



Technology-Driven Gene Therapy CDMO Business : From Oligonucleotide to mRNA

KOREA BIO INVESTMENT CONFERENCE 2021

대표자

김경진 (KIM KYUNGJIN)

사업장 주소

서울특별시 강남구 테헤란로 78길 12

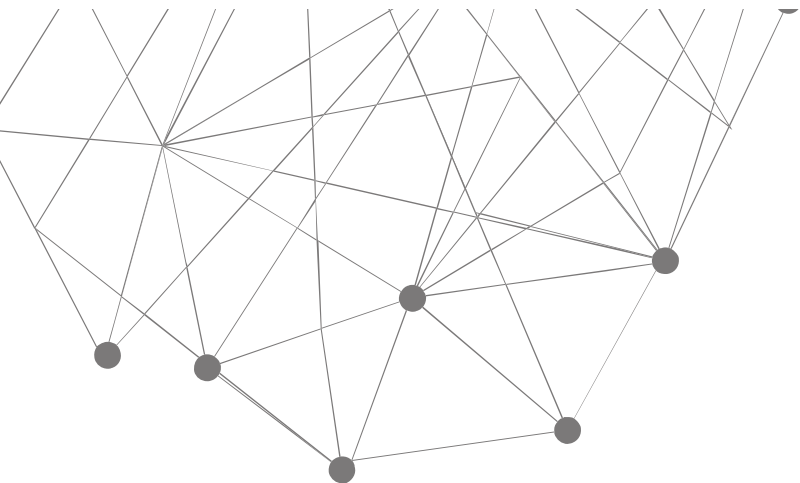
상장/비상장

KOSDAQ 237690

주요사업

원료의약품 제조, 신약개발

INDEX



01

Company

- Dong-A Socio Group
- STPHARM Business
- Affiliates
- History
- Global Approval

02

Business

- CDMO Business
- mRNA Business
- Virtual R&D
- CRO Business
- RNA R&D Center

03

Financial figures

- Earnings Figures



- 3 companies • listed in Public
- 5,000 people in the Group
- 678 in ST PHARM

Healthcare

Non-Healthcare

ST PHARM
API CDMO/CMO/CRO
New Drug Development

Dong-A ST
Prescription Drugs
New Drug Development

DM BIO
Biosimilar
Dong-A and Meiji JVC

**Dong-A
PHARMACEUTICAL**
Over-the-counter Drugs

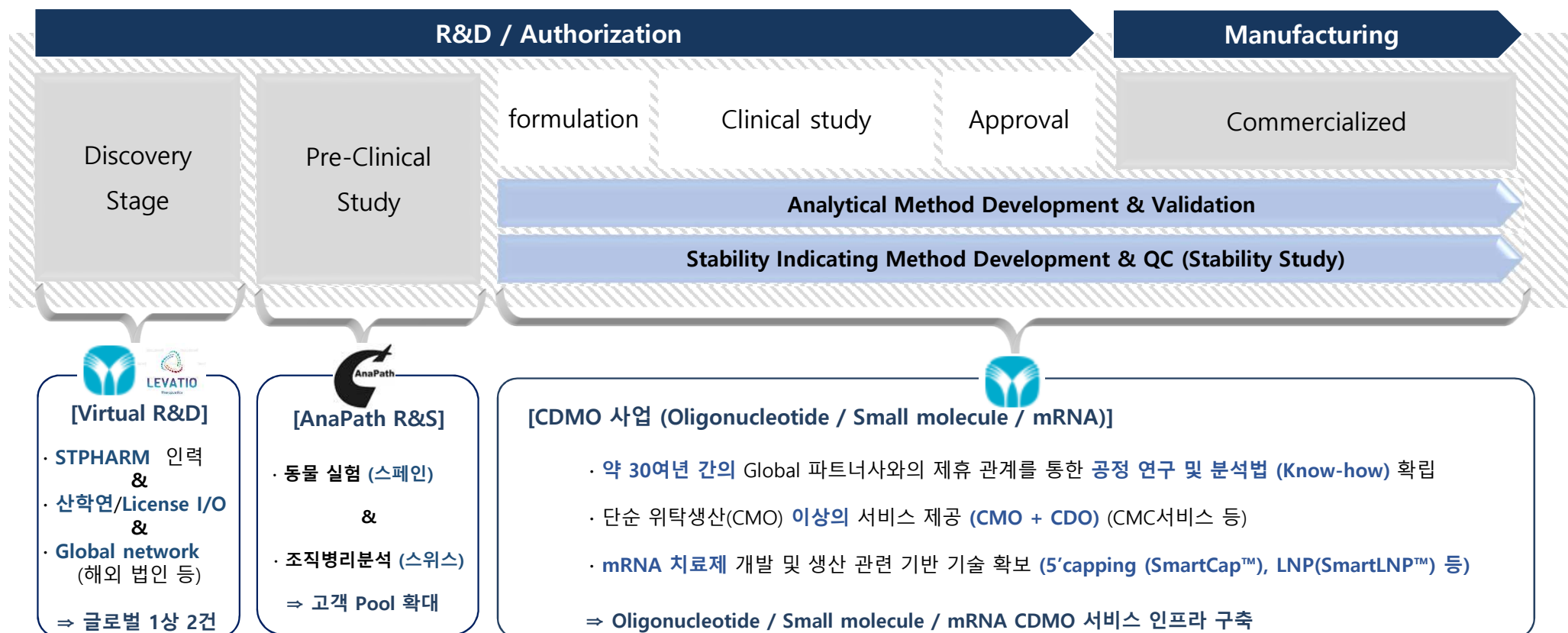
Dong-A OTSUKA
Food and Beverage
Dong-A and Otsuka JVC

