ToolGen

Global Leader in Genome Editing Technology

Innovate Genome,
Edit Your Life

기업설명회 2026.08.04





본 설명회는 툴젠의 IP 사업 및 최근 성과에 대한 개괄적인 정보를 제공하기 위한 것이며,

현재 진행 중인 어떠한 법적 분쟁이나 소송에 대해서도 입장을 표명하거나 영향을 미치려는 의도는 없습니다.

또한 본 설명회의 내용은 특정 제3자에 대한 법적 입장으로 해석되어서는 안됩니다.

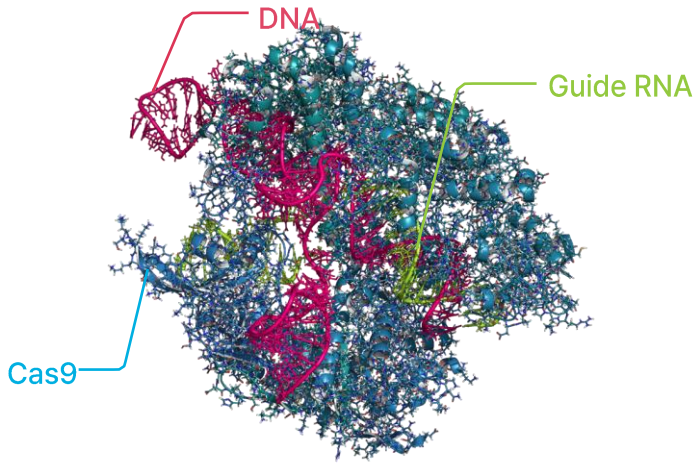
CRISPR Cas9 (효율적이고 정확한 유전자 교정 도구)

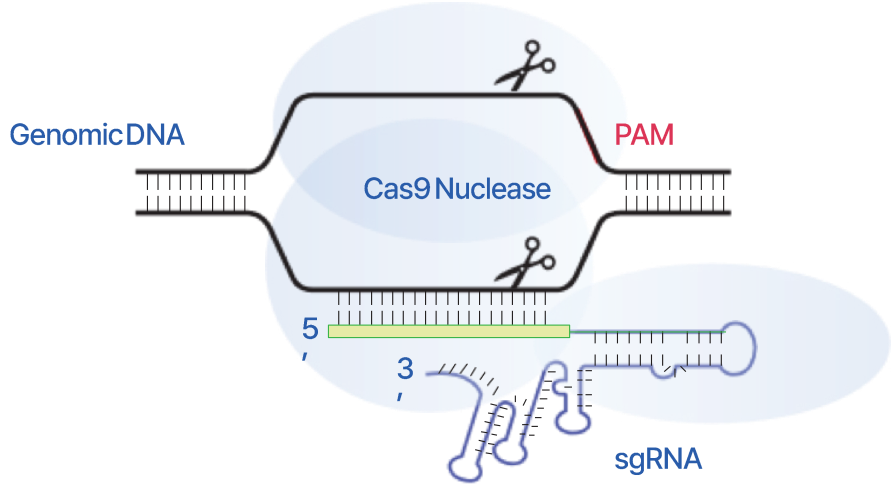
ToolGen

Cas9
유전자를 자르는 역할을 하는 효소/단백질

+

Guide RNA (sgRNA)
특정 유전 서열 자리로 이끄는 RNA





* https://www.twistbioscience.com/50-percent-you/

CRISPR Cas9 원천특허 저촉심사 현황(미국)

ToolGen



미국 저촉심사 현황

(Interference)

Senior

ToolGen

Case # 106,127

CVC Berkeley UNIVERSITY OF CALIFORNIA **Junior**

Dec.2020 저촉심사 진입

1단계 (Sep.2022)

- Interference 2건에 대해 Senior Party로 지정

2단계 Suspended 중이었으나,
Broad-CVC 사건 심결이 나왔으며
2026년 3월 31 일 재개 ('126)

