사업계획서

siRNA 나노 항암제

2023. 4.

엘바이오㈜ ELBio

대표이사 정종훈, Ph.D.
서울대학교 명예 교수
바이오시스템소재학부

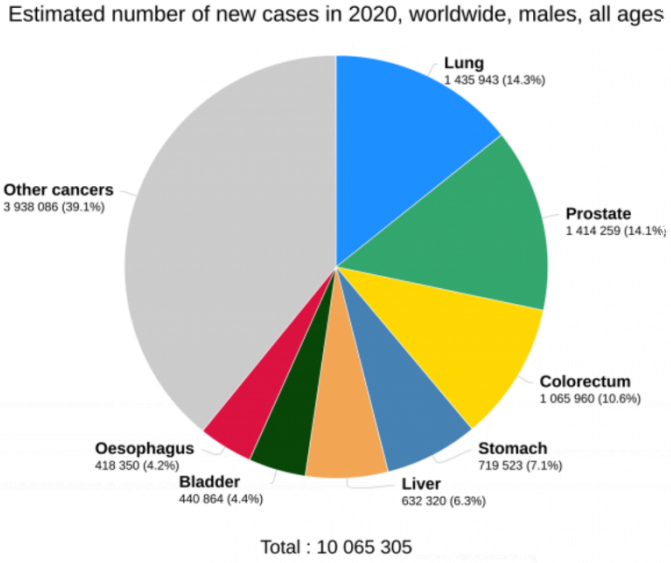
http://www.el-bio.com

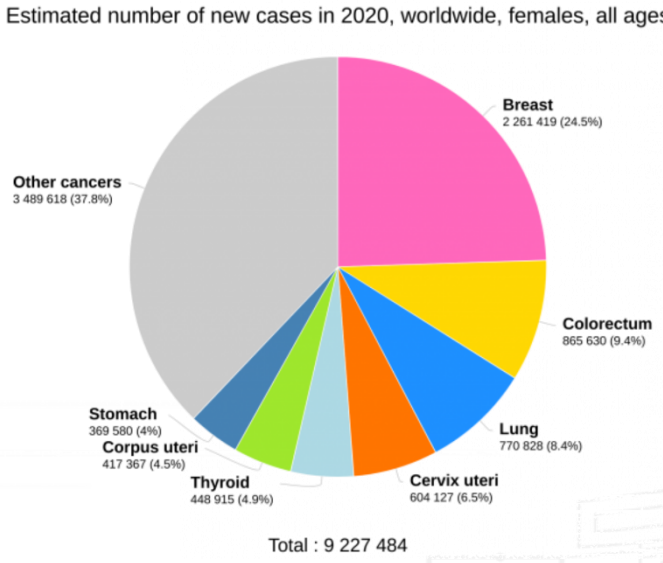
CEO/CTO Jong Hoon Chung, Ph.D, Prof. SNU
Vice-CTO Pankaj Garg, Ph.D, Prof. SNU
E-mail: jchung@snu.ac.kr

CONFIDENTIAL AND PROPRIETARY
2021 Copyright by ELBIO Inc. All Rights Reserved

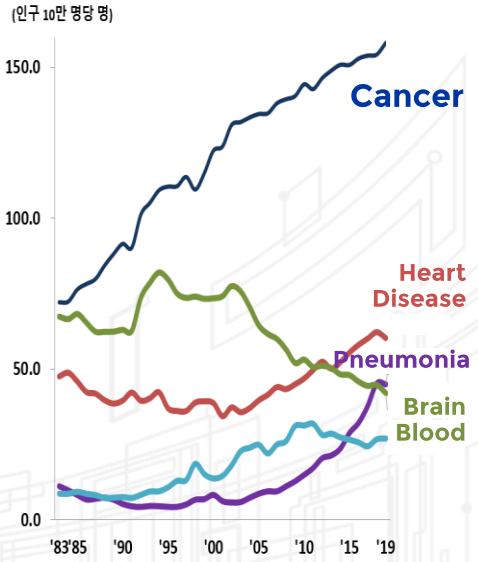
◆ 1. 항암제 개발 필요성

- 전세계적으로 5명중 1명이 생애중 암에 걸림 (IARC,2020)
- 2020년, 1930만명 암 발생 및 1000만명 사망
- 국내 사망 1위: 암 . 사망률: 158 명/10 만명
- 항암제의 낮은 치료율/부작용으로 새로운 표적 나노 항암제 필요





| Source | Globocan 2020



| Source | Statistics Korea

◆ 2. 항암제 현황 : 뇌종양 치료제 테모달은 생명연장 2개월뿐

➢ 현 항암제: 면역항암제 대세, 치료율이 높은 새 siRNA 항암제 필요

제품	회사	유형	비고
Opdivo*	BMS/ONO	PD-1	흑색종, 폐암, 신장암, 약10조원 매출(2018)
Revlimid	Celgene	Immuno D.	다발성 골수종 약10조원 매출(2018)
Keytruda*	MSD(Merck)	PD-1	흑색종, 폐암 약7.5조원매출(2018)
Temodal	MSD	Chemotherapy	뇌암, 2개월 생명연장, 혈소판/중성구 부작용
Bavencio	Pfizer/Merck	PD-L1	폐암 (비세포)
Avastin	Roche	Immuno D.	대장암, 뇌암 등 신생혈관 억제, 생명연장
Imfinzi*	Astrazeneca	PD-L1	폐암 (비세포)
Tecentriq*	Roche	PD-L1	폐암, 방광암, 유방암
Kimriah	Novartis	유전자항암제	백혈병, CAR-T세포치료제,키메라항원수용체
Xylisiran 1	엘바이오㈜	siRNA항암제	뇌암, 폐암, 간암 등 적용, siRNA 합성의약품

* 한국에서 허가됨

** PD-1 Drugs: T 세포가 정상세포에도 부작용 야기함

*** 테모달(DNA손상) 및 아바스틴(Avastin: VEGF 억제)

◆ 3. 항암제의 문제점

❖ 기존 항암제의 문제 -> siRNA 나노항암제로 해결

표적 siRNA 나노항암제

- 기존에는 적정 유전자전달체가 없어 siRNA 치료제가 개발 안됨
- 세계 최초의 siRNA 나노항암제
- 뇌혈관장벽/종양혈관장벽 통과
- 벡터 독성/부작용 거의 없음
- 유전자 전달율 높음/세포질 반응
- 암줄기세포 사멸 → 암 완치 가능

