

글로벌 바이오텍 (비중확대/유지)

# 수면위로 올라오는 RNA 치료제





## CONTENTS

|                                                 |           |
|-------------------------------------------------|-----------|
| <b>Investment summary</b>                       | <b>3</b>  |
| <b>I. 글로벌 RNA 치료제 동향1: 블록버스터와 M&amp;A가 많아진다</b> | <b>4</b>  |
| 1. 25년 첫 siRNA 블록버스터 제품 등장                      | 5         |
| 2. RNA 치료제 임상 파이프라인 수 증가                        | 7         |
| 3. M&A의 증가: 키워드는 신기술과 신경계질환                     | 11        |
| <b>II. 글로벌 RNA 치료제 동향2: 적응증 확대로 시장 확장</b>       | <b>13</b> |
| 1. 고지혈증 치료제 렉비오: 희귀질환에서 만성질환으로 영역 확장            | 13        |
| 2. 경쟁이 치열해진 RNA 치료제 in 심혈관계질환                   | 15        |
| 3. RNA 비만 치료제: 기존 치료제 한계를 보완하는 전략               | 18        |
| <b>III. 글로벌 RNA 치료제 동향3: BBB를 통과하는 RNA 치료제</b>  | <b>22</b> |
| 1. RNA 알츠하이머 치료제                                | 22        |
| 2. BBB를 통과할 수 있는 RNA 치료제                        | 28        |
| <b>IV. 글로벌 RNA 기술 동향: AI, RNA 편집, 원형 RNA</b>    | <b>30</b> |
| 1. RNA 치료제 개발도 AI의 도움을 받는다                      | 30        |
| 2. RNA 편집: DNA 편집보다 안전                          | 32        |
| 3. 선형보다 안정성이 높은 원형 RNA                          | 35        |
| <b>V. 글로벌 RNA CDMO 동향</b>                       | <b>37</b> |
| 1. 블록버스터와 함께 성장하는 RNA CDMO 산업                   | 37        |
| 2. 대량 생산을 위한 RNA 치료제 합성 방법 개발 중                 | 40        |
| <b>Appendix. RNA 치료제 관련 기업 리스트</b>              | <b>43</b> |
| <b>Global Company Analysis</b>                  | <b>46</b> |
| 에스티팜                                            | 47        |
| 엘나일람                                            | 53        |

## Investment summary

빅파마들의 RNA 모달리티에 대한 관심과 투자가 증가하고 있다. 2020년 코로나 mRNA 백신이 출시되면서 mRNA 연구 수가 늘어났다. RNA 치료제 임상도 꾸준히 증가하고 있으며, 특히, 신경계질환 적응증에 관련된 임상 수가 많아지고 있다. FDA 허가를 받은 RNA 치료제가 22개가 되었고, 2024년 기준 RNA 치료제 시장 규모는 148억 달러가 되었다. 상업화된 RNA 치료제로 효능과 안전성이 확인되면서 기존 모달리티로 치료할 수 없었던 적응증에 대한 치료법으로 관심을 받고 있다. 더불어 RNA 치료제의 단점인 불안정성을 해결할 수 있는 진보된 기술이 등장하면서 신약 성공 가능성이 더 높아지고 있다.

2024년 RNA 치료제 관련된 기술이전을 보면 신경계질환 치료제 연구를 위해 플랫폼을 도입한 Ipsen-Skyhawk Therapeutics, Roche-Ascidian Therapeutics 등이 있었으며 총 3개 회사로 규모는 모두 약 18억 달러로 컸다. 신경계질환의 경우 아직 RNA 후보물질이 많지 않아 플랫폼 딜 수가 더 많다. 대부분의 신경계질환은 좋은 치료제가 없다. 아직은 초기 단계이긴하나 치료제가 없으면서 시장성이 큰 알츠하이머병과 같은 질환에서 RNA 치료제가 효능을 보여준다면 RNA 모달리티는 더 주목 받을 것으로 보인다.

RNA 딜과 전임상 단계의 새로운 파이프라인을 볼 때 또 눈에 띄는 부분은 RNA 편집 기술이다. 과거 DNA를 고쳐 질병을 치료하는 유전자가위 치료제가 관심을 받던 시기가 있었다. 하지만, DNA 편집의 경우 위험성이 높아 치료제 개발 속도가 더딘게 현실이다. 이를 보완하기 위해 등장한 것이 RNA 편집이다. DNA를 고치는 것보다 위험성이 낮고, 단백질을 타겟하는 것보다는 궁극적인 치료가 될 수 있기 때문이다. 이처럼 RNA를 타겟하여 RNA를 조절할 수 있는 다양한 기술들이 나오고 있어 RNA 치료제 시장은 더 커질 것으로 판단된다. 2022년 체결된 일라이 릴리와 PQR Therapeutics의 계약도 전체 규모를 합산하면 37억 달러로 큰데, PQR Therapeutic가 가진 기술이 RNA 편집 기술이다.

RNA는 DNA나 단백질 대비 불안정하다. 불안정한 RNA의 특징을 해결해줄 수 있는 방법도 다양하게 등장하고 있다. 그 중 하나는 선형 RNA가 아닌 원형 RNA를 사용하는 것이다. 2023년 머크와 오르나 테라퓨틱스 딜은 총 36억 달러다. 오르나 테라퓨틱스가 가진 기술이 원형 RNA를 만드는 기술이다. 안정적인 RNA 전달이 가능해지고 있다.

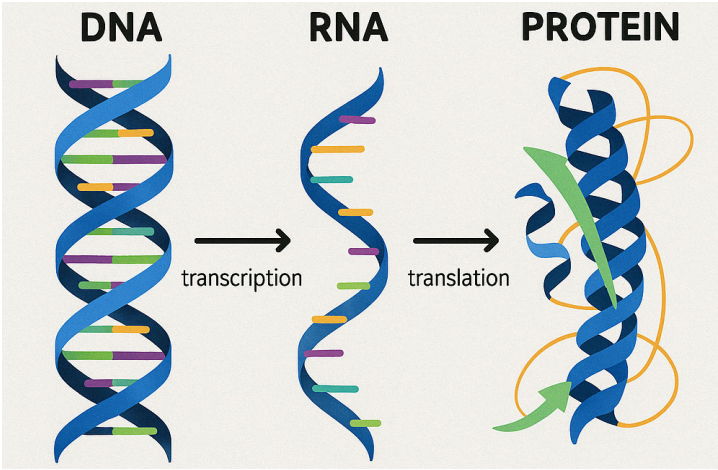
RNA 치료제 개발의 제 2의 물결이 시작되었다고 판단된다. RNA 치료제가 가진 단점을 해결할 수 있는 다양한 기술의 등장으로 치료제로써의 효능과 신약 성공 가능성이 더 높아지고 있다. 또한, 시장이 큰 적응증으로 임상을 확대하고 있어 시장은 빠르게 성장할 것으로 보인다. RNA 치료제 시장의 확대와 더불어 성장할 수 있는 RNA 치료제 CDMO 기업인 에스티팜(23760 KS, 매수)을 추천하며, RNA 치료제 선도 기업인 앨나일람(ALNY US, 중립)을 관심종목으로 제시한다.

# I. 글로벌 RNA 치료제 동향1: 블록버스터와 M&A가 많아진다

RNA는 유전체인 DNA의 정보를 단백질로 만들어 주는 과정의 중간 매개체로 존재한다. 세포의 핵 속에 존재하는 DNA는 핵 밖의 세포질로 나올 수 없다. DNA는 RNA에게 유전 정보를 옮긴다. 이를 전사(Transcription)이라고 한다. DNA 정보를 가진 RNA는 세포의 핵 밖으로 이동하여 단백질을 만드는데 이 과정을 번역(Translation)이라고 한다.

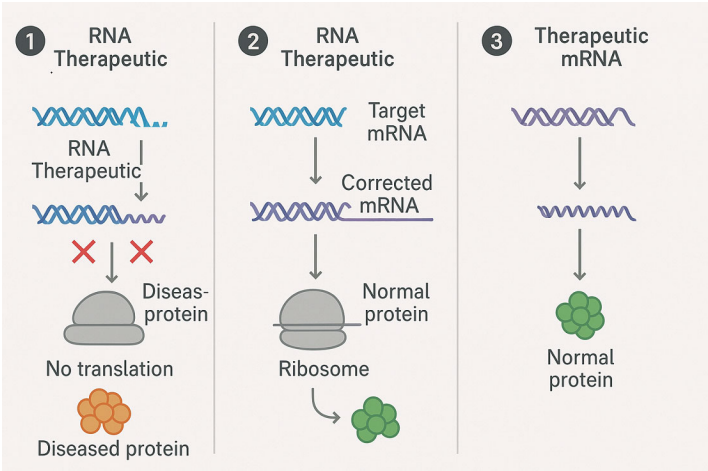
RNA 치료제는 RNA를 타겟으로 하여 1) 질병 단백질로 번역되지 못하게 하거나, 2) 정상 단백질이 만들어지도록 RNA를 수정하는 물질이 포함된다. 또한, 3) 단백질을 만들 수 있는 RNA 자체를 넣어서 항원이나 필요한 단백질을 만들어주는 것도 RNA 치료제에 포함된다.

그림 1. 센트럴 도그마



자료: 미래에셋증권 리서치센터

그림 2. RNA 치료제 분류



자료: 미래에셋증권 리서치센터

## 1. 25년 첫 siRNA 블록버스터 제품 등장

현재까지 FDA 허가를 받은 RNA 치료제는 22개이다. 2004년 황반변성 치료제 Macugen, 2013년 가족성 고콜레스테롤혈증 치료제 Kynamro가 허가를 받았으나, 시장에서 철수되었다. 현재까지 판매 중인 치료제 중에는 듀시엔형 근이영양증치료제 Exondys 51이 2016년 가장 먼저 출시되었다.

FDA 허가를 받은 RNA 치료제 중, 코로나 백신을 제외하면 10억 달러 이상의 매출을 달성한 블록버스터 제품은 척수성 근위축증 치료제 스피라자가 유일하다. 그 이유는 RNA 치료제 대부분 환자 수가 적은 희귀질환을 타깃했기 때문이다. 하지만 2021년 엘나일람의 고지혈증 치료제 렉비오의 FDA 허가 이후, RNA 치료제는 만성질환이나 비만, 의료적 미충족 수요가 높은 신경계질환영역으로도 적응증이 확장되고 있다.

ASO 치료제로는 스피라자가 출시 3년차인 2018년 17억 2,400만 달러를 달성하며 첫 블록버스터 의약품이 되었다. 2025년에는 고지혈증치료제 렉비오와 아밀로이드증 치료제 엠부트라가 10억 달러를 넘기며 첫 siRNA 블록버스터 제품이 될 전망이다. 놀랍게도 두 제품 모두 원개발사가 엘나일람이다. 임상 중인 파이프라인 중에도 2030년을 기준으로 블록버스터 제품이 될 것으로 예상되는 제품이 4개나 있다. 임상 3상 중인 B형 간염 치료제 VIR-2218(Vir Biotechnology), 고지혈증치료제 Olpasiran(Amgen), 근긴장성 이영양증 치료제 Del-desiran(Avidity Biosciences)과 임상 2상 중인 근긴장성 이영양증 치료제 DYNE-101(Dyne Therapeutics)이다. 이미 FDA 허가를 받은 치료제까지 더하면 블록버스터급 RNA 치료제는 총 11개가 될 전망이다(코로나 백신 제외)이다.

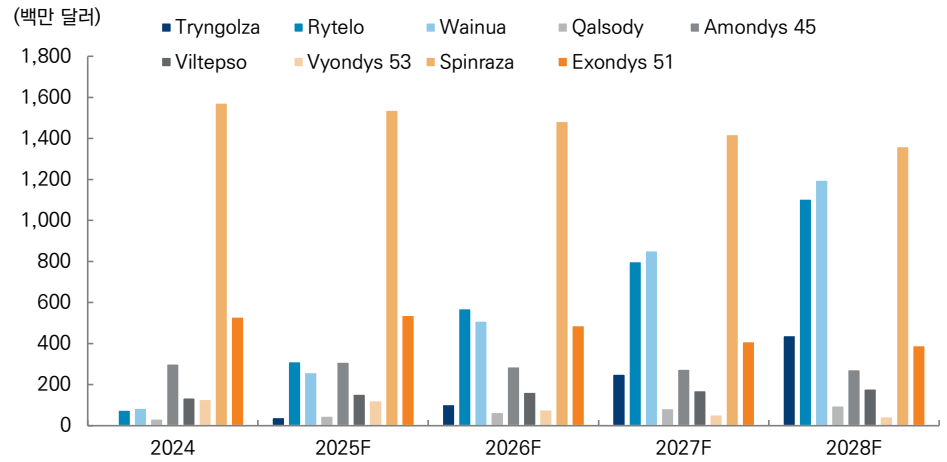
표 1. 10억 달러 이상의 매출이 예상되는 RNA 치료제

(백만 달러)

| 약물명 (브랜드명)                   | 2016 | 2017 | 2018  | 2019  | 2020  | 2021   | 2022   | 2023   | 2024  | 2025F | 2026F | 2027F | 2028F | 2029F | 2030F |
|------------------------------|------|------|-------|-------|-------|--------|--------|--------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|-------|
| mRNA1345 (mRESVIA)           |      |      |       |       |       |        |        |        | 290   | 584   | 913   | 1,251 | 1,479 | 1,726 | 1,926 |
| Imetelstat (Rytelo)          |      |      |       |       |       |        |        |        | 76    | 319   | 597   | 873   | 1,211 | 1,514 | 1,788 |
| Eplontersen (Wainua)         |      |      |       |       |       |        |        | 1      | 85    | 259   | 511   | 853   | 1,197 | 1,507 | 1,756 |
| Avacincaptad pegol (Izervay) |      |      |       |       |       |        |        | 84     | 351   | 541   | 726   | 961   | 1,180 | 1,358 | 1,546 |
| Vutrisiran (Ammvuttra)       |      |      |       |       |       |        | 94     | 558    | 970   | 1,396 | 2,016 | 2,696 | 3,594 | 4,398 | 5,095 |
| Inclisiran (Leqvio)          |      |      |       |       |       | 12     | 112    | 355    | 754   | 1,143 | 1,684 | 2,165 | 2,520 | 2,833 | 3,163 |
| mRNA-1273 (Spikevax)         |      |      |       |       | 200   | 17,675 | 18,435 | 6,671  | 3,109 | 2,262 | 2,115 | 2,076 | 2,079 | 3,841 | 4,225 |
| BNT162b2 (Comirnaty)         |      |      |       |       | 178   | 40,341 | 41,205 | 11,732 | 5,698 | 5,059 | 4,924 | 4,431 | 3,864 | 3,325 | 3,166 |
| Nusinersen (Spinraza)        | 5    | 884  | 1,724 | 2,097 | 2,052 | 1,905  | 1,794  | 1,741  | 1,573 | 1,539 | 1,483 | 1,419 | 1,361 | 1,309 | 1,263 |
| VIR-2218 + VIR-3434          |      |      |       |       |       |        |        |        |       |       |       |       | 337   | 834   | 1,556 |
| Olpasiran                    |      |      |       |       |       |        |        |        |       |       |       | 54    | 269   | 705   | 1,389 |
| Del-desiran                  |      |      |       |       |       |        |        |        |       |       | 43    | 204   | 433   | 770   | 1,090 |
| DYNE-101                     |      |      |       |       |       |        |        |        |       |       | 8     | 93    | 368   | 747   | 1,239 |

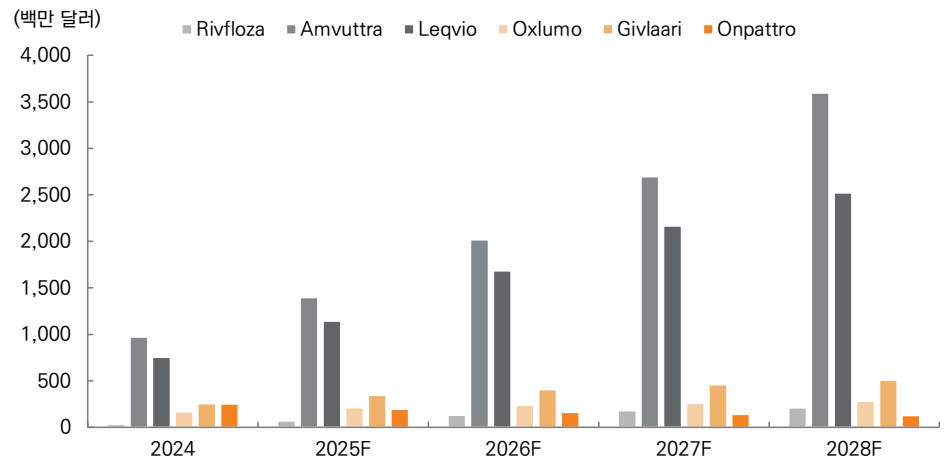
자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 3. ASO 치료제 매출 추이 및 전망



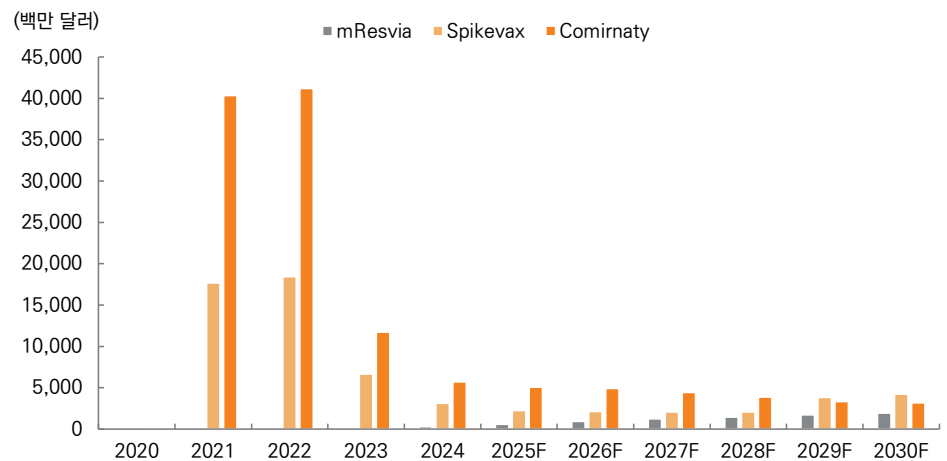
자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 4. siRNA 치료제 매출 추이 및 전망



자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 5. mRNA 치료제 매출 추이 및 전망



자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

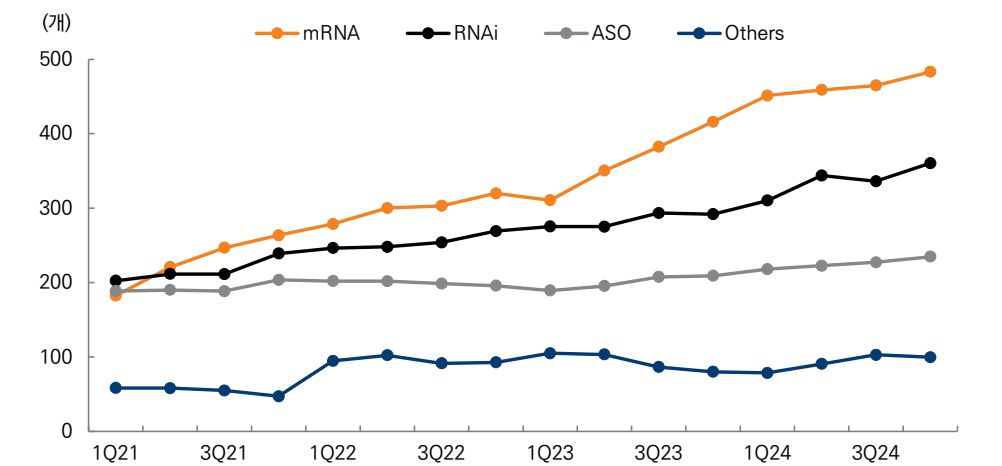
## 2. RNA 치료제 임상 파이프라인 수 증가

ASGCT에서 발간된 자료에 따르면, 현재 1,178건의 RNA 치료제 임상이 진행 중이다. RNA 치료제 중, mRNA 치료제 임상이 483건으로 가장 많고, RNAi 치료제 임상은 360건, ASO 235건, 기타 100건이다. 현재 파이프라인에 있는 RNA 치료제(임상 전에서 등록 전 까지) 중, 희귀 질환 적응증에 대한 임상이 가장 많은 397건(76%)을 차지한다. 다음으로는 감염치료 289건, 종양치료 284건으로 유사했다. 신경계질환 임상은 185건이다.

284건의 항암제 임상 중에서는 췌장암, 간암, 난소암 적응증 순으로 임상 수가 많았다. 비종양 희귀 질환의 경우, 듀센 근이영양증, 근위축성 측삭경화증, 헌팅턴병 치료제 순으로 많은 연구가 진행 중이다.

상용화된 RNA 치료제는 ASO 치료제가 10개로 가장 많고, siRNA 치료제 7개, mRNA 백신 3개이다. 하지만 임상 3상 단계의 파이프라인을 보면, siRNA 7개, ASO 7개, mRNA 6개로 mRNA와 siRNA 치료제의 개발 수도 많아지고 있다. 전체 임상 파이프라인 수의 증가를 보더라도 mRNA 치료제의 임상 개발 수가 가장 빠르게 늘어나고 있고, 다음은 siRNA 치료제다.

그림 6. RNA 치료제 임상 파이프라인 수의 증가



자료: Pharmaprojects, ASGCT(4Q24), 미래에셋증권 리서치센터

그림 7. RNA 치료제의 임상 단계별 비중

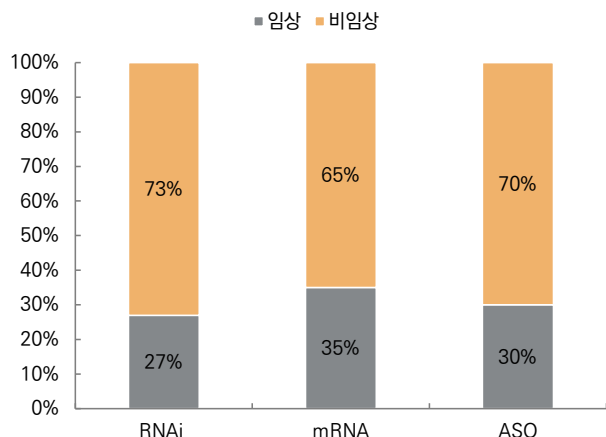
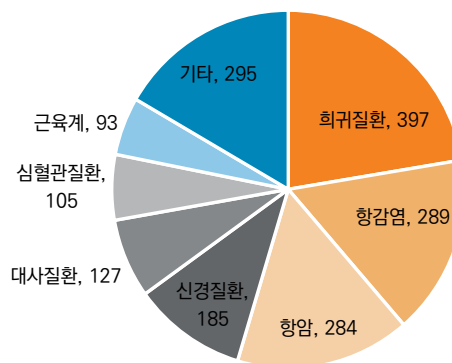


그림 8. RNA 치료제 임상 적응증 비중



자료: Pharmaprojects, ASGCT(4Q24), 미래에셋증권 리서치센터

자료: Pharmaprojects, ASGCT(4Q24), 미래에셋증권 리서치센터

표 2. RNA 치료제 주요 임상 파이프라인

| 회사                        | 제품명                  | 적응증              | 종류    | 임상단계  | 비고                |
|---------------------------|----------------------|------------------|-------|-------|-------------------|
| Arrowhead Pharmaceuticals | Plozasiran           | 가족성 킬로미크론혈증      | siRNA | Filed | PDUFA date 11/18  |
| Ionis Pharmaceuticals     | Donidalorsen         | 유전성 혈관부종         | ASO   | Filed | PDUFA date 8/21   |
| Moderna                   | mRNA-1283            | 코로나19 예방         | mRNA  | Filed | PDUFA date 5/31   |
|                           | mRNA-1083            | 코로나19 및 독감 예방    | mRNA  | Filed |                   |
| Alnylam Pharmaceuticals   | ALN-HBV02            | B형 간염            | siRNA | 임상 3상 | w/ Vir            |
|                           | Cemdisiran           | 보체 매개 질환         | siRNA | 임상 3상 | w/ Regeneron      |
| Amgen                     | Olpasiran            | 고 Lp(a) 혈중 축적경화증 | siRNA | 임상 3상 | w/ Arrowhead L.I. |
| Arrowhead Pharmaceuticals | Fazirsiran           | 알파1-항트립신 결핍증     | siRNA | 임상 3상 | w/ Takeda         |
| Avidity Biosciences       | Del-desiran          | 근긴장성 이영양증 1형     | siRNA | 임상 3상 |                   |
| Eli Lilly                 | Lepodisiran          | 기타 대사질환          | siRNA | 임상 3상 |                   |
| Ionis Pharmaceuticals     | Bepirovirsen         | B형 간염            | ASO   | 임상 3상 | w/ GSK            |
|                           | Jacifusen            | 근위축성 측삭경화증       | ASO   | 임상 3상 |                   |
|                           | Zilganersen          | 알렉산더병            | ASO   | 임상 3상 |                   |
| Moderna                   | mRNA-1010            | 인플루엔자 예방         | mRNA  | 임상 3상 |                   |
|                           | mRNA-1403            | 노로바이러스 예방        | mRNA  | 임상 3상 | FDA 임상보류 중        |
|                           | mRNA-1647            | 거대세포 바이러스 예방     | mRNA  | 임상 3상 |                   |
|                           | mRNA-4157            | 고형암              | mRNA  | 임상 3상 | w/ Merck          |
| Novartis                  | Pelacarsen           | Lp(a) 관련 심혈관질환   | ASO   | 임상 3상 | w/ Ionis L.I.     |
| Oncotelic Therapeutics    | Trabedersen (OT-101) | 뇌암, 췌장암          | ASO   | 임상 3상 |                   |
| Ultragenyx Pharmaceutical | GTX-102 (UTPH)       | 엔젤만 증후군          | ASO   | 임상 3상 |                   |

주: 임상 3상 이상의 파이프라인만 분류

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터



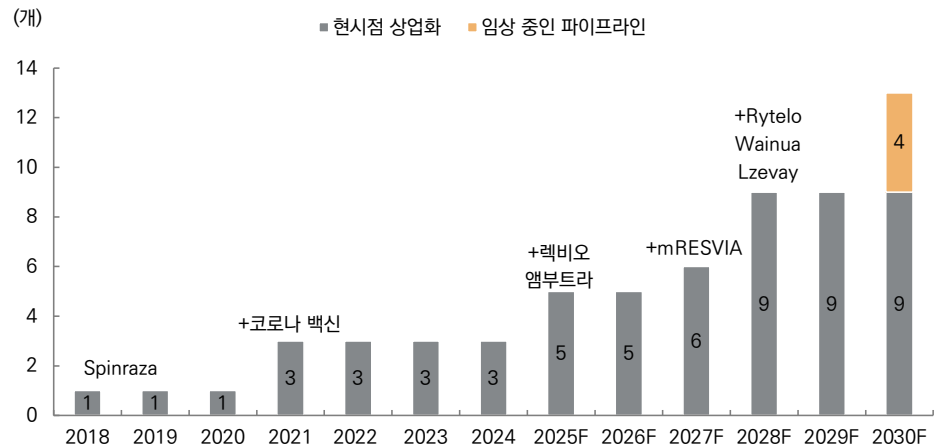
### RNA 치료제 적응증: 만성질환으로 확대

2020년 코로나 mRNA 백신 출시 이후로 RNA 치료제 개발에도 다양한 변화가 있었다. 가장 큰 변화는 치료 적응증이 확대되고 있다는 점이다. 지금까지 FDA 허가를 받은 RNA 치료제 22개 중 14개는 희귀질환 치료제, 8개는 비희귀질환 치료제다. 20년 이전에는 가족성 클로미크론혈증 증후군 치료제 Waylivra를 제외하고는 6개 모두 희귀질환 치료제였다.

20년 이후에는 희귀질환 치료제 8개, 비희귀질환 치료제 7개가 FDA 허가를 받았다. 20년 이전 FDA 허가를 받은 RNA 치료제는 희귀질환을 적응증으로 하여 매출 규모도 작았다. 21년 고지혈증 치료제 렉비오의 FDA 허가는 RNA 치료제의 비희귀질환 확장에 대한 트리거가 되었다. 만성질환 적응증에서도 RNA 치료제가 좋은 효능을 보일 수 있다는 것이 입증되었기 때문이다.

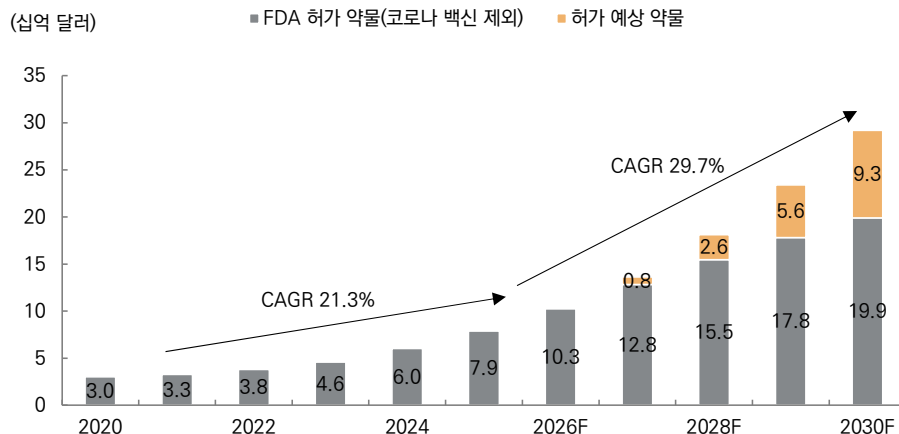
24년 기준 RNA 치료제 시장은 148억 달러(코로나 백신 제외 시, 60억 달러)이다. 30년 기준 RNA 치료제 시장은 366억 달러(코로나 백신 제외 시, 292억 달러)까지 성장할 것으로 전망된다. 최근 많은 관심을 받는 모달리티인 ADC 시장의 경우에도 2024년 120억 달러 시장에서 2030년 362억 달러로 성장할 것으로 전망된다. 총 규모만 보면 유사하다. ADC 치료제는 현재 4개의 블록버스터 제품이 있다. 블록버스터 엔허투가 나오고, ADC 관련 딜의 수가 증가했던 점을 고려하면, RNA 관련 모달리티 또한 블록버스터가 5개가 되는 25년 시점을 시작으로 많은 딜과 모달리티에 대한 관심 증가가 예상된다.

