



---

World Leader in Pharmaceutical Manufacturing Services

**IR Presentation**  
**Oct 2020**

# Mission, Vision and Core Values

## MISSION

인류의 건강과 행복을 위한 끝없는 도전

## ST PHARM VISION 2025

최고의 품질과 서비스로 변영하는 Global 종합화학기업



## CORE VALUES



### 혁신 추구

새로운 시각으로 작은 혁신부터 시작하자



### 변화 주도

흐름을 읽고 능동적으로 변화하자



### 상호 신뢰

신뢰를 통한 시너지를 창출하자



### 함께 성장

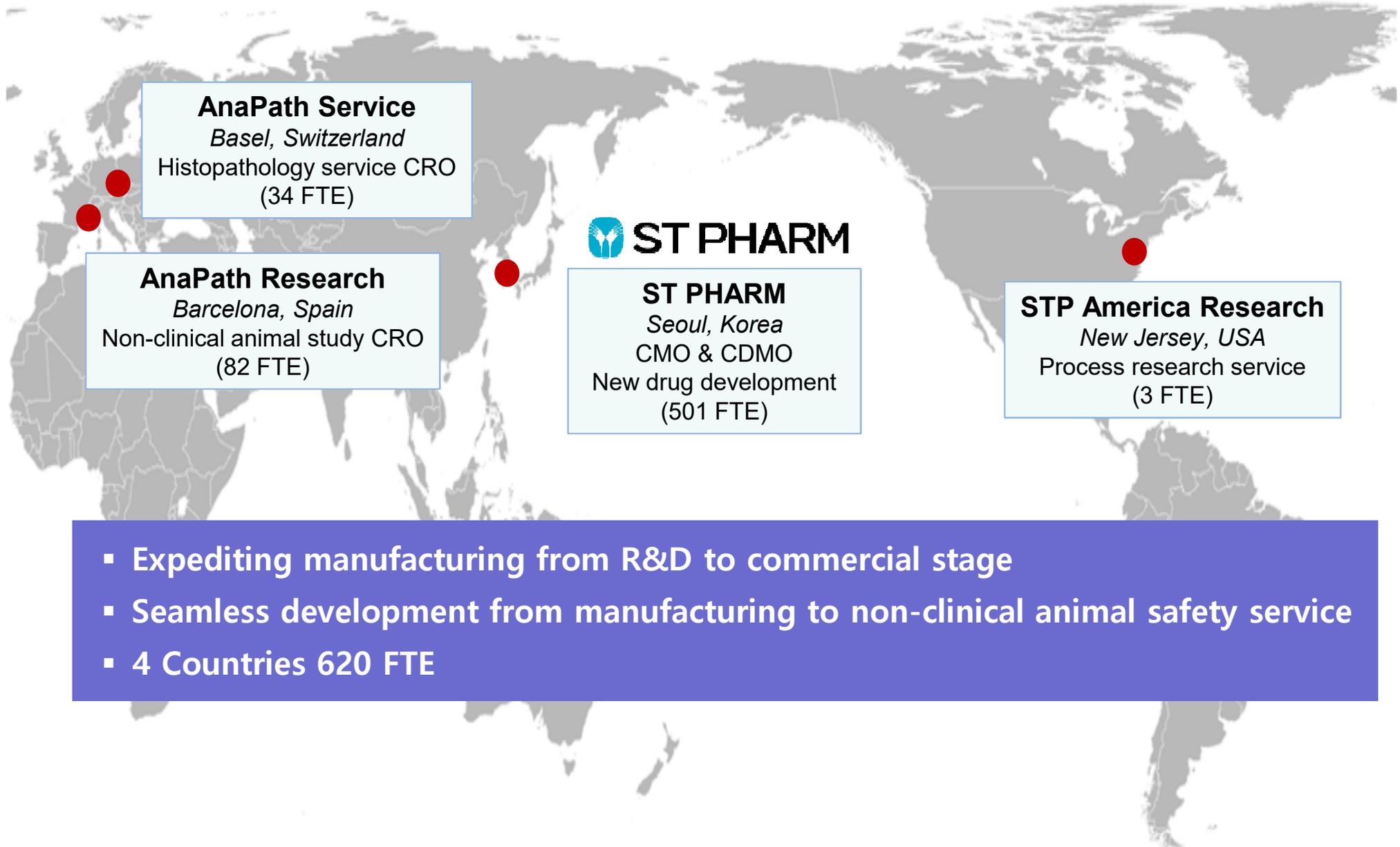
구성원, 고객, 사회와 함께 성장하자



### 녹색 경영

인류의 아름다운 미래를 추구하기 위해 환경친화적 생산

# 에스티팜 자회사 현황



- Expediting manufacturing from R&D to commercial stage
- Seamless development from manufacturing to non-clinical animal safety service
- 4 Countries 620 FTE

# 중장기 사업 전략

**사업 결합: CDMO + CRO**  
⇒ 신약 개발 전 과정에서 One-stop Service  
고객 풀 확대, 신약개발 도 향상 등  
시너지 창출

**기반사업 확대: Oligo API CDMO**  
⇒ 저분자 신약 포함 40여 개의 신약 CDMO  
파이프라인 확보, 안정적인 현금흐름 창출

**mRNA 신사업: CDMO 및 백신 개발**  
⇒ 중·장기적 새로운 기업가치 창출

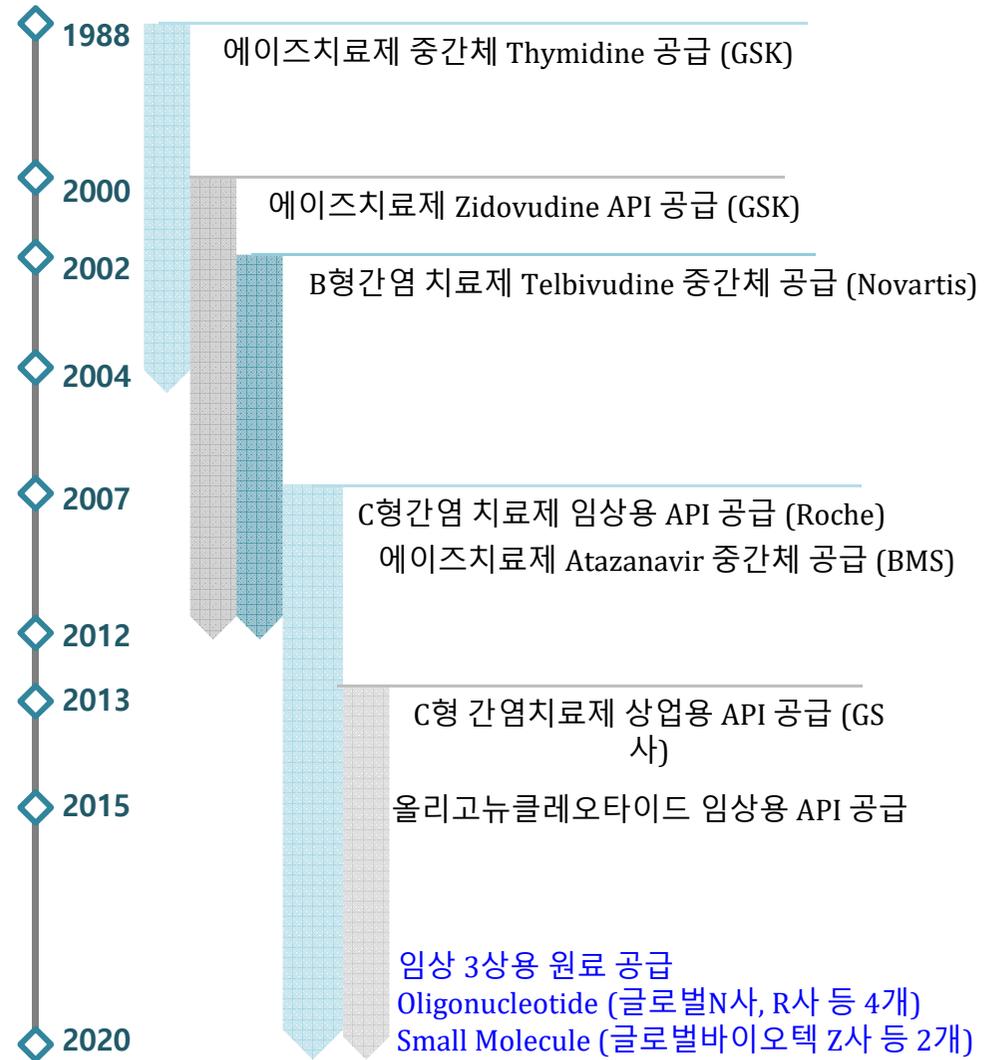
**차별화된 신약 개발: Virtual R&D**  
⇒ Two at once: Out-licensing + 원료 공급  
신약개발 시간 단축

Value  
Creator

Value  
Follower

# 에스티팜의 연혁

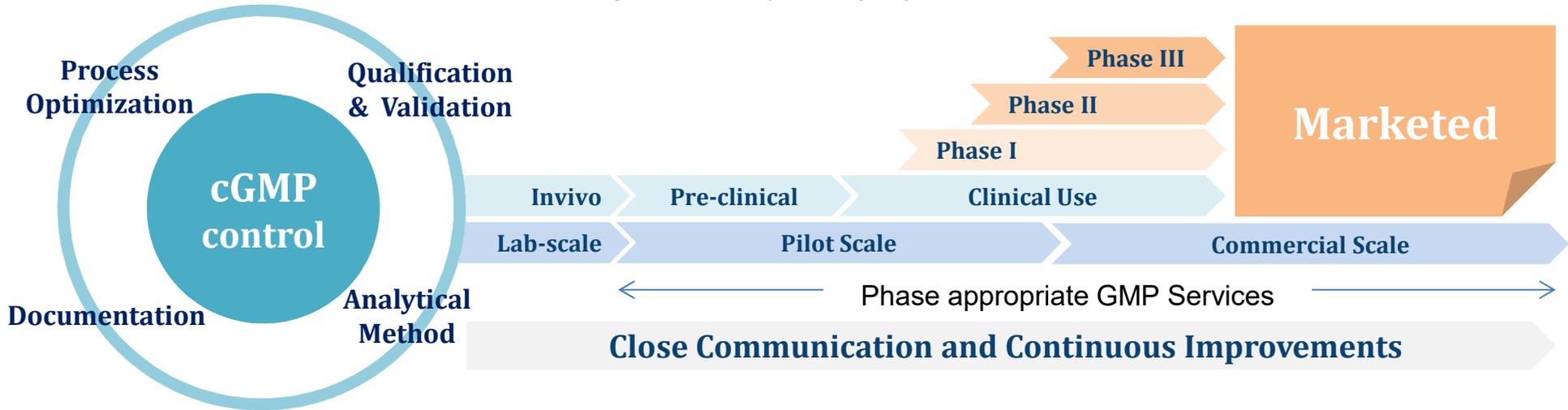
- 2008** 유켄주식회사 설립
- 2010** 유켄, 삼천리제약 인수 합병 (에스티팜으로 사명 변경)
- 2011** B형간염치료제 세계일류상품 선정(지식경제부)
- 2012** 혁신형 제약기업 인증
- 2013** 우수기술연구센터(ATC) 선정(산업통상자원부)
- 2014** 호주 TGA cGMP 인증
- 2015** 반월1공장 준공, 반월2공장 동아ST로 부터 영업양수  
미국 FDA cGMP 인증, 일본 PMDA cGMP 인증  
혁신형 제약기업 재인증, 7천만불 수출의 탑 수상
- 2016** EU cGMP 인증, 코스닥시장 상장 (KOSDAQ: 237690)  
1억불 수출의탑, 금탑산업훈장, 혁신기업 대상 대통령상 수상
- 2017** 코스닥시장 소속부 변경 (중견기업부 → 우량기업부)
- 2018** 글로벌 성장 우수 리더십상 수상 (Frost & Sullivan)  
월드클래스 300 선정, 혁신형 제약기업 재인증  
미국 FDA cGMP 인증, 반월 올리고 전용 신공장 준공
- 2019** 환경관리 우수 사업장 선정 (반월공장)  
유럽 CRO 업체 인수 (AnaPath Services, AnaPath Research)  
STP1002 (항암제), 미국 임상1상 IND 승인  
Roche CDMO Award 2019 수상
- 2020** STP0404 (에이즈치료제), 유럽 임상1상 IMPD 승인  
반월공장 올리고동 추가 증설 (+1.8mol)



