빔 테라퓨틱스 (BEAM.NQ)

하현수 제약/바이오
hyunsoo.ha@yuantakorea.com
조계철 Research Assistant
gyecheol.jo@yuantakorea.com

In-vivo 염기 서열 편집

Base editing, 정교한 교정

Base editing은 Cas9 nikase와 Deaminase를 활용해 adenine을 guanine(ABE)로 바꾸거나 cytosine을 thymine(CBE)로 변경 가능. 기존 CRISPR/Cas9과 달리 DNA 절단 없이 염기 1개만을 교정하는 기술. DNA를 절단하지 않기 때문에 DSB를 피할 수 있으며 DSB로 인한 문제를 야기하지 않으며, 정교한 교정이 가능. 다수의 유전 질환이 점돌연변이가 원인으로 적용 가능 질환 다양할 것으로 예상.

우수한 BEAM-302 경쟁력

AATD는 낮은 AAT 농도와 Z-AAT 생성이 질병 원인으로 두 가지 모두 개선이 필요. 현재 사용되는 AAT 보충 요법이나 개발 중인 siRNA 등은 두 가지 모두 개선이 어려운 한계가 있으며, 유전자 교정을 통해 정상 AAT(M-AAT) 생성이 필요.

BEAM-302는 초기 임상에서 60mg 이상 투약 환자들에서 혈중 AAT를 11uM 이상으로 증가시키며 임상적으로 유의미한 농도 확보. Z-AAT를 기저 대비 80% 감소시켜면 전체 AAT에서 M-AAT는 90% 이상의 높은 비율로 전환. 2H26 pivotal 임상을 시작할 예정이며 RNA 편집을 활용한 WVE-006 대비 우수한 M-AAT 비율을 확보.

Risto-cel은 26년말까지 허가 신청 목표

SCD로 개발 중인 risto-cel은 26년말까지 허가를 신청할 계획. 경쟁 약물인 Casgevy와 Lyfgenia가 이미 허가를 받았으나 ex-vivo 세포 치료제라는 한계 등으로 투약 환자는 많지 않은 편.

Risto-cel은 Casgevy와 동일하게 혈구 내 HbF 비율을 높이는 전략을 사용하며 우수한 편집 효율로 임상에서 Casgevy 대비 10~15% 높은 비율 데이터 확보. 투약 시작부터 완료까지 4~6개월이 소요되는 점도 Casgevy 대비 짧아 출시 이후 시장 점유율 확보 기대.

NOT RATED (I)

목표주가	- 달러 (I)
직전 목표주가	- 달러
현재주가 (5/22)	28.64달러
상승여력	-

시가총액	29억달러
총발행주식수	259,027,500주
90일 평균 거래대금	59,390,500달러
90일 평균 거래량	2,002,081주
52주 고/저	36.44달러 / 15.35달러
배당수익률	0.00%
주요주주	1. FMR 12.1% 2. ARK 11.8%

주가수익률 (%)	1개월	3개월	12개월
절대	5.6	-3.3	70.2

Forecasts and valuations (GAAP 연결) (백만달러, %, 배)

결산 (12월)	2022	2023	2024	2025
매출액	61	378	64	140
영업이익	-338	-176	-416	-384
당기순이익	-289	-133	-377	-80
PER	-	-	-	-
PBR	4	2	3	2.3
EV/EBITDA	-	-	-	-
ROE	-37	-15	-44	-8.1

