

알지노믹스 476830

세 가지 길 - 알츠하이머, in vivo CAR-T, 간암

Mid-2026, RNA 기반 알츠하이머 치료제 가능성 첫 임상적 검증

올해 중순, RNA에 대하여 가장 주목해볼만한 글로벌 모멘텀이 있다. Biogen의 BIIB080, tau ASO 알츠하이머 임상 2상 결과발표이다. 임상 2상에서 알츠하이머 대상 인지기능개선 효과를 확인한다면, RNA의 근본적인 확장이 시작될 것으로 전망한다. 이때까지 tau를 항체로 접근하였으나 무수한 실패가 있었다. 뉴런 세포 내부의 tau tangle을 저해하여야 하나, 항체로는 세포 내부를 저해하기 불가능하여 tau spreading 억제 수준에 그쳐 기존 tangle 제거는 도달하지 못하였기 때문이었다. 임상에 성공한다면 희귀질환에 한정되어 적용되었던 RNA가 알츠하이머라는 거대 시장에 접근할 수 있다는 중요한 신호이며, RZ003 알츠하이머 파이프라인을 보유한 알지노믹스도 수혜주로 작용할 것으로 전망한다.

In vivo CAR-T 플랫폼 확장 가능성 확인

3월 27일, 알지노믹스는 자사의 circRNA 플랫폼 관련 논문을 발표하였다. circRNA+polymer 조합으로 IV 투여하였을 때 비장의 T cell delivery 우수성을 입증하였으며 향후 in vivo CAR-T 플랫폼으로 확장할 가능성이 열렸다.

이번 논문의 circRNA는 기존 알지노믹스가 보유한 RNA editing 플랫폼과 구별되는 두 번째 플랫폼이다. 주목할만한 부분은 일반적으로 circRNA가 사용하는 LNP 외 polymer delivery를 사용하여 비장 특이적 T cell delivery를 성공하였다는 점이다. 과거 circRNA 기업 Orna, Orbital 등은 LNP를 사용하였으며 LNP는 간 특이적이라는 단점 하에 targeted-LNP를 개발한 바 있다.

4월, AACR2026에서 공개될 RZ001 데이터 주목

오는 4월 17일, 알지노믹스는 AACR2026에서 RZ001(+티센트릭/아바스틴 병용) 간암 1차 치료제 임상시험 initial data를 구두 발표 할 예정이다. RZ001은 Dose 1,2,3으로 나누어 각 코호트당 15명씩 임상을 진행하였으며 각 코호트 당 3명 투여하여 안전성을 확인한 뒤 후속 코호트가 오픈되는 구조로 시험을 실시하였다. 따라서 초기 용량에서 이미 안전성이 입증되었을 가능성이 높다고 판단하며, 유효성까지 확인될 경우 알지노믹스의 RNA editing 플랫폼의 human 데이터 확인이라는 측면에서 의의를 가질 것으로 전망한다.

Financial Data

(십억원)	2022	2023	2024	2025F	2026F
매출액	0	0	0	0	0
영업이익	0	0	0	0	0
영업이익률(%)					
세전이익	0	0	0	0	0
지배주주지분순이익	0	0	0	0	0
EPS(원)	0	0	0	0	0
증감률(%)	적지	적지	적지	적지	적지
ROE(%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PER(배)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PBR(배)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
EV/EBITDA(배)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a

자료: 알지노믹스, DS투자증권 리서치센터, KIFRS 연결기준

김민정 제약·바이오
02-709-2656
kim.min_jeong@ds-sec.co.kr

2026.03.30

N/R

목표주가(N/R)	N/R
현재주가(03/27)	230,500원
상승여력	

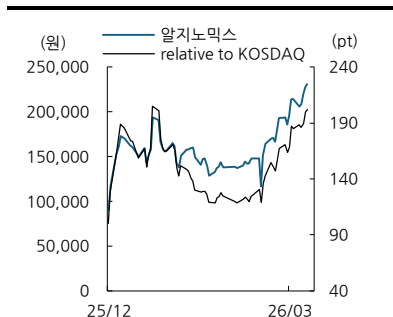
Stock Data

KOSDAQ	1,141.5pt
시가총액(보통주)	3,212십억원
발행주식수	13,934천주
액면가	500원
자본금	0십억원
60일 평균거래량	516천주
60일 평균거래대금	87,359백만원
외국인 지분율	4.4%
52주 최고가	245,250원
52주 최저가	90,000원
주요주주	
이성욱(외 10인)	21.1%
한국산업은행(외 2인)	9.3%

주가추이 및 상대강도

(%)	절대수익률	상대수익률
1M	55.7	60.0
3M	35.4	11.3
6M	#N/A	#N/A

주가차트



New modality RNA가 나아가야 할 길은?

저분자·항체가 구조적으로 갈 수 없는 길

Spinraza(=RNA)의 한계, 투약이 어렵고 비싸다

RNA 모달리티 가능성은 확보,
다음 속제는?

RNA가 기존 undruggable target에 접근할 수 있다는 명제는 이미 희귀질환에서 잘 정립되었다. ASO 기반 SMA(척수성근위축증, Spinal muscular atrophy) 치료제 Spinraza(성분명 nusinersen), siRNA 기반 고지혈증 치료제 Leqvio(성분명 Inclisiran) 등은 저분자 및 항체가 공략하지 못한 타겟에서 유효성을 확인하며 modality 가능성을 열었다.

단, Spinraza가 진출한 SMA 시장은 New modality에 대한 한계를 직접적으로 그려낸다. 결국 저렴하고 투약편의성이 좋은 저분자 화합물 혹은 항체가 접근할 수 있는 시장이라면, 결국 RNA는 제한적인 영역을 가지게 될 것이라는 사실이다.

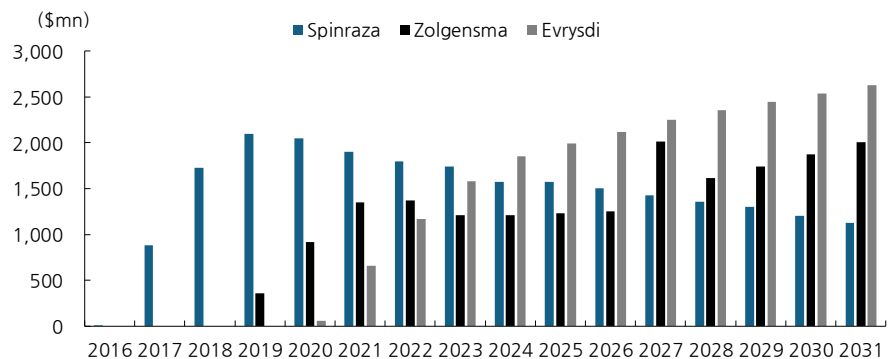
SMA:
졸겐스마 vs. 스피라자 vs. Evrysdi

SMA는 Gene therapy의 1세대 약물인 Zolgensma가 적응증을 획득한 질환으로 잘 알려져 있다. 현재는 Novartis의 Zolgensma(성분명 onasemnogene abeparvovec), Roche의 Evrysdi(성분명 risdiplam) 및 Ionis/Biogen의 Spinraza(성분명 nusinersen) 등의 3가지 유전자 치료제가 각각 \$1bn 이상의 매출을 달성하고 있다.

합산 시장 크기 약 \$5bn
졸겐스마 매출 유지
스핀라자 ↓ vs. Evrysdi ↑

연매출 '25년 기준 Zolgensma는 약 \$1.2bn, Evrysdi는 약 \$2.0bn 및 Spinraza는 약 \$1.6bn을 달성하였다. Zolgensma는 '21년부터 \$1.2~1.3bn 수준이 유지되고 있으며 Spinraza는 2019년 peak sales \$2.1bn 달성 후 지속적인 감소 추세인 반면 Evrysdi는 성장세를 이어오고 있다. 2031년 기준 Evrysdi 매출 컨센서스는 약 \$2.6bn에 달한다. 이에 Spinraza의 시장을 Evrysdi가 잠식해나가고 있음을 추측해 볼 수 있다.

그림1 SMA 시장 내 유전자 치료제 3종 매출 추이 및 전망



자료: Global data, DS투자증권 리서치센터

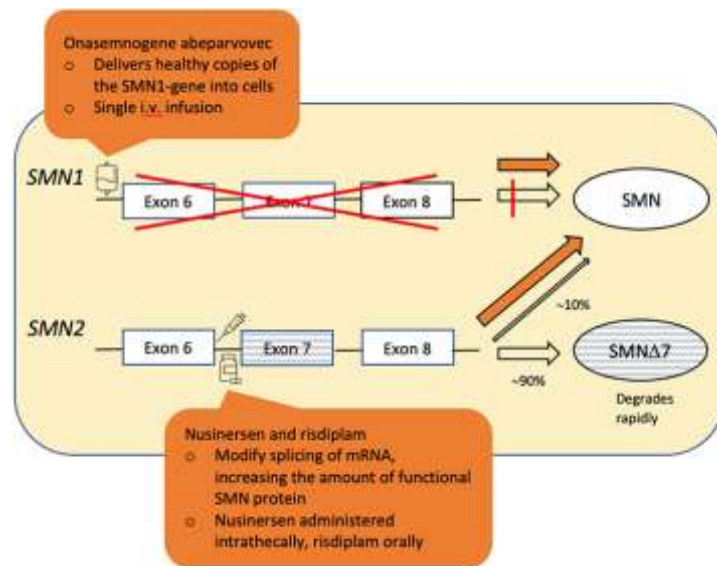
<p>졸겐스마 = 신규환자 영유아에서만 이유는 투약 편의성 : 스피라자 척수강주사</p>	<p>SMA 시장은 이미 segment가 분화되어 유아기 혹은 pre-symptomatic patient의 경우 Zolgensma를 투여하며 그 외의 환자들에게는 대부분 Evrysdi를 투여한다. 이는 투약편의성에 의거한다. <u>Evrysdi는 저분자약물로 1일 1회 투여하는 경구제인 반면 Spinraza는 척수강주사가 필수적이다.</u> 그럼에도 불구하고 효능은 큰 차이를 확인하기 어려워 기존 Spinraza를 투여하고 있던 환자들도 점차 Evrysdi로 전환하고 있다.</p>
<p>희귀 질환(=환자가 없음) → 임상 환자 소규모 모집 → <u>약물 간 효능 비교 어려움</u></p>	<p>이러한 효능 비교 난항은 희귀질환의 특성에 기인한다. <u>희귀질환 치료제 특성 중 하나는 약물끼리 효능 비교가 어렵다는 점이다.</u> 환자 수가 매우 적어 임상 시험 모집 자체가 어렵기 때문에 허가용 임상에서도 Zolgensma와 Evrysdi는 위약군 없이 single arm으로 임상을 시행하였으며 모집 환자 수도 Zolgensma(STRIVE-US) 22명 및 Evrysdi(FIREFISH) 41명 등 매우 적다. 유일하게 sham 군과 비교한 Spinraza도 pivotal trial ENDEAR에서 총 122명을 모집하는 등 환자 수가 적어 각 임상간 효능의 직접 비교가 어렵다. 이에 일부 효능의 차이가 관찰됨에도 불구하고 SMA에서는 자연 경과 대비 생존 개선과 motor milestone 달성 등을 통해 세 약물을 유사한 efficacy tier로 분류하고 있다. 따라서 <u>희귀질환에서는 효능의 차이보다 (1) 투약 편의성의 차이 및 (2) 투약 가능한 환자군 설정이 매출의 핵심 요소가 된다.</u></p>
<p>겐스마 = 신규환자 영유아에서만</p>	<p>Zolgensma는 STRIVE에서 unsupported sitting 약 59%(13/22) 및 14개월 시점 영구 인공호흡기 미사용 생존 환자 비율 약 91%(20/22)로 자연 경과 대비 가장 우수한 효능을 보였다. 단, Zolgensma는 (1) AAV9 virus를 delivery vector로 사용하는 특성상 anti-AA9 중화항체를 보유한 환자에서는 투여할 수 없으며, 투여 이후 중화항체가 생성되므로 재투여 역시 불가능하다. 더불어 (2) 체중 기반 용량으로 투여되기 때문에 체중 증가에 따른 용량 증가와 이에 따른 부작용을 고려하여 현재 주로 13.5kg 미만(미국은 만 2세 미만)의 환자에게만 투여하도록 권장되고 있다. <u>이에 SMA에서 Zolgensma는 신규 영유아에서 주로 사용되며 성인 환자에서는 고려되지 않는다.</u></p>
<p>청소년/성인 환자 = Evrysdi (승) vs. Spinraza</p>	<p>반면 Evrysdi는 청소년 및 성인 환자에게 투여 가능한 1일 1회 경구 투여하는 저분자 치료제이다. RNA를 직접 타겟하는 저분자로서 SMA2 pre-mRNA에 직접 결합하여 exon 7 splicing을 정상화하여 SMN 단백질 발현을 증가시킨다. 저분자 화합물로서 위장관 흡수가 가능하며 BBB 투과가 용이하다는 특징을 가진다. 반면, Spinraza는 Evrysdi와 동일하게 exon 7 splicing을 정상화하는 기전이나 ASO 기반의 치료제로서 BBB 투과가 불가능하여 척수강 주사가 필요하다. 초기 2개월 간 유도요법 이후에는 4개월 간격으로 투여하도록 설계되어 투약 편의성을 고려하였으나 반복적인 척수강 주사가 필요하다는 점에서 경구제 Evrysdi 대비 선호도가 낮다.</p>