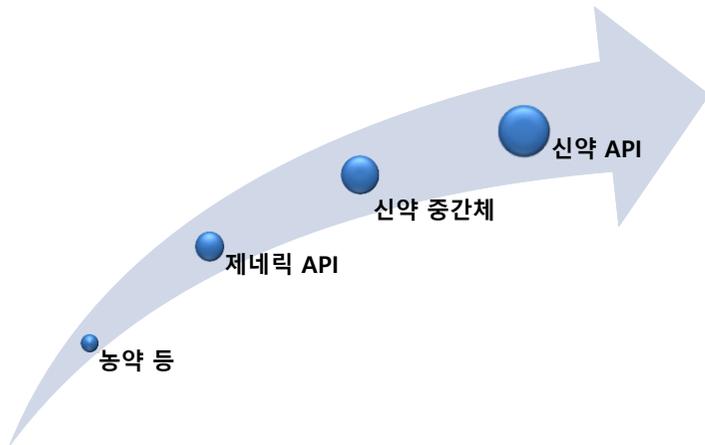
# 에스티팜의 신약 API 사업의 특징

## 신약 API 사업의 비즈니스 모델 : CDMO\*

\* Contract Development & Manufacturing Organization



## 신약 API 사업과 제네릭 API 사업의 비교



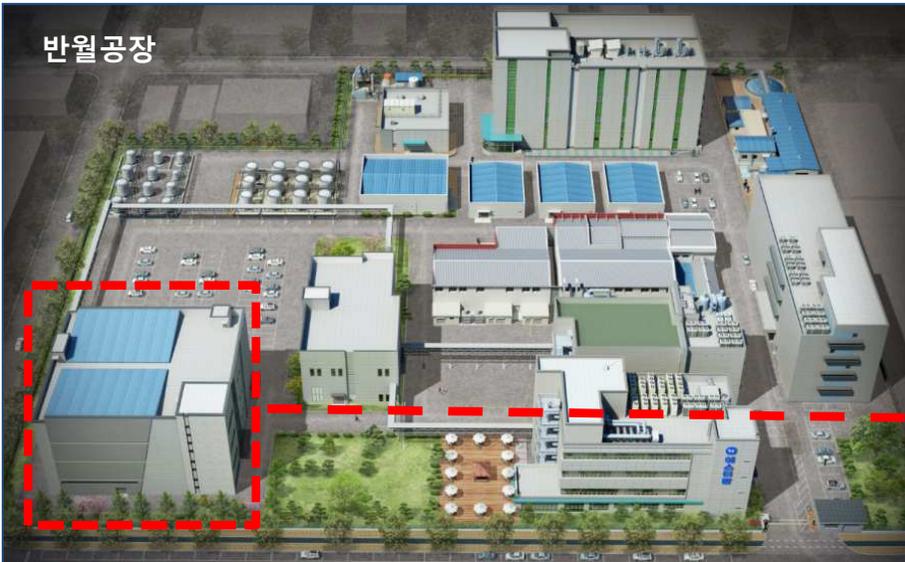
| 비교          | 신약 API            | 제네릭 API |
|-------------|-------------------|---------|
| 국내 경쟁사      | 1~2개              | 수십~100개 |
| 약가 대비 원료 비중 | 3~5%              | 20~50%  |
| 마진율         | 20~50%            | 10% 내외  |
| 임상 비용       | 없음, 임상시료 판매       | 발생      |
| 공급의 안정성     | 특허만료까지 안정적인 매출 가능 | 불안정     |

# 글로벌 기준 설비: 시화공장 및 반월 공장

시화공장



반월공장

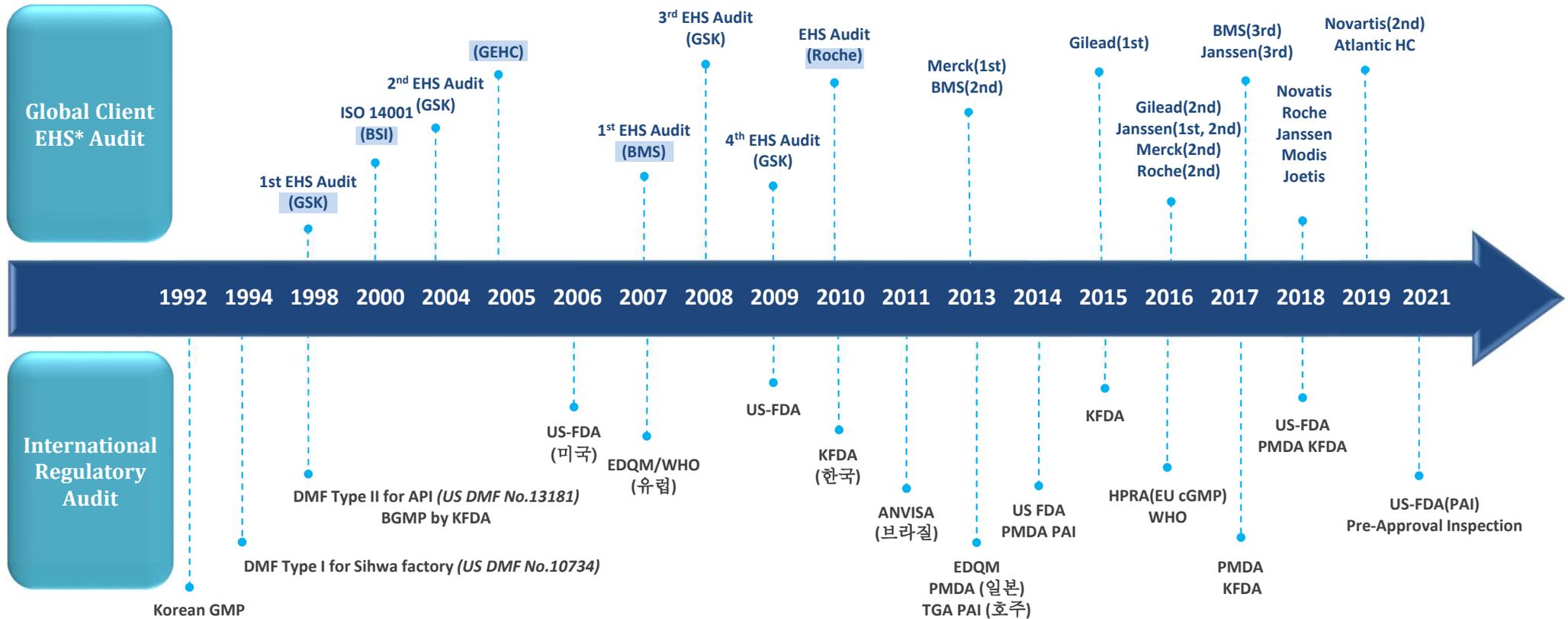


| General Capacity | Sihwa Site                              | Banwol Site   | Total                 |
|------------------|---|---|-----------------------|
| Area             | 16,400 m <sup>2</sup>                   | 28,220 m <sup>2</sup>                                     | 44,620 m <sup>2</sup> |
| Reactors         | 67                                      | 58  | 125                   |
| Capacity         | 286,100 L                               | 139,000 L   | 425,100 L             |
|                  | Sihwa Site                              | Banwol Site   |                       |
| Commercial Plant | Five Plants<br>(Plant 1, 2, 3, 5 and 6) | Four Plants<br>(Plant A sector 1-2/B/C)                   |                       |
| Kilo/Pilot Plant | Kilo: 50 ~ 100 L<br>Pilot: 200 ~ 500 L  | Sector 4: 500 ~ 1,000 L<br>Sector 3: 1,000 ~ 2,000 L      |                       |
|                  | Sihwa Site                              | Banwol Site   |                       |
| Oligo Plants     |   |   |                       |
| Small Scale      | (nmol-umol scale): MM-192, MM-12        |   |                       |
| Mid Scale        | (mmol scale): 3 x OP100                 |   |                       |
| Large Scale      | (300mmol scale): 2 x AKB                | (1.5mole scale): 1 x GE<br><b>( +1.8mol scale ) : 증설중</b> |                       |



# 글로벌 품질 인증

\* EHS : Environmental, Health & Safety



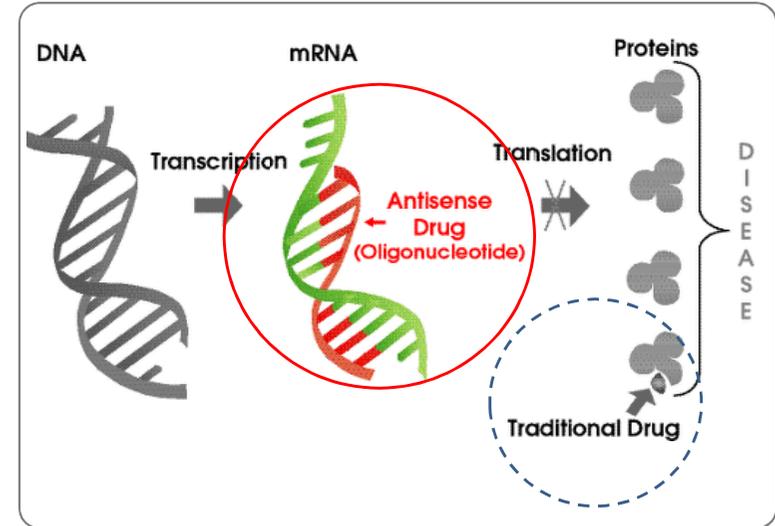
## Successfully inspected by



# Oligonucleotide: 올리고 핵산 치료제

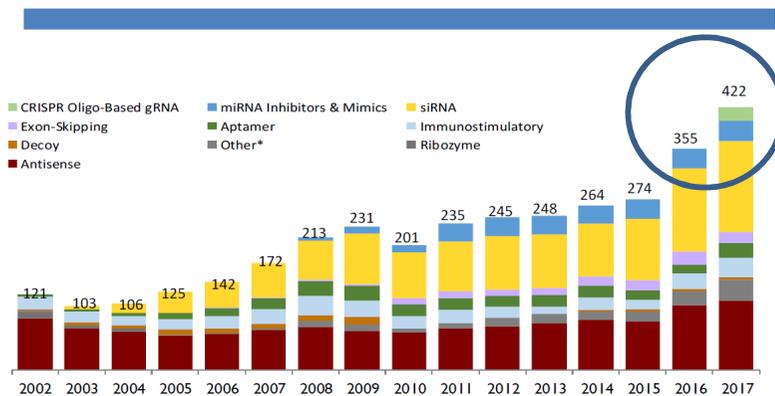
## ◆ 올리고 핵산 치료제 (Oligonucleotide)