**그림 9. 10억 달러 이상의 매출이 예상되는 RNA 치료제**



주: 코로나 백신 포함  
자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 10. RNA 치료제 시장 규모



자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

표 3. FDA 허가를 받은 RNA 치료제

(백만 달러)

| 약물명 (브랜드명)                   | 적응증               | 종류                                 | 회사/원개발사                        | FDA 허가 | 2024 매출 | 2030F 매출 | 회귀질환 |
|------------------------------|-------------------|------------------------------------|--------------------------------|--------|---------|----------|------|
| Fitusiran (Ofitlia)          | 혈우병A              | siRNA                              | 사노피/엘나일람                       | 2025   | 0       | 352      | YES  |
| Olezarsen (Tryngolza)        | 지단백질리파아제결핍증       | ASO                                | 아이오니스                          | 2024   | 1       | 796      | NO   |
| mRNA1345 (mRESVIA)           | 호흡기세포융합바이러스 예방    | mRNA vaccine                       | 모더나                            | 2024   | 290     | 1,926    | NO   |
| Imetelstat (Rytelo)          | 골수 형성 이상 증후군      | Phosphorodiamidate oligonucleotide | 제론                             | 2024   | 76      | 1,788    | YES  |
| Nedosiran (Rivfloza)         | 고옥살산노증            | siRNA                              | 노보노디스크/Dicerna Pharmaceuticals | 2023   | 31      | 234      | YES  |
| Eplontersen (Wainua)         | 아밀로이드성 다발신경병증     | ASO                                | 아스트라제네카/아이오니스                  | 2023   | 85      | 1,756    | YES  |
| Avacincaptad pegol (Izervay) | 이베릭바이오 지도형 위축(GA) | RNA aptamer                        | 아스텔라스                          | 2023   | 351     | 1,546    | NO   |
| Tofersen (Qalsody)           | 루게릭병              | ASO                                | 바이오젠/아이오니스                     | 2023   | 32      | 106      | YES  |
| Vutrisiran (Amvuttra)        | 가족성 아밀로이드 신경병증    | siRNA                              | 엘나일람                           | 2022   | 970     | 5,095    | YES  |
| Casimersen (AMONDYS 45)      | 두시엔형 근이영양증        | ASO                                | 사렙타                            | 2021   | 301     | 226      | YES  |
| Inclisiran (Leqvio)          | 고지혈증              | siRNA                              | 엘나일람                           | 2021   | 754     | 3,163    | NO   |
| mRNA-1273 (Spikevax)         | 코로나19             | mRNA vaccine                       | 모더나                            | 2020   | 3,109   | 4,225    | NO   |
| BNT162b2 (Comirnaty)         | 코로나19             | mRNA vaccine                       | 화이자/바이오엔텍                      | 2020   | 5,698   | 3,166    | NO   |
| Viltolarsen (Viltepso)       | 두시엔형 근이영양증        | ASO                                | Nippon Shinyaku Pharm          | 2020   | 135     | 190      | YES  |
| Lumasiran (Oxlumo)           | 원발성 과산소증 1형       | siRNA                              | 엘나일람                           | 2020   | 167     | 323      | NO   |
| Golodirsen (Vyondys 53)      | 두시엔형 근이영양증        | ASO                                | 사렙타/바이오마린                      | 2019   | 129     | 29       | YES  |
| Givosiran (Givlaari)         | 급성 간헐성 포르피린증      | siRNA                              | 엘나일람                           | 2019   | 256     | 578      | YES  |
| Volanesorsen (Waylivra)      | 가족성 콜로미크론혈증 증후군   | ASO                                | PTC Therapeutics/아이오니스         | 2019   | 42      | 70       | NO   |
| Patisiran (Onpattro)         | 아밀로이드성 다발신경병증     | siRNA                              | 엘나일람                           | 2018   | 253     | 111      | YES  |
| Inotersen (Tegsedi)          | 아밀로이드성 다발신경병증     | ASO                                | PTC Therapeutics/아이오니스         | 2018   | 39      | 40       | YES  |
| Nusinersen (Spinraza)        | 척수성 근위축증          | ASO                                | 바이오젠/아이오니스                     | 2016   | 1,573   | 1,263    | YES  |
| Eteplirsen (Exondys 51)      | 두시엔형 근이영양증        | ASO                                | 사렙타/바이오마린                      | 2016   | 530     | 304      | YES  |

주: 시장 철수한 Macugen, Kynamro 제외

자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

### 3. M&A의 증가: 키워드는 신기술과 신경계질환

23년~24년 RNA 관련 라이선스 딜이 증가하고 있다. 최근 RNA 치료제 딜 키워드는 RNA 신기술(RNA 편집, 원형 RNA 등)과 신경계질환이다.

신경계질환 및 대사질환 치료를 위한 딜의 수가 늘어나고 있다. 신경계질환의 경우 아직 RNA 후보물질이 많지 않아 플랫폼 딜의 수가 더 많다. RNA 치료제의 효능과 안전성이 확인되면서, 다른 모달리티로 치료할 수 없었던 적응증에 대한 치료법으로 각광받고 있다. 아직 초기 단계이긴하나 치료제가 없으면서 시장성이 큰 알츠하이머병과 같은 질환에서 RNA 치료제가 효능을 보여준다면 RNA 치료제 시장은 더 확대될 것으로 보인다.

RNA 딜과 전임상 단계의 새로운 파이프라인을 볼 때 또 눈에 띄는 부분은 RNA 편집 기술이다. 과거 DNA를 고쳐 질병을 치료하는 유전자가위 치료제가 관심을 받던 시기가 있었다. 하지만, DNA 편집의 경우 위험성이 높아 치료제 개발 속도가 더딘게 현실이다. 이를 보완하기 위해 등장한 것이 RNA 편집이다. DNA를 고치는 것보다 위험성이 낮고, 단백질을 타겟하는 것보다 궁극적인 치료가 될 수 있기 때문이다. 이처럼 RNA를 타겟하여 RNA를 조절할 수 있는 다양한 기술들이 나오고 있어 RNA 치료제 시장은 더 커질 것으로 판단된다. 2022년 체결된 일라이 릴리와 PProQR Therapeutics의 계약은 전체 규모가 37억 달러로 큰데, PProQR Therapeutic가 가진 기술이 RNA 편집 기술이며, 이를 이용하여 릴리는 신경계질환 치료제를 개발하려고 하고 있다.

RNA는 DNA나 단백질 대비 불안정하다. 불안정한 RNA의 특성을 해결해줄 수 있는 방법도 다양하게 등장하고 있다. 그 중 하나는 원형 RNA를 사용하는 것이다. 23년 머크와 오르나 테라퓨틱스 딜은 총 36억 달러다. 오르나 테라퓨틱스가 가진 oRNA 플랫폼으로 항암제 등을 개발하는 플랫폼 딜이었다. 오르나 테라퓨틱스는 원형 RNA를 만드는 기술을 가지고 있어 기존의 선형 RNA보다 더 안정적인 RNA 전달이 가능할 것으로 보인다. 이와 같이 RNA 치료제의 단점을 해결할 수 있는 진보된 기술을 가진 RNA 관련 기업들이 등장하고 있다.

표 4. 글로벌 RNA 관련 딜 리스트

(백만 달러)

| 계약일        | 회사                   | 딜 파트너                     | 딜 종류     | 선금금 | 딜 밸류  | 파이프라인              | 임상 단계     | 적응증   | 종류               | 비고                       |
|------------|----------------------|---------------------------|----------|-----|-------|--------------------|-----------|-------|------------------|--------------------------|
| 2025-04-22 | Ipsen                | Skyhawk Therapeutics      | 공동개발     | 비공개 | 1,800 | Platform-based     |           | Rare  | Small Molecule   | 옵션 타깃 2건 (RNA-targeting) |
| 2024-11-26 | Sarepta Therapeutics | Arrowhead Pharmaceuticals | 라이선스     | 500 | 1,075 | ARO-DUX4 외         | 임상1/2상 외  | Rare  | siRNA            | 임상 4건/비임상 3건 포함 총 7건 자산  |
| 2024-09-04 | Eli Lilly            | Haya Therapeutics         | 공동개발     | 비공개 | 1,000 | lncRNA-targeting   |           | 대사질환  | lncRNA           |                          |
| 2024-07-03 | GSK                  | CureVac                   | 라이선스     | 430 | 1,561 | mRNA 백신            | 임상 2상 외   | 감염    | mRNA             | CureVac과 기존 협업 재조정       |
| 2024-06-18 | Roche                | Ascidian Therapeutics     | 라이선스     | 42  | 1,842 | Neuro-targeting    |           | CNS   | RNA exon editing |                          |
| 2024-03-25 | Novo Nordisk         | Cardior Pharmaceuticals   | M&A      |     | 1,111 | CDR132L            | 임상 2상     | 심혈관   | ASO              |                          |
| 2024-01-07 | Novartis             | Shanghai Argo Biopharma   | 라이선스     | 185 | 4,165 | 비공개                | 임상1/2a상 외 | 심혈관   | siRNA            | 임상 자산 2건 및 옵션 타깃 2건      |
| 2024-01-03 | Boehringer Ingelheim | Suzhou Ribo/Ribocure      | 공동개발     | 비공개 | 2,000 | Platform-based     |           | 대사질환  | siRNA            |                          |
| 2023-11-28 | Bristol Myers Squibb | Avidity Biosciences       | 공동개발     | 100 | 2,300 | Platform-based     |           | 심혈관   | AOC              | 최대 타깃 5건                 |
| 2023-10-31 | GSK                  | Janssen                   | 라이선스     | 비공개 | 1,000 | JNJ-3989           | 임상 2상     | 감염    | siRNA            | Arrowhead와 기존 계약 조건 유지   |
| 2023-07-24 | Roche                | Alnylam Pharmaceuticals   | 공동개발     | 310 | 2,800 | Zilebesiran        | 임상 2상     | 심혈관   | siRNA            |                          |
| 2023-07-17 | Novartis             | DTx Pharma                | M&A      | 500 | 1,000 | DTx-1252           | 전임상       | CNS   | siRNA            |                          |
| 2023-05-01 | Astellas Pharma      | Iveric Bio                | M&A      |     | 5,900 | Avacincaptad pegol | 임상 3상     | 안과    | RNA aptamer      | 23년 FDA 우선심사             |
| 2023-01-09 | Royalty Pharma       | Ionis Pharmaceuticals     | 로열티 지분인수 | 500 | 1,125 | Spinraza 외         | 상업화 외     | Rare  | ASO              |                          |
| 2023-01-05 | Moderna              | CytomX Therapeutics       | 라이선스     | 35  | 1,235 | Platform-based     |           | Multi | mRNA             |                          |
| 2022-12-22 | Eli Lilly            | PRoQR Therapeutics        | 공동개발     | 75  | 3,750 | Platform-based     |           | CNS   | RNA editing      | 기존 계약(21년) 누적            |
| 2022-08-16 | Merck                | Orna Therapeutics         | 공동개발     | 150 | 3,650 | Platform-based     |           | 종양    | oRNA             |                          |
| 2022-02-17 | Janssen              | Remix Therapeutics        | 공동개발     | 45  | 1,045 | Platform-based     |           | 종양    | Small Molecule   | 타깃 3건 (RNA-targeting)    |

주: 최근 3년, 10억 달러 이상

자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터



## II. 글로벌 RNA 치료제 동향2: 적응증 확대로 시장 확장

RNA 치료제의 적응증이 만성질환으로 확대되는데 큰 공헌을 한 고지혈증 치료제 렉비오가 있다. 렉비오는 엘나일람이 개발하고 노바티스에 기술이전하여 상업화된 고지혈증 치료제이다. 특정 RNA를 저해하는 RNAi 모달리티가 희귀질환뿐만 아니라 만성질환도 치료 가능한 영역임을 확인시켜 주었다.

렉비오는 21년 12월 FDA 허가를 획득했으며, 25년 매출 11억 4,300만 달러를 기록하며 블록버스터 제품이 될 것으로 예상된다. 만성질환에서 블록버스터가 되는 첫번째 RNA 치료제다. 렉비오 출시 이후 심혈관질환 치료제로 RNAi 모달리티를 이용하는 파이프라인도 증가하고 있다.

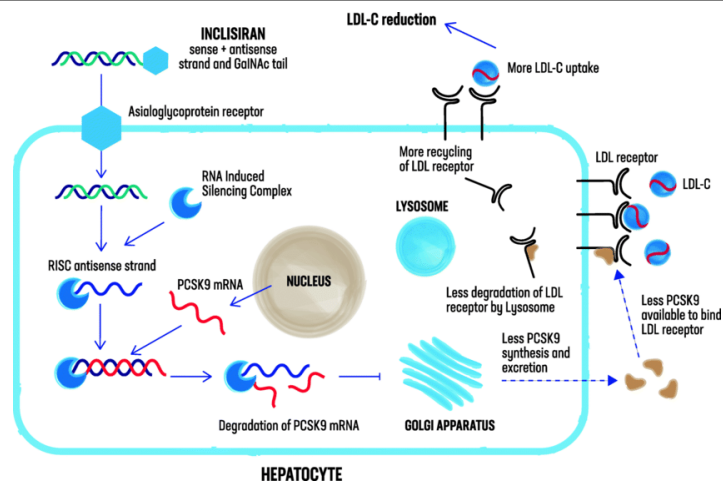
### 1. 고지혈증 치료제 렉비오: 희귀질환에서 만성질환으로 영역 확장

렉비오는 혈류 내 저밀도 지질단백질 콜레스테롤(LDL-C)의 수치를 감소시키는 고지혈증 치료제다. 1년에 2회 투여(최초 투약 후 3개월 뒤에 추가 투여)하는 siRNA 치료제다. 기존 고지혈증 치료제로 LDL-C 수치를 충분히 낮추지 못하는 동맥경화성 심혈관질환(ASCVD) 환자를 대상으로 사용이 승인되었다.

고지혈증은 만성질환으로, 높은 LDL-C 수치는 심혈관 질환의 위험을 증가시키는 주요 요인이다. 미국 기준, 약 2천만 명이 스타틴을 복용하고 있다. 이 중 약 80%가 렉비오의 대상 환자군에 속할 것으로 추정된다.

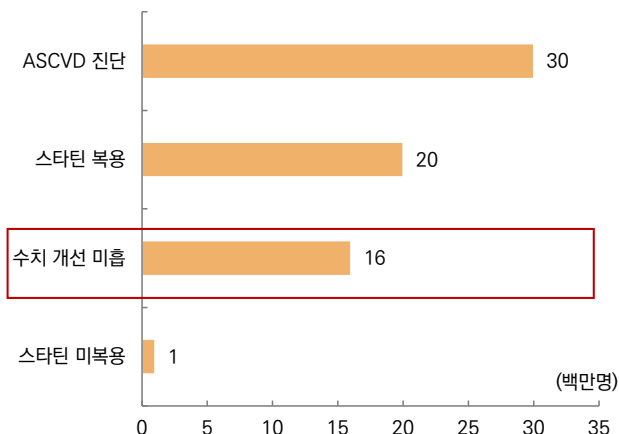
렉비오의 타겟은 PCSK9 mRNA이다. PCSK9은 저밀도 지질단백질(LDL) 수용체의 수를 감소시키는 역할을 하는 단백질이다. 렉비오는 PCSK9 mRNA에 결합하여 PCSK9 단백질의 생산을 억제함으로써 LDL 수용체의 수를 증가시킨다. 이러한 메커니즘은 간세포가 혈류 내 LDL-C를 보다 효율적으로 제거하도록 돕고, 결국 혈류 내 LDL-C 수치를 낮추게 된다.

그림 11. 렉비오의 생물학적 기전



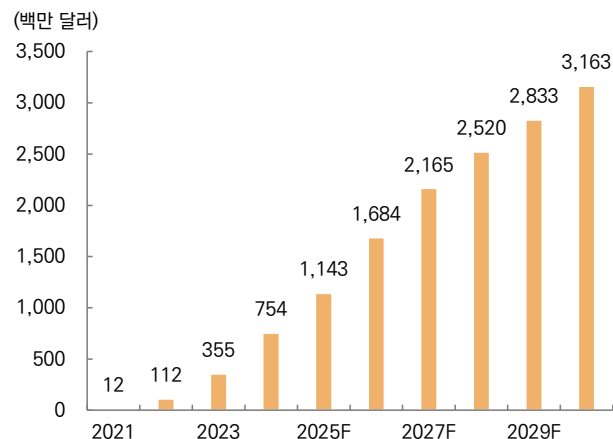
자료: Current Cardiology Reports(2020), 미래에셋증권 리서치센터

그림 12. 렉비오 대상 환자군



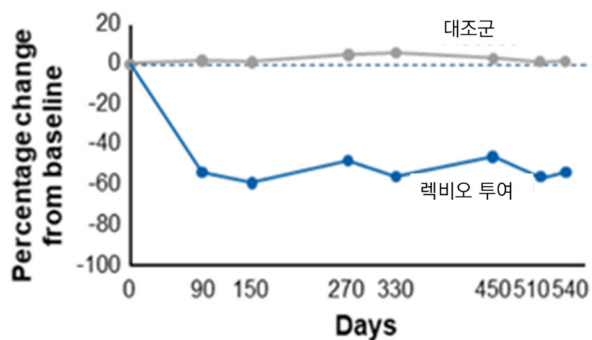
자료: 노바티스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 13. 렉비오 매출 추이 및 전망



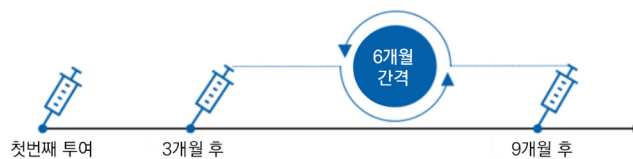
자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 14. 렉비오 임상결과(효과적인 LDL 콜레스테롤 농도 감소)



자료: 노바티스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 15. 렉비오 투여방법(연간 2회 주사)



자료: 노바티스, 미래에셋증권 리서치센터

## 2. 경쟁이 치열해진 RNA 치료제 in 심혈관계질환

지단백질(lipoprotein)은 지질과 단백질이 결합된 복합체로, 혈중 콜레스테롤과 중성지방을 운반하는 역할을 한다. 지단백질의 증가는 심혈관계질환 발생 위험을 높인다. 지단백질을 줄여 심혈관계질환을 예방하는 임상을 진행 중인 RNA 치료제는 4개다. 펠라카르센(Pelacarsen)은 아이오니스가 개발하여 노바티스가 판권을 가지고 있는 ASO 치료제다. 나머지 3개는 siRNA 치료제로 릴리의 레포디시란(Lepodisiran), 암젠의 올파시란(Olpasiran), 사일런스의 젤라시란(Zerlasiran)이다. 아이오니스/노바티스의 펠라카르센이 임상 단계에서 가장 앞서 있다. 26년 임상 3상 결과를 발표할 예정이다. 아직 임상 중이긴 하나, RNA 치료제가 단일클론항체나 다른 모달리티 대비 좋은 효과를 보일 것으로 기대된다.

Lp(a)는 간에서 생성되는 지단백질 입자로, LDL-C 유사 입자와 아폴리포단백(a)로 구성된다. 혈중 Lp(a) 수치는 주로 유전적 변이로 인해 개인마다 큰 차이를 보이며, LDL-C 수치와는 상관관계가 없다. 하지만, LDL-C 수치가 목표 수치(70 mg/dL 미만)까지 낮아진 환자라도 Lp(a) 수치가 높으면 심혈관 질환 고위험군에 속한다. Lp(a) 수치 상승은 관상동맥 질환, 심장마비, 뇌졸중, 말초 동맥 질환 및 대동맥 협착증의 독립적인 유전적 원인으로 알려져 있다. 현재 Lp(a) 수치 상승을 특이적이고 강력하게 낮추는 효과적인 약물 치료법은 없다.

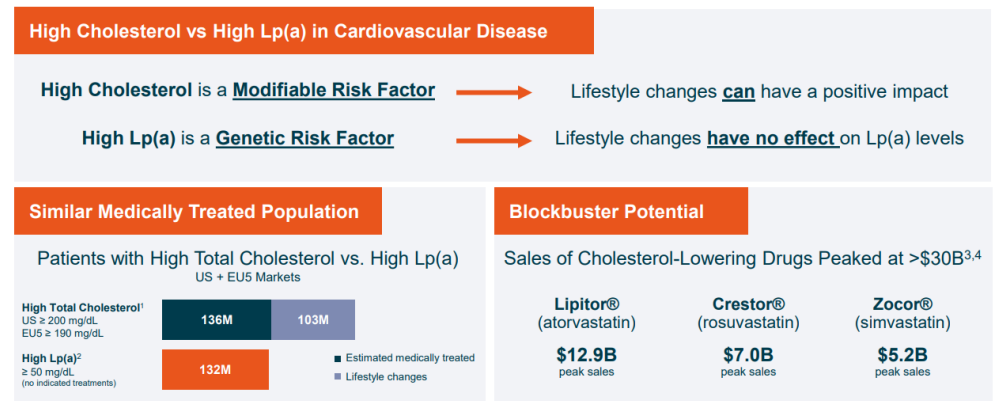
노바티스의 펠라카르센(Pelacarsen)은 22년 임상 3상 환자모집을 완료했다. 임상 3상은 심혈관계질환이 있고 Lp(a) 수치가 상승한 환자에서 펠라카르센 80mg을 매달 피하 투여하는 방법이다. 26년 상반기 결과 발표 후, 26년 하반기 허가 신청서를 제출할 계획이다. 노바티스가 19년 펠라카르센의 라이선스를 취득했으며, 아이오니스가 약 15~20%의 로열티를 받는 구조다. 펠라카르센은 간에서 아폴리포단백질 생성을 억제하여 지단백질 또는 Lp(a) 수치를 감소시킨다. 임상 2상 결과에 따르면, 펠라카르센을 매주 또는 매달 피하 투여한 결과 용량 의존적으로 Lp(a)가 35~80% 감소했다.

암젠의 올파시란(Olpasiran) 임상 2상 결과는 22년 11월 발표되었다. Lp(a) 수치가 150nmol/L 이상인 281명의 환자를 대상으로 한 임상이다. 환자들은 올파시란 4가지 용량(10mg 12주 간격, 75mg 12주 간격, 225mg 12주 간격 또는 225mg 24주 간격) 중 하나 또는 위약군에 무작위 배정되어 피하 주사로 투여되었다. 12주마다 75mg 이상을 투여 받은 환자는 36주차에 위약 대비 Lp(a) 수치가 95% 이상 감소했다. 임상 3상 결과는 25년 하반기 또는 26년 발표될 예정이다.

일라이릴리의 레포디시란(Lepodisiran)은 임상 3상 중으로 3월 20일 임상 2상 결과를 발표했다. 레포디시란은 1회 또는 2회에 걸쳐 400mg을 복용 시, 6개월 동안 위약 대비 지단백질 수치가 평균 93.9% 감소하는 데이터를 발표했다. 임상 3상은 29년 마무리될 것으로 예상된다.

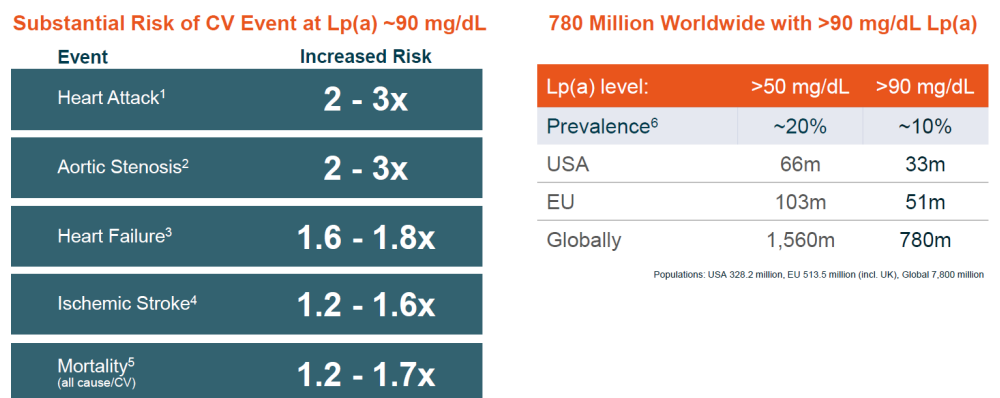
사일런스의 젤라시란(Zerlasiran)은 임상 23년 임상 2상 결과를 발표했다. 60주 동안 Lp(a)가 125 nmol/L 이상인 ASCVD 환자를 평가했다. 1차 평가변수를 충족했고, 위약 대비 36주차까지 기준치 대비 Lp(a)가 매우 유의미하게 감소했다고 발표했다. 치료 기간 동안 Lp(a)의 최대 감소 중앙값은 약 90% 이상이었다. 임상 3상은 홀드한 상황이며, 파트너사 확보 시 진행한다고 발표했다.

그림 16. Zerlasiran이 타깃하는 심혈관계질환 대상 환자군



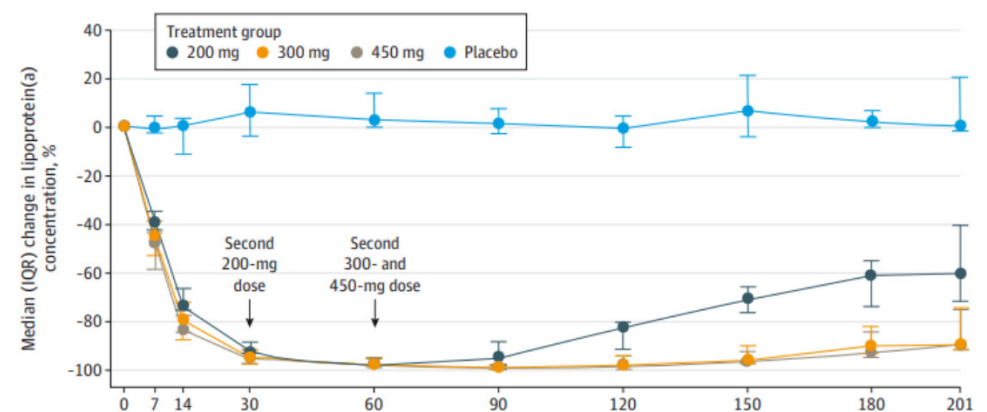
자료: 사일런스 테라퓨틱스(24. 11), 미래에셋증권 리서치센터

그림 17. Lp(a)의 수치가 높아질수록 나타나는 위험도



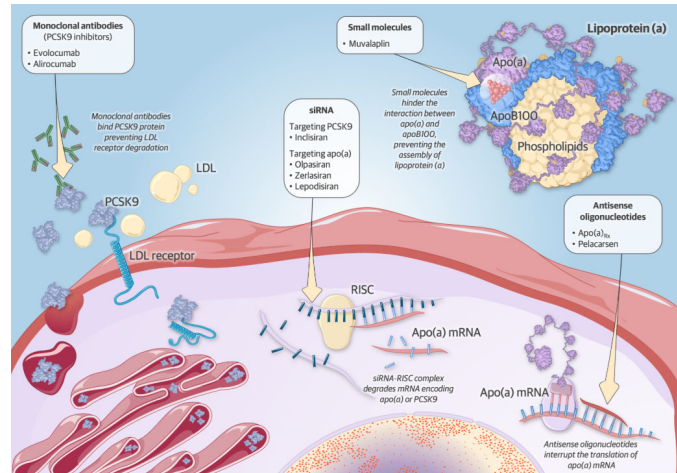
자료: 사일런스 테라퓨틱스(24. 11), 미래에셋증권 리서치센터

그림 18. Zerlasiran 임상 1상 결과



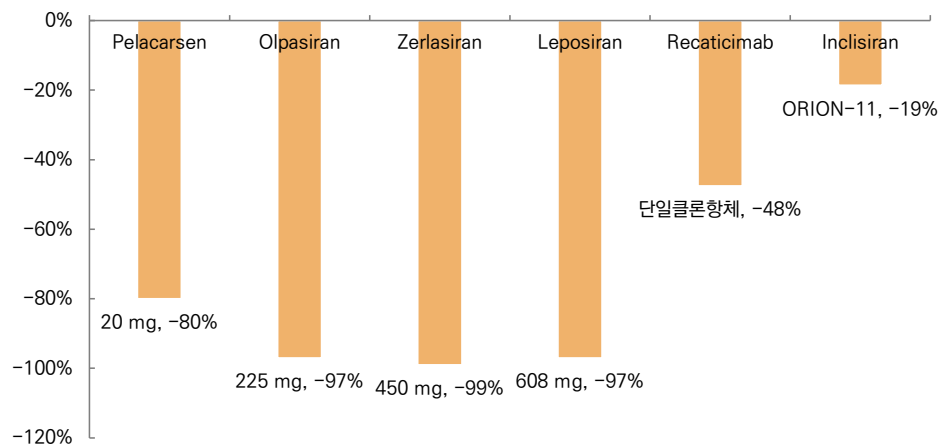
자료: 사일런스 테라퓨틱스(24. 11), 미래에셋증권 리서치센터

그림 19. 심혈관계질환 RNA 치료제 작용 기전



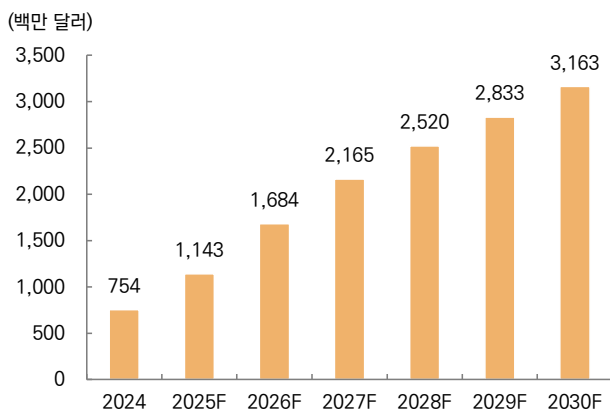
자료: AHJournals(2025), 미래에셋증권 리서치센터

그림 20. 임상 후보물질 별 Lp(a) 수치 변화율



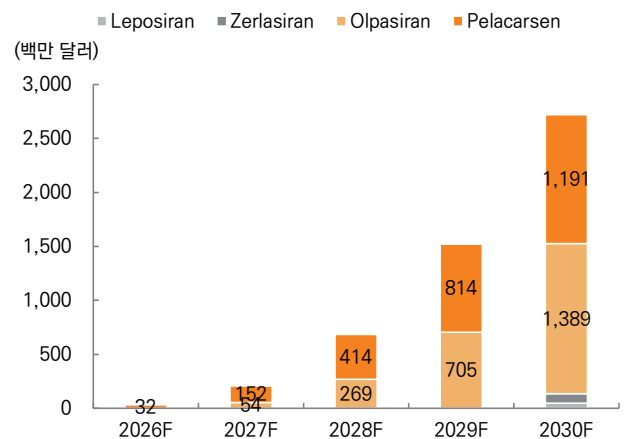
주: 각각 다른 임상으로 직접 비교 어려움  
자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

그림 21. 렉비오 매출 추이 및 전망



자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 22. 심혈관계질환 RNA 치료제 매출 전망



자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터



### 3. RNA 비만 치료제: 기존 치료제 한계를 보완하는 전략

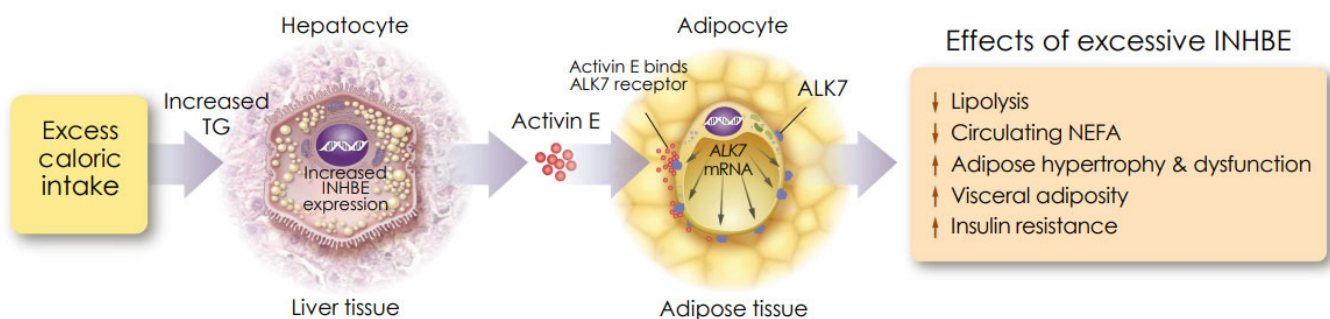
노보노디스크의 위고비와 일라이 릴리의 쥘바운드가 출시되면서 비만 치료제 시장은 급속도로 성장했다. 하지만 비만 치료에도 충족되지 않은 부분이 남아있다. 1) 환자의 거의 절반이 내약성 문제로 인해 치료를 중단하며, 2) 감량된 체중의 60%가 첫 1년 이내에 다시 돌아오기 때문이다. 3) 그리고 회복된 체중의 대부분이 지방이라는 것이다.

