

IR Book | Jul. 2024

ST PHARM

Technology Driven Gene therapy CDMO
From Oligonucleotide to xRNA





PART 01

Introduction

■ 학회 참석 결과

[단위: 건]

	미팅 글로벌 기업	CDA	MTA	공급계약
BIO USA	49	9	8	-
mRNA 관련	-	8	8	-
올리고 관련	-	1	-	-
TIDES USA	43	9	-	6
올리고 관련	-	6	-	2
모노머 관련	-	3	-	4
총계	92	18	8	6

■ 파트너링 미팅 주요내용 및 글로벌 동향

1. China-free 공급망에 대한 글로벌 기업들의 높은 수요 확인

- 생물보안법의 영향으로 중국을 배제하여 안정적인 원료 공급을 희망하는 기업들 다수와 미팅
- 올리고 원료 및 중간체인 모노머에 대한 다수의 공급 계약 진행
예) 중국산 모노머의 대체 (T사), 상업화가 임박한 올리고신약 보유로 모노머/올리고 동시 공급 (N, A사 등)

※ 생물보안법 영향은 올리고/모노머를 넘어 저분자신약, mRNA로 확산

- 예) multi-billion 블럭버스터 저분자 신약의 원료 공급 논의 (G사)

2. 원료 수요량이 높은 만성질환 RNA 신약들이 상업화 단계로 발전 중

- 올리고 대량생산 능력에 대한 문의 및 안정적인 원료공급 희망
예) 동맥경화증치료제의 상업화 물량 생산 관련 논의 (E사)
치매 등 향후 주력 파이프라인에 대한 신규 프로젝트 논의 (B사)

3. RNA 편집 치료제에 대한 관심 고조

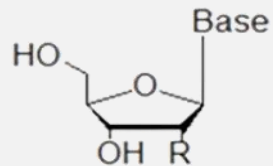
- mRNA와 함께 차세대 치료제로 주목받는 RNA 편집에 대한 높은 관심
예) RNA 편집에 사용되는 고순도 sgRNA 공급 논의 (S, I사 등)

Introduction

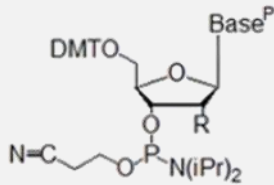
사업 영역 확장과 주요 이벤트

1986 ~ 저분자 신약 API

Nucleoside



Phosphoramidite



뉴클레오시드 계열의 항바이러스치료제 API 및
중간체 원료의약품 공급

항바이러스치료제 분야 글로벌 Top티어 CDMO

GSK (Thymidine, Zidovudine)

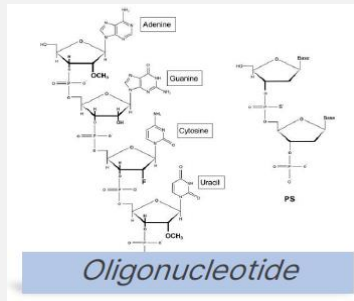
Novartis (Telbivudine)

Gilead (Sofosbuvir)

Roche, BMS 등

뉴클레오시드부터 아미다이트까지 올리고 전단계
물질 글로벌 최대 공급사

2001 ~ 올리고 신약 API



siRNA



ASO

2018

- 글로벌 최초 Pharma 컨셉 올리고 공장 완공

2022

- 고지혈증 올리고 신약 FDA PAI 실사 통과
- 저분자와 올리고 모두 FDA cGMP 인증받은
전세계 유일한 CDMO

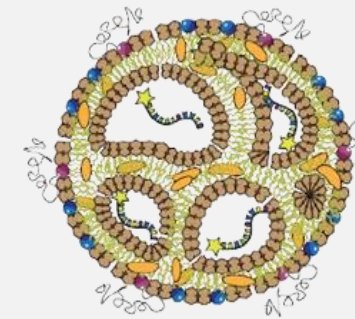
2023

- 반월 캠퍼스 FDA 정기 Site 실사 통과
- 두번째 올리고 공장 착공, '24년말 완공 예정

2024

- 단독공급 중인 혈액암 올리고 신약 FDA 승인

2018 ~ xRNA CDMO



LNP

mRNA 구조체 설계

5' capping

2021

- SmartCap® 장착 mRNA 백신 임상 시작

2022

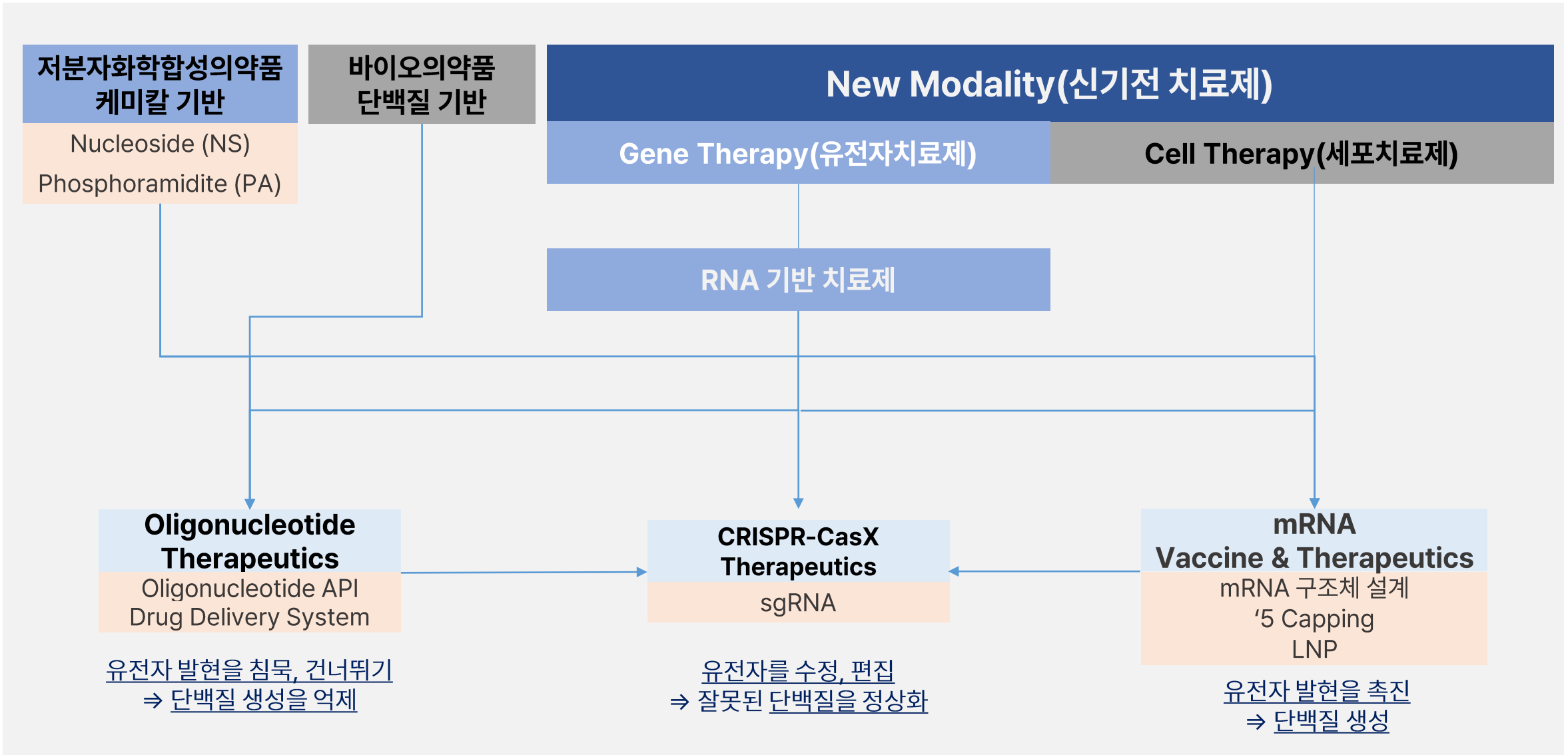
- LNP용 지질 글로벌 공급계약 체결

2023

- 최대 연간 1억도즈 규모 상업화 mRNA 원액
생산설비 완공
- SmartCap® 글로벌특허 출원(PCT)

