

# 2020년도 연구개발중심 우량 제약·바이오기업 IR(IPIR 2020)

[IR 기업별 소개자료]

2020. 10.



한국신약개발연구조합  
Korea Drug Reserch Association



한국신약개발연구조합 산하  
제약·바이오 사업개발연구회  
Korea Business Development Professional's Group

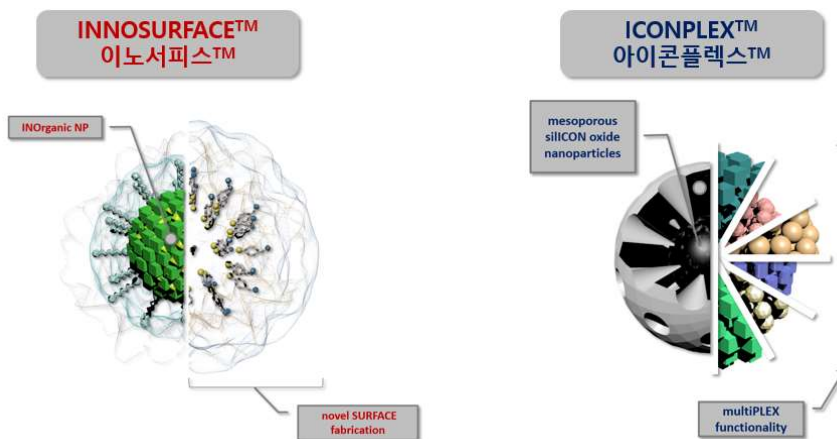
## ▶ 핵심사업

- 나노촉매의학 최신 지식을 기반으로 한 나노자임 및 나노입자를 이용한 진단/치료용 나노복합물질 개발

## ▶ 사업추진 전략

- (1) 서울대병원 뇌졸중 임상교수 연구진 : 미충족 수요를 바로 파악, 신규 물질을 개발할 수 있는 지식과 인프라 구축
- (2) 세계 최초로 나노자임 신약의 사업화 : Angewandte Chemie, Stroke, Nano Research, Stroke, Advance Healthcare Materials 등 세계적 화학 및 임상학술지에 논문 발표 및 특허를 통해 나노자임 개발
- (3) VC 투자 및 국책과제 선정을 통한 사업자금 확보
- (4) 2 종의 플랫폼, 2 종의 파이프라인, 16 종의 적응증 : 이노서피스™(Innosurface™)와 아이콘플렉스™(Iconplex™)라는 고유의 플랫폼 기술을 이용해 파이프라인 4종 개발, 적응증은 16 질환
- (5) CX213은 지주막하출혈에서 높은 사망률의 원인인 ROS-related sterile inflammation을 억제하기 위한 First-in-material, First-in-class 나노자임 신약으로 개발됨: 나노자임 전문 CDMO 확보, 세계적 CRO와 계약하여 2022년 US-FDA 임상 1상 IND filing 목표로 함. 임상 2상 승인 후 license-out 및 co-promotion 전략
- (6) 추가 3종 파이프라인은 개발 완료 : 2021까지 효능 시험 완료, 2022-2024년 순차적으로 IND 1상 승인 목표. 임상 2상 승인 후 license-out 및 co-promotion 전략
- (7) 플랫폼 기술을 이용한 지속적인 파이프라인 발굴

## ▶ 보유 플랫폼기술



### (1) 이노서피스™(Innosurface™)

- 나노자임을 임상에서 환자에게 적용하기 위해 세닉스바이오테크가 독자적으로 개발한 surface encapsulation technology. 나노자임 surface fabrication 기술로는 전세계에서 가장 발전된 형태임
- 본 플랫폼 기술로 내부의 나노자임을 다양한 무기물질로 바꾸어가며 파이프라인을 계속 개발할 수 있음
- 나노자임의 안전한 전달과 효능 극대화, 생체 및 구조적 안정성을 확보한 세닉스바이오테크만의 독창적인 플랫폼 기술임

(2) 아이콘플렉스™(Iconplex™)

- 담지 물질을 집중적으로 전달하기 위해 세닉스바이오테크가 MSN을 이용해 독자적으로 개발한 약물전달체 기술
- 세닉스바이오테크의 기술이 집약된 MSN의 구조 설계 및 polymer coating: 최상의 안전과 효율 달성
- 나노자임, 단백질, 항체, 유기화합물 등을 담지 물질을 바꾸어 가며 새로운 파이프라인 개발이 가능한 플랫폼 기술