- 생체내에서 DNA, RNA와 직접적으로 결합, 질병과 관련된 단백질을 차단  
**질병을 원천적으로 치료하는 새로운 패러다임의 치료제**
- 2006년 RNAi 기술의 노벨생리의학상 수상 이후 신약개발 블루칩으로 급부상
- RNA 치료제는 Antisense, siRNA(small interfering RNA), Aptamer 등으로 구분  
Antisense에서 siRNA로 개발 트렌드 변화 중
- **블록버스터 신약 등장(희귀질환):** Biogen의 Spinraza('19년 매출 2조원 추정)
- **두번째 블록버스터 신약 등장 가능성(만성질환):** MDCO(Alnylam)의 Inclisiran
- 현재 임상단계에 있는 올리고 신약 과제는 700개 이상, 이중 70%가 임상 1상
- 플랫폼 기술 확보 등 글로벌 제약사의 올리고 신약 독자 개발 시작
- RNAi 기술이 타 산업으로 확산: 농약(살충제), 동물용의약품 등
- 빅데이터, 진단기술과 결합하여 예방용 치료제로 개발, 백신 대체 가능성
- mRNA백신 등장: 백신학의 새로운 시대, Moderna 바이러스백신 및 암백신
- 항체 치료제와 결합: Avidity, Oligonucleotide(치료 정밀성) + 항체(조직 선택성)



## Therapeutic Oligonucleotide Programs

All Programs by Class 2002-2017



Courtesy of Gary Carter, Agilent Technologies

## 올리고 핵산 치료제 시장규모

[십억원]



자료: 산업자료, SK 증권

# Oligonucleotide: 장점과 과제

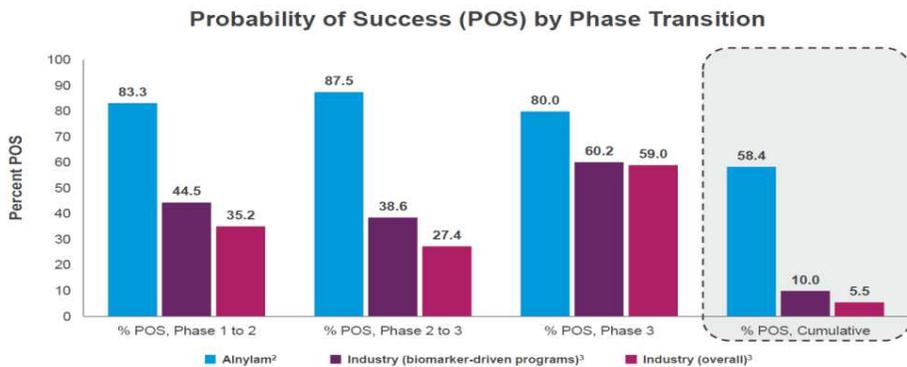
## ◆ 장점

- 간단한 약물 디자인 (A-T, G-C), 신속한 개발 (R&D, 전임상: <2년)
- 플랫폼 기반으로 적응증 확대에 유리
- 불치, 난치성 유전질환 (희귀질환) → 만성질환 분야로 영역 확대
- 단백질에 직접 작용하지 않으므로 내성 거의 없음
- CNS질환에 특화 (치매, 헌팅턴병, 루게릭병, 간질, 자폐, 근육질환 등)
- 바이러스 및 암세포의 돌연변이를 따라잡을 수 있는 유일한 치료제
- 항체 대비 싼 약제비 (예, Inclisiran <\$4,000, Repatha \$5,850)
- 우수한 약물 지속성 (예, Inclisiran 연 2회, Repatha 월 1~2회)
- Small Molecule 및 Bio 항체치료제의 단점 극복

## ◆ 과제

- 안정성: Chemical Modification을 통해 많이 해결됨
- Off-Target 부작용: 실험으로 부작용 적은 서열 선택
- Delivery: Lipid Nanoparticle, Receptor binding molecule 부착 등 지속적인 기술향상으로 극복
- 독성: Chemical Modification을 통해 조절 가능, antisense 약물은 고유의 간독성으로 난치성 질환에 주로 적용 ⇒ 위 4개 과제는 거의 해결됨
- 대량생산 (톤 규모) 및 Pricing issues (COGs)
- 간, 뇌 외 표적장기 확대: 항체와 Oligonucleotide 결합

## 기존 치료제 대비 월등한 임상단계별 성공률

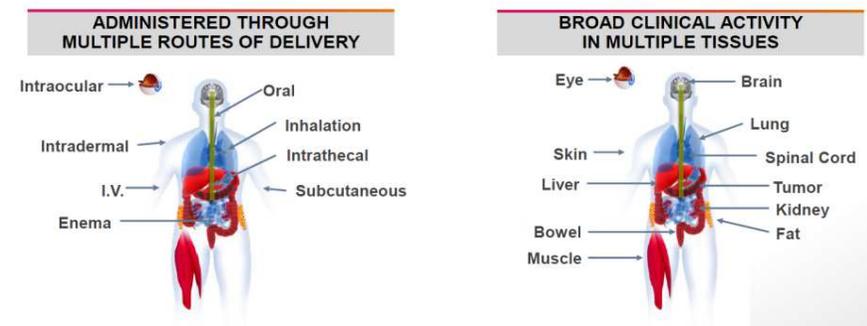


[출처 : Alnylam]

<sup>1</sup> Past rates of Alnylam and industry respectively may not be predictive of the future  
<sup>2</sup> Alnylam programs, biomarker-driven at all stages of development (100%)  
<sup>3</sup> Wong et al., Biostatistics (2019) 20, 2, pp. 273-286

## 다양한 투여 방법 개발로 표적 장기 확대중

Methods of Administration and Technology Advances Create Breadth in Our Pipeline Today



IONIS

Multiple routes of delivery, multiple target tissues

[출처 : Ionis]

# 대표적인 만성질환 올리고 핵산 치료제

## ◆ Inclisiran

### Significant unmet needs in ASCVD treatment despite availability of PCSK9 mAbs

#### Significant unmet needs in ASCVD

- 40% Adults WW have high LDL-C; ASCVD leading cause of death WW
- 50m+ Patients across key markets with ASCVD or FH on current SOC not at goal
- 7% Treated patients statin intolerant<sup>1</sup>
- 60%+ Patients treated with statins +/- ezetimibe do not meet goal<sup>2</sup>

Persistent and underserved market in ASCVD

#### Shortcomings of current PCSK9 mAbs treatments

- Expensive** Prices at launch above cost-effective benchmarks<sup>3</sup>
- Reimbursement hurdles** Leading to 80% of PCSK9i claims being initially rejected<sup>4</sup>
- Affordability hurdles** Leading to 50% abandonment rate for PCSK9i after 90 days<sup>5</sup>
- Inconvenient** Up to 26 injections per year<sup>6</sup>, and cold chain requirement

Inclisiran could help tackle current issues with existing treatments

Source: DRG (2019), Novartis Commercial team. 1. A Comparison of 2 Claims-Based Algorithms by Bellows et al. JMCP September 2017 Vol. 23, No. 9. 2. Boekholdt et al. Very Low LDL-C levels and CVD Risk JACC-VOL 64 No 5 2014:485-94. 3. Fonarow GC, Keech HAC, Pedersen TR, et al. Cost-effectiveness of Evolocumab Therapy for Reducing Cardiovascular Events in Patients With Atherosclerotic Cardiovascular Disease (2017). 4. Navar AM, Taylor BT, Fivoltz E, et al. Early challenges for PCSK9 inhibitor prescriptions and patients: rejections and rates unfilled. Abstract 415-08. 5. Hines DM et al. Poster presented at ACC 2017. 6. PCSK9 prescribing information

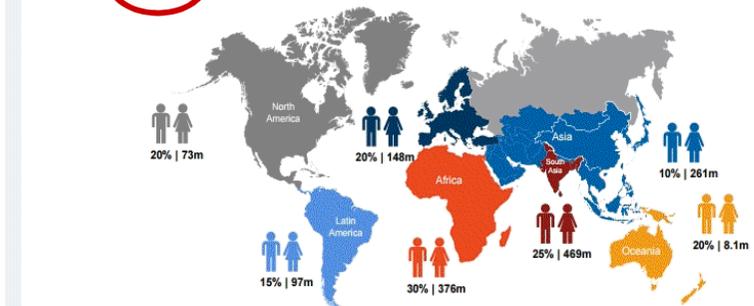
9 | Novartis Investor Presentation | November 25, 2019

NOVARTIS | Reimagining Medicine

## ◆ TQJ230

### Around one in five people worldwide are at increased risk of developing CVD due to Lp(a)<sup>1</sup>

An estimated 1.4 billion people globally have elevated Lp(a) levels >50 mg/dL<sup>2</sup>



1. Tsirikas et al. J. Am. Coll. Cardiol. 71 (2018) 177-192. 2. Nordestgaard et al. Eur Heart J. 2010 Dec;31(23):2844-53. Figure taken from Tsirikas et al. J. Am. Coll. Cardiol. 71 (2018) 177-192.