기존 항암제의 문제

- 면역항암제는 사람의 DNA에 따라 치료율 다름
- 항암제 치료율이 낮음
- 뇌종양 치료제는 없음
- 정상세포에 부작용이 많음
- 유전자치료제는 핵에서 반응
- 테모달 항암제: 생명연장 2개월

◆ 4. 목표: 암 정복

자일리톨 기반의 폴리머 벡터와 유전자를 이용한 표적 siRNA 나노항암제 개발

➢ 면역항암제의 치료율 약30%, 부작용 때문에 혁신적인 siRNA 항암제 필요

1. 고 삼투압성 자일리톨 기반 비바이러스성 폴리머 벡터 개발

2. 벡터와 유전자를 이용한 암세포 치료용 표적 나노 항암제 개발

3. 벡터와 유전자를 이용한 암줄기세포 치료용 표적 나노 항암제 개발

◆ 5. 비전 및 전략

비전

- **siRNA 항암제 세계 최초 개발**: 모든 암에 적용 가능함
- 세계 시장 점유율 목표 : 5% 이상 (12조원/년)
- 암 완치 가능 : 암 줄기세포도 사멸 시킴

전략

1. 투자 유치
2. GLP에서 안전성 시험
3. 동물실험
4. 임상시험계획서 제출 및 승인 KFDA, FDA

◆ 6. 제품: 유전자 벡터(전달체) 및 나노 항암제

1. 자일리톨 기반 폴리머 벡터: PdXYP, VB-PdXYP (개발 완료)

- Xylifectamine(PdXYP) : 고삼투성, 전달효율 높은 벡터
- VB-Xylifectamine(VB-PdXYP) 표적 벡터
- Nanochain : 나노입자들을 연결한 벡터

2. 암세포 치료용 siRNA 나노항암제 : VB-PdXYP / siRNA

: 비임상 진행중, 국내/미국 특허 등록

3. 암줄기세포용 siRNA 나노항암제: VB-PdXYP + T7 / siRNA1

: 국내특허 등록 / 미국, 중국, 일본 특허출원 완료

4. 나노체인 형태의 siRNA 나노항암제

: 국내 / PCT 국제특허 출원 완료

5. CRISPR 나노항암제

참고: + : 화학적 결합, / : 혼합

◆ 7. siRNA 나노항암제 기전

❖ 기전 : 1. 암세포 타겟팅, 암세포의 DNA 합성 억제로 세포사멸
2. 암줄기세포 타겟팅, 암줄기세포의 자기재생 억제로 세포사멸

1. 암세포용 표적 나노 항암제

비타민Bx 기반의 S 효소는
티민 염기 생성에 필수적임

암세포의 DNA 합성 억제

Vector + Vit.Bx / siRNA

암세포 표적

2. 암줄기세포(CSC)용 나노 항암제

T7 펩타이드 → 암줄기세포 표적

Vector + Vit.Bx + T7 / siRNA1

siRNA1→암줄기세포 자기재생 억제로 사멸

투여경로 직접 주사 › 정맥 주사 흡입 › 경구

* 참고; + : 화학적 결합, / : 혼합을 뜻함

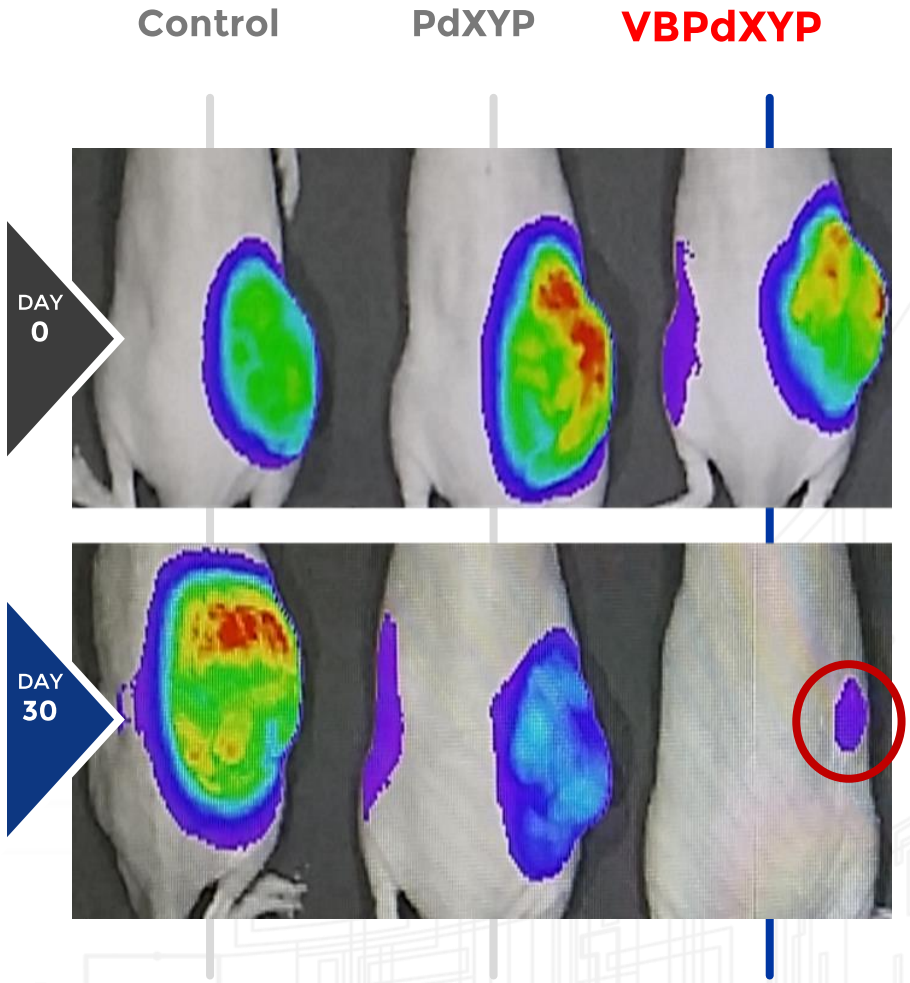
8. siRNA 나노항암제 특징 및 폐암 치료효과

ELBio

- 폴리머 벡터와 유전자(siRNA)를 이용해 표적 나노항암제 개발.