---

▶ **보유 파이프라인**

(1) CX213: Nanozyme

- 이노서피스™플랫폼 기술로 지주막하출혈 등 11개의 질환 치료를 위해 개발한 나노자임 신약
- 세계 매년 60조 원 이상의 지주막하출혈 시장에서 5조원 이상의 사업성
- US-FDA에 orphan drug, fast track, breakthrough therapy, accelerated approval 모두 진행

(2) \*Nanocontrast: 새로운 조영제 진단시약

(3) \*Nanozyme complex: 나노자임 복합물질 신약

(4) \*Nanobomb: 집약적 전달체 나노복합물질

*\*자세한 사항은 ㈜세닉스바이오테크로 문의 바랍니다.*

---

▶ **투자포인트**

- (1) 나노자임의 세계 최초 사업화 : mAb, siRNA를 잇는 새로운 주류 신약의 태동, 전세계에서 최초로 사업화하며 향후 20년을 책임질 신약의 헤게모니 선점
- (2) 나노자임의 세계적 전문팀에 의한 도전 : 남의 기술로 사업하는 팀이 아니고 2011년부터 연구하며 세계적 명성을 얻은 전문 연구진에 의한 사업화
- (3) 확실한 플랫폼 기술, 무궁무진한 파이프라인 배출 : 이노서피스™(Innosurface™), 아이콘플렉스™(Iconplex™)
- (4) 암, 면역질환 등 흔한 질환이 아닌 진정한 clinical unmet needs를 알아보는 현직 임상 의사 연구진
- (5) 나노자임 성능 입증과 세계적 인정 : 논문, 특허, 세계적 수상 실적, 학술지의 호평
- (6) 임상시험 수준의 검증 : STAIR recommendations을 이용한 무작위 배정/맹검법에 의한 동물실험 진행
- (7) 신약개발 실력에 대한 객관적 평가: 2011년부터 나노자임에 관한 국책과제 20억원 수주, 창업 후 보건복지부 대형 신약과제 선정(16.25억 원)
- (8) 나노자임 전문 CDMO 확보, 세계 1위 CRO와 긴밀한 협력
- (9) 차별적인 전략과 미래 성장 가능성 : 서울대병원 연구중심병원의 확실한 지원, 모두 First material, First-in-class, 글로벌 시장을 위해 US-FDA 직접 공략

### ▶ 핵심사업

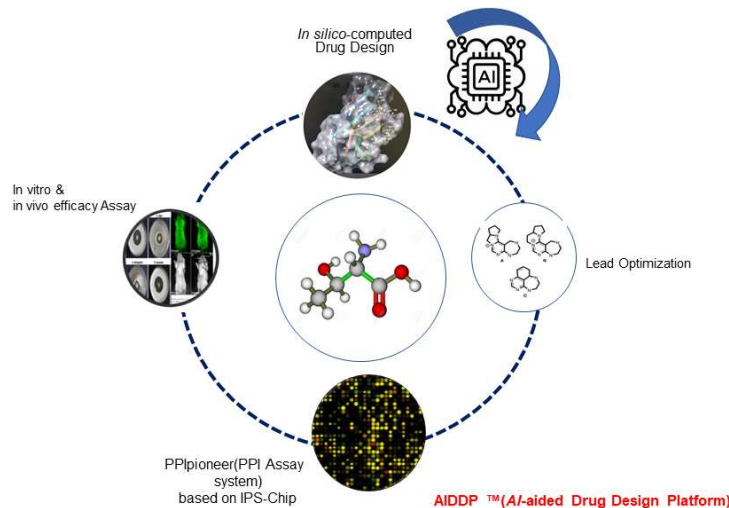
- 혁신적인 단백질 칩(IPS-Chip) 기술을 이용한 신약 연구개발 및 동반진단센서 개발

### ▶ 사업추진 전략

- (1) 신규 기전의 항암제 및 난치병 치료제를 개발하여 조기에 글로벌 라이선싱 아웃 전략
- (2) 해외 시장 진출을 위한 사업화 전략으로, 독일 프라운호퍼 연구소와 공동으로 폐암 동반진단센서 개발을 목적으로 진행중인 유로스타 국제프로젝트를 통한 글로벌 경쟁력 있는 폐암 동반진단센서 개발

### ▶ 보유 핵심기술

- IDDP : 통합적 신약 후보물질 탐색 플랫폼 기술;  
In silico Drug Design기술, IPS-Chip기반 PPIpioneer기술, Antibody 기반 FPPA 기술



### - IPS-Chip: PPI 타겟 신약 스크리닝에 최적화된 플랫폼기술. 독창적인 표면화학기술 보유

- 신약개발을 위한 혁신적인 플랫폼 기술인 단백질 칩 기술로, 다양한 질환의 신약 물질을 스크리닝하고, 진단센서 개발에 활용할 수 있음
- 발굴된 물질로 항암제 및 천식치료제 등의 신약 연구개발을 진행중이며 추후에 개발된 후보물질들을 글로벌 제약사에 라이선싱 아웃할 예정임