YONGMA LOGIS
Logistics and Storage

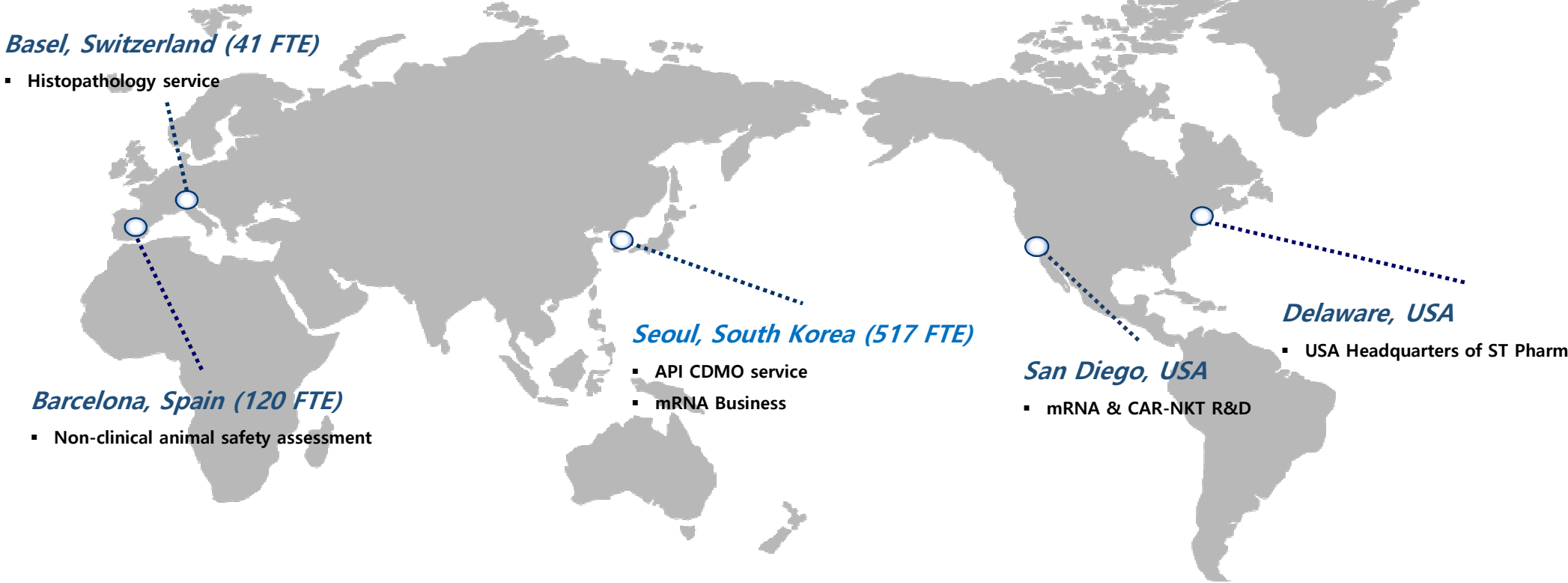
SOO SEOK
Bottles Manufacturing

DA INFORMATION
IT Business and Solutions


에스티팜은 CDMO / CRO / 신약개발 등 신약개발 전 영역의 서비스를 제공하는 기업으로 Global Track Record, 기반 시설 및 기술 보유



Seamless development from manufacturing to non-clinical animal safety service
Gene therapy CDMO business from oligonucleotide to mRNA




