제약/바이오 Overweight

상승 곡선의 시작점, 유전자 치료제

2026. 3. 9

Analyst 김선아 seona.kim@hanafn.com
RA 유창근 changkeunyoo@hanafn.com

[이미지 = Gemini 사용]

하나증권

2026년 3월 9일 | Equity Research

제약/바이오 Overweight

상승 곡선의 시작점, 유전자 치료제

Summary

- ✓ 2Q25부터 빅파마들의 관심사가 유전자치료제에 몰리는 현상 확인
- ✓ Lilly는 2Q24 부터 1Q26까지도 유전자치료제 및 관련 기술을 확보해 나가는 중
- ✓ 고지혈증, 동맥경화증, 고혈압 등 일반 질환으로 진출하며 본격적인 시장 확장 시작

관심종목

기업명	투자의견	목표주가(12M)	현재주가(3월6일)
에스티팜(237690)	BUY(신규)	210,000원(신규)	160,000원
올릭스(226950)	Not Rated	-	207,000원
알지노믹스(476830)	Not Rated	-	164,200원

목차

1. 글로벌 빅파마의 동향 5

1) 미국 시장 기준 시가총액 TOP 13위 빅파마의 최근 파트너십 동향 5

2. 돈 많은 Lilly가 관심 갖는 modality 7

1) 최근 3개년 간 기술도입 및 공동개발 동향 7

3. 젭바운드를 넘볼 수 있는 프로필 10

1) 펩타이드계 비만치료제의 L/O 가능성은 낮아지는 중
→ 유전자 치료제 주목 10

2) wave life science와 arrowhead가 보여준 비만 치료제 결과 11

4. 타겟 적응증 시장 규모의 변화 12

1) 희귀병 -> 일반 질환으로 시장 확대 중 12

5. 유전자 치료제의 종류와 개발 동향 15

1) 유전자 치료제 분류와 개요 15

2) 유전자 모달리티 별 특징 16

6. 유전자 치료제와 함께 성장할 "전달체" 22

1) 전달체 개발의 필요성 22

7. 해외 주요 기업 개발 동향 25

1) Novartis AG (NYSE: NVS) 25

2) Alnylam Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ:ALNY) 27

3) Ionis Pharmaceuticlas, Inc. (NASDAQ:IONS) 29

4) Geron Corporation (NASDAQ:GERN) 31

5) Arrowhead Pharmaceuticals (NASDAQ:ARWR) 33

6) Wave life science (NASDAQ: WVE) 36

7) ADARx Pharmaceuticals (비상장) 38

8. 주목할 국내 상장사 39

1) 에스티팜 39

2) 올릭스 40

3) 알지노믹스 41

4) 삼양바이오팜 42

기업분석 42

에스티팜 (237690) 43

올릭스 (226950) 61

알지노믹스 (476830) 79

2026년 3월 9일 | 산업분석_Industry In-depth

제약/바이오

상승 곡선의 시작점, 유전자 치료제

Overweight

Top Picks

*CP 2026년 3월 6일

에스티팜(237690)
TP 210,000원(신규) I CP 160,000원

올릭스(226950)
Not Rated I CP 207,000원

알지노믹스(476830)
Not Rated I CP 164,200원

Analyst 김선아 seona.kim@hanafn.com
RA 유창근 changkeunyoo@hanafn.com

10년 전으로 돌아간다면 어떤 modality에 투자할 것인가

지금으로부터 10년 전인 2016년부터 시장의 주목을 받은 modality를 살펴보자. 항체(바이오시밀러) 시장과 함께 성장한 삼성바이오로직스는 2016년 11월에 상장했고, 셀트리온도 2018년 2월에 상장했다. ADC 시장을 장악하고 있는 Enhertu는 2019년 12월에 FDA 승인을 받았고, 세계 최초의 이중항체인 Akeso의 Cadonilimab(PD-1xCTLA-4)은 2022년 6월에 중국에서 승인되었다. Modality의 대이변은 펩타이드에서 발생했다. 다년간 매출 1위를 차지하던 항체 Pembrolizumab을 펩타이드 Tirzepatide가 갈아치웠고 그 해가 2025년으로써 바로 작년이다. 이런 흐름 속에서 유전자치료제는 희귀 질환으로 묵묵히 Human PoC를 쌓아왔고, 이제 일반 질환으로 넘어와 비만 시장을 탐내고 있다. 어쩌면 Tirzepatide라는 난공불락의 약물을 이길 유일한 modality가 될 수도 있다. '26년2월23일 FDA가 희귀 유전질환 환자를 위한 생물학적 타당 기전 프레임워크(Plausible Mechanism Framework)를 제시하며 소수의 환자 데이터만으로도 허가를 지원하는 가이던스를 제시하며 유전자 치료제 관련 차세대 modality는 더욱 상용화에 가까워졌다.

빅파마의 관심 급증, 돈 많은 Lilly가 가장 열정적

펩타이드계 비만치료제가 시장을 휩쓸고 지나가자 빅파마들은 빠르게 다른 modality로 관심을 옮기고 있다. 그 중 비만치료제 시장에서 가장 많은 돈을 벌어들이고 있는 Lilly가 뚜렷하게 관심을 보이는 modality 중 하나가 유전자치료제이다. Lilly는 2Q24부터 유전자치료제 관련 asset(전달체, in vivo 방식의 세포 치료제를 포함)을 매분기 마다 확보해 나가고 있고, 이러한 행보는 1Q26까지도 계속되고 있다. 유전자치료제는 미국을 기준으로 환자수가 수천명~수 백만명에 불과한 희귀 질환에서 고지혈증, 동맥경화증, 고혈압과 같은 일반 질환으로 이미 상용화가 가까워진 상황이다. 항체, 저분자화합물과 같은 전통적인 방식의 modality가 타겟할 수 있는 유전자는 0.05%에 불과하다고 한다. 유전자치료제는 기존의 약물이 접근할 수 없는 undruggable target으로 질병 원인을 제거할 수 있고, 작동 원리에 따라 target을 제거 또는 과발현하여 치료를 유도하는 등 다양한 방식의 접근이 가능하다.

Top Picks: 에스티팜, 올릭스, 알지노믹스

에스티팜은 글로벌 1~2위를 다툴 만한 수준의 올리고뉴클레오티드 생산자로, '26년6월 고객사 제품의 중증고지혈증으로 적응증을 확대하며 본격적인 매출과 이익 상승 구간에 돌입했다. 올릭스는 siRNA로 비만/MASH까지 진입 중이고, 알지노믹스는 독특한 기전의 RNA 트랜스-스플라이싱 리보자임 플랫폼과 CirRNA 플랫폼을 보유해 추가 L/O를 기대할 수 있다.

1. 글로벌 빅파마의 동향

1) 미국 시장 기준 시가총액 TOP 13위 빅파마의 최근 파트너십 동향

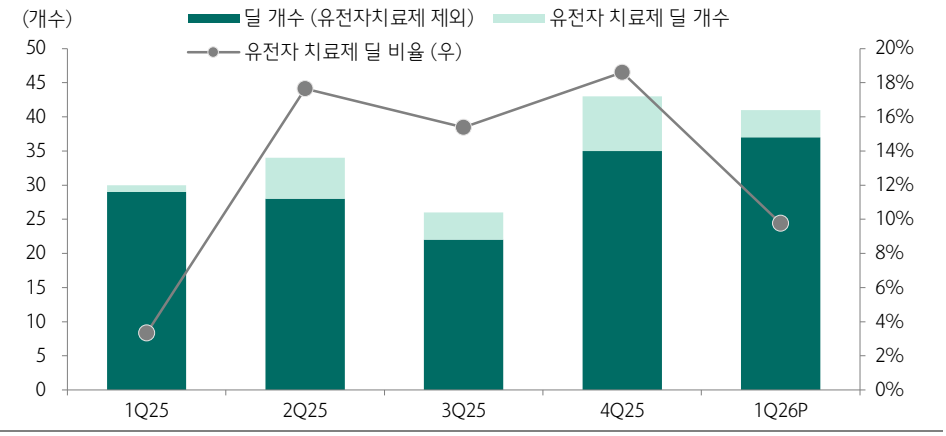
2Q25부터 글로벌 빅파마의 분기별 유전자치료제 관련 기술 L/I, 파트너십, 인수합병 지속

'24년-'25년은 비만 치료제와 그로부터 파생된 MASH/대사질환 치료제의 기술이전이 두각되었고, 그 중에서도 비만치료제 대표 성분인 Semaglutide, Tirzeptide와 MASH 치료제인 Survodutide의 임상 결과가 두각되며 펩타이드계 약물이 많은 주목을 받았다. '25년-'26년으로 넘어오는 과정은 어떨까?

미국 상장사 기준 시가총액 상위 13위의 빅파마들의 분기별 기술도입/파트너십 동향을 살펴보면, '25년 전까지는 유전자치료제에 대한 관심이 눈에 띄지 않았다. 그러나 2Q25부터 Lilly, GSK, AbbVie, 및 AstraZeneca를 필두로 다수의 기업들이 유전자치료제 또는 그와 관련된 기술(전달체, in vivo 작동 방식의 세포 치료제 등 포함)에 대한 관심이 확인되었다. 1Q25에는 전체 계약 건수 30건 중 유전자치료제 관련 계약은 MSD의 non-coding DNA 타겟 플랫폼 (Epitopea의 CryptoMap 플랫폼) 기술이전으로 단 1건에 불과했다. 2Q25부터 분기별 총 계약 건수 중 유전자치료제 관련 계약 건은 18% 수준으로 급증했고, 매 분기별 약 10% 수준을 현 시점인 2026년 2월까지도 이어가고 있다.

빅파마의 관심은 ASO, siRNA, CRISP/Cas 등 전통적인 modality 부터 LNP 등의 전달체, In vivo 활성 방식의 세포치료제 등 다양함

도표 1. 2025년 1월~현재(2026.03.05) 빅파마들의 파트너십/인수 계약 건 (계약 건 수 기준)



자료: Global Data, 각 사, 하나증권

도표 2. 2025년 1월~현재 빅파마들의 파트너십 중 유전자치료제 관련 건

(단위: mn $)

계약일	딜 종류	빅파마 명	파트너사	딜 규모	적응증	기술 활용방법 요약	계약 국가
2025.02.19	L/I	Merck	Epitopea	300	고형암	• CryptoMap 플랫폼을 활용하여 off-the-shelf RNA-기반 면역학적 암 항원 발굴 (non-coding DNA 타겟)	UK, US
2025.04.03	L/I	Eli Lilly	Sangamo Therapeutics	1,418	CNS 질환	• STAC-BBB(AAV 캡시드로 정맥투여 후 BBB 통과) 플랫폼 활용하여 CNS질환 치료제 발굴	Global
2025.04.06	L/I	GSK	ABL Bio	2,775	CNS 질환	• Grabody Platform: BBB셔틀의 modlaity 및 전달 조직 확장	Global
2025.05.14	L/I	AbbVie	ADARx Pharmaceuticals	335	불특정	• AbbVie의 항체, ADC, 조직전달접근법 등 자사 플랫폼에 siRNA 적용	US
2025.05.15	L/I	Eli Lilly	Rznomics	1,300	유전성난청	• Trans-splicing ribozyme 플랫폼 활용하여 RNA 편집	Global
2025.05.20	인수합병	AstraZeneca	EsoBiotec	1,000	암	• ENaBL(Engineered NanoBody Lentiviral) 플랫폼 이용해 in vivo CAR-T 개발	-
2025.06.25	인수합병	Novartis	Regulus Therapeutics	1,700	ADPKD (신장질환) 등	• farabursen(miR-17을 타겟하는 ASO, 3상 중) 확보	US
2025.07.25	인수합병	Eli Lilly	Verve Therapeutics	1,300	심혈관계 질환	• CRISPR/Cas 기반 In vivo 유전자 편집 기술	US
2025.08.19	인수합병	AbbVie	Capstan Therapeutics	2,100	자가면역질환	• CPTX2309: B 세포 매개 자가면역질환/ tLNP: CD19 특이적 CD8+ in vivo CAR-T	US
2025.08.28	L/I	Novo Nordisk	Replicate Bioscience	550	비만/T2D/ 심혈관대사질환	• self-replicating RNA (srRNA) 기반 신약 개발	Global
2025.09.08	공동연구 개발	Eli Lilly	Remedium Bio	N/A	당뇨병, 비만	• SC 투여 및 용량-조절가능한 유전자 치료제 전달 플랫폼인 Prometheus™ 활용	US
2025.10.06	공동연구 개발	AstraZeneca	Algen Biotechnologies	555	만성 염증, 면역 매개 질환	• AlgenBrain 플랫폼: 차세대 CRISPR 유전자 조절 기술과 AI 기반 타깃 발굴	UK, US
2025.10.06	공동연구 개발	AstraZeneca	Algen Biotechnologies	555	만성 염증, 면역 매개 질환	• AlgenBrain 플랫폼: 차세대 CRISPR 유전자 조절 기술과 AI 기반 타깃 발굴	UK, US
2025.10.26	인수합병	Novartis	Avidity Biosciences	12,000	신경 근육 질환	• AOC(항체에 올리고뉴클레오타이드 중합) 기반 근육 조직에 표적 전달하는 치료제 개발	US
2025.10.28	L/I	GSK	Empirico	745	만성폐쇄성폐질환, 염증성호흡기질환	• EMP-012: Empirico의 유전학 기반 타깃 발굴 플랫폼 기술을 활용한 siRNA	Global
2025.11.08	L/I	Eli Lilly	Sanegene Bio USA	1,200	대사질환	• 조직 특이적 RNAi 전달 시스템인 LEAD (Ligand and Enhancer Assisted Delivery) 활용	Global
2025.11.10	L/I	Eli Lilly	MeiraGTx Holdings	475	안과 질환	• AAV-AIPL1: 유전성 망막질환 치료제/ 망막세포전달 맞춤형 Capsid 및 AI 기반 프로모터 기술 탐색 등	Global
2025.11.30	인수합병	BMS	Orbital Therapeutics	1,500	자가면역 질환	• OTX-201(원형 RNA 기반 CD19 in vivo CAR-T), Orbital RNA 플랫폼(원형/선형 RNA 설계), LNP 등 보유	US
2025.12.18	L/I	GSK	CAMP4 Therapeutics	18	신경퇴행성 질환, 신장 질환	• RAP 플랫폼: ASO로 regRNA(유전자 발현을 조절하는 RNA)를 조절해 유전자 발현을 상향 증폭하는 전략	UK, US
2026.01.08	공동연구 개발	Johnson & Johnson	Lexeo Therapeutics	N/A	우전성 심혈관 질환	• J&J의 Impella(심장펌프)를 활용하여 Lexeo의 AAV 기반 유전자 치료제를 심장에 전달하는 기술 개발	US
2026.01.28	L/I	Eli Lilly	Seamless Therapeutics	1,120	유전성 난청	• 정확도 향상, 세포 내 접합에 의존하지 않는 차세대 CRISPR	Global
2026.02.09	인수합병	Eli Lilly	Orna Therapeutics	2,400	B세포 매개 자가면역 질환	• 원형 RNA 및 LNP 플랫폼을 활용한 in vivo CAR-T 개발	US
2026.02.23	L/I	GSK	Frontier Biotechnologies	1,003	불특정	• Frontier Biotech의 siRNA 파이프라인 2개 후보물질에 대한 전세계 독점 개발, 제조, 상업화 권리 확보	Global

자료: Global Data, 각 사, 하나증권

2. 돈 많은 Lilly가 관심 갖는 modality

1) 최근 3개년 간 기술도입 및 공동개발 동향

순이익 10조원, Tirzepatide로 펩타이드계 제패, 다 가진 자가 욕심내는 것

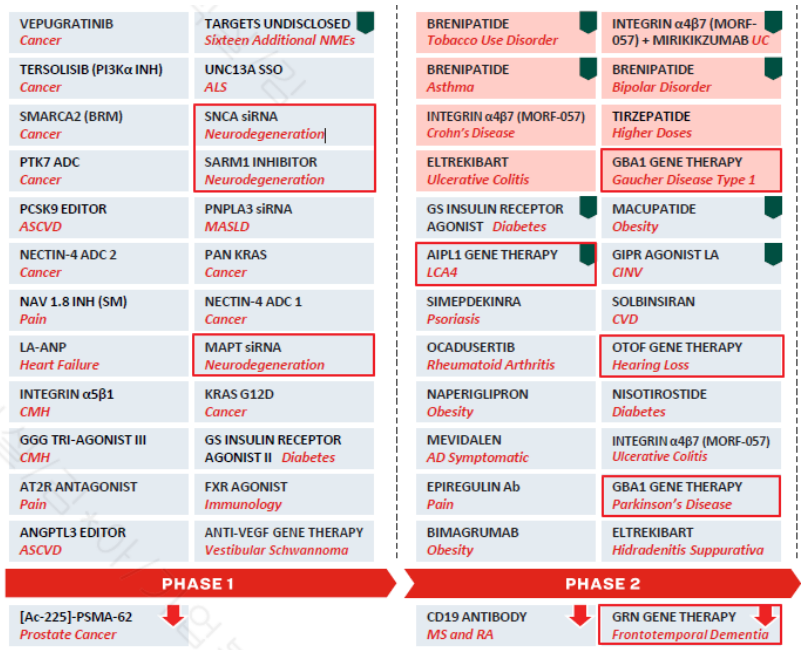
Eli Lilly는 2025년 연매출 625억 달러로 전년 대비 45% 성장했고, 순이익도 66.36달러로 50% 증가했다. 이러는 와중에도 25년 매출을 견인한 Tirzepatide는 여전히 매출 성장세에 있고, 미국 기준으로 2036년까지 독점권이 보장된다. Tirzepatide의 자리를 탐하는 경쟁제품(ex. Novo Nordisk의 Cagrisema, Amgen의 MariTide 등)은 효능이나 부작용면에서 아쉬운 임상 결과를 보여주고 있어 비만치료제에서 Tirzepatide의 자리는 쉽게 내려오지 않을 것 같다. 올해만 순이익으로 연간 약 10조원 가까이 벌어들였고, 향후에도 이정도의 순이익은 보장될 것으로 보이는 제약회사는 현재 어떤 행보를 보이고 있을까?

유전자치료제 후발주자지만 돈으로 메이크업

Lilly는 유전자 치료제에 있어서는 후발 주자이다. 현재 개발 중인 파이프라인 중 siRNA는 모두 임상1상 단계 퇴행성 신경병증에 초점이 맞춰져 있는 것이 특징이다. 그 외 임상2상 중인 파이프라인은 DNA 편집 기반 치료제인제, 전두측두엽 치매 치료제로 개발 중이던 GRN 타깃의 유전자 치료제는 이번 실적 발표에서 개발 중단하는 것으로 결정되었다.

그럼에도 최근 Lilly는 계속하여 유전자 치료제 적응증의 범위를 희귀 질환에서 일반 질환으로의 확대하고 새로운 Modality를 도입하고 있다. 1) '25년 2월 올릭스와 $630mn 규모의 타겟 독점 기술이전 계약을 체결하여 MASH/비만 적응증의 RNA 치료제 개발 시장에 뛰어들었다. 또한 2) '25년 5월 알지노믹스와 유전성 난청 치료제 개발을 위한 총 규모 $1.334bn의 계약을 체결하였다. 이어서 3) '26년 1월 Seamless Therapeutics와도 총 계약 규모 $1.12bil의 유전자 편집 플랫폼을 활용한 청각소실 치료제 관련 공동연구 개발 계약을 체결, 4) '26년 2월10일에 미국 소재의 Circular RNA 기반 in vivo CAR-T 개발사인 Orna Therapeutics를 $2.4bn에 인수하였다. 이러한 대표적인 계약을 포함하여 '25년 1월부터 지금('26년3월5일)까지 총 11건의 유전자치료제 관련 파트너십/인수 계약을 체결하였다.

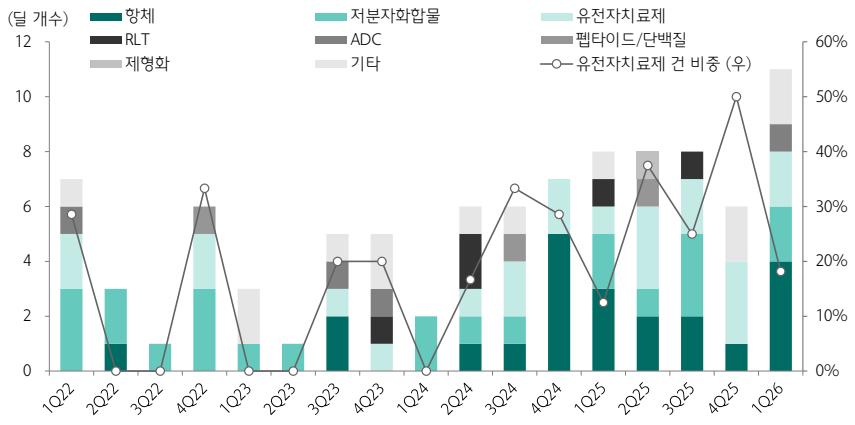
도표 3. Lilly가 개발 중인 유전자 치료제



주: 붉은 박스가 유전자 치료제 계열이고, 붉은 화살표는 개발에서 배제된 파이프라인임
자료: Lilly 4Q25 Earning Call

2Q24부터 분기별 유전자치료제 관련 기술 도입을 꾸준히 이어나가는 동향

도표 4. Lilly의 분기 내 모달리티별 파트너십/계약 동향 (계약 건 수 기준)



주: 기타는 제형화, Molecular glue, 세포치료제, 불특정 등
자료: Global Data, 각 사, 하나증권

도표 5. Lilly가 기술도입/공동개발/인수합병한 유전자치료제 관련 계약

(단위: mn$)

계약일	계약 상대방	계약 형태	딜 규모	적응증	modality	개발 수단	국가
2026.02.09	Orna Therapeutics	인수합병	2,400	B세포 매개 자가면역질환	in vivo CAR-T	• 원형 RNA 및 LNP 플랫폼: LNP에 실린 원형 RNA를 체내에 직접 주입하여 환자의 몸 안에서 T세포가 즉시 CAR-T로 변신하도록 유도	Global
2026.01.28	Seamless Therapeutics	L/I	1,120	유전성난청	유전자치료제	• 세포 자체의 수리 기능에 의존하지 않고, 원하는 위치에 거대한 DNA 조각을 정밀하게 삽입, 교체, 반전, 절제하는 CRISPR 기술	Global
2025.11.12	ABL Bio Inc	L/I	2,602	비만/근육질환	Modality 불특정	• Grabody Platform: BBB셔틀의 modlaity 및 전달 조직 확장	KR, US
2025.11.10	MeiraGTx Holdings Plc	L/I	475	안과질환	AAV 기반 유전자 치료제	• AAV-AIPL1: 유전성 망막질환 치료제/ 망막세포전달 맞춤형 Capsid 및 AI 기반 프로모터 기술 탐색 등	Global
2025.11.08	Sanegene Bio USA Inc	L/I	1,200	대사질환	RNA 기반 치료제	• 조직 특이적 RNAi 전달 시스템인 LEAD (Ligand and Enhancer Assisted Delivery) 활용	Global
2025.09.08	Remedium Bio	공동연구개발	N/A	비만/T2D	유전자치료제	• SC 투여 및 용량-조절가능한 유전자 치료제 전달 플랫폼인 Prometheus™ 활용	US
2025.07.25	Verve Therapeutics	인수합병	1,300	심대사질환	유전자치료제	• CRISPR/Cas 기반 In vivo 유전자 편집 기술	US
2025.05.15	Rznomics Inc	L/I	1,300	유전성난청	유전자치료제	• Trans-splicing ribozyme 플랫폼 활용하여 RNA 편집	Global
2025.04.29	Creyon Bio Inc	L/I	1,013	불특정	RNA 기반 치료제	• AI 기반 Oligo Engineering Engine으로 RNA 표적 치료제 개발	Global
2025.04.03	Sangamo Therapeutics	L/I	1,418	중추신경계 질환	AAV 기반 약물 전달플랫폼	• STAC-BBB(AAV 캡시드로 정맥투여 후 BBB 통과) 플랫폼 활용하여 CNS질환 치료제 발굴	Global
2025.02.10	OliX Pharmaceuticals	L/I	630	MASH	RNAi 유전자 치료제	• RNAi 기전으로 MASH 및 심대사 질환 관련 유전자 발현 억제	Global
2024.10.28	ViaNautis Bio	공동연구개발	N/A	불등정	유전자치료제	• polyNaut 플랫폼-고분자 기반 나노베지클로 특정 조직과 세포에 정밀하게 약물 전달	UK, US
2024.10.09	Insitro Inc	공동연구개발	N/A	대사질환	siRNA 치료제	• AI/ML 기반 조직특이적 전달체 개발	Global
2024.09.05	Genetic Leap	공동연구개발	409	불특정	RNA 기반 치료제	• AI 기반 RNA 구조 분석 및 올리고 설계 플랫폼	US
2024.09.04	Haya Therapeutics	공동연구개발	1,000	비만/대사질환	RNA 기반 치료제	• Regulatory genome 기반 long non-coding RNA 표적 치료제 개발 플랫폼	FR, US
2024.06.03	QurAlis Corporation	L/I	622	신경퇴행성 질환(ALS 등)	RNA 기반 치료제	• FlexASO Splice Modulator Platform 기반 ASO 설계, QRL-204(ASL치료제, 근위축성 측상 경화증) 등 후보물질	Global
2023.10.31	Beam Therapeutics	L/I	600	심혈관 질환	RNA 기반 치료제	• PCSK9, ANGPTL3, 제3 심혈관 타깃; 미국내 상업화는 Lilly, 미국 외 시장은 Beam이 권리 유지	Global
2023.06.15	Verve Therapeutics	공동연구개발	525	고지혈증/심혈관질환	유전자치료제	• Verve의 preclinical stage in vivo gene editing 프로그램 활용	Global
2022.10.27	Purdue University	공동연구개발	250	불특정	유전자치료제	• 유전 의학 연구, 척수내 약물 전달, 나노입자 기반 약물 전달 기술	US
2022.12.01	Akouos Inc	인수합병	1,097	감각신경성 난청 등	AAV 기반 유전자 치료제	• AK-OTOF 등 유전자 변이에 의한 난청 치료 파이프라인 획득	US
2022.02.22	RosVivo Therapeutics	공동연구개발	N/A	비만/당뇨	RNA 기반 치료제	• Rosvivo의 후보 RNA 물질 제공하는 MTA	US
2022.01.06	Entos Pharma	공동연구개발	450	CNS/말초신경계 질환	유전자치료제	• Fusogenix 플랫폼: Proteo-Lipid Vehicle (PLV)로 세포막 융합 기반 핵산 치료제 전달 플랫폼	CN, US

자료: Global Data, 각 사, 하나증권

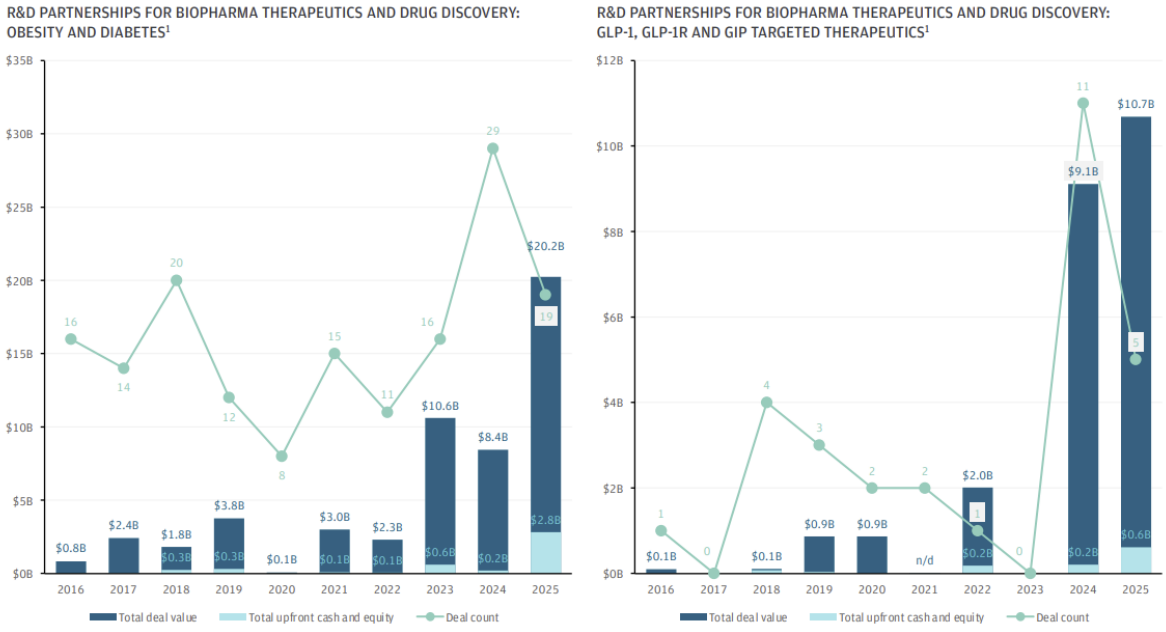
3. 젭바운드를 넘볼 수 있는 프로필

1) 펩타이드계 비만치료제의 L/O 가능성은 낮아지는 중 → 유전자 치료제 주목

비만치료제 잠재 매수인 감소, 플레이어는 증가, 새로운 전략(Modality)이 필요

우리는 작년 11월에 발간한 '26년 연간 전망에서, 비만 치료제는 기술이전 난이도가 높아질 것이므로 선별된 투자가 필요하다고 언급한 바 있다. '25년 통계에 따르면 비만 및 당뇨 관련 R&D 파트너십은 '24년까지 '29건까지 치솟았던 건 수가 19건으로 감소하였고, 특히 GLP-1, GIP 타겟 건수는 '24년 11건에서 '25년은 5건으로 감소하였다. 빅파마는 이미 '23년-'24년에 유망한 asset을 확보하면서 잠재 매수인이 크게 줄어들었고, 위고비와 젭바운드의 압도적인 매출 성장세를 경험하면서 플레이어만 늘어난 상황이다. 펩타이드계 치료제가 비만, 당뇨, 여기서 더 발전한 MASH 적응증까지 장악한 현재, 우리에게 다음 미래를 그려볼 modality가 어디에 있을지 살펴보면 유전자 치료제를 주목할 만하다.

도표 6. 최근 비만 및 비만 주요 타겟 관련 기술 이전 동향



자료: JPM biopharma 4Q25

도표 7. GLP-1(다중 작용제 포함) 계열 비만 치료제의 대표적인 부작용

자료: La vie MD (2025.05.28)

2) wave life science와 arrowhead가 보여준 비만 치료제 결과

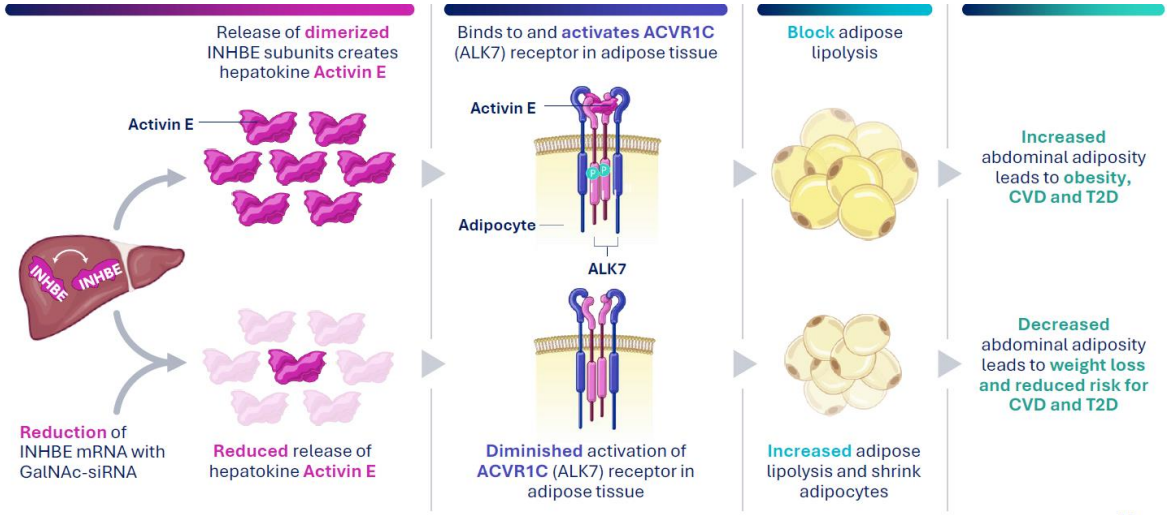
장기지속형, lean mass 감소 극복

'25년 하반기 Wave Life Science와 '26년 1월 Arrowhead가 보여준 siRNA 기반 비만 치료제의 결과는 가히 괄목할 만하다. 두 기업 모두 INHBE/ALK7 pathway 타겟의 GalNAc-siRNA로 비만 치료제를 개발하고 있다. INHBE 를 억제하면 신호전달체계상 INHBE/ALK7 pathway를 따라 ALK7까지 활성이 억제되는데, 그 결과 지방세포의 가수분해가 증가한다.

'25년 하반기 Wave Life Science가 공개한 INHBE 타겟의 GalNAc-siRNA인 WVE-007에 대한 임상1상 INLIGHT 중간 결과에 의하면, 약효 약 3개월 이상 지속, 위약 보정 기준 평균 내장지방 -9.2% 감소, 총 지방 -4.0% 감소, 반면 제지방(lean mass)은 0.9% 개선되었다. 현존하는 펩타이드계 비만치료제가 주1회 투약으로 반감기가 짧고, 근육 소실 부작용이 부각되고 있는 점을 고려하면 siRNA계의 결과는 매우 놀랍다.

'26년 1월 Arrowhead가 공개한 비만 치료제 후보 물질인 "ARO-INHBE + tirzepatide 병용"에서 2형 당뇨병이 있는 비만 환자에서 16주차에 체중 감소율, 내장 지방/총 지방/간 지방 76.7% 감소율 모두 tirzepatide 단독 투여 대비 약 2~3배 높은 수치를 보였다. "ARO-ALK7"은 지방세포 유전자를 직접 억제하는데 단 회 투여로 8주차에 위약 대비 내장 지방을 14.1% 감소시켰다.

도표 8. INHBE/ALK7 pathway 설명



자료: Wave Life Science (JPMHC 2026)

4. 타겟 적응증 시장 규모의 변화

1) 희귀병 → 일반 질환으로 시장 확대 중

화합물/항체는 인간 유전자의 0.05%만 타겟 유전자 치료제에 99.95% 기회

유전자 치료제가 기존의 치료제와 가장 구분되는 강점은, 단백질 구조적 접근 방법으로는 해결하지 못했던 기전(undruggable target)을 공략할 수 있다는 점이다. 저분자 화합물과 항체는 인간 유전자의 0.05%만 타겟할 수 있는데, 대부분의 질환은 저분자화합물이 결합하는데 적절한 활성 위치를 특정하기 어렵다고 한다 (Yiran Zhu et al. 2022). 아울러 비분열세포를 타겟하여 바이러스성 전달체를 이용하면 영구적인 질병 치료도 기대할 수 있다. 최근 유전자 치료제, 특히 RNA 기반 치료제들이 고지혈증, 비만, 당뇨, 고혈압 등의 일반 질환까지 적응증을 확대하면서, 우리의 우려대비 매우 높은 인체 안전성을 갖고 기존의 치료제 대비 투약 주기를 크게 연장(ex. 기존 고지혈증 약물 1일1회 복용, Leqvio 6개월 마다 투약)할 수 있음이 확인되고 있다. 최근 개발 동향은 영구적인 질병 치료 방식은 부작용 또한 영구적일 수 있기 때문에 희귀성 질환에 한정된 경향이 있고, RNA 기반 치료제의 발전과 상업화가 더 빨리 이루어지고 있다.

US 기준 희귀질환 환자 20만 명, 사망 위험 있는 심각한 CVD만 80만 명 예방까지 확대시 기하급수적 차이

희귀질환에서 일반질환으로의 확장이 갖는 경제적인 이익은 차이는 환자 수에서 이미 압도적으로 다름을 알 수 있다. 미국에서 희귀질환은 20만 명 미만의 환자가 있는 질병으로 정의한다 (Orphan Drug 지정 기준). 반면, 대표적인 일반 질환인 심혈관계 질환(CVD)은 관련 질환으로 인한 사망률로만 보더라도 미국 기준 총 인구의 1만 명당 224.3명 수준, 글로벌 기준 1만 명당 235.2명 수준으로 정의할 수 있을 정도이다. 24년 기준 미국 인구수는 약 3.4억 명이니, 사망에 이를 정도로 심각한 CVD 환자만 80만 명이 넘는 것으로 추정 된다. CVD로 인한 사망 위험 예방까지 확대하면 환자 수는 기하급수적으로 늘어날 수 밖에 없다.

보험 지원/ 환자 수 확대로 약가의 인하/ 바이오시밀러 출시 등으로 환자의 약물 접근성은 개선될 것

다만 유전자치료제는 질병의 근원인 유전자 단위를 표적하기 때문에 완치를 기대할 수 있으나, 저분자화합물이나 항체 등의 모달리티에 비하면 매우 개발 초기 단계로서 환자 입자에서는 리스크가 따른다. 또한 높은 치료 비용도 환자가 접근하기 어려운 원인 중 하나이다. 예를 들어 ASO인 Inotersen과 siRNA인 Patisiran은 환자 당 연간 42만~45만 달러(약 5.5억원)에 이른다(Agarwal A et al. 2022). 그렇다 보니 유전자치료제의 적응증은 대부분 희귀질환이다. 따라서 유전자 치료제 시장이 더욱 확대되기 위해서는 보험 지원, 환자 수 확대를 통한 약가 인하, 특허 만료로 인한 바이오시밀러 등장 등 리얼월드에서의 사용 수 확대 및 제도적인 변화도 필요하다. 현재 많은 1세대 유전자 치료제들이 총 합 수십 만명을 대상으로 한 일반 대사 질환 대상 임상을 진행하고 있으니, 머지 않은 미래(3~5년 내)에 유전자 치료제가 우리 곁에 매우 가까이 다가 와 있을 것이라는 전망이다.

아울러 '26년2월23일 FDA가 희귀 유전질환 환자를 위한 생물학적 타당 기전 프레임워크(Plausible Mechanism Framework)를 제시하며 소수의 환자 데이터만으로도 허가를 지원하는 가이던스를 제시하였다. 이 가이드라인은 유전자 편집과 함께 안티센스 올리고뉴클레오타이드와 같은 RNA 기반 치료제들에 대해 논의하는 데 초점을 맞추고 있어, 유전자치료제 개발사에 더욱 의미가 있다. 유전자 치료제 관련 차세대 modality 개발에서 임상비용 절감, 개발 시간이 단축됨에 따라 약가로의 비용 보상 현상도 줄어들 것으로 기대한다.

도표 9. 상업화 단계의 RNA 치료제

(단위: mn $)

제품명 (성분명)	개발사	적응증	Modality	Target	FDA 기준 최초 승인일	적응증 확장 현황	2025년 매출	YoY+%
Amondys 45 (casimersen)	Sarepta Therapeutics	뒤센 근이영양증	ASO	Dystrophin	2021-02-25	-	244	-
Amvuttra (vutrisiran)	Alnylam Pharmaceuticals	가족성 아밀로이드 심근병증, 가족성 아밀로이드 신경병증	siRNA	Transthyretin	2022-06-13	-	2,314	138.6%
Dawnzera (donidalorsen)	Ionis Pharmaceuticals	유전성 혈관부종 (C1 에스터레이스 억제제 결핍)	ASO	Plasma Kallikrein	2025-08-21	-	6	-
Exondys 51 (eteplirsen)	Sarepta Therapeutics	뒤센 근이영양증	ASO	Dystrophin	2016-09-19	-	448	-
Givlaari (givosiran)	Alnylam Pharmaceuticals	급성 간헐성 포르피리아; 유전성 코프로포르피리아; 반상 포르피리아	siRNA	ALAS1	2019-11-20	-	308	20.3%
Kynamro (mipomersen)	Kastle Therapeutics	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증	ASO	Apolipoprotein B 100	2013-01-29 (2018.05 허가 철회)	-	-	-
Leqvio (inclisiran)	Novartis Pharmaceuticals	이형접합 가족성 고콜레스테롤혈증	siRNA	Proprotein Convertase Subtilisin/Kexin Type 9	2021-12-22	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증 (3상), 급성 관상동맥 증후군 (3상), 고지혈증 (3상), 관상동맥 질환(허혈성 심질환) (3상)	1,198	58.9%
Onpattro (patisiran)	Alnylam Pharmaceuticals	가족성 아밀로이드 신경병증	siRNA	Transthyretin	2018-08-10	-	173	-31.6%
Oxlumo (lumasiran)	Alnylam Pharmaceuticals	제1형 원발성 옥살산뇨증	siRNA	2 Hydroxyacid Oxidase 1	2020-11-23	-	191	14.4%
Qalsody (tofersen)	Biogen	근위축성 측삭경화증	ASO	Superoxide Dismutase [Cu-Zn]	2023-04-25	-	87	171.9%
Qfitlia (fitusiran)	Genzyme	혈우병 A (응고인자 Ⅷ 결핍); 혈우병 B (응고인자 Ⅸ 결핍)	siRNA	Antithrombin Ⅲ	2025-03-28	-	10	-
Redemplo (plozasiran)	Arrowhead Pharmaceuticals	가족성 킬로미크론혈증 (제1형 고지단백혈증)	siRNA	Apolipoprotein C Ⅲ	2025-11-18	고중성지방혈증 (3상), 혼합형 이상지질혈증 (2상)	-	-
Rivfloza (nedosiran)	Novo Nordisk	제1형 원발성 옥살산뇨증	siRNA	L-Lactate Dehydrogenase A Chain	2023-09-29	제2형 원발성 옥살산뇨증 (3상)	-	-
Rytelo (imetelstat)	Geron	골수형성이상증후군 (전백혈병)	ASO	Telomerase Reverse Transcriptase	2024-06-06	골수섬유증 (3상), 재발/불응성 급성 골수성 백혈병 (2상)	-	-
Spinraza (nusinersen)	Biogen	척수성 근위축증	ASO	Survival Motor Neuron Protein	2016-12-23	-	1,547	-1.7%
Tegsedi (inotersen)	Ionis Pharmaceuticals	가족성 아밀로이드 신경병증	ASO	Transthyretin	2018-10-05 (현재 판매 중단)	-	34	-33.4%
Tryngolza (olezarsen)	Ionis Pharmaceuticals	가족성 킬로미크론혈증 (제1형 고지단백혈증)	ASO	Apolipoprotein C Ⅲ	2024-12-19	고중성지방혈증 (승인 대기), 죽상동맥경화증 (3상)	88	-
Viltepso (viltolarsen)	Nippon Shinyaku	뒤센 근이영양증	ASO	Dystrophin	2020-08-12	-	142	-0.4%
Vyondys 53 (golodirsen)	Sarepta Therapeutics	뒤센 근이영양증	ASO	Dystrophin	2019-12-12	-	107	-
Wainua (eplontersen)	AstraZeneca Pharmaceuticals	가족성 아밀로이드 신경병증	ASO	Transthyretin	2023-12-21	가족성 아밀로이드 심근병증 (3상)	212	149.4%

주: 초록색 음영은 일반 질환까지 적응증을 확장 했거나, 확장 시도 중인 것 (일반 질환: US 기준 환자 수가 20만 명 이상이면서, 이미 전통적인 치료제가 존재하는 것)
자료: Global Data, 하나증권

도표 10. 임상 3상 중인 주요 RNA 치료제 파이프라인

파이프라인명	개발사	적응증	Modality	Target	개발단계	임상번호	임상 완료일
ADX-324	ADARx Pharmaceuticals	유전성 혈관부종	siRNA	Plasma Kallikrein	Phase III	NCT06960213	-
apazunersen	Ultragenyx Pharmaceutical	엔젤만 증후군	ASO	Ubiquitin Protein Ligase E3A	Phase III	NCT06617429	2026-07-01
bepirovirsen	GSK	B형 간염	ASO	hepatitis B surface antigen (HBsAg)	Phase III	NCT05630807	2026-01-07
cemdisiran + pozelimab	Regeneron Pharmaceuticals	중증 근무력증	siRNA	Complement C5	Phase III	NCT05070858	2025-07-08
elsunersen	Praxis Precision Medicines	간질성 뇌병증	ASO	Sodium Channel Protein Type 2 Subunit Alpha	Phase III	NCT07019922	Dec-28
eplontersen	AstraZeneca	가족성 아밀로이드 심근병증	ASO	Transthyretin	Phase III	NCT06194825	2027-01-05
fazirsiran	Arrowhead Pharmaceuticals	알파-1 항트립신 결핍증	siRNA	Alpha 1 Antitrypsin	Phase III	NCT06165341	2028-08-26
lepodisiran	Eli Lilly	죽상동맥경화증	siRNA	Apolipoprotein A	Phase III	NCT06292013	29-03
nucresiran	Alnylam Pharmaceuticals	가족성 아밀로이드 신경병증	siRNA	Transthyretin	Phase III	NCT07223203	2031-06-12
obudanersen	Ionis Pharmaceuticals	엔젤만 증후군	ASO	Ubiquitin Protein Ligase E3A	Phase III	NCT06914609	2027-08-01
olpasiran	Amgen	죽상동맥경화증	siRNA	Apolipoprotein A	Phase III	NCT05581303	2028-03-31
pelacarsen	Novartis	죽상동맥경화증	ASO	Apolipoprotein A	Phase III	NCT06813911	2027-11-05
plozasiran	Arrowhead Pharmaceuticals	고중성지방혈증	siRNA	Apolipoprotein C III	Phase III	NCT06347016	2026-06-01
salanersen	Biogen	척수성 근위축증	ASO	Survival Motor Neuron Protein	Phase III	NCT07444476	2032-06-22
sapablursen	Ono Pharmaceutical	진성 적혈구증가증	ASO	Transmembrane Protease Serine 6	Phase III	NCT07429266	31-01
sefaxersen	Roche	IgA 신병증	ASO	Complement Factor B	Phase III	NCT05797610	2029-03-31
sepofarsen	Laboratoires Thea	레버 선천성 흑암시	ASO	Centrosomal Protein Of 290 kDa	Phase III	NCT06891443	28-10
ulefnersen	Otsuka Pharmaceutical	근위축성 측삭경화증	ASO	RNA Binding Protein FUS	Phase III	NCT04768972	28-03
zilebesiran	Alnylam Pharmaceuticals	고혈압	siRNA	Angiotensinogen	Phase III	NCT07181109	2030-09-30
zodasiran	Arrowhead Pharmaceuticals	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증	siRNA	Angiopoietin Related Protein 3	Phase III	NCT07037771	2028-08-31
zorevunersen	Stoke Therapeutics	드라베 증후군	ASO	Sodium Channel Protein Type 1 Subunit Alpha	Phase III	NCT06872125	28-10

주: 초록색 음영은 일반 질환에 대해 임상 중인 것 (일반 질환: US 기준 환자 수가 20만 명 이상이면서, 이미 전통적인 치료제가 존재하는 것)
자료: Global Data, 하나증권

5. 유전자 치료제의 종류와 개발 동향

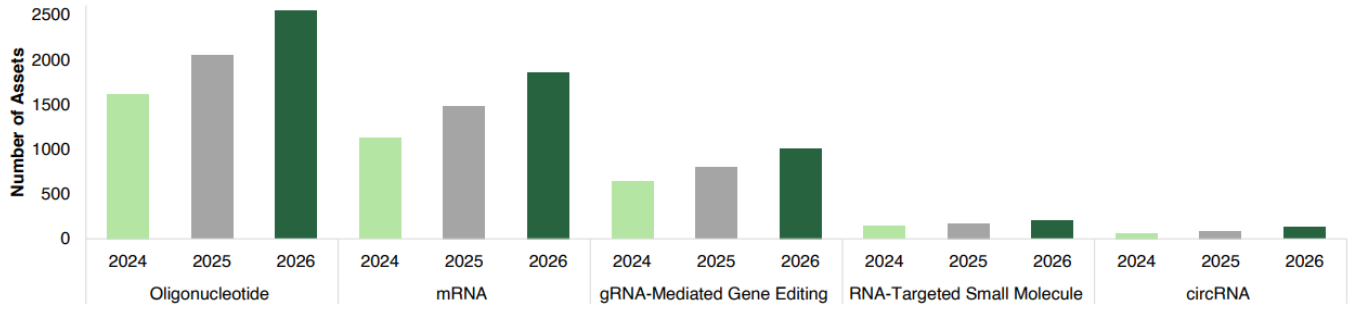
1) 유전자 치료제 분류와 개요

유전자치료제 중 RNA 기반 치료제를 선호 경향, 팬데믹으로 mRNA에 집중하다가 다양한 modality로 빠르게 확장

유전자 치료제는 CRISPR/Cas와 같은 DNA 기반의 치료제가 있지만, 치료적 접근 수단으로는 RNA 기반 치료제가 선호된다. RNA 기반의 올리고핵산은 유전체 정보를 담고 있는 DNA를 직접적으로 타겟하지 않아, off target으로 인한 부작용이 상대적으로 적고, 공략할 수 있는 타겟(mRNA, intron 등)이 많기 때문이다.