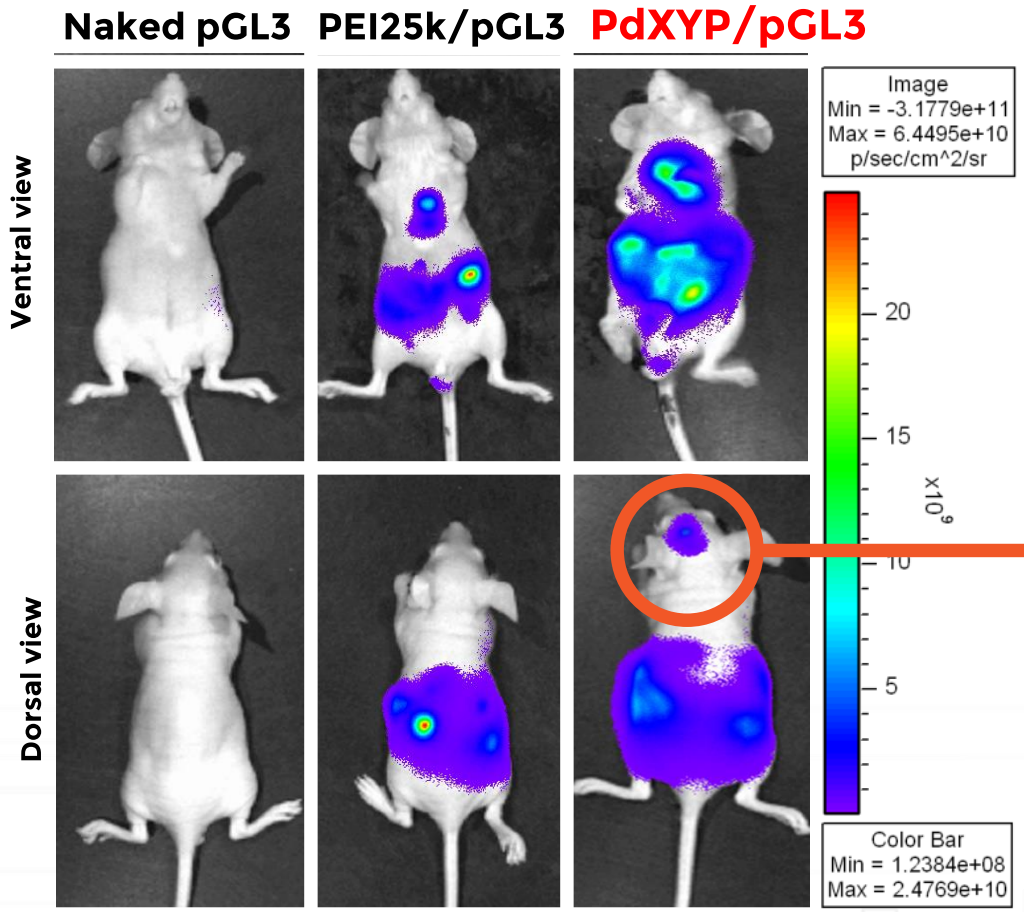
- 나노항암제는 자일리톨 기반 합성의약품, 높은 유전자 전달 효율과 독성 거의 없음.
- 나노항암제는 **암세포 뿐만 아니라 암줄기세포도 사멸시켜 암 완치 가능.**

- 우측 처럼 나노항암제로 30일 치료후 **사람폐암세포 종양크기를 약80% 감소시킴.**



◆ 9. siRNA 나노 항암제의 뇌혈관장벽 통과

➢ 벡터의 동물 흡수 분포 : 뇌혈관장벽 (BBB) 통과함



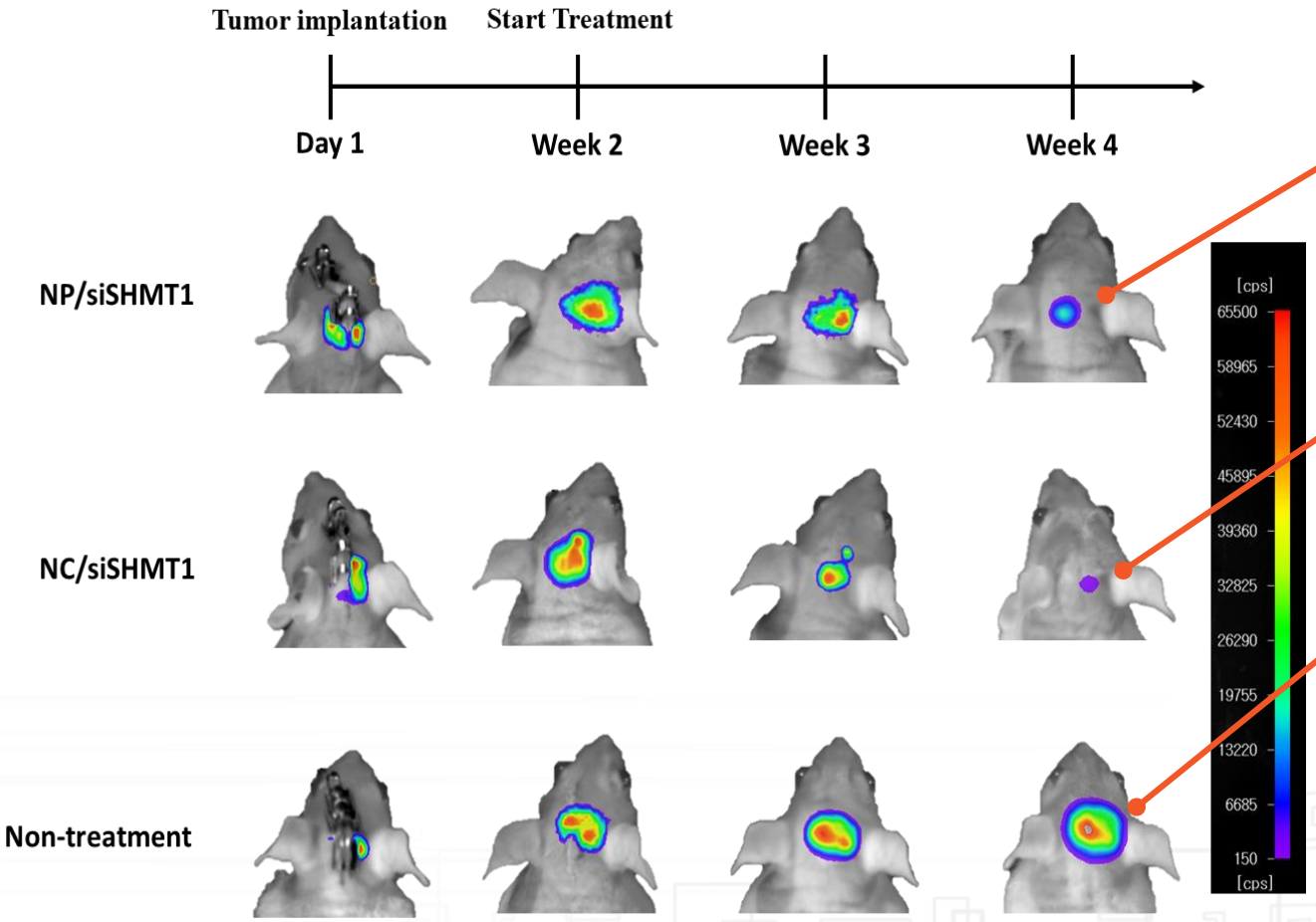
정맥주사 5일 후에 루시퍼라제 발현을 보여주는 in vivo 바이오 이미징