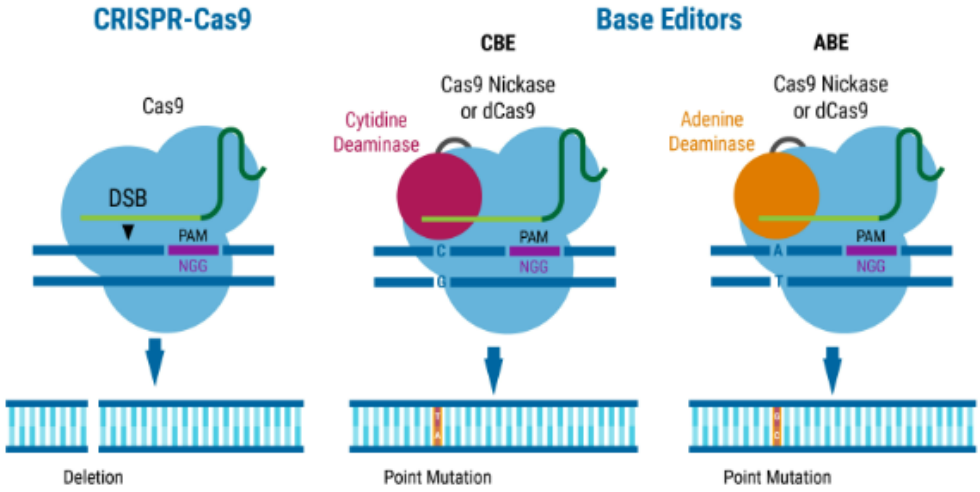
자료: 유안타증권

1개 염기만 교정

Beam therapeutics는 base editing을 사용해 1개 염기 서열만 교정이 가능하다. Base editing은 Cas9 nikase에 deaminase를 연결해 adenine이나 cytosine의 구조를 일부 바꾸며, 결과적으로 adenine을 guanine으로 바꾸며 cytosine을 thymine으로 편집 가능하다. 기존 CRISPR/Cas9 편집에서 DNA 두 가닥이 모두 잘리는 DSB(Double strand break)가 발생하며, 이를 수선하기 위해 NHEJ(Non-homologous end joininig)이나 HDR(Homology-directed repair)가 작동하게 된다. 특히 NHEJ에 의한 수선에서 일부 염기 서열이 소실되거나 끼어드는 경우(Indel)가 빈번한 문제가 있어 왔다.

Base editing은 DNA 절단 없이 염기를 수정하기 때문에 Indel이 거의 발생하지 않으며 편집 정확도가 높다. 다만 점돌연변이 편집만 가능한 한계가 있으나 유전 질환 대부분이 점돌연변이가로 인해 발생하기 때문에 충분히 여러 질환에 활용 가능할 것으로 예상한다.

CRISPR/Cas9 과 Base editor 비교



자료: Labroots, 유안타증권 리서치센터

BEAM-302, 높은 수요 전망

AATD, 유전자 편집이 적합

SERPINA1 유전자 돌연변이로 발생하는 AATD(Alpha-1 antitrypsin deficiency)는 낮은 혈중 AAT 농도로 인해 protease로부터 폐 손상을 보호하지 못해 폐기종 등을 유발한다. 비정상적 구조의 AAT인 Z-AAT는 간 손상을 유발하기 때문에 혈중 AAT 농도를 증가시키면서 Z-AAT는 생성은 억제할 필요가 있다.

AATD 폐질환 환자들은 정상 공여자로부터 얻어진 AAT를 투여해 혈중 농도를 높이는 치료법이 사용되고 있으나 매주 투약이 필요해 편의성이 낮다. 또한 Z-AAT로 인한 간질환은 아직 승인된 치료법이 없다. SERPINA1 유전형 중 대부분은 PiMM으로 충분한 AAT 생성과 M-AAT만을 생성하는 반면, PiZZ는 낮은 AAT 농도와 비정상적인 구조의 Z-AAT를 만들게 된다. AATD 환자에서 PiZZ 유전형이 대부분을 차지하고 있다.

