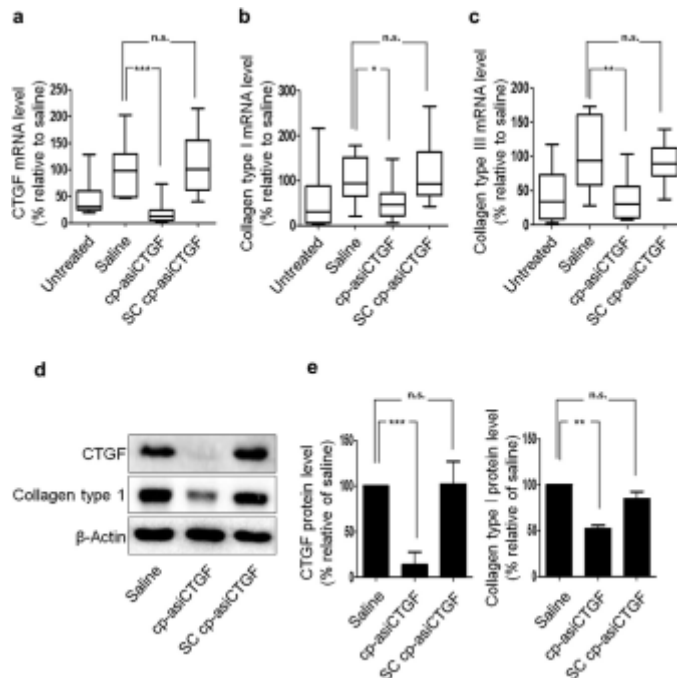
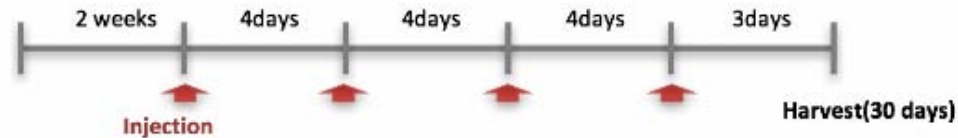
# OLX101: 섬유화 억제력 확인

제품

동물효력모델 (rat excision wound model)에서 효과적인 섬유화 억제

## Excision wound

\* Dose : 10mg/ml(0.15ml), N=9, Intradermal Injection



*J Invest Dermatol.* 2016 Nov;136(11):2305-2313.



2015 Impact Factor: 6.915\*  
**// #1 Journal in Dermatology //**  
 \*2015 Journal Citation Reports® Science Edition  
 (Thomson Reuters, 2016)



피부와 관련 국제 저명 저널 **J. of Investigative Dermatology**에 논문발표(2016년 7월)

# OLX101: 범부처전주기 신약개발사업 선정

제품

## 범부처전주기신약개발사업 선정 및 성공 종료

과제 고유번호/주관기관: KDDF-201408-14/올릭스 주식회사  
“자가전달 RNAi 유전자 조절 기술을 이용한 난치성 비대 흉터 억제 신약의  
전임상 시험 및 IND신청/승인”

### ■ 연구개발 기간

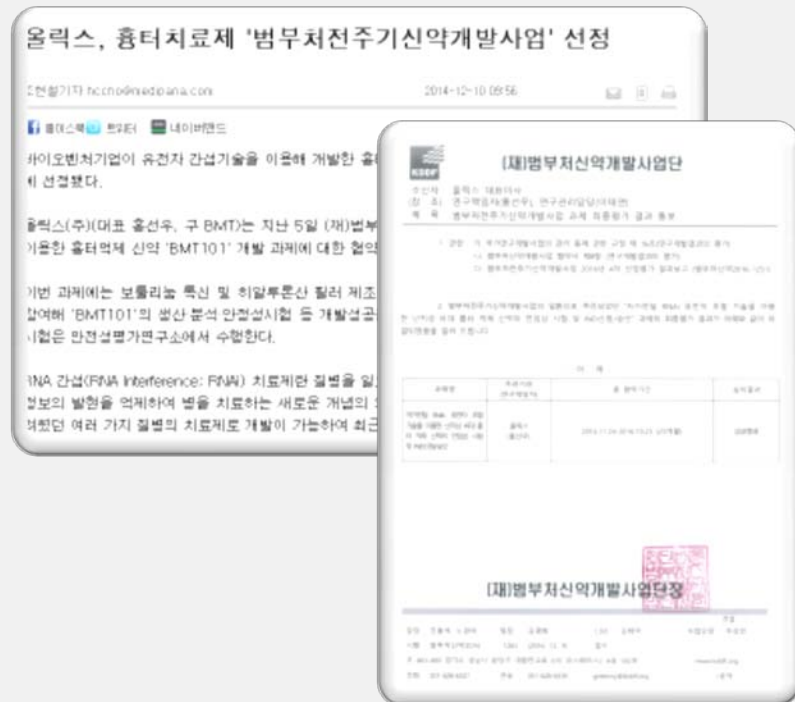
2014.11 – 2016.10

### ■ 연구개발 내용

- OLX10010 전임상 안전성 자료 확보
- 비임상시험용 DS/DP: 생산/분석 및 안정성 시험 자료 확보
- 임상시험용 DS/DP: 생산/분석 및 안정성 시험 자료 확보
- OLX10010 in vitro/in vivo 효력데이터 확보
- IND 신청 및 승인