### ▶ 보유 파이프라인

- 비소세포성 폐암, 고형암, 파킨슨, 그리고 각종 염증성 질환에 이르는 다양한 질병을 치료하기 위한 PPI타겟 후보물질 파이프라인들을 지속적으로 도출할 수 있는 IPS-Chip기반 신약탐색기술을 구축함

### ▶ 투자포인트

모든 신약파이프라인 및 동반진단 시스템은 당사가 보유하고 있는 IPS-Chip 플랫폼 기술을 응용하여 도출된 성과물임

- (1) 국제공동기술사업인 유로스타과제 폐암 동반진단 나노 바이오센서 개발중임. 이 기술은 2021년에 상업화 예정임
- (2) 면역염증치료제 IPS-07004는 다양한 염증질환에 적용 가능하며, 그중 천식치료제, 아토피/IBD 치료제를 개발하여 국내와 미국 특허출원과 등록이 완료되었고, 2021년 상반기에 임상 2a IND 추진
- (3) 폐암치료제 IPS-06008은 2020년 8월 국내 임상 2상 IND 승인 완료되었고, 현재 임상 진행 중임

### ▶ 핵심사업

- 선도형 통합신약개발 플랫폼(ARIDD™)를 이용한 퇴행성 뇌질환, 감염성 질환, 천연물 의약품 분야의 다중기작약물 (Polypharmacological Drug) 개발

### ▶ 사업추진 전략

#### [AR1001]

- 현재 미국에서 알츠하이머치료제 임상 2상 진행 중에 있으며, 임상 2상 Top Line 결과가 나오는 2021년 초 기술이전 또는 자체 개발을 위한 계획 수립 중
- AR1001 외에도 퇴행성뇌질환치료제 개발을 위한 후속 후보물질들을 추가로 개발중에 있음

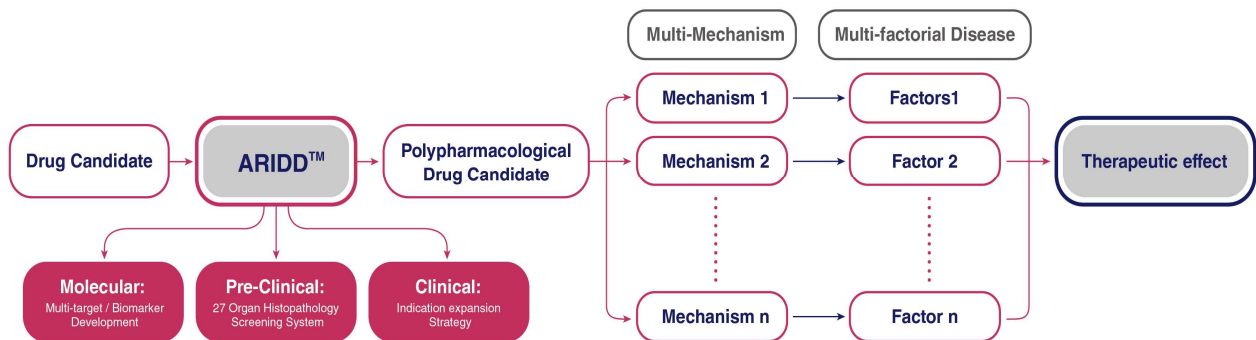
#### [AR1003]

- 현재 미국에서 진행하고 있는 완제의약품 제도가 2020년 말 완료 예정이며, 2021년 말 임상1상 완료 그리고 폐혈증 환자를 대상으로 한 임상2상을 2023년 상반기 완료를 목표로 진행 중
- Covid 19 중증바이러스 감염증: 동물모델을 이용한 효능실험 진행 중이며 환자를 이용한 임상 2상이 2022년 말 최 진행할 계획으로 추진 중

#### [AR1008]

- 천연물 의약품으로 국내에서 2021년 초에 임상2상을 시작하여 2022년 말에 임상 2상을 완료하는 것을 목표로 계획 추진 중

### ▶ 보유 핵심기술



<ARIDD™: Advanced, Rapid and Integrated Drug Development>

- Polypharmacological Drug (다중기작 약물)의 개발을 위해 후보물질의 선정 및 평가부터 상업화까지 통합적으로 고려하고 일원화한 통합신약개발 시스템