 **AnaPath Research**
Barcelona, Spain

 **AnaPath Services**
Basel, Switzerland

 **ST PHARM**
South Korea

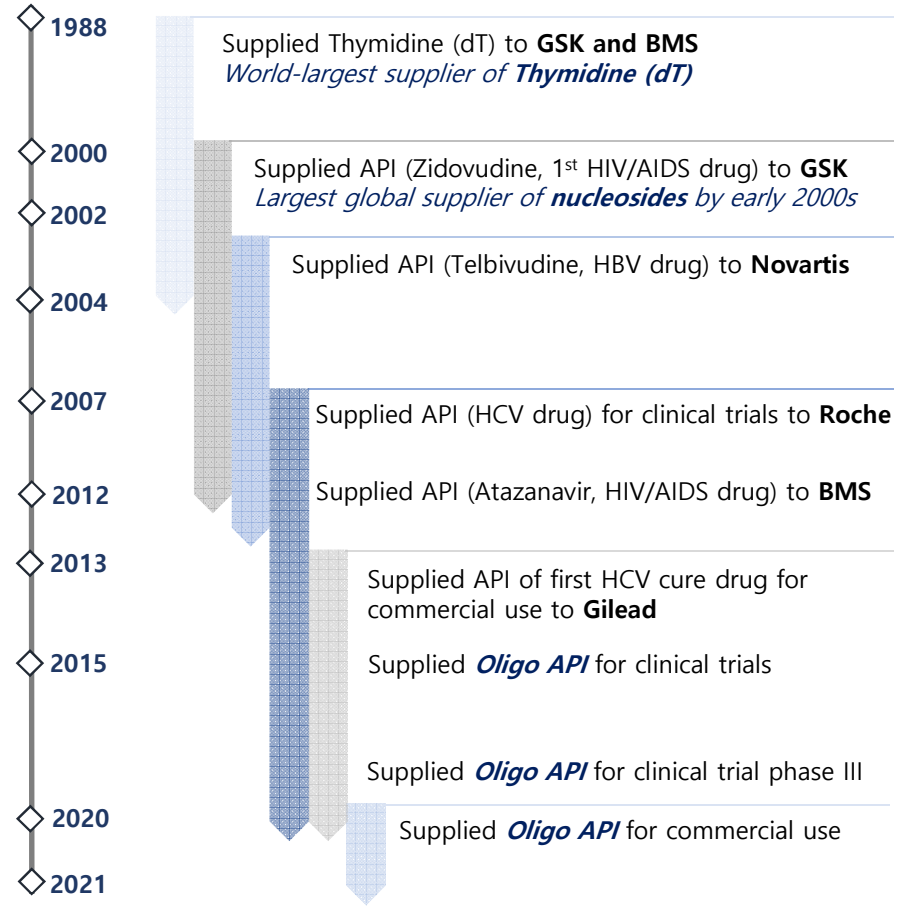
 **LEVATIO**
San Diego, USA

 **STP America Research**
Delaware, USA

Company Record (Milestone)

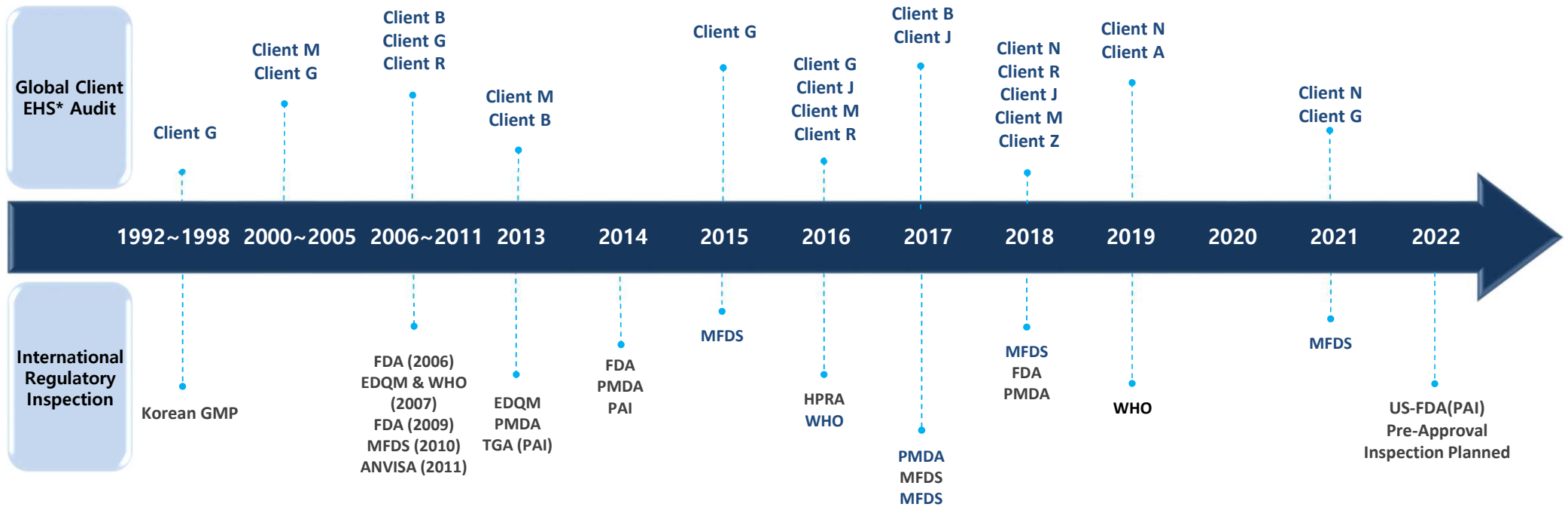
1983	삼천리 제약 설립
2010	동아쏘시오그룹 편입 (ST PHARM 사명 변경)
2011	B형 간염 치료제 세계 일류상품 선정 (지식경제부)
2012	혁신형 제약기업 인증
2013	우수 기술연구센터 선정 (산업통상자원부)
2014	TGA (Australia) cGMP 인증
2015	반월 1공장 준공, 반월 2공장 인수 FDA(USA), PMDA (Japan) cGMP 인증
2016	EU cGMP 인증 / 미국 자회사 STAR (NJ, USA) 설립 KOSDAQ (KOSDAQ: 237690) 상장 (IPO) , 혁신기업 대상 대통령상 수상
2018	글로벌 성장 우수 리더십상 수상 (Frost & Sullivan) FDA(USA) 인증, 올리고 전용 신 공장 준공
2019	환경관리 우수 사업장 선정 (반월 공장) 유럽 비임상 CRO 업체 인수 (AnaPath Services & Research) STP1002(항암제) 임상1상(USA) IND 승인 Roche CDMO Award 2019 수상 STP0404 (AIDS치료제) 임상1상(EU) IMPD 승인 올리고 공장 1, 2차 증설 (1st: 자체 증설 약 0.8t / 2nd : 글로벌 제약사 공동 투자 설비 약 0.3t)
2020	mRNA 사업부 신설
2021	미국 법인 LEVATIO 설립 (mRNA & CAR-NKT 연구 센터) mRNA GMP (Mid-scale) 설비 완공

Supply Record



ST PHARM | Global Approval (GMP/EHS)

* EHS : Environmental, Health & Safety (SHE or HSE)