Case # 106,126

BROAD INSTITUTE **Junior**

Case # 106,048 (Jan.2016 ~ Sep. 2018)*

- Interference 성립 안한다는 판결로 종결

Case # 106,115 (Jun. 2019~)**

- The USPTO 브로드 승리 심결 (Feb. 2022)
- CAFC (Appeal decision) remand 판결 (May 2025)
- PTAB 브로드 승리 심결 (Mar. 2026)

- **저촉심사(Interference)** : 미국에서 2013년 이전(선발명주의)에 출원된 특허는 동일 발명이라 주장되는 2건 이상의 특허가 출원된 경우, 어떤 건이 먼저 완성되었는지를 가리기 위한 절차
  ※ 저촉심사는 1단계(Motion Phase), 2단계(Priority Phase)로 구분하여 진행
- 미국 특허청은 2022년 9월, **툴젠을 선출원자(Senior Party)**로, 브로드연구소와 CVC에 대해 후출원자(Junior Party)로 선언하였음.
- CVC와 브로드 간의 저촉심사는 PTAB의 재심을 통해 브로드의 승리로 결정되어, 툴젠은 브로드와 최종 경쟁(Priority Phase) 하게 됨

CRISPR Cas9 원천특허 저촉심사 예정사항(미국)

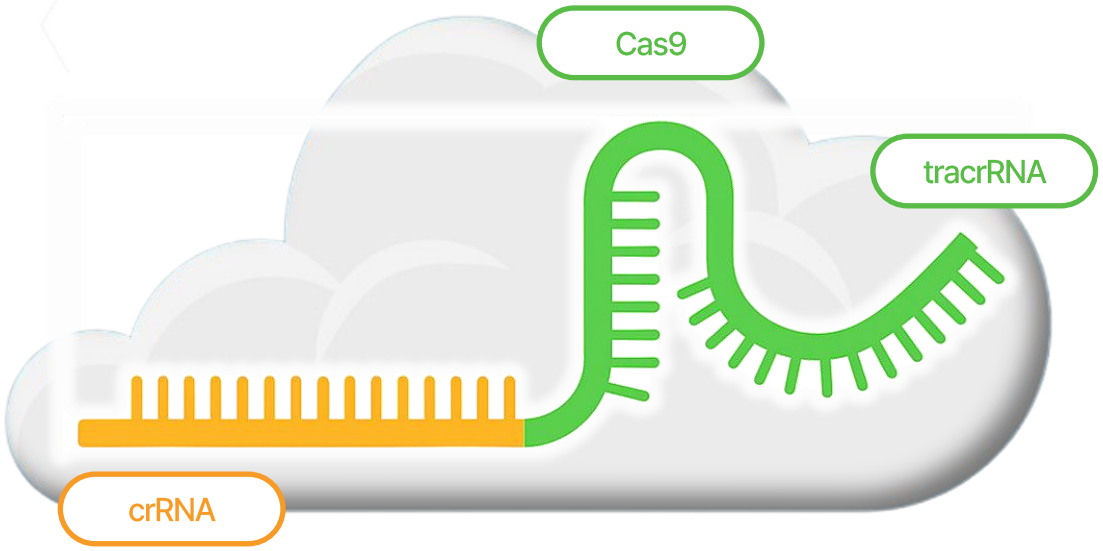
ToolGen

2026-07-02	주니어 파티(브로드) Priority Brief 제출	주니어 파티가 시니어 파티보다 먼저 발명했음을 주장 및 증명하는 문서를 제출하는 단계
2026-07-24	시니어 파티(당사) Priority Brief 제출	시니어 파티가 자신이 선발명임을 방어하기 위한 문서를 제출하는 단계
2026-09-23	상대방 주장에 대한 반박서면(Opposition Brief) 제출	양 당사자가 상대방이 제출한 선발명 관련 내용에 대한 반박서면을 미국 특허심판원(PTAB)에 제출
2026-10-30	이의신청에 대한 재반론(Reply Brief) 제출	상대방이 제기한 이의신청에 대해, 다시 자신의 주장을 옹호하고 재반박하는 최종 답변서를 제출
2026-11-13	구두 변론 신청 및 증거 배제 신청	재판부에 직접 설명하는 구두 변론을 공식 신청하고, 심리에 고려되어야 할 이슈 목록 및 상대방 증거 중 부적절한 것을 제외해 달라는 신청
2026-11-23	증거 배제 신청에 대한 이의신청	상대방의 증거 배제 신청에 대해 반박하고, 당사 증거의 정당성을 옹호하는 문서를 제출
2026-12-04	증거 배제 논쟁에 대한 최종 재반론	증거 배제 신청과 관련하여 제기된 이의신청에 대해 최종적인 재반박 답변서를 제출하며, 서면 심리 단계 종료
추후결정	구두 심리	서면 제출이 완료된 후, 양측 대리인이 심판관들 앞에서 직접 구두로 최종 변론을 수행(2027년 중반 진행 예상)
추후결정	최종 판결	구두 변론 종료 후 심판관들의 숙의를 거쳐 최종 선발명자를 결정하는 판결(통상 구두 변론 후 1~2개월 소요)

