제약 · 바이오 (Overweight)

3 Sep. 2025

고장난 유전자 수리해드립니다



DAOL 다올투자증권

이지수 제약 · 바이오 | jislee@daolfn.com

임도영 연구원 | dy.lim@daolfn.com

CONTENTS

03 **I. Summary & Focus Chart**

08 **II. RNA 치료제의 부상**
II-1. RNA 치료제의 핵심: 단백질 생성을 원천적으로 막는다
II-2. 저분자, 항체를 넘어선 RNA의 차별성
II-3. 승인 확산이 보여주는 시장 모멘텀

17 **III. RNA 치료제: 시장 트렌드와 산업 구도**
III-1. 가이드라인 정비, 리스크 vs. 기회
III-2. ASO/siRNA: 희귀에서 만성질환으로
III-3. RNA 치료제 성장의 Key: DDS
III-4. CDMO: 고난도 공정이 만든 진입장벽
III-5. 글로벌 L/O 트렌드: 플랫폼 + 적응증
III-6. 글로벌 플레이어 전략 비교

50 **IV. 결론 및 국내 투자 전략**

53 **V. 종목별 투자의견**
54 에이비엘바이오 (298380) _ Top Pick
69 에스티팜 (237690)
78 올릭스 (226950)

I. Summary & Focus Chart

RNA 치료제(ASO, siRNA)는 세포의 mRNA에 결합해 단백질 발현을 억제하거나 분해를 유도해 문제 단백질 생성을 원천적으로 차단한다. 이러한 특성 때문에 1) 기존 저분자/항체로 공략이 어려웠던 'undruggable' 표적까지 접근 가능하고, 2) 서열 교체만으로도 동일한 플랫폼 위에서 신속하게 개발할 수 있어 기간 및 비용 절감이 가능하다. 또한 3) 화학 수정과 전달체 활용으로 3개월~6개월까지 장기 지속(long-acting) 제형 설계도 용이하다.

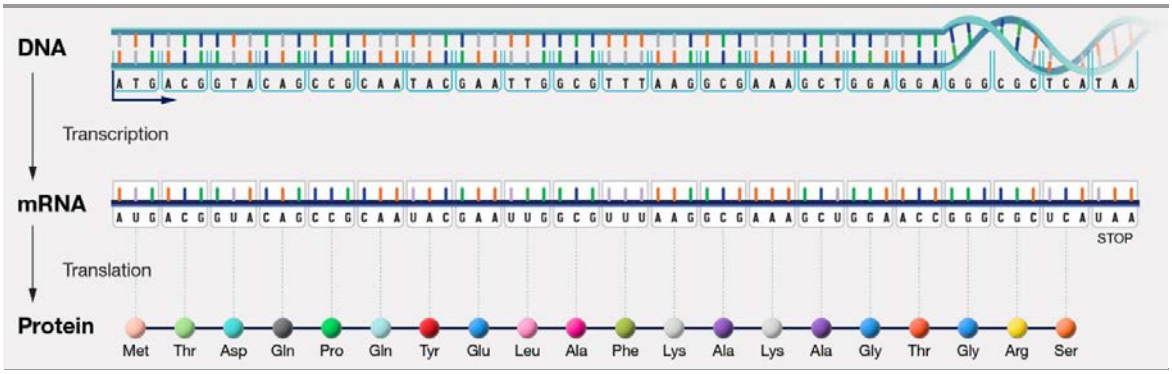
RNA 치료제는 희귀 유전질환을 출발점으로 삼았으나 현재는 심혈관, 대사, 중추신경계(CNS) 등으로 빠르게 확대되고 있다. 실제로 렉비오(siRNA; 고지혈증)는 단독요법(1차) 적응증을 획득했으며, 암부트라(siRNA; 유전성 아밀로이드증)는 심근병증까지 승인받아 블록버스터 궤도에 진입했다. 이처럼 승인과 적응증 확장이 누적되며 RNA 치료제 시장은 본격적인 성장 구간에 들어섰다.

RNA는 부피가 크고 음전하를 띠어 자연적으로는 세포막을 통과하기 어려우며, 이에 따라 간세포에 특이적으로 약물을 전달할 수 있는 GalNAc 기반 기술이 현재 표준으로 자리 잡았다. 다만 간 중심이라는 한계로 인해 CNS 및 말초 장기로 확장하기 위한 다양한 DDS가 개발 중이며, 이 가운데 BBB 셔틀이 주목받고 있다. 특히 IGF1R 경로는 전신에 넓게 발현되어 심장, 근육 등 뇌 외 장기로의 적용 가능성까지 열어두며 확장 스토리를 키우고 있다.

RNA 치료제 제조는 고순도, 정밀 정제가 필요해 전문 CDMO 활용이 일반적이다. 업계는 효소 합성 기반 정제 기술 고도화와 생산능력(Capacity) 확대를 병행해 상업 물량 증가에 대응하고 있으며, 글로벌 제약사들은 플랫폼 기술이전과 제조 파트너십 확대를 통해 포트폴리오를 보강하고 있다.

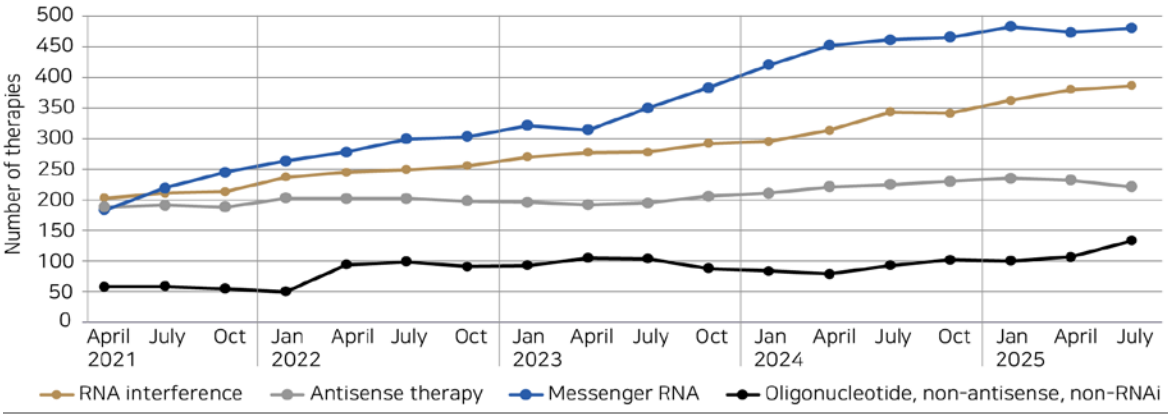
결론적으로, 승인 및 적응증 확장에 따른 수요 증가와 전달 기술 진화가 맞물리며 RNA 치료제는 본격적인 시장 확대 단계에 들어섰다. 이에 따라 올해 BBB 셔틀 확장성 검증 및 추가 L/O가 기대되는 에이비엘바이오를 Top-pick으로 제시하며, 에스티팜(올리고 CDMO)과 올릭스(siRNA 전문 기업)를 차선호주로 제시한다.

Focus Chart 1 DNA 염기서열이 상보적 mRNA로 복사 → mRNA를 읽어 아미노산 연결 → 단백질 생성



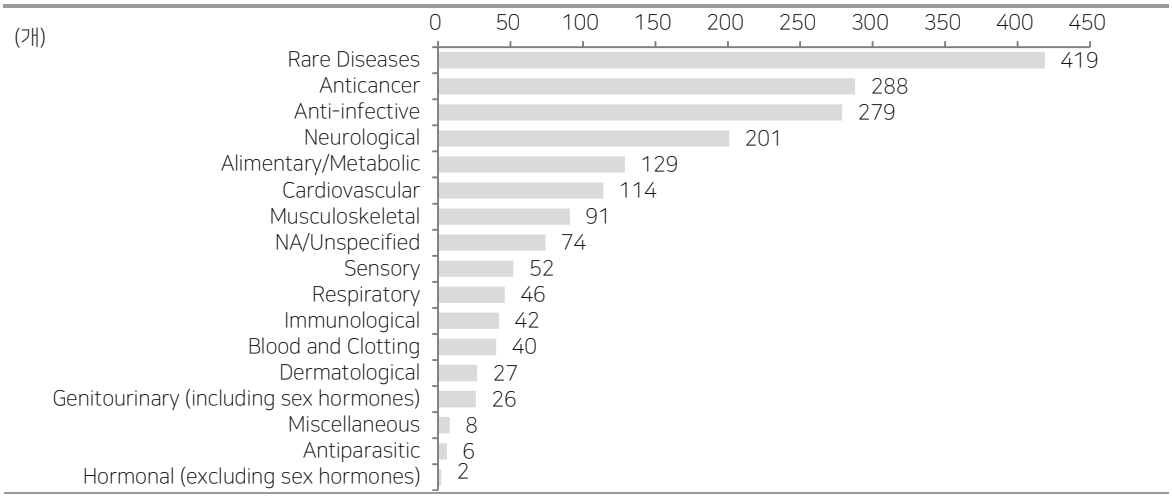
Source: National Human Genome Research Institute, 다올투자증권

Focus Chart 2 모달리티별 파이프라인 수



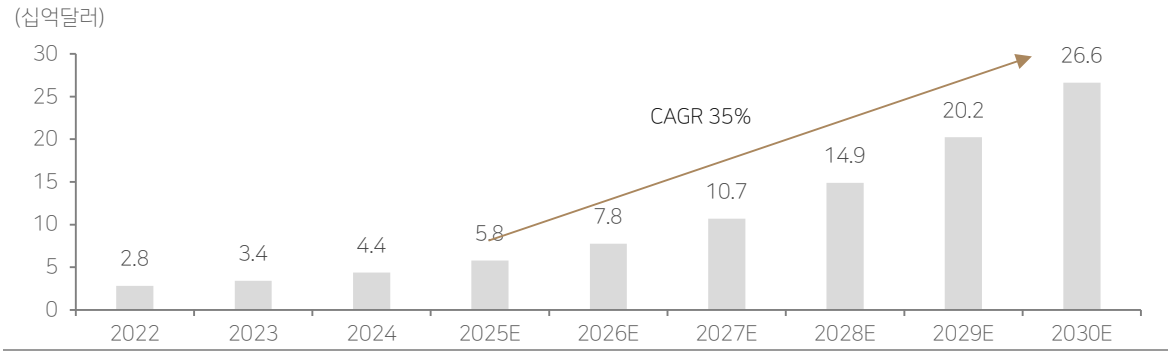
Source: American Society of Gene&Cell Therapy, 다올투자증권

Focus Chart 3 적응증별 개발/상업화된 파이프라인 수



Source: American Society of Gene&Cell Therapy, 다올투자증권

Focus Chart 4 RNA 치료제 시장 규모 및 전망



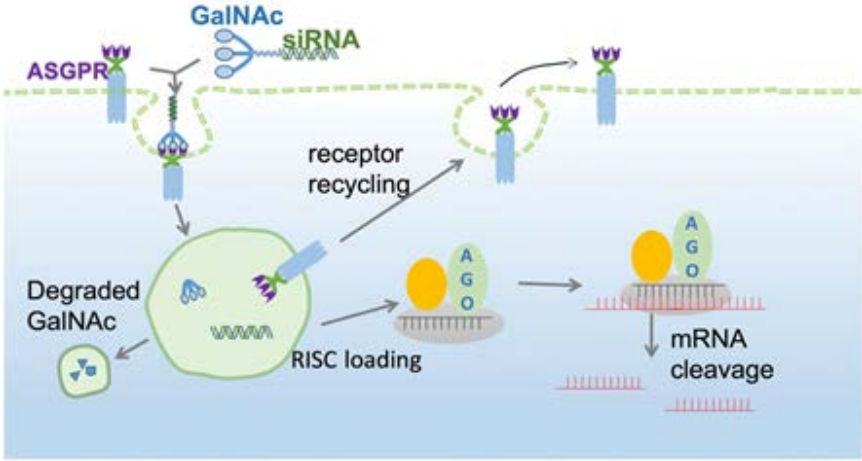
Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Focus Chart 5 주요 상업화된 ASO/siRNA 파이프라인

제품명	성분명	모달리티	최초 승인연도	적응증	승인 지역	개발사
Kynamro	mipomersen sodium	ASO	2013	가족성 고콜레스테롤혈증 (동형접합)	미국, 한국 등	Ionis Pharmaceuticals
Exondys 51	eteplirsen	ASO	2016	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Spinraza	nusinersen	ASO (Splicing)	2016	척수성 근위축증	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Tegsedi	inotersen	ASO	2018	유전성 ATTR 아밀로이드증	EU, UK 등	Ionis Pharmaceuticals
Onpattro	patisiran	siRNA	2018	유전성 ATTR 아밀로이드증	미국, EU 등	Alnylam
Vyondys 53	golodirsen	ASO	2019	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Waylivra	volanesorsen	ASO	2019	고중성지방혈증; 지단백 리파아제 결핍증	EU, UK 등	Ionis Pharmaceuticals
Givlaari	givosiran	siRNA	2020	포르피리아	미국, EU 등	Alnylam
Oxlumo	lumasiran	siRNA	2020	고옥살산뇨증	미국, EU 등	Alnylam
Viltepso	viltolarsen	ASO	2020	듀센형 근이영양증	미국, 일본	NS Pharma
Leqvio	inclisiran	siRNA	2020	죽상경화증, 가족성 고콜레스테롤혈증, 고콜레스테롤혈증(단독)	미국, EU 등	Alnylam
Amondys 45	casimersen	ASO	2021	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Amvuttra	vutrisiran	siRNA	2022	유전성 ATTR 아밀로이드증, ATTR-CM(심근병증)	미국, EU 등	Alnylam
Arexvy	RSV vaccine, GSK	mRNA	2023	호흡기세포융합바이러스(RSV) 감염 예방	미국, EU 등	GSK
Qalsody	tofersen	ASO	2023	근위축성 측삭경화증 (ALS)	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Wainua	eplontersen	ASO	2023	유전성 ATTR 아밀로이드증	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Rivfloza	nedosiran	siRNA	2023	고옥살산뇨증	미국	Dicerna Pharmaceuticals
Tryngolza	olezarsen	ASO	2024	지단백 리파아제 결핍증	미국	Ionis Pharmaceuticals
Qfitlia	fitusiran	siRNA	2025	혈우병 A & B	미국	Alnylam
Dawnzera	Donidalorsen	ASO	2025	유전성 혈관부종(HAE) 예방	미국	Ionis Pharmaceuticals

Source: 다올투자증권

Focus Chart 6 GalNAc-siRNA 결합 방식



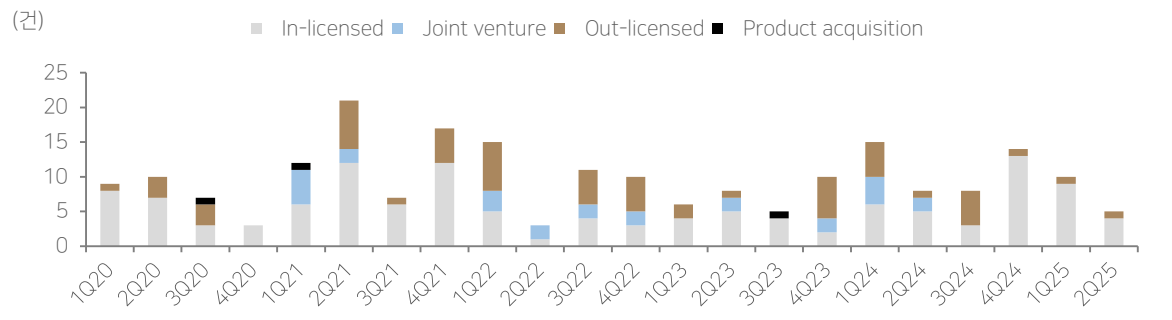
Source: The therapeutic prospects of N-acetylgalactosamine-siRNA conjugates, 다올투자증권

Focus Chart 7 주요 BBB 셔틀 도입 사례

연도	도입사 (또는 공동)	파트너	BBB 셔틀/표적	적용 모달리티	계약 규모(공개)	비고
2021. 07	Ionis	Bicycle Thera peutics	TfR1 결합 Bicycle(펩타이드) 셔틀	올리고 컨주게이트(ASO/siRNA)	비공개	TfR1 표적 조직 타깃 올리고 전달 독점 라이선스
2024. 01	Ionis	Vect-Horus	VECTrans®(수용체 매개 BBB 셔틀)	ASO/oligo 전신 투여로 CNS 전달	비공개	Ionis 가 전세계 독점 라이선스 체결(전신 투여로 CNS 타깃)
2024. 01	Novartis	Voyager	TRACER AAV 캡시드(뇌 침투)	바이럴 유전자치료(참고: BBB 극복 운반체)	선급금 $100M, 마일스톤 최대 $1.2B	유전자치료이지만 BBB 관통 운반체 인프라 확보 사례
2024. 03	Biogen	AbCellera	BBB 셔틀 표적(항체로 신약 운반 타깃) 발굴	항체(→ BBB 운반 타깃 규명; oligo 결합 가능성 열어둠)	비공개	뇌로 생물의약 운반 가능한 신규 타깃 항체 발굴 제휴
2024. 08	Denali × Ionis (공동 연구)	-	OTV(TfR1 기반 운반체)	ASO (IV 전신 투여 → NHP 뇌 전반 분포)	공동 연구	NHP 서 ASO BBB 횡단, 광범위 분포/표적 억제 입증
2025. 04	GSK	ABL Bio	Grabody-B (IGF1R 표적) BBB 셔틀	항체 중심. oligo/siRNA/ASO 등 폴리뉴클레오타이드 적용 가능 범위도 포함	선급금 및 단기 마일스톤 최대 £77M(선급금 £38.5M), 마일스톤 최대 £2.075B	다중 프로그램, 신경퇴행질환용 BBB 셔틀 라이선스
2025. 05	Biogen	City Thera peutics	Tissue-enhanced delivery(전신 투여로 CNS 표적 노리는 전략)	RNAi	선급금 $16M+ 전환사채성 투자 $30M, 마일스톤 최대 $1B	CNS 타깃 RNAi/전신 투여 목표(Biogen 자체 딜리버리와 결합)
2025. 07	Secarna	Vect-Horus	VECTrans®	RNA-targeted(ASO 등) 전신→CNS	비공개	CNS 질환용 RNA 타깃 치료제 전신 투여 협력
2025. 07	Novartis	Sironax	Brain Delivery Module(BDM)	다중 모달리티(RNA 포함 잠재)	옵션 딜. 선급금 및 단기 마일스톤 최대 $175M	BBB 전달 플랫폼 인수 옵션 확보
2025. 08	Novartis	BioArctic	BrainTransporter(TfR 매개)	항체 중심	선급금 $30M, 옵션 행사 시 최대 $772M	신경퇴행질환 신규 약물 설계 협업. RNA 가능성 열려있음

Source: 다올투자증권
Note: 하이라이트한 부분은 RNA 치료제 적용 사례

Focus Chart 8 분기별 라이선싱 계약 건수



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Focus Chart 9 국내 RNA 관련 기업

회사	시가총액	기술/플랫폼(요약)	대표 약물/프로그램	주요 파트너	개발 단계/상태
에이비엘 바이오	5 조 755 억원	IGF1R 표적 BBB 셔틀 Grabody-B (항체 결합형, RNA 탑재 확장 검토)	ABL301 (α-syn×IGF1R; 파킨슨)	Sanofi(ABL301 L/O), GSK(플랫폼 라이선스)	ABL301 임상 1 상, GSK 와 플랫폼 공동연구
에스티팜	1 조 9,286 억원	올리고뉴클레오타이드 API CDMO(cGMP)	상업/임상 API: Leqvio, Rytelo, Tryngolza, Spinraza 등 mRNA 백신	Novartis, Geron, Ionis, Biogen 등	상업용/임상용 공급 중, 효소 공정 개발 중
올릭스	1 조 5,362 억원	GalNAc-asiRNA + 비대칭 siRNA(오프타겟/면역↓)	OLX702A(MARC1; MASH/비만), OLX104C(탈모), OLX301A(건성 AMD)	Eli Lilly, L'Oréal, 한소제약	OLX702A 1 상 (2 상부터 Lilly 주도), OLX104C 공동개발, OLX301A 1 상 마무리/CSR 수령 예정

Source: 각 사, 다올투자증권
Note: 시가총액은 9/2 기준

II. RNA 치료제의 부상

II-1. RNA 치료제의 핵심: 단백질 생성을 원천적으로 막는다

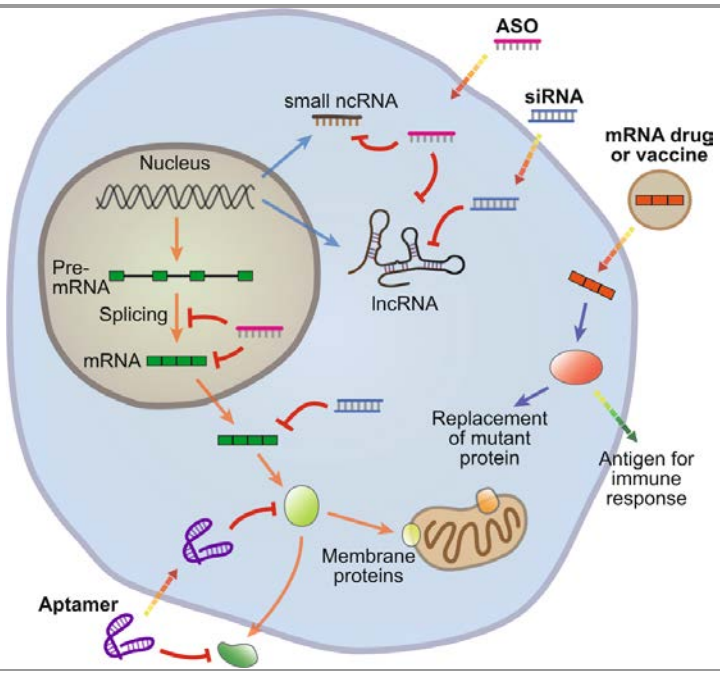
RNA 단계에서 질병 진행을 차단

RNA 치료제는 유전자에서 단백질로 생성되는 과정에서 RNA 단계를 조절해 질환을 치료하는 방식이다. DNA에는 직접 작용하지 않고, 단백질이 만들어지는 과정(전사, 번역 단계)을 타겟해 특정 질환 관련 유전자의 발현을 억제하거나 mRNA 치료제를 통해 필요한 단백질을 보충한다.

주요 모달리티: siRNA, ASO, mRNA, RNA 압타머 등

RNA 치료제는 세포 내 번역 전 단계의 mRNA(messenger RNA)를 표적으로 삼아 분해(억제), 스플라이싱 조절, 또는 외부에서 도입(보충)하는 방식으로 질병을 치료한다. 주요 모달리티로는 siRNA(small interfering RNA; mRNA 절단), ASO(Antisense Oligonucleotide; mRNA 절단 및 스플라이싱 조절), mRNA(단백질 보충), RNA 압타머(Aptamer; 단백질 결합) 등이 있다. 팬데믹 시기 mRNA 백신의 폭발적인 매출을 계기로 mRNA 치료제/백신 개발이 활발해졌으며, 최근에는 ASO와 siRNA 치료제의 승인 건수 증가와 연 매출 10억달러 이상의 블록버스터 제품 등장으로 투자 관심이 확대되고 있다. 다만 여전히 개발 파이프라인의 60% 이상이 초기 단계에 머물러 있어 단기 성과보다 파이프라인 축적과 적응증 확장 속도에 주목할 필요가 있다.

Fig. 1: RNA 치료제 모달리티와 작용기전



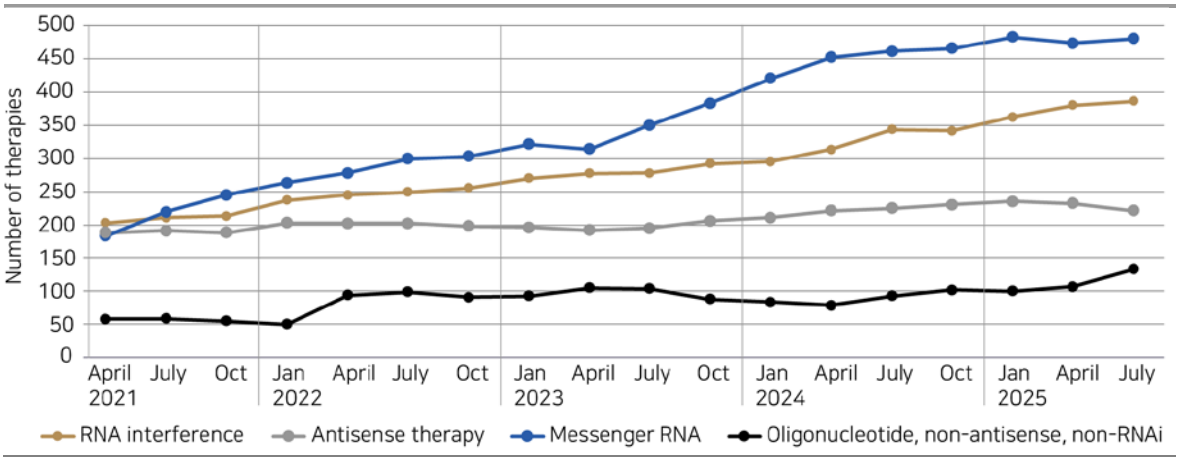
Source: Nature: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

Fig. 2: 주요 RNA 모달리티

종류	표적	구조/형태	작용 방식	전달체 필요성	대표 적용
siRNA	특정 mRNA	이중가닥 RNA (19~23nt)	mRNA 를 잘라서 단백질 생산을 억제 (RNAi 기전)	높음 (GalNAc/LNP)	간질환, 심혈관, 대사질환
ASO	특정 mRNA	단일가닥 DNA, RNA 혼합체	mRNA 와 결합해 분해 유도 또는 스플라이싱 조절	중간	근위축증, 신경질환, 희귀질환
mRNA 치료제	없음 (외부 mRNA 제공)	합성 mRNA + 5' cap + poly(A) tail	세포 안에서 번역돼 결핍된 단백질을 보충	높음 (LNP)	COVID-19 mRNA 백신, 암 백신, 단백질 대체 치료제
RNA aptamer	단백질	단일가닥 RNA 가 3D 구조를 형성	단백질과 결합해 기능 차단 (항체 비슷한 역할)	낮음 (국소투여 유리)	안질환, 혈액응고/심혈관, 종양

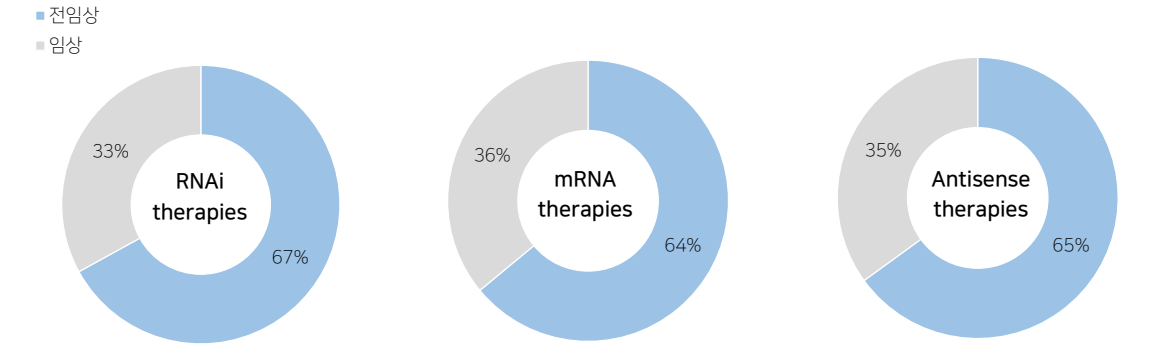
Source: 다올투자증권

Fig. 3: 모달리티별 파이프라인 수 추이



Source: American Society of Gene&Cell Therapy, 다올투자증권

Fig. 4: 모달리티별 전임상 vs. 임상단계



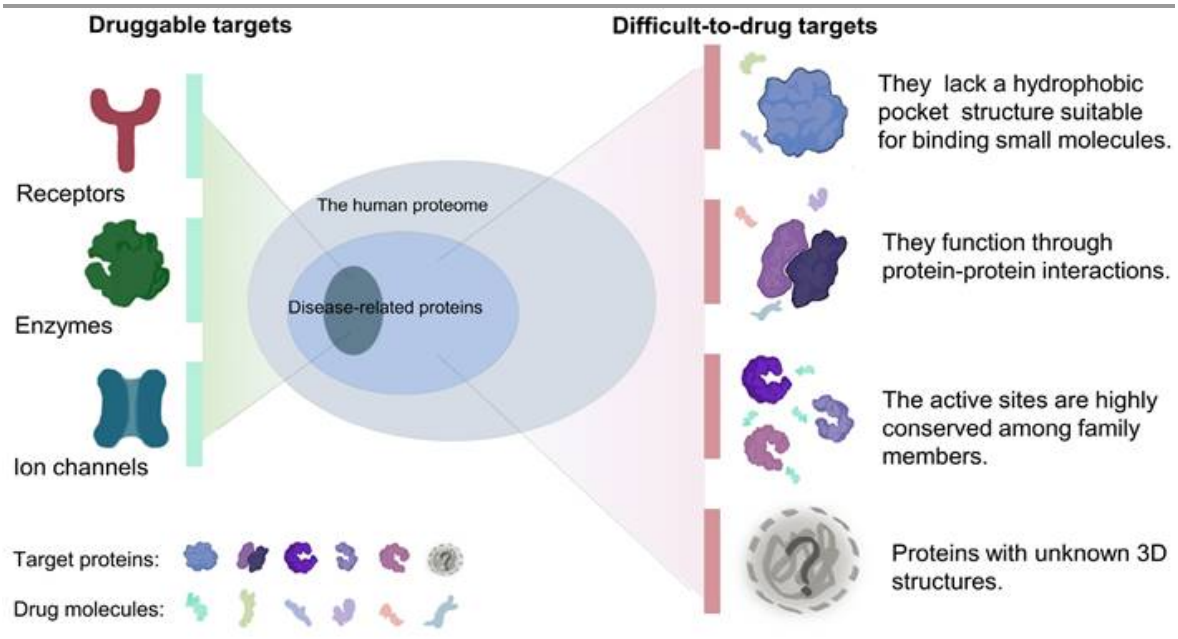
Source: American Society of Gene&Cell Therapy, 다올투자증권

II-2. 저분자, 항체를 넘어선 RNA의 차별성

손대기 어려운 표적도 노린다

ASO/siRNA와 같은 RNA 기반 치료제는 단백질의 3차원 구조나 접근성 제약을 우회해, 상보 서열만 맞으면 mRNA 단계에서 발현을 직접 조절할 수 있다. 이런 점에서 'undruggable(공략 불가)' 표적까지 적용 범위를 확장할 수 있다. 대표적인 표적으로는 1) 결합 홈(pocket)이 없거나 얕고 평탄한 PPI(단백질-단백질 상호작용) 표면, 2) 구조가 고정되지 않은 무질서 단백질(IDP), 3) 계열 내 활성부위가 지나치게 보존돼 선택성 확보가 어려운 효소, 전사인자 등이 있다. 저분자(Small molecule)는 포켓 부재/평탄면에서 결합력이 떨어지고, 항체는 세포 내 표적 접근에 구조적 한계가 있다. 반면 ASO/siRNA는 표적 mRNA와 서열이 맞는 지점을 찾아 달라붙어 mRNA를 분해하거나 스플라이싱을 조절해 정상 단백질로 회복시킨다. 따라서 단백질 구조나 결합 홈 유무와 무관하게 단백질 생성 전 단계에서 차단할 수 있으며, 더 나아가 miRNA, IncRNA 등 조절 RNA도 표적화해 유전자 발현의 스위치를 조절할 수 있다.

Fig. 5: Undruggable target(어려운 타겟)의 특성



Source: Emerging Pharmacotherapeutic Strategies to Overcome Undruggable Proteins in Cancer, 다올투자증권

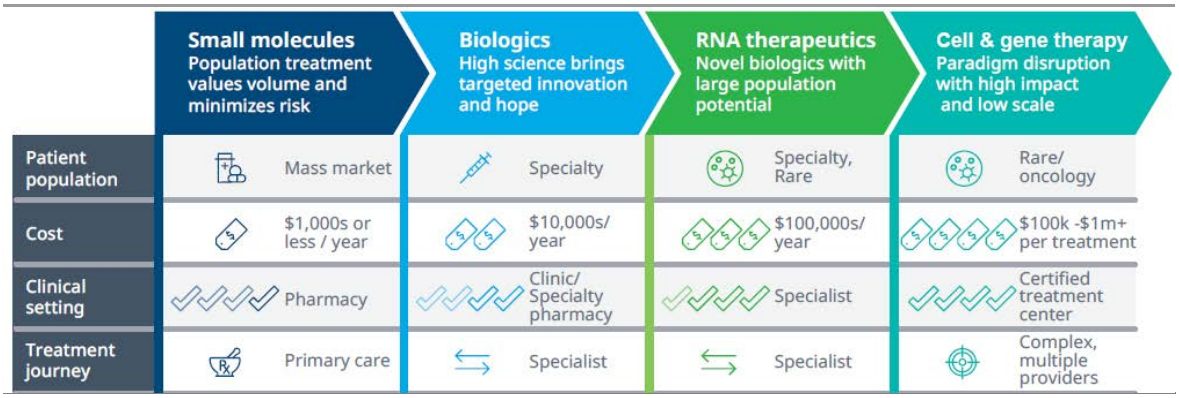
개발/제작 속도가 빠름

RNA 치료제의 또 다른 장점은 빠른 설계/제작 속도와 장기 지속 효과다. 화학 구조와 약물 전달 방식이 정립되면 서열만 바꿔 새로운 질환 표적으로 신속히 확장할 수 있다. 실제로 COVID19 mRNA 백신은 병원체 서열 공개 직후 단기간에 설계를 마치고, 전임상-임상으로 빠르게 진입했다. 또한 ASO/siRNA는 2'-F, 2'-OMe 등 당(2') 위치 수정과 PS(Phosphorothioate; 포스포로티오에이트) 골격(Backbone) 수정을 적용하고, LNP(Lipid Nano Particle), GalNAc 결합(conjugation)과 같은 약물 전달체(Drug Delivery System; DDS)를 병행해 체내 노출을 늘려 투여 간격을 수개월로 연장할 수 있다. 대표적으로 고지혈증 치료제 렉비오(Leqvio; 성분명 Inclisiran)는 초기 투여 후 3개월 뒤 1회 투여를 거쳐 6개월 간격으로 PCSK9 억제 효과가 장기간 유지된다.

희귀질환에 특히 유용

RNA 치료제는 유전자의 설계도 단계에 직접 개입할 수 있어 원인 유전자가 뚜렷한 희귀질환에 특히 유용하다. 이러한 특성 때문에 희귀 유전질환에서 먼저 상업화에 성공했으나 현재는 대사/심혈관과 CNS 영역으로 빠르게 확장 중이다. 초기에는 희귀질환의 규제 및 지불자(payer) 환경을 기반으로 고가, 고관리, 전문의 중심의 스페셜티 시장에 머물렀다. 그러나 장기 지속형 특성과 전달체(DDS) 및 제조 플랫폼 표준화를 토대로 만성 대사질환과 일부 CNS까지 확대되고 있다. 이에 따라 유통 채널은 다변화되고, 지불자 협상도 가치 기반(value-based) 모델로의 전환 가능성이 커지고 있다. 결론적으로 상업 구조는 기존 바이오의약품(항체)에 가까운 형태로 이동할 전망이다.

Fig. 6: 의약품 기술 발전 현황



Source: IQVIA, 다올투자증권

II-3. 승인 확산이 보여주는 시장 모멘텀

RNA 치료제 시장은 CAGR 35% 성장 전망

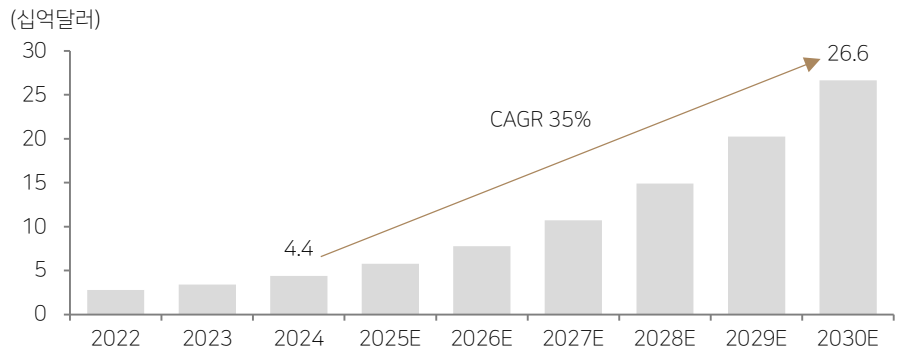
세포/유전자 치료제가 차세대 바이오의약품으로 주목받는 가운데, RNA 치료제(ASO/siRNA) 시장은 2024년 약 44억달러에서 2030년 266억달러로 연평균 35% 성장할 전망이다.

본격적인 상업화는 2010년대부터

RNA 표적화 연구는 1950년대부터 시작됐으며, 1978년 ASO 치료 콘셉트가 제안되었다. 1998년 아이오니스의 비트라빈(Vitravene; 성분명: Fomivirsen)이 세계 최초 ASO 치료제(에이즈 환자의 CMV 망막염)로 FDA 승인을 획득하면서 상업화의 문이 열렸다. 다만 항레트로바이러스 치료 보급으로 환자 수요가 급감해 시장에서는 단기간에 철수했다.

siRNA는 1998년 RNAi 기전이 규명된 뒤, 2010년대에 임상 개발이 본격화되었고 2018년 첫 번째 치료제 온파트로(Onpattro; 성분명: Patisiran)가 승인되었다. 온파트로는 간세포 내 TTR mRNA를 절단하는 기전으로 hATTR 아밀로이드 다발신경증 치료에 사용되며, 최초의 siRNA 치료제라는 의의를 가진다. 이후 피하주사 제형의 후속 약물 암부트라(Amvuttra; 성분명: Vutrisiran, Q3개월)가 출시되며 환자 전환이 진행돼 온파트로의 매출은 점진적으로 감소하고 있다.

Fig. 7: RNA치료제 시장 규모 및 전망



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

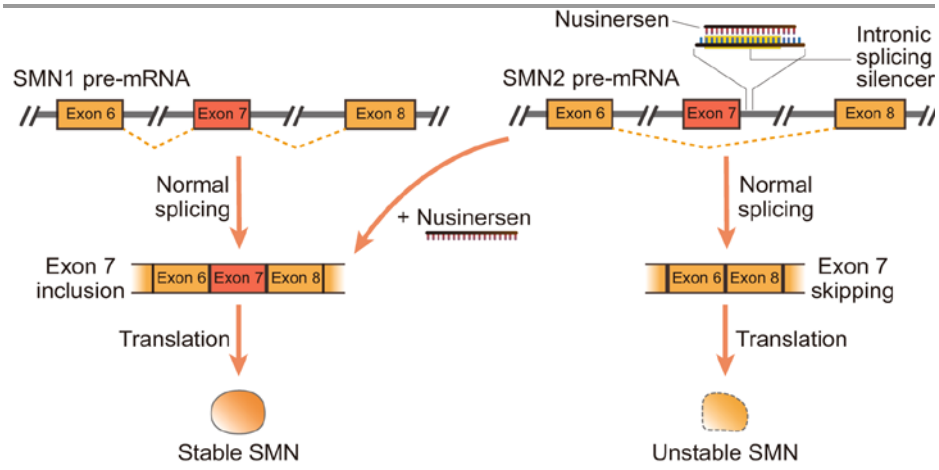
희귀질환 중심에서 블록버스터 의약품으로

RNA 치료제는 초기에는 희귀질환 중심으로 상업화되었으나 점차 제형 개선과 적응증 확장을 통해 블록버스터 의약품으로 성장하고 있다. 대표 승인 사례를 살펴보면 다음과 같다.

최초의 ASO 스핀라자. 2018년부터 연매출 10억달러 이상 달성

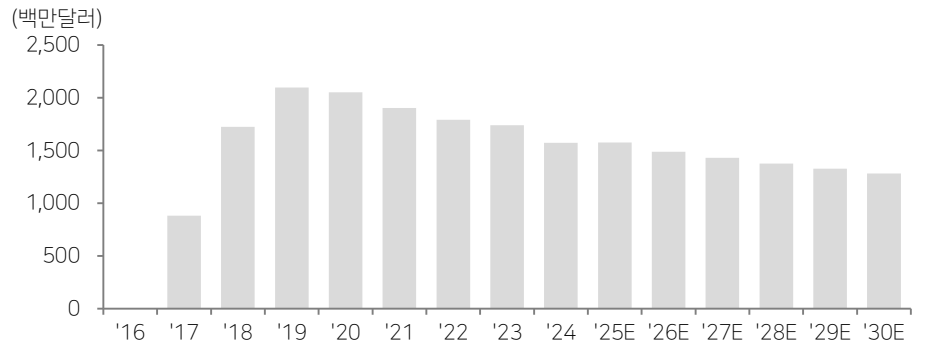
2016년 승인된 스핀라자(Spinraza; 성분명: Nusinersen)는 척수성 근위축증(SMA) 환자의 SMN2 유전자 스플라이싱을 교정해 정상 단백질 발현을 회복시키는 최초의 ASO 치료제로, RNA 기반 치료제 상업화의 가능성을 입증했다. 미국, 유럽, 일본, 한국, 중국 등 주요 국가에서 허가를 획득했으며 2018년 매출 10억달러를 돌파한 이후 2024년 기준 15.7억달러 매출을 기록하며 글로벌 블록버스터로 자리매김했다. 현재 고용량 임상3상(DEVOTE)에서 효능 강화와 투여 주기 연장 가능성이 입증되어 FDA, EMA에 허가 신청이 접수됐으며 PDUFA일은 2025년 11월 20일이다. 특히 SMA는 소아 환자가 많아 반복 척수강내 주사가 큰 부담으로 작용하는 만큼 투여 횟수 감소는 환자 편의성에 긍정적으로 기여할 전망이다.