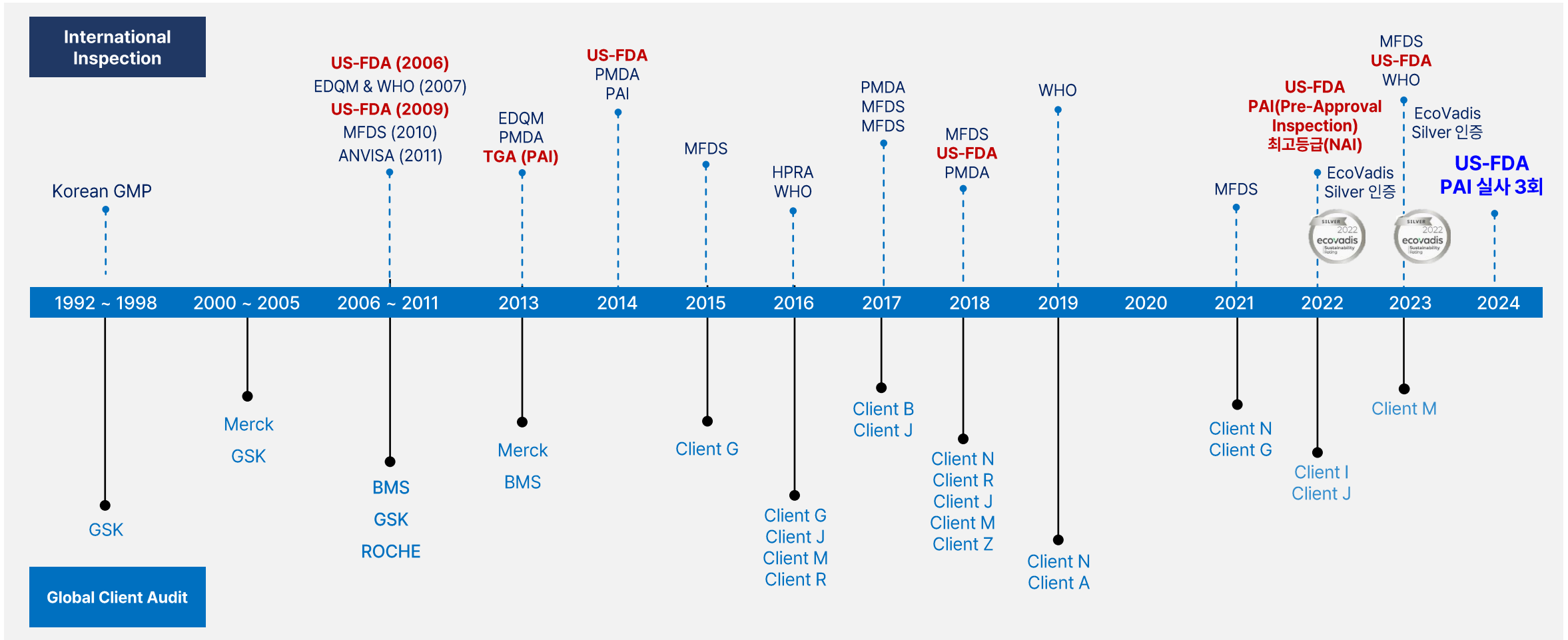
2024

- STLNP® 글로벌 특허 출원(PCT)
- STP2104 임상1상 최종결과 발표 예정



Introduction

글로벌 실사 및 cGMP 인증



Successfully Inspected by





PART 02

Market Overview



Overview

RNA 치료제는 1세대 저분자화합물, 2세대 항체치료제의 한계를 뛰어넘는 3세대 치료제로, 질병의 원인이 되는 단백질의 생성을 차단함으로써 근원적인 치료 가능
DNA 중 mRNA 전사로 단백질이 되는 것은 3%에 불과, 나머지 97%는 RNA로 전사됨
RNA 기능의 대부분이 미규명 ▶ 질병과의 관련 등 치료제 개발의 무궁무진한 가능성

RNA 기반 치료제

- 유전자치료제 하위 개념으로 유전 정보 전달에 관여하는 RNA를 이용한 약물
- 작용 기전: 질병 유발 단백질을 사전에 차단 또는 발현 조절
 - 유형: Anti-sense (ASO), siRNA, miRNA 등
 - 대표 약물: 1. Spinraza (Ionis / Biogen) 척수성근위축증 (연매출 약 2조)
2. Leqvio (Alylam / Novartis) 유전성 고지혈증

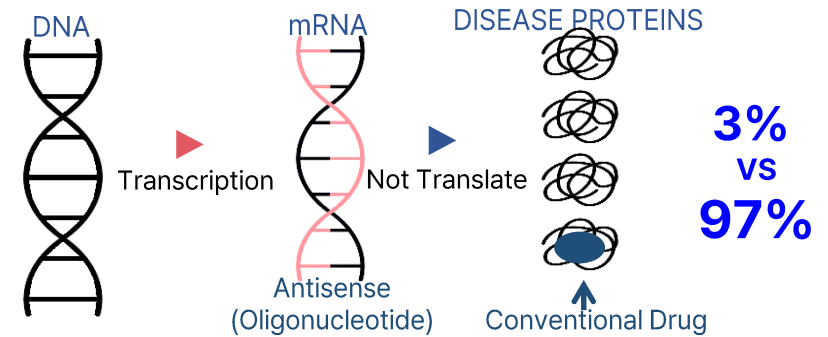
RNA 기반 치료제 특성

강점: 질병 (표적 단백질)에 대한 선택성이 높음
신속한 개발 (간단한 약물 디자인) ▶ 전임상 과정 2년 이내
내성 거의 없음 (단백질 상호작용 없음) ▶ 기존 치료제 단점 극복
피하주사, 약물 지속성 우수 ▶ Leqvio 2회/연, Repatha 1-2회/월
항체 대비 경제성 ▶ Leqvio \$4,000 이하, Repatha \$5,850

약점: 조직 (표적 장기)에 대한 선택성이 낮음, 간, 뇌 이외 장기로 잘 못 감
▶ LNP 등 다양한 전달기술 개발 (폐)
경구, 점안 등 투약방법 개선으로 표적장기 확대 (위장, 안과)
Avidity社 AOC (Antibody oligonucleotide conjugates)
대량생산 난이도 높음, 전문가 부족 ⇒ 소수의 CDMO 과점, Shortage

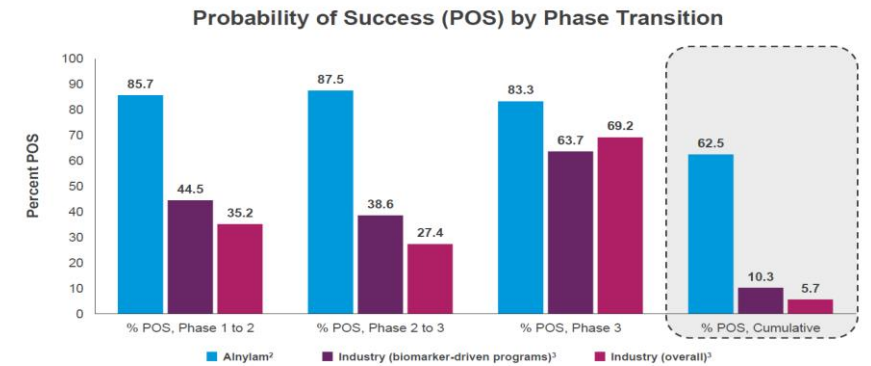
중심원리(Central dogma)와 비번역 DNA

RNA 기반 치료제 (예. ASO) 작용 원리



Alylam 자체 siRNA 임상 성공률: 62.5%

High-Yield Productivity of Alylam RNAi Therapeutics Platform
Comparison of Historical Industry Metrics to Alylam Portfolio¹



¹ Analysis as of December 2020. Past rates of Alylam and industry respectively may not be predictive of the future.
² Alylam programs biomarker-driven at all stages of development (100%); figures include ALNY-originated molecules now being developed by partners.
³ Wong et al., *BioStatistics* (2019) 20, 2, pp. 273-286

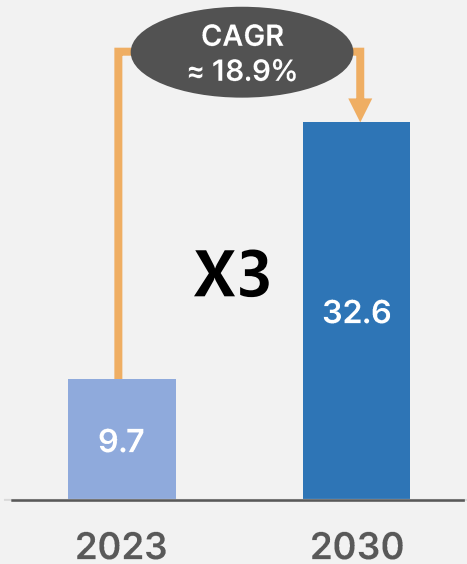
[출처 : Alylam]