현재 개발 중인 비만 치료제는 체중 감량의 양보다는 질에 초점을 맞추고 있다. 근육량을 보존하면서 내약성도 향상시키는 방법이다. 에로우헤드, 엘나일람, 웨이브 라이프사이언스 등의 기업이 siRNA를 이용하여 비만 치료제 임상을 시작했다. 모두 INHBE의 발현을 억제하는 파이프라인을 보유하고 있으며, 추가적으로 노블한 비만 타깃을 공략하거나, 적응증을 확대하는 전략을 가지고 있다. INHBE는 Activin E를 발현하고, Activin E는 지방 조직에서 지방 분해를 억제하고, 지방 저장을 촉진한다.

엘나일람은 INHBE/Activin E 경로인 리간드 수용체 조합을 표적으로 한다. 이 경로는 지방 분해를 조절하고 차단하는 데 관련되어 있다. INHBE는 간의 표적이고, ACVR1C는 지방세포의 표적이다.

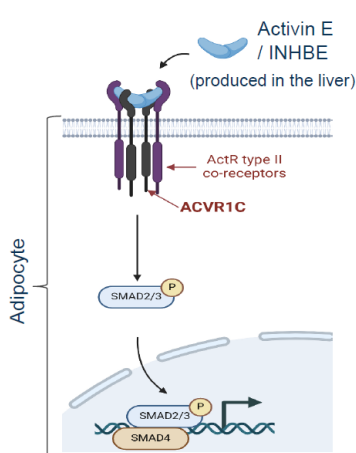
엘나일람은 비만 치료 관련 3가지 전임상 데이터를 보유하고 있다. 1) ACVR1C 또는 INHBE 단독 타깃(NHP 모델)에서는 강력하고 지속적으로 타깃 유전자 발현이 억제됨을 확인했다. 체지방 감소, 근육량 유지, 체중 재증가 억제도 확인했다. 2) 저용량 인크레틴 병용 마우스 모델에서는 시너지 효과로 체지방이 더 많이 감소됨을 확인했다. 체중 재증가 속도가 둔화되고, 근육량도 더 잘 유지되었다. 3) 이중 siRNA 병용(ACVR1C+추가 타깃) 임상에서는 위고비(세마글루타이드) 고용량과 유사한 체중 감소 효과를 보였다. 45% 이상의 지방이 감소했고, 인크레틴 치료 후 근육량 증가와 체중 증가 방지도 확인했다. 환자에서도 동일한 패턴이 확인된다면, 비만 환자 관리와 치료 측면에서 좋은 방법이 될 것으로 보인다. 엘나일람은 2025년 ACVR1C siRNA(ALN-2232)의 임상 1상을 개시할 예정이다.

그림 23. INHBE의 역할

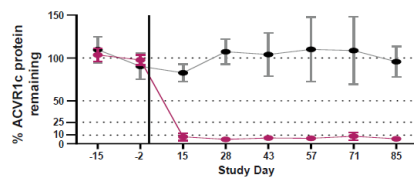


자료: 에로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

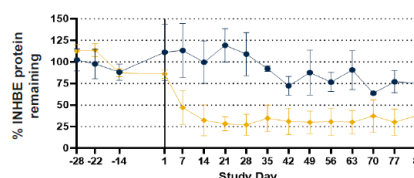
그림 24. 지방세포와 간 세포에서의 ACVR1c와 INHBE 발현 억제



95% ACVR1c Knockdown in NHP Adipose

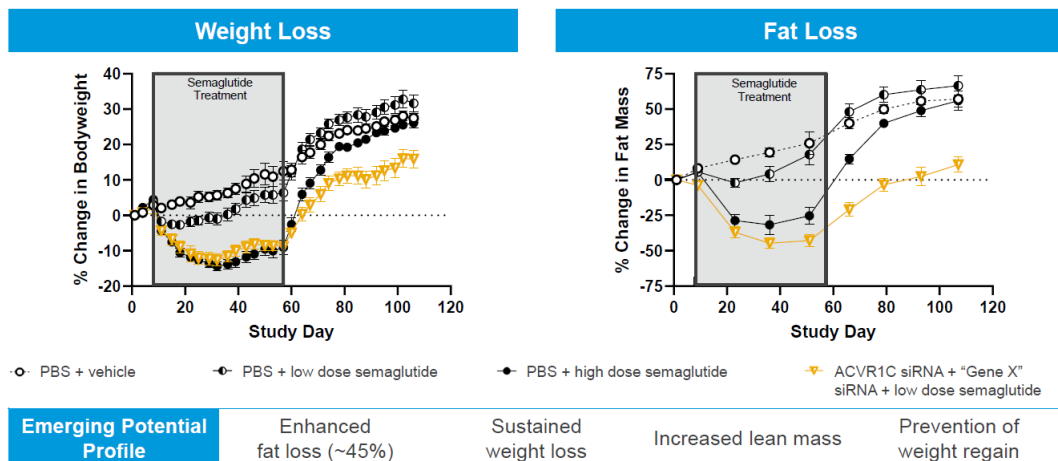


INHBE Knockdown in NHP Liver



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 25. 세마글루타이드와의 병용으로 체중 및 지방 감소



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

표 5. 2025년 주요 임상 이벤트

| 분류     | 약물명                  | 적응증             | 임상단계   | 1H25                           | 2H25                           | 파트너사 |
|--------|----------------------|-----------------|--------|--------------------------------|--------------------------------|------|
| 아밀로이드증 | VUTRISIRAN           | 아밀로이드증 심근병증     | FDA 허가 | FDA 허가                         | 일본, 독일 승인                      |      |
|        | Nucresiran           | 아밀로이드증 심근병증     | 임상 3상  | 임상 3상 개시                       |                                |      |
| 심혈관질환  | ZILEBESIRAN          | 고혈압             | 임상 2상  |                                | 2상 결과(KARDIA-3)<br>3상 개시(CVOT) |      |
| 신경계질환  | Mivelsiran           | 알츠하이머           | 임상 1상  |                                | 1상 파트B 탐라인 결과<br>임상 2상 개시      |      |
|        |                      | 대뇌아밀로이드맥관병증     | 임상 2상  |                                |                                |      |
|        | ALN-HTT02            | 헌팅턴병            | 임상 1상  |                                |                                |      |
| 희귀질환   | Fitusiran            | 혈우병             | FDA 허가 | FDA 허가(3월 28일)                 |                                | 사노피  |
|        | CEMDISIRAN/POZELIMAB | 보체매개성 질환        | 임상 3상  |                                | 3상 결과(중증근무력증)                  | 리제네론 |
| 기타     | ELEBSIRAN            | 만성 B/D형 바이러스 감염 | 임상 2상  | 임상 3상 개시(HDV)<br>임상 2상 결과(HBV) |                                | 비어   |

자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

에로우헤드의 비만 치료제

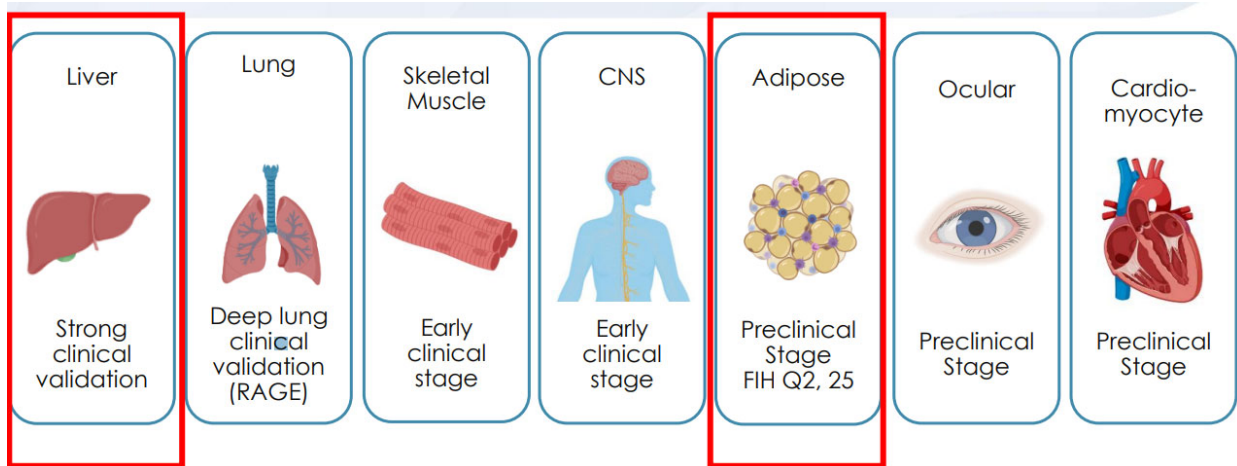
에로우헤드는 siRNA 플랫폼으로 TRiM™ 플랫폼 기술을 이용한다. TRiM™ 플랫폼은 간을 포함하여 폐, 근육, CNS 등 다양한 조직으로 전달하는 시도를 하고 있다. 비만 치료제 파이프라인은 ARO-INHBE로 임상 1상 단계에 있다.

INHBE는 주로 간세포에서 발현되는데 Activin E는 간에서 분비되는 강력한 hepatokine이다. INHBE 유전자에 의해 만들어지는 Hepatic Activin E는 지방조직에서 에너지 항상성을 유지한다. 순환하는 Activin E는 지방 조직에서 지방 분해를 억제하고, 지방 저장을 촉진한다. INHBE siRNA를 처리한 고칼로리 식단의 쥐는 대조군에 비해 체중이 19% 감소했다.

ALK7은 TGF-β 패밀리 중 하나로 지방세포에 발현된다. ALK7 신호 전달은 지방 분해를 억제하여 지방세포 크기와 지질 함량을 증가시킨다. ALK7 siRNA 치료제와 Tirzepatide(젠포바운드)를 같이 투여했을 경우 몸무게의 감소율이 더 컸으며, 그 중 지방의 감소가 더 뚜렷하게 나타났다.

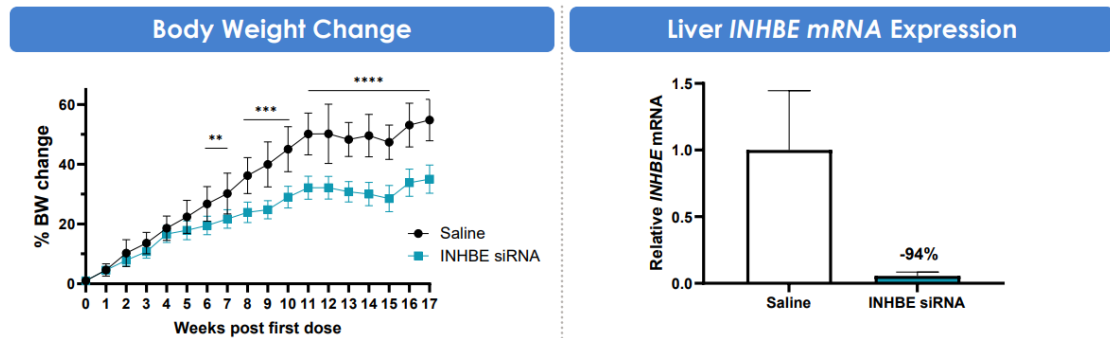
INHBE siRNA 단독 투여 임상, 반복 투여, Tirzepatide 병용 임상 결과를 2025년 중 확인할 수 있을 것으로 예상된다. ALK7 siRNA 임상 결과도 INHBE siRNA 임상과 유사하며 2025년 임상이 개시될 예정이다.

그림 26. 에로우헤드의 TRiM™ 플랫폼이 사용된 조직



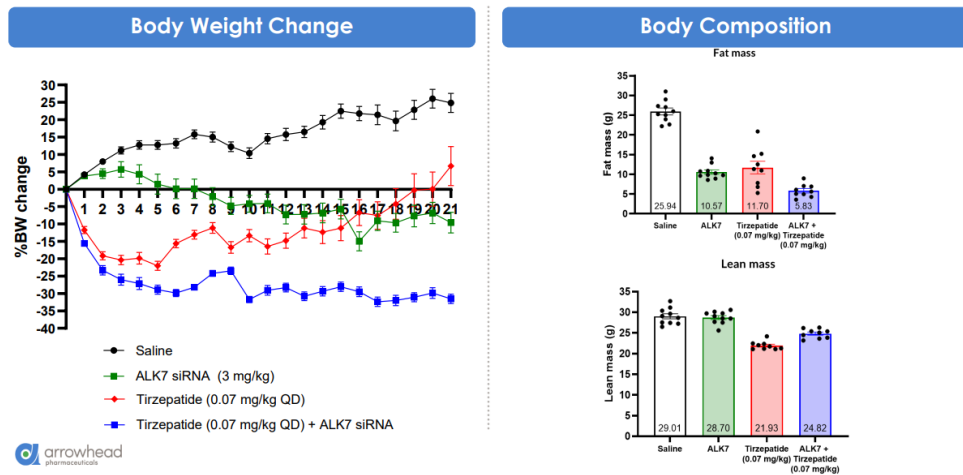
자료: 에로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 27. INHBE 발현 억제는 고칼로리 식단 쥐의 몸무게를 감소시킴



자료: 에로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 28. ALK7 발현 억제는 고칼로리 식단 쥐의 몸무게 및 지방 감소



자료: 에로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 29. 에로우헤드의 주요 임상 파이프라인

| Therapeutic Area |                                              | Pre-clinical | Phase 1 | Phase 2 | Phase 3 | Product Rights |
|------------------|----------------------------------------------|--------------|---------|---------|---------|----------------|
| Cardiometabolic  | Plozasiran<br>FCS/SHTG/ASCVD                 |              |         |         |         |                |
|                  | Zodasiran<br>Dyslipidemia                    |              |         |         |         |                |
|                  | Olpasiran<br>ASCVD                           |              |         |         |         | AMGEN          |
|                  | GSK4532990<br>MASH                           |              |         |         |         | gsk            |
|                  | ARO-PNPLA3<br>MASH                           |              |         |         |         |                |
|                  | ARO-INHBE<br>Obesity                         |              |         |         |         |                |
| Pulmonary        | ARO-RAGE<br>Inflammatory Lung Diseases       |              |         |         |         |                |
|                  | ARO-MUC5AC<br>Muco-Obstructive Lung Diseases |              |         |         |         |                |
|                  | ARO-MMP7<br>Idiopathic Pulmonary Fibrosis    |              |         |         |         |                |
|                  | Fazirsiran<br>Alpha-1 Liver Disease          |              |         |         |         | Takeda         |
| Liver            | Daplasiran/Tomligisiran<br>Hepatitis B Virus |              |         |         |         | gsk            |
|                  | ARO-DUX4<br>F3HD                             |              |         |         |         |                |
| Neuromuscular    | ARO-DM1<br>Myotonic Dystrophy Type 1         |              |         |         |         |                |
|                  | ARO-ATXN2<br>Spinocerebellar Ataxia 2        |              |         |         |         |                |
| Other            | ARO-C3<br>Complement Mediated Disease        |              |         |         |         |                |
|                  | ARO-CF8<br>Complement Mediated Disease       |              |         |         |         |                |

자료: 에로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

### III. 글로벌 RNA 치료제 동향3: BBB를 통과하는 RNA 치료제

신경계질환은 미충족 의료 수요가 높은 질환군이다. 알츠하이머, 파킨슨, 헌팅턴 등 질환에 대한 궁극적 치료제가 아직 없기 때문이다. 따라서 신경계질환 치료를 위해 다양한 모달리티로 치료제를 개발 중이며, RNA 모달리티도 예외는 아니다.

가장 흔한 치매 형태인 알츠하이머병은 수백만 명의 사람들의 사고와 독립성을 손상시키는 진행성 신경 질환이다. 오늘날 전 세계적으로 5,500만 명 이상이 치매를 앓고 있으며, 그 중 60~70%가 알츠하이머병이다. 알츠하이머병은 보통 65세 이상의 사람들에게 진단되지만, 증상이 나타나기 수년 또는 수십 년 전에 신경학적 변화가 발생한다.

#### 1. RNA 알츠하이머 치료제

중추신경계 질환군에 속하는 뇌암, 파킨슨병, 알츠하이머병은 현재까지 궁극적인 치료법을 찾지 못한 분야다. 엘나일람은 2019년 리제네론 파마슈티컬스와 총 10억 달러 규모의 중추신경계 및 안구 질환 대상의 RNAi 기반 치료제 공동 개발 계약을 체결했다. 현재, 알츠하이머병 치료제에 대한 임상시험을 진행 중이다.

#### 알츠하이머 치료제: 엘나일람의 기업가치에 크게 기여할 파이프라인

엘나일람의 기업가치에 중요한 역할을 할 수 있는 파이프라인은 알츠하이머 치료제로 판단된다. Mivelsiran(ALN-APP)은 엘나일람의 가장 앞서 있는 중추신경계 치료제 파이프라인이다. 또한, APP mRNA를 직접적으로 타겟팅하는 첫번째 치료제인 것에도 의미가 있다.

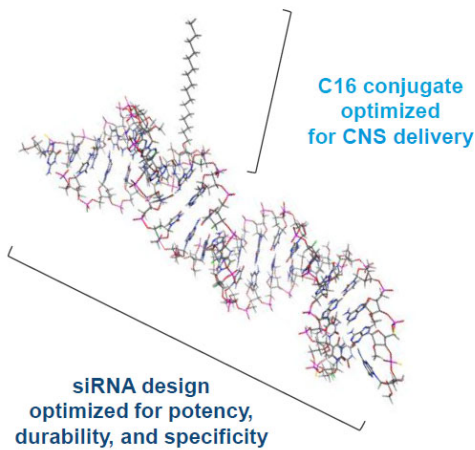
엘나일람의 후보물질 Mivelsiran은 아밀로이드 전구체 단백질(APP) mRNA를 타겟으로 한다. APP 유전자는 가족성 알츠하이머 발병에 관련 있는 유전자 중 하나다. 또한, 특정 돌연변이는 아밀로이드 베타( $A\beta$ ) 단백질의 생산을 증가시키는 것으로 알려져있다. 아밀로이드 베타의 축적은 알츠하이머병과 대뇌 아밀로이드 혈관병증 발병과 관련이 있다.

APP mRNA는 세포막에 위치하는 APP 단백질을 생성한다. APP 단백질은 특정 효소에 의해 절단돼  $A\beta$  응집체를 형성할 수 있다. 기존의 알츠하이머 치료 후보물질들이 주로 아밀로이드베타 응집체를 타겟으로 했다면, Mivelsiran은  $A\beta$  응집체 형성을 초래하는 상위 단백질인 APP mRNA를 조절함으로써 더 근본적인 대응을 할 수 있다.

기존 항체 치료제는 뇌혈관 출혈(ARIA) 부작용이 발생하여, 아밀로이드 혈관병증(CAA) 동반 알츠하이머병 환자에게 사용이 불가능하다. Mivelsiran은 뇌 내 전구 단백질(APP) 차단 을 통해 근본 병태 생성을 억제하고, 혈관 안정성 유지 가능성을 제시했다.

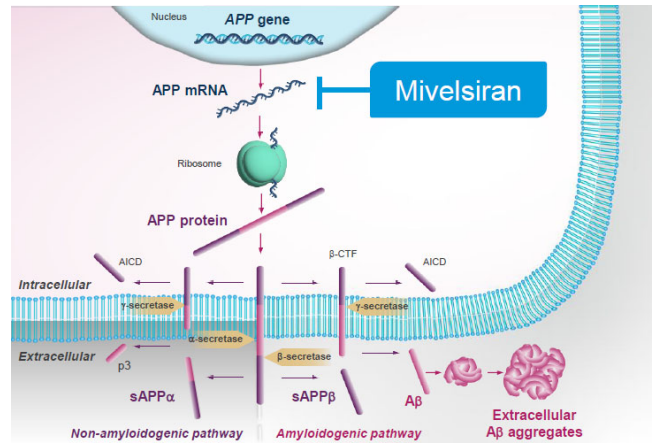
현재 Mivelsiran의 알츠하이머 임상 1상 용량 증대 시험이 진행 중이다. 초기 임상에서 50mg 및 100mg 용량 투여 시, 뇌척수액(CSF) 내 APP 단백질 농도를 60~75% 감소시켰다. 또한, 투여 후 10개월까지 장기간 지속 효과를 보여주었다. 또한, 다회 투여군에서 더 큰 APP 단백질 감소 효과가 나타났다. CSF 내 염증 지표(WBC, 단백질, NfL) 증가가 없는 것을 통해 면역학적 안정성도 보였다. 임상 2상은 2025년 하반기 시작 예정으로, 다양한 알츠하이머 아형(유전형, 초기/중기 등) 포함 가능성을 검토 중이다.

그림 30. CNS 전달에 이용되는 C16



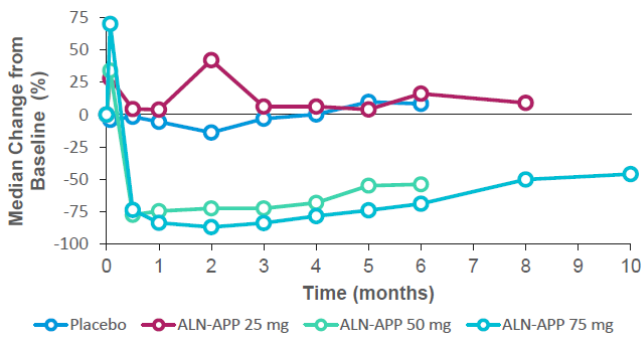
자료: 엘나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터

그림 31. APP mRNA 억제를 통한 아밀로이드베타 감소



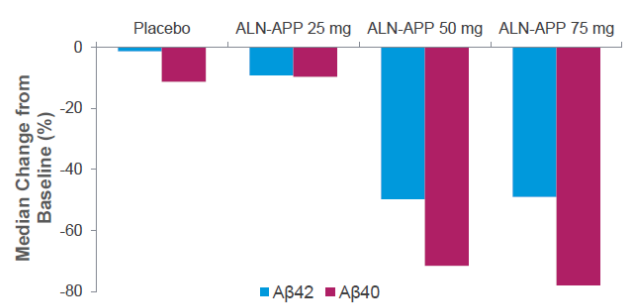
자료: 엘나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터

그림 32. CSF에서 APP의 감소



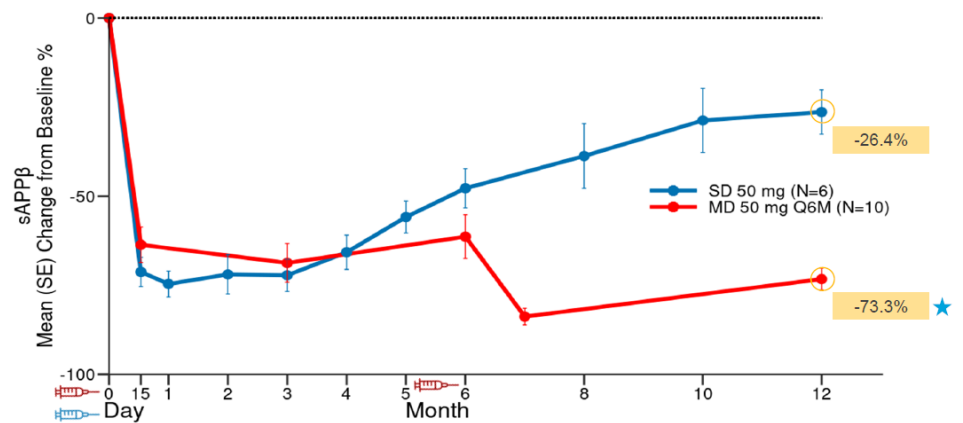
자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 33. 2달만에 Aβ42 및 Aβ40 감소



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 34. 다중 투여를 통해 APP 감소율을 높일 수 있음



자료: 엘나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터



### 바이오젠은 신경계질환 치료제로 ASO를 선택

바이오젠의 알츠하이머병 치료제 BIIB080은 임상 2상이 진행 중이다. 임상 2상(CELIA)은 현재 모든 참여자가 등록을 완료했으며, 주요 결과는 2026년 상반기 발표될 예정이다. BIIB080의 타겟은 타우 단백질을 만드는 MAPT mRNA이다. 타우는 뇌세포 구조를 안정화하는 중요한 단백질이지만, 비정상적으로 쌓일 경우 신경세포 손상과 인지 기능 저하를 유발한다.

23년 공개했던 초기 임상1b상 연구에서는 BIIB080이 뇌척수액(CSF) 안에 있는 타우 단백질의 양을 투여량에 따라 줄이는 효과를 보였다. 또 뇌 영상 검사(PET)를 통해 뇌에 쌓인 타우 단백질이 감소하는 것도 확인됐다. 부작용(AE)은 BIIB080으로 치료받은 40명(95%)의 참가자와 위약으로 치료받은 9명(75%)의 참가자에게 발생했다. 모든 치료로 인한 부작용(TEAE)은 심각도가 경미하거나 중간 정도로 보고되었다. 가장 흔한 부작용은 두통, 허리 통증, 사지 통증, 요추천자 후 증후군, 시술 통증이다.

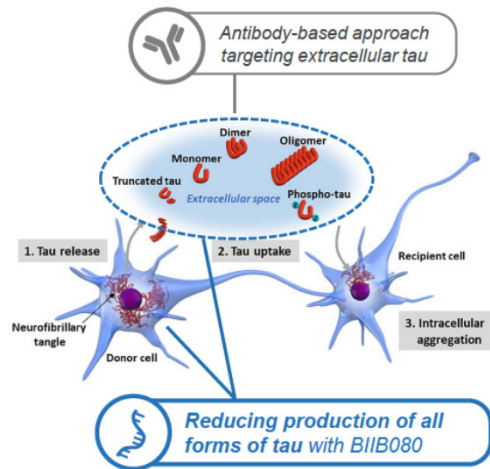
바이오젠은 2019년 12월, 아이오니스와 계약을 통해 타우 ASO 치료제 BIIB080에 대한 전 세계 독점 개발 및 상업화 권리를 확보했다. 계약금은 1억 5,500만 달러이며, 선금금 4,500만 달러가 포함된 금액이다.

바이오젠은 알츠하이머 치료제에 이어 희귀신경질환에 대한 치료제로도 ASO를 선택했다. 25년 2월 도입한 드라베증후군 치료제 조레부너르센(Zorevunersen)도 ASO 치료제다. 총 투자 규모는 5.5억 달러로, 2Q25 임상 3상 개시 예정인 스토크 테라퓨틱스(Stoke Therapeutics)의 SCN1 타겟 ASO 치료제이다. 조레부너르센은 TANGO-ASO 플랫폼 기술을 통해 정상적인 SCN1 mRNA를 만들고 최종적으로 정상 SCN1 단백질의 발현을 늘려준다.