PdXYP는 뇌혈관장벽을 (Blood Brain Barrier) 통과함

◆ 10. siRNA 나노항암제 뇌종양 치료효과 (정맥주사)

➢ **siRNA 나노 항암제로 뇌종양 치료 효과가 매우 높음**

- Published in "Biomaterials" (2022, IF: 15) -



나노입자 항암제 치료 효과

나노체인 항암제 치료 효과

대조군

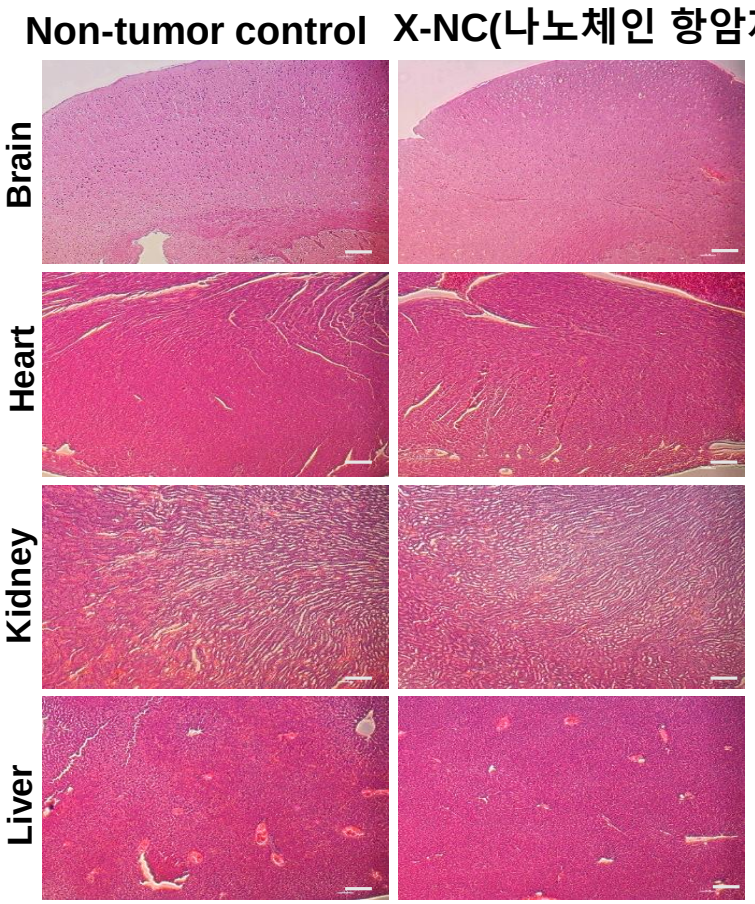
2주치료후 종양크기 65% 감소시킴 (n=4)

종양크기 87% 감소시킴 (n=4)

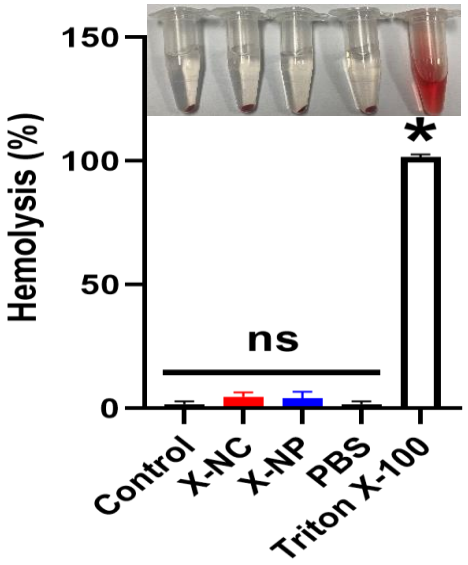
* 정맥주사로 치료

◆ 11. siRNA 나노항암제의 조직 비독성

➢ 마우스 주요 조직에서 비독성을 보임(정상)



H&E staining (조직 염색에서 정상)