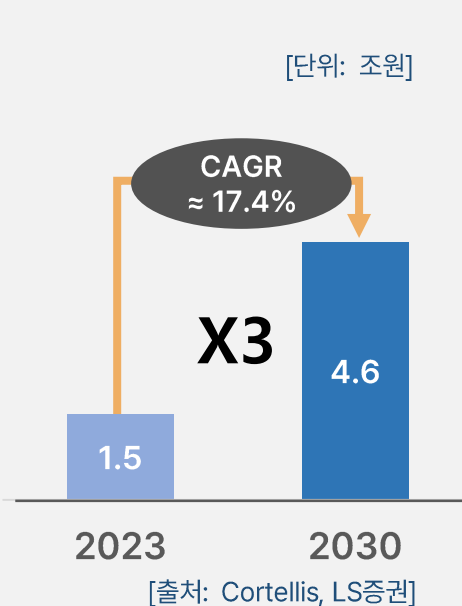
■ 올리고핵산치료제 시장 본격 개화

- 항체 등 기존 치료제로 적용할 수 없는 난치성 유전질환 중심으로 개발 시작
- 전달기술 향상으로 타겟 장기 확대 (Gal-Nac : 간, C16 : 뇌, 중추신경계)
- 컨쥬게이션 기술 향상으로 다양한 치료제와 조합, 전달기술 향상 (올리고+항체, 올리고+지방산, 올리고+mRNA, 올리고+올리고 등)

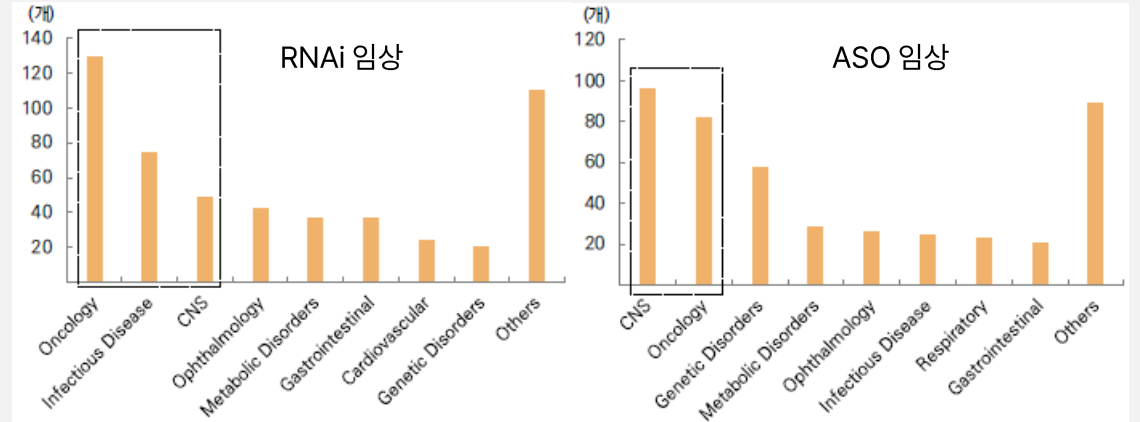
글로벌 올리고핵산치료제 시장규모



글로벌 올리고 CDMO 시장규모

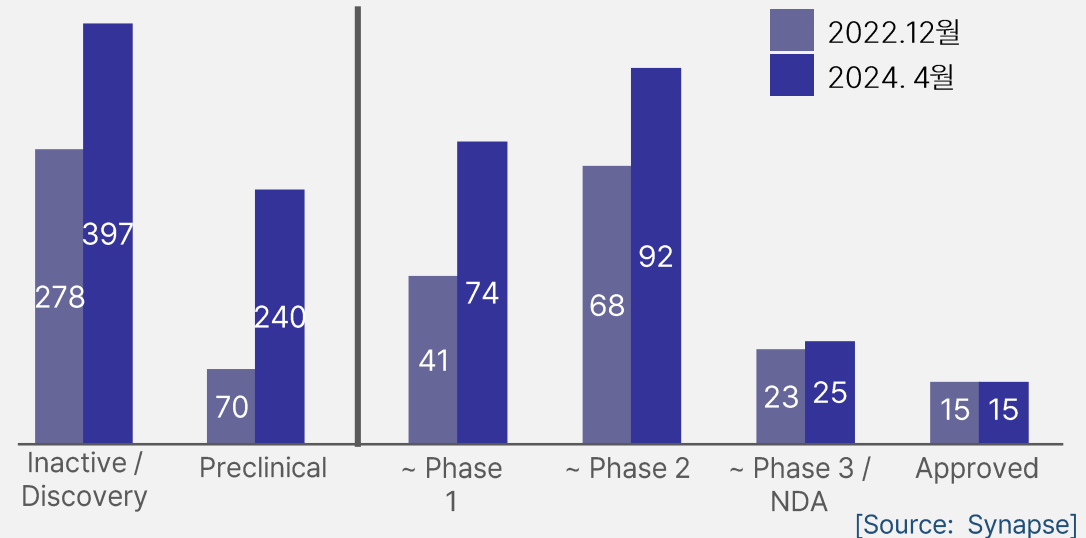


■ 희귀질환 환자수가 많은 만성질환 및 항암제로 개발 확대



[Source: Mirae Asset Securities, Globaldata(2022)]

■ 개발중인 올리고 신약 (ASO + RNAi)





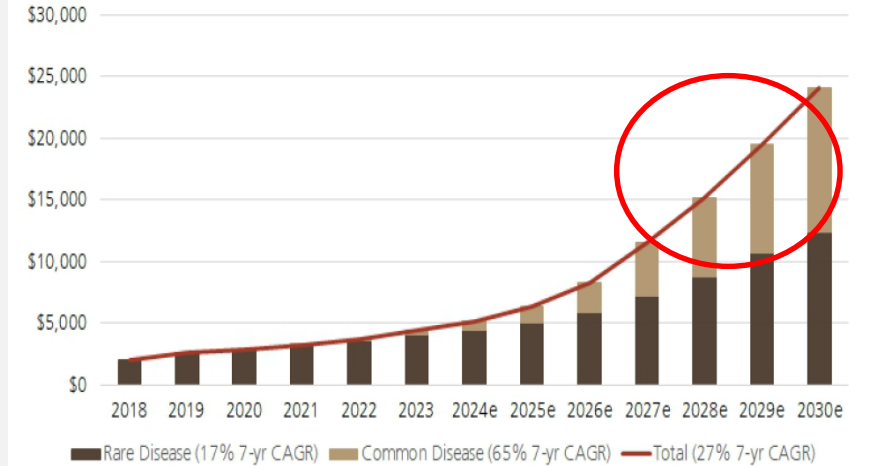
■ 만성질환 올리고 신약 파이프라인으로 추정된 올리고 API 수요량

미국, 유럽, 일본, 중국 등 주요시장 내 환자 수의 10 ~ 20% 적용

회사명	치료제	적응증	임상단계	1회 용량 (mg)	연간 투여 횟수	연간 타겟 환자(명)	연간 소요량(kg)	상업화 예상 시기
Ionis	Pelacarsen	동맥경화증	P3	80	12/yr	1,000,000	960	2026 ~
	Olezarsen	심혈관질환(TG)	P3	50	12/yr	1,000,300	600	2026 ~
	Bepirovirsen	B형간염	P3	300	6/yr	1,000,000	1,800	2027 ~
	IONIS-AGT-Lrx	고혈압	P2	80	8/yr	540,675	346	-
	ION449 (AZD-8223)	고지혈증	P2	120	2/yr	1,380,000	497	-
	ION224	MASH	P2	80	12/yr	640,000	614	-
	IONIS-MAPT _{rx}	치매(Tau)	P2	100	4/yr	1,500,000	600	-
Alnylam	Inclisiran	고지혈증 + 심혈관질환	Approved	300	2/yr	1,380,000	828	2027~ (심혈관)
	Zilebesiran	고혈압	P3	600	2/yr	1,000,000	1,200	2028 ~
	ALN-HBV02	B형간염	P2	600	2/yr	500,000	200	-
Dicerna	DCR-HBVS (RG-6346)	B형간염	P2	360	4/yr	500,000	720	-
Arrowhead	ARO-ANG3	고지혈증	P2	200	2/yr	1,380,000	552	-
	ARO-HSD	MASH	P2	200	2/yr	1,000,000	400	-
	JNJ-3989	B형간염	P2	400	3/yr	500,000	600	-
	Olpasiran	심혈관질환	P2	200	4/yr	1,000,000	800	-