CRISPR RNP (Ribonucleoprotein)

ToolGen

CRISPR RNP = crRNA + tracrRNA + Cas9 Protein

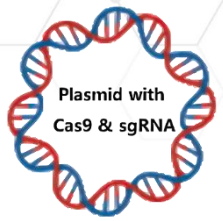


- **crRNA** (CRISPR RNA)
  - 타겟 DNA 서열에 결합하는 RNA로, Cas9 단백질이 정확한 위치에서 DNA를 절단할 수 있도록 안내함.
- **tracrRNA** (trans-activating crRNA)
  - crRNA와 결합하여 Cas9 단백질을 활성화시키고, crRNA의 성숙과 안정성을 도움.

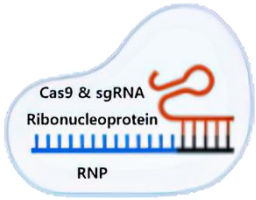
CRISPR-Cas9을 단백질·RNA 복합체(Ribonucleoprotein) 형태로 세포 내로 직접 전달하여 Genome Editing을 달성

CRISPR RNP (Ribonucleoprotein)

ToolGen



CRISPR-Cas9 System



• 낮음	교정 효율	• 높음
• 장기간 (수일) - Cas9 /sgRNA 의 지속적 발현	발현 지속성	• 단기간 (1-2일) - Cas9 단백질이 일시적으로 작용
• 높음 - 지속적 발현/작용으로 세포 스트레스 및 사멸 유도 - 특히 면역세포에서는 플라스미드 자체가 높은 세포독성을 일으킴 (면역세포 치료제에 적용 어려움)	세포독성	• 낮음 - 일시적 발현/작용으로 세포 스트레스 최소화 - 면역세포에서의 세포독성 낮음
• 비교적 높음 - 지속적 발현으로 off-target 편집의 가능성이 높음	비특이적 편집 (Off-target)	• 낮음 - Cas9 단백질이 빠르게 분해되어 off-target 감소
• 낮음 - DNA 삽입 위험, 높은 세포독성	안전성	• 높음 - off-target 위험 및 세포독성이 적음
• 낮음 - 낮은 안전성	임상 적용 가능성	• 높음 - 높은 안전성 - FDA 승인 최초의 유전자가위 치료제에 사용
• 비교적 저렴	생산 비용	• 상대적으로 고가 - Cas9 단백질 정제 필요

casgevy (exagamglogene autotemcel) suspension for IV infusion





CRISPR RNP는 툴젠의 고유기술인 동시에 **CRISPR-Cas9을 활용한 유전자 교정의 핵심 응용 기술** 입니다.

CRISPR RNP 특허

ToolGen



01 No Interference

2013-06-20, P3 출원 (CRISPR RNP 우선일)
미국 기준, 저촉심사 대상 아님(선출원주의 시행)



02 Low Immunogenicity

타겟을 교정한 후 빠르게 분해되어
표적 특이성은 높이고, 면역원성은 낮춤



03 Non-GMO

외래 DNA가 식물에 삽입될 가능성이
없어 GMO에 대한 우려가 없음

CRISPR RNP complex를 세포 내로 전달하여 교정한 세계 최초의 특허

01 — 2012-06-28
Jinek *et al.* (Science; CVC)
Prokaryotic cell

02 — 2012-10-23
P1 (ToolGen)
The first patent application Cas9 in a eukaryotic cell