Successfully inspected by

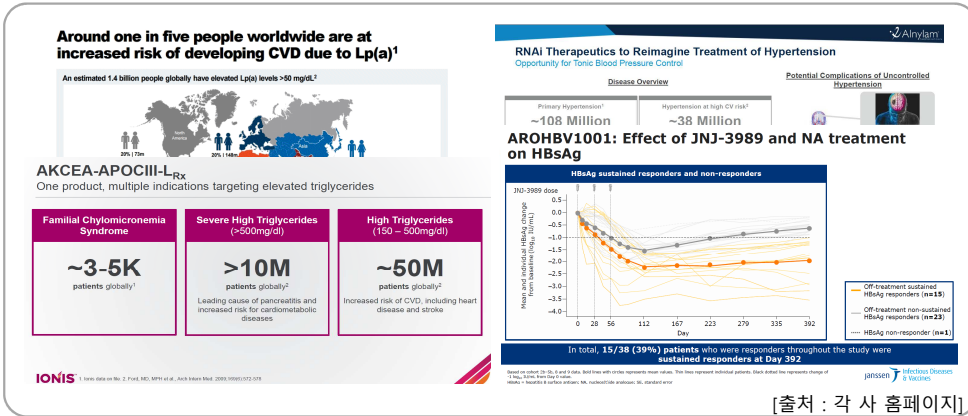


18년, 간세포 투과 기술에 따른 만성질환 치료제 탄생 및 Global Big Pharma의 RNA기반 치료제 파이프라인 확대
 Inclisiran을 필두로 지속적인 RNAi Pipeline 상업화 승인 예상. 이에 따라 API인 Oligonucleotide의 수요 대응책 마련 필요

RNA 기반 치료제

- 3세대 치료제(세포유전자치료제 일종)로서, 유전 정보 전달에 관여하는 RNA를 이용
- 작용 기전 (Mechanism) : 인체 내, 질병 유발 하는 단백질을 사전에 차단, 또는 발현 조절
- 유형 (Type) : Antisense (ASO RNA), siRNA (small interfering RNA), mRNA etc.
- 대표 약물 : 1) Spinraza (Biogen) – 척수성근위축증 (희귀 질환), 연간 매출 약 2.5조원
 2) Inclisiran (Novartis) – 심혈관 질환 (만성질환), 20년 EMA(유럽)승인

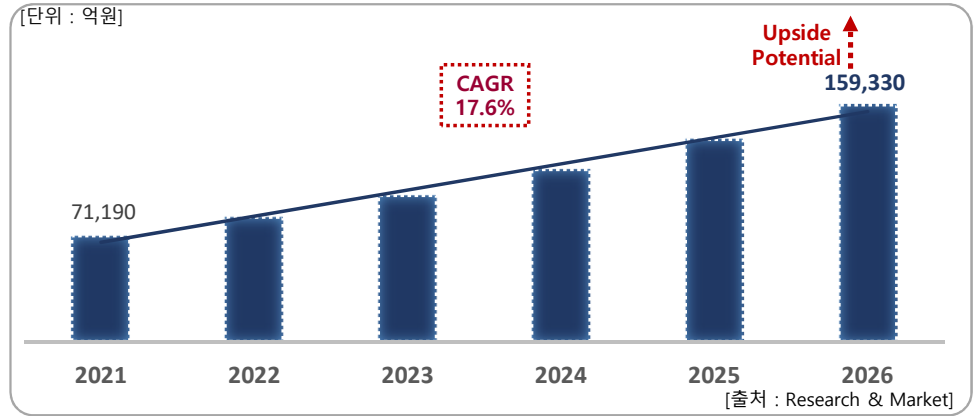
RNA 기반 만성질환 치료제 현황 (참고)



RNA 기반 승인 치료제

구분	제품명	적응증	판매사	승인 연도
ASO	Exondys51	뒤센형 근이영양증	Sarepta	16.09
ASO	SPINRAZA	척수성 근위축증	Biogen	16.12
ASO	Tegsedi	유전성 ATTR	Ionis	18.10
siRNA	Onpattro	다발성 신경병증	Alnylam	18.08
siRNA	Givlaari	급성간성 Porphyrias	Alnylam	19.11
ASO	Vyondys 53	뒤센형 근이영양증	Sarepta	19.12

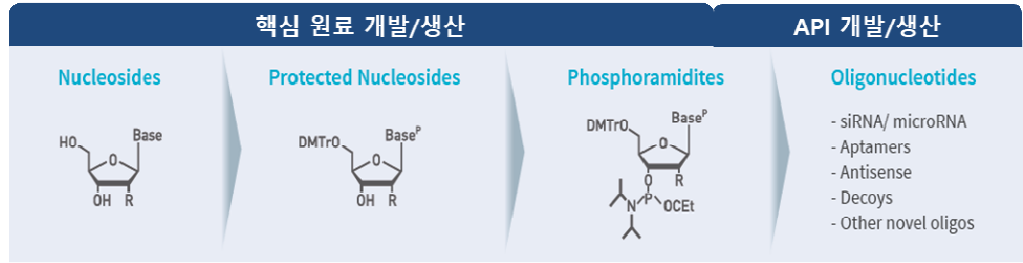
RNA 기반 치료제 시장 전망



ST PHARM | Oligonucleotide CDMO

STPHARM은 30여년의 Global Track Record 기반과 함께 세계 최초 Pharma Concept 의 Oligo 공장 설비를 보유하고 있으며, 2019년, Roche CDMO Award 등의 수상을 통한 Oligo CDMO 사업의 Global 경쟁력 입증 (약 20여 개의 프로젝트 진행 중)

▪ 세계 유일의 Monomer / Oligo 동시 생산 시스템



▪ Ample Experience & Know-how

- 약 30여 년 이상 Global partner와의 지속적인 관계 (1980년 중반 뉴클레오시드 계열 API 공급)
- Asia 최초, GMP Oligo 생산 경험 (2008년) 및 글로벌 API 공급 경험에 기반한 품질 보증 시스템