[출처: 삼성증권 (2021), UBS증권 (2024) / 각 회사 홈페이지/ NIH-ClinicalTrials]

Figure 6: Summary Oligonucleotide Revenue Estimates (\$M)



Source: Company Data, Visible Alpha (Street Consensus Estimates), UBS; Note: Unapproved Asset Revenues Are Probability of Success Adjusted, Data as of 6/10/2024; Aggregates by Fiscal Year

- '24~'30년 간 올리고 신약 매출 CAGR 27% 전망
그 중 **대량생산이 필요한 만성질환 CAGR 65%**
- **'18~'23년 간 에스티팜 올리고 매출 CAGR 64%**
- 향후 3년 내 상업화가 예상되는 임상3상 이후 품목 5개의 올리고 API 수요량, **5톤/연**

Market



mRNA 백신 및 치료제 CDMO 시장

Overview

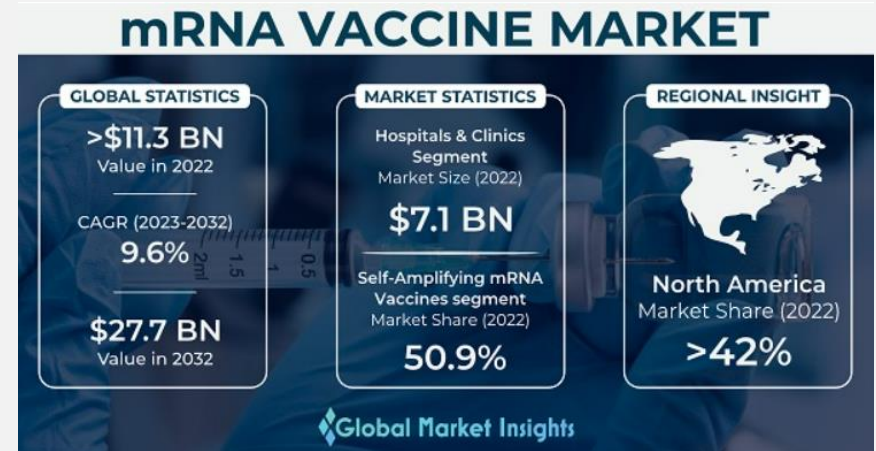
- COVID-19 mRNA 백신의 짧은 개발 기간과 신속한 허가로
범용적인 mRNA 의약품 개발 증가 및 대량생산이 가능해짐
('21년 매출 60조원)

mRNA 백신 시장 전망

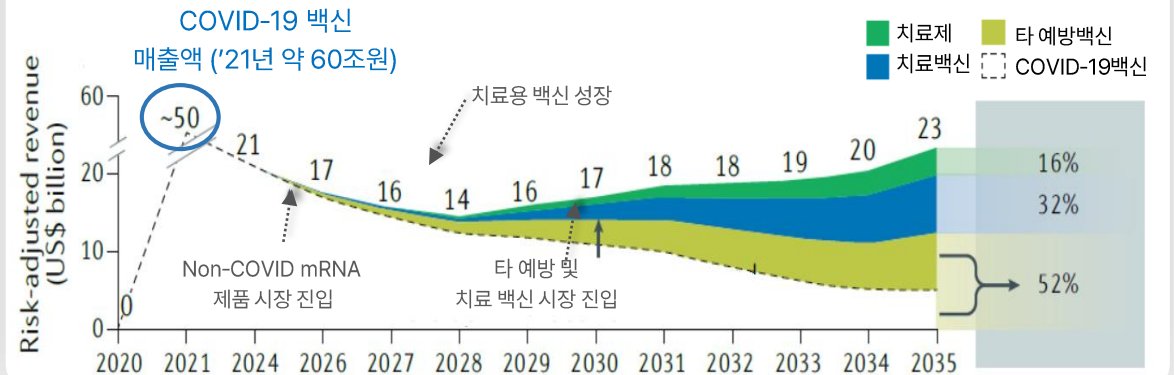
- 글로벌 mRNA 백신 및 치료제 시장 규모
2022년 14조원 ▶ 2032년 36조원 전망 (Global Market Insight)

mRNA 기반 치료제 / 약물 특성

- 안전성/유효성 : 비 감염성, 높은 표적 단백질 선택성
 - ▶ 핵막 투과 불필요 / 유전자 변형 가능성 낮음
- 생산성/신속성 : ▶ 빠른 Scale-up 가능
- 치료제 확장 가능성(Platform 형태)
 - ▶ 항체 의약품 및 유전자 치료제 대체 가능



mRNA 백신 및 치료제의 글로벌 매출 추정 (위험 조정)

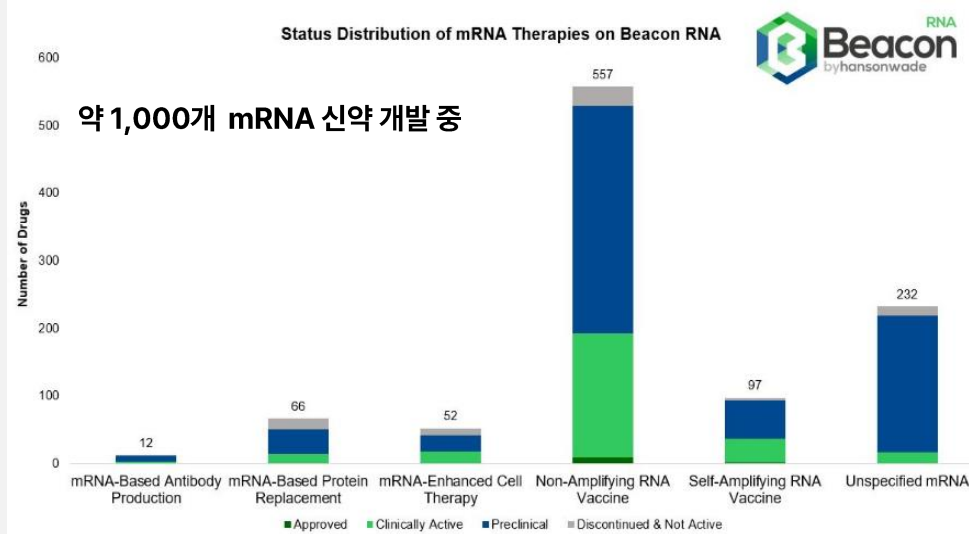




■ 기술융합 + 전달기술 향상 ▶ 타겟 장기 확대, 희귀질환에서 만성질환을 넘어 항암제로 빠르게 확장 중

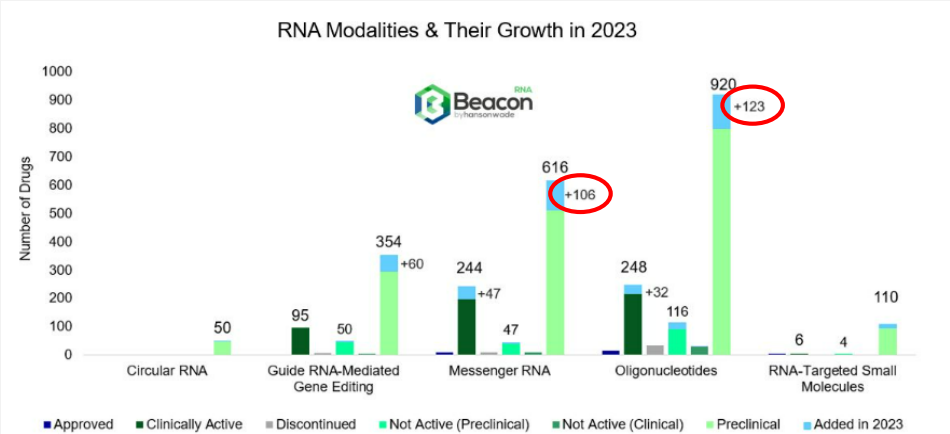
■ '23년 RNA 기반 치료제 개발 동향

- 모든 단계에 걸쳐 3,150개 이상의 RNA 치료제가 개발 중
- 52%가 2022년 초부터 개발 시작, '23년 한해 RNA 신약 229개 증가 (올리고 +123개, mRNA +106개)
- 1,000개 이상의 mRNA 신약 개발 중 (감염 433개, 항암 301개 등)
- 항암 올리고 신약: 임상 중 198개 등 총 250개 (폐암>림프종>췌장암)
- 항암 mRNA 신약: 임상시작 129개 등 총 193개 (폐암>피부암>췌장암)