드라베증후군은 생후 1년 이내에 발병하는 난치성 뇌전증으로, 대부분의 환자가 SCN1A 유전자의 돌연변이로 인해 질병이 발생하는 것으로 알려져 있다. SCN1A 유전자는 나트륨 채널 단백질을 암호화하며, 뇌에서 억제성 신경세포의 정상적인 기능을 유지하는 데 중요한 역할을 한다.

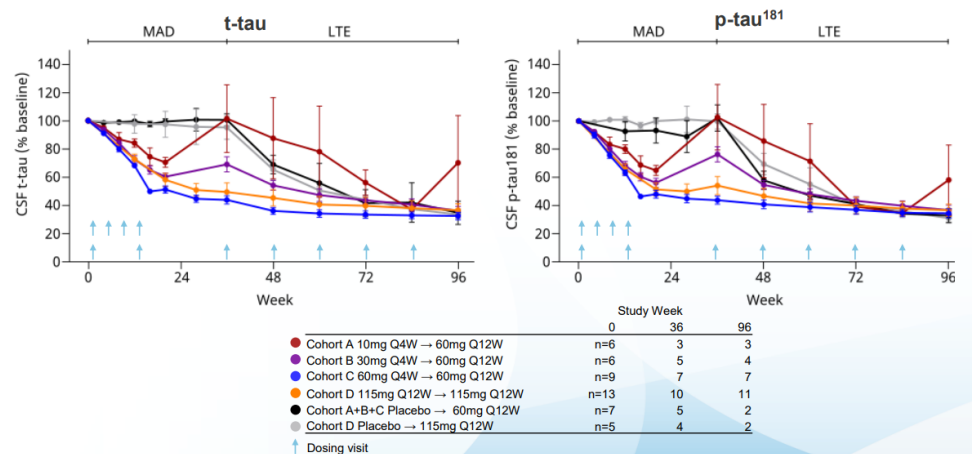
SCN1A에 돌연변이가 발생하면 억제성 신경세포의 활성 저하로 인해 신경계가 과도하게 흥분하는 상태가 된다. 이로 인해 빈번하고 심각한 발작이 나타난다. 단순한 발작뿐만 아니라, 인지 및 발달 지연, 운동 장애, 행동 문제 등 다양한 신경학적 증상을 보일 수 있다.

그림 35. 알츠하이머 치료제 BII080 작용 기전



자료: 바이오젠, 미래에셋증권 리서치센터

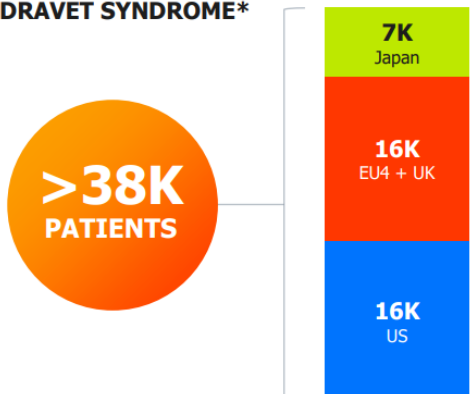
그림 36. BII080 임상 1b상 결과: 뇌척수액 내 타우 단백질 양 감소



자료: 바이오젠(23. 10), 미래에셋증권 리서치센터

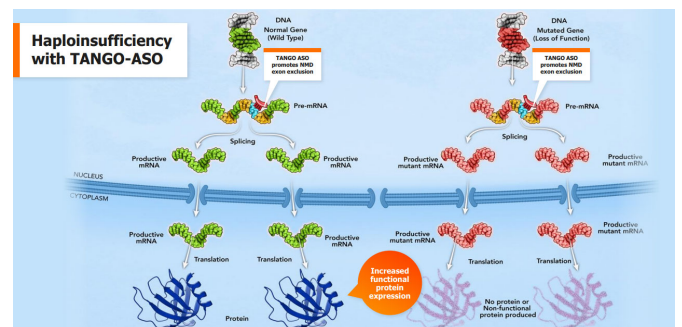
그림 37. 드라베증후군 환자 수

PREVALENCE OF DRAVET SYNDROME\*



자료: Stoke Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

그림 38. Stoke Therapeutics의 TANGO-ASO 플랫폼



자료: Stoke Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

### RNA 편집 기술로 도전하는 신경계질환 치료제

로슈는 2024년 6월, 애시디언 테라퓨틱스(Ascidian Therapeutics, 비상장)와 신경계 질환을 치료하기 위한 계약을 체결했다. 애시디언 테라퓨틱스는 질병을 유발하는 돌연변이를 가진 RNA 엑손을 정상 엑손으로 편집하는 기술을 보유하고 있다. 로슈는 자체보유 CNS 전달기술과 애시디언의 RNA 편집기술을 결합해 신경계질환 치료제를 개발할 계획이다.

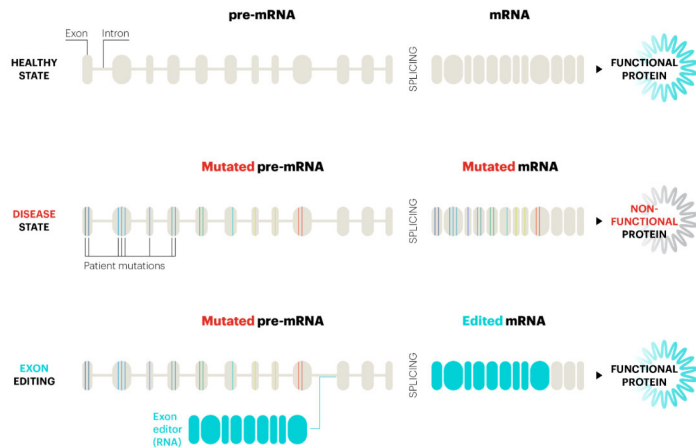
애시디언은 로슈로부터 계약금으로 4,200만 달러를 받을 예정이며, 향후 최대 18억 달러의 연구, 임상, 상업화 마일스톤과 전 세계 매출에 따른 로열티를 받을 수 있다. 유전성 항반변성의 가장 흔한 형태인 스타가르트병을 포함한 ABCA4 망막병증을 적응증으로 치료제를 개발 중이다. 로슈는 2023년도 아이오니스와도 알츠하이머, 헌팅턴병 치료제 개발 협력을 확대한 바 있다.

### 사노피: 안정한 원형 RNA를 이용한 신경계질환 연구

25년 1월, 사노피도 미국 비상장 기업 알로이 테라퓨틱스(Alloy Therapeutics, 비상장)와 중추신경계(CNS) 표적에 대한 안티센스 신약 개발 계약을 체결했다. 알로이 테라퓨틱스는 안티클라스틱 안티센스(AntiClastic Antisense) 플랫폼을 보유하고 있다. AntiClastic™ 플랫폼은 선형 올리고뉴클레오타이드의 양 끝을 결합하여 일시적인 고리 구조를 형성하여 유전자 치료제의 효능, 안전성 및 약물 유사 특성을 향상시키는 기술이다.

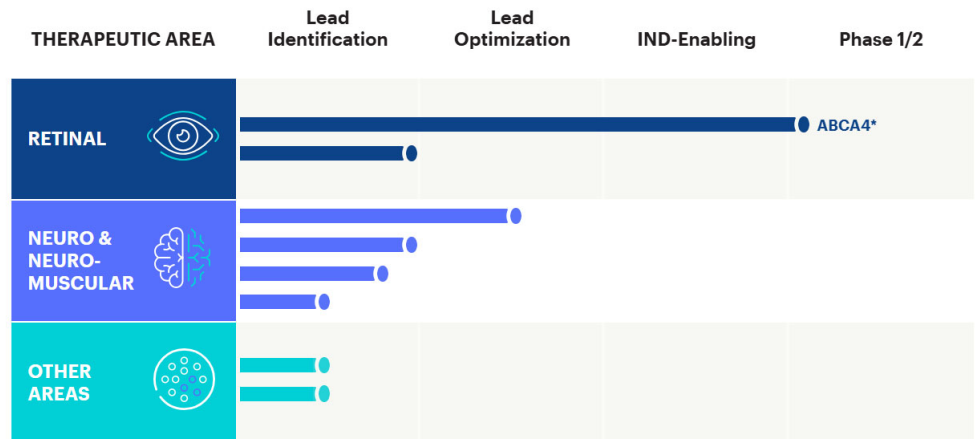
사노피는 알로이에게 최대 2,750만 달러의 계약금을 지급할 예정이다. 알로이는 향후 마일스톤으로 4억 달러 이상을 받을 수 있다. 사노피는 이번 협력을 통해 안티클라스틱 안티센스 플랫폼을 사용해 뇌에 전달 가능한 치료제를 개발할 계획이다.

그림 39. 애시디언 테라퓨틱스의 RNA 편집 기술



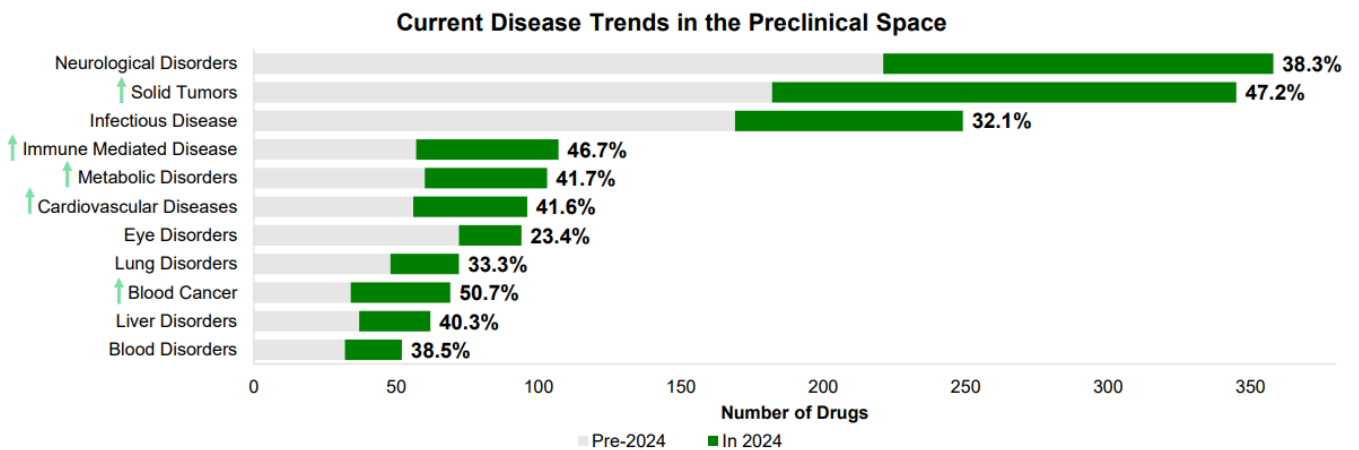
자료: Ascidian Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

그림 40. 애시디언 테라퓨틱스의 파이프라인



자료: Ascidian Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

그림 41. 최근 RNA 치료제 전임상 시험 적응증



자료: Beacon, 미래에셋증권 리서치센터

## 2. BBB를 통과할 수 있는 RNA 치료제

RNA 치료제로 신경계질환에 대한 연구를 확장하는 기업이 늘어나면서 RNA 치료제의 뇌 전달에 대한 필요성도 높아지고 있다. 특히 뇌에 존재하는 물질을 타깃으로 하는 치료제의 경우 뇌혈관장벽(BBB)을 통과하여야 한다. 과거에는 BBB를 통과하는 항체에 초점이 맞추어져 있었다면, 최근에는 RNA 치료제를 뇌에 전달하는 기술에 대한 관심이 높아졌고, 이는 다수의 딜을 통해 확인 가능하다. 로슈, GSK, 사노피 등 빅파마들은 BBB셔틀 기술과 RNA 치료제 기술을 확보하고 있다.

25년 4월 국내 에이비엘바이오는 GSK와의 그랩바디B 플랫폼 기술 계약에서 RNA 치료제를 그랩바디B 기술과 접목하는 일부 기술도 이전했다. 그랩바디B는 BBB를 잘 통과할 수 있는 기술으로, GSK는 그랩바디B 기술을 통해 RNA의 뇌 전달 효율을 높일 것으로 보인다.

바이사이클 테라퓨틱스(Bicycle Therapeutics, BCYC US)도 21년 아이오니스와 트랜스페린 수용체 1을 표적으로 하는 안티센스 의약품 개발에 대한 계약을 체결했다. 바이사이클 테라퓨틱스는 트랜스페린 수용체에 높은 결합력을 가진 펩타이드 기술을 보유하고 있기 때문이다.

### 엘나일람도 BBB 통과 기술 개발 중

엘나일람이 사용중인 CNS 질환 타깃 플랫폼은 C16-siRNA이다. 엘나일람은 현재 요추천 주사(intrathecal, IT)를 통해 뇌척수액(CSF) 내로 직접 전달한다. Mivelsiran (알츠하이머병 및 CAA), ALN-HTT02 (헌팅틴병), ALN-SOD (SOD1 변이 ALS) 임상을 통해 1) 광범위한 뇌 분포, 2) 장기간 지속 효과, 우수한 프로파일(CSF 내 염증 또는 독성 없음)이 입증되었다. 하지만 IT 주사 방식은 침습적이며 대중 질환이나 광범위한 환자군에는 적용이 어렵다. 따라서 IT 주사에 의존하지 않고, 전신 투여로 혈액-뇌 장벽(BBB)을 넘을 수 있는 기술을 개발 중이다.

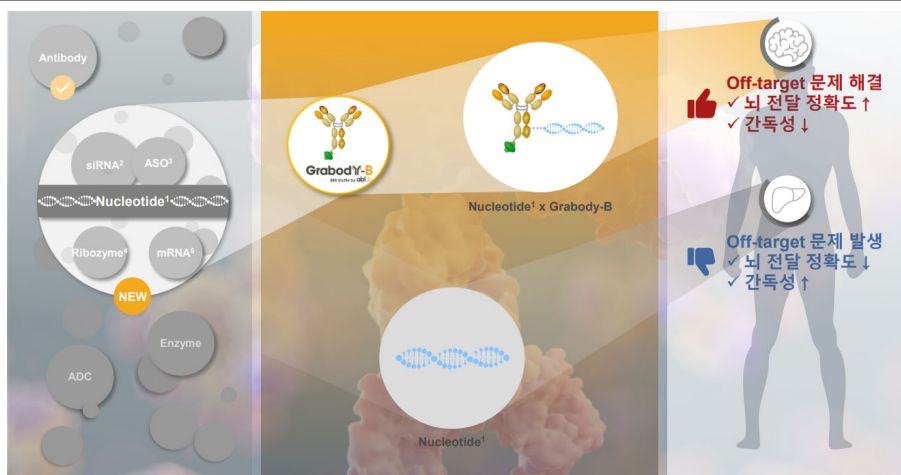
개발 중인 핵심 기술은 1) siRNA에 트랜스페린이나 인슐린 수용체와 같은 BBB 수용체를 타깃으로 하는 리간드를 결합한 리간드 기반 BBB 셔틀 기술, 2) 올리고뉴클레오타이드의 구조 및 화학 수정을 통해 뇌 투과성 및 반감기를 향상시키거나 다중 조직 타깃팅이 가능하게 한 혁신 전달 플랫폼, 3) 이중 리간드 또는 모듈형 구조를 확용하여 선택적 조직 전달이 가능하게 하는 조합형 전달 방식이다. 2030년까지 모든 주요 조직으로 siRNA를 전달하는 것이 목표다.

그림 42. GSK에 그래프바디B 플랫폼 기술이전



자료: 에이비엘바이오, 미래에셋증권 리서치센터

그림 43. GSK와 RNA 전달 영역까지 확장



자료: 에이비엘바이오, 미래에셋증권 리서치센터



## IV. 글로벌 RNA 기술 동향: AI, RNA 편집, 원형 RNA

### 1. RNA 치료제 개발도 AI의 도움을 받는다

코로나 mRNA 백신은 단백질 백신과 비교하여 후보물질 선정 속도가 빨랐다. 가장 큰 이유는 mRNA의 정보는 염기서열 분석을 통해 빠르게 파악할 수 있고 염기서열을 근거로 후보물질 탐색이 가능하기 때문이다.

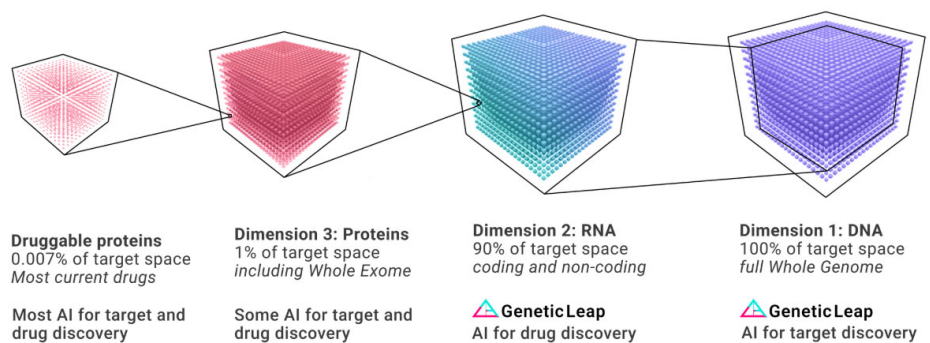
RNA 치료제는 '염기서열'이라는 정답지가 있다고 볼 수 있다. 물론 RNA의 구조 예측은 어려우나, AI를 통해 RNA 구조 예측, 염기서열을 근거로 한 다양한 후보물질의 리스트를 뽑아내는 것 등의 도움을 받을 수 있을 것으로 보인다.

신약개발의 후보물질 발굴 단계에서 신약의 구조 예측이나, 신약과 생체 내 타겟에 대한 반응에 대한 예측은 꾸준히 진행되어 왔다. 과거에는 신약 후보물질에 단백질이 많아 단백질의 구조 예측을 많이 진행했다면, 이제는 모달리티가 다양해지면서 예측해야하는 물질도 다양해지고 있다. RNA 치료제 또한 신약개발 과정에서 AI의 도움을 받고 있다.

일라이 릴리(Eli Lilly)는 24년 9월, RNA 표적 약물 개발을 가속화하기 위해 인공지능(AI) 기업 제네틱 리프(Genetic Leap)와 4억 9,000만 달러 규모 계약을 체결했다. 제네틱 리프는 올리고뉴클레오타이드를 사용하여 RNA 서열을 분석하거나 저분자를 사용하여 RNA 구조를 분석하는 기업이다. 전통적으로 3차원(단백질)에 초점을 맞추었는데, 이는 많은 한계가 있었다. 단백질을 연구하여 타겟을 찾는 것보다 RNA나 DNA에 대한 타겟을 찾는 것이 신약 후보물질을 더 다양하게 찾을 수 있을 것으로 보고 있다.

AI는 질병의 원인이 되는 유전적 위치를 찾아낼 수 있다. 이는 약물의 타겟이 된다. 이후에 저분자 또는 올리고뉴클레오타이드를 이용하여 RNA를 타겟하는 후보물질을 도출한다. 제네틱 리프는 2022년에는 일본 아스텔라스제약과 계약을 체결한 이력도 있다.

**그림 44. 단백질보다 RNA나 DNA가 더 좋은 신약 후보물질을 찾는데 유리함**



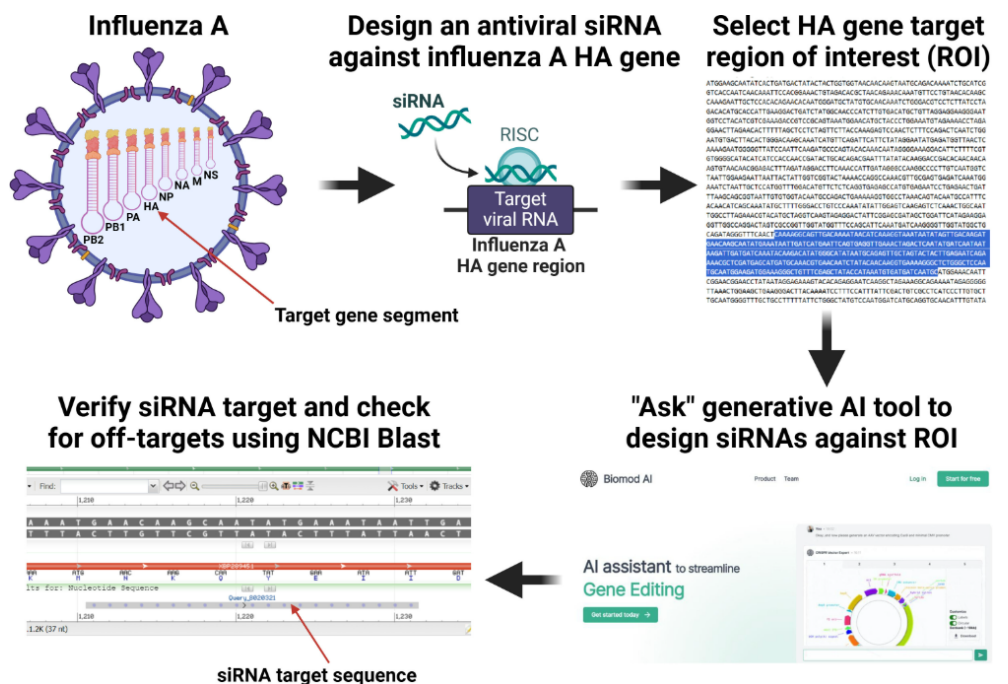
자료: Genetic Leap, 미래에셋증권 리서치센터

J&J와 다이이찌산쿄: 다양한 조직으로 가는 RNA 치료제

일본의 다이이찌산쿄와 J&J는 25년 3월 미국 노시스 바이오사이언스(Nosis Biosciences, 비상장)와 RNA 치료제 개발 관련 계약을 체결했다. 다이이찌산쿄와 J&J 모두 Connexa 플랫폼을 이용하여 만성질환 적응증에 대해 RNA 치료제를 개발할 계획이다. Connexa 플랫폼의 장점을 이용하여 간을 제외한 특정 장기 선택적으로 작용하는 RNA 치료제를 찾을 예정이다. 구체적인 적응증 및 계약규모는 미공개다.

노시스는 AI 기반 신약 설계 및 전달 시스템인 Connexa 플랫폼을 보유하고 있다. Connexa는 간을 제외한 심장, 뇌, 폐, 신장, 근육 등 다양한 조직의 세포특이적 수용체를 표적으로 하는 RNA 의약품을 개발한다. 현재는 폐 및 중추신경계 조직을 표적으로 하는 2가지 주요 후보물질을 보유하고 있다. 이 두 물질은 2025년 임상시험계획승인(IND)을 위한 임상시험을 수행할 계획이다.

그림 45. 바이러스 RNA 약물 설계를 위한 AI 기반 접근법을 도입하는 방법(예시)



자료: ASM Journals(2025), 미래셋증권 리서치센터

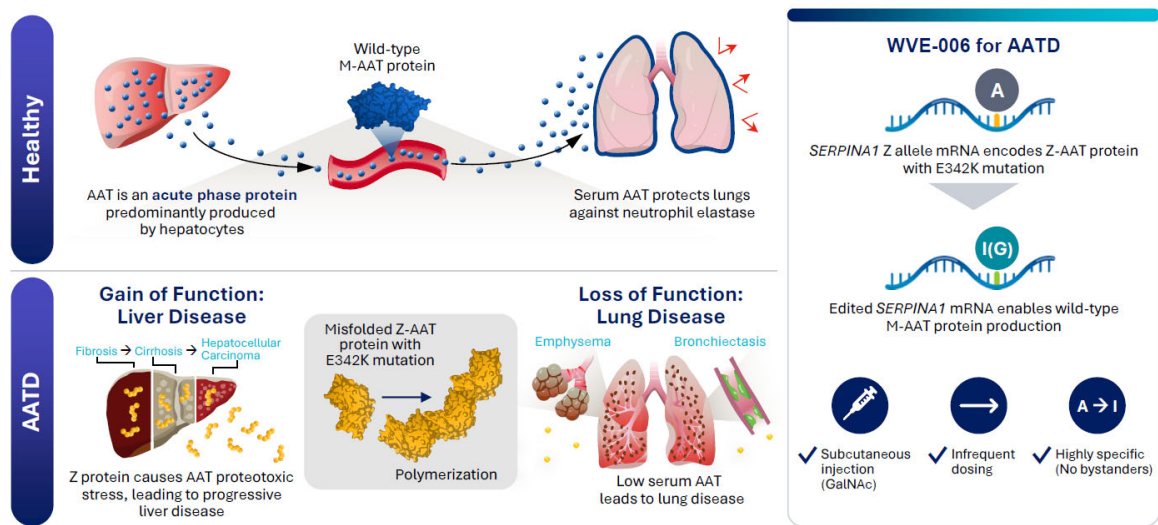
## 2. RNA 편집: DNA 편집보다 안전

2024년 10월 RNA 편집기술을 보유하고 있는 Wave Life Sciences (WVE US)가 사람 대 상 임상 결과를 발표하면서, RNA 편집 기술에 대한 관심이 높아졌다. Wave는 작년 알파-1 항트립신 결핍증(AATD) 치료제 WVE-006의 데이터를 발표했는데, 단회 투여로 혈중 AAT 수치가 상승했음을 보여주었다. 임상 1상 중이며, 다중 투여에 대한 결과는 25년 중 발표 예정이다.

WVE-006에 사용된 ADAR 편집 방법은 종결 코돈(UGA, UAG)을 트립토판(UGG)으로 변환함으로써 전체 길이의 단백질 발현을 복원할 수 있었다. 무의미한 돌연변이는 모든 유 전적 질병의 약 11%를 차지하며, 이러한 질병의 79%는 단일 A-G RNA 편집으로 해결할 수 있다.

국내에 있는 알지노믹스라는 비상장 기업도 RNA 편집기술을 보유하고 있다. 알지노믹스가 보유한 RNA 편집기술은 Trans-splicing ribozyme(RNA 치환효소)이 질병에 연관된 RNA 를 타겟으로 하여 절단하고 치료용 RNA로 치환, 교정, 편집을 하는 기술이다.

그림 46. WVE-006의 작용 기전



자료: Wave Life Sciences, 미래에셋증권 리서치센터

## RNA 편집 기술

유전자가위로 불리는 DNA 편집 방법을 이용한 치료제 개발이 많이 진행되었으나, 여전히 안전성의 이유로 생체 내 치료가 쉽지 않다. RNA 편집의 경우는 유전자를 완전히 바꾸는 것이 아니라 복원이 가능하다는 점에서 더 안전하고 유연한 대안이 될 가능성이 높다.

RNA 편집 기술은 RNA의 서열을 변경하여 정상적인 단백질이 합성될 수 있도록 함으로써 유해한 돌연변이를 보완하는 것을 목표로 한다. RNA 편집은 필요한 단백질의 생산을 증가시킬 수 있다. RNA 편집 방법에는 1) 단일 염기만 바꾸는 방법과 2) 킬로베이스 규모로 전체 엑손을 편집하는 방법이 있다.

RNA 엑손 편집은 trans-splicing(전이적 스플라이싱) 기술을 활용하여 돌연변이가 포함된 pre-mRNA를 치료용 RNA로 교체하는 방식이다. Pre-mRNA에는 RNA 전사체의 엑손과 인트론이 모두 포함돼 있다. 엑손은 단백질을 만드는 지침이 담긴 부분을 말하고 인트론은 그런 지침이 없는 부분을 말한다. RNA 스플라이싱(RNA splicing)을 거치면서 인트론은 잘려지고 남겨진 엑손만 이어져 최종 mRNA가 형성돼 단백질 생성으로 이어진다.

이 방식은 DNA를 직접 건드리지 않고도 기능적 단백질을 회복할 수 있는 정밀하고 안전한 유전자 치료 플랫폼이다. spliceosome은 이를 중개하여 새롭게 재조합된 mRNA를 생성하며, 이는 정상적인 단백질로 번역된다.

Oligo pool, ddPCR 등을 활용한 대규모 라이브러리 스크리닝이 가능해지고, hybrid capture, long-read seq으로 정확한 전사체 분석, 구조 예측에 대한 정확성이 높아지면서 RNA 편집 기술이 발전되고 있다.

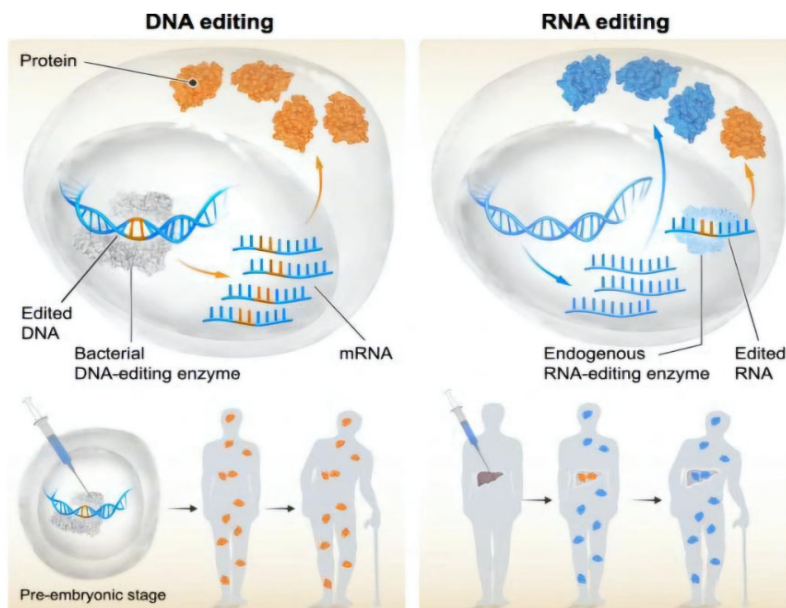
미국 애시디언 테라퓨틱스(Ascidian Therapeutics)의 경우에도 RNA 스플라이싱 과정을 활용해 돌연변이를 포함하는 엑손을 제거하고 이를 정상 단백질을 발현하는 엑손으로 대체한다. 애시디언의 치료법은 정상적인 RNA 엑손을 생산하도록 조작된 mRNA 단편을 이용한다. 이 mRNA 단편은 스플라이싱 과정에서 pre-mRNA에서 인트론을 잘라내고 정상 엑손을 연결하여 정상 mRNA로 편집한다.