▪ Innovative Manufacturing System & Platform

- 가격 경쟁력, 공급 연속성, 품질 안정성, 신약 개발 기간 단축 (동시 생산 시스템 구축)
- 세계 최초 Pharma 컨셉의 Oligo 공장 구축

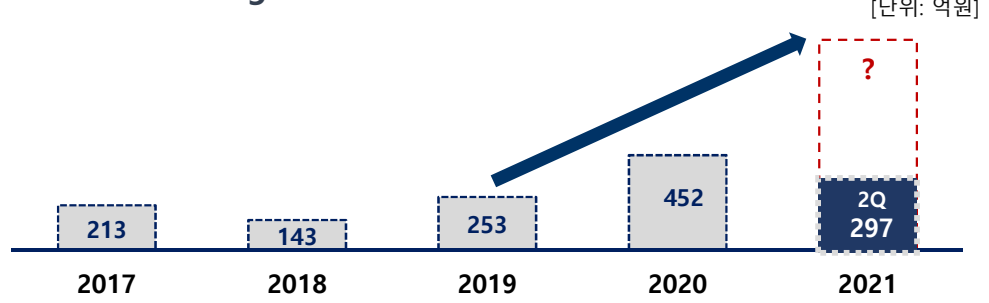
▪ Strong Track Record

- Global 임상 1-3상 단계의 올리고 신약 원료 공급 (약 25개 이상)
- 한국 최초 2018 Global API 제조 성장 우수 리더십 상 수상 (Frost & Sullivan)
- Roche CDMO Award 2019
(Oligo 신약 분야 : Global 최초 / Small molecule 신약 분야 : 아시아 최초)

▪ ST PHARM Oligo 수주 Pipeline (일부 Projects)

Partner	Indication	Stage			
		Phase1	Phase2	Phase3	Commercial
글로벌제약사 A	고지혈증	[Progress bar from Phase 1 to Commercial]			
글로벌제약사 A	동맥경화증	[Progress bar from Phase 1 to Phase 3]			
글로벌제약사 B	MDS / MF	[Progress bar from Phase 1 to Phase 3]			
글로벌제약사 C	심혈관 질환	[Progress bar from Phase 1 to Phase 3]			
글로벌제약사 D	B형 간염	[Progress bar from Phase 1 to Phase 3]			
글로벌제약사 E	혈우병	[Progress bar from Phase 1 to Phase 3]			
글로벌제약사 F	심혈관 질환	[Progress bar from Phase 1 to Phase 2]			
글로벌제약사 G	혈전증	[Progress bar from Phase 1 to Phase 2]			

▪ ST PHARM Oligo CDMO 매출 추이



ST PHARM | Oligonucleotide CDMO

20년, 급증하는 Oligonucleotide 수요 대응을 위해 두 차례 공장 증설 단행 (1차, 약 0.8t 규모 자체 증설, 2차, 약 0.3t 규모 Global 제약사 자금 지원)
 Global 수준의 Oligonucleotide CDMO Facility 보유 (Global top-3 positioned service)

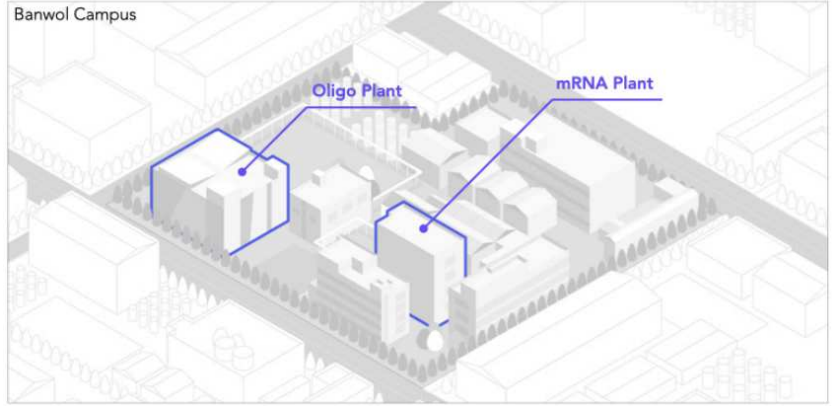
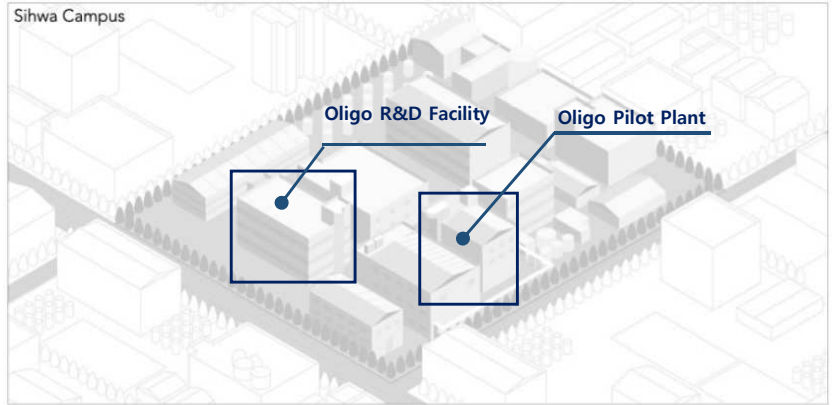
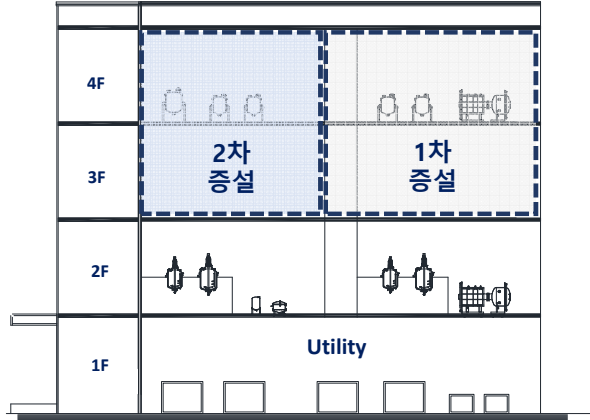
▪ ST PHARM Facility (시화/반월 캠퍼스)