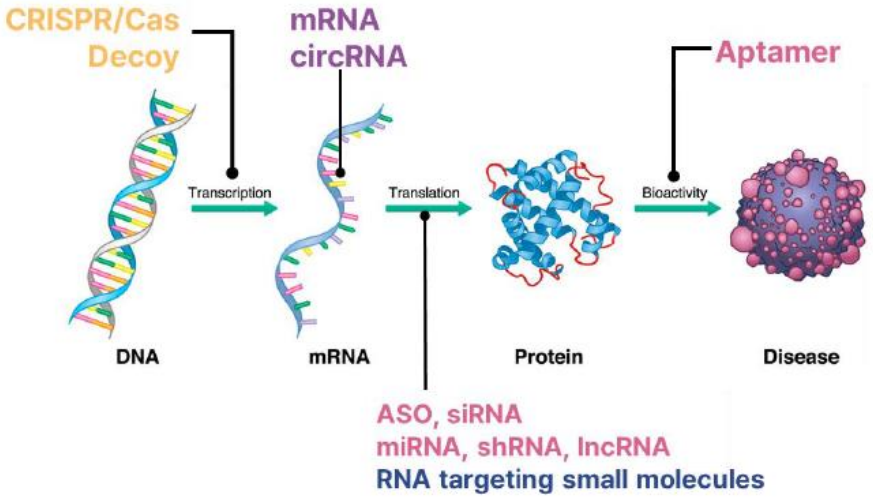
RNA 치료제의 임상은 모든 주요 modality에서 증가 추세가 관찰되고 있다. 2024년부터 2026년까지 mRNA 치료제 자산은 65% 증가했고, 그 중 올리고뉴클레오티드가 가장 높은 비중을 차지하면서도 +57%로 여전히 뚜렷한 성장세를 보이는 중이다. 특히 최근에는 원형 RNA(circRNA)는 전체 시장에서 차지하는 비중은 작지만 +108%로 가장 빠른 상대적 성장률을 기록하며 차세대 RNA 치료제로서의 가능성을 보이는 중이다. RNA 치료제는 분명 COVID 19와 mRNA에 집중해 있다가, 그로부터 벗어나 질병뿐만 아니라 modality에서도 더욱 다양화되고 치료제에 걸쳐 이루어지고 있다.

도표 11. 임상 중인 RNA 치료제의 년도별 변화



자료: Beacon by Hansonwade (2025)

도표 12. RNA 치료제의 각 modality의 역할



자료: Takakura, K. et al. (2019), 에스티팜

2) 유전자 모달리티 별 특징

ASO(SSO)와 siRNA: 가장 상업화에 성공한 방식 주로 억제제

ASO와 siRNA는 유전자 치료제 중에서 가장 많이 상업화에 성공한 modality이다. 두 모달리티 모두 표적 단백질을 코딩하는 mRNA를 제거하여, 발현을 차단한다.

i) ASO(Antisense Oligonucleotide)는 단일 가닥 구조이다. 표적 mRNA에 결합하여 RNase H 효소에 의해 분해되거나, 또는 Pre-mRNA에 결합하여 성숙한 mRNA가 되는 과정(splicing)을 차단한다. 더욱 세부적으로 나누자면 전자는 표적 mRNA에 직접 결합하는 ASO, 후자는 스플라이싱 과정에 관여하는 SSO (Splice-Switching Oligonucleotide)이다.

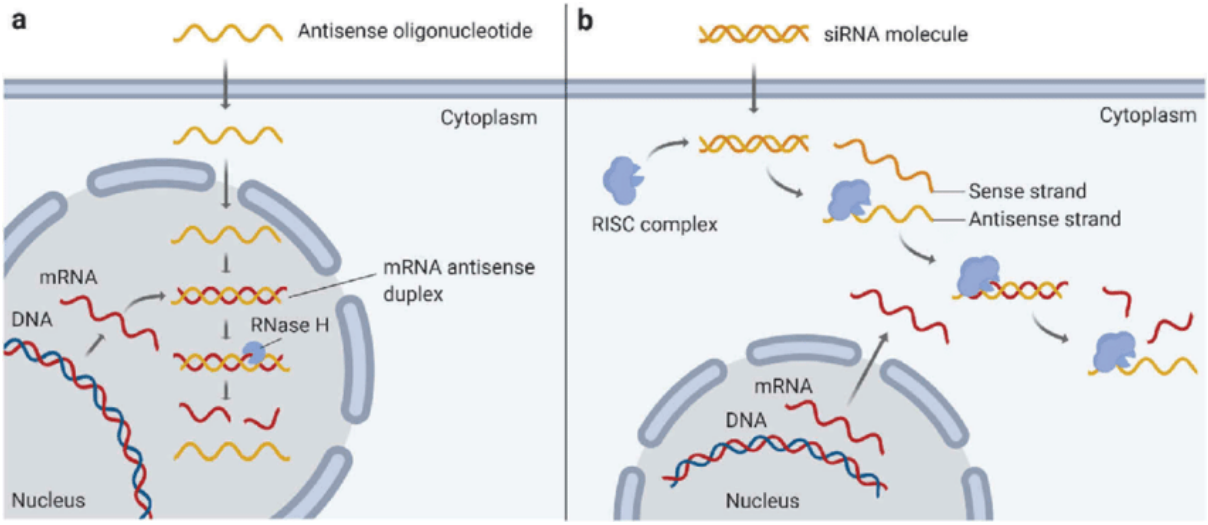
ii) siRNA는 이중 가닥 구조이다. 이중 가닥 상태로 RISC(RNA-induced silencing complex)에 의해 처리되면, antisense strand 부분이 guide strand로 남고, sense strand는 passenger strand로써 분해된다. RISC에 남게 된 guide strand 부분이 표적 단백질을 코딩하는 mRNA에 결합하고, RISC 내 존재하는 Ago2 (Argonaute RISC Catalytic Component 2) 단백질이 이를 인식하여 절단함으로써 표적 단백질의 발현을 차단한다.

mRNA: 주로 과발현 목적 COVID19 백신에서 항암제로

mRNA는 COVID19 백신으로 인해 우리에게 가장 익숙해진 모달리티이다. mRNA는 DNA로부터 전사(transcription)와 단백질로 발현될 정보인 exon만 남기는 스플라이싱(spicing) 과정을 거쳐 생성된 RNA이다. mRNA는 번역(translation) 과정을 거쳐 단백질로 발현된다. COVID19 백신에서 mRNA는 체내에서 COVID19 바이러스의 항원을 발현하는 역할을 하였다.

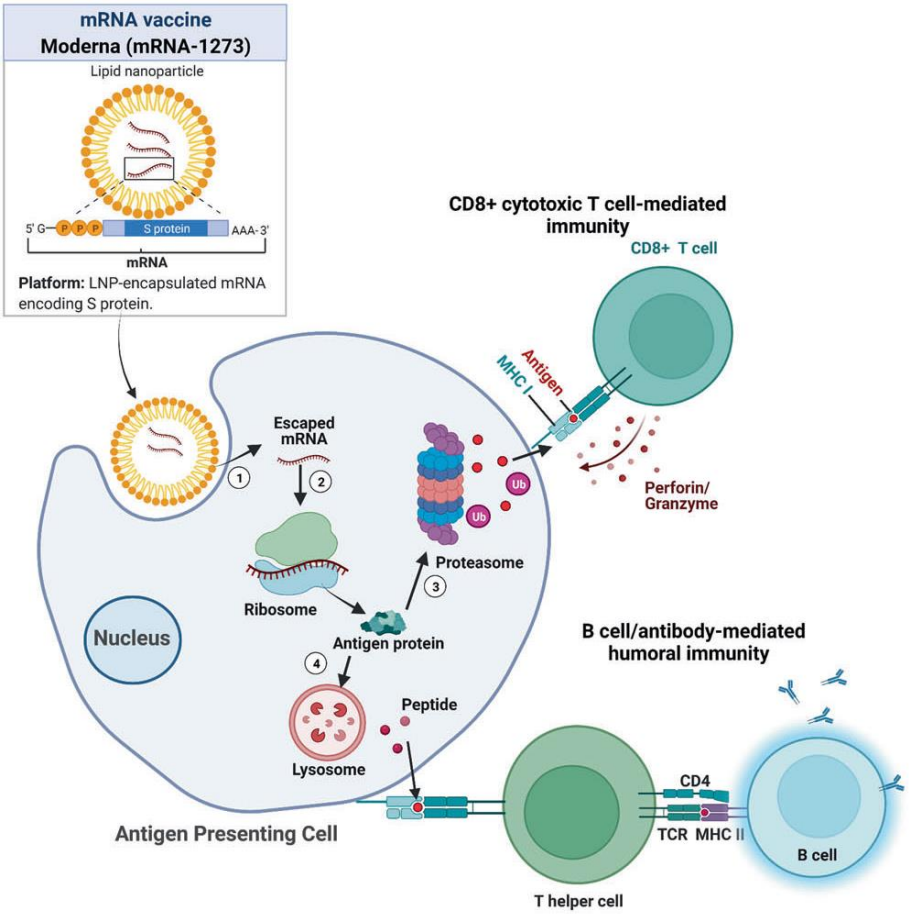
팬데믹의 종료 후 COVID19 백신 수요도 급감하면서 mRNA를 이용한 임상 사례는 대부분 사라졌으나, Moderna와 MSD는 mRNA 항암 백신을 개발하여 암 정복을 시도하고 있다. 이 두 기업은 Intismeran이라는 개인 맞춤형 항암 백신을 공동 개발 하였다. Intismeran은 최대 34 개의 신항원을 코딩하는 합성 mRNA 를 LNP(lipid nano particle) 기술로 하여 암세포에 대한 T 세포 반응을 유도한다. 고위험 흑색종 환자 대상 intismeran과 Keytruda 병용요법인 임상2b상(KEYNOTE 942)에서, Keytruda 단독 대비 병용요법이 재발 또는 사망 위험을 2년 시점 44%, 3년 시점 49% 및 5년 추적 49% 감소시킴 (HR=0.510)이 확인되었다. 현재 수술 후 흑색종 환자를 대상으로 한 임상3상 (INTerpath 001)은 이미 환자 등록을 마친 상태이다 (completion date 2029.10.26). 또한 그 외 다양한 고형암 대상으로 임상2상, 3상을 동시에 진행하고 있어 향후 임상 발표가 기대된다.

도표 13. ASO와 siRNA의 메커니즘



자료: Tycho R Tromp et al. (2020)

도표 14. mRNA 백신의 작동 원리



자료: Yiran Zhu et al. (2022)

Aptamer:
3차원적 구조가 특징
항체와 유사한 기능

Aptamer는 올리고핵산이 특정 단백질과 결합할 수 있는 3차원적 구조를 갖는다. 마치 항체와 비슷한 역할을 하지만, 항체는 아미노산으로 이루어져 있고, Aptamer는 핵산으로 이루어진 점이 차이가 있다. 항체 대비 사이즈가 작고, 합성이 쉬우며, 저비용으로 대량생산이 가능한 장점을 가지기 때문에 다양한 임상 연구가 진행되고 있지만, 시장성과 리얼월드에서의 임상적 우월성 입증은 이제 시작 단계이다. 황반변성치료제인 Pfizer의 Macugen은 2004년에 FDA 승인 받았으나 판매 부진으로 현재 매출이 발생되지 않고 있지만, 지도상위 축증 치료제인 Astellas의 Izervay가 2023년 FDA 승인을 받았으나 '25년 연매출 $551mn달러(YoY+44.2%)로 성장 추세를 보이고 있다.

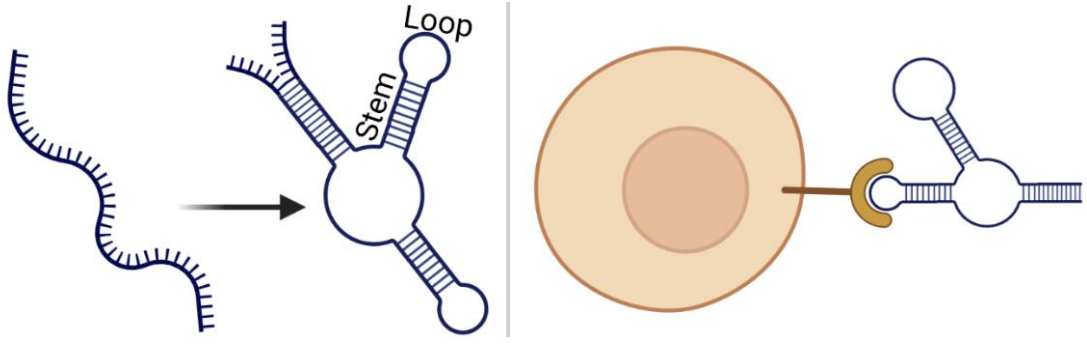
Circular RNA:
최근 주목 받기 시작
'26년 Lilly가 관련 기업 인수

Circular RNA (원형 RNA, 또는 circRNA)최근 새로운 모달리티로 많은 주목을 받고 있다. 원형의 mRNA로써, 선형 mRNA와 비교하여 안정성(stability)이 높아 체내에서 장기간 분해되지 않고 계속해서 단백질을 생산할 수 있다. 최근 미국 소재의 Orna Therapeutics가 2월10일 Lilly에 $2.4bn 규모로 인수되었다. Orna가 보유한 핵심 자산은 circRNA를 이용한 in vivo CAR-T 치료제(비임상 단계)이다. 선형 mRNA만큼은 아니지만 안전성이 낮고 표적으로의 전달이 필요하기 때문에 LNP와 같은 전달체가 요구된다. 최근 유전자 치료제 시장의 성장과 함께 전달체 기술도 발전하고 있으므로 향후 circRNA의 다양한 활용 방식과 이를 적용한 임상 사례가 등장할 것으로 예상된다.

circRNA의 개발을 위해 전달체 다음으로 넘어야 할 허들은 생산 방법이다. circRNA는 생산 방식이 다양한데, 생산 규모 확대를 위해서는 비용 효율적이고 고품질의 circRNA를 대규모로 생산할 수 있도록 합성 및 정제 공정을 간소화가 필요하다. 합성 과정에서 발생하는 부산물은 circRNA의 후속 정제를 복잡하게 만들기 때문이다. 효소적 연결의 부산물에는 전구체, 절단된 circRNA 연결체가 포함되며, PIE 및 STS 방법의 부산물에는 전구체, 절단된 circRNA, 절제된 인트론, 접합 중간체, 그리고 잠재적으로 잘못된 접합 산물이 포함될 수 있다. (Eoghan O'Leary et al. 2025) 새로운 모달리티가 성장하기 위해서는 이렇듯 생산자의 역할도 중요하다.

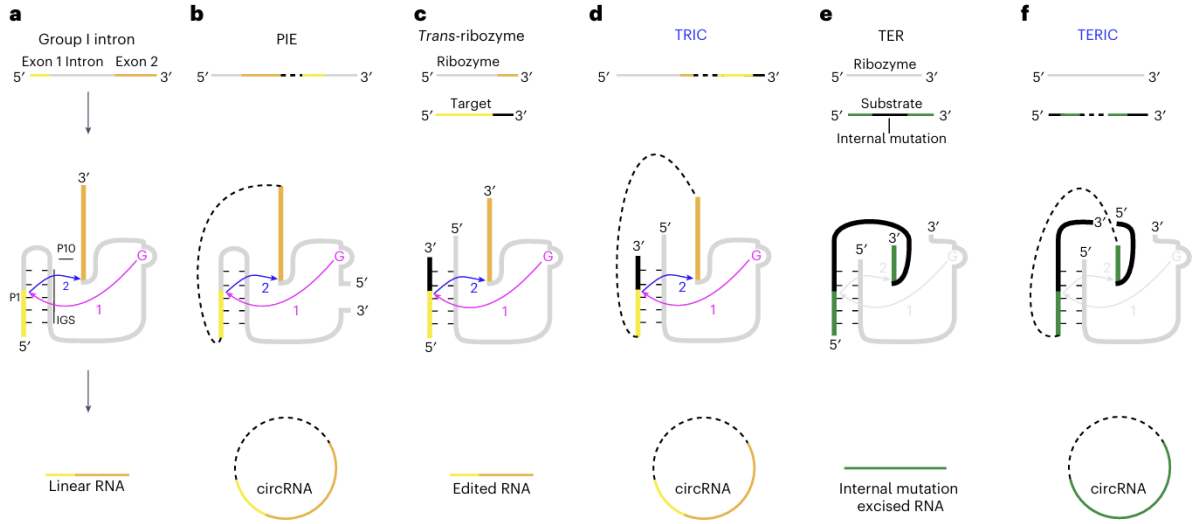
국내에는 알지노믹스가 circRNA 플랫폼을 보유하여 개발 중이다. 알지노믹스의 circRNA는 부가적인 공정 없이, 시험관 내 RNA 전사과정 중 스스로 circRNA를 생성하고, 불필요한 서열을 최대한 남기지 않는 STS(self-targeting and splicing) 방식을 이용하여 원하는 서열로만 구성된 것이 특징이다.

도표 15. Aptamer 구조



자료: Neo Ventures Biotechnology (2022.08.25)

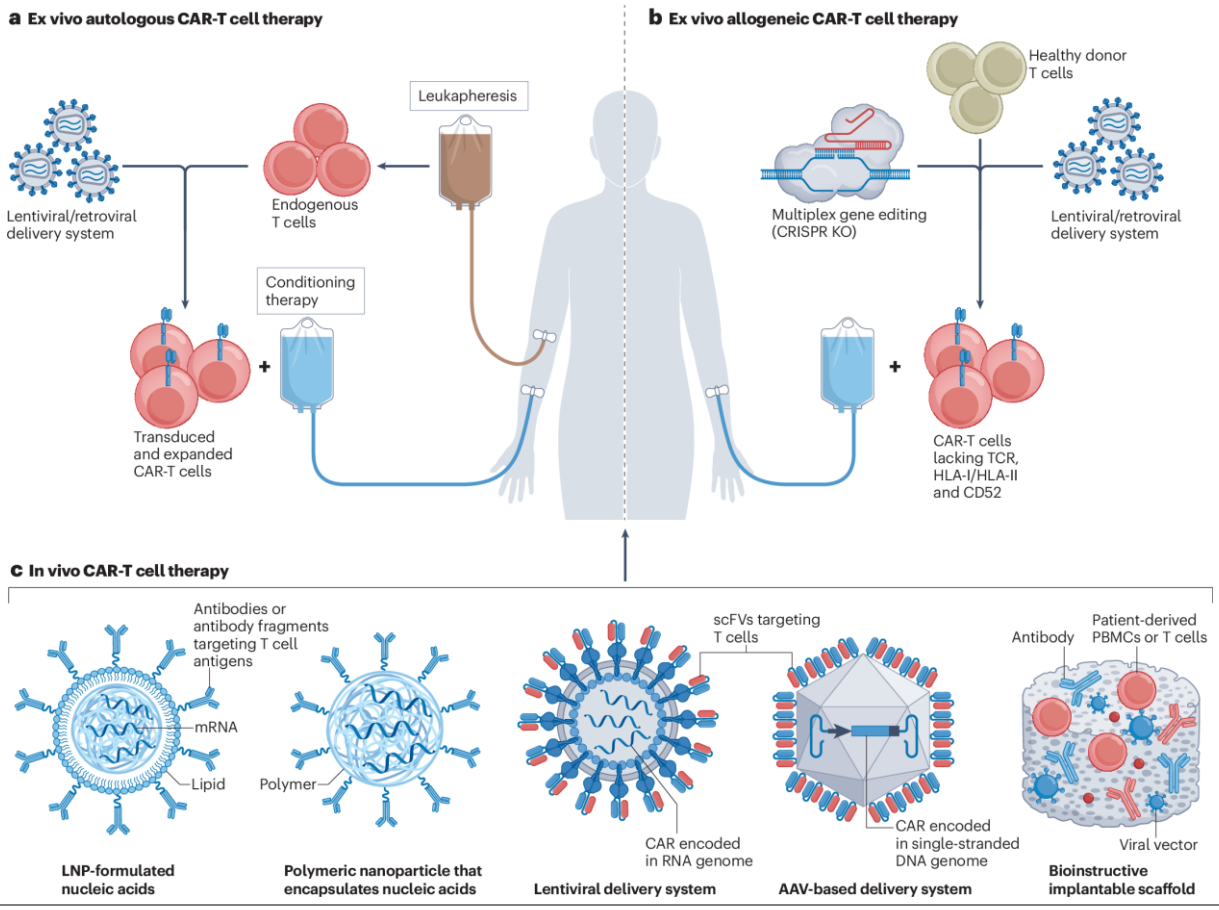
도표 16. 다양한 CircRNA 형성 원리



주: TRIC, trans-ribozyme-based circularization; TER, trans-excision ribozymes; TERIC, trans-excision ribozyme-based circularization

자료: Yifei Du et al. (2024)

도표 17. In vivo CAR-T의 작동 원리



자료: Yan-Ruide Li et al. (2025)

CRISPR/Cas:
'26년 1월 Lilly의 관련 기업 인수
다시 한 번 주목 받는 중

CRISPR/Cas는 방식에 따라 유전자 발현을 억제하거나 발현(HDR, homology directed repair)할 수 있다. gRNA(guide RNA)와 Cas라는 효소로 구성되는데, gRNA는 Cas에 결합하여 Cas-gRNA 리보핵단백질 복합체를 형성한다. 이 복합체는 표적 서열 중 PAM로 정의되는 부분과 20개의 뉴클레오티드 서열을 인식한다. 그러면 Cas가 특정 부위에서 이중 가닥 DNA(dsDNA) 또는 단일 가닥 RNA(ssRNA)를 절단한다. CRISPR/Cas 개발 히스토리는 Cas 효소의 발전과 함께 하는데, 가장 많이 활용되는 Cas9 시스템은 dsDNA와 ssRNA 모두를 표적화할 수 있고, Cas13은 RNA만 표적할 수 있다. 상용화된 약물로 가장 대표적인 것은 겸상적혈구성 빈혈 치료제인 Casgevy로, '25년 매출액 $116mn를 달성하였다. Casgevy는 환자로부터 혈액을 채취해 유전자 변형한 후 다시 주입하는 Ex vivo 방식이다. CAR-T가 그러하듯 CRISPR 시스템도 in vivo로 투여하려는 시도가 이루어지고 있다.

'26년 1월 Eli Lilly는 독일 유전자 편집 플랫폼 개발사 Seamless Therapeutics 와 최대 $1.12bn 규모의 청각장애 치료제 개발 관련 공동연구개발 계약을 체결한 바 있다. Seamless는 Zinc Finger 라는 특수한 인지자를 이용하여, 유전자재조합효소의 표적 선택성을 높인 플랫폼 기술을 보유 (ZF 와 재조합효소를 링커로 연결함)하고 있다. CRISPR 에서 발전된 버전으로, CRISPR는 DNA를 자르고 교정하는 것 까지만 하고, 붙이는 과정은 세포에게 맡긴다. 반면 Seamless 기술은 DNA 를 자르고 유전자 교정 후 직접 붙여주어, 세포가 DNA 가 잘린 스트레스 상태에서 스스로 복구하다가 종종 발생하는 오류에 대한 위험이 낮다는 장점이 있다.

이외에
Decoy RNA(미끼 RNA)
miRNA
shRNA
lncRNA 등 다수

Decoy RNA(미끼 RNA)로 특정 단백질(전사 인자와 같은)이 어떤 돌연변이 RNA 서열에 결합하는 것을 선호하는 특징이 있다면, 그 돌연변이 서열과 유사한 미끼로써 작동하여 돌연변이 RNA 서열이 발현되지 않도록 유도하는 모달리티이다.

miRNA는 세포 내에 원래 존재하는 약 20nt 수준의 짧은 RNA인데, 다양한 세포내 활성에 관여함이 밝혀지며 유전자 치료제로써 개발이 시작되었다.

shRNA(small hairpin RNA)로 헤어핀 구조를 갖는 것이 특징이다. 세포 내에 주입되면 siRNA와 비슷하게 작동한다. 차이점은 일반적으로 바이러스 기반 전달체에 의해 세포 내로 주입되어 영구적으로 작동되도록 설계된다.

lncRNA(long non-coding RNA)는 200nt 이상의 긴 염기 서열을 갖는 RNA로서, 단백질을 발현하지 않지만 3차원적 구조를 이루어 특정 단백질이나 펩타이드에 결합할 수 있고, mRNA, miRNA, 화학 물질 등 생체 내외 물질에 결합할 수 있는 성질을 가진다.

이들 모달리티도 활발히 개발 중이나 아직 기존 모달리티 대비 임상적 효용성을 입증하진 못했다. 향후 후기 임상에서 유의미한 성과를 보일지 지켜볼 필요가 있다.

도표 18. 유전자 치료제의 Modality 별 개발 동향

Modality	주요 파이프라인 (승인 or 임상 중)	적응증	개발 단계	개발사
CRISPR/Cas	Casgevy	낫적혈구증, 베타 지중해빈혈	FDA 승인(2023)	Vertex
	CTX001	중증 낫적혈구증	임상3상	Vertex
	NTLA-2001	트랜스티레틴 아밀로이드증	임상1상	Regeneron
	EDIT-101	레버 선천성 흑암시	임상1/2상	Editas
Decoy RNAs	승인된 치료제 없음	-	-	-
	NF-κB Decoy	아토피 피부염	임상1/2상	
mRNA	Comirnaty	COVID19 예방	FDA 승인(2021)	Pfizer
	Spikevax	COVID19 예방	FDA 승인(2021)	Moderna
	mRNA-4157	흑색종	임상3상	Merck
	AZD8601	심부전	임상2상	Astrazeneca
	mRNA-1345	RSV	임상3상	Moderna
circRNA	승인된 치료제 없음	-	-	-
	ONCOS-102	암 면역요법	임상1/2상	Circio
ASOs	Kynamro	가족성 고콜레스테롤혈증	FDA 승인(2013)	Ionis
	Tegsedi	트랜스티레틴 아밀로이드증	FDA 승인(2018)	Ionis
	Waylivra	가족성 킬로미크론혈증	FDA 승인(2019)	Ionis
	Tofersen	루게릭병/ALS	임상3상	Ionis
	ION363	FUS-ALS	임상3상	Ionis
SSOs	Spinraza	척수성 근위축증	FDA 승인(2016)	Ionis
	Exondys	듀센근이영양증	FDA 승인(2016)	Sarepta
	Vyondys	듀센근이영양증	FDA 승인(2019)	Sarepta
	Viltolarsen	듀센근이영양증	FDA 승인(2020)	NS Pharma
	Amondys	듀센근이영양증	FDA 승인(2021)	Sarepta
	Milasen	바텐병	임상1상	Mila's Miracle Foundation
	WVE-210201	DMD	임상1상	Wave Life Sciencses
ADAR	승인된 치료제 없음	-	-	-
	LEAP-003	알파-1 안티트립신 결핍증	임상1상	Eisai / Merck
siRNAs	Onpattro	트랜스티레틴 아밀로이드증	FDA 승인(2018)	Alnylam
	Givlaari	급성 간 포르피린증	FDA 승인(2019)	Alnylam
	Oxlumo	제1형 일차성 고옥살산뇨증	FDA 승인(2020)	Alnylam
	Leqvio	고콜레스테롤혈증	FDA 승인(2021)	Alnylam / Novartis
	Amvuttra	트랜스티레틴 아밀로이드증	FDA 승인(2022)	Alnylam
	Qfitlia	혈우병 A/B	FDA 승인(2025)	Sarepta
	Nedosiran	일차성 고옥살산뇨증	임상2상	Novo Nordisk
miRNAs	승인된 치료제 없음	-	-	-
	MRG-110	상처 치유	임상1상	Viridian
	Anti-miR-122	C형 간염	임상2상 (중단)	Roche
shRNAs	승인된 치료제 없음	-	-	-
	pbi-shRNA-STMN1	진행성암	임상1/2상	Gradalis
	shRNA-HIV	HIV 감염	임상1상 (중단)	
lncRNAs	승인된 치료제 없음	-	-	-
	BC-819	방광암	임상2상	Chemomab
Aptamers	Macugen	황반변성	FDA 승인(2004)	Pfizer
	Izervay	지도상위축증	FDA 승인(2023)	Astellas
	Zimura	스타가르트병	임상2/3상	Astellas

자료: 에스티팜 (2025.09), 하나증권 수정 및 업데이트

6. 유전자 치료제와 함께 성장할 "전달체"

1) 전달체 개발의 필요성

유전자치료제는 안정성 매우 낮음, 조직 표적성 문제, 간에만 머무를 수 없다!

올리고핵산 분자는 혈중 nulease와 같은 효소와 macrophage에 의해 분해될 수 있고, 세포막을 투과하기에 크고, 친수성에 음전하 성질을 가져서 투과율이 낮기 때문에 전달체 기술이 요구된다. 유전자 치료제는 크게 바이러스를 이용하는 경우(바이러스 벡터)와 이용하지 않는 경우로 나뉜다. 바이러스를 이용하지 않는 경우 중 대표적인 모달리티는 siRNA, miRNA, ASO에 해당된다. 바이러스 벡터는 삽입 돌연변이 발생 위험이 따르고 생물안전수준(Biosafety Level)에 따라 제조 및 투약시 특별한 시설 및 보호장비를 요구하여 범용성이 낮은 문제도 있다. siRNA는 비교적 자체 안정성이 높아, GalNAc을 달아줌으로써 IV나 SC 투여로도 간세포까지 전달될 수 있다. 단 아직까지는 간세포가 아닌 다른 조직을 타겟하기 위해서는 새로운 전달체가 필요하다. 한편 mRNA 백신은 LNP 기술을 사용해야 했고, 그 외 많은 유전자 치료제들이 여전히 AAV나 Adenovirus 같은 바이러스 성 전달 기술을 사용하고 있다.

비바이러스성 전달 시스템은 COVID19의 mRNA 백신, GalNAc이 대부분 차지

RNA 치료제에서 전체 전달체 중, 비바이러스성 전달 시스템이 81%를 차지하고, 바이러스성 전달시스템이 19%를 차지하고 있다. 비바이러스성 전달 시스템 중 우리에게 익숙한 mRNA 기반 COVID19 백신에도 사용되었던 나노입자가 가장 널리 사용되고 있다. 한편 성장률 측면에서는 GalNAc과 같은 표적화 모이어티 접합 방식이 2025년 간 YoY+63%로 가장 큰 성장을 보였다. 비만/T2D/MASH/CVD 등 대사 질환 치료제 modality가 peptide계에서 RNA 쪽으로 넘어오면서, 간세포 target으로 주로 사용되면서 안전성까지 입증된 GalNAc을 활용하는 케이스가 증가한 영향으로 판단된다.

Beacon(by Hansonwade)에서 조사한 바에 의하면, 여전히 LNP와 같은 나노입자 전달체 사용 케이스가 여전히 mRNA vaccine 영향이지만, 적용 범위가 점차 ASO, siRNA, circular RNA와 같은 RNAi로 확장되고 있다. GalNAc은 타겟 조직에 한계가 있기 때문에, 올리고뉴클레오티드의 목표 조직을 확대하기 위한 시도로 판단된다.

바이러스성 전달 시스템은 투여 제한적이지만 CNS 질환에는 가장 적합(현재)

바이러스 전달 시스템은 2024년 전체 전달체에서 18%를 차지하고 있었는데, 2025년에도 19%를 유지하는 것을 보아, 비중은 작지만 그래도 여전히 RNA 치료제 분야에서 중요한 지위를 차지하고 있는 것으로 보인다. 주로 CRISPR/Cas 시스템이나 비분열 세포에 대한 희귀질환 적응증에 사용된다. 바이러스성 전달체는 전달 효율은 매우 높은 장점을 갖지만, 반복투여에 따른 면역원성 발생으로 안전성과 약효 감소의 문제가 있기 때문에, 주로 단 회 투여로 치료 효과를 달성하는 것을 목표로 한다.

바이러스 전달 시스템을 사용하는 케이스의 24%는 올리고뉴클레오티드 치료제가 차지하고 있는데, 이는 2024년 1월 이후 17% 증가한 수치이다. 작동 원리가 복잡하거나, 분자량이 크거나(bp 수가 많은 등), 전달할 조직적 특징 등의 이유로 비바이러스성 전달 시스템으로는 전달이 불충분할 때 대체제로 활용되는 것으로 보인다. 흥미로운 점은, 바이러스 전달 시스템을 활용하는 경우 적응증의 대부분은 신경계 질환 치료제(79% 추정)이다. 신경세포가 비분열 세포이고, 바이러스성 벡터는 올리고뉴클레오티드와 달리 세포 내에서 영구적으로 남게 되며, AAV의 경우 BBB를 통과할 수 있기 때문에 약물 효율이 높은 이유 등 때문이다. 바이러스 전달 시스템 중 AAV는 여전히 가장 널리 사용되는 바이러스 벡터로, 2025년 기준 YoY+20%의 성장률을 기록하였다.

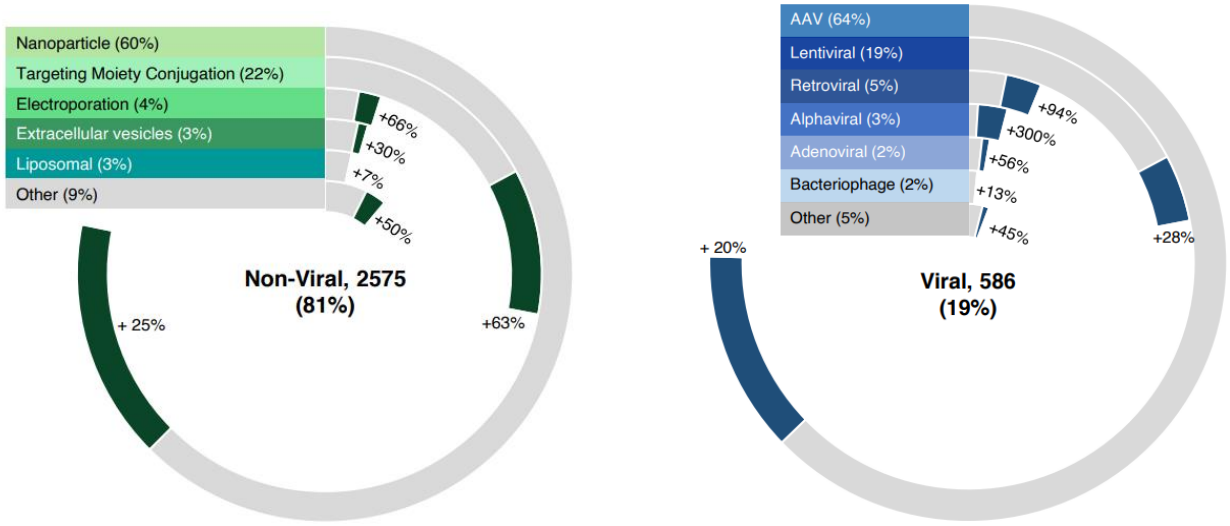
도표 19. 유전자 치료제 구분

Table 1. Summary of Various Safety Parameters of Different Gene Editing Modalities.

Gene Therapy Modality	Duration of Gene Therapy Effects	Transfection/Transduction/Gene Delivery Efficiency	Biosafety Level	Insertional Mutagenesis Risk
Non-Viral				
siRNA (small interfering RNA)	++		—	—
miRNA (microRNA)	++		—	—
ASO (Anti-sense Oligonucleotides)	++		—	—
Electroporation		+++	—	—
Microinjection		+++	—	—
Peptide nanoparticles		+++	—	—
Lipid nanoparticles	++	++	—	—
Viral Vector				
AAV serotype 1	+++	++	1	+
AAV serotype 2	+	+	1	+
AAV serotype 5	++	++	1	+
AAV serotype 9	++	++	1	+
Retrovirus	+++	+	2	+++
Lentivirus	+++	+	2	+++
HSV-1	+++	+	2	+++

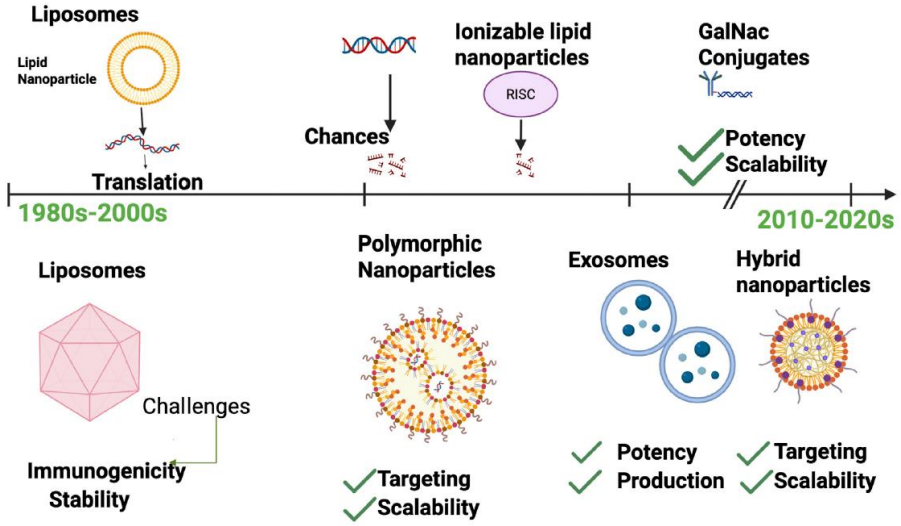
자료: Srishti Vats et al. (2023)

도표 20. 유전자 치료제 전달체 동향 (Approved 및 임상 중)



자료: Beacon by Hansonwade (2025)

도표 21. 비 바이러스 성 RNA 치료제 전달체 종류



자료: Sarbjeet Kaur Makkar et al. (2025)

도표 22. 주요한 RNA 치료제 전달체의 장단점

전달 플랫폼	장점	한계	임상 성공 사례	도전 과제	간 외 조직 적용 가능성	재투여 가능성
지질 나노입자 (LNPs)	높은 캡슐화 효율, 제조 확장성, 서열에 구애받지 않음	간 중심의 생체분포, 선천 면역 활성화, PEG 관련 반응 가능성	mRNA COVID-19 백신, patisiran (siRNA)	엔도좀 탈출 개선, 간 외 조직 표적화 향상	낮음-중간	가능 (선천면역 활성화 관리 필요)
GalNAc 접합체	정밀한 간세포(hepatocyte) 표적화, 편리한 투여 일정	간세포에 제한됨, 다른 조직으로의 리간드 다양성 제한	inclisiran, givosiran, lumasiran	비간 조직 표적화를 위한 리간드 개발	낮음	가능 (내약성 우수, 만성 투여 확립)
AAV 벡터	지속적 발현, 다양한 조직에 대한 광범위한 친화성 (serotype에 따라 다름)	기존 면역 존재 가능, 재투여 제한, 생산 비용 높음	여러 승인된 유전자 치료제 (DNA 전달)	면역원성, 대규모 GMP 생산	중간 (조직 의존적)	제한적 (중화항체로 인해 재투여 어려움)
고분자 나노입자	화학 구조 조절 가능, 생분해성 운반체 개발 가능	효율성 변동, 안전성 및 배치 일관성 문제	초기 임상 탐색 단계	표준화, 재현성	낮음	가능 (용량 의존적)
엑소좀 / 세포외소포 (EVs)	생체모방 특성, 생물학적 장벽 통과 가능	이질성, 대량 생산 및 품질관리 (QC) 어려움	전임상 및 초기 단계 연구	대량 분리 기술, 효능 분석	낮음	불명확 (현재 연구 중)

자료: Sarbjeet Kaur Makkar et al. (2025), 하나증권

도표 23. RNA 치료제 전달체가 갖춰야 할 조건

도전 과제	근본 원인	접근 방식	한계	향후 방향	영향이 큰 모달리티	임상 수준
면역원성	선천 면역 센서 활성화 (TLRs, RIG-I, PKR), PEG 항체	뉴클레오사이드 변형, 지질 최적화	반복 투여 시 잔존 면역 활성화	생분해성 지질, 면역 회피 전달체	mRNA (LNPs), saRNA, 반복 투여 ASO	임상
오프타겟 효과	서열 유사성, 의도하지 않은 전사체 결합	In-silico 설계, 구조 기반 스크리닝	오프타겟 침묵 효과 가능성	전사체 전반 스크리닝, AI 기반 설계	siRNA, ASO, CRISPR 기반 편집	임상/ 초기 임상
제조 확장성	비용, GMP 생산 역량, 품질관리(QC)	확립된 mRNA, LNP 플랫폼 활용, AAV 개선	바이러스 벡터 비용 높음, 엑소좀 확장 어려움	지속적인 GMP 공정 개선, 표준화된 LNP 공정	AAV, 엑소좀, 고분자 전달체, LNP	임상/ 초기 임상
간 외 전달	GalNAc, LNP의 간세포 친화성	탐색적 리간드, 엑소좀, 고분자 전달체	폐, 종양 등에서 낮은 표적화 효율	하이브리드 전달체, 리간드 라이브러리	모든 간 외 표적 적용 분야	전임상/ 초기 임상
장기 안전성	만성 투여 시 면역 기억, 유전자 편집의 지속성	장기 모니터링, 화학 구조 개선	장기 안전성 데이터 부족	환자 레지스트리, 적응형 임상시험	mRNA 백신 부스터, 만성 siRNA/ASO, CRISPR 편집	초기 임상

자료: Sarbjeet Kaur Makkar et al. (2025), 하나증권

7. 해외 주요 기업 개발 동향

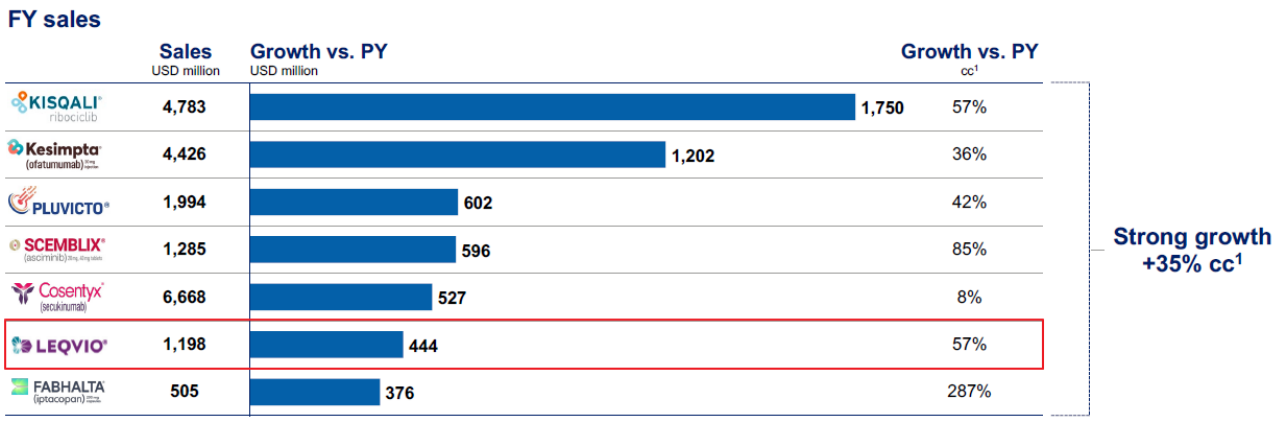
1) Novartis AG (NYSE: NVS)

Leqvio는 가장 성공적인 사례 여전히 YoY+57% 성장 중 긴 투약주기로 경쟁성 유지 중국 진출로 더 성장할 것

Novartis는 RNA 치료제 중에서도 블록버스터인 Leqvio(inclisiran)를 보유하고 있다. 렉비오는 siRNA로서 2021년 12월 고지혈증 치료제로 FDA 승인받아 2025년 연 매출액 $1.2bn(약 1.7조원)을 달성(YoY+57%)하며 성장세를 이어나가고 있다. 2026년 1월 중국에서 단독요법으로 승인 받아, 매출 성장세는 계속 이어질 것으로 전망된다. PCSK9 유전자를 표적하는 저해제로, 일반적인 고지혈증 치료제인 Statin 계열 약물로 LDL 수치 조절이 되지 않는 환자에 사용된다. 피하투여로 첫 투여 후 3개월, 이후 6개월마다 투여하면 되므로 우수한 편의성을 갖는다. PCSK9 저해제 경쟁제품으로 단일 항체인 REPATHA (evolocumab, Amgen, 2015년 FDA 승인), PRALUENT (alirocumab, 리제네론/사노피, 2015년 FDA 승인)가 있는데 REPATHA는 2주마다 투약(SC)해야 하고, PRALUENT는 2주 마다 투약 후 4주 마다 투약(SC)해야 하므로, 편의성에 있어서 렉비오가 압도적으로 우수한 장점을 가지므로 시장 지위는 쉽게 상실하지 않을 것으로 보인다.

Novartis는 렉비오의 적응증 확장을 위한 임상3상을 3개 추진하고 있는데, 1) HeFH (Hypercholesterolemia inc. Heterozygous Familial Hypercholesterolaemia, 이형접합성 가족성을 포함한 고콜레스테롤혈증, NCT03705234), 2) LDL-C 수치가 증가한 환자의 심혈관질환 2차 예방 (NCT05030428), 3) CVRR (심혈관 질환 위험 감소, NCT05739383)이다.

도표 24. Novartis의 Leqvio 매출 비중



자료: Novartis 4Q25 Earning Call

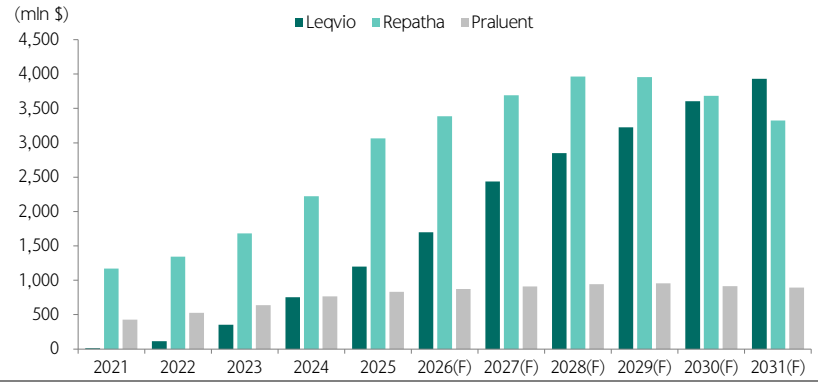
도표 25. 렉비오 추가 임상

임상명	ORION-4	VICTORION-2P	VICTORION-1P
NCT 번호	NCT03705234	NCT05030428	NCT05739383
적응증	고콜레스테롤혈증, 가족성 고콜레스테롤 혈증	LDL이 높은 환자의 심혈관 질환 2차 예방	심혈관 위험 감소 1차 예방
1차 주요 지표	MACE 복합 변수	3P-MACE 첫 발생까지 시간	4P-MACE 첫 발생까지의 시간
환자 수	16,124명	16,970명	14,000명
결과 발표	2027년	2027년	2029년

자료: Novartis (4Q25 Earning Call), 하나증권

도표 26. 렉비오 경쟁제품 매출 현황

경쟁제품과 달리 '31년까지 지속적 매출 상승 추정



자료: Global Data, 하나증권

심혈관계질환 치료제 Pelacarsen 하반기 데이터 공개와 함께 FDA에 NDA 신청 예정

Novartis의 다음 성장 동력은 Pelacarsen이다. Pelacarsen 은 Apo(a)의 mRNA를 타겟하는 ASO로서, '23년 Ionis와 효능 및 투여 빈도 개선 Lp(a) ASO 공동개발계약을 체결함으로써 확보했다. Apo(a)에 의해 증가하는 Lp(a)로 인한 심혈관계 질환 보유 환자 8,323명 대상으로 임상3상(HORIZON study, NCT06267560)을 진행 중이고, 예정된 Completion date는 2026.02.26이다. Novartis는 4Q25 Earning Call 자료에 의하면 2026년 하반기에 데이터 공개와 동시에 미국 FDA 허가 신청을 진행할 계획이다. 현재 임상3상은 Novartis 주도하에 진행 중이다. 대표적인 심혈관계 질환은 동맥경화증, 심근경색(MI), 뇌졸중, 관상동맥질환 등으로, 전 세계 인구 5명 당 1명이 비정상적으로 높은 Lp(a) 수치를 갖고, Lp(a)로 인한 심혈관계 질환을 환자는 8백만명 이상인 것으로 추정된다 (Ionis IR).