Fig. 8: 스핀라자(Nusinersen) 작용기전



Source: Nature: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

Fig. 9: 스핀라자(Nusinersen) 매출 추이 및 전망

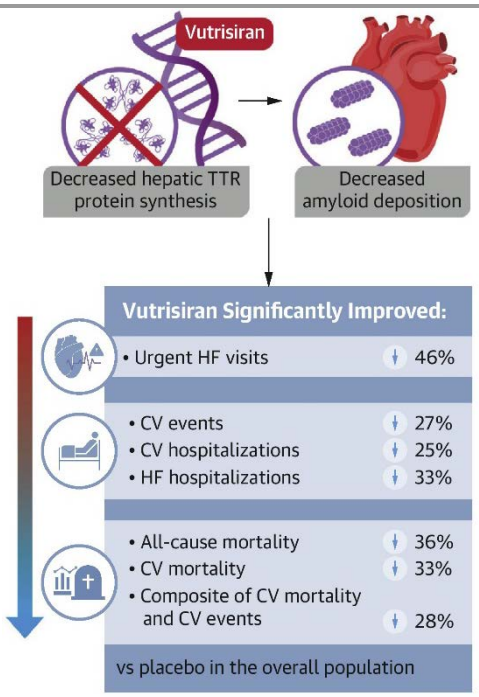


Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

암부트라, 제형 개선, 적응증(심근병증) 확장으로 매출 급성장. 연내 블록버스터 등재 예상

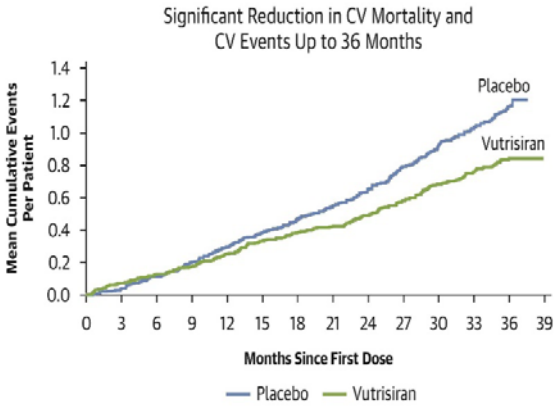
온파트로(Patisiran; siRNA)의 후속 파이프라인인 암부트라(Amvuttra; 성분명: Vutrisiran)는 GalNAc 접합 기반 피하주사 제형으로 투여 주기를 3개월(Q3개월) 간격으로 늘려 2022년 승인 이후 빠른 환자 전환을 이끌고 있다. 투여 편의성 개선에 힘입어 매출이 가파르게 증가하며, 2024년 기준 hATTR 시장에서 온파트로를 대체하는 중심 치료제로 자리잡았다. 최근 AATR-CM(심근병증) 추가 승인을 획득하면서 성장성이 더욱 확대되었으며, 2025년 15억달러, 2030년 55억달러 매출 달성이 전망된다.

Fig. 10: 암부트라(Vutrisiran)의 심혈관 관련 약효



Source: Vutrisiran Improves Survival and Reduces Cardiovascular Events in ATTR Amyloid Cardiomyopathy: HELIOS-B, 다올투자증권

Fig. 11: 심혈관(CV) 사망 및 사건 발생 수

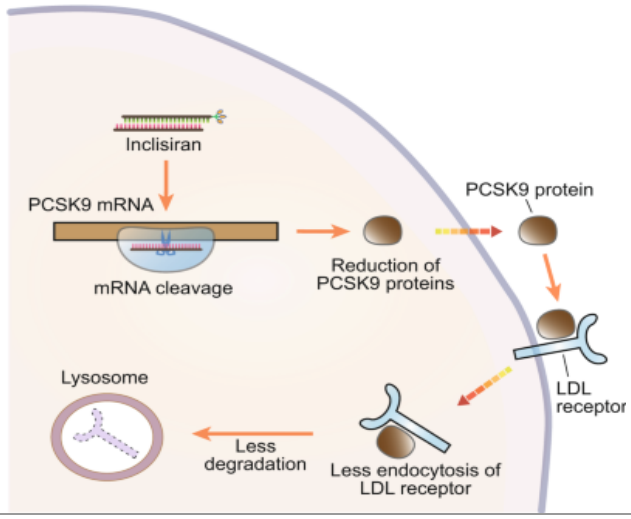


Source: Vutrisiran Improves Survival and Reduces Cardiovascular Events in ATTR Amyloid Cardiomyopathy: HELIOS-B, 다올투자증권

렉비오는 단독 요법 적응증 확장으로 빠르게 판매 확대 중

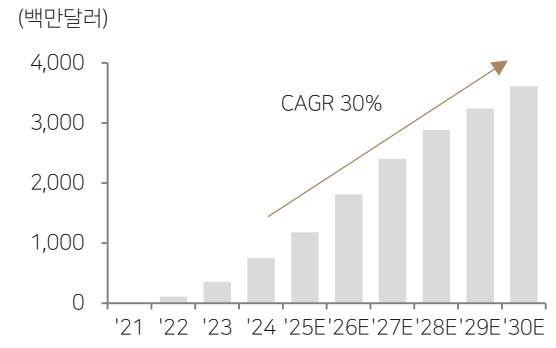
2020년 승인된 렉비오(Leqvio; 성분명: Inclisiran)은 PCSK9 발현 억제를 통해 LDL 콜레스테롤을 낮추는 기전으로, 심혈관질환 영역 최초의 siRNA 치료제다. GalNAC 접합 피하주사 제형으로 초기 투여 후 3개월째 1회 투여하고 이후 6개월마다 유지 투여한다(의료진 투여). 기존에는 스타틴 병용요법 조건에서만 사용 가능했으나 2025년 7월 미국에서 단독 요법(스타틴 병용 의무 없음) 적응증을 획득해 식이/운동요법 보조와 함께 초기 치료 단계부터 사용이 가능해졌다. 환자 풀이 넓은 고지혈증에서의 적응증 확장은 RNA 치료제가 희귀질환을 넘어 대중적인 질환 영역에서도 임상적 및 산업적 가치를 인정받은 사례로 평가된다.

Fig. 12: 렉비오(Inclisiran) 작용기전



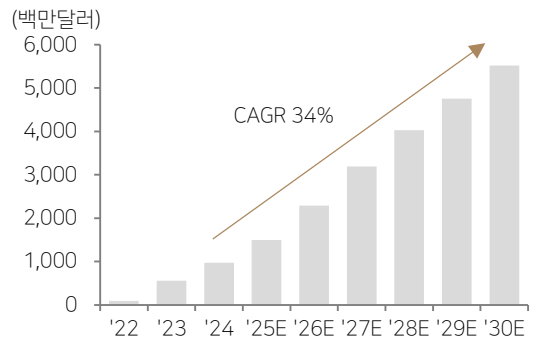
Source: Nature: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

Fig. 13: 렉비오(Inclisiran) 매출 추이 및 전망



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 14: 암부트라(Vutrisiran) 매출 추이 및 전망



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 15: RNA 치료제 상업화 현황

제품명	성분명	모달리티	최초 승인연도	적응증	승인 지역	개발사
Macugen	pegaptanib octasodium	RNA Aptamer	2004	습성 연령관련 황반변성	미국, EU 등	Gilead Sciences
Kynamro	mipomersen sodium	ASO	2013	가족성 고콜레스테롤혈증 (동형접합)	미국, 한국 등	Ionis Pharmaceuticals
Exondys 51	eteplirsen	ASO	2016	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Spinraza	nusinersen	ASO (Splicing)	2016	척수성 근위축증	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Ampligen	rintatolimod	dsRNA (TLR3 agonist)	2016	만성 피로 증후군	아르헨티나	AIM ImmunoTech
Tegsedi	inotersen	ASO	2018	유전성 ATTR 아밀로이드증	EU, UK 등	Ionis Pharmaceuticals
Onpattro	patisiran	siRNA	2018	유전성 ATTR 아밀로이드증	미국, EU 등	Alnylam
Vyondys 53	golodirsen	ASO	2019	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Waylivra	volanesorsen	ASO	2019	고중성지방혈증; 지단백 리파아제 결핍증	EU, UK 등	Ionis Pharmaceuticals
Comirnaty	tozinameran	mRNA	2020	코로나 19 감염 예방	미국, 캐나다 등	BioNTech
Spikevax	mRNA-1273 (Moderna)	mRNA	2020	코로나 19 감염 예방	미국, EU 등	Moderna Therapeutics
Givlaari	givosiran	siRNA	2020	포르피리아	미국, EU 등	Alnylam
Oxlumo	lumasiran	siRNA	2020	고옥살산뇨증	미국, EU 등	Alnylam
Viltepso	viltolarsen	ASO	2020	듀센형 근이영양증	미국, 일본	NS Pharma
Leqvio	inclisiran	siRNA	2020	죽상경화증, 가족성 고콜레스테롤혈증, 고콜레스테롤혈증	미국, EU 등	Alnylam
Amondys 45	casimersen	ASO	2021	듀센형 근이영양증	미국	Sarepta Therapeutics
Gennova COVID-19 vaccine	Gennova	mRNA	2022	코로나 19 감염 예방	인도	Gennova Biopharmaceuticals
Amvuttra	vutrisiran	siRNA	2022	유전성 ATTR 아밀로이드증	미국, EU 등	Alnylam
Izervay	avacincaptad pegol sodium	RNA Aptamer	2023	습성 연령관련 황반변성	미국	Archemix
Arexvy	RSV vaccine, GSK	mRNA	2023	호흡기세포융합바이러스(RSV) 감염 예방	미국, EU 등	GSK
Qalsody	tofersen	ASO	2023	근위축성 측삭경화증 (ALS)	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Wainua	eplontersen	ASO	2023	유전성 ATTR 아밀로이드증	미국, EU 등	Ionis Pharmaceuticals
Rivfloza	nedosiran	siRNA	2023	고옥살산뇨증	미국	Dicerna Pharmaceuticals
Rytelo	imetelstat	Telomerase inhibitor (Oligo)	2024	골수형성이상증후군(MDS)	미국, EU	Geron
mRESVIA	mRNA-1345 (Moderna)	mRNA	2024	호흡기세포융합바이러스(RSV) 감염 예방	미국, EU 등	Moderna Therapeutics
Tryngolza	olezarsen	ASO	2024	지단백 리파아제 결핍증	미국	Ionis Pharmaceuticals
Qfitlia	fitusiran	siRNA	2025	혈우병 A & B	미국	Alnylam
mNexspike	next-gen COVID-19 vaccine(Moderna)	mRNA	2025	코로나 19 감염 예방	미국	Moderna Therapeutics
Dawnzera	Donidalorsen	ASO	2025	유전성 혈관부종(HAE) 예방	미국	Ionis Pharmaceuticals

Source: American Society of Gene&Cell Therapy, 다올투자증권

III. RNA 치료제: 시장 트렌드와 산업 구도

III-1. 가이드라인 정비, 리스크 vs. 기회

별도의 TQT(부정맥 위험성 검증 시험) 없이 안전성 확인 가능 → 개발 비용 및 기간 절감

2024년 FDA는 올리고뉴클레오타이드 치료제 임상약리 가이드라인을 최종 확정하며 여러 개발, 허가 절차를 구체화하였다. 가장 주목되는 변화는 QTc 안전성 평가 방식이다. 과거에는 신약이 QTc(심박수 보정 QT 간격; 심장 수축부터 이완까지 걸리는 시간)를 얼마나 연장하는지를 확인하기 위해 수백 명 규모의 TQT(Thorough QT) 시험을 별도로 수행해야 했다. 그러나 ASO나 siRNA 계열은 이온통로에 직접 작용하지 않아 QT 연장 위험이 낮음에도 불구하고 규제가 불명확해 TQT 요구를 피하기 어려웠다. 새 가이드라인은 이러한 특성을 반영해 초기 임상에서 채혈과 심전도 기록을 동시에 수집해 농도-QT(C-QT) 모델링으로 분석하는 방식을 허용했다. 이에 따라 제약사는 별도의 대규모 TQT 시험 없이도 안전성을 입증할 수 있게 되었으며, 개발 비용과 기간 절감, 허가 예측 가능성 제고에 크게 기여할 것으로 예상된다.

면역원성 리스크 사전 평가 필수. 부작용 조기 파악으로 임상 실패 줄일 수 있음

또한 FDA는 초기 임상 단계부터 면역원성 리스크 사전 평가와 관리 전략 제출을 요구하고 있다. 일부 ASO, siRNA는 화학적 변형이나 GalNAc, LNP, 펩타이드/항체 결합체 등에 의해 보체 활성화나 사이토카인 방출과 같은 면역을 유발할 수 있기 때문이다. 이러한 접근은 면역반응이 약효나 부작용에 미치는 영향을 조기에 파악해 대규모 임상 실패를 줄이는 데 중요한 의미를 가진다.

불필요한 대규모 시험은 줄이고, 실제 위험(간/신장, 약물 상호작용, 장기 투여)는 체계적으로 관리

FDA는 간/신장 기능 저하 환자에서의 약물 노출 변화를 대규모 임상시험 대신 소규모 PK(약물동태학) 연구나 집단 모델링으로 확인해 라벨을 반영할 수 있도록 했다. 또한 RNA 치료제는 CYP 효소 대사(간에서 약을 분해하는 효소)보다는 수송체(OATP, OCT, MATE 등)를 통한 배설, 이동 가능성이 크다고 보고, 약물 상호작용 검증도 수송체 중심으로 전환하도록 규정했다. 아울러 투여 간격이 수개월에 달하는 장기 지속형 제형 특성을 고려해 집단 PK/노출-반응 모델링을 통한 장기 안전성 및 효능 예측을 권장했다. 이는 불필요한 대규모 시험 부담을 줄이는 동시에 실제 환자 리스크(간/신장 기능 저하, 약물 상호작용, 장기 투여 안전성)는 조기에 관리할 수 있도록 한 합리적 규제 변화로 해석된다.

비임상 평가 항목 표준화로 시장 진입 장벽 높아지는 중

2024년말 발표된 비임상 안전성 평가 가이드라인에서는 개발사가 전임상 단계에서 1) 반복 투여 시 간/신장 독성, 2) 보체 활성화 및 사이토카인 분비, 3) 염기서열 부분 상보성에 따른 오프타겟 억제, 4) 단백질과의 비특이적 결합, 5) 표적 과도 억제에 따른 독성 등의 주요 위험을 체계적으로 탐지 및 관리하도록 요구하였다. 과거에는 개별 기업이 자율적으로 대응하던 영역을 표준화된 평가 항목으로 전환하면서 시장 진입 장벽이 높아지고 있다.

Fig. 16: FDA 및 EMA 가이드라인 정리

구분	문서/제도	상태(발표)	범위	핵심 변화(요지)	실무 영향/Action
미국 FDA	Clinical Pharmacology Considerations for Oligonucleotide Therapeutics	최종본 (2024.06)	임상약리	대규모 TQT 시험 대신 농도-QT(C-QT) 모델 허용, 간/신장 기능 저하 환자 연구, 면역원성·수송체 기반 DDI 평가 권고	초기 임상부터 PK 모델링과 심전도 수집 필요, 장기 간격 제형 설계 가능, DDI 위험 사전 검토 필수
	Nonclinical Safety Assessment of Oligonucleotide-Based Therapeutics	초안 (2024.11)	비임상 안전성	표준화된 비임상 리스크 항목 제시: 간/신장 독성, 면역/보체 반응, 염기서열 오프타겟, 단백질 비특이적 결합, 과도한 표적 억제 등	초기 독성시험 단계에서 체계적인 리스크 평가/관리 계획 제출 필요
	CMC(불순물/제네릭) 관련 발표/가이드 해설	수시 업데이트	품질/CMC	올리고 전용 불순물 기준은 아직 없음 → 대신 다중 분석법으로 순도, 불순물 관리 요구. PS 입체이성질체, GalNAc, 펩타이드 결합체 등 특수 구조 고려	분석법 다변화, 공정 변경 시 비교성 입증(Comparability study) 필수
유럽 EMA	Guideline on the Development and Manufacture of Oligonucleotides	초안 (2024.07)	품질/CMC	합성 공정(SPS) 관리 강화, PS 입체이성질체, 결합체 특성 반영, 제네릭 비교성/비교 품질평가 요구 → 미국보다 보수적	초기 개발부터 PS 입체이성질체 모니터링, 공정 밸리데이션 및 비교성 전략 사전 확보 필요

Source: FDA, EMA, 다올투자증권

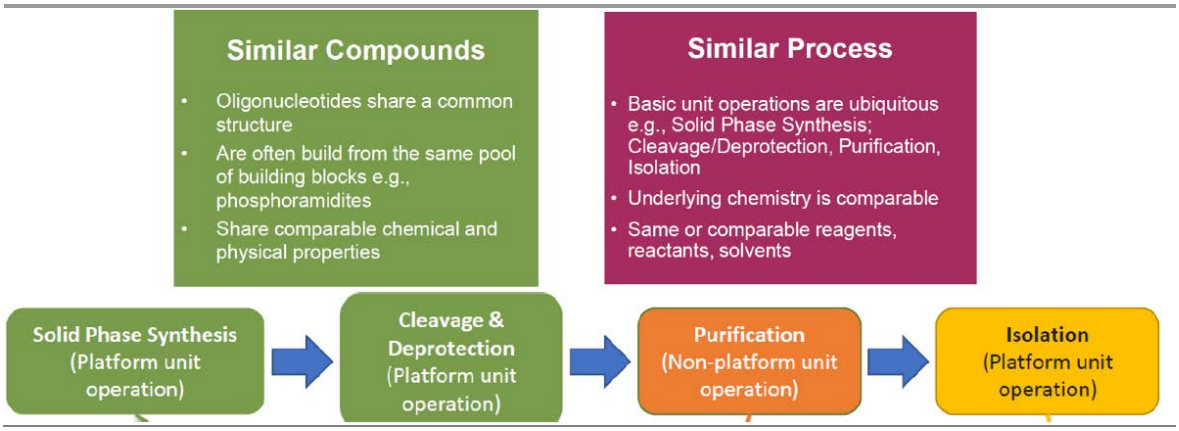
올리고 불순물 관리, 공정 검증 의무 발생. 그러나 플랫폼 지정 제도로 일부 공정은 심사/허가 빨라질 수 있음

품질 관리(CMC; Chemistry/Manufacturing/Control) 규제도 강화되고 있다. FDA는 아직 올리고 전용 불순물 기준을 마련하지는 않았지만, 단일 시험법에 의존하지 않고 여러 원리의 분석법을 병행하는 다중 분석 전략을 요구하고 있다. 이를 통해 순도와 불순물 관리 체계를 강화하도록 한 것이다. 동시에 올리고 계열 신약의 구조와 합성 공정이 유사하다는 점을 고려해 일부 제조 단계를 플랫폼 단위 공정으로 지정, 심사와 허가 절차를 단축할 수 있도록 허용하였다. 다만 정제(Purification)와 같이 제품별 특성이 크게 달라지는 공정은 개별 검증이 필요하다.

반면 EMA는 보다 보수적인 접근을 택하고 있다. EMA는 포스포로티오에이트(PS) 입체이성질체 문제, GalNAc/펩타이드 결합체 특성, 제네릭 비교성 확보까지 포함하는 전용 CMC 가이드라인 초안을 제시했다.

결과적으로 올리고뉴클레오타이드 상업화에서는 불순물 관리와 공정 비교성 확보가 핵심 허들로 작용하겠지만 플랫폼 지정 제도를 활용하면 일부 심사 효율화가 가능할 것으로 전망된다.

Fig. 17: 공통 구조/공정 기반의 플랫폼 지정 가능성: 핵심 공정 중 일부를 플랫폼 단위 공정으로 지정 가능



Source: FDA: CMC Challenges in FDA-Approved Synthetic Oligonucleotide Drugs, 다올투자증권

III-2. ASO/siRNA: 희귀에서 만성질환으로

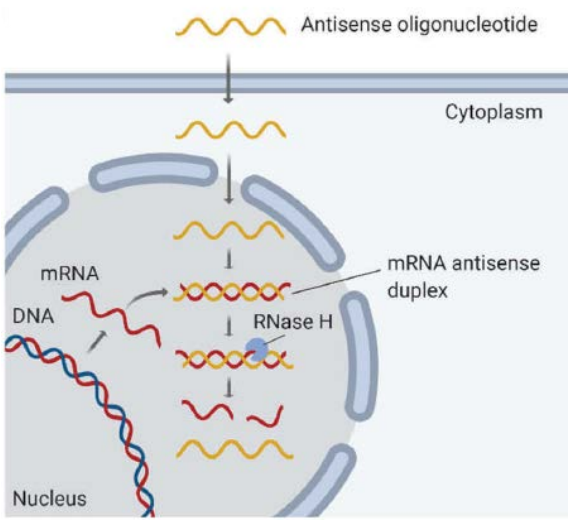
ASO: 단일 가닥으로 1) mRNA 분해시켜 발현을 억제하거나 2) 스플라이싱 패턴 조절해 단백질 생성 바꾸는 방식

RNA 치료제는 모달리티에 따라 작용 방식이 다르다. ASO(Antisense Oligonucleotide)는 짧은 단일가닥 올리고뉴클레오타이드(DNA/RNA 기반)로 표적 mRNA에 결합해 작용하며 결합 방식에 따라 기전이 달라진다.

1. RNase H 매개 분해: ASO가 표적 mRNA 서열에 상보적으로 결합하면 이중가닥(duplex)이 형성되고, 세포 내 RNase H 효소가 이를 인식해 mRNA 가닥만 선택적으로 절단, 분해한다. 이로 인해 해당 단백질이 합성되지 못 하며 주로 간/대사질환 치료제 개발에 활용된다.
2. 스플라이싱(Splicing) 조절: ASO가 pre-mRNA(전사 직후의 초기 RNA)에 결합해 스플라이싱 패턴을 조절(엑손 삽입/제거)함으로써 단백질 발현을 교정하거나 정상 또는 기능성 단백질 생성을 유도한다. 주로 희귀 신경/근육 질환 치료제에 적용되고 있다.

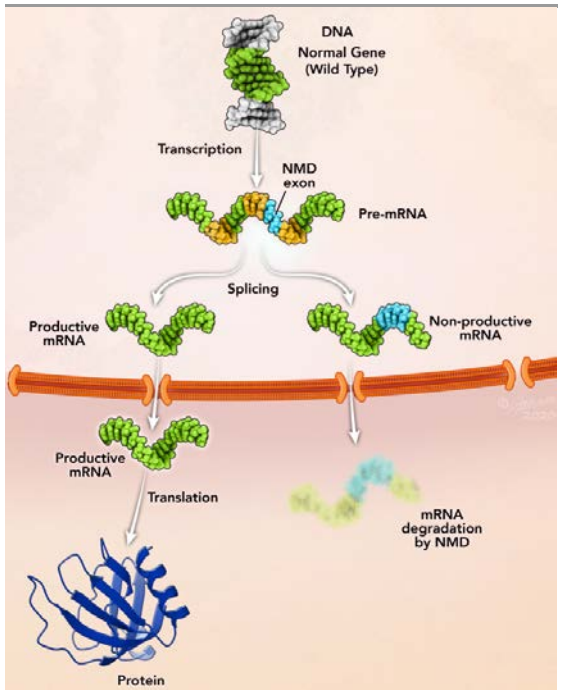
대표 ASO 개발 기업으로는 아이오니스(Ionis Pharmaceuticals)와 스플라이싱 교정형 DMD 치료제를 개발 중인 Sarepta Therapeutics 등이 있다.

Fig. 18: ASO: RNase H 분해로 mRNA 절단



Source: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

Fig. 19: ASO: 스플라이싱 조절로 단백질 회복



Source: Antisense oligonucleotide modulation of non-productive alternative splicing upregulates gene expression, 다올투자증권

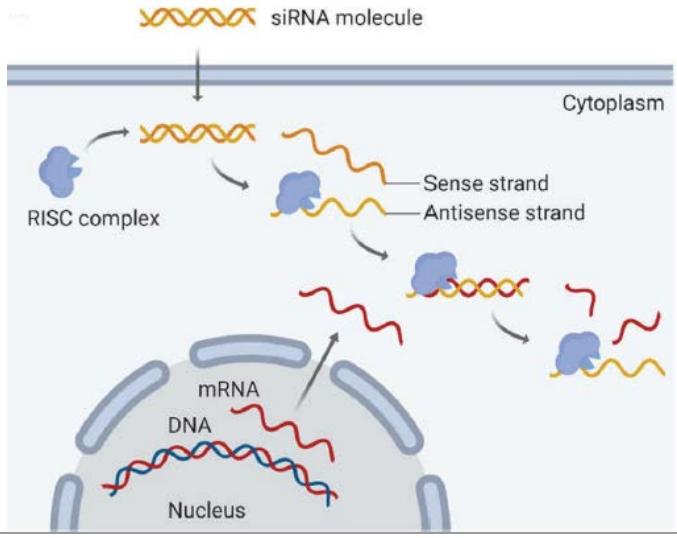
siRNA: 이중가닥으로 RISC 복합체에 실려 mRNA 절단

siRNA(Small interfering RNA)는 sense strand(표적 mRNA와 동일한 서열)와 Antisense strand(mRNA와 상보적인 서열)로 구성된 이중가닥 RNA(duplex) 형태다. 이중가닥 siRNA가 RISC(RNA-induced silencing complex)에 들어가면 sense strand는 분해되고 antisense strand(guide strand)만 남아 표적 mRNA에 결합한다. 이후 RISC내 Ago2 단백질이 mRNA를 절단해 단백질 발현을 억제한다.

대표기업: 앨나이람/노바티스(siRNA), 아이오니스(ASO)

대표 기업으로는 원천 기술을 보유한 앨나일람(Alnylam Pharmaceuticals)과 렉비오를 통해 만성질환 시장에 진출한 노바티스(Novartis)가 있다. 렉비오는 원래 앨나일람 기술에서 출발해 The Medicines Company가 개발하던 자산이었으나, 2020년 노바티스 인수로 상업화 권리가 넘어갔다. 이외에도 Arrowhead, Silence Therapeutics 등이 활발히 파이프라인을 확장하고 있으며, ASO 전문기업 아이오니스(Ionis)도 최근 AstraZeneca와 협력해 Wainua, Donidalorsen 등 siRNA 신약을 출시하며 영역을 확대하고 있다.

Fig. 20: siRNA 작용 기전: RISC로 mRNA 절단

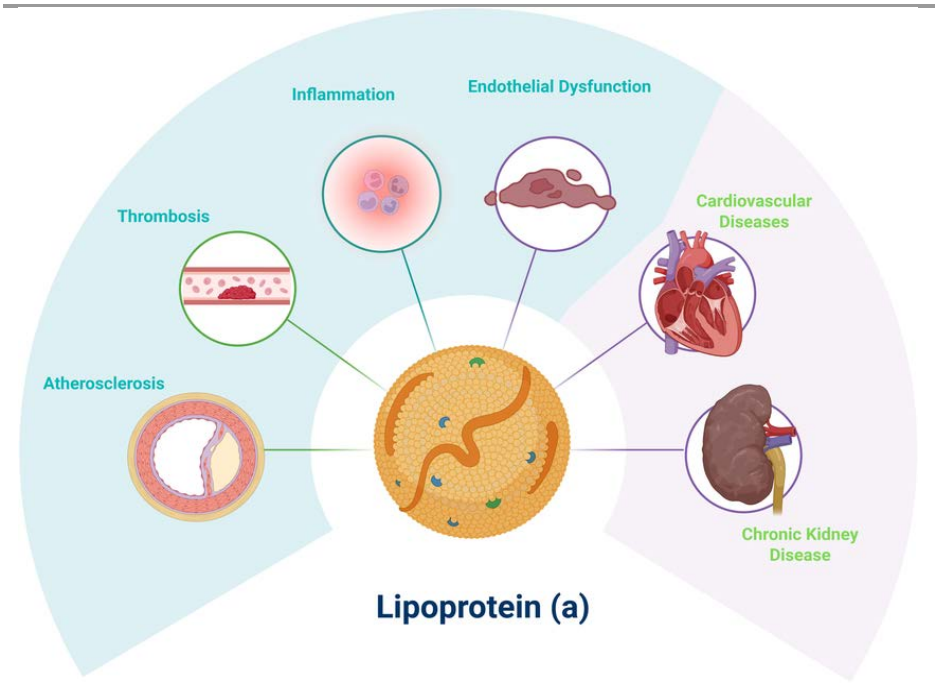


Source: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

적응증은 희귀질환에서 심혈관으로 확장 중. 주요 작용기전은 Lp(a) 억제

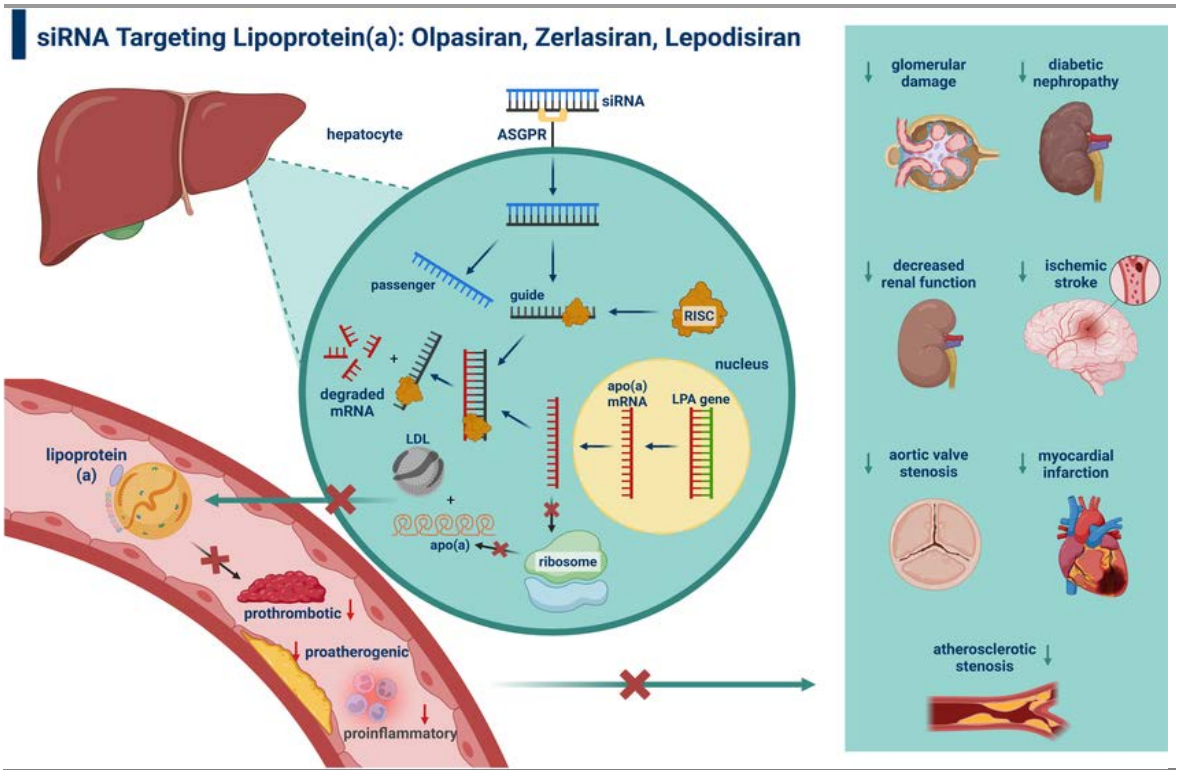
RNA 치료제는 희귀질환 중심에서 벗어나 심혈관(Cardiovascular) 영역으로 빠르게 확장 중이다. 대표적으로 Amvuttra(vutrisiran)는 ATTR-CM(심근병증) 적응증을 확보하며 RNA 치료제가 심근질환에서 임상적 효과를 입증한 첫 사례로 평가된다. 특히 혈중 Lp(a) 상승이 심혈관질환, 뇌졸중, 말초동맥질환 위험을 높인다는 점에 주목해, 글로벌 제약사들이 Lp(a) 억제를 목표로 RNA 치료제 개발에 적극 나서고 있다. 현재 Olpasiran(암젠), Lepodisiran(일라이 릴리), Zerlasiran(사일런스 테라퓨틱스)은 GalNAc-siRNA 기전으로, Pelacarsen (노바티스/아이오니스)은 ASO 기전으로 임상 후기 단계에 있으며, 향후 심혈관 사건(CV outcomes) 감소 여부를 검증하는 대규모 임상 결과가 RNA 치료제의 차세대 성장성을 좌우할 전망이다.

Fig. 21: Lp(a)가 질환을 유발하는 기전



Source: siRNA-based therapeutics for lipoprotein (a) lowering: A path toward precision cardiovascular medicine, 다올투자증권

Fig. 22: Lp(a) 표적 siRNA 치료제의 작용기전



Source: siRNA-based therapeutics for lipoprotein (a) lowering: A path toward precision cardiovascular medicine, 다올투자증권

Fig. 23: 개발 중인 주요 Lp(a) 표적 RNA 치료제 비교

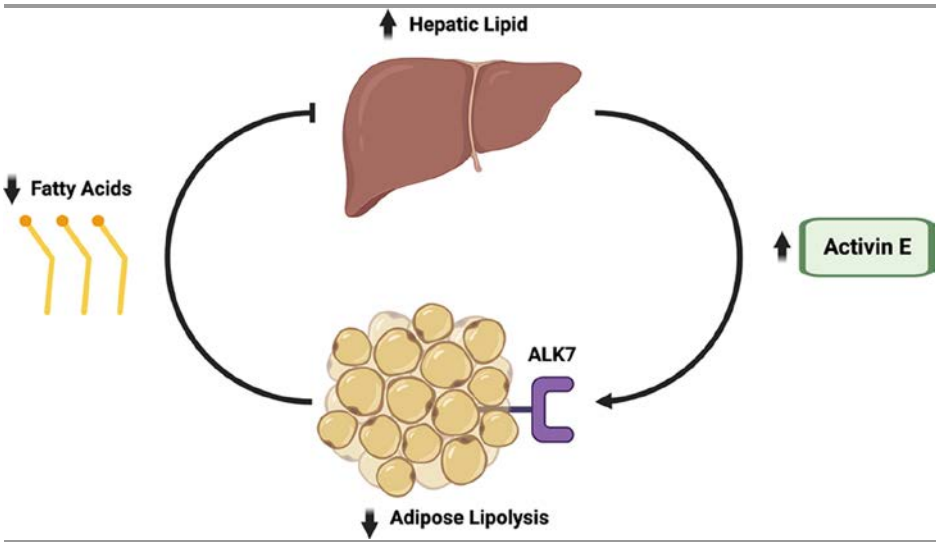
성분명	개발사	작용기전	모달리티	최근 임상 데이터	비고
Olpasiran	Amgen	GalNAc-siRNA → RISC/AGO2 매개 mRNA 절단 → apo(a) 감소	siRNA	임상2상(OCEAN(a)-DOSE): - Lp(a) 95~100% 감소(분기/반기 투여) - 효과 지속/ 안전성 양호	임상3상(OCEAN(a)-OUTCOMES) 진행 중, 2026년말 완료 예정
Lepodisiran	Eli Lilly	GalNAc-siRNA → RISC/AGO2 매개 mRNA 절단 → apo(a) 감소	siRNA	임상2상(ALPACA): - 1~2회 투여 후 Lp(a) 평균 41~94% 지속 감소(수개월~1년) - 안전성 양호	임상3상(ACCLAIM-Lp(a)) 진행 중, 2029년 완료 예상
Pelacarsen	Ionis / Novartis (2019년 L/O)	GalNAc-ASO → LPA mRNA 결합 → RNase H1 절단	ASO	임상2b상(AKCEA-APO(a)-LRx): - Lp(a) 최대 80% 감소(용량/빈도 의존적) - Lp(a)-cholesterol -29~-67% - 안전성 양호	임상3상(Lp(a)HORIZON) 진행 중, 1H26 탑라인 예상, CVOT(심혈관 사건 감소) 확인 목표
Zerlasiran	Silence Therapeutics	GalNAc-siRNA → RISC/AGO2 매개 mRNA 절단 → apo(a) 감소	siRNA	임상2상(ALPACAR-360): - Lp(a) ≥80% 감소(최대-85.6%) - LDL-C -25~32% - 안전성 양호	임상3상 파트너 확보 후 개시 예정, 일정 보류

Source: 각 사, 다올투자증권

대사질환까지 확장 중. 근육 유지, 지방 감소 목표

RNA 치료제는 비만 및 대사질환으로의 확장도 본격화되고 있다. Arrowhead는 간에서 분비되는 Activin-E를 낮춰 지방 조직의 지방분해 억제 신호를 차단하는 ARO-INHBE를 개발 중이며, 2024년 12월 임상1/2a상을 개시해 체지방 감소와 근육 보존을 목표로 하고 있다. 또한 지방세포 표면 수용체인 ALK7을 억제하는 ARO-ALK7을 통해 지방 저장 신호를 직접 차단하는 전략을 추진 중이며 2025년 6월 임상1/2a상 개시했다. 단독 투여뿐 아니라 터제파타이드(Tirzepatide) 병용 요법도 포함해 시너지 효과를 평가하고 있다.

Fig. 24: Activin E-ALK7 결합 → 지방 분해 억제 → 지방산 방출 감소 → 간 지방 축적 → 비만. Activin E 억제 시 지방 분해 활성화

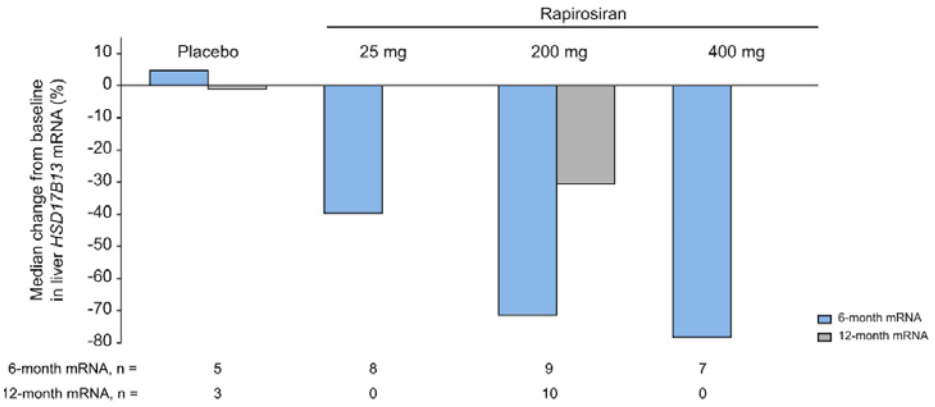


Source: Hepatic Activin E mediates liver-adipose inter-organ communication, suppressing adipose lipolysis in response to elevated serum fatty acids, 다올투자증권

MASH 치료제도 개발 중

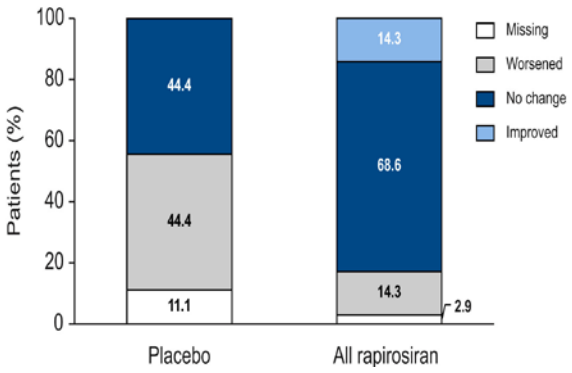
앨나이람 역시 간세포에 특화된 GalNAc-siRNA 플랫폼을 바탕으로 HSD17B13, PNPLA3, CIDEB, APOC3, ANGPTL3, GRB14 등 유전적으로 검증된 타깃을 활용해 MASH, 당뇨 등 대사질환 치료제 개발을 확대하고 있다. 대표 파이프라인 Rapirosiran(ALN-HSD-001)은 간 효소 HSD17B13을 표적하며 임상2상에 진입했다. 임상1상에서 HSD17B13 mRNA가 용량 의존적으로 6개월간 최대 78.3% 감소하는 것이 확인되었으며, NAS 점수 및 섬유화 개선 비율 역시 위약군 대비 높았다. 또한 간 손상 등 안전성 문제도 보고되지 않아 치료제 개발 가능성을 입증했다.

Fig. 25: 임상1상: HSD17B13 mRNA 발현 변화율



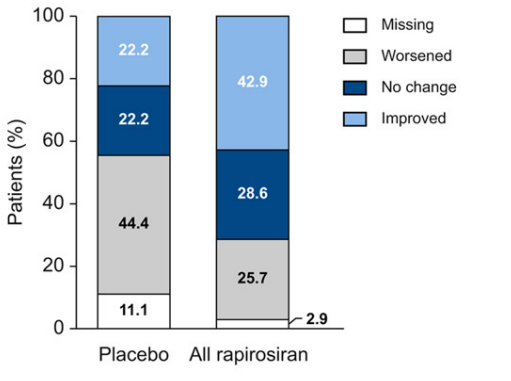
Source: Phase I randomized double-blind study of an RNA interference therapeutic targeting HSD17B13 for metabolic dysfunction-associated steatohepatitis, 다올투자증권

Fig. 26: 임상1상: Fibrosis stage(섬유화 단계) 개선



Source: Phase I randomized double-blind study of an RNA interference therapeutic targeting HSD17B13 for metabolic dysfunction-associated steatohepatitis, 다올투자증권

Fig. 27: 임상1상: NAFLD 활성도 점수 개선



Source: Phase I randomized double-blind study of an RNA interference therapeutic targeting HSD17B13 for metabolic dysfunction-associated steatohepatitis, 다올투자증권

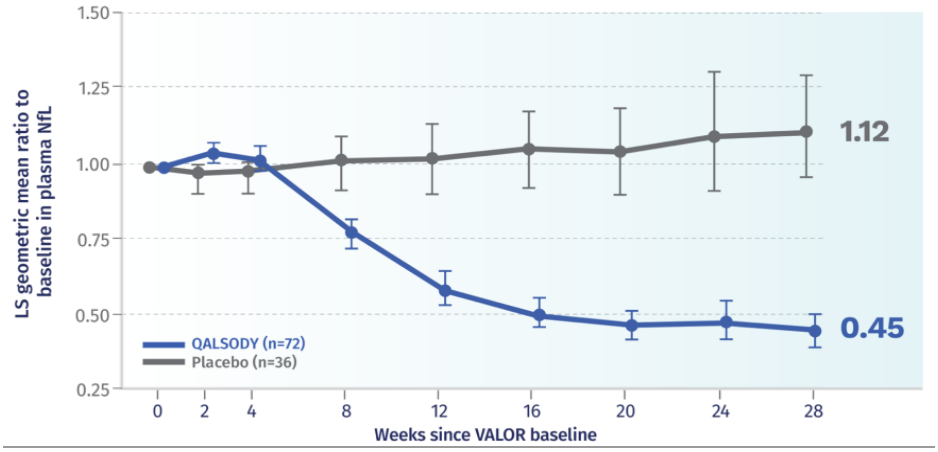
CNS: ASO는 유추천자(뇌척수액) 투여 제형이 표준

CNS(Central Nervous System; 중추신경계) 영역에서도 ASO와 siRNA 치료제 개발이 본격화되고 있다. ASO 치료제는 요추천자(Intrathecal; IT) 투여가 표준화되며 승인 및 후속 파이프라인이 확대되고 있는데, 대표적으로 아이오니스/바이오젠의 스핀라자(Spinraza)와 칼소디(Qalsody; 성분명: Tofersen)가 있다. 칼소디는 SOD1 mRNA에 결합해 RNase H1 경로로 돌연변이 SOD1 단백질 생성을 억제하는 세계 최초 SOD1-ALS 치료제이다. 2023년 4월 FDA 가속승인을 획득했으며(100mg 2주 간격 3회 로딩 후 매 28일 유지), IT 투여를 통해 뇌척수액(CSF)에서 약물이 분포된다. 임상3상(VALOR)에서는 CSF 내 SOD1 단백질과 혈중 신경손상 마커(NfL)가 유의하게 감소했으나, 주요 임상 기능지표(ALSFRS-R; 루게릭병 환자의 일상생활 기능 점수)는 통계적 유의성을 확보하지 못했다. 다만 장기추적연구(OLE)에서는 조기 투여군에서 기능 저하 속도가 완화되는 추세가 관찰되고 있으며, 향후 실사용 데이터와 장기 추적 결과가 임상적 유익성을 보강할 것으로 예상된다.