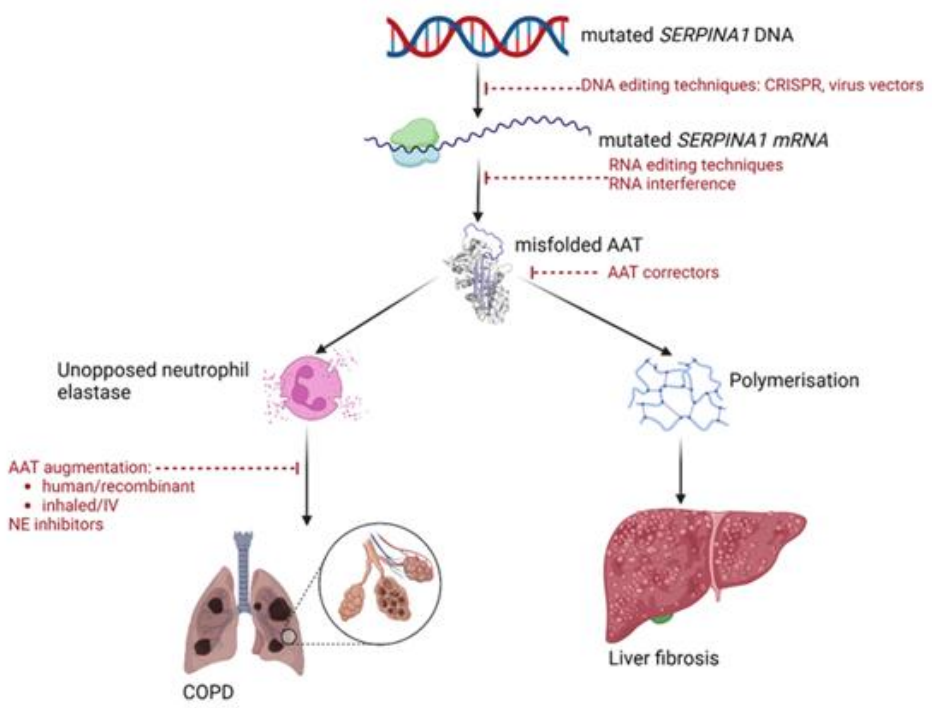
Genotype 비교

Genotype	Null	Pi*ZZ	Pi*MZ	Pi*MM
	No AAT protein	100% Z-AAT	Z-AAT and M-AAT	100% M-AAT
AAT levels increase during acute phase response	No	No	Yes	Yes
Risk of lung disease	Very high	High	Low	Normal
Risk of liver disease	None	High	Low	Normal
			>50% RNA editing > 11 μM AAT	

자료: Wavelife sciences.유안타증권 리서치센터

siRNA나 융합 단백질 파이프라인 등은 AAT 농도를 충분히 증가시키는 동시에 Z-AAT 생성을 억제하지 못하며, 정상 유전 형질로의 편집을 이용한 접근이 유효할 것을 판단한다. 높은 미충족 수요로 인해 BEAM-302는 출시 이후 빠른 매출 증가를 보일 것으로 기대한다.

AATD 질병 기전 및 치료 모달리티



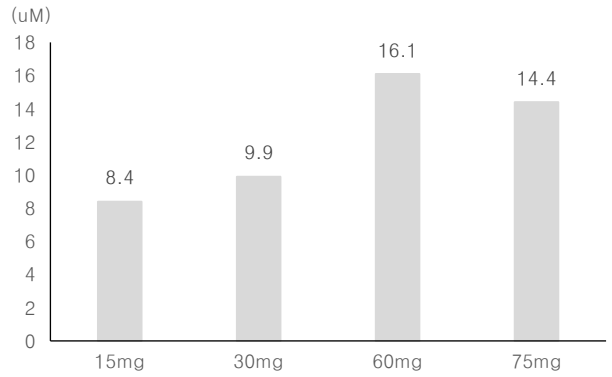
자료: Centro-Alfa-1 granada, 유안타증권 리서치센터

우수한 편집 효과

BEAM-302는 SERPINA1 유전자의 PiZ 변이의 아데닌(A)을 구아닌(G)으로 편집해 정상 유전형인 PiM으로 바꿔준다. 3월 공개된 1/2 임상 결과에서도 BEAM-302 60mg과 75mg 투약 코호트에서 혈중 AAT 농도는 16.1uM과 14.4uM을 기록하며 임상적으로 의미를 가지는 11uM 이상을 유지했다. Saturation으로 인해 60mg 이상에서 추가적인 개선 효과는 제한적이었으며, beam은 60mg 용량으로 2H26부터 pivotal 임상을 시작할 예정이다.