'25년 10월 Avidity 인수로 차기 modality인 AOC 플랫폼도 확보

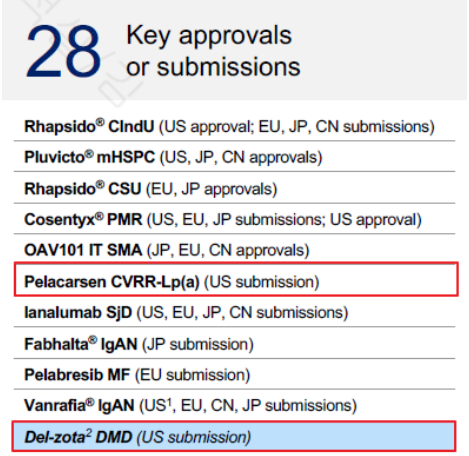
Novartis는 아울러 '25년 10월 Avidity Biosciences를 총 120억 달러에 인수하였다. 이번 Avidity의 인수로 Novartis는 RNA 타깃 전달 플랫폼인 AOC(Antibody Oligonucleotide Conjugates) 기술과 뒤센근이영양증 치료제 'Delpacibart Zotadirsen', 근긴장이상증 1형 치료제 'delpacibart etedesiran', 안면견갑상완형 근이영양증 치료제 'delpacibart braxlosiran' 등 3건의 후기 임상 단계 프로그램을 확보하였다. 그 중 'Delpacibart Zotadirsen'은 TfR AOC로 뒤센근이영양증에 대해 임상1/2상에서 질병 개선 지표를 확인하였고, Novarits는 이 결과를 바탕으로 '26년 내 FDA에 BLA를 제출할 예정이다.

도표 27. 펠라카르센 임상3상 계획

임상명	Lp(a)HORIZON
NCT 번호	NCT04023552
적응증	Lp(a) 수치가 높은 환자의 심혈관 질환 2차 예방
주요 평가지표	MACE 첫 발생까지의 시간
환자 수	8,323명
결과 발표	2H26

자료: Novartis (4Q25 Earning Call), 하나증권

도표 28. Novarits의 '26년 FDA 허가 신청 계획 파이프라인



주: 붉은 박스는 유전자 치료제, Del-zota는 Delpacibart Zotadirsen
자료: Novartis (4Q25 Earning Call), 하나증권

2) Alnylam Pharmaceuticals Inc. (NASDAQ:ALNY)

siRNA 기반 치료제 개발
6개의 승인된 약물 보유
'26년 매출 가이던스
64% 이상 성장 제시

앨나일람은 siRNA 기반 치료제를 개발한다. 2018년 최초 승인된 RNAi인 Patisiran을 포함하여 총 6개의 약물이 승인되어 수십억달러의 매출이 발생 중이다. 탄탄한 매출을 바탕으로 25개의 임상 프로그램이 진행 중으로써 여전히 활발한 개발을 이어나가고 있다. 앨나일람은 독자적인 siRNA 효소적 ligation 제조방법인 siRELIS 플랫폼을 바탕으로 CDMO 사업도 시도 중인 것으로 보인 있다. 그러나 매출에서 제조용역 수익이 구분되지 않아, 시도 단계일 뿐 CDMO 수준은 아닌 것으로 판단된다.

다수의 RNAi 치료제 기술이전 이력을 보유하고 있고, 상업화된 약물 및 R&D가 활발히 진행 중인 파이프라인으로 인해 20025년 기술료 수익은 전체 매출액에서 19.6% 차지한다. 2025년 연간 매출 기준 제품 매출은 YoY+81% 성장하였는데, 그 중 기술료 수익의 YoY+21% 성장도 포함된다. 상당한 매출 성장률을 보여주고 있음에도, Alnylam은 출시된 제품들의 성장에 대한 자신감으로 '26년 가이던스를 총 매출 $4,900mn~5,300mn 제시(YoY+64.0%~77.4%)하였다.

차기 라이징 스타는
Zilebesiran
고혈압 치료제로 11,000명 대상
임상3상 수행 중

Amvuttra(Vutrisiran)는 ATTR 심근병증과 다발성신경병증 치료제인데, Onpattro(Patisiran)가 IV 투여되는 약물이므로 SC로 제형을 변경하는 전략이 작동하여 매출이 크게 성장했다. Givlaari(Govosiran)는 간에서 Heme 생합성 장애로 발생하는 급성 간성 포르피리아 치료제이다. 2019년에 FDA에 승인 받은 후 안정적인 매출을 유지하고 있다. 성장이 가장 두드러진 약물은 아무래도 Novartis와 공동연구로 개발한 Leqvio(Inclisiran)로써 올해부터 중국에도 고지혈증 단독 치료제로 시판될 예정이므로 매출은 더욱 성장할 것으로 전망된다.

임상 중인 파이프라인 중, 미래가 가장 기대되는 것은 Zilebesiran이다. Roche에 기술이전하여 개발 중인데, 현재 고혈압 환자 11,000명 대상 대규모 임상3상 ZENITH (NCT07181109)를 진행하고 있다. 임상 개시일이 2025.09.22이고, 종료일은 2030.10.29인데 이중 맹검 임상이라 중간 데이터를 볼 수 있는 이벤트가 있을지는, 지켜봐야 할 것으로 보인다.

도표 29. 앨나일람이 보유한 FDA 승인된 약물 리스트

제품명	성분명	적응증	FDA 승인년도	24년 매출	25년 매출	26F 매출	27F 매출	28F 매출	특이사항
Amvuttra	Vutrisiran	ATTR-CM, hATTR-PN	2022	970	2,314	3,118	4,099	5,135	Onpattro의 업그레이드
Onpattro	Patisiran	hATTR	2018	253	173	128	83	67	세계 최초 RNAi
Givlaari	Govosiran	acute hepatic porphyria	2019	256	308	371	436	484	-
Oxlumo	Luminasiran	PH1	2020	167	191	249	287	319	-
Leqvio	Inclisiran	고콜레스테롤혈증	2021	754	1,198	1,698	2,435	2,849	Novartis LO
Qfitlia	fitusiran	혈우병	2025		10	149	274	380	Sanofi와 공동 개발

자료: Global Data, 앨나일람, 하나증권

도표 30. 앨나일람이 개발 중인 핵심 파이프라인

성분명	약물 특성 (표적/투여방법/전달방법)	파트너사	적응증	개발단계	임상 정보	임상 시작일	임상 종료일
Zilebesiran	Angiotensinogen/ SC/GalNAc	Roche	고혈압	P3 진행 중	ZENITH (NCT07181109)	2025-09-22	2030-10-29
ALN-4324	GRB14	없음	비만/T2D	P2 개시 (1H26 내)	NCT06845202	2025-03-03	2027-08-31
ALN-2232	ACVR1C/SC	없음	Obesity	P1 진행 중 (결과 2H26 예상)	-		
Mivelsiran	APP	없음	cerebral amyloid angiopathy, 알츠하이머	P2 개시 (두 적응증 모두 해당)	NCT06393712	2024-05-17	2029-12-14
ALN-HTT02	Huntingtin gene/IT	Regeneron	헌팅턴병	P1 진행 중 (결과 2H26 예상)	NCT06585449	2024-10-14	2028-07-05
ALN-6400	Plasminogen/SC	없음	혈우병	P2 진행 중 (HHT 결과 2H26 예상)	NCT06659640	2024-11-07	2028-06-22
Nucresiran	Transthyretin/SC	없음	ATTR-CM	P3 진행 중	TRITON-CM (NCT07052903)	2025-07-02	2032-11-30
Nucresiran	Transthyretin/SC	없음	hATTR-PN	P3 진행 중	TRITON-PN (NCT07223203)	2026-01-16	2031-06-12
Rapirosiran (ALN-HSD)	HSD17B13/SC	Regeneron	MASH	P2 진행 중	NCT05519475	2023-02-09	2027-09-08
Cemdisiran	보체 C5/SC,IV/GalNAc	Regeneron	Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria	P3 진행 중	NCT07154745	2026-01-30	2031-07-25
Cemdisiran	보체 C5/SC,IV/GalNAc	Regeneron	Age-related Macular Degeneration (AMD) Geographic Atrophy (GA)	P3 진행 중	NCT06541704	2024-10-30	2032-05-21
Cemdisiran	보체 C5/SC,IV/GalNAc	Regeneron	Generalized Myasthenia Gravis	P3 진행 중	NCT05070858	2021-12-14	2028-11-11
Elebsiran	HBsAg/IM/GalNAc	Vir Biotechnology	D형 바이러스성 간염	P3 진행 중	NCT06903338	2025-03-12	2031-05

자료: Global Data, 앨나일람, 하나증권

도표 31. 앨나일람의 26년 카탈리스트

Nucresiran	ATTR Amyloidosis	Advance TRITON-CM Phase 3 Trial	**Ongoing**
		Advance TRITON-PN Phase 3 Trial	**Ongoing**
Zilebesiran	Hypertension	Advance ZENITH Phase 3 Trial	**Ongoing**
Mivelsiran	Cerebral Amyloid Angiopathy	Complete Enrollment of cAPPricorn-1 Phase 2 Trial	**H1**
	Alzheimer's Disease	Initiate Phase 2 Trial	**H1**
ALN-6400	Bleeding Disorders	Initiate Phase 2 Trial in Second Bleeding Disorder	**H1**
		Phase 1 Data in Healthy Volunteers	**H2**
		Phase 2 Results in HHT	**H2**
ALN-4324	Type 2 Diabetes Mellitus	Initiate Phase 2 Trial	**H1**
ALN-HTT02	Huntington's Disease	Phase 1 Data	**H2**
ALN-2232	Obesity & Weight Management	Phase 1 Data	**H2**
Additional Programs		File 3-4 INDs	**2026**

자료: 앨나일람 4Q25 Earning Call

3) Ionis Pharmaceuticlas, Inc. (NASDAQ:IONS)

ASO 기반 RNAi 개발
4개의 FDA 승인된 약물 보유

아이오니스는 ASO 기반 RNAi를 개발한다. 4개의 FDA 승인된 약물을 보유하고 있고, 6개의 임상 3상 결과를 기다리는 중이므로 향후 상용화된 asset은 더욱 증가할 전망이다. 상용화된 약물은 1) 가족성 킬로미크론혈증 치료제인 Olezarsen(Tryngolza), 2) HAE 치료제인 Donidalorsen(Dawnzera), 3) ATTRv-PN(아밀로이드 트랜스티레틴 다발성신경병증) 치료제인 Eplontersen(Wainua), 4) 루게릭병 치료제인 Tofersen(Qalsody)이다. Biogen의 척수성근위축증 치료제인 Spiranza(Nusinersen)의 개발사도 Ionis이다. Spiranza는 '25년 매출 $1,547mn (YoY-1.7%)로 정체 중이나, '26년 미국 고용량 제형 출시로 성장세 회복을 노리고 있다.

Olezarsen 중증고지혈증에 대해
'26년 3분기 내 승인 (7월 예상)
'27년부터 본격적 매출 성장 예상

'26년 가장 큰 이벤트는 Olezarsen의 중증 고지혈증에 대한 미국 승인일 것이다. Olezarsen은 2024년 12월 가족성킬로미크론혈증(Familial Chylomicronemia Syndrome, FCS) 치료제로 FDA 승인받아 2025년 연 매출액 $128mn을 달성하였다. FCS는 Lipoprotein Lipase라는 효소의 결핍이나 기능 이상으로 발생하는 질환으로, 혈액 중 중성지방의 수준이 극도로 높아진다. 심각한 합병증을 유발할 수 있고, 특히 급성 췌장염이 잦은 편이다. Olezarsen은 apolipoprotein C-Ⅲ의 mRNA를 타겟하는 ASO로서, apolipoprotein C-Ⅲ의 발현이 낮아지면 중성지방 함량이 높은 지단백이 가수분해되어 혈중 중성지방 수치가 낮아진다. 피하투여로 1개월마다 투여하면 되므로 우수한 편의성을 갖는다.

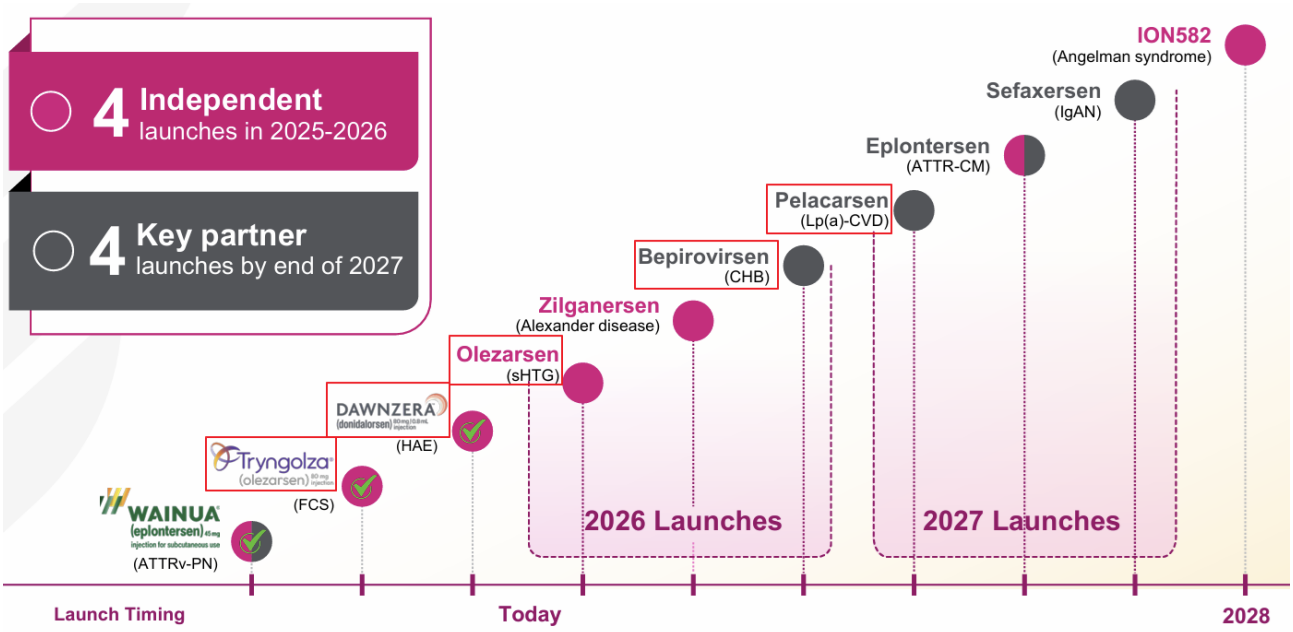
2025년 10월 중증 고중성지방혈증 환자를 대상으로 중성지방 수치 감소 및 급성 췌장염 위험 감소 효과를 평가하는 3상 임상시험(CORE 및 CORE2 시험)을 진행하였고, 공복 중성지방 위약 대비 최대 72% 감소, 급성 췌장염 발생 85% 감소 등의 긍정적인 결과를 획득하였다. 이러한 데이터를 근거로 FDA에 적응증 확장 신청을 하였고, PDUFA에 따라 승인예정일이 6월30일로 지정되어 2H26부터 매출이 급성장할 것으로 전망된다. 2025년12월1일 FDA로부터 BTD 지정을 받아 품목허가 심사기간이 약 6개월 소요될 것으로 전망되며, sNDA는 2026년 1월에 제출되었으니 올해 7월경 허가 획득 소식을 들을 수 있을 것으로 기대된다.

가족성 킬로미크론혈증은 100만명당 유병율이 1~9명 수준의 초희귀질환으로, 미국 환자 수는 3,000명 미만이다. 그러한 이유로 매출액은 아직까지 미미한 수준이다. 반면, 중증 고지혈증은 약 3백만명 수준인 만큼 올해 시판에 따른 매출 기여도는 상당할 것으로 전망된다.

새로운 매출 성장 동력으로
'26년 Donicalorsen(HAE)
Bepirovisen (CHB)
'27년 Pelacarcen (Lp(a) CVD)
주목

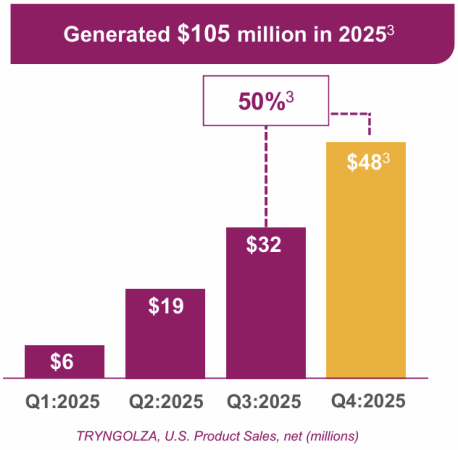
'25년 8월 FDA, '26년 1월 EMA 승인받은 Donidalorsen도 올해부터 본격적으로 판매 시작될 전망이다. HAE(유전성 혈관부종, Hereditary Angioedema)는 미국에서 약 7천명 정도 환자가 존재한다. 얼굴, 목 등을 포함하여 소화기관까지 부종이 발생하는 희귀성 만성 질환으로 생명에도 위협이 될 수 있기 때문에 지속적인 조절일 필요하다. 그 외에 알렉산더병 치료제인 Zilganersen과 CHB(만성B형간염) 치료제인 Bepirovirsen에 대해서도 FDA의 허가를 위한 심사가 진행되고 있어, 연내에 시판 허가를 획득하고 출시가 가능할 것으로 전망된다. Pelacarcen은 Lp(a) 심혈관질환 적응증에 대한 임상3상인 HORIZON 결과를 발표할 예정이고, 우수한 결과가 확인된다면 연 내에 FDA에 NDA 신청 후 '27년경 출시가 가능할 것으로 보인다. '25년까지 아이오니스의 영업이익은 약 $300mn 적자이나 작년 대비 약 $100mn의 적자 폭을 줄였으며, 신규 품목 출시가 가시권인 '27년경이면 흑자 전환도 가능할 것으로 전망된다.

도표 32. 아이오니스가 보유한 파이프라인 상용화 전망



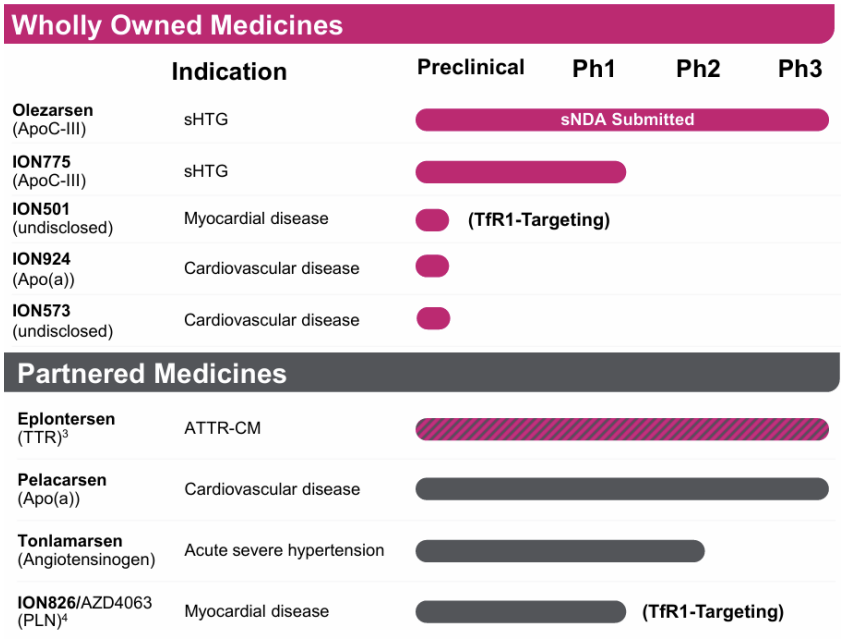
주: 붉은 박스는 매출 성장에 주목할 만한 파이프라인
자료: Ionis 4Q25 Earning Call

도표 33. Olezarsen의 분기별 매출



주: 가족성 킬로미크론혈증에 대한 매출만 반영된 수준
자료: Ionis 4Q25 Earning Call

도표 34. Ionis의 주요 파이프라인 개발 현황



주: Eplontersen과 ION826은 AstraZeneca, Pelacarsen은 Novartis, Tonlamarsen은 Kardigan에 기술이전함
자료: Ionis 4Q25 Earning Call

4) Geron Corporation (NASDAQ:GERN)

텔로머레이스 억제제 항암제인 Imetelstat (Rytelo) 보유 상업화 초기 단계에서도 매출 성장 중

Geron의 주요 제품은 텔로머레이스 억제제인 imetelstat (Rytelo)로서, 혈액암 치료제로써 사용되고 있다. Imetelstat는 짧은 올리고뉴클레오타이드로 최초의 텔로머레이스 억제제로, 텔로머레이스 효소의 RNA 복합체에 결합하여 활성을 억제한다. 정상 체세포는 분열하며 텔로미어라는 DNA 말단 서열이 짧아지며 세포가 노화 단계를 거쳐 사멸하게 된다. 텔로머레이스는 텔로미어가 짧아지는 것을 막는 효소로 체세포에서는 거의 발현되지 않는다. 그러나 암세포의 경우 발현이 되어, 세포가 분열하여도 사멸 단계를 거치지 않게 되어 무한 증식이 가능해진다. 텔로머레이스 억제제는 이 효소를 억제하여 암세포가 정상적으로 사멸할 수 있게 하여 항암 효과를 나타낸다.

저위험 또는 중간 위험군의 골수형성 이상증후군 (lower-risk MDS, Myelodysplastic syndromes)을 적응증으로 2024년 6월 FDA 승인을 받았다. MDS는 골수 조혈모세포의 유전적 이상으로 인해 혈액세포 생산이 비효율적으로 이루어지는 혈액암이다. 저위험군 환자에서는 특히 만성 빈혈로 인해 반복적인 적혈구 수혈이 필요하며, 이는 철 과부하, 감염 위험 증가, 삶의 질 저하를 초래한다. ESA 치료를 실패한 환자의 경우 다른 치료 옵션이 제한적이었던 점에서 Rytelo는 unmet needs를 충족할 수 있었다. 미국에서 2025년 $224mn의 매출액(2H24 $77mn)이 예상되며 초기 상업화 단계임에도 빠른 매출 성장을 보여주고 있다.

Imetelstat 적응증 확장 중 2028년 하반기 최종 결과 예상

동사는 여러 후속 임상을 통해 imetelstat의 적응증 확장을 진행하고 있다. 현재 3상 진행중인 IMPactMF 임상은 기존 JAK 억제제 치료 이후 재발하거나 불응한 환자를 대상으로 골수섬유증(MF) 환자의 전체 생존기간(OS) 연장을 시험 중에 있다. 특히 IMpactMF 임상은 단순 증상 개선이 아닌 OS를 1차 평가변수로 설정하였다는 점에서 의미가 크다. 이는 imetelstat이 단순한 빈혈 개선 치료제가 아니라 disease-modifying therapy로 자리매김하려는 전략으로 해석된다. 만약 OS 개선이 입증될 경우, 골수섬유증 치료 패러다임에 변화를 가져올 수 있다. 미국 내 MF 환자는 약 1.2만명으로 추산되며 75%정도인 약 1만명이 JAK 억제제 치료 후 재발, 불응하는 것으로 알려져 있다. 임상에서 긍정적인 결과를 얻는다면, 현재 Rytelo가 타겟하고 있는 저위험군 MDS 시장과 같은 크기의 시장이 확대될 것으로 예상된다. 현재 임상 진행 중이며 중간 분석 결과는 2026년 하반기, 최종 결과는 2028년 하반기에 나올 것으로 예상된다.

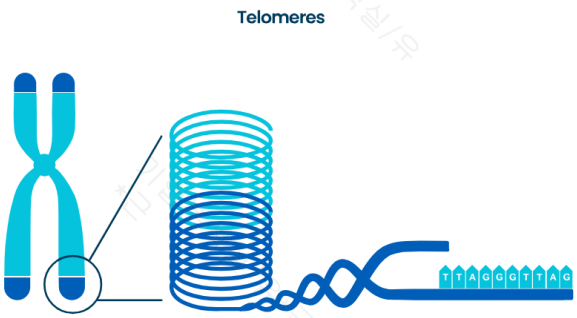
이외에도 IMproveMF 1상을 통해 골수섬유증 1차 치료에서 imetelstat과 ruxolitinib 병용요법의 안전성과 유효성을 평가하고 있으며, IMpress 임상을 통해 고위험 MDS 및 급성 골수성 백혈병의 적응증 확장을 시도하고 있다. 차기 진행되는 임상들의 결과에 따라 Rytelo의 적응증 확장 범위가 구체화될 전망이며 텔로머레이스 억제라는 새로운 치료 기전에 임상적 타당성을 입증하고 혈액암 전반으로 확대하는 계기가 될 것으로 판단된다.

도표 35. Imetelstat의 적응증 확장 임상시험

임상명	임상번호	적응증	임상단계	비고
IMerge	NCT02598661	저위험 MDS	2/3상(출시)	2024.06 FDA 승인 2025.03 EMA 승인
IMpactMF	NCT04576156	재발성 MF	3상	2H26 중간 결과 2H28 최종 결과
IMproveMF	NCT05371964	MF 1차치료	1상	용량 증량 시험 완료
IMpress	NCT05583552	고위험 MDS, AML	2상	중간 데이터 ASH 2025 발표
IMAGINE	NCT07320235	재발성 AML	1상	모집중

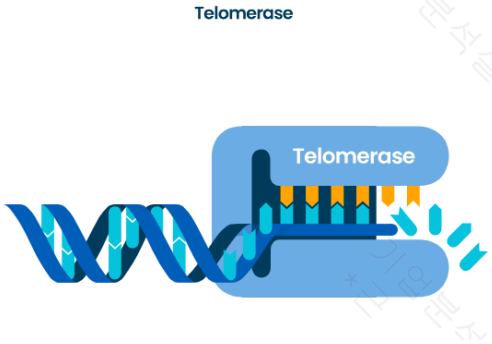
자료: Geron IR, 하나증권

도표 36. 텔로미어 구조



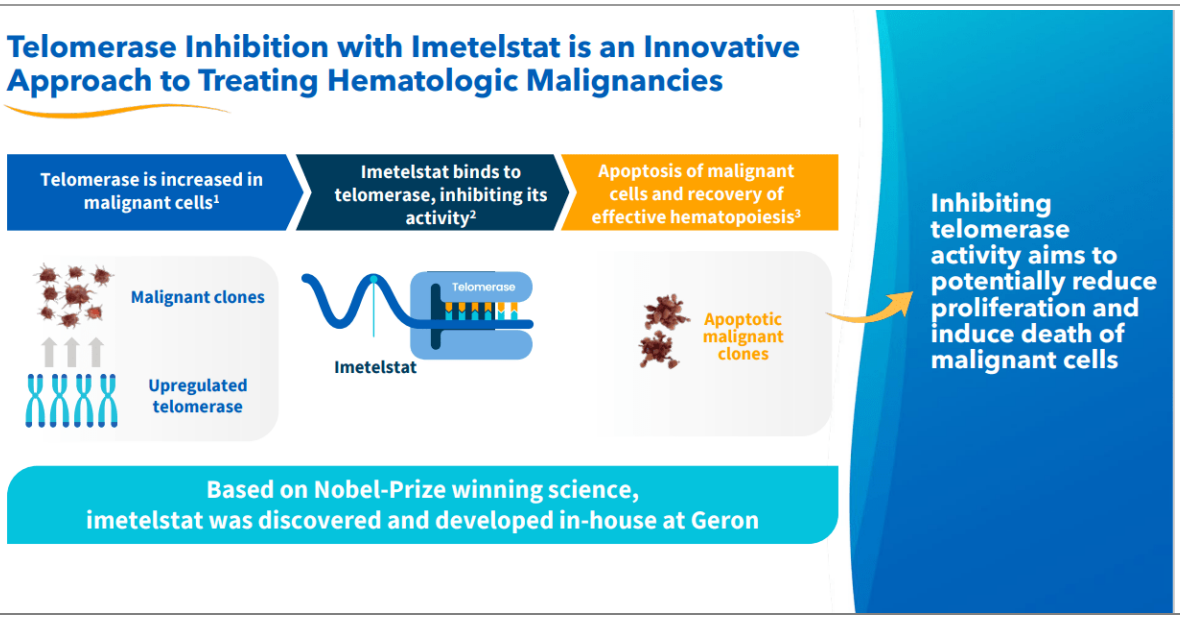
자료: Geron, 하나증권

도표 37. 텔로머레이스 구조



자료: Geron, 하나증권

도표 38. 텔로머레이스 억제제 작용 기전



자료: Geron IR, 하나증권

5) Arrowhead Pharmaceuticals (NASDAQ:ARWR)

siRNA 기반 치료제 개발
'26년부터 plozasiran 중심
기술료 수익 제외하고도
매출 성장세 확인할 수 있을 것

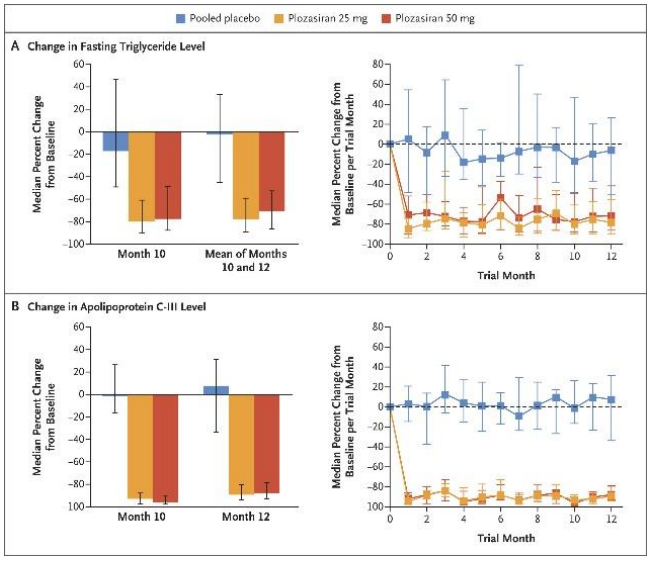
애로우헤드 파마슈티컬스(Arrowhead Pharmaceuticals)는 siRNA 기반 치료제를 개발하는 미국 바이오텍이다. 2004년에 설립되었으며, 자체 플랫폼인 TRiM(Targeted RNAi Molecule)을 중심으로 siRNA 치료제를 타깃 장기에 전달하는 기술 역량을 축적해왔다. 2025년 11월, plozasiran(Redemplo)이 가족성 킬로미크론혈증(Familial Chylomicronemia Syndrome, FCS) 치료제로 FDA 시판허가를 받았다. 시판 시기가 짧아 뚜렷한 매출은 인식되지 않지만, 2026년부터는 본격적 시판됨에 따라 매출이 확인될 것으로 예상된다. 2025년 매출은 8억 2,945만 달러로 2024년 355만 달러 대비 2.3배 이상의 성장, 영업이익 9,835만 달러 수준으로 흑자 전환에 성공했는데 이는 대부분 마일스톤 영향이다. 사렙타(Sarepta)로부터 약 7억 달러의 매출을 인식하였는데, 선급금 5억 달러와 함께 ARO-DM1 관련 마일스톤 약 1억 달러를 수령했고, 노바티스(Novartis)에 Plozasiran의 권리를 매각하며 1억 3,000만달러의 매출을 확보했다.

가족성 킬로미크론혈증 승인 후
중증 고중성지방혈증으로 확장 중
'26년6월 임상3상 결과 확인 예상

FCS는 미국 내 약 6,500명 수준으로 추정되는 희귀 유전 질환으로, 정상 대비 10~100배 높은 중성지방 수치를 보이며 반복적이고 치명적일 수 있는 급성 췌장염 위험을 동반한다. Redemplo는 간에서 생성되는 APOC3 단백질의 발현을 억제하는 siRNA 치료제로, 3개월에 한 번 피하주사로 자가 투여가 가능하다. 임상 3상 PALISADE 연구에서 위약 대비 약 60%의 중성지방 감소 효과를 보이며 유의한 치료 효능을 입증했다.

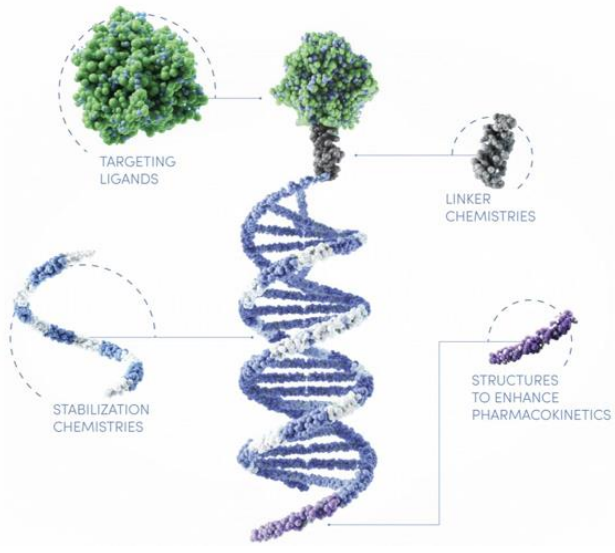
FCS 시장의 환자 수 자체는 제한적이지만 희귀질환 특성상 약가가 높게 책정된다. 경쟁 약물로는 아이오니스(Ionis)의 Tryngolza가 있으며 월 1회 투여 방식의 antisense oligonucleotide(ASO) 계열 치료제다. Redemplo는 분기 1회 투여라는 편의성과 낮은 약가로 시장 점유율을 확대하고 있다. 애로우헤드는 중증 고중성지방혈증(SHTG)을 적응증으로 임상 3상(SHASTA-3)을 진행 중에 있으며 2026년 6월 임상 결과를 확인할 수 있을 것으로 예상된다. 이 임상 데이터를 바탕으로 2026년 말 FDA에 적응증 추가 허가 신청을 제출할 계획이다. 중증 고중성지방혈증은 가족성 킬로미크론혈증과 달리 300만명 이상의 유병률을 보이는 질환으로 Redemplo의 타깃 시장은 크게 확대될 것으로 전망한다.

도표 39. Plozasiran 중성지방 감소 임상 결과



자료: G. F. Watts et al. N Engl J Med 2025.01, 하나증권

도표 40. Arrowhead의 TRiM 플랫폼 구조



자료: Arrowhead 4Q25 IR, 하나증권

TRiM 플랫폼: siRNA의 조직 특이적 전달 LNP가 아닌 Conjuation 형태

애로우헤드의 핵심 경쟁력은 TRiM 플랫폼에 있다. TRiM은 siRNA를 체내 특정 조직으로 정밀하게 전달하기 위해 설계된 플랫폼으로, 기본 구조는 '트리거-링커-리간드'로 구성된다. 트리거는 RNAi를 유도하는 siRNA 서열이며, 화학적 안정화 과정을 통해 체내 분해 저항성을 높였다. 링커는 트리거와 리간드를 연결하는 결합 구조이고, 리간드는 특정 조직 세포 표면 수용체에 결합해 세포 내 유입(endocytosis)을 유도하는 역할을 한다. Redemplo의 경우 GalNAc 리간드를 사용해 간세포 표면의 ASGPR 수용체에 결합하도록 설계되었다. 이외에도 폐조직 세포를 타깃하는 αvβ6 인테그린 결합 리간드, BBB 셔틀을 타깃하는 TfR1 특이적 fAb 등을 리간드로 사용한다.

TRiM의 가장 큰 장점은 기존 LNP(지질나노입자) 기반 전달 방식과 달리 복잡한 전달 벡터에 의존하지 않고, 화학적으로 안정화된 siRNA에 표적 리간드를 직접 결합하는 비교적 단순한 구조를 갖는다는 점이다. 이를 통해 정맥주사가 아닌 피하주사가 가능해졌고 제조 복잡성도 상대적으로 낮출 수 있다. 또한 동일한 전달 플랫폼을 유지한 채 siRNA 서열만 변경함으로써 다양한 표적 유전자를 신속하게 공략할 수 있어 플랫폼 확장성이 높다. 이러한 확장성으로 하나의 물질로 두개의 유전자를 동시에 억제하는 후보 물질(ARO-DIMER-PA)의 개발도 진행되고 있다.

시장의 가장 큰 관심은 T2D/비만 치료 효과 tirzepatide 단독 투여 대비 내장 지방/총 지방/ 간 지방 감소 효과 약 3배 높음

앞서 언급한 ARO-DIMER-PA는 PCSK9과 APOC3 두 유전자를 동시에 억제하는 물질로 복합 이상지질혈증을 개선해 심혈관 질환 예방를 목표로 한다. 최근 임상1/2a상을 시작하고 첫 번째 환자에게 투약을 시작하였다. 이는 하나의 분자로 두 유전자를 동시에 표적하는 최초의 이중 RNAi 물질이다.

RNAi 기반 비만 치료제 후보 물질인 ARO-INHBE와 ARO-ALK7에 대한 중간 데이터도 발표하였다. ARO-INHBE는 tirzepatide와 병용 투여했을 때, 2형 당뇨병이 있는 비만 환자에서 16주차에 9.4%의 체중 감소를 보였다. 이는 tirzepatide 단독 투여시 4.8%의 감소 효과보다 약 2배 높은 수치이다. 내장 지방 23.2%, 총 지방 15.4%, 간 지방 76.7% 감소로 tirzepatide 단독 투여시보다 모든 지표에서 약 3배 높았다. ARO-INHBE 단독 요법에서는 16주차 단회투여로 내장 지방 9.9% 감소, 제지방량 3.6% 증가를 보였다. ARO-ALK7은 지방세포 유전자 발현 억제를 입증한 최초의 RNAi 치료제로 ALK7 mRNA 발현량을 평균 -88%, 최대 -94%까지 감소시켰다. 8주차에 단회 투여로 위약 대비 내장 지방을 14.1% 감소시켰다.

CNS 치료 영역에서도 파이프라인 개발을 활발히 진행중이다. 2025년 12월, 알츠하이머병을 포함한 타우병증 치료제로 개발중인 ARO-MART의 임상1/2a상 투약이 시작되었다. ARO-MART는 전임상 연구에서 피하 주사 후 BBB를 투과하여 심부 뇌 영역까지 표적 유전자(MAPT)의 발현을 억제하였다. 본 임상 또한 피하 주사를 투여 경로로 하며 2026년 하반기에 초기 데이터를 확인할 수 있을 예정이다.

도표 41. Arrowhead 대표 파이프라인

치료 영역	물질명	target 장기	target 유전자	리간드	투여 방법	적응증	임상단계	임상 번호 (임상명)	물질 권리
대사질환	plozasiran	간	APOC3	GalNAc	SC	가족성 킬로미크론혈증 (FCS)	출시 (미국)	NCT05089084 (PALISADE)	Arrowhead
대사질환	plozasiran	간	APOC3	GalNAc	SC	중증 고중성지방혈증 (SHTG)	Phase 3 (진행중)	NCT06347003 (SHASTA-3)	Arrowhead
대사질환	plozasiran	간	APOC3	GalNAc	SC	복합 이상지질혈증	Phase 2b (완료)	NCT04998201 (MUIR)	Arrowhead
대사질환	zodasiran	간	ANGPTL3	GalNAc	SC	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증 (HoFH)	Phase 3 (모집중)	NCT07037771 (YOSEMITE)	Arrowhead
대사질환	zodasiran	간	ANGPTL3	GalNAc	SC	복합 이상지질혈증	Phase 2b (완료)	NCT04832971 (ARCHES-2)	Arrowhead
대사질환	olpasiran	간	LPA	GalNAc	SC	심혈관 질환 (ASCVD)	Phase 3 (진행중)	NCT05581303 (OCEAN(a))	Amgen
대사질환	GSK4532990	간	HSD17B13	GalNAc	SC	MASH	Phase 2b (모집중)	NCT05583344 (HORIZON)	GSK
대사질환	ARO-PNPLA3	간	PNPLA3	GalNAc	SC	MASH	Phase 1 (완료)	NCT04844450	Arrowhead
대사질환	ARO-INHBE	간	INHBE	GalNAc	SC	비만	Phase 1/2a (모집중)	NCT06700538	Arrowhead
대사질환	ARO-ALK7	지방 조직	ACVR1C	지방 특이적 펩타이드		비만	Phase 1/2a (모집중)	NCT06937203	Arrowhead
대사질환	ARO-DIMERPA	간	PCSK9, APOC3	GalNAc	SC	복합 이상지질혈증	Phase 1/2a (모집중)	NCT07223658	Arrowhead
폐질환	ARO-RAGE	폐	AGER	αvβ6 인테그린 결합 리간드	흡입형	염증성 폐질환	Phase 1/2a (완료)	NCT05276570	Arrowhead
폐질환	SRP-1002 (ARO-MMP7)	폐	MMP7	αvβ6 인테그린 결합 리간드	흡입형	특발성 폐섬유증(IPF)	Phase 1/2a (완료)	NCT05537025	Sarepta
간질환	fazirsiran	간	SERPINA1	GalNAc	SC	알파-1 항트립신 결핍증 (AATD)	Phase 3 (모집중)	NCT05677971 (REDWOOD)	Takeda & Arrowhead
간질환	daplusiran/ tomligisiran	간	HBV RNA	GalNAc	SC	만성 B형 간염	Phase 2 (완료)	NCT04535544	GSK
근육	SRP-1001 (ARO-DUX4)	근육	DUX4	근육 특이적 리간드	IV	얼굴견갑상완형 근이영양증 (FSHD)	Phase 1/2a (모집중)	NCT06131983	Sarepta
근육	SRP-1003 (ARO-DM1)	근육	DMPK	근육 특이적 리간드	IV	근긴장이영양증 (DM1)	Phase 1/2a (모집중)	NCT06138743	Sarepta
CNS	SRP-1004 (ARO-ATXN2)	뇌	ATXN2	없음	척수강 내 주사	척수소뇌실조증 2형 (SCA2)	Phase 1/2a (모집중)	NCT06672445	Sarepta
CNS	SRP-1005 (ARO-HTT)	뇌	HTT	TfR1 특이적 fAb	-	헌틴텅병(HD)	IND 신청	-	Sarepta
CNS	ARO-MAPT-SC	뇌	MAPT	TfR1 특이적 fAb	SC	알츠하이머병	Phase 1/2a (모집중)	NCT07221344	Arrowhead
CNS	ARO-SNCA	뇌	SNCA	TfR1 특이적 fAb	-	파킨슨병	Pre-clinical	-	Novartis
보체 매개 시스템	ARO-C3	혈액, 신장	C3	GalNAc	SC	C3 사구체병, IgA 신증	Phase 1/2a (완료)	NCT05083364	Arrowhead
보체 매개 시스템	ARO-CFB	신장	CFB	GalNAc	SC	IgA 신증	Phase 1/2a (진행중)	NCT06209177	Arrowhead

자료: Arrowhead, 하나증권

6) Wave life science (NASDAQ: WVE)

siRNA 기반 대사질환 치료제 중심 개발

Wave Life Science는 미국 나스닥 상장사로, 약 4조원 수준의 시가총액을 형성하고 있다 ($28bn, 1430원/$ 가정). siRNA 기반 대사질환 치료제를 개발 중으로, 2022년 12월 16일 GSK로부터 올리고뉴클레오티드 약물 개발을 위한 34.95억원 달러 규모의 계약(upfront 1.2억 달러, 지분투자 5천만 달러)을 체결하며 세간의 관심을 모은 바 있다. 당시 8개 전임상 단계의 후보물질에 대한 권리를 확보했는데, 최근 '26년 2월 3일 알파-1 항트립신 결핍증(AATD) 치료제인 WVE-006의 권리는 반환 되었다.

비만 적응증의 WVE-007 임상1상 중간 결과에서 내장지방 -9.2%, 총 지방 -4.0% 반면 제지방 0.9% 개선

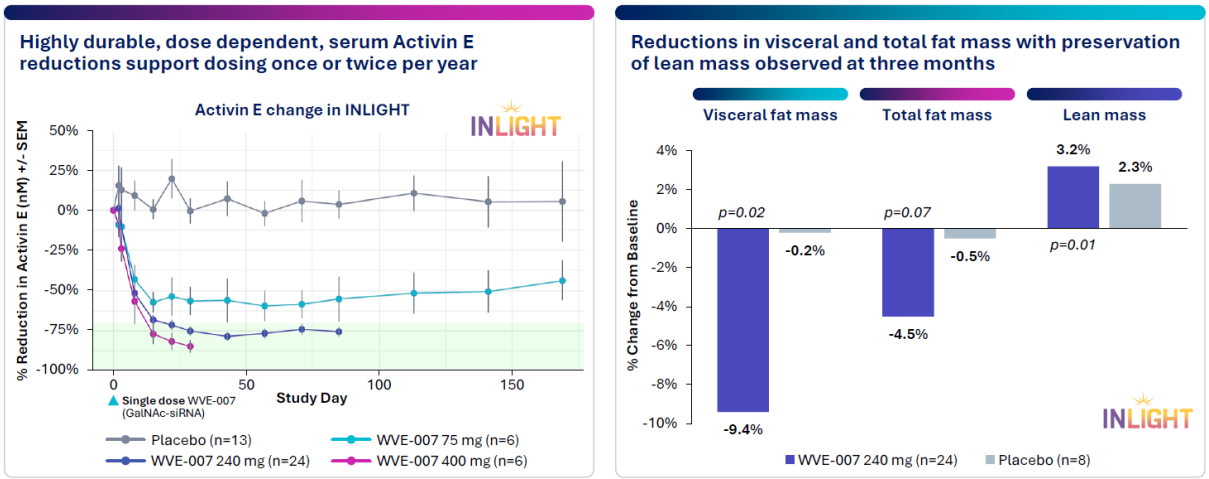
Wave Life Science이 개발 중인 파이프라인 중 임상 단계에 진입한 것은 비만 적응증의 WVE-007 (INHBE 타겟, GalNAc, ASO), AATD 적응증의 WVE-006 (SERPINA1, GalNAc, ASO), 듀센 근이영양증(DMD) 적응증의 WVE-N531 (Exon 53, SSO)이다. 그중 가장 시장의 큰 주목을 받고 있는 것은 비만 적응증의 WVE-007이다.

'25년 하반기 Wave Life Science가 WVE-007에 대한 임상1상 INLIGHT 중간 결과를 공개한 바 있다. 간 세포의 INHBE 를 억제하면 신호전달체계상 INHBE/ALK7 pathway를 따라 ALK7까지 활성이 억제되는데, 그 결과 지방세포의 지질가수분해가 증가한다. ALK7은 지방 분해를 억제하고, 지방 축적을 증가시키는데 관여하는 지방세포 막에 위치하는 수용체이다. 중간 결과지만 놀라운 수치를 보여주었는데, 약효가 약 3개월 이상 지속되고, 위약 보정 기준 평균 내장지방 -9.2% 감소, 총 지방 -4.0% 감소, 반면 제지방(lean mass)은 0.9% 개선되었다. 현존하는 펩타이드계 비만치료제가 주1회 투약으로 반감기가 짧고, 근육 소실 부작용이 부각되고 있는 점을 고려하면 siRNA계 비만치료제의 결과는 매우 놀랍다.

1Q26부터 하반기까지 촘촘한 데이터 공개 일정 있음, 1H26 중 2a 개시 예정

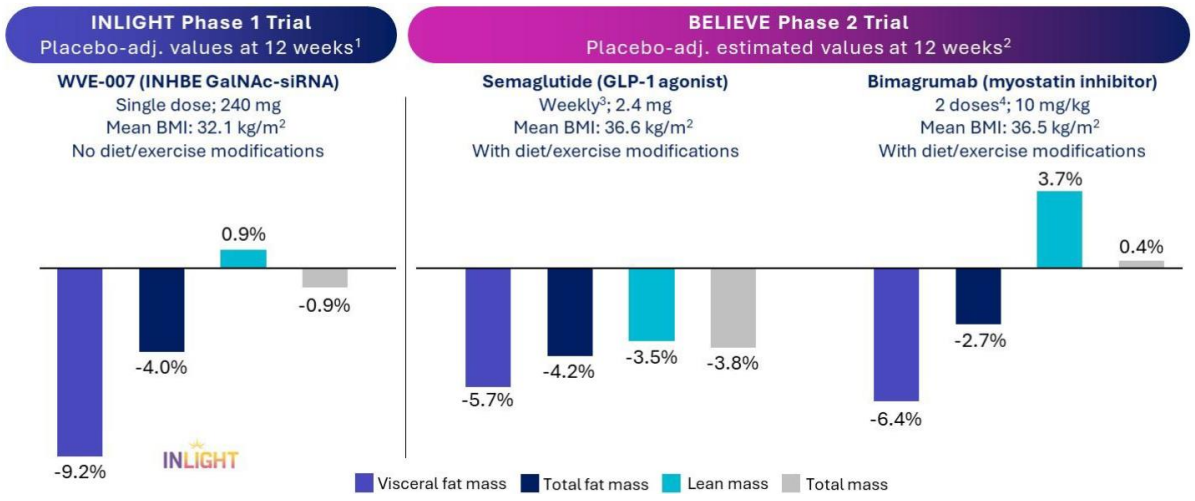
Wave Life Science는 1Q26에 WVE-007의 240mg 투여군의 6개월 추적 관찰 결과와 400mg 투여군의 3개월 추적 관찰 결과를 공개할 예정이다. 그와 동시에 1H26 중에 MAD인 2a상을 개시할 계획이다. 2H26이면 최대용량인 600mg까지 투약 후 추적 관찰 결과를 볼 수 있기 때문에, 취합된 최종 결과도 공개할 것으로 보인다. 그 외 DMD 적응증의 WVE-N531은 '25년 4월 임상2상에서 1차 종결점을 달성했기 때문에 월 단위 투여로 가속승인을 위한 NDA를 제출할 예정이다.