### ■ 연구개발 성과

- SCI 논문게재, IND 승인, 과제 성공종료

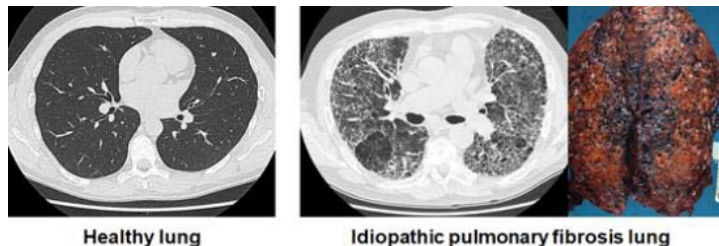


# 폐섬유화 치료제: OLX201



# OLX201 치료제 현황 및 Unmet Needs

제품



- 만성적으로 진행되며 호흡 곤란을 특징으로 하는 질환(ex. 가슴기 살균제 피해자의 사망 원인)
- 진단 후 3년 이내에 50% 이상이 사망하며 5년 생존율이 20-40% 정도로 매우 낮음
- 폐 조직 상피 세포에 지속적으로 상처 생성 및 섬유화와 염증반응 유발
- OLX201 특발성 폐섬유화치료제: 한싱가포르R&D 국제협력연구지원 과제 선정 (보건복지부)



## · 기존 승인 신약은 근본적 치료가 불가능한 상황임

기존 승인약물	약물의 특징
<b>Esbriet</b> (Pirfenidone, Roche)	<ul style="list-style-type: none"> <li>· 작용기전 : <b>TGF-<math>\beta</math> 및 TNF-<math>\alpha</math> Inhibition</b></li> <li>· 주요 특징 : 경구용 제제로서, 섬유화 진척 억제 가능하나, 근본적 치료 불가/ 위장관계 부작용</li> </ul>
<b>Ofev</b> (Nintedanib, Boehringer Ingelheim)	<ul style="list-style-type: none"> <li>· 작용기전 : <b>RTK inhibitor</b></li> <li>· 주요 특징 : 14년 개발 약물로서, 기존 치료제 대비 효과 및 편의성 제한적/ 위장관계 부작용</li> </ul>

## · 개발중인 타사 후보물질

제약사	약물 개요	임상 단계
Fibrogen	<ul style="list-style-type: none"> <li>· 약물명: Pamrevlumab</li> <li>· 표적 단백질: CTGF</li> <li>· Class: 항체신약</li> <li>· 투여경로/ 주기: 정맥주사(IV)/ 매3주</li> </ul>	임상 2상 종료

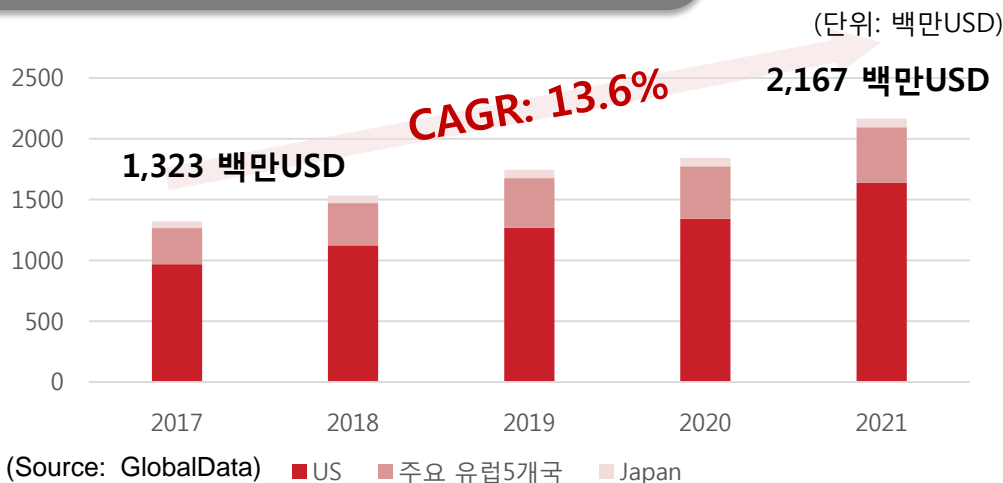
⇒ 동일 표적이나, 당사 물질은 **Inhalation** 약물로서 복용 편의성 측면에서 우위

- 높은 unmet medical needs: 기 출시 신약의 효과가 제한적이고, 질병 진행을 막지 못함
- Efficacy / Safety 측면 잠재적 우위에 근거 Best-in-Class 포지션 확보 예상