표1 SMA 3가지 치료제 비교

약물명	Spinraza	Zolgensma	Evrysdi
성분명	nusinersen	onasemnogene abeparvec	risdiplam
modality	ASO	gene therapy (AAV9 vector)	small molecule (splicing modifier)
투여 방식	intrathecal injection	IV	oral
dosing	유도요법: 14 일간격 3 회 후 30 일 간격 1 회 유지요법: 4 달간격	1 회	평생 (1 일 1 회)
투여군	청소년 및 성인	만 2 세 미만 SMN1 유전자 변이 및 AAV9 중화항체 미 보유자	청소년 및 성인

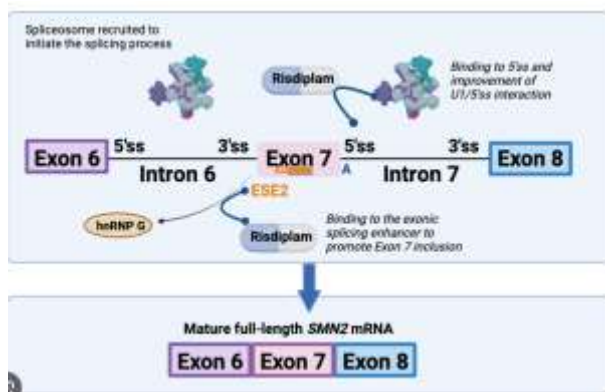
자료: FDA, DS투자증권 리서치센터

그림2 3가지 SMA 치료제 MoA 개요



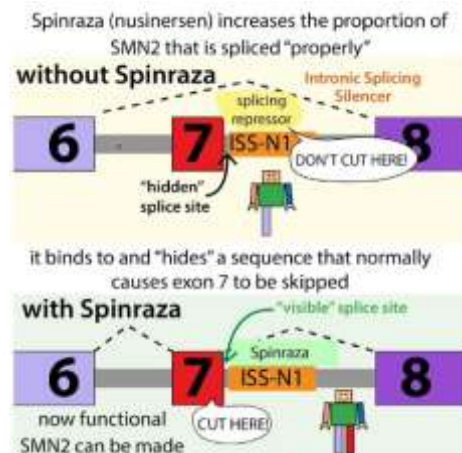
자료: Taylor&Francis Group, DS투자증권 리서치센터

그림3 Evrysdi 세부 MoA : Spliceosome 리크루트



자료: 고마운 잔뜰나양, DS투자증권 리서치센터

그림4 Spinraza 세부 MoA : Steric blocking



자료: 고마운 유투버, DS투자증권 리서치센터

유망 시장 3가지 - Lp(a), 알츠하이머, in-vivo CAR-T

대형 적응증 제시될 경우,
RNA 가치 폭발적 상승 전
망

RNA는 Lp(a), 비만 등의 적응증에서 유망한 후보자로 떠오르고 있으나 아직까지 어떤 대형 적응증에서 통할 수 있는지에 대한 명확한 답을 갖고 있지 않다. 현재에도 RNA 관련 딜은 서서히 증가하고 있으나, 만약 RNA가 적용되는 대형 적응증이 명확히 제시될 경우 RNA에 대한 가치는 폭발적으로 커질 것으로 전망한다.

가능성이 높은 시장으로 당사는 크게 Lp(a), 알츠하이머, in-vivo CAR-T를 꼽는다. 이는 이 세 영역은 기존 modality가 충분히 접근하지 못하고 있으며, 시장 크기도 충분히 크기 때문에 "왜 새로운 기술이 필요한가"라는 질문에 답이 있다.

Cardiometabolic - Lp(a)

빅파마가 가장 적극적으로
개발하는 분야

Lp(a)는 전세계 인구의 약 25%가 Lp(a) 상승 상태이나 현재 승인된 치료제가 없다는 점에서 대형 미충족 수요가 남아있는 시장이다. RNA therapeutics에 있어 구조적 적합성이 높은 target으로 현재 RNA를 적극적으로 개발하는 빅파마들의 가장 핵심적인 Battle-field이다. GalNAc delivery로 liver targeting의 한계가 대부분 해결되었으며 knockdown 시 efficacy가 매우 극적으로 확인되는 영역이기 때문이다.

저분자 vs. RNA

그러나 Lp(a)에서 가장 큰 문제는 역시 저분자화합물과의 경쟁으로 귀결된다. 일라이 릴리는 경구용 저분자화합물 muvalaplin을 개발하고 있으며 Phase 2에서 최고 용량 기준 Lp(a) 약 85.8%라는 우수한 임상적 효능을 입증하였다. 일라이 릴리의 siRNA 기반 lepodisiran은 최고 용량에서 약 93.9% 감소로 muvalaplin 대비 비교적 효과는 우수하였으나 가격 및 투약 편의성 측면에서 어떤 modality가 시장을 확보할 지에 대해서는 아직 판정이 나지 않은 상태다.

Neuroscience - 알츠하이머

Tau는 항체로 성공한 이력이 아직 없음

알츠하이머의 타겟은 크게 아밀로이드 베타와 Tau로 제시된다(그 외 타겟들도 엄청 많이 있지만). 아밀로이드 베타와 타우 모두 항체로 접근을 시도하였으나 아밀로이드 베타가 일부 성공한 반면, 타우는 아직 항체로 성공한 이력이 없다. 이는 Tau tangle이 세포 내부에 형성되기 때문에 세포 바깥에서 작용하는 항체가 적용되기 어렵다는 근본적인 구조에 기인한다.

바이오젠, BII080은 tau ASO의 첫 시도
: 성공 시 글로벌 모멘텀 전망

바이오젠의 BII080은 mRNA 수준에서 tau 생산 자체를 억제함으로써 이 장벽을 우회하는 첫 번째 시도이며, 올해 중순 발표될 임상 2상 결과는 tau PET 감소가 실제 알츠하이머 환자에서 인지기능개선에도 효과가 있는지를 알아볼 데이터가 될 것이다. 이는 RNA가 대형 CNS 시장에 진입할 수 있는지를 가늠하는 첫 데이터가 될 것이다. 임상에 성공한다면 희귀질환에 한정되어 적용되었던 RNA가 알츠하이머라는 거대 시장에 접근할 수 있다는 중요한 신호이며, RZ003 알츠하이머 파이프라인을 보유한 알지노믹스도 간접 수혜주로 작용할 것으로 전망한다.

알지노믹스, ApoE4 타겟 RZ003 보유
(tau PET 감소 시그널)

알지노믹스는 동사의 RNA editing 플랫폼의 장점을 극대화하고자 제거가 우선시되는 타우 타겟 대신 ApoE4라는 주요 알츠하이머 동인 유전자를 타겟하는 파이프라인 RZ003을 개발하고 있다. 그러나 ApoE4 역시 타겟할 경우 tau PET을 감소시킬 수 있다는 시그널은 경쟁사 Lexo therapeutics의 앞선 임상 Phase 1/2에서 확인한 바 있다. 이에 바이오젠의 BII080이 인지기능개선 효과를 입증할 경우 알지노믹스도 그 수혜주가 될 수 있을 것으로 전망한다.

Oncology - in vivo CAR-T

빅파마의 투자 집중 시장

in vivo CAR-T는 기존의 CAR-T 세포치료제 대체 시장이다. 기존 ex vivo CAR-T는 제조 복잡성과 비용 문제로 접근성이 제한적이며 RNA 기반 in vivo 접근은 이 구조적 한계를 우회할 수 있는 경로 중 하나로 주목받고 있다. ASH2025에서 우수한 초기 임상 결과들을 일부 확인하면서 시장의 관심은 더욱 커지고 있다. 빅파마의 딜 규모를 통해 이러한 관심을 간접적으로 이해할 수 있다. Abbvie가 Capstan을 \$2.1bn에, BMS는 Orbital을 \$1.5bn에 인수하였다. 지난 2월 Eli Lilly가 Orna를 \$2.4bn 인수하는 등 in-vivo CAR-T에 대한 Deal은 지속적으로 이어지는 중이다.

최근 delivery 논문 확인

알지노믹스는 LNP 대신 polymer 기반 T cell 편향적 전달 기술을 통해 해당 시장에서 실현 가능성을 시험하고 있다. 기사에 따르면 알지노믹스의 circRNA 플랫폼은 아직 초기 기술이지만 IP 기반의 기술이전도 도전이 가능할 것으로 밝혔다.

알츠하이머, 거대 시장의 해답은 RNA일까?

Tau target의 해답은 RNA가 될 것인가?

Tau, 아밀로이드 베타 이후 여전히 가장 유망한 Target

바이오젠 결과발표:
RNA 근본적인 확장 모멘
텀이 될 수 있음

RNA에 대하여 가장 주목해볼만한 글로벌 모멘텀이 있다. Biogen의 BIIB080, tau ASO 알츠하이머 임상 2상 결과발표이다. 임상 2상에서 알츠하이머 대상 인지기능 개선 효과를 확인한다면, RNA의 근본적인 확장이 시작될 것으로 전망한다.

Biogen은 tau를 RNA를 저해하는 ASO 플랫폼으로 접근하고자 한다. 이 임상시험의 의미를 이해하기 위해서는 (1) 왜 tau target이 중요한가, 그리고 (2) 왜 tau target을 RNA로 해야하는가에 대한 두 가지 질문을 이해하여야 한다.