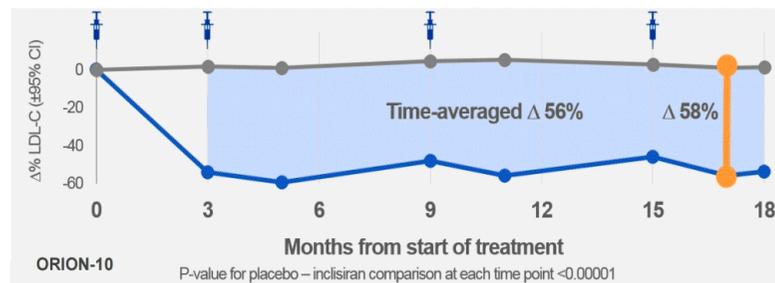
53 | Novartis R&D Day | December 5, 2019

NOVARTIS | Reimagining Medicine

## Inclisiran ORION-10+11 Results

Durable, Potent, and Consistent LDL-C Lowering Over 18 Months

Percent change in LDL-C over time – observed values in ITT patients



- Inclisiran safety profile similar to placebo, with no adverse changes in laboratory markers
- Injection site events 2.6-4.7% - predominantly mild and none persistent
- ORION-10+11: Numerically fewer CV events reported for inclisiran than placebo (exploratory endpoint)

NDA submission expected Q4 2019

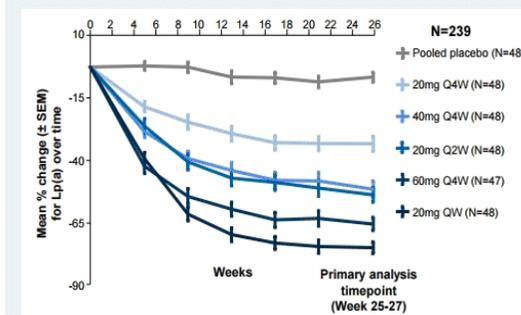
MAA submission expected Q1 2020

The Medicines Company

32 | Wright et al. AHA 2019; Ray et al. ESC Congress 2019  
All 95% confidence intervals are less than ±2% and therefore are not visible outside data points

## TQJ230 demonstrated significant Lp(a) reductions in CVD patients<sup>1</sup>

Phase 2b results - TQJ230 vs. placebo



For references see slides 170-180. QW, once a week; Q2W, every 2 weeks; Q4W, every 4 weeks; SEM, standard error of the mean.

TQJ230 is an antisense oligonucleotide targeting apolipoprotein(a) mRNA<sup>2</sup>

Phase 2b data showed<sup>1</sup>:

- Dose-dependent Lp(a) reductions up to 80%
- 98% of patients achieved Lp(a) ≤50 mg/dL following treatment with TQJ230 20 mg once a week
- Good tolerability and safety profile

54 | Novartis R&D Day | December 5, 2019

NOVARTIS | Reimagining Medicine

[출처 : Novartis, Alnylam]

# IONIS & Alynlam: Oligonucleotide Pipelines

## IONIS Clinical Development Pipeline (Oligo - ASO)



|                         | DRUG                             | TARGET              | PARTNER        | INDICATION                       | P1 | P2 | P3 | R | C |
|-------------------------|----------------------------------|---------------------|----------------|----------------------------------|----|----|----|---|---|
| Neurological            | SPINRAZA® (nusinersen)           | SMN2                | Biogen         | Spinal Muscular Atrophy          | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-HTT <sub>Rx</sub> (RG6042) | HTT                 | Roche          | Huntington's Disease             | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | Tofersen                         | SOD1                | Biogen         | Amyotrophic Lateral Sclerosis    | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-MAPT <sub>Rx</sub>         | TAU                 | Biogen         | Alzheimer & Dementia             | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-C9 <sub>Rx</sub> (C9ORF72) | C9orf72             | Biogen         | Amyotrophic Lateral Sclerosis    | █  | █  | █  | █ | █ |
| Severe & Rare           | WAYLIVRA® (volanesorsen)         | ApoCIII             | Akcea          | Familial Partial Lipodystrophy   | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | AKCEA-ANGPTL3-L <sub>Rx</sub>    | ANGPTL3             | Akcea          | Rare Hyperlipidemias             | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-GHR-L <sub>Rx</sub>        | Ghr                 | Ionis-Owned    | Acromegaly                       | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-PKK-L <sub>Rx</sub>        | PKK                 | Ionis-Owned    | Hereditary Angioedema            | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | AKCEA-TTR-L <sub>Rx</sub>        | TTR                 | Akcea          | ATTR                             | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-TMPRSS6-L <sub>Rx</sub>    | TMPRSS6             | Ionis-Owned    | β-Thalassemia                    | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-ENAC-2.5 <sub>Rx</sub>     | ENAC                | Ionis-Owned    | Cystic Fibrosis                  | █  | █  | █  | █ | █ |
| Cardiometabolic & Renal | AKCEA-APO(a)-L <sub>Rx</sub>     | Apo(a)              | Akcea/Novartis | CVD                              | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | AKCEA-ANGPTL3-L <sub>Rx</sub>    | ANGPTL3             | Akcea          | NAFLD/Metabolic Complications    | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | AKCEA-APOCIII-L <sub>Rx</sub>    | ApoCIII             | Akcea/Novartis | CVD                              | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-GCGR <sub>Rx</sub>         | GCGR                | Suzhou Ribo    | Diabetes                         | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-FXI <sub>Rx</sub>          | Factor XI           | Bayer          | Clotting Disorders               | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-DGAT2 <sub>Rx</sub>        | DGAT2               | Ionis-Owned    | NASH                             | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-AGT-L <sub>Rx</sub>        | Angiotensinogen     | Ionis-Owned    | Treatment-Resistant Hypertension | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-AZ4-2.5-L <sub>Rx</sub>    | Undisclosed         | AstraZeneca    | Cardiovascular Disease           | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-FXI-L <sub>Rx</sub>        | Factor XI           | Bayer          | Clotting Disorder                | █  | █  | █  | █ | █ |
| Cancer                  | IONIS-AR-2.5 <sub>Rx</sub>       | AR                  | Suzhou Ribo    | Prostate Cancer                  | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | Danvatrisen                      | STAT3               | AstraZeneca    | Cancer                           | █  | █  | █  | █ | █ |
| Other                   | IONIS-HBV <sub>Rx</sub>          | HBV                 | GSK            | Hep-B Virus Infection            | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-HBV-L <sub>Rx</sub>        | HBV                 | GSK            | Hep-B Virus Infection            | █  | █  | █  | █ | █ |
|                         | IONIS-FB-L <sub>Rx</sub>         | Complement Factor B | Roche          | Complement-Mediated Disease      | █  | █  | █  | █ | █ |

## Alynlam Clinical Development Pipeline (Oligo - siRNA)

Focused in 3 Strategic Therapeutic Areas (STAr):

- Genetic Medicines
- Hepatic Infectious Diseases
- Cardio-Metabolic Diseases

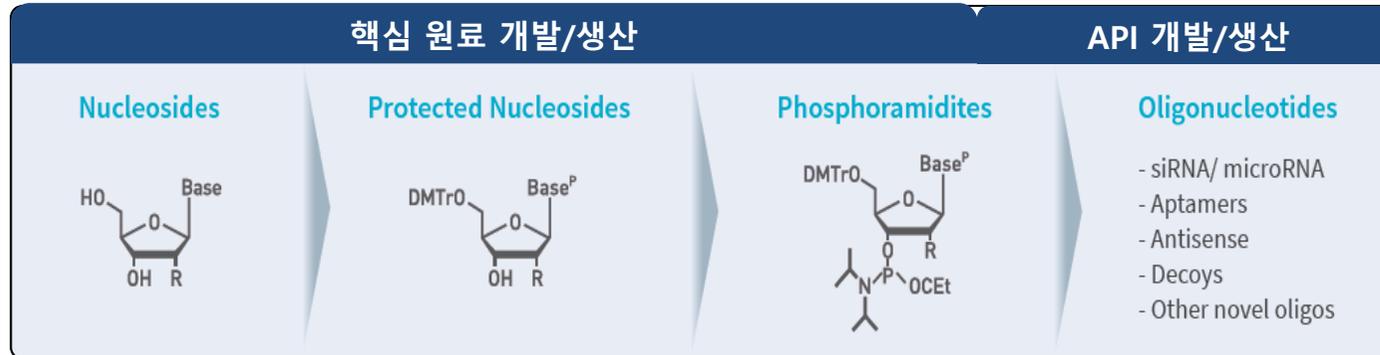


Alynlam Pharmaceutical Pipeline

| Drug                         | Indication                             | Human POC | Breakthrough Designation | Early Stage<br><small>(IND or CTA Filed-Phase 2)</small> | Late Stage<br><small>(Phase 2 - Phase 4)</small> | Registration/Commercial | Commercial Rights                |
|------------------------------|--|-----------|--------------------------|--|--|-------------------------|----------------------------------|
| ONPATTRO® (patisiran)        | Hereditary ATTR Amyloidosis            | ✓         | ★                        |  |  | ●                       | Global                           |
| Givosiran                    | Acute Hepatic Porphyria                | ✓         | ★                        |  |  | ●                       | Global                           |
| Patisiran                    | ATTR Amyloidosis Label Expansion       | ✓         |                          |  | ●  |                         | Global                           |
| Fitusiran                    | Hemophilia and Rare Bleeding Disorders | ✓         |                          |  | ●  |                         | 15-30% royalties                 |
| Inclisiran                   | Hypercholesterolemia                   | ✓         |                          |  |  | ●                       | Milestones & up to 20% royalties |
| Lumasiran                    | Primary Hyperoxaluria Type 1           | ✓         | ★                        |  | ●  |                         | Global                           |
| Vutrisiran                   | ATTR Amyloidosis                       | ✓         |                          |  | ●  |                         | Global                           |
| Cemdisiran                   | Complement-Mediated Diseases           | ✓         |                          | ●  |  |                         | 50-50                            |
| Cemdisiran / Pozelimab Combo | Complement-Mediated Diseases           |           |                          | ●  |  |                         | Milestone/Royalty                |
| ALN-AAT02                    | Alpha-1 Liver Disease                  |           |                          | ●  |  |                         | Global                           |
| ALN-HBV02 (VIR-2218)         | Hepatitis B Virus Infection            |           |                          | ●  |  |                         | 50-50 option rights post-Phase 2 |
| ALN-AGT                      | Hypertension                           |           |                          |  | ●  |                         | Global                           |

# 에스티팜 올리고 사업의 경쟁력

## 세계 유일의 모노머/올리고 동시 생산 시스템



### ➤ Ample Experience & Know-hows

- 80년대 중반부터 뉴클레오시드 계열의 원료의약품을 글로벌제약사에 공급
- 2008년 아시아 최초로 GMP Oligo 생산, 글로벌 GMP compliance and Data Integrity 검증
- 다수의 글로벌제약사에 Oligo APIs 공급경험으로 검증된 품질보증시스템

### ➤ Innovative Manufacturing System & Platform

- 세계 유일의 모노머/올리고 동시 생산 시스템 → 가격경쟁력, 공급의 연속성, 품질의 안정성, 신약개발 기간 단축
- Bio 컨셉이 아닌 Pharma 컨셉으로 지어진 최초의 올리고 공장 구축

### ➤ Strong Track Record

- 미국, 유럽 등 임상 1상~3상 단계의 25개 올리고 신약에 원료 공급 중 (상업화 단계 4개, 임상3상 4개, 임상2상 3개 등)
- 아시아 태평양 지역 최고 Oligonucleotide API 제조업체로 선정 → 한국 최초로 '2018 글로벌 API 제조 성장 우수 리더십상 수상 (2018 Global API Manufacturing (Oligonucleotide) Growth Excellence Leadership Award, Frost & Sullivan)
- Roche CDMO Award 2019 수상: Oligo 신약 분야 (글로벌 최초), Small molecule 신약 분야 (아시아 최초)

