Equity Report | 2026.5.28

서미화 Ph.D mihwa.seo@miraeasset.com

MIRAE ASSET 미래에셋증권

Biotech Investor Primer #3

RNAi, 시간이 증명한 모달리티

CONTENTS

Executive Summary 3

I. RNAi, 모달리티의 검증은 끝났다 5

1. 희귀질환 치료제도 블록버스터가 될 수 있다 5
2. 희귀질환에서 만성질환 치료제 영역으로 확대 6
3. RNA 치료제와 함께 성장하는 RNA CDMO 7

II. 비만과 신경계질환 영역까지 확장 중 9

1. RNA 비만 치료제: 기존 치료제 한계를 보완하는 전략 9
2. 신경계질환: 정복하지 못한 영역 공략 중 15

III. 중국도 시작했다 19

1. Argo Biopharmaceutical: 글로벌 빅파마가 선택한 기업 19
2. SiranBio: siRNA 약물 개발 전 과정 플랫폼 보유 22
3. SanegeneBio: 새로운 조직 전달과 장기 지속성 24

IV. 투자포인트: 전달과 지속기간 25

1. 전달: 항체의 도움을 받는다 25
2. 전달: 다양한 방법으로 새로운 조직에 전달 28
3. 장기 지속성: 1년 주기의 치료가 가능해진다 30

Global Company Analysis 31

에스티팜 32
올릭스 37
애로우헤드 파머슈티컬스 43

Executive Summary

RNA interference(RNAi)
세포 내에서 짧은 RNA 조각(siRNA, miRNA)이 상보적인 염기서열을 가진 mRNA에 결합해 특정 유전자 발현을 억제하는 기전

RNA 간섭(RNA interference, RNAi) 기술은 앨나일람(Alnylam)이 개척한 간조직 타깃 중심의 초기 시장을 넘어, 투약 편의성과 조직 타깃팅의 정교함을 극대화한 '차세대 플랫폼' 시대로 진입하고 있다. 초기 RNAi 기전의 siRNA 치료제가 수개월 단위의 투여 간격에 집중했다면, 차세대 주자들은 간 외 조직으로의 확장과 연 1~2회 투약이라는 장기 지속성을 목표로 하고 있다.

이러한 기술적 전환점에서 RNA 치료제의 화두는 목표 조직으로의 전달과 장기 지속성이다. 상업화된 대부분의 RNA 치료제는 간조직을 타깃한다. GalNAc이라는 당 성분을 약물에 붙여 간세포로만 정확히 이동하게 설계가 가능했기 때문이다. GalNAc은 갈락토스에서 유래된 천연 아미노당으로 간세포 표면에만 존재하는 ASGPR 수용체에 결합할 수 있다. 몇몇 치료제는 혈액-뇌 장벽으로 인해 척수강 내 주사를 통해 직접 전달하는 방법도 사용 중이다. 하지만 간 이외 조직에 존재하는 타깃으로의 전달도 중요하며, 척수강 내 직접 투여보다 안전한 투여 방법도 필요하다.

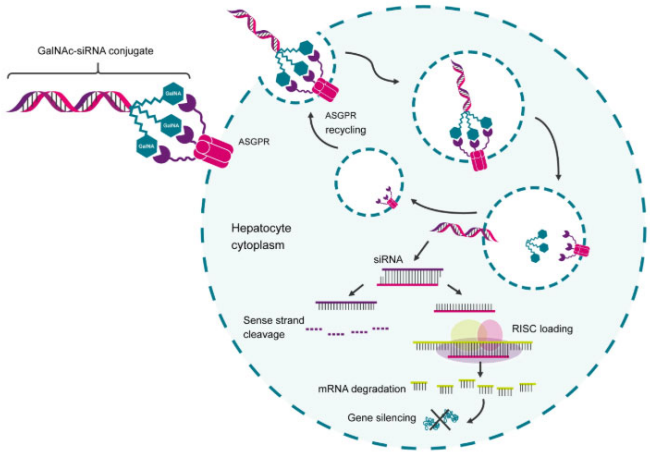
Oligonucleotide
DNA나 RNA의 기본 구성 단위인 뉴클레오타이드(Nucleotide)가 수개에서 수십 개 정도 짧게 결합된 중합체