표 6. RNA 편집과 DNA 편집 비교

|         | RNA 편집                             | DNA 편집                       |
|---------|------------------------------------|------------------------------|
| 변화의 지속성 | 장기적으로 게놈을 수정하지 않음                  | 여러 세대에 걸쳐 지속되는 게놈의 영구적 변화    |
| 위험요소    | 영구적인 유전자 변형의 위험 감소                 | 의도치 않은 영구적인 변화로 인한 잠재적인 위험   |
| 효소사용    | ADAR                               | 다양한 효소(CRISPR, nucleases 등)  |
| 면역반응    | ADAR 효소는 신체에서 자연적으로 생성되므로 면역 반응 낮음 | 외래 유전자 편집 도구에 대한 면역 반응 위험 증가 |

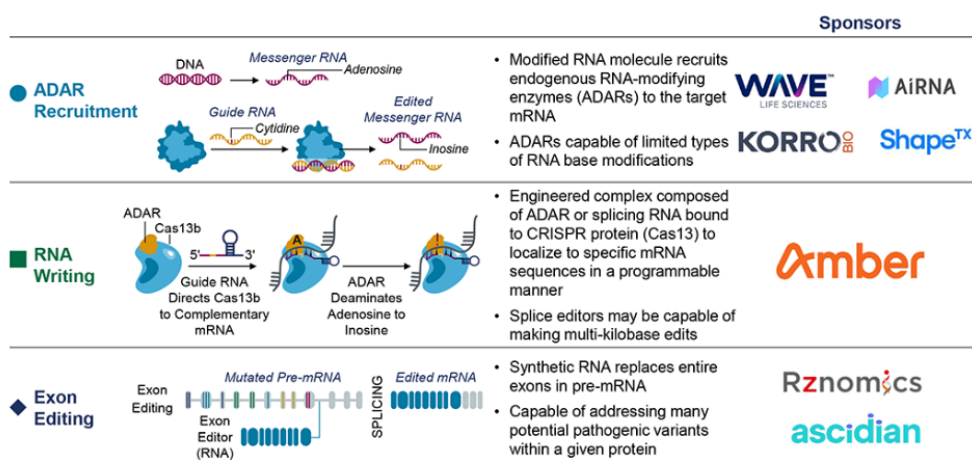
자료: 미래에셋증권 리서치센터

그림 47. DNA 편집과 RNA 편집의 차이



자료: universalinstitutions, 미래에셋증권 리서치센터

그림 48. 다양한 접근방식의 RNA 편집 기술



자료: Healthadvances, 미래에셋증권 리서치센터

### 3. 선형보다 안정성이 높은 원형 RNA

RNA 치료제에서 사용되는 RNA는 핵산 분해 효소에 의해 쉽게 분해되므로, 유통 과정에 어려움이 있고 반감기 또한 짧아 치료제 개발이 어려운 편이다. RNA 치료제의 짧은 지속성과 불편한 약물 전달 방식은 시장 성장의 저해 요인으로 지적되어 왔다.

불안정한 RNA를 안정화시킬 수 있는 방법 중 하나로 등장한 것이 원형 RNA이다. 현재 상용화된 RNA 치료제는 모두 선형 RNA로, 핵산분해효소는 선형 RNA를 이루는 단위체인 뉴클레오타이드 사슬의 3' 또는 5' 말단에 작용하여 가수분해 반응을 유도한다. 이는 뉴클레오타이드 오류를 제거하고 정확히 재합성할 수 있는 체내 중요한 교정 과정이지만, 이 때문에 선형 RNA는 쉽게 분해되고 반감기가 짧은 것이다. 반면, 원형 RNA는 핵산분해효소가 결합할 수 없는 폐쇄 고리 구조이므로, 반감기를 늘릴 수 있고 쉽게 분해되지 않는 특성을 가지고 있다.

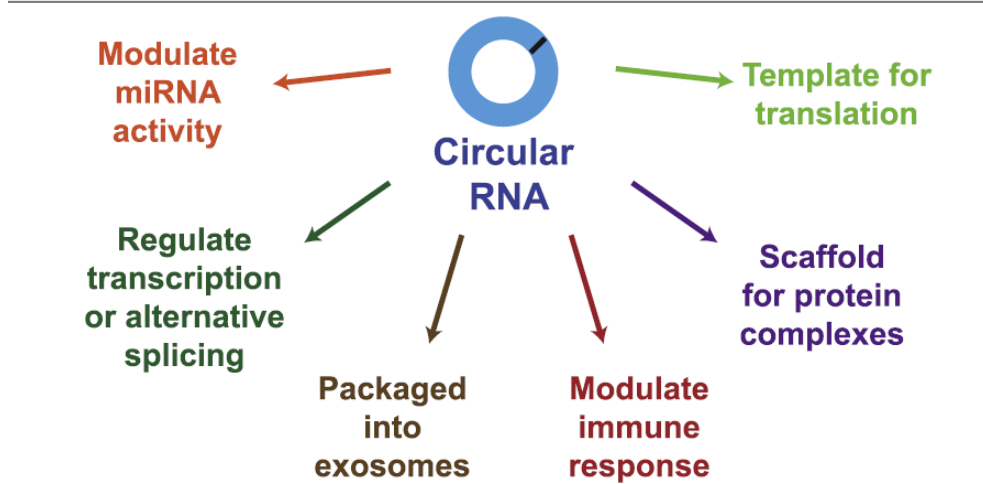
원형 RNA는 세포에서 자연적으로 발현하는 것으로, 약 30여년 전, 고등 진핵생물에서 발견되었다. 이후 소수의 원형 RNA만 발견되고 단백질 생성 능력이 관찰되지 않아 기능이 없는 부산물로만 여겨졌다. 하지만, 최근 RNA 시퀀싱 기술을 전사체에 적용할 경우, 원형 RNA도 세포와 조직에서 특정한 단백질을 생성할 수 있는 것으로 밝혀지면서 기업들은 원형 RNA를 이용한 치료제 개발을 시작하고 있다.

현재 원형 RNA 치료제를 개발 중인 대표적인 기업은 미국 오르나 테라퓨틱스(Orna Therapeutics, 비상장)다. 이 회사는 생체 내 안정성이 뛰어나고 체내에서 더 많은 양의 치료용 단백질을 생산할 수 있을 것으로 기대되는 원형 RNA 생성 기술을 보유하고 있다.

오르나 테라퓨틱스는 원형 RNA 기술 플랫폼과 지질 나노입자 전달 기술을 개발하고 있다. 오르나의 oRNA는 선형 RNA 전구체로부터 자가 순환화 과정을 통해 형성된다. 이러한 생산의 용이성은 기존 선형 RNA 치료법에 비해 1) 간단한 정제로 부작용 면역 반응 위험 감소, 2) RNA 반감기 증가, 3) 단백질 발현 증가 등의 이점을 제공한다. 오르나는 머크, 벡터스, Simnova와 협력 중이다.

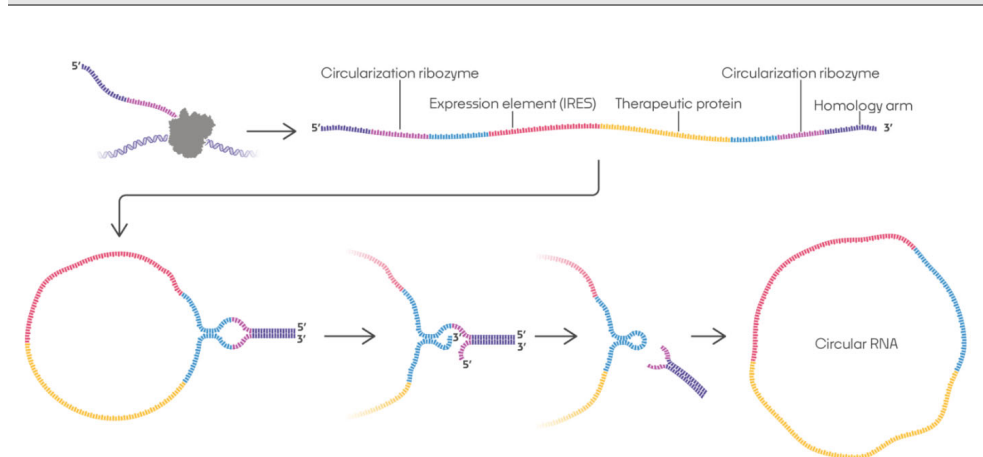


그림 49. 원형 RNA의 기능



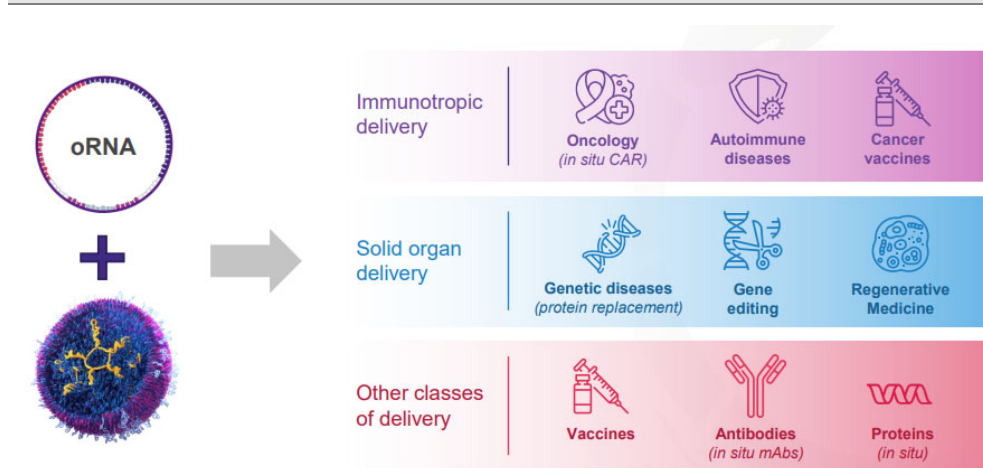
자료: Trends in Cell Biology(2019), 미래에셋증권 리서치센터

그림 50. 오르나 테라퓨틱스의 oRNA 플랫폼



자료: Orna Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

그림 51. 오르나의 oRNA 기술과 LNP 기술로 만들 수 있는 플랫폼



자료: Orna Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

## V. 글로벌 RNA CDMO 동향

### 1. 블록버스터와 함께 성장하는 RNA CDMO 산업

Towardshealthcare 자료에 의하면 RNA 치료제 시장은 2024년 80억 달러에서 연평균 17.6% 성장하여 2030년 213억 달러를 달성할 것으로 전망된다. 우리가 추정한 RNA 치료제 시장은 2030년 기준 292억 달러(코로나 백신 제외)다. 2030년 기준 292억 달러는 현재 기준 상용화된 RNA 치료제의 2030년 매출 199억 달러와 현재 임상 3상 중인 RNA 치료제 매출 전망치 93억 달러를 합산한 수치다.

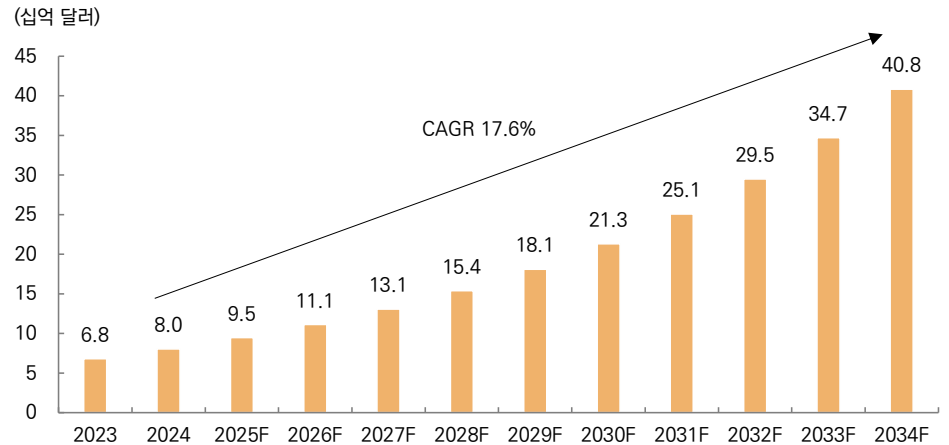
RNA 치료제 CDMO 시장 규모를 전체 RNA 치료제 시장의 20%(매출 기준)로 가정하면 2024년 12~22억 달러 시장이 2030년 시점 43~83억 달러로 성장할 것으로 보인다. Towardshealthcare 자료에 의하면 RNA 치료제 CDMO 시장은 2030년 83억 달러가 전망된다. 시장조사 자료와 당사가 추정한 치료제 시장을 근거로 한 2030년 기준 RNA 치료제 CDMO 규모는 가장 높은 전망치가 83억 달러, 가장 보수적인 전망치는 43억 달러다.

현재 주요 RNA 치료제 CDMO 기업은 미국 애질런트, 일본 니토펜코 아베시아, 중국 우시애펙, 한국 에스티팜이며 4사의 2024년 합산 매출액은 15.6억 달러다. 에스티팜을 제외하고는 RNA 치료제 CDMO 매출만을 따로 분류할 수 없어 RNA 치료제 CDMO 관련된 매출이 포함된 사업부문의 매출을 사용했다. 따라서 15.6억 달러는 실제 4개 기업의 RNA 치료제 CDMO 매출 보다 클 수 있다. 하지만 확실한 것은 향후 성장 여력이 충분하며 성장을 또한 높다는 것이다.

우시애펙은 2024년 연간 실적 발표에서 새로운 모달리티 사업부문에서 핵산, mRNA 시장 점유율이 확대되고 있다고 발표했다. 또한 핵산 플랫폼 관련 서비스를 제공한 고객 및 프로젝트 수는 지속적으로 증가했다고 언급했다. 2021년 이후 누적 290개 이상의 고객에게 서비스를 제공했으며, 1,400개 이상의 프로젝트를 성공적으로 완료했다는 내용도 있었다.

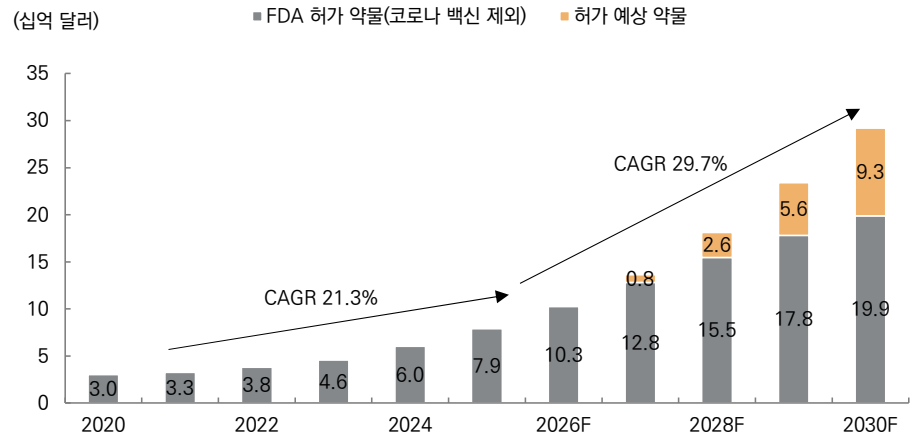
애질런트는 2030년 시점 33억 달러의 올리고 CDMO(유전자가위 약 15% 비중으로 포함) 시장이 형성될 것으로 전망(24년 JPM 헬스케어 컨퍼런스에서 언급)했다. 23년 기준 애질런트의 올리고뉴클레오타이드 관련 매출은 3.5억 달러로 추정되며, 이는 과거 4년간 30% 성장한 수치다. 새로운 진입자가 등장하지 않는다고 가정하면, 4개의 주요 RNA 치료제 CDMO 기업은 2030년까지 약 3~5배의 매출 증가가 예상된다.

그림 52. 글로벌 RNA 치료제 시장 전망



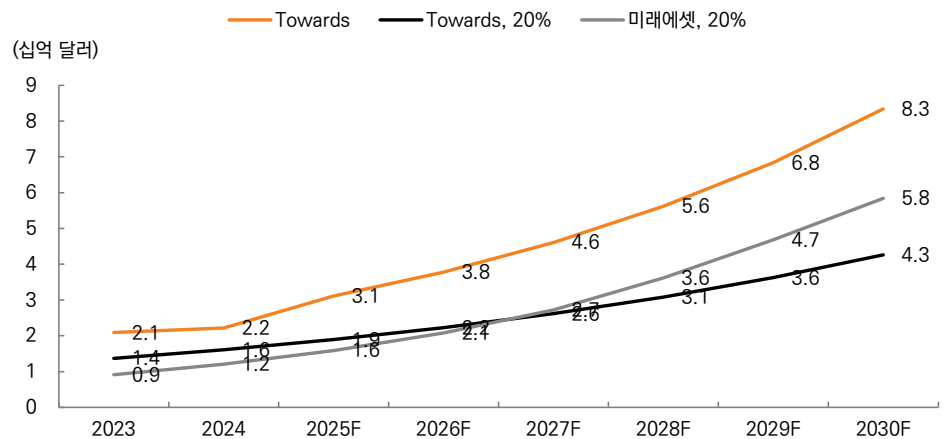
자료: Towardshealthcare(2025), 미래에셋증권 리서치센터

그림 53. 글로벌 RNA 치료제 시장 전망(제품 기준)



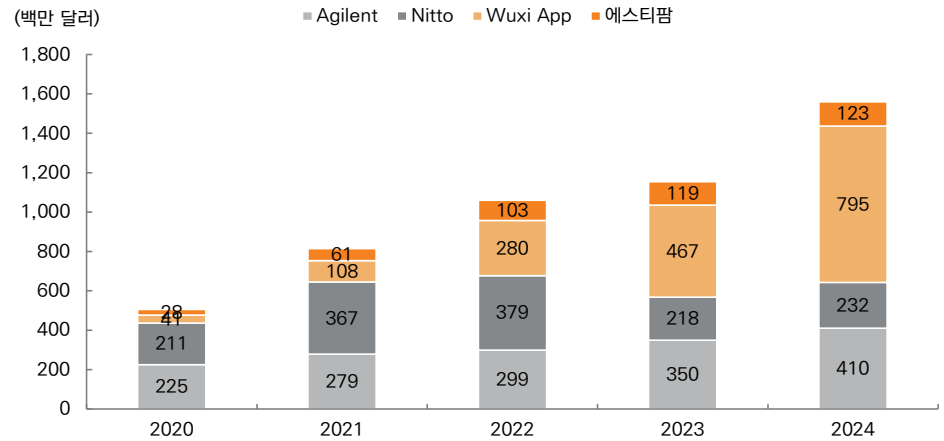
자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 54. 글로벌 RNA 치료제 CDMO 시장 전망



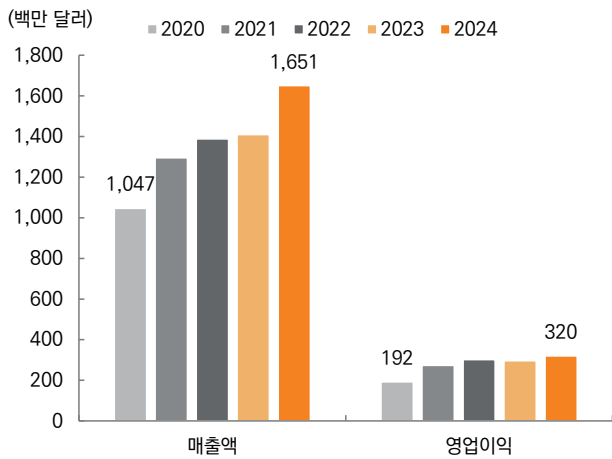
자료: Towardshealthcare(2025), 미래에셋증권 리서치센터

그림 55. RNA 치료제 매출이 포함된 사업군의 매출액 추이



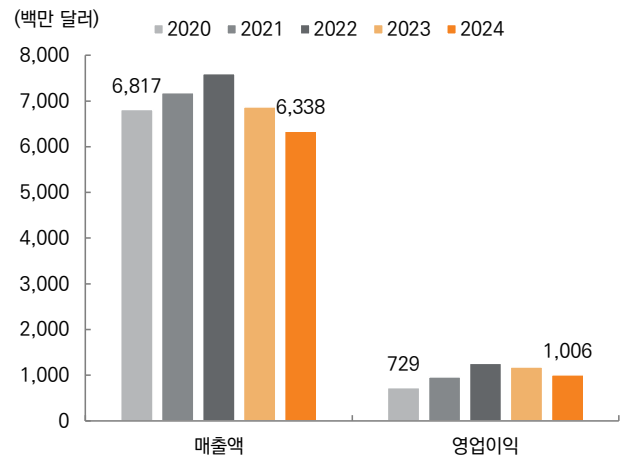
자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

그림 56. Agilent Technologies 매출액 및 영업이익 추이



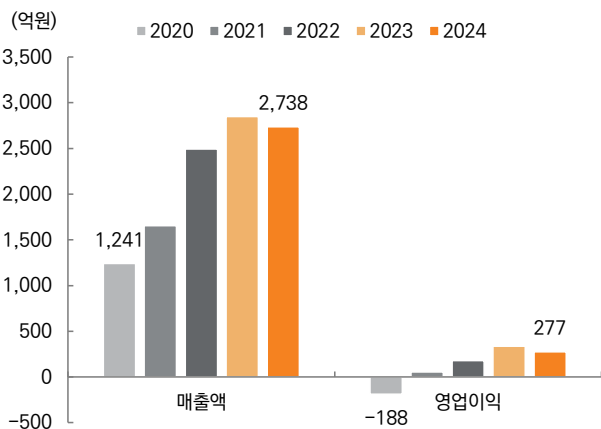
자료: 블룸버그, 미래에셋증권 리서치센터

그림 57. Nitto Denko Avecia 매출액 및 영업이익 추이



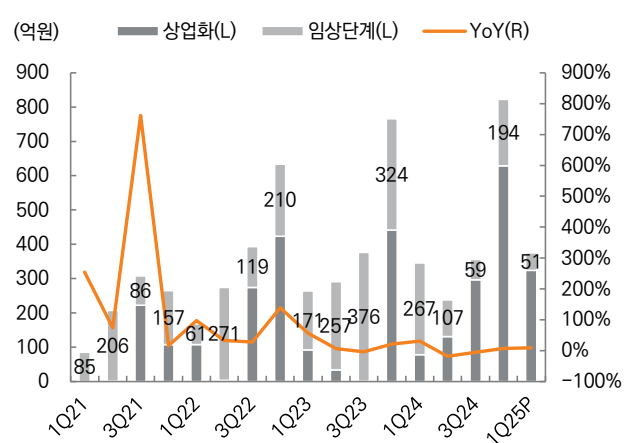
자료: 블룸버그, 미래에셋증권 리서치센터

그림 58. 에스티팜 매출액 및 영업이익 추이



자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 59. 에스티팜 RNA 치료제 CDMO 매출 추이



자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

## 2. 대량 생산을 위한 RNA 치료제 합성 방법 개발 중

RNA 치료제를 개발하고 생산하는 기업들은 RNA 치료제 대량 생산 방법에 대해 고민하고 있다. 지금까지는 블록버스터급 RNA 치료제가 없었기 때문에 대량 생산을 할 이유가 없었다. 하지만 RNA 치료제가 희귀질환을 넘어 비만, 고혈압 등의 치료제로 적응증이 확장되면서 수백만 명 대상의 치료제 생산이 필요해졌다.

엘나일람이 현재 사용하는 RNA 치료제 생산 방식은 고체 합성 방식(Solid Phase Based (SPB) Process)이다. 기존 방식은 화학적 합성(Solid-phase synthesis) 기반으로 복잡하고 비용이 높으며 확장성이 제한적이다. 고체 합성 방식은 현재 파이프라인 및 승인된 치료제를 생산하는데 사용했다. 이러한 생산 방식은 수요가 적고 개발 시간이 짧은 프로그램에 적합하기 때문이다.

단일 치료제 매출이 확대되면서 킬로그램의 양이 아닌 톤 단위의 치료제가 필요한 상황이 되었다. 기존 RNA 치료제 제조 공정으로는 대량 생산 시 비용 및 효율성에 제한이 있다.

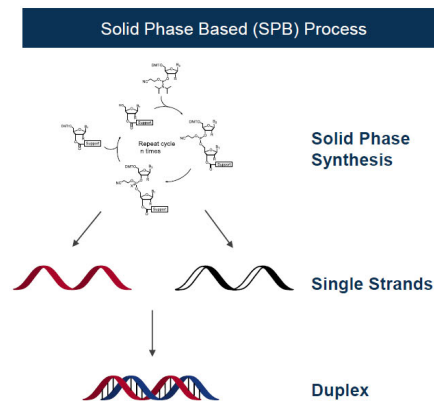
엘나일람과 에스티팜 모두 RNA 치료제의 대규모 생산을 위해 기존 화학 합성을 대체할 효소 촉매 기반 합성 기술을 도입하고 있다. 이는 생산 효율성 향상, 비용 절감, 환경 지속 가능성 측면에서 전략적 전환점이 될 것으로 보인다. 엘나일람은 엔지니어링된 효소 촉매를 활용해 액상 기반(Ligation-based) 방식을 개발 중이다. 새로운 효소 기반 기술을 GMP 수준으로 확대 적용할 예정이다.

Enzymatic Ligation은 짧은 합성 블록(inaudible)을 취하는 과정이다. 그리고 그것들을 함께 붙여 적합한 이중체를 만든다. 그리고 이렇게 하면 고체상 합성의 다른 단계나 다른 단계에 필요한 모든 정제, 크로마토그래피 정제를 최소화할 수 있다.

분자의 순도를 보여주는 크로마토그래프를 보면, 90%에서 95%의 POC를 가진 것을 확인할 수 있다. 중요한 것은 크로마토그래피 정제가 필요하지 않다는 것이다. 정제가 필요한 용매의 수와 단독 합성에 사용해야 하는 비용 등이 최소화된다.

에스티팜도 기술 상용화를 위해 글로벌 제약사/고객사와 효소합성법을 통해 API를 생산하는 연구를 진행 중이다. 효소합성방식은 고체합성방식과 비교하여 생산성 향상 및 비용절감 측면에서 유리하다. 배치 사이즈 확대로 대규모 생산이 가능하며 기존 방식으로 어려웠던 긴 길이의 올리고뉴클레오타이드 합성도 가능하다. RNA 편집 치료제 핵심 원료인 gRNA는 100mer 크기로 기존 siRNA 치료제 대비 길다. 현재 130mer gRNA 생산 개발을 진행 중이며, 2025년 1분기 중으로 gRNA 전용 제조 라인을 설치할 예정이다.