(1) tau target이 왜 중요한가 - 진정한 disease progression driver

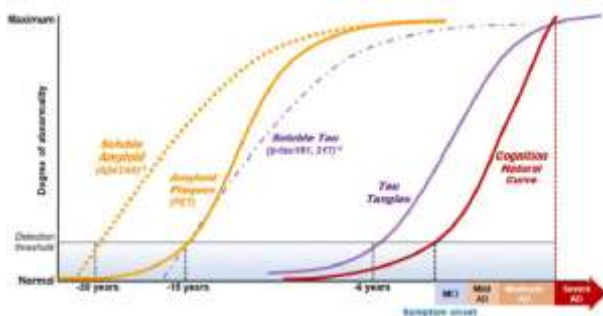
아밀로이드베타, 질병개선
효과 없음

항아밀로이드베타 항체는 현재 레캠비, 키순라가 개발되어 있다. 그러나 이러한 항아밀로이드베타 항체는 질병진행속도를 지연시킬 뿐, 질병의 개선 효과는 아직 없다. 더불어 Amyloid clearance에도 불구하고 tau aggregation 및 neuro-degeneration은 지속적으로 관찰된다.

타우가 드라이버

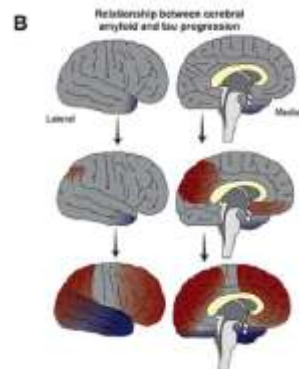
Tau는 내후각피질에 축적될 때에는 인지기능저하가 나타나지 않으며 일정수준 이상의 아밀로이드베타 축적이 tau spreading을 야기하며, 이것이 인지기능저하를 나타냄은 이미 잘 알려진 사실이다. 이에 아밀로이드가 disease trigger, tau를 진정한 disease progression driver로 보는 시각이 제기된다.

그림5 Tau tangle 형성 → 인지기능저하



자료: Esai, DS투자증권 리서치센터

그림6 그러나 neo-cortex부분으로 확산될 때만 인지기능저하



자료: Long & Holtzman, Cell, 2019, DS투자증권 리서치센터

(2) 왜 tau target을 RNA로 해야하는가 - 항체는 세포 내부에 접근 불가

항체로는 세포 내부 저해 불가

이때까지 tau를 항체로 접근하였으나 무수한 실패가 있었다. 전반적으로 CSF 내 tau 감소는 확인하였으나 인지기능개선은 전부 실패하였다. UCB의 Bepranemab이 일부 tau PET 축척 감소 효과는 AACI2025에서 발표하였으나 여전히 tau PET 제거가 가능한 수준은 아니었으며 인지기능개선에는 효과가 없었다. 이는 뉴런 세포 내부의 tau tangle을 저해하여야 하나, 항체로는 세포 내부를 저해하기 불가능하여 tau spreading 억제 수준에 그쳐 기존 tangle 제거는 도달하지 못하였기 때문이었다.

전략은 2가지,
(1)항체(*spreading),
(2)RNA

이에 현재 시장은 (1) 항체를 이용하되, Tau tangle의 spreading을 저해하자, 라는 전략과 (2) RNA를 통해 세포 내부의 tau를 직접 억제하는 전략 두 가지로 나누어 접근하고 있다.

RNA 접근법 선두주자, 바이오젠

그 중 RNA 접근법으로 가장 앞서 있는 선두주자가 바이오젠이다. 바이오젠은 올해 중순 임상 2상 결과를 발표할 전망이다. 바이오젠이 임상에 성공한다면 희귀질환에 한정되어 적용되었던 RNA가 알츠하이머라는 거대 시장에 접근할 수 있다는 중요한 신호이며, RNA가 적용되는 대형 적응증이 명확히 제시될 경우 RNA에 대한 가치는 폭발적으로 커질 것으로 전망한다. 이 경우 RZ003 알츠하이머 파이프라인을 보유한 알지노믹스도 수혜주로 작용할 것으로 전망한다.

그림7 Tau 항체 실패 사례

상품명	기업명	modality	임상시험명	Phase	결과
Etanercept (=E2814)	Eisai/Biogen	Antibody (anti-MTBR tau, 273-291, 296-314)	DIAN-TU Tau NexGen	2	Tau Spread를 감당하는 접근 용해 및 interim data 기대
BMS-986446 (=PRX005)	BMS/Prothena	antibody (anti-MTBR tau, 81-93 내)	TargetTau-1	2	2027 상반기 중 결과 기대
PNT001	Pinteon	antibody (mid region tau, 231)	NCT04677829	1b	성공적인 Phase 1 이후 안정성 문제와 무관한 행장적 사유로 Phase 1b 푸른색 중단
Bepranemab (=UCB0107)	UCB *Roche 파르너스십 이합(2024.10)	antibody (N-terminal tau, 235-250)	TOGETHER	2a	CTAD2024: tau 축적 둔화 시그널 확인 cognitive 개선 불확실 Roche 파르너스십 이합(2024.10)
LuAF87908	Lundbeck	Antibody (396-404)	NCT04149860	1	Phase 1 종료 이후 임상 진행 사항 관찰된 바 없음
Posdinemab (=INR-63733657)	J&J	antibody (mid region tau, 217)	AUTONOMY	2b	2025년 Phase 2b 실패 및 중단
Semonemab	Genentech / AC Immune	antibody (N-terminal tau, 6-23)	TAURIEL	2	cognitive endpoint 개선 없음. 최대 8100 mg dose에서도 efficacy 없음 extracellular tau binding 성공, 개발 중단 및 Roche 자선 반환
Gosuranemab	Biogen	antibody (N-terminal tau, 8-19)	TANGO	2	cognitive decline slowing 효과 없음 CSF tau 감소 확인 개발 중단
Zagotenemab	Eli Lilly	misfolded tau conformational epitope (mid-region, 7-9, 312-342)	PERISCOPE-ALZ	2	primary endpoint 실패, 개발 중단
Tilavonemab	Abbvie	antibody (N-terminal tau, 25-30)	NCT02880956	2	clinical efficacy 입증 실패 tau binding 성공 PSP 및 AD trial 모두 실패

자료: 각 사, DS투자증권 리서치센터

주: 푸른색 음영처리한 기업은 아직 실패하지 않았음

바이오젠, 글로벌 임상 2상 결과 발표 임박

임상 1b상에서는 일관된 유리한 데이터 확인

올해 중순 인지기능개선 확
인 전망

바이오젠/아이오니스는 tau ASO, BIIB080으로 글로벌 임상 2상 CELIA를 진행하고 있다. JP morgan conference에 따르면 결과는 올해 중순 발표가 될 것으로 전망한다. 이번 임상 2상에서 tau PET 감소 및 인지기능개선 효과를 직접 확인할 수 있다.

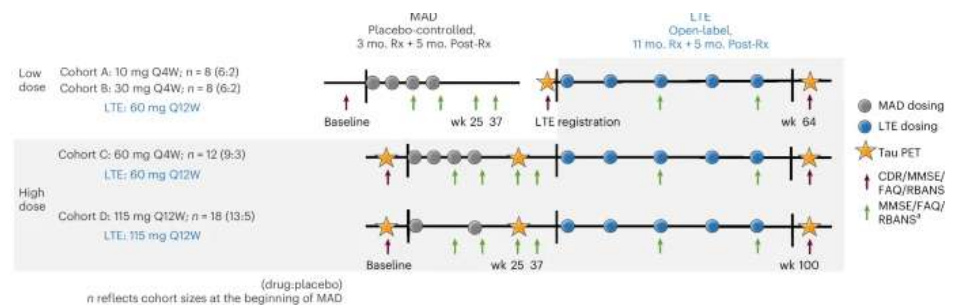
Tau PET 감소 확인

BIIB080은 과거 Phase 1b에서 높은 수준의 tau-PET 감소를 확인한 바 있다. BIIB080은 MAPT pre-messenger RNA 감소를 유도하며 Temporal cortex에서 높은 수준의 tau PET 감소(-0.71 SUVR)가 나타난 점은 주목할만하다.

탐색적 장기분석: 인지기능
개선 경향성 확인

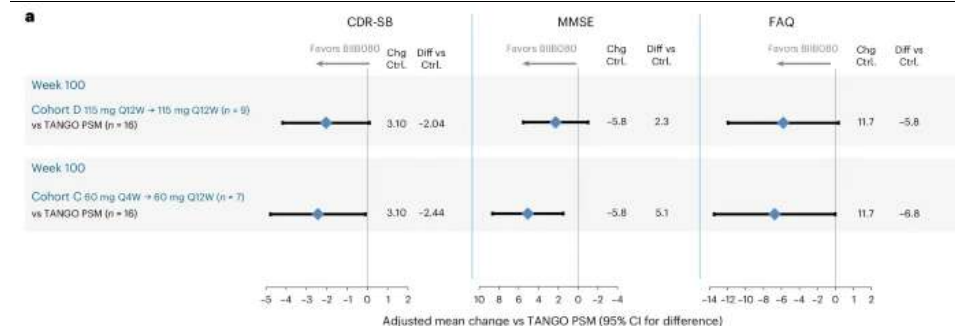
2026년 2월 발표된 Nature Aging 논문에 따르면, Phase 1b에서 탐색적 LTE 분석을 하였을 때 외부 대조군을 통해 평가한 인지기능개선 CDR-SB뿐만 아니라 MMAE, FAQ 전반에서도 tau 항체 gosuranemab 임상 2상(TANGO) 외부 대조군 대비 BIIB080에 유리한 수치적 차이가 관찰되었다. 단, 본 분석은 소규모 탐색적 분석으로 통계적 유의성 검정이 수행되지 않았다는 점에 해석에 주의가 필요하다.