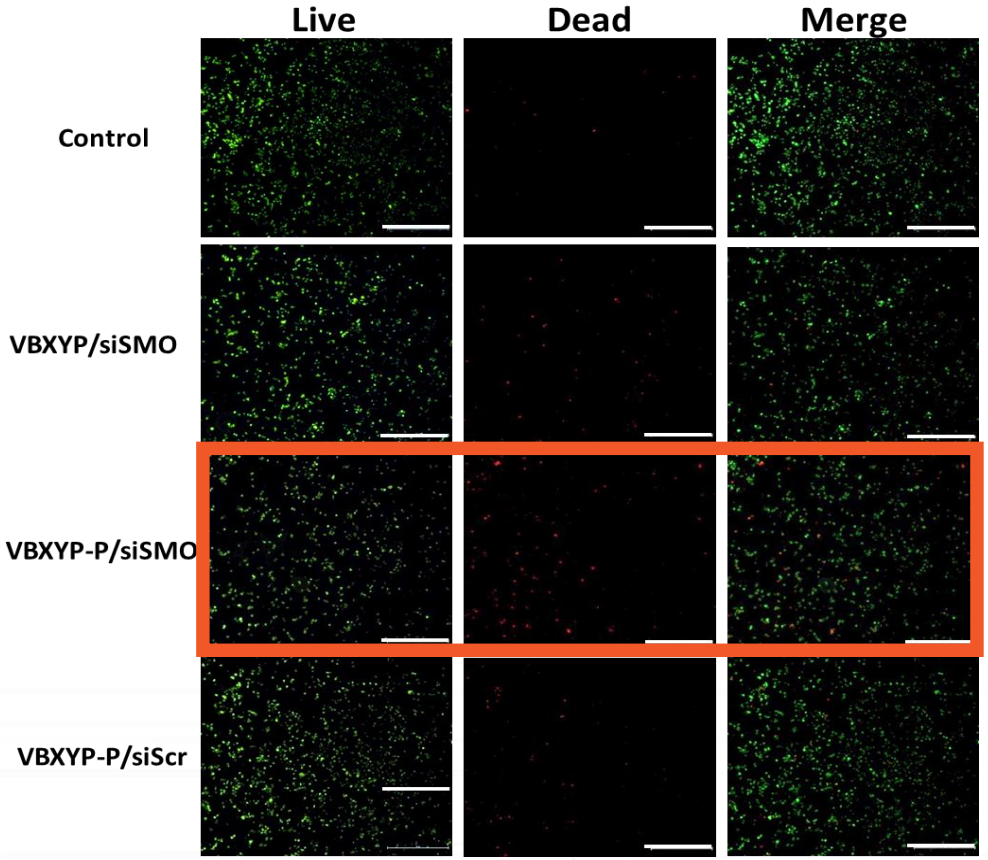
Hemolytic effect
(용혈 부작용 없음)

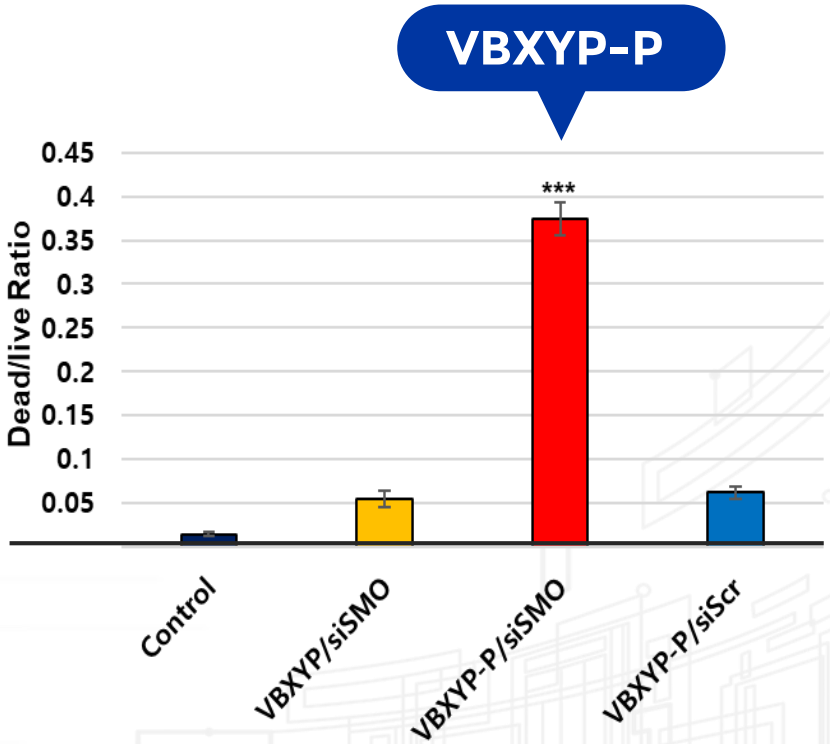
J.H. Chung et. al. Biomaterials, 2022

◆ 12. 암줄기세포(CSC) 치료용 표적 siRNA 나노항암제

ELBio

➢ VBXYP-P(VB-PdXYP-P)와 siRNA1를 이용해 암 줄기세포를 사멸시킴





◆ 14. 세계 최초로 siRNA 항암제 개발중 (벡터 개발 완료)

ELBio

❖ FDA 승인된 siRNA 치료제 4개 제품 및 개발중인 siRNA 치료제들

제품	회사	유형	비고
1. Patisiran	Alnylam Pharm.	아밀로이드증 siRNA Therapy	Aamyloidosis 단백질 억제, 임상시험중 56% 개선. FDA 승인됨(2018)
2. Givosiran	Alnylam	siRNA간 치료	급성 간 포르피린증(AHP) 치료, FDA 승인
3. Lumasiran	Alnylam	siRNA옥살산	HAO1타깃, 과옥실산뇨증치료제, FDA 승인
4. Inclisiran	Novartis	siRNA 치료제	고 콜레스테롤 치료, Alnylam이 기술이전, FDA 승인
SRN-008/ 009	바이오니아	siRNA 치료제 SAMiRNA	써나젠 siRNA 중추신경계 치료제, 1.36% BBB 통과, 비 임상중.
CNS질환치료제, OLX702A	OLIX 올릭스	GalNAc-asiRNA	중추신경계 질환 표적, OLX101: 비대흉터 치료 OLX702A: 지방간염, 한소제약 5300억원 기술이전
LEM-S401	레모넥스	siRNA 치료제	비대흉터 치료제 임상1상 IND 승인
Atu027176	Silence Therapeutics & Calando P.	Protein kinase N3(PKN3) siRNA	전립선암 PKN3표적, siRNA로 림프절 전이의 감소, 임상. 중국 한소제약과 200억원 제휴 (2020). 아스트라제네카와 41억달러 파트너쉽 제휴.
	엘바이오㈜	siRNA 항암제	siRNA 뇌종양 치료제 개발중, 모든 암 적용 가능

* Alnylam P. 사가 개발중인 siRNA 치료제들 :
Fitusiran(혈우병), Zilebesiran(고혈압), ALN-XDH(통풍), ALN-APP(알츠하이머), ALN-HSD(지방간염)