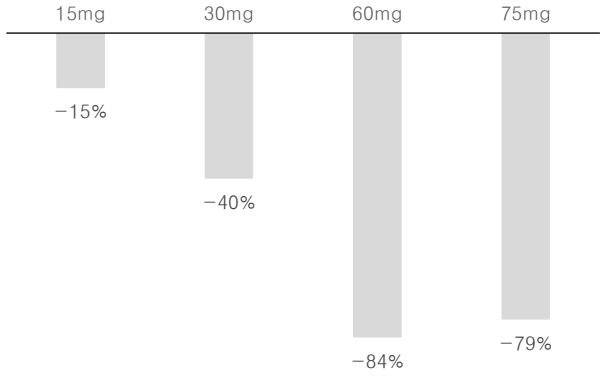
60mg 이상 용량에서 AAT 농도 증가와 함께 PiZ 유전자 교정으로 Z-AAT 농도는 기저치 대비 80% 수준의 감소 효과를 보였으며, M-AAT가 전체 AAT에서 차지하는 비중도 90% 이상을 기록했다. 전체 AAT 농도와 마찬가지로 60mg 이상 용량에서 Z-AAT 감소와 M-AAT 비율 모두 추가적인 개선을 보이지 않았다. AAT는 기관지 감염시 protease로 인한 폐손상을 억제하기 위해 농도가 증가한다. BEAM-302 투약 환자 중 기도 감염 환자에서 감염 이후 AAT 농도가 증가했으며, 이후 다시 농도가 개선되면서 정상인과 같은 반응을 보였다.

전체 AAT 농도



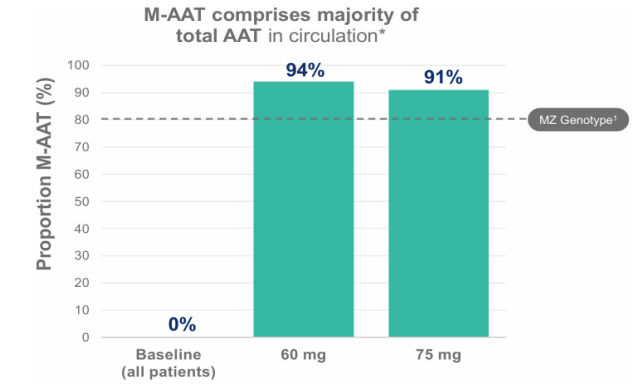
자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

Z-AAT 감소율



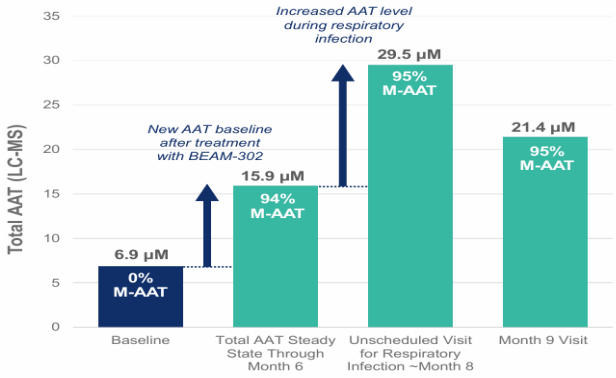
자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