03 — 2013-01-29
Cho *et al.*, 2013a (NBT; ToolGen)
Cas9 vector and gRNA in a eukaryotic cell

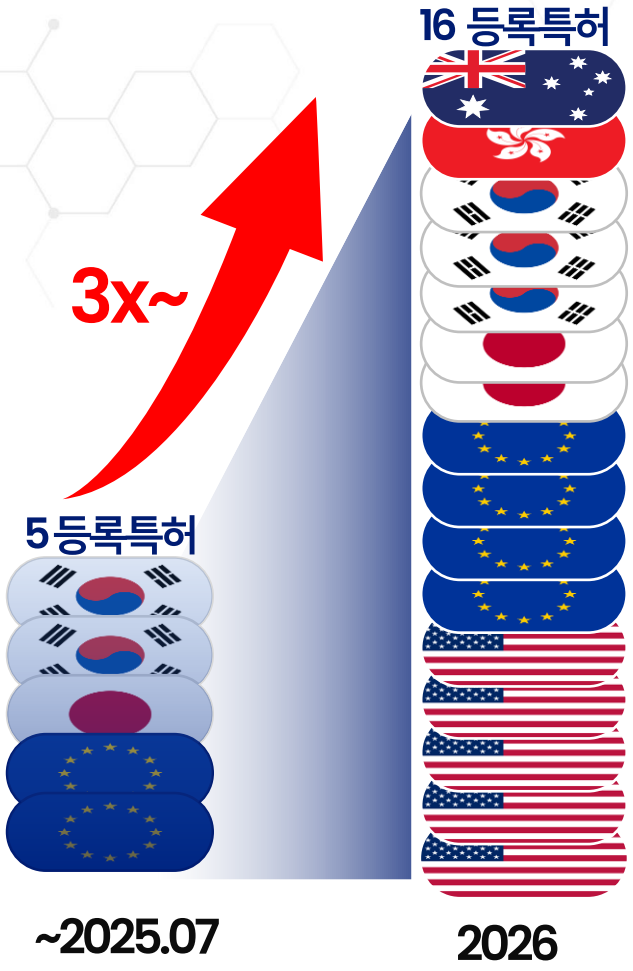
04 — 2013-03-16
AIA, "First to File"

05 — 2013-06-20
ToolGen Provisional Application Filed
Direct delivery of CRISPR RNP into a eukaryotic cell

06 — 2013-10-23
ToolGen PCT Application Filed

CRISPR RNP 특허 등록 현황

2025년 상반기 대비 CRISPR RNP 특허 3배 확대: 글로벌 특허 포트폴리오 강화





CRISPR RNP 특허침해 소송 현황(유럽, 미국)

ToolGen

1. 특허 침해 소송 현황 요약 (유럽 현황)

특허번호 특허등록일	EP 4357457 (EP'457) '24.10.16	EP 4397760 (EP'760) '26.1.21	EP 4342987 (EP'987) '26.2.4
EPO 유럽특허청	특허등록 이의신청 구두심리 완료 ('26.5.27)	특허등록 이의신청 진행중	특허등록 이의신청 진행중
영국	침해소송 Vertex, Roslin, Lonza ('25.4.15)	Patent Added (영국에서 진행중인 소송에 EP'760, EP'987 추가)	
네덜란드	침해소송 Vertex, Lonza ('25.8.26)	-	신규 침해소송 Vertex, Lonza ('26.5.26)
UPC 유럽통합특허법원	-	신규 침해소송 Vertex, Lonza ('26.5.26)	-

2. 특허 침해 소송 현황 요약 (미국 현황)

특허번호 특허등록일	US 12,473,559 '25.11.18	US 12,606,832 '26.4.21	US 12,612,632 '26.4.28	US 12,612,633 '26.4.28
미국 매사추세츠 연방지방법원	침해소송 ('25.11.18)	미국에서 진행중인 소송에 신규 특허 추가 완료 ('26.5.29)		

CRISPR RNP 특허 내용(유럽)