그림 60. 기존 고체 합성 방식에서 효소 방식으로 전환 중



- Solid-phase synthesis is supporting our current pipeline and approved therapies
- Well-suited for low demand, shorter development time programs
- It will be challenging for solid-phase synthesis alone to meet the supply demand or COGS necessary for prevalent indications
- A new technology for manufacturing of oligonucleotides is needed

[Enter Enzymatic Ligation](#)

자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 61. Solid Phase Based (SPB) Process

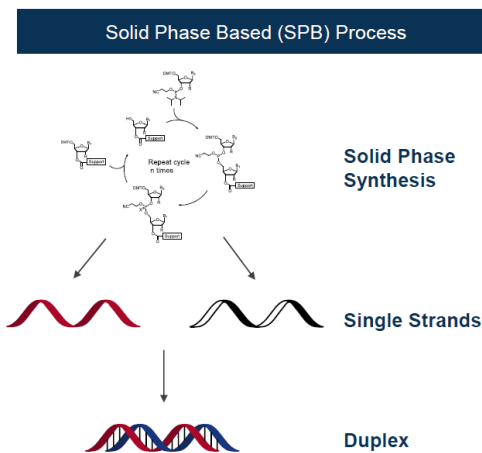
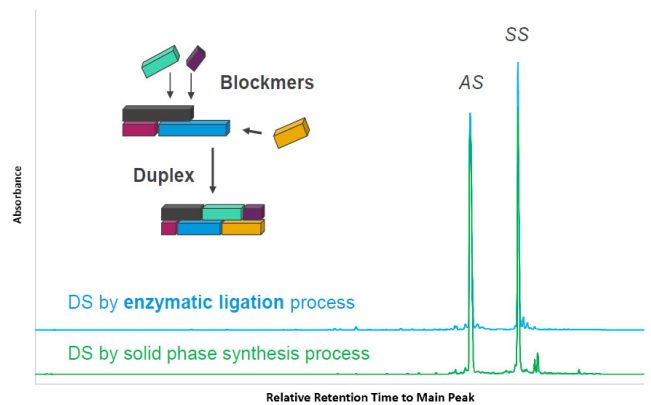


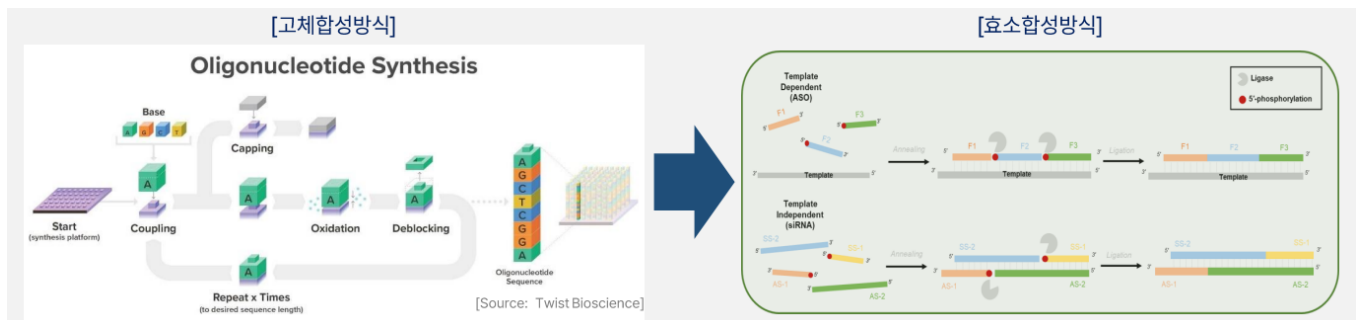
그림 62. Enzymatic Ligation



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 63. 효소합성방식 생산으로 전환 중



자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터



그림 64. gRNA 시장 규모 전망

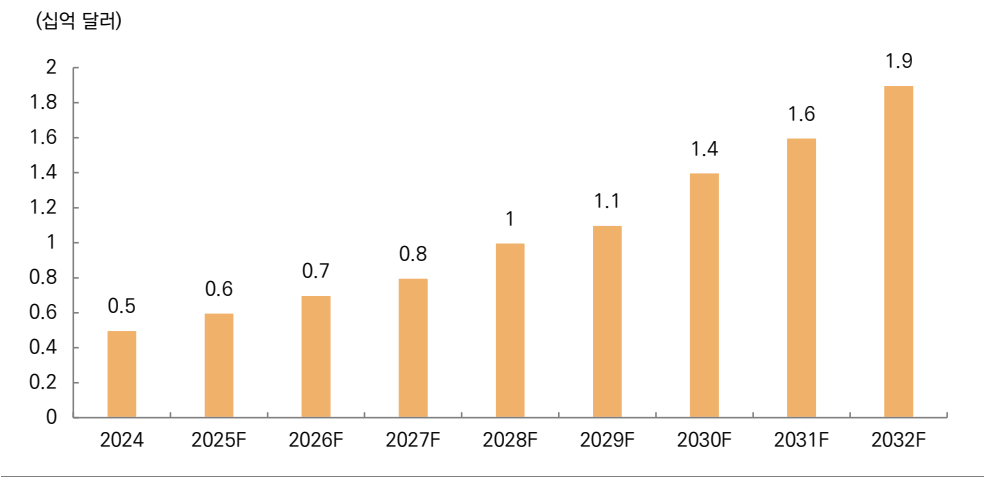


표 7. RNA 치료제 합성 방법 비교

| 항목       | 기존 화학 합성            | 신규 효소 합성         |
|----------|---------------------|------------------|
| 생산 규모    | 소규모(희귀질환 중심)        | 대규모(만성질환)        |
| 비용       | 높음                  | 비용 절감 가능         |
| 환경 영향    | 폐기물 다량 발생           | 친환경적             |
| 분자 크기 제한 | 제한 있음 (특히 다중 siRNA) | 긴길이 RNA 및 복합제 가능 |

자료: 엘나일랩, 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

## Appendix. RNA 치료제 관련 기업 리스트

표 8. 국내외 RNA 치료제 비상장 기업

| 회사                    | 최근 투자 라운드       | 규모           | 파이프라인            | 적응증                                  | 모달리티             | 타겟              | 임상 단계                 | 국가 |
|-----------------------|-----------------|--------------|------------------|--------------------------------------|------------------|-----------------|-----------------------|----|
| Aptarion Biotech      | Series B(23.08) | 비공개          | AON-D21          | 중증 지역사회획득 폐렴                         | RNA aptamer      | C5a             | 임상 2상                 | DE |
| Alloy Therapeutics    | Series D(22.10) | 4,200만 유로    | 미공개              | 중추신경계 질환                             | ASO              |                 | 전임상                   |    |
| Arthex Biotech        | Series B(23.05) | 4,200만 유로    | ATX-01           | 근긴장성 이영양증 1형(DM1), 근긴장성 이영양증 2형(DM2) | anti-miRNA       | miR-23b         | 임상1/2a상(DM1) 전임상(DM2) | ES |
| Ascidian Therapeutics | Series A(23.11) | 4,000만 달러    | ACDN-01          | 스타가르트병                               | RNA exon editing | ABCA4           | 임상 1/2상               | US |
| AusperBio             | Series B(24.12) | 7,300만 달러    | AHB-137          | 만성 B형간염                              | ASO              | HBV             | 임상2b상                 | CN |
| Basking Biosciences   | Series A(24.01) | 5,500만 달러    | BB-031           | 급성 허혈성 뇌졸중                           | RNA aptamer      | vWF             | 임상 2상                 | US |
| Causeway Therapeutics | Series A(23.10) | 875만 파운드     | TenoMiR          | 건병증                                  | anti-miRNA       | miR-29a         | 임상 2상                 | GB |
|                       |                 |              | CardioMiR        | 심부전                                  | anti-miRNA       | miR-29a         | 전임상                   |    |
| Guardian Therapeutics | 비공개(18.08)      | 2,000만 달러    | BT200            | 폰빌레브란트병 1/2B/3형, 혈우병 A형              | RNA aptamer      | vWF             | 임상 2상                 | US |
| Immorna               | Series B(24.02) | 1억 달러        | JCXH-105         | 대상포진                                 | srRNA            | VZV             | 임상 2상                 | CN |
|                       |                 |              | JCXH-211         | 진행성 고형암                              | srRNA            | IL-12           | 임상1/2상                |    |
|                       |                 |              | JCXH-212         | 고형암 백신                               | srRNA            |                 | 임상 1상                 |    |
| MiNA Therapeutics     | Series A(20.09) | 2,300만 파운드   | MTL-CEBPA        | 2차 진행성 간암, 진행성 고형암                   | saRNA            | CEBPA           | 임상 2상(간암) 임상1b상(고형암)  | GB |
| Orana Therapeutics    | Series B(22.08) | 2억 2,100만 달러 | panCARTM program | B세포 매개 자가면역질환, B세포 악성 종양             | oRNA             | CD19            | 전임상                   | US |
|                       |                 |              | STEMTM program   | 겸상적혈구병, 베타지중해빈혈                      | oRNA             | HBB             | 전임상                   |    |
| Skyhawk Therapeutics  | Series B(21.09) | 1억 3,300만 달러 | SKY-0515         | 헌팅틴병                                 | RNA splicing mod | HTT             | 임상 1상                 | US |
|                       |                 |              | SKY-1214         | 다발성 골수종, 비호지킨 림프종                    | RNA splicing mod | FANCL/FANCI     | 전임상                   |    |
| Sterna Biologicals    | Series A(21.01) | 2,200만 유로    | SB010            | 천식, 호산구성 COPD                        | DNAzyme          | GATA-3          | 임상2a상                 | DE |
|                       |                 |              | SB011            | 아토피 피부염                              | DNAzyme          | GATA-3          | 임상2a상                 |    |
|                       |                 |              | SB012            | 궤양성 대장염                              | DNAzyme          | GATA-3          | 임상2a상                 |    |
| Strand Therapeutics   | Series A(22.11) | 9,700만 달러    | STX-001          | 흑색종, 삼중음성 유방암                        | srRNA            | IL-12           | 임상1/2상                | US |
| Biorchestra           | Series C(22.02) | 545억 원       | BMD-001          | 알츠하이머병                               | ASO              | miRNA-485-3p    | 전임상                   | KR |
| Curigin               | Series A(19.12) | 55억 원        | CA102            | 고형암                                  | shRNA            | mTOR/STAT3      | 전임상                   | KR |
| EnhancedBio           | Series C(22.08) | 125억 원       | Cavisiran        | HPV 관련 암                             | siRNA            | HPV16 E6/E7     | 전임상                   | KR |
| Lemonex               | Series C(21.04) | 155억 원       | LEM-S401         | 비대흉터 및 케로이드                          | siRNA            | CTGF            | 임상 1상                 | KR |
|                       |                 |              | LEM-mR203        | 코로나19                                | mRNA             |                 | 임상 1상                 |    |
|                       |                 |              | LEM-S403         | 고형암                                  | siRNA            | IDO1            | 전임상                   |    |
| Neonat                | Series A(22.03) | 27억 원        | NRT-KSY_001      | 간세포암                                 | siRNA            | SMARCA4/ lncRNA | 전임상                   | KR |
| Rznomics              | Pre-IPO(24.09)  | 203억 원       | RZ-001           | 간세포암                                 | Ribozyme         | TERT            | 임상 1상                 | KR |
| Sovargen              | Series B(20.09) | 350억 원       | SVG-103          | 난치성 뇌전증                              | ASO              | BRAF            | 임상 2상                 | KR |
|                       |                 |              | SVG-105          | mTOR 관련 질환                           | ASO              | mTOR            | 전임상                   |    |

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

표 9. 국내외 RNA 치료제 상장 기업

| 회사                        | 티커        | 파이프라인                | 적응증                                | 모달리티      | 타겟         | 플랫폼         | 임상 단계                | 비고                        | 국가 |
|---------------------------|-----------|----------------------|------------------------------------|-----------|------------|-------------|----------------------|---------------------------|----|
| Alnylam Pharmaceuticals   | ALNY US   | Amvuttra             | ATTR 아밀로이드증(PN/CM)                 | siRNA     | TTR        | GalNAc      | FDA 승인               |                           | US |
|                           |           | Qfitlia (fitusiran)  | 혈우병                                | siRNA     | AT         | GalNAc      | FDA 승인               | w/ Sanofi L.O.            |    |
|                           |           | Cemdisiran           | 보체 매개 질환                           | siRNA     | C5         | GalNAc      | 임상 3상                | w/ Regeneron              |    |
| Arbutus Biopharma         | ABUS US   | Imdusiran            | 만성 B형간염                            | siRNA     | HBsAg      | GalNAc      | 임상 2상                |                           | US |
| Arrowhead Pharmaceuticals | ARWR US   | Plozasiran           | 가족성 킬로미크론혈증(FCS), 중증 고중성지방혈증(SHTG) | siRNA     | APOC3      | GalNAc      | FDA 심사 임상 3상         | PDUFA date 11/18(FCS)     | US |
|                           |           | Fazirsiran           | 알파1-항트립신 결핍                        | siRNA     | SERPINA1   | GalNAc      | 임상 3상                | w/ Takeda                 |    |
|                           |           | Olpasiran            | 고 Lp(a) 혈중 축적경화증                   | siRNA     | Lp(a)      | GalNAc      | 임상 3상                | w/ Amgen L.O.             |    |
|                           |           | Zodasiran            | 이상지질혈증                             | siRNA     | APOC3      | GalNAc      | 임상 2상                |                           |    |
| Avidity Biosciences       | RNA US    | Del-zota             | 듀시엔형 근이영양증                         | siRNA     | Exon 44    | AOC         | 임상 1/2상              |                           | US |
|                           |           | Del-desiran          | 근긴장성 이영양증 1형                       | siRNA     | DMPK       | AOC         | 임상 1/2상              |                           |    |
|                           |           | Del-brax             | 안면경감상완형 근이영양증                      | siRNA     | DUX4       | AOC         | 임상 1/2상              |                           |    |
| Benitec Biopharma         | BNTC US   | BB-301               | 안구인두근위축증                           | ddRNAi    | PABPN1     | AAV         | 임상1b/2a상             |                           | US |
| BioNTech                  | BNTX US   | BNT162b2             | 코로나19                              | mRNA      | SARS-CoV-2 | LNP         | FDA 승인               | w/ Pfizer, Fosun          | DE |
|                           |           | BNT111               | 진행성 악성 흑색종                         | mRNA      | Immunostim | Lipoplex    | 임상 2상                |                           |    |
|                           |           | BNT113               | HPV16+ 두경부암                        | mRNA      | Immunostim | Lipoplex    | 임상 2상                |                           |    |
|                           |           | BNT116               | 1차 치료 비소세포폐암                       | mRNA      | Immunostim | Lipoplex    | 임상 2상                |                           |    |
| CureVac                   | CVAC US   | CV0601/ CV0701       | 코로나19                              | mRNA      | SARS-CoV-2 | LNP         | 임상 2상                | w/ GSK L.O.               | DE |
|                           |           | CVGBM                | 교모세포종                              | mRNA      | TAA        | LNP         | 임상 1상                |                           |    |
| Ionis Pharmaceuticals     | IONS US   | Tryngolza            | 가족성 킬로미크론혈증                        | ASO       | APOC3      | GalNAc      | FDA 승인               |                           | US |
|                           |           | Wainua (eplontersen) | ATTR 아밀로이드증(PN/CM)                 | ASO       | TTR        | GalNAc      | FDA 승인(PN) 임상 3상(CM) | w/ AstraZeneca            |    |
|                           |           | Donidalorsen         | 유전성 혈관부종                           | ASO       | PKK        | GalNAc      | FDA 심사               | PDUFA date 8/21           |    |
|                           |           | Pelacarsen           | Lp(a) 관련 심혈관질환                     | ASO       | Lp(a)      | GalNAc      | 임상 3상                | w/ Novartis L.O.          |    |
|                           |           | Zilganersen          | 알렉산더병                              | ASO       | GFAP       | Intrathecal | 임상 3상                |                           |    |
| Moderna                   | MRNA US   | mRNA-1283            | 코로나19                              | mRNA      | SARS-CoV-2 | LNP         | FDA 심사               | PDUFA date 5/31           | US |
|                           |           | mRNA-1083            | 코로나19 및 독감 복합                      | mRNA      | Immunostim | LNP         | FDA 제출               |                           |    |
| Sarepta Therapeutics      | SRPT US   | SRP-1001             | 안면경감상완형 근이영양증 1형                   | siRNA     | DUX4       | TRiM        | 임상1/2상               | w/ Arrowhead L.I. (TRiM™) | US |
|                           |           | SRP-1002             | 특발성 폐섬유증                           | siRNA     | MMP7       | TRiM        | 임상1/2상               |                           |    |
|                           |           | SRP-1003             | 근긴장성 이영양증 1형                       | siRNA     | DMPK       | TRiM        | 임상1/2상               |                           |    |
|                           |           | SRP-1004             | 척수소뇌성 운동실조증 2형                     | siRNA     | ATXN2      | TRiM        | 임상1/2상               |                           |    |
| Silence Therapeutics      | SLN US    | Zerlasiran           | 심혈관질환                              | siRNA     | Lp(a)      | GalNAc      | 임상 2상                |                           | GB |
|                           |           | Divesiran            | 진성적혈구증가증                           | siRNA     | TMPRSS6    | GalNAc      | 임상 1상                |                           |    |
| WAVE Life Sciences        | WVE US    | WVE-006              | 알파-1 항트립신 결핍증                      | Editing   | SERPINA1   | -           | 전임상                  | w/GSK                     | US |
|                           |           | WVE-007              | 비만                                 | siRNA     | INHBE      | GalNAc      | 임상 1상                |                           |    |
|                           |           | WVE-N531             | 듀시엔형 근이영양증                         | Splicing  | Exon 53    | -           | 임상 2상                |                           |    |
|                           |           | WVE-003              | 헌팅틴병                               | Silencing | mHTT       | -           | 임상 2상                |                           |    |
| Bionia                    | 064550 KQ | SRN-001              | 특발성 폐섬유화증                          | siRNA     |            | SAMiRNA     | 임상1a상                |                           | KR |
| Olipass                   | 244460 KQ | OLP-1002             | 비마약성 진통제                           | PNA       | SCN9A      | OPNA        | 임상 1상                |                           | KR |
| Olix Pharmaceuticals      | 226950 KQ | OLX101A              | 비대흉터                               | siRNA     | CTGF       | GalNAc      | 임상 2상                |                           | KR |
|                           |           | OLX104C              | 탈모                                 | siRNA     | AR         | GalNAc      | 임상 1상                |                           |    |
|                           |           | OLX301A              | 간성 및 습성 황반변성                       | siRNA     |            | GalNAc      | 임상 1상                |                           |    |
|                           |           | OLX702A              | MASH/비만                            | siRNA     |            | GalNAc      | 임상 1상                | w/ Eli Lilly L.O.         |    |

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

표 10. 주요 RNA 치료제 기업 밸류에이션

(백만 달러)

| 기업명    |              | Alnylam | Sarepta | Ionis   | Avidity | Arrowhead | Wave Life Sciences |
|--------|--------------|---------|---------|---------|---------|-----------|--------------------|
| Ticker |              | ALNY US | SRPT US | IONS US | RNA US  | ARWR US   | WVE US             |
| 시가총액   |              | 31,477  | 5,772   | 4,626   | 3,688   | 1,786     | 1,042              |
| 2023   | 매출액          | 1,828   | 1,243   | 788     | 10      | 241       | 113                |
|        | 영업이익         | -282    | -268    | -354    | -236    | -205      | -68                |
|        | EBITDA       | -190    | -236    | -328    | -233    | -191      | -61                |
|        | 순이익          | -440    | -536    | -366    | -189    | -205      | -58                |
|        | EPS(달러)      | -3.66   | -3.09   | -3.45   | -2.91   | -1.92     | -0.54              |
|        | PER(배)       |         |         |         |         |           |                    |
|        | PBR(배)       |         | 10.5    | 18.9    | 1.4     | 10.6      | 15.2               |
|        | ROE(%)       |         | -86.2   | -76.3   | -35.0   | -61.3     |                    |
|        | EV/EBITDA(배) |         |         |         |         |           |                    |
| 2024   | 매출액          | 2,248   | 1,902   | 705     | 11      | 4         | 108                |
|        | 영업이익         | -177    | 218     | -475    | -379    | -601      | -110               |
|        | EBITDA       | -131    | 258     | -452    | -376    | -586      | -103               |
|        | 순이익          | -278    | 235     | -454    | -322    | -599      | -97                |
|        | EPS(달러)      | -2.16   | 2.41    | -3.02   | -2.89   | -5.00     | -0.70              |
|        | PER(배)       |         | 50.5    |         |         |           |                    |
|        | PBR(배)       | 453.5   | 7.7     | 9.4     | 2.4     | 13.0      | 9.0                |
|        | ROE(%)       |         | 19.7    | -93.1   | -33.5   | -262.5    | -77.9              |
|        | EV/EBITDA(배) |         | 40.5    |         |         |           |                    |
| 2025F  | 매출액          | 2,857   | 3,070   | 653     | 13      | 283       | 69                 |
|        | 영업이익         | -64     | 613     | -473    | -528    | -359      | -176               |
|        | EBITDA       | 137     | 715     | -560    | -511    | -384      | -192               |
|        | 순이익          | 90      | 756     | -484    | -506    | -384      | -163               |
|        | EPS(달러)      | 0.86    | 7.37    | -3.07   | -3.82   | -2.48     | -0.98              |
|        | PER(배)       | 282.7   | 8.1     |         |         |           |                    |
|        | PBR(배)       | 138.0   | 2.3     | 98.0    |         | 6.3       | 7.0                |
|        | ROE(%)       | -77.0   | 25.1    | -120.3  | -43.9   | -602.7    | -72.3              |
|        | EV/EBITDA(배) | 237.1   | 8.5     |         |         |           |                    |
| 2025F  | 매출액          | 11.0    | 1.9     | 7.1     | 281.2   | 6.3       | 15.1               |
|        | 영업이익         |         |         |         |         |           |                    |
|        | EBITDA       |         |         |         |         |           |                    |
|        | 순이익          |         |         |         |         |           |                    |
|        | EPS(달러)      |         |         |         |         |           |                    |
|        | PER(배)       |         |         |         |         |           |                    |
|        | PBR(배)       |         |         |         |         |           |                    |
|        | ROE(%)       |         |         |         |         |           |                    |
|        | EV/EBITDA(배) |         |         |         |         |           |                    |

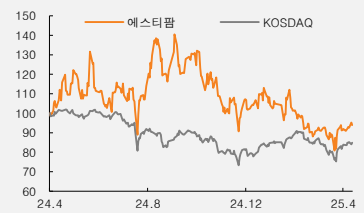
자료: 블룸버그, 미래에셋증권 리서치센터

# Global Company Analysis

|               |            |
|---------------|------------|
| 투자의견(유지)      | 매수         |
| 목표주가(하향)      | ▼ 110,000원 |
| 현재주가(25/4/29) | 78,200원    |
| 상승여력          | 40.7%      |

|                         |         |
|-------------------------|---------|
| 영업이익(25F,십억원)           | 40      |
| Consensus 영업이익(25F,십억원) | 45      |
| EPS 성장률(25F,%)          | 6.5     |
| MKT EPS 성장률(25F,%)      | 26.3    |
| P/E(25F,x)              | 41.2    |
| MKT P/E(25F,x)          | 9.3     |
| KOSDAQ                  | 726.46  |
| 시가총액(십억원)               | 1,576   |
| 발행주식수(백만주)              | 20      |
| 유동주식비율(%)               | 60.8    |
| 외국인 보유비중(%)             | 5.8     |
| 베타(12M) 일간수익률           | 0.90    |
| 52주 최저가(원)              | 67,300  |
| 52주 최고가(원)              | 117,000 |

| (%)  | 1M  | 6M    | 12M   |
|------|-----|-------|-------|
| 절대주가 | 5.5 | -17.4 | -12.0 |
| 상대주가 | 0.8 | -15.4 | 5.3   |



[글로벌 바이오섹터]

서미화

mihwa.seo@miraeasset.com

237690 · 제약/바이오

## 에스티팜

### 쌓여가는 CDMO 수주

#### 1Q25 매출액 524억원(+1.3% YoY), 영업이익 10억원(-46.8% YoY)

에스티팜 1Q25 매출액은 524억원(+1.3% YoY), 영업이익 10억원(-46.8% YoY)이다. 매출액(컨센서스 607억원) 및 영업이익(컨센서스 41억원) 모두 컨센서스를 하회했다. 매출은 전년 대비 1.3% 증가하였으나, 전년 동기 대비 연구개발비 5억원, 사내근로복지기금 9억원이 증가하며, 전체 판관비가 11억원 증가했다. 전년 동기 대비 증가한 판관비로 영업이익은 9억원 감소했다.

올리고 CDMO 매출은 376억원(+8.9% YoY)으로 고지혈증 치료제 264억원, 혈액암 치료제 61억원, 설비사용수수료 23억원이 포함된다. 올리고 매출은 전체 매출 비중의 71.7%였으며, 상업화된 올리고의 매출 비중은 전체 올리고 매출의 86.4%였다. 저분자화합물 CDMO 매출은 11억원으로 전년 동기 대비 73.6% 감소했다. 이는 미토콘드리아 결핍 증후군 치료제 매출이 감소했기 때문이다. 세포치료제 및 스마트캡 시료 매출액은 6억원이다. CRO 자회사의 수주 증가로 1분기 영업손실은 축소되었다.

#### 투자의견 매수 유지, 목표주가 11만원으로 하향(기존 12만원)

2025년 매출액은 3,087억원(+12.8% YoY), 영업이익 401억원(+44.9% YoY)으로 전망한다. 1분기 추정치 대비 낮은 영업이익으로 25년 영업이익 438억원을 401억원으로 하향조정했다. 목표주가는 기존과 동일한 DCF 방식을 이용(25~31년 추정치)하였으며, WACC 8.7%(무위험 수익률 3.5%, 시장위험프리미엄 5.3%), 영구성장률 3%를 적용했다. 최종 목표주가는 11만원이다. 에스티팜은 현재 PER 41배 거래중으로, 에스티팜의 과거 평균 PER 78배를 하회하고 있다.

상업용 올리고 매출이 증가하며 매출이 안정화되고 있다는 점과 올리고 수주금액이 증가하고 있다는 점이 긍정적인 포인트다. 25년 1분기까지 7,866만 달러의 수주가 추가되었다. 작년 총 수주금액이 1.4억 달러였음을 감안하면 1분기 동안만 작년 수주금액의 57.1%가 수주된 것이다. 현재 수주잔고는 올리고 3,266억원, mRNA 32억원, 저분자화합물 395억원이다. 또한, RNA 치료제 시장은 2030년 366억 달러까지 성장할 것으로 전망되고 있어 RNA 치료제 CDMO의 장기적인 성장성 및 중요성은 더 부각될 것으로 판단된다.

| 결산기 (12월)  | 2023  | 2024  | 2025F | 2026F | 2027F |
|------------|-------|-------|-------|-------|-------|
| 매출액 (십억원)  | 285   | 274   | 309   | 361   | 428   |
| 영업이익 (십억원) | 34    | 28    | 40    | 63    | 81    |
| 영업이익률 (%)  | 11.9  | 10.2  | 12.9  | 17.5  | 18.9  |
| 순이익 (십억원)  | 20    | 35    | 38    | 53    | 58    |
| EPS (원)    | 1,041 | 1,780 | 1,896 | 2,640 | 2,879 |
| ROE (%)    | 5.4   | 7.8   | 7.4   | 9.6   | 9.7   |
| P/E (배)    | 65.1  | 50.0  | 41.2  | 29.6  | 27.2  |
| P/B (배)    | 3.3   | 3.6   | 3.0   | 2.7   | 2.5   |
| 배당수익률 (%)  | 0.7   | 0.6   | 0.6   | 0.6   | 0.6   |

주: K-IFRS 연결 기준, 순이익은 지배주주 귀속 순이익

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터



표 11. 1Q25 실적 비교표

(억원, %, %p)

|       | 1Q24 | 4Q24  | 1Q25P |      | 성장률   |       |
|-------|------|-------|-------|------|-------|-------|
|       |      |       | 잠정치   | 컨센서스 | YoY   | QoQ   |
| 매출액   | 517  | 1,157 | 524   | 607  | 1.3   | -54.7 |
| 영업이익  | 19   | 228   | 10    | 41   | -46.8 | -95.6 |
| 영업이익률 | 3.6  | 19.7  | 1.9   | 6.7  | -1.7  | -17.8 |
| 세전이익  | 75   | 194   | 8     | 46   | -89.5 | -95.9 |
| 순이익   | 62   | 129   | 7     | 54   | -89.2 | -94.8 |

자료: 미래에셋증권 리서치센터

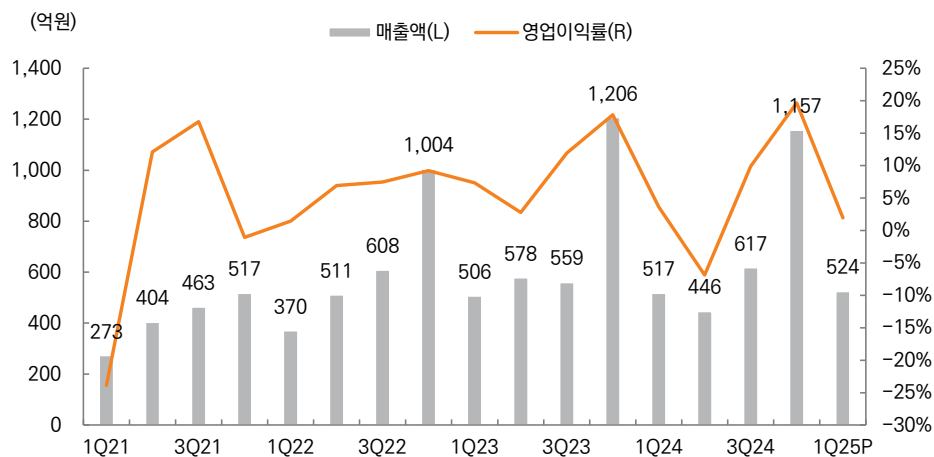
표 12. 에스티팜 실적 추정

(억원)

|          | 1Q24   | 2Q24   | 3Q24   | 4Q24  | 1Q25P  | 2Q25F  | 3Q25F  | 4Q25F | 2023  | 2024   | 2025F | 2026F |
|----------|--------|--------|--------|-------|--------|--------|--------|-------|-------|--------|-------|-------|
| 매출액      | 517    | 446    | 617    | 1,157 | 524    | 619    | 692    | 1,252 | 2,850 | 2,738  | 3,087 | 3,608 |
| YoY      | 2.1%   | -22.8% | 10.3%  | -4.1% | 1.3%   | 38.8%  | 12.2%  | 8.2%  | 14.3% | -3.9%  | 12.8% | 16.9% |
| 신약 원료의약품 | 44     | 16     | 88     | 109   | 11     | 52     | 104    | 131   | 217   | 257    | 298   | 358   |
| CDMO     | 345    | 238    | 356    | 822   | 375    | 397    | 409    | 946   | 1,696 | 1,761  | 2,127 | 2,552 |
| 영업이익     | 19     | (31)   | 61     | 228   | 10     | 34     | 69     | 288   | 335   | 277    | 401   | 630   |
| YoY      | -49.3% | 적전     | -8.6%  | 5.8%  | -46.8% | 흑전     | 13.5%  | 26.5% | 87.7% | -17.4% | 44.9% | 57.1% |
| 당기순이익    | 54     | 9      | 137    | 124   | 7      | 38     | 75     | 241   | 175   | 325    | 362   | 443   |
| YoY      | 87.8%  | -25.4% | 307.8% | 23.6% | -87.1% | 323.8% | -44.9% | 93.7% | 0.0%  | 85.3%  | 11.5% | 22.4% |

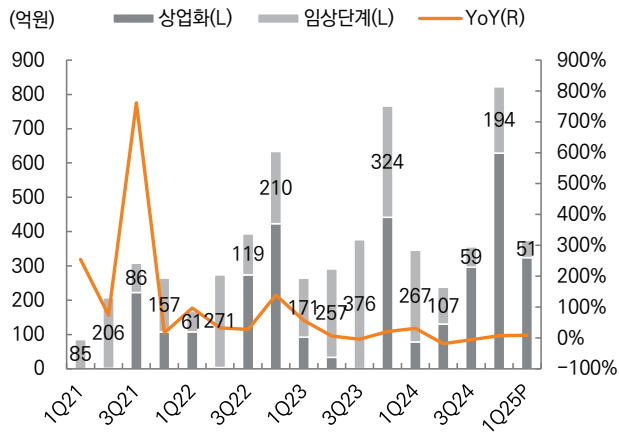
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 65. 에스티팜 실적 추이



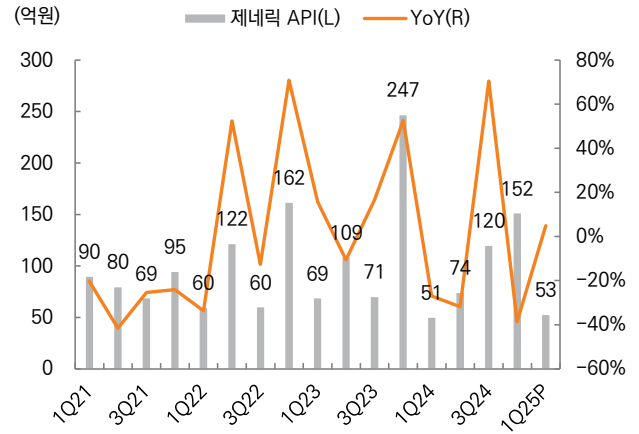
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 66. 올리고뉴클레오타이드 CDMO 매출 추이



