

## 혁신형제약기업 연장 탈락에 대한 회사의 입장

당사는 혁신형제약기업 연장심사에서 제외되어 18년 6월 19일 자로 혁신형제약기업 지위를 상실하게 되었습니다. 당사가 탈락한 주된 이유는 ‘임상 진입이 늦어져 아직 임상 진행 중인 신약 후보가 없다’는 것이 심사위원단의 주된 의견이었습니다. 당사는 위원회의 심사 결정을 겸허하게 받아들이고, 아울러 2012년부터 6년간 보건복지부 주관으로 진행된 혁신형제약기업 연구지원을 통해 당사의 신개념 RNAi 신약개발 플랫폼인 SAMiRNA™의 연구에 많은 진전을 이룰 수 있었습니다. 이에 감사를 표합니다.

당사는 현재 범부처 신약개발과제를 통해 세계최초(First-in-Class)의 섬유화증 신약후보물질의 비임상을 계획대로 진행하고 있습니다. 내년 상반기에 비임상시험을 마무리하고 특발성 폐섬유화증과 거대흉터 치료에 대한 임상시험을 2020년에 시작할 계획입니다. 또한 혁신형제약 연구개발과제로 발굴된 EGFR 발현 폐암세포를 사멸시키는 신규 miRNA를 포함하는 SAMiRNA™ 신약의 비임상 시험도 조만간 진입할 계획입니다.

당사는 단일분자 RNAi 자가조립 나노입자라는 세계최초의 신개념 플랫폼기술을 개발하여 물질특허를 확보하고, 원료물질합성, 효율적인 세포 내 전달을 위한 나노입자 양산기술 등 지금까지 없었던 새로운 길을 개척하느라 많은 시간을 투자하였습니다. 이 과정에서 많은 시간을 썼지만, 이는 신개념의 RNAi 나노입자를 개발하는 데 필연적인 투자였습니다.

노벨상을 수상한 Merrifield 박사가 처음 고체표면에서 peptide, DNA를 합성하려는 신개념의 합성법을 개발할 때, 선행연구가 전혀 없는 상태에서 solid support부터 모든 것을 새롭게 개발해야 했습니다. 정말 열심히 노력했지만 3년 동안 논문을 내지 못해 록펠러대학의 재임용 심사에서 탈락할 처지였습니다. 그러나 대학 총장이 Merrifield 박사의 새로운 아이디어가 가진 잠재력을 높이 평가하고 연구를 지속할 수 있게 한 덕분에 이후 solid phase 합성법이 개발되고 우리가 DNA를 자유롭게 합성할 수 있게 되어 유전공학, 생명공학이 탄생할 수 있었습니다.

SAMiRNA™는 기존에 없던 신개념의 RNAi 나노입자 기술로서, 차세대 신약개발의 핵심 플랫폼이 될 수 있는 혁신적인 기술입니다. 그동안 수많은 후보물질 연구를 통해 고효율의 SAMiRNA™ 신약 후보물질을 발굴하는 기반기술을 구축했고, 비임상 독성시험을 통해 지금까지 보고된 어떤 RNAi 신약들과 비교해도 독성이 현저하게 낮은 물질임을 확인했습니다. 당사는 약효와 독성에서 탁월한 특징을 가진 SAMiRNA™를 기반으로 각종 난치병 치료제개발 임상시험을 계획대로 진입하고, 또한 탈모와 같은 보다 대중적인 관심 과제에 대해서도 근본적인 해결책을 제시할 수 있는 개발 시도를 지속해 나갈 것입니다.

여러분의 많은 성원 부탁드립니다.

감사합니다.