◆ 15. 항암제의 차별성/경쟁력–표적, BBB/BTB 통과, 높은 전달효율, 낮은 독성

❖ siRNA 나노항암제의 차별성 및 경쟁력

면역항암제

약30% 치료율
많은 부작용

VS

위험

바이러스 벡터

표적형 폴리머 벡터 / siRNA

1. 높은 삼투압성: 종양혈관벽 및 뇌혈관장벽 통과
2. 낮은 독성, 높은 암세포 표적
3. 높은 형질전달 효율: 약 60~80% 이상
4. 암세포 및 암줄기세포 사멸 시킴
5. 기전: DNA 합성억제
6. 모든 암에 적용 가능: 뇌, 폐, 췌장, 간, 위 암 등

siRNA 항암제를 모든 암에 적용/완치 가능

◆ 16. 항암제 경쟁사 비교 분석

항목	엘바이오(주)	MSD	Roche	Lilly
뇌종양 항암제	(자일리시란1)	테모달	아바스틴	알림타(페메트렉시드)
항암제 유형	siRNA 치료제	화학제	항체치료제	티민 대사 화학제
기 전	DNA 합성 억제	DNA 손상	VEGF 저해	DNA(TS/DHFR)억제
암세포 표적	O	X	▲	▲
적 용	모든 암	▲	▲	▲
뇌종양 치료	종양 치료	생명연장	생명연장	X
뇌혈관장벽 통과	O	▲	▲	-
BTB 통과	O	▲	▲	-
생분해성	1 주일	-	-	-
유전자 전달효율	높음	-	-	-
부작용	거의 없음	혈소판, 호중구 감소	있음	있음: 혈소판 감소
혈청 안정성	높음	-	-	-
암줄기세포 치료	O	X	X	X

◆ 17. 엘바이오㈜ 성과

'18. 1	미국특허 등록: VBP 유전자 벡터 및 항암제로의 적용
'18.10	미국특허 등록: 유전자 전달 폴리머 벡터 및 항암제로의 적용
'19. 4	엘바이오㈜ 서울대 실험실 예비벤처기업으로 창업
'19. 9	중소벤처기업부 초기창업패키지 사업에 선정됨 (평가: 최우수)
'19.11	기술보증기금의 유테크밸리사업에 선정됨(XX억원 100% 보증)
'19.11	한국기술보증기금 벤처기업 선정 / 기업부설연구소 설립
'20.1~	한국 A제약㈜에서 유전자전달체 GMP 제조
'21.5	정종훈 CEO, 학술진흥 기여로 대통령 표창장 수상
'21.6/9	중소벤처기업부 디딤돌과제 수행/ KIT 어깨동무기업 선정
'22.10	관악S밸리 데모데이(Tour Vol.4), 관악구청 최우수상 수상

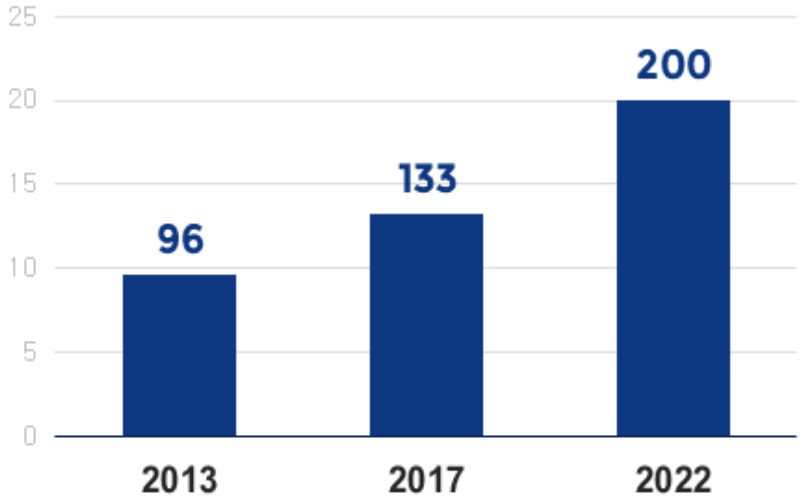
◆ 18. 항암제 시장

❖ 전세계 항암제 시장

- 항암제 세계 시장 규모 : 약238조원(USD 190 billion, 2022) (GBI Research)
- 면역항암제 시장 규모: 약 94조원(USD 76 billion , 2022) (GBI Research)
- 유전자 항암제 시장 규모: 약 12조원(USD 10 billion, 2020)
- siRNA 치료제 시장 규모: 약 20조원(2024)

목표 5% 12조원/년

세계 항암제 시장 규모
(Data : IQVIA, Unit : One billion Dollar)



항암제 및 면역항암제 시장 규모
(Data: GBI Research, Unit: One billion Dollar)

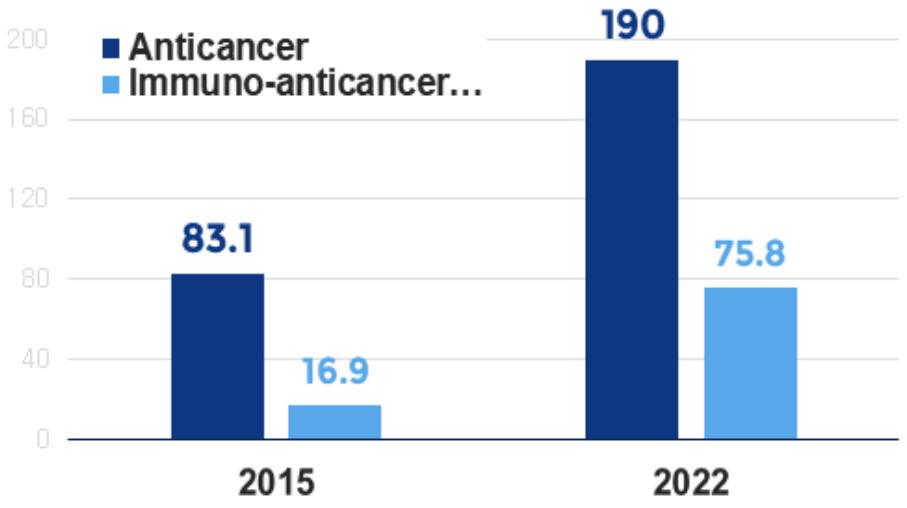


그림 항암제, 면역항암제, 유전자항암제 및 siRNA 치료제의 시장 규모

◆ 19. 사업 계획

❖ siRNA 나노 항암제의 사업화 계획

발명 특허:

- 벡터 및 암세포 siRNA 나노항암제 미국특허 2건 등록
- 벡터 및 암세포 siRNA 나노항암제 국내특허 2건 등록
- 벡터 및 암줄기세포 siRNA 나노항암제 국내 등록
- 벡터 및 암줄기세포 siRNA 나노항암제 특허 미국,중국,일본,인도 출원
- 벡터 및 나노체인 형태 siRNA 나노항암제 국내특허 출원
- 벡터 및 나노체인 형태 siRNA 나노항암제 PCT 국제특허 출원

◆ 20. 사업 모델 (Business Model)

- 유전자 벡터: 전세계에 연구용 시약으로 판매
- 나노 항암제: 글로벌 제약회사와 공동 개발, 임상 및 판매
- **1 단계 판매: 유전자 벡터, 2 단계 판매: 나노 항암제**

(단위 : 백만원)

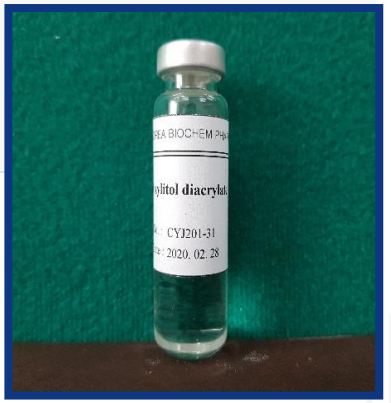
제 품 \ 년도		2022	2023	2024	2025
- 유전자 벡터	국내		1,000	2,000	3,000
	해외		1,000	2,000	3,000
- 나노 항암제 - 암줄기세포 항암제	국내	비임상	비임상	비임상	임상
	해외		비임상	비임상	임상
- GMP 유전자 벡터	국내		1,000	1,500	2,000
	해외		1,000	1,500	2,000
합계			4,000	7,000	10,000

◆ 21. 사업 모델 (Business Model)

◆ 사업 모델 | 1차 판매 – 유전자 벡터, 2차판매 – siRNA 항암제

- ➢ 유전자 벡터의 국내 판매
- ➢ 유전자 벡터의 글로벌 판매

유전자 벡터 상품명	가격/mL 용량 (mL)	가격/mL 가격 (USD)	유전자 전달효율	특성	비 고
Xylifectamine (Elbio 제품)	0.1		60~70%	• 폴리머 벡터 • 낮은 독성 • 높은 유전자 전달 효율	
	1.5				
	15				
Lipo. 벡터 (Thermofisher)	0.1	73	30~40%	• 시판되고 있는 유전자 벡터 • 낮은 유전자 전달효율 • 세포들에 의해 좌우됨	
	1.5	840			
	15	6,430			



벡터 제품

◆ 22. 항암제 국내 판매가격 및 연 판매엑

(자료: 의약뉴스(2021), 건강보험심사평가원(2021), Phamnews, Phamstoday, IHS마켓)

Company	Anti-Cancer Drug Name(Type)	Sales Price(1000 Won)	연 판매액 (십억원, 2020)
ELBIO	(siRNA Anti-Cancer Drug)	(급여 ~2,000/회, 50kg기준 예상, 비급여 10,000/회 예상)	
Merck	Keytruda (폐암/PD-1 type)	10,000(급여, 50kg기준: 2,860)	15,421
ONO	Opdivo (위암 등/PD-1 type)	30,000(급여, 50kg기준: 2,321)	7,719
Gilead's	Yescarta(B-림프종/ CAR-T유전자세포치료제)	비급여 410,000/회	644
Novartis	Kymriah(백혈병/ CAR-T유전자세포치료제)	비급여 500,000/회	494
Roche	Tecentriq(폐암,방광암,유방암/PD-L1)	급여 2,306, 840mg/회	3,271
Celgene	Revlimid (다발성 골수종)	급여 86,085/10mg, 1회/일	16,000
BMS	Yervoy (흑색종/CTLA-4)	7,980/개	1,798
MSD	Temodal (뇌암/화학치료제)	급여 126/250mg	1,000
Astrazeneca	Imfinzi (절제불가 3기폐암/PD-L1)	급여 3,350/10mg/병; 10mg/kg 50 kg기준: 167,500	2,208

◆ 23. ELBIO siRNA 항암제 판매단가, 연간 판매량/판매액

Sales Agent Company	Region	비급여 판매 단가 (천원)	예상 연간 판매량 (천회)	투여횟수 /환자	예상 연 판매액 (조원)	비 고 (뇌종양 환자수)
ELBIO	Korea	10,000/회	200	20	2	10,000명/년
P. Pham	US	10,000/회	500	20	5	50,000명/년
H. Pham	China	10,000/회	500	20	5	50,000명/년
M. Pham	Germany	10,000/회	500	20	5	50,000명/년

* 예상 연 판매량은 siRNA 항암제 판매 시작후 3년 이후의 초기 연간 판매량임.

* siRNA 항암제의 비급여 판매 단가는 50 kg 기준으로 siRNA 단가를 고려 추정함.

- 급여 처리시 치료단가는 10~20%로 추정함.
- siRNA 항암제는 모든 암에 적용 가능함.