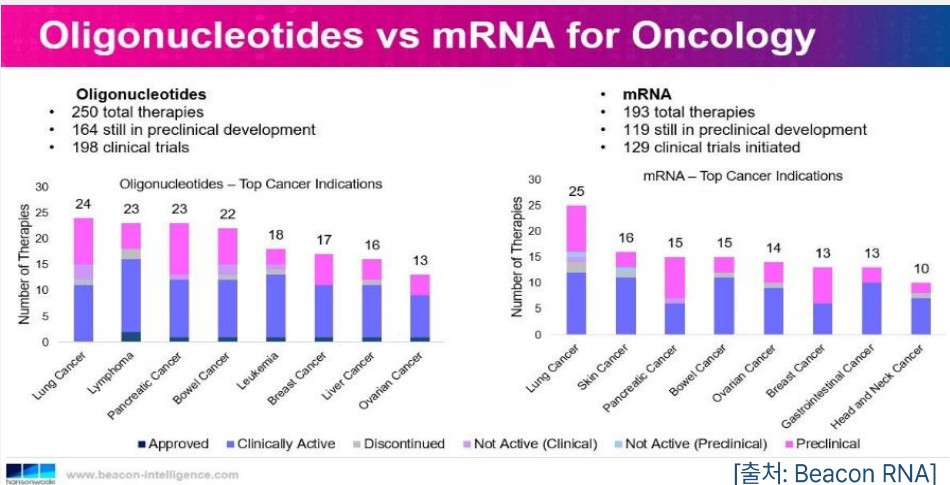


[출처: Beacon RNA]

2023년 올리고 및 mRNA 신약 후보물질 123개, 106개 증가



올리고 및 mRNA 신약은 항암제로 빠르게 확장 중



[출처: Beacon RNA]



■ Novartis

- 주요 심혈관질환 신약 3개 중 2개가 올리고 신약 (Leqvio, Pelacarsen)
- '23.7, 지방산+올리고 결합 플랫폼기술을 가진 DTx 파마 10억달러에 인수
- '23.8, 아이오니스와 심혈관질환 안티센스 올리고 신약 공동개발 협약 체결
- '24.1, 아르고와 41억달러 규모 RNAi 기반 심혈관치료제 공동개발 협약 체결
- '24.4, Leqvio의 ASCVD 환자 대상 긍정적인 효과 입증 (4.6. ACC 발표)

■ Roche

- '19.10, Dicerna로부터 만성B형간염 siRNA 올리고 신약을 17억달러에 L/I
- '23.7, 엘나일남으로부터 고혈압치료제 Zilebesiran을 3조 6천억원에 L/I
- '23.9, 아이오니스와 ASO 기반 알츠하이머와 헌팅턴병 치료제 공동개발 협약
- '24.1, Remix Therapeutics와 RNA-타겟팅 알약 개발 협력 발표
- '24.6, Ascidian과 18억달러 규모 RNA 엑손 편집치료제 개발 제휴

■ GSK

- '22.12, Wave와 1억 7천만달러 규모 올리고 신약 연구개발 협약 체결
- '23.2, 세포 및 유전자편집 치료제에 투자 중단 발표, 올리고 신약 개발 전략 제시
- '23.7, Elsie 바이오테크놀로지의 핵산 인코딩 기술 L/I, 올리고 신약 개발 확대
- '23.11, J&J의 만성B형간염치료제 JNJ-3989를 10억달러에 L/I
- '24.7, CureVac 의 mRNA 백신 후보물질 2개를 2.1조원에 L/I

■ Novo Nordisk

- '21년 연차보고서에서 모든 연구개발 분야에서 RNAi 플랫폼 적용 계획 발표
- '21.11, GalXC라는 전달기술을 가진 Dicerna를 33억달러에 인수
- '23.7, 핵산 인코딩 기술을 보유한 Eleven Therapeutics와 파트너십 계약 체결
- '23.10, 신장 질환 siRNA 치료제 nedosiran 치료제 FDA 허가
- '24.3, microRNA/ASO 기반 치료제 개발회사 Cardior Pharma. €10억에 인수

■ Lilly

- '19.4, Avidity와 AOC(항체+올리고) 기반 6천억원 규모 면역치료제 개발 협약
- '21.5, MiNA Therapeutics와 saRNA 플랫폼 공동연구개발 협약 체결
- '22.2, RNA 및 DNA 연구 전용 R&D 센터 건설에 7억달러 투자
- '22.12, ProQR과 37억 5천만달러 규모의 RNA 편집 치료제 개발협약 체결
- '24.6, 큐알리스와 5억 8천만달러 규모 신계열 ASO ALS, 치매치료제 개발 협약

■ Pfizer

- '22.1, RNA 염기편집 선두주자인 Beam과 mRNA 신약 개발 파트너십 계약 체결
- '22.1, CodexDNA와 4,700억원 규모 RNA 합성 연구개발 협약 체결
- '23.9, Ginko와 4,500억원 규모 RNA 기반 치료제 공동개발 협약 체결



PART 03

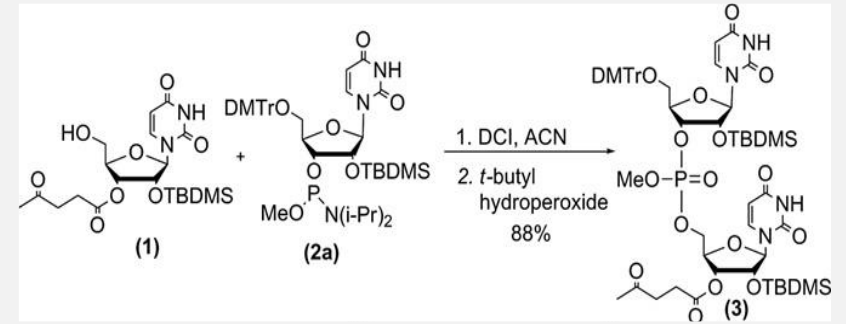
Business Overview



■ Dimer Blocks을 활용한 올리고 합성

- Dimer 제조 후 올리고를 합성하는 고유한 특허기술 보유
- 일반적인 monomer PA 대신 6개의 dimer PA를 사용한 결과 합성 순도 11~13% 상승
- 순도가 높아 (불순물 저하) 정제 수율 향상, 최종 공정시간 단축

⇒ 경쟁사 대비 대량생산에 유리



[다이머 블록 합성 사례]