Oligo Plants	Sihwa	Banwol
Small scale	(nmol ~ μmol scale): MM-192, MM-12	
Mid scale	(mmol scale): 3x OP100	
Large scale	(0.3 mol scale)	(1.5 mol scale) (4.6 mol scale) (추가분 In 2022)

※ Oligo Capa : 3.5 X the current capacity, Global No.1 (6.4mol, in 2022)



Oligo Plant (Banwol)



내부 기술 역량을 활용한 SMARTCAP™, SMARTLNP™ 특허 출원, Global 수준의 Capping 공급 역량 및 LNP개발 역량 구축. mRNA 백신/치료제 및 CDMO 사업 본격화를 위한 GMP 수준 생산 설비 구축 진행 중 (22년 완공 목표)

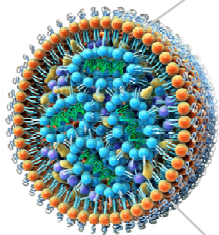
■ mRNA Platform 핵심 기술 보유

1. 5' Capping Reagent (SMARTCAP™)

- ST PHARM의 독보적인 기술로 '20년 국내 특허 출원 / 국제 출원 진행 중
- mRNA 합성 안정화 기술로 경제성 측면의 강점 보유 (원가 경쟁력)

2. LNP (Lipid Nano Particle) (SMARTLNP™)

- 특정 세포 내 mRNA 전달하기 위한 Platform 기술 (약물전달시스템)
- ST PHARM 은 3가지 LNP Platform 구축 준비 중



• ST PHARM LNP 전략

1 In- licensing LNP (21년 4월 도입)

- Global 시장에서 입증된 기술
- Covid19 백신 생산을 위한 용도

2 ST PHARM LNP (SMART LNP™)

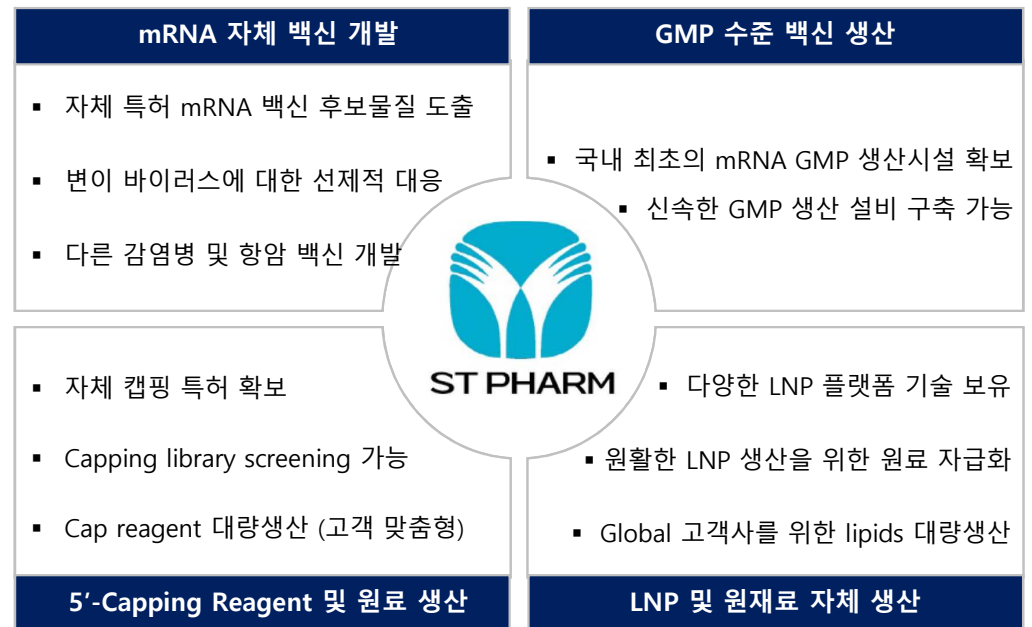
- ST PHARM의 자체 보유 LNP (21년 3월 특허 출원)
- mRNA CDMO 사업을 위한 Platform

3 3rd 세대 LNP

- 이화여대 이혁진 교수와의 공동 연구
- 면역반응 향상과 안정성 개선 목표

■ mRNA CDMO 사업 본격화 추진

- 백신 개발을 통한 mRNA 합성 기술 역량 확보
- 기반 기술 ('5 Capping & LNP) 을 포함한 원료(Lipid, Cap reagent 등) 공급망 구축



대량생산을 목표로 반월공장 전용 생산동에 mid-scale 생산 설비 구축 완료 (COVID19 백신 및 mRNA 사업 확장 기반 마련)
 중,장기적인 mRNA 연구-개발-생산 일원화를 위한 효율적인 생산 기술(Microfluidics 등) 구축 준비 중

■ mRNA 생산 설비 구축 단계

1st Stage. R&D / small-scale (non-GMP) mRNA동 (1F)

- 20년 8월 완공, 비 임상 연구 용도의 생산 규모

2nd Stage. Mid-scale (GMP) mRNA동 (1F)