그림1 BIIB080 임상1b상 디자인



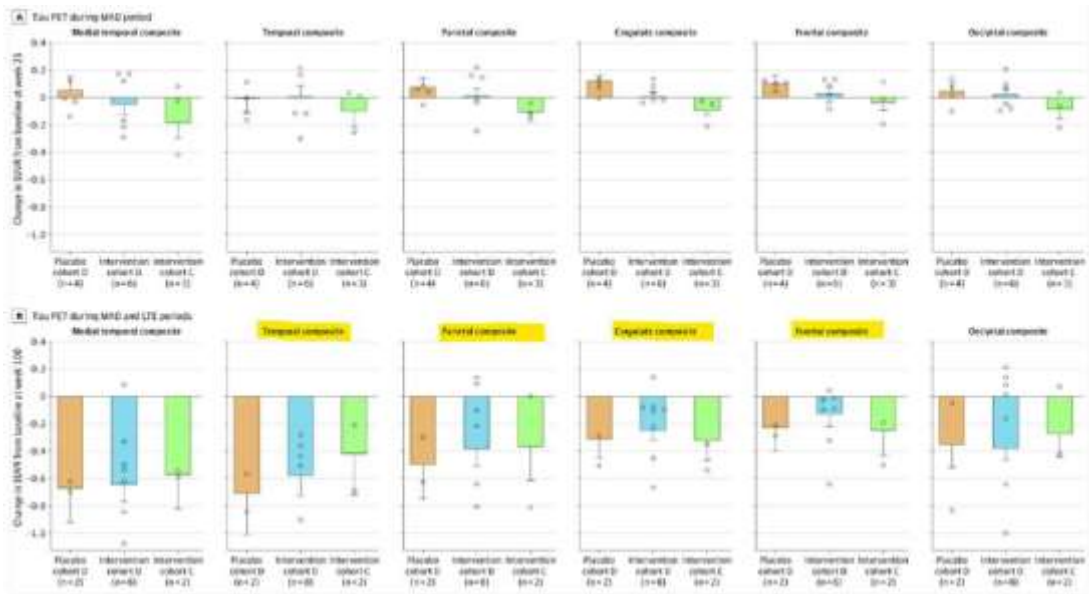
자료: nature, DS투자증권 리서치센터

그림2 BIIB080 임상1b상 인지기능개선 (vs. TANGO)



자료: nature, DS투자증권 리서치센터

그림3 BII080, efficacy in Phase 1b tau PET 감소 관찰

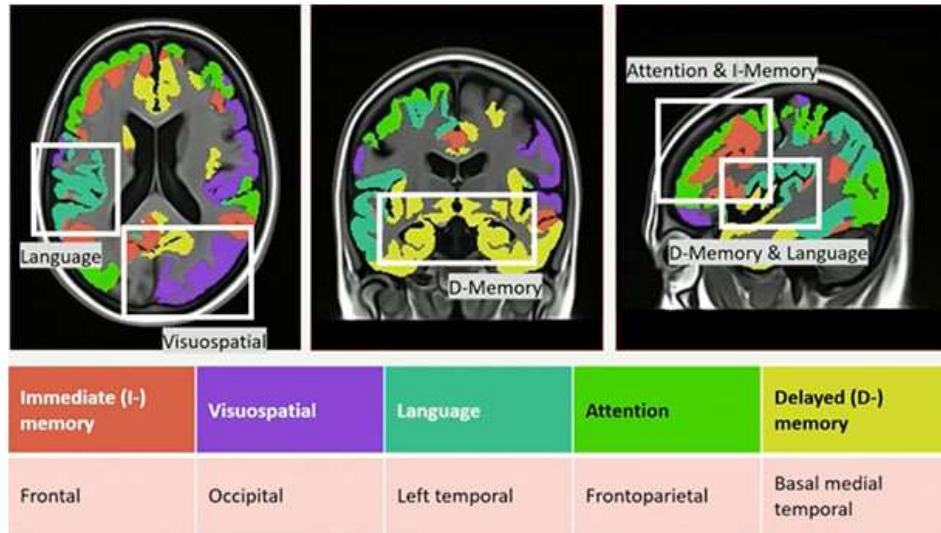


자료: JAMA neurol. 2023 Dec 1;80(12):1344-1352., DS투자증권 리서치센터

주: Cohort D(주황색)=Placebo → 115mg every 12 wks(N=2), Cohort D(푸른색)=115mg every 12wks → 115mg every 12wks(N=8), Cohort C(연두색)=60mg every 4wks → 60mg every 12wks(N=2)

주: 인지기능저하에 주된 영향을 주는 neo-cortex 부분은 temporal cortex, parietal cortex, frontal cortex. tau spread는 entorhinal cortex→hippocampus→cingulate cortex → temporal cortex →parietal cortex →frontal cortex로, cingulate cortex는 early signal로 주의깊게 확인할 필요 있음

그림4 뇌의 영역에 따른 기능저하



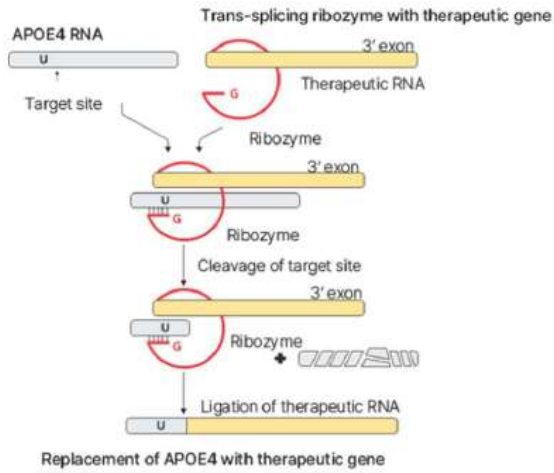
자료: JNU, DS투자증권 리서치센터

알지노믹스의 RZ003, 수혜주가 될 것

RZ003, 교정 기술이라는 플랫폼으로 ApoE4를 타겟

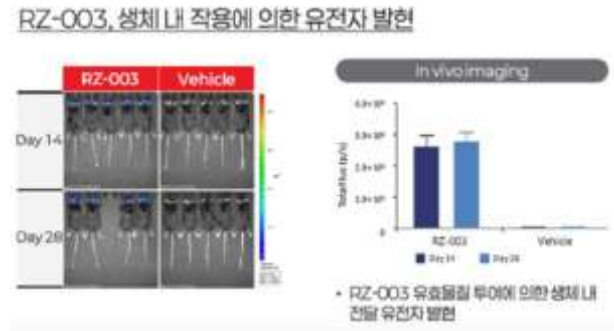
ApoE4는 주요 위험인자	ApoE는 299개 아미노산으로 구성된 지질 운반 단백질로, CNS에서 콜레스테롤의 주요 운반체로 기능하는 필수 단백질이다. 인간에게는 ApoE2(보호), ApoE3(평균), ApoE4(위험)의 3가지 대립유전자가 존재하며, 이 중 ApoE4는 아밀로이드 축적 증가, tau 인산화, 신경독성물질 형성, 혈뇌장벽(BBB) 붕괴를 통한 혈장 단백질의 뇌 유입을 촉진함으로써 신경퇴행을 가속화하는 주요 위험인자로 알려져 있다.
siRNA/ASO 방식은 손상	ApoE4가 치료 타겟으로서 가지는 구조적 난점은 유전자 수준에 있다. ApoE 유전자는 단 2개의 단일 염기 변형, 즉 112번과 158번 아미노산 위치의 차이(ApoE2 Cys/Cys, ApoE3 Cys/Arg, ApoE4 Arg/Arg)에 의해 세 isoform이 구분된다. 이처럼 정상 유전자와의 서열 차이가 극히 미미하기 때문에, ASO나 siRNA와 같이 유전자를 통째로 knockdown하는 방식으로는 ApoE4의 문제가 되는 아미노산 2개만을 선택적으로 제거하기 어렵다는 근본적인 한계가 존재한다. 전체 ApoE 유전자를 억제할 경우 담당하고 있던 필수 단백질 기능을 잃어버리게 되어 오히려 risk가 커지는 문제가 도출되기 때문이다.
알지노믹스는 ApoE4를 ApoE2로 치환 가능	이 지점이 RNA editing 접근법이 주목받는 이유다. 단일 염기 수준의 정밀한 교정이 가능한 RNA editing은 ApoE4의 Arg를 Cys로 전환하여 ApoE2 유사 형태로 되돌리는 방식으로, 전체 유전자를 억제하지 않고도 병적 isoform만을 선택적으로 교정할 수 있다는 구조적 강점을 가진다. 알지노믹스의 RZ003은 trans-splicing ribozyme 기반의 RNA editing 플랫폼을 활용하여 이 문제에 접근한다. AAV delivery 기반으로 RNA 수준에서 ApoE4를 ApoE2로 직접 전환하는 방식으로, 유전자를 억제하는 것이 아니라 병적 isoform 자체를 교정한다는 점에서 기존 ASO/siRNA 접근법과 근본적으로 차별화된다. 또한 알지노믹스의 플랫폼은 여러 돌연변이를 한꺼번에 교정하는 multi-editing이 가능하며 target RNA에 제한이 없다는 구조적 강점을 보유하고 있다.
올해부터 L/O 추진 중, 일라이 릴리와 MTA 추정	전임상 단계에서는 in vivo 28일차 생체 내 전달 유전자 발현이 확인되었으며, RZ003 유효물질 투여군에서 vehicle 대비 명확한 발현 차이가 이미징을 통해 관찰되었다. 현재 2028년 IND enabling을 목표로 하고 있으며, 올해부터 L/O(License-Out)를 추진 중이다. 상장 당시 증권신고서에 따르면 RZ003은 일라이 릴리와 현재 MTA를 맺은 것으로 추정된다.

그림5 RZ003 작동방식



자료: 알지노믹스, DS투자증권 리서치센터

그림6 RZ003 in vivo imaging에서 유전자발현 확인



자료: 알지노믹스, DS투자증권 리서치센터

그림7 알지노믹스 증권신고서, RZ003 관련

[당사 체결 MTA 및 CDA 계약]

회사명	계약명	계약 체결일	계약 기간	계약 만료일
글로벌제약사 A사	Confidential Disclosure Agreement	비공개	2년	비공개
	Material Transfer Agreement	비공개	2년	비공개

주) 거래상대방과의 계약 내용에 의거하여 계약체결일 및 계약 만료일은 공개하지 않았습니다. 또한, 동 MTA 계약을 통해, 지난 5월 체결된 플랫폼 기술 기반 라이선스 계약과 달리 후보물질과 기술을 함께 수출하는 '패키지 딜'을 실현하기 위해 노력하고 있으며, 이는 단순히 후보물질만 이전하는 것이 아니라 동사의 기술을 활용하여 연관된 중추신경계(CNS) 질환군으로 확장하는 연구협력에 해당하므로 장기적인 사업화 측면에서도 긍정적인 것으로 판단됩니다. MTA 및 CDA 계약 내용 상 상대 회사의 사명, 체결일, 만료일 등을 공개할 수 없으나, 계약 당사자인 글로벌 A사는 2024년 기준 매출액 약 450억 달러, 총자산 약 790억 달러 규모의 글로벌 제약사로, 다수의 혁신 신약을 상업화한 연구개발 중심 기업입니다. 동사는 기존 MTA를 진행한 경험을 바탕으로 A사에서 요구하는 실험적 내용대로 커뮤니케이션을 진행해 가고 있으며 MTA를 통해 검증하고자 하는 내용이 기존 수행한 MTA에서 검증하고자 했던 내용의 범주에서 벗어나지 않습니다. 이에 따라, 기술검증 완료 후 목표 시점 내 공동개발 또는 라이선싱 등 파트너십을 구축할 수 있을 것으로 예상하고 있습니다.

자료: dart, DS투자증권 리서치센터

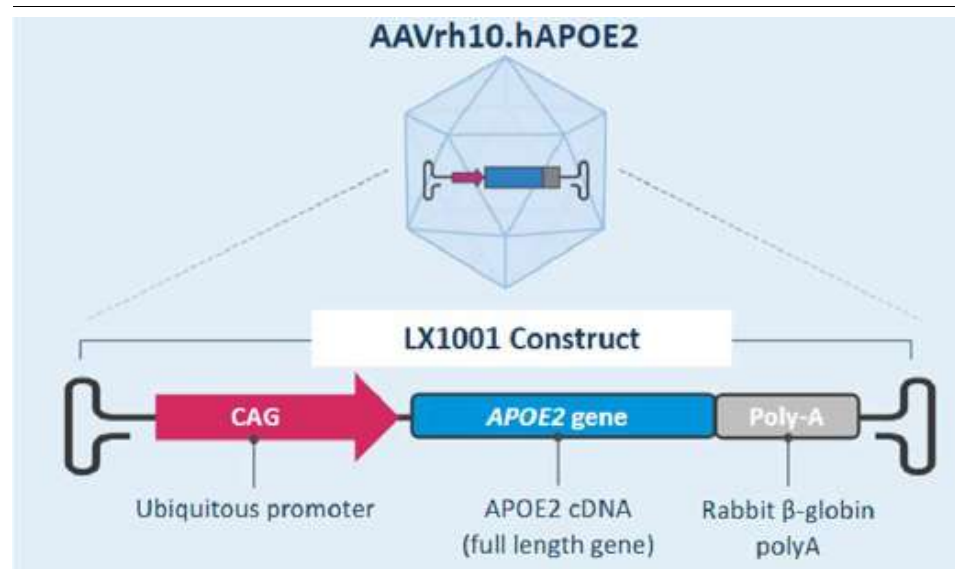
Lexeo 가 간접적으로 보인 tau PET 감소 효능 - 바이오젠 결과도 수혜

ApoE 타겟 접근법의 임상적 근거는 Lexeo Therapeutics의 데이터에서 확인할 수 있다. ApoE4가 알츠하이머의 매우 주요한 유전자라는 것은 이미 잘 알려진 사실이다. 따라서 유전자 치환기술이 없는 기업들도 ApoE4를 타겟해보고자 하는 노력은 지속되어왔다. 그 대표주자가 Lexeo therapeutics였다.