■ Monomer 및 Dimer 합성법의 수율 비교 논문 예시

Synthesis of oligonucleotides via monomer and block coupling

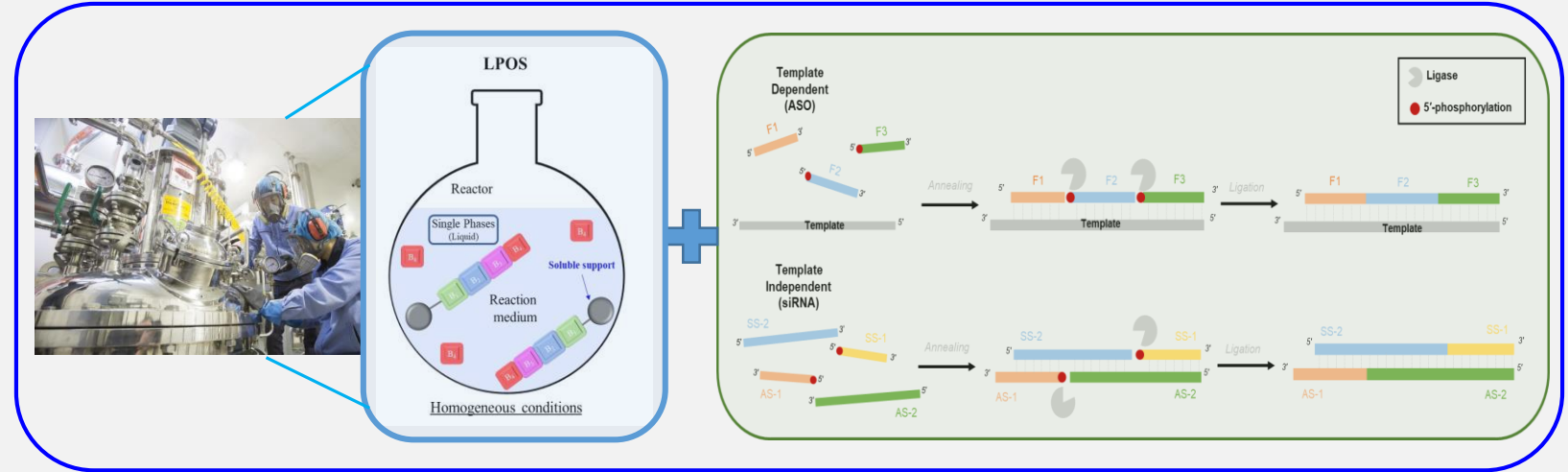
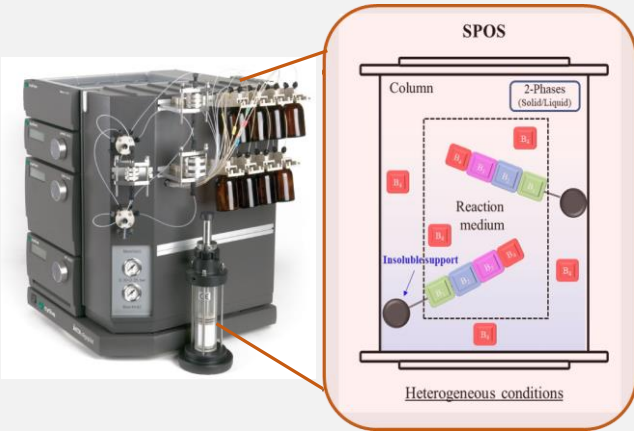
Entry	Oligomer 5'-to-3'	Amidite	Concd (M)	# of couplings	Time (min)	Coupling efficiency (%)	Yield ^a (%)
I	(rU) ₁₈ dT	rU (2a)	0.10	18	10	98.5	76.5
II	(rU) ₁₈ dT	rU (2a)	0.15	18	20	98.7	80.1
III	(rU) ₁₈ dT	rUU (9a)	0.10	9	10	97.2	77.8
IV	(rU) ₁₈ dT	rUU (9a)	0.15	9	20	98.3	85.9
V	(rU) ₁₈ dT	rUUU (14a)	0.10	6	10	86.5	41.8
VI	(rAAUU) ₄ dTdT	rUUU (14a)	0.15	6	20	97.2	84.7
VII	(rAAUU) ₄ dTdT	rU (2a), rA (2b)	0.15	16	20	98.0	72.5
VIII	(rAAUU) ₄ dTdT	rUU (9a), rAA (9b)	0.15	8	20	98.5	88.8

- Monomer
- Dimer Block
- Trimer Block

[출처 : "RNA synthesis via dimer and trimer phosphoramidite block coupling", Tetrahedron Letters]



■ LPOS와 효소 합성기술의 결합



■ LPOS(Liquid Phase Oligonucleotide Synthesis)

- 유기용매에 용해되는 새로운 지지체를 활용하여 저분자 화학합성과 유사한 공정으로 올리고를 합성
- **기존 SPOS 에 비해 대량생산에 적합 (배치 사이즈 10배 이상)**
- **기존의 일반 화학합성 반응기를 사용하므로 시설투자 비용 절감**
- 공정 시 관찰 가능하여 최적화 연구 및 품질 관리에 용이
- 유기용매 사용을 줄여 친환경 공정 확립에 유리
- **일본 F사로부터 글로벌 독점 사용 계약 체결**

■ Enzymatic Synthesis of oligonucleotides (Ligation)

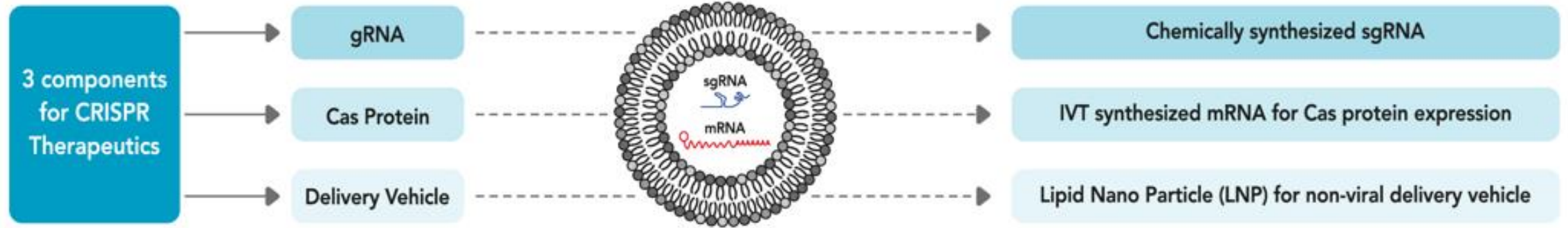
- 올리고 수요 증가에 대비하여 효소 기반 올리고 대량생산 기술에 관심
- 기존 SPOS에 비해 효소 합성법은 정제가 상대적으로 쉽고, 비교적 온화한 합성 조건(상온, 중성)에서 높은 합성효율을 보임
- 유기용매 대신 물을 사용하므로 환경친화적
- **에스티팜은 효소치환 기술을 사용해 수십톤 이상의 모노머 생산 경험**
- **현재 글로벌제약사 2곳과 공동연구 협의중**