# OLX201: 특발성 폐섬유화 치료제 시장

제품

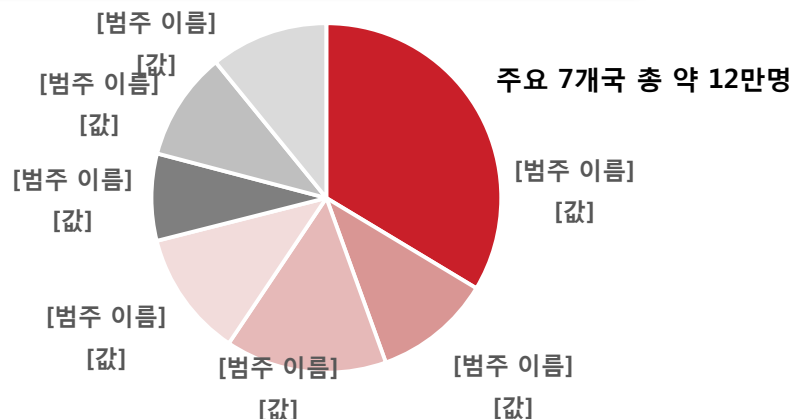
## 글로벌 특발성 폐섬유화 치료제 시장



기존 치료제의 낮은 효력과 부작용으로 인하여 2017년 기준 13억달러 수준

➡ 신규치료제 개발에 따라 시장규모 확대 예상

## 글로벌 특발성 폐섬유화 환자수 추정(2017년 기준 추정. 단위 명)



(Source: GlobalData)

# OLX201: 동물 효력 시험

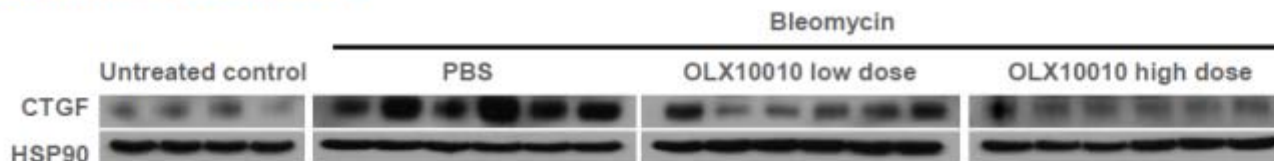
제품



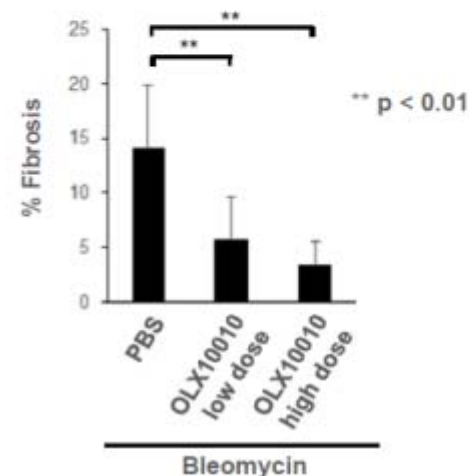
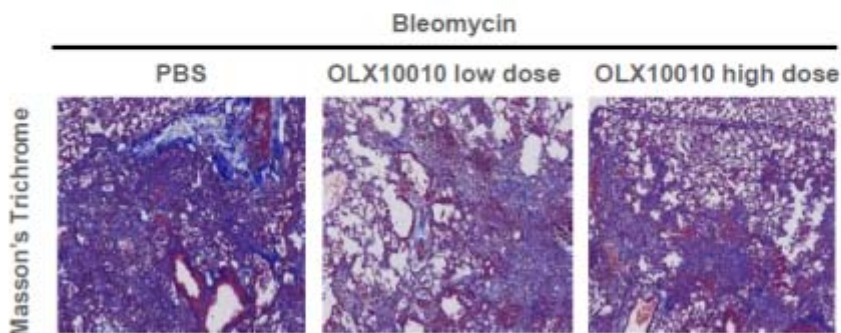
Inhalation(흡입) 효력

## In vivo protein knockdown

Study performed in A\*Star



## Fibrotic area (Immunohistology)



OLX201 특발성 폐섬유화 치료제 물질을 흡입제형으로 개발 가능성 확인

---

## 노인성 황반 변성 치료제

- OLX301A: 건성황반변성 및 습성황반변성 치료제
  - OLX301D: 망막하섬유화증 및 습성황반변성치료제
-

# OLX301A,D 황반변성 치료제 현황 및 Unmet Needs

제품



- 중심시력을 담당하는 황반부의 망막색소상피세포 (RPE) 사멸로 실명
- 60세 이상 노령층의 실명 유발 주요 원인이며, 후기 황반변성 환자의 경우 급격히 실명진행

습성황반변성	건성황반변성(GA)
• 후기 황반변성 환자 66% 비중	• 후기 황반변성 환자 34% 비중
• 중심황반에 신생혈관을 동반한 혈관 누출과 빠른 진행에 따른 실명	• 중심황반에 드루젠 축적에 따른 세포손상으로 실명

- 습성황반변성 진행시 망막하 섬유화증이 발생할 수 있으며, 이는 습성황반변성 환자의 주요 실명원인임
- GA의 15%가 습성황반변성을 발생시킬 수 있으며 습성황반변성 또한 치료제 부작용으로 GA를 발생

## • 기존 승인약물: 습성 황반변성 치료제

기존 약물	Class	약물의 특징
Lucentis	항체신약	• 대상질환: 습성황반변성 • 표적 단백질: VEGF- $\alpha$
Eylea	재조합단백질	• 투여경로: 안구내 주사(IVT)