출원번호 (공개번호)	주요내용
24158339.2 (4357**457**)	진핵세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정 (sgRNA와 Cas9 단백질은 **특정 몰비**로 존재)
23183112.4 (4342**987**)	진핵세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정
24165204.9 (4397**760**)	포유류 세포 내로 CRISPR RNP 조성물을 도입하여 타겟 서열 교정

CRISPR RNP 특허 내용(미국)

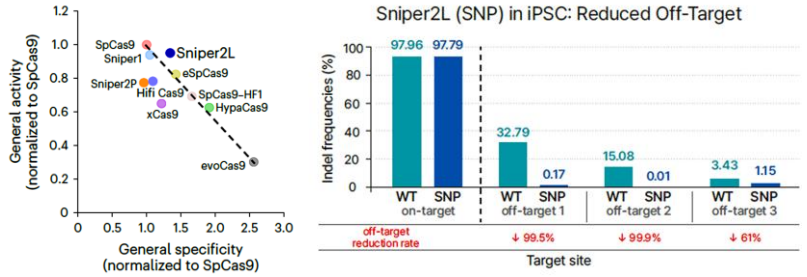
출원번호 (등록번호)	주요내용
18/467,952 (12,473,**559**)	인간세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정 (sgRNA는 Cas9 단백질 대비 **2배 이상의 과량**으로 존재)
18/932,745 (12,612,**632**)	진핵세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정 (sgRNA와 Cas9 단백질은 **특정 몰비**로 존재)
19/002,832 (12,612,**633**)	진핵세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정 (sgRNA는 Cas9 단백질 대비 **2배 이상의 과량**으로 존재)
19/023,934 (12,606,**832**)	CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정이 이루어진 진핵세포의 제조

Sniper2.0: A High-Fidelity Cas9 Variant

ToolGen

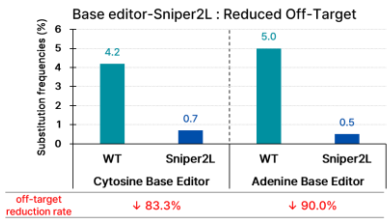
치료제 개발에 적합한 고정밀 유전자 교정 기술

타사 Cas9 대비 정확도 향상 / iPSC 적용 성능 검증



- wtCas9 수준의 on-target editing 효율 유지
- 타사 Cas9 variant 대비 우수한 specificity
- Off-target editing activity 감소 및 high-fidelity 성능
- iPSC 기반 genome editing 정확도 개선 효과
- iPSC 적용 시 off-target editing 최대 99.9% 감소

Base Editor 확장 적용



- ABE/CBE editor에 Sniper2.0 Cas9 variant 적용
- 기존 base editor 대비 off-target editing 감소
- Base editing 플랫폼 내 high-fidelity 성능
- Cas9 nuclease 외 다양한 editing 플랫폼으로 확장 가능

- **wtCas9 (wild-type Cas9)**
  - 자연형 Cas9 단백질
- **Sniper2.0 (Sniper2L)**
  - off-target을 줄인 고정밀 Cas9 variant
- **Off-target editing**
  - 목표 부위 외에서 발생하는 비의도적 교정
- **ABE/CBE (Base Editor)**
  - 특정 염기를 바꾸는 교정 기술

- 당사 독자 Cas9 engineering 기반의 고정밀 유전자 교정 기술
- Off-target editing 감소를 통해 치료제 개발에 요구되는 editing 정확도 향상
- iPSC 등 실제 치료제 적용 세포에서도 활용 가능하며, base editor 및 RNP 기반 플랫폼으로 기술 확장

특허

SniperCas2.0 (PCT/KR2019/005110)

국가	출원번호	출원일	기술내용	현재상황
KR	10-2019-0049115	2019-04-26	Sniper2.0	등록
US	17/606,502	2021-10-26	Sniper2.0	등록
CN	201980097883.3	2021-12-24	Sniper2.0	등록
JP	2021-563732	2021-10-26	Sniper2.0	등록
AU	2019442607	2021-10-26	Sniper2.0	등록
EP	19926531.5	2021-10-29	Sniper2.0	심사
KR	10-2025-0147286	2025-10-14	Sniper+Base Editor	등록
US	19/223,461	2025-05-30	Sniper+Base Editor	등록
AU	2026201079	2026-02-13	Sniper+Base Editor	심사