도표 42. WAVE-007의 임상1상 INLIGHT 중간 결과



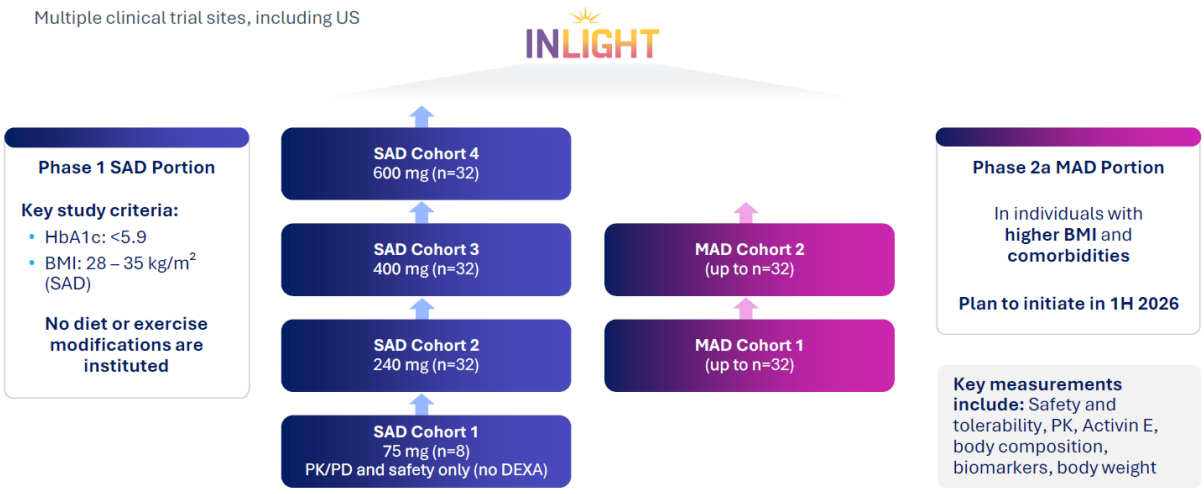
자료: Wave Life Science IR (2026.01)

도표 43. WAVE-007의 주요 비만치료제와의 결과 비교



자료: Wave Life Science IR (2026.01)

도표 44. WAVE-007의 INLIGHT 임상1상 계획



자료: Wave Life Science IR (2026.01)

7) ADARx Pharmaceuticals (비상장)

2025년 5월 AbbVie 공동연구개발계약 체결 신경계/면역학/종양학 등 다양한 적응증에 대해 검증할 것

ADARx는 후기 임상까지 진입한 파이프라인을 보유하고 있지만, 눈여겨 볼 파트너십은 '25년에서야 이루어졌다. 2025년 5월 ADARx는 AbbVie와 신경계, 면역학, 종양학 등 다양한 적응증을 대상으로 siRNA 치료제를 발굴하는 내용의 옵션을 포함한 공동연구개발계약을 체결하였다. 이 계약으로 ADARx는 upfront 3.35억 달러를 수령하였고, 옵션이 전부 행사되면 마일스톤을 포함하여 최대 수십억 달러를 수령하게 된다 (구체적인 금액과 구조는 비공개, 로열티 별도). 현재 ADARx가 개발 중인 파이프라인에서 AbbVie와의 파트너십은 공개되어 있으나 타겟은 비공개 상태이다.

ADARx가 개발 중인 파이프라인 중에서는 유전성 혈관부종(HAE)에 대한 개발 속도가 가장 빠르다. 혈장 칼리크레인 경로에서 브래디키닌 생성을 조절하는 핵심 단백질인 PKK를 코딩하는 mRNA를 억제하는 기전으로 혈관 부종 발작을 예방한다. 현재 3개월/6개월마다 투여하는 군을 나누어 약 90명에 대해 임상3상 STOP-HAE를 수행하기 위한 환자 모집을 진행 중이다. (종료 예정일 2027.12.31)

도표 45. ADARx의 파이프라인 개발 현황

자료: ADARx Pharmaceuticals 홈페이지 (2026.02. 조회)

8. 주목할 국내 상장사

1) 에스티팜

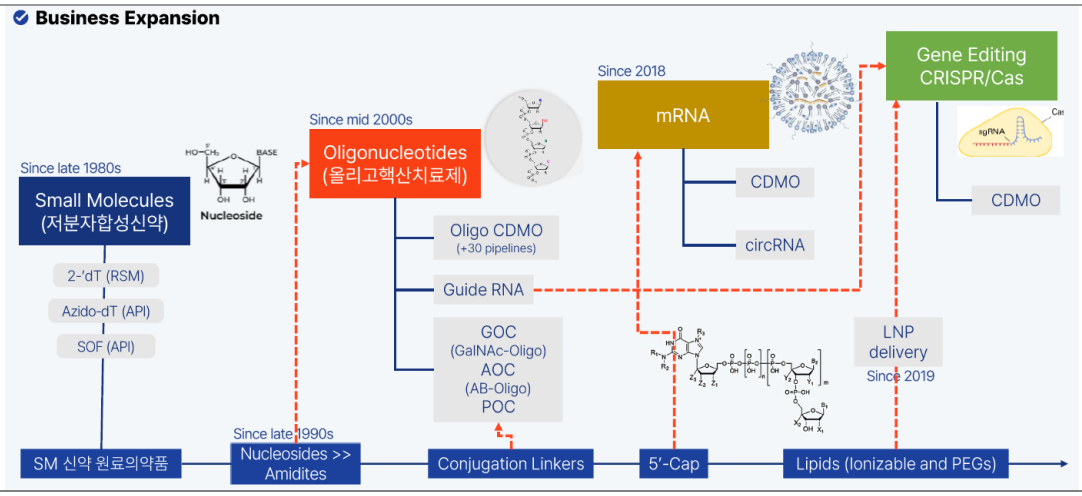
국내 유일 글로벌 Top 수준의 올리고뉴클레오티드 생산자

에스티팜은 유전자치료제의 활성성분을 통칭하여 부르는 구조인 "올리고뉴클레오티드" 생산자로서는 미국의 Agilent와 1~2위를 다투는 규모의 CAPA, CMC 결함 없이 상업화까지 성공시킨 이력, 대량생산 능력, 초기 개발 단계부터 신뢰로 쌓아 온 고객사 pool 등을 보유하고 있다. '25년 3분기 제2올리고동 Phase 1(제2-1올리고동)을 완공함으로써 총 6~8mole의 생산 능력을 갖추었다. 현재 동사가 구축한 CAPA는 저분자화합물 합성동은 96개 반응기의 총 376,250L, 올리고동은 6개 라인의 총합 6~8mole, mRNA 및 sgRNA는 최대 1억 dose/yr를 제조할 수 있다.

올리고뉴클레오티드 대량생산의 기술개발로 상용화 가까워

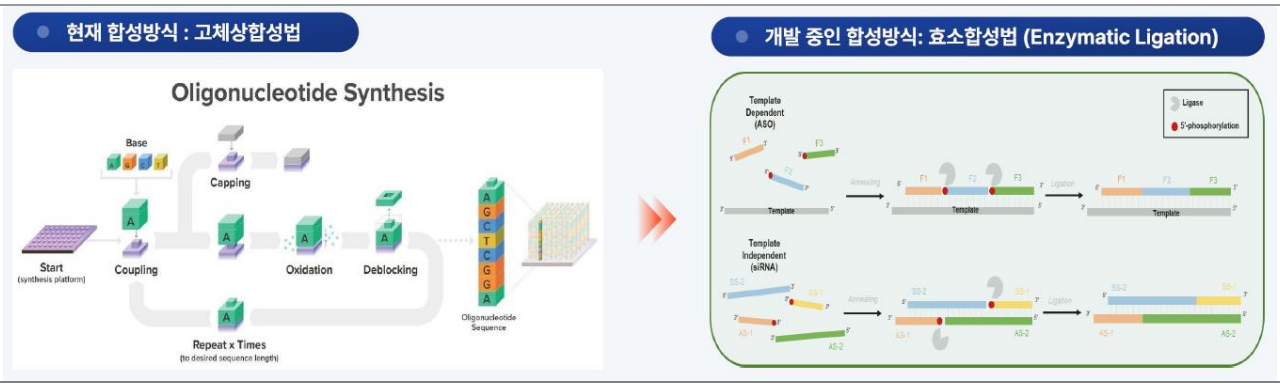
CAPA 확대에 이어 대량생산 신기술도 개발 중이다. 기존의 방식은 고체상합성법이라 하여 염기를 하나씩 쌓아서 조립한다. 에스티팜은 효소합성법(Hybrid Enzymatic Ligation)을 이용한 대량생산방법을 개발 중인데, 액상에서 shortmer fragment 여러 개를 ligase로 연결하는 방식이다. 이 방법을 이용하면 생산성 향상, 비용 절감, Scale-up 용이성(고체상에 비해 액상이 대량 생산에 유리함), 긴 길이의 올리고 합성이 가능한 등의 이익이 있다. 이 기술은 글로벌 제약사 및 고객사 3곳과 상용화를 위한 공동 연구 진행 중으로, Scale-up 단계에 있다. '27년까지 개발을 완료하고, 상용화할 계획이다.

도표 46. 에스티팜이 생산하는 제품 modality의 다양화 과정



자료: 에스티팜 (2025년 12월)

도표 47. 에스티팜이 생산하는 제품 modality의 다양화 과정



자료: 에스티팜 (2025년 12월)

2) 올릭스

비대칭 siRNA(asiRNA) 플랫폼 Off target 감소, 면역 반응 유발 최소화

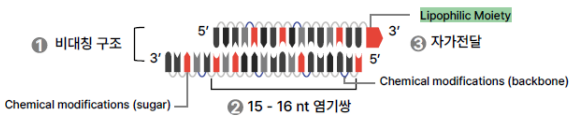
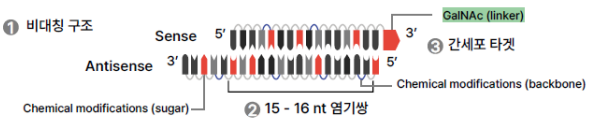
올릭스는 2010년 설립되어, 2018년 코스닥 시장에 상장되었고, 비대칭 siRNA(asiRNA) 플랫폼에 기반하여 구준히 유전자치료제를 개발하고 있다. 올릭스의 플랫폼은 siRNA는 비대칭으로 만들어 off-target 문제를 최소화한 것을 특징으로 한다. siRNA의 체내 가공과정에 관여하는 RISC에 정확하게 guide strand만 탑재될 수 있도록 설계한 것이다. 올릭스는 이러한 특이적은 플랫폼에 기반한 파이프라인으로 '25년 2월 Eli Lilly향 MASH/비만 치료제, 같은 해 6월 로레알과 피부 및 모발 관련한 공동연구개발 공동연구개발계약 등을 체결하며 글로벌 시장의 관심과 기술의 우수성을 확인한 바 있다. 또한 회사는 간 타겟/국소 투여로부터 벗어나 적응증을 확대하기 위해, 지방세포를 직접 타겟하는 OLX501A 개발을 시작했고, '26년에만 BBB셔틀 개발사인 Key2Brain 및 Vect-Horus와 계약을 체결하여 향후 새롭게 공개될 파이프라인이 기대되는 바이다.

이중항체와 같이 작동하는 이중 타겟의 Dual-siRNA, 이중항체가 주목을 받았 듯 주목 받게 될 플랫폼

항체 병용 요법이 이중항체로 발전한 것과 같이, 두 종류의 siRNA가 융합된 형태의 플랫폼을 개발 중이다. 플랫폼은 GalNAc-bi-asiRNA 구조를 갖는다. GalNAc에 의해 전달 되기 때문에 우선은 간 조직을 표적으로 하는 적응증에 적합하다. Lilly도 해당 플랫폼에 대한 관심을 보인 바 있는데, MASH 치료제로 개발 중인 OLX701A에 대한 Lilly와의 계약은 MARC1과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적하는 치료제를 개발하는 경우, 그 치료제에 대해 우선적인 권리를 갖고, 이로 인해 총 계약 금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있다는 조건을 포함한다.

MASH는 "Metabolic Associated"라는 명칭에 걸맞게 다양한 인자가 복합적으로 작용하여 간경화까지 발전하는 질병이다. 또한 경쟁력을 갖추기 위해 기존 MASH 치료제 개발사들은 대부분의 병용이나 이중 타겟 전략으로 개발 중이다. 이러한 점에서 Dual siRNA는 MASH 치료제로 개발하기에 매우 매력적인 플랫폼이라는 판단이다. Lilly가 추가 타겟에 대한 옵션 행사를 한다면, 이어서 Dual siRNA 관련 추가 계약도 기대할 수 있을 것이라는 전망이다.

도표 48. 올릭스의 플랫폼 구분 (두 플랫폼 간 차이점은 녹색 하이라이트 참고)

<table>
<tr><th colspan="2"></th><th>국소 투여 플랫폼
자가전달 비대칭 siRNA (cp-asiRNA)</th><th>간 특이적 GalNAc 플랫폼
GalNAc-asiRNA</th></tr>
<tr><td colspan="2">구조</td><td> 
</td><td> 
</td></tr>
<tr><td colspan="2">특징</td><td>▪ 안전성 검증 (전달체에 의한 독성위험 회피 & 국소 투여로 전신 부작용 최소화)
▪ 유효성 경쟁력 검증 중 (피부, 안구 질환 등에 탁월 투여 경로 및 적합한 Lipid moiety 채택)
▪ 글로벌 라이선스 아웃 달성</td><td>▪ 안전성 검증 (오프 타겟 이슈 최소화 & 피하 투여로 간 특이적 전달)
▪ 유효성 경쟁력 검증 중
▪ 글로벌 라이선스 아웃 달성 (Eli Lily, Hansoh)</td></tr>
<tr><td rowspan="3">파이프라인</td><td></td><td>피부</td><td>안구</td><td>간</td></tr>
<tr><td>임상</td><td>▪ OLX101A (비대흉터)
▪ OLX104C (탈모)</td><td>▪ OLX301A
(황반변성)</td><td>▪ OLX702A (MASH/비만)</td></tr>
<tr><td>비임상</td><td></td><td>▪ OLX304C
(망막색소변성증)</td><td>▪ OLX706A (심혈관 질환)
▪ OLX706B (대사성 질환)
▪ OLX706C (심혈관 질환)
▪ OLX702X (비만)
▪ OLX702R (고혈압)</td></tr>
</table>

자료: 올릭스, 하나증권

3) 알지노믹스

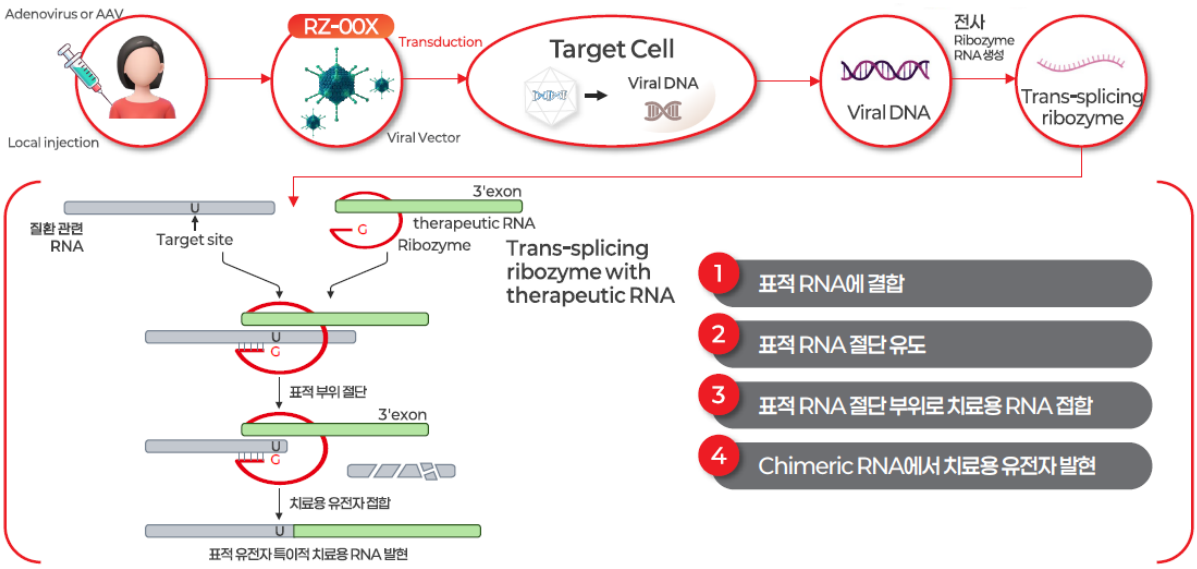
원인 유전자의 제거와 치료용 단백질 발현을 동시에

알지노믹스가 보유한 핵심 기술은 RNA 트랜스 스플라이싱 리보자임(RNA trans-splicing ribozyme) 플랫폼이다. 대부분의 유전자치료제가 원인 돌연변이를 없애거나, 치료용 단백질의 과발현에만 맞춰져 있는데, 동사의 기술은 1) 하나의 분자로 병인성 RNA 제거와 치료용 RNA 발현을 동시에 수행할 수 있고, 2) 자체적으로 효소 기능을 가지므로 세포 내 기전을 요구하거나 외부 효소 단백질 주입을 필요로 하지 않으며, 3) 영구적인 성격을 갖지만(비분열세포를 표적으로 한다면) DNA가 아닌 RNA 수준에서 유전자 편집하므로 영구유전체(eternal genome) 변화 가능성을 최소화할 수 있는 점이 구분되는 장점이다. 이러한 신개념 플랫폼은 일찍이 Lilly의 눈에 띄어, 상장 전인 '25년 5월 유전성 난청에 대해 $1.334bn 규모의 빅 딜을 체결하였다.

Circular RNA 플랫폼도 보유: 기존 보유하던 플랫폼 대비 면역원성 위험이 낮고, 전신 투여가 가능한 장점

동사는 원형 RNA 플랫폼도 보유하고 있다. 원형 RNA는 virus가 아닌 LNP 또는 폴리머 등의 전달체를 이용하므로 면역원성 위험이 낮고, 반복 투여가 가능하며, 전신 투여 경로로 전달이 가능하다. 선형 mRNA와 비교하여 안정성(stability)이 높아 체내에서 장기간 분해되지 않고 계속해서 단백질을 생산할 수 있다. 동사는 부가적인 공정 없이, 시험관 내 RNA 전사과정 중 스스로 원형 RNA를 생성하고, 불필요한 서열을 남기지 않는 STS(self-targeting and splicing) 방식을 이용하여 원하는 서열로만 구성된 것이 특징이다. 동사가 상장할 당시 투자설명서에 경쟁사로 언급되었던 미국 소재의 Orna Therapeutics가 2월10일 Lilly에 $2.4bn 규모로 인수되었다. Orna는 원형 RNA를 이용한 in vivo CAR-T 치료제를 개발 중인데 비임상 단계였던 점을 고려하면, 알지노믹스도 아직 비임상 단계이지만 향후 원형 RNA 플랫폼 활용 계획이 구체화되면 조기에 기술이전을 기대할 수 있다는 전망이다.

도표 49. 알지노믹스의 Trans-splicing ribozyme 작동 방식



자료: 알지노믹스, 하나증권

4) 삼양바이오팜

핵산의 전달체인 LNP 기술 보유
특발성폐섬유증 치료제 개발할 것

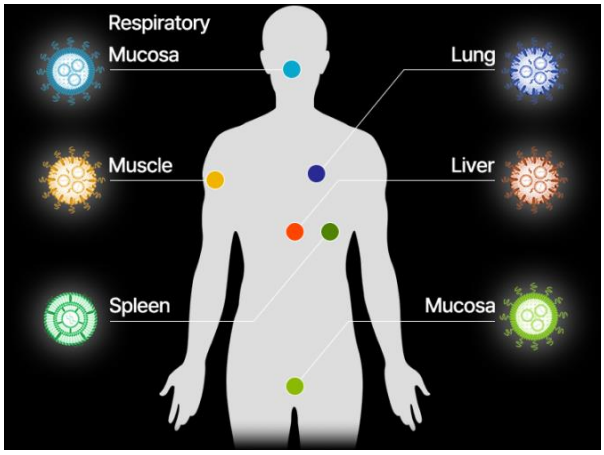
삼양바이오팜은 '25년 11월 삼양홀딩스로부터 인적분할되어 코스피 시장에 상장되었다. 봉합사와 의약품 매출이 주된 사업이지만, SENS(Selectivity Enabling Nano Shell)라는 약물전달 시스템 플랫폼에 기반하여 신약을 개발하고 있다. SENS는 이온화지질과 생분해성 고분자를 이용한 나노입자 제형화, 즉 LNP 기술이다. 2025년 12월 제2차 국가신약개발사업에 "특발성폐섬유증 mRNA 치료제 후보물질 개발" 과제가 선정되었고, mRNA의 전달체로 SENS를 적용하여 폐 조직에 선택적으로 전달하는 능력을 입증할 Data를 확보할 예정이다.

유전자 치료제 시장의 성장에
반드시 필요한 요소
MSD/Moderna의 항암백신처럼
파트너십 기대

현재 상용화된 대부분의 RNA 기반 치료제는 GalNAc을 이용하기 때문에 간 조직을 표적하는 제한이 있고, 바이러스성 전달 시스템은 전달 효율은 매우 높은 장점을 갖지만, 반복 투여에 따른 면역원성 발생으로 안전성과 약효 감소의 문제가 있다. 따라서 유전자 치료제 시장이 적응증을 더욱 확대하고, undruggable target에 널리 사용되기 위해서는 LNP와 같은 반복 투여 가능하고, 조직 특이적 전달이 가능한 전달체의 개발이 필수적으로 요구된다.

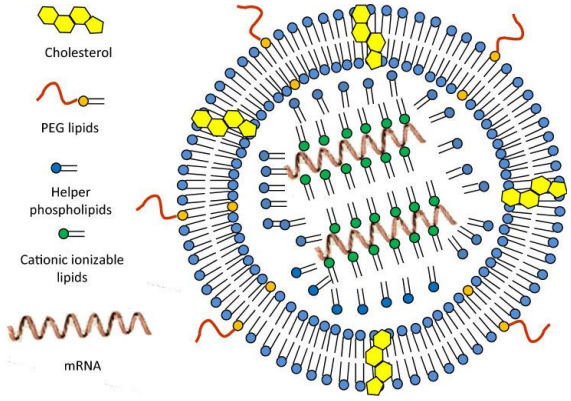
Moderna와 MSD가 최대 34 개의 신항원을 코딩하는 합성 mRNA 를 LNP에 넣어 암세포에 대한 T 세포 반응을 유도하는 Intismeran이라는 개인 맞춤형 항암 백신을 공동 개발하였다. 이 약물은 고위험 흑색종 환자 대상으로 한 임상2b상(KEYNOTE 942)에서 HR=0.510의 효능을 확인하고 임상3상 환자 등록까지 마친 상태이다. 앞서 산업 동향에서 설명한 바와 같이, 최근 유전자치료제에 대한 적응증 확장 시도가 활발하게 이루어지고 있으므로, 삼양바이오팜도 MSD/Moderna와 같이 유전자치료제 신약을 공동개발할 우수한 파트너십을 체결할 것을 기대할 수 있다는 전망이다.

도표 50. SENS가 target하는 조직



자료: 삼양바이오팜 홈페이지 (2025.03.05)

도표 51. LNP 구조 (예시)



자료: Schematic of LNP structure (Ramachandran et.al. 2022)

기업분석

에스티팜(237690) 44
올릭스(226950) 61
알지노믹스(476830) 73

2026년 03월 09일 | 기업분석_기업분석(Report)

에스티팜 (237690)

시장이 성장하는데 따라 올라갈 수밖에

BUY (신규)

목표주가(12M)	210,000원
현재주가(3.06)	160,000원

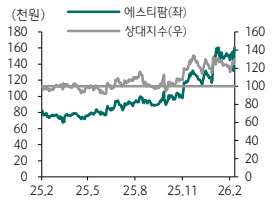
Key Data

KOSDAQ 지수 (pt)	1,154.67
52주 최고/최저(원)	160,600/67,300
시가총액(십억원)	3,324.3
시가총액비중(%)	0.52
발행주식수(천주)	20,776.7
60일 평균 거래량(천주)	250.6
60일 평균 거래대금(십억원)	34.6
외국인지분율(%)	10.72
주요주주 지분율(%)	
동아쏘시오홀딩스 외 4 인	37.52
국민연금공단	5.00

Consensus Data

	2025	2026
매출액(십억원)	330.7	405.5
영업이익(십억원)	55.7	70.8
순이익(십억원)	48.2	60.6
EPS(원)	2,517	2,981
BPS(원)	27,111	29,438

Stock Price



Financial Data (십억원, %, 배, 원)

투자지표	2023	2024	2025F	2026F
매출액	285.0	273.8	331.6	416.2
영업이익	33.5	27.7	55.1	73.4
세전이익	23.4	42.7	58.9	80.1
순이익	19.6	34.7	52.2	63.7
EPS	1,041	1,780	2,566	3,067
증감율	8.78	70.99	44.16	19.52
PER	65.13	49.94	46.45	48.52
PBR	3.32	3.56	4.22	4.85
EV/EBITDA	24.72	33.86	28.76	28.16
ROE	5.42	7.82	9.59	10.42
BPS	20,445	24,966	28,246	30,712
DPS	500	500	500	500

Analyst 김선아 seona.kim@hanafn.com
RA 유창근 changkeunyoo@hanafn.com

새로운 modality가 이끌어 갈 시장, 글로벌 생산자가 한국에!

유전자치료제는 미국을 기준으로 환자수가 수 천명~수 백만명에 불과한 희귀 질환에서 고지혈증, 고혈압, 동맥경화증 등으로 넘어와 상용화가 이미 시작되고 있다. 이 급격히 성장하는 시장에서 에스티팜은 유전자치료제를 이루는 물질인 올리고뉴클레오티드를 모노머 생산부터 상업화 scale의 대량생산까지 생산할 수 있는 능력을 갖추고 있다. GMP는 미국, 유럽 등을 포함한 주요 국가 Standard에 맞춰져 있고, 글로벌 빅파마부터 RNA 치료제 개발 바이오텍까지 다양한 고객사의 프로젝트를 상용화까지 성공시킨 경험도 보유하고 있다. 유전자치료제가 성장하자 새로운 경쟁사가 추가되는 분위기이나, Agilent와 1~2위를 다투는 규모의 CAPA, CMC 결함 없이 상업화까지 성공시킨 이력, 대량생산 능력, 초기 개발 단계부터 신뢰로 쌓아 온 고객사 pool 등을 따라오는 것은 결코 쉽지 않을 것이다.

'26년은 J커브 곡선 시작점이 될 것

올해는 주요 고객사의 프로젝트가 희귀 질환에서 일반 질환으로 넘어올 예정이다. 올레자르센(추정) 이 가족성 킬로미크론 혈증으로 승인받은 후 고중성지방혈증 적응증을 추가하여 '26년 6월30일 FDA 시판 허가 획득이 예상된다. 2H26에는 동맥경화증 치료제로 개발 중인 프로젝트가 임상3상 데이터 발표와 함께 NDA를 제출하면서, '27년에는 출시 가능할 전망이다. 기존 제품의 매출도 '26년에 본격적으로 성장할 것으로 전망되는데, '25년 8월 유전성혈관부종으로 FDA 승인받은 프로젝트가 올해부터 본격적으로 판매를 시작할 것이고, 렉비오(추정)는 '25년에도 YoY+57% 매출 성장하여 쉽게 흐름이 끊길 것 같지 않다. 상업화 프로젝트 외에도 다양한 초기 개발 단계의 고객들이 유입되고 있고, ASO에만 집중되어 있던 modality가 최근에는 siRNA까지 확장되는 등 다양화되고 있어 더욱 긍정적이다. 아울러 올해 하반기에는 동사가 자체 개발하는 HIV 치료제 STP-0404의 임상2a 상 발표가 예정되어 있어, 긍정적인 결과를 확인한다면 2b 상 진입 전 기술이전도 기대할 수 있다.

목표주가 210,000원, 신규 커버리지 개시

'26년은 상업화 물량의 누적으로 분기별 이익이 안정화되고, 이어서 '27년과 '28년 매출과 이익 성장을 이어나갈 것으로 전망된다. '26년6월30일부터 고객사의 프로젝트가 고지혈증, 동맥경화증, 만성B형간염 등 일반 질환으로 FDA 승인을 획득함에 따라 상업화 물량의 급증으로 이익률의 증가도 기대할 수 있다. 유전자치료제 시장이 성장할 것이라는 점은 분명하고, 동사는 글로벌 생산자 Top 플레이어로서의 지위를 유지하고 있으므로, 단기적, 장기적으로도 추천 종목으로서 아주 매력적이다.

1. 유전자 치료제 시장과 함께 성장할 CDMO

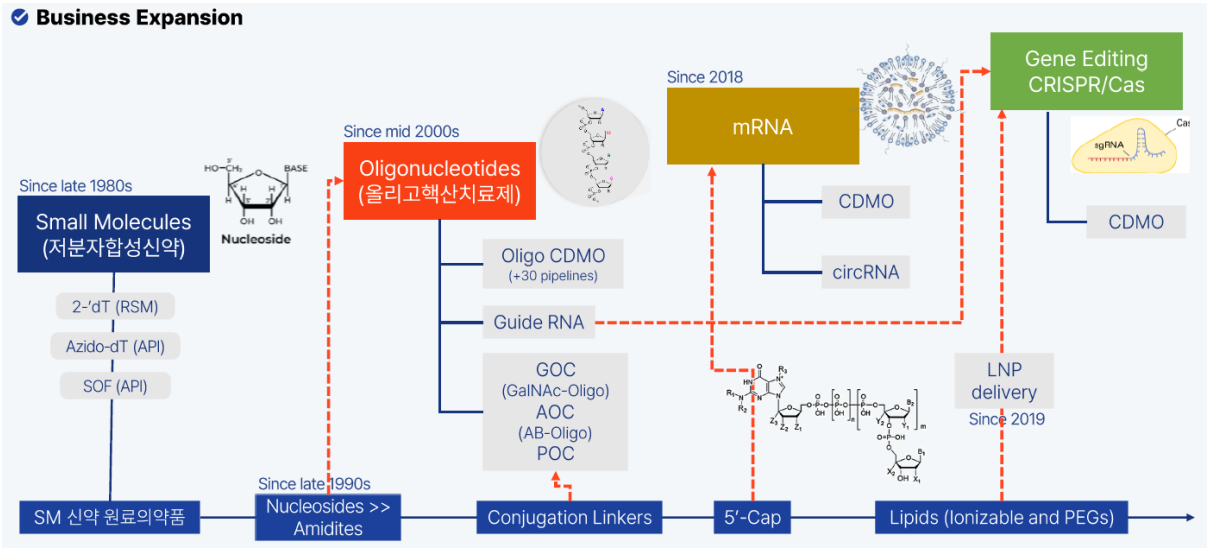
1) 유행성이 아닌, 장기적인 성장 기대

COVID19 팬데믹 때와 다르다 본격적인 유전자 치료제 성장세

에스티팜은 올리고뉴클레오타이드 CDMO를 중심으로, 저분자 화합물, API, 모노머 등의 제조 및 생산을 주요 사업으로 한다. '21년 COVID 팬데믹 시기에 mRNA 백신 출시의 영향으로 시가 총액이 2.9조원에 달한 적이 있었으나, 팬데믹 종료와 실적 부진으로 주가 회복이 더디었다. 그러나 최근 역사적 최고점으로 3.4조원 대에 도달한 바 있다. 이번 최고점은 팬데믹과 같은 단기적인 유행이 아닌, 유전자치료제의 개화와 그에 부합하는 올리고뉴클레오타이드 실적 및 수주 증가가 뒷받침한다.

동사는 빅파마 향 CDMO 및 원료 공급과 EMA/FDA 승인 레퍼런스를 바탕으로 올리고뉴클레오티드 CDMO 시장에서 선도적인 지위를 확대해 나갈 것으로 전망된다. 지금까지 유전자 치료제는 시장에서 시험적인 수준이었지만, 최근 FDA 허가를 획득한 약물이 꾸준한 매출 성장을 보여 주고 있고, 임상 3상 수준의 곧 상용화를 앞둔 파이프라인의 수도 누적되고 있다. 회사의 장기적인 매출 성장을 전망하는 이유는 이러한 유전자 치료제 시장의 본격적인 개화와 성장이 뒷받침되어 있기 때문이다.

도표 1. 에스티팜이 생산하는 제품 modality의 다양화 과정



자료: 에스티팜 (2025년 12월)

2) 생산시설 확대 중

'20년부터 지속적으로 Modality 별 전용 공장이 꾸준한 성장 중

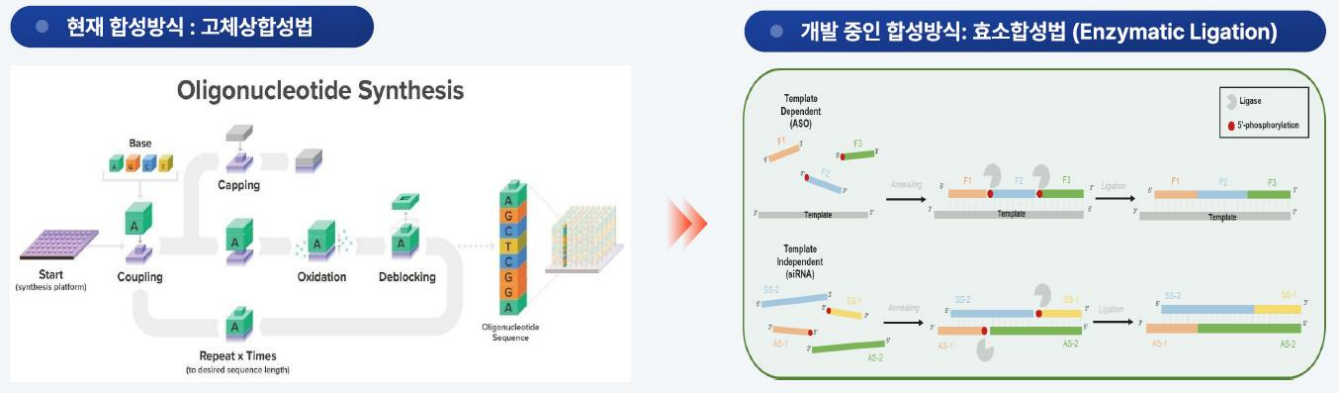
생산시설은 올리고뉴클레오티드 전용인 제1, 제2올리고동, mRNA와 LNP를 이용한 가공이 이루어지는 mRNA 공장, 그리고 저분자/제네릭 등 나머지 사업부를 위한 화학합성동으로 이루어져 있다. 올리고뉴클레오티드 전용 공장인 제1올리고동은 '22년까지 두 차례의 설비 증설을 하였고, 이후 수요에 대응하기 위해 제2올리고동 Phase 1(제2-1올리고동)을 '23년 7월 착공하여 '25년 9월 완공함으로써 총 6~8mole의 생산 능력을 갖추었다. 계획의 나머지 증설 목표인 Phase 2(제2-2올리고동)까지 가동되면 CAPA는 더욱 확장될 것이다 (규모와 설비는 미확정). 저분자화합물의 수주량도 증가하고 있어, 1H26까지 반월 공장에 kilo-scale의 전용라인 2개를 증설하고, 이후 수주량에 맞춰 '28년까지 시화 공장에도 추가 증설도 계획하고 있다. 현재 동사가 구축한 CAPA는 저분자화합물 합성동은 96개 반응기의 총 376,250L, 올리고동은 6개 라인의 총합 6~8mole, mRNA 및 sgRNA는 최대 1억 dose/yr를 제조할 수 있다.

3) 대량생산 신기술 개발로 상용화 고객 확대할 것

올리고뉴클레오티드 대량생산의 기술개발로 상용화 가까워

동사는 CAPA 확대에 이어 대량생산 신기술도 개발 중이다. 기존의 방식은 고체상합성법이라 하여 염기를 하나씩 쌓아서 조립한다. 에스티팜은 효소합성법(Hybrid Enzymatic Ligation)을 이용한 대량생산방법을 개발 중인데, 액상에서 shortmer fragment 여러 개를 ligase로 연결하는 방식이다. 이 방법을 이용하면 생산성 향상, 비용 절감, Scale-up 용이성(고체상에 비해 액상이 대량 생산에 유리함), 긴 길이의 올리고 합성이 가능한 등의 이익이 있다. 이 기술은 글로벌 제약사 및 고객사 3곳과 상용화를 위한 공동 연구 진행 중으로, Scale-up 단계에 있다. '27년까지 개발을 완료하고, 상용화할 계획이다.

도표 2. 에스티팜이 생산하는 제품 modality의 다양화 과정



자료: 에스티팜 (2025년 12월)

4) 경쟁사 현황

주요 경쟁사는 미국의 Agilent, 일본의 Nitto Avecia, 중국의 Wuxi Apptec(Tides)

Agilent는 '23년에 $720mn을 투입하여 미국 콜로라도의 프레데릭 공장에 새로운 생산 설비인 C동 및 D동을 추가할 계획을 밝힌 바 있다. '20년에 B동을 설립하고 3년 만의 결정이다. 증설된 공장은 '27년 초에 가동할 계획이다. D동까지 가동 되면 총 4톤의 생산 규모를 갖추게 된다. 증설된 공장이 가동되기 전인 현재 기준으로 에스티팜의 CAPA가 더 높다(약 1톤 중반 수준). 다만 에스티팜도 '28년까지 제2올리고동 phase2를 확보할 것이기 때문에 다시 Agilent와 비슷한 수준을 따라가게 될 것이라 CAPA 측면에서 당장 우려되는 수준은 아니라는 판단이다.

Nitto Avecia는 일본의 Nitto 그룹의 자회사로 '20년부터 매사추세츠 밀포드 공장의 대규모 확장을 추진하고 있다. 또한 '24년 일본에 Tohoku 공장과 '25년 미국 샌디에고 공장을 확보하여 지역 서비스를 위한 시설도 갖추었다. Avecia가 정확한 CAPA 규모를 알려주지 않지만, 시장 조사된 바로는 에스티팜과 비슷한 수준인 것으로 파악된다 (약 5몰). Avecia는 자체 개발한 연속 정제 방법을 이용한 기술인 NittoPhase를 보유하고 있는데, 정제 컬럼을 이용하는 전통적인 방식에 비해 비용과 수율 면에서 간단함을 강조한다. Avecia는 '30년까지 연간 20% 성장하는 올리고뉴클레오티드 시장에 맞춰 생산 CAPA를 확보하는 목표를 갖고 있다(구체적은 숫자 비공개). 또한 '25년 기업 전망 발표에서 이제 DDS 플랫폼 개발에도 본격적으로 돌입하겠다는 언급을 한 바 있다.

Wuxi Apptec의 Tide 사업부도 빠른 성장을 보여 주고 있다. 3Q25 실적발표에 따르면, 3분기 누적 매출 YoY+121% 증가하였고, 수주 잔고량도 3Q25 기준 YoY+17.1% 증가했다. 다만, Tides 사업부는 올리고뉴클레오티드와 펩타이드 사업을 모두 포함하고 있으므로, 성장세에는 펩타이드 기여도가 더 높을 것이라는 판단이다. 회사는 '25년 9월 Taixing에 올릭뉴클레오티드가 아닌 펩타이드 생산 설비로써 고체상 펩타이드 합성기 총 반응기 용량을 10만 리터까지 증가시켰기 때문이다.

시장의 성장에 따라 후발주자가 등장했으나 Reputation까지 따라 잡기란 오랜 시간이 걸릴 것

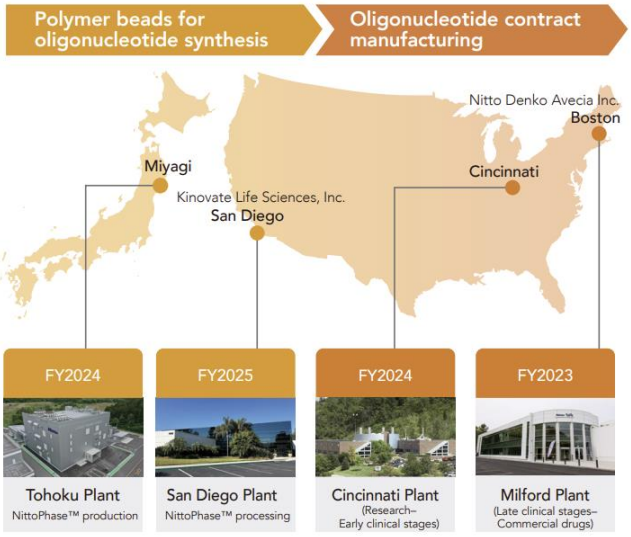
그 외 독일의 BioSpring (guide RNA 생산 능력 보유), 스위스의 Bachem (펩타이드 생산 위주이나 올리고로 진출), 일본의 Ajinomoto (미국의 Forge Biologics 인수하여 AAV 벡터 생산력 확보) 등이 올리고뉴클레오티드 분야에 등장하였다. 그러나 에스티팜의 전 세계 주요 국가 진입이 가능한 GMP 수준 확보, 상업화 성공한 약물들이 증명하는 공급 안정성과 품질, 대량생산 능력 등을 따라가긴 쉽지 않을 것이다. 더욱이 올해 하반기부터 '27년-'28년까지 충분히 예상 가능한 상용화 파이프라인이 시장에서 부각되면 더 높은 비교우위를 갖게 될 것이므로 경쟁사로 인식되기까지 오랜 시간이 걸릴 것이라는 전망이다.

도표 3. 에스티팜 공장 보유 현황

구분	반월 공장	시화 공장
전경		
위치	경기도 안산시 단원구	경기도 시흥시 정왕동
규모	28,220 sqm	16,400 sqm
목적	올리고뉴클레오티드, 저분자화합물, mRNA, LNP 등	저분자화합물
최근 증설 및 계획	- 2025년에 제2올리고동 3개 라인 증설 - 1H26까지 저분자화합물 kilo-scale 라인 2개 증설	- 2028년까지 추가 증설

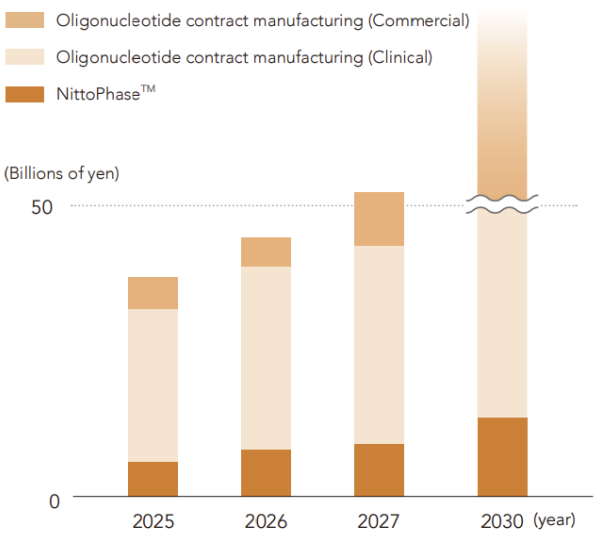
자료: 에스티팜 (2025.09), 하나증권

도표 4. Nitto Avecia의 올리고뉴클레오티드 공장 위치



자료: Nitto Group IR (2025)

도표 5. Nitto Avecia의 중장기 성장 목표



자료: Nitto Group IR (2025)

2. 에스티팜 사업부 개요

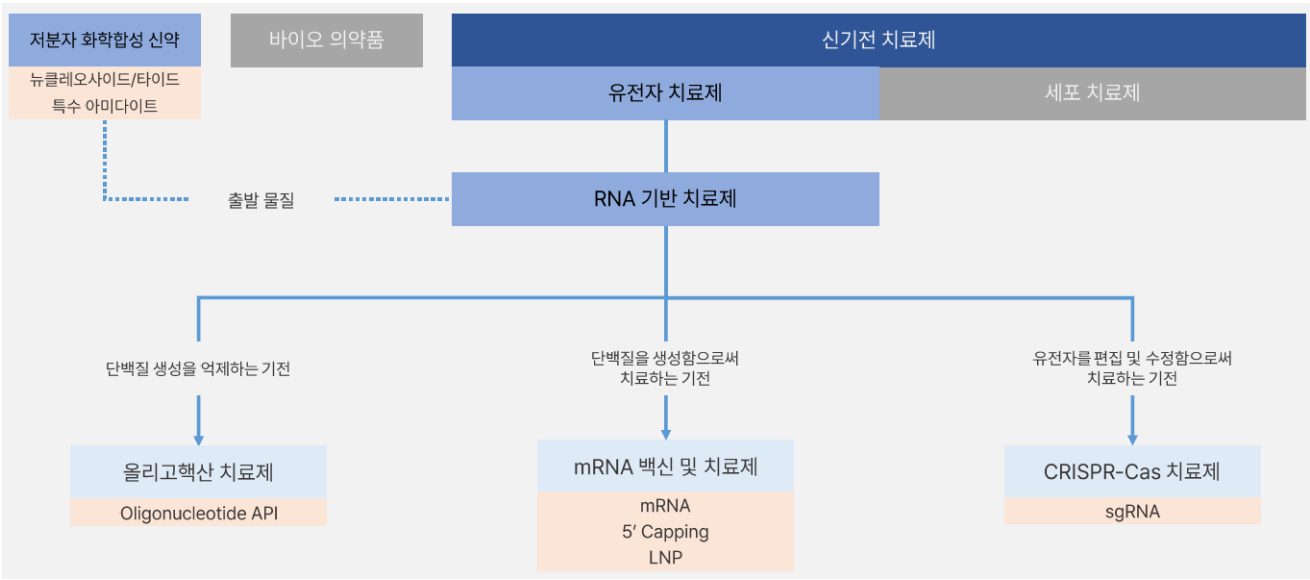
1) 올리고뉴클레오티드(Oligonucleotide) 사업부

기대에 맞춰 수주와 매출이 실현
상업화 물량의 증가로
'26년부터 이익 안정화 전망

동사의 매출에서 가장 높은 비중을 차지한다. 주로 RNA 치료제(siRNA, miRNA, ASO 등)를 주로 생산하였으나, 최근 CRISPR/Cas 계열 치료제에 필요한 sgRNA 합성 기술도 확보하였다. sgRNA는 100bp 이상으로 타 유전자 치료제에 비해 염기서열이 길기 때문에, 기술 개발을 통해 생산이 가능한 서열의 범위가 더욱 확대된 것이다. RNA 치료제는 점차 시험단계에서 상업화 단계로 넘어오고, 매출이 발생되고 환자 수가 더 많은 적응증으로 확대되면서 개발 중인 파이프라인의 수도 확대되고 있다. 자연스럽게 후기 임상 파이프라인 수와 상업화 단계로 진입할 파이프라인 수도 누적될 것이기 때문에, 유전자치료제 CDMO 시장도 지속적으로 확대될 것이다. 이는 우리가 에스티팜의 지속적인 성장을 기대하는 이유이다.

주요 고객사들의 후기 임상 진입 파이프라인 수가 늘어나고 있고, 상업화 시기가 가까워진 파이프라인이 존재하는 것도 동사의 매출이 기대되는 이유이다. 작년부터 기대를 모았던 Olezarsen의 중증 고지혈증 치료제가 PDUFA 6월30일로 확정되어 올해 FDA 승인을 앞두고 있는데, 2026년 1월 1년 납품 기한의 $56.34 (824억원, 1,465.00원/USD) 규모 수주 계약이 해당 물질인 것으로 추정되면서, 회사에 대한 기대가 실현되고 있는 분위기이다.