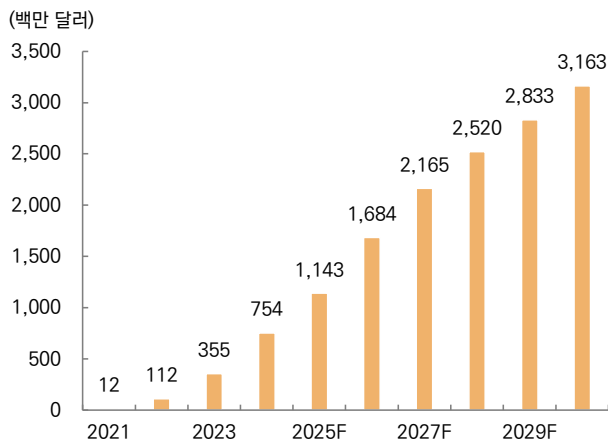
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 67. 제네릭의약품 CDMO 매출 추이



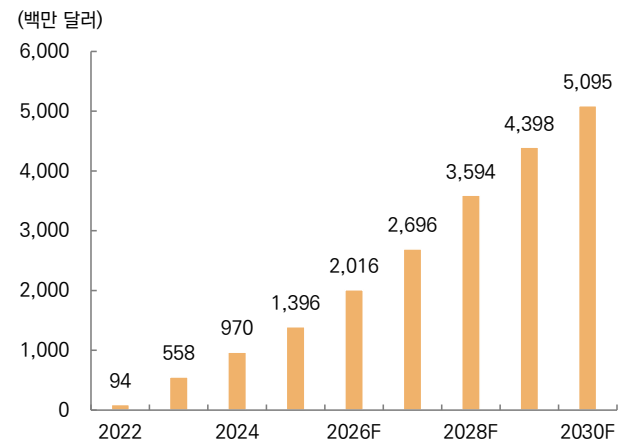
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 68. 렉비오 연간 매출 전망



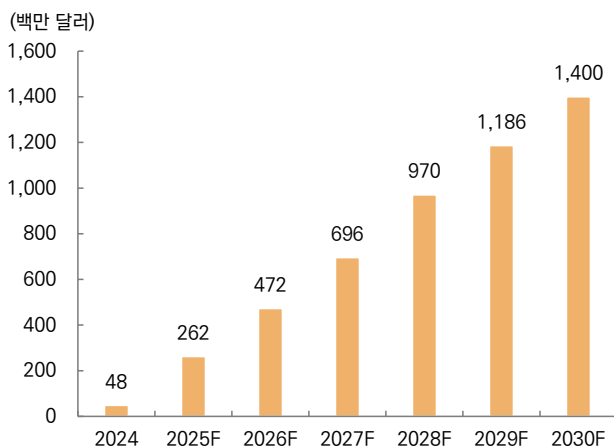
자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 69. 스피라자 연간 매출 전망



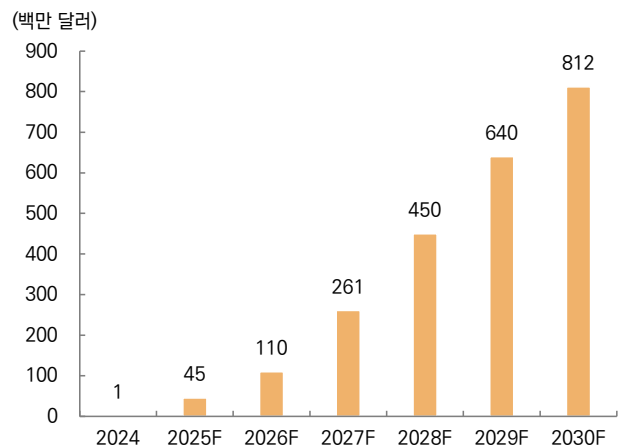
자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 70. 라이텔로 연간 매출 전망



자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 71. 트린골자 연간 매출 전망



자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 72. 에스티팜 올리고뉴클레오타이드 수주 금액 및 시가총액 추이



자료: 에스티팜, 블룸버그, 미래에셋증권 리서치센터

표 13. 에스티팜 올리고 수주 파이프라인(일부)

| 파트너사     | 적응증        | 임상단계              |
|----------|------------|-------------------|
| 글로벌제약사A  | 고지혈증       | 상업화               |
| 글로벌제약사B  | 척수성근위축증    | 상업화               |
| 글로벌바이오텍C | MDS/MF/AML | 상업화               |
| 글로벌바이오텍D | 심혈관 질환     | 상업화               |
| 글로벌바이오텍D | 유전성혈관부종    | PDUFA date 8월 21일 |
| 글로벌제약사A  | 동맥경화증      | 임상 3상             |
| 글로벌제약사E  | 만성 B형 간염   | 임상 3상             |
| 글로벌바이오텍D | 혈전증        | 임상 2상             |
| 글로벌제약사F  | 만성 B형 간염   | 임상 2상             |
| 글로벌제약사G  | 황반변성       | 임상 2상             |
| 글로벌제약사G  | 만성 B형 간염   | 임상 2상             |

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

표 14. 에스티팜의 목표주가 산정

|                   | (십억원)   |
|-------------------|---------|
| 가치                |         |
| 에스티팜의 영업가치(A=B+C) | 20,719  |
| FCFF의 현재가치의 합(B)  | 2,288   |
| 영구가치의 현재가치(C)     | 18,431  |
| 순차입금(D)           | 620     |
| 주주가치(E=A-D)       | 20,099  |
| 발행주식 수(F, 천주)     | 18,809  |
| 적정주가(G=E/F, 원)    | 106,858 |
| 목표주가(원)           | 110,000 |

자료: 미래에셋증권 리서치센터 추정

표 15. 올리고핵산치료제 CDMO 수주 현황

(천 USD, 천 CHF)

| 수주일자    | 납기      | 적응증          | 결제통화 | 수주총액   |
|---------|---------|--------------|------|--------|
| 2017.11 | 2020.12 | 헌팅턴병(3상)     | USD  | 11,800 |
| 2019.03 | 2020.03 | 동맥경화증(3상)    | USD  | 7,838  |
| 2019.11 | 2020.05 | 동맥경화증(3상)    | USD  | 3,370  |
| 2019.11 | 2020.12 | 심혈관질환(3상)    | USD  | 4,609  |
| 2020.04 | 2021.12 | 자폐(2상)       | USD  | 5,741  |
| 2020.05 | 2020.12 | B형간염(2상)     | USD  | 3,448  |
| 2020.09 | 2022.03 | 고지혈증(PPQ)    | USD  | 38,737 |
| 2020.12 | 2023.08 | 자폐(2상)       | CHF  | 7,009  |
| 2020.12 | 2023.08 | B형간염(2상)     | USD  | 18,474 |
| 2021.01 | 2022.11 | 동맥경화증(3상)    | USD  | 9,905  |
| 2021.01 | 2022.12 | 황반변성(2상)     | CHF  | 5,516  |
| 2021.03 | 2023.06 | 심혈관질환(3상)    | USD  | 9,555  |
| 2021.05 | 2021.07 | 헌팅턴병(PPQ)    | CHF  | 21,120 |
| 2021.09 | 2022.06 | 혈액암(PPQ)     | USD  | 15,348 |
| 2021.12 | 2023.09 | 동맥경화증(3상)    | USD  | 12,798 |
| 2022.03 | 2023.12 | 고지혈증(상업화)    | USD  | 65,344 |
| 2022.05 | 2023.09 | 만성B형간염(2상)   | CHF  | 4,090  |
| 2022.07 | 2023.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 5,710  |
| 2023.01 | 2023.09 | 동맥경화증(PPQ)   | USD  | 14,480 |
| 2023.02 | 2023.08 | 만성B형간염(3상)   | USD  | 7,770  |
| 2023.02 | 2023.12 | 혈액암(상업화 초도)  | USD  | 8,570  |
| 2023.03 | 2023.01 | 척수성근위축증(상업화) | USD  | 9,000  |
| 2023.03 | 2024.06 | 황반변성(2상)     | CHF  | 3,470  |
| 2023.03 | 2024.12 | 고지혈증(상업화)    | USD  | 48,528 |
| 2023.05 | 2024.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 8,565  |
| 2023.05 | 2024.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 8,565  |
| 2023.06 | 2025.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 18,691 |
| 2024.06 | 2024.12 | 동맥경화증        | USD  | 3,108  |
| 2024.06 | 2024.12 | 가족성 킬로미크론혈증  | USD  | 4,500  |
| 2024.06 | 2024.12 | 유전성 혈관부종     | USD  | 1,687  |
| 2024.07 |         | 3건의 계약       | USD  | 10,140 |
| 2024.08 | 2025.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 27,758 |
| 2024.08 | 2025.12 | 혈액암(상업화)     | USD  | 7,971  |
| 2024.08 | 2025.12 | 고지혈증(상업화)    | USD  | 63,263 |
| 2024.11 | 2025.06 | 고중성지방혈증(3상)  | USD  | 19,288 |

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

## 에스티팜 (237690)

## 예상 포괄손익계산서 (요약)

| (십억원)           | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|-----------------|------|-------|-------|-------|
| 매출액             | 274  | 309   | 361   | 428   |
| 매출원가            | 178  | 200   | 233   | 274   |
| 매출총이익           | 96   | 109   | 128   | 154   |
| 판매비와관리비         | 68   | 69    | 65    | 73    |
| 조정영업이익          | 28   | 40    | 63    | 81    |
| 영업이익            | 28   | 40    | 63    | 81    |
| 비영업손익           | 15   | 7     | 1     | -9    |
| 금융손익            | -3   | -19   | -16   | -10   |
| 관계기업등 투자손익      | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 세전계속사업손익        | 43   | 47    | 64    | 72    |
| 계속사업법인세비용       | 10   | 10    | 12    | 16    |
| 계속사업이익          | 32   | 37    | 51    | 56    |
| 중단사업이익          | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 당기순이익           | 32   | 37    | 51    | 56    |
| 지배주주            | 35   | 38    | 53    | 58    |
| 비지배주주           | -2   | -1    | -2    | -2    |
| 총포괄이익           | 32   | 37    | 51    | 56    |
| 지배주주            | 34   | 38    | 53    | 58    |
| 비지배주주           | -2   | -1    | -1    | -1    |
| EBITDA          | 53   | 64    | 84    | 99    |
| FCF             | 27   | 70    | 64    | 54    |
| EBITDA 마진율 (%)  | 19.3 | 20.7  | 23.3  | 23.1  |
| 영업이익률 (%)       | 10.2 | 12.9  | 17.5  | 18.9  |
| 지배주주귀속 순이익률 (%) | 12.8 | 12.3  | 14.7  | 13.6  |

## 예상 재무상태표 (요약)

| (십억원)       | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|-------------|------|-------|-------|-------|
| 유동자산        | 330  | 446   | 522   | 561   |
| 현금 및 현금성자산  | 63   | 210   | 242   | 228   |
| 매출채권 및 기타채권 | 69   | 75    | 88    | 105   |
| 재고자산        | 127  | 137   | 163   | 193   |
| 기타유동자산      | 71   | 24    | 29    | 35    |
| 비유동자산       | 392  | 369   | 352   | 338   |
| 관계기업투자등     | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 유형자산        | 336  | 313   | 294   | 276   |
| 무형자산        | 17   | 15    | 14    | 14    |
| 자산총계        | 722  | 816   | 874   | 898   |
| 유동부채        | 133  | 168   | 180   | 153   |
| 매입채무 및 기타채무 | 32   | 35    | 41    | 49    |
| 단기금융부채      | 73   | 103   | 104   | 62    |
| 기타유동부채      | 28   | 30    | 35    | 42    |
| 비유동부채       | 86   | 118   | 122   | 128   |
| 장기금융부채      | 62   | 92    | 92    | 92    |
| 기타비유동부채     | 24   | 26    | 30    | 36    |
| 부채총계        | 219  | 286   | 303   | 281   |
| 지배주주지분      | 503  | 531   | 574   | 622   |
| 자본금         | 10   | 10    | 10    | 10    |
| 자본잉여금       | 316  | 316   | 316   | 316   |
| 이익잉여금       | 159  | 188   | 231   | 279   |
| 비지배주주지분     | 0    | -1    | -3    | -5    |
| 자본총계        | 503  | 530   | 571   | 617   |

## 예상 현금흐름표 (요약)

| (십억원)               | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|---------------------|------|-------|-------|-------|
| 영업활동으로 인한 현금흐름      | 109  | 70    | 64    | 54    |
| 당기순이익               | 32   | 37    | 51    | 56    |
| 비현금수익비용가감           | 45   | 53    | 49    | 43    |
| 유형자산감가상각비           | 25   | 23    | 20    | 17    |
| 무형자산상각비             | 1    | 1     | 1     | 1     |
| 기타                  | 19   | 29    | 28    | 25    |
| 영업활동으로인한자산및부채의변동    | 37   | -10   | -25   | -30   |
| 매출채권 및 기타채권의 감소(증가) | 53   | -6    | -13   | -16   |
| 재고자산 감소(증가)         | -13  | -10   | -25   | -30   |
| 매입채무 및 기타채무의 증가(감소) | -7   | 1     | 2     | 3     |
| 법인세납부               | -5   | -10   | -12   | -16   |
| 투자활동으로 인한 현금흐름      | -87  | 20    | 25    | 26    |
| 유형자산처분(취득)          | -83  | 0     | 0     | 0     |
| 무형자산감소(증가)          | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 장단기금융자산의 감소(증가)     | 24   | -2    | -5    | -6    |
| 기타투자활동              | -28  | 22    | 30    | 32    |
| 재무활동으로 인한 현금흐름      | -11  | 9     | -57   | -94   |
| 장단기금융부채의 증가(감소)     | -75  | 60    | 0     | -42   |
| 자본의 증가(감소)          | 90   | 0     | 0     | 0     |
| 배당금의 지급             | -9   | -10   | -10   | -10   |
| 기타재무활동              | -17  | -41   | -47   | -42   |
| 현금의 증가              | 13   | 146   | 32    | -14   |
| 기초현금                | 50   | 63    | 210   | 242   |
| 기말현금                | 63   | 210   | 242   | 228   |

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

## 예상 주당가치 및 valuation (요약)

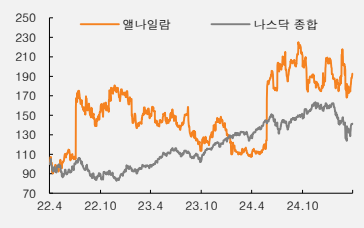
|                 | 2024   | 2025F  | 2026F  | 2027F  |
|-----------------|--------|--------|--------|--------|
| P/E (x)         | 50.0   | 41.2   | 29.6   | 27.2   |
| P/CF (x)        | 22.3   | 17.5   | 15.6   | 15.8   |
| P/B (x)         | 3.6    | 3.0    | 2.7    | 2.5    |
| EV/EBITDA (x)   | 34.8   | 24.2   | 18.1   | 14.9   |
| EPS (원)         | 1,780  | 1,896  | 2,640  | 2,879  |
| CFPS (원)        | 3,984  | 4,465  | 5,003  | 4,937  |
| BPS (원)         | 24,966 | 26,360 | 28,499 | 30,879 |
| DPS (원)         | 500    | 500    | 500    | 500    |
| 배당성향 (%)        | 31.0   | 27.2   | 19.6   | 17.9   |
| 배당수익률 (%)       | 0.6    | 0.6    | 0.6    | 0.6    |
| 매출액증가율 (%)      | -3.9   | 12.8   | 16.9   | 18.6   |
| EBITDA증가율 (%)   | -5.8   | 20.1   | 31.0   | 18.7   |
| 조정영업이익증가율 (%)   | -17.4  | 44.9   | 57.1   | 29.0   |
| EPS증가율 (%)      | 71.0   | 6.5    | 39.2   | 9.1    |
| 매출채권 회전율 (회)    | 2.9    | 4.4    | 4.5    | 4.5    |
| 재고자산 회전율 (회)    | 2.2    | 2.3    | 2.4    | 2.4    |
| 매입채무 회전율 (회)    | 12.5   | 18.0   | 18.5   | 18.4   |
| ROA (%)         | 4.6    | 4.8    | 6.1    | 6.3    |
| ROE (%)         | 7.8    | 7.4    | 9.6    | 9.7    |
| ROIC (%)        | 4.2    | 6.3    | 10.1   | 12.4   |
| 부채비율 (%)        | 43.5   | 54.0   | 53.0   | 45.5   |
| 유동비율 (%)        | 247.7  | 265.2  | 289.4  | 366.8  |
| 순차입금/자기자본 (%)   | 12.3   | -4.7   | -10.3  | -14.5  |
| 조정영업이익/금융비용 (x) | 3.6    | 1.0    | 1.3    | 1.9    |

|               |                |
|---------------|----------------|
| 투자 의견(유지)     | <b>중립</b>      |
| 목표주가(유지)      | <b>USD 236</b> |
| 현재주가(25/4/29) | USD 257.19     |
| 상승여력          | -8.2%          |

|                 |           |
|-----------------|-----------|
| 나스닥 종합(p)       | 17,461.32 |
| EPS 성장률(25F, %) | -         |
| P/E(25F, x)     | -         |
| 배당수익률(%)        | 0.0       |

|                    |        |
|--------------------|--------|
| 시가총액(십억USD)        | 33.46  |
| 시가총액(조원)           | 48.15  |
| 상장주식수(백만주)         | 130.1  |
| 60일 평균 거래대금(백만USD) | 232.46 |
| 52주 최저가(USD)       | 143.95 |
| 52주 최고가(USD)       | 300.55 |

| (%)  | 1M   | 6M   | 12M  |
|------|------|------|------|
| 절대주가 | -4.2 | -9.7 | 74.5 |
| 상대주가 | -5.0 | -3.2 | 59.8 |



[글로벌 바이오텍]

서미화

mihwa.seo@miraeasset.com

## 앨나일람

### 25년, 임상 결과 모멘텀은 유효

#### 앨나일람에 대한 목표주가 236달러, 투자 의견 중립 유지

앨나일람에 대한 목표주가 236달러, 투자 의견 중립을 유지한다. 25년 3월 FDA 허가를 획득한 ATTR 심근병증 치료제 앰부트라 25년 추정치를 보수적으로 추정하기 때문이다. 당사의 25년 앰부트라 추정치는 14.07억 달러로, 가이던스(16~17.25억 달러) 대비 13.7~22.6% 낮다.

아밀로이드성 심근병증 치료제 경쟁 심화에 대한 우려가 있다고 판단하기 때문이다. 24년 FDA 허가를 받은 미국 브릿지바이오의 아코라미디스와 경쟁이 필요하다. 또한, 동일 적응증의 아이오니스의 웨이누아의 임상 3상 결과가 2026년 발표 예정이다. 하지만, 앰부트라는 ATTR 아밀로이드성 신경병증 및 심근병증 증상 모두에 승인 받은 유일한 치료제로 좋은 포지션을 가진다. 따라서, 아코라미디스보다 빠르게 처방 수가 늘어나는 모습만 확인된다면 경쟁에 대한 우려가 낮아질 것으로 보인다.

회사가 제시한 16~17.25억 달러를 상회하는 매출 달성이 관건이다. 16~17.25억 달러는 24년 전체 아밀로이드성 치료제 매출 대비 약 36% 증가한 수치다. 주가는 앰부트라 상업화 기대감을 선반영했으며, 의미있는 앰부트라 처방 데이터가 나오는 시기까지 보수적 접근이 필요하다는 판단이다.

#### 25년 임상 결과 발표 모멘텀은 유효

앨나일람의 25년 모멘텀은 1) 심근병증 치료제 앰부트라 허가(3월 20일), 2) 혈우병 치료제 쿠피틀리아 허가(3월 28일), 3) 만성B형 바이러스 감염 치료제 ELEBSIRAN 임상 2상 결과(2Q25), 4) 알츠하이머 치료제 Mivelsiran 임상 1b상 결과, 5) CEMDISIRAN 중증무력증 임상 3상 결과 발표이다.

상업화 파이프라인에 대한 2가지 모멘텀은 끝났으나, 임상 결과 발표에 대한 모멘텀은 유효하다. 특히 알츠하이머 치료제 Mivelsiran은 우려만큼이나 잠재력도 큰 파이프라인이다. 알츠하이머 임상 성공 시, 알츠하이머 질환뿐만 아니라 다른 신경계 질환에도 동일 플랫폼 적용 가능성이 높아지기 때문이다. 임상 1b상의 초기 단계 결과 이긴 하나 긍정적인 결과 및 임상 2상 개시에 대한 전략 발표 시, 기업 가치는 높아질 것으로 기대된다. 현재 알츠하이머 치료제 Mivelsiran에 대한 임상 성공확률을 30%로 반영하고 있으며, 임상 2상 진입 시 상향 가능하다.

| 결산기 (12월)   | 2023  | 2024  | 2025F | 2026F | 2027F  |
|-------------|-------|-------|-------|-------|--------|
| 매출액 (억USD)  | 18    | 22    | 25    | 28    | 36     |
| 영업이익 (억USD) | -3    | -2    | 0     | 2     | 8      |
| 영업이익률 (%)   | -16.7 | -9.1  | 0.0   | 7.1   | 22.2   |
| 순이익 (억USD)  | -4    | -3    | -1    | 1     | 6      |
| EPS (USD)   | -3.52 | -2.18 | -0.64 | 0.92  | 4.58   |
| ROE (%)     | 232.4 | 362.3 | -56.2 | -55.6 | -165.9 |
| P/E (배)     | -     | -     | -     | 280.2 | 56.1   |
| P/B (배)     | -     | 453.5 | 146.8 | -     | -      |

주: GAAP 기준, 순이익은 지배주주 귀속 순이익

자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

## I. 25년 R&D 성과 및 모멘텀

### 1. ATTR 심근병증 치료제 앰부트라 허가

3월 20일, 앨나일람의 ATTR 심근병증 치료제 앰부트라는 FDA 허가를 받았다. 이로써 앰부트라는 아밀로이드성 신경병증 및 심근병증 증상 모두에 승인받은 유일한 치료제가 되었다. 아밀로이드증 환자는 손, 발과 같은 말초 부위의 통증이 동반되는 다발성 신경병증이나 호흡곤란, 흉통을 일으킬 수 있는 심근병증 증상을 보인다. ATTR 심근병증은 대동맥 협착증 및 심부전을 일으킨다. 유전성 아밀로이드성 신경병증 환자 수는 25,000~30,000명으로 추정된다. 유전성 및 비유전성 아밀로이드증 환자의 심근병증으로 적응증을 확장할 경우 환자수는 30만명 이상으로, 현재보다 10배 이상 큰 시장으로 확장이 가능하다.

앰부트라의 HELIOS-B 임상 3상은 ATTR 아밀로이드증 655명 환자(와일드타입 및 돌연변이 모두를 포함)를 대상으로 진행되었다. 앰부트라는 피하주사로 3개월에 1회 투여한다. 1차지표는 모든 원인으로 인한 사망률과 재발성 CV의 복합 결과였다.

임상 3상 HELIOS-B 연구에서 1) 사망률과 2) 재발성 심혈관 이벤트들의 복합적 감소를 유의미하게 입증하며 1차 평가 지표를 충족했다. 단독 요법을 시행한 그룹은 복합 평가 변수가 33%(HR=0.672) 감소했고, 재발성 심혈관 이벤트는 대조군 대비 28%(HR=0.718) 감소했다. 앰부트라 투여군과 위약 투여군에서 확인된 이상 반응의 비율은 유사했다. 위약 투여군 및 앰부트라 투여군 모두 다 3% 이상 자주 발생한 부작용은 없었다.

HELIOS-B 임상 3상에서 질병을 유발하는 단백질인 트랜스티레틴의 빠른 Knockdown은 대조군과 비교하여 모든 원인 사망률을 최대 36%까지 감소시켰다. 기존 치료제인 빈다겔(타파미디스)을 투여받은 환자의 약 50%가 포함되었음에도 개선된 효과를 입증했다. 이와 같은 결과는 앰부트라의 작용기전이 빈다겔 대비 업스트림에서 작용되기 때문으로 보인다. 그렇게 되면 TTR 테트라머를 안정화시키는 약물들 대비 효능 측면에서 경쟁력이 있을 것으로 판단된다.

빈다겔의 특허만료는 2028년이다. 특허 만료 이후 병용 요법이 점점 더 일반화될 것으로 보인다. HELIOS-B 하위그룹 분석에서 빈다겔을 복용하는 환자에서 위약과 비교하여 모든 사망률이 42% 감소되는 결과를 보였기 때문이다.

심근병증 치료제 앰부트라의 임상결과를 통해 신규 환자 및 경쟁약물을 투여받고 있는 환자의 스위칭도 충분히 가능할 것으로 예상된다. 하지만, 앰부트라의 1) 약가는 현재 많이 사용되고 있는 화이자의 타파미디스 22.5만 달러 대비 2배 높고(46.4만 달러), 2) 3개월에 1번 피하주사로 투여되긴하나 타파미디스가 경구용으로 처방되고 있어 편의성 측면에서는 우위에 있는 상황은 아니다. 3) 24년 브릿지바이오의 어트루비(아코라미디스)도 아밀로이드성 심근병증 환자에 대한 치료제로 FDA 승인을 획득했다. 어트루비의 24년 매출액은 400만 달러이며, 25년 1억 400만 달러 매출이 예상된다. 이외에도 3개의 경쟁약물이 임상 3상 중이다. 앰부트라 처방 데이터를 통해 시장 침투가 얼마나 빠르게 진행되는지 지켜볼 필요가 있다고 판단된다.