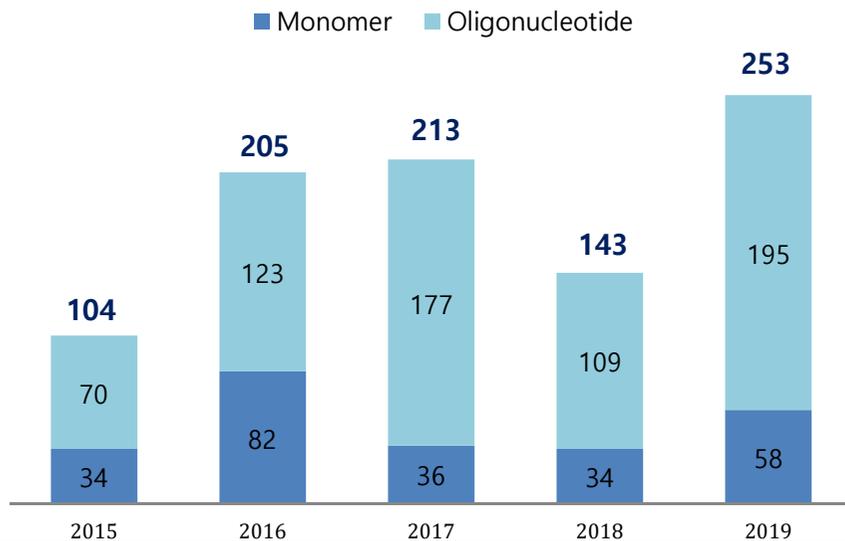
# Oligo & Small Molecule API CDMO 매출 및 Pipeline

## • 주요 Oligo 신약 프로젝트 파이프라인

| 고객사       | 적응증           | Pre-Clinical | Phase I | Phase II | Phase III |
|-----------|---------------|--------------|---------|----------|-----------|
| 글로벌제약사 A  | 헌팅턴병          | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌제약사 B  | 심혈관질환         | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌바이오텍 A | 혈액암 (MF, MDS) | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌바이오텍 C | B형간염          | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌동물의약품  | 면역증가보조        | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌제약사 C  | 자가면역 위장관질환    | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌제약사 C  | 크론병           | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌제약사 A  | B형간염          | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌바이오텍 B | 간암            | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌제약사 D  | B형간염          | →            | →       | →        | →         |
| 국내바이오텍 A  | 비대흉터, 황반변성    | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌바이오텍 D | 간암, 간경화       | →            | →       | →        | →         |
| 글로벌바이오텍 E | 폐암            | →            | →       | →        | →         |

※ 미국, 유럽 등 임상 1상~3상 단계의 올리고 신약 20개 이상에 원료 공급

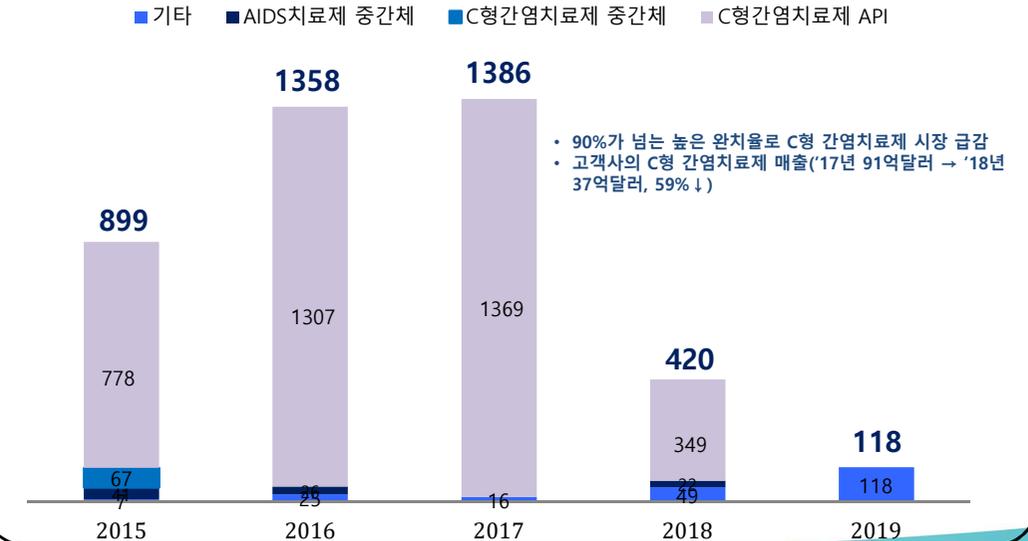
Oligo 신약 CDMO 프로젝트 매출실적 (단위: 억원)



## • 주요 Small Molecule CDMO 파이프라인

| 고객사      | 적응증         | Pre-Clinical | Phase I | Phase II | Phase III      |
|----------|-------------|--------------|---------|----------|----------------|
| 국내제약사 A  | 당뇨          | →            | →       | →        | Commercialized |
| 해외바이오텍 A | 위암          | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 B  | 결핵          | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 C  | 당뇨          | →            | →       | →        | →              |
| 해외바이오텍 B | 미토콘드리아결핍증후군 | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 D  | 파킨슨병        | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 E  | 분자표적항암제     | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 E  | 항생제         | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 F  | AIDS        | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 G  | 소아간질        | →            | →       | →        | →              |
| 해외바이오텍 C | B형 간염       | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 H  | 급성골수성백혈병    | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 I  | 비만          | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 J  | 항섬유화제       | →            | →       | →        | →              |
| 국내제약사 K  | 아토피피부염      | →            | →       | →        | →              |

Small Molecule 신약 API 매출실적 (단위: 억원)



# 2020년 올리고 사업 주요 수주 및 설비 증설

## ➤ 유럽 글로벌 제약 A사 (2020.06.22)

- 수주금액: CHF 25M (약 322억원, 2019년 매출액의 35%)
- 특징: 2020년 공급물량, 임상3상용 원료

## ➤ 유럽 글로벌 제약 B사 (2020.09.16)

- 수주금액: USD 39M (약 459억원, 2019년 매출액의 49%)
- 특징: 2021년 공급물량, 상업화 원료

추가로 2022년부터 최소 물량 공급 계약 (100kg/년)

- ⇒ 올리고 분야 누적 수주잔고 1억달러 돌파
- 수주 증가 ('19년 \$36M→'20년 \$73M)

## ➤ 유럽 글로벌 제약사 생산설비 투자지원 (2020.10.16)

- 투자지원금액: USD 20M (약 235억원)
- 특징: 매년 설비 사용료 추가 지급 (약 70억원) 및 신규 프로젝트별 원료 공급 계약 별도 진행

## ➤ 1차 증설 결정 (2020.08.27)

- 장소: 반월캠퍼스 올리고동 3, 4층의 60% 공간
- 투자금액: 307억원
- 증설 규모: 1.8mol (약 800kg)
- 생산 규모: 증설 전 (800kg) ⇒ 증설 후 (1.6톤)
- ⇒ 2021.12월 ~ 올리고 생산 규모 세계 1위 도약

## ➤ 2차 증설 결정 (2020.10.07)

- 장소: 반월캠퍼스 올리고동 3, 4층의 나머지 40% 공간
- 투자금액: USD 30M (약 350억원)
- 글로벌 제약사의 무상지원(2/3)을 받는 공동투자 방식
- ⇒ 한국 제약사 상 유일한 사례로 글로벌 경쟁력 재확인

## ➤ 3차 증설 검토

- 제 2 올리고 생산동 신축 검토 - 반월캠퍼스 유희부지 활용

- ✓ 생산 설비 증가로 만성질환 올리고핵산치료제의 상업화 및 COVID-19 백신용 올리고 수요증가에 선제적 대응
- ✓ 2022년 1톤 이상의 여유 케파를 확보한 유일한 글로벌 올리고 CDMO로 자리매김
- ✓ 경쟁 우위 선점으로 올리고 시장 점유율 >40% 유지

# Innovative Virtual R&D Strategy – R&D, C&D Networking



*“Minimizing R&D cost and expediting drug development process”*

*“Creating a synergy effect with API CDMO business”*

Collaboration

Incubation

- ✓ Strategic Partnership
- ✓ Joint Venture
- ✓ In/Out-licensing

C&D

A&D

CxOs

**ASAN FOUNDATION** 서울아산병원 Asan Medical Center  
**KRICT** 한국화학연구원 Korea Research Institute of Chemical Technology  
**KRIBB** Korea Research Institute of Bioscience & Biotechnology  
**DGMIF** 대구경북첨단의료산업진흥재단  
**K BIOHEALTH** 오송첨단의료산업진흥재단  
**KAERI** 한국원자력연구원 Korea Atomic Energy Research Institute  
**Institut Pasteur Korea**  
**KU** KONGKUK UNIVERSITY  
**EMORY UNIVERSITY SCHOOL OF MEDICINE**

**Accelera** Experience results.  
**QuBEST BIO**  
**WuXi AppTec**  
**eurofins**  
**SOUTHERN RESEARCH INSTITUTE**



# 자체신약 파이프라인

## • 주요 자체신약 개발 현황 및 추진 일정

| 구분                    | 협력기관                          | 작용기전 등 내용  | 특징                               | 개발단계                |
|-----------------------|-------------------------------|--|----------------------------------|---------------------|
| STP0404<br>(AIDS치료제)  | 미국 Emory대학<br>및 콜로라도 주립<br>대학 | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 세계 최초로 에이즈를 완치할 수 있는 신규 메커니즘 ALLINI (Allosteric Integrase Inhibitor) 규명 중</li> <li>- '18년 5월 미국 국립보건원(NIH) 연구지원과제로 선정</li> <li>- 기존 에이즈 치료제들의 내성을 극복할 수 있는 새로운 작용 기전 (non-catalytic site integrase inhibition)을 이용한 혁신신약</li> <li>- 1일 1회 경구투여 외 장기 지속형 주사제로 동시 개발 중</li> </ul> | First in class<br>Small molecule | 유럽(프랑스)<br>임상1상 중   |
| STP1002<br>(항암제)      | 콜로라도 주립대학<br>및 한국원자력의학원       | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 텐키라제(tankyrase)효소 저해제를 이용하여 미충족 수요 환자군인 KRAS/NRAS 돌연변이 유전자형 환자와 어비투스 무반응 내성 환자를 치료할 수 있는 세계 최초의 경구용 대장암치료제</li> <li>- 대장암 외 비소세포성폐암, 간암 등으로 적응증을 확장하여 기존 면역항암제 등과 병용투여 시험이 진행 중</li> </ul>  | First in class<br>Small molecule | 미국<br>임상1상 중        |
| NASH 치료제              | 한국화학연구원                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 신규기전을 이용한 First-in-class의 비알콜성지방간염 치료제 개발</li> </ul>  | First in class<br>Small molecule | 비임상<br>(전임상 패키지 준비) |
| 경구용 헤파린               | B&L Deli Pharm                | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 기존 주사제의 부작용과 불편함을 해소한 신개념의 효과적이고 안전한 경구용 헤파린으로 항응고제에서 심부정맥혈전증, 체장암 치료에 이르기 까지 다양한 적응증에 적용할 수 있는 치료제 개발</li> </ul>   | First in class<br>Macro molecule | 비임상<br>(전임상 패키지 준비) |
| COVID-19 및<br>댕기열 치료제 | OncoCross                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>- AI 플랫폼을 이용한 신규기전의 First-in-class 항바이러스 치료제 개발</li> </ul>  | First in class<br>Small molecule | 후보물질 발굴 완료          |
| 인플루엔자 치료제             | 한국화학연구원                       | <ul style="list-style-type: none"> <li>- Polymerase basic 1(PB1) 타겟의 First-in-class 인플루엔자 치료제 개발</li> </ul>  | First in class<br>Small molecule | 후보물질 발굴 완료          |
| 기타 (2개)               | 비공개                           | <ul style="list-style-type: none"> <li>- First-in-class의 염증성장질환치료제 및 창상치료제</li> </ul>  | First in class<br>Small molecule | 후보물질 발굴 중           |