M-AAT 비율



자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

감염 후 AAT 변화



자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

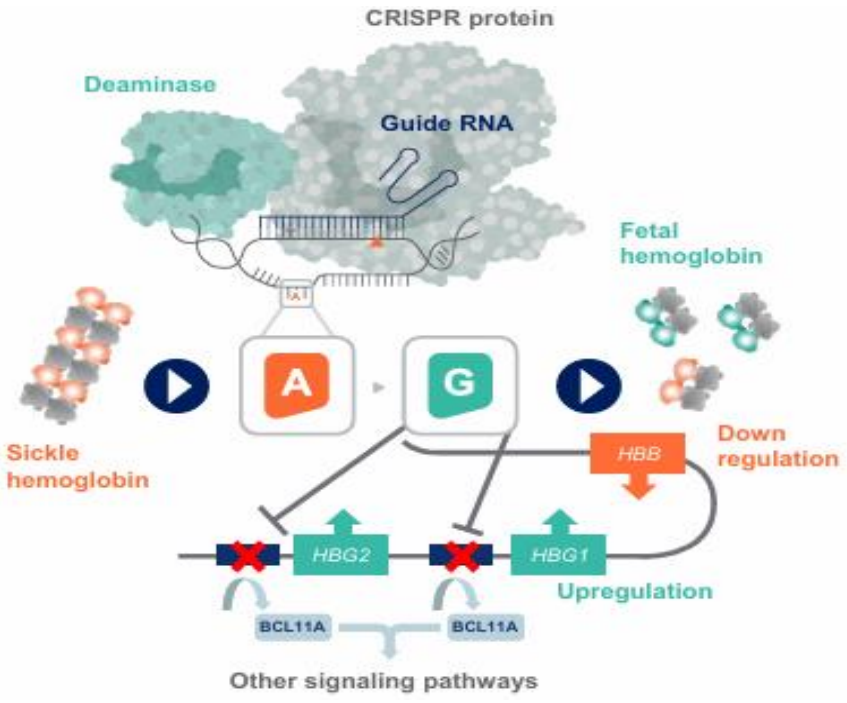
Risto-cel, 첫 상업화 파이프라인

26년말까지 BLA 제출 예정

Risto-cel(BEAM-101)은 투약 환자에서 채취한 조혈모세포의 유전자 편집 후 재주입하는 세포 치료제로 SCD를 적응증으로 하고 있다. Casgevy와 적응증과 치료 기전이 동일하다. 두 약물 모두 HbF를 구성하는 γ-글로빈 단백질의 생산을 유도해 혈중 HbF 구성 비율을 높여 SCD 환자의 HbA의 겸상화를 억제한다.

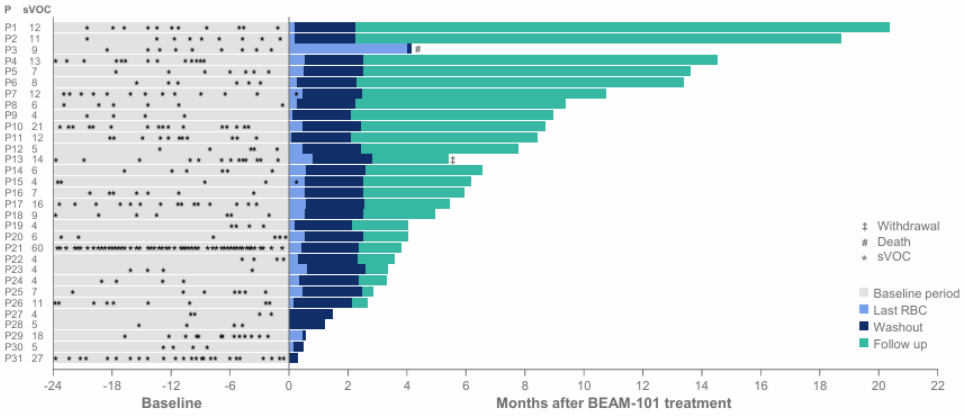
HbF 구성 비율을 증가시키는 것에서는 동일하나 편집 유전자에서 두 치료제는 차이가 있다. Casgevy는 BCL11A의 enhancer 유전자를 편집해 단백질 생성을 억제하며, 결과적으로 BCL11A에 의한 γ-글로빈 생성 억제 효과를 차단한다. 반면 risto-cel은 HBG1/2의 promoter 부분을 편집해 BCL11A가 결합하지 못하도록 하는 차이가 있다. BEACON 임상에서 60% 중반 수준의 HbF 비율을 기록하며, Casgevy 대비 10~15% 이상 높은 수준을 보였다. Beam은 26년 말까지 risto-cel의 BLA 제출을 목표로 하고 있다.