차세대 알츠하이머병 치료제도 개발 중. 2026년 주요 데이터 공개 예정

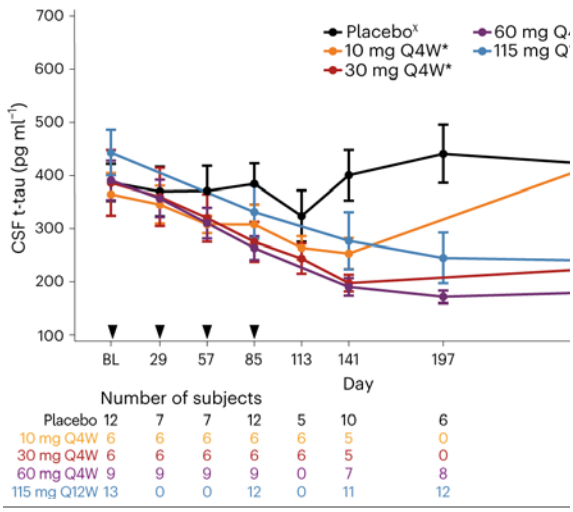
BIIB080/IONIS-MAPTRx는 MAPT mRNA를 표적해 타우(Tau) 단백질 발현을 줄이는 차세대 알츠하이머병(AD) ASO 치료제다. 척수강내 주사로 CSF에 직접 전달되며, 임상1b상에서 CSF 내 총 타우 단백질이 용량 의존적으로 평균 50% 이상 감소했고, 투여 종료 후 24주까지 억제 효과가 유지되었다. 추가적으로 타우 PET 신호 감소와 인지/기능 지표의 우호적 추세가 탐색적 분석에서 확인되며 FDA Fast Track으로 지정되었다(2025.04). 현재는 경도 AD(MCI 포함) 환자 416명을 대상으로 임상2상(CELIA)이 진행 중이며, 12~24주 간격 투여로 2026년 주요 데이터 공개가 예정되어있다.

Fig. 28: 칼소디 임상3상(VALOR): NfL(신경 손상) 수치 감소



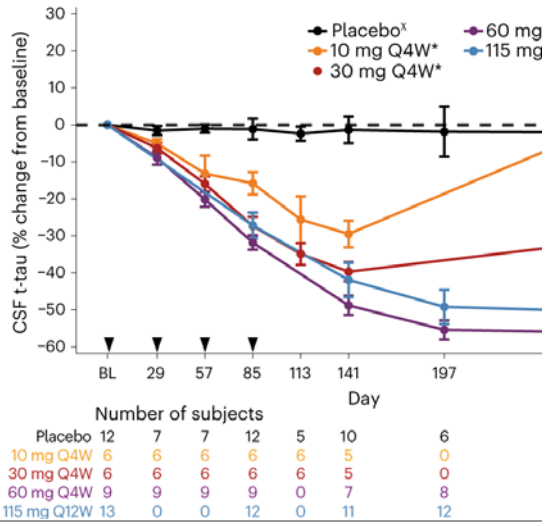
Source: Biogen, 다올투자증권
Note: NfL(Neurofilament light chain): 축삭 손상과 신경퇴행을 반영하는 혈액 기반 바이오마커

Fig. 29: BIIB080/IONIS-MAPTRx 임상1b상: 투여 용량, 간격에 따라 CSF내 총 타우(tau) 농도 감소



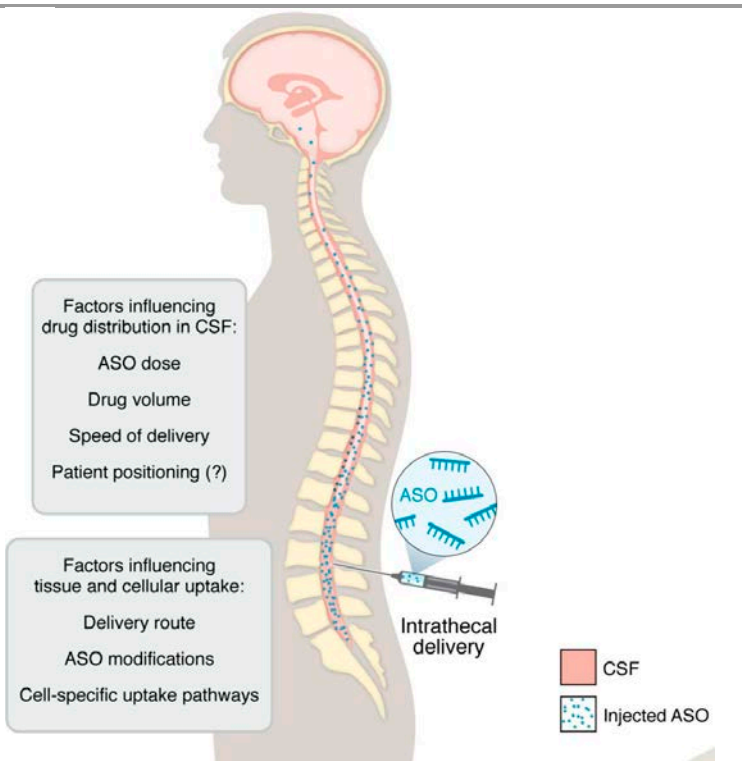
Source: Tau-targeting antisense oligonucleotide MAPTRx in mild Alzheimer's disease: a phase 1b, randomized, placebo-controlled trial, 다올투자증권

Fig. 30: BIIB080/IONIS-MAPTRx 임상1b상: 최대 50% 이상 CSF 타우 농도 감소



Source: Tau-targeting antisense oligonucleotide MAPTRx in mild Alzheimer's disease: a phase 1b, randomized, placebo-controlled trial, 다올투자증권

Fig. 31: 현재 사용되는 투여 방식: 요추강내(intrathecal) 주사



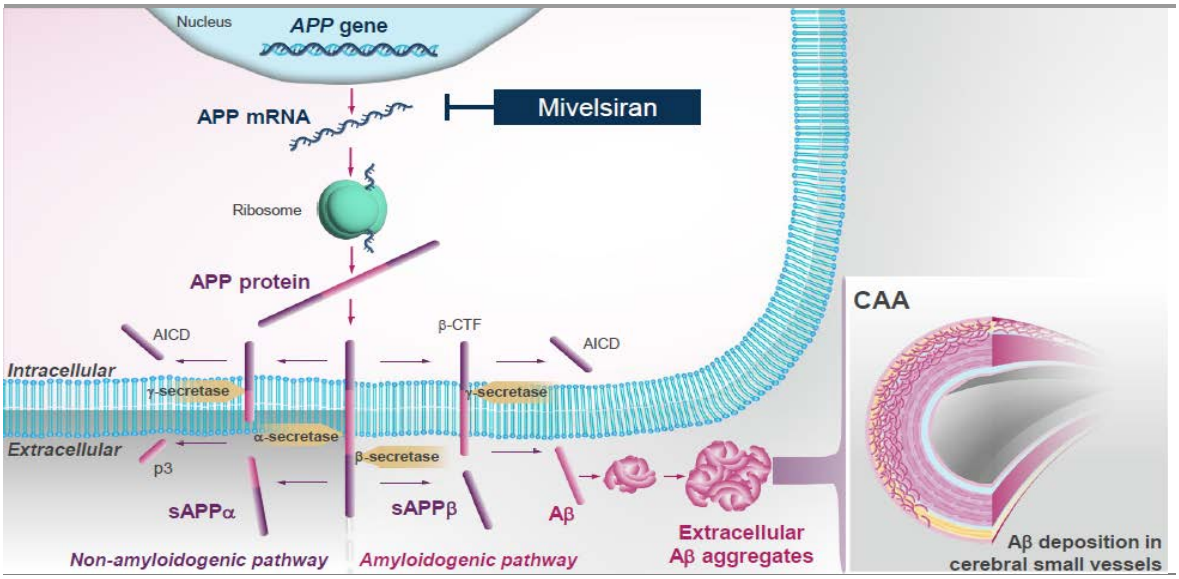
Source: The expanding application of antisense oligonucleotides to neurodegenerative diseases, 다올투자증권

siRNA도 요추천자 방식으로 개발. 향후 DDS 기술 발전으로 정맥주사 등 환자 친화적 제형으로 확장 가능 전망

한편 siRNA도 CNS 영역 진입을 본격화하고 있다. 리제네론/앨나일람의 mivelsiran은 APP mRNA를 절단해 아밀로이드 베타(Aβ) 생성을 억제하는 기전으로 개발되고 있다. 약물에 C16 지질 변형을 부착해 뉴런, 아교세포 등 CNS 세포로의 흡수와 잔류성을 높였다. 지질성을 강화해 세포막 통과성을 높였기 때문에 IT 투여만으로도 뇌와 척수 내에서 충분한 흡수와 지속성을 확보할 수 있다. 임상1상에서 APP 관련 바이오마커가 용량 의존적으로 감소했으며, 억제 효과는 6개월간 유지되었고 최대 12개월까지 지속됨이 확인되었다. 안전성도 전반적으로 양호했으며 중대한 이상반응은 보고되지 않았고 가장 흔한 부작용은 IT 시술 관련 두통과 요통이었다. 현재 뇌아밀로이드혈관병증(CAA) 환자 대상으로 임상2상(cAPPricorn-1)이 진행 중이며, 2H26 알츠하이머병(AD) 환자 대상 임상2상을 개시할 예정이다.

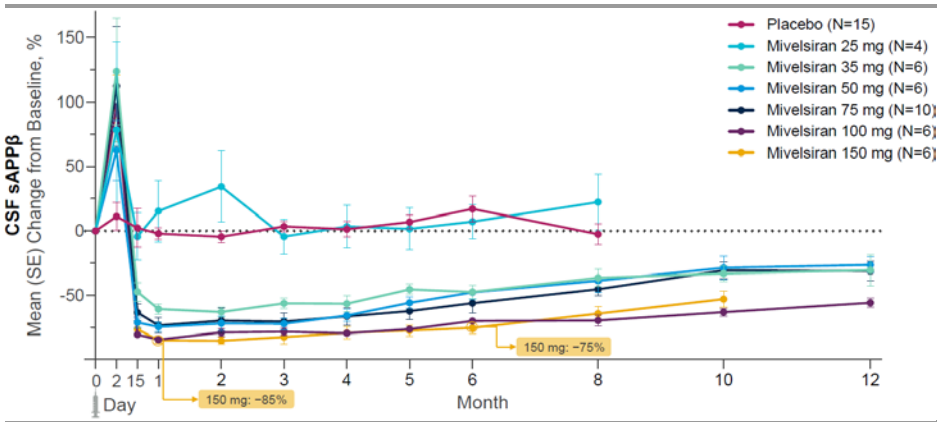
현재까지 CNS 적응증 RNA 치료제는 대부분 IT 주사에 의존하며, mivelsiran 역시 C16 지질 변형으로 투과 한계를 보완한 사례다. 이는 RNA 치료제가 여전히 DDS에 크게 의존함을 보여주지만, GalNAc, LNP, 지질 변형, BBB 셔틀 등 전달 기술 발전을 통해 향후 정맥주사와 같은 환자 친화적 제형으로 확장될 가능성이 크다. 결국 RNA 치료제의 경쟁력은 표적 발굴뿐 아니라 DDS 혁신에 좌우된다.

Fig. 32: Mivelsiran 작용기전



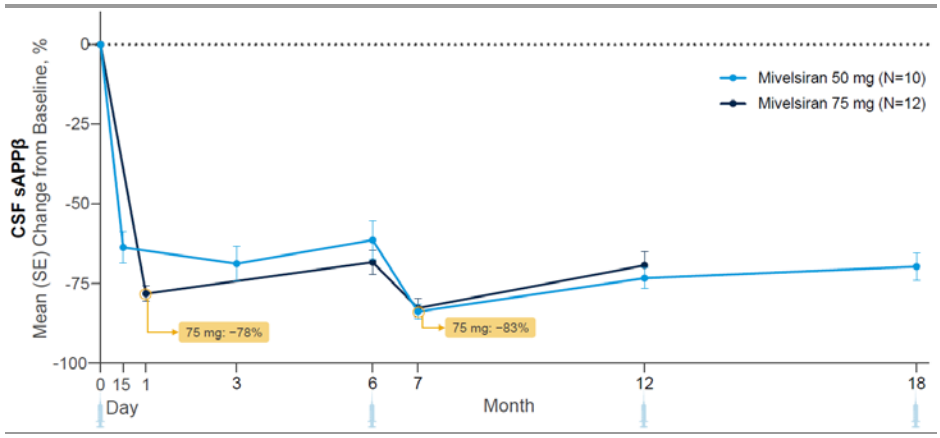
Source: siRNA-based therapeutics for lipoprotein (a) lowering: A path toward precision cardiovascular medicine, 다올투자증권

Fig. 33: Mivelsiran 임상1상(SAD): 단일 투여 후 CSF sAPPβ 농도 변화



Source: The expanding application of antisense oligonucleotides to neurodegenerative diseases, 다올투자증권
Note: SAD(Single Ascending Dose): 단일용량상승시험, CSF sAPPβ: β-secretase 경로 활성도를 반영하는 아밀로이드 전구체 단백질(APP) 절편, 알츠하이머병 바이오마커

Fig. 34: Mivelsiran 임상1상(MAD): 반복 투여 후 CSF sAPPβ 농도 변화



Source: The expanding application of antisense oligonucleotides to neurodegenerative diseases, 다올투자증권
Note: MAD(Multiple Ascending Dose): 다회용량상승시험, CSF sAPPβ: β-secretase 경로 활성도를 반영하는 아밀로이드 전구체 단백질(APP) 절편, 알츠하이머병 바이오마커

III-3. RNA 치료제 성장의 Key: DDS

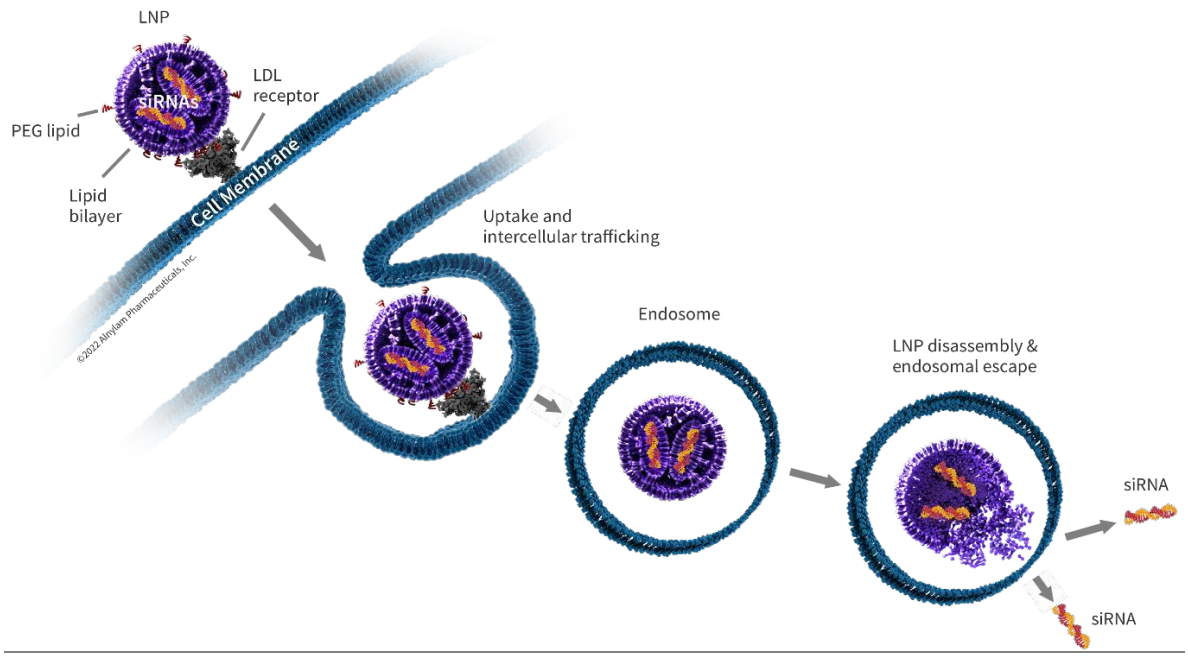
RNA 치료제는 전달체(DDS)가 필수

RNA 치료제는 분자 크기가 크고 음전하를 띠어 세포막을 스스로 통과하기 어렵고, 혈중에서 뉴클레아제(RNase)에 의해 빠르게 분해되기 때문에 효과적인 전달 시스템(DDS; Drug Delivery System)이 필수적이다. 이에 따라 안정성을 높이고 세포 내로 유입을 촉진하기 위해 LNP(지질 나노입자), GalNAc 결합, 펩타이드/항체 접합체 등 다양한 플랫폼이 개발되고 있다.

LNP: 나노입자로 mRNA와 siRNA 포장해 세포내로 전달

LNP(Lipid Nanoparticle)는 이온화 지질(Ionizable lipid), 콜레스테롤(Cholesterol), 인지질(Phospholipids), PEG 지질로 구성되어 있는 나노입자로, mRNA와 siRNA를 감싸 혈중 분해를 막고 세포 내로 전달하는 표준 기술이다. 혈중에서 LNP 표면에 ApoE 단백질이 결합하면 간세포 표면 LDL 수용체에 의해 인식, 흡수되고 이후 엔도좀 내부가 산성화(pH↓)되면서 이온화 지질이 양전화하되어 막을 불안정하게 만든다. 이 과정에서 RNA가 세포질로 방출되며, mRNA는 단백질 발현을, siRNA는 표적 유전자 억제를 유도한다. 대표 적용 사례는 mRNA 백신(Comirnaty, Spikevax)과 siRNA 치료제 온파트로(Onpattro)다. 다만 간 편중 분포(hepatotropism), 낮은 엔도좀 탈출 효율, 까다로운 보관 조건(냉장/냉동)은 여전히 한계로 지적된다.

Fig. 35: LNP 방식

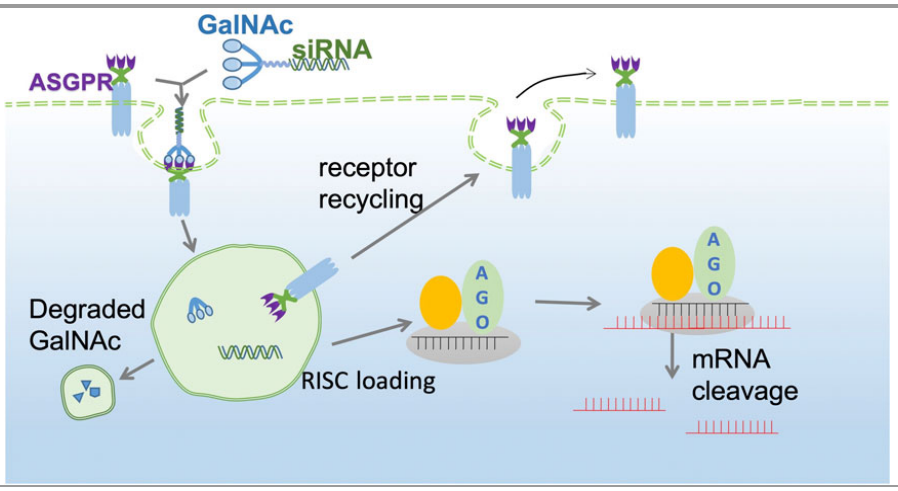


Source: Alnylam, 다올투자증권

GalNAc: 간세포 수용체 결합해 간세포 투과. 다만 간 특이적 경로로 다른 장기 표적하기 위해서는 차세대 전달 기술 필요

GalNAc(N-acetylgalactosamine; 특수한 당) 결합은 간세포 표면에 풍부하게 존재하는 ASGPR(asialoglycoprotein receptor)를 활용하는 전략이다. siRNA나 ASO 말단에 삼분지(tri-antennary) 형태의 GalNAc을 붙이면 간세포 표면 ASGPR에 결합해 세포 내로 유입된다. 이후 수용체는 재활용 되어 제자리로 돌아가고, 세포 내에 약물만 남아 작용한다. 간세포당 약 100만 개 이상의 수용체가 존재하기 때문에 적은 용량으로도 3~6개월 효과가 유지된다. 또한 피하주사(SC)로 자가 투여가 가능하고, 정맥주사 기반 LNP 대비 면역 반응과 주사 부위 부작용이 적다는 장점이 있다. 다만 GalNAc-ASGPR 시스템은 간 특이적인 경로이므로 현재는 간질환, 지질대사질환, 아밀로이드증 등 간세포에서 병리 단백질이 생성되는 질환에 국한된다. 따라서 심장, 근육, 뇌 등 간 외 장기를 표적하려면 항체/펩타이드 결합체나 BBB 셔틀 등 차세대 전달 기술이 필요하다.

Fig. 36: GalNAc-siRNA 결합 방식



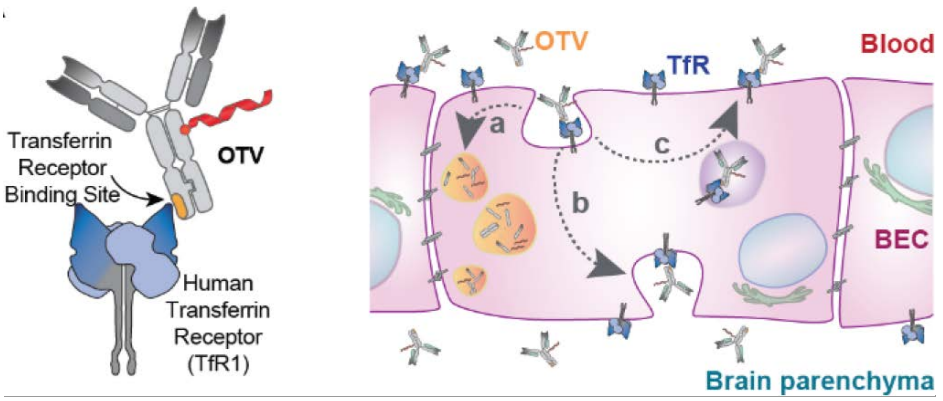
Source: The therapeutic prospects of N-acetylgalactosamine-siRNA conjugates, 다올투자증권

환자의 투여 편의성 개선을 위한 BBB 셔틀 연구 본격화

전통적으로 RNA 치료제는 척수강내(IT) 주사로 직접 뇌척수액에 전달되었으나, 반복 시술 부담으로 환자 편의성이 떨어진다는 한계가 있었다. 이에 최근에는 정맥(IV)/피하(SC) 투여만으로도 혈액뇌장벽(BBB; Blood Brain Barrier)을 통과해 뇌 실질까지 도달할 수 있는 셔틀 기술이 본격적으로 개발되고 있다. 핵심 원리는 수용체 매개 횡단수송(Receptor Mediated Transcytosis; RMT)이며, 대표적으로 TfR1(Transferrin Receptor 1; 트렌스페린 수용체)이 활용된다. TfR1은 뇌 모세혈관 내피에 과발현되어 철 이온을 세포 내로 운반하는 역할을 하며, 단백질, 펩타이드, 항체 기반 운반체에 ASO/siRNA를 접합해 뇌혈관을 가로질러 뇌 실질로 이동시키는 전략이다.

Ionis와 Denali는 TfR1을 표적하는 OTV(Oligonucleotide Transport Vehicle)를 개발해 ASO를 운반체에 결합시켰다. 정맥(IV) 투여만으로도 뇌혈관 내피를 통과해 뇌 실질 전반에 균일하게 분포시킬 수 있으며, 실제 사람 TfR1 치환 마우스와 영장류(원숭이) 모델에서 MALAT1 RNA 발현 억제가 입증되었다. 핵심은 수용체에 과도하거나 다가(multivalent)로 결합하면 세포가 이를 분해 대상으로 인식해 리소좀으로 보내버린다는 점이다. OTV는 이를 피하기 위해 적당한 세기로 단일(monovalent) 결합만 허용하도록 설계되었고, 그 결과 수용체를 일시적으로 결합한 뒤 자연스럽게 뇌 안쪽으로 이동할 수 있다. 이로써 IT 주사 대비 훨씬 균일하게 뇌 전반에 분포하며 전달 효율도 개선되었다.

Fig. 37: TfR에 결합 → OTV를 활용해 뇌 안쪽으로 이동



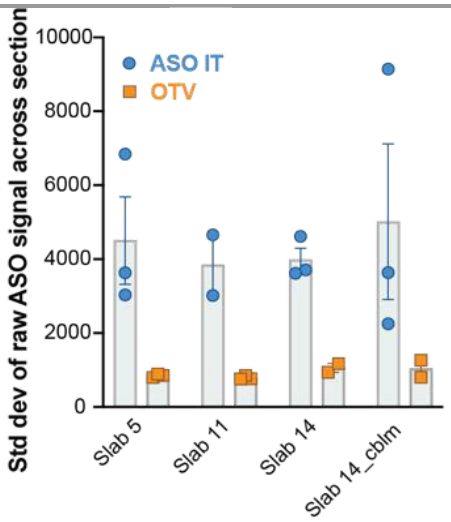
Source: Targeting the transferrin receptor to transport antisense oligonucleotides across the mammalian blood-brain barrier, 다올투자증권

Fig. 38: 전전두~후두까지 뇌 전반 이미지: OTV와 기존 ASO 투여 방식의 뇌 내 분포 차이



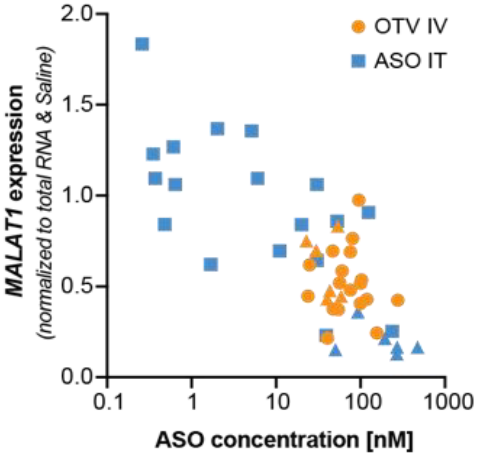
Source: Targeting the transferrin receptor to transport antisense oligonucleotides across the mammalian blood-brain barrier, 다올투자증권

Fig. 39: ASO 신호 분포의 표준 편차



Source: Targeting the transferrin receptor to transport antisense oligonucleotides across the mammalian blood-brain barrier, 다올투자증권
Note: 분포 편차가 작음 = 뇌 전반에 고르게 퍼졌다는 의미

Fig. 40: 농도 대비 효과(PK-PD 관계)

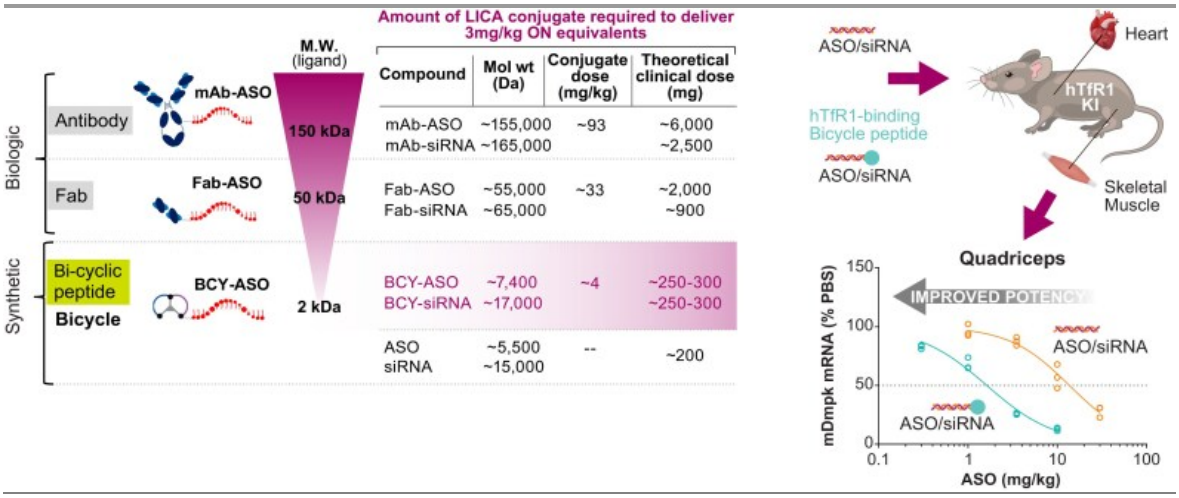


Source: Targeting the transferrin receptor to transport antisense oligonucleotides across the mammalian blood-brain barrier, 다올투자증권
Note: MALAT1 발현량이 낮을수록 억제 효과가 좋음

TfR1 기반 BBB 셔틀: 근육, 심장 전임상 효능 확인, CNS 적용은 아직 초기 단계

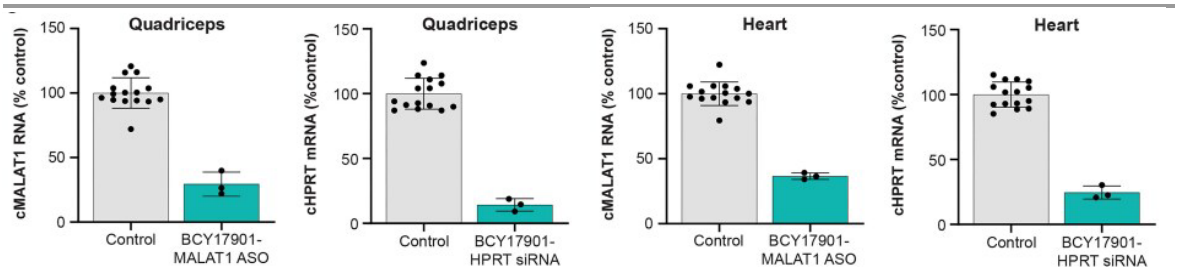
Ionis는 2021년 Bicycle Therapeutics와 기술이전 계약을 체결하고, bicyclic 펩타이드-TfR 접합체 BCY17901을 올리고(ASO/siRNA)에 접목해 TfR1을 통한 세포 내 전달 기전을 자사의 LICA(Ligand-Conjugated Antisense) 플랫폼에 적용하고 있다. BCY17901은 단일 결합 기반으로 설계돼 리소좀 분해를 회피하면서 BBB 투과를 가능하도록 설계되었다. 전임상 연구에서는 정맥(IV) 또는 피하(SC) 투여만으로도 골격근과 심장에서 표적 유전자 발현이 유의하게 억제되었으며, 이는 기존의 siRNA/ASO가 주로 간세포에 국한되었던 한계를 넘어선 의미 있는 성과로 평가된다. 즉, BCY17901 전략은 간 특이 플랫폼(GalNAc 등)으로는 접근하기 어려웠던 근육, 심장 등 간 외 장기에서도 적용 가능성을 입증한 사례로 평가된다. 다만 CNS 적용 가능성은 아직 전임상 단계에 머물러 있으며, 공개 파이프라인에는 포함되지 않은 상황이다.

Fig. 41: Bicycle-TfR1 기반 RNA 치료제 전달 전략과 전임상 성과



Source: Conjugation to a transferrin receptor 1-binding Bicycle peptide enhances ASO and siRNA potency in skeletal and cardiac muscles, 다올투자증권

Fig. 42: BCY17901 기반 ASO/siRNA, 근육/심장 타겟 유전자(MALAT1, HPRT) 억제

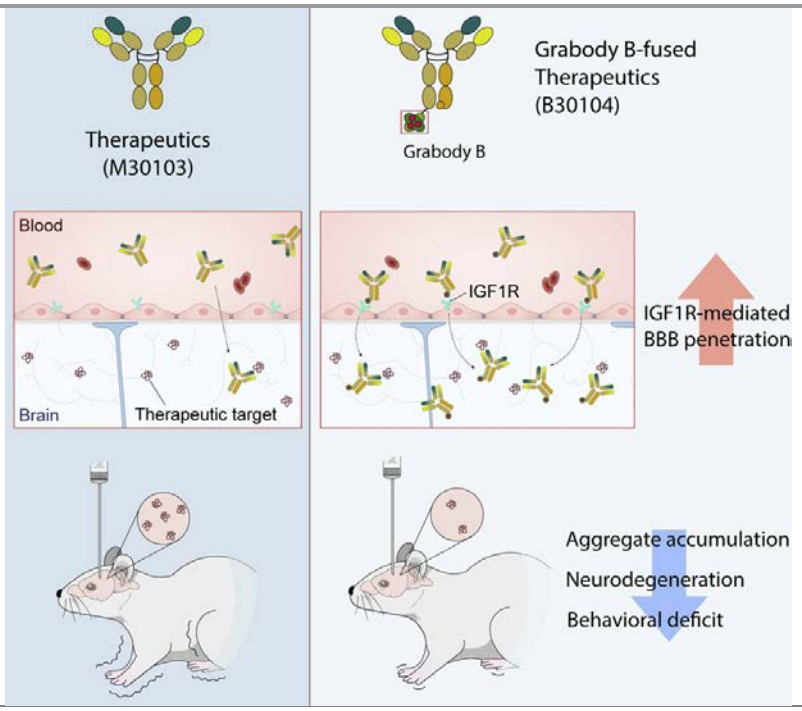


Source: Conjugation to a transferrin receptor 1-binding Bicycle peptide enhances ASO and siRNA potency in skeletal and cardiac muscles, 다올투자증권

TfR1은 대표적인 BBB 셔틀. IGF1R도 차세대 대안으로 부상. 전신 조직 발현 특성으로 확장성 확보

현재 BBB 셔틀 연구는 TfR1을 활용한 접근이 주류이나, 최근에는 DDS 확장성을 위해 IGF1R(Insulin-like Growth Factor 1 Receptor)이 대안으로 부상하고 있다. 대표적으로 GSK는 2025년 4월 에이비엘바이오로부터 anti-IGF1R 항체 기반의 Grabody-B 플랫폼을 도입했으며, siRNA, ASO 등 올리고까지 모달리티 확장을 명시했다. Grabody-B 특징은 IGF1R에 결합하더라도 수용체가 본래 담당하는 세포 성장, 대사 신호 전달을 방해하지 않는다는 점이다. 즉, 신호 차단으로 인한 부작용을 피하면서 수용체 매개 횡단수송(RMT)을 통해 올리고나 단백질을 뇌 안으로 전달하는 '운반체' 역할에 최적화되도록 설계된 것이다. 이를 통해 IGF1R의 본래 기능을 유지하면서도 BBB를 안전하게 통과할 수 있다는 장점이 있다. IGF1R은 뇌뿐 아니라 전신 조직에도 널리 발현돼 있어 CNS 외 근육, 심장, 말초신경 등의 확장 가능성도 제시된다. 다만 RNA(ASO/siRNA)를 근육 등 말초 장기에 전달한 확실한 사례는 아직 보고되지 않았다. 현재 에이비엘바이오는 Ionis와 공동으로 IGF1R 셔틀 기반 올리고 전달 연구를 진행 중이며, 연내 논문 발표가 예상된다.

Fig. 43: Grabody-B 기반 IGF1R 셔틀을 통한 BBB 투과 및 뇌 내 치료 효과



Source: Grabody B, an IGF1 receptor-based shuttle, mediates efficient delivery of biologics across the blood-brain barrier, 다올투자증권

BBB 셔틀 L/O 사례 증가. IGF1R 입증 시 차세대 플랫폼으로 부각 가능

최근 제약사들의 BBB 셔틀 관심이 높아지면서 글로벌 L/O 사례가 잇따라 보고되고 있다. Ionis는 2021년 Bicycle Therapeutics와 TfR1 결합 bicyclic 펩타이드 계약을 체결했고, 2024년에는 Vect-Horus, Voyager, AbCellera 등과도 협업을 진행했다. 또한 Novartis, Biogen, Secarna, BioArctic 등도 BBB 셔틀 플랫폼 확보를 위한 파트너링에 적극 나서면서, BBB 셔틀은 단일 기업의 전략을 넘어 업계 전반의 핵심 경쟁 영역으로 자리 잡아가고 있다.

만약 에이비엘바이오-Ionis의 논문을 통해 IGF1R 기반 RNA 전달이 실제로 입증된다면, 그 파급력은 CNS를 넘어 대사질환, 근육질환, 심혈관질환까지 확장될 수 있다. 더 나아가 글로벌 제약/바이오 기업들의 DDS 경쟁 구도 속에서 IGF1R은 차세대 플랫폼으로 부각되며, 기업가치 프리미엄을 높이는 계기가 될 수 있다.

Fig. 44: 주요 BBB 셔틀 도입 사례

연도	도입사 (또는 공동)	파트너	BBB 셔틀/표적	적용 모달리티	계약 규모(공개)	비고
2021. 07	Ionis	Bicycle Thera peutics	TfR1 결합 Bicycle(펩타이드) 셔틀	올리고 컨주게이트(ASO/siRNA)	비공개	TfR1 표적 조직 타깃 올리고 전달 독점 라이선스
2024. 01	Ionis	Vect-Horus	VECTrans®(수용체 매개 BBB 셔틀)	ASO/oligo 전신 투여로 CNS 전달	비공개	Ionis 가 전세계 독점 라이선스 체결(전신 투여로 CNS 타깃)
2024. 01	Novartis	Voyager	TRACER AAV 캡시드(뇌 침투)	바이럴 유전자치료(참고: BBB 극복 운반체)	선급금 $100M, 마일스톤 최대 $1.2B	유전자치료이지만 BBB 관통 운반체 인프라 확보 사례
2024. 03	Biogen	AbCellera	BBB 셔틀 표적(항체로 신약 운반 타깃) 발굴	항체(→ BBB 운반 타깃 규명; oligo 결합 가능성 열어둠)	비공개	뇌로 생물의약 운반 가능한 신규 타깃 항체 발굴 제휴
2024. 08	Denali × Ionis (공동 연구)	-	OTV(TfR1 기반 운반체)	ASO (IV 전신 투여 → NHP 뇌 전반 분포)	공동 연구	NHP 서 ASO BBB 횡단, 광범위 분포/표적 억제 입증
2025. 04	GSK	ABL Bio	Grabody-B (IGF1R 표적) BBB 셔틀	항체 중심. oligo/siRNA/ASO 등 폴리뉴클레오타이드 적용 가능 범위도 포함	선급금 및 단기 마일스톤 최대 £77M(선급금 £38.5M), 마일스톤 최대 £2.075B	다중 프로그램, 신경퇴행질환용 BBB 셔틀 라이선스
2025. 05	Biogen	City Thera peutics	Tissue-enhanced delivery(전신 투여로 CNS 표적 노리는 전략)	RNAi	선급금 $16M+ 전환사채성 투자 $30M, 마일스톤 최대 $1B	CNS 타깃 RNAi/전신 투여 목표(Biogen 자체 딜리버리와 결합)
2025. 07	Secarna	Vect-Horus	VECTrans®	RNA-targeted(ASO 등) 전신→CNS	비공개	CNS 질환용 RNA 타깃 치료제 전신 투여 협력
2025. 07	Novartis	Sironax	Brain Delivery Module(BDM)	다중 모달리티(RNA 포함 잠재)	옵션 딜. 선급금 및 단기 마일스톤 최대 $175M	BBB 전달 플랫폼 인수 옵션 확보
2025. 08	Novartis	BioArctic	BrainTransporter(TfR 매개)	항체 중심	선급금 $30M, 옵션 행사 시 최대 $772M	신경퇴행질환 신규 약물 설계 협업. RNA 가능성 열려있음

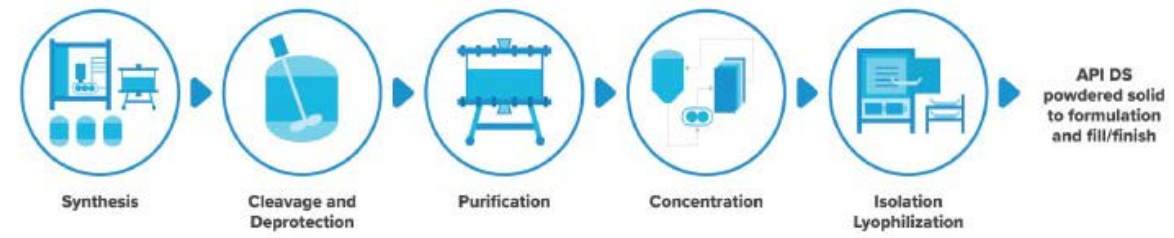
Source: 각 사, 다올투자증권

III-4. CDMO: 고난도 공정이 만든 진입장벽

까다로운 올리고 생산으로 아웃소싱 증가

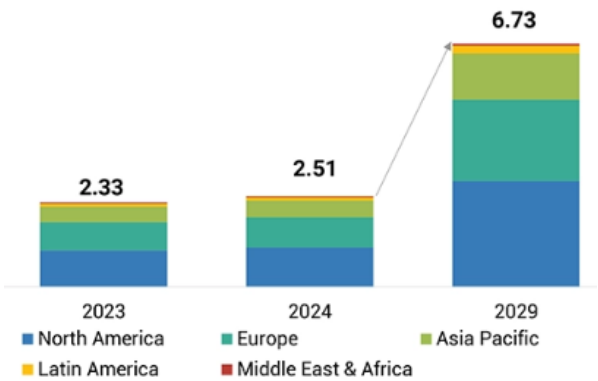
RNA(올리고뉴클레오타이드) 치료제는 생산이 매우 까다롭다. 대규모 고체상/액체상 합성(PS 결합), 대형 정제(HPLC/UF), GalNac/지질 등 결합체 공정, 초고순도 분석(QC)과 배치 간 비교성, 대량 용매 취급, 규체 당국의 CMC 대응까지 모두 갖춰야 하기 때문이다. 실제로 Alnylam과 Ionis 같은 선두 기업들도 연구/임상 단계의 소규모 생산은 자체적으로 수행하지만, 상업 규모 GMP 생산은 주로 CDMO에 위탁한다. Alnylam은 CMC와 품질 관리를 사내에서 직접 담당하고 양산은 외부와 협력하며, Ionis 역시 R&D와 임상에 집중하고 대규모 생산은 아웃소싱 전략을 취하고 있다. 이러한 구조 속에서 최근 ASO/siRNA 승인 및 임상 증가로 외주 수요가 확대되고 있으며. Markets and Markets에 따르면 2024년~2029년 올리고 CDMO 시장은 연평균 22% 성장할 전망이다. 이에 대응해 주요 CDMO 기업들은 잇따라 생산 Capa를 확장하고 있다.