▶ 보유 파이프라인

후보물질	Indication	Lead	Tox	Pre-clinical	Phase 1	Phase 2	Phase 3
<b>AR1001</b> 	알츠하이머성 치매		V				
	혈관성 치매		V				
	뇌졸중		V				
	파킨슨 병		V				
	Back-Up Program	V					
<b>AR1003</b> 	패혈증		V				
	중증 코로나 바이러스 감염증 치료제		V				
	항생제 내성치료제		V				
	Back-Up Program	V					
<b>AR1008</b> 	비만		V				
	류마티스 관절염		V				
	Back-Up Program	V					

▶ 투자포인트

- (1) 국내에서 글로벌 알츠하이머치료제 개발이 가장 앞서있으며, 올 하반기 임상 2상 종료에 따른 임상 결과 기대
- (2) 선도형 통합신약개발 플랫폼(ARIDD™)를 이용한 세계최초 다중기작약물 개발
- (3) AI를 이용한 선도형 통합신약개발 플랫폼(ARIDD™) 강화로 신약 개발 효율성 극대화

### ▶ 핵심사업

- 신약 API CDMO 비즈니스 및 자체신약 개발

### ▶ 사업추진 전략

- 1) Small molecule 신약 API CDMO에서 차세대 치료제 분야로 블루오션인 Oligonucleotide 신약 API CDMO로 사업 영역을 확장하였음. Oligonucleotide 생산량 기준 글로벌 2~3위의 경쟁력
- 2) 글로벌 임상1상 단계인 자체개발 신약 2개를 포함하여 총 8개의 신약 파이프라인을 보유 중
- 3) Small molecule 및 Oligonucleotide 포함 40여 개의 신약 API CDMO 파이프라인을 구축 중
- 4) 미국 및 유럽 등 다수의 글로벌제약사 및 글로벌 바이오텍 회사들에 원료를 공급 중

### ▶ 보유 핵심기술

- 1) 뉴클레오시드 합성 기술(Nucleoside Synthesis) : '87년부터 GSK에 세계 최초의 에이즈치료제의 원료인 지도부딘 및 중간체인 타이미딘을 공급, '03년 효소기술을 이용한 '퓨린계 데옥시뉴클레오사이드'로 장영실상 수상, '14년 ~ '18년 미국의 글로벌제약사 GS사에 C형간염치료제 주원료를 공급
- 2) 생물전환 기술(Biotransformation / Bioconversion) : 재조합 생산균주 개발, 외래 유전자의 발현 및 발현 벡터 개발 등의 연구 진행 및 다양한 효소를 보유 중
- 3) 올리고 합성 기술(Oligo chemistry) : 2개씩 합성시켜 수율을 높일 수 있는 Dimer Amidite 특허(한국, 미국, 유럽 등) 기술 보유

### ▶ 보유 파이프라인

구분	협력기관	개발단계	작용기전 등	특징
STP0404 (에이즈치료제)	미국 Emory대학 및 콜로라도 주립대학	유럽 임상1상 IMPD신청	HIV 인테그라제 효소의 비축매 활성부위를 타겟으로 하여 기존 치료제의 내성을 극복할 수 있는 혁신 신약 에이즈를 완치할 수 있는 신규 메카니즘(allosteric integrase inhibitor, ALLINI) 규명 중으로 '18년 5월 미국국립보건원(NIH)의 연구지원 과제로 선정됨	First-in-class small molecule
STP1002 (항암제)	아산병원	미국 임상1상	텐키라제 효소 저해제로 Kras/Nras 돌연변이 유전자형 환자와 어비투스 내성환자를 치료할 수 있는 세계 최초의 경구용 대장암치료제 대장암 외 비소세포성폐암, 유방암, 간암으로 적응증을 확장하여 임상1상 진행 중	First-in-class small molecule
NASH 치료제	한국화학연구원	후보물질 발굴	Sirt6 Agonist 작용기전으로는 세계 최초로 개발하는 비알콜성지방간염 치료제	First-in-class small molecule
항바이러스 치료제	한국화학연구원	후보물질 발굴	메르스, 인플루엔자, 수족구병, 소아마비 등의 항바이러스치료제 개발이 가능한 300여 종의 물질 라이브러리를 보유 중	First-in-class small molecule

### ▶ 투자포인트

- 1) Oligonucleotide 생산량 기준 글로벌 2위, 만성질환 분야 올리고신약 개발로 원료 수요량 급증
- 2) CDMO 사업을 통해 외부 자금조달 없이 Cash 확보 가능, 안정적인 신약 개발 가능
- 3) Virtual-R&D 전략으로 외부 자원과 네트워크를 최대한 활용한 First-in-class의 혁신신약 개발
- 4) CRO와 CDMO를 연결하여 신약개발 전 과정에서 차별화된 One-stop-service 제공 가능