ApoE2가 일반적으로 알츠하이머 보호 효과를 발현하며 ApoE2/4 이형접합 환자에서 E2의 대립유전자의 유전이 E4 유전자의 유해효과 대부분을 상쇄시킨다는 관찰 결과에 의거하여, Lexeo therapeutics는 ApoE4 동형접합 환자에게 ApoE2 유전자를 과발현 시켜 ApoE4 유해효과를 상쇄시키고자하는 접근법을 시도하였다.

이에 Lexeo therapeutics는 이 가설을 검증하기 위해 serotype rh.10 AAV 유전자 전달 벡터를 활용하여 human APOE2 cDNA를 발현시키는 LX1001을 개발, 총 15명을 대상으로 임상 1/2상을 진행하였다. 2024년 10월 실패한 임상결과를 발표하였고 이후 Lexeo는 신경과 파이프라인을 중단하고 cardiac gene therapy 회사로 유연하게 피벗한 상태다.

그림8 LX1001 construct



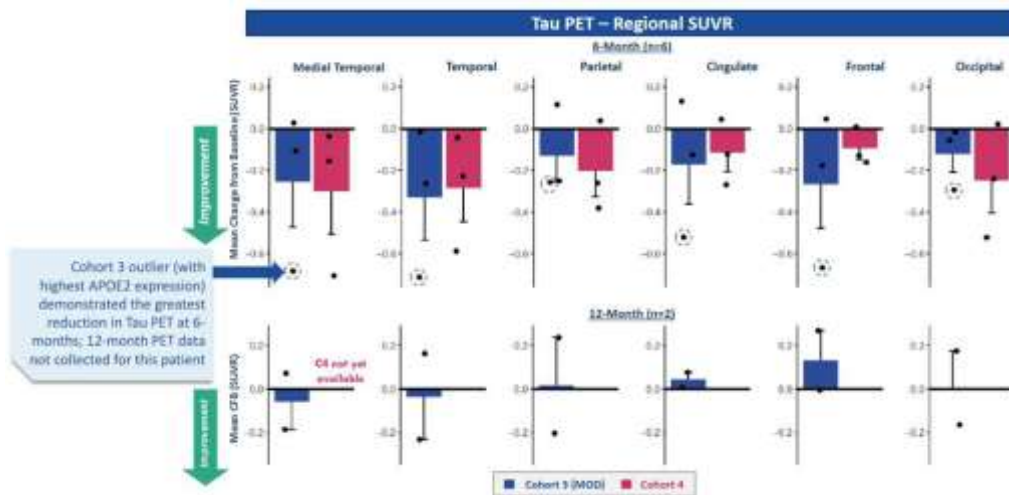
자료: Lexeo therapeutics, DS투자증권 리서치센터

그러나 해당 임상 결과가 ApoE4의 실패로 볼 수 없다. 오히려 Lexeo therapeutics는 ApoE4에 있어 실마리를 제공하였다.

ApoE4도 tau PET 저해가 가능한 유전자라는 실마리 확인

주목할만한 점은 ApoE2를 원하는 만큼 많이 발현된 Cohort 3의 outlier의 경우 뛰어난 tau PET 감소를 보였다는 점이다. 이는 알지노믹스 역시 우수한 ApoE 치환을 만을 확보한다면, tau PET 측면에서는 감소 효과를 가질 수 있다는 실마리를 확인한 셈이다. 즉, Tau RNA를 직접 저해하는 것 외에 tau PET을 감소시킬 수 있는 또 다른 접근법을 제시하고 있다. 이는 바이오젠이 tau PET 감소 시 인지기능개선 효과를 확인한다면 알지노믹스 역시 직접적인 수혜주가 될 수 있다는 것을 의미한다.

그림9 아웃라이어는 전 영역 특히 temporal에서 뛰어난 tau PET 감소 확인



자료: 자료: Lexeo, DS투자증권 리서치센터

그림10 코호트3의 아웃라이어 ApoE2:4 ratio 약 10%



자료: Lexeo, DS투자증권 리서치센터

circRNA 논문, in vivo CAR-T 가능성 확인

한계를 극복하기 위한 근본적인 방법 - in vivo CAR-T

In vivo CAR-T의 등장

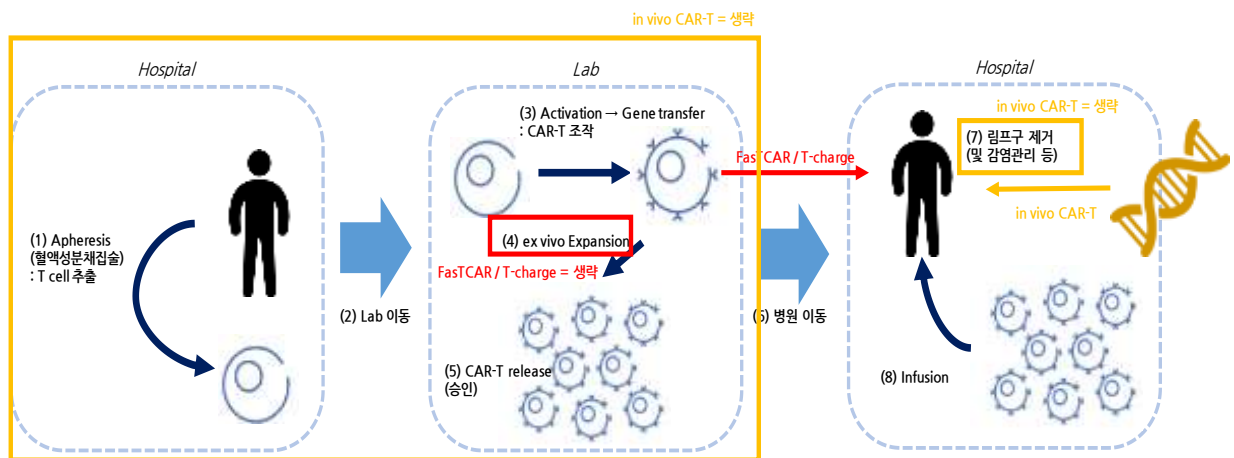
환자 체내 T cell에서
CAR-T 직접 생성
→ 반복투여+저렴+신속+
전처치 불필요
→ 고품양까지 접근

In vivo CAR-T는 체내에서 T cell에 CAR 구조를 암호화하는 유전물질을 직접 전달하여 CAR-T 세포를 생성하는 치료법을 의미한다. T cell targeted delivery 및 유전자 편집 기술이 고도화됨에 따라 in vivo CAR-T가 현실화되었다. 이는 반복 투여를 가능하게 하며, 전처치 화학요법 불필요, 특수 세포 제조를 요구하지 않아 비용이 비교적 저렴하고 빠르게 접근할 수 있다는 장점을 가지며 최종적으로는 이때까지 CAR-T가 접근하지 못하였던 고품양까지 확대될 것으로 기대되고 있다. 결국 in vivo CAR-T는 개인화된 CAR-T를 drug화 하는 유망한 방법으로 제기되고 있다.

빅파마 다수의 딜 체결 중
이는 앞으로도 이어질 것

특히 ASH2025에서 긍정적인 초기 임상결과들이 도출됨에 따라 다수의 빅파마는 경쟁적으로 in vivo CAR-T를 장착하고 있다. Gilead sciences 자회사 Kite Pharma는 2025년, Shoreline Biosciences와 체결하였던 \$2.3bn 규모의 Allogeneic CAR-T 계약을 취소한 후 Interius BioTherapeutics를 \$350mn에 인수 및 Pregene Biopharma 와 총 \$1.64bn의 계약을 체결하는 등 in-vivo CAR-T 분야에 적극적으로 투자하였다. Gilead 외에도 Abbvie가 Capstan therapeutics를 \$2.1bn에 인수하였으며 BMS는 Orbital therapeutics를 \$1.5bn에 인수하였다. 최근 2월 9일 Eli Lilly가 Orna therapeutics \$2.4bn 인수하는 등 in-vivo CAR-T에 대한 Deal은 지속적으로 이어지는 중이며 이러한 기조는 앞으로도 지속될 것으로 전망한다.

그림11 In vivo CAR-T vs. 2세대 CAR-T vs. 전통 CAR-T



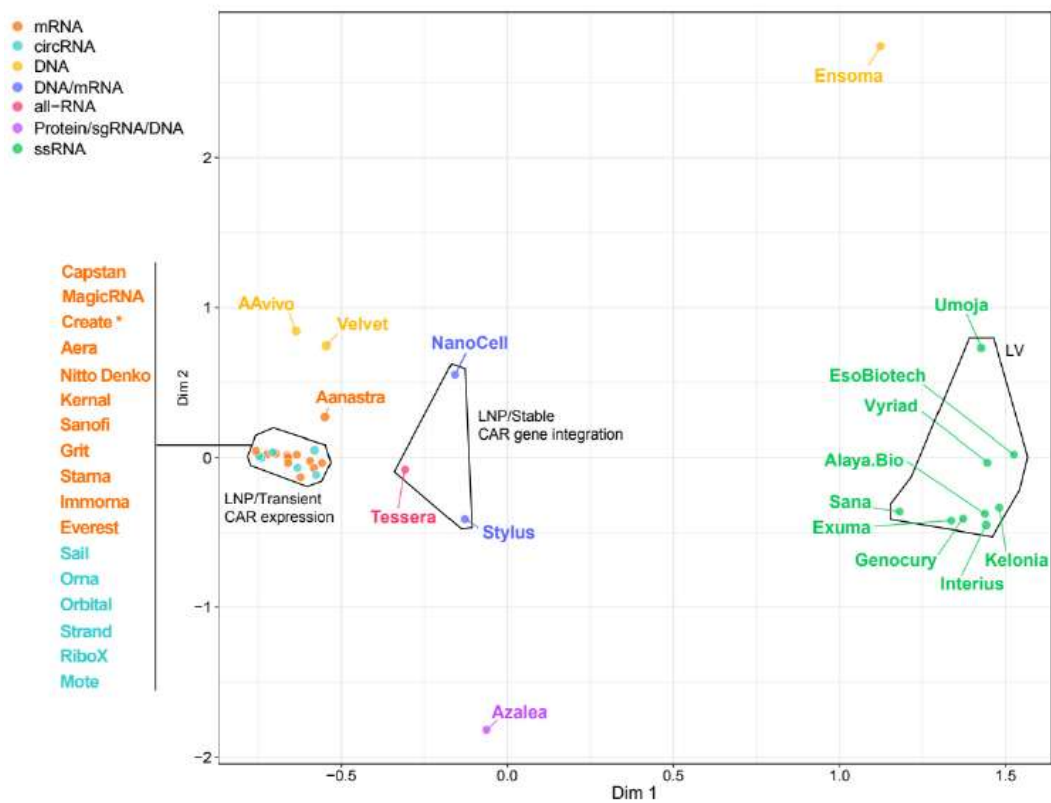
자료: 내가 그림! DS투자증권 리서치센터. 주: 전통 CAR-T는 푸른색, 2세대 CAR-T는 붉은색, in vivo CAR-T는 노란색으로 표현하였음