Risto-cel 작용 기전



자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

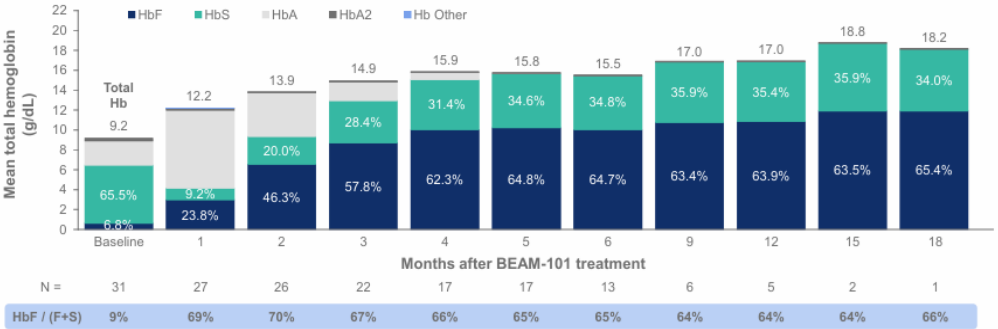
투약 후 통증 발작 변화



Investigator-reported sVOCs in this figure have not been formally adjudicated
P, patient; RBC, red blood cell; sVOC, severe vaso-occlusive crisis

자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

HbF 비율 변화



HbF % is calculated as a % of untransfused blood (HbF/HbF+HbS)
Hb, hemoglobin; HbA, adult hemoglobin; HbF, fetal hemoglobin; HbS, sickle hemoglobin

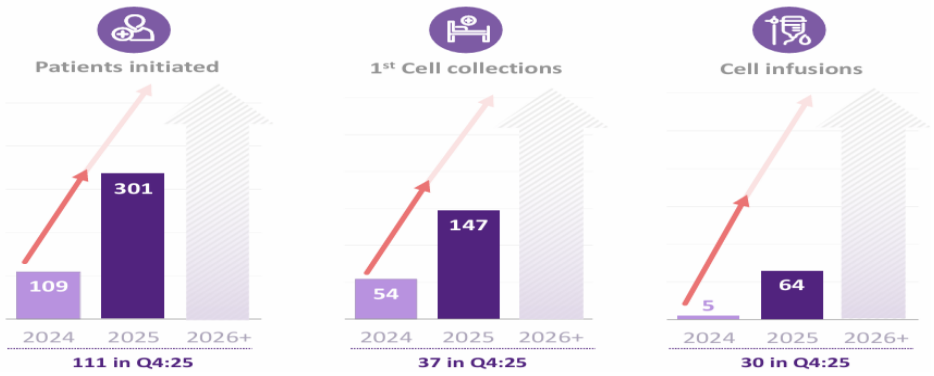
자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

경쟁 치료제 존재에도 시장 점유율 확보 가능할 것

Casgevy와 Lyfgenia가 이미 시판 중에 있음에도 불구하고 risto-cel은 출시 이후 충분히 경쟁 가능할 것으로 예상한다. 25년말 Casgevy 투약 환자는 64명으로 치료 시작 환자 301명, 첫 세포 채취 환자 147명에 비해 부족한 수준이었으며, 이는 치료 시작부터 투약 완료까지 오랜 기간이 필요하며, 기존 조혈모세포 제거를 위한 화학요법 등이 원인으로 보인다.

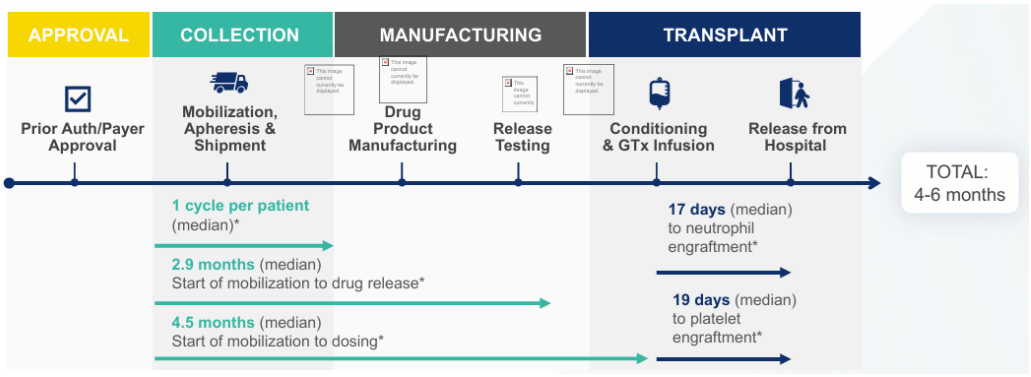
신규 치료 시작 환자와 투약 환자 등이 견조한 성장을 보이고 있으나 전체 SCD 환자 규모에 비해 미미한 수준이며, ex-vivo 세포 치료제라는 한계는 급격한 투약 환자 증가로 이어지지는 않을 것으로 보인다. 따라서 risto-cel의 출시 시점에도 여전히 투약이 필요한 SCD 환자들은 다수 존재할 것으로 보이며 더 우수한 HbF 비율과 상대적으로 짧은 치료 기간 등을 고려할 때 시장 점유율 확보가 가능할 것으로 판단한다.