Fig. 45: Oligonucleotide 제조 process



Source: Pharmaceutical Engineering: Oligonucleotides: A Cornerstone for Therapeutics & More, 다올투자증권

Fig. 46: 올리고 CDMO 시장 규모 및 전망



Source: MarketsandMarkets, 다올투자증권

주요 올리고 CDMO 기업은 Capa 증설 중. 외에 수율 최적화, 불순물 관리 등도 중요

Agilent는 미국 콜로라도 올리고 생산 거점에 약 7.25억달러를 투자해 2026년까지 생산 능력을 2배 이상 확대할 예정이며, 고품질 ASO/siRNA 상업 생산 역량을 확보하고 있다. Nitto Avecia는 미국 매사추세츠와 오하이오를 중심 생산 허브로 삼아 올리고 생산에 특화되어 있으며 글로벌 제약사에 대규모 상업 공급을 진행하고 있다. Ajinomoto Bio-Pharma Services는 2019년 일본 오사카에 신규 올리고 플랜트를 가동해 최대 10kg 규모의 생산 역량을 확보했으며 자체 액체상 합성 플랫폼인 AJIPHASE를 활용해 PMO 및 올리고 대량 합성을 제공한다. Wuxi STA는 올리고 전주기 CRDMO 플랫폼과 대형 GMP 제조시설을 운영하며, 2024년에 중국 내 공장 GMP 라인을 증설했고 싱가포르에서도 Capa 확장을 준비하고 있다. 국내에서는 에스티팜이 대표적인 올리고 CDMO로 꼽히며 제2올리고동 증설을 통해 4Q25까지 6개 라인(6~8 mole; 약 2~3t) 확보가 예상된다.

다만 RNA CDMO 기업에게 중요한 것은 단순한 Capa 확대가 아니다. FDA와 EMA의 엄격한 규제에 대응할 수 있는 품질 관리 역량, 합성/정제 단계에서의 수율 최적화, 불순물 관리 등 고품질 생산 역량이 뒷받침되어야 한다. 이러한 요소가 확보되어야만 확장된 Capa가 실제 매출과 이익으로 연결되고, 글로벌 빅파마와의 장기 파트너십 체결 및 시장 내 지배력 강화로 이어질 수 있다. 이에 따라 에스티팜은 공정 개선을 통한 수율 최적화 작업을 진행 중이다.

Fig. 47: 국내외 올리고 CDMO 기업 현황

기업	국가	주요 역량	캐파 확장 현황	비고
Agilent Technologies	미국	올리고 합성(ASO/siRNA), 품질관리/공정 최적화	미국 콜로라도 공장 확장(2026 년 완공 목표). 캐파 2 배 확대	글로벌 빅파마에 임상/상업 물량 공급
Nitto Avecia	미국	올리고 합성 전문 CDMO, 상업용 생산 경험 풍부	오하이오/매사추세츠 시설 지속 확충	상업용 올리고 전문. 글로벌 빅파마에 공급
에스티팜	한국	ASO/siRNA 올리고 합성, mRNA LNP 원료/제형 기술	4Q25 제 2 올리고동 증설(2~3 톤 확보). 2028 년 2 단계 증설 목표	국내 유일 글로벌 톱티어 올리고 CDMO. 글로벌 빅파마에 임상/상업 물량 공급
BioSpring	독일	올리고 핵심 CDMO, 고순도 합성/정제 강점	2025 년 프랑크푸르트 신공장 건설. 단계적 확장 계획	유럽 주요 고객사 다수
WuXi STA	중국	글로벌 CRO/CDMO, siRNA/ASO 합성+LNP 제형	2024 년 올리고 GMP 라인 증설. 싱가포르 설비 확장 계획	Wuxi AppTec 자회사, 중국, 미국, 독일 등 고객사 다수
Ajinomoto (GeneDesign)	일본	합성/제형화, 펩타이드+올리고 동시 대응	일본 신오사카 신규 GMP 구축. 수백 kg 까지 스케일업 가능	일본 내 주요 RNA 고객사

Source: 각 사, 다올투자증권

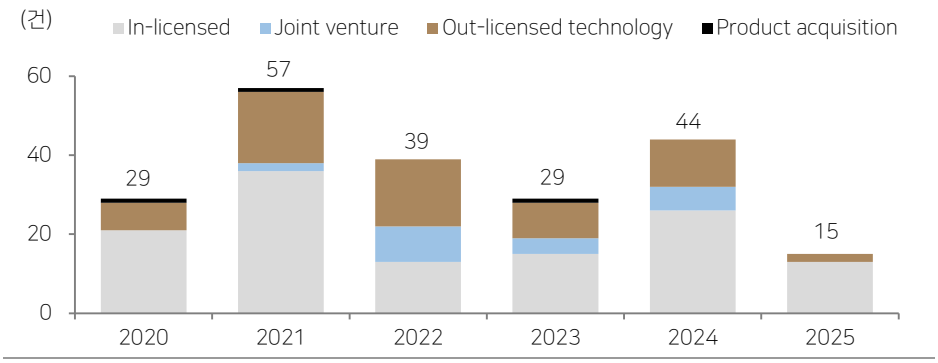
III-5. 글로벌 L/O 트렌드: 플랫폼 + 적응증

적응증 다변화를 위해 DDS 플랫폼과 파이프라인 L/O 확대 중

글로벌 제약사와 RNA 벤처 간의 제휴, 라이선싱 및 M&A는 최근 3년간 빠르게 확대되며 RNA 치료제 산업 구조를 변화시키고 있다. Alnylam은 Regeneron, Roche, Sanofi 등과 수차례 10억 달러 이상 규모의 메가딜을 체결하며 RNA 기술이전의 대표 주자로 자리매김했다. RNA 치료제에서 DDS 플랫폼(BBB 셔틀 포함) 기술이전은 2024년부터 본격적으로 발생하기 시작했으며, 2025년 들어서는 Biogen-City Therapeutics의 RNAi 딜과 Novartis, GSK 등의 항체 기반 플랫폼 계약으로 거래가 빠르게 확대되고 있다.

계약 형태별로 보면 플랫폼형(DDS 기술)과 제품형(단일 파이프라인) 모두 활발히 진행되고 있으며, 특히 플랫폼 라이선싱은 주로 전임상~초기 임상 단계에서 집중되고 있다. 또한 기존 희귀질환 중심에서 신경질환, 암, 심혈관질환, 대사질환으로 적응증이 뚜렷하게 확장되는 추세다.

Fig. 48: 글로벌 RNA 치료제 기술이전 추이



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권
Note: 2025년은 2025.8 기준
In-licensed: 권리 인수, Out-licensed technology: 플랫폼/기술 이전, Product acquisition: 제품/자산 인수

Fig. 49: 주요 글로벌 라이선싱 계약 현황(2024.9~)

발표 날짜	기업명	파트너사	계약규모 (백만달러)	파이프라인/플랫폼	적응증	임상 단계	모달리티/ 비고
25. 05.27	City Therapeutics	Biogen	46	Biogen-City Therapeutics CNS Project	기타 신경질환	전임상	BBB 투과 플랫폼
25. 05.19	CRISPR Therapeutics	Sirius Therapeutics	95	SRSD107	혈전증	전임상	siRNA
25. 04.23	Catalent	Silexion Therapeutics		SIL-204	고형암(폐, 대장, 췌장 등)	전임상	siRNA
25. 04.15	Oak Hill Bio	Roche		RG6091	안겔만 증후군	1 상	ASO
25. 03.31	Reborna Biosciences	Ono Pharmaceutical		RNA-targeted therapy, Ono Pharmaceutical	기타 뇌질환	연구단계	RNA modulator
25. 03.26	Swedish Orphan Biovitrum	Ionis Pharmaceuticals		Tryngolza	가족성 지단백분해효소 결핍, 고지혈증(승인); 동맥경화증(2 상)	상업화	ASO
25. 03.11	Ono Pharmaceutical	Ionis Pharmaceuticals	940	Sapablursen	진성 적혈구증가증	2 상	ASO
25. 03.11	Daiichi Sankyo	Nosis Bio		Daiichi Sankyo-Nosis Research Program	비공개	연구단계	비공개 특정 장기 세포 타겟
25. 03.07	Kardigan	Ionis Pharmaceuticals		ION904	고혈압	2 상	ASO
25. 02.18	Biogen	Stoke Therapeutics	550	Zorevunersen	드라벳 증후군(간질)	2 상	ASO
25. 02.10	Eli Lilly	OliX Pharmaceuticals	643	OLX702A	비만; 비알코올성 지방간염(MASH)	1 상	siRNA
25. 01.10	Bausch + Lomb	City Therapeutics	485	Bausch+Lomb-City Therapeutics Geographic Atrophy Research Project	습성 연령관련 황반변성(AMD)	연구단계	siRNA
25. 01.09	Dropshot Therapeutics	eTheRNA immunotherapies	950	eTheRNA-Dropshot Therapeutics Undisclosed Research Project (ETHEIMM)	비공개	연구단계	mRNA-LNP(플랫폼)
25. 01.07	Alloy Therapeutics	Sanofi		Alloy Therapeutics-Sanofi CNS Research Project	기타 신경질환	연구단계	ASO
24. 12.04	Theratechnologies	Ionis Pharmaceuticals	23	Tryngolza	고지혈증; 가족성 지단백분해효소 결핍증	3 상	ASO
24. 11.26	Sarepta Therapeutics	Arrowhead Pharmaceuticals	11,375	ARO-DUX4, SRP-1002 외 5 종	근육 위축증, 특발성폐섬유증 등	임상 2 상, 전임상	siRNA 프로그램
24. 11.22	Otsuka Holdings	Ionis Pharmaceuticals	10	Jacifusen	루게릭병(ALS)	3 상	ASO
24. 11.19	CerTest Biotec	Circio		CerTest-Circio Genetic Diseases Research Project	비공개	연구단계	LNP DDS 플랫폼
24. 09.26	Genevant Sciences	Repair Biotechnologies		Genevant-Repair Biotechnologies Atherosclerosis Research Project	동맥경화증	전임상	LNP DDS 플랫폼
24. 09.16	Novo Nordisk	Korro Bio	530	Korro Bio-Novo Nordisk Cardiometabolic Diseases Research Project	일반 심혈관계 질환; 기타 대사질환	연구단계	RNA editing
24. 09.05	Genetic Leap	Eli Lilly		Eli Lilly-Genetic Leap Research Project	비공개	연구단계	AI 신약개발
24. 09.04	Haya Therapeutics	Eli Lilly		Eli Lilly-HAYA Therapeutics Research Program	기타 대사질환; 비만	연구단계	RNA-guided 플랫폼

Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 50: 주요 글로벌 라이선싱 계약 현황(2023.1~2024.8)

발표 날짜	기업명	파트너사	계약규모 (백만달러)	파이프라인/플랫폼	적응증	임상 단계	모달리티/비고
24. 08.01	Regeneron Pharmaceuticals	Alnylam Pharmaceuticals	10	Cemdisiran	건성 연령관련 황반변성(AMD), 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH), 중증근무력증, IgA 신병증	3상 외	siRNA
24. 07.23	Touchlight Genetics	GSK		GSK-Touchlight Research Project	비공개	연구단계	
24. 06.18	Roche	Ascidian Therapeutics	1,842	Ascidian Therapeutics-Roche Research Program	기타 신경질환	연구단계	RNA exon editing
24. 04.23	Suzuken Group	Nissan Chemical		Nissan-Sanwa Kagaku Rare Diseases Research Program 2	비공개	연구단계	희귀질환 대상 ASO 플랫폼
24. 04.19	Chugai Pharmaceutical	Roche		Zilebesiran	고혈압	2상	siRNA
24. 04.04	Nippon Shinyaku	MiNA Therapeutics		MiNA-Nippon Shinyaku Neurodegenerative Research Program	기타 신경질환	연구단계	RNAa 플랫폼 (CNS)
24. 02.05	Maravai LifeSciences	FUJIFILM Holdings		FUJIFILM-TriLink BioTechnologies Research Project	비공개	연구단계	mRNA 캡핑 기술
24. 01.30	Vect-Horus	Ionis Pharmaceuticals		Ionis-VECT-HORUS Neurological Disease Research Project	기타 신경질환	전임상	BBB 투과 플랫폼
24. 01.07	Novartis	Argo Biopharma	8,330	BW-02, BW-00163 외 3종	심혈관질환, 고혈압 등	임상2상, 1상, 연구 단계	siRNA
24. 01.05	ProQR Therapeutics	Rett Syndrome Research Trust		AX-2404	레트 증후군	연구단계	RNA editing
24. 01.04	Novo Nordisk	Omega Therapeutics	266	Novo Nordisk-Omega Therapeutics Research Project	비만	연구단계	mRNA 에피지노믹 플랫폼
24. 01.03	Suzhou Ribo Life Science	Boehringer Ingelheim		SR111, SR112	MASH	전임상	siRNA
23. 12.26	Innovent Biologics	Sanegene Bio		SGB-3908	고혈압	1상	siRNA
23. 12.12	eTheRNA immunotherapies	Almirall		Almirall-eTheRNA Research Project	기타 피부질환	연구단계	mRNA
23. 12.05	TRANS GENIC	-		Liid Pharmaceuticals-TRANS GENIC Cardiovascular Research Project	일반 심혈관계 질환; 고혈압	연구단계	ASO
23. 10.31	GSK	J&J/Arrowhead Pharmaceuticals	3,750	GSK5637608	B형 간염 예방; B형 간염 치료	2상	siRNA
23. 10.24	Caris Life Sciences	Moderna		Caris-Moderna mRNA-Based Oncology Program	일반 암	연구단계	mRNA
23. 10.12	Immetas Therapeutics	GC Biopharma		GC Biopharma-Immetas Therapeutics Research Project	일반 염증성 질환	연구단계	mRNA
23. 09.25	Takeda	AcuraStem	580	AS-202	루게릭병(ALS); 치매, 전두측두엽 치매	전임상	ASO
23. 08.03	Agios Pharmaceuticals	Alnylam Pharmaceuticals	148	TMPRSS6 siRNA Program	진성 적혈구증가증	전임상	siRNA
23. 08.01	Laboratoires Théa	ProQR Therapeutics	162	Sepofarsen, Ultevursen	레버 선천성 흑암시, 망막색소변성증	3상, 2상	ASO
23. 07.24	Roche	Alnylam Pharmaceuticals	310	Zilebesiran	고혈압	2상	siRNA
23. 06.26	Mitsui Chemicals	Liid Pharmaceuticals		Liid Pharmaceuticals-Mitsui Chemical Cardiovascular Disease Research Project	고혈압; 일반 심혈관계 질환	연구단계	ASO
23. 05.23	Orna Therapeutics	ReNAgade Therapeutics		Merck-Orna Therapeutics Research Program	일반 바이러스 감염	연구단계	circle RNA
23. 05.15	Novartis	Ionis Pharmaceuticals		Chinook Therapeutics-Ionis Research Project	만성 신장질환(CKD)	연구단계	ASO

Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

III-6. 글로벌 플레이어 전략 비교

아이오니스(Ionis Pharmaceuticals)

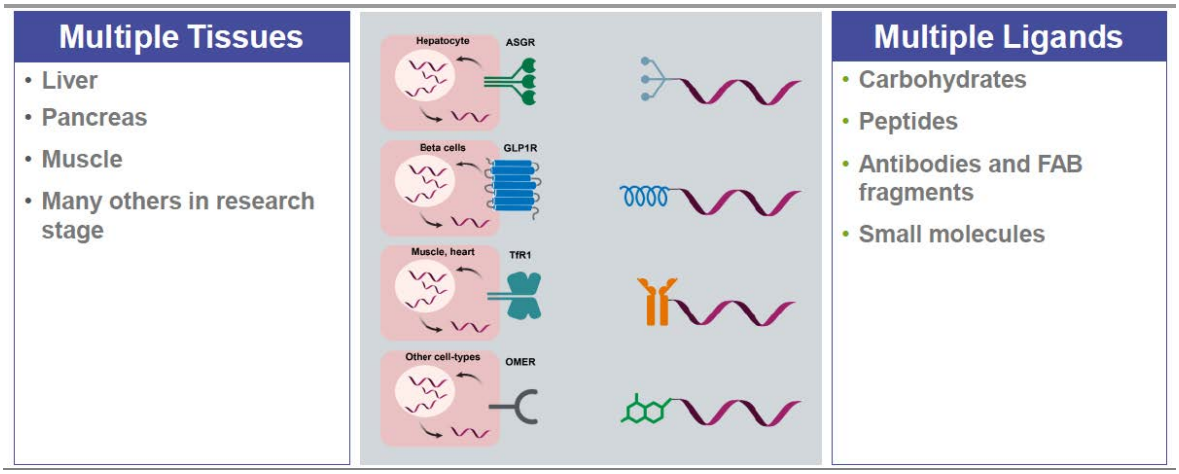
ASO 전문기업. 자체판매와 L/O 듀얼 트랙 모델 확보

아이오니스는 ASO(Antisense oligonucleotide) 분야의 개척자로 RNase H 유도형과 스플라이싱 조절형 두 축에서 산업 표준을 확립해왔다. 희귀질환에서 출발해 대사/심혈관, CNS(중추신경계) 영역으로 적용 범위를 넓혔고, 자체 판매와 빅파마 공동개발/로열티를 병행하는 듀얼 트랙 모델로 성장 동력을 확보했다.

1) 화학 설계로 안전성, 특이성, 반감기 개선, 2) LICA 플랫폼으로 간 외 조직으로 확장 용이

아이오니스의 핵심은 1) 화학 설계와 2) 전달 최적화에 있다. RNase H형 ASO는 표적 mRNA를 결합해 절단, 분해함으로써 단백질 발현을 억제하고, 스플라이싱 조절형 ASO는 전사체 가공을 바꿔 정상 단백질 발현을 복원한다. 화학 설계 단계에서는 PS 백본과 2'MOE/cEt 치환을 적용해 약물이 쉽게 분해되지 않고 표적 mRNA에 더 잘 달라붙게 만들어 안전성, 특이성, 반감기를 개선했다. 또한 GalNAc 접합 LICA 플랫폼을 통해 간세포 ASGPR 매개 흡수를 높여 투여량과 투여 간격을 줄였다. 저용량 투여로 전신 노출을 줄여 안전성 프로파일이 개선되며, 서열은 유지한 채 리간드-링커만 조정해 조직 선택성을 설계할 수 있어 간 외 조직 확장이 용이하다는. 최근에는 TfR1 셔틀 및 Denali OTV 협업을 통해 BBB를 비롯해 근육, 심장 등 비간 조직으로 적용을 확대하고 있다.

Fig. 51: LICA 플랫폼의 확장성: 다양한 조직, 다양한 리간드



Source: ACS 2021, 다올투자증권

7개 상업화 파이프라인 확보. 기존 제품의 적응증 확장, 신제품 개발 등 R&D 모멘텀 유효

아이오니스는 현재 7개 상업화 파이프라인을 확보하고 있다. 스핀라자(nusinersen; 척수성 근위축증), 텍세디(inotersen; hATTR 다발신경병증), 웨이리브라(volanesorsen; 가족성 카이로미크론혈증 증후군), 칼소디(tofersen; SOD1-ALS)가 대표적이다. GalNAc 접합 파이프라인인 트라잉골자(Olezarsen; 가족성 카이로미크론혈증 증후군)과 웨이누아(Eplontersen; hATTR 다발신경병증)는 간 표적 대사, 심혈관 영역을 강화했고, 유전성 혈관부종 치료제 덴제라(Donidalosen) 승인으로 라인업을 확대했다.

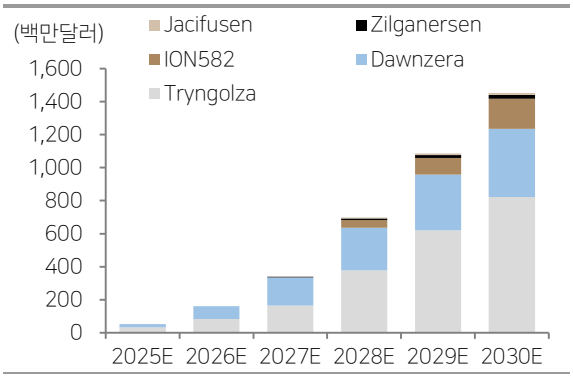
향후 모멘텀도 뚜렷하다. 2025년에는 올레자르센 중증 고중성지방혈증(sHTG) 임상3상(Core/Core2) 결과와 일부 희귀 CNS 파이프라인 데이터 발표가 예정되어 있다. 2026년에는 펠라카르센(Pelacarsen; Lp(a) 억제제) 심혈관 임상3상(상반기)과 에플론테르센(Eplontersen; ATTR-CM) 임상3상(하반기)이 핵심 이벤트다. 긍정적인 결과가 도출될 경우, 실적과 밸류에이션 모두 업사이드가 기대된다.

Fig. 52: **상업화(허가)된 파이프라인**

제품명 (성분명)	기전(메커니즘)	적응증	승인/상업화 시점 (주요 지역)	파트너/상업화
WAYLIVRA (volanesorsen)	ASO → APOC3 mRNA 억제(RNase H1)	FCS(성인)	캐나다: 2018.11.15, EU 조건부: 2019.05.03	Sobi(유럽 등), 지역별 파트너 배분
WAINUA (eplontersen)	GalNAc-ASO → TTR mRNA 억제(RNase H1)	hATTR-PN(유전성 TTR 아밀로이드증 다발신경병증)	미국 최초: 2023.12.21 (라벨 개정 2025.04)	AstraZeneca 와 공동 상업화
DAWNZERA (donidalorsen)	ASO → PKK(prekallikrein) mRNA 억제(RNase H1)	유전성 혈관부종(HAE) 발작 예방	미국: 2025.08.21	Ionis(미국) / Otsuka(유럽, 아시아/태평양 권리)
TRYNGOLZA (olezarsen)	ASO → APOC3 mRNA 억제(RNase H1)	가족성 카일로미크론혈증(FCS)	미국: 2024.12.19	Ionis(미국 독자 상업화)
SPINRAZA (nusinersen)	스플라이싱 조절 ASO(SMN2 exon 7 포함↑)	척수성 근위축증(SMA)	미국: 2016.12.23	Biogen 상업화
QALSODY (tofersen)	ASO → SOD1 mRNA 억제(RNase H1)	SOD1 변이 관련 ALS	미국 가속승인: 2023.04.25	Biogen 상업화
TEGSEDI (inotersen)	ASO → TTR mRNA 억제(RNase H1)	hATTR-PN(성인)	EU: 2018.07.06, 미국: 2018.10.05	Sobi(유럽 및 북미 유통/영업 파트너)

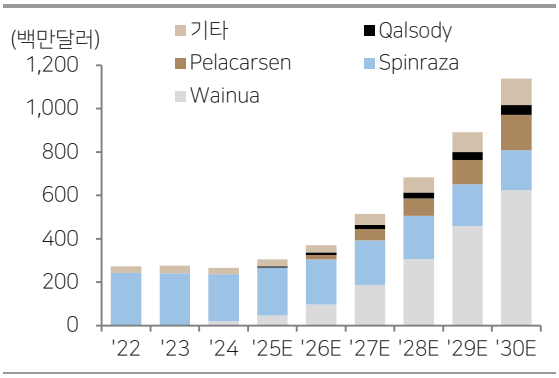
Source: Ionis, 다올투자증권

Fig. 53: 제품별 매출 전망(직접 판매)



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 54: 제품별 매출 추이 및 전망(JV, 로열티 등)



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 55: 파이프라인별 R&D 모멘텀

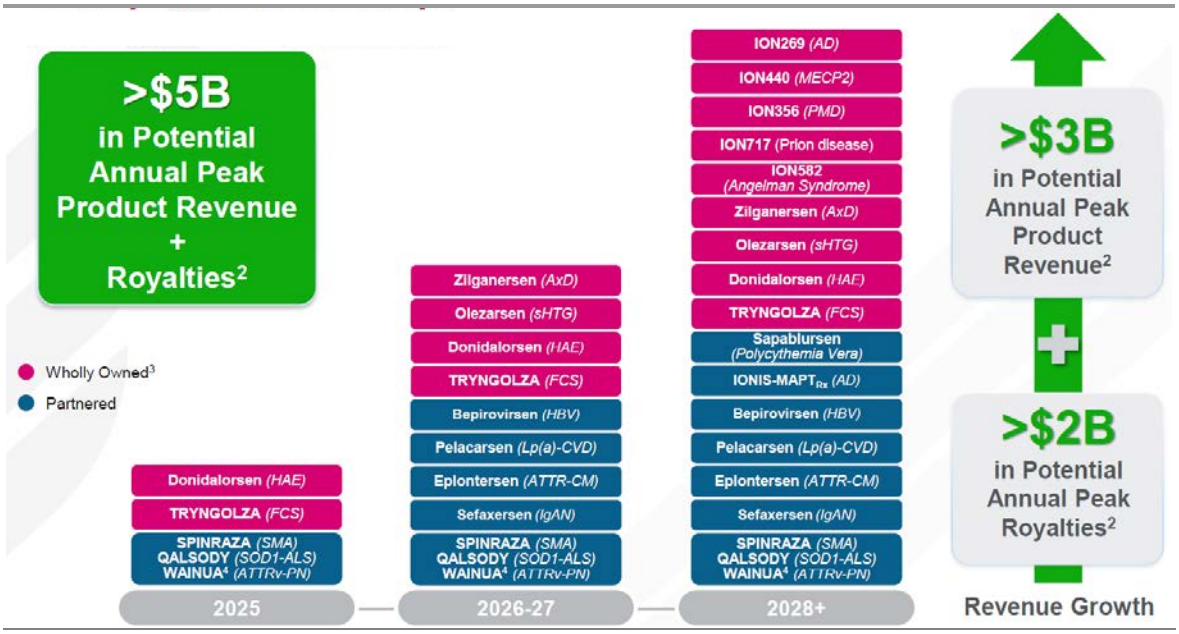
		Indication	Prevalence[2]	Next Events[3]
TRYNGOLZA (olezarsen)	IONIS[4,5]	FCS		**U.S. launch progress (2025)** **EU approval (2025)**
		sHTG		**Ph3 data (2025)[6]**
Donidalorsen	IONIS[4,7]	HAE		**U.S. approval & launch (2025)[8]**
Zilganersen	IONIS	Alexander disease		**Ph3 data (2025)[9]**
ION582	IONIS	Angelman Syndrome		**Ph3 first patient dosed (2025)** **Ph3 complete enrollment (2026)**
WAINUA (eplontersen)	IONIS AstraZeneca	ATTR-CM		**Ph3 data (2026)[10]**
Pelacarsen	NOVARTIS	Lp(a) CVD		**Ph3 data (2026)[11]**
Bepirovirsen	GSK	HBV		**Ph3 data (2026)**
Sefaxersen	Roche	IgA nephropathy		**Ph3 data (2026)**
Ulefnersen	Otsuka	FUS-ALS		**Ph3 data (2026)**
Tofersen	Biogen	Presymptomatic SOD1-ALS		**Ph3 data (2028)**

uming approval. Peak sales estimates based on current estimates and subject to change. 2. Market data on file. 3. Timing expectations are on current assumptions and are subject to change. 4. Granted Theratechnologies exclusive rights to commercialize olezarsen and donidalorsen da. 5. Granted Sobi exclusive olezarsen commercial rights outside the U.S., Canada and China 6. Olezarsen sHTG data expected in Q3:2025. nted Otsuka exclusive rights to commercialize donidalorsen in Europe and Asia Pacific regions. 8. U.S. PDUFA 8/21/25, MAA submission

<200K 200K – 500K >500K
Cardiovascular Neurology Specialty Other IONIS

Source: Ionis, 다올투자증권

Fig. 56: 아이오니스 전략: 직접 판매와 파트너십(로열티)으로 매출 극대화



Source: Ionis, 다올투자증권

앨나이람(Alnylam Pharmaceuticals)

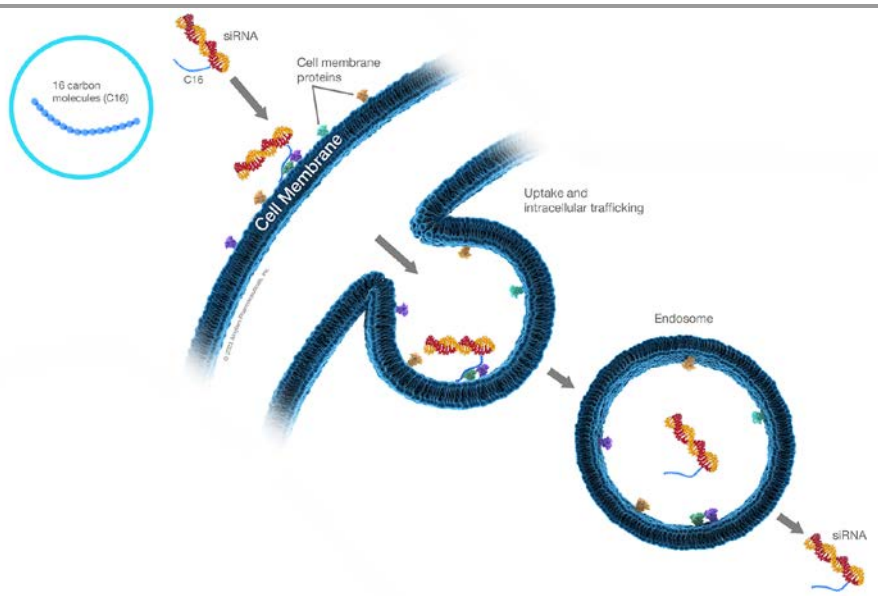
siRNA 전문 기업. 주요 품목인 암부트라 판매 효과로 외형 성장 지속

앨나이람은 RNA 간섭(RNAi) 분야의 글로벌 리더로, 간 표적 GalNAc-siRNA를 표준 플랫폼으로 확립해 희귀질환에서 심혈관/대사질환으로 시장을 확장하고 있다. 현재 6개 상용 제품을 보유하고 있으며, 암부트라(Amvuttra)를 중심으로 한 TTR 프랜차이즈 고성장이 실적을 견인하고 있다. 고혈압(질베시란), MASH(라피로시란) 등 대규모 환자군 적응증으로 포트폴리오를 확대 중이다. 로슈, 리제네론, 사노피, 노바티스 등 빅파마와의 파트너십을 통해 개발 및 상업 리스크를 분산하고 글로벌 시장을 커버하고 있다. 렉비오(Inclisiran; 고지혈증)와 암부트라(vutrisiran; hATTR-다발신경병증)의 적응증 확장에 따른 매출 성장이 기대되며, 이를 기반으로 2025년 비-GAAP 기준 흑자 유지를 목표로 하고 있다.

1) siRNA 설계로 표적성, 안전성 확보, 2) GalNAc 결합으로 반감기 증가

엘나이람의 핵심 경쟁력은 siRNA 설계 정밀도와 GalNAc 플랫폼 기반 지속 효과다. 짧은 이중 가닥(double-stranded) siRNA가 RISC 복합체에 들어가면 표적 mRNA는 절단되고 단백질 발현은 억제된다. 앨나이람은 가이드 선택성과 변형 패턴을 최적화해 비표적 유전자 억제(Off-target)를 줄이고 표적성 및 안전성을 확보했다. 또한 GalNAc 결합을 통해 간세포 수용체(ASGPR)를 경유한 흡수를 가능하게 해 분기~반기 간격의 피하 주사만으로도 효과가 유지된다. 간 외 장기 확장을 위해서는 C16 지질 변형을 도입해 타겟 장기 체류성과 세포 투과성을 개선하는 전략도 병행하고 있다.

Fig. 57: 앨나이람의 delivery 플랫폼: C16 Conjugates

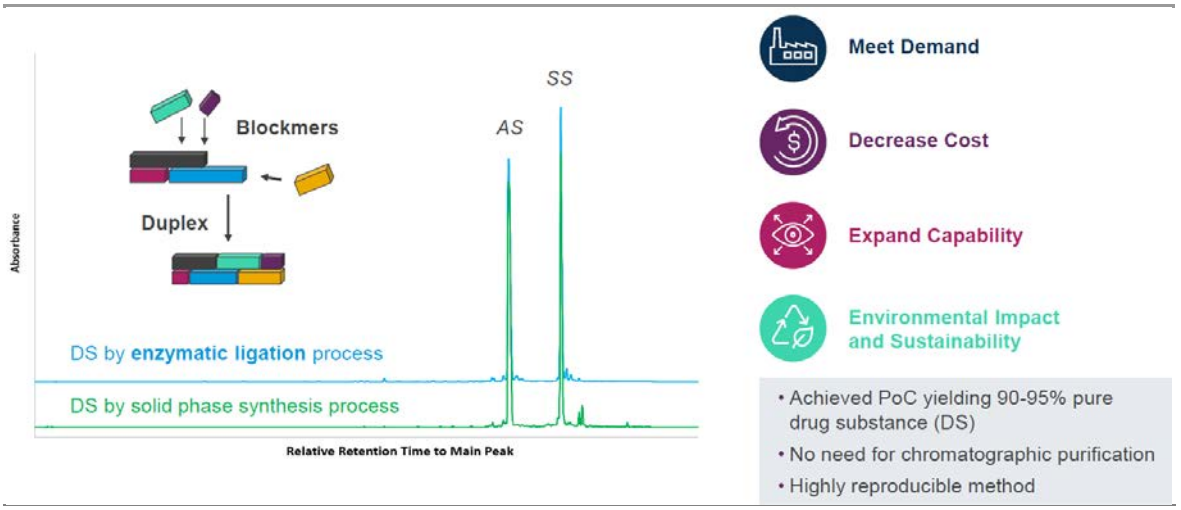


Source: Alnylam, 다올투자증권

제조 공정 개선 중. 효소 라이게이션 공정 도입으로 수율 개선 기대

제조/규제 운영은 비교적 체계화되어 있는 것으로 보인다. 회사 자료와 허가 이력에 따르면, siRNA의 핵심 품질 특성(CQA; 서열, 이중가닥 형성률, GalNAc 접합량, 변형 비율, 짧은 조각/불순물, 잔류 용매 등)과 시험법은 플랫폼 단위로 표준화되어 있다. 이에 따라 공정, 사이트 전환이나 제형 변경 시 비교성 자료와 필요한 소규모 비임상/PK 브리지로 허가 승일을 받은 사례가 다수 축적되어 있다. 제조 기술은 기존 고체상 합성(SPS; solid-phase synthesis) 중심에서 대규모 적응증 수요와 원가 절감 요구에 대응하기 위해 효소 라이게이션(Enzyme Ligation) 공정 도입을 확대 중이다. 내부 PoC(Proof of Concept) 단계에서 원료의약품(DS) 순도 90~95%를 대형 크로마토그래피 없이 재현했다고 보고했으며, 향후 수율 개선 및 원가 절감이 기대된다. 공급망은 내부(케임브리지, 노턴)와 외부(CMO)를 병행 운영 중이다. Agilent로부터 온파트로, 암부트라, 기브라리(Givosiran; 급성 간성 포르피린증)의 API를 단독 공급받고 있으며, 복수 CMO 계약과 분기별 롤링 포캐스트/용량 예약 조항으로 수요 변동에 대응하고 있다. 결과적으로 표준화된 CQA/시험법 기반과 효소 공정 도입, 내/외부 이원화 네트워크를 통해 향후 공급 안정성과 원가 경쟁력을 확보해나갈 전망이다.

Fig. 58: 효소 라인게이션 도입: 짧은 조각(블록)을 정확히 연결해 생산성 및 원가 경쟁력 높임



Source: Alnylam, 다올투자증권

기존 제품 적응증 확장으로 탑라인 성장 중

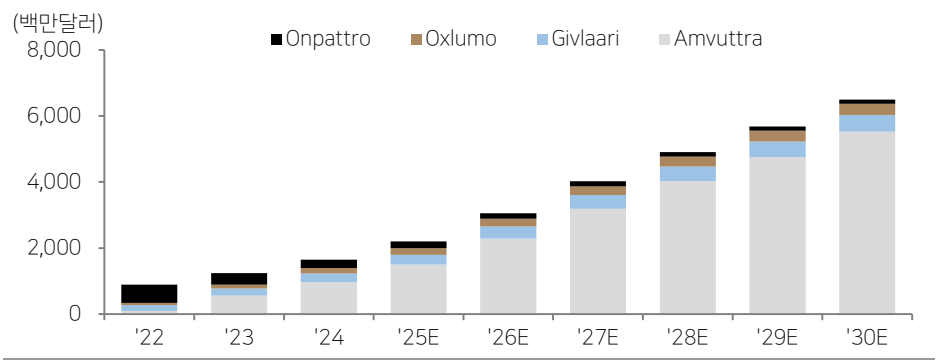
상업화 포트폴리오는 적응증 확장에 힘입어 견조한 성장을 이어가고 있다. 암부트라(vutrisiran)는 hATTR 다발신경병증에서 ATTR-CM까지 적응증을 확대했으며, 정맥주사제 온파트로(patisiran)에서 피하주사제 암부트라로의 스위치 전략이 프랜차이즈 성장을 주도하고 있다. 기브라리(givosiran)는 급성 간성 포르피리아에서 안정적인 매출 흐름을 유지하고 있으며, 옥술모(lumasiran)는 일차성 과산화옥살산뇨증(PH1)에서 신장 합병증 위험을 낮춘다. 렉비오(inclisiran)는 PCSK9 표적 siRNA로 초기 0, 3개월 투여 후 6개월마다 연 2회 투여하는 방식으로 LDL-C를 낮추며, 최근 라벨 확장으로 1차 옵션 사용 범위가 확대되어다. 온파트로(LNP 기반)를 제외하면 모두 간 표적 GalNAc-siRNA로, 장기 지속성, 정밀 표적성, 희귀질환 급여 환경을 바탕으로 안정적인 현금흐름을 창출하고 있다.

Fig. 59: 상업화(허가)된 파이프라인

제품명 (성분명)	기전(표적)	적응증	승인/상업화 시점(주요)	파트너/상업화
ONPATTRO (patisiran)	LNP-siRNA (TTR)	hATTR-PN(성인)	미국: 2018.08.10	Alnylam 자체 상업화
GIVLAARI (givosiran)	GalNAc-siRNA (ALAS1)	AHP(성인)	미국: 2019.11.20	Alnylam 자체 상업화
OXLUMO (lumasiran)	GalNAc-siRNA (HAO1/GO)	PH1(소아·성인)	미국: 2020.11.24 (sNDA 라벨 확장 2022.10.06)	Alnylam 자체 상업화
LEQVIO (inclisiran)	GalNAc-siRNA (PCSK9)	고콜레스테롤혈증/ 혼합형 이상지질혈증	EU: 2020.12.09, 미국: 2021.12.22 (sNDA 라벨 확장 2025.07.31)	Novartis 글로벌 상업화 (Alnylam 발굴, 로열티)
AMVUTTRA (vutrisiran)	GalNAc-siRNA (TTR)	hATTR-PN(성인) / ATTR-CM(성인)	미국: 2022.06.13(PN) → 2025.03.20 ATTR.CM 확장	Alnylam 자체 상업화
Qfitlia (fitusiran)	GalNAc-siRNA (Antithrombin/SERPINC1)	혈우병 A/B(≥12 세, 억제인자 유무 무관)	미국 2025.03.28	Sanofi 글로벌 상업화 (Alnylam 발굴, 로열티)

Source: Alnylam, 다올투자증권

Fig. 60: 주요 파이프라인별 매출 추이 및 전망

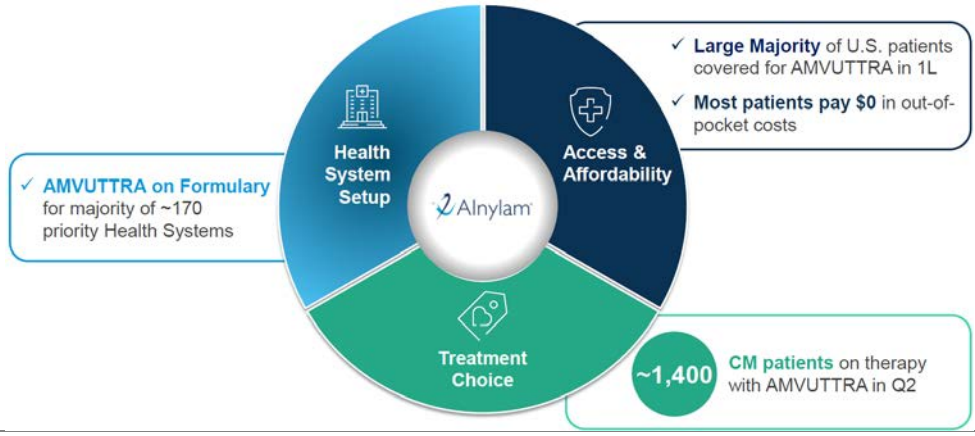


Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

렉비오, 암부트라 상업화 성공 → 후속 파이프라인 기대 확대

파이프라인 측면에서는 2H25 고혈압 치료제 질레베시란(zilebesiran)의 임상2상(KARDIA-3) 탑라인 및 심혈관(CVOT) 3상 개시, 차세대 TTR 억제제 nucresiran(ALN-TTRsc04)의 ATTR-CM, hATTR-PN 3상 진입, mivelsiran의 EOAD(조기 발병 알츠하이머병) 중간 데이터 발표가 예정되어 있다. 렉비오가 10억 달러 이상으로 매출이 안정적으로 정착했으며, 암부트라도 연 매출 10억 달러 달성 가시성이 높아졌다. 이러한 상업 성과는 후속 파이프라인 기대를 자극하는 핵심 요인으로 작용한다. 향후 대사질환/신경질환 등 주요 적응증에서의 임상 진행 속도와 결과에 따라 가치 재평가가 가능할 전망이다.