# STP0404 (AIDS치료제) 프로파일

## Potency, selectivity, physicochemical property, stability, PK profiles

- Good antiviral activity in multiple cloned and patient HIV-1 strains
- Predictable SAR & SPR (Structure Property Relationship)
- Good kinetic & equilibrium solubility (water/FaSSGF, FaSSIF, FeSSIF)
- Excellent stability (xML & hepatocytes) at four species
- No CYPs inhibition & induction (CYP3A metabolism & PXR activation)
- Excellent PK profiles in rat, dog and monkey

**우수한 항바이러스 효과**  
**1일 1회 경구투여**  
**약물 상호 작용 없음**

## Toxicity & off-target effects

- No off-target effect in 68 ion channel & receptor binding assay and in 468 kinase screening system
- No toxicity in hERG, cytotoxicity, Ames test
- No toxicity in single-dose acute toxicity in mouse at 1,000 mg/kg
- No significant clinical signs in MTD & DRF toxicology studies in rat & dog
- No toxicity issues after 4-week GLP repeated toxicology study in rat & dog

**유의적인 독성 관찰되지 않음**

## Antiviral activity assay in cross-mutation strains

- **Excellent antiviral activity against Raltegravir resistant mutations in both MT-4 cell & PBMCs**

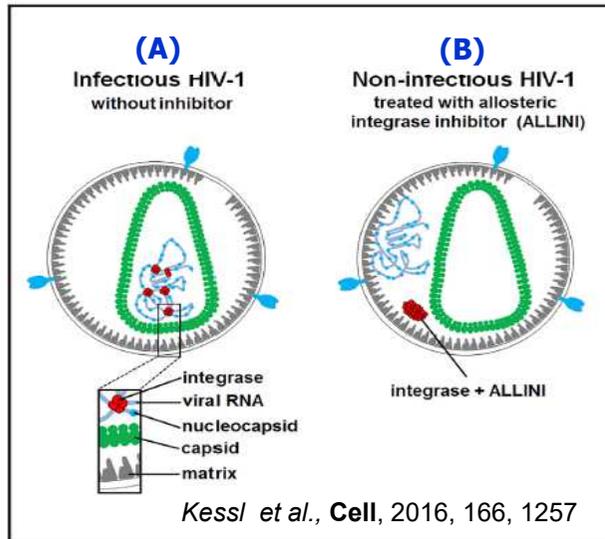
**기존 치료제 대체 가능**

## Mode of Action

- **Characterization of HIV-1 variants resistant to STP0404**
- **X-ray crystallography of STP0404 bound to integrase (wild type & mutant)**
- **Novel MoA of ALLINI-induced mislocalization of vRNAs confirmed by TEM study**
- **Significantly suppress HIV-1 rebound from latently infected primary T cell reservoir**

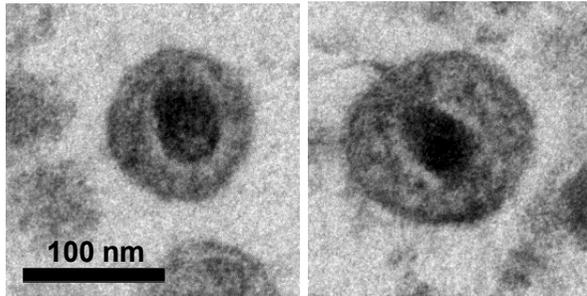
**비촉매 활성부위 저해**  
**기전 확인**  
**새로운 작용기전 확인**

# STP0404 (AIDS 치료제)

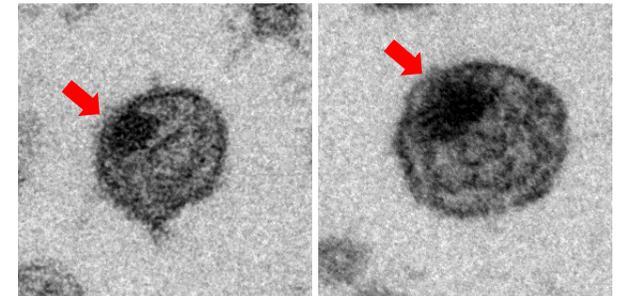


## ➤ Novel MOA of ALLINI STP0404

No Drug Control (A)



With STP0404 at 0.2  $\mu$ M (B)



TEM study in Emory Univ.

- Prof. M. Kvaratskhelia in U. of Colorado reported ALLINI's new MOA using BI compounds in 2016
  - HIV-1 integrase binds the viral RNA genome & plays an essential role during virion morphogenesis (A)
  - Allosteric integrase inhibitor (ALLINI) induces aberrant IN oligomerization and inhibits IN binding to vRNAs, leading to mislocalization of vRNAs (B)
- 
- Viral RNA can be seen inside of the viral capsid with high electron density in TEM (No drug control: A)
  - STP0404 treatment (B), which interferes with the IN-RNA binding, induces the formation of non-infectious eccentric HIV-1 particles with mislocalized vRNAs with high electron density at the outside of the viral capsid cores
  - STP0404 induces the mislocalization of HIV vRNAs in viral particles
  - New MOA for HIV-cure as “maturation inhibitor”
    - “Divide and Conquer”, not ‘Shock & Kill’ or ‘Block & Lock’
  - NIH grant awarded for the further MOA study collaboration w/Emory U. & U. of Colorado

# STP0404 (AIDS치료제)

## Safety Pharmacology

|                        |            |
|------------------------|------------|
| Central nervous system | No effects |
| Respiratory system     |            |
| Cardiovascular system  |            |

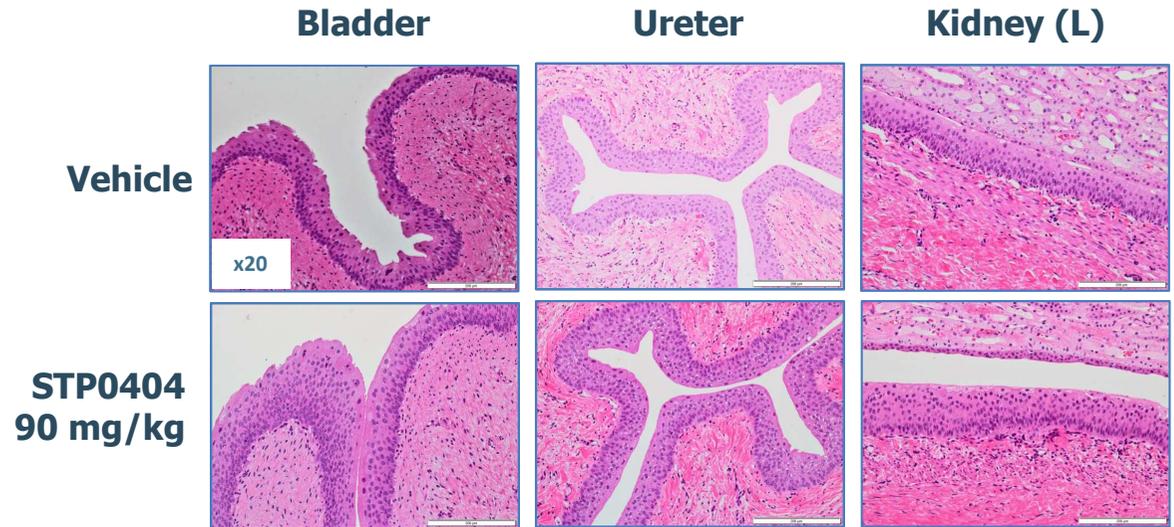
## Genotoxicity

|                             |               |
|-----------------------------|---------------|
| Ames test                   | Not mutagenic |
| Chromosomal aberration test | Not mutagenic |
| Micronucleus test           | Not genotoxic |

## NOAEL in 4-Week GLP Toxicology Studies

| Species        | Males | Females |
|----------------|-------|---------|
| Rat (4w + R2w) | 300   | 600     |
| Dog (4w + R2w) | 90    |         |

## Histology in 4-Week Dog GLP Toxicology Study



### ➤ 4-Week GLP toxicology studies in rat and dog

- Except for 13% mean body weight loss observed in male rats with 600 mg/kg/day, no other toxic relevant changes observed
- No test article-related gross lesions and histological findings

*\*All GLP toxicology studies were carried out by INA Research in Japan, and the histopathology studies were evaluated by AnaPath in Switzerland*

# STP1002 (항암제) 프로파일

## Potency, selectivity, physicochemical property, stability, PK profiles

- Excellent potency in TNKS 1&2 and high selectivity against PARP 1&2
- High permeability & good solubility (FaSSGF, FaSSIF, FeSSIF)
- Excellent stability (xML, hepatocytes, plasma) at five species
- Excellent PK profiles in rat and dog

1일 1회 경구투여

## Toxicity & off-target effects

- No toxicity in hERG, cytotoxicity, Ames test
- No toxicity in single-dose acute at 500 mpk (mouse)
- 2-week MTD & DRF PO in rat: MTD is higher than 400 mg/kg/day
- 2-week MTD & DRF PO in dog: MTD is 10 mg/kg/day
- No off-target effects in 468 kinases screening system

유의적인 독성 관찰되지 않음

## Efficacy in Xenograft animal models

- **Wnt-dependent POC in colo320DM, DLD1 cell lines: 45-50% TGI**
- **Wnt-independent POC in RKO, HCT116 cell lines: no TGI**

우수한 종양 억제 효과

## GLP toxicology studies

- 4-week PO in rat (50, 100, 200 mg/kg/day) & in dog (1, 2.5, 5 mg/kg/day)
- **No drug-related abnormalities detected in histology after 4-wk xenograft & GLP toxicology study**

적절한 안정성 확보

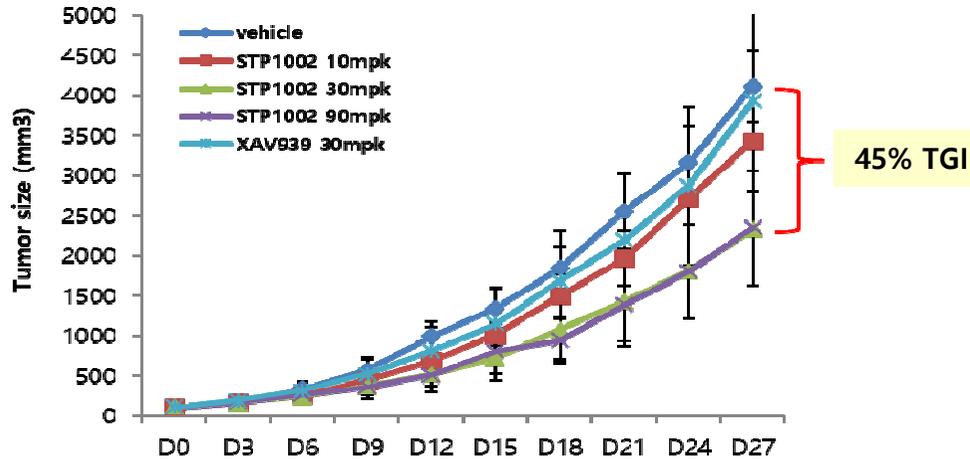
## Efficacy in patient-derived Xenograft (PDX) model