표2 최근 in-vivo CAR-T 관련 딜 현황

시기	인수사	피인수사	딜 종류	딜 내용	주요 파이프라인
2025.03	Astra-Zeneca	EsoBiotech	M&A	\$1bn 인수 (Upfront \$425mn, 조건부 \$575mn)	ENaBL(Engineered NanoBody Lentiviral) 플랫폼 및 ESO-T01(BCMA specific CAR-T, 렌티바이러스 벡터 플랫폼) : Multiple myeloma 임상 1 상 (2025.01 시작)
2025.06	Abbvie	Capstan therapeutics	M&A	\$2.1bn 현금	CPTX2309 (CD19 specific tCD8+ in vivo CAR-T, tLNP) : B cell mediated 자가면역 질환, Phase 1 (2025.04 시작)
2025.08	Gilead	Interius	M&A	\$350mn 현금	INT2104 (CD20 specific tCD7+ in vivo CAR-T/CAR-NK) : B-cell malignancies, Phase 1 (2024.10 시작)
2025.10	BMS	Orbital Therapeutics	M&A	\$1.5bn 현금	OTX-201 (CD19 specific circular mRNA, RingRNA Platform)
2025.10	Gilead (Kite)	Pregene biopharma	플랫폼 LI	\$1.64bn (Upfront \$120mn, 마일스톤 \$1.52bn, 로열티 별도)	high-throughput CAR-T/CAR-NK/TCR-T 플랫폼 (*고속 후보 스크리닝 플랫폼 정도로)
2026.02	Eli Lilly	Orna therapeutics	M&A	최대 \$2.4bn (자세한 계약 공개되지 않음)	ORN-252 (CD19 specific crRNA, panCAR platform) 전임상 단계

자료: 각 사, DS투자증권 리서치센터

그림12 전달 플랫폼의 분류 (일시적 CAR 발현 LNP vs. CAR 유전자 삽입 LNP/LV)



자료: Int. J. Mol. Sci. 2026, 27, 1737, DS투자증권 리서치센터

25년 우수한 초기 임상 결과 확인 → 올해 핵심 '지속성 데이터' 발표 전망

이러한 in vivo CAR-T 딜 폭발은 human PoC 입증에서 기인한다. 대부분의 in vivo CAR-T는 아직 preclinical 혹은 임상 초기 단계이나, 작년부터 in vivo CAR-T의 선두 주자들이 성공적인 임상 초기 데이터를 도출하기 시작하였다. 이에 당사는 in vivo CAR-T에 대한 human 데이터가 일부 입증되었으며 올해는 in vivo CAR-T의 지속성(durability) 측면에서 PoC(proof-of concept)가 본격적으로 정립되는 시기로 판단한다. In vivo CAR-T는 ex vivo CAR-T와의 데이터 비교를 용이하게 하기 위하여 초기에는 주로 혈액암의 대표적인 타겟 BCMA으로 접근하였다.

BCMA target - 2개 후보자 전부 초기 ORR 100%

KLN-1010,
100% MRD negative,
CR25% 및 진행 중(1/4)

Kelonia의 KLN-1010은 3차 이상의 r/r 다발성골수종 대상으로 dose escalation 임상 inMMMyCAR 1상을 진행하였다. ASH2025에서 발표한 바에 따르면 총 4명에게 DL1 3명, DL-1 1명 투약하였을 때 1개월차에 100% early MRD-negative response를 달성하였으며 첫 두 환자에서는 MRD negativity가 3개월 차까지 유지되었다. 안전성 측면에서도 Grade 3 CRS, ICANS 또는 지연성신경독성이 없음을 확인하였다. 이번 임상시험에서는 약 50% (2/4)환자에서 2등급 CRS를 확인, 이는 ex-vivo CAR-T와 유사한 수준이었다. 림프구 제거가 없음에도 불구하고 CAR-T expansion이 확인되었으며 15일차에 peak를 달성하였다. 특히 모든 환자에서 memory phenotype으로 변환되었으며 이는 3개월차까지 bone marrow persistence를 유지하였다.

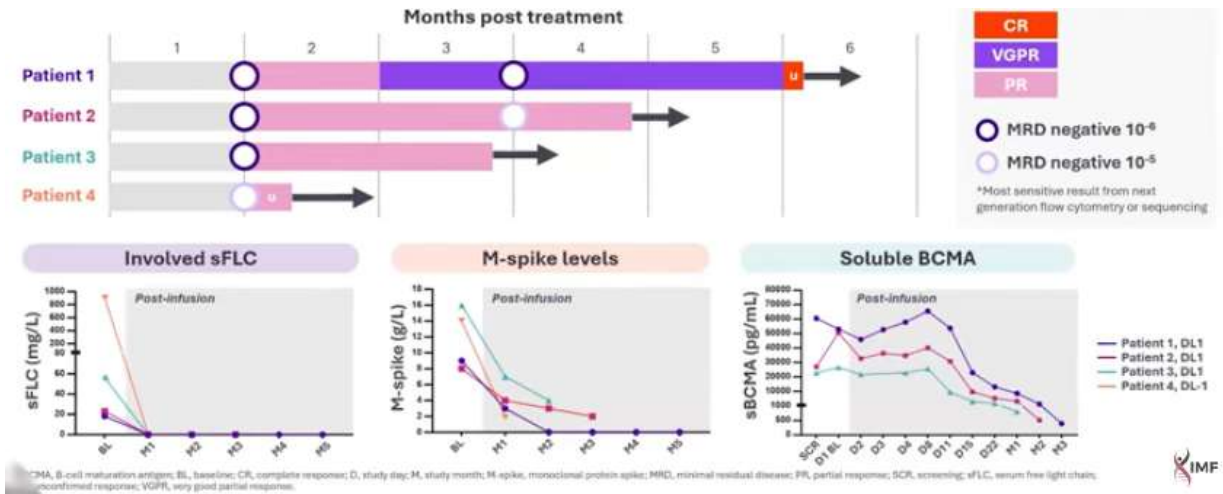
ESO-T01,
MRD neg. 및 PR 100%,
CR50%(2/4)

EsoBiotech/AstraZeneca의 in vivo CAR-T, ESO-T01 역시 2025년 7월, Lancet에 초기환자 4명의 결과를 게재하였다. 모든 환자는 2.0×10^8 transduction unit 용량으로 apheresis 및 림프구 제거 없이 단회 투여되었다. 투여한 모든 환자에서 100% 골수 MRD negativity 및 ORR을 달성하였고 그 중 2명의 환자에서 CR(*약 50%)을 달성하였다. 단, ESO-T01은 투여한 모든 환자에서 CRS가 발견되었으며 3명의 환자에서 Grade 3 CRS가 발생하였다. 또한 1명의 환자에서는 Grade 1 ICANS도 발생하였다. 모든 CRS 및 ICANS는 glucocorticoid 투여로 완전히 조절되었다.

초기 반응률은 good,
지속성 추적 관찰 필요
(재발이 안되어야!)

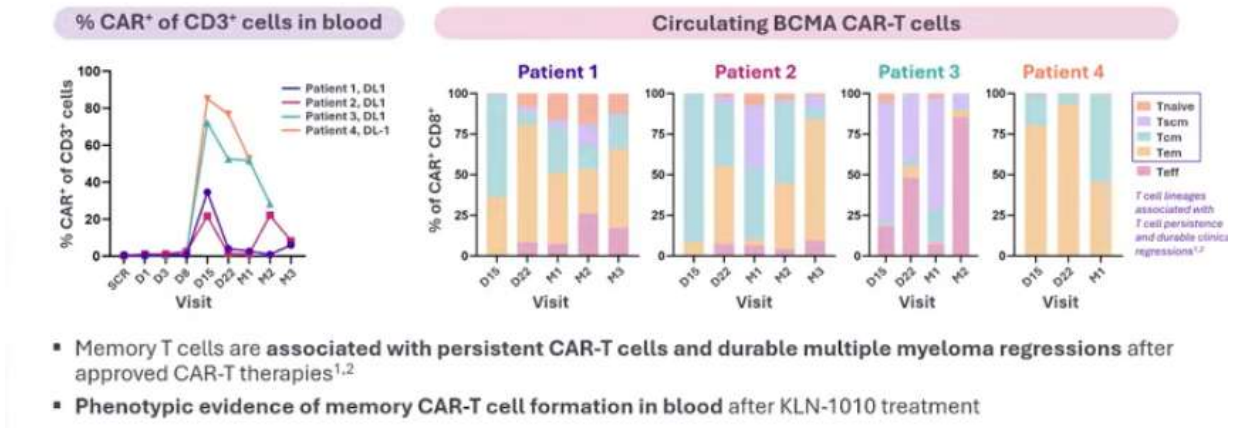
단, 위의 결과는 초기 환자 대상 최대 약 3개월 관찰한 결과로 durability 추적관찰이 필요하며 올해 계속 발표될 전망이다. ESO-T01은 매우 강한 초기 expansion을 보이거나 2개월차 이후 Bone marrow 내 CAR copy number 감소 패턴이 관찰되어 relapse risk는 추가 추적 관찰이 필요하다고 판단한다. 현재 공개된 데이터 기준으로는 KLN-1010이 persistence signal 측면에서 상대적으로 우호적인 양상을 보인다.

그림13 KLN-1010, 100% MRD negative 및 ORR 확인. 1명 환자 CR 달성



자료: Kelonia, DS투자증권 리서치센터.

그림14 KLN-1010, 투여한 모든 환자에서 우수한 memory T-cell 확인



- Memory T cells are associated with persistent CAR-T cells and durable multiple myeloma regressions after approved CAR-T therapies^{1,2}
- Phenotypic evidence of memory CAR-T cell formation in blood after KLN-1010 treatment

자료: Kelonia, DS투자증권 리서치센터.

주: Tscm=stem cell memory T cell, Tcm=central memory T cell, Tem=effector memory T cell

그림15 ESO-T01 효능, patient 1,2가 CR

Table S4: Changes of important laboratory indicators

Time	Laboratory indicator	Patient 1	Patient 2	Patient 3	Patient 4
Baseline	Serum B-protein (g/L)	1.0	0.2	2.3	15.1
	Involved serum free light chain (mg/L) or IgG immunoglobulin (g/L)	2302 (T)	9.63	2302 (T)	91.20 (g)
	Involved serum free light chain (mg/L)	1907 (S)	11.89	462.22	50.50%
	Bone marrow involvement (by FCM)	0.00%	0.00%	10.00%	81.00%
Month 1	Serum B-protein (g/L)	0.3	0.1	0.9	11.8
	Involved serum free light chain (mg/L) or IgG immunoglobulin (g/L)	996	11.9	19.4	213 (g)
	Involved serum free light chain (mg/L)	11.8	12.9	996	0.00%
	Bone marrow involvement (by FCM)	0.00%	0.00%	0.00%	0.00%
Month 2	Serum B-protein (g/L)	0.1	0.2	0.2	0.2
	Involved serum free light chain (mg/L) or IgG immunoglobulin (g/L)	11.8	12.9	996	996 (g)
	Involved serum free light chain (mg/L)	996	12.9	996	11.8
	Bone marrow involvement (by FCM)	0.00%	0.00%	0.00%	0.00%
Month 3	Serum B-protein (g/L)	0.1	0.1	0.1	0.1
	Involved serum free light chain (mg/L) or IgG immunoglobulin (g/L)	996	12.9	996	996
	Involved serum free light chain (mg/L)	996	12.9	996	11.8
	Bone marrow involvement (by FCM)	0.00%	0.00%	0.00%	0.00%

자료: Lancet, DS투자증권 리서치센터.