### ▶ 한계:

- 항 VEGF 치료제는 약 30% 환자에게 효과없으며, 2년 내 45% 환자에서 섬유화 발생
- 망막하 섬유화증 및 건성황반변성 치료불가

## • 건성 황반변성(GA) 는 승인약물 부재

## • 개발중인 타사 후보물질

제약사	약물 개요	임상 단계
Genentech	• 약물명: Lampalizumab • 표적 단백질: Complement factor D • Class: 항체신약	임상3상 (실패)
Ophthotech	• 약물명: Zimura • 표적 단백질: Complement factor C5 • Class: 압타머	임상2상

**망막하섬유화증 및 건성황반변성은 치료제가 전무함.**

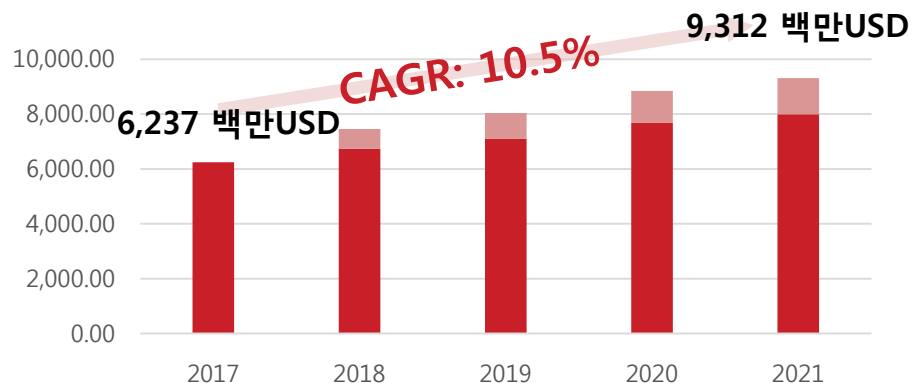
**➡ 습성황반변성 치료효과 동시확보로 First-in-class 가능**

# 황반변성 치료제 시장

제품

## 글로벌 황반변성 치료제 시장

(단위: 백만USD)



(Source: Globaldata)

■ 습성황반변성 ■ 건성황반변성(GA)

※ 2017년 발표된 치료제 실제 매출액:

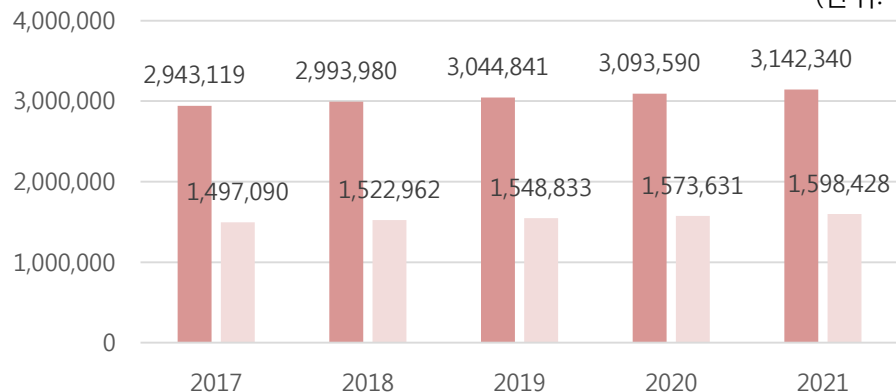
Eylea : 8,260 백만달러

Lucentis : 3,302백만달러

➡ 추정시장 규모를 약 85% 상회함

## 글로벌 황반변성 환자수 추정

(단위: 명)



(Source: Globaldata)

■ 습성황반변성 ■ 건성황반변성(GA)

노령인구 증가에 따라 황반변성  
치료제 시장규모는 시장예상대비  
초과하는 성장을 보이고 있으며,

건성황반변성(GA) 치료제는 경쟁  
약물의 연이은 개발실패에 따라  
시장성장 지연



## 황반변성 석학인 Virginia의대 Ambati 교수 (SAB)와 협력 개발



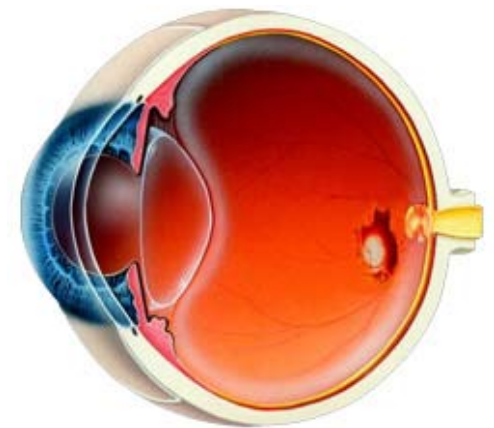
- 당사 물질 효력 검증
- OLX301A first-in-class 표적 발굴 및 제안
- 비임상 및 임상 전반에 걸친 개발 전략 조언