- **Colon patient derived xenograft (KRas wt/ $\beta$ -catenin wt): 45~63% TGI**

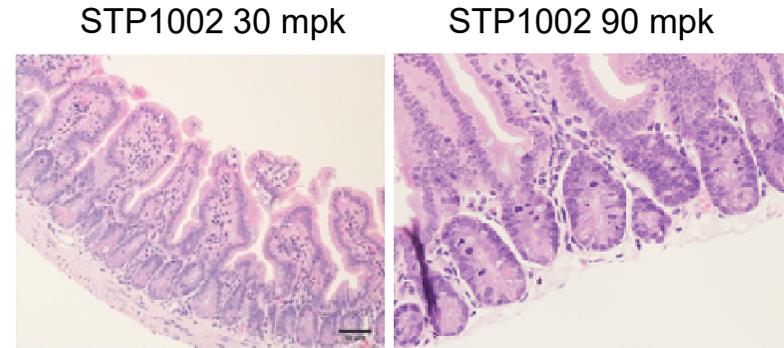
환자유래 암세포에서 우수한 항암효과

# STP1002 (항암제)

## ➤ Efficacy in Colo320DM xenograft model

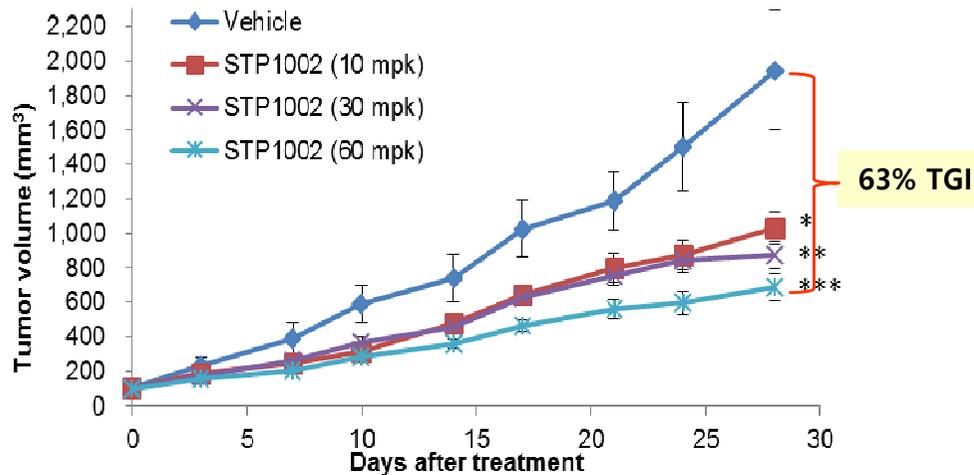


## ➤ Ileum histopathology data after 4-weeks xenograft study



⇒ There were no test item-related toxicities

## ➤ Efficacy in patient-derived xenograft (PDX) model



- BALB/c - nude female mice (n=5), po, QD for 28 days

| Dose             | TGI (%) |
|------------------|---------|
| STP1002 (10 mpk) | 44.7*   |
| STP1002 (30 mpk) | 51.1**  |
| STP1002 (60 mpk) | 62.9*** |

Statistical significant : \*P<0.05, \*\*P<0.01, \*\*\*P<0.001 compared with the vehicle control

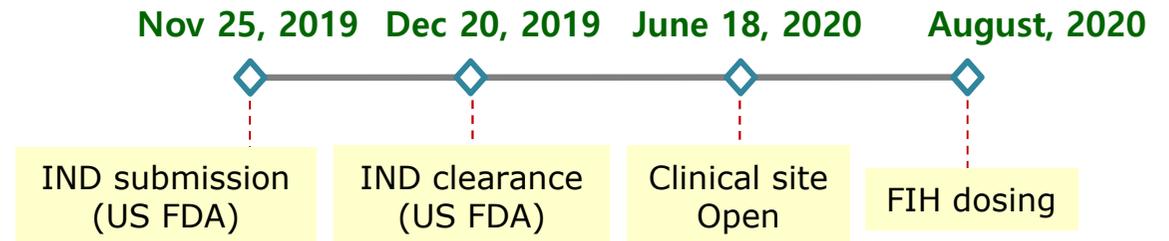
# STP1002 (항암제)

## ◆ Phase 1 clinical study

### ➤ Study Design

- Advanced solid tumors (Colorectal cancer, NSCLC, HCC)
- Three clinical sites in the US
- 3+3 design
  - ✓ The enrollment of ~30 patients
  - ✓ 5 Cohort (3 to 6 patients/cohort)
  - ✓ Once daily for 21 days on followed by 7 days-off

### ➤ Timeline



NIH U.S. National Library of Medicine  
**ClinicalTrials.gov**  
Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results > Study Record Detail  Save this study

Trial record 1 of 2 for: STP1002  
Previous Study | [Return to List](#) | [Next Study](#)

**First-In-Human Dose-Escalation Study of STP1002 in Patients With Advanced-Stage Solid Tumors**

ClinicalTrials.gov Identifier: NCT04505839

**Recruitment Status** ⓘ : Recruiting  
**First Posted** ⓘ : August 10, 2020  
**Last Update Posted** ⓘ : August 10, 2020  
See [Contacts and Locations](#)

**⚠** The safety and scientific validity of this study is the responsibility of the study sponsor and investigators. Listing a study does not mean it has been evaluated by the U.S. Federal Government. [Know the risks and potential benefits](#) of clinical studies and talk to your health care provider before participating. Read our [disclaimer](#) for details.

# Implanting mRNA Modality

## ➤ CDMO Business Development & New Drug Development (Cancer Immunotherapy & Virus Vaccine)

### 2020 ST Pharm Open Innovation Research Challenge

**ST Pharm** is a subsidiary of Dong-A Socio Group in Korea. ST Pharm has an open innovative 'Virtual R&D' strategy pursuing first-in-class new drug development by collaborations with diverse academies, hospitals, and research institutes. Two clinical studies in Phase 1 are running in the US and Europe, and two IND-enabling projects and five R&D projects are moving forward to the next round.

As a new momentum, we're initiating <Open Innovation Research Challenge> in the field of mRNA-based therapeutics to explore collaborations with a strategic partnership in the United States.

#### Themes of Research

- mRNA-based cancer immunotherapy
- mRNA vaccines against infectious diseases

#### Criteria of Investigators

- Investigator(s) who equipped with laboratory
- infrastructure to perform the proposed experiments

#### Grant

Up to \$100,000 USD (possibly expanding one more year based on milestone)

#### Details

- The proposal form could be downloaded from below button
- The proposal should be submitted by 5:00 pm EST on 14th Aug by email
- [stpvred@stpharm.co.kr](mailto:stpvred@stpharm.co.kr)
- Grant recipient(s) will be announced by email

#### Requests for Proposal

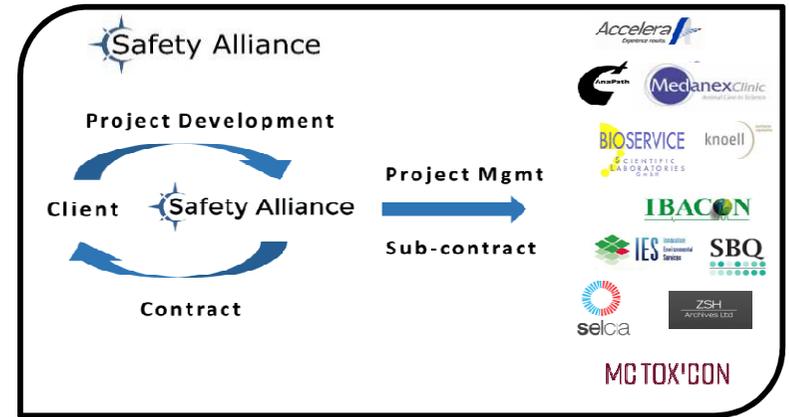
- The proposal should include the followings:
- Cover Letter
- Proposal Summary
- Proposal Description (max. 10 pages)
- Principal Investigator's Curriculum Vitae (max. 2 pages)

# 유럽 소재 글로벌 CRO 업체 인수

## ● AnaPath Service, Basel, Switzerland



- CSO : Klaus Weber
- 조직 및 독성병리학 분야에서 유럽에서 가장 큰 비임상 CRO 업체
- 2006년 ~ GLP 인증, 유럽 Safety Alliance 가입
- 현재 동물을 이용한 1,000개 이상의 만성 독성 및 발암성 연구를 진행 중



## ● AnaPath Research, Barcelona, Spain

- 1986년 설립(Envigo의 Spain), 2019년 11월 AnaPath에 인수
- 건물 1만 sqm, 대지 2만 sqm, 38개의 동물 사육실
- 원숭이, 토끼, 개 등 800여 마리 동물 보유



## ● CRO 인수를 통한 경쟁력 강화 : Client-dependent CMO → Client-leading CDMO

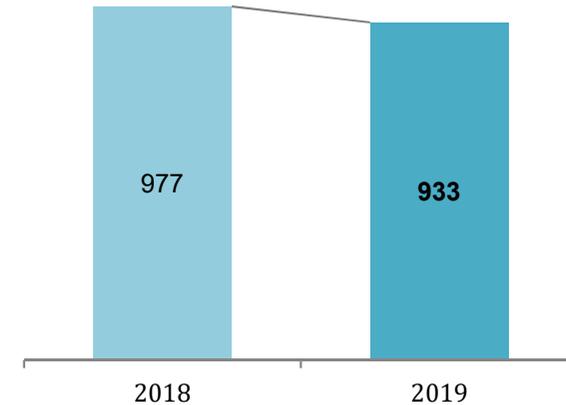
- 국내외 신생 바이오 벤처 급증, 인프라 부족 → CMO와 CRO가 연계된 서비스 수요 급증
  - 비임상부터 상업화까지 신약 개발 전 과정에서 CMO, CMC, AMV/AMT 패키지 등 차별화된 서비스 제공 가능
- 자체신약 개발 + CRO + CDMO의 시너지 효과와 연계하여 잠재 Client Pool 확대
- 신약 개발 및 임상 역량 강화