Technology

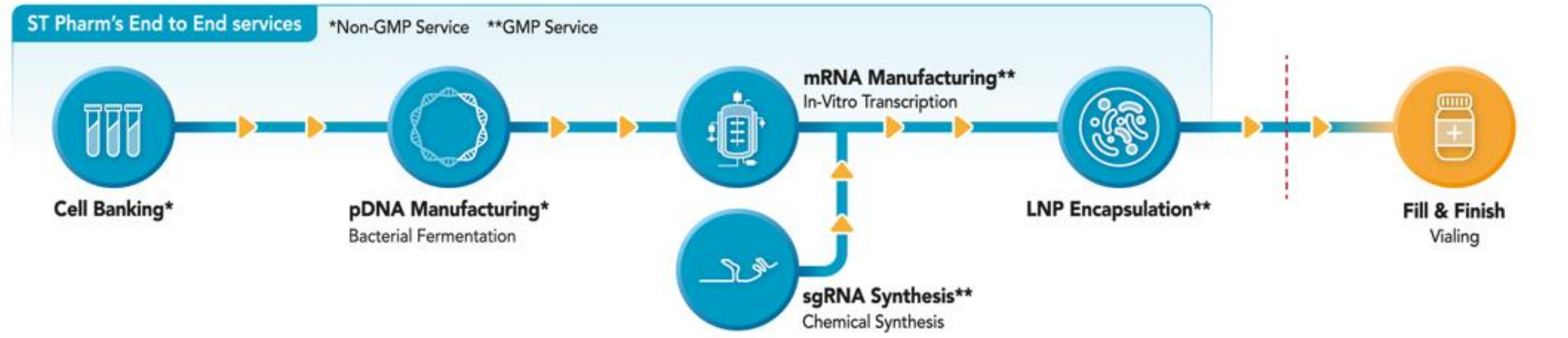


올리고 CDMO 경쟁력 - RNA 유전자편집으로 기술확장

- CRISPR 유전자편집 치료제의 3가지 핵심기술 모두를 보유



- 에스티팜의 sgRNA(single guide RNA) 플랫폼

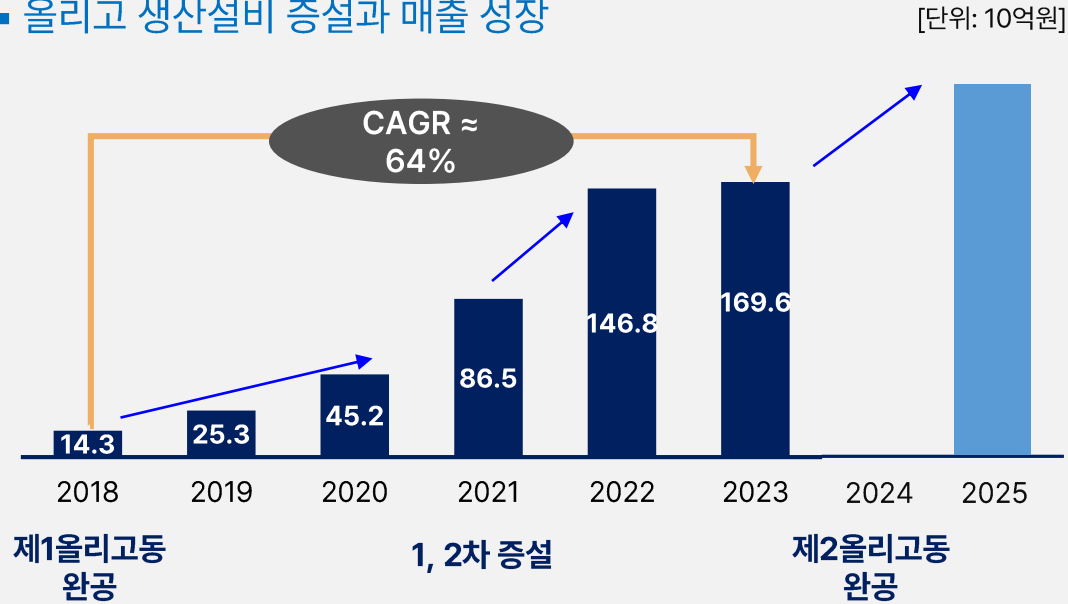




■ 올리고 CDMO로서의 핵심 경쟁력

- Global 3 위 내 Oligo CDMO 역량 (생산능력 6.4mol)
- 다이머 특허 기술로 경쟁사 대비 높은 생산 수율, 대량생산에 최적화
- Global 유일의 Monomer / Oligo 연속 GMP생산 시스템
중간마진 없는 가격 경쟁력, 품질의 균일성, 안정적인 공급 가능
- Global 최초 Pharma 컨셉 수준의 cGMP Oligo 공장
- 저분자신약 원료와 올리고 모두 FDA cGMP 인증을 받은 유일한 기업

■ 올리고 생산설비 증설과 매출 성장



■ 3년 내 상업화 파이프라인 10개 이상, (총 20~30개 파이프라인)

No.	고객사	적응증	임상 단계			
			P1	P2	P3	승인
1	A	고지혈증				
2	B	척수성근위축증				
3	C	MDS (골수이형성증후군)				'24.6.6 승인
		MF (골수섬유증)		↳ 적응증 확장		
4	D	FCS (가족성킬로미크론혈증)				'24.12.19 승인 예상
		중증 고지혈증		↳ 적응증 확장		
5	D	유전성혈관부종				'25.1H 승인 예상
6	A	동맥경화증				'25.2H NDA Filing 예상
7	E	만성B형간염				
8	G	황반변성				
9	G	사구체신염		↳ 적응증 확장		
10	G	만성B형간염				

■ 대량생산 경험, 생산 최적화로 생산 수율 및 효율성 증가

	2021	2023
배치당 수율	N배치 생산 시 = 43kg	N배치 생산 시 = 54kg (25% ▲)
생산기간	N배치 생산 시 = 27 Days	N배치 생산 시 = 19 Days (29% ▼)

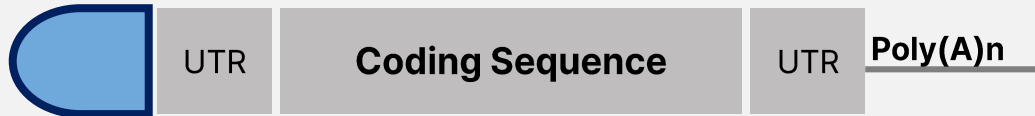


SmartCap®

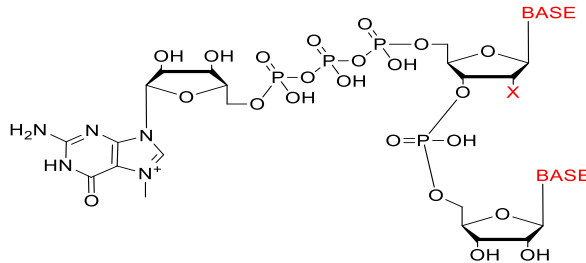
- '20.10 국내 특허등록, '23.5 글로벌 특허 (PCT) 출원 완료
- 다양한 리보스와 염기 조합으로 30종 이상의 유형 보유, 경쟁사 4종
- '23.11 TIDES 유럽학회에서 분말/용액 실온 12개월 안정성데이터 발표
- mRNA 백신 STP2104 임상1상 중간결과로 높은 면역원성 확인

mRNA 생산설비

- 상업화 스케일: 100 ~ 120g/월, (3,500만 ~ 1억 도즈/연)
- LNP용 지질 2종: 연간 톤 규모 이상 생산 가능

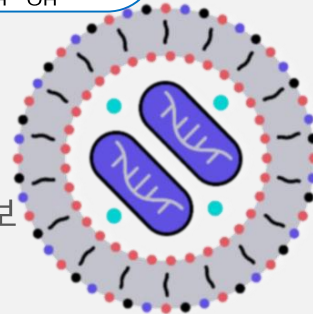


Capping
(SmartCap®)



STLNPN®

- '24.1 글로벌 특허 (PCT) 출원 완료
- 이혁진 교수 연구팀과 차세대 LNP 공동 개발, 특허권 100% 확보



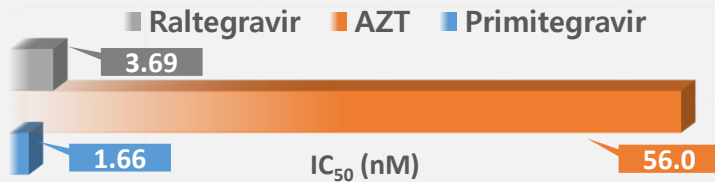


PART 04

Pipeline



항바이러스 효과 (MT-4 세포주)



내성이 발생한 HIV에 대한 항바이러스 효과

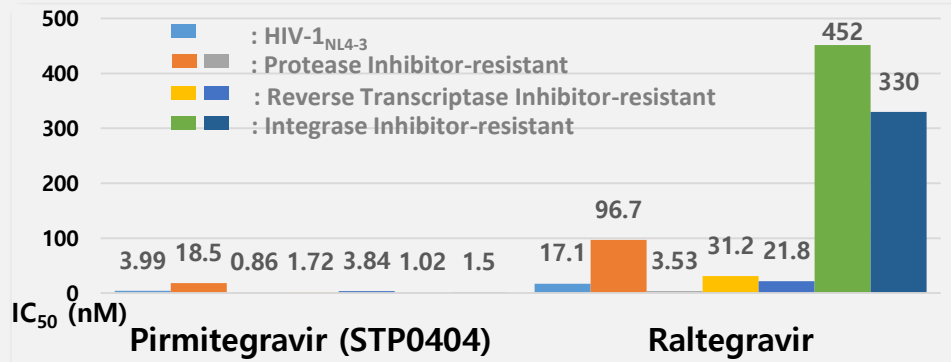


Table 3. Antiviral activity in Raltegravir-resistant strains

Compounds	Average IC ₅₀ (range, nM)	
	PBMC	MT-4
STP0404	0.08 (0.02~0.22)	2.49 (0.95~3.48)
Zidovubine	7.96 (0.22~20.7)	37.94 (29.7~57.8)
Raltegravir	1,227.70 (12.5~3,038)	2525 (351~4,322)
Elvitegravir	-	2751.5 (276~10,000)
Dolutegravir	-	4.57 (3.07~8.54)

RAL-resistant strains: 4736_2, 4736_4, 8070_1, 8070_2, 1866_1

- ❖ 단독투여 만으로도 경쟁약물 대비 2 ~ 33배 높은 항바이러스 효능 확인

- ❖ HIV-1에 대한 높은 안전성 확인

치료지수 (TI, Therapeutic Index):

- STP0404 >6,020, 라테그라비르 >2,710

- ❖ 기존 에이즈치료제들은 HIV 활동을 누르는 억제제

- ❖ 만성질환화, 10년 이상 새로운 기전의 신약 부재

- ❖ 내성이 발생한 HIV에 대해서도 라테그라비르 대비 4 ~ 400배 이상 높은 항바이러스 효능 확인

- ❖ 대표적인 인테그라제 억제제

- 라테그라비르, 엘비테그라비르, 돌루테그라비르

- ❖ 경쟁약물 '22년 글로벌 매출

- 돌루테그라비르 (GSK 티비케이) 약 2.3조원

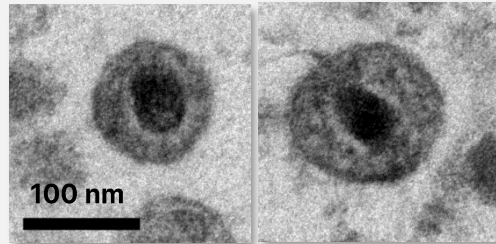
- 엘비테그라비르 (길리어드 젠보아) 약 3.2조원

- 라테그라비르 (MSD 이센트리스) 약 0.8조원

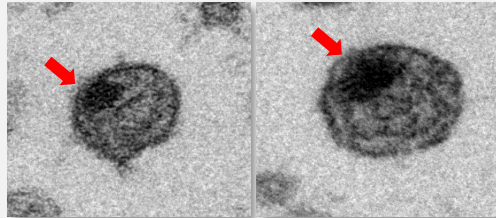


STP0404의 신규 MOA(작용 메커니즘)