그림16 ESO-T01, bone marrow 유지는 비교적 부족

Table S6: CAR copies detection in tumor and bone marrow by quantitative polymerase chain reaction

Patient ID	Time points	Sample types	Result (copies/ug genomic DNA)
1	Day 13	Tumor	8320
	Day 15	Bone marrow	14100
1	Month 2	Bone marrow	12800
	Month 3	Bone marrow	468
2	Day 10	Tumor	53200
	Day 15	Bone marrow	14100
2	Month 2	Bone marrow	559
	Day 17	Bone marrow	589
4	Day 17	Bone marrow	67200
	Day 28	Bone marrow	11200

자료: Lancet, DS투자증권 리서치센터.

알지노믹스, circRNA 플랫폼으로 해당 시장 접근 중

3월 27일, 알지노믹스는 자사의 circRNA 플랫폼 관련 논문을 발표하였다. 이는 일반적으로 circRNA 플랫폼에 사용되는 LNP 대신 polymer로 정맥주사하였을 때, 비장의 T cell에 얼마나 잘 들어가는지를 보는 연구였다. T cell을 타겟하고 있다는 점에서 알지노믹스가 in vivo CAR-T로서 플랫폼 검증을 목적으로 하고 있다는 사실을 잘 확인할 수 있다.

T cell 타게팅 매우 좋음

이번 연구에서 circRNA+polymer 조합으로 IV 투여하였을 때 비장의 T cell targeting이 보다 우수하였으며 향후 in vivo CAR-T 플랫폼으로 확장할 가능성이 열렸다. CD4+ T, CD8+ T cell 축적이 linear RNA 대비 약 3배 높았으며 반대로 dendritic cell과 macrophage에는 덜 들어가는 점을 확인하였다. circRNA의 rigid한 원형 구조 때문에 대식세포를 회피하는 것으로 해석된다. 실제로 지속여부에서도 circRNA 반감기 장점을 확인하였다.

일반적으로 사용되는 LNP는 간에 축적되는 단점 보유

이번 논문의 circRNA는 기존 알지노믹스가 보유한 RNA editing 플랫폼과 구별되는 두 번째 플랫폼이다. 주목할만한 부분은 일반적으로 circRNA가 사용하는 LNP 외 polymer delivery를 사용하여 비장 특이적 T cell delivery를 성공하였다는 점이다. 일반적인 native LNPs는 간에 축적되는 경향이 있어 T cell로의 전달 효율이 제한될 수 있다는 단점을 가진다. 이에 LNP 개발자들은 CD3, CD4, CD8 등의 T cell 특이적으로 결합하는 리간드를 부착한 targeted-LNP를 개발하고 있다.

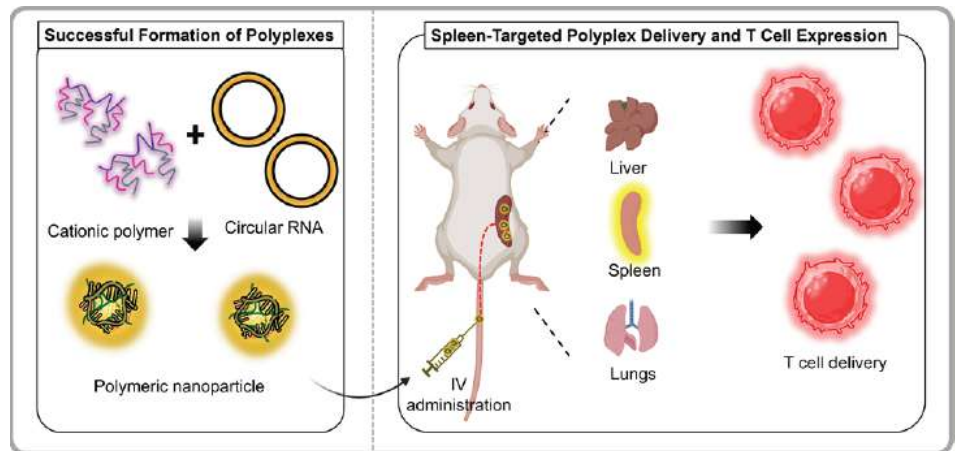
한계) 아직 번역 효율이 좀 낮음...

단, T cell에 잘 delivery되는 것과 CAR 발현이 충분히 된다는 것은 별개의 문제다. T cell 유래 세포주에서 circRNA는 linear RNA 대비 낮은 번역 효율을 나타내었다. 이를 논문에서는 지금 사용하고 있는 CVB3 IRES(Internal Ribosome Entry Site)는 바이러스 유래로, 바이러스 IRES는 서로 다른 번역 개시 인자 또는 IRES-trans-acting factor를 필요로 하며, 이로 인해 IRES 기반 번역은 세포 유형별 인자 발현에 크게 의존한다. 따라서 치료적 CAR 적용을 위한 면역세포에서의 circular RNA 번역 효율을 높이기 위해서는 면역세포에서 강력한 번역을 유도하는 별도의 IRES 스크리닝이 필요하다고 밝혔다.

딜리버리 입증 측면에서 고무적

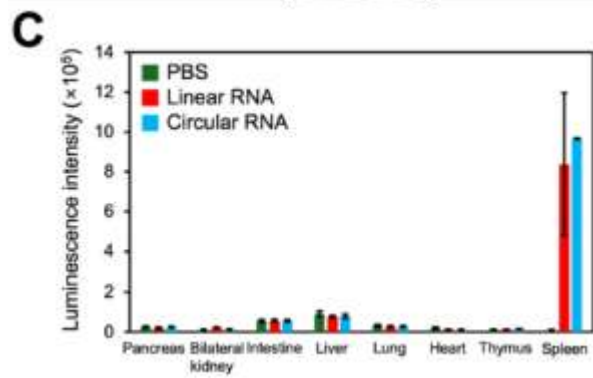
현재까지 우리가 알 수 있는 것은, 알지노믹스의 circRNA 플랫폼이 효율적인 T cell delivery까지는 성공하였으나 CAR 발현에 있어서 신규 IRES가 필요하다는 점이다. T cell delivery 진척 측면에서 당사는 이를 매우 긍정적으로 평가하며 향후 추가적인 circRNA 최적화 발표를 기대한다.

그림17 알지노믹스 circRNA 실험 방식



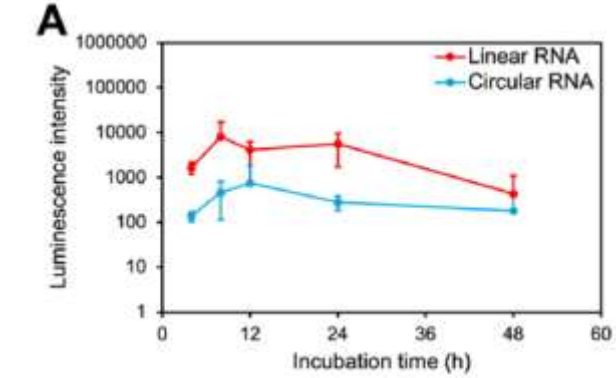
자료: <https://doi.org/10.1021/acsbio.5c02147>, DS투자증권 리서치센터

그림18 비장 특이적 delivery 확인



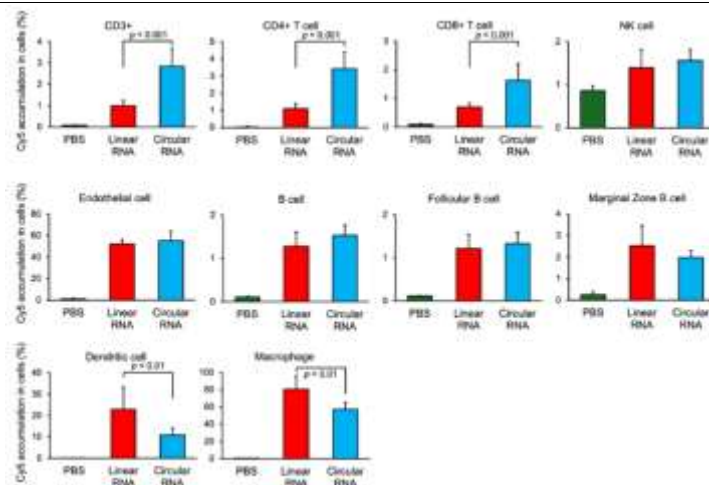
자료: <https://doi.org/10.1021/acsbio.5c02147>, DS투자증권 리서치센터

그림19 단, 발현이 linear 대비 잘 안됨



자료: <https://doi.org/10.1021/acsbio.5c02147>, DS투자증권 리서치센터

그림20 실제로 CD3+/CD4+/CD8+ T cell에 유의미하게 높고, Dendritic cell/Macrophage 낮음



자료: <https://doi.org/10.1021/acsbio.5c02147>, DS투자증권 리서치센터

In vivo CAR-T는 크게 Delivery 방식에 따라 분류된다. 생체 내 유전물질을 T-cell에 특이적으로 전달하는 것은 상당한 기술적 허들을 요구하며 in vivo CAR-T를 개발하기 위해서는 Off-target 부작용, 면역 반응 및 유전 독성을 최소화 하면서 유전자 전달을 할 수 있어야 한다. 이에 T-cell delivery로는 (1) 렌티바이러스(LV) 등의 viral vector와 (2) LNP 등과 같은 비바이러스 전달 플랫폼 두 가지가 대표적이다.

(1) viral vector

DNA에 통합
→ 종양 발생 위험

바이러스 벡터는 일반적으로 높은 전달 효율과 안정적인 유전자 발현을 가능하게 하는 플랫폼으로 유전자 delivery에 널리 사용되어 온 플랫폼이다. 그 중 대부분의 개발사들이 사용하는 렌티바이러스(LV) 벡터는 sg/ssRNA가 DNA에 통합되어 장기간 CAR 발현과 지속적인 치료효과를 보일 수 있다는 장점이 있다. 반면 이러한 Genome integration은 off-target 형질 도입 및 종양 유전자를 활성화하는 insertional mutagenesis 유발 위험을 동반한다. 반면 아데노바이러스(AAV) 벡터는 양호한 안전성 프로파일을 보이는 반면 제한된 packaging capacity로 인하여 유전자 payload 전달 크기에 제한이 있다. 또한 AAV 벡터를 사용할 경우 반복투여에 대한 제한이 존재하게 된다.