EP’457 — 이의신청 진행 현황 및 향후 예상 일정

ToolGen

EP’457 특허내용	진핵세포 내로 CRISPR RNP 복합체를 도입하여 타겟 서열 교정 (sgRNA와 Cas9 단백질은 **특정 몰비**로 존재)

EP’457 이의신청	**진행 경과**	**2024.10.16**	**~2025.7.16**	**2025.10.25**	**2026.2.16**	**2026.5.27**
		EPO에 **특허등록**	이의신청인들이 EPO에 **이의신청** 제출	툴젠이 EPO 산하 ‘이의신청 심판부’에 **답변서 제출**	EPO 산하 ‘이의신청 심판부’가 **예비의견 발행**	EPO 산하 ‘이의신청 심판부’에서 **구두심리 진행 및 발표** 툴젠 등록특허 취소 (최종 확정 x)
	예정 사항	**2026.6말~7월**	**2026.10월**	**2027.2월**	**2027.2Q**	
		EPO 산하 ‘이의신청 심판부’가 **이의신청 결정문 발행**	EPO산하 항소위원회(Board of appeal) 에 **항소이유서 제출** (제출자 : 툴젠) 결정문이 나온 이후 4개월 이내 항소이유서 제출	EPO산하 항소위원회(Board of appeal) 에 **상대방 답변서 제출** (제출자 : 이의신청인)	EPO산하 항소위원회(Board of appeal) 에서 **항소심 결정 발행** (해당 건 종료, **추가 항소 불가**)	

** 예정 일정 변동 가능성 있음*

CRISPR RNP 특허침해 소송 현황(유럽)

각국 법원	**<u>툴젠은 툴젠이 보유한 EP'457 특허 관련 영국과 네덜란드에서 특허침해 소송을 제기함</u>** - **25년 4월** 영국 (영국 고등 법원)에서 Vertex, Roslin, Lonza 대상 특허침해 소송 제기 - **25년 8월** 네덜란드(헤이그 지방 법원)에서 Vertex, Lonza 대상 특허침해 소송 제기
EPO	**<u>2026년 1월과 2월 권리범위가 EP'457특허보다 확장된 EP'760 및 EP'987 특허가 EPO에 등록됨</u>** - EP'760(26년 1월 등록) 및 EP'987(26년 2월 등록) 특허에 대한 이의신청 절차 진행 중 **<u>2026년 5월 27일 EP'457특허 관련 이의신청에 대한 EPO의 구두심리가 완료됨</u>** - 이의신청 심판부의 결정 접수 **(등록 청구항 취소)** - EPO 최종 이의신청 결정문 발행 예정 (~26년 7월)
추가-각국 법원, UPC	**<u>신규 등록특허에 대한 특허침해 소송을 제기함</u>** - **영국** : 기존 영국 CRISPR RNP 특허 침해소송에서 기존의 대상특허 EP'457에 신규 등록특허 **EP'760, EP'987를 추가함.** - **네덜란드** : 신규 등록특허 **EP'987를 활용하여 침해소송을 추가 제기**함. - **UPC** : 신규 등록특허 **EP'760를 활용하여 별도 침해소송을 제기**함. UPC (Unified Patent Court; 유럽통합법원)는 EU 회원국들 간의 UPC 협정에 가입한 국가들에 대해 관할권을 가짐. 26년 7월 현재, UPC 가입국은 유럽 내 총 18개국임 (**네덜란드 포함; 영국은 UPC 가입국 아님**).