도표 6. 에스티팜 사업 영역



자료: 에스티팜 (2025.12)

도표 7. 에스티팜 주요 CDMO 프로젝트 (기전, modality 등은 추정)

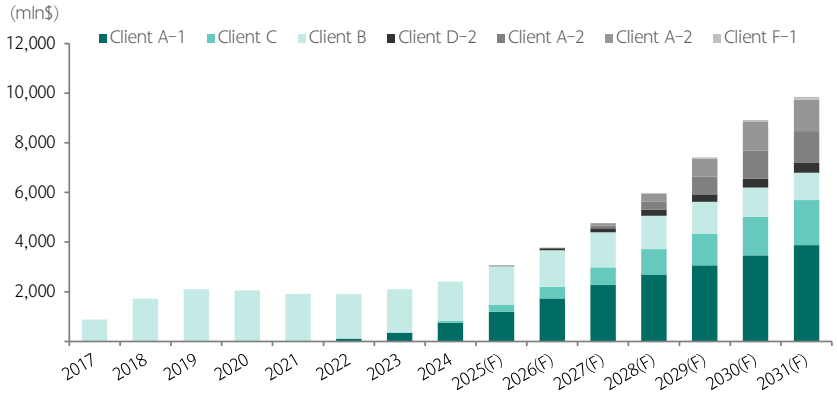
(단위: mln $)

품목(블라인드)	기전	Modality 구분	적응증	개발단계	FDA승인/ 임상종료예상일	2025 매출	YoY%
올리고뉴클레오타이드							
Client A	PCSK9 억제	siRNA	고지혈증	승인	2021.12.22	1,198	58.9%
			CVRR (심혈관 위험 감소)	임상3상	2029.04.16 임상종료예상		
Client B-1	SMN2의 pre-mRNA 스플라이싱에 관여	ASO	척수성근위축증	승인	2016.12.23	1,547	-1.7%
Client C	Telomerase 활성 억제	ASO	골수이형성증후군	승인	2024.06.06	224	190.9%
			골수섬유증	임상 3상	2028.06.30 임상종료		
Client D-1	ApoC III	ASO	가족성킬로미크론혈증	승인	2024.12.19	88	-
			중증고중성지방혈증	BLA filing	2026.6.30 허가 예상		
Client D-2	KLKB1 억제	ASO	유전성혈관부종	승인	2025.08.21	6	-
Client A-2	ApoA	ASO	동맥경화증	임상3상	임상 종료, 2H26 NDA 예상	-	-
Client F-2	보체인자B 억제	ASO	신장질환 (IgA 신증)	임상 3상	2026.08.31 임상종료예상	-	-
Client E	HBsAg	ASO	만성B형간염	임상3상	2026.05.05 임상종료예상	-	-
Client F-3	HBsAg	siRNA	만성B형간염	임상 2상	2024.07.19 임상종료	-	-
Client F-1	HTT 억제	ASO	헌팅턴병	임상 2상	2026.05.31 임상종료	-	-
Small molecule							
추정 불가	-	Small molecule	미공개	승인	-	-	-
Client H	cardiolipin 결합	Small molecule	미토콘드리아 결핍증후군	승인	2025.09.19	-	-

주: CVRR: Cardiovascular risk reduction
자료: 하나증권

보고서 발간일 기준
6개월 전 추정치

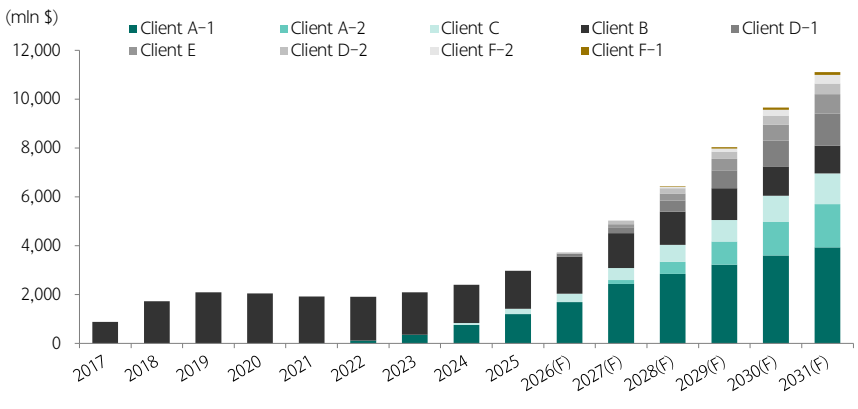
도표 8. 에스티팜 생산 추정 약물의 매출 성장 전망 (추정일: 2025.07)



자료: GlobalData (업데이트일: 2025.07), 하나증권

1년도 채 되지 않아
고객사 제품 매출 추정치 성장
(매출 추정 품목 추가는 1개)

도표 9. 에스티팜 생산 추정 약물의 매출 성장 전망 (추정일: 2026.02.27)



자료: GlobalData (업데이트일: 2026.02.27), 하나증권

2) mRNA 사업부: Cell Therapy와 Smart Cap

'5-Capping 은 mRNA 생산성과 품질 향상에 중요한 요소

동사의 mRNA 사업부는 '5-Capping 기술인 Smart Cap과 LNP를 기반으로 한다. '5-Capping은 mRNA에서 앞 단인 '5-말단에 7-메틸구아노신(7-methylguanosine, m⁷G) 이 '5-'5 삼인산 결합('5번 탄소 위치 사이를 세 개의 인산이 결합)한 구조를 의미한다. 간단히 설명하면 mRNA 구조의 앞 단에 형성된 어떤 구조체이다. 이 '5-Capping은 mRNA가 효소로부터 분해되지 않게 하고, 핵에서 번역 위치인 세포질로의 수송에 중요하다. 또한 mRNA가 단백질로 번역될 때 eIF4E라 부르는 인자(translation initiation factor)와 결합해서 번역(펩타이드 생산)을 개시하도록 한다. 따라서 '5-Capping은 mRNA의 안정성, 약물학적 효과에도 중요한 역할을 한다.

그런데 '5-Capping은 구조가 복잡해서 추가적인 효소 반응을 요구하는 등 제조 방법이 까다롭고, 원하지 않는 이종 생성물이 생산되는 경우 면역원성 부작용을 일으킬 가능성도 있으므로, 수율과 정제도가 중요하다. Smart Cap은 이러한 문제를 해결하면서 대량생산에 적합하도록 설계된 Capping 기술이다. 관련 기술은 국내에서 특허 등록되고, 미국, 유럽, 중국(등록), 일본(등록) 등을 포함한 주요국에 진입한 상태이다.

인간에서의 안전성도 확인

'5-Capping 기술은 COVID-19 예방 백신인 STP-2104에 대한 임상1상에서 안전성을 확인한 바 있다. 건강한 성인 30명을 대상으로 한국과 남아프리카 공화국에서 단계적 용량 증량 시험을 한 결과, 2차 접종 후 28일 째에 용량 의존적인 면역항체 역가를 확인하였고 (면역력 생성), 경미하거나 국소적 부작용 외에 중증 이상의 부작용은 확인되지 않았다. 당시 임상 이후에 변이된 바이러스가 유행하였기 때문에 임상은 중단하였지만, Smart Cap의 기술을 입증한 것에서 의미가 있다. 팬데믹의 종료로 신규 수주는 없는 상황이지만, 2024년 8월 Quantoom(mRNA 생산 장비, 제형화 기술 보유), 2025년 1월 Evonik(LNP 제형화 기술 보유)과 Capping 공급계약을 맺은 이력이 있으니 새로운 고객사의 등장을 여전히 기대해 볼 수 있다. Evonik은 COVID19 팬데믹 때 Pfizer향으로 LNP에 사용되는 지질을 합성하여 공급하던 기업이다. 추가적으로 동사는 CEPI-IVI-질병청 SFTS (중증열성혈소판감소증후군) mRNA 백신 개발에 mRNA CDMO기업(기술생산 파트너)으로 참여하고 있다.

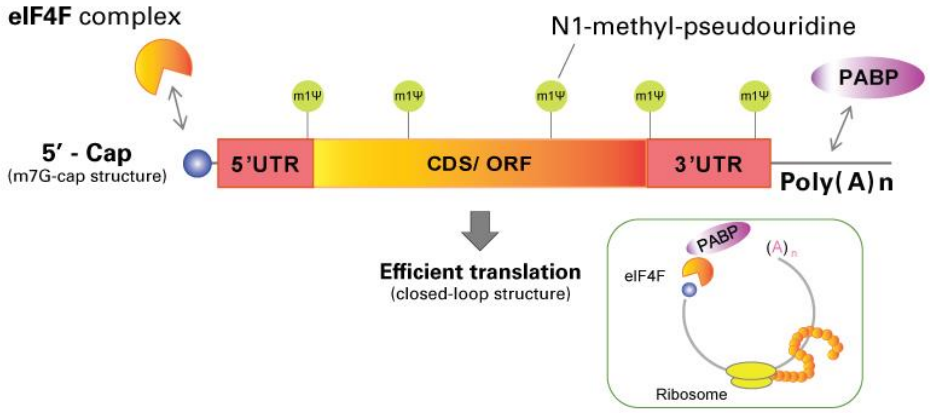
3) Small molecule, Generic 사업부

저분자화합물 합성 실력으로 CDMO를 키웠다

올리고뉴클레오티드는 단량체인 핵산의 연속적인 화학반응으로 합성한다. 따라서 올리고뉴클레오티드 이전에 단량체 원료 생산 역량을 갖고 있었다. 핵산, 즉 뉴클레오시드 계열의 약물인 항바이러스 치료제 API 및 중간체 원료의약품 공급은 동사의 주요 사업 중 하나이다. 예를 들어, Gilead의 Sofosbuvir, GSK의 Azidothymidine +Zidovudine, Novartis의 Telbivudine 등을 생산하여 납품한 바 있다.

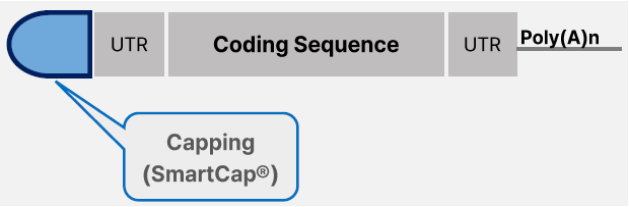
동사는 STLNP라는 LNP 플랫폼도 보유하고 있다. 독자적인 플랫폼 확보를 위해 4 개의 이온화 지질에 대한 특허를 확보하였고, 2개의 LNP 제형(STL1244, STL3004)에 대한 소유권도 확보해 둔 상태이다. STLNP는 GLP-tox 시험으로 낮은 독성을 확인하였고, -80℃에서도 안정성을 갖는다. 아직 Human data는 없지만 RNA 치료제 시장이 성장하는 만큼 전달체의 필요성도 높아지고 있으니, 함께 data를 쌓아 나갈 파트너십이 등장하길 기대해 본다. 한편, '22년 북미 소재의 글로벌 mRNA 신약 개발사와 177억원 규모의 LNP용 지질 공급 계약을 체결한 바 있고, 현재 납기일 완료된 상태이다.

도표 10. '5-Cap을 포함한 mRNA 구조



자료: Takara 홈페이지

도표 11. mRNA 플랫폼 기술인 Smart Cap의 도식



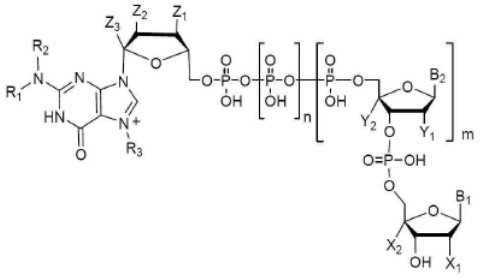
자료: 에스티팜(2025.12)

도표 12. Smart Cap 관련 등록특허 KR10-2366490

청구항 1

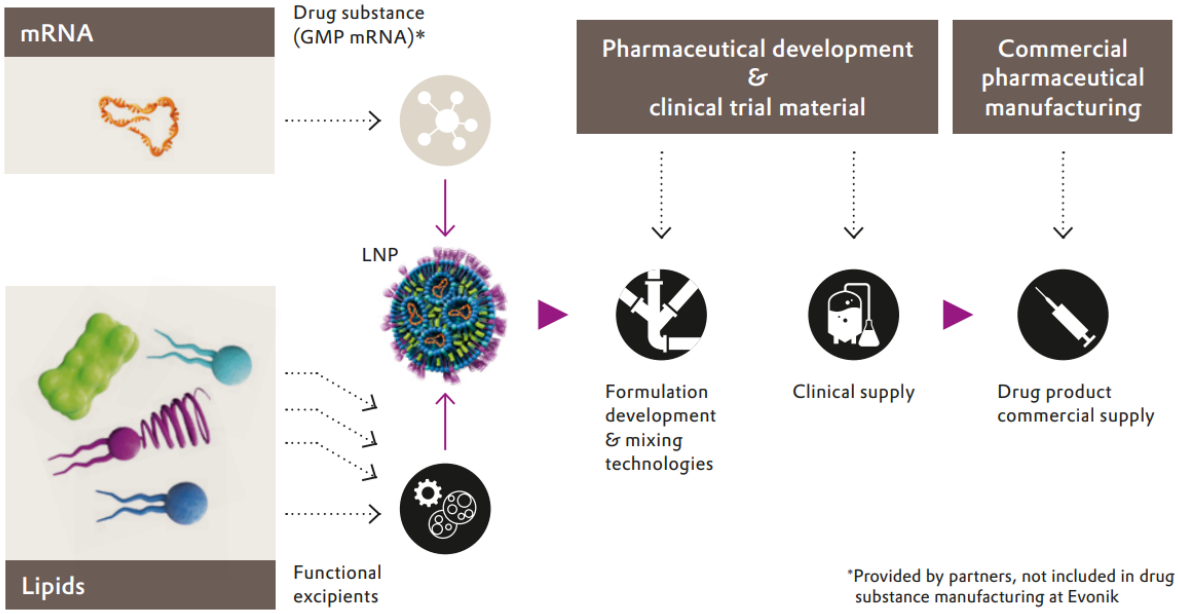
하기 화학식 1로 표시되는 RNA 캡핑용 올리고뉴클레오티드 프라이머 화합물,

[화학식 1]



주: 청구항 1의 일부로서, 각 치환기에 대한 정의는 생략함
자료: KIPRIS

도표 13. Evonik의 mRNA-LNP 제형화 관련 서비스



자료: Evonik

4) 신약 개발: STP-0404 (Pirmitegravir)

기존 HIV 치료제와 차별화 된 메커니즘 보유하여 내성 및 병용에 적합

동사는 '24년까지는 COVID19 백신, 항암제 등 다양한 신약 개발을 시도하였으나, 현재 STP-0404 (Pirmitegravir)에만 집중하는 분위기이다. Pirmitegravir는 동사가 자체 개발한 ALLINI(Allosteric integrase inhibitor) 기반의 경구제 HIV-1 치료제이다. HIV-1 integrase는 바이러스 RNA 게놈과 결합한 상태로 존재하고, 바이러스의 성숙 과정에서 중요한 역할을 한다. ALLINI는 integrase의 비정상적인 응집을 유도하여 바이러스 내에서 정상적인 위치로부터 벗어나도록 (정위치상실, mislocalization) 한다. 바이러스는 이 과정을 통해 비감염성으로 바뀌게 된다.

에이즈의 만성질환화와 내성화로 인해 새로운 기전에 대한 요구가 높아지고 있으나, '25년 레나카파비르 승인을 제외하고 10년 이상 새로운 기전의 약물이 부재한 상황이다. STP-0404는 ALLINI 기전으로는 유일하게 임상 중이므로 First-in-Class로 자리잡을 가능성이 높다. 글로벌 HIV-1 치료제 시장 규모는 '24년 기준 $32.8bn이고 주요 상업화 약물의 '25년 매출은 빅타비 $14.3bn(YoY+7.4%), 데스코비 $2.8bn(YoY+30.5%)으로 꾸준한 매출 성장률을 보여주고 있다. 트루바다는 '20년 이후 특허 만료되면서 매출이 급락하여 별도로 공개되지 않는 상태이다.

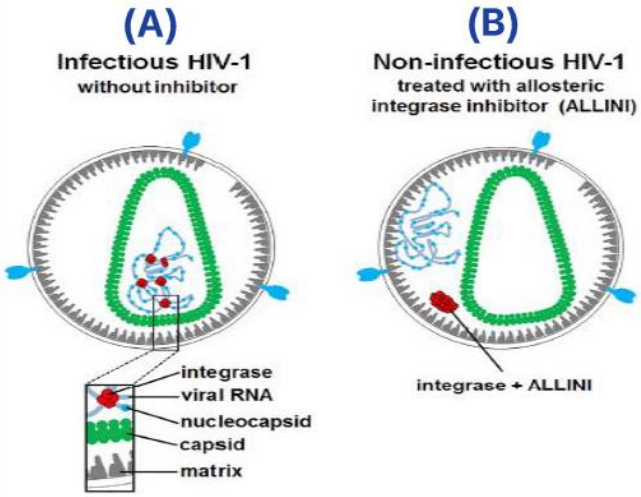
임상2a 진행 중, 최종 결과 2H26에 발표 전망

현재 Pirmitegravir는 임상2a상 진행 중이다. 3개의 용량에 대한 cohort로 단독 투여로써, '25년 10월에 중간 결과를 발표한 바 있다. 1일1회 경구투여 후 11일차 HIV-1 RNA 감소량을 측정한 결과, 평균 감소치는 통계적 유의성을 만족하며 -1.191 ~ -1.552 log10 copies/mL(15.52 ~ 35.65배 감소)이었다. 미국 식품의약국(FDA) HIV-1 감염 치료 가이드라인에 따르면 HIV-1 RNA 수준이 ≥0.5 log10 copies/mL 감소되면 1차 효능 지표를 충족한 것으로 보고 있다. 한편 경쟁 약물 중 하나인 DrugA (Fostemsavir, BMS-663068 추정)는 -1.7 ~ -1.9, DrugB(GSK3640254 추정) -2.00 ~ -0.92였다. 안전성은 16 건의 이상반응이 관찰되었으나, 약물과 관련된 반응은 3건이었고 모든 이상반응이 임상 중 회복되었으며, SAE나 치료 중단 사례는 없었다. 임상 결과가 경쟁 약물 대비 우수해 보이지 않을 수 있으나, 아직은 중간 용량인 400mg까지 발표한 것으로 고용량인 600mg 결과가 남아 있다. 또한 Pirmitegravir의 경쟁 약물과의 차이점은 다른 기전에 따라 활성을 나타내기 때문에, 기존 약물에 대한 내성 환자나 기존 약물과의 병용 투약하기 적합한 성질을 갖는다.

임상2a상 최종 결과는 data 취합과 평가 등에 소요되는 시간을 고려하여 3Q26 정도 발표할 수 있을 것으로 보인다 (임상 종료 예정일은 2026-04-30). 임상2b상은 파트너십을 통해 진입할 계획이니, 우수한 결과 발표를 확인한다면 기술이전 이벤트도 기대할 수 있을 것이다.

도표 14. STP-0404의 메커니즘 도식

A: HIV 내 ingegrase의 정위치
B: ALLINI에 의해 integrase가 정위치를 상실한 모습



자료: kessle et al. (2016), 에스티팜 (2025.12)

3. 매출 전망 및 Valuation

1) 올리고뉴클레오티드 상업화 물량 증가로 이익 안정화 전망

'26년 매출액 YoY+25.5%
이익 +33.2% 성장 전망

동사는 올리고뉴클레오티드의 상업화 물량의 증가, '25년 수차례 대규모 저분자화합물 수주 계약, CAPA 확보로 인한 공급 안정성 등에 기반하여, '26년 올리고 사업 부분의 두 자릿수 성장(23.5% 추정)과 저분자화합물도 91.9% 이상 정장할 것으로 전망된다. 한편 제네릭은 중국 생산에 대비 가격 경쟁력 약화로 생산량을 늘리지 않을 전망이다 ('25년과 유사한 매출 수준 유지할 것으로 추정).

동사는 '25년 3분기부터 가동한 제2올리고동의 영향으로, phase 1에 적용된 1,181억원이 연간 약 70억원 수준의 감가상각비가 이익 차감 계정으로 반영된다. 이후 '28년경 phase 2가 완공 및 가동되면 당초의 예산 수준(phase 1, 2 포함 1,500억원)으로 증가하며 그에 따른 감가상각비는 소폭 더 증가할 것이다. 또한 올해는 신약인 STP-0404(Pirmitegravir)의 임상 종료에 따른 CRO 비용(Top line 나오는 시점인 3Q26 추정)으로 인한 1회성 비용도 예상된다. 그러나 마진이 높은 올리고뉴클레오티드 CDMO 비중이 높아짐에 따라 이러한 고정적 일시적 비용 상승에도 불구하고 전체 사업의 이익률은 상승할 것으로 전망된다.

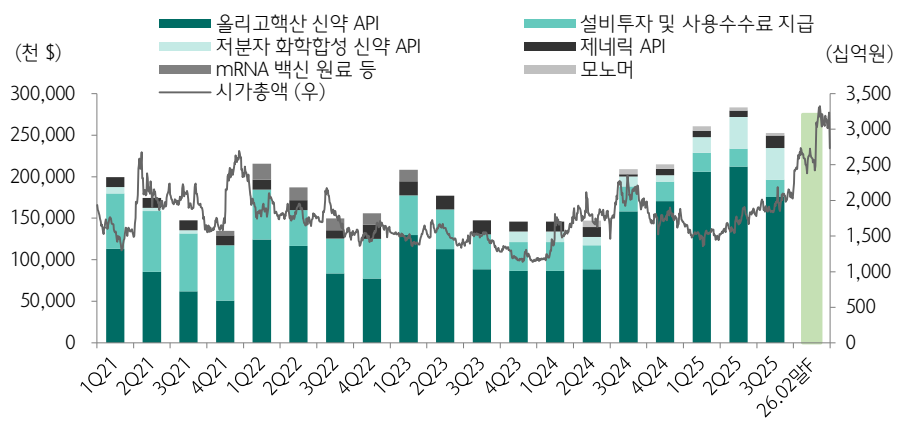
1Q26 매출액과 이익은
계절성 영향을 받을 것이나
성장 추세는 이어 나갈 것

4Q25 실적 발표에 따르면 '25년 12월 말 기준, 총 수주잔고는 약 3,000억원 이상(1,450원/달러)인데, '26년 1월 830억원 규모의 올리고 API 신규 수주를 발표하였으니, 현재 수주잔고는 3,830억원 이상(미공개 수주와 납품한 물량은 동일하다고 가정)으로 추정되어, 분기별 잔고 중 역사적 가장 높은 수준을 유지하고 있는 것으로 파악된다.

동사는 1분기에 보통 실적이 부진한 편이었는데, 주요 고객사가 유럽이고 유럽은 대체로 크리스마스 시즌부터 장기 휴가에 들어가다 보니 수주나 개발이 모두 속도가 부진한 편이기 때문이다. 그러나 올해는 상업화 물량의 비중이 크게 늘어난 상태이므로, 이러한 계절적 요인의 영향력이 줄어들 전망이다. 아직은 상업화된 제품의 수와 매출 규모가 크지 않으므로, 우리는 1Q26 매출액 756억원(YoY+44.2%, QoQ-41.4%), 영업이익 92억원(YoY+793.2%, QoQ-65.3%)일 것으로 추정한다.

도표 15. 분기별 누적 수주잔고 및 시가총액

'26년 2월 말 기준 수주 잔고
약 3,850억원 이상 추정



자료: Dart, 하나증권

단기적으로는 이익 상승, 3년 후 급격한 매출 성장 전망 장기 투자 강력 추천 종목

트럼프 집권 시기에 중국을 견제하는 분위기가 계속 내재되어 있어 그 수혜가 예상되면서도, 관세 부과에 따른 리스크도 존재한다. 이미 다른 CDMO 기업에서도 확인할 수 있는 바와 같이, 관세 리스크는 빅파마들의 약가 인하와 함께 면제되거나 실질적인 영향은 없는 상황이다. 관세가 실제로 부과되더라도, 바이오의약품은 품질 이슈가 특히 중요하기 때문에 주요 매출처인 올리고뉴클레오티드 수주에 미치는 영향은 적을 것으로 판단한다.

또한 아직 초기 임상 단계이긴 하나 기존 고객이 대부분 ASO였던 것에서 최근 siRNA 수주 고객이 증가하는 추세이고, 새로운 유전자치료제 modality에 대한 생산력도 키워 나가고 있다. 이 고객들이 초기 임상을 수행하는 당장의 1~2년 내 매출 기여도는 높지 않을 것이나, 후기 임상 진입 이후 상업화까지 성공한다면, 누적 효과로 3년 후(28년~) 부터 이익이 급성장하는 구간이 관찰될 것으로 전망된다. 따라서 동사는 단기적으로는 상업화 물량 비중 증가로 인한 이익 개선세, 장기적으로는 J커브 형태의 매출과 이익의 급성장을 기대할 수 있어 안정적인 우상향을 기대하며 투자하기에 매우 적합한 종목이라는 판단이다.

2) 연결 회사의 매출도 회복 중

바이오텍들의 자금 조달 활성화 CRO 사업도 활성화 될 것

동사는 자회사로 스위스 바젤 소재의 CRO 기업인 ANAPATH를 지분 78.65% (3Q25 공시 기준) 보유하고 있다. 팬데믹 이후 급격한 금리 상승 분위기에 전 세계적으로 바이오텍이 자금 조달난을 겪으면서 파산하거나 임상 시험 수를 줄이자, CRO 매출도 급격하게 감소하였다. 그러나 '25년부터 R&D가 다시 활성화되기 시작하였고, 그에 따라 분기 매출액이 점차 증가세를 보이고 있다. 4Q25 매출은 129억원으로 최근 3개년 간 가장 높은 분기 매출을 달성하였고, QoQ 증가세가 꾸준히 이어지고 있다. 2025년 연간 매출로 383억원을 달성하여 YoY+29.2% 성장하였고, 이러한 분기 및 연간 성장세를 보아 '26년에도 연결 기준 매출 성장에 기여를 할 것으로 기대된다.

3) 전환사채 소진 현황

사실상 남은 오버행은 1.4%

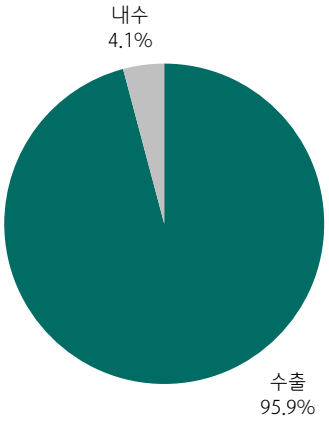
전환사채는 2020년에 발행한 1회차의 경우 모두 2025년 9월 전환하여 현재 남아있지 않다. 전환 시점을 고려하면 모두 매도하였을 것으로 추정된다. 남은 전환사채는 2023년8월에 발행한 제2회차로, 전환가액은 79,648원, 미상환 총액 597억원 수준, 오버행 3.5% 수준이다. 그러나 전환가액이 현재 주가에 비해 현저히 낮은 상태이고, 회사가 약 250억원의 콜옵션을 행사한다면, 사실상 남은 오버행은 1.8% 수준인 것으로 파악된다.

도표 16. 전환사채 현황

회차	발행일	전환청구 가능일	최근 조정된 전환가액	미상환 총액	전환 가능 주식 수(주)	오버행	비고
1회	2020.12.11	2021.12.11~2025.11.11	68,729	0원	0	0%	2025.09.08 전액 전환 청구509,246주 (2.53%)
2회	2023.08.09	2024.08.09~2028.07.09	79,648	597억원	749,236	1.80%	오버행은 콜옵션(약 300억원) 행사를 가정함, 현재 Put 행사 이익은 없음

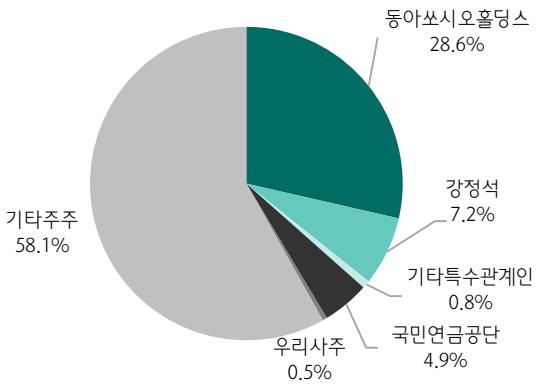
자료: Dart, 하나증권

도표 17. 에스티팜 내수 및 수출 비중 (3Q25 공시 기준)



자료: Dart, 하나증권

도표 18. 에스티팜 주주현황



주: 전환사채 청구권 행사 가정 시 기타주주 559,914주 추가 발행
자료: Dart, 하나증권

도표 19. 에스티팜 종속기업 현황

(단위: 백만원)

기업명	지분율	총자산	당기 순손익
STP America Research, Corp	100%	4,675	-4,702
ANAPATH SERVICES GMBH	78.65%	13,788	138

주: 2024년 사업보고서 기준
자료: Dart, 하나증권

도표 20. 분기별 실적 전망

	1Q25	2Q25	3Q25	4Q25	1Q26F	2Q26F	3Q26F	4Q26F	2025	2026F	2027F
매출액(연결)	**52.4**	**68.3**	**81.9**	**129.0**	**75.6**	**97.1**	**95.8**	**147.7**	**331.6**	**416.2**	**510.2**
YoY(%)	*1.4%*	*53.1%*	*32.7%*	*11.4%*	*44.2%*	*42.3%*	*17.0%*	*14.5%*	*21.1%*	*25.5%*	*22.6%*
QoQ(%)	*-54.7%*	*30.2%*	*20.0%*	*57.5%*	*-41.4%*	*28.5%*	*-1.4%*	*54.1%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
매출액(별도)	**44.7**	**59.8**	**72.6**	**116.1**	**67.1**	**87.8**	**85.6**	**133.5**	**293.2**	**374.0**	**437.7**
YoY(%)	*1.5%*	*77.8%*	*26.9%*	*6.3%*	*50.0%*	*46.9%*	*17.9%*	*15.0%*	*20.1%*	*27.6%*	*17.0%*
QoQ(%)	*-59.0%*	*33.7%*	*21.4%*	*59.9%*	*-42.2%*	*30.9%*	*-2.6%*	*56.0%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
올리고	**37.6**	**43.5**	**68.6**	**87.9**	**50.6**	**71.9**	**74.3**	**96.6**	**237.6**	**293.4**	**349.3**
YoY(%)	*8.9%*	*83.0%*	*92.9%*	*6.9%*	*34.5%*	*65.4%*	*8.3%*	*9.8%*	*35.0%*	*23.5%*	*19.0%*
QoQ(%)	*-54.3%*	*15.7%*	*57.7%*	*28.2%*	*-42.5%*	*42.3%*	*3.3%*	*30.0%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
상업화	32.4	37.2	34.1	70.6	39.9	54.4	54.2	68.5	174.3	217.1	272.2
YoY(%)	*312.7%*	*184.1%*	*15.1%*	*12.3%*	*23.1%*	*46.3%*	*58.9%*	*-2.9%*	*53.7%*	*24.5%*	*25.4%*
QoQ(%)	*-48.4%*	*14.6%*	*-8.3%*	*106.9%*	*-43.4%*	*36.3%*	*-0.4%*	*26.4%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
임상단계	5.1	6.3	34.5	17.4	10.6	17.5	20.1	28.1	63.3	76.3	77.0
YoY(%)	*-80.7%*	*-41.1%*	*482.0%*	*-10.3%*	*106.0%*	*178.0%*	*-41.7%*	*61.7%*	*1.1%*	*20.5%*	*0.9%*
QoQ(%)	*-73.4%*	*22.3%*	*447.9%*	*-49.7%*	*-38.9%*	*65.0%*	*14.9%*	*39.6%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
Small molecule	1.1	6.7	0.1	18.4	9.2	8.2	4.1	28.9	26.3	50.5	58.1
YoY(%)	*-73.6%*	*312.2%*	*-99.1%*	*69.1%*	*700.6%*	*23.2%*	*4956.2%*	*57.2%*	*2.4%*	*91.9%*	*15.1%*
QoQ(%)	*-89.4%*	*479.8%*	*-98.8%*	*22476.3%*	*-50.0%*	*-10.8%*	*-49.8%*	*602.1%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
mRNA	0.6	0.7	1.4	0.4	0.8	0.8	0.9	0.7	3.1	3.2	3.1
YoY(%)	*1184.9%*	*177.0%*	*82.2%*	*0.4%*	*35.0%*	*17.3%*	*-38.5%*	*67.2%*	*107.8%*	*2.5%*	*-0.4%*
제네릭API	5.3	8.9	2.4	9.0	6.4	6.7	6.1	7.1	25.6	26.3	26.5
YoY(%)	*5.5%*	*19.7%*	*-79.9%*	*-40.7%*	*20.2%*	*-24.9%*	*153.6%*	*-21.6%*	*-35.4%*	*2.5%*	*0.8%*
정밀화학 등	0.0	0.0	0.1	0.3	0.1	0.2	0.1	0.2	0.5	0.6	0.7
YoY(%)	*-47.6%*	*-90.6%*	*-5708.7%*	*-22.7%*	*205.7%*	*297.0%*	*46.4%*	*-42.9%*	*-50.7%*	*26.7%*	*6.6%*
매출액(연결기업)	**7.7**	**8.4**	**9.3**	**12.9**	**8.5**	**9.3**	**10.2**	**14.2**	**38.3**	**42.2**	**72.5**
CRO 등	7.7	8.4	9.3	12.9	8.5	9.3	10.2	14.2	38.3	42.2	72.5
YoY(%)	*0.7%*	*-22.9%*	*106.9%*	*95.8%*	*10.0%*	*10.0%*	*10.0%*	*10.0%*	*29.2%*	*10.0%*	*71.8%*
QoQ(%)	*16.8%*	*9.7%*	*9.9%*	*38.9%*	*10.0%*	*10.0%*	*10.0%*	*10.0%*	*0.0%*	*0.0%*	*0.0%*
연결조정	0.0	0.0	(0.0)	0.0	(0.0)	(0.0)	(0.0)	(0.0)	(0.0)	(0.0)	(0.0)
매출원가	**33.2**	**36.2**	**44.9**	**81.2**	**45.9**	**60.0**	**60.1**	**85.0**	**195.5**	**251.0**	**300.0**
YoY(%)	*1.3%*	*23.6%*	*14.5%*	*6.3%*	*38.4%*	*65.7%*	*33.8%*	*4.7%*	*10.1%*	*28.4%*	*19.5%*
원가율(%)	63.2%	53.1%	54.8%	62.9%	60.7%	61.8%	62.8%	57.5%	59.0%	60.3%	58.8%
매출총이익	**19.3**	**32.0**	**37.0**	**47.8**	**29.7**	**37.1**	**35.7**	**62.7**	**136.1**	**165.2**	**210.2**
YoY(%)	*1.4%*	*109.5%*	*64.6%*	*21.3%*	*54.1%*	*15.9%*	*-3.5%*	*31.1%*	*41.5%*	*21.4%*	*27.3%*
GPM(%)	36.8%	46.9%	45.2%	37.1%	39.3%	38.2%	37.2%	42.5%	41.0%	39.7%	41.2%
판관비	**18.2**	**19.1**	**22.3**	**21.4**	**20.5**	**22.4**	**22.4**	**26.4**	**81.0**	**91.8**	**99.9**
YoY(%)	*6.5%*	*4.1%*	*35.9%*	*28.7%*	*12.6%*	*17.3%*	*0.8%*	*23.6%*	*18.3%*	*13.4%*	*8.8%*
판관비율(%)	34.8%	28.0%	27.2%	16.6%	27.2%	23.0%	23.4%	17.9%	24.4%	22.1%	19.6%
영업이익	**1.0**	**12.9**	**14.7**	**26.4**	**9.2**	**14.7**	**13.3**	**36.2**	**55.1**	**73.4**	**110.4**
OPM(%)	2.0%	18.9%	18.0%	20.5%	12.1%	15.2%	13.8%	24.5%	16.6%	17.6%	21.6%
당기순이익	**0.7**	**5.4**	**17.5**	**31.0**	**0.2**	**6.0**	**4.4**	**31.4**	**54.5**	**42.0**	**86.0**
YoY(%)	*-86.9%*	*491.7%*	*27.5%*	*148.9%*	*-71.5%*	*12.7%*	*-74.9%*	*1.4%*	*67.9%*	*-22.9%*	*104.7%*

자료: 하나증권

4) 목표주가 210,000원, 투자의견 BUY

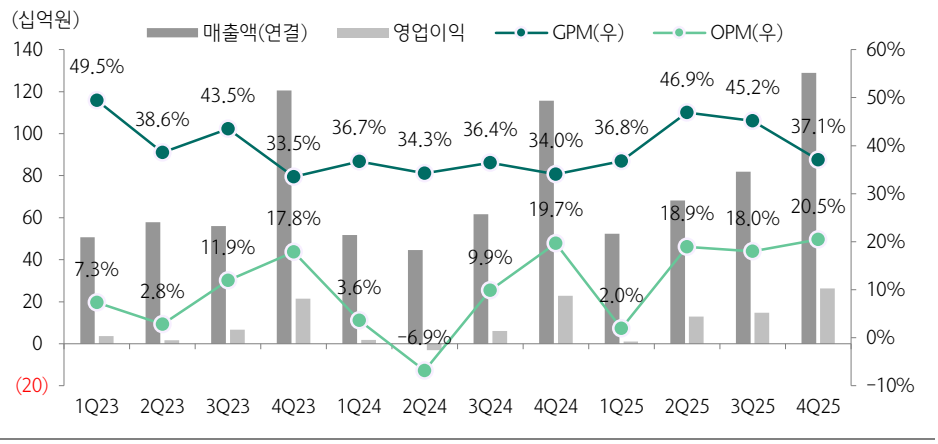
프리미엄 없이 보수적 추정 분기별 서프라이즈에 따라 Upside 충분, 단기적으로는 대형 수주 공시가 주가 upside 될 것

동사는 올리고 상업화 매출이 부각되면서 이미 '25년부터 영업이익률 안정화 동향이 확인되었고, '26년은 일반 질환(중증고지혈증, 6월30일 FDA 승인 예상)에 대한 상업화 생산이 본격적으로 활성화됨에 따라 이익률 안정화 추세는 이어질 전망이다. 연간으로 보았을 때, '27년과 '28년에도 동맥경화증, 만성B형간염 등 신규 프로젝트의 상업화 성공에 따라 누적적인 매출 성장과 이익률 증가를 기대할 수 있다.

원가율과 판관비를 분기별 추세에서 더 보수적으로 가정하여 추정하였음에도 '28년이면 OPM 25%에 도달할 것으로 전망된다. '26년 각 분기별로 실제 값이 지금의 보수적 추정과 달리 서프라이즈를 이어간다면, '28년 OPM 30%가까이 도달할 수 있다는 전망이다. 단기적으로는 대형 수주 계약 공시가 주가 업사이드 요소가 될 것이다. 유전자치료제 시장이 성장할 것이라는 점은 분명하고, 동사는 글로벌 생산자 Top 플레이어로서의 지위를 유지하고 있으므로, 단기적, 장기적으로도 추천 종목으로서 아주 매력적이다.

2Q25부터 OPM 안정화

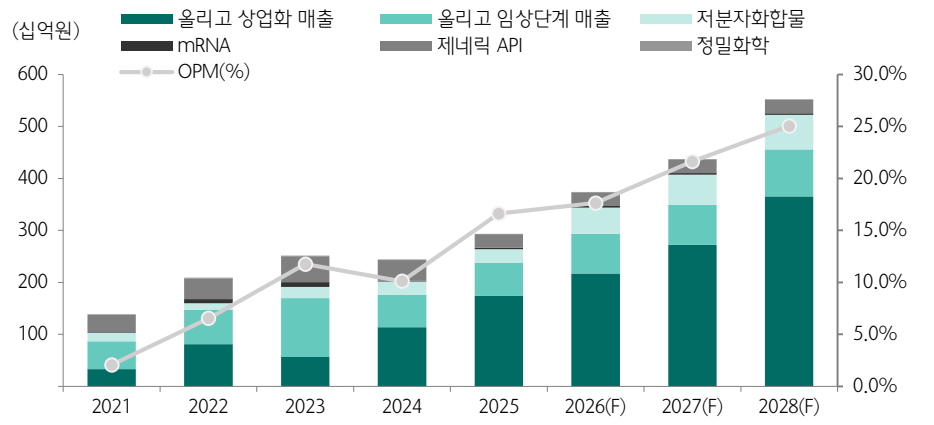
도표 21. 분기별 누적 수주잔고 및 시가총액



자료: Dart, 하나증권

올리고 상업화 매출 증가 따라 영업이익률 개선 확인

도표 22. 에스티팜 사업부별 매출 및 영업이익률 추이



자료: Dart, 하나증권

도표 23. 에스티팜 매출 DCF

		2025	2026(F)	2027(F)	2028(F)	2029(F)	2030(F)	2031(F)	2032(F)
별도 총 매출액		**293.1**	**373.9**	**437.6**	**552.7**	**676.9**	**830.0**	**1,026.2**	**1,271.7**
올리고 상업화 매출		174.3	217.1	272.2	365.3	467.7	598.8	766.6	981.6
YoY%		*53.7%*	*24.5%*	*25.4%*	*34.2%*	*28.0%*	*28.0%*	*28.0%*	*28.0%*
올리고 임상단계 매출		63.3	76.3	77.0	90.8	102.7	113.6	129.4	145.7
YoY%		*1.1%*	*20.5%*	*0.9%*	*17.9%*	*13.1%*	*10.7%*	*13.9%*	*12.6%*
저분자화합물		26.3	50.5	58.1	66.4	75.8	86.6	98.9	113.0
YoY%		*2.4%*	*91.9%*	*15.1%*	*14.2%*	*14.2%*	*14.2%*	*14.2%*	*14.2%*
mRNA		3.1	3.2	3.1	3.1	3.2	3.2	3.2	3.2
YoY%		*107.8%*	*2.5%*	*-0.4%*	*-0.3%*	*0.6%*	*0.0%*	*0.1%*	*0.2%*
제네릭 API		25.6	26.3	26.5	26.5	26.8	27.0	27.2	27.4
YoY%		*-35.4%*	*2.5%*	*0.8%*	*0.2%*	*1.1%*	*0.7%*	*0.7%*	*0.8%*
정밀화학		0.5	0.6	0.7	0.7	0.7	0.8	0.8	0.9
YoY%		*-50.7%*	*26.7%*	*6.6%*	*0.4%*	*11.2%*	*6.1%*	*5.9%*	*7.7%*
연결대상기업 매출		**38.3**	**42.2**	**72.5**	**106.1**	**151.4**	**232.6**	**343.4**	**508.2**
YoY%		*29.2%*	*10.0%*	*71.8%*	*46.4%*	*42.7%*	*53.6%*	*47.6%*	*48.0%*
EBIT		55.1	73.4	110.4	163.5	215.8	287.5	384.2	517.1
YoY%		*98.9%*	*33.2%*	*50.4%*	*48.2%*	*32.0%*	*33.2%*	*33.6%*	*34.6%*
OPM%		*16.6%*	*17.6%*	*21.6%*	*25.1%*	*26.1%*	*27.1%*	*28.1%*	*29.1%*
- EBIT에 대한 세금		*6.9*	*15.4*	*23.2*	*34.3*	*45.3*	*60.4*	*80.7*	*108.6*
- CAPEX		*56.4*	*39.0*	*36.9*	*37.3*	*37.7*	*38.1*	*38.4*	*38.8*
- 순운전자본 증가(감소)		*9.3*	*9.9*	*8.4*	*8.5*	*8.6*	*8.7*	*8.8*	*8.9*
+ 감가상각비		*28.9*	*33.1*	*33.3*	*33.7*	*34.0*	*34.3*	*34.7*	*35.0*
+ 무형자산상각비		*1.6*	*2.3*	*2.9*	*2.9*	*2.9*	*3.0*	*3.0*	*3.0*
FCFF		**12.9**	**44.4**	**78.0**	**120.0**	**161.2**	**217.7**	**294.0**	**398.9**
WACC	7.8%								
영구성장률	3.4%								
할인된 현금흐름			41.2	67.1	95.7	119.3	149.5	187.3	235.8
Adjusted Index	*100%*								
Adjusted 할인된 현금흐름			**41.2**	**67.1**	**95.7**	**119.3**	**149.5**	**187.3**	**235.8**
Sum of PV of FCFF	**896.0**								
Terminal Value	5,506.8								
PV of Terminal Value	**3,254.4**								
영업가치	**4,150.5**								

자료: 하나증권

도표 24. 에스티팜 SOTP Valuation

(단위: 십억원)

구분	가치	비고
에스티팜 영업가치 (A)	4,150.5	
순현금 (B)	7.1	25F 순현금
주주가치 (=A+B)	4,157.6	
발행 주식 수 ㈜	20,776,700	
적정 주가	**210,000**	(원) 만원 미만 절상
현재 주가	160,000	(원)
상승여력	**31.3%**	

자료: 하나증권

추정 재무제표

손익계산서 (단위:십억원)

	2023	2024	2025F	2026F	2027F
매출액	**285.0**	**273.8**	**331.6**	**416.2**	**510.2**
매출원가	172.9	177.6	195.5	251.0	300.0
매출총이익	112.1	96.2	136.1	165.2	210.2
판관비	78.6	68.5	81.0	91.8	99.9
영업이익	**33.5**	**27.7**	**55.1**	**73.4**	**110.4**
금융손익	(10.3)	16.7	4.4	7.4	8.2
종속/관계기업손익	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
기타영업외손익	0.2	(1.7)	(0.6)	(0.6)	(0.6)
세전이익	**23.4**	**42.7**	**58.9**	**80.1**	**117.9**
법인세	5.8	10.3	7.4	16.8	24.8
계속사업이익	17.5	32.5	51.5	63.3	93.1
중단사업이익	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
당기순이익	**17.5**	**32.5**	**51.5**	**63.3**	**93.1**
비지배주주지분 순이익	(2.1)	(2.2)	(0.7)	(0.4)	(0.6)
지배주주순이익	**19.6**	**34.7**	**52.2**	**63.7**	**93.7**
지배주주지분포괄이익	21.2	34.5	53.2	63.6	93.6
NOPAT	25.1	21.0	48.2	58.0	87.2
EBITDA	56.5	53.3	85.5	108.7	146.6
성장성(%)					
매출액증가율	14.32	(3.93)	21.11	25.51	22.59
NOPAT증가율	53.99	(16.33)	129.52	20.33	50.34
EBITDA증가율	59.15	(5.66)	60.41	27.13	34.87
영업이익증가율	87.15	(17.31)	98.92	33.21	50.41
(지배주주)순익증가율	8.89	77.04	50.43	22.03	47.10
EPS증가율	8.78	70.99	44.16	19.52	47.08
수익성(%)					
매출총이익률	39.33	35.14	41.04	39.69	41.20
EBITDA이익률	19.82	19.47	25.78	26.12	28.73
영업이익률	11.75	10.12	16.62	17.64	21.64
계속사업이익률	6.14	11.87	15.53	15.21	18.25

대차대조표 (단위:십억원)

	2023	2024	2025F	2026F	2027F
유동자산	**348.4**	**330.1**	**318.7**	**347.0**	**414.6**
금융자산	90.1	120.9	87.5	88.5	118.0
현금성자산	50.1	63.4	4.3	3.8	30.6
매출채권	120.6	67.8	75.6	86.6	105.4
재고자산	120.7	127.0	139.7	153.6	169.0
기타유동자산	17.0	14.4	15.9	18.3	22.2
비유동자산	**327.1**	**391.8**	**430.4**	**446.7**	**462.1**
투자자산	20.8	25.7	28.9	31.6	36.2
금융자산	20.8	25.7	28.9	31.6	36.2
유형자산	277.0	336.1	366.3	372.2	375.8
무형자산	**13.5**	**16.5**	**26.2**	**33.9**	**41.0**
기타비유동자산	**15.8**	**13.5**	**9.0**	**9.0**	**9.1**
자산총계	**675.4**	**721.9**	**749.1**	**793.7**	**876.7**
유동부채	**83.7**	**133.3**	**134.0**	**121.8**	**115.4**
금융부채	30.6	73.4	76.1	56.2	36.3
매입채무	17.7	10.6	11.9	13.6	16.5
기타유동부채	35.4	49.3	46.0	52.0	62.6
비유동부채	**204.8**	**85.6**	**31.1**	**35.0**	**41.7**
금융부채	**179.5**	**61.5**	**4.3**	**4.3**	**4.3**
기타비유동부채	25.3	24.1	26.8	30.7	37.4
부채총계	**288.5**	**218.9**	**165.1**	**156.8**	**157.1**
지배주주지분	**384.5**	**503.1**	**584.7**	**638.1**	**721.4**
자본금	**9.4**	**10.1**	**10.3**	**10.3**	**10.3**
자본잉여금	225.9	315.6	352.7	352.7	352.7
자본조정	11.2	14.4	15.4	15.4	15.4
기타포괄이익누계액	2.3	3.7	4.6	4.6	4.6
이익잉여금	135.7	159.4	201.7	255.0	338.4
비지배주주지분	**2.4**	**(0.1)**	**(0.8)**	**(1.2)**	**(1.8)**
자본총계	**386.9**	**503.0**	**583.9**	**636.9**	**719.6**
순금융부채	120.0	14.0	(7.1)	(28.0)	(77.3)

투자지표

	2023	2024	2025F	2026F	2027F
주당지표(원)					
EPS	1,041	1,780	2,566	3,067	4,511
BPS	20,445	24,966	28,246	30,712	34,723
CFPS	3,626	3,984	4,616	5,560	7,418
EBITDAPS	3,006	2,731	4,208	5,235	7,055
SPS	15,152	14,036	16,313	20,039	24,556
DPS	500	500	500	500	500
주가지표(배)					
PER	65.13	49.94	46.45	48.52	32.99
PBR	3.32	3.56	4.22	4.85	4.29
PCFR	18.70	22.31	25.82	26.76	20.06
EV/EBITDA	24.72	33.86	28.76	28.16	20.55
PSR	4.47	6.33	7.31	7.43	6.06
재무비율(%)					
ROE	5.42	7.82	9.59	10.42	13.79
ROA	3.14	4.97	7.09	8.26	11.22
ROIC	6.61	4.85	9.95	11.17	16.14
부채비율	74.57	43.52	28.28	24.62	21.83
순부채비율	31.01	2.78	(1.21)	(4.39)	(10.74)
이자보상배율(배)	5.49	3.58	0.00	0.00	0.00

현금흐름표 (단위:십억원)

	2023	2024	2025F	2026F	2027F
영업활동 현금흐름	**1.3**	**109.5**	**110.1**	**92.6**	**127.6**
당기순이익	17.5	32.5	51.5	63.3	93.1
조정	48.6	40.3	32.9	35.3	36.3
감가상각비	23.0	25.6	30.4	35.4	36.2
외환거래손익	1.2	(2.7)	(1.0)	0.0	0.0
지분법손익	0.0	0.2	0.0	0.0	0.0
기타	24.4	17.2	3.5	(0.1)	0.1
영업활동자산부채변동	(64.8)	36.7	25.7	(6.0)	(1.8)
투자활동 현금흐름	**(82.4)**	**(86.5)**	**(86.4)**	**(53.2)**	**(54.3)**
투자자산감소(증가)	(2.5)	(2.9)	(3.1)	(2.7)	(4.7)
자본증가(감소)	(43.2)	(82.8)	(56.3)	(39.0)	(36.9)
기타	(36.7)	(0.8)	(27.0)	(11.5)	(12.7)
재무활동 현금흐름	**94.8**	**1.2**	**(55.1)**	**(30.2)**	**(30.2)**
금융부채증가(감소)	75.2	(75.2)	(54.5)	(19.9)	(19.9)
자본증가(감소)	30.2	90.3	37.4	0.0	0.0
기타재무활동	(1.2)	(4.5)	(27.9)	0.1	0.1
배당지급	(9.4)	(9.4)	(10.1)	(10.4)	(10.4)
현금의 증감	**13.7**	**24.1**	**(59.3)**	**(0.5)**	**26.8**
Unlevered CFO	68.2	77.7	93.8	115.5	154.1
Free Cash Flow	(41.9)	26.6	53.7	53.6	90.7

자료: 하나증권

2026년 03월 09일 | 기업분석_기업분석(Report)

올릭스 (226950)

우리 곁에 가장 가까운 유전자 치료제 개발 중

Not Rated

현재주가(3.06) **207,000원**

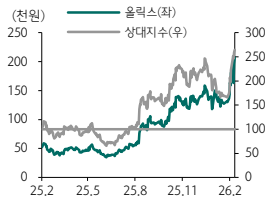
Key Data

KOSDAQ 지수 (pt)	1,154.67
52주 최고/최저(원)	207,000/34,800
시가총액(십억원)	4,179.3
시가총액비중(%)	0.66
발행주식수(천주)	20,189.9
60일 평균 거래량(천주)	613.7
60일 평균 거래대금(십억원)	86.9
외국인지분율(%)	9.87
주요주주 지분율(%)	
이동기 외 11 인	17.13

Consensus Data

	2025	2026
매출액(십억원)	N/A	N/A
영업이익(십억원)	N/A	N/A
순이익(십억원)	N/A	N/A
EPS(원)	N/A	N/A
BPS(원)	N/A	N/A

Stock Price



Financial Data (십억원, %, 배, 원)

투자지표	2020	2021	2022	2023
매출액	2	4	9	16
영업이익	(15)	(25)	(23)	(18)
세전이익	(19)	(31)	(21)	(19)
순이익	(18)	(30)	(20)	(20)
EPS	(1,362)	(2,196)	(1,292)	(1,184)
증감율	적지	적지	적지	적지
PER	(36.9)	(18.7)	(15.8)	(12.3)
PBR	14.0	27.0	5.0	4.9
EV/EBITDA	0.0	0.0	0.0	0.0
ROE	(36.9)	(144.3)	(29.6)	(39.2)
BPS	3,587	1,520	4,043	2,998
DPS	0	0	0	0

Analyst 김선아 seona.kim@hanafn.com
RA 유창근 changkeunyoo@hanafn.com

siRNA 기반 치료제 개발사로 일반 질환에 접근 중

올릭스는 유전자 치료제 중에서도 siRNA에 기반한 치료제를 개발한다. 주요 적응증은 MASH, 비만, 탈모, 비대흉터, 황반변성 등 시장성이 높은 일반 질환(common disease)이다. '25년 2월 Eli Lilly향 MASH/비만 치료제, 같은 해 6월 로레알과 피부 및 모발 관련한 공동연구개발 등을 체결하며 글로벌 시장의 관심과 기술의 우수성을 확인한 바 있다. 한소제약과 체결한 플랫폼 기술이전 계약에 기반하여 옵션이 3개까지 행사되었고, 1개의 옵션이 남아 있다. 한소제약은 개발속도가 다소 느린 편인데, '25년 4월에 마일스톤이 수령되었고 중국 내에서 siRNA 개발 경쟁이 고도화되고 있는 분위기라 올해부터 분위기가 다를 것으로 보인다. 회사는 간 타겟/국소 투여로부터 벗어나 적응증을 확대하기 위해, 지방세포를 직접 타겟하는 OLX501A 개발을 시작했고, '26년에만 BBB셔틀 개발사인 Key2Brain 및 Vect-Horus와 계약을 체결하여 향후 새롭게 공개될 파이프라인이 기대되는 바이다.