Casgevy 단계별 환자 현황(4Q25 기준)



자료: Vertex pharmaceuticals, 유안타증권 리서치센터

Risto-cel 투약 프로세스



자료: Beam therapeutics, 유안타증권 리서치센터

빔 테라퓨틱스 (BEAM.NQ) 재무제표

포괄손익계산서

(단위: 백만달러)

결산 (12월)	2021	2022	2023	2024	2025
매출액	**52**	**61**	**378**	**64**	**140**
매출액증가율 (%)	215,916.7	17.5	520.0	-83.2	120.0
매출원가	-	-	-	-	-
매출총이익	-	-	-	-	-
판관비	57	88	117	112	114
영업이익	**-392**	**-338**	**-176**	**-416**	**-384**
영업이익증가율 (%)	195.6	-13.8	-47.9	135.5	-7.7
EBITDA	-367	-306	-134	-372	-341
영업외손익	-22	-78	-45	-39	-304
외환관련손익	0	0	0	0	0
이자손익	-	-	-	-	-
관계기업관련손익	-	-	-	-	-
기타	-22	-63	1	10	-260
법인세비용차감전순손익	-371	-260	-131	-377	-80
법인세비용	0	29	1	0	-
계속사업순손익	-371	-289	-133	-377	-80
중단사업순손익	0	0	0	0	0
당기순이익	**-371**	**-289**	**-133**	**-377**	**-80**
당기순이익증가율 (%)	90.5	-22.0	-54.2	184.3	-78.8

현금흐름표

(단위: 백만달러)

결산 (12월)	2021	2022	2023	2024	2025
영업활동 현금흐름	**-66**	**23**	**-149**	**-347**	**-345**
당기순이익	-371	-289	-133	-377	-80
유무형자산상각비	7	14	20	22	22
기타비현금손익 조정	551	20	-90	107	-170
매출채권증감	-300	300	0	0	-
재고자산증감	-	-	-	-	-
매입채무증감	1	2	-8	2	6
투자활동 현금흐름	**-294**	**-461**	**72**	**185**	**-121**
인수 및 사업	0	0	0	0	0
유형자산 증가 (CAPEX)	-47	-49	-34	-9	-15
유형자산 감소	0	0	0	0	0
기타현금흐름	-248	-412	106	194	-106
재무활동 현금흐름	**756**	**112**	**276**	**8**	**478**
차입금 증감	0	0	0	0	0
자본금 증감	767	114	279	8	478
현금배당	0	0	0	0	0
기타현금흐름	-11	-2	-2	0	0
현금의 증감	**396**	**-327**	**199**	**-155**	**12**
기초 현금	177	573	246	445	290
기말 현금	573	246	445	290	302
NOPAT	**-388**	**-351**	**-168**	**-407**	**-320**
FCF (Free Cash Flow)	**-113**	**-26**	**-183**	**-356**	**-360**

자료: Bloomberg, 유안타증권

재무상태표

(단위: 백만달러)

결산 (12월)	2021	2022	2023	2024	2025
유동자산	1,273	1,093	1,211	878	1,269
현금및현금성자산	560	233	436	282	295
매출채권	0	0	0	0	0
재고자산	0	0	0	0	0
비유동자산	201	249	249	226	212
유형자산	187	234	238	216	205
관계기업 등 지분관련자산	-	-	-	-	-
기타투자자산	14	15	11	9	7
자산총계	**1,474**	**1,342**	**1,460**	**1,104**	**1,481**
유동부채	213	224	206	182	97
매입채무 및 미지급금	75	57	113	51	65
단기차입금	0	0	0	0	0
유동성장기부채	-	-	-	-	-
비유동부채	434	385	273	188	146
장기차입금	0	0	0	0	0
부채총계	**648**	**608**	**478**	**370**	**243**
자본금	-	1	1	1	1
자본잉여금	1,594	1,793	2,170	2,299	2,877
이익잉여금	**-768**	**-1,057**	**-1,190**	**-1,567**	**-1,641**
비지배지분	0	0	0	0	0
자본총계	**827**	**733**	**981**	**734**	**1,238**
순차입금	-818	-896	-1,017	-689	-1,091
총차입금	148	182	173	161	154