Fig. 61: 암부트라의 적응증 확장 효과



Source: Alnylam, 다올투자증권

Fig. 62: 파이프라인 현황

		PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3	APPROVED
TTR	ONPATTRO® (patisiran)	hATTR Amyloidosis with Polyneuropathy			
	AMVUTTRA® (vutrisiran)	ATTR Amyloidosis with Cardiomyopathy and hATTR Amyloidosis with Polyneuropathy			
	Nucresiran (ALN-TTRsc04)	ATTR Amyloidosis with Cardiomyopathy			
RARE	GIVLAARI® (givosiran)	Acute Hepatic Porphyria			
	OXLUMO® (lumasiran)	Primary Hyperoxaluria Type 1			
	Qfitlia™ (fitusiran)[1]	Hemophilia A or B			
	Cemdisiran[1]	Myasthenia Gravis			
	Cemdisiran[1]	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria			
	ALN-6400	Bleeding Disorders			
	AG-236 (ALN-TMP)[1]	Polycythemia Vera			
CARDIOVASCULAR	Leqvio® (inclisiran)[1]	Hypercholesterolemia			
	Zilebesiran[2]	Hypertension			
	Zilebesiran + REVERSIR[2]	Hypertension			
METABOLIC	Rapirosiran (ALN-HSD)[1]	Metabolic Dysfunction-Associated Steatohepatitis (MASH)			
	ALN-4324	Type 2 Diabetes Mellitus			
	ALN-PNP[3]	Non-Alcoholic Fatty Liver Disease (NAFLD)			
	ALN-APOC3[1]	Dyslipidemia			
	ALN-CIDEB[1]	MASH			
NEUROLOGIC	Mivelsiran[4]	Cerebral Amyloid Angiopathy			
	Mivelsiran[4]	Alzheimer's Disease			
	ALN-HTT02[5]	Huntington's Disease			
	ALN-SOD[3]	SOD1 Amyotrophic Lateral Sclerosis			
OTHER	Cemdisiran[1]	Geographic Atrophy			
	Elebsiran[1]	Hepatitis D Virus Infection			
	Elebsiran[1]	Hepatitis B Virus Infection			
	ALN-BCAT	Hepatocellular Carcinoma			
	ALN-ANG3[1]	Healthy Volunteers			
	ALN-F1202[1]	Healthy Volunteers			

Source: Alnylam, 다올투자증권

IV. 결론 및 국내 투자 전략

RNA 치료제의 리스크 해소를 위한 산업 대응: DDS, 제조, 규제 진화

RNA 치료제는 유전자 발현을 직접 조절하는 새로운 모달리티로, 희귀질환에서 출발해 대사, 심혈관, CNS 영역으로 빠르게 확장하고 있다. 그러나 구조적 리스크가 여전히 존재한다. 간 외 장기 전달 효율은 낮고, 체내 체류가 길어 반복 투여 시 누적 노출, 면역 자극, 혈소판 저하 등 장기 안전성 이슈가 발생할 수 있다. 또한 합성 수율과 대형 정제/스케일업에서 비용 부담이 크며, 규제/지불자(Payer) 측면에서는 단순 바이오마커만으로는 부족해 사망, 입원 감소 같은 사건 기반 임상 및 실사용 데이터(RWE)가 요구된다. 더불어 희귀질환 중심이라는 역사적 배경 때문에 시장 크기, 환자 발굴, 급여 협상이 까다롭고, 단백질/유전자치료 등 대체 기전 대비 임상 및 경제성 우위를 입증해야 한다.

산업은 이러한 한계를 정면으로 다루고 있다. DDS 측면에서는 화학 설계 최적화와 GalNAc, BBB 셔틀, 항체/펩타이드 결합, 국소 투여 고도화를 통해 간 외 조직(CNS, 근육, 심장, 눈 등) 도달률과 재투여 허용범위를 끌어올리고 있다. 그 결과 적응증이 확장되고, 질환, 제형에 따라 투여 간격도 분기~반기 수준으로 설계 가능성이 확인되고 있다. 제조 측면에서는 공정 단순화와 효소적 라이게이션 공정 도입, 모듈형 cGMP, Capa 증설을 통해 수율을 높이고 원가를 낮추는 방향으로 재편 중이다. 규제/급여 측면에서는 사건 기반 임상3상과 RWE 확보로 근거 허들을 낮추고, 투여 주기 최적화, 병용 전략, 대규모 환자군 적응증 확장을 통해 상업 검증을 가속하고 있다.

국내 기업 투자 전략

국내 기업 가운데서는 에이비엘바이오를 Top pick으로 제시한다. 임상 성과와 추가 L/O를 통한 리레이팅 가능성이 핵심 투자 포인트다. 올릭스는 빅파마 계약 대비 저평가 구간에 있어 차선호주로 제시하며, 에스티팜은 RNA 치료제 상업화 및 대규모 환자군 적응증 확장에 따른 생산 수요 증가의 직접적 수혜가 기대된다.

Grabody-B의 모달리티 확장 가능성. 근육 셔틀 응용 기대

1) 에이비엘바이오는 IGF1R 기반 BBB 셔틀 Grabody-B로 뇌 내 약물 도달을 가능하게 한다. 이 셔틀은 뇌 혈관 내피 수용체를 경유해 약물을 안전하게 통과시키는 구조로, 말초(간, 비장 등) 발현이 높은 TfR 셔틀 대비 안전성 부담을 낮추려는 설계다. 사업 모델은 항체 신약(ABL301; 사노피에 L/O)과 플랫폼 라이선스(GSK)의 투트랙이며, 후자는 RNA(ASO/siRNA)까지의 확장성을 전제로 한다. IGF1R의 전신 발현 특성을 통해 근육 셔틀 응용 가능성도 열려 있으며 CNS 밖으로의 적용 범위 확대가 기대된다. 핵심 체크포인트는 사람 대상 안전성/뇌 투과 데이터, RNA 모달리티 확장 여부다. ABL301은 임상1상에서 우수한 안전성을 입증했으며, 뇌 투과 데이터 공개 여부는 파트너사 사노피가 결정한다. 성과가 확인되면 Grabody-B는 항체 전용을 넘어 범용 전달 인프라로 자리매김할 수 있다.

제2 올리고동 증설. 대용량, 고순도, 안정 공급 포지셔닝

2) 에스티팜은 올리고뉴클레오타이드 CDMO에 특화된 기업으로 합성, 정제, 분석을 아우르는 cGMP 체계와 대형 Capa를 바탕으로 임상/상업용 API를 안정적으로 공급한다. 핵산 모노머(Amite; 중간체), 링커 등 원료부터 올리고 API까지 다루는 수직 통합 구조를 확보해 공급 안정성을 강화했다. 제2 올리고동 증설로 총 6개 라인을 확보했으며(2028년 추가 증설 예정), 대형 상업 수요 대응을 위한 설비 확장이 진행 중이다. 공정 측면에서는 고체상 합성(SPS) 고도화와 함께 효소 합성 방식인 라이게이션(Ligation) 신규 공정을 도입해 수율 및 원가 개선을 추진하고 있다. 글로벌 Top 3급 생산 능력과 빅파마 상업/임상 공급 트랙레코드를 바탕으로 RNA 치료제의 대규모 환자군 적응증 확산에 맞춘 '대용량, 고순도, 안정 공급' 포지셔닝을 강화하고 있다.

다양한 영역 치료제 개발 중. 빅파마, 글로벌 파트너십 확장

3) 올릭스는 GalNAc-asiRNA 기반 RNAi 플랫폼으로 간, 대사질환, 안과, 미용 영역까지 포트폴리오를 확장하고 있다. 비대칭 siRNA 설계로 오프타겟, 면역 자극을 최소화하고 지속 효과를 강화했다. 일라이 릴리와는 OLX702A(MARC1; MASH/비만) L/O를 체결해 호주 1상을 진행 중이며, 2상부터는 릴리가 개발을 주도한다. 미용 분야에서는 로레알과 OLX104C(남성형 탈모) 공동개발을 진행 중이다. 중국 한소제약에는 GalNAc-asiRNA 플랫폼을 기술이전해 후속 파이프라인 임상 진입을 준비하고 있다. '플랫폼 L/O + 핵심 과제' 병행으로 글로벌 제약사와 파트너십을 확대하고 있으며, 향후 임상 결과와 추가 L/O 계약으로 기업 가치 재평가가 가능할 전망이다.

Fig. 63: 국내 RNA 관련 기업

회사	시가총액	기술/플랫폼(요약)	대표 약물/프로그램	주요 파트너	개발 단계/상태
에이비엘 바이오	5 조 755 억원	IGF1R 표적 BBB 셔틀 Grabody-B (항체 결합형, RNA 탑재 확장 검토)	ABL301 (α-syn×IGF1R; 파킨슨)	Sanofi(ABL301 L/O), GSK(플랫폼 라이선스)	ABL301 임상 1 상, GSK 와 플랫폼 공동연구
에스티팜	1 조 9,286 억원	올리고뉴클레오타이드 API CDMO(cGMP)	상업/임상 API: Leqvio, Rytelo, Tryngolza, Spinraza 등 mRNA 백신	Novartis, Geron, Ionis, Biogen 등	상업용/임상용 공급 중, 효소 공정 개발 중
올릭스	1 조 5,362 억원	GalNAc-asiRNA + 비대칭 siRNA(오프타겟/면역↓)	OLX702A(MARC1; MASH/비만), OLX104C(탈모), OLX301A(건성 AMD)	Eli Lilly, L'Oréal, 한소제약	OLX702A 1 상 (2 상부터 Lilly 주도), OLX104C 공동개발, OLX301A 1 상 마무리/CSR 수령 예정

Source: 각 사, 다올투자증권
Note: 시가총액은 9/2 기준

V. 종목별 투자의견

에이비엘바이오 (298380) _ Top Pick

에스티팜 (237690)

올릭스 (226950)





에이비엘바이오
(298380)

—

BUY

	현재	직전	변동
투자의견	BUY		유지
적정주가	120,000	80,000	상향
Earnings			

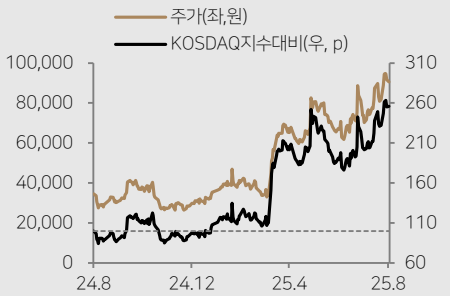
Stock Information

현재가 (9/2)	93,000원
예상 주가상승률	29.0%
시가총액	50,755억원
비중(KOSDAQ내)	1.24%
발행주식수	54,575천주
52주 최저가 / 최고가	26,400 - 94,800원
3개월 일평균거래대금	823억원
외국인 지분율	12.9%
주요주주지분율(%)	
이상훈 (외 13인)	26.6
원종화 (외 1인)	0.0
김정대 (외 1인)	0.0

Valuation wide	2024	2025E	2026E
PER(배)	n/a	337.4	n/a
PBR(배)	9.8	30.1	34.2
EV/EBITDA(배)	n/a	320.2	n/a
배당수익률(%)	0.0	0.0	0.0

Performance	1M	6M	12M	YTD
주가상승률(%)	32.5	130.5	177.2	211.0
KOSDAQ 대비 상대수익률(%)	29.7	123.8	174.0	194.0

Price Trend



DAOL 다올투자증권

이지수 제약 · 바이오 I jislee@daolfn.com
임도영 연구원 I dy.lim@daolfn.com

차세대 DDS, Grabody-B

Issue

차세대 DDS 플랫폼으로 포지셔닝 강화

Pitch

BBB 셔틀(Grabody-B) 플랫폼을 보유해 RNA 치료제 전달 분야에서 차별적 경쟁력 확보. 사노피, GSK 등 글로벌 빅파마와의 L/O로 기술력 입증. 연말 아이오니스 공동 논문 발표 및 추가 L/O 기대. 플랫폼 가치 상향 및 ABL002 파이프라인 반영으로 적정주가 12만원으로 상향. 투자의견 BUY 유지

Rationale

- BBB 셔틀은 RNA(ASO/siRNA) 분야에서 핵심 전달(DDS) 플랫폼으로 주목받고 있으며 연말 발표될 아이오니스 공동 논문을 통해 CNS뿐 아니라 근육, 심장, 말초신경 등으로의 확장 가능성이 확인될 전망
- ABL301(파킨슨병)은 임상1상에서 우수한 안전성 확인, 4Q25 임상2상 진입 예상. 임상 진전에 따라 마일스톤 수취 가능. ABL111(위식도암)은 임상1상 중간 결과에서 경쟁약물 대비 우수한 치료 효과 및 안전성 확인. 1Q26 옵디보+화학항암제 삼중요법 임상1b상 데이터 발표 예정
- ABL001(담도암)은 예상보다 낮은 사망률을 보이면서 긍정적인 OS(전체 생존) 결과 가능성 높아짐. 1Q26 임상2/3상 탑라인 발표 및 가속 승인 신청 기대. 신약 가치 반영

Earnings Forecasts (단위:십억원,%)

	2023	2024	2025E	2026E	2027E	2028E	2029E
매출액	66	33	132	73	154	46	170
영업이익	(3)	(59)	13	(24)	39	(101)	55
EBITDA	(0)	(57)	16	(21)	42	(98)	58
지배주주순이익	(3)	(56)	13	(22)	41	(100)	57
순차입금	8	(94)	(89)	(67)	(107)	(8)	(67)
매출증가율	(2.6)	(49.0)	295.0	(45.0)	112.0	(70.0)	268.3
영업이익률	(4.0)	(177.8)	9.5	(33.4)	25.5	(219.5)	32.6
지배순이익률	(4.0)	(166.2)	10.1	(30.6)	26.6	(215.9)	33.6
EPS증가율	적전	적지	흑전	적전	흑전	적전	흑전
ROE	(3.7)	(46.0)	7.5	(12.5)	21.9	(63.3)	41.9

Note: K-IFRS 연결 기준 / Source: 다올투자증권

I. Valuation

적정주가 120,000원으로 상향

에이비엘바이오에 대한 투자의견 BUY 유지하고, 적정주가를 120,000원으로 상향한다. 적정주가는 SOTP(Sum-of-the-parts) 방식으로 산출했으며, 신약가치 합계에서 순차입금을 차감하였다. ABL111(CLDN18.2 x 4-1BB)과 ABL202(ROR1 ADC)는 환율 1,330원/달러를 가정해 재산출했다. ABL301(α-synuclein x IGF1R)과 Grabody-B 플랫폼은 BBB 셔틀 적용에 따른 임상적 유효성 가시성을 반영해 가치를 상향했고, ABL001(VEGF x DLL4)은 2026년 임상2/3상 데이터 발표 및 품목 허가 신청이 예상됨에 따라 신규 반영하였다

최근 로슈의 Trontinemab(Aβ 타겟 항체 + BBB 셔틀)이 높은 뇌 투과율과 낮은 전신 노출을 통해 플라크 제거 속도 개선, ARIA 부작용 감소를 입증하면서 BBB 셔틀의 임상적 효용에 대한 신뢰가 확대되었다. 동사의 ABL301은 임상1상에서 안전성 및 내약성을 확인했으며 임상2상 개시가 임박함에 따라 임상 성공률을 30%로 상향했다. Grabody-B는 알츠하이머병 치료제 가정 하에 임상성공률 20%를 적용하고, 멀티 타겟/모달리티 확장성을 고려해 70% 프리미엄을 부여해 합산가치 2조 9,546억원으로 산출했다. 연말 발표 예정인 아이오니스 공동 논문에서 CNS 외 장기 적용 가능성이 확인될 경우, 적응증 확장에 따른 추가 상향 여지도 있다.

ABL001(tovecigmig/CTX-009; Compass Therapeutics)은 임상2/3상(담도암 2차, 파클리탁셀 병용) 중간 결과에서 ORR(객관적 반응률) 개선과 더불어 사망률이 예상보다 낮게 관측되고 있다. 파트너사 Compass Therapeutics는 임상2상 결과를 근거로 1Q26 FDA 가속 승인 신청을 계획하고 있다. 미국 담도암 2차와 1차 치료제 시장을 기준으로, 희귀암 평균 가정치인 임상 성공률 57%를 적용하여 신약가치를 산정했다.

Fig. 64: 에이비엘바이오의 SOTP(Sum-of-the-parts) 밸류에이션

구분	기업가치(십억원) 변경 전	기업가치(십억원) 변경 후	비고
에이비엘바이오 신약가치	3,581	6,343	
ABL111	1,273	1,287	환율 1,330 원 가정
ABL301	784	1,468	성공률 30% 가정
ABL202	382	391	환율 1,330 원 가정
ABL001		243	신규 반영
그랩바디 B 플랫폼	1,142	2,955	가치 상향
순차입금 (D)	(247)	(89)	2025 년말 기준
주주가치 (E= A-D)	3,827	6,432	
발행주식 수 (F, 천주)	48,282	54,306	보통주 전환
적정 주가 (E/F, 원)	79,263	118,445	
적정주가(원)	80,000	120,000	

Source: 다올투자증권

Fig. 65: ABL301(파킨슨병 치료제) 신약가치

(단위: $mn/ 십억원)	2025E	2026E	2027E	2028E	2029E	···	2037E	2038E
파킨슨병 치료제 시장	3,523.5	4,034.6	4,569.9	5,298.5	6,127.8		16,750.2	17,860.3
YoY	10.0%	14.5%	13.3%	15.9%	15.7%		8.3%	6.6%
개발단계	PH2		PH3					
ABL301 Sales							6,700	7,144
M/S							40.0%	40.0%
ABL Milestones	30		60					
ABL 경상로열티							871	929
ABL Milestones&로열티(원화환산)	40	-	80	-	-		1,158	1,235
NOPLAT	32	-	64	-	-		927	988
Sum of NPV	2,314							
Terminal Value	7,955							
PV of Terminal value	2,579							
Total PV value	4,893							
전체 가치(임상 성공률 30%)	**1,467.9**							

Source: 다올투자증권

Fig. 66: Grabody-B 플랫폼 가치

(단위: 십억원)		
Grabody-B		GSK 에 기술이전(총 4.1 조원)
알츠하이머병	1,738	알츠하이머 치료제 신약 가치
기타	1,217	신약가치의 70% 반영
합산가치(원화환산)	2,955	

Source: 다올투자증권

Fig. 67: Grabody-B 플랫폼 가치(알츠하이머병 치료제 가정)

(단위: $mn/ 십억원)	2025E	2026E	2027E	2028E	2029E	···	2039E	2040E
알츠하이머병 치료제 시장	1,312	2,049	3,306	5,130	7,694		38,295	40,609
YoY	52.6%	56.1%	61.4%	55.2%	50.0%		6.7%	6.0%
개발단계		PH1		PH2				
ABL Sales							15,318	16,244
M/S							40.0%	40.0%
ABL Milestones		50		160				
ABL 경상로열티							1,991	2,112
ABL Milestones &로열티(원화환산)	-	66	-	213	-		2,648	2,809
NOPLAT	-	53	0	170	0		2,119	2,247
Sum of NPV	3,759							
Terminal Value	18,087							
PV of Terminal value	4,931							
Total PV value	8,690							
전체 가치(임상 성공률 20%)	**1,738.0**							

Source: 다올투자증권

Fig. 68: ABL001(담도암) 신약 가치

(단위: $mn/ 십억원)	2025E	2026E	2027E	2028E	2029E	···	2035E	2036E
담도암 환자 수	23,230	23,462	23,697	23,934	24,173		25,660	25,917
1 차	19,513	19,708	19,905	20,104	20,306		21,555	21,770
M/S					5%		35%	35%
2 차	16,586	16,752	16,920	17,089	17,260		18,322	18,505
M/S		3%	8%	15%	20%		40%	40%
개발단계		출시						
ABL001 Sales		13	35	68	121		483	502
ABL 경상로열티		2	5	9	16		63	65
ABL 로열티(원화환산)	-	2	6	12	21		83	87
NOPLAT	-	2	5	9	17		67	69
Sum of NPV	232							
Terminal Value	470							
PV of Terminal value	198							
Total PV value	429							
전체 가치(임상 성공률 57%)	**242.9**							

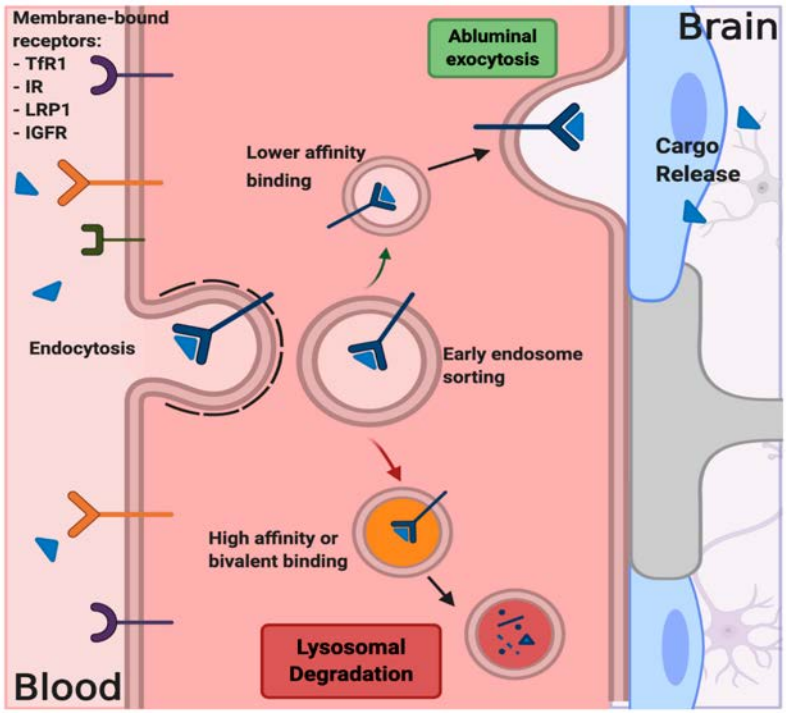
Source: 다올투자증권

II. Grabody-B: BBB 셔틀의 확장 가능성

CNS 항체에 필요한 BBB 셔틀

퇴행성 뇌질환(Central Nervous System; CNS)에서 기존 CNS 항체(Aβ, Tau, α-synuclein 등)는 낮은 BBB(혈액뇌장벽) 투과율 때문에 고용량 투여가 필요했고, 그 결과 제한적인 약효와 ARIA(Amyloid Related Imaging Abnormalities; 부종, 출혈 등) 부작용이 나타났다. 이를 보완하기 위해 BBB 셔틀(RMT; 수용체 매개 횡단수송)이 부상했으며, 핵심은 더 낮은 전신 용량으로 더 높은 뇌 투과율을 확보해 약효를 높이고 안전성 부담은 낮추는 것이다. 실제 로슈의 트론티네맙(Trontinemab; Aβ x TfR1)은 최근 발표된 임상1b/2a 데이터에서 환자의 91%가 아밀로이드 감소(<24 CL)를 확인했고, ARIA 발생률은 <5%로 보고되어 "높은 뇌 투과-저용량 → 플라크 제거 가속 및 ARIA 부담 완화"를 입증했다. 현재는 TfR1 기반 BBB 셔틀 연구가 주류지만, DDS 확장성과 표적 안전성 측면에서 IGF1R이 대안으로 부상하고 있다.

Fig. 69: BBB를 투과할 수 있는 셔틀(RMT)



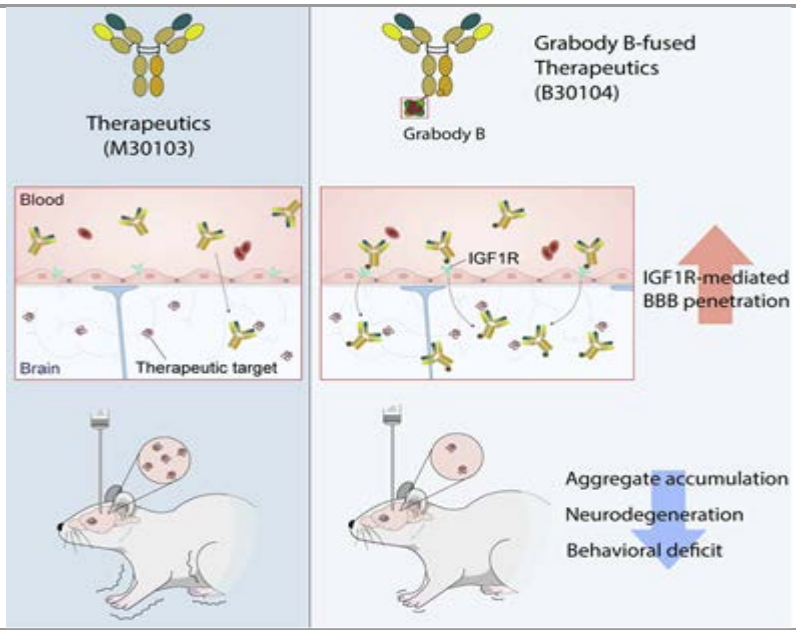
Source: Addressing BBB Heterogeneity: A New Paradigm for Drug Delivery to Brain Tumors, 다올투자증권

IGF1R 기반 Grabody-B, CNS에서 말초 장기까지 확장 잠재력

에이비엘바이오의 Grabody-B는 IGF1R에 비간섭적으로 결합해 약물을 BBB 너머로 운반하녀서도 IGF1R의 성장, 대사 신호는 건드리지 않도록 설계됐다. IGF1R은 뇌뿐 아니라 근육, 심장, 말초신경 등 전신 조직에 발현되어 있어 확장 가능성이 크다.

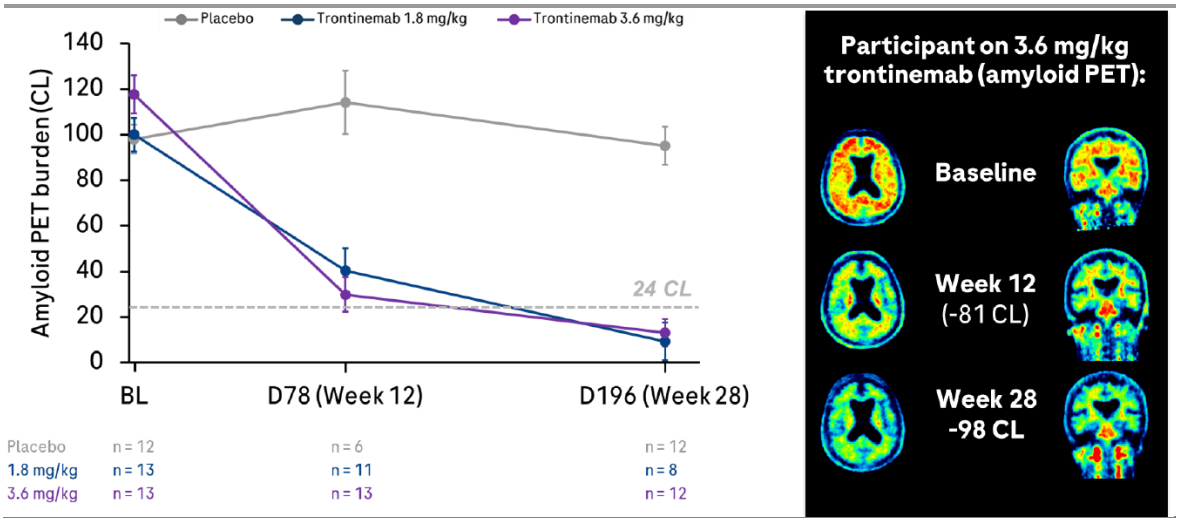
2025년 4월, GSK는 동사의 Grabody-B 플랫폼을 기술 도입하며 항체뿐 아니라 siRNA, ASO 등 올리고 적용을 명시했다. Sanofi에 L/O된 ABL301(α-synuclein x IGF1R; 파킨슨병)은 임상1상에서 안전성이 확인되었고 2상 개시가 임박했다. 사람 대상 정량적 뇌투과율 수치는 아직 공개되지 않았으나, 계약 체결과 개발 속도를 감안할 때 연구 성과는 우호적으로 평가되고 있다. 또한 Ionis와 공동으로 IGF1R 셔틀 기반 올리고 전달 기술을 연구하고 있으며, 연내 논문 발표가 예상된다. 만약 IGF1R 기반 RNA 전달이 실제로 입증된다면, CNS를 넘어 대사, 근육, 심혈관질환 등으로 적응증 확장이 가능하고, 글로벌 DDS 경쟁 구도 속 핵심 플랫폼으로서 기업가치 프리미엄을 높일 수 있다.

Fig. 70: Grabody-B 기반 IGF1R 셔틀을 통한 BBB 투과 및 뇌 내 치료 효과



Source: Grabody B, an IGF1 receptor-based shuttle, mediates efficient delivery of biologics across the blood-brain barrier, 다올투자증권

Fig. 71: Trontinemab 임상1b/2a상(아밀로이드 플라크 감소): 28주 후 91%가 <24 CL 도달



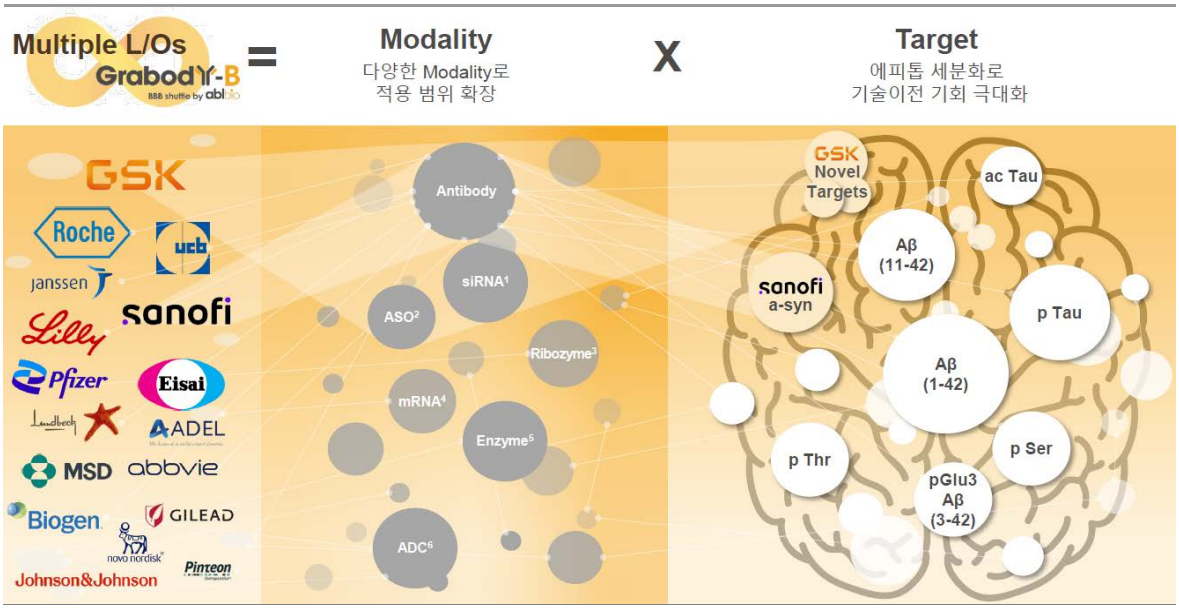
Source: Roche, 다올투자증권

Fig. 72: Trontinemab 임상1b/2a상: 안전성

구분	세부 내용
전반적 평가	- 전반적으로 우호적인 안전성 프로파일 확인 - 고용량군(Cohort 4)에서 SAE, 중단률 더 낮음
주입 관련 반응 (IRR)	- 대부분 경증~중등도, 스테로이드 사전투여로 유의미하게 감소 - 1 차 투여 직후에 집중 발생, 이후 점진적 감소 - IRR 발생률: Cohort 3 (1.8 mg/kg): 50.0% (38/76 명) Cohort 4 (3.6 mg/kg): 45.2% (33/73 명)
ARIA-H (뇌출혈)	- 대부분 경증, 일시적 회복 가능 - 용량 비의존적, 치료 중단 사례 없음 - ARIA-H 발생률: Cohort 3: 6.6% / 미세출혈 2 명, 표재성 철침착증 3 명 Cohort 4: 2.7% / 미세출혈 2 명, 표재성 철침착증 0 명
ARIA-E (뇌부종/삼출)	- 모두 경증 또는 무증상, MRI 상 4~8 주 내 해소 - 동반 증상 거의 없음 - ARIA-E 발생률: Cohort 3: 3.9% Cohort 4: 1.4%
중대한 이상반응 (SAE)	- Cohort 3: 사망 1 건 (78 세 여성, 대뇌출혈/기저질환자), IRR, 뇌경색 등으로 치료 중단 사례 존재 - Cohort 4: 사망 없음, SAE 및 치료 중단 건수 적고 지속률 우수

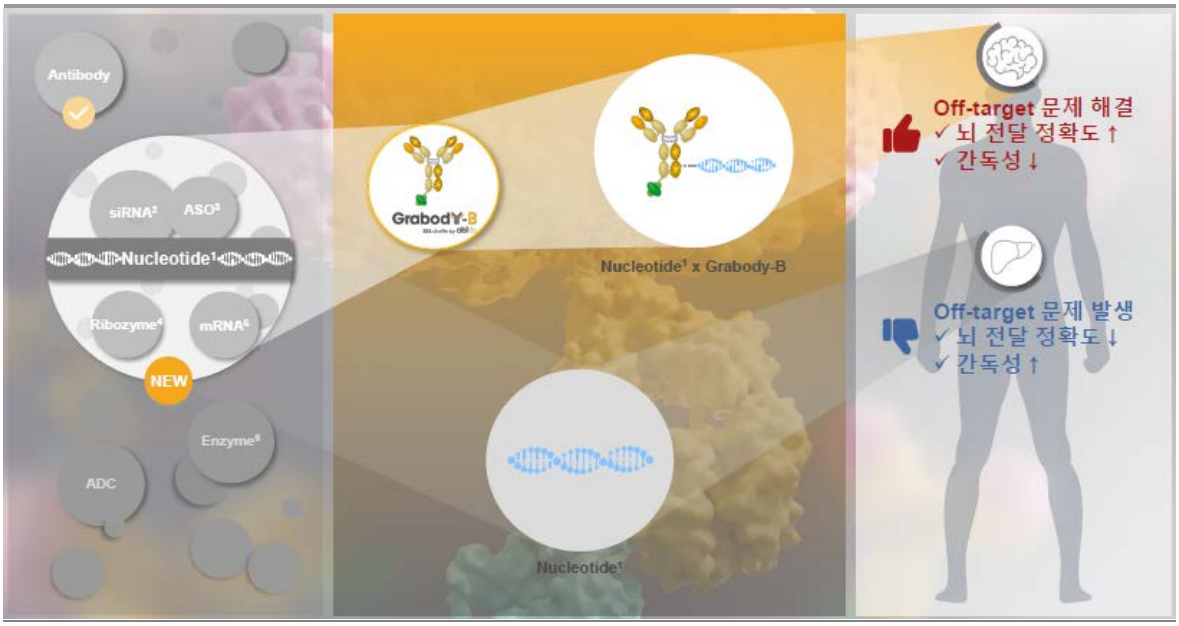
Source: Roche 다올투자증권

Fig. 73: Grabody-B의 모달리티 및 타겟 확장성



Source: 에이비엘바이오, 다올투자증권

Fig. 74: GSK와 뉴클레오타이드로의 영역 확장 시작



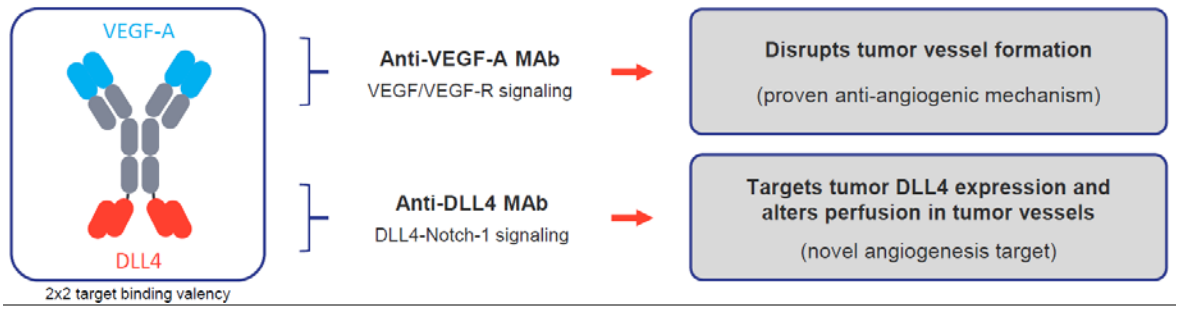
Source: 에이비엘바이오, 다올투자증권

III. 항암제도 잘 하고 있다

ABL001(담도암)은 임상2/3상에서 1차 평가 지표 충족. PFS 및 OS 데이터는 1Q26 발표 예정

에이비엘바이오는 다수의 항암제를 개발 중이며, 이 중 가장 빠른 상업화가 예상되는 파이프라인은 ABL001(VEGF x DLL4; Tovecimig/CTX-009)이다. ABL001은 VEGF-A와 DLL4를 동시에 차단해 항혈관신생 치료의 VEGF 저항 메커니즘을 억제하도록 설계된 이중항체이다. Compass Therapeutics에 L/O되어 담도암 2차 치료에서 Paclitaxel 병용요법으로 임상2/3상 진행 중이다. 2025년 4월 중간 결과에서 병용군 ORR(객관적 반응률) 17.1%(vs. Paclitaxel 5.3%)로 1차 평가 지표를 충족했으며 안전성은 기존 연구와 유사한 프로파일을 보였다. 2차 평가지표(PFS(무진행생존기간)/OS(전체 생존기간))는 사건(진행/사망) 발생이 예상보다 적어 데이터 성숙 시점이 1Q26으로 지연될 전망이다. Compass Therapeutics는 이번 2상 결과를 기반으로 FDA 가속 승인 신청할 예정이며 심사 일정에 따라 빠르면 2026년내 품목 허가가 기대된다.

Fig. 75: ABL001 작용기전



Source: Compass Therapeutics, 다올투자증권

Fig. 76: ABL001 임상2/3상 중간결과: 1차 평가지표(ORR)

COMPANION-002 Study (BTC)		Tovecimig + Paclitaxel	Paclitaxel
Intent-to-Treat Population		n=111	n=57
Overall Response Rate (CR+PR)		**19 (17.1%)**	3 (5.3%)
Two-Sided p-value		**p=0.031**	
Best Overall Response (RECIST v1.1 by blinded independent radiology review)	Complete Response (CR)	**1 (0.9%)**	0 (0.0%)
	Partial Response (PR)	**18 (16.2%)**	3 (5.3%)
	Stable Disease (SD)	49 (44.1%)	19 (33.3%)
	Non-CR / Non-PD*	9 (8.1%)	2 (3.5%)
	Progressive Disease (PD)	**18 (16.2%)**	24 (42.1%)
	Not Evaluable (NE)**	16 (14.4%)	9 (15.8%)

Source: Compass Therapeutics, 다올투자증권

Fig. 77: ABL001 임상2/3상 중간결과: 2차 평가지표(OS/PFS)

Trial Fully Enrolled Aug 2024

168 patients with advanced biliary tract cancer
Currently >17 months median follow-up

Achieved Primary Endpoint

17.1% overall response rate (ORR)
vs 5.3% for paclitaxel (p=0.031)

Secondary Endpoints:
80% OS events triggers analyses of overall survival (OS) and progression free survival (PFS)

Fewer deaths in the study at this time than projected
80% OS event threshold has not yet been met
Analysis of PFS and OS projected to occur in Q1 2026

Reference: ABC-06[1] study of FOLFOX in patients with BTC treated in the second-line setting

- ABC-06 Study: <10% OS at 18 months (median OS = 6.2 months)
- COMPANION-002: >20% OS at >17 month median follow-up

Source: Compass Therapeutics, 다올투자증권

Fig. 78: 경쟁약물과 비교

Line	Program	N	ORR	Median Progression Free Survival / Median Overall Survival (Months: 0 2 4 6 8 10 12 14)
				First Line
1L	Gem/Cis + Durv[1]	341	26.7%	7.2 m — 12.8 m
1L	Gem/Cis + Pembro[2]	533	28.7%	6.5 m — 12.7 m
				Second Line
2L	ABC-06[3]	81 BSC	0%	5.3 m
		81 FOLFOX	5%	4.0 m — 6.2 m
				Tovecimig* in 2L
2L	Tovecimig + Paclitaxel[4]	111	**17.1% (p=0.031)**	PFS / OS Data Expected Q1 2026

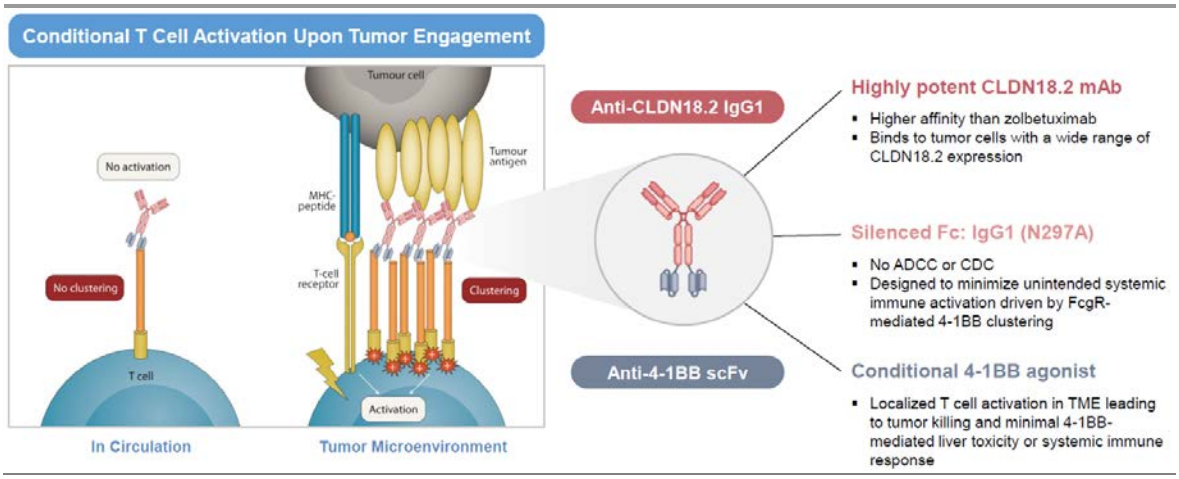
Source: Compass Therapeutics, 다올투자증권

ABL111(위암)은 삼중병용에서 유효성 입증. 임상1b상 데이터는 1Q26 공개 예정

ABL111(CLDN18.2 x 4-1BB)은 위암에서 과발현되는 CLDN18.2를 표적으로 삼아, T세포 4-1BB(CD137)를 종양 미세환경에서만 조건부 활성화되도록 설계된 이중항체이다. 전신 4-1BB 작용제의 간독성을 피하면서 항종양 면역을 증폭시키는 것이 핵심 기전이다.

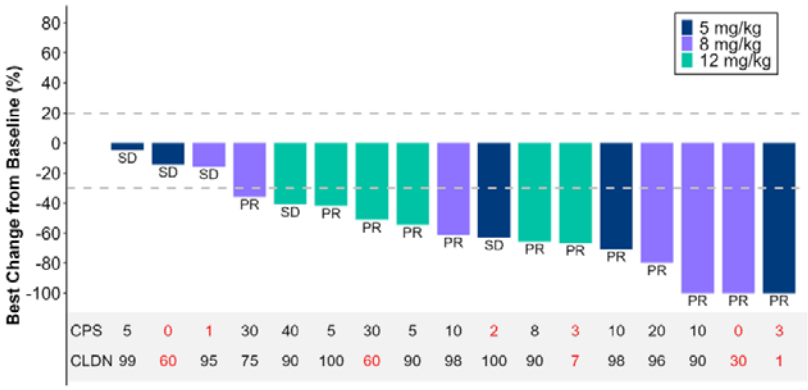
I-MAB과 공동 개발 중으로 현재 CLDN18.2 양성 위암/위식도접합부(GEJ)암 환자 대상 임상1b상이 진행 중이며 ESMO GI(유럽종양학회 소화기암 학술대회)에서 단독요법과 옵디보(Nivolumab)+ 폴폭스(mFOLFOX6) 병용요법의 중간 결과를 발표했다. 1차 병용요법에서 ORR 71%와 DCR(질병 조절률) 100%가 관찰됐고, 8mg/kg 및 12mg/kg 용량군에서는 ORR 83%를 기록했다. 특히 CLDN18.2 저발현 환자에서도 반응 사례가 나타나 발현 강도에 대한 의존성이 완화될 가능성이 확인되었다. 간독성 신호는 제한적이었으며 임상 중단률도 낮아 전반적으로 양호한 내약성이 확인되었다. 현재 용량 확장(Dose Expansion) 파트 환자 모집 완료했으며 1Q26에 57명 대상 병용(삼중요법) 최종 데이터 공개할 계획이다. 긍정적인 결과 발표 시 Best-in-class로서 1차 치료제 시장 진입이 가능할 전망이다.