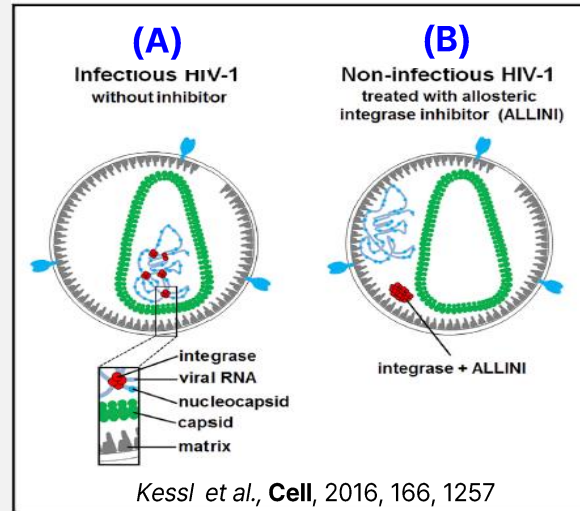
처치 없음 (A)



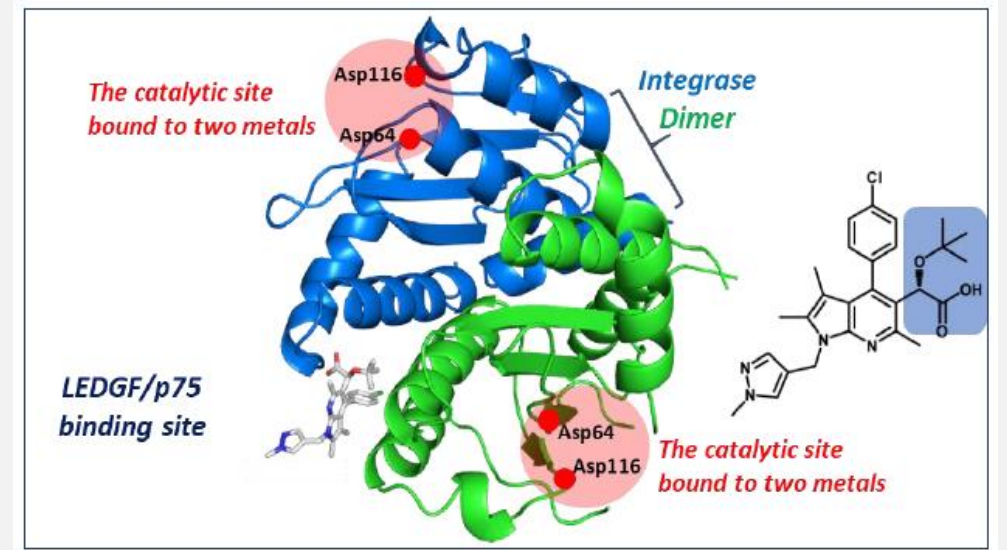
STP0404 0.2 마이크로몰 (μM) 투여 (B)



TEM study in Emory Univ.



STP0404의 X-ray 결정 구조



- 미국 콜로라도 대학 M. Kvaratskhelia 교수가 ALLINI (Allosteric integrase inhibitor)의 신규 작용 메커니즘을 발견, '16년 발표
- 인테그라제 효소는 에이즈 바이러스의 RNA를 숙주 세포에 전달하여 통합하는 것을 촉진하며, virion화 (숙주세포가 완전히 감염되어 외막으로 보호받고 있는 상태) 핵심 역할 (A)
- ALLINI는 인테그라제 효소가 바이러스의 RNA와 결합하는 것을 억제하여 인테그라제 효소의 비정상적인 올리고머화를 촉진하며, 바이러스 RNA의 불국소화 (정위치 상실, mislocalization)를 유도함 (B)
- STP0404 투여 (B)는 에이즈 바이러스의 RNA를 바이러스를 보호하는 외막인 캡시드 밖으로 유도하여 비감염성 편심 입자를 형성함
- New MOA for HIV-cure as "maturation inhibitor" - "Divide and Conquer", not 'Shock & Kill' or 'Block & Lock'
- ALLINI 신규 메커니즘 규명을 위해 '18년 미국 국립보건원 (NIH) 연구 지원 과제로 선정, 에모리 대학, 콜로라도 대학과 공동연구 진행 중



■ 학술논문 게재 및 학회 발표

- '23.12.18 외신 뉴스에 2024년 주목해야 할 HIV 치료제 임상 3건에 포함

PLOS PATHOGENS

July, 2021

RESEARCH ARTICLE

A highly potent and safe pyrrolopyridine-based allosteric HIV-1 integrase inhibitor targeting host LEDGF/p75-integrase interaction site

Tatsuya Maehigashi^{1*}, Seohyun Ahn^{2*}, Uk-II Kim^{2*}, Jared Lindenberger^{2*}, Adrian Oo^{1*}, Pratibha C. Koneru², Bijan Mahboubi¹, Alan N. Engelman^{4,5}, Mamuka Kvaratskhelia^{3*}, Kyungjin Kim^{2*}, Baek Kim^{1,4*}



The Drug-Induced Interface That Drives HIV-1 Integrase Hypermultimerization and Loss of Function

Matthew R. Singer,^a Tung Dinh,^b Lev Levintov,^c Arun S. Annamalai,^b Juan S. Rey,^c Lorenzo Briganti,^b Niclan A. Taylor,^d Kyungjin Kim,^e Alan N. Engelman,^{f,g} Baek Kim,^{h,i} Juan R. Perilla,^c Mamuka Kvaratskhe

Features |

HIV: Three trials to watch in 2024

After a pivotal vaccine trial failed earlier this year, research into treatment and prevention of HIV continues to be vital.

Abigail Beaney | December 18, 2023

Share this article



Longer-acting, less resistant treatment is needed in HIV

ST Pharm's Pirmitegravir is a first-in-class potent HIV-1 allosteric integrase inhibitor (ALLINI) that targets the noncatalytic sites of the viral integrase and interferes with the integrase-viral RNA interaction during viral maturation.

The novel MoA could help in the fight against resistance and could be longer lasting than current therapies which would improve the quality of life for HIV patients.

The Phase IIa, randomised, double-blinded, placebo-controlled, study (NCT05869643) is investigating the antiviral effect, safety, tolerability, and pharmacokinetics of pirmitegravir in treatment-naïve adults.

"This was the first therapy with an ALLINI mechanism of action to reach clinical development," Chisholm says. "In Phase I, pirmitegravir was shown to be well tolerated with a consistent pharmacokinetic profile supporting once-daily dosing. With Phase II data eagerly anticipated, pirmitegravir will be one to watch in 2024."

RETROINTEGRATION 2023

7th INTERNATIONAL CONFERENCE ON RETROVIRAL INTEGRATION

July 31 – August 4, 2023, Boulder, Colorado, USA

SESSION 4:

East End/West End Conference Room
HIV-1 INTEGRASE INHIBITORS AND NOVEL ANTIRETROVIRAL COMPOUNDS

Chairperson: **Daniel Adu-Ampratwum, The Ohio State University**

8:00 AM – 10:00 AM

Kyungjin Peter Kim
ST PHARM, Seoul, Republic of Korea.
The Fellowship of the Ring: Quest to develop Pirmitegravir, a novel potent and safe HIV-1 allosteric integrase inhibitor (ALLINI).

38

Discovery and development of novel pyrrolopyridine derivatives as a highly potent and safe allosteric HIV-1 integrase inhibitor

Uk-II Kim¹, Ill Young L

¹ ST PHARM, New Drug Innovation, Seoul, Republic of Korea
* Corresponding Author

The Nonclinical & Clinical Development of a Novel HIV-1 Integrase Inhibitor, Pirmitegravir

Xue Meng¹, Uk-II Kim¹, Baek Kim^{2,3}, Kyungjin Kim^{1*}

¹ ST PHARM, New Drug Innovation, Seoul, Republic of Korea, School of Medicine, Department of Pediatrics, Children's Healthcare of Atlanta, Center for Drug Disc States
* Corresponding Author

Thank You

ST PHARM

Technology-Driven Gene therapy CDMO
From Oligonucleotide to xRNA