'26년 기대할만한 이벤트

올해 주요 임상 이벤트는 1) MASH/비만 치료제인 OLX702A의 호주 1상의 MAD까지의 투약을 하반기 중 완료하고, 중간 결과를 확인하는 것이 될 듯 하다. 최종 결과 확인 및 2상 진입은 '27년 상반기는 되어야 할 것이라는 판단이다. 임상의 순조로운 진행에 따른 Lilly로부터의 마일스톤 수령 이벤트도 기대된다. 2) 탈모치료제인 OLX104C도 호주 1b가 '26년 내 끝날 것으로 전망되며 빠르면 올해 말 최종 결과, 적어도 중간 결과 정도는 확인할 수 있을 것으로 보인다. 환자를 대상으로 안전성 평가 중이므로 efficacy가 관찰될지 여부도 기대된다. 3) 황반변성치료제 OLX301A는 Thea로부터 반환된 후 unmet needs가 훨씬 높은 GA에 대한 가능성에 기반해 새로운 파트너쉽을 시도하고 있다. 여기서 L/O가 나온다면 siRNA의 개발 가치가 더 높아지는 계기가 될 것이라는 판단이다. 4) 그 외 우리가 가장 기대하고 주목하는 부분은 Dual-siRNA 플랫폼에 관한 Lilly의 관심이다. MASH는 질환 타겟이 불명확하기 때문에 치료 난이도가 높은 질병이다. 그래서인지 저분자화합물과 펩타이드계는 병용이나 2중-3중 타겟으로 접근하고 있다. 그런 만큼 Dual-siRNA의 활용 가치가 높으니, 연내 Lilly향 소식을 기대할 만한 가치가 있다. 학회 참석이나 임상 발표 일정이 명확히 정해진 것은 아니나, BD 관련 행사 (Bio-Europe, Bio-USA 등)와 같은 파트너십을 논의할 수 있는 일정은 참석할 가능성이 높으니 관심을 가져보면 좋을 듯 하다. 특히 3월경 기업설명회가 있을 예정인데, 현재 진행 중인 임상들의 중간 결과와 관련한 회사의 설명이나 데이터 공개가 있을 것으로 보이니 참고하면 좋겠다.

1. 주요 기술 개요

1) siRNA 치료제에 집중

2018년부터 siRNA 개발에만 집중

올릭스는 2010년 설립되어, 2018년 코스닥 시장에 상장되었다. 설립 때부터 지금까지 꾸준히 자체 개발한 비대칭 siRNA(asiRNA) 플랫폼에 기반하여 siRNA계열 치료제를 개발하고 있다. 일반적인 modality인 small-molecule, 항체 등은 이미 발현된 단백질을 표적하는 반면, 유전자 치료제들이 그렇듯 siRNA는 단백질의 발현 단계에서 작동하기 때문에, 기존의 치료제와 구분된 장점을 갖는다.

siRNA(small interfering RNA)는 이중가닥 형태로, 두 개의 가닥 중 하나의 가닥만 mRNA에 직접 결합해 단백질의 발현을 저해한다. 구체적으로, 1) siRNA가 RISC(RNA-induced silencing complex) complex와 만나면 siRNA의 한 개 가닥은 분해하고, 남은 나머지 가닥이 표적 mRNA와 상보적으로 결합한다. 여기서 분해 되는 가닥은 passenger strand(sense strand), 남아서 mRNA에 결합하여 약물학적으로 작동하는 가닥을 guide strand(또는 antisense strand)로 정의한다. 2) guide strand는 mRNA와 결합하고 RISC complex를 이루는 Ago2 단백질이 그 결합한 mRNA를 인식하여 분해한다. 3) 표적 단백질을 발현하는 mRNA가 분해되기 때문에, 병인이 되는 단백질의 발현이 억제되어 치료 효과를 얻는다.

2) 자체 siRNA 플랫폼(비대칭 siRNA)에 기반하여 파이프라인 확대 중

비대칭 siRNA(asiRNA) 플랫폼 Off target 감소, 면역 반응 유발 최소화

올릭스의 siRNA는 비대칭으로 만들어 off-target 문제를 최소화한 것을 특징으로 한다. RISC는 siRNA 이중가닥 양끝단 중 결합력이 더 약한 끝부분을 확인하고 이중가닥을 벌린다. 벌려진 끝단에서 '5 end 쪽이 Guide strand(Antisense)가 되어 mRNA에 결합하고, 나머지 가닥은 Passenger strand(Sense)가 되어 분해된다. RNA를 이루는 염기는 서로 상보적인데, '5-end에 수소 결합이 2개를 형성하는 U/A 쌍이 있으면 guide strand가 되고, 수소 결합이 3개인 G/C 쌍이 있으면 더 결합력이 강하므로 passenger strand가 된다. 그런데 여기서 오류가 발생하여 passenger strand가 분해되지 않고 RISC에 탑재되는 경우 off-target이 발생할 수 있다. 따라서 올릭스는 비대칭 구조를 도입해 짧은 가닥이 passenger strand가 되도록 하여 빠르게 분해되도록 하고, 더 긴 가닥이 guide strand로서 RISC가 취할 수 있도록 설계하였다. 이러한 비대칭 구조를 도입함으로써 off-target 효과를 최소화할 수 있다. 또한 비대칭 구조의 한쪽 strand가 짧아 TLR3(Toll-like receptor 3)가 세포 내 이중가닥(일정 길이 이상이어야 인식)을 인식해 일어나는 비특이적 면역 반응을 최소화할 수 있다.

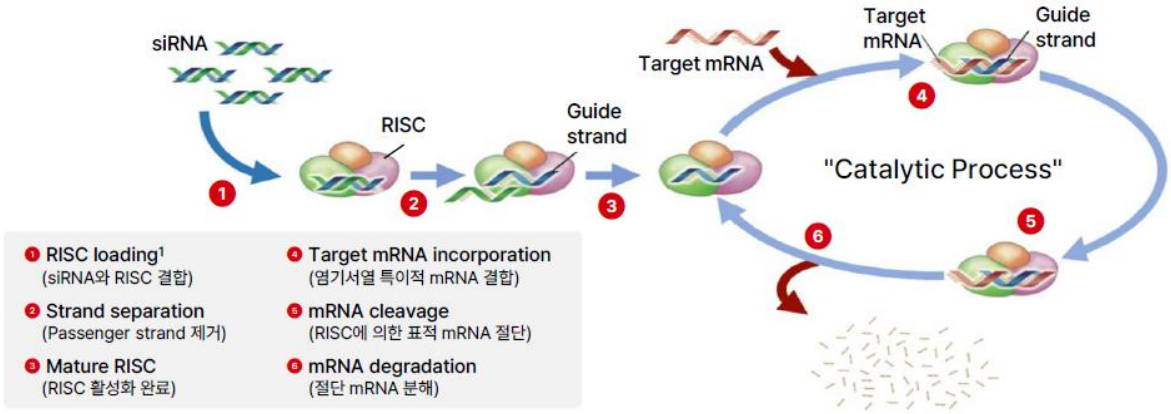
또한 올릭스는 자체 GalNAc linker를 개발하였고, 안정성을 향상시키기 위해 5'P 유사체를 도입하고 2' 변형을 최적화하였다. OLX702A 를 통해 확인한 바와 같이 1세대 플랫폼 기반 파이프라인도 충분한 인체 안전성을 갖고 있지만, 2세대 플랫폼에 기반하여 출시될 OXL501A와 같은 파이프라인은 더욱 표적성과 인체 안전성이 높을 것으로 기대된다.

3) 전달 방식: 간 특이적/ 국소 투여 구분

GalNAc 이용: 간 특이적
지질 모이어티 이용: 국소 투여

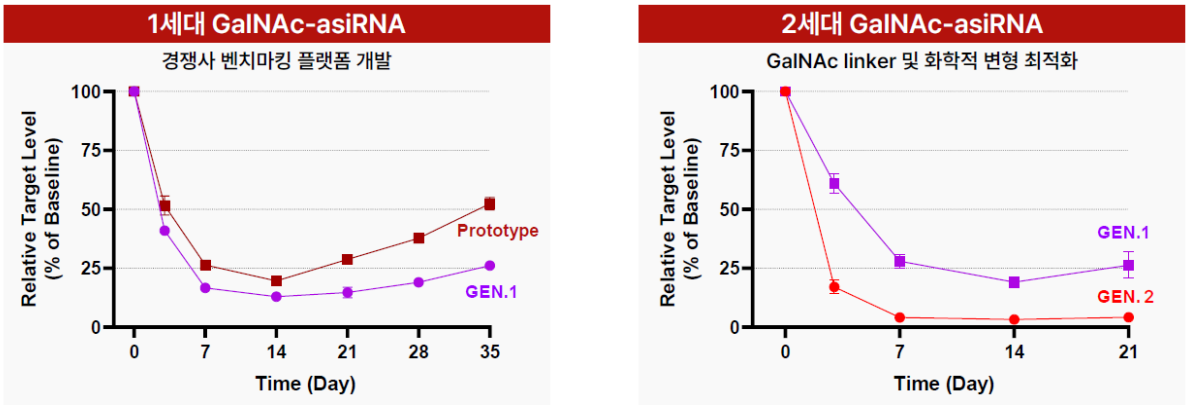
올릭스의 플랫폼은 비대칭 siRNA에 기반하되, 표적 세포 전달 방식으로 무엇을 적용했는지에 따라 크게 두 개로 구분된다. 국소 투여 플랫폼(cp-asiRNA, cell penetrating)은 지질 이중층을 이루는 세포막을 투과할 수 있도록 지질 친화성 (Lipophilic) 모이어티를 적용했고, 간 특이적 플랫폼은 GalNAc을 적용한다. GalNAc은 siRNA 개발사들이 약물전달을 위해 흔히 사용하는 방식이다. GalNAc은ASGPR (Asialoglycoprotein receptor)에 강하게 결합하는데, 이 ASGPR은 간세포 표면에 아주 높게 발현한다. 그러한 이유로 올릭스를 포함하여 대부분의 siRNA 개발사는 GalNAc을 사용하는 경우 간에서 약리학적 메커니즘이 작동하고, 전신적인 투여(SC, IV 등)가 가능하다. 반면, 지질 친화성 모이어티를 적용한 플랫폼은 조직 선택성이 없기 때문에 국소 투여(안구, 두피 등)해야 한다. 다만 올릭스는 각 조직 별로 가장 최적화되었으며 인체 안전성이 입증된 지질을 적용하여 지질 모이어티에 의한 안전성 이슈는 발생하지 않도록 파이프라인들을 설계하고 있다.

도표 1. siRNA 작동원리



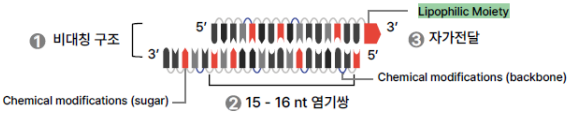
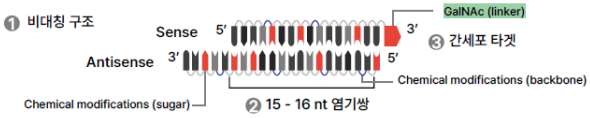
자료: 올릭스, 하나증권

도표 2. 올릭스의 GalNAc-asiRNA 플랫폼 변화



주: 벤치마킹 플랫폼은 Alnaylam의 ESC 플랫폼
자료: 올릭스, 하나증권

도표 3. 올릭스의 플랫폼 구분 (두 플랫폼 간 차이점은 녹색 하이라이트 참고)

		국소 투여 플랫폼 자가전달 비대칭 siRNA (cp-asiRNA)		간 특이적 GalNAc 플랫폼 GalNAc-asiRNA
구조				
특징		▪ 안전성 검증 (전달체에 의한 독성위험 회피 & 국소 투여로 전신 부작용 최소화) ▪ 유효성 경쟁력 검증 중 (피부, 안구 질환 등에 탁월 투여 경로 및 적합한 Lipid moiety 채택) ▪ 글로벌 라이선스 아웃 달성		▪ 안전성 검증 (오프 타겟 이슈 최소화 & 피하 투여로 간 특이적 전달) ▪ 유효성 경쟁력 검증 중 ▪ 글로벌 라이선스 아웃 달성 (Eli Lily, Hansoh)
파이프라인	임상	피부	안구	간
		▪ OLX101A (비대흉터) ▪ OLX104C (탈모)	▪ OLX301A (황반변성)	▪ OLX702A (MASH/비만)
	비임상		▪ OLX304C (망막색소변성증)	▪ OLX706A (심혈관 질환) ▪ OLX706B (대사성 질환) ▪ OLX706C (심혈관 질환) ▪ OLX702X (비만) ▪ OLX702R (고혈압)

자료: 올릭스, 하나증권

도표 4. 개발 중인 파이파이프라인 현황

	Program	Indication	Platform Development / Discovery / Animal POC / Preclinical / Clinical	Partnering status
Liver	OLX702A	대사이상 지방간염(MASH)/비만	(호주) 1상 진행 중	Eli Lilly (Global)
	OLX706A	심혈관 질환		Hansoh (Greater China)
	OLX706B	대사성 질환		
	OLX706C	심혈관 질환		
	OLX702X	비만		
	OLX702R	고혈압		
Skin	OLX104C	탈모	(호주) 1b/2a상 진행 중	
	OLX101A	비대흉터	(미국) 2a상 완료	
Eye	OLX301A	건성 황반변성 및 습성 황반변성	(미국) 1상 완료	
	OLX304C	망막색소변성증		
Adipocyte	OLX501A	비만		
Dual Targeting Platform		대사성 질환, 심혈관 질환, 비만 등		
CNS Targeting Platform		뇌신경 질환		

* 로레알(L'Oréal)과 피부 및 모발 재생 분야 파트너십 체결로 연구개발 진행 중 (구체적 협업 대상 비공개)

자료: 올릭스, 하나증권

2. 주요 파이프라인 개발 동향

1) OXL702A(MASH/비만): Eli Lilly 향 기술이전

Lilly의 옵션 행사 기대
Dual-siRNA로 개발할 경우
우선권+마일스톤 발생

이 파이프라인에 대해서는 2025년 2월 Eli Lilly에 $630mn 규모의 독점 기술이전 계약을 체결하였다. 현재 진행 중인 호주 임상1상까지 올릭스가 수행하고, 2상 이후의 글로벌 확장 개발과 상업화는 Lilly가 담당한다. 702A는 MARC1 (Mitochondrial Amidoxime Reducing Component 1)을 타겟하는 파이프라인이나, Lilly와의 계약은 MARC1와 추가 타겟을 결합한 Dual siRNA을 개발하는 경우 릴리가 그 추가 타겟에 대한 우선권까지 포함한다. 즉, Lilly와의 협업 과정에서는 다른 타겟에 대한 추가 계약이나, MARC1+추가 타겟의 Dual siRNA에 관한 계약을 모두 기대할 수 있을 것으로 보인다. 구체적인 계약 규모, 확대 가능한 타겟의 수, R&D funding의 포함 여부 등은 모두 비공개이다.

MARC1은 간세포의 미토콘드리아 외막에 존재하는 몰리브덴 함유 효소이다. MARC1 활성이 높으면 간 내 지질 합성이 증가하여 간세포 내 중성지방이 축적되고, 콜레스테롤을 담즙산으로 전환하는 경로가 차단되어 콜레스테롤 수치가 높아지며, 미토콘드리아 내 염증성 원인 물질인 ROS(반응성 산소종)가 발생한다. MASH 마우스 모델에서 간세포 MARC1 발현을 억제하면 체중, 간 지방, 산화 스트레스, 세포 사멸 및 섬유화 지표가 감소하는 것으로 알려져 있다. Novo Nordisk가 이 MARC1을 억제하는 siRNA인 NN-6581을 MASH 치료제로 개발하고 있었으나, 2025년11월 비용 절감을 위한 대규모 구조조정에서 개발 중단되었다.

MARC1 타겟 호주 임상1상
중간 결과 상 안전성 확인
간 지방 함량 정상수준까지 회복

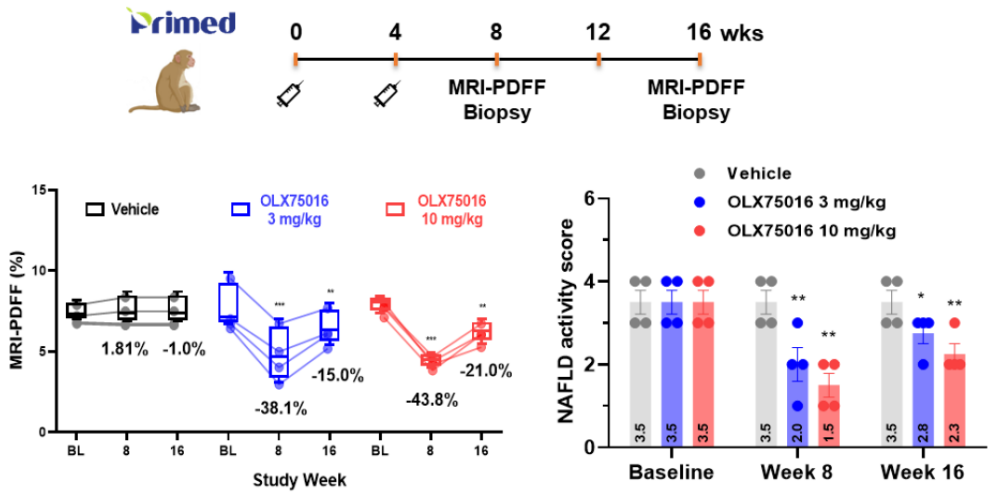
임상1상은 호주에서 건강한 성인 및 MASH 환자(NAS 지표 4점 이상) 대상으로 진행 중이다. MASH 환자를 포함하기 때문에 SAD와 MAD에서 효능도 관찰할 수 있다. 2024년 11월 호주 임상1상 중간 결과 데이터를 발표하였는데, SAD 파트에서 피험자들에게 투약을 완료하고 투여 후 84일 추정 관찰 후 검측한 결과였다. 간 지방 감소율 최대 약 70%, 일부 환자들은 투여 후 1-2개월 만에 간 지방 함량이 정상수준인 5% 이하 (3.4%, 3.9%)로 감소하였다. 간 지방 감소 패턴으로 볼 때 1회 투여로 3개월 이상 효력이 유지되었다. 안전성에서도 경미한 수준의 이상 반응만 관찰되었고, 중대한 이상 반응은 관찰되지 않았다. 이후 추가 모집된 환자에서는 고용량에서 최대 90%까지 간 지방이 감소한 경우를 확인한 바 있어 임상 종료 후의 최종 결과가 매우 기대되는 바이다.

BMI가 27 이상인 건강한 자원자에서도, 내장지방 축적 정도를 나타내는 복부둘레는 약 1 인치 (2.5 cm)가량 감소(p=0.057, n=12) 했고, 투여 약 3개월 후 최대 BMI -6.62%, 복부둘레는 -15.3%가 감소했다. 비만은 GLP-1 계열 비만 치료제와 병용 투여할 계획이고, 임상 설계 당시엔 Lilly와의 계약을 기대하기 어려웠기 때문에 Semaglutide와의 병용 결과만 보유한 상태이다. GLP-1 단일 타겟에 대한 병용 결과도 우수했기 때문에, Tirzepatide와 병용을 하게 된다면 더 우수한 결과를 충분히 기대할 수 있다.

호주 1상은 '26 내 완료 예상, 결과 발표 및 임상2상은 '27년 상반기로 예상, 순조로운 임상 진행과 함께 Lilly 마일스톤 수령 기대

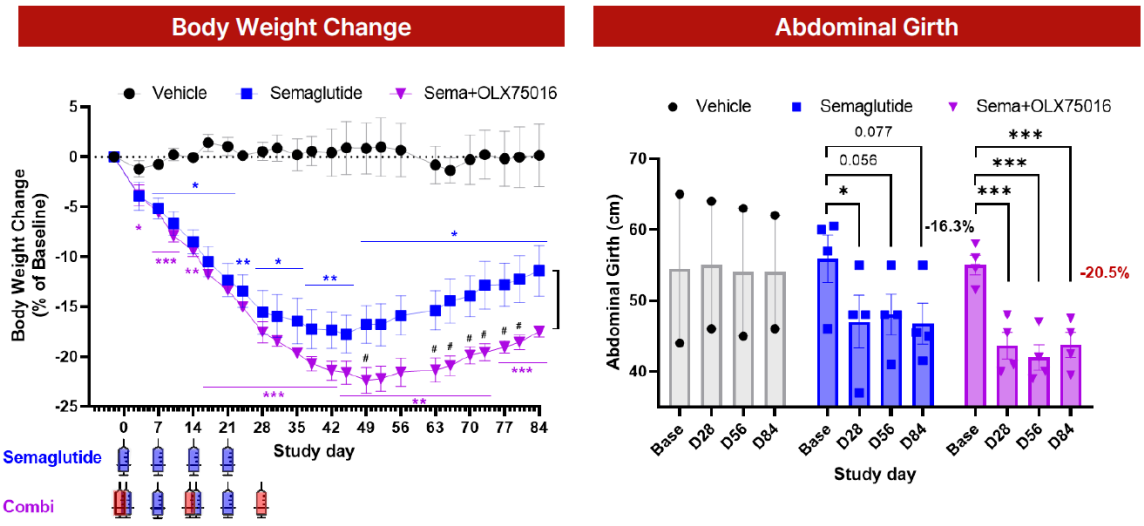
기존 MASH나 비만치료제 대비 강점은 경쟁 약물들이 일1회/주1회 투여 해야 하는 반면, OLX702A는 단 회 투여로도 더 높은 수준의 약효를 달성할 수 있는 점이다. 임상1상의 SAD는 1H25에 완료된 상태로 추적 관찰 중이고, 올해 상반기 중 MAD도 투약을 완료할 예정이다. MAD 투약 후의 관찰 기간까지 끝내면, '26년 하반기쯤 임상1상이 마무리될 것으로 전망된다. 따라서, 올해 주요 임상 이벤트는 MASH/비만 치료제인 OLX702A의 임상1상의 계획된 기간 내의 안정적인 종료와, 연내 학회 등에서 중간 결과를 확인하는 것이 될 듯 하다. 임상 데이터 취합 및 분석에 걸리는 시간을 고려하면 최종 결과 확인 및 임상2상 진입은 '27년 상반기는 되어야 할 것이라는 판단이다. 임상의 순조로운 진행에 따른 Lilly로부터의 마일스톤 수령 이벤트도 기대된다.

도표 5. 원숭이 MASH 모델에서 OLX702A (OLX75016)



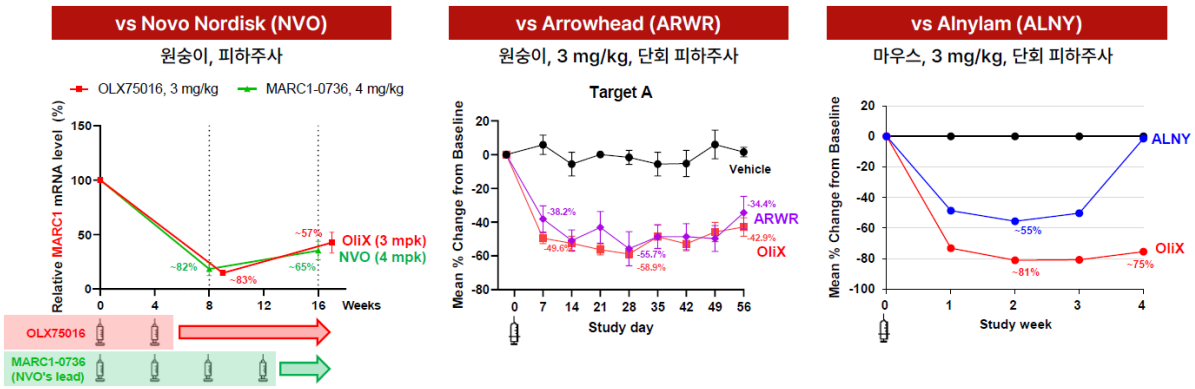
주: 16주차 rebound 현상은 개체 차이에 따른 반감기 차이가 있을 수 있음을 고려할 필요가 있음
자료: 올릭스, 하나증권

도표 6. OLX702A의 비만 원숭이에서 GLP-1 병용 시 체중 감소율



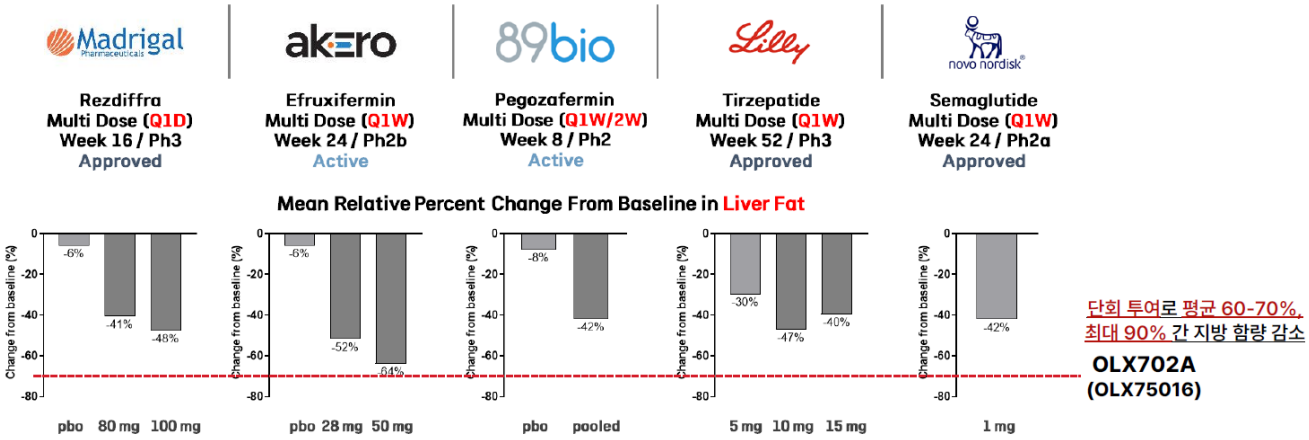
주: 16주차 rebound 현상은 개체 차이에 따른 반감기 차이가 있을 수 있음을 고려할 필요가 있음
자료: 올릭스, 하나증권

도표 7. OLX702A의 경쟁사와 비교



자료: 올릭스, 하나증권

도표 8. 승인/임상3상 MASH 치료제 대비 우위점



자료: 올릭스, 하나증권

도표 9. OLX702A 임상1상 진행 현황 및 개발 모멘텀

임상 단계	Part A (SAD)	Part B (MAD)
투여 횟수	단 회 투여	총 2회 투여 (3개월 간격)
투여 정보	HV 5개 그룹	HV 1개 그룹
	NAFLD 3개 그룹	NAFLD 2개 그룹
환자 수	HV: 40명	HV: 10명
	NAFLD: 20명	NAFLD: 12명
중간 결과	NAFLD SAD 환자에서 최대 -90%의 간 지방 감소 확인 6개월 이상 지속되는 전례 없는 간 지방 감소 효과 확인	
주요 일정	'26 임상1상 완료 (예상) '27 임상2상 진입 (예상, Lilly 주도)	

주: 주요 일정은 하나증권의 의견을 반영하여 추정함
자료: 올릭스, 하나증권

2) OXL104C (안드로겐성 탈모 치료): 로레알의 관심을 끌었다

기존 치료제와는 달리 기형 형성 위험 X, 투약 주기 4주~8주1회

안드로겐성 탈모(Androgenetic alopecia, AGA)는 디하이드로테스토스테론(DHT)에 의해 발생한다. DHT가 모낭의 안드로겐 수용체(AR)에 결합하면 모발의 성장 주기를 짧게 하고 휴지기를 늘림으로써 모발이 점차 가늘어지며 탈모로 발전한다. 탈모 억제제로 흔히 사용되는 Finasteride는 테스토스테론을 디하이드로테스토스테론으로 전환시키는 5α-reductase를 억제한다. 그런데 이런 전통적인 방식의 탈모 억제제는 여성에게 기형아 출산 위험이 있고 피부로도 흡수될 수 있으므로 만지는 것 조차 금지되어 있으며, 심리적인 요인이 강한 것으로 보이지만 남성의 성기능 저하 경향도 나타난다. 또한 반감기가 짧기 때문에 1일 1회로 지속적인 복용을 요구하는 불편함이 있다.

OXL104C는 AR 유전자를 표적함으로써 발현을 억제한다. 기형아 출산 원인이 되는 5α-reductase를 건드리지 않기 때문에 기전적으로 안전하고, 4주1회 또는 8주1회 투약(피내 투여)하고 편의성도 높다.

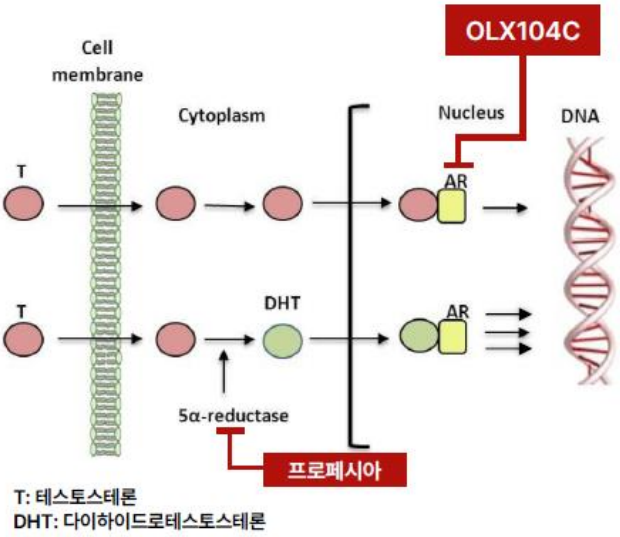
환자 대상 임상 진행으로 안전성과 함께 efficacy도 기대
'26년 내 1상 종료
'27년 내 2상 종료 예상

2024년 호주 임상1a상 첫 환자 투여 후 무사히 종료하였고, 당시 SAD 시험에서 25명의 환자(경증~중증) 에서 안전성과 내약성을 확보 하였다. 현재 호주 1b/2a상을 진행 중이고 2025년12월 첫 투약을 시작했다. 임상1b상(환자 수 24명)은 2026년 내 종료할 것으로 예상하고, 임상2a상(환자 수 134명)은 2027년 내 종료하고 efficacy 데이터를 확인할 수 있을 것으로 기대한다. 환자를 대상으로 임상을 진행 중이고 약물 반감기가 약 1개월 수준으로 길기 때문에, 임상1상이지만 안전성뿐만 아니라 efficacy를 확인하는 이벤트도 기대된다.

siRNA라는 modality에 대한 시장의 확신이 높아지는 중, OLX104C 임상 결과가 로레알의 siRNA에 대한 확신을 높여줄 것

올릭스의 siRNA 모달리티를 이용한 탈모에 대한 접근은 로레알의 관심을 끌었을 것으로 생각된다. 2025년 6월 로레알과 피부와 모발에 대한 공동개발계약 (선급금, 마일스톤, 로열티 등을 포함 계약 구조도 비공개)을 체결하였는데, OLX104C에 대한 관심도 포함되어 있을 것으로 추정된다. 올릭스는 후보물질 발굴, 전임상 및 초기 임상(1상 추정)까지 수행하고, 로레알은 연구비 지원과 후속 개발 및 상업화를 담당한다. 이 계약은 공동개발이므로, 로레알이 결과물을 이용한 독점권 확보나 상업화를 원한다면 공식적인 기술이전 계약으로 변경 되어야 할 것이다. 연구 범위는 정해져 있지 않지만, 로레알이라는 기업 성격상 화장품을 포함할 것으로 보이고, 올릭스는 치료제로서 물질을 개발하고 있기 때문에 시장은 화장품까지 더 확장해서 볼 필요가 있다는 판단이다. 계약이 나올지, 시장이 기대하는 것처럼 지분투자까지 이루어질지 여부는 지켜봐야 할 것이다. 그러나 siRNA라는 modality에 대한 임상적 믿음이 높아지고 있기 때문에, OLX104C의 임상 결과에서 안전성과 efficacy까지 확인하게 된다면 로레알의 올릭스 기술에 대한 확신을 더욱 높여 줄 것이라는 판단이다.

도표 10. OLX104C의 작동 방식



- **AR 타겟 우수성**
  - 5a-환원효소 억제제 대비 여성 환자 안전성
  - 여성 환자에 대해 기전적, 임상적으로 우수
- **siRNA 모달리티**
  - 낮은 투여 빈도 (효력 장기 지속)
  - 낮은 전신 작용 (빠른 혈중 소실)
- **피내 투여**
  - 피부 타깃 효과 극대화 (투여 부위 고농도 분포)
  - 낮은 전신 작용 (제한적인 주요 장기 분포)

자료: 올릭스

도표 11. OLX104C 임상1b/2a상 진행 현황 및 개발 모멘텀

임상 단계	1b상	2a상
적응증	안드로겐성 탈모 (남성형 탈모)	
투여 방법	피내 주사 (Intradermal Injection)	
투여 횟수	총 3회 투여 (28일 간격)	총 6회 투여(28일 간격)
투여 정보	2개그룹 (0.5mg/ 1.5mg)	4개그룹 (0.1mg/0.5mg/1.5 mg/위약)
환자 수	24명	최대 134명
추적 관찰 기간	4주	4주
1차 평가 지표	안전성 및 내약성	효력 (efficacy)
주요 일정	1b상 종료: 2026년 (예상)	2a상 종료: 2027년 (예상)

주: 주요 일정은 하나증권의 의견을 반영하여 추정함
자료: 올릭스, 하나증권

3) OLX301A(건성/습성 노인성 황반변성)

건성황반변성 중 지도형 위축증 치료제로 새로운 파트너쉽 모색 중

OLX301A은 건성과 습성을 모두 치료할 수 있는 것으로서 first-in-class에 도전하는 파이프라인이다. 노인성 황반변성은 중심시력을 담당하는 황반부의 망막 색소 상피 세포에 변성이 생기면서 실명이 유발된다. 60세 이상 노령층의 실명 유발의 주요 원인이기도 하다. 습성 황반변성은 전체 황반변성 환자 중 10%를 차지한다. 습성은 Elyea(항-VEGF 재조합단백질, Aflibercept), Lucentis(항-VEGF 항체 절편, Ranibizumab) 등 오래도록 사용되어 온 치료제가 있고, 광역학 요법, 레이저광 응고술 등으로 치료할 수 있다. 건성 황반변성은 전체 황반변성 환자 중 90%를 차지하고, 후기단계에 이르면 지도형 위축(Geographic Atrophy, GA)이라는 불가역적인 망막세포 파괴로 진행된다. 건성 환자 비중이 압도적으로 높지만, 마땅한 치료 방법이 없다. 그나마 2023년 FDA가 합성 펩타이드인 Syfovre(C3 단백질 억제, Pegcetacoplan), Izervay(C5 단백질 억제, Avacincaptad pegol)를 허가하였으나, 안압 상승, 습성 황반변성의 원인인 맥락막 신생혈관형성(Choroidal neovascularization), 결막하 출혈 등의 위험이 있다. OXL301A는 4주 간격으로 투약하고 있는데, 습성황반변성치료제 Elyea (4~8주), Lucentis(4주), 건성황반변성치료제 Syfovre(25일~60일), Izervay(28일)인 것을 고려하면 경쟁력 있는 수준으로 판단된다.

짧은 투약 기간을 고려할 때, Syfovre와 비견할 만한 결과

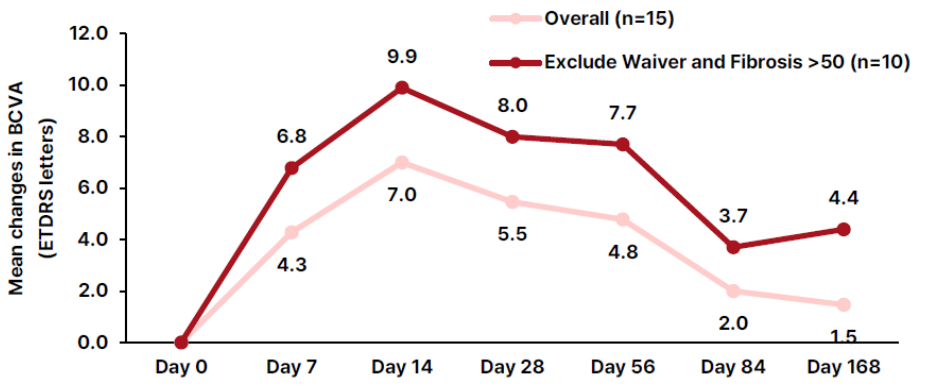
공개된 임상1상 CSR 보고서에 의하면 안전성과 내약성은 확인되었다. 임상1상은 21명의 노인성 황반변성 환자에 대해 진행 되었다. SAD에서 약물 관련 TEAE는 없었고, DLT도 나타나지 않았다. BCVA(최대교정시력)에서 15자 이상의 문자 손실도 없었고, 임상적으로 의미가 있는 안압 상승 등도 확인되지 않았다. MAD에도 SAD와 마찬가지로 약물과 관련된 이상반응은 없었다. 2023년 4월에 공개된 Syfovre의 임상3상 (OAKS 및 DERBY 임상 통합, 131명) 결과에서 24개월 투여 시 BCVA에서 5.6글자 정도의 시력 보존을 보여줬다. 한편 OLX301A는 중도 탈락한 환자와 섬유증(개선 불가)까지 진행된 환자를 포함해도 최대 7.0글자의 개선을 보여준 바 있다 (제외시 최대 9.9글자). 임상2상에서 더 많은 환자 수에 대해 장기 투약 결과를 확인해야 하겠지만, 짧은 투약 기간 내에 유의미한 결과를 보여주고 있다는 판단이다.

새로운 파트너십으로 2b상 진행 siRNA의 활용 가치에 대한 기대감을 높이는 사례 될 것

이 파이프라인은 2019년 프랑스 제약사 Thea에 기술이전 되었으나 2024년 6월 다시 반환되어, 현재는 올릭스가 단독으로 개발하고 있다. 미국 임상1b상을 완료하고 2025년 11월 CSR 보고서를 수령하였다. 임상2상은 파트너십 체결 후 진행할 계획이다. Thea는 습식황반변성 결과에 대한 기대가 있었던 듯한데, 올릭스는 환자 수가 많고 치료 난이도가 더 높은 GA 치료제로서의 개발 가치와 가능성을 강조하여 새로운 파트너를 모색 중이다. 1상 임상이다 보니 전체 환자에 습식과 건식 환자가 섞여 있고, 그 중 GA까지 진행된 환자는 소수일 것이라 효능까지 입증할 충분한 수의 환자 수가 확보되지 못한 것이 허들로 작용할 것으로 보인다. 그럼에도 불구하고 새로운 파트너십이 등장한다면 기존의 치료제가 가진 한계를 뛰어 넘는 수단으로 siRNA의 활용가치가 얼마나 높은지 보여주는 사례가 될 것이다.

SAD 투여군 15명 대상
약 2개월 간의 약효 유지와
경쟁약물 대비
우수한 효능 확인

도표 12. OLX301A 임상1상 SAD로부터 잠재 유효성 관찰 (BCVA 결과)



주1: Waiver, 중도 탈락환자; fibrosis, 섬유증까지 진행된 환자 (치료 불가한 비가역적 상태)
주2: SAD는 15명, MAD는 6명 대상 진행함. 따라서 Overall 15명임.
자료: 올릭스

도표 13. OLX301A 임상1상 요약 (2상 진행 일정 미정)

임상 단계	미국 임상1상 (NCT05643118)
환자군	황반변성 환자 21명
투여 방법	안구 내 투여 (Intradermal Injection) *MAD의 경우 4주 마다 3회 투여 (8주차 까지)
투여 정보	Part A(SAD): 5개 용량군/ Part B(MAD): 2개 용량군
1차 평가 지표	안전성, 내약성(안과적 이상반응, DLTs, 전신 이상반응, 안압 등)

자료: 올릭스, 하나증권

4) 한소제약과의 플랫폼 계약

조금 느리지만, 중국 내에서도 siRNA 속도전 올해는 빨라질 것이라 기대

한소제약과는 2021년 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술 이전 계약을 체결하였다. 올릭스는 한소제약이 제시한 타겟에 대해 siRNA 후보물질을 발굴하여 제공하고, 한소제약은 전임상부터 개발을 맡는다. 연구 범위는 대사질환 쪽이나 구체적인 타겟은 비공개이다. 임상 단계에 따라 마일스톤 수령이 가능하고 계약 규모는 후보 물질 2개에 대해 주 계약 upfront 6.5mn, 총 마일스톤 $220mn이고, 물질을 추가하는 경우 1개당 upfront $2.25mn, 총 마일스톤 $110mn에 로열티(순매출의 10%) 별도, 중화권 대상이다. 규모가 작아보일 수 있으나, 중화권에 대한 것인 점과 로열티가 두 자릿수라는 것을 참고해야 한다. 최대 4개 후보물질에 대한 옵션 행사가 가능한데, 심혈관 질환으로 2개(OLX706A/C), 대사성 질환으로 1개(OLX706B)에 대해 옵션을 행사하여 현재 남은 옵션은 1개이다. 개발 중인 파이프라인은 현재 동물실험 내지 전임상 단계이고, 26년 내 중화권에서의 임상1상 진입할 것으로 예상한다. 계약은 '21년, 옵션 행사한 때도 '23년 2월이라 속도가 매우 늦은 느낌이지만, '25년 4월에도 마일스톤이 수령되고 있으므로 개발은 그들의 속도에 맞게 순차적으로 진행되고 있다는 판단이다. 중화권 내에서도 siRNA 시장이 개화되고 있으니, 한소제약의 개발 속도도 더 빨라질 것이라 기대한다.