- 21년 5월 완공, **Capa** : Milligram to multi-gram/month

3rd Stage. Large or commercial-scale (GMP) mRNA동 (3F,5F)

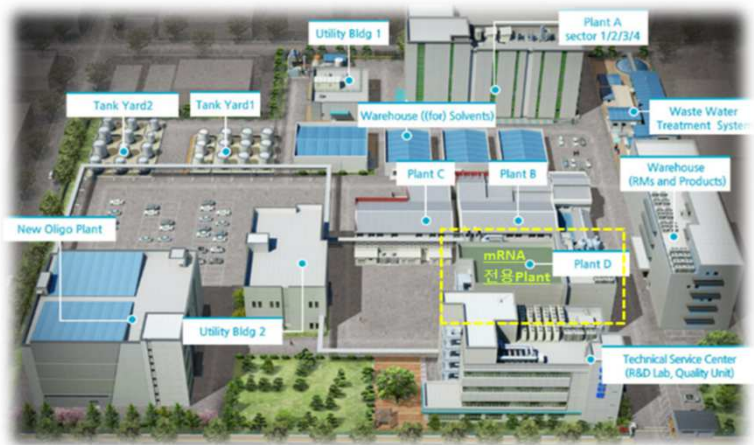
- 구축 진행 중, **Capa** : 100-120 g/month (목표)

연 1억 doses 이상의 백신 생산량

* CureVac 백신 용량 기준 (12 ug/dose)

Floor	용도
1	제조 및 분석
2	R&D Lab
3	R&D Office
4	미생물 배양 및 한도 시험
5	공실
6	공실

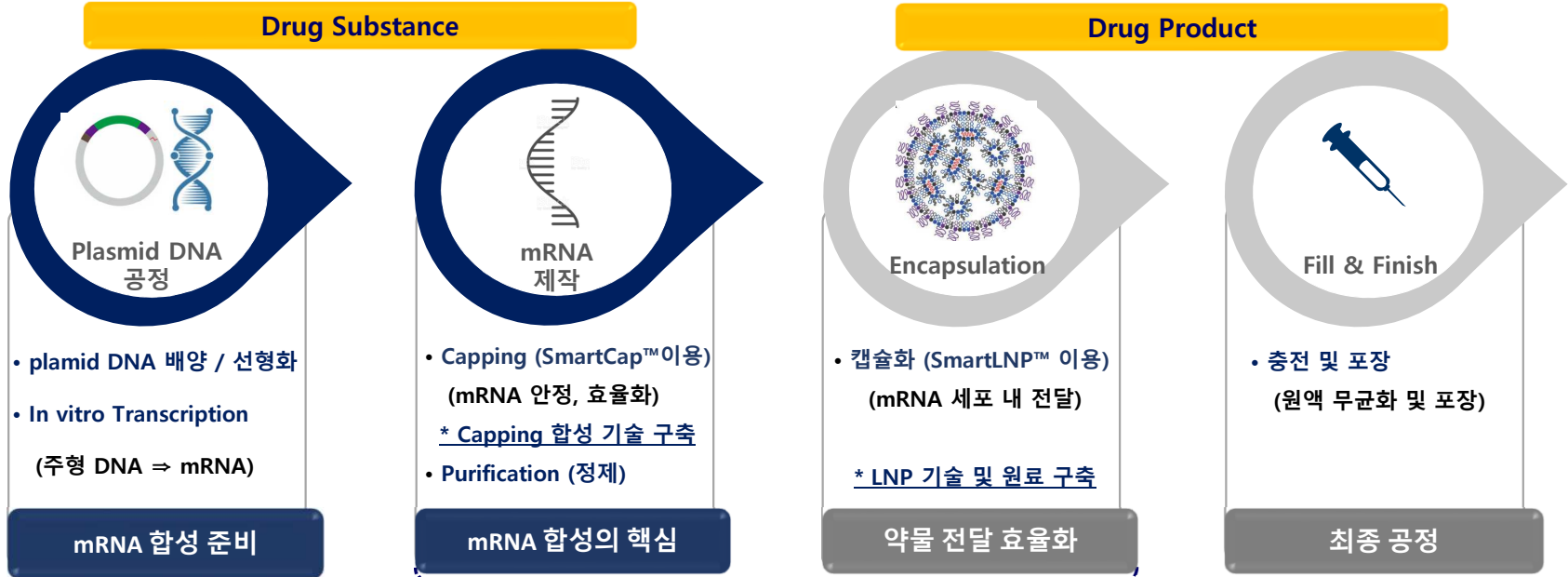
Scale		생산량	특이사항
R&D (mg)	Non-GMP	-	-
Mid (gram)	GMP	48g/yr. (C社 기준 480만 dose/yr.)	Scale-out (2~3배 증산 가능)
Commercial (Kg)		1,920g/yr. (C社 기준 1.9억 dose/yr.)	신속한 설비 구축 필요 (기술이전 혹은 정부지원 전략)



mRNA Plant (반월)

mRNA 백신 및 치료제 제조 과정은 크게 1) Plasmid DNA(pDNA)에서 전사된 mRNA를 합성, 2) 정제, 3) 충전, 포장 순으로 구성
STPHARM은 핵심 기술인 Capping과 LNP, 주요 원료인 Cap analogues, LNP의 구성성분 (PEG-lipid, Cationic) 생산 역량 보유

▪ mRNA Manufacturing Process Overview



ST PHARM의 자체 신약 개발은 Virtual R&D 전략으로 산학연구기관과의 협력(Networking)을 통한 저비용 고효율 개발을 추구

STPHARM Virtual R&D 전략

"Minimizing R&D cost and expediting drug development process"
"Creating a synergy effect with API CDMO business"