참고. EPO vs UPC

유럽 특허 심사기관과 유럽 특허 분쟁법원의 차이

ToolGen

EPO는 특허를 **심사·등록**하는 행정기관이고, **UPC**는 등록된 특허의 **분쟁(침해·무효)을 재판**하는 사법기관

(① 심사등록) EPO가 특허를 부여 → (② 소송집행) 등록 후 분쟁발생 시 UPC가 단일 절차로 재판

EPO (European Patent Office) 유럽특허청		UPC (Unified Patent Court) 유럽통합특허법원
유럽 특허 출원의 심사 및 등록 **(행정기관)**을 총괄하는 정부 간 기구	**역할**	**특허 소송** 전담 국제 법원 — 침해·무효 소송 **(사법기관)**
EU 기관 아님 — EPC 조약에 따른 국제기구 (39개 회원국)	**성격**	**EU 18개 회원국**이 체결한 국제협정(UPCA)에 따른 신설 법원
출원 심사, 등록, 등록 후 이의신청(opposition) 처리	**주요 기능**	**단일특허(UP) 및 기존 유럽특허에 대한 침해·무효 소송 심리**
EPC 조약 가입 39개국 전역에 효력 있는 '유럽특허' 부여 EU 회원국 뿐만 아니라 영국, 스위스, 터키 등 **비 EU 국가도 포함**	**관할**	협정 비준 18개 EU 회원국 (EU GDP의 약 80%) **영국, 스위스 등 비 EU 국가 및 일부 EU 미비준국 제외**
특허 등록 공고일로부터 9개월 이내 이의신청 진행 비교적 저렴한 비용으로 39개국 전체 특허 일괄 취소 가능	**특허 무효화 방법**	특허 존속 기간 중 언제든지 무효 소송(Revocation) 가능 소송 1회로 참여국 전체에 효력을 미치는 일괄 무효 판결 가능
이의신청 결정까지 평균 1.5 ~ 2년 소요	**소요 기간**	판결까지 약 1년 내외 신속 종결 목표

Therapeutics (Main Program)

ToolGen

in vivo and ex vivo Therapeutic Programs

Program(Disease)	Discovery	*in vitro*	*in vivo*	POC	IND-enabling	IND	Phase 1	Partner
***in vivo*: ASCVD** Atherosclerotic Cardiovascular Disease — GEB-200 ASCVD(죽상동맥경화증)의 주요 위험 인자인 Lp(a) 단백질을 영구적으로 감소시키는 치료제								GenEditBio
***in vivo*: Hemophilia (AT)** — AT(TGT-201) AT 수치를 조절하여 혈우병 A형 및 B형 치료제 개발								GenEditBio
***in vivo*: Hemophilia (LBP)** — LBP(TGT-202) 간 세포의 APOC3 인트론1 유전자 위치에 치료유전자 삽입 플랫폼								
***ex vivo*: Immune cells & iPSC** — 차세대 CAR-T, Allogeneic T cells, Hypoimmune iPSC								CARTherics, T&R Biofab, 산업통상자원부 Ministry of Trade, Industry and Energy
***ex vivo*: Armored CAR-T** — 4th Armored CAR-T Solid tumor 플랫폼 영역의 미충족 수요								

in vivo 치료제

- 체내 직접 투여형 유전자교정 치료제 개발
- 체내 유전자교정이 MoA인 치료제 개발

ex vivo 치료제

- 유전자교정 기반 세포치료제 개발
- 세포치료제를 modalit로,
  유전자교정을 core technology로 활용

Crop (Main Program)

ToolGen

	Project	Editing by transformation	Callus induction	Shoot induction	Regenerant secured	Selection of edited individual	T generation secured	Efficacy test & selection	L / O
기후 위기 대응 (가뭄내성)	고추	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	옥수수	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	콩	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	유채	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
농업 생산성 (제초제 내성)	옥수수	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
	콩	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
농업 생산성 (생산성 증진)	유채	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓

지속 가능 에너지 : SAF
(Sustainable Aviation Fuel)

바이오 연료 (Pennycress)
- Floral dipping delivery system

바이오 연료 (유채)
- microspore delivery system
- 유채 유전자원 400종 확보

NeT 신기술인증 NEW EXCELLENT TECHNOLOGY

농림식품 신기술 (NET)

고추 VIGE* 및 신규형질
*** Virus-Induced Genome Editing**
- 고추 VIGE platform
  → 신규형질 (Virus tolerance / Fruit Color)

ToolGen

Q&A

Session

INNOVATE GENOME
EDIT YOUR LIFE