5) 그 외 추가 기술이전 계약이 기대되는 파이프라인

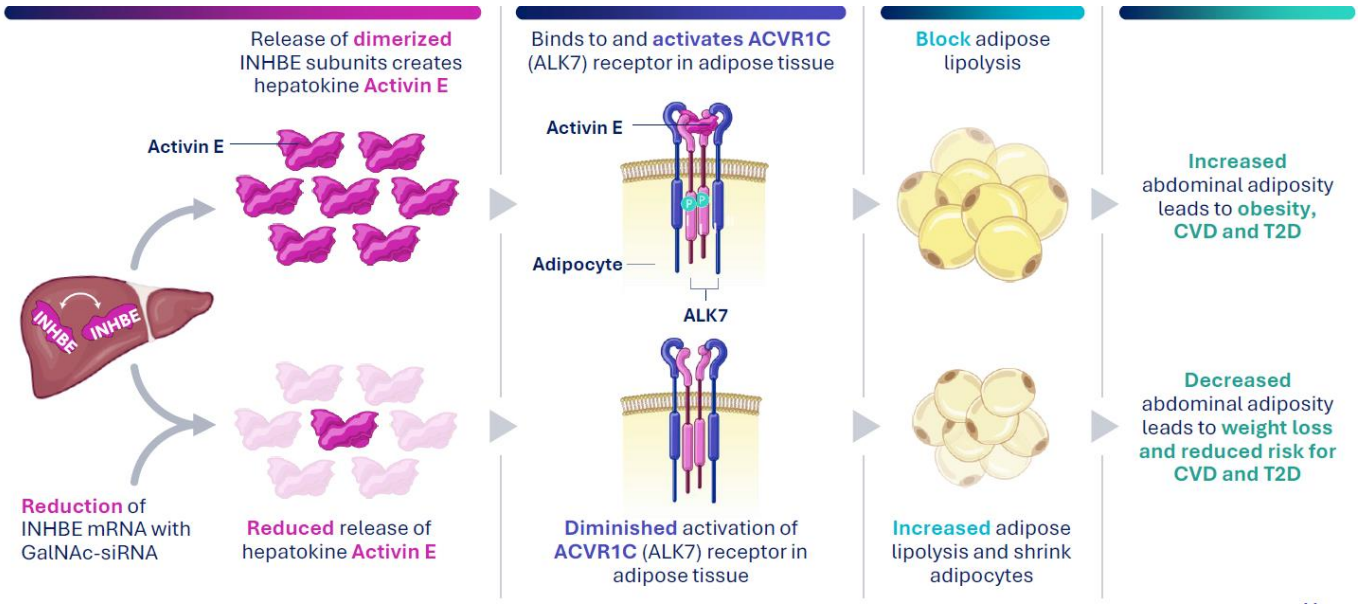
OLX501A(비만): 지방세포의 ALK7 직접 타겟

지방조직에서 작용하는 OLX501A(비만)는 ALK7(Activin receptor-like kinase 7) 유전자를 타겟한다. ALK7은 지방 분해를 억제하고, 지방 축적을 증가시키는데 관여하는 지방세포 막에 위치하는 수용체이다. '25년 하반기 Wave Life Science가 INHBE 타겟의 GalNAc-siRNA에 대한 임상1상 INLIGHT 중간 결과를 공개한 바 있다. INHBE 를 억제하면 신호전달체계상 INHBE/ALK7 pathway를 따라 ALK7까지 활성이 억제되는데, 그 결과 지방세포의 지질가수분해가 증가한다. 중간 결과지만 놀라운 수치를 보여주었는데, 약효가 약 3개월 이상 지속되고, 위약 보정 기준 평균 내장지방 -9.2% 감소, 총 지방 -4.0% 감소, 반면 제지방(lean mass)은 0.9% 개선되었다. 현존하는 펩타이드계 비만치료제가 주1회 투약으로 반감기가 짧고, 근육 소실 부작용이 부각되고 있는 점을 고려하면 siRNA계의 결과는 매우 놀랍다. 한편 OLX501A는 ALK7를 직접 타겟함으로써 INHBE를 타겟하는 것 보다 더 직접적이고 높은 효과를 발현할 것이라 기대된다. 우려되는 난관이 있다면, 지방세포에 안정적으로 전달할 수 있는 전달체가 필요한 것인데 여기에 대해서는 3월 기업설명회 등에서 추가적인 설명을 들을 수 있을 것으로 예상한다.

CNS로의 진출: BBB셔틀 개발사인 Key2Brain, Vect-Horus 협업

또한 BBB셔틀을 접목하여 CNS 질환 치료제 후보물질을 도출할 계획이다. siRNA는 undruggable target에 적합한 modality이나 BBB를 통과하지 못한다. Rat의 척수강 투여로 CNS 조직에서의 유전자 발현 억제와 임상적/혈액학적 이상 반응이 없음을 확인하였다. BBB 투과가 어려운 약물의 경우 인간의 경우 보통 CSF에 직접 주사하여 중추신경계 전반으로의 확산을 의도하는데, 심부 뇌 영역까지의 약물 전달에는 한계가 있다. 그러한 이유로 2026년 2월 10일 BBB 셔틀을 보유한 Key2Brain(스웨덴 소재)과 "전달체 기술 평가 및 기술 도입 옵션 계약"을 체결하였다. 올릭스는 이 계약에 따른 공동 연구 기간 동안 해당 기술을 특정 CNS 관련 타깃에 적용하는 권리에 대한 우선권을 갖고, 옵션 행사를 통해 독점권을 가질 수 있다. Key2Brain이 보유한 BBB셔틀은 TfR 타겟 항체의 중쇄 가변 도메인(VHH, Variable Heavy-chain Domain)이다. Roche가 속도를 내고 있는 알츠하이머 치료제인 Trontinemab이 Aβ 타겟 항체에 이러한 메커니즘의 BBB셔틀을 접목한 것이다. 올릭스는 2026년 2월 4일에도 프랑스 소재 바이오 기업인 벡트-호러스(Vect-Horus)와도 BBB셔틀인 VECTrans를 적용하는 계약을 체결하였다. 벡트-호러스와의 공동개발 후보물질이 어떠한 메커니즘으로 뇌로 통과되는지는 아직 구체적으로 공개된 바는 없다.

도표 14. INHBE/ALK7 pathway 설명



자료: Wave Life Science (JPMHC 2026), 하나증권

6) 새로운 기회가 될 Dual-siRNA

이중항체가 주목을 받았 듯 주목 받게 될 플랫폼 MASH가 가장 접근하기 좋음

항체 병용 요법이 이중항체로 발전한 것과 같이, 두 종류의 siRNA가 융합된 형태의 플랫폼을 개발 중이다. 플랫폼은 GalNAc-bi-asiRNA 구조를 갖는다. GalNAc에 의해 전달 되기 때문에 우선은 간 조직을 표적으로 하는 적응증에 적합하다.

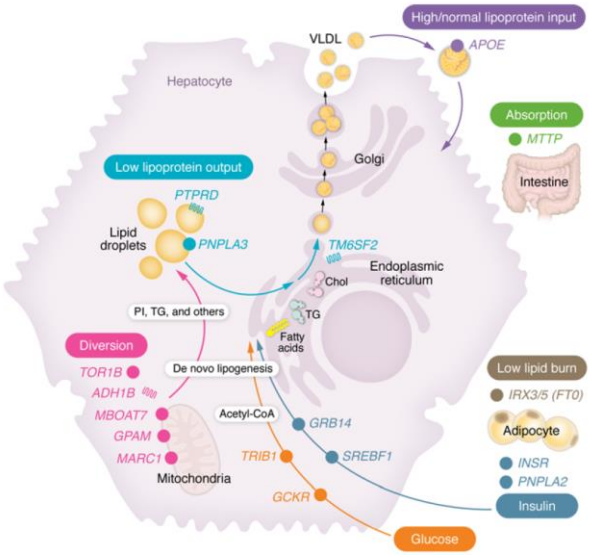
동사가 보유한 파이프라인 중 Dual siRNA로 개발될 가능성이 가장 높은 적응증은 OLX701A에서 더 확장된 형태의 MASH 치료제이다. Lilly와의 계약 내용도, MARC1과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적하는 치료제를 개발하는 경우, 그 치료제에 대해 우선적인 권리를 갖고, 이로 인해 총 계약 금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있다는 조건을 포함한다.

MASH는 "Metabolic Associated"라는 명칭에 걸맞게 다양한 인자가 복합적으로 작용하여 간경화까지 발전하는 질병이다. FDA 승인된 약물인 resmetirom 개발사인 Madrigal은 Pfizer로부터 ervogastat (DGAT2 저해제)를 인수, semaglutide를 MASH 치료제로서 개발 성공시킨 Novo Nordisk도 Akero Therapeutics를 인수함으로써 FGF21 작용제인 efruxifermin을 확보했다. 이 두 회사는 기존의 약물과 병용 전략으로 더욱 우수한 효능을 갖는 MASH 치료제를 개발할 것이다. Roche도 89bio 인수를 통해 FGF21 작용제인 pegozafermin을 인수하여 기존의 GLP-1 계열 작용제와 병용으로 MASH 치료제를 개발할 예정이다. 기존 개발사들과 survodutide, efinopegdutide, DD-1 등 대부분의 임상2상 수준의 MASH 치료제는 모두 병용이나 이중 타겟 전략으로 개발 중이다. 이러한 점에서 Dual siRNA는 MASH 치료제로 개발하기에 매우 매력적인 플랫폼이라는 판단이다. Lilly가 추가 타겟에 대한 옵션 행사를 한다면, 이어서 Dual siRNA 관련 추가 계약도 기대할 수 있을 것이라는 전망이다.

도표 15. 올릭스의 Dual-siRNA 구조

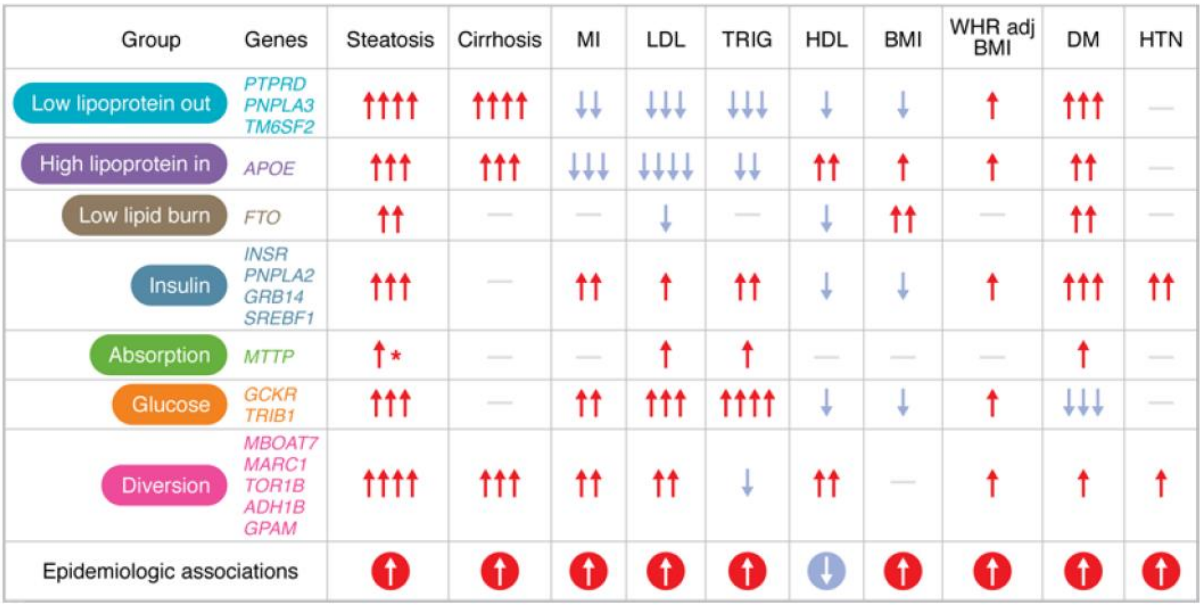
자료: 올릭스, 하나증권

도표 16. 간세포 내 MASH 관련 유전자



자료: Vincent L. Chen et al. (2025), 하나증권

도표 17. MASH 관련 유전자와 기전



자료: Vincent L. Chen et al. (2025), 하나증권

도표 18. 올릭스의 기술이전/공동연구개발계약 현황

파트너사	적응증	계약일	파이프라인	계약 규모	계약 구조
Eli Lilly	MASH/비만	2025.02	OLX702A	$630mn	1상은 올릭스/ 2상 부터 Lilly
로레알	피부/모발	2025.06	비특정 (OLX104C 포함 추정)	비공개	초기 임상까지 올릭스/ 로레알은 연구비 지원
한소제약	심혈관/대사질환 (OLX706s)	2021.01	GalNAc-asiRNA 플랫폼	주 계약 upfront $6.5mn, 총 마일스톤 $220mn (후보물질 2개) + 로열티 별도 (순매출 10%)	중화권, 후보물질 도출 올릭스/ 임상 부터 한소제약
		2023.02	옵션행사	옵션계약 물질 당 upfront $2.25mn, 총 마일스톤 $110mn + 로열티 별도(순매출 10%)	중화권,1개 물질 추가 옵션 행사
Thea(FR) (반환)	황반변성	2019.03	OLX301A	upfront 2.0mn 유로, 총 마일스톤 43.5mn 유로, 적응증 추가 17.5mn 유로 (총 규모 63.0mn 유로) + 로열티 별도	유럽 연합국, 중동, 아프리카
		2020.01	OLX301D 추가 및 계약 변경	upfront 5.3mn 유로, 총 마일스톤 115.1mn 유로, 적응증 추가 46.55mn 유로 (총 규모 166.95mn 유로) + 로열티 별도	아태지역 제외 글로벌
		2024.06	기술 반환	-	-

자료: 올릭스, Dart, 하나증권

3. 재무 현황 및 자금 지출 계획

1) 재무현황

아주 보수적으로 보아도 향후 2년 이상 재무 안전성 높음

올릭스의 매출 구조는 3Q25 누적 매출 기준 기술용역수익이 82.8%를 차지하고, 나머지는 연구용역매출이다. 연구용역매출은 CRO 서비스에 의해서 발생하는 것이다. '25년 8월 제3회차 전환우선주를 발행하여 1,150억원을 확보함으로써 재무 안정성을 되찾았다. '25년 연말 기준 현금 보유량은 1천억원 수준이고, 평균 고정비는 총 영업비용의 5~10% 수준을 유지, 평균 연구비 400억원-450억원 수준 유지하는 정책에 따르므로, 향후 기술이전이나 마일스톤 수령 등의 이벤트가 전혀 없다고 가정하여도 2년 간 재무 안전성을 유지할 것으로 전망된다. 물론 앞서 설명한 바와 같이 이미 기술이전된 파이프라인부터 향후 새로운 L/O 가능성이 높은 파이프라인까지 현금 창출이 가능한 이벤트가 다수 포진해 있기 때문에 더 장기적으로 재무 안전성을 기대할 수 있다는 판단이다.

2) 전환우선주에 따른 오버행

'26년8월29일 전환우선주 오버행 9.0% 가능 But, 주가 기대감이 더 높다

'25년 8월에 발행한 제3회차 전환우선주는 올해 '26년 8월 29일부터 보통주 전환이 가능하다. 전환가액이 58,101원인데 현재 주가는 200% 이상 수준이기 때문에, 보통주 전환 가능일 전에 전환가액 조정이 일어날 가능성은 매우 희박하다. 따라서 전환 가능일 예상 오버행은 9.0% 수준이다. 오버행이 적지 않은 수준이나, Lilly 향 Dual-siRNA 계약이나 로레알의 추가 투자 등의 기대감이 높고, 하반기 OLX702A, 104C 등의 중간 결과 발표 내지 임상 종료 이벤트를 기대할 수 있는 분위기이기 때문에, 오버행 물량이 한꺼번에 쏟아져 나올 가능성은 낮다는 판단이다.

도표 19. 올릭스 회사 프로필

회사명	㈜ 올릭스
대표/창업자	이동기
설립일	2010/02/26
상장일	2018/07/18
본사	경기도 성남시 수정구 대왕판교로 953
임직원수	총 88명(R&D 57명, Olix US 13명, Olix AU 1명) - 박사 16명, 석사 13명
주요사업	RNA 간섭 기술 기반 차세대 핵산 치료제 개발
관계법인	Olix US: siRNA 합성, 생산, 분석 Olix AU: 임상시험

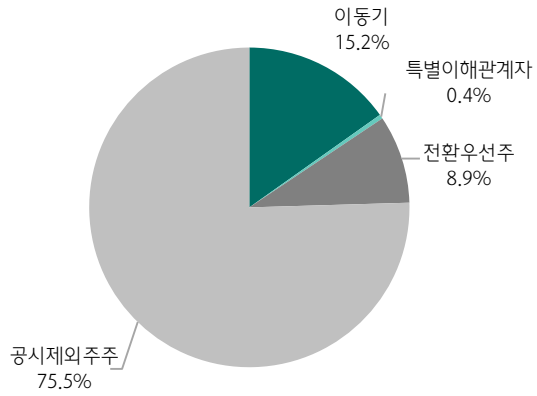
자료: Dart, 올릭스, 하나증권

도표 20. 올릭스 주요 경영진 약력

성함	직책	약력
이동기	대표이사	· KAIST 화학과 학사/코델대학교 생화학박사 · 포항공과대학교 화학과 조교수 · 現 성균관대학교 화학과 교수
강충길	경영기획 총괄	· KAIST 경영학과 학사/석사 · 금호그룹, 파워로직스 이사 · L&S 벤처캐피탈 이사
박신영	개발 총괄	· 서울대 약학 박사 · KIT 재직시 Ionis 비임상 독성 PM · 독성전문가 DABT
백영혜	IP/법무 총괄	· 변리사 · KAIST 생물과 학사/석사 · 제일 특허법인, 리앤목 특허법인 · LG 생활건강 법무팀
권인호	커뮤니케이션 총괄	· 고려대학교 생명과학 학사/석사 · 고려대학교 기술경영전문대학원 박사 수료 · 동아제약/삼양제넥스 책임연구원 · KB인베스트먼트 이사 · 데일리파트너스 전무

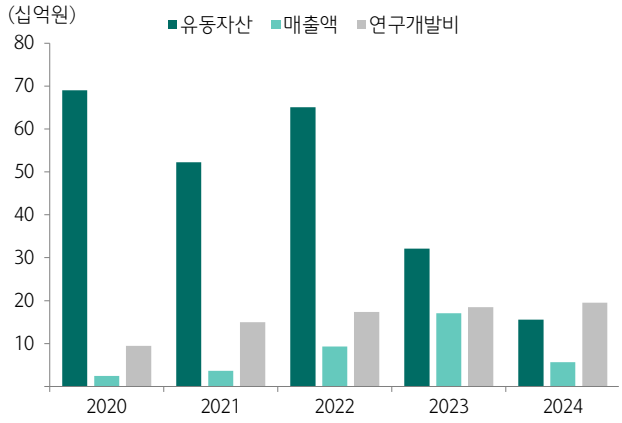
자료: 올릭스, 하나증권

도표 21. 주주현황



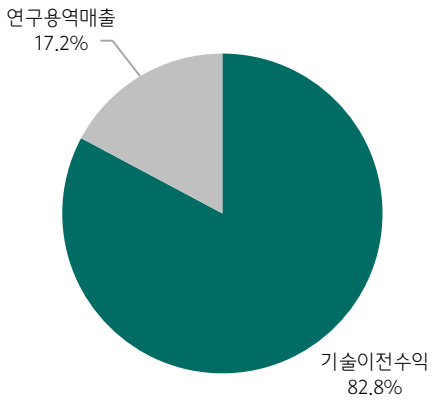
자료: Dart, 하나증권

도표 22. 유동자산, R&D 투자비율 및 매출액



자료: Quantiwise, 하나증권

도표 23. 올릭스 매출 비중 (3Q25 누적 기준)



자료: Dart, 하나증권

도표 24. 올릭스 오버행 현황 (2026.02.27 기준)

구 분	제3회 전환우선주
발행일	2025.08.29
총 발행금액(원)	115,002,040,047
1주당 발행가액(원)	58,101
발행주식수㈜	1,979,347
전환비율	우선주 1주당 보통주 1주
전환청구기간	2026.08.29 ~ 2030.08.28
전환가액(원)	58,101
발행주식의 총수㈜	22,094,130
오버행	9.00%

자료: Dart, 하나증권

추정 재무제표

손익계산서 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
매출액	**2**	**4**	**9**	**16**	**6**
매출원가	0	0	0	0	0
매출총이익	2	4	9	16	6
판관비	17	29	32	34	31
영업이익	**(15)**	**(25)**	**(23)**	**(18)**	**(26)**
금융손익	(4)	(6)	(7)	1	(4)
종속/관계기업손익	0	0	0	(1)	(1)
기타영업외손익	0	0	8	(1)	(12)
세전이익	**(19)**	**(31)**	**(21)**	**(19)**	**(41)**
법인세	(1)	(1)	(1)	1	(0)
계속사업이익	(18)	(30)	(20)	(20)	(41)
중단사업이익	0	0	0	0	0
당기순이익	**(18)**	**(30)**	**(20)**	**(20)**	**(41)**
비지배주주지분 순이익	0	0	0	0	0
지배주주순이익	**(18)**	**(30)**	**(20)**	**(20)**	**(41)**
지배주주지분포괄이익	(18)	(30)	(15)	(23)	(50)
NOPAT	(14)	(24)	(21)	(19)	(25)
EBITDA	(14)	(24)	(22)	(17)	(25)
성장성(%)					
매출액증가율	100.0	100.0	125.0	77.8	(62.5)
NOPAT증가율	적지	적지	적지	적지	적지
EBITDA증가율	적지	적지	적지	적지	적지
영업이익증가율	적지	적지	적지	적지	적지
(지배주주)순익증가율	적지	적지	적지	적지	적지
EPS증가율	적지	적지	적지	적지	적지
수익성(%)					
매출총이익률	100.0	100.0	100.0	100.0	100.0
EBITDA이익률	(700.0)	(600.0)	(244.4)	(106.3)	(416.7)
영업이익률	(750.0)	(625.0)	(255.6)	(112.5)	(433.3)
계속사업이익률	(900.0)	(750.0)	(222.2)	(125.0)	(683.3)

대차대조표 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
유동자산	**68**	**45**	**62**	**27**	**12**
금융자산	67	43	60	22	9
현금성자산	11	28	3	8	3
매출채권	0	0	0	3	0
재고자산	0	0	0	0	0
기타유동자산	1	2	2	2	3
비유동자산	**14**	**40**	**69**	**74**	**62**
투자자산	6	7	35	32	11
금융자산	1	1	18	16	2
유형자산	5	30	31	39	50
무형자산	**3**	**2**	**2**	**2**	**2**
기타비유동자산	**0**	**1**	**1**	**1**	**(1)**
자산총계	**82**	**85**	**131**	**101**	**74**
유동부채	**5**	**38**	**40**	**7**	**34**
금융부채	0	24	31	0	24
매입채무	0	0	0	0	0
기타유동부채	5	14	9	7	10
비유동부채	**29**	**27**	**23**	**43**	**23**
금융부채	**17**	**20**	**20**	**40**	**21**
기타비유동부채	12	7	3	3	2
부채총계	**34**	**64**	**63**	**50**	**56**
지배주주지분	**49**	**21**	**68**	**51**	**17**
자본금	**7**	**7**	**8**	**8**	**9**
자본잉여금	91	92	151	157	175
자본조정	2	3	4	5	6
기타포괄이익누계액	0	0	4	1	(7)
이익잉여금	(51)	(81)	(101)	(121)	(166)
비지배주주지분	**0**	**0**	**0**	**0**	**0**
자본총계	**49**	**21**	**68**	**51**	**17**
순금융부채	(50)	1	(8)	18	36

투자지표

	2020	2021	2022	2023	2024
주당지표(원)					
EPS	(1,362)	(2,196)	(1,292)	(1,184)	(2,389)
BPS	3,587	1,520	4,043	2,998	945
CFPS	(965)	(1,543)	(1,272)	(898)	(1,348)
EBITDAPS	(1,056)	(1,736)	(1,390)	(997)	(1,431)
SPS	188	273	613	980	331
DPS	0	0	0	0	0
주가지표(배)					
PER	(36.9)	(18.7)	(15.8)	(12.3)	(8.1)
PBR	14.0	27.0	5.0	4.9	20.4
PCFR	(52.1)	(26.6)	(16.0)	(16.2)	(14.3)
EV/EBITDA	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PSR	267.6	150.2	33.2	14.9	58.2
재무비율(%)					
ROE	(36.9)	(144.3)	(29.6)	(39.2)	(235.2)
ROA	(21.8)	(35.4)	(15.3)	(19.7)	(55.5)
ROIC	(375.7)	(118.3)	(78.1)	(52.1)	(57.2)
부채비율	69.2	308.0	93.6	99.2	324.0
순부채비율	(102.1)	3.8	(12.3)	35.3	209.1
이자보상배율(배)	(63.2)	(10.3)	(8.0)	(5.6)	(5.8)

현금흐름표 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
영업활동 현금흐름	**(2)**	**(18)**	**(28)**	**(22)**	**(22)**
당기순이익	(18)	(30)	(20)	(20)	(41)
조정	6	8	0	5	18
감가상각비	1	1	1	1	1
외환거래손익	0	0	0	0	0
지분법손익	0	0	(8)	0	14
기타	5	7	7	4	3
영업활동자산부채변동	10	4	(8)	(7)	1
투자활동 현금흐름	**(33)**	**14**	**(53)**	**32**	**(3)**
투자자산감소(증가)	(3)	(1)	(27)	3	22
자본증가(감소)	(0)	(25)	(1)	(8)	(9)
기타	(30)	40	(25)	37	(16)
재무활동 현금흐름	**42**	**20**	**57**	**(5)**	**20**
금융부채증가(감소)	14	15	(17)	(12)	(9)
자본증가(감소)	23	1	60	5	19
기타재무활동	5	4	14	2	10
배당지급	0	0	0	0	0
현금의 증감	**6**	**17**	**(24)**	**5**	**(5)**
Unlevered CFO	(13)	(21)	(20)	(15)	(23)
Free Cash Flow	(3)	(43)	(30)	(30)	(36)

자료: 하나증권

2026년 03월 09일 | 기업분석_기업분석(Report)

알지노믹스 (476830)

트렌드를 선도하는 알짜배기 새내기 바이오텍

Not Rated

현재주가(3.06) **164,200원**

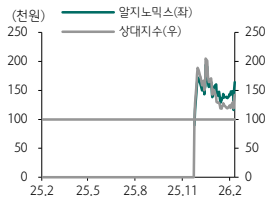
Key Data

KOSDAQ 지수 (pt)	1,154.67
52주 최고/최저(원)	193,900/90,000
시가총액(십억원)	2,287.9
시가총액비중(%)	0.36
발행주식수(천주)	13,933.8
60일 평균 거래량(천주)	753.8
60일 평균 거래대금(십억원)	119.8
외국인지분율(%)	2.50
주요주주 지분율(%)	
이성욱 외 6 인	16.60
한국산업은행 외 1 인	9.33

Consensus Data

	2025	2026
매출액(십억원)	N/A	N/A
영업이익(십억원)	N/A	N/A
순이익(십억원)	N/A	N/A
EPS(원)	N/A	N/A
BPS(원)	N/A	N/A

Stock Price



Financial Data (십억원, %, 배, 원)

투자지표	2020	2021	2022	2023
매출액	0	0	0	0
영업이익	0	(11)	(19)	(16)
세전이익	0	(23)	(32)	(14)
순이익	0	(23)	(32)	(14)
EPS	0	(3,673)	(3,927)	(1,602)
증감율	N/A	N/A	적지	적지
PER	0.0	0.0	0.0	0.0
PBR	0.0	0.0	0.0	0.0
EV/EBITDA	0.0	0.0	0.0	0.0
ROE	0.0	57.7	50.4	18.2
BPS	0	(6,129)	(7,375)	(8,799)
DPS	0	0	0	0

Analyst 김선아 seona.kim@hanafn.com
RA 유창근 changkeunyoo@hanafn.com

상장 전후 유전자 치료제 시장 분위기를 이끄는 중

알지노믹스는 '25년 12월에 상장되었으나 상장 전부터 Lilly와 유전성 난청에 대한 $1.334bn 규모의 빅 딜을 체결하면서 코스닥 시장의 주요 바이오텍으로 자리 매김하였다. 동사의 플랫폼은 RNA 트랜스 스플라이싱 리보자임(RNA trans-splicing ribozyme) 기술에 기반한 것으로, 기존의 유전자 치료제와 다르게 돌연변이 유전자를 제거(siRNA, ASO 등과 유사)하면서 치료용 단백질(mRNA 기능과 유사)의 발현을 동시에 구현할 수 있다. 현재 개발 중인 파이프라인의 주요 질환은 간암/교모세포종, 알츠하이머, 유전성망막성질환, 유전성 난청 등이고, virus 기반의 전달체를 활용하여 1회 투여로 질병 치료하는 것을 목표로 한다.

최근 시장 관심이 높아진 Circular RNA 플랫폼과 표적성 확대 시도

Circular RNA는 mRNA 기능을 하지만, 기존의 선형 mRNA와 비교하여 안정성(stability)이 높아 체내에서 장기간 분해되지 않고 계속해서 단백질을 생산할 수 있다. 아울러 원형 RNA는 virus가 아닌 LNP 등의 전달체를 이용하므로 면역원성 위험이 낮고, 반복 투여가 가능하며, 전신 투여 경로로 전달이 가능하다. 동사의 상장시 투자설명서에도 경쟁사로 언급되었던 미국 소재의 Orna Therapeutics가 2월10일 Lilly에 $2.4bn 규모로 인수되었다. 비임상 단계에서 이러한 주목을 받았던 것은 In-vivo CAR-T라는 원형 RNA의 구체적 용도를 제안했기 때문이라는 판단이다. 알지노믹스의 원형 RNA 플랫폼도 비임상 단계이지만 활용 계획이 어떻게 내놓을지 많은 관심을 가져볼 만하고, 그에 따른 기술이전도 기대할 수 있다. 아울러 회사는 2026년 2월 AAV 기반 전달체 개발사인 글루진(KR, 비상장)과 MOU를 맺어 바이러스 전달체 갖는 표적성의 제한도 극복하는 등 전략을 다양화 하는 중이다.

각 파이프라인 마다 기술이전 대상으로 매력적인 요소 보유

동사는 상반기엔 4월 AACR에 참석하여 RZ001 간암 중간결과 데이터를 공개할 예정이고, 하반기에도 RZ001 교모세포종 Part A(용량 시험) 결과를 발표할 예정이다. 알츠하이머 치료제인 RZ003은 아직 전임상 단계이긴 하나, ApoE2 발현과 ApoE4 제거를 모두 달성 가능한 점에서 타 유전자 치료제 대비 뚜렷하게 대비되는 강점을 갖는다. 망막색소변성증 치료제인 RZ004도 150개 이상의 돌연변이를 한 번에 제거하고 정상적인 rhodopsin을 발현할 수 있는 점에서 기술이전 대상으로 매우 매력적인 기전이라는 판단이다. 간암/교모세포종의 임상은 이미 SAD 단계의 투약 종료 시점이 가까워 오며 '26년이면 human data까지 확보하게 될 것으로 예상되는 바, 플랫폼 가치와 빅파마의 수요는 더욱 높아질 전망이다.

1. 주요 기술: RNA trans-splicing ribozyme

1) 문제되는 유전자의 제거와 치료용 단백질 발현을 동시에

Trans-splicing: 삭제/치환
Ribozyme: 자체 효소 활성

알지노믹스가 보유한 핵심 기술은 RNA 트랜스 스플라이싱 리보자임(RNA trans-splicing ribozyme) 플랫폼이다. 리보자임은 원생생물인 테트라하이메나(tetrahymena)의 리소좀의 전구체 RNA의(pre-RNA) 인트론에서 유래되었으며, 원래 기능은 리소좀 전구체 RNA가 성숙 RNA (mature RNA)로 되는 과정을 스스로 수행하는, 즉 자가 스플라이싱(self-splicing) 기능을 할 수 있는 효소활성을 가지는 인트론 RNA 분자이다. RNA 트랜스 스플라이싱 리보자임은 인트론 RNA 분자를 활용하여 표적 RNA를 타겟하는 트랜스 스플라이싱 기능을 할 수 있도록 엔지니어링 한 형태이다.

알지노믹스의 기술은 다음과 같은 순서로 작동한다. 1) 이 리보자임은 치료용 RNA을 갖고서, 2) 병인성 RNA의 특정 염기(target site)를 인식하여 결합할 수 있다. 3) 그런 다음 그 특정 염기를 기준으로 병인성 RNA를 분해하고, 4) 그 자리에 리보자임이 갖고 있던 치료용 RNA를 결합하는 전이 결합(Trans-ligation)시킨다. 이 과정에서 병인성 RNA가 제거되고, 그 자리에 치료용 RNA가 남게 되므로, 치료제로서 효과를 발휘할 수 있다.

유전자 치료제가 그러하듯 non-druggable target(단백질 구조적 특징에 의존해야 하는 기존 약물들의 한계)을 치료 표적으로 삼을 수 있다. 다른 유전자 치료제와 구분되는 장점은, 1) 하나의 분자로 병인성 RNA 제거와 치료용 RNA 발현을 동시에 수행할 수 있고, 2) 자체적으로 효소 기능을 가지므로 세포 내 기전을 요구하거나 외부 효소 단백질 주입을 필요로 하지 않으며, 3) 영구적인 성격을 갖지만(비분열세포를 표적으로 한다면) DNA가 아닌 RNA 수준에서 유전자 편집하므로 영구유전체(eternal genome) 변화 가능성을 최소화할 수 있는 것이다.

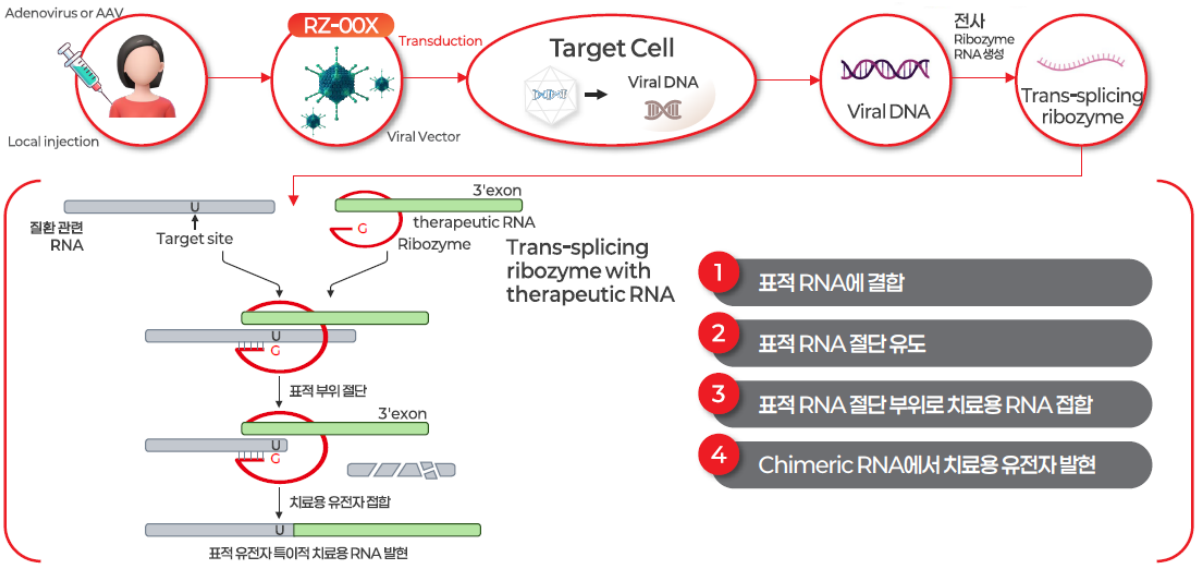
2) 전달체는 Virus를 사용

영구적 Virus를 사용할 경우
1회 투여로 치료 효과 달성

전달체로는 공통적으로 virus-기반 유전자 전달 시스템을 이용한다. Virus를 전달체로 이용하면 얻을 수 있는 장점은 세포 내 유전자 전달 효율이 높고, 비분열 세포를 타겟하면 세포 내 주입한 유전자 치료제가 영구히 남기 때문에 1회 투여로 완치가 가능한 것이다. 반면 단점은 수 회 투여시 면역원성으로 인해 약효가 감소할 수 있다. 그러한 이유로, 동사의 RNA trans-splicing ribozyme은 1회 투여로 치료 효과를 달성하는 것을 궁극적인 목표로 한다. 한편 동사는 2026년 2월 AAV 기반 전달체 개발 기업인 글루진과 MOU를 체결하여 파이프라인 고도화를 시도하고 있다. 개발이 성공적이라면 표적화가 어렵다는 단점도 해결한, 획기적인 유전자 치료제가 탄생할 것이라 기대된다.

RZ001은 항암제로서 분열이 가능한 세포를 타겟하기 때문에 일시적 virus(Transient Virus)인 Adenovirus를 이용한다. 치료적 RNA가 발현한 형태인 HSVtk가 인산화한 GCVTP(GCV triphosphate)가 세포 외로 방출되어 Bystander effect를 일으킬 수 있기 때문에 투여 횟수를 크게 늘릴 필요는 없을 것으로 보인다. RZ003은 신경세포, RZ004는 망막세포를 타겟하는데 이 세포들은 모두 비분열 세포이기 때문에 영구적 virus인 AAV를 전달체로 이용한다. 따라서 RZ003, RZ004는 1회 투여로 치료 효과 달성을 목표로 한다.

도표 1. 알지노믹스의 Trans-splicing ribozyme 작동 방식



자료: 알지노믹스, 하나증권

도표 2. Peer의 기술적인 차이점 비교

기술 구분	DNA 교정		RNA 교정		
세부 분류	염기 삽입	단일 염기 교정(치환)	단일 염기 교정	엑손 교정	RNA 치환효소
대표적인 기술	CRISPR/Cas9	dCas-base editor	EON-directed therapeutic editing	Exon Editing	Trans-splicing Ribozyme
특징	DNA 이중나선 모두 절단, HDR 방식은 원하는 염기 삽입 가능	dead Cas 사용해 절단 X, deaminase 활성으로 C>T, A>G로 변환	EON이 ADAR을 유인, A>I(G로 인식)로 변환	Pre-mRNA의 intron 서열에 결합, 치료용RNA로 교체(trans-splicing)	표적 RNA 인지 및 절단, 치료용 RNA로 편집 및 교정
멀티 교정	O	X	X	O	O
자체 기전 여부	외부단백질 필요	외부단백질 필요	세포내 단백질 작동 요구	세포내 단백질 작동 요구	자체 기전 O
DNA 정보 안전성	위험	위험	O (mRNA 타겟)	O (mRNA 타겟)	O (mRNA 타겟)
영구성	O(유전체 내재적 변화)	O(유전체 내재적 변화)	X	X	O(비분열 세포인 경우)
특이적 단점	DNA 복구 기전 발생하여 세포독성/약효감소 가능	타겟 돌연변이 종류의 제한 (C>T, A>G가 유효해야 함)	일시적인 효과, 돌연변이 종류의 제한(A>I가 유효해야 함)	일시적인 효과, pre-mRNA만 타겟 가능	투여횟수 제한 (단 회 또는 최소 투여 치료로 극복)
대표기업	CRISPR, Editas	Beam	ProQR, Wave Life Sciences	Ascidian	Rznomics

자료: 알지노믹스, 각 사, 하나증권

2. 주요 파이프라인

1) 개요

유전선 난청: Lilly 기술이전
RZ003, RZ004: L/O 기대
CircRNA Peer도 2월 Lilly 인수

동사의 파이프라인 중 1) 개발 속도가 가장 빠른 것은 RZ001로 간암/교모세포종 치료제로 개발 중이다. 그 다음 2) 알츠하이머 치료제 RZ003, 3) 유전성 망막질환 치료제 RZ004, 4) Rett syndrome이라는 신경발달장애 치료제 RZ005를 개발 중이고, 5) 유전성 난청에 대해서는 Lilly에 플랫폼 라이선스 딜을 한 것으로서 아직 구체적인 파이프라인 명은 없다. 아울러 6) 신규 플랫폼으로써 Circular RNA도 개발 중이다.

여기서 RZ003, RZ004는 IPO 당시 투자설명서에 글로벌 제약사와 MTA 계약을 체결하여 기술 평가 중이고, 계약일이 구체적으로 공개되지 않았으나 계약기간은 1년~2년이다. 따라서 투자설명서가 공시된 날짜가 2025년12월5일이고, 계약은 그 전에 체결된 상태였을 것임을 고려하면 올해 중 1건 정도의 추가 기술이전을 기대해 봄 직하다. 신규 플랫폼인 Circular RNA와 관련하여, 투자설명서에 경쟁제품으로 Orna Therapeutics(US)의 기술이 언급되었는데, Orna는 '26년2월 Lilly에 M&A 되었다.

도표 3. 알지노믹스 파이프라인 개발 현황

파이프라인	치료분야	적응증	전임상	1상	2상	3상	파트너사 / 사업화	비고
RZ-001	항암제	간암 (면역항암제 병용)		● (1b/2a)			Roche, Celltrion (병용약물 무상공급)	FDA 희귀의약품, 신속심사 지정 3Q28, 임상 종료
		교모세포종		● (1/2a Part A)			-	FDA 희귀의약품, 신속심사 지정 4Q26, Part B 진행
RZ-003	퇴행성질환	알츠하이머병	●				Global 기업과 MTA 체결	L/O 추진 중
RZ-004	안과질환	망막색소변성증		● (1/2a Part A)			Global 기업과 MTA 체결	2Q27, Part B 진행 및 L/O 추진
RZ-005	신경발달 질환	레트 증후군	●				IND Enabling 진행	-
유전성 난청	난청	유전성 난청					Lilly (25.5월 연구협력 및 라이선스 계약 체결)	플랫폼 딜

자료: 알지노믹스IR, 하나증권

2) RZ001: 간암(면역항암제 병용)/교모세포종

임상 진행 속도 가장 빠름
FDA로부터 Fast track 및
희귀의약품 지정

RZ001은 종양 특이적인 hTERT mRNA를 타겟하고, 치료용 RNA로서 HSVtk를 발현하며, Adenovirus(DNA virus)를 전달체로 이용한다. hTERT는 Telomerase를 구성하는 역전사효소(reverse transcriptase)인데, 염색체 양 말단에 위치하는 텔로미어(telomere)를 유지시키는 핵심적인 역할을 한다. 90% 이상의 암 세포에서도 고발현 하고, 약물 내성에도 관여하는 것으로 알려져 있으며, 특히 후기 간내 재발(intrahepatic recurrence, IHR)을 진단하는 주요 인자이기도 하다. HSVtk는 Valganciclovir의 활성체인 Ganciclovir를 인산화하여 암세포의 DNA 파괴 기작을 높이고, Bystander effect까지 기대할 수 있다.

RZ001은 파이프라인 중 가장 개발 속도가 빠르다. 현재 원발성 간암(HCC, Hepatocellular Carcinoma)과 교모세포종(GBM, Glioblastoma) 모두 한국/미국에서 임상을 진행 중이고, FDA로부터 Fast track과 희귀의약품 지정 받았다. 지금 임상 중인 암종은 시장성이 낮아 보일 수 있으나 unmet needs가 매우 높고, 여기서 안전성과 효능이 입증되면 시장성이 큰 다른 암종으로도 확대가 가능할 것이다.

간암(HCC) 용량 증량
'26년 상반기 암학회 중간 결과
발표 예상

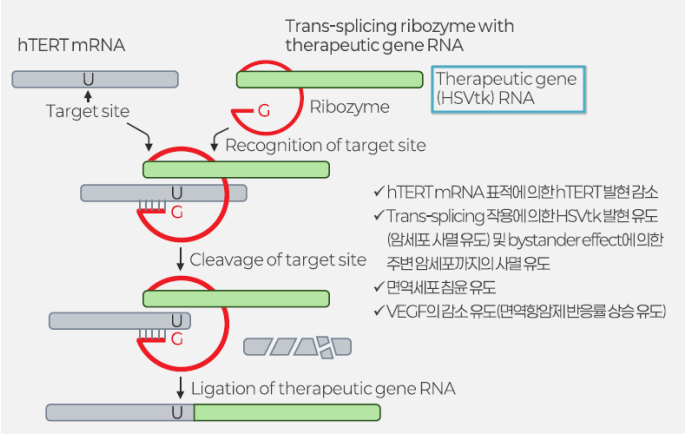
간암의 경우, Valganciclovir 및 Atezolizumab(Tecentriq)+Bevacizumab(Vegzelma)과의 병용으로 임상1b/2a를 진행 중이고, Roche와 셀트리온과 파트너십을 맺고 각각 Atezolizumab 및 Bevasizumab을 무상 공급받고 있다. RZ-001 간세포암 대상 임상시험은 임상1b/2a상이며 안전성 검증과 유효성 탐색을 동시에 할 수 있다는 점에서 다소 독창적인데, 15명씩으로 구성된 3개의 용량군별로 각각 3명에서 안전성을 확인 후 안전성 심의위원회(SRC)로부터 승인을 받으면 나머지 12명에 대해서 임상을 진행하는 방식이다. 즉 first in human study PK시험에서 종종 적용되는 sentinel dosing(단계적 용량상승)의 요소를 응용했고, 두번째 용량군까지 안전성이 모두 확인되면 일반적인 무작위성 용량 탐색의 임상 2a 형태가 되도록 의도한 것이다. 현재 3개 용량군 모두에 대해 무작위 배정이 가능한 상태가 되어 있으며, 상반기 4월 AACR에서 중간 결과 데이터를 공개하고, 하반기 ESMO 또는 '27년 메이저 학회에서 최종 결과 확인 및 다음 단계의 임상진입 소식을 들을 수 있을 것으로 예상된다. RZ001 간암 임상 1b/2a 임상은 3Q28에 종료하는 것으로 보여지고 있으나, 현재 임상이 계획대로 잘 진행되고 있어, 예정된 기간 보다 더 이르게 임상을 마치는 것도 기대해 봄 직하다. 지금까지 DLT에 도달하지 않았고, 안전성과 관련된 이슈는 발견되지 않았다. 원발성 간암은 국내외 주요 사망원인 중 하나로, 표준 치료제 반응률이 30% 미만에 불과하다.

교모세포종 용량 증량 결과는
'26년 하반기 암학회 발표 예상

교모세포종의 경우, Valganciclovir와의 병용 투여로 임상1/2a를 진행 중이다. 현재 Part A에서 용량 증량 평가 중이고, 총 5개의 cohort 중 4번째 cohort가 완료되었다. 지금까지 DLT에 도달하지 않았고, 안전성과 관련된 이슈는 발견되지 않았다. 동사는 이르면 '26년 하반기에 Part A(용량 시험) 데이터를 발표할 예정이고, data cutoff 시기를 고려하면 중간결과일 것으로 예상한다. 교모세포종은 평균 생존율이 12~15 개월에 불과하고, 5년 이상 생존율이 5% 미만인데, 치료법이 방사선 치료+Temozolomide 투여만 존재하여 unmet needs가 매우 높아 신약 개발 가치가 높다는 판단이다.

치료용 RNA인 HSVtk는
Valganciclovir 투약시 효능

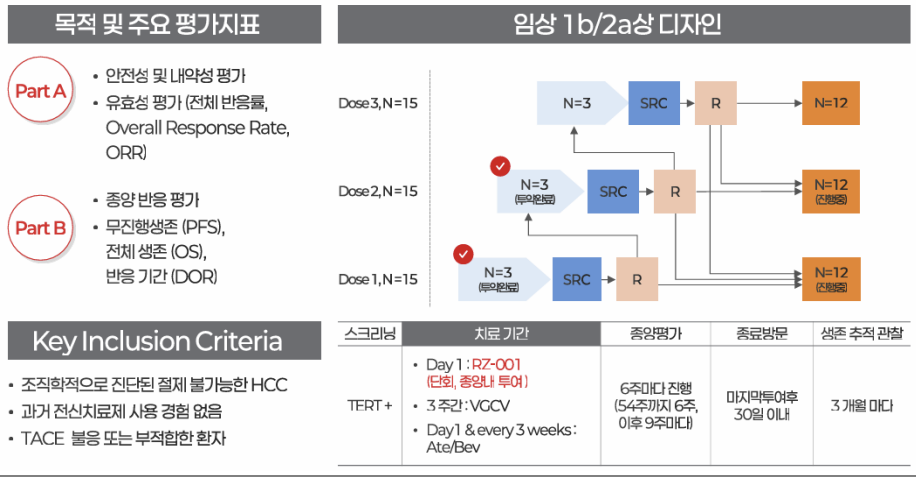
도표 4. RZ001의 구조와 특징



자료: 알지노믹스, 하나증권

용량 증량 시험(Part A)
마지막 cohort 진행 중
(4Q27~3Q28 종료 예상)

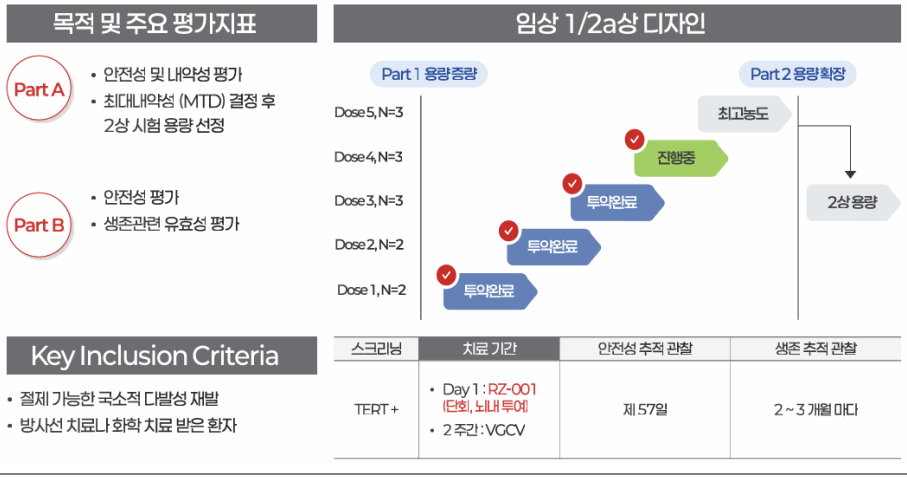
도표 5. RZ001의 간암 임상1b/2a 디자인



주: SRC, safety review committee; R, Randomization; VGCV, Vanganciclovir
자료: 알지노믹스, 하나증권

용량 증량 시험의 마지막 cohort
진행 중
(1Q29 종료 예상)

도표 6. RZ001의 교모세포종 임상1/2a 디자인



주: SRC, safety review committee; R, Randomization; VGCV, Vanganciclovir
자료: 알지노믹스, 하나증권

3) RZ003: 알츠하이머 치료제

알츠하이머 환자군의 40~65% ApoE4 발현

RZ003은 ApoE4를 제거하고, 치료용 RNA로서 ApoE2를 발현한다. 전달체로는 뇌에 특화된 AAV를 이용한다. ApoE는 지질과 콜레스테롤 운반 기능을 하는 단백질이다. 마우스 실험에서는 해마-내(intra-hippocampal)과 대조내(intra-cisterna magna) 투여하여 약효를 확인하였으나, 사람의 경우 뇌척수액(CFS) 투여할 계획이다. ApoE4 단백질이 발현된 환자의 경우 일반인 보다 알츠하이머 발병 위험이 3~12배 증가한다. ApoE4의 알츠하이머 발병 기전이 명확하게 밝혀진 것은 아니나, Aβ의 분해 및 제거가 감소하여 아밀로이드 플라그가 형성되고, Tau의 과인산화를 유도하여 신경섬유엉킴(NFT, neurofibrillary tangle)을 일으키고 세포 내 미세골격 손상을 유발한다. 이와 더불어 ARIA 발생율도 높고, 염증, BBB 손상 등의 신경 독성 위험도 따른다.