(2) non-viral Delivery

장) 종양 위험 낮음, 대량
생산 가능
단) 전달 효율

비바이러스 전달 플랫폼은 DNA 통합되지 않으므로 삽입 돌연변이 위험을 본질적으로 줄일 수 있다. 또한 제조 유연성을 보유하여 표준화된 화학 공정을 통하여 대량 생산이 가능할 수 있다. 그러나 native LNPs는 간에 축적되는 경향이 있어 T cell로의 전달 효율이 제한될 수 있다. 이에 개발자들은 CD3, CD4, CD8 등의 T cell 특이적으로 결합하는 리간드를 부착한 targeted-LNP를 개발하고 있다.

표1 Ex vivo CAR-T vs. in vivo CAR-T Delivery별 장단점 비교

	Ex vivo CAR-T	in vivo CAR-T	
		viral vector	LNP
장점	<ul style="list-style-type: none"> - 통제 가능 - 환자 특성화 - 수천명의 환자에서 이미 임상데이터 입증 - Vector 노출 없음 - 예측가능한 규제 경로 	<ul style="list-style-type: none"> - 세포 제조과정이 필요없음 - 낮은 비용 - 급성 질환에서도 빠른 치료 시작 가능 - 장기간 발현 가능 - LV, AAV 등 확립된 벡터 기술 사용 	<ul style="list-style-type: none"> - 완전한 비-viral vector - 일시적 발현으로 우수한 안전성 프로파일 확보 - mRNA 기반 공정으로 보다 단순화된 공정 확보 - 다중 payload 가능 - 낮은 면역원성 및 보다 완화된 규제경로 확보
한계	<ul style="list-style-type: none"> - 림프구 제거 필요 - 임상 및 제조 센터 역량에 대한 높은 요구사항 - 급성 환자의 경우 제조 기간을 견디기 어려움 - 일부 환자의 경우 치료제 제조 불가 - 면역원성 위험(*Allogeneic) 	<ul style="list-style-type: none"> - Phenotype에 대한 통제 불가능 - off-target 형질도입 및 삽입 돌연변이 위험 - 반복투여 제한 - 용량조절이 어려우며, 환자간 변동성 제어 불가 	<ul style="list-style-type: none"> - 제한된 CAR 발현 → 효능 감소 가능성 존재 - 체내 세포 특이성 제한 (ex. 간이나 다른 조직으로 갈 수 있음) - 동물실험 데이터가 제한적으로 작동 (생체 분포 및 제거가 종 간 변동성 높음) - 기술 성숙도가 낮음 +인간 대상 데이터가 적음 - 독성 축적 위험

자료: DS투자증권 리서치센터₩

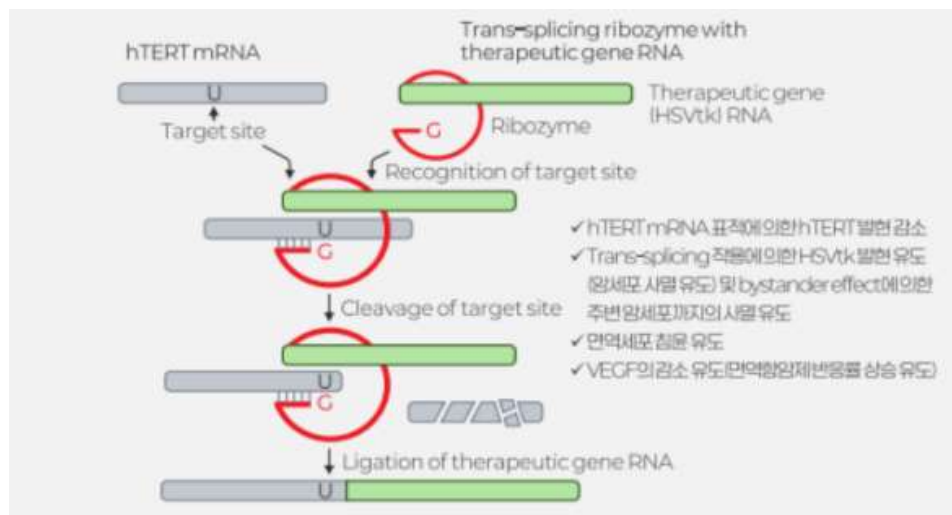
RZ001, 플랫폼 입증의 신호탄

오는 4월, 알지노믹스는 자사의 항암제 파이프라인 RZ001에 대한 임상 1b/2a initial data를 AACR2026에서 구두발표 할 예정이다. RZ001은 hTERT mRNA를 타겟하여 억제시킴과 동시에 HSVtk를 발현하여 병용 투여한 VGCV가 hTERT를 발현하는 암세포에서 항암효과를 나타내게 하는 항암제이다. HSVtk를 통해 인산화된 VGCV는 bystander effect를 통해 주변 암세포에까지 항암 효과를 발현한다.

이번에 발표될 임상 1b/2a상은 전신 치료 경험이 없는 절제 불가능한 간암 환자를 대상으로 RZ001을 Dose 1,2,3으로 나누어 각 코호트당 15명씩 임상을 진행하였으며 각 코호트 당 3명 투여하여 안전성을 확인한 뒤 후속 코호트가 오픈되는 구조로 시험을 실시하였다.

따라서 현재 임상이 차질없이 진행되고 있는 만큼 초기 용량에서는 이미 안전성이 입증되었을 가능성이 높다고 판단하며, 이번 AACR2026에서 ORR 등의 초기 유효성까지 확인될 경우 RZ001의 파이프라인 value 향상과 더불어 알지노믹스의 RNA editing 플랫폼의 human 데이터 확인이라는 측면에서 의의를 가질 전망이다.

그림21 RZ001 작용 기전



자료: 알지노믹스, DS투자증권 리서치센터

[알지노믹스 476830]

재무상태표	(십억원)					손익계산서	(십억원)				
	2022	2023	2024	2025F	2026F		2022	2023	2024	2025F	2026F
유동자산	0	0	0	0	0	매출액	0	0	0	0	0
현금 및 현금성자산	0	0	0	0	0	매출원가	0	0	0	0	0
매출채권 및 기타채권	0	0	0	0	0	매출총이익	0	0	0	0	0
재고자산	0	0	0	0	0	판매비 및 관리비	0	0	0	0	0
기타	0	0	0	0	0	영업이익	0	0	0	0	0
비유동자산	0	0	0	0	0	(EBITDA)	0	0	0	0	0
관계기업투자등	0	0	0	0	0	금융손익	0	0	0	0	0
유형자산	0	0	0	0	0	이자비용	0	0	0	0	0
무형자산	0	0	0	0	0	관계기업등 투자손익	0	0	0	0	0
자산총계	0	0	0	0	0	기타영업외손익	0	0	0	0	0
유동부채	0	0	0	0	0	세전계속사업이익	0	0	0	0	0
매입채무 및 기타채무	0	0	0	0	0	계속사업법인세비용	0	0	0	0	0
단기금융부채	0	0	0	0	0	계속사업이익	0	0	0	0	0
기타유동부채	0	0	0	0	0	중단사업이익	0	0	0	0	0
비유동부채	0	0	0	0	0	당기순이익	0	0	0	0	0
장기금융부채	0	0	0	0	0	지배주주	0	0	0	0	0
기타비유동부채	0	0	0	0	0	총포괄이익	0	0	0	0	0
부채총계	0	0	0	0	0	매출총이익률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
지배주주지분	0	0	0	0	0	영업이익률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
자본금	0	0	0	0	0	EBITDA마진률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
자본잉여금	0	0	0	0	0	당기순이익률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
이익잉여금	0	0	0	0	0	ROA (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
비지배주주지분(연결)	0	0	0	0	0	ROE (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
자본총계	0	0	0	0	0	ROIC (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a

현금흐름표	(십억원)					주요투자지표	(원, 배)				
	2022	2023	2024	2025F	2026F		2022	2023	2024	2025F	2026F
영업활동 현금흐름	0	0	0	0	0	투자지표 (x)					
당기순이익(손실)	0	0	0	0	0	P/E	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
비현금수익비용가감	0	0	0	0	0	P/B	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
유형자산감가상각비	0	0	0	0	0	P/S	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
무형자산상각비	0	0	0	0	0	EV/EBITDA	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
기타현금수익비용	0	0	0	0	0	P/CF	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
영업활동 자산부채변동	0	0	0	0	0	배당수익률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
매출채권 감소(증가)	0	0	0	0	0	성장성 (%)					
재고자산 감소(증가)	0	0	0	0	0	매출액	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
매입채무 증가(감소)	0	0	0	0	0	영업이익	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
기타자산 부채변동	0	0	0	0	0	세전이익	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
투자활동 현금	0	0	0	0	0	당기순이익	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
유형자산처분(취득)	0	0	0	0	0	EPS	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
무형자산 감소(증가)	0	0	0	0	0	안정성 (%)					
투자자산 감소(증가)	0	0	0	0	0	부채비율	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
기타투자활동	0	0	0	0	0	유동비율	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
재무활동 현금	0	0	0	0	0	순차입금/자기자본(x)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
차입금의 증가(감소)	0	0	0	0	0	영업이익/금융비용(x)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
자본의 증가(감소)	0	0	0	0	0	총차입금 (십억원)	0	0	0	0	0
배당금의 지급	0	0	0	0	0	순차입금 (십억원)	0	0	0	0	0
기타재무활동	0	0	0	0	0	주당지표(원)					
현금의 증가	0	0	0	0	0	EPS	0	0	0	0	0
기초현금	0	0	0	0	0	BPS	0	0	0	0	0
기말현금	0	0	0	0	0	SPS	0	0	0	0	0
NOPLAT	0	0	0	0	0	CFPS	0	0	0	0	0
FCF	0	0	0	0	0	DPS	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a

자료: 알지노믹스, DS투자증권 리서치센터 / 주: K-IFRS 연결기준

알지노믹스 (476830) 투자의견 및 목표주가 변동추이

제시일자	투자의견	목표주가(원)	과리율(%)		(원)
			평균주가대비	최고(최저)주가대비	
2026-03-30	담당자변경				
2026-03-30	N/R				

투자의견 및 적용기준 (향후 12개월간 주가 등락 기준)

기업	산업
매수	비중확대
중립	중립
매도	비중축소

업종별 투자의견은 해당업종 투자비중에 대한 의견

투자의견 비율

기준일 2025.12.31

매수	중립	매도
98.8%	0.6%	0.6%

Compliance Notice

본 자료에 기재된 내용들은 작성자 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 작성되었음을 확인합니다.

본 자료는 고객의 증권투자를 돕기 위한 정보제공을 목적으로 제작되었습니다. 본 자료에 수록된 내용은 당사 리서치센터가 신뢰할 만한 자료 및 정보를 바탕으로 작성한 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으므로 참고자료로만 활용하시기 바라며 유가증권 투자 시 투자자 자신의 판단과 책임하에 최종결정을 하시기 바랍니다. 따라서 본 자료는 어떠한 경우에도 고객의 증권투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.

본 자료는 당사의 저작물로서 모든 저작권은 당사에 있으며 어떠한 경우에도 당사의 동의 없이 복제, 배포, 전송, 변형될 수 없습니다.

- 동 자료는 제공시점 현재 기관투자가 또는 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 동 자료의 추천종목은 전일 기준 현재 당사에서 1% 이상 보유하고 있지 않습니다.
- 동 자료의 추천종목은 전일 기준 현재 당사의 조사분석 담당자 및 그 배우자 등 관련자가 보유하고 있지 않습니다.
- 동 자료의 추천종목에 해당하는 회사는 당사와 계열회사 관계에 있지 않습니다.