재무지표 및 밸류에이션

(단위: 배, %)

결산 (12월)	2021	2022	2023	2024	2025
EPS	**-5.8**	**-4.1**	**-1.7**	**-4.6**	**-0.8**
BPS	12.1	10.3	12.0	8.8	12.2
EBITDAPS	-1.0	0.3	-1.9	-4.2	-3.5
SPS	0.8	0.9	4.9	0.8	1.4
DPS	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
PER	**-**	**-**	**-**	**-**	**-**
PBR	6.6	3.8	2.3	2.8	2.3
EV/EBITDA	-	-	-	-	-
PSR	98.7	44.9	5.6	32.1	19.6
ROE	**-69.1**	**-37.1**	**-15.5**	**-43.9**	**-8.1**
ROIC	-58.4	-37.1	-16.3	-39.8	-28.0
ROA	-38.5	-20.5	-9.5	-29.4	-6.2
부채비율 (%)	17.9	24.8	17.6	22.0	12.4
순차입금/자기자본 (%)	-98.9	-122.2	-103.7	-94.0	-88.1
매출총이익률 (%)	**-**	**-**	**-**	**-**	**-**
영업이익률 (%)	-757.0	-555.6	-46.7	-654.3	-274.6
당기순이익률 (%)	-714.9	-474.5	-35.1	-593.1	-57.2
EBITDA 마진율 (%)	-707.5	-502.5	-35.6	-585.7	-243.7

Appendix

- 이 자료에 게재된 내용들은 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며 타인의 부당한 압력이나 간섭 없이 작성되었음을 확인함. (작성자 : **하현수**)
- 당사는 자료공표일 현재 동 종목 발행주식을 1%이상 보유하고 있지 않습니다.
- 당사는 자료공표일 현재 해당 기업과 관련하여 특별한 이해관계가 없습니다.
- 당사는 동 자료를 전문투자자 및 제 3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 동 자료의 금융투자분석사와 배우자는 자료공표일 현재 대상법인의 주식관련 금융투자상품 및 권리를 보유하고 있지 않습니다.
- 종목 투자등급 (Guide Line): 투자기간 12개월, 절대수익률 기준 투자등급 4단계(Strong Buy, Buy, Hold, Sell)로 구분한다
- Strong Buy: +30%이상 Buy: 15%이상, Hold: -15% 미만 ~ +15% 미만, Sell: -15%이하로 구분
- 업종 투자등급 Guide Line: 투자기간 12개월, 시가총액 대비 업종 비중 기준의 투자등급 3단계(Overweight, Neutral, Underweight)로 구분
- 2014년 2월21일부터 당사 투자등급이 기존 3단계 + 2단계에서 4단계로 변경

본 자료는 투자자의 투자를 권유할 목적으로 작성된 것이 아니라, 투자자의 투자판단에 참고가 되는 정보제공을 목적으로 작성된 참고 자료입니다. 본 자료는 금융투자분석사가 신뢰할만 하다고 판단되는 자료와 정보에 의거하여 만들어진 것이지만, 당사와 금융투자분석사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수는 없습니다. 따라서, 본 자료를 참고한 투자자의 투자의사결정은 전적으로 투자자 자신의 판단과 책임하에 이루어져야 하며, 당사는 본 자료의 내용에 의거하여 행해진 일체의 투자행위 결과에 대하여 어떠한 책임도 지지 않습니다. 또한, 본 자료는 당사 투자자에게만 제공되는 자료로 당사의 동의 없이 본 자료를 무단으로 복제 전송 인용 배포하는 행위는 법으로 금지되어 있습니다.