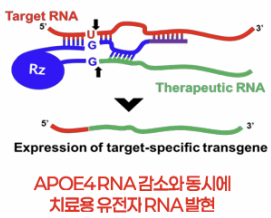
현재 상용화된 대표적인 알츠하이머 치료제인 레켐비, 키순라는 ApoE4 동형 접합 환자인지 여부를 투약 전에 확인해야 하고, 동형 접합 환자의 경우 ARIA 부작용 위험을 고지해야 한다. 호주는 동형 접합 환자는 치료 대상에서 제외하는 조건으로 승인하였다. 전체 알츠하이머 환자군의 40~65%가 ApoE4 단백질이 발현하는 것을 고려하면, unmet needs가 매우 크다.

전임상 단계 진행 중 L/O 후 IND enabling study '28~'29년 진행할 것

한편 ApoE2는 ApoE4가 신경 독성을 일으키는 기전과 반대되는 선순환적 메커니즘을 갖기 때문에, ApoE 관련 알츠하이머 치료제 개발 접근 방법으로는 ApoE2를 발현시키는 것도 시도되고 있다. 예를 들어 경쟁약물인 LX1001은 AAV를 이용하여 ApoE2를 신경교세포(glia cell)에 발현시키는 방식이고, 임상1/2를 진행 중이다. LX1001은 치료 단백질인 ApoE2를 발현시키지만 병인인 ApoE4를 제거하지는 못하므로 알지노믹스의 RZ003와 큰 차이점을 갖는다.

아쉬운 점은 RZ003은 아직 전임상 단계이기 때문에 LX1001과 같은 경쟁제품 대비 우수성을 Human 수준에서 증명하기엔 데이터가 부족하다는 것이다. 회사는 전임상 단계에서 L/O를 시도한 후 파트너십을 통해 임상 진입할 계획이고, 이 경우 '28년~'29년경 IND enabling study를 진행하고 임상에 진입할 수 있을 것이다.

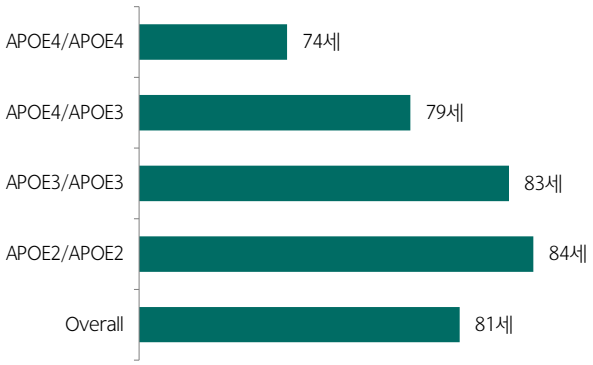
도표 7. RZ003의 작동 원리



- 다중 효력 탑재
- 다중 표적화
- Modular engineering
- 조기 치료 가능
- 질병의 근본적 수정 치료제

자료: 알지노믹스, 하나증권

도표 8. ApoE 발현 형태에 따른 치매 증상 발현 나이



자료: Fortea et al. Nature Medicine (2024), Rx Home Test, 하나증권

도표 9. ApoE 관련 알츠하이머 치료를 위한 접근 방법

치료 전략	실험 기반 접근법
ApoE2 뇌 전달	• ApoE2 발현을 인코딩하는 AAV; ApoE2 플라스미드를 포함하는 표면 기능화 리포좀
ApoE4 발현의 하향 조절	• ApoE4를 표적으로 하는 ASO
ApoE4 수치 감소	• 항-ApoE4 단일클론 항체를 이용한 면역 요법
ApoE4가 신경독성 파편으로 단백질 분해 방지	• ApoE4 도메인 상호작용을 억제하는 소분자 화합물 (구조 교정제)
ApoE ε4 대립유전자를 ε3 또는 ε2로 전환	• CRISPR-Cas9 기술
LRP1 매개 Aβ 제거를 위한 ApoE4 지질화 증가	• ABCA1 작용제
콜레스테롤 운반 및 수초 형성 증가	• 콜레스테롤 생합성 억제제

자료: Mariana Pires et al. (2023), 하나증권

도표 10. APOE4 표적 알츠하이머 질환 치료제 개발사 기술 비교

회사명	Lexeo Therapeutics			ADEL	ALZHEON	Artery Therapeutics
파이프라인	LX1001	LX1020	LX1021	ADEL-Y04	ALZ-801 (Valiltramiprostate)	CS6253
타입	유전자 치료제			ApoE4 특이적 항체	항 Oligomer 작용제 (경구용 저분자화합물)	ABCA1 작용제 펩타이드
MoA	APOE2 cDNA 주입 (rh.10 AAV)	ApoE2 발현 + ApoE4 억제(microRNA)	Christchurch modified ApoE2 처리	ApoE4 억제	Abeta4 응집 억제, GABA 수용체 활성화	ABCA1 활성 (ABCA1=ApoE 지질화 단백질)
개발단계	임상1/2	후보물질 발굴	전임상	전임상	임상3	임상1

자료: 알지노믹스, 각 사, 하나증권

4) RZ004: 망막색소변성증(retinitis pigmentosa)

RP는 다수 돌연변이가 관여
RZ004는 한꺼번에 치료 가능

망막색소변성증은 알지노믹스의 RNA trans-splicing ribozyme 플랫폼의 우수성을 입증하게 적합한 적응증 중 하나이다. 망막색소변성증 중 RHO 유전자 돌연변이에 의한 경우, 광수용체 세포에서 돌연변이 단백질의 비정상적인 국소화 및 세포 응집을 유발하여 광수용체 세포의 세포 사멸을 초래하고 정상적인 광 신호 전달 기능을 발휘할 수 없게 된다. 이 질환의 유전적 병인인 로돕신(Rhodopsin) 변이에 관여하는 유전자가 Exon1의 P23H 이외에 150개 이상 관찰될 정도로 다양한데, 동사의 플랫폼은 이 정도의 유전자를 한꺼번에 제거하고 치료용 RNA로서 정상 Rhodopsin 발현할 수 있다. 치료용 RNA의 서열의 종류와 길이는 제한이 없으나, 전달체가 수용할 수 있는 사이즈가 4.7kb 수준이므로 이 범위 내에서는 이론적으로 표적이 될 수 있다.

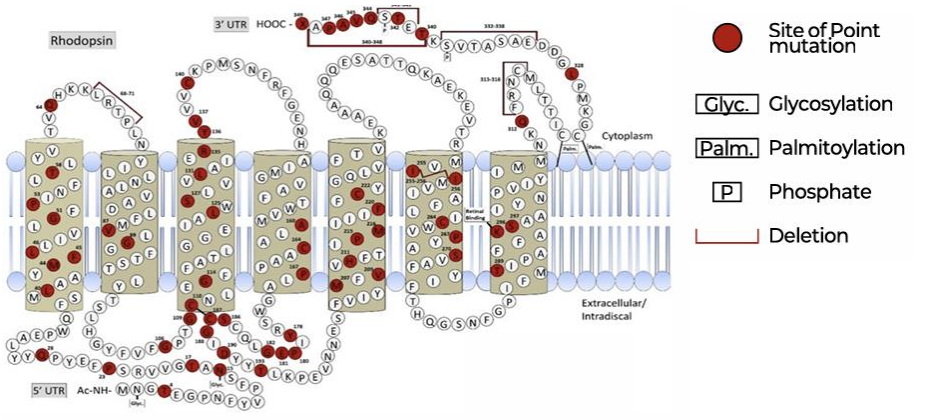
호주 임상 1/2a IND 신청
'26년 상반기 중 투약 예상

RZ004는 Rhodopsin의 돌연변이 RNA를 제거하고, 치료용 RNA로서 정상 Rhodopsin을 발현하며, AAV로 전달하기 때문에 망막-하(sub-retinal) 투여한다. RHO 돌연변이는 망막색소변성증에서 전체 돌연변이 중 27.9%로 가장 높은 비율을 차지하므로, 치료제로 성공 시 가장 큰 시장을 점유할 수 있을 것으로 전망된다.

RZ004는 P23H/Q344X 돌연변이 모델에서 용량의존적으로 시력 유지/개선 효력을 확인하였다. 임상은 호주에서 진행할 예정으로, P1/2a에 대한 IND 승인은 '24년 하반기에 획득했으나 임상 시료 생산, IPO 일정 등으로 자금 조절 및 개발 전략 차원에서 아직 임상에 진입하지는 않았다. 그 사이 대형 기술이전과 성공적인 IPO를 마쳤기에 곧 Part A의 첫 환자 투약 소식도 들을 수 있지 않을까 기대한다. 지금 계획된 임상 디자인 상으로는 망막 하 투여로, 3+3 방식의 3개 용량에 대해 평가하고 1년 간 F/U하는 증량 시험이다(오픈라벨, Part A는 3명씩 총 9명, Part B는 용량 확장시험으로 30명 대상).

도표 11. RZ004가 타겟하는 Rhodopsin 돌연변이

RHO 유전자 돌연변이만
150개 이상



주: SRC, safety review committee; R, Randomization; VGCV, Vanganciclovir
자료: 알지노믹스, 하나증권

5) 유전성 난청 – Lilly 기술이전

후보물질 발굴 단계에서 $1.3bn 규모 L/O

유전성 난청의 경우 후보물질 발굴 단계로서 파이프라인 명은 아직 없다. Lilly와의 계약은 비상장 단계였던 '25년 5월에 체결되었고, 유전성 난청 치료제 개발이 목적이다 (upfront 비공개, 총 계약 규모 $1.334bn, 로열티 별도). 타겟 별로 개발 옵션을 행사하면 사전에 정해진 조건에 따라 마일스톤을 수령하는 구조이고, 타겟의 개수는 정해져 있으나 비공개이다. 알지노믹스는 초기 단계의 연구 및 후보물질 발굴을 담당하고, Lilly는 전임상/임상 등 후기 단계의 개발 및 생산과 상업화를 담당한다. 일정한 한도 내에서 타겟 별로 연구비를 지원 받고, 연간 목표 판매량 기준에 따른 로열티도 별도로 지급 받는데, 이러한 R&D funding과 상업화에 따른 로열티는 총 계약 규모에 포함되지 않는다. 최근 2월19일 Lilly로부터 연구개발비를 수령(금액은 비공개)하였는데, 이러한 R&D funding 계약에 기반한 것이다. 유전성 난청에 관여하는 유전자 돌연변이는 유의미한 관여도(2% 이상)를 갖는 것만 10종 이상으로, 전임상 단계에서 안전성과 효능만 인정 받는 다면 수차례의 옵션 행사를 기대할 수 있을 것으로 전망된다.

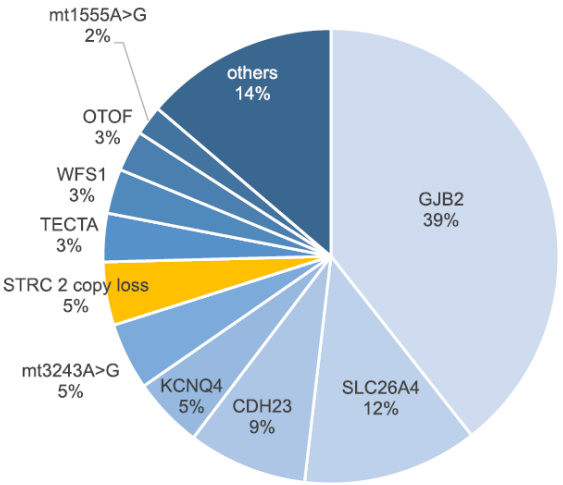
Lilly는 유전성 난청에 진심 매우 Early 단계지만 향후 협업 기대가 높은 이유

동사가 후보물질 발굴 단계 수준에서 기술이전이 가능했던 것은, Lilly가 관심이 높았던 질환의 새로운 작동 기전을 갖는 modality로서 주목을 받았기 때문인 것으로 보인다. Lilly는 '22년 Akouos를 인수하며 유전성 난청 질환 치료제 개발에 뛰어 들었다. Akouos가 개발 중이던 AK-OTOF-101 임상1/2 연구는 계속 진행 중으로, '24년 공개한 결과에 의하면 첫 번째 투약 환자에서 30일 내 청력 회복이 관찰되었고 내약성과 안전성에서 문제가 없음이 확인된 바 있다 (NCT05821959, 22명 대상, 2028년 10월 종료 예정).

Lilly는 Akouos 인수 후, '25년 알지노믹스와의 협업에 이어, '26년 1월 Seamless Therapeutics와도 총 계약규모 $1.12bil (선급금, 연구개발비, 마일스톤 포함)에 로열티 별도의 조건으로 유전성 난청 치료제 관련 공동연구 개발 계약을 체결하였다. Seamless Therapeutics는 Zinc Finger라는 특수한 인지자를 이용하여 유전자재조합효소의 표적 선택성을 높인 기술(ZF와 재조합효소를 링커로 연결)을 보유하고 있다. 이는 CRISPR에서 발전된 버전으로, 기존의 CRISPR는 DNA를 자르고 교정하는 것 까지만 하고 붙이는 과정은 세포에게 맡기는 반면, Seamless의 기술은 DNA를 자르고 유전자 교정 후 직접 붙여준다. 세포는 DNA가 잘린 스트레스 상태에서 스스로 복구하다가 오류가 종종 발생하는데, Seamless는 그럴 우려가 없다는 것을 장점으로 갖는다.

Seamless의 기술도 아직 Human Data가 없으므로, 알지노믹스와 비교하여 기술적인 우위는 판단하기 어렵다. 또한 알지노믹스와 Seamless의 계약 체결 간격이 1년이 채 되지 않기 때문에, 기술비교평가가 고려된 것 같지 않다. 다만, 알지노믹스는 간암/교모세포종에서 Human PoC를 확인하는 중이므로, 안전성만 입증되어도 경쟁사들 대비 개발 속도는 더 빠를 것으로 기대한다.

도표 12. 유전성 난청에 관여하는 유전자 돌연변이 유형



자료: Yoh Yokota et al. (2019), 하나증권

도표 13. Eli Lilly와의 유전성 난청 치료제 개발 계약 내용

항목	상세 내용
계약 상대방	일라이 릴리
계약 형태	공동 연구 및 라이선스 계약
대상 기술	RNA 치환효소 플랫폼 (타겟별 후보물질 발굴, 표적 특이 RNA 치환효소 및 벡터 최적화 기술)
계약 내용	• RNA 치환효소 플랫폼을 활용한 유전성 난청 질환 치료제의 공동연구 및 상업화 권리 이전 (타겟별 개발 옵션 행사 시 선급금 및 마일스톤 수령) • 알지노믹스는 초기 연구, 후보 물질 발굴, 일라이 릴리는 전임상/임상 등 개발 및 생산, 상업화 • 타겟별 연구비 및 목표 판매량 기준에 따라 로열티 별도 지급
계약 기간	2025.05.13 ~ 로열티 기간 종료일까지
총 계약 금액	$13.34억 / 경상로열티 별도

자료: 알지노믹스, 하나증권

6) Circular RNA: 새로운 플랫폼 추가 시도 중

기존 보유하던 플랫폼 대비 면역원성 위험이 낮고, 전신 투여가 가능한 장점

원형 RNA는 virus가 아닌 LNP 또는 폴리머 등의 전달체를 이용하므로 면역원성 위험이 낮고, 반복 투여가 가능하며, 전신 투여 경로로 전달이 가능하다. 선형 mRNA와 비교하여 안정성(stability)이 높아 체내에서 장기간 분해되지 않고 계속해서 단백질을 생산할 수 있다. 동사는 부가적인 공정 없이, 시험관 내 RNA 전사과정 중 스스로 원형 RNA를 생성하고, 불필요한 서열을 남기지 않는 STS(self-targeting and splicing) 방식을 이용하여 원하는 서열로만 구성된 것이 특징이다. 예를 들어, Orna Therapeutics의 PIE(역배열, Permuted Intron-Exon)는 원형을 형성할 때 End-to-End를 인식할 site가 필요하고 반응 후 그게 잘려 나가지 않아서 30nt~180nt의 잔여 서열이 남게 된다. 알지노믹스의 STS 방식은 자기 스스로 자르고 원형을 만들게 되므로 정밀하게 어느 서열까지 원형 RNA에 포함시킬 것인지 설계를 할 수 있다. 잔여 서열의 체내에 어떤 현상을 일으킬지 의견은 아직 분분하다. 원형 RNA에 관한 연구가 매우 극초기이기 때문인데, 그렇게 독성과 효능 비교, human data를 통한 안전성 확인, 사용 방식의 제안(ex. In vivo CAR-T) 등이 기술이전에 중요한 요소가 될 것이라 판단한다.

Orna Therapeutics는 Lilly가 재빠르게 인수하며 본격적인 CircRNA 활용

알지노믹스의 투자설명서에 경쟁사로 언급되었던 미국 소재의 Orna Therapeutics가 2월10일 Lilly에 $2.4bn 규모로 인수되었다. Orna는 원형 RNA를 이용한 in vivo CAR-T 치료제를 개발 중(비임상 단계)이다.

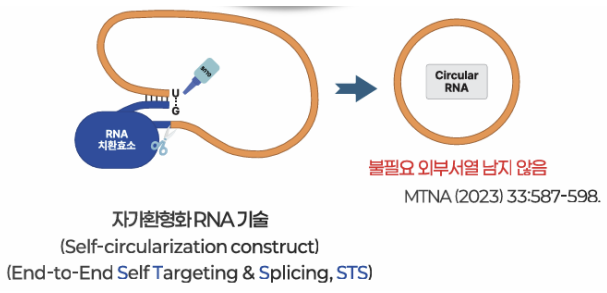
In-vivo CAR-T는 투약 후 체내에서 CAR-T가 생성될 수 있도록 하는 플랫폼을 의미한다. 기존의 CAR-T 치료법은 환자 혈액에서 T-Cell을 채취하고, ex-vivo(생체 밖) 환경에서 유전자 조작 및 배양 과정을 거쳐 제조된 CAR-T를 다시 환자에 주입하는 방식이다. 따라서 개인 맞춤형으로 가격이 수 억원 대로 비싸고, 시간이 오래 걸리며, 제조 site로 채취한 세포를 배송했다가 다시 환자로 배송해 오면서 세포의 효능이 감소하는 위험도 따른다. 반면 in-vivo CAR-T는 CAR-T로 조작하는데 사용할 mRNA를 환자에게 주입하고, 주입된 mRNA가 환자 체내의 T-Cell에서 발현하도록 한다. 따라서 환자로부터 T-Cell을 채취하는 단계와 제조 site로부터 왕복 배송하는데 따르는 효율 감소 및 비용 문제를 해결할 수 있다. 무엇보다 범용적인 치료제라는 점에서 기존의 CAR-T 치료법 대비 큰 장점을 갖는다.

알지노믹스의 CircRNA 과제는 활용처를 제시하는 것

Orna Therapeutics는 Lilly 외에도 '22년 MSD에 총 계약 규모 $3.65bn(upfront $150mn)에 원형 RNA 플랫폼 기반 감염병 백신 및 암 치료제 공동개발계약 체결하였고, '25년 1월 Vertex에 SCD(겸상적혈구병)/TDT(수혈의존성 베타지중해성빈혈) 포함 10개의 프로그램 옵션에 대해 유전자 편집 약물 관련 LNP 플랫폼을 최대 $4.35bn(upfront $65mn)에 기술이전한 바 있다.

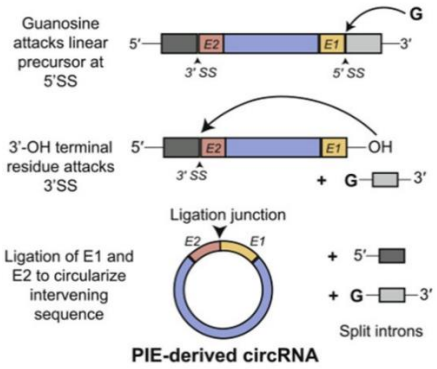
원형 RNA는 아직 새롭게 시도되는 플랫폼 형태로, Orna Therapeutics의 PIE 방식도 완전하지 않고 새로운 접근 계속 시도 중이다. PIE 기술은 최종 원형 RNA 산물에 원형화를 위해 도입한 불필요한 외부 서열(E1/E2 조각)이 반드시 남게 되는 한계점이 있다. 이 외부 서열은 면역원성을 유발할 가능성을 내포한다. 그럼에도 Eli Lilly에 인수될 수 있었던 것은, 이 원형 RNA를 in-vivo CAR-T라는 장점이 뚜렷하면서 명확한 활용처를 제시했기 때문이라 판단한다. 알지노믹스도 원형 RNA 플랫폼 활용 계획이 어떻게 내놓을지 많은 관심을 가져볼 만하다.

도표 14. 알지노믹스의 CircRNA 플랫폼인 STS



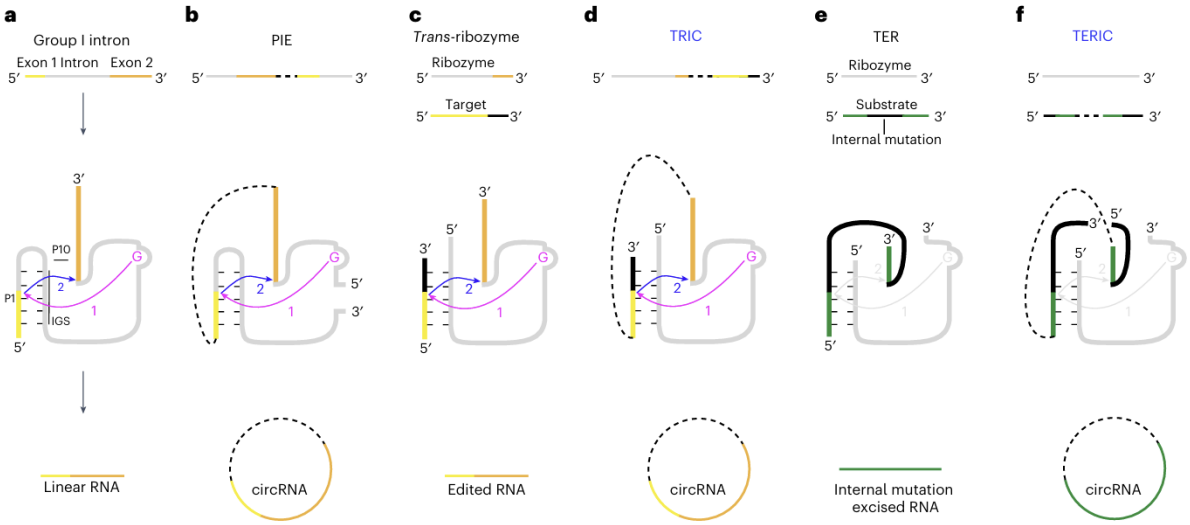
자료: 알지노믹스, 하나증권

도표 15. PIE CircRNA 형성 원리



자료: Boc Sciences 2023.08.11, 하나증권

도표 16. CircRNA 작동 원리



주: TRIC, trans-ribozyme-based circularization; TER, trans-excision ribozymes; TERIC, trans-excision ribozyme-based circularization
자료: Yifei Du et al. (2024), 하나증권

도표 17. CircRNA 제조 방법에 따른 특징

구분	T4 RNA Ligase 1	T4 DNA Ligase	T4 RNA Ligase 2	PIE (Permuted Intron-Exon)	STS (End-to-end self-targeting & splicing)
합성 방식	효소적 연결			리보자임 매개 고리화	
기전	ssRNA 기질의 효소적 연결	RNA-DNA 이중가닥 연결	RNA-DNA 이중가닥 또는 dsRNA 연결	intron의 cis 자가 스플라이싱	intron의 trans 자가 인식 및 스플라이싱
circRNA 크기	6 또는 8 ~ 4,500 nt	84 ~ 1,100 nt	18 ~ 1,700 nt	48 ~ 6,700 nt	155 ~ 1,600 nt
고리화 조건	5'-P와 3'-OH 필요; 내부 구조 또는 DNA splint로 전구체 말단 근접 필요	5'-P와 3'-OH 필요; DNA splint 필요; 균일한 RNA 말단 선호	5'-P와 3'-OH 필요; RNA 또는 DNA splint 필요; 균일한 RNA 말단 선호	정확한 splice site 인식 필요; 리보자임 두 절반의 효율적 조립 필요	정확한 splice site 인식 필요
Scar (잔여 서열)	없음 또는 self-splint 구성 시 20–100 nt scar	없음	없음	30 ~ 180 nt scar (8 nt까지 최소화 가능)	13 nt scar (6 nt까지 최소화 가능) **(알지노믹스는 전혀 남지 않음)**
연결 정확도	낮음	부분적으로 정확	부분적으로 정확	정확함	정확함
생산 확장성	추가 정제 및 추가 연결 단계 필요; 5'-P 형성 위한 특수 처리 필요; 균일한 RNA 전구체 필요			전사 중 효소 비의존적 환형화 가능; 불균일 RNA 전구체 및 불순물 허용	
정제 복잡성	부산물 단순하나 circRNA와 전구체 크기가 동일해 정제 어려움			부산물 복잡하지만 긴 전구체 덕분에 circRNA 정제 용이	
RNA 변형 적용성	다양한 변형 허용 (Ψ, m1Ψ, m5C, m6A, 2'-F, 2'-OMe, 2'-MOE, Cy5-U, XNA 등)			Anabaena 기반: m6A, m1Ψ (리보자임 억제), T4 td 기반: m6A, Ψ, inosine	Tetrahymena 기반: 2'-OMe-A, m5C
면역원성	낮음; 구조화된 scar 없음; 5'-monophosphorylation 처리			구조적 scar 잔존 및 5'-PPP RNA 흔적 가능성 → 면역원성 가능	5'-PPP RNA 잔존 가능 → 면역원성 가능

주1: 2′-F, 2′-fluoro; 2′-MOE, 2′-O-methoxyethyl; 2′-OMe, 2′-O-methyl; 3′-OH, 3′ hydroxyl group; 5′-P, 5′ phosphate; 5′-PPP, 5′ tri-phosphate; circRNA, circular RNA; Cy5-U, cyanine 5-uridine; dsRNA, double-stranded RNA; m1Ψ, N1-methylpseudouridine; m5C, 5-methylcytosine; m6A, N6-methyladenosine; nt, nucleotide; Ψ, pseudouridine; ssRNA, single-stranded RNA; T4 td, T4 thymidylate synthase.

주2: 해당 표의 주석 내용도 참고 "연결정확도(Ligation fidelity)는 circRNA로 오류로 비주형(non-template) 서열이 들어가는 것을 방지하는 특이성을 의미함. T4 DNA ligase 와 T4 RNA ligase 2가 주형으로 유도하는 특이성을 갖지만 비특이적 연결도 발생 가능함. STS는 효소적 연결에 비해 연결 정확도가 높지만, 숨겨진 잘못된 접합으로 인해 비특이적 연결이 발생할 수 있음"/ **단, 알지노믹스의 기술은 Scar가 전혀 남지 않도록 설계됨**

자료: Eoghan O'Leary et al. (2025), 하나증권

3. 재무 현황 및 자금 지출 계획

1) 기업 개요 및 적정 기업가치

Peer 대비 적정한 가치
추가 L/O시 총 계약 규모가
Upside 될 것

알지노믹스는 2025년 12월 18일 코스닥 상장하였다. Eli Lilly에 약 1.9조원 규모의 기술이전 이력이 있음에도 불구하고 상단 시가 총액 3,098억원(주당 22,500원)에 상장하여 연일 상한가를 경신하였고, 현재 조정을 거쳐 시가총액 1.9조원 대에 머물러 있다. 기술이전 총 계약 규모를 그대로 시가 총액에 반영하는 최근 분위기를 고려하면, 적정한 수준이라는 판단이다. Wave Life Science가 현재 약 3.7조원 대를 형성하고 있는데, GSK향으로 8개 프로그램에 대해 약 4조원의 기술이전 계약을 체결하였다가 그 중 1개 (AATD 치료제인 WVE-006)를 반환했다. 비만 치료제 중간 결과 발표로 급등한 주가는 GSK의 반환 소식에도 불구하고, 거의 조정을 받지 않았다. 한편 Ascidian은 비상장 기업인데 '24년에 Roche에 약 2.6조원 대 기술이전을 한 바 있다. Ascidian이 '23년 시리즈A까지 $90mn 펀딩 받았던 것으로 기준으로, 1) 시리즈A 당시 30% 지분 희석, 2) 이후 시리즈B/IPO 펀딩 때 2배씩 성장한 것을 가정, 3) ''25년 초와 최근 IPO 시장의 밸류에이션 갭에 대한 프리미엄 32% 정도 (나스닥 바이오텍 ETF인 IBB의 '25년 1월 2일 종가 $133 대비 '26년 2월 26일 $176 상승률) 부여하면, 현재 기업가치 2.2조원 규모일 것으로 추정한다. 이러한 것을 고려해 보면 기술이전 총 계약 규모를 시가총액에 반영하는 것이 무리수는 아니라는 판단이다. 항암제인 RZ001, 망막치료제인 RZ004, 알츠하이머 치료제 RZ003 모두 시장에서 큰 주목을 끌고 있는 파이프라인이기에, 추가 기술이전이 있다면 업사이드는 여전히 높게 남아 있다.

2) 자금 지출 예상 및 추가 조달 계획

현금 보유량 570억원
Lilly의 R&D 펀딩 등
약 3년 간 추가 조달 불필요
+ 기술이전으로 더욱 안정될 것

동사는 상장 당시 오버행이 높은 것으로 시장의 우려를 산 바 있다. 그러나 1월 19일 24.3% (해제일 당일 유통주식 수 대비 41.7%)라는 엄청난 오버행 물량에도 불구하고 주가는 크게 흔들리지 않고 버텨냈다. 남은 3개월 오버행 물량이 주가에 부담을 줄 수 있는 수준이나, '26년 유전자치료제에 대한 전망이 밝고, 추가 기술이전 가능성도 높기 때문에 이번에도 크게 흔들림 없이 지나갈 것으로 보인다.

2025년 12월 말 기준, 동사의 현금 보유량은 약 500억원 수준으로 예상된다. 연간 평균적인 고정비와 연구비를 합쳐서 150~180억원이고, Lilly 향으로 개발 속도가 붙는다 하더라도 R&D 펀딩을 받고 있기 때문에 부담이 크지 않을 것이다. 따라서 현재 현금 보유량으로 보아 3년 이상 충분히 런웨이가 확보되어 있다는 판단인데, 그 전에 기술이전이 발생하거나 Lilly로부터 마일스톤을 수령하는 이벤트가 발생할 가능성이 높기 때문에 자금적으로는 안정적인 상태로 판단된다.

남은 오버행은 3월 18일 3,008,552주로 전체 유통주식수 대비 21.59% (해제일 당일 유통주식수 대비 26.3%)인데, 유전자 치료제의 전망이 밝고, 4월-5월에 RZ001 데이터 공개도 앞두고 있기 때문에 펀드 만기가 넉넉한 비상장 투자자들은 성급하게 오버행을 풀어내지 않을 것이라는 판단이다. 상반기에 Bio-Europe, Bio-USA 등에도 꾸준히 참석하면서 추가 파트너십을 모색한다고 하니, 참고하면 좋을 것이다.

도표 18. 유사 기술 바이오텍의 시가 총액 비교

기업명	기업 가치	계약 질환	계약일	총 계약 규모	계약 내용 상세
알지노믹스	1.9조원 (2026.03.06 종가)	유전성 난청	2025.05.	13억 달러 (1.9조원)	유전성 난청 독점, 타겟 수 비공개
WAVE	3.7조원 (25.6억 달러)	8개 프로그램 (AATD는 반환)	2022.12.13 ('26년 1개 반환)	30.3억 달러 (4.3조원)	GSK L/O, 8개 프로그램, 현금 1.2억 달러 (1.7조원), 지분투자 5천만 달러(7,000억원)
Ascidian	2.2조원 (비상장 추정)	신경계 질환	2024.06.18	18.4억 달러 (2.6조원)	Roche L/O, upfront 4200만 달러(588억원)

주: Ascidian 기업가치 산정 - 2023년 시리즈A까지 90mln$ 펀딩, 30% 지분희석 가정, 시리즈B/IPO 각 2배씩 성장 가정해 현재 기업 가치 산정, 프리미엄 32% 부여(IBB의 '25년 1월 2일 종가 $133 대비 '26년 2월 26일 $176 상승률)
자료: 각 사, 하나증권

도표 19. 오버행 물량 현황

구분	날짜	유통주식수	보호예수해제 주식수	유통주식수 비중	총 상장주식 수 대비 해제 물량
상장일	2025년 12월 18일 (목)	4,851,103	-	34.80%	0.00%
15일	2026년 1월 2일 (금)	4,946,171	95,068	35.50%	0.68%
1개월	2026년 1월 19일 (월)	8,484,981	3,470,415	60.90%	24.91%
3개월	2026년 3월 18일 (수)	11,421,950	3,008,552	82.00%	21.59%
6개월	2026년 6월 18일 (목)	12,160,816	738,866	87.30%	5.3%
3년	2028년 12월 18일 (월)	13,933,842	1,769,838	100.00%	12.7%

주: 2026.02.15 유통주식수로 정정(상장 후 주식매수선택권 행사 등), 총 상장주식수: 13,933,842주, 보호예수해제 주식수는 상장전 투자기관과 공모참여기관 합계로 계산
자료: Dart, 하나증권

도표 20. 시나리오별 추정 매출

단위: 백만 원

	구분		2025년(E)	2026년(E)	2027년(E)	2028년(E)	2029년(E)
Case 1. 낙관적 시나리오	파이프라인 기술이전	RZ-001	-	-	-	-	28,019
		RZ-003	-	-	45,648	-	10,785
		RZ-004	-	-	-	17,538	6,433
	연구협력 및 라이선스 계약	Eli Lilly사	7,002	21,252	30,471	8,094	
		원형 RNA	-	-	1,242	966	-
		CNS 질환 플랫폼	-	-	-	35,604	32,304
	기타매출	기타	88	-	-	-	-
	합계		7,090	21,252	77,361	62,202	77,541

단위: 백만 원

	구분		2025년(E)	2026년(E)	2027년(E)	2028년(E)	2029년(E)
Case 2. 중립적 시나리오	파이프라인 기술이전	RZ-001	-	-	-	-	28,019
		RZ-003	-	-	45,648	-	10,785
		RZ-004	-	-	-	17,538	6,433
	연구협력 및 라이선스 계약	Eli Lilly사	7,002	952	11,903	13,464	7,648
	기타매출	기타	88	-	-	-	-
	합계		7,090	952	57,551	31,002	52,885

단위: 백만 원

	구분		2025년(E)	2026년(E)	2027년(E)	2028년(E)	2029년(E)
Case 3. 보수적 시나리오	파이프라인 기술이전	RZ-001	-	-	-	-	-
		RZ-003	-	-	-	45,648	-
		RZ-004	-	-	-	-	-
	연구협력 및 라이선스 계약	Eli Lilly사	7,002	952	-	8,213	7,023
	기타매출	기타	88	-	-	-	-
	합계		7,090	952	-	53,861	7,023

자료: 알지노믹스, 하나증권

도표 21. 알지노믹스 회사 프로필

회사명	㈜ 알지노믹스
사업영역	유전자치료제 연구 및 개발
임직원수	43명 (2025.12.31 기준)
자본금	70억원 (2026년 2월 말 기준)
법인설립일	2017년 08월 29일
소재지	경기도 성남시 분당구 판교로 253, 제C동 801호, 803호 (삼평동, 판교이노밸리)
홈페이지	www.rznomics.com

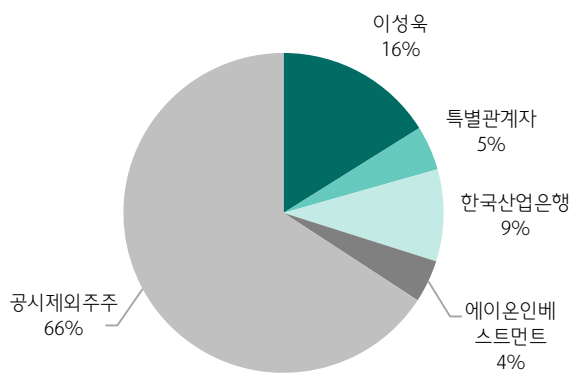
자료: Dart, 알지노믹스, 하나증권

도표 22. 주요 경영진 약력

성함	직책	약력
이성욱	대표이사	· 울대학교 자연과학대학 미생물학과 학사, 석사 · Cornell 대학교 이학박사 · 연구재단 국책연구본부 전문위원 · 한국유전자세포치료학회 회장 · (現) 단국대 생명융합공학과 교수
한승렬	R&D	· 단국대학교 이학박사 · 차세대오믹스연구소 선임연구원
홍성우	CDO	· 씨제이제일제당 의약사업부 · Otsuka Pharma Korea 임상개발본부 · 보령제약 임상개발본부
김상균	COO	· 지놈앤컴퍼니 경영관리그룹장 · 소시어스 PE · PwC 삼일회계법인 공인회계사
임종선	CFO	· 케어젠 CFO, 내부회계관리 책임자 · PwC 삼일회계법인 공인회계사

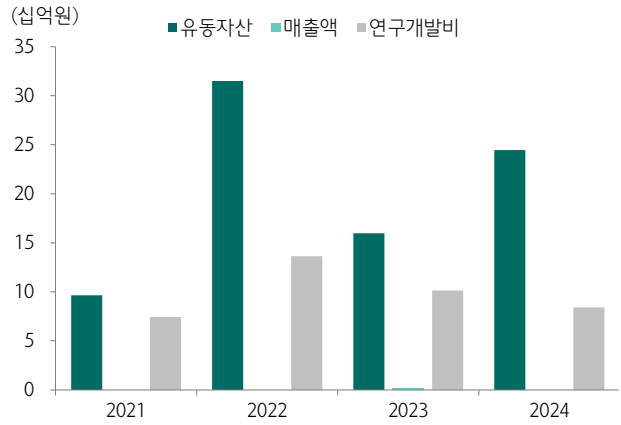
자료: Dart, 하나증권

도표 23. 주주현황



주: 2026.02.27 기준
자료: fnguide, 하나증권

도표 24. 유동자산, R&D 투자비율 및 매출액



자료: Quantiwise, 하나증권

추정 재무제표

손익계산서 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
매출액	**0**	**0**	**0**	**0**	**0**
매출원가	0	0	0	0	0
매출총이익	0	0	0	0	0
판관비	0	11	19	16	13
영업이익	**0**	**(11)**	**(19)**	**(16)**	**(13)**
금융손익	0	(12)	(12)	2	(6)
종속/관계기업손익	0	0	0	0	0
기타영업외손익	0	(0)	(0)	0	(0)
세전이익	**0**	**(23)**	**(32)**	**(14)**	**(19)**
법인세	0	0	0	0	0
계속사업이익	0	(23)	(32)	(14)	(19)
중단사업이익	0	0	0	0	0
당기순이익	**0**	**(23)**	**(32)**	**(14)**	**(19)**
비지배주주지분 순이익	0	0	0	0	0
지배주주순이익	**0**	**(23)**	**(32)**	**(14)**	**(19)**
지배주주지분포괄이익	0	(23)	(32)	(14)	(19)
NOPAT	0	(11)	(19)	(16)	(13)
EBITDA	0	(11)	(18)	(15)	(12)
성장성(%)					
매출액증가율	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
NOPAT증가율	N/A	N/A	적지	적지	적지
EBITDA증가율	N/A	N/A	적지	적지	적지
영업이익증가율	N/A	N/A	적지	적지	적지
(지배주주)순익증가율	N/A	N/A	적지	적지	적지
EPS증가율	N/A	N/A	적지	적지	적지
수익성(%)					
매출총이익률	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
EBITDA이익률	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
영업이익률	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
계속사업이익률	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A

대차대조표 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
유동자산	**0**	**10**	**32**	**16**	**24**
금융자산	0	9	31	16	24
현금성자산	0	5	5	12	12
매출채권	0	0	0	0	0
재고자산	0	0	0	0	0
기타유동자산	0	1	1	0	0
비유동자산	**0**	**3**	**4**	**4**	**4**
투자자산	0	0	0	0	0
금융자산	0	0	0	0	0
유형자산	0	1	2	1	1
무형자산	**0**	**0**	**0**	**0**	**0**
기타비유동자산	**0**	**2**	**2**	**3**	**3**
자산총계	**0**	**13**	**35**	**20**	**28**
유동부채	**0**	**51**	**97**	**93**	**120**
금융부채	0	49	93	92	119
매입채무	0	0	0	0	0
기타유동부채	0	2	4	1	1
비유동부채	**0**	**1**	**2**	**2**	**1**
금융부채	**0**	**1**	**1**	**1**	**1**
기타비유동부채	0	0	1	1	0
부채총계	**0**	**52**	**98**	**95**	**121**
지배주주지분	**0**	**(39)**	**(63)**	**(75)**	**(93)**
자본금	**0**	**0**	**2**	**2**	**2**
자본잉여금	0	0	5	5	5
자본조정	0	1	3	5	5
기타포괄이익누계액	0	0	0	0	0
이익잉여금	0	(41)	(72)	(86)	(105)
비지배주주지분	**0**	**0**	**0**	**0**	**0**
자본총계	**0**	**(39)**	**(63)**	**(75)**	**(93)**
순금융부채	0	41	63	78	96

투자지표

	2020	2021	2022	2023	2024
주당지표(원)					
EPS	0	(3,673)	(3,927)	(1,602)	(2,146)
BPS	0	(6,129)	(7,375)	(8,799)	(9,015)
CFPS	0	(1,506)	(2,082)	(1,541)	(1,306)
EBITDAPS	0	(1,711)	(2,302)	(1,716)	(1,341)
SPS	0	0	0	17	0
DPS	0	0	0	0	0
주가지표(배)					
PER	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PBR	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PCFR	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
EV/EBITDA	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PSR	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
재무비율(%)					
ROE	0.0	57.7	50.4	18.2	20.2
ROA	0.0	(181.1)	(89.0)	(67.3)	(67.0)
ROIC	0.0	(626.0)	(2,451.5)	(494.3)	(446.3)
부채비율	0.0	(131.9)	(156.6)	(127.0)	(130.2)
순부채비율	0.0	(104.2)	(101.1)	(104.1)	(103.0)
이자보상배율(배)	0.0	(11.3)	(6.8)	(4.1)	(2.8)

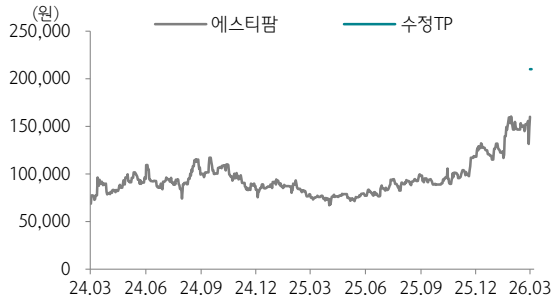
현금흐름표 (단위:십억원)

	2020	2021	2022	2023	2024
영업활동 현금흐름	**0**	**(8)**	**(14)**	**(14)**	**(11)**
당기순이익	0	0	0	0	0
조정	0	(9)	(16)	(12)	(11)
감가상각비	0	0	1	1	1
외환거래손익	0	0	0	0	0
지분법손익	0	0	0	0	0
기타	0	(9)	(17)	(13)	(12)
영업활동자산부채변동	0	1	2	(2)	(0)
투자활동 현금흐름	**0**	**(5)**	**(23)**	**21**	**(8)**
투자자산감소(증가)	0	0	0	0	0
자본증가(감소)	0	(0)	(1)	(0)	(0)
기타	0	(5)	(22)	21	(8)
재무활동 현금흐름	**0**	**10**	**37**	**(0)**	**20**
금융부채증가(감소)	0	(48)	(142)	(185)	(211)
자본증가(감소)	0	0	6	0	0
기타재무활동	0	58	173	185	231
배당지급	0	0	0	0	0
현금의 증감	**0**	**(2)**	**(0)**	**7**	**0**
Unlevered CFO	0	(9)	(17)	(13)	(11)
Free Cash Flow	0	(9)	(15)	(15)	(12)

자료: 하나증권

투자의견 변동 내역 및 목표주가 괴리율

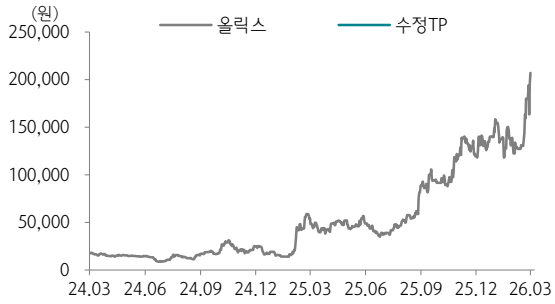
에스티팜



날짜	투자의견	목표주가	괴리율	
			평균	최고/최저
26.3.9	BUY	210,000		
25.7.18	Not Rated	-	-	-

투자의견 변동 내역 및 목표주가 괴리율

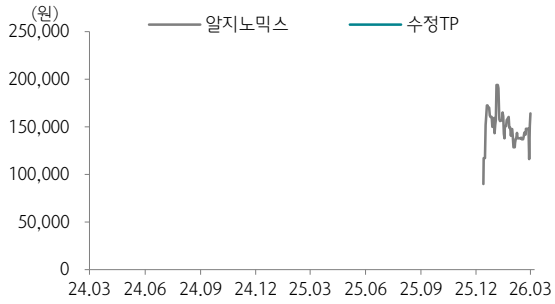
올릭스



날짜	투자의견	목표주가	괴리율	
			평균	최고/최저
26.3.9	Not Rated	-		

투자의견 변동 내역 및 목표주가 괴리율

알지노믹스



날짜	투자의견	목표주가	괴리율	
			평균	최고/최저
26.2.27	Not Rated	-		

Compliance Notice

- 당사는 2026년 3월 6일 현재 해당회사의 지분을 1%이상 보유 하고 있지 않습니다
- 본 자료를 작성한 애널리스트(김선아)는 자료의 작성과 관련하여 외부의 압력이나 부당한 간섭을 받지 않았으며, 본인의 의견을 정확하게 반영하여 신의성실 하게 작성하였습니다.
- 본 자료는 기관투자가 등 제 3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다
- 본자료를 작성한 애널리스트(김선아)는 2026년 3월 6일 현재 해당회사의 유가증권을 보유하고 있지 않습니다

본 조사자료는 고객의 투자에 정보를 제공할 목적으로 작성되었으며, 어떠한 경우에도 무단 복제 및 배포 될 수 없습니다. 또한 본 자료에 수록된 내용은 당사가 신뢰할 만한 자료 및 정보로 얻어진 것이나, 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으므로 투자자 자신의 판단과 책임하에 최종결정을 하시기 바랍니다. 따라서 어떠한 경우에도 본 자료는 고객의 주식투자의 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.

투자등급 관련사항 및 투자의견 비율공시

- **투자의견의 유효기간은 추천일 이후 12개월을 기준으로 적용**
- **기업의 분류**
  BUY(매수)_목표주가가 현주가 대비 15% 이상 상승 여력
  Neutral(중립)_목표주가가 현주가 대비 -15%~15% 등락
  Reduce(비중축소)_목표주가가 현주가 대비 15% 이상 하락 가능
- **산업의 분류**
  Overweight(비중확대)_업종지수가 현재지수 대비 15% 이상 상승 여력
  Neutral(중립)_업종지수가 현재지수 대비 -15%~15% 등락
  Underweight(비중축소)_업종지수가 현재지수 대비 -15%~15% 등락

투자등급	BUY(매수)	Neutral(중립)	Reduce(매도)	합계
금융투자상품의 비율	96.76%	3.24%	0.00%	100%

* 기준일: 2026년 03월 03일