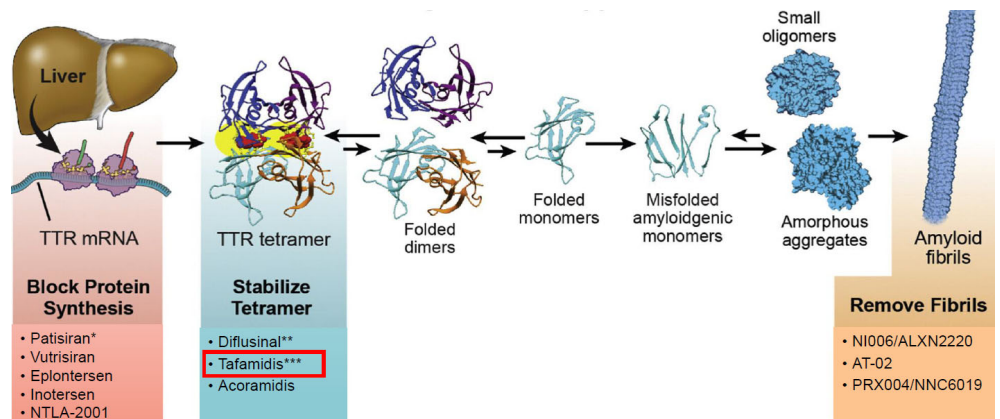


표 16. 앰부트라 경쟁약물 임상 현황

| 약품        | 회사         | 파트너사    | 적응증              | 임상 단계 |
|-----------|------------|---------|------------------|-------|
| 어트루비      | 브릿지바이오파마   |         | ATTR-CM          | FDA허가 |
| 앰부트라      | 엘나일람       | 사노피     | ATTR-CM          | FDA허가 |
| 웨이누아      | 아이오니스      | 아스트라제네카 | ATTR-CM          | 임상 3상 |
| ALXN2220  | 아스트라제네카    | 뉴리문     | ATTR-CM          | 임상 3상 |
| NTLA-2001 | 인텔리아 테라퓨틱스 | 리제네론    | ATTR-CM, ATTR-PN | 임상 3상 |

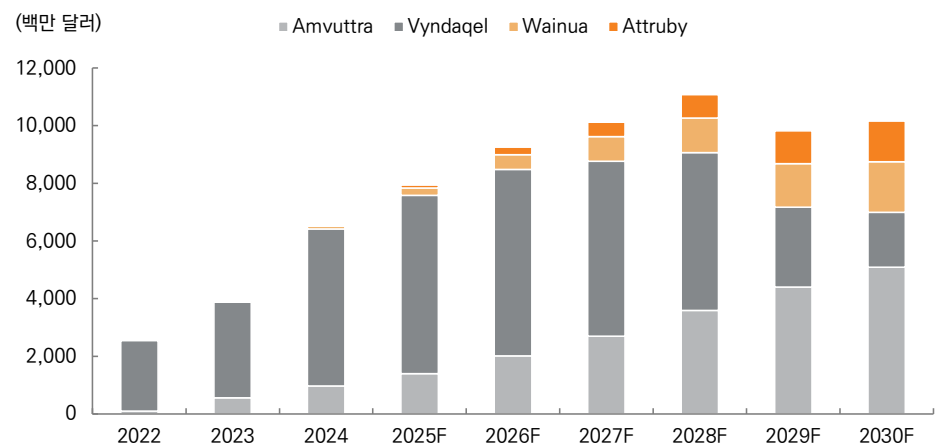
자료: 각 사, 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 73. 경쟁약물의 작용 기전 비교



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 74. 아밀로이드성 심근병증 치료제 매출액 추이 및 전망



자료: 이벨류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 75. ATTR 아밀로이드증 치료제 앰부트라



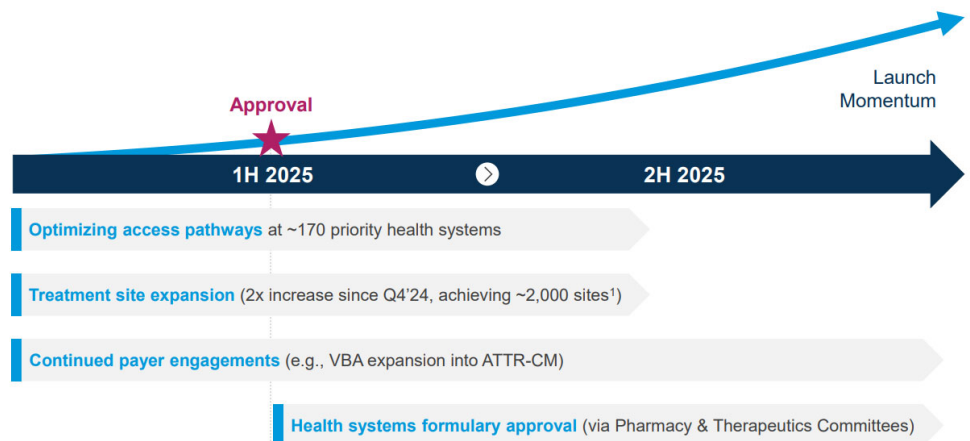
그림 76. 국가 별 앰부트라 런칭 시기



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

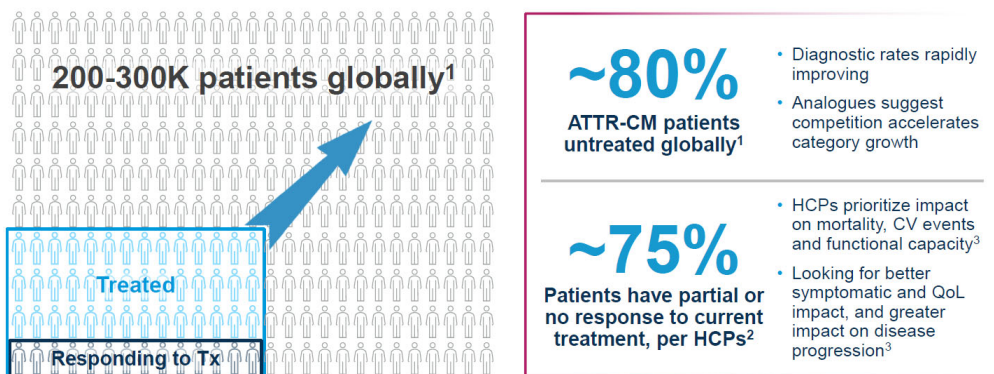
자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 77. 2H25 런칭 모멘텀을 위한 준비



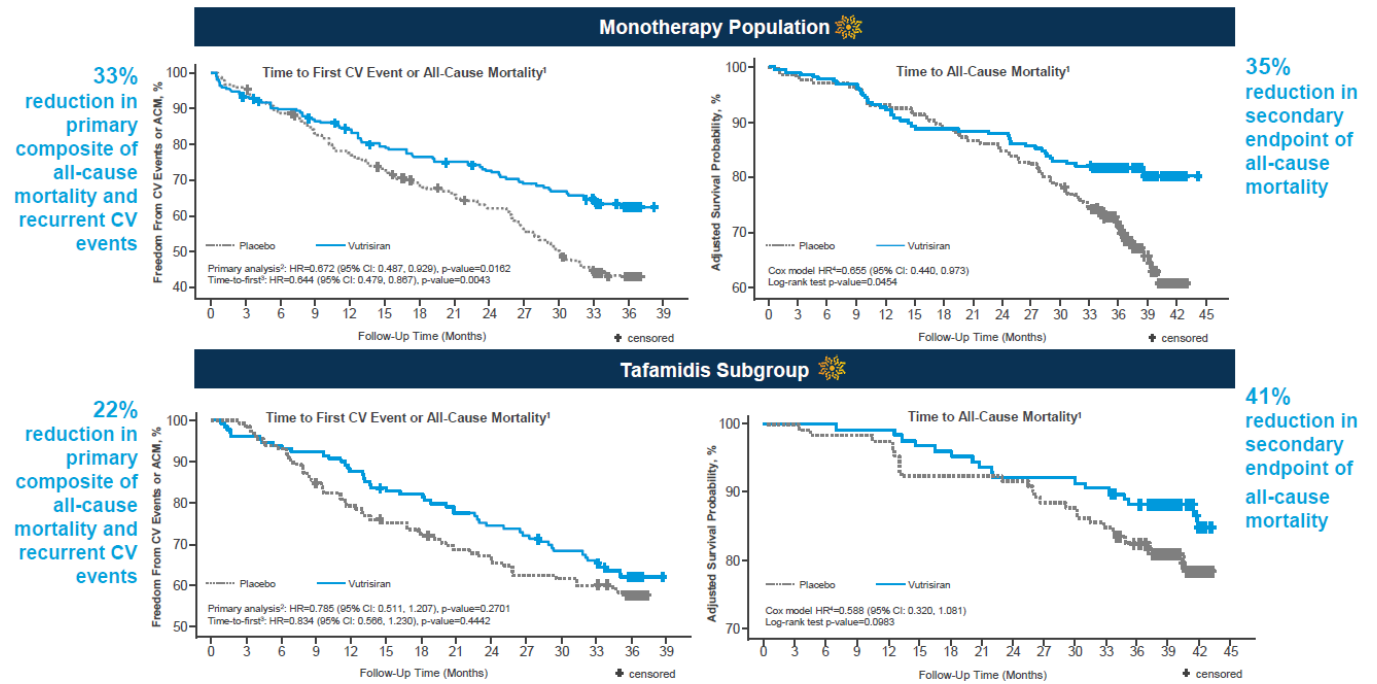
자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 78. 심근병성 ATTR 아밀로이드증 치료제 앰부트라의 확장성



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 79. 앰부트라아 아밀로이드성 심근병증 임상 3상 결과



자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

## 2. 혈우병 치료제 큐피틀리아 허가

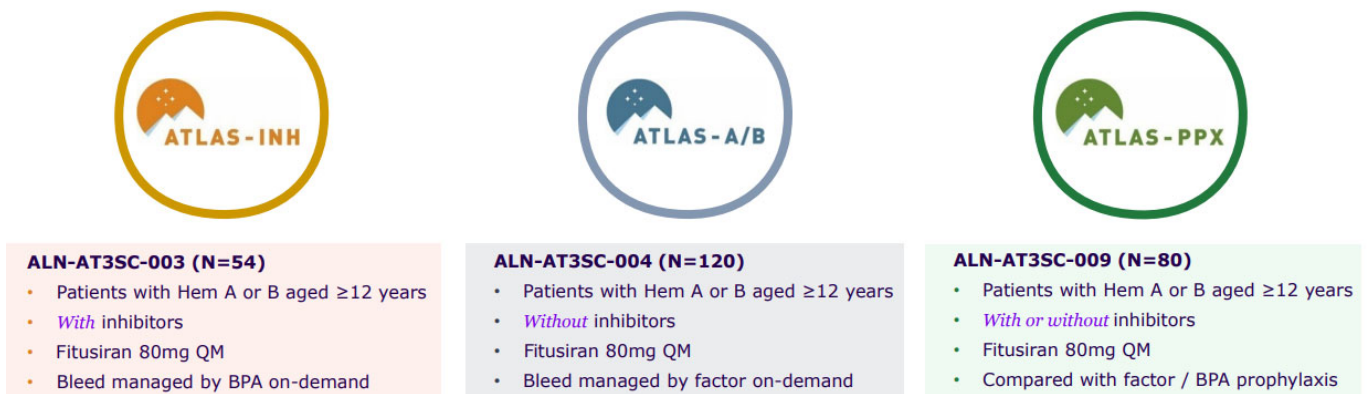
큐피틀리아(Qfitlia)는 Factor 8 또는 9 인자 억제제 사용 유무에 관계없이 사용 가능한 A형 또는 B형 혈우병 치료제로 승인되었다. A/B 혈우병은 드물고 선천적이며 평생 지속되는 출혈 질환이다. 혈액 응고 능력이 손상되어 과도한 출혈과 관절 내 자연 출혈을 유발하여 관절 손상과 만성 통증을 유발한다. A/B 혈우병은 각각 Factor 8과 Factor 9 결핍으로 인해 발생한다. 이로 인해 트롬빈 생성이 부족해지고 혈전 형성이 잘 일어나지 않는다.

큐피틀리아는 미리 채워진 펜이나 바이알 및 주사기를 통해 연간 6회 주사만으로 하위 그룹 전체에서 낮은 출혈률을 보였다. 억제제의 옵션이 없는 환자의 경우, 투여군과 비교하여 출혈이 71% 유의하게 감소( $p<0.0001$ )했고, 억제제 옵션이 있는 환자의 경우 투여군과 비교하여 출혈이 73% 감소( $p=0.0006$ )했다.

가장 흔한 이상반응(발병률 10% 이상)은 바이러스 감염, 비인두염, 세균 감염이었다. 큐피틀리아 승인과 함께 FDA는 Siemens Healthineers의 INNOVANCE® 항트롬빈 검사를 큐피틀리아의 AT 수치 측정 동반 진단 검사로 승인했다. 큐피틀리아는 다른 예방적 혈우병 치료제와 비슷한 가격으로 책정될 예정이다.

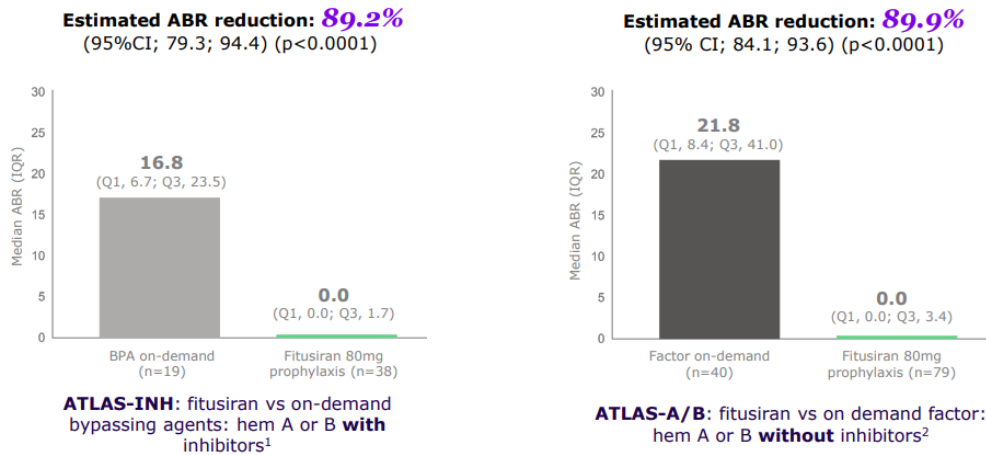
브라질에서는 큐피틀리아에 대한 규제 승인을 위한 신청서가 검토 중이며, 중국에서는 2025년 하반기 승인이 결정된다.

그림 80. 큐피틀리아 임상 3상 디자인



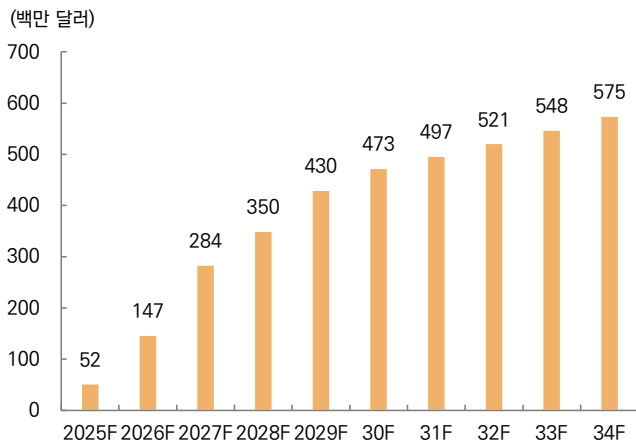
자료: 사노피(22.07), 미래에셋증권 리서치센터

그림 81. 큐피틀리아 임상 결과



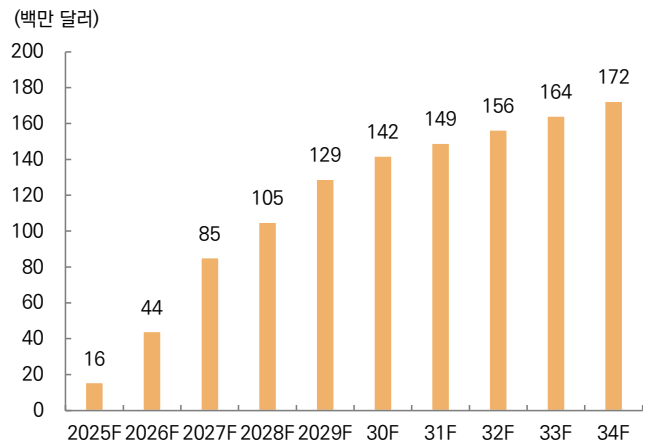
자료: 사노피(22.07), 미래에셋증권 리서치센터

그림 82. 큐피틀리아 매출 전망(사노피 기준)



자료: 글로벌데이터, 미래에셋증권 리서치센터

그림 83. 큐피틀리아 로열티 전망(엘나일람 기준)



자료: 미래에셋증권 리서치센터 추정

표 17. 2025년 주요 임상 이벤트

| 분류     | 약물명                  | 적응증             | 임상단계   | 1H25                           | 2H25                           | 파트너사 |
|--------|----------------------|-----------------|--------|--------------------------------|--------------------------------|------|
| 아밀로이드증 | VUTRISIRAN           | 아밀로이드증 심근병증     | FDA 허가 | FDA 허가                         | 일본, 독일 승인                      |      |
|        | Nucresiran           | 아밀로이드증 심근병증     | 임상 3상  | 임상 3상 개시                       |                                |      |
| 심혈관질환  | ZILEBESIRAN          | 고혈압             | 임상 2상  |                                | 2상 결과(KARDIA-3)<br>3상 개시(CVOT) |      |
| 신경계질환  | Mivelsiran           | 알츠하이머           | 임상 1상  |                                | 1상 파트B 탐라인 결과<br>임상 2상 개시      |      |
|        |                      | 대뇌아밀로이드맥관병증     | 임상 2상  |                                |                                |      |
|        | ALN-HTT02            | 헌팅턴병            | 임상 1상  |                                |                                |      |
| 희귀질환   | Fitusiran            | 혈우병             | FDA 허가 | FDA 허가                         |                                | 사노피  |
|        | CEMDISIRAN/POZELIMAB | 보체매개성 질환        | 임상 3상  |                                | 3상 결과(중증근무력증)                  | 리제네론 |
| 기타     | ELEBSIRAN            | 만성 B/D형 바이러스 감염 | 임상 2상  | 임상 3상 개시(HDV)<br>임상 2상 결과(HBV) |                                | 비어   |

자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

## II. 실적

표 18. 엘나일람 실적 추정치

(백만 달러)

|               | 1Q24   | 2Q24    | 3Q24   | 4Q24   | 1Q25F  | 2Q25F  | 3Q25F | 4Q25F | 2024   | 2025F | 2026F |
|---------------|--------|---------|--------|--------|--------|--------|-------|-------|--------|-------|-------|
| 매출액           | 494    | 660     | 501    | 593    | 507    | 579    | 622   | 767   | 2,248  | 2,475 | 2,813 |
| Product       | 365    | 411     | 420    | 451    | 384    | 444    | 473   | 541   | 1,647  | 1,842 | 2,049 |
| Onpattro      | 69     | 77      | 50     | 56     | 71     | 79     | 52    | 58    | 252    | 260   | 268   |
| Givlaari      | 58     | 62      | 71     | 65     | 60     | 64     | 73    | 66    | 256    | 263   | 271   |
| Amvuttra      | 195    | 231     | 259    | 287    | 209    | 259    | 307   | 372   | 972    | 1,147 | 1,333 |
| Oxlumo        | 43     | 41      | 40     | 44     | 44     | 42     | 41    | 45    | 167    | 172   | 177   |
| Collaboration | 119    | 227     | 57     | 107    | 88     | 98     | 108   | 175   | 510    | 469   | 493   |
| Royalty       | 11     | 22      | 23     | 35     | 35     | 37     | 41    | 51    | 92     | 164   | 271   |
| 매출원가          | 66     | 69      | 86     | 103    | 71     | 81     | 87    | 107   | 323    | 347   | 352   |
| 판관비           | 472    | 543     | 492    | 596    | 439    | 501    | 538   | 675   | 2,102  | 2,153 | 2,250 |
| 영업이익          | -43    | 49      | -77    | -105   | -3     | -3     | -3    | -15   | -177   | -24   | 211   |
| 당기순이익         | -66    | -17     | -112   | -84    | 9      | -31    | 0     | -82   | -278   | -16   | 0     |
| YoY           |        |         |        |        |        |        |       |       |        |       |       |
| 매출액           | 54.8%  | 107.0%  | -33.3% | 34.9%  | 2.6%   | -12.2% | 24.2% | 29.3% | 23.0%  | 10.1% | 13.6% |
| Product       | 32.1%  | 34.4%   | 34.1%  | 30.2%  | 5.1%   | 8.1%   | 12.6% | 20.0% | 32.7%  | 11.8% | 11.2% |
| Onpattro      | -32.5% | -15.8%  | -38.7% | -29.0% | 3.0%   | 3.0%   | 3.0%  | 3.0%  | -28.8% | 3.0%  | 3.0%  |
| Givlaari      | 21.2%  | 7.1%    | 31.1%  | 9.0%   | 3.0%   | 3.0%   | 3.0%  | 2.5%  | 16.6%  | 2.9%  | 3.0%  |
| Amvuttra      | 91.8%  | 74.8%   | 74.2%  | 63.4%  | 7.0%   | 12.0%  | 18.5% | 30.0% | 74.2%  | 18.0% | 16.2% |
| Oxlumo        | 76.5%  | 69.3%   | 39.2%  | 33.3%  | 3.0%   | 3.0%   | 3.0%  | 2.5%  | 52.3%  | 2.9%  | 3.0%  |
| Collaboration | 225.1% | 3789.5% | -86.6% | 40.0%  | -25.6% | -57.0% | 88.3% | 63.7% | -6.6%  | 10.0% | 5.0%  |
| Royalty       | 63.4%  | 210.9%  | 136.2% | 108.2% | 230.0% | 66.0%  | 76.0% | 43.0% | 126.1% | 10.0% | 10.0% |
| 매출원가          | 20.2%  | -19.6%  | 1.9%   | 19.8%  | 7.6%   | 18.1%  | 1.4%  | 4.4%  | 4.2%   | 7.2%  | 1.5%  |
| 판관비           | 13.9%  | 17.1%   | 8.7%   | 39.1%  | -7.0%  | -7.7%  | 9.4%  | 13.3% | 19.6%  | 2.4%  | 4.5%  |
| 영업이익          | 적지     | 흑전      | 적전     | 적지     | 적지     | 적전     | 적지    | 적지    | 적지     | 적지    | 적지    |
| 당기순이익         | 적지     | 적지      | 적전     | 적지     | 흑전     | 적지     | 흑전    | 적지    | 적지     | 적지    | 적지    |

자료: 미래에셋증권 리서치센터 추정

그림 84. 2025년 가이던스

| Item                                                                                                    | FY 2025 Guidance           | Key Assumptions                                                                                                                        |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Total TTR Product Revenues (PN & CM) (ONPATRO, AMVUTTRA)                                                | \$1,600 to \$1,725 million | • AMVUTTRA-CM approval and launch in U.S. by FDA PDUFA date (March 23)<br>• AMVUTTRA-CM approval and launch in Germany & Japan 2H 2025 |
| Total Rare Product Revenues (GIVLAARI, OXLUMO)                                                          | \$450 to \$525 million     |                                                                                                                                        |
| Total Combined Net Product Revenues <sup>1</sup>                                                        | \$2,050 to \$2,250 million |                                                                                                                                        |
| Net Product Revenues Growth vs. 2024 at Reported Fx Rates <sup>1</sup>                                  | 25% to 37%                 | • Uses December 31, 2024 Fx rates                                                                                                      |
| Net Product Revenues Growth vs. 2024 at constant exchange rates (i.e., operational growth) <sup>2</sup> | 26% to 39%                 | • Uses 2024 actual Fx rates                                                                                                            |
| Net Revenues from Collaborations & Royalties                                                            | \$650 to \$750 million     | • Achievement of \$300M KARDIA-6 CVOT milestone with Roche<br>• Fitusiran approval by FDA PDUFA date (March 28)                        |
| Non-GAAP Combined R&D and SG&A Expenses <sup>3</sup>                                                    | \$2,100 to \$2,200 million |                                                                                                                                        |
| Non-GAAP Operating Income <sup>3</sup>                                                                  | Achieve profitability      |                                                                                                                                        |

자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터

## 엘나일람 (ALNY US)

## 예상 포괄손익계산서 (요약)

| (억USD)    | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|-----------|------|-------|-------|-------|
| 매출액       | 22   | 25    | 28    | 36    |
| 매출원가      | 3    | 3     | 4     | 4     |
| 매출총이익     | 19   | 22    | 24    | 32    |
| 판매비와관리비   | 21   | 22    | 23    | 24    |
| 영업이익      | -2   | 0     | 2     | 8     |
| 비영업손익     | -2   | -1    | 0     | 0     |
| 금융손익      | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 관계기업관련손익  | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 기타이익추가    | -2   | -1    | 0     | 0     |
| 법인세차감전순이익 | -4   | -1    | 2     | 8     |
| 법인세       | -1   | 0     | 0     | 2     |
| 당기순이익     | -3   | -1    | 1     | 6     |
| 지배주주      | -3   | -1    | 1     | 6     |
| 비지배주주     | 0    | 0     | 0     | 0     |

| Growth & Margins (%) | 2024  | 2025F  | 2026F  | 2027F |
|----------------------|-------|--------|--------|-------|
| 매출액증가율               | 22.2  | 13.6   | 12.0   | 28.6  |
| 매출총이익증가율             | 26.7  | 15.8   | 9.1    | 33.3  |
| 영업이익증가율              | -33.3 | -100.0 | -      | 300.0 |
| 순이익증가율               | -25.0 | -66.7  | -200.0 | 500.0 |
| EPS증가율               | -     | -      | -      | 399.4 |
| 매출총이익률               | 86.4  | 88.0   | 85.7   | 88.9  |
| 영업이익률                | -9.1  | 0.0    | 7.1    | 22.2  |
| 당기순이익률               | -13.6 | -4.0   | 3.6    | 16.7  |

## 예상 현금흐름표 (요약)

| (억USD)          | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|-----------------|------|-------|-------|-------|
| 영업활동 현금흐름       | 0    | 0     | 1     | 5     |
| 당기순이익           | -3   | -1    | 1     | 6     |
| 감가상각비           | 1    | 1     | 1     | 1     |
| 기타              | 2    | 0     | -1    | -2    |
| 투자활동 현금흐름       | -1   | -6    | -6    | -9    |
| - 자본적 지출(CAPEX) | 0    | -2    | -2    | -2    |
| 기타              | -1   | -4    | -4    | -7    |
| 재무활동 현금흐름       | 3    | 10    | -8    | -4    |
| 배당금             | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 자본 증가           | 6    | 2     | -10   | 0     |
| 장단기금융부채의 증가(감소) | 0    | 10    | 5     | 0     |
| 기타              | -3   | -2    | -3    | -4    |
| 현금의 증감          | 2    | 1     | -7    | 4     |
| 기초현금            | 8    | 10    | 11    | 4     |
| 기말현금            | 10   | 11    | 4     | 8     |

## 예상 재무상태표 (요약)

| (억USD)      | 2024 | 2025F | 2026F | 2027F |
|-------------|------|-------|-------|-------|
| 유동자산        | 33   | 41    | 42    | 56    |
| 현금성자산       | 10   | 11    | 4     | 8     |
| 매출채권        | 4    | 5     | 7     | 8     |
| 재고자산        | 1    | 1     | 1     | 2     |
| 기타유동자산      | 18   | 24    | 30    | 38    |
| 비유동자산       | 9    | 8     | 8     | 8     |
| 투자자산        | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 유형자산        | 7    | 7     | 7     | 7     |
| 무형자산        | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 기타비유동자산     | 2    | 1     | 1     | 1     |
| 자산총계        | 42   | 49    | 50    | 65    |
| 유동부채        | 12   | 11    | 16    | 17    |
| 매입채무        | 1    | 1     | 1     | 2     |
| 단기차입금       | 0    | 10    | 15    | 15    |
| 기타유동부채      | 11   | 0     | 0     | 0     |
| 비유동부채       | 30   | 36    | 40    | 49    |
| 장기금융부채      | 10   | 10    | 10    | 10    |
| 기타비유동부채     | 20   | 26    | 30    | 39    |
| 부채총계        | 42   | 47    | 56    | 65    |
| 지배주주지분(연결)  | 1    | 2     | -7    | -1    |
| 자본금         | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 자본잉여금       | 74   | 76    | 66    | 66    |
| 이익잉여금       | -73  | -74   | -73   | -67   |
| 기타          | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 비지배주주지분(연결) | 0    | 0     | 0     | 0     |
| 자본총계        | 1    | 2     | -7    | -1    |

## 예상 주당가치 및 valuation (요약)

|               | 2024     | 2025F   | 2026F  | 2027F     |
|---------------|----------|---------|--------|-----------|
| P/E (배)       | -        | -       | 280.2  | 56.1      |
| P/S (배)       | 13.5     | 13.5    | 11.8   | 9.1       |
| P/B (배)       | 453.5    | 146.8   | -      | -         |
| EV/EBITDA (배) | -        | 972.2   | 121.4  | 35.7      |
| EPS (USD)     | -2.18    | -0.64   | 0.92   | 4.58      |
| BPS (USD)     | 0.52     | 1.75    | -5.06  | -0.47     |
| DPS (USD)     | 0.00     | 0.00    | 0.00   | 0.00      |
| 배당성향 (%)      | 0.0      | 0.0     | 0.0    | 0.0       |
| 배당수익률 (%)     | 0.0      | 0.0     | 0.0    | 0.0       |
| 매출채권회전율 (회)   | 6.1      | 5.3     | 4.8    | 4.9       |
| 재고자산회전율 (회)   | 26.8     | 27.5    | 24.7   | 25.2      |
| 매입채무 회전율 (회)  | 4.5      | 3.4     | 2.9    | 2.7       |
| ROA (%)       | -6.9     | -1.8    | 2.4    | 10.4      |
| ROE (%)       | 362.3    | -56.2   | -55.6  | -165.9    |
| ROIC (%)      | -39.2    | -2.8    | 10.8   | 36.0      |
| 부채비율 (배)      | 6,220.0  | 2,061.6 | -861.0 | -10,703.1 |
| 유동비율 (배)      | 277.8    | 365.6   | 255.4  | 339.7     |
| 순차입금/자기자본 (배) | -2,489.1 | -561.3  | 101.1  | 3,072.7   |

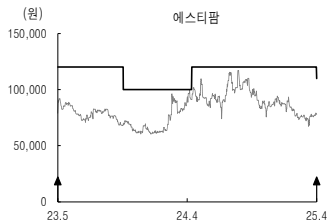
자료: 엘나일람, 미래에셋증권 리서치센터



투자 의견 및 목표주가 변동 추이

| 제시일자          | 투자 의견 | 목표주가(원) | 과리율(%) |            | 제시일자       | 투자 의견 | 목표주가(원) | 과리율(%) |            |
|---------------|-------|---------|--------|------------|------------|-------|---------|--------|------------|
|               |       |         | 평균주가대비 | 최고(최저)주가대비 |            |       |         | 평균주가대비 | 최고(최저)주가대비 |
| 에스티팜 (237690) |       |         |        |            | 2023.11.02 | 매수    | 100,000 | -28.25 | -0.20      |
| 2025.04.30    | 매수    | 110,000 | -      | -          | 2023.03.20 | 매수    | 120,000 | -34.13 | -23.50     |
| 2024.05.13    | 매수    | 120,000 | -24.82 | -2.50      |            |       |         |        |            |

\* 과리율 산정: 수정주가 적용, 목표주가 대상시점은 1년이며 목표주가를 변경하는 경우 해당 조사분석자료의 공표일 전일까지 기간을 대상으로 함



투자 의견 분류 및 적용 기준

| 기업                                            | 산업                                         |
|-----------------------------------------------|--------------------------------------------|
| 매수 : 향후 12개월 기준 절대수익률 20% 이상의 초과수익 예상         | 비중확대 : 향후 12개월 기준 업종지수상승률이 시장수익률 대비 높거나 상승 |
| Trading Buy: 향후 12개월 기준 절대수익률 10% 이상의 초과수익 예상 | 중립 : 향후 12개월 기준 업종지수상승률이 시장수익률 수준          |
| 중립 : 향후 12개월 기준 절대수익률 -10~10% 이내의 등락이 예상      | 비중축소 : 향후 12개월 기준 업종지수상승률이 시장수익률 대비 낮거나 약화 |
| 매도 : 향후 12개월 기준 절대수익률 -10% 이상의 주가하락이 예상       |                                            |

매수(▲), Trading Buy(■), 중립(●), 매도(◆), 주가(—), 목표주가(→), Not covered(■)

투자 의견 비율

| 매수(매수) | Trading Buy(매수) | 중립(중립) | 매도    |
|--------|-----------------|--------|-------|
| 83.98% | 6.63%           | 8.84%  | 0.55% |

\* 2025년 03월 31일 기준으로 최근 1년간 금융투자상품에 대하여 공표한 최근일 투자등급의 비율

Compliance Notice

|                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"><li>- 당사는 자료 작성일 현재 조사분석 대상법인과 관련하여 특별한 이해관계가 없음을 확인합니다.</li><li>- 당사는 본 자료를 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.</li><li>- 본 자료를 작성한 애널리스트는 자료작성일 현재 조사분석 대상법인의 금융투자상품 및 권리를 보유하고 있지 않습니다.</li><li>- 본 자료는 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 애널리스트의 의견이 정확하게 반영되었음을 확인합니다.</li></ul> |
| 본 조사분석자료는 당사의 리서치센터가 신뢰할 수 있는 자료 및 정보로부터 얻은 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으므로 투자자 자신의 판단과 책임하에 종목 선택이나 투자시기에 대한 최종 결정을 하시기 바랍니다. 따라서 본 조사분석자료는 어떠한 경우에도 고객의 증권투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다. 본 조사분석자료의 지적재산권은 당사에 있으므로 당사의 허락 없이 무단 복제 및 배포할 수 없습니다.                                 |