# 2019년 연간 실적 분야별 실적

## 2019년 연간 실적

(단위: 억원)

| 분야별     | 2018   | 2019   | YoY     |
|---------|--------|--------|---------|
| 매출      | 977    | 933    | -4.6%   |
| 매출원가    | 950    | 949    | -0.1%   |
| 매출총이익   | 28     | -16    | -158.6% |
| 판관비     | 184    | 251    | 36.1%   |
| 연구개발비   | 88     | 151    | 71.6%   |
| 영업이익    | -156   | -267   | -70.7%  |
| 법인세전이익  | -134   | -248   | -85.2%  |
| 당기순이익   | -93    | -183   | -97.8%  |
| 매출원가율   | 97.2%  | 101.7% | 4.5%P   |
| 매출총이익율  | 2.8%   | -1.7%  | -4.5%P  |
| 판관비율    | 18.9%  | 26.9%  | 8.0%P   |
| 연구개발비율  | 9.0%   | 16.2%  | 7.20%P  |
| 영업이익률   | -16.0% | -28.6% | -12.6%P |
| 법인세전이익율 | -13.7% | -26.6% | -12.9%P |
| 당기순이익율  | -9.5%  | -19.7% | -10.2%P |

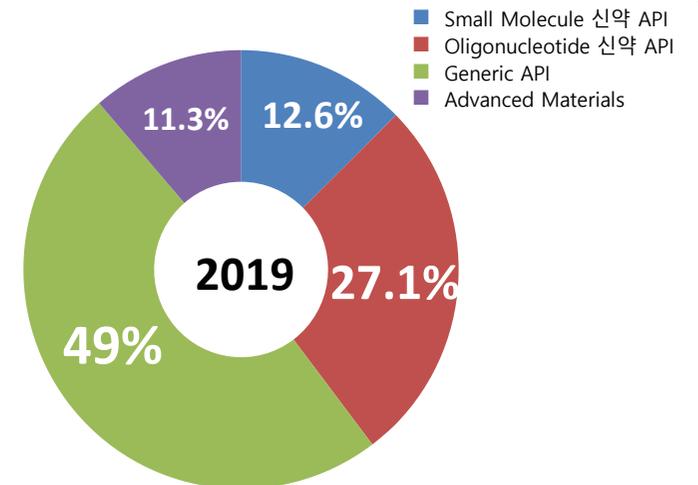


## 2019년 분야별 실적

| 분야별                      | 2018 | 2019 | YoY     |
|--------------------------|------|------|---------|
| ■ Small Molecule 신약 API  | 420  | 118  | -255.9% |
| ■ Oligonucleotide 신약 API | 143  | 253  | 76.9%   |
| ■ Generic API            | 367  | 457  | 24.5%   |
| ■ Advanced Materials     | 48   | 105  | 118.8%  |
| 합계                       | 977  | 933  | -4.6%   |

※ 신약 API 매출 371억원(비중 39.8%)  
수출 527억원(비중 56.5%)

## 매출 비중



# 요약 재무제표 / 주요 재무 비율 / 주주현황

## 연결재무상태표

(단위: 백만원)

| 구분       | 2019    | 2018    | 2017    |
|----------|---------|---------|---------|
| 유동자산     | 144,152 | 167,299 | 225,205 |
| 비유동자산    | 196,928 | 178,207 | 156,299 |
| 자산총계     | 341,080 | 345,505 | 381,504 |
| 유동부채     | 16,227  | 9,954   | 28,638  |
| 비유동부채    | 21,173  | 3,982   | 1,784   |
| 부채총계     | 37,401  | 13,936  | 30,421  |
| 자본금      | 9,328   | 9,328   | 9,328   |
| 주식발행초과금  | 171,287 | 171,287 | 171,287 |
| 기타자본구성요소 | -3,218  | -690    | -123    |
| 이익잉여금    | 123,561 | 151,644 | 170,591 |
| 자본총계     | 303,679 | 331,569 | 351,083 |

## 연결손익계산서

(단위: 백만원)

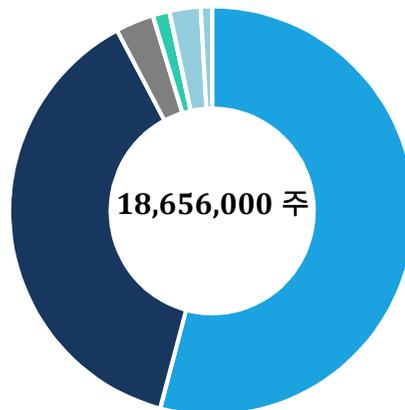
| 구분        | 2019    | 2018    | 2017    |
|-----------|---------|---------|---------|
| 매출액       | 93,257  | 97,738  | 202,800 |
| 매출원가      | 94,885  | 94,959  | 123,018 |
| 매출총이익     | -1,628  | 2,780   | 78,782  |
| 판매관리비     | 25,075  | 18,426  | 17,948  |
| 영업이익      | -26,703 | -15,646 | 61,834  |
| 기타수익      | 149     | 76      | 658     |
| 기타비용      | 224     | 814     | 2,148   |
| 금융수익      | 3,078   | 3,427   | 3,221   |
| 금융비용      | 1,272   | 433     | 4,321   |
| 법인세차감전순이익 | -24,973 | -13,391 | 59,245  |
| 법인세비용     | -6,444  | -4,123  | 14,248  |
| 당기순이익     | -18,529 | -9,268  | 44,997  |

## 주요 재무비율

| 구분        | 2019    | 2018     | 2017   |
|-----------|---------|----------|--------|
| 매출액 증가율   | -4.58%  | -51.8%   | 1.2%   |
| 당기순이익 증가율 | -99.92% | -120.6%  | -26.7% |
| 총자산 증가율   | -1.28%  | -9.4%    | 3.7%   |
| 총자산 회전율   | 0.27회   | 0.28회    | 0.53회  |
| 재고자산 회전율  | 2.3회    | 2.4회     | 3.5회   |
| 매출채권 회전율  | 2.61회   | 6.42회    | 6.78회  |
| 매출액 영업이익율 | -28.6%  | -16%     | 30.5%  |
| 매출액 순이익율  | -19.9%  | -9.5%    | 22.2%  |
| 자기자본 순이익율 | -6.1%   | -2.8%    | 12.8%  |
| 유동비율      | 888.35% | 1,680.7% | 786.4% |
| 부채비율      | 12.32%  | 4.2%     | 8.7%   |
| 순차입금비율    | -11.83% | -        | -      |

## 주주구성(2020년 7월 13일 현재)

- 48.9% 최대주주 및 특수관계인
- 34.4% 소액주주
- 2.7% Norges Bank
- 1.2% 한국증권금융
- 1%이상 기타주주
- 2.3% 메리트자산운용
- 0.8% 우리사주조합



## 주주현황

| 최대주주 등   | 보유주식수     | 지분율    | 비고          |
|----------|-----------|--------|-------------|
| 동아쏘시오홀딩스 | 6,096,552 | 32.68% | 최대주주 (지주회사) |
| 강정석      | 2,844,621 | 15.25% | 지주회사의 최대주주  |
| 수석문화재단   | 171,600   | 0.92%  | 재단법인        |
| 김경진 외 3인 | 15,325    | 0.08%  | 당사 임원       |
| 계        | 9,128,098 | 48.93% |             |

# 주요 용어 해설

| 용어                | 내 용  |
|-------------------|--|
| <b>API</b>        | (Active Pharmaceutical Ingredient) 원료의약품으로 신약 및 제네릭 완제의약품을 제조하기 위한 원재의 총칭  |
| <b>CMO</b>        | (Contract Manufacturing Organization) 의약품 생산대행, 계약생산을 말함   |
| <b>cGMP</b>       | (current Good Manufacturing Practice) 강화된 의약품 제조 및 품질관리기준. 미국 FDA가 인정하는 의약품 품질관리 기준으로 국내에서는 '선진GMP'로도 부름   |
| <b>핵산</b>         | (Nucleic Acid) 모든 생물의 세포 속에 들어 있는 고분자 유기물의 한 종류로 유기물은 탄소를 포함하고 있는 물질   |
| <b>제네릭</b>        | (Generic) 복제 합성의약품. 특히 만료된 합성의약품을 분석해 복제한 약물을 칭함   |
| <b>DMF</b>        | (Drug Master File) 원료의약품 신고제도  |
| <b>GMP</b>        | (Good Manufacturing Practice) 품질이 고도화된 우수의약품을 제조하기 위한 여러 요건을 구체화한 것으로 원료의 입고에서부터 출고에 이르기까지 품질관리의 전반에 지켜야 할 규범  |
| <b>올리고뉴클레오타이드</b> | (Oligonucleotide) 뉴클레오타이드 분자가 수 개 내지 십 수 개 결합하여 형성된 중합체. 중합체는 분자가 중합하여 생기는 화합물을 뜻 함  |
| <b>RNA</b>        | 핵산의 일종으로, 유전자 본체인 디옥시리보 핵산(DNA)이 가지고 있는 유전정보에 따라 필요한 단백질(protein)을 합성할 때 직접적으로 작용하는 고분자 화합물  |
| <b>뉴클레오시드</b>     | (Nucleoside) 염기와 당이 N-글리코시드결합으로 결합된 화합물로 핵산을 구성하는 성분. 글리코시드결합은 1개의 당분자와 또 다른 1개의 당분자의 탄소 사이 연결이 산소원자에 의해 연계 되는 화학적 결합을 뜻함  |
| <b>안티센스</b>       | (Antisense) 15~21개의 뉴클레오타이드로 이루어진 인공적으로 만든 짧은 DNA  |
| <b>siRNA</b>      | (작은 간섭 리보핵산) 15~30 개의 뉴클레오타이드로 이루어진 두 가닥의 짧은 RNA로서, 유전자의 단백질 정보를 갖고 있는 전령 리보핵산(messenger RNA; mRNA)에 염기서열을 특이적으로 결합한 다음, mRNA를 분해해 단백질을 만들지 못하게 하는 기능            |
| <b>miRNA</b>      | (마이크로RNA) 21개 내외의 뉴클레오타이드로 이루어진 RNA로서, 생체내에서 생물의 유전자 발현을 제어하는 역할을 수행   |
| <b>압타머</b>        | (Aptamer) 단일, 이중 나선의 형태로 이루어진 짧은 DNA 또는 RNA 구조의 물질로서, 안티센스나 siRNA와는 달리, 타겟 단백질과의 3차원적 결합을 통해 단백질의 상호작용을 억제하는 역할을 수행  |
| <b>Kynamro</b>    | 고지혈증 치료제로서, 2013년 시판승인된 안티센스 계열의 핵산치료제   |
| <b>Macugen</b>    | 황반변성 치료제로서, 2004년 시판승인된 압타머 계열의 핵산치료제  |
| <b>적응증</b>        | 어떠한 약제나 수술 따위에 의하여 치료 효과가 기대되는 병이나 증상  |
| <b>고분자촉매</b>      | 고성능 금속 촉매를 고분자에 고정화시키거나 콜로이드상으로 안정화시켜 사용하는 촉매. 고분자 촉매는 고분자 특유의 기능을 이용한 촉매인데, 높은 선택성 (목적하는 화합물이 생성되는 비율)을 가지면서 단독으로는 사용할 수 없었던 금속 촉매를 고분자와 함께 사용함으로써 사용을 가능하게 한 것 |