### OLX301A: 건성황반변성(GA) 및 습성황반변성 치료제

- 현재 치료제가 전무한 건성황반변성(GA) 치료제
- Ambati 교수 연구진이 발굴한 undruggable target 유전자를 표적: first-in-class 약물
- 복수의 GA 동물 모델에서 탁월한 효력 확인 완료
- CNV (습성황반변성) 동물 모델에서도 효력 확인 완료

### OLX301D: 망막하 섬유화증 및 습성황반변성 치료제

- 습성황반변성의 주요 실명 원인인 망막하 섬유화증 치료제
- 타 장기 효력 검증 및 안전성 데이터 확보된 OLX10010 물질로 개발
- 망막하 섬유화증 모델에서 효력 확인 완료
- CNV (습성황반변성) 동물 모델에서도 효력 확인 완료

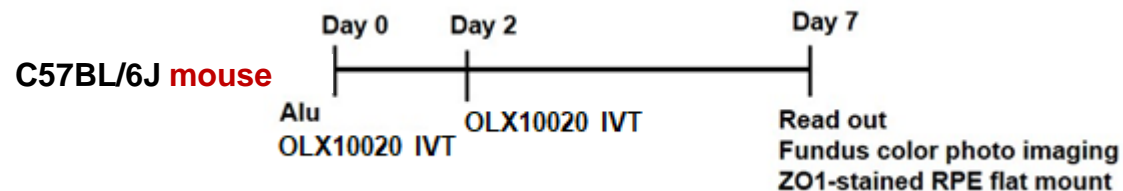




# OLX301A 건성황반변성 동물 효력 시험: Alu model

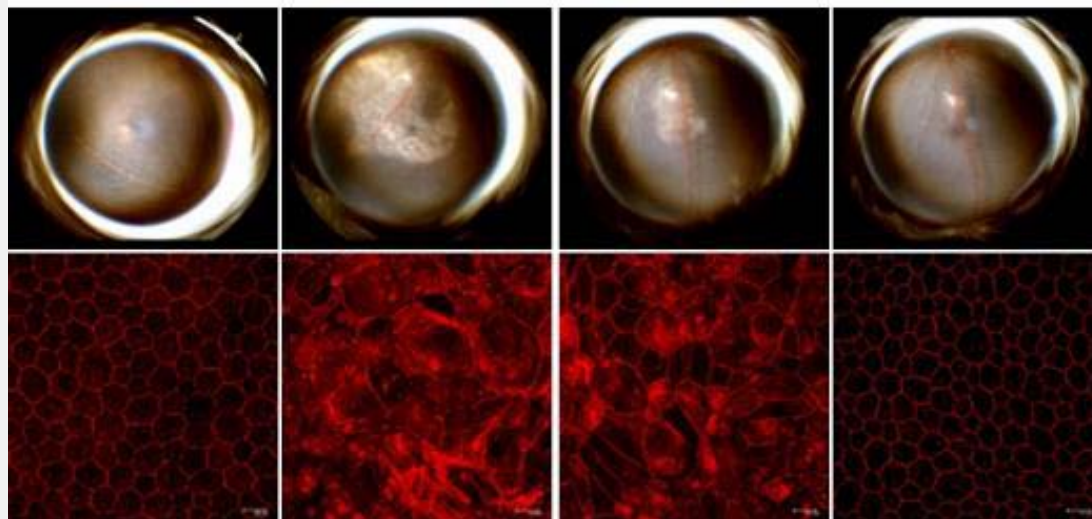
제품

Study performed in Prof. Ambati's laboratory



PBS SRI

GA model (Alu SRI)



PBS  
injection

OLX10020  
1 ug/eye

OLX10020  
2 ug/eye

- Restored RPE\* morphology  
- similar to normal RPE
- Alu SRI-induced GA model
- Intravitreal injection

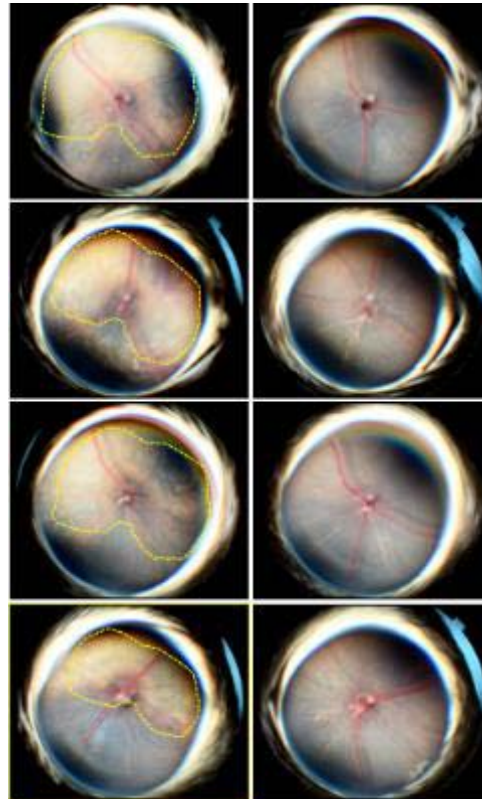
# OLX301A 건성황반변성 동물 효력 시험: NaIO<sub>3</sub> model