◆ 24. siRNA 나노항암제의 SWOT 분석

강점 (Strength)	약점 (Weakness)
1. 유전자 전달 벡터 원천기술특허 확보 2. siRNA로 암세포 사멸 특허 확보 3. 암줄기세포도 사멸시켜 암 완치 4. 비타민B6로 암세포 표적 기전 확보 5. 벡터를 국내 제약회사에서 GMP생산	1. siRNA 제조 특허 없음 : 주문 제작 2. 벡터 생산공장 없음: 위탁 GMP생산 3. 연구개발비 부족: 국가과제 확보 및 투자 유치 추진 4. 연구 인력 부족: 협력기관과 협력
기회 (Opportunity)	**위협 (Threat)**
1. siRNA 치료제 4개 제품 FDA 승인 2. siRNA 항암제 없음 3. siRNA항암제를 모든 암에 적용 4. 뇌질환 약물전달체로 활용 5. 암줄기세포 치료용 벡터로 활용	1. Alnylam제약사 siRNA치료제 개발중 2. Silence Therapeutics사 전립선암 siRNA 항암제 개발중 3. Astrageneca사 siRNA 치료제 개발에 41억불 투자함. 4. OLIX,바이오니아 siRNA치료제 개발중

◆ 25. 자금 계획

자금 소요

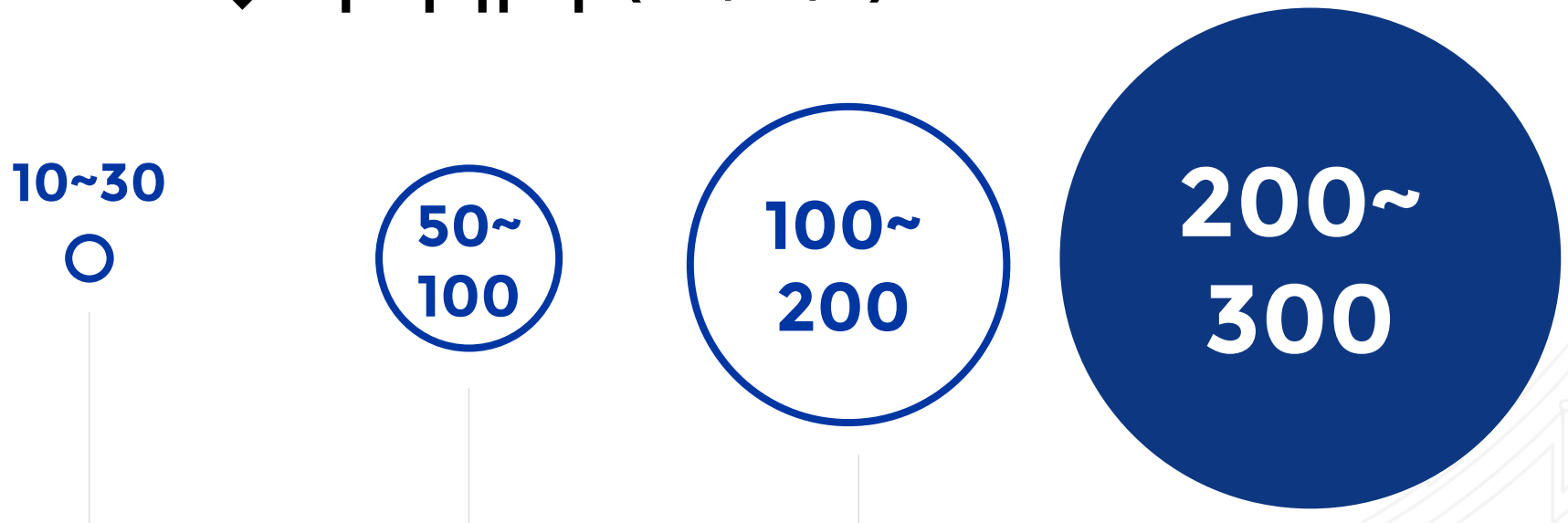
비임상 시험	15억원
연구비	8억원
인건비	5억원
운영비	4억원
계	32억원

자금 조달 계획

현 자본금	7억원
현 대출	1억원
투자유치	15억원
국가신약과제	9억원
계	32억원

◆ 26. 투자 유치

◆ 투자 유치 (단위 : 억원)



1차 투자 유치

Seed 혹은
Pre-Series A

2차 투자 유치

3차 투자 유치

4차 투자 유치

◆ 미래 계획

1 국가신약과제 / 투자 유치 ➢ 엘바이오㈜는 나노 항암제로 모든 암 치료를 목표로 함, 일부 기술이전도 가능함.

2 안전성 시험 및 동물실험

3 한국 식약처 및 미국 FDA 임상시험계획서 제출 및 승인

4 글로벌 제약회사와 공동 임상시험

◆ 28. 회사 가치

* 한미약품 서방형제제: 약4조5천억원 기술이전(사노피)
* 올릭스(주) GalNAc-asiRNA 중국 한소제약에 5300억원기술이전(2020년)

I. 유전자 전달체

II. siRNA항암제 파이프라인 4종:

1. 암세포 siRNA 항암제
2. 암줄기세포 siRNA 항암제
3. 나노체인 siRNA 항암제
4. 면역/유전자 항암제

III. CRISPR 항암제

ELBIO Inc

- 투명 경영
- 제품 신뢰

- 미래 성장성
- 2026년 IPO 추진(기술특례)

- 투자 회수: 약 5~ 년

◆ 29. 핵심 멤버

CEO/CTO, Professor
Dr. Chung, Jong Hoon

Seoul National Univ.
Cancers, Biomaterials, Tissue Engineering.
Ph.D. in **Eng. Science**, Louisiana State Univ.
MS, BS: Seoul N. Univ.

Vice-CTO, Professor
Dr. Garg, P.

Seoul National Univ.
Ph.D. in Biosystems & Biomaterials, SNU.
Chemistry, Symthesis of Gene Vectors,
Cancers,In-vitro & In-vivo Tests

Senior Researcher
Dr. Lee, MC

Seoul National Univ.
Ph.D. in Biosystems &
Biomaterials, SNU.
Genetic Engineering,
Cancers, Cancer Stem Cells,
In-vitro & In-vivo Tests

Senior Researcher
Dr. Pandey, S.

Ph.D. in Biosystems &
Biomaterials, SNU.
Cell Biology, Cancers,
Cancer Stem Cells,
In-vitro & In-vivo Tests

Senior Researcher
Dr. Kim, JE

Ph.D. in Biosystems &
Biomaterials, SNU.
Cell Biology, Stem cells,
Cancer Cells, Biomaterials
In-vitro & In-vivo Tests

Senior Researcher
Lim, JW, PhD Candidate

Seoul National Univ.
Biosystems & Biomaterials, SNU.
Biosystems Engineering,
Cancers, Cancer Stem Cells,
In-vitro & In-vivo Tests

엘바이오㈜는 siRNA 나노 항암제로
모든 암을 완치시킬 수 있습니다.

경청에 감사드립니다.

ELBIO Inc

CONFIDENTIAL AND PROPRIETARY
2021 Copyright by ELBIO Inc. All Rights Reserved