Fig. 79: ABL111(Givastomig) 작용 기전



Source: I-MAB, 다올투자증권

Fig. 80: 임상1b상 중간 데이터: ABL111+옵디보+폴폭스 삼중요법 ORR 71% 기록



Biomarker	ORR: % (n) All Escalation (n=17)	ORR: % (n) Expansion Cohorts (8 & 12 mg/kg) (n=12)
Total	71 (12/17)	83 (10/12)
PD-L1		
≥ 5	82 (9/11)	89 (8/9)
< 5	50 (3/6)	67 (2/3)
≥ 1	73 (11/15)	82 (9/11)
< 1	50 (1/2)	100 (1/1)
CLDN18.2		
≥ 75	67 (8/12)	78 (7/9)
< 75	80 (4/5)	100 (3/3)

ORR: % (n)	PD-L1 ≥ 5	PD-L1 < 5
CLDN18.2 ≥ 75	80 (8/10)	0 (0/2)
CLDN18.2 < 75	100 (1/1)	75 (3/4)

Source: I-MAB, 다올투자증권

Fig. 81: 임상1b상 중간 데이터: 표준요법 대비 우수한 안전성

TRAE (any drug), TEAE

	Givastomig Dose Escalation (n=17)				CHECKMATE-649[1] (n=1,549)		SPOTLIGHT[2] (n=557)	
	Givastomig (All doses) Escalation Combo (n=17)		Givastomig (8 mg/kg + 12 mg/kg) Escalation Combo (n=12)		mFOLFOX6 / CapeOX (n=767)	mFOLFOX6 / CapeOX + Nivo (n=782)	mFOLFOX6 (n=278)	mFOLFOX6 + Zolbe (n=279)
AST increased								
All Grades	3 (18%)	2 (12%)	1 (8%)	1 (8%)	9%	16%	16%	18%
≥ Grade 3	1 (6%)	1 (6%)	0%	0%	1%	2%	3%	1%
ALT increased								
All Grades	3 (18%)	2 (12%)	1 (8%)	1 (8%)	7%	11%	17%	12%
≥ Grade 3	2 (12%)	1 (6%)	0%	0%	1%	1%	3%	1%
Neutropenia								
All Grades	12 (71%)	12 (71%)	8 (67%)	8 (67%)	39%	45%	67%	71%
≥ Grade 3	6 (35%)	6 (35%)	4 (33%)	4 (33%)	21%	26%	48%	53%
Nausea								
All Grades	10 (59%)	9 (53%)	8 (67%)	7 (58%)	38%	41%	61%	82%
≥ Grade 3	0%	0%	0%	0%	2%	3%	6%	16%
Vomiting								
All Grades	7 (41%)	6 (35%)	7 (58%)	6 (50%)	22%	25%	36%	67%
≥ Grade 3	0%	0%	0%	0%	3%	2%	6%	16%
IRR								
All Grades	7 (41%)	7 (41%)	7 (58%)	7 (58%)	NR	NR	NR	NR
≥ Grade 3	1 (6%)	1 (6%)	1 (8%)	1 (8%)	NR	NR	NR	NR

Source: I-MAB, 다올투자증권

Fig. 82: 파이프라인 현황



Source: 애이비엘바이오, 다올투자증권

SUSTINVEST

에이비엘바이오

등급	자산규모	평가시기	섹터
B	5천억미만	2025 상반기	제약, 생명공학 및 생명과학
	ESG점수	전체순위	섹터내순위
	53.1	891/1295	63/99

연도별 성과

2023	BB
2024	BB
2025	B

섹터내 규모별 기업비교

자산규모	최상위기업	최하위기업
2조이상	유한양행	한미약품
5천억이상	HK이노엔	엑세스바이오
5천억미만	경보제약	메지온

ESG 성과

부문	평가항목	점수	섹터평균	가중치	섹터대비
E(환경)		**0.0**	**23.3**	**15%**	▼
	혁신 활동	0.0	15.3	중	▼
	생산 공정	0.0	28.0	상	▼
	공급망 관리	평가제외	평가제외	평가제외	-
	생물다양성	평가제외	평가제외	평가제외	-
S(사회)		**32.6**	**44.3**	**35%**	▼
	인적자원 관리	42.4	45.3	상	▼
	공급망 관리	14.5	42.1	하	▼
	고객 관리	20.0	46.1	하	▼
	사회공헌 및 지역사회	5.3	37.8	하	▼
G(지배구조)		**62.5**	**58.2**	**50%**	▲
	주주의 권리	50.8	49.5	중	▲
	정보의 투명성	67.0	60.8	하	▲
	이사회의 구성과 활동	65.3	56.0	중	▲
	이사의 보수	49.9	72.9	하	▼
	관계사 위험	100.0	76.8	하	▲
	ESG경영 인프라	25.7	35.7	하	▼

컨트로버시 이슈 (없음)

※ 추가 이슈는 Controversy 시트에서 확인 가능함.

해당사항 없음

*컨트로버시 및 심각성 평가 방법론

- 컨트로버시 레벨: 심각성과 재발가능성 고려
- 심각성: 이해관계자 피해규모와 이해관계자 및 기타주체 반응 수준 고려
- 이해관계자의 피해규모: 이해관계자의 종류에 따라 다른 평가 방법 적용
- 이해관계자 및 기타주체의 반응 수준: 해당 이벤트가 사회적으로 가져온 파장과 다양한 이해관계자들과 기타주체들의 반응 유효 여부 평가

주주환원정책

연도	배당성향	배당성향 섹터중앙값	TSR (총주주환원율)
2022	0.0%	24.4%	4.1%
2023	-	17.5%	7.0%
2024	-	19.8%	21.5%

에이비엘바이오 재무제표 (K-IFRS 연결)

대차대조표

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
유동자산	75.5	144.2	139.6	117.2	156.7
현금성자산	36.3	137.3	132.8	110.6	150.0
매출채권	0.1	0.6	0.6	0.2	0.3
재고자산	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
비유동자산	84.6	87.8	103.5	102.4	102.9
투자자산	6.0	0.0	0.1	0.1	0.2
유형자산	76.0	85.4	100.5	99.3	99.9
무형자산	2.5	2.4	2.9	2.9	2.8
자산총계	160.1	232.0	243.1	219.5	259.5
유동부채	41.8	63.4	53.7	52.3	51.4
매입채무	9.2	14.0	4.5	3.0	2.1
유동성이자부채	0.8	43.6	43.2	43.2	43.2
비유동부채	44.3	1.3	0.9	1.0	1.0
비유동이자부채	43.2	0.0	0.2	0.2	0.2
부채총계	86.1	64.7	54.7	53.2	52.4
자본금	23.9	27.0	30.0	30.0	30.0
자본잉여금	363.8	511.0	517.0	517.0	517.0
이익잉여금	(342.3)	(398.3)	(384.9)	(407.1)	(366.2)
자본조정	28.7	27.6	26.4	26.4	26.4
자기주식	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
자본총계	74.1	167.3	188.5	166.3	207.1
투하자본	79.0	73.6	99.1	99.1	100.5
순차입금	7.6	(93.7)	(89.4)	(67.2)	(106.6)
ROA	(1.5)	(28.3)	5.6	(9.6)	17.1
ROE	(3.7)	(46.0)	7.5	(12.5)	21.9
ROIC	(2.9)	(56.4)	10.5	(17.7)	28.6

손익계산서

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
매출액	65.5	33.4	131.9	72.6	153.8
증가율 (Y-Y,%)	(2.6)	(49.0)	295.0	(45.0)	112.0
영업이익	(2.6)	(59.4)	12.5	(24.2)	39.3
증가율 (Y-Y,%)	적전	적지	흑전	적전	흑전
EBITDA	(0.0)	(57.0)	15.6	(21.2)	42.3
영업외손익	(0.0)	3.8	0.9	2.0	1.6
순이자수익	(0.9)	1.8	2.0	2.0	1.9
외화관련손익	0.7	1.4	(1.8)	(0.6)	(1.0)
지분법손익	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
세전계속사업손익	(2.6)	(55.5)	13.4	(22.2)	40.9
당기순이익	(2.6)	(55.5)	13.4	(22.2)	40.9
지배기업당기순이익	(2.6)	(55.5)	13.4	(22.2)	40.9
증가율 (Y-Y,%)	적전	적지	흑전	적전	흑전
NOPLAT	(1.9)	(43.0)	9.1	(17.6)	28.5
(+) Dep	2.6	2.4	3.1	3.0	3.0
(-) 운전자본투자	21.0	(11.2)	9.2	1.2	1.0
(-) Capex	5.8	9.1	16.1	1.6	3.4
OpFCF	(26.1)	(38.6)	(13.1)	(17.3)	27.1
3 Yr CAGR & Margins					
매출액증가율(3Yr)	n/a	n/a	25.2	3.5	66.4
영업이익증가율(3Yr)	n/a	n/a	139.7	n/a	n/a
EBITDA증가율(3Yr)	n/a	n/a	68.9	n/a	n/a
순이익증가율(3Yr)	n/a	n/a	60.9	n/a	n/a
영업이익률(%)	(4.0)	(177.8)	9.5	(33.4)	25.5
EBITDA마진(%)	(0.0)	(170.5)	11.8	(29.2)	27.5
순이익률 (%)	(4.0)	(166.2)	10.1	(30.6)	26.6

현금흐름표

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
영업현금	(28.4)	(69.4)	6.6	(21.0)	42.2
당기순이익	(2.6)	(55.5)	13.4	(22.2)	40.9
자산상각비	2.6	2.4	3.1	3.0	3.0
운전자본증감	(33.0)	(20.8)	(12.9)	(1.2)	(1.0)
매출채권감소(증가)	0.4	0.9	(0.6)	0.4	(0.0)
재고자산감소(증가)	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
매입채무증가(감소)	0.6	3.6	(11.6)	(1.5)	(0.9)
투자현금	29.9	(47.2)	64.4	(1.2)	(2.8)
단기투자자산감소	35.7	(38.2)	80.8	0.6	0.7
장기투자증권감소	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
설비투자	(5.8)	(9.1)	(16.1)	(1.6)	(3.4)
유무형자산감소	0.7	0.9	1.6	(0.2)	(0.1)
재무현금	1.4	144.6	5.4	0.0	0.0
차입금증가	1.7	(1.3)	(0.6)	0.0	0.0
자본증가	1.7	145.9	6.0	0.0	0.0
배당금지급	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
현금 증감	2.9	28.2	75.8	(22.2)	39.4
총현금흐름(Gross CF)	7.4	(51.1)	17.6	(19.8)	43.1
(-) 운전자본증가(감소)	21.0	(11.2)	9.2	1.2	1.0
(-) 설비투자	5.8	9.1	16.1	1.6	3.4
(+) 자산매각	0.7	0.9	1.6	(0.2)	(0.1)
Free Cash Flow	4.3	(119.0)	69.1	(22.2)	39.4
(-) 기타투자	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
잉여현금	4.3	(119.0)	69.1	(22.2)	39.4

주요투자지표

(단위: 원, 배)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
Per share Data					
EPS	(55)	(1,150)	276	(408)	752
BPS	1,494	3,050	3,089	2,720	3,402
DPS	0	0	0	0	0
Multiples(x,%)					
PER	n/a	n/a	337.4	n/a	123.6
PBR	16.5	9.8	30.1	34.2	27.3
EV/ EBITDA	n/a	n/a	320.2	n/a	117.6
배당수익율	0.0	0.0	n/a	n/a	n/a
PCR	158.9	n/a	287.4	n/a	129.5
PSR	18.0	48.4	38.3	77.0	36.3
재무건전성 (%)					
부채비율	116.2	38.7	29.0	32.0	25.3
Net debt/Equity	10.3	n/a	n/a	n/a	n/a
Net debt/EBITDA	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
유동비율	180.9	227.5	259.8	224.1	304.8
이자보상배율	n/a	32.3	n/a	11.9	n/a
이자비용/매출액	3.3	0.1	0.4	0.4	0.2
자산구조					
투하자본(%)	65.1	34.9	42.7	47.2	40.1
현금+투자자산(%)	34.9	65.1	57.3	52.8	59.9
자본구조					
차입금(%)	37.2	20.7	18.7	20.7	17.3
자기자본(%)	62.8	79.3	81.3	79.3	82.7

자료: 다올투자증권

에스티팜

(237690)

—

BUY

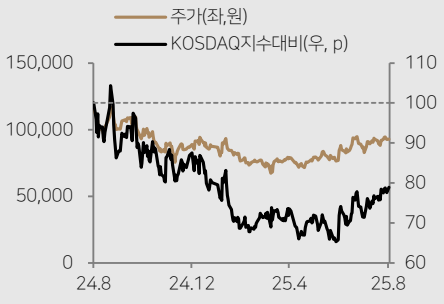
	현재	직전	변동
투자의견	BUY		유지
적정주가	120,000		유지
Earnings			

Stock Information	
현재가 (9/2)	95,700원
예상 주가상승률	25.4%
시가총액	19,286억원
비중(KOSDAQ내)	0.47%
발행주식수	20,153천주
52주 최저가 / 최고가	67,300 - 117,000원
3개월 일평균거래대금	133억원
외국인 지분율	5.8%
주요주주지분율(%)	
동아쏘시오홀딩스 (외 5인)	38.7
에스티팜우리사주 (외 1인)	0.5

Valuation wide	2024	2025E	2026E
PER(배)	51.6	61.1	41.3
PBR(배)	3.7	3.8	3.5
EV/EBITDA(배)	34.8	27.5	21.3
배당수익률(%)	0.6	0.5	0.5

Performance	1M	6M	12M	YTD
주가상승률(%)	15.7	25.1	(13.5)	7.6
KOSDAQ 대비 상대수익률(%)	13.0	18.4	(16.7)	(9.4)

Price Trend



DAOL 다올투자증권

이지수 제약 · 바이오 | jislee@daolfn.com
임도영 연구원 | dy.lim@daolfn.com

RNA CDMO, 본게임 시작

Issue

RNA 상업화 확대로 생산 물량 증가 전망

Pitch

RNA 치료제의 승인 및 적응증 확대로 상업 배치 수요 증가 중. 10월 가동되는 제2 올리고동은 임상~상업 생산 전주기 대응 가능. 캐파 가동률과 수율 개선에 따른 레버리지 효과 기대. 투자의견 BUY 및 적정주가 12만원 유지

Rationale

- 글로벌 Top 3 올리고 CDMO로, 다수의 빅파마에 올리고 API 공급 중. 4Q25 제2 올리고동 가동으로 Capa 약 2배 확대, 임상 초기부터 상업 생산까지 전 주기 대응 강화
- ASO/siRNA가 희귀질환에서 심혈관, MASH, CNS 등 대중적인 질환으로 확장 중이며, 임상 효능도 가시화되는 중. 7월 렉비오(고지혈증) 단독요법 승인으로 처방 확대 기대. 하반기 올레자르센(가족성 킬로미크론증)의 중증 고중성지방혈증 임상3상 데이터 발표가 예정되어 있어 승인 시 생산 물량 증대 가능
- 올리고 공급 일정상 매출은 4분기에 집중될 전망. 여기에 제2 올리고동 본격 가동 전 임상 시료 생산으로 3분기는 감가상각비, 가동비 선반영돼 둔화 가능성 있으나, 4분기부터 생산 정상화와 Capa 확장 효과로 호실적 예상

Earnings Forecasts (단위: 십억원,%)

	2023	2024	2025E	2026E	2027E	2028E	2029E
매출액	285	274	330	420	532	654	766
영업이익	34	28	45	63	85	122	160
EBITDA	57	53	73	94	117	154	193
지배주주순이익	20	35	32	47	64	91	120
순차입금	120	62	86	73	42	(12)	(102)
매출증가율	14.3	(3.9)	20.5	27.2	26.7	23.0	17.1
영업이익률	11.8	10.1	13.7	15.0	16.1	18.6	20.9
지배순이익률	6.9	12.7	9.6	11.1	12.1	13.9	15.7
EPS증가율	8.8	65.4	(9.0)	47.9	37.6	41.8	31.7
ROE	4.9	7.3	6.4	9.2	11.6	14.8	17.0

Note: K-IFRS 연결 기준 / Source: 다올투자증권

Fig. 83: 에스티팜 실적 추정 (십억원, %)

	1Q24	2Q24	3Q24	4Q24	1Q25	2Q25	3Q25E	4Q25E	2023	2024	2025E
매출액	51.7	44.6	61.7	115.7	52.4	68.3	62.2	147.0	285.0	273.8	329.9
YoY	2.1	(22.8)	10.3	(3.3)	1.4	53.1	0.9	27.0	14.3	(3.6)	20.5
신약 API	38.9	25.7	45.2	92.6	39.3	50.9	40.9	122.4	200.8	202.4	253.6
Small Molecule	4.4	1.6	8.8	10.9	1.1	6.7	9.9	15.0	23.3	25.7	32.7
Oligonucleotide	34.5	23.8	35.6	81.3	37.6	43.5	30.6	107.0	169.8	175.2	218.8
mRNA	0.0	0.3	0.8	0.4	0.6	0.7	0.4	0.4	7.7	1.5	1.7
제네릭 API	5.1	7.4	12.0	15.2	5.3	8.9	12.3	15.0	49.6	39.7	41.6
기타	7.8	11.5	4.5	7.9	7.8	8.4	9.0	9.5	33.7	31.7	34.8
매출총이익	19.0	15.3	22.5	39.4	19.3	32.0	22.2	58.9	112.1	96.2	132.4
YoY	(24.1)	(31.4)	(7.7)	(2.6)	1.4	109.5	(1.0)	49.6	26.1	(14.2)	37.7
GPM	36.7	34.3	36.4	34.0	36.8	46.9	35.7	40.1	39.5	35.1	40.1
영업이익	1.9	(3.1)	6.1	22.8	1.0	12.9	4.2	27.1	33.5	27.7	45.3
YoY	(49.3)	적전	(8.6)	5.8	(45.5)	흑전	(30.5)	19.1	87.7	(17.4)	63.6
OPM	3.6	(6.9)	9.9	19.7	2.0	18.9	6.8	18.5	11.8	10.1	13.7
당기순이익	5.4	0.9	13.7	12.4	0.7	5.4	4.3	22.5	17.5	32.5	32.9
YoY	0.9	(25.4)	307.8	0.2	(0.9)	491.7	(68.3)	0.8	0.0	85.3	1.3
NPM	10.5	2.0	22.2	10.8	1.4	7.9	7.0	15.3	6.2	11.9	10.0

Source: 다올투자증권

Fig. 84: 에스티팜의 SOTP(Sum-of-the-parts) 밸류에이션

구분	기업가치 (십억원)	비고
에스티팜 영업가치 (A=B+C)	2,558	
Sum of FCF NPV (B)	361	
NPV of Terminal Value (C)	2,286	
순차입금 (D)	86	2025 년말 기준
주주가치 (E= A-D)	2,471	
발행주식 수 (F, 천주)	20,153	
적정 주가 (E/F, 원)	122,630	
적정 주가(원)	120,000	

Source: 다올투자증권

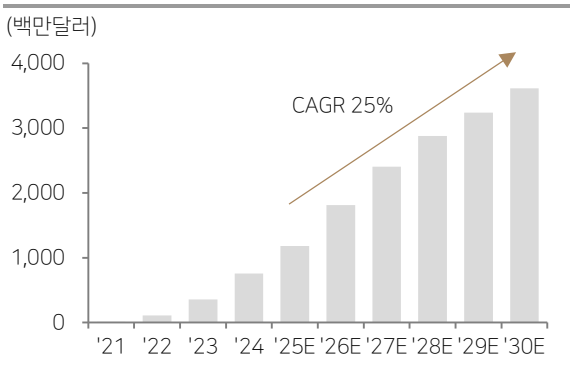
I. 상업 품목 확대가 이끄는 볼륨 성장

올리고 CDMO로 다수의 상업화 품목 공급하고 있음. 일부 품목은 적응증 확장 중

에스티팜은 RNA 치료제(ASO/siRNA) 시장이 본격 개화한지 오래되지 않았음에도 불구하고 스핀라자(Nusinersen; 척수성 근위축증), 렉비오(Inclisiran; 고지혈증), 라이텔로(Imetelstat), 트린골자(Olezarsen; 가족성 킬로미크론혈증 증후군) 등 상업화 품목군의 올리고뉴클레오타이드 API(원료의약품)를 공급하고 있다. 제품 출시 이후 처방 확대가 이어지면서 API 공급 물량도 점차 증가하는 추세다.

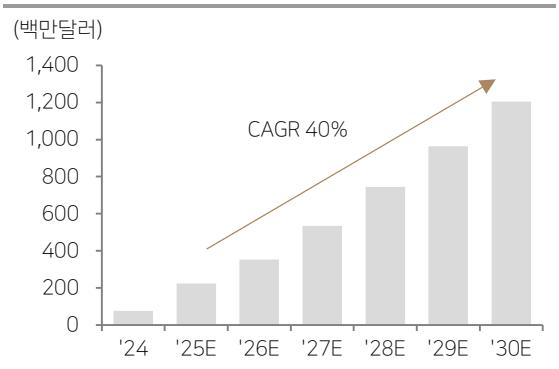
스핀라자는 척수성 근위축증(SMA) 환자의 SMN2 유전자 스플라이싱을 교정해 정상 단백질 발현을 회복시키는 최초의 ASO(Antisense Oligonucleotide) 치료제로 2024년 매출 15.7억달러로 블록버스터 지위를 유지하고 있다. 렉비오는 PCSK9 발현 억제를 통해 LDL 콜레스테롤을 낮추는 기전으로 심혈관질환 영역에서 승인된 최초의 siRNA 치료제다. 기존에는 성인환자의 1차 고콜레스테롤혈증 및 복합 이상지질혈증 치료에서 스타틴 병용요법으로 승인 받았으나, 2025년 7월 미국에서 단독 요법(스타틴 비의무) 적응증을 획득해 식이/운동요법 보조와 함께 초기 치료 단계부터 사용이 가능해졌다. 고지혈증은 환자 풀이 매우 넓은 질환군으로 이번 적응증 확장은 RNA 치료제가 희귀질환을 넘어 대중적인 질환 영역에서도 임상적 및 산업적 가치를 인정받은 사례로 평가되고, 2025년 매출 10억달러 돌파로 블록버스터 등재가 예상된다.

Fig. 85: 렉비오(Inclisiran) 매출 추이 및 전망



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

Fig. 86: 라이텔로(Imetelstat) 매출 추이 및 전망



Source: Evaluate Pharma, 다올투자증권

기존 제품 적응증 확장, 신제품 출시 등으로 공급 물량 확대 전망

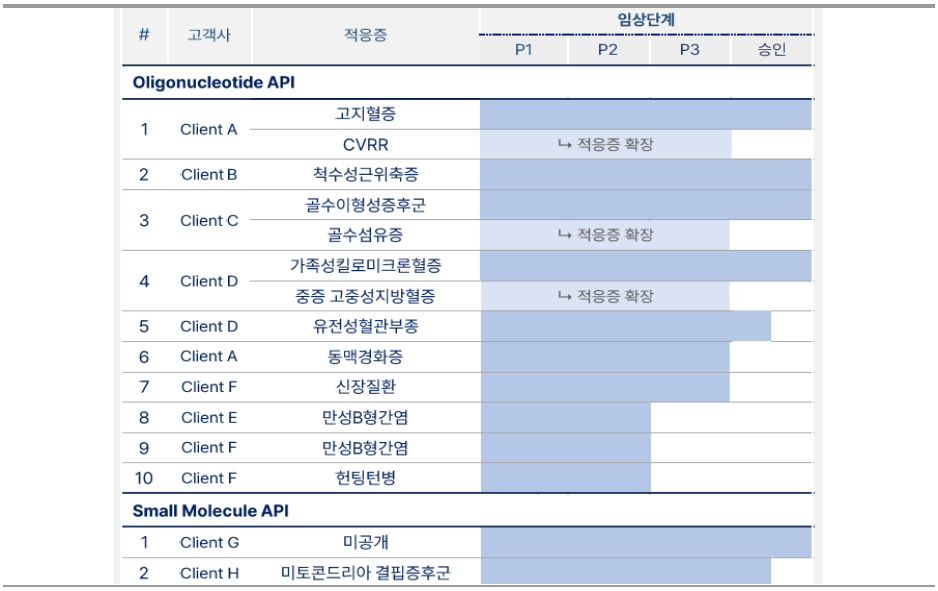
렉비오 뿐만 아니라 다른 품목들도 부지런히 적응증 확장을 위한 임상이 진행되고 있다. 라이텔로(저위험군 골수형성이상증후군(MDS))는 현재 골수섬유증 환자 대상 임상3상 진행 중이며 2H26 탑라인 결과 발표가 예상된다. 트린골자(올레자르센; 가족성 킬로미크론혈증(FCS))는 연내 sHTG(중증 고중성지방혈증) 임상3상(Core/Core2)과 일부 희귀 CNS 과제 데이터가 예정되어 있으며, 1H26 펠라카르센(Lp(a); 심혈관) 대규모 3상 데이터 발표가 예상된다. 이렇게 기존 제품의 라벨(적응증) 확장, 신규 적응증 승인/출시가 이어짐에 따라 동사의 상업 물량 및 가동률 증가가 가속화될 전망이다.

Fig. 87: 에스티팜 공급 추정 품목

제품명	개발사	적응증	허가 시점	작용기전/모달리티
Spinraza (Nusinersen)	Ionis / Biogen	척수성 근위축증(SMA)	2016.12	SMN 단백질 생산 증가 / ASO(스플라이싱 조절)
Leqvio (Inclisiran)	Alnylam / Novartis	고지혈증	2021.12	PCSK9 mRNA 억제 / siRNA
Rytelo (Imetelstat)	Geron	저위험 골수형성이상증후군(MDS)	2024.06	텔로머라제 억제/ ASO
Tryngolza (Olezarsen)	Ionis	가족성 킬로미크론혈증 (FCS)	2024.12	ApoC-III 억제→TG 감소 / ASO
Donidalorsen (브랜드명: DAWNZERA)	Ionis	유전성 혈관부종(HAE)	2025.08	혈장 칼리크레인(PKK) 억제 / ASO
Pelacarsen	Novartis / Ionis	동맥경화증	임상 3 상 단계 ('26 IND 제출 예상)	Apo(a) 생성 감소 → Lp(a) 감소 / ASO

Source: 각 사, 다올투자증권

Fig. 88: 주요 CDMO 프로젝트



Source: 다올투자증권

II. 제2 올리고동 가동. 체질 개선 시작

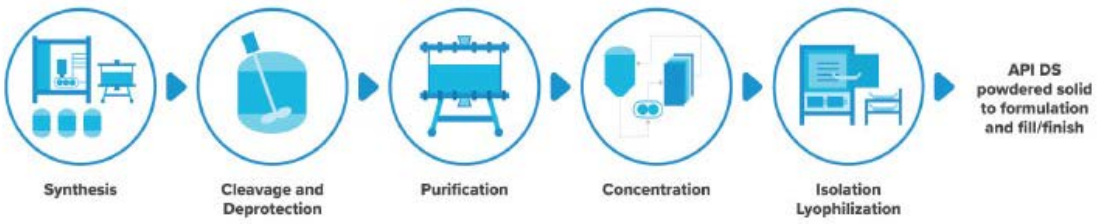
RNA 치료제의 까다로운 생산 공정으로 CMO 수요 증대

RNA(올리고뉴클레오타이드) 치료제 생산은 고체상/액체상 합성(PS 결합), 대형 정제(HPLC/UF), 결합체(Conjugate) 공정(GalNac/지질), 고순도 QC, 대량 용매 처리 등 고난도 기술을 요구한다. 이 때문에 글로벌 기업들은 대규모 상업 생산을 외부 CDMO에 의존하는 구조다. ASO/siRNA 승인 및 임상 증가로 글로벌 외주 수요가 확대되고 있으며 주요 CDMO 기업들은 이에 대응해 Capa를 잇따라 증설하고 있다.

10월부터 제2 올리고동 가동 시작. Capa 2배 확대

에스티팜은 2025년 10월부터 제2 올리고동 가동을 시작해 2026년까지 Capa를 2배 이상 확대할 전망이다. 2Q25 기준 수주잔고는 2억 6,800만달러(80% 이상이 올리고)로 대부분이 2Q26 이전에 매출로 인식될 예정이다. 제2동 완공 시 6개 라인(6~8 mole; 2~3t)을 확보하게 되며, 고객사의 초기 개발 단계부터 상업 생산까지 전주기를 소화할 수 있는 경쟁력을 갖추게 된다.

Fig. 89: Oligonucleotide 제조 process



Source: Pharmaceutical Engineering: Oligonucleotides: A Cornerstone for Therapeutics & More, 다올투자증권

Fig. 90: 국내외 올리고 CDMO 기업 현황

기업	국가	주요 역량	캐파 확장 현황	비고
Agilent Technologies	미국	올리고 합성(ASO/siRNA), 품질관리/공정 최적화	미국 콜로라도 공장 확장(2026년 완공 목표). 캐파 2배 확대	글로벌 빅파마에 임상/상업 물량 공급
Nitto Avecia	미국	올리고 합성 전문 CDMO, 상업용 생산 경험 풍부	오하이오/매사추세츠 시설 지속 확충	상업용 올리고 전문. 글로벌 빅파마에 공급
에스티팜	한국	ASO/siRNA 올리고 합성, mRNA LNP 원료/제형 기술	4Q25 제2올리고동 증설(2~3톤 확보). 2028년까지 2단계 증설 목표	국내 유일 글로벌 톱티어 올리고 CDMO. 글로벌 빅파마에 임상/상업 물량 공급
BioSpring	독일	올리고 핵심 CDMO, 고순도 합성/정제 강점	2025년 프랑크푸르트 신공장 건설. 단계적 확장 계획	유럽 주요 고객사 다수
WuXi STA	중국	글로벌 CRO/CDMO, siRNA/ASO 합성+LNP 제형	2024년 올리고 GMP 라인 증설. 싱가포르 설비 확장 계획	Wuxi AppTec 자회사, 중국, 미국, 독일 등 고객사 다수
Ajinomoto (GeneDesign)	일본	합성/제형화, 펩타이드+올리고 동시 대응	일본 신오사카 신규 GMP 구축. 수백kg까지 스케일업 가능	일본 내 주요 RNA 고객사

Source: 각 사, 다올투자증권

Fig. 91: 에스티팜 제2 올리고동 증설 계획

생산시설	4Q25	2028~
	제 2 올리고동	제 2 올리고동 증설
최대라인	6	~10
누적 Capacity	6~8 mole	TBD
투자 규모	1,100억	~400억

Source: 에스티팜, 다올투자증권

Fig. 92: 에스티팜 올리고 CDMO 프로젝트 수주 잔고

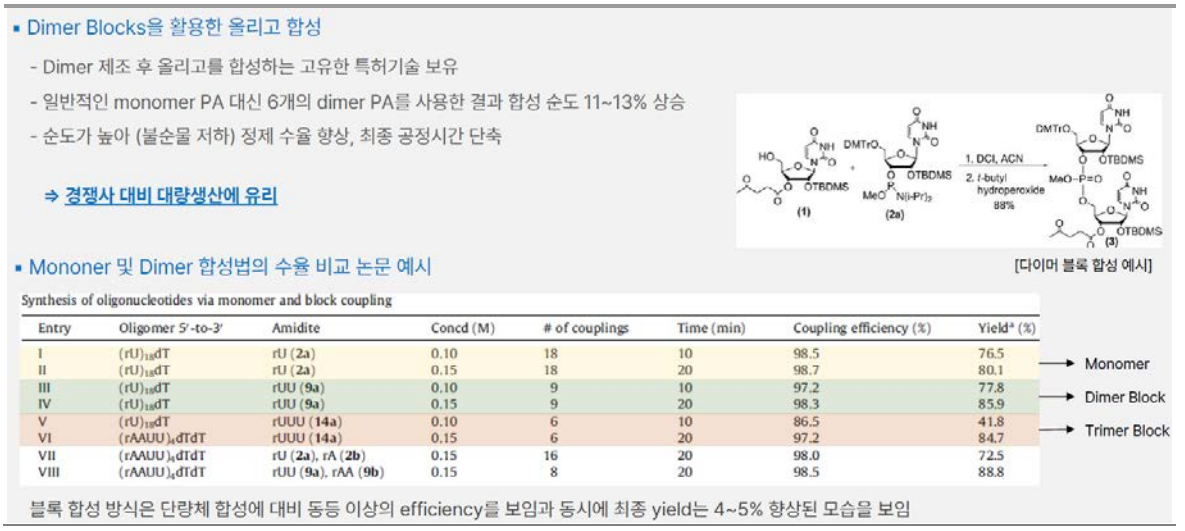
구분 (단위: 백만달러)	22년 말	23년 말	24년 말	25년 신규
상업화용	13.2	36.1	106.5	44.7
임상용	67.2	81.4	47.7	37.4
총 수주잔고(누적)	80.4	117.4	154.2	236.3

Source: 에스티팜, 다올투자증권
Note: 수주 상황은 2025년 4월 기준

다이머 특허 기술로 수율 개선 중. 여기에 효소 합성 개발로 한 번에 더 많은 생산 가능. 2027년 상업화 목표

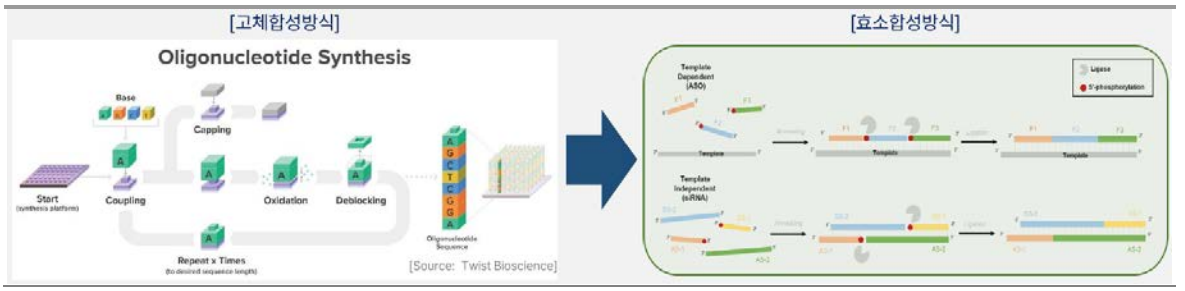
에스티팜은 제2 올리고동 가동으로 Capa를 확대하는 동시에 정제 및 합성 단계에서 수율 개선과 원가 절감을 추진하고 있다. 공정 측면에서는 정제(Purification) 효율을 높이기 위해 자체 보유한 다이머 특허 기술을 활용했다. 결합 사이클을 줄임으로써 부산물 발생을 최소화하고 정제 수율을 높이고 있다. 여기에 효소 합성(Shortmer 결합)을 개발 중인데, 3개 염기(모노머) 블록을 효소로 연결하는 방식으로, 전통적인 고체상 합성에서 발생하는 누적 손실을 줄일 수 있다. 이를 통해 수율 증대, 배치 사이즈 확대가 동시에 가능해진다. 동사는 2027년 효소 합성 상업화를 목표로 준비 중이며, 2026년에는 증설 효과의 램프업, 2027년에는 효소 합성 본격화로 가동률, 수율 개선에 따른 레버리지 본격화가 기대된다.

Fig. 93: 올리고 CDMO 경쟁력 - 다이머 특허 기술



Source: 에스티팜, 다올투자증권

Fig. 94: 효소합성방식을 통한 대량 생산 시도



Source: 에스티팜, 다올투자증권

SUSTINVEST

에스티팜

등급	자산규모	평가시기	섹터
AA	5천억이상	2025 상반기	제약, 생명공학 및 생명과학
	ESG점수	전체순위	섹터내순위
	95.3	67/1295	7/99

연도별 성과

2023	A
2024	A
2025	AA

섹터내 규모별 기업비교

자산규모	최상위기업	최하위기업
2조이상	유한양행	한미약품
5천억이상	HK이노엔	엑세스바이오
5천억미만	경보제약	메지온

ESG 성과

부문	평가항목	점수	섹터평균	가중치	섹터대비
E(환경)		**64.8**	**23.3**	**15%**	▼
	혁신 활동	20.0	15.3	중	▼
	생산 공정	94.7	28.0	상	▼
	공급망 관리	평가제외	평가제외	평가제외	-
	생물다양성	평가제외	평가제외	평가제외	-
S(사회)		**63.1**	**44.3**	**35%**	▼
	인적자원 관리	62.7	45.3	상	▼
	공급망 관리	60.8	42.1	하	▼
	고객 관리	68.5	46.1	하	▼
	사회공헌 및 지역사회	59.3	37.8	하	▼
G(지배구조)		**75.8**	**58.2**	**50%**	▲
	주주의 권리	78.9	49.5	중	▲
	정보의 투명성	61.9	60.8	하	▲
	이사회의 구성과 활동	73.3	56.0	중	▲
	이사의 보수	95.3	72.9	하	▼
	관계사 위험	72.5	76.8	하	▲
	ESG경영 인프라	67.1	35.7	하	▼

컨트로버시 이슈 (없음)

※ 추가 이슈는 Controversy 시트에서 확인 가능함.