제품



Damaged  
RPE area

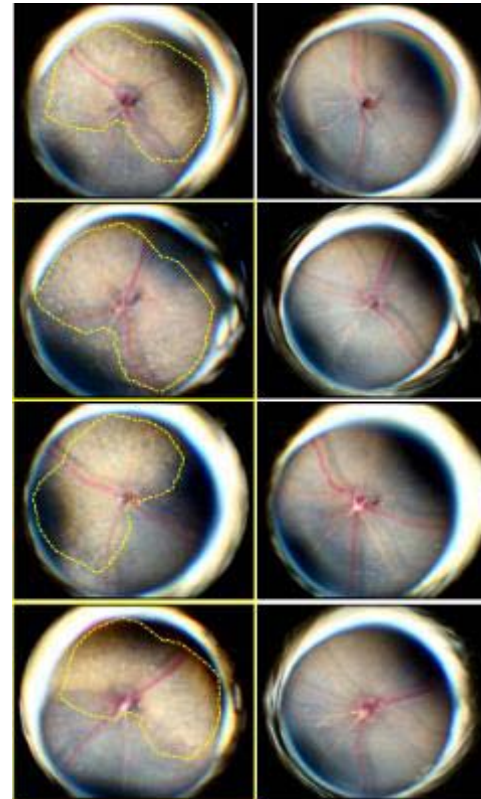
4 days fundus after NaIO<sub>3</sub> iv



NaIO<sub>3</sub> IV +  
SC-OLX10020 IVT

NaIO<sub>3</sub> IV +  
OLX10020 IVT

2 wks fundus after NaIO<sub>3</sub> iv



NaIO<sub>3</sub> IV +  
SC-OLX10020 IVT

NaIO<sub>3</sub> IV +  
OLX10020 IVT

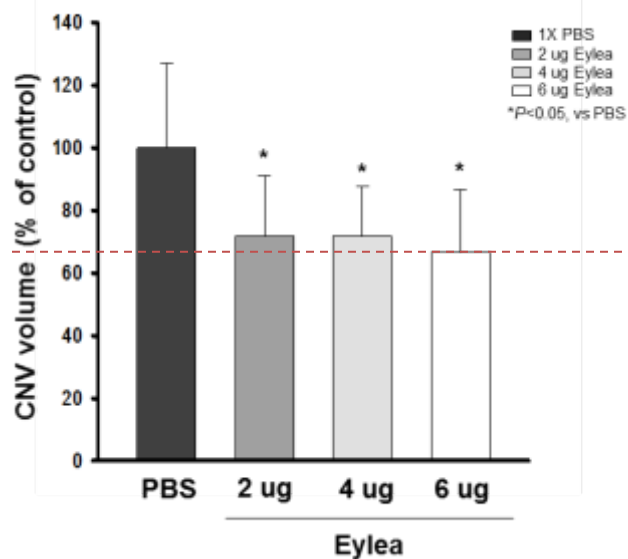
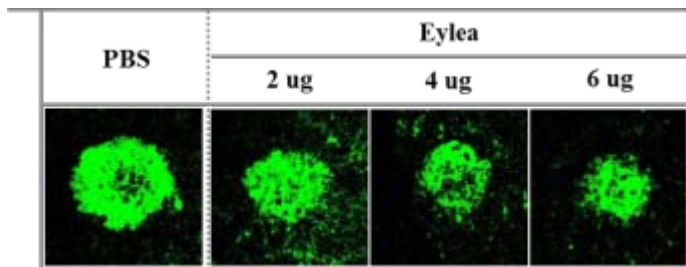
C57BL/6J mouse

복수의 건성황반변성(GA) 동물모델에서 탁월한 효력 확인

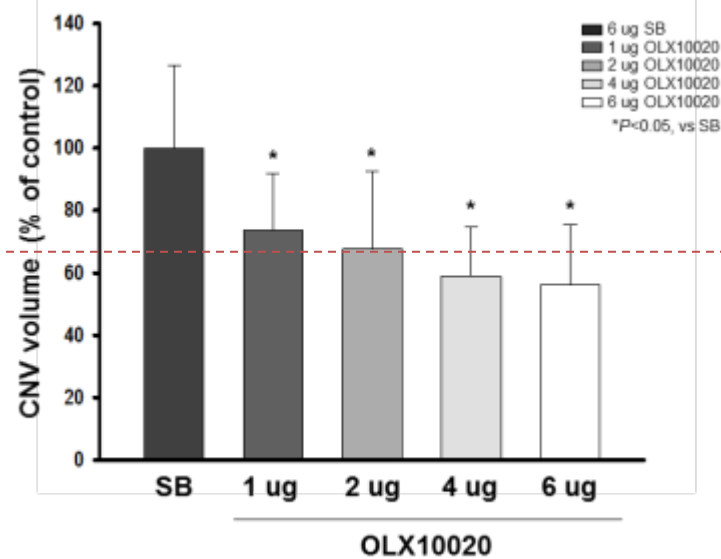
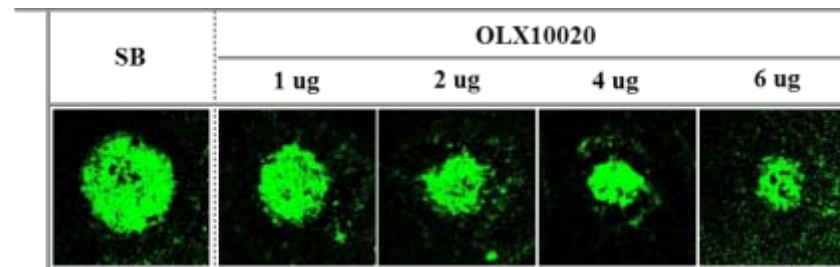
# OLX301A 습성황반변성 동물효력 비교시험(mouse)