STPHARM Pipeline

"세계 최초 AIDS 치료제 (First in class)"
 기존 에이즈 치료제들의 내성 극복 Target
"세계 최초 경구용 대장암 치료제 (First in class)"
 어비투스 무반응 내성 및 KRAS/NRAS 돌연변이 유전 환자 대상

Pipeline	Partner	Stage		
		Discovery	Pre-clinical	Phase1
STP0404 (AIDS)	Emory Univ. Colorado State Univ.	[Progress bar]		
STP1002 (대장암)	Colorado State Univ. 한국원자력의학원	[Progress bar]		
NASH	한국화학연구원	[Progress bar]		
경구용 헤파린	B&L Deli Pharm	[Progress bar]		
인플루엔자	한국화학연구원	[Progress bar]		
기타 (2개)	미공개	[Progress bar]		

AnaPath R&S 구조조정 완료 이후, 21년 본격적인 실적 Turn around (자회사 CRO 사업 안정화)

21년 신설 법인 LEVATIO, CAR-NKT 세포를 이용한 항암 백신 및 자가면역질환 치료제 개발 바이오텍 (미국 NASDAQ 상장 목표)

▪ AnaPath Research (Barcelona, Spain)

- 연혁 : 1986년 설립 (Envigo Spain 법인) / 2019년 11월 AnaPath에 인수
- 현황(규모) : 건물 1만 sqm, 대지 2만 sqm, 동물 사육실 (38개)
- 원숭이, 토끼, 개 등 800여 마리 동물 보유

▪ AnaPath Service (Basel, Switzerland)

- CSO : Klaus Weber (Global 업계 내 저명한 독성병리학자)
- Global 수준의 비 임상 CRO업체 (조직 및 독성 병리학 특화)
- GLP 인증 (2006년), 유럽 Safety Alliance 가입
- 현재 동물을 이용한 1,000개 이상의 만성 독성 및 발암성 연구를 진행 중



▪ LEVATIO Therapeutics (San Diego, USA)

- 차세대 항암 백신 및 자가 면역 질환 치료제 개발을 위한 Bio-Tech
- ST PHARM의 RNA 기반 기술과의 결합 (RNA 기반 신약 사업 확장 가능성)
- 본격적인 유전자, 세포 치료제 분야 본격 진입

First-in-Class mRNA Therapeutics	Proof-of-Concept (POC)
<ul style="list-style-type: none"> · first-in-class mRNA 암 백신 및 맞춤형 신 항원 백신 개발 · mRNA로 설계된 'off-the Shelf' CAR-NKT cells 	<ul style="list-style-type: none"> · 독점적 mRNA 기술과 치료 적용 가능성을 검증하는 강력한 데이터 기반의 POC 양식 세팅
<ul style="list-style-type: none"> · 암 백신 및 'off-the-Shelf' CAR-NKT 세포 개발을 위한 mRNA 플랫폼 기술 · 암 및 자가면역질환 	<ul style="list-style-type: none"> · 대학교, 병원, 연구소 등과 함께 Open innovation 전략 · STP 와의 Collaboration 추진
Pipeline 확장	Collaborations

21년 2Q 기준, 분기 흑자 전환을 달성하였으며, 주 요인으로 高마진 사업 분야인 Oligo CDMO 매출 성장과 함께 19년 인수한 유럽 CRO 자회사 실적 개선이 있음 (Oligo 매출 전년 동분기 대비 73.6% 증가, 상반기 누적 대비 103.9% 증가)

21년 2Q 실적 (Consolidated P/L)

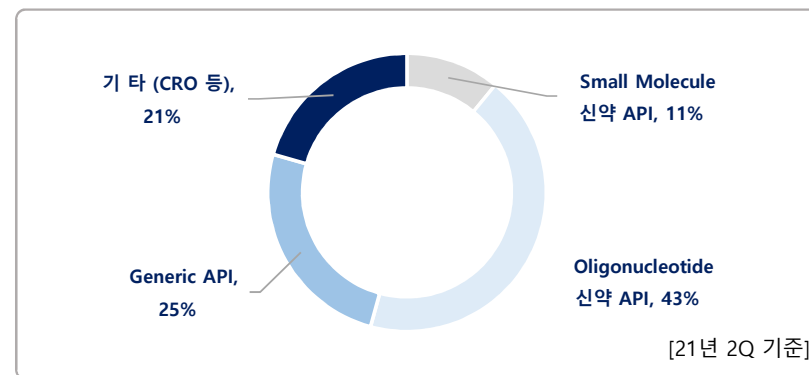
[단위 : 백만원]

	손익계산서			
	2021 2Q	2020	2019	2018
매출	40,356	124,109	93,257	97,738
매출원가	23,324	104,123	94,885	94,959
매출 총이익	17,031	19,985	-1,628	2,780
판관비	12,156	38,802	25,075	18,426
영업이익	4,875	-18,817	-26,703	-15,646
당기순이익	5,660	-13,154	-18,529	-9,268
기타포괄손익	49	504	-328	-918
총포괄손익	5,709	-12,650	-18,856	-10,186

분야별 실적

[단위 : 억원]

분야별	2021 2Q	2020	2019	2018
Small Molecule 신약 API	74	154	118	420
Oligonucleotide 신약 API	292	452	252	143
Generic API	170	477	457	367
기 타 (CRO 등)	139	157	105	48
합계	676	1,242	933	977



ST PHARM | KOREA BIO INVESTMENT CONFERENCE 2021

Thank You