해당사항 없음

*컨트로버시 및 심각성 평가 방법론

- 컨트로버시 레벨: 심각성과 재발가능성 고려
- 심각성: 이해관계자 피해규모와 이해관계자 및 기타주체 반응 수준 고려
- 이해관계자의 피해규모: 이해관계자의 종류에 따라 다른 평가 방법 적용
- 이해관계자 및 기타주체의 반응 수준: 해당 이벤트가 사회적으로 가져온 파장과 다양한 이해관계자들과 기타주체들의 반응 유효 여부 평가

주주환원정책

연도	배당성향	배당성향 섹터중앙값	TSR (총주주환원율)
2022	52.3%	24.4%	-36.7%
2023	48.0%	17.5%	-22.0%
2024	29.0%	19.8%	31.9%

에스티팜 재무제표 (K-IFRS 연결)

대차대조표

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
유동자산	348.4	330.1	406.3	433.1	470.5
현금성자산	90.1	72.9	130.7	144.4	165.5
매출채권	122.1	69.8	78.8	81.9	88.8
재고자산	120.7	127.0	134.5	143.9	152.8
비유동자산	327.1	391.8	424.6	436.7	446.0
투자자산	36.6	39.1	33.0	34.4	35.8
유형자산	277.0	336.1	375.3	386.9	395.7
무형자산	13.5	16.5	16.3	15.4	14.6
자산총계	675.4	721.9	830.8	869.8	916.6
유동부채	83.7	133.3	160.5	162.0	153.7
매입채무	38.3	34.5	39.1	40.0	41.4
유동성이자부채	30.6	73.4	93.0	93.0	83.0
비유동부채	204.8	85.6	144.8	145.6	146.5
비유동이자부채	179.5	61.5	124.1	124.1	124.1
부채총계	288.5	218.9	305.3	307.6	300.1
자본금	9.4	10.1	10.1	10.1	10.1
자본잉여금	225.9	315.6	315.6	315.6	315.6
이익잉여금	135.7	159.4	181.1	217.8	272.0
자본조정	13.5	18.0	19.3	19.3	19.3
자기주식	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
자본총계	386.9	503.0	525.6	562.2	616.4
투하자본	496.2	556.1	604.5	627.2	650.0
순차입금	120.0	62.0	86.3	72.6	41.5
ROA	2.8	4.6	4.2	5.9	7.7
ROE	4.9	7.3	6.4	9.2	11.6
ROIC	5.5	4.0	6.1	8.2	10.7

손익계산서

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
매출액	285.0	273.8	329.9	419.6	531.8
증가율 (Y-Y,%)	14.3	(3.9)	20.5	27.2	26.7
영업이익	33.5	27.7	45.3	62.8	85.5
증가율 (Y-Y,%)	87.7	(17.4)	63.6	38.5	36.1
EBITDA	56.5	53.3	73.3	94.0	117.5
영업외손익	(10.2)	15.1	(3.3)	(0.4)	0.3
순이자수익	(3.7)	(3.2)	(1.6)	(2.8)	(2.7)
외화관련손익	1.8	13.3	2.8	5.7	4.6
지분법손익	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
세전계속사업손익	23.4	42.7	42.0	62.3	85.8
당기순이익	17.5	32.5	32.9	49.9	68.6
지배기업당기순이익	19.6	34.7	31.6	46.7	64.3
증가율 (Y-Y,%)	0.0	85.3	1.3	51.7	37.6
NOPLAT	25.1	21.0	35.5	50.2	68.4
(+) Dep	23.0	25.6	28.0	31.2	32.0
(-) 운전자본투자	56.0	(7.9)	10.7	11.6	14.7
(-) Capex	43.2	82.8	58.2	42.0	39.9
OpFCF	(51.0)	(28.3)	(5.4)	27.8	45.8
3 Yr CAGR & Margins					
매출액증가율(3Yr)	31.9	18.2	9.8	13.8	24.8
영업이익증가율(3Yr)	n/a	70.6	36.4	23.3	45.6
EBITDA증가율(3Yr)	n/a	38.6	27.4	18.5	30.2
순이익증가율(3Yr)	n/a	112.6	23.4	41.7	28.3
영업이익률(%)	11.8	10.1	13.7	15.0	16.1
EBITDA마진(%)	19.8	19.5	22.2	22.4	22.1
순이익률 (%)	6.1	11.9	10.0	11.9	12.9

현금흐름표

(단위: 십억원)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
영업현금	1.3	109.5	64.7	67.1	82.5
당기순이익	17.5	32.5	32.9	49.9	68.6
자산상각비	23.0	25.6	28.0	31.2	32.0
운전자본증감	(64.8)	36.7	(1.6)	(11.6)	(14.7)
매출채권감소(증가)	(25.7)	53.0	(13.0)	(3.1)	(6.9)
재고자산감소(증가)	(13.2)	(12.9)	(10.3)	(9.4)	(8.9)
매입채무증가(감소)	(0.4)	(7.3)	28.7	0.9	1.4
투자현금	(82.4)	(86.5)	(44.9)	(43.4)	(41.4)
단기투자자산감소	(40.4)	(8.7)	12.5	(0.1)	(0.1)
장기투자증권감소	0.0	0.0	(0.1)	(0.3)	(0.3)
설비투자	(43.2)	(82.8)	(58.2)	(42.0)	(39.9)
유무형자산감소	(0.1)	(0.1)	(0.0)	(0.1)	(0.0)
재무현금	81.4	(11.0)	45.9	(10.1)	(20.1)
차입금증가	90.7	(0.9)	55.9	0.0	(10.0)
자본증가	(9.4)	(9.4)	(10.1)	(10.1)	(10.1)
배당금지급	(9.4)	(9.4)	10.1	10.1	10.1
현금 증감	(0.1)	13.3	65.0	13.6	21.0
총현금흐름(Gross CF)	68.2	77.7	73.7	78.8	97.2
(-) 운전자본증가(감소)	56.0	(7.9)	10.7	11.6	14.7
(-) 설비투자	43.2	82.8	58.2	42.0	39.9
(+) 자산매각	(0.1)	(0.1)	(0.0)	(0.1)	(0.0)
Free Cash Flow	(79.0)	27.9	27.2	23.7	41.1
(-) 기타투자	0.0	0.0	0.1	0.3	0.3
잉여현금	(79.0)	27.9	27.1	23.4	40.7

주요투자지표

(단위: 원, 배)	2023	2024	2025E	2026E	2027E
Per share Data					
EPS	1,041	1,722	1,567	2,318	3,190
BPS	19,730	24,145	25,300	27,161	29,893
DPS	500	500	500	500	500
Multiples(x,%)					
PER	65.1	51.6	61.1	41.3	30.0
PBR	3.4	3.7	3.8	3.5	3.2
EV/ EBITDA	24.7	34.8	27.5	21.3	16.8
배당수익율	0.7	0.6	0.5	0.5	0.5
PCR	18.7	23.1	26.2	24.5	19.8
PSR	4.5	6.5	5.8	4.6	3.6
재무건전성 (%)					
부채비율	74.6	43.5	58.1	54.7	48.7
Net debt/Equity	31.0	12.3	16.4	12.9	6.7
Net debt/EBITDA	212.2	116.4	117.7	77.2	35.4
유동비율	416.0	247.7	253.1	267.4	306.2
이자보상배율	9.1	8.7	28.0	22.5	31.3
이자비용/매출액	2.1	2.8	1.1	1.6	1.2
자산구조					
투하자본(%)	79.7	83.2	78.7	77.8	76.4
현금+투자자산(%)	20.3	16.8	21.3	22.2	23.6
자본구조					
차입금(%)	35.2	21.2	29.2	27.9	25.1
자기자본(%)	64.8	78.8	70.8	72.1	74.9

자료: 다올투자증권

올릭스
(226950)

—

Not Rated

	현재	직전	변동
투자의견	Not Rated		신규
적정주가			
Earnings			

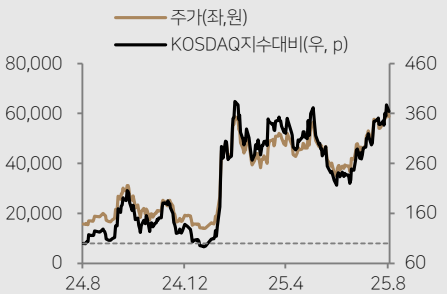
Stock Information

현재가 (9/2)	76,400원
예상 주가상승률	n/a
시가총액	15,362억원
비중(KOSDAQ내)	0.38%
발행주식수	20,070천주
52주 최저가 / 최고가	14,000 - 76,400원
3개월 일평균거래대금	372억원
외국인 지분율	4.9%
주요주주지분율(%)	
이동기 (외 11인)	17.5
미래에셋자산운용 (외 1인)	5.1
이재영 (외 1인)	0.3

Valuation wide	2022	2023	2024
PER(배)	n/a	n/a	n/a
PBR(배)	5.3	5.1	22.0
EV/EBITDA(배)	n/a	n/a	n/a
배당수익률(%)	0.0	0.0	0.0

Performance	1M	6M	12M	YTD
주가상승률(%)	65.4	29.9	387.2	296.7
KOSDAQ 대비 상대수익률 (%)	62.6	23.2	384.0	279.6

Price Trend



DAOL 다올투자증권

이지수 제약 · 바이오 | jislee@daolfn.com
임도영 연구원 | dy.lim@daolfn.com

글로벌 딜로 증명된 기술력

Issue

국내 siRNA 전문 기업. 업황 점검

Pitch

비대칭 siRNA 기술로 다양한 치료제 개발. 간, 피부, 안과, 탈모 등 다양한 타겟 적용 가능. 일라이 릴리, 로레알, 한소제약 등 글로벌 기업과의 L/O 계약을 통해 기술력 입증. 이러한 성과 대비 저평가되어 있다고 판단. 4Q25 OLX301A(AMD) 임상 1b상 데이터 발표, OLX104C(탈모) 임상1b/2a상 개시 예정

Rationale

- 자체 개발한 비대칭 siRNA(asiRNA)으로 오프타겟 문제를 최소화하고, 자가전달/GalNAc 이중 플랫폼을 통해 간, 피부, 안과 등 다양한 영역에 적용 가능
- 한소제약과 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술이전 계약 체결, 최대 4개 후보물질 옵션 행사 가능. 임상 진행에 따라 마일스톤 수취 기대
- 2025년 글로벌 기업과의 연속적 계약 성과: 일라이 릴리(OLX702A, MASH/비만 치료제) L/O 계약 체결. 로레알(OLX104C, 탈모치료제)과 공동개발 계약 체결. 향후 기술이전 및 플랫폼 확장 가능성 확인
- 최근 증자를 통해 재무 리스크 해소. 파이프라인 가치가 본격적으로 부각될 국면 진입

Earnings Forecasts (단위:십억원,%)

	2020	2021	2022	2023	2024
매출액	2.5	3.7	9.3	17.1	5.7
영업이익	(16.2)	(24.2)	(22.4)	(18.2)	(30.9)
EBITDA	(15.1)	(22.6)	(20.3)	(15.5)	(28.3)
지배주주순이익	(19.4)	(29.7)	(19.5)	(19.1)	(40.7)
순차입금	(48.8)	(0.9)	(2.2)	21.8	42.6
매출증가율	(73.5)	48.5	153.7	83.1	(66.7)
영업이익률	(656.4)	(659.4)	(240.1)	(106.6)	(544.6)
지배순이익률	(783.4)	(808.7)	(209.2)	(111.9)	(716.2)
EPS증가율	적지	적지	적지	적지	적지
ROE	(44.5)	(94.9)	(51.8)	(33.0)	(120.1)

Note: K-IFRS 연결 기준 / Source: 다올투자증권

올릭스는,

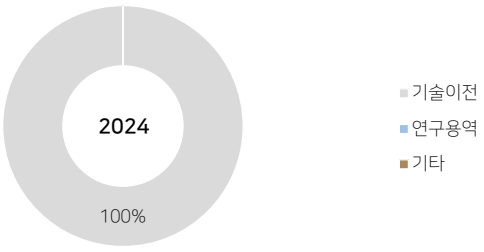
올릭스는 2010년 설립, 2018년 코스닥 시장에 상장된 RNAi(RNA 간섭) 기술 기반 난치성 질환 치료제 개발사이다.

자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼 cp-asiRNA 기반 피부, 안질환 치료제와 간질환 타겟 플랫폼 GalNAc-asiRNA 기반 MASH 및 비만 치료제 등을 개발 중이다. 대표적인 파이프라인으로는 비대흉터 치료제 OLX101A(미국 임상 2a상 완료), 탈모치료제 OLX104C(호주 1b/2a상 IND 승인), 황반변성 치료제 OLX301A(미국 임상 1b상 완료) 등이 있다. 2025년 일라이릴리에 L/O하며 주목받고 있는 MASH 및 비만 치료제 OLX702A는 1H26 임상 1상 완료를 목표로 진행 중이며 siRNA 기술 기반 CNS 치료제까지 치료 영역 확장을 시도 중이다.

9월 2일 기준 시가총액은 1조 5,362억원이고 KOSDAQ제약업종에 속해 있다.

사업부문 Breakdown

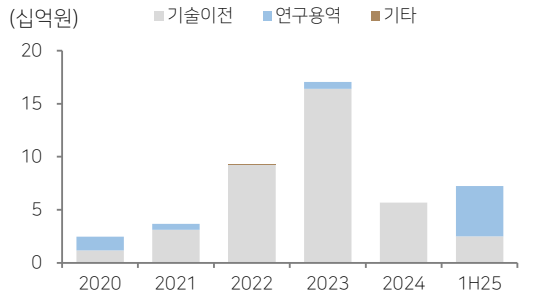
- 24년 매출액은 약 57억원으로 기술이전 수익 100%로 구성



Source: 올릭스, 다올투자증권

Financials

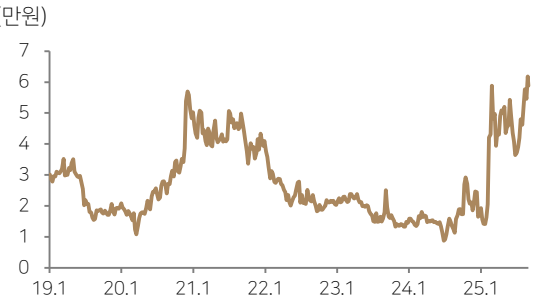
- 22년 매출은 20년 떼아에 기술이전한 OLX301A 마일스톤 수령 및 21년 한소제약과의 GalNAc-asiRNA 기반 기술이전에 따른 매출인식 영향
- 23년 매출은 OLX301A 단회 투여 임상 종료에 따른 마일스톤 수령, 한소제약의 GalNAc-asiRNA 기반 후보물질 옵션 행사에 따른 마일스톤 수령
- 25년 상반기 일라이릴리에 기술이전한 OLX702A 계약금 및 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기반 후보물질 개발 마일스톤 수령. 8월 로레알과 체결한 피부, 모발 공동연구 계약금 수령



Source: 올릭스, 다올투자증권

주가

- 20년말 미국내 RNA 합성 GMP 시설 구축 목적 유무상증자 결정 이후 주가 상승
- 23년 9월 MASH 및 비만치료제 OLX702A 원숭이 효력시험 중간결과에서 체중 감소 효과 발표하며 주가 상승
- 24년 하반기 기술이전 기대감으로 주가 상승. 이후 25년 2월 일라이릴리와 9,117억원 규모의 OLX702A 기술이전 계약 체결 후 주가 급등
- 최근 증자를 통해 재무 리스크 해소 이후 파이프라인 가치 부각되며 주가 상승세



Source: 올릭스, 다올투자증권

I. 국내 siRNA 선도주자

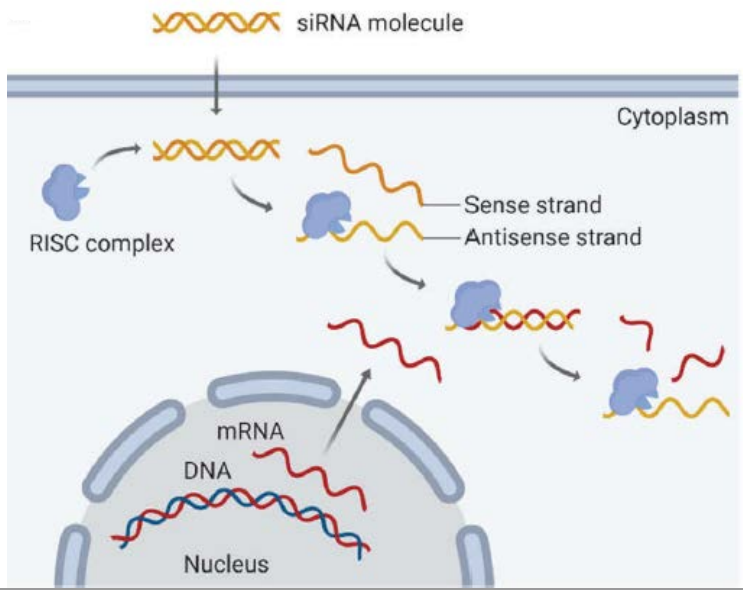
I-1. asiRNA 기술 기반 치료제 개발

siRNA는 mRNA에 결합해 단백질 발현 억제. 기존 치료제가 다루기 어려운 영역에도 효과

siRNA(Small interfering RNA)는 우리 몸의 mRNA(messenger RNA)에 직접 결합해 단백질 발현을 억제하는 RNA 치료제이다. 이중가닥 siRNA가 세포 내에서 RISC(RNA-induced silencing complex)에 들어가면 한 가닥(sense strand)은 분해되고, 반대편 가닥(antisense strand; guide RNA라고도 부름)만 남아 표적 mRNA와 상보적으로 결합한다. 이후 RISC내 Ago2 단백질이 해당 mRNA를 절단함으로써 단백질 합성을 원천 차단한다.

이러한 작용 기전 덕분에 siRNA는 단백질의 구조적 한계를 넘어 공략이 어려운(undruggable) 표적에도 접근할 수 있다. 실제로 단백질-단백질 상호작용(PPI)처럼 결합 홈이 없거나 평탄한 표면, 구조가 고정되어있지 않은 무질서 단백질(IDP), 선택성이 확보되지 않는 효소/전자인자 등 기존 저분자/항체 치료제가 다루기 어려운 영역에서도 효과를 발휘한다.

Fig. 95: siRNA 작용기전: Antisense strand가 mRNA에 상보 결합 → mRNA 절단



Source: RNA therapy: rich history, various applications and unlimited future prospects, 다올투자증권

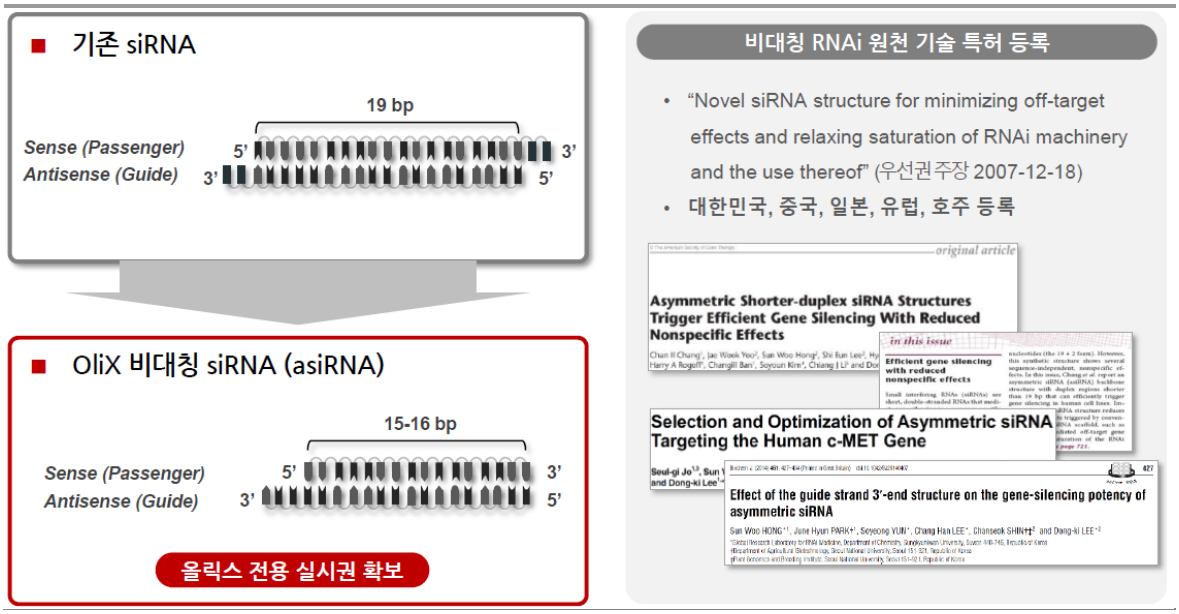
siRNA 치료제는 희귀질환 및 대사질환 영역에서 빠르게 상업화되는 중

이러한 특성을 바탕으로 siRNA 치료제는 간을 중심으로 희귀질환 및 대사성 질환에서 빠르게 상업화되고 있다. 대표적으로 앨나일람(Alnylam)은 다수의 siRNA 치료제를 허가받았으며, 노바티스(Novartis)는 Leqvio(성분명 inclisiran)를 통해 고지혈증과 같은 대중적인 질환 시장에까지 진출했다. Leqvio는 단 두 번의 초기 투여 이후 6개월 간격으로 PCSK9 억제 효과가 유지되는 장기 지속형 치료제로, siRNA의 효율성과 투여 편의성을 입증한 사례로 꼽힌다. 이외에도 Arrowhead, Silence Therapeutics, 아이오니스(Ionis) 등 글로벌 기업들이 파이프라인을 확장하며 siRNA는 이미 주요 치료제 패러다임으로 자리 잡았다.

주요 포인트: 비대칭 siRNA로 오프타겟 문제 해소. 정밀하고 안전하게 개발 가능

올릭스는 이러한 siRNA 장점을 이어가면서 비대칭 siRNA(asiRNA)로 차별화했다. 전통적 siRNA는 양쪽 가닥의 길이가 비슷해, 원하지 않는 sense strand가 RISC에 탑재될 가능성이 있었다. 이로 인해 비표적 유전자 억제(off-target)라는 안전성 문제가 발생했다. 올릭스는 sense strand를 의도적으로 짧게 설계해 antisense strand만 안정적으로 RISC에 탑재되도록 유도함으로써 불필요한 유전자 억제를 줄이고 안전성을 높였다. 기존 siRNA 치료제의 상업적 성공을 기반으로, 올릭스는 asiRNA를 통해 보다 정밀하고 안전한 RNA 치료제 개발이 가능하다는 차별성을 확보했다.

Fig. 96: 올릭스의 비대칭 siRNA(asiRNA): sense strand를 짧게 설계



Source: 올릭스, 다올투자증권

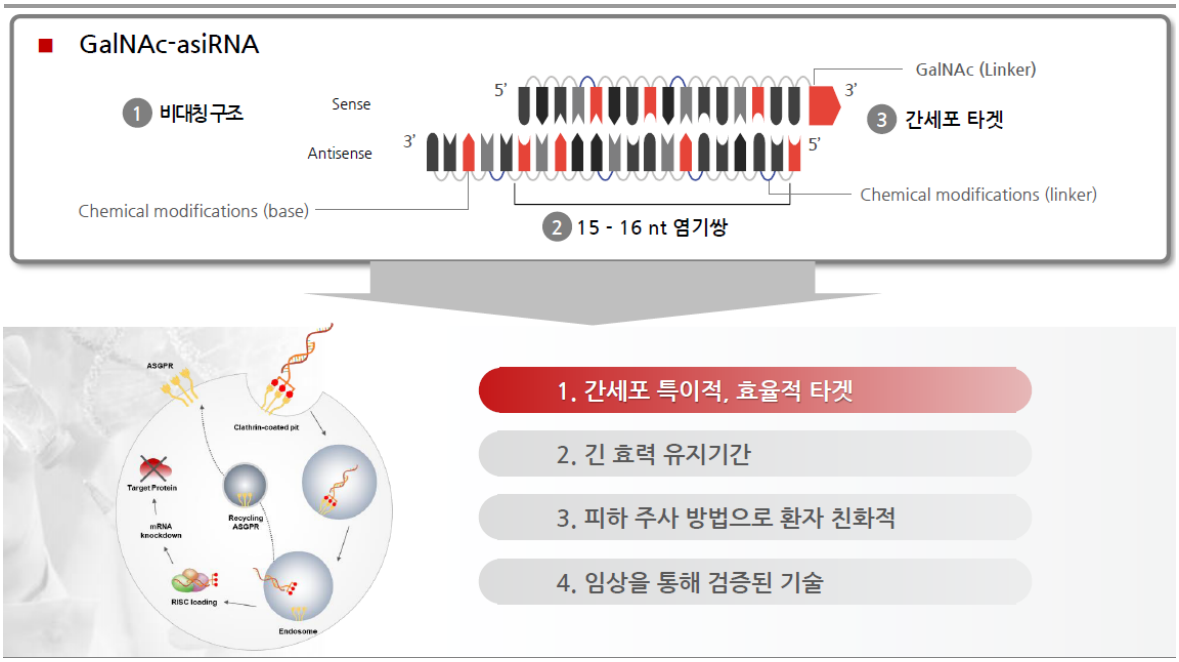
I-2. 자가전달 및 GalNAc 접합 플랫폼으로 다양한 적응증 확장

GalNAc-asiRNA 플랫폼에 자체 링커 적용. 두 개의 유전자를 동시에 억제하는 듀얼 타겟팅 GalNAc 플랫폼도 확보

RNA 치료제는 분자 크기가 크고 음전하를 띠어 세포막을 스스로 통과하기 어렵고, 혈중에서는 쉽게 분해되기 때문에 효과적인 전달 기술이 필수적이다. 이 가운데 GalNAc(N-acetylgalactosamine) 결합은 간세포 표면의 ASGPR 을 활용해 약물을 안정적으로 세포 내로 전달하는 대표적 전달 기술이다. 특허 제약이 적고, 체내 분해 저항성을 높인다. 실제 승인 약물은 한 번 투여로도 3개월 이상 효과가 유지되며 피하주사(SC)로 환자 편의성이 높지만 간 특이적 경로이므로 간질환, 지질대사질환, 아밀로이드증 등으로 적용이 제한된다.

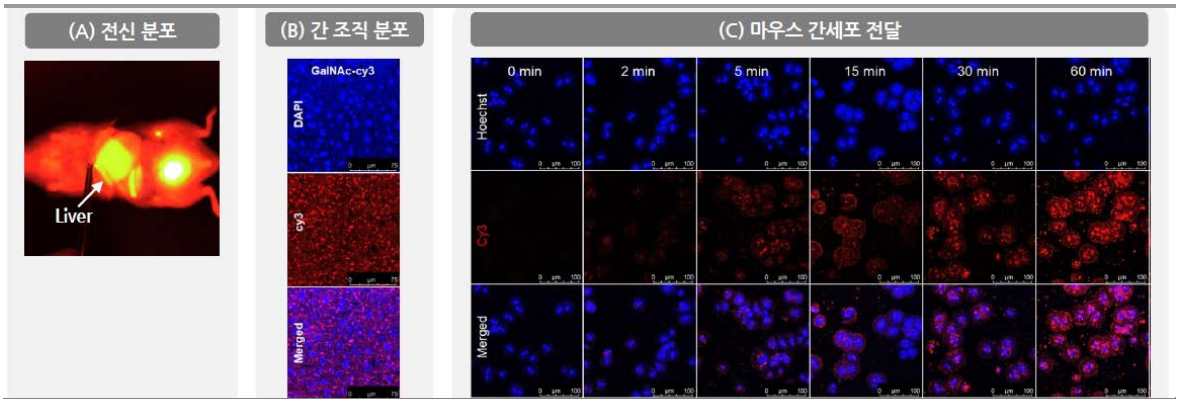
올릭스는 비대칭 siRNA(asiRNA)에 GalNAc을 접목해 GalNAc-asiRNA 플랫폼을 개발했으며 링커(Linker) 기술을 자체적으로 개발해 경쟁력을 확보하고 있다. 특히 AM케미칼로부터 도입한 링커를 고도화해 자체 링커(OLX-25)를 확보했으며, 이를 기반으로 향후 파이프라인 적용 범위를 확대할 수 있다. 여기에 더해 듀얼 타겟팅 GalNAc 플랫폼을 확보했다. 이는 하나의 siRNA로 두 개의 타겟 유전자를 동시에 억제할 수 있도록 설계된 방식으로 MASH 치료제 개발에서 MARC1과 또 다른 대사성 타겟을 동시에 조절하는 접근이 가능하다. 단일 유전자 억제 대비 치료 효율을 높이고 병용요법을 대체할 수 있는 잠재력을 가진다는 점에서 글로벌 제약사와의 협력 가능성이 높다.

Fig. 97: GalNAc-asiRNA 플랫폼



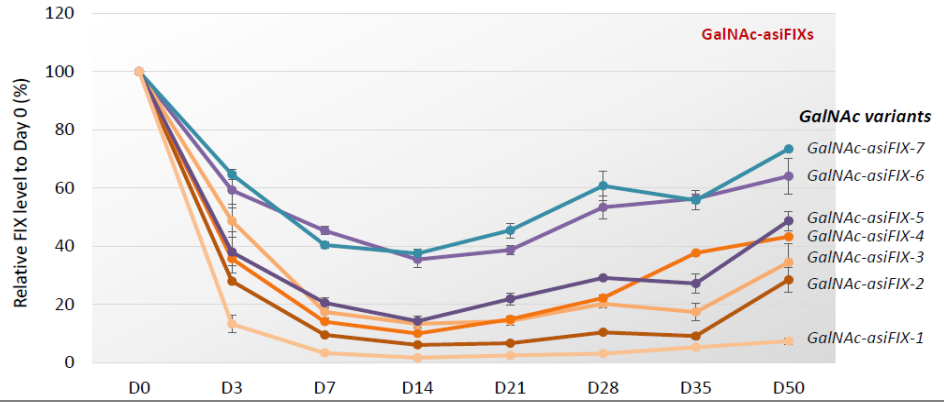
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 98: GalNAc-asiRNA의 간세포 효과적 전달



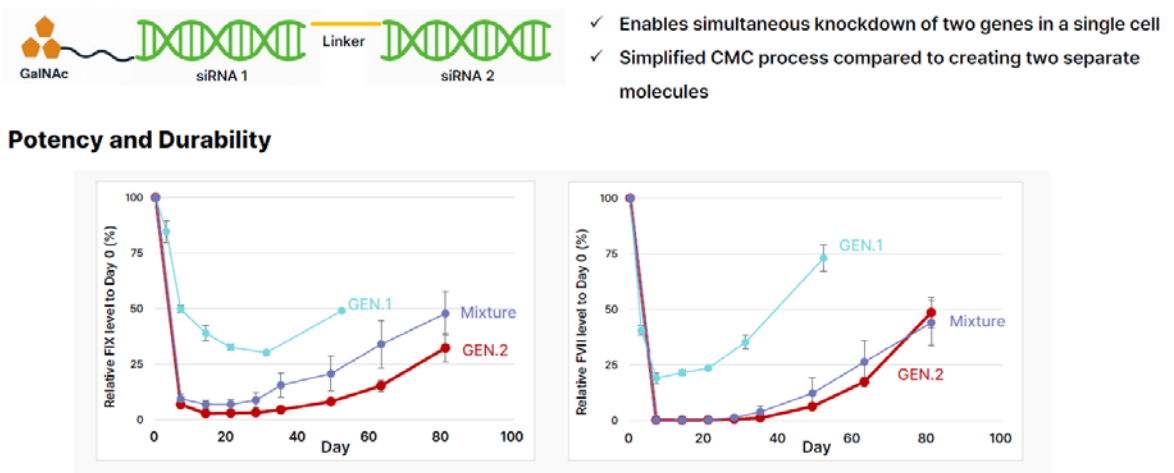
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 99: GalNAc 물질의 효력 및 유지기간: 단회 투여로 50일동안 유전자 억제 효력 유지 화인



Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 100: 듀얼 타겟팅 GalNAc 플랫폼(GalNAc bi-asiRNA)



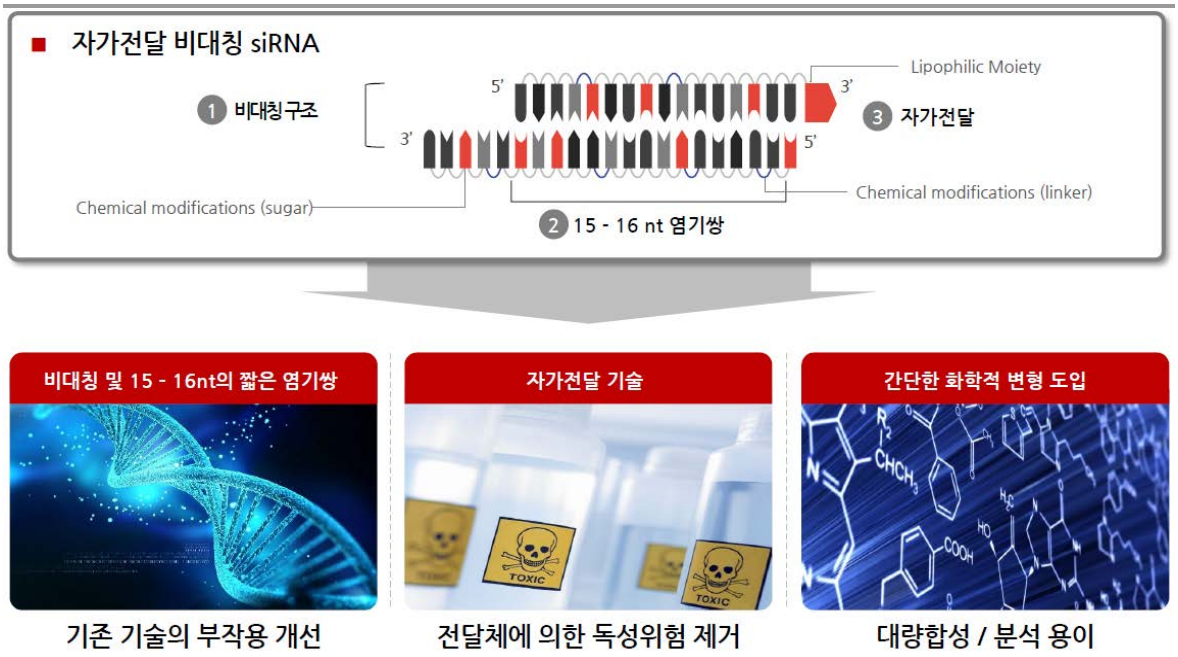
Source: 올릭스, 다올투자증권

자가전달 asiRNA 플랫폼도 보유. 피부, 안과, 탈모 등 국소 투여 질환 영역에서 강점

또한 올릭스는 별도의 전달체 없이도 세포막을 통과할 수 있는 자가전달 asiRNA(cp-asiRNA) 플랫폼을 보유하고 있다. 분자 내 지질 구조를 최적화해 LNP나 GalNAc 같은 외부 전달체 없이도 조직 내 침투가 가능하며 특히 피부, 안과, 탈모와 같이 국소 투여가 적합한 질환 영역에서 강점을 보인다. 비만 및 CNS 동물실험에서 효능을 확인한 바 있으며, 실제 임상 확장성이 높다.

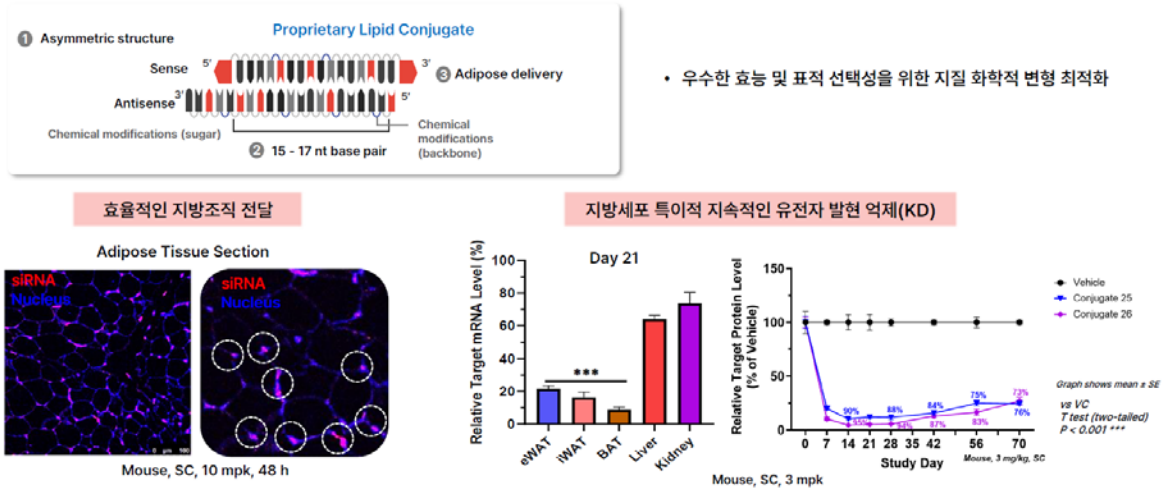
올릭스는 GalNAc 기반 간 특이 플랫폼과 자가전달 플랫폼을 모두 확보함으로써 간질환뿐 아니라 피부, 안과, 탈모 등 간 외 적응증까지 타겟할 수 있는 이중 플랫폼 전략을 보유하고 있다.

Fig. 101: 자가전달 asiRNA(cp-asiRNA) 플랫폼



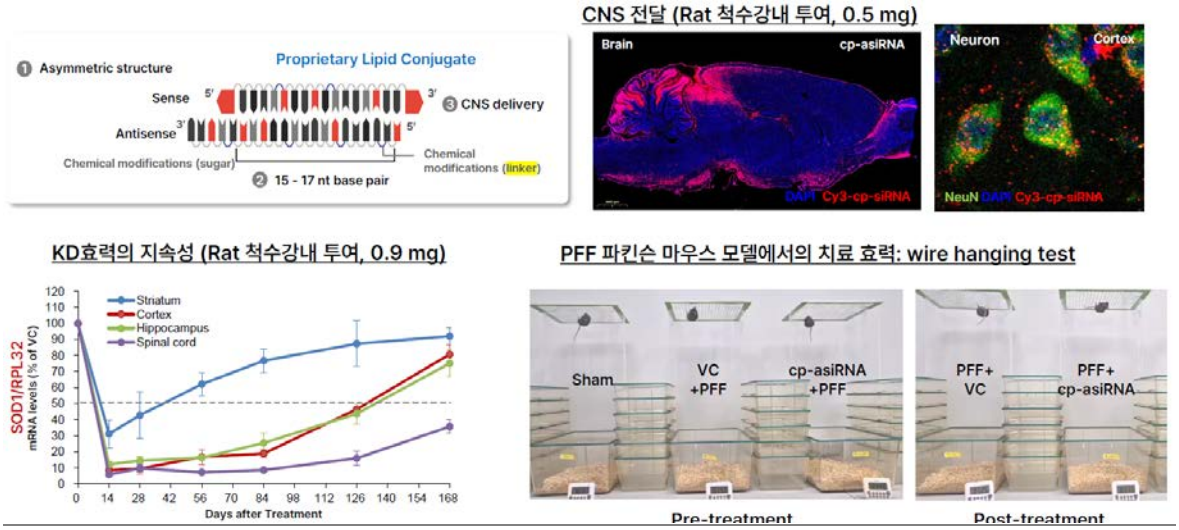
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 102: 지방조직 전달을 위한 cp-asiRNA 플랫폼



Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 103: CNS 전달을 위한 cp-asiRNA 플랫폼



Source: 올릭스, 다올투자증권

II. 글로벌 L/O으로 기술력 입증

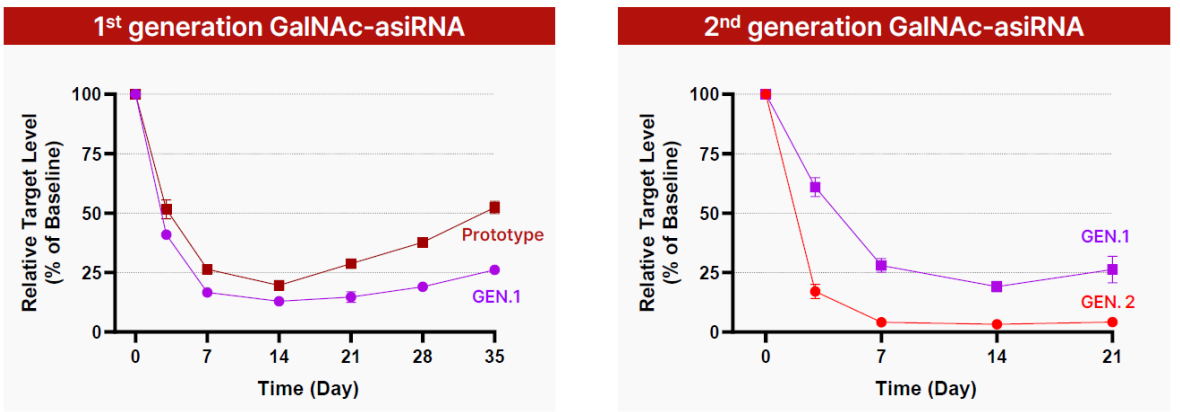
II-1. GalNAc-asiRNA 플랫폼 L/O: 다양한 치료제 개발 중

한소제약과 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기반 기술이전 계약 체결

올릭스는 2021년 한소제약과 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기반 기술이전 계약을 체결하면서 기술이전 트랙 레코드를 쌓기 시작했다. 본 계약은 올릭스가 한소제약이 제시한 타겟에 대해 GalNAc-asiRNA로 도출한 후보물질을 제공하고, 임상 단계 진입에 따라 단계별 마일스톤과 로열티를 수취하는 구조다. 초기 계약은 2종의 후보물질 대상으로 했으며 동시에 추가 2종까지 확대할 수 있는 옵션이 부여되어 총 4종까지 확장 가능한 형태였다. 이후 2023년 2월 한소제약이 추가 옵션(1종)을 행사하면서 파이프라인이 확대되었다. 총 계약 규모는 최대 약 4억5천만 달러(5,300억 원)에 달하며, 이는 올릭스 GalNAc-asiRNA 플랫폼의 기술 경쟁력과 글로벌 확장 가능성을 입증하는 사례로 평가된다.

또한 올릭스는 기존 AM케미칼로부터 도입한 링커 기술에 더해 자체 개발한 신규 링커(OLX-25)를 기반으로 차세대 GalNAc-asiRNA 후보물질을 설계하고 있다. 향후 한소제약에 제공되는 후보물질에도 자체 링커를 적용할 가능성이 높아, 플랫폼 기술의 독자성과 부가가치가 더욱 확대될 전망이다.

Fig. 104: 자체 링커 적용한 2세대 GalNAc-asiRNA: 1세대 대비 더 높은 치료 효과를 더 오래 유지



Source: 올릭스, 다올투자증권

II-2. OLX702A(MASH/비만)로 글로벌 시장 진출 계획

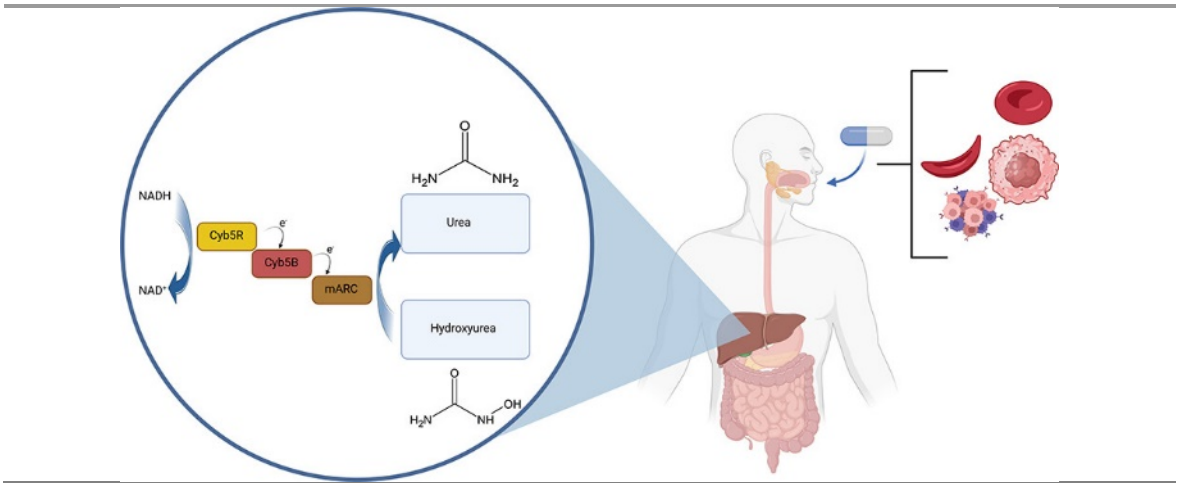
일라이 릴리와 OLX702A 기술이전 계약 체결. 듀얼 억제제에 대한 우선권도 확보 완료

올릭스는 2025년 2월 일라이 릴리와 OLX702A(MASH/비만)에 대한 글로벌 독점 기술이전 계약(총 6억 3천만 달러(약 9,116억 원))을 체결했다. 현재 진행 중인 호주 임상1상은 올릭스가 수행하며, 2상부터는 릴리가 연구/개발 및 상업화를 주도하는 구조다. 본 계약에는 타겟 유전자인 MARC1(Mitochondrial Amidoxime Reducing Component 1) 단독 억제뿐 아니라, 추가 타겟을 결합한 듀얼 억제제 개발 시 릴리가 우선권을 확보하는 조건도 포함돼 있다.

MARC1은 간과 신장에 존재하는 효소로 약물 대사 및 해독 과정에 관여하며, 변이가 있을 경우 MASH 및 간섬유화와 밀접한 관련이 있는 것으로 알려져 있다. 이를 억제하면 간 내 지방 축적 감소와 섬유화 억제 효과를 기대할 수 있다. 실제로 MASH 동물모델에서 간 조직 내 지방 감소 및 회복 효과가 확인되었으며, 비만 원숭이 모델에서는 세마글루타이드와 병용 시 단독 투여 대비 추가 체중 5% 감소하고 요요 현상이 완화되는 결과가 나타났다. 고지방식이 생쥐 모델에서도 터제파타이드와 병용 시 최대 44.4%의 체중 감소 효과를 기록했다. 고무적인 점은 단독 투여만으로도 2주 간격 투여 시 세마글루타이드와 유사한 체중 감소(-26%)와 에너지 대사 증가 효과가 확인되었다는 점이다.

현재 호주에서 건강한 지원자 및 MASH 환자 대상 임상1상 진행 중이며 1H26 종료, 2H26 임상2상 진입이 예상된다. 2024년에 발표된 중간 데이터에서는 NAFLD 환자의 간 지방 함량이 최대 70% 수준 감소했고 단회 투여만으로도 최소 3개월 이상 효과가 유지되는 것으로 확인되었다.

Fig. 105: MARC1의 대사 조절 기전: 간의 해독/대사 과정에 관여



Source: mARC1 Is the Main Contributor to Metabolic Reduction of N-Hydroxyurea, 다올투자증권

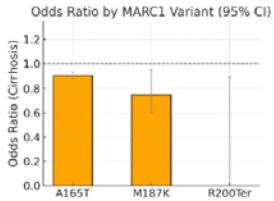
Fig. 106: MARC1 변이와 간질환 위험 간의 상관성

Table 2. An allelic series of variants in *MARC1* which associate with lower total cholesterol levels, alanine transaminase levels and reduced risk of cirrhosis.