제품

Combined results (three times trials)



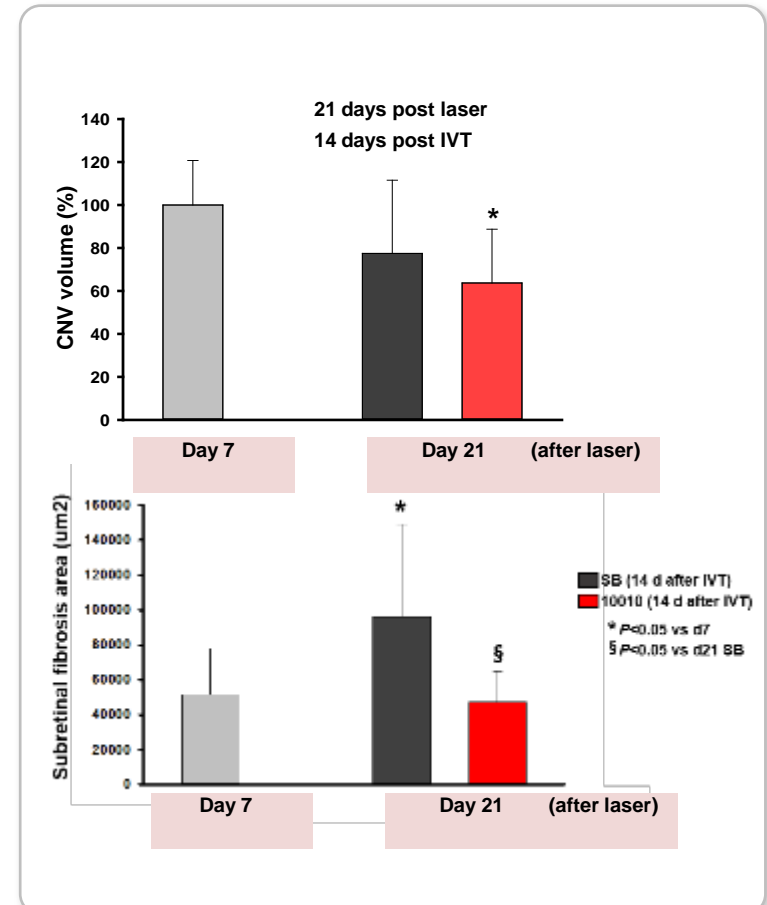
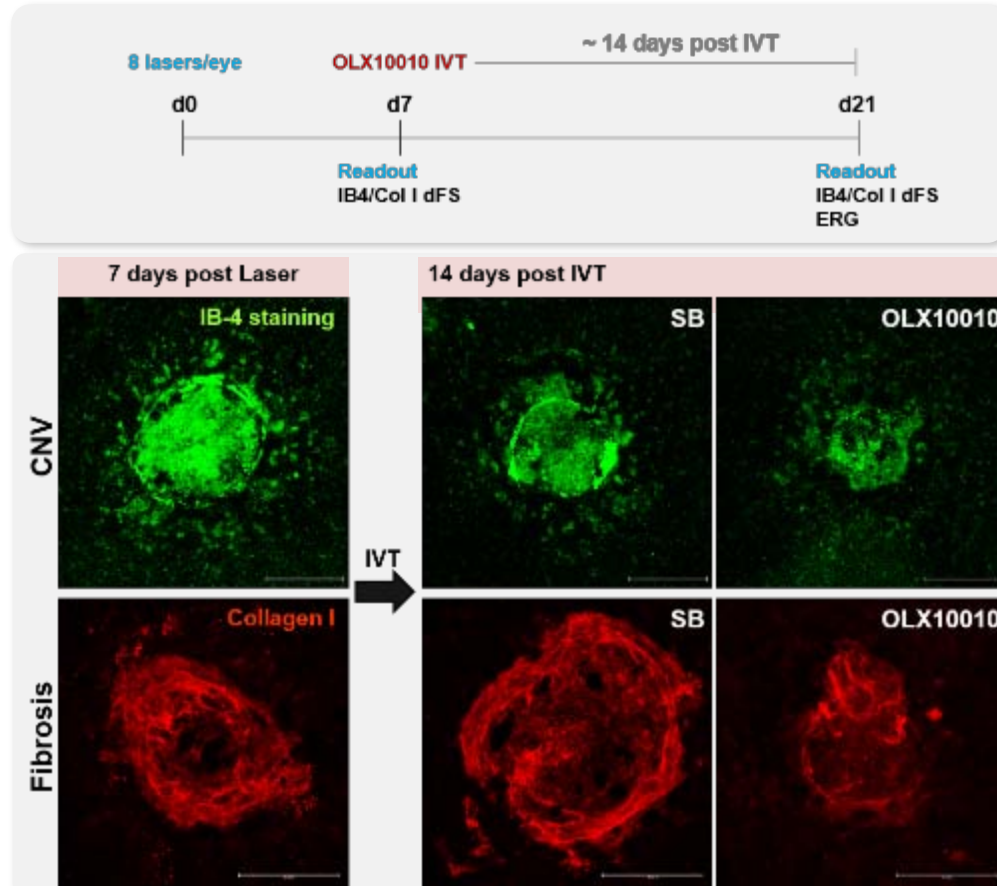
Combined results (three times trials)