MARC1 Variant	MAF	Total Cholesterol, Effect in SD (CI)	Alanine Transaminase, Effect in SD (CI)	Cirrhosis, Odds Ratio (CI)
A165T	29%	**-0.030** (-0.035, -0.025), $p = 1.9 \times 10^{-26}$	**-0.025** (-0.028, -0.021) $p = 3.7 \times 10^{-43}$	**0.91** (0.88, 0.93), $p = 2.3 \times 10^{-11}$
M187K	1.1%	**-0.053** (-0.074, -0.032), $p = 7 \times 10^{-7}$	**-0.032** (-0.053, -0.012), $p = 0.001$	**0.75** (0.60, 0.95), $p = 0.01$
R200Ter	0.009%	**-0.16** (-0.32, -0.01), $p = 0.04$	**-0.24** (-0.43, -0.05), $p = 0.02$	**0** (0, 0.90), $p = 0.04$

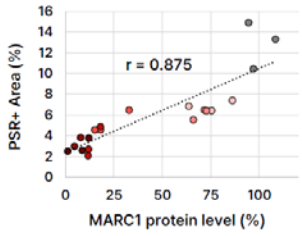
Loss-of-function variant

Minor allele frequency refers to minor allele frequency in UK Biobank. MAF, minor allele frequency; Dir., direction; SD, standard deviation; OR, odds ratio



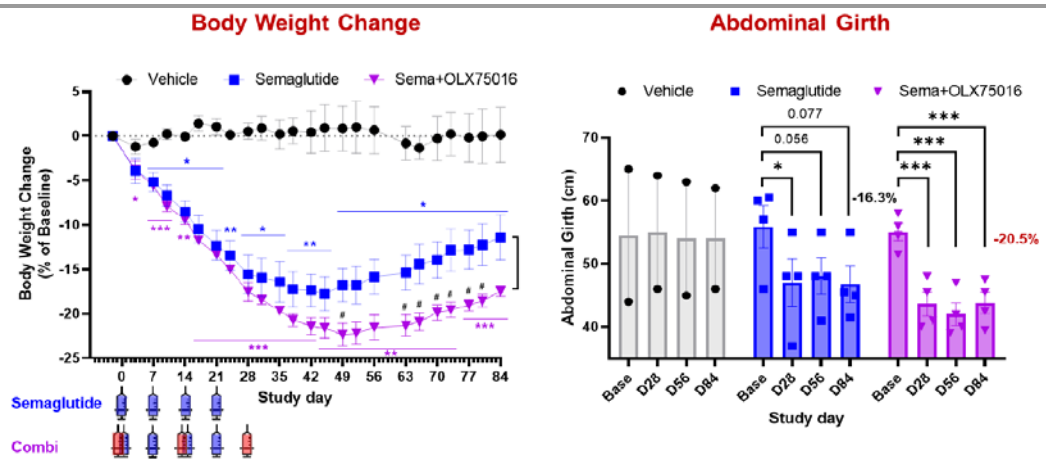
- MARC1 variants (p.A165T, p.M187K, p.R200Ter) are reported to lower ALT, blood cholesterol, and cirrhosis risk
- The loss-of-function variant p.R200Ter dramatically lowers cirrhosis occurrence (0 cases of cirrhosis among 238 R200Ter carriers)
- Missense variants (like A165T) have limited impact on gene inhibition, whereas a GalNAc-siRNA approach can achieve robust suppression akin to a loss-of-function mutation.

▪ Correlation analysis in mouse liver fibrosis model



Source: 올릭스, 다올투자증권

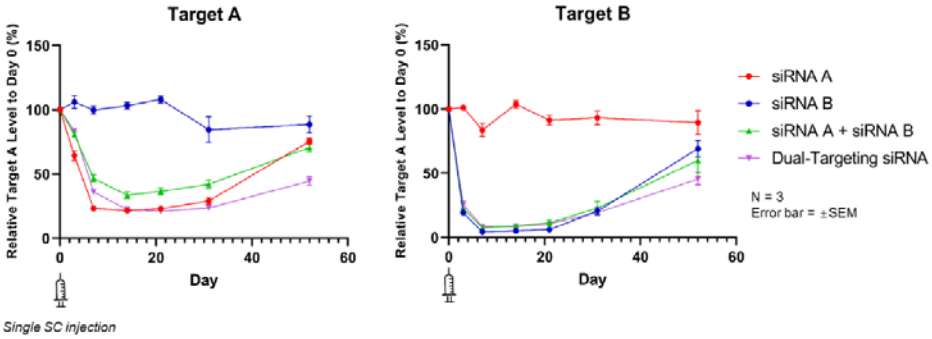
Fig. 107: 전임상(OLX702A+세마글루타이드 병용) 데이터



GLP-1 + OLX702A: 체중과 허리둘레 동시 개선 효과 (NHP 연구 기반)

Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 108: 올릭스 듀얼 타겟팅 플랫폼을 통한 확장 가능성: MARC1 + 비만/심혈관 등



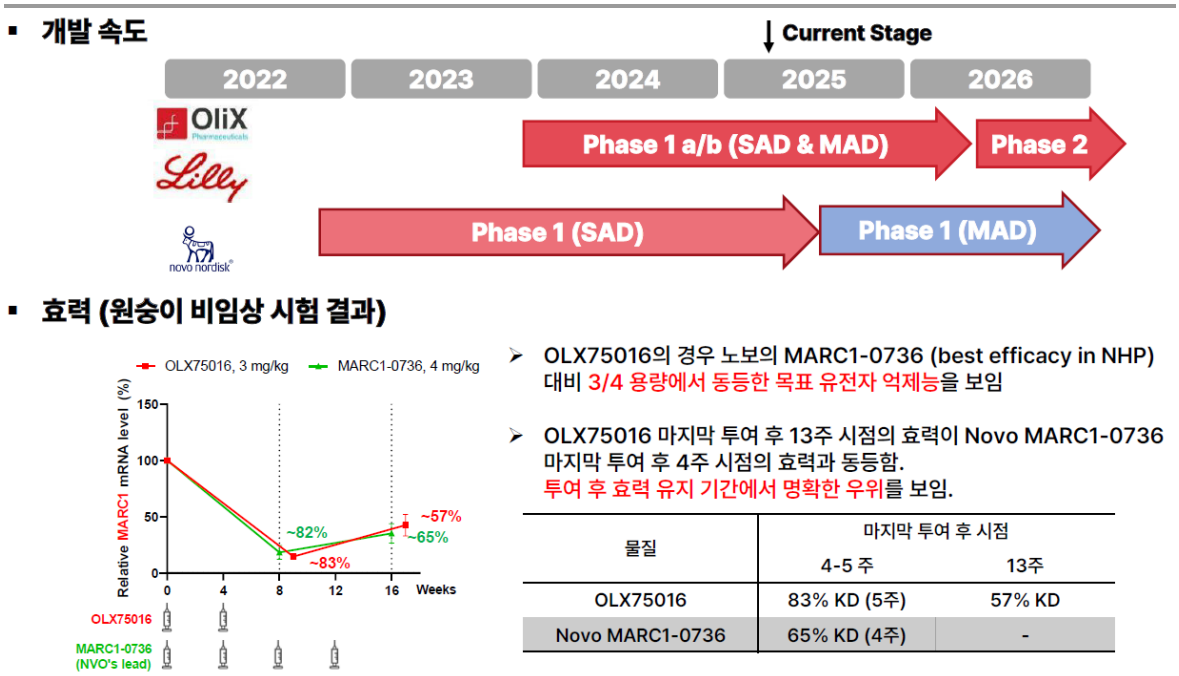
- 두 GalNAc-asiRNA 혼합군(초록) 대비 dual 타겟팅 플랫폼(보라)의 동등 또는 일부 우수한 효력 및 지속기간 확인
- 복수 siRNA 개발 대비, 단일 분자 접근은 전달 균일성 및 개발 효율성(CMC, QC, 허가)을 동시에 확보
- *Lilly 와의 계약사항:* 타겟 유전자인 'MARC1'과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적으로 하는 치료제를 개발할 경우, 릴리는 동 치료제에 대한 우선적인 권리를 가지며, 이로 인해 상기 총 계약 금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있음

Source: 올릭스, 다올투자증권

경쟁약물 대비 높은 지방간 감소 효과, 긴 유지기간 확인

경쟁약물인 노보노디스크의 MARC1-0736 siRNA와의 비교에서도 강점이 확인되었다. 원숭이 전임상에서 OLX702A(3mg, 2회 투여)는 Novo MARC1-0736(4mg, 4회 투여) 대비 지방간 감소 효과가 더 크고 유지 기간도 길게 나타났다. 이는 용량, 투여 횟수 대비 효율성과 지속성 측면에서 올릭스가 우위를 갖는 것으로 평가된다. OLX702A는 간 지방 감소와 섬유화 억제를 목표로 하지만 전임상을 통해 비만 적응증 확장 및 GLP-1 계열 병용 시너지까지 확인된 만큼 향후 적용 범위 확대가 기대된다.

Fig. 109: OLX702A 임상1상 중간 데이터: 간 지방 감소 효과



물질	마지막 투여 후 시점	
	4-5 주	13주
OLX75016	83% KD (5주)	57% KD
Novo MARC1-0736	65% KD (4주)	-

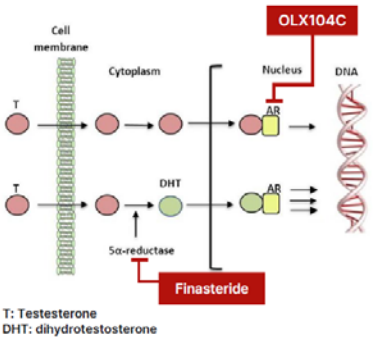
Source: 올릭스, 다올투자증권

II-3. 탈모로 치료제와 화장품 시장 동시 공략

OLX104C는 호르몬 부작용 리스크가 낮고 국소 피내 주사 가능

OLX104C는 안드로겐 수용체(Androgen Receptor; AR)를 표적하는 탈모 치료제다. 남성형 탈모는 테스토스테론이 5α-환원효소에 의해 전환된 디하이드로테스토스테론(DHT) 때문에 발생한다. DHT는 테스토스테론보다 훨씬 강력하게 안드로겐 수용체(AR)에 결합하는데 이 결합이 모낭(모발이 만드는 뿌리 세포)에 작용해 모발 성장 주기를 짧게 하고 점차 가늘게 만들어 결국 탈모를 유발한다. 기존 치료제인 피나스테리드(Finasterid)는 5α-환원효소를 억제해 DHT 생성을 줄이는 방식으로 작용하지만 성기능 저하나 여성 임신 시 기형 위험 등 호르몬 관련 부작용이 문제가 된다. 반면 OLX104C는 호르몬 대사에 관여하지 않고 안드로겐 수용체 발현 자체를 억제해 DHT의 결합 자리를 줄이는 기전을 가진다. 이에 따라 호르몬 관련 부작용 리스크가 낮고, 국소 피내 주사 방식으로 전임상에서 단회 투여만으로도 3주 이상 장기 효력이 확인되었다. 또한 호주 임상1a상(남성형 탈모 환자 25명)에서는 중대한 이상반응(SAE) 없이 안전성과 내약성이 입증되었다. OLX104C는 투약 주기가 길어 환자 편의성과 순응도에서 경쟁약물 대비 우위를 가질 수 있다.

Fig. 110: OLX104C의 프로파일



◆ **AR target**
- Mechanistically and clinically more advantageous for female AGA patients

◆ **siRNA modality**
- Low dosing frequency and minimal systemic action

◆ **ID injection**
- Strong local effect
- Slow and limited systemic absorption

Category	Product Profile
Indication	AGA (Androgenetic Alopecia)
Target patients	Male and Female AGA
Administration	Intradermal injection, monthly
MoA	Inhibits the expression of androgen receptor (AR) that binds to DHT, thereby blocking downstream hair loss signals
Efficacy	Improves total hair count in the affected scalp area
Safety	Low systemic exposure reduces side effects Demonstrates excellent systemic and local safety

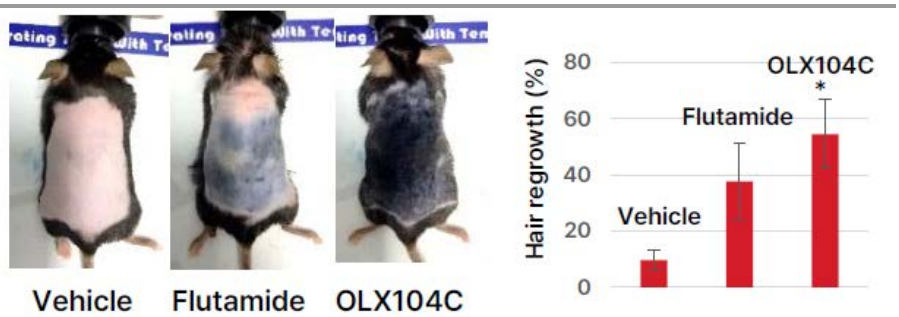
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 111: OLX104C의 경쟁력

	OLX104C	Clascoterone	Pyrilutamide	Spironolactone (Off-label)	Flutamide (Off-label)	Minoxidil	Finasteride
Target	AR					Vasculature	5α-reductase
Modality	siRNA (lipid conjugate)	Small molecule				Small molecule	
Route	Intradermal	Topical	Topical	Oral	Oral	Topical	Oral
Efficacy (TAHC*)	TBD	9.8[c]	10[d]	-	-	9.5[a]	17[b]
Safety	Excellent safety profile in Phase 1	Steroidal AR blocker	Non-steroidal AR blocker	Hyperkalemia[1]	Hepatotoxicity[2]	Systemic vascular dilation	Hormonal Imbalance[3]
Dosage	QM	BID	BID	QD	QD	QD	QD
Stage	Phase 1b/2a	Phase 3	Phase 3			Approved	Approved
Unmet needs	Frequent dosing			Safety	Safety	Limited efficacy	Women usage

Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 112: OLX104C 마우스 AGA 모델 발모 효과 확인

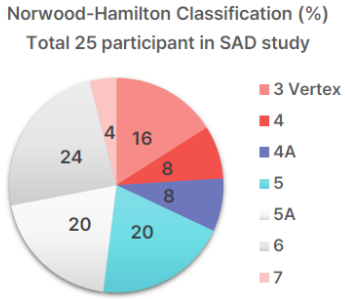


Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 113: OLX104C 임상1a상 데이터: 부작용 미미

Design	No. of Subject	Patients Groups	Dosing	Primary	Secondary
Randomized, double-blind, placebo-controlled	25 (Active: 17, Placebo: 8)	Mild to Severe AGA	5-dose escalation[1]	Safety and tolerability	PK

✓ **Patients with various stages of hair loss**



✓ **Only two[2] moderate (possibly related) reactions observed**

	OLX72021 (%)	Placebo (%)
Patients with any reaction post-dosing	11 (64.7)	6 (75.0)
Patients with treatment-related reactions	3 (11.8)	2 (25.0)
Nervous system disorders	2 (11.8)	1 (12.5)
└Headache	2 (11.8)	1 (12.5)
Injection site reactions	1 (5.9)	1 (12.5)
└Fatigue	1 (5.9)	0 (0)
└Fever	0 (0)	1 (12.5)

Source: 올릭스, 다올투자증권

로레알과 공동 개발 계약 체결. 옵션 행사 시 권리 이전 계약으로 확장 가능. 4Q25 호주 임상1b/2a상 예정

2025년 6월, 로레알(Loreal)과 siRNA 기반 탈모 치료제 공동개발 계약(계약금 약 150억원, 임상 단계별 마일스톤과 로열티 포함해 총 수백억원)을 체결했다. 대상 파이프라인은 OLX104C(안드로겐 수용체 타겟)로 올릭스가 siRNA 설계 및 전임상/임상 초기 연구를 주도하고, 로레알은 연구비 지원 및 후속 개발 및 상업화를 담당하는 구조다. 특히 이번 계약은 단순 공동연구에 그치지 않고, 향후 로레알이 라이선스 옵션을 행사할 경우 글로벌 권리 이전으로 확장이 가능하다. 현재 호주에서 임상1b/2a상 진입을 앞두고 있으며, 로레알의 글로벌 유통망과 화장품 사업 역량을 활용할 경우 치료제와 코스메슈티컬 시장을 동시에 공략할 수 있을 것으로 기대된다.

Fig. 114: 올릭스의 기술이전 계약 현황

계약 시점	파트너	파이프라인/타겟	계약 구조 및 규모	비고
2025.02	Eli Lilly	OLX702A (MASH/비만), MARC1 타겟	- 총 6.3억 달러 규모 (약 9,117억원) - 임상1상은 올릭스 진행, 2상부터 릴리 주도	- MARC1과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적하는 듀얼 억제제 개발시 우선권 확보
2025.06	로레알 (L'Oréal)	OLX104C (탈모), 안드로겐 수용체 타겟	- 계약규모 비공개(계약금 수백억 원 수준) - 초기 공동개발 → 향후 기술이전, 원료공급, 마일스톤+로열티 확장 가능	- 올릭스가 개발 주도, 로레알은 연구비 지원 - 화장품+치료제 영역 병행. 옵션 계약 포함
2021.10 (옵션 2023.02)	한소제약 (Hansoh Pharma ceutical)	OLX706A/B/C (심혈관/대사질환) GalNAc-asiRNA 플랫폼	- 최대 4.5억달러 규모(약 5,300억원) - 2023년 추가 옵션 계약(계약금 225만달러 + 마일스톤 1.1억달러)	임상은 한소제약 주도. 올릭스는 물질 제공 및 플랫폼 L/O

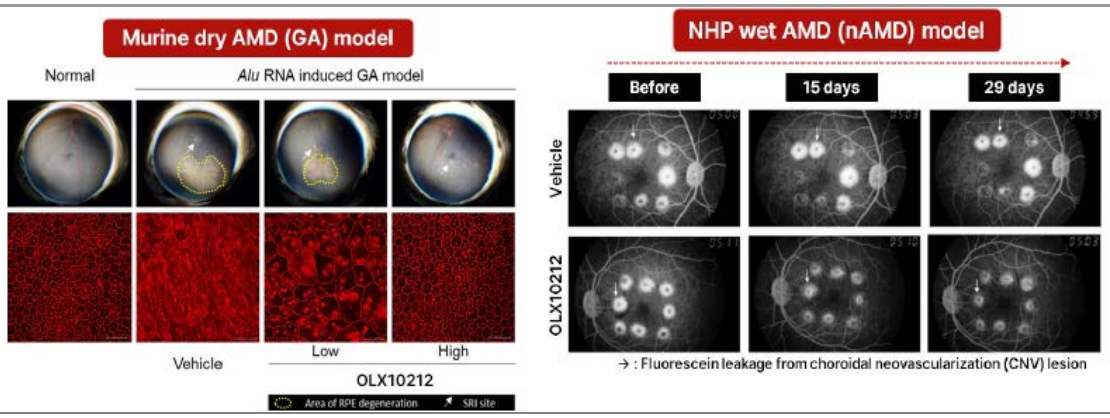
Source: 올릭스, 다올투자증권

III. 자체 개발 플랫폼으로 파이프라인 확대 중

OLX301A(황반변성) 4Q25 임상1b상 데이터 발표 예정

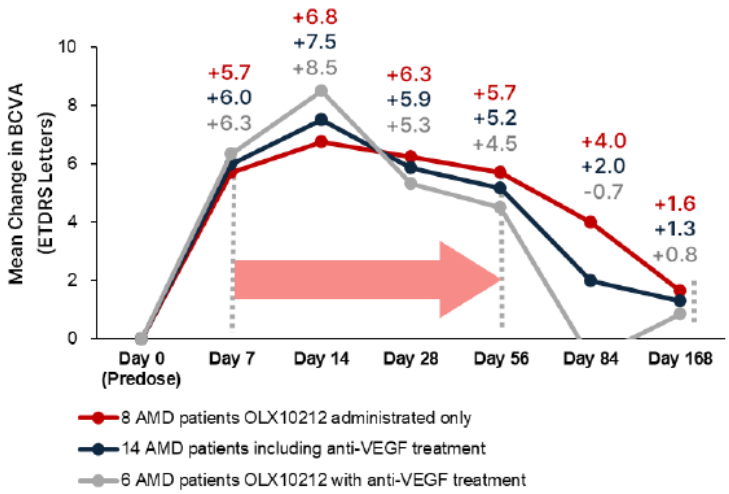
올릭스는 핵심 파이프라인 외에도 다수의 비임상 및 초기 임상 단계 프로그램을 확보해 추가적인 기술이전 가능성을 열어두고 있다. 피부 분야에서는 비대흉터 치료제 OLX101A가 미국 임상2상을 완료했으며, 안과 영역에서는 OLX301A가 건성과 습성 황반변성(Age-related mascular degeneration; AMD)을 모두 겨냥하는 first-in-class RNA 치료제로 개발 중이다. OLX301A는 미국 임상1b상을 마무리했으며, 4Q25에 데이터 발표가 예정되어 있다.

Fig. 115: OLX301A 전임상 데이터: 건/습성 AMD 모델에서 모두 우수한 치료 효과 확인



Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 116: OLX301A 임상1a상 데이터: BCVA 5자 이상 개선



Source: 올릭스, 다올투자증권
Note: BCVA(Best Corrected Visual Activity): 시력 변화 평가 지표. 5자 이상 개선 = 기존보다 5글자 이상 더 읽을 수 있게 됨. 시력 연구에서 5자 개선은 유의미한 개선의 기준선으로 많이 사용됨

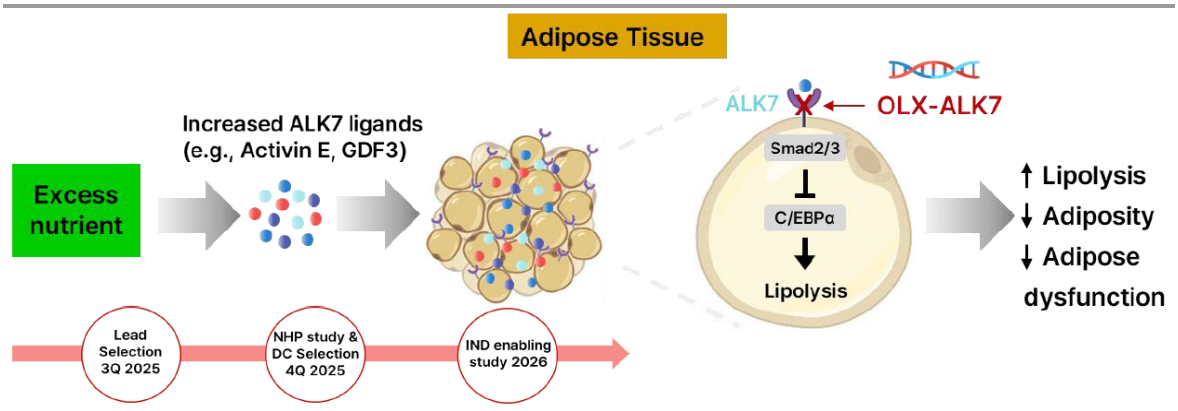
신규 파이프라인 OLX04A(비만)와 OLX04B(뇌질환) 개발 중. 추가 기술이전 가능성 유효

대사질환 분야에서는 지방조직 표적 파이프라인 OLX04A(비만)가 개발 중이다. ALK7(Activin receptor-like kinase 7) 유전자의 발현을 억제해 지방세포에서 ALK7 수용체 단백질 양을 줄임으로써 에너지 대사와 지방 축적 경로를 조절한다. 또한 GWAS(유전체 연관 분석) 연구에서 ALK7 변이가 복부 비만 위험 감소와 관련 있음이 보고되어 유전적으로 검증된 항비만 타겟으로 평가된다. 지방 조직 자체를 표적한다는 점에서 기존 GLP-1 계열과 차별화되며 글로벌 제약사들의 관심을 받고 있다. 3Q25 후보물질 도출해 2H26 IND 제출할 계획이다.

중추신경계(CNS) 영역에서는 OLX04B가 개발되고 있다. OLX04B는 BBB(혈액뇌장벽) 셔틀과 같은 전달 기술을 접목해 기존 치료제가 도달하기 어려운 뇌질환 적응증을 공략할 수 있다. siRNA의 특성상 기존 항체나 저분자약물이 접근하지 못 하는 세포 내 표적 억제가 가능하며, 전임상 파킨슨병 동물 모델(PFF 마우스)에서 운동 기능 개선(Wire hanging test 연장) 효과가 확인되었다. 현재 siRNA 전달을 위한 선도적인 BBB 기술 보유 기업들과 파트너십 논의도 진행 중이다.

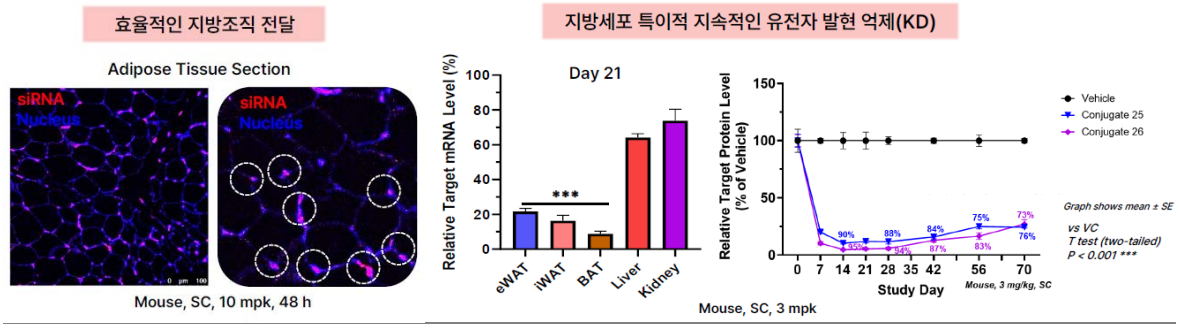
이들 파이프라인은 자가 전달 플랫폼(cp-asiRNA) 기술을 기반으로 설계되어 있으며, 향후 글로벌 제약사들과의 개별 파이프라인 기술이전은 물론, 플랫폼 단위의 계약으로 확장될 잠재력이 충분하다. 이미 일라이 릴리, 로레알, 한소제약과의 계약으로 검증된 바와 같이 추가 파트너십을 통해 신약 가치를 높일 전망이다.

Fig. 117: OLX04A 작용기전: ALK7 유전자 발현 억제



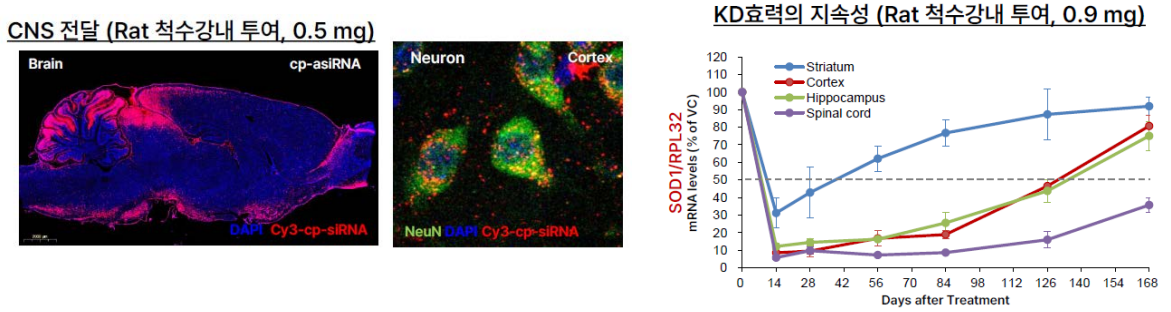
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 118: OLX04A: 높은 전달력과 약물 지속성



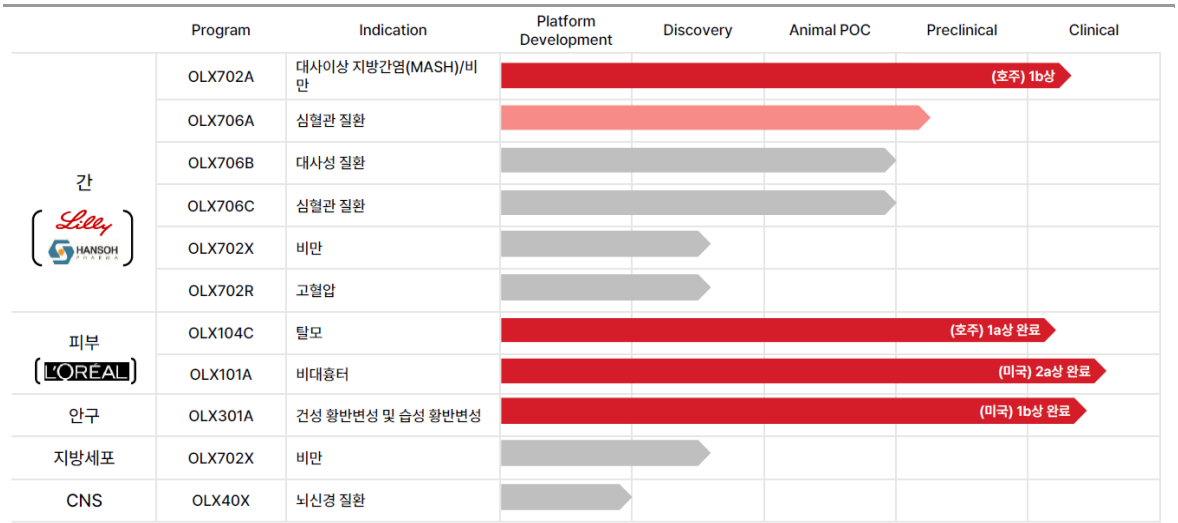
Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 119: OLX04B 프로파일: 높은 CNS 전달력과 약물 지속성



Source: 올릭스, 다올투자증권

Fig. 120: 올릭스 파이프라인 현황



Source: 올릭스, 다올투자증권

올릭스 재무제표 (K-IFRS 연결)

대차대조표

(단위: 십억원)	2020	2021	2022	2023	2024
유동자산	69.0	52.2	65.0	32.1	15.5
현금성자산	66.6	49.6	57.9	22.0	3.9
매출채권	0.2	0.3	1.1	5.0	1.0
재고자산	0.3	0.4	0.7	0.5	0.6
비유동자산	9.5	34.4	67.6	70.7	55.7
투자자산	0.8	0.8	28.3	24.8	2.6
유형자산	6.2	31.5	37.2	43.9	51.4
무형자산	2.5	2.1	2.1	2.0	1.7
자산총계	78.6	86.7	132.7	102.8	71.2
유동부채	4.5	40.4	39.5	6.6	30.1
매입채무	0.8	1.6	1.3	2.5	4.9
유동성이자부채	0.3	28.2	31.9	1.1	25.1
비유동부채	28.7	26.9	26.9	45.9	22.7
비유동이자부채	17.5	20.4	23.8	42.7	21.4
부채총계	33.2	67.3	66.4	52.5	52.8
자본금	6.8	6.9	8.4	8.4	9.2
자본잉여금	91.1	92.9	151.9	157.2	175.5
이익잉여금	(54.4)	(84.3)	(103.2)	(122.9)	(167.8)
자본조정	1.8	3.1	8.9	7.1	0.9
자기주식	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
자본총계	45.4	19.4	66.2	50.3	18.5
투하자본	(3.5)	18.5	37.2	48.6	59.1
순차입금	(48.8)	(0.9)	(2.2)	21.8	42.6
ROA	(31.3)	(36.6)	(20.0)	(16.2)	(46.7)
ROE	(44.5)	(94.9)	(51.8)	(33.0)	(120.1)
ROIC	na	na	(58.3)	(30.7)	(41.6)

손익계산서

(단위: 십억원)	2020	2021	2022	2023	2024
매출액	2.5	3.7	9.3	17.1	5.7
증가율 (Y-Y,%)	(73.5)	48.5	153.7	83.1	(66.7)
영업이익	(16.2)	(24.2)	(22.4)	(18.2)	(30.9)
증가율 (Y-Y,%)	적지	적지	적지	적지	적지
EBITDA	(15.1)	(22.6)	(20.3)	(15.5)	(28.3)
영업외손익	(4.3)	(5.8)	(6.7)	0.0	(10.2)
순이자수익	0.0	(2.0)	(1.5)	(2.2)	(4.1)
외화관련손익	(0.0)	(0.0)	(0.1)	0.0	(0.4)
지분법손익	0.0	0.0	0.0	(0.9)	(8.2)
세전계속사업손익	(20.5)	(30.0)	(29.1)	(18.2)	(41.1)
당기순이익	(19.4)	(30.3)	(21.9)	(19.1)	(40.7)
지배기업당기순이익	(19.4)	(29.7)	(19.5)	(19.1)	(40.7)
증가율 (Y-Y,%)	적지	적지	적지	적지	적지
NOPLAT	(11.8)	(17.6)	(16.2)	(13.2)	(22.4)
(+) Dep	1.1	1.6	2.1	2.6	2.6
(-) 운전자본투자	(16.3)	(7.6)	9.0	5.2	2.0
(-) Capex	1.0	26.3	2.5	9.2	14.9
OpFCF	4.7	(34.6)	(25.6)	(24.9)	(36.7)
3 Yr CAGR & Margins					
매출액증가율(3Yr)	n/a	130.0	102.0	90.3	15.6
영업이익증가율(3Yr)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
EBITDA증가율(3Yr)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
순이익증가율(3Yr)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
영업이익률(%)	(656.4)	(659.4)	(240.1)	(106.6)	(544.6)
EBITDA마진(%)	(610.3)	(615.0)	(217.8)	(91.1)	(498.4)
순이익률 (%)	(783.4)	(824.0)	(234.8)	(111.9)	(716.2)

현금흐름표

(단위: 십억원)	2020	2021	2022	2023	2024
영업현금	(3.8)	(19.1)	(30.7)	(21.2)	(28.0)
당기순이익	(19.4)	(30.3)	(21.9)	(19.1)	(40.7)
자산상각비	1.1	1.6	2.1	2.6	2.6
운전자본증감	10.0	2.4	(8.5)	(7.2)	(1.8)
매출채권감소(증가)	0.0	(0.1)	(0.1)	(4.8)	4.0
재고자산감소(증가)	0.1	(0.1)	(0.3)	0.2	(0.1)
매입채무증가(감소)	(0.6)	0.6	(0.1)	1.0	(0.6)
투자현금	(31.4)	15.5	(54.8)	34.4	1.0
단기투자자산감소	(29.8)	41.4	(50.9)	43.2	10.0
장기투자증권감소	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
설비투자	(1.0)	(26.3)	(2.5)	(9.2)	(14.9)
유무형자산감소	0.0	1.1	0.8	0.5	1.7
재무현금	41.7	26.6	56.0	(6.1)	18.5
차입금증가	28.9	19.6	(0.8)	(6.5)	18.6
자본증가	12.8	0.7	0.0	0.5	0.0
배당금지급	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
현금 증감	6.4	23.0	(29.4)	7.1	(8.1)
총현금흐름(Gross CF)	(14.0)	(21.1)	(21.8)	(13.3)	(26.4)
(-) 운전자본증가(감소)	(16.3)	(7.6)	9.0	5.2	2.0
(-) 설비투자	1.0	26.3	2.5	9.2	14.9
(+) 자산매각	0.0	1.1	0.8	0.5	1.7
Free Cash Flow	(35.5)	(3.2)	(85.0)	14.0	(27.2)
(-) 기타투자	0.0	(0.0)	0.0	0.0	(0.0)
잉여현금	(35.5)	(3.2)	(85.0)	14.0	(27.2)

주요투자지표

(단위: 원, 배)	2020	2021	2022	2023	2024
Per share Data					
EPS	(1,431)	(2,168)	(1,423)	(1,192)	(2,203)
BPS	3,157	1,196	3,820	2,834	875
DPS	0	0	0	0	0
Multiples(x,%)					
PER	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PBR	15.9	34.3	5.3	5.1	22.0
EV/ EBITDA	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
배당수익율	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PCR	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PSR	275.3	152.9	36.5	14.4	62.6
재무건전성 (%)					
부채비율	73.3	346.6	100.4	104.3	285.7
Net debt/Equity	n/a	n/a	n/a	43.2	230.8
Net debt/EBITDA	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
유동비율	1,538.4	129.4	164.5	489.7	51.7
이자보상배율	1,414.5	n/a	n/a	n/a	n/a
이자비용/매출액	9.7	66.2	31.4	20.5	82.1
자산구조					
투하자본(%)	(5.4)	26.8	30.2	51.0	90.1
현금+투자자산(%)	105.4	73.2	69.8	49.0	9.9
자본구조					
차입금(%)	28.2	71.5	45.7	46.5	71.6
자기자본(%)	71.8	28.5	54.3	53.5	28.4

자료: 다올투자증권

Compliance Notice

당사는 본 자료를 기관투자가 등 제 3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다. 당사는 본 자료 발간일 현재 해당 기업의 인수·합병의 주선 업무를 수행하고 있지 않습니다. 당사는 자료작성일 현재 본 자료에서 추천한 종목의 지분을 1% 이상 보유하고 있지 않습니다. 당사는 본 자료 발간일 현재 해당 기업의 계열사가 아닙니다. 당사는 동 종목에 대해 자료작성일 기준 유가증권 발행(DR, CB, IPO, 시장조성 등)과 관련하여 지난 12개월간 주간사로 참여하지 않았습니다. 당사는 상기 명시한 사항 외에 고지해야 하는 특별한 이해관계가 없습니다. 본 자료를 작성한 애널리스트 및 그 배우자는 발간일 현재 해당 기업의 주식 및 주식 관련 파생상품 등을 보유하고 있지 않습니다. 본 자료의 조사분석담당자는 어떠한 외부 압력이나 간섭 없이 본인의 의견을 정확하게 반영하여 작성하였습니다. 본 자료는 '나눔스퀘어'와 '아리따 글꼴'을 사용하여 작성하였습니다

투자등급 비율

BUY : 90.9%	HOLD : 9.1%	SELL : 0.0%

투자등급 관련사항

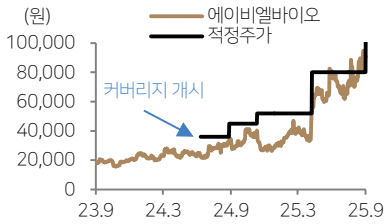
아래 종목투자의견은 향후 12개월간 추천기준일 종가대비 추천종목의 예상 기대수익률을 의미
· BUY: 추천기준일 종가대비 +15% 이상
· HOLD: 추천기준일 종가대비 -15% 이상~ +15% 미만.
· REDUCE: 추천기준일 종가대비 -15% 미만.
· SUSPENDED: 기업가치 전망에 불확실성이 일시적으로 커진 경우, 분석 잠정적 중단. 적정주가 미제시.

투자 의견이 시장 상황에 따라 투자등급 기준과 일시적으로 다를 수 있음
동 조사분석자료에서 제시된 업종 투자의견은 시장 대비 업종의 초과수익률 수준에 근거한 것으로, 개별 종목에 대한 투자의견과 다를 수 있음
· Overweight: 해당 업종 수익률이 향후 12개월 동안 KOSPI 수익률을 상회할 것으로 예상하는 경우
· Neutral: 해당 업종 수익률이 향후 12개월 동안 KOSPI 수익률과 유사할 것으로 예상하는 경우
· Underweight: 해당 업종 수익률이 향후 12개월 동안 KOSPI 수익률을 하회할 것으로 예상 경우

주) 업종 수익률은 위험을 감안한 수치

최근 2년간 투자등급 및 적정주가 변경내용

에이비엘바이오 (298380)



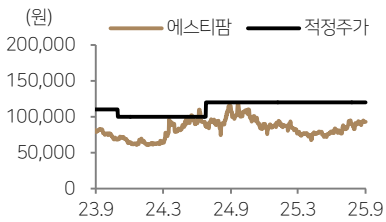
일자	커버리지 개시	2024.06.13	2024.08.29	2024.11.13	2025.04.10	2025.09.03
투자의견		BUY	BUY	BUY	BUY	BUY
적정주가		36,000원	45,000원	52,000원	80,000원	120,000원

적정주가 대비 실제주가 괴리율 (%)

일자	적정주가	평균주가	최고가	평균주가 괴리율(%)	최고가 괴리율(%)
2024.06.13	36,000원	27,531원	32,900원	-23.52	-8.61
2024.08.29	45,000원	34,773원	41,350원	-22.73	-8.11
2024.11.13	52,000원	34,337원	52,600원	-33.97	1.15
2025.04.10	80,000원	72,289원	94,800원	-9.64	18.5
2025.09.03	120,000원	-	-	-	-

* 괴리율 적용 기간: 최근 2년내 적정주가 변경일로부터 최근 종가 산출일(2025년 9월 2일)
** 괴리율 적용 산식: (실제주가 - 적정주가) / 적정주가

에스티팜 (237690)



일자	2023.11.01	2024.06.27
투자의견	BUY	BUY
적정주가	100,000원	120,000원

적정주가 대비 실제주가 괴리율 (%)

일자	적정주가	평균주가	최고가	평균주가 괴리율(%)	최고가 괴리율(%)
2023-11-01	Buy	100,000	76,164	109,600	60,400
2024-06-27	Buy	120,000	87,680	117,000	67,300

* 괴리율 적용 기간: 최근 2년내 적정주가 변경일로부터 최근 종가 산출일(2025년 9월 2일)
** 괴리율 적용 산식: (실제주가 - 적정주가) / 적정주가

Research Division

DAOL 다올투자증권

리서치본부장

상무
김현
hyunkim@daolfn.com

기업분석

조선 · 기계 · 방산	건설 · 부동산	자동차 · 이차전지	제약 · 바이오
최광식	박영도	유지웅	이지수
gs.choie@daolfn.com	ypark@daolfn.com	jwyoo@daolfn.com	jislee@daolfn.com
금융	**반도체 · 소부장**	**화장품 · 의료기기**	**인터넷 · 게임 · 엔터 · 레저**
김지원	고영민	박종현	김혜영
jiwonkim@daolfn.com	ym.ko@daolfn.com	alex.park@daolfn.com	hyyy@daolfn.com
음식료	**철강**	**운송 · 로봇**	
이다연	이정우	오정하	
dayeonlee@daolfn.com	jungwoo@daolfn.com	junghao@daolfn.com	

투자전략

투자전략	계량분석	채권분석	시황분석
조병현	김경훈	허정인	김지현
bhcho@daolfn.com	aimhigh2027@daolfn.com	jeongin@daolfn.com	jeehyun12@daolfn.com

최근 3개월간 발간한 In-Depth

2025.06.04	조병현 · 허정인 · 김지현	매크로 2025 하반기 전망 - 파란만장 희망회로
2025.06.09	이다연	음식료 – 안정 속 가속
2025.06.12	김지원	은행 – 본질 이상의 가치
2025.07.29	박종현	화장품 – K뷰티의 Unsung Heroes
2025.08.06	박영도	건설산업 - PF STATUS QUO Vol. 9
2025.08.12	오정하	운송 – 성장의 실마리
2025.08.28	김지현 · 박종현 · 김혜영 · 오정하	중국 단체 관광객 무비자 정책 영향 – 유커 이즈백

www.daolfn.com

본사 | 서울특별시 영등포구 여의나루로 60. 여의도 포스트타워

본사영업점 | 서울특별시 영등포구 여의나루로 60. 여의도 포스트타워 27층

DAOL 다올투자증권

본 자료는 고객의 투자 판단을 돕기 위한 정보제공을 목적으로 작성된 참고용 자료입니다. 본 자료는 조사분석 담당자가 신뢰할 수 있는 자료 및 정보를 토대로 작성한 것이나, 제공되는 정보의 완전성이나 정확성을 당사가 보장하지 않습니다. 모든 투자의사결정은 투자자 자신의 판단과 책임하에 하시기 바라며, 본 자료는 투자 결과와 관련한 어떠한 법적 분쟁의 증거로 사용될 수 없습니다. 본 자료는 당사의 저작물로서 모든 저작권은 당사에 있으며, 당사의 동의 없이 본 자료를 무단으로 배포, 복제, 인용, 변형할 수 없습니다.