습성황반변성 동물모델에서 기출시 신약 Eylea 대비 효력 확인

# OLX301D 망막하 섬유증 동물 모델 효력(mouse)

제품



망막하섬유증 동물 모델에서 우수한 효력 확인



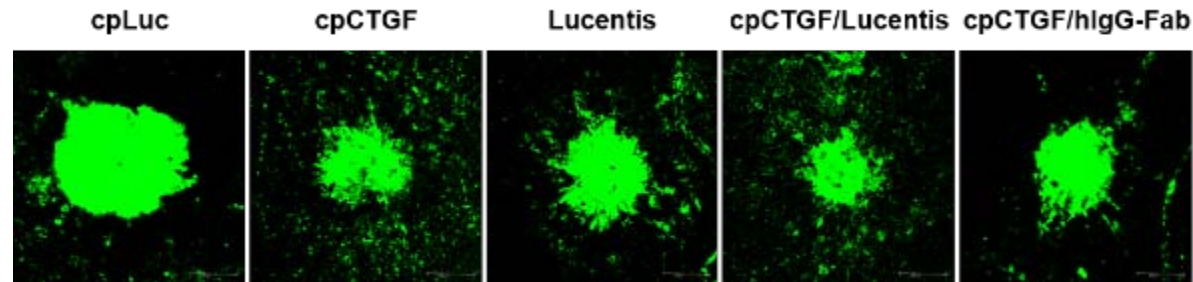
# OLX301D 습성황반변성 동물 모델 효력(mouse)

제품

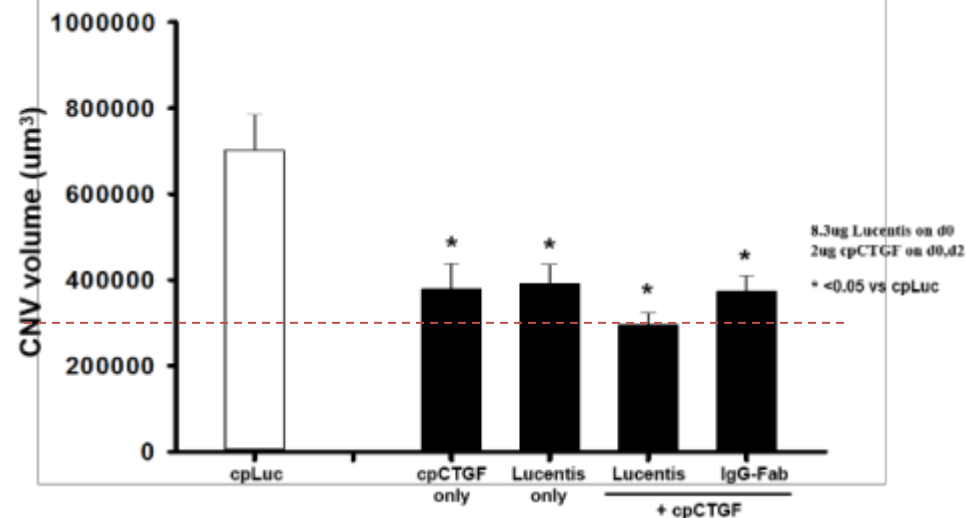
## Lucentis 와 당사 OLX301D 물질의 CNV 비교

Study performed in Prof. Ambati's laboratory

Humanized  
VEGFA mice



IB-4: CNV



단독 투여시 Lucentis 대비 동등한 효력 및 병용투여시 추가적 효력확인



▶ 차세대 신약 개발을  
선도할 검증된 제3세대  
신약개발 기술



▶ 국내 유일, 아시아 최초로  
자체 기술기반 임상진입

임상1상 성공종료로  
아시아 핵산치료제 개발 선도



▶ 다수의 파이프라인에 대한  
다양한 임상단계 / 지역별  
기술이전 전략

안정적이고 지속적인  
성장을 통한 글로벌  
신약기업으로 도약



# 감사합니다.



경기도 수원시 영통구 대학4로 17, 에이스광교타워1 1014호

T: (+82)31-779-8416 F: (+82)31-779-8499  
Suite 1014, Gwanggyo Ace Tower1 17 Daehak 4-ro, Yeongtong-gu  
Suwon-si, Gyeonggi-do, 16226, Republic of Korea

[www.olixpharma.com](http://www.olixpharma.com)