RNAi 모달리티 검증은 끝났다. 이제는 간 이외의 조직에 RNA 치료제를 전달할 수 있는지가 중요해졌다. 1) 항원을 타깃팅할 때 주로 사용했던 항체를 이용하는 방법으로 AOC(antibody oligonucleotide conjugates)가 개발 중이다. ADC 플랫폼에서 페이로드 부분을 올리고뉴클레오타이드(oligonucleotide)로 바꾼 것이다. 원하는 조직 또는 세포로의 타깃팅은 항체가 하고 올리고뉴클레오타이드가 약효를 낸다. 또한, 2) 기업마다 다른 방식의 타깃팅 방법이 등장하고 있다. 대상조직은 지방, 근육, 심장, 폐 등 다양하다. 아직 임상 중이긴 하나 GalNAc처럼 강력한 전달체 시스템이 나온다면 조직 한정적이었던 RNA 치료제의 확장성은 더 커질 것으로 판단된다.

두번째 화두는 지속기간이다. DNA에 의해 RNA는 지속적으로 만들어진다. 이 RNA를 계속 억제해야 단백질이 만들어지지 않는다. 약물이 몸속에서 얼마나 오래 몸속에 지속되는지에 따라 약효 지속시간이 결정된다. 초기 RNA 치료제인 온파트로(파티시란)의 투여 주기는 3주로 짧았다. 하지만 최근 앨나일람이 개발 중인 RNA 치료제는 연 1회 투약의 장기 지속형을 시도 중이다. 투약 주기는 환자의 편의성 측면에서 중요한 요소 중 하나로 간 이외의 조직으로 타깃하면서도 투여 주기를 최대한 늘릴 수 있는 플랫폼 개발이 필요한 상황이다.

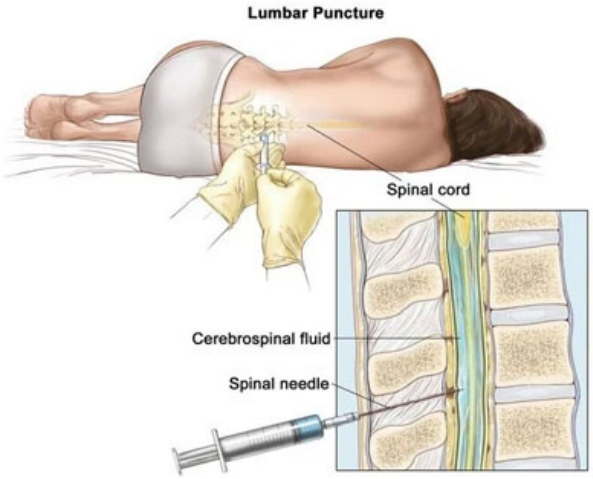
신생 기업의 경우, GalNAc 결합 기술을 통해 기존 치료제 대비 얼마나 차별화된 임상 데이터를 내놓는지가 포인트다. 간 조직으로의 전달과 Knockdown이 잘 된 것이 확인되었다면 새로운 조직으로의 전달기술이 다음 투자 포인트가 된다. **애로우헤드(ARWR US)**는 지방조직으로 siRNA를 전달할 수 있음을 입증하고 있다. 중국 **Argo Biopharmaceutical (비상장 HK)**는 긴 지속 시간에 초점을 맞추고 있다. 국내 **올릭스(226950 KR)**도 간 이외의 조직을 타깃팅하는 파이프라인을 확대하고 있다. 이러한 RNA 치료제 임상 개발 및 상업화가 확대되면 oligonucleotide를 생산할 수 있는 CDMO 기업인 **에스티팜(237690 KR)**에 대한 관심도 높아질 것으로 전망된다.

그림 1. GalNac 시스템을 이용한 전달



자료: biosearchtech.com, 미래에셋증권 리서치센터

그림 2. 척수강 내 주사 방법



자료: 업계자료, 미래에셋증권 리서치센터

표 1. 다양해지는 조직 전달체 기술

기술 명칭	타깃 조직	적용 원리	주요 파이프라인 예시
AOC	근육, 암세포	항체(Antibody)의 표적 식별 능력 활용	AOC 1001, DYNE-251
C16 Conjugate	뇌(CNS), 눈	지질 결합으로 세포막 투과 및 조직 체류 증대	ALN-APP
SORT LNP	폐, 비장	LNP 내부 전하 조절을 통한 장기 선택성	RCT2100 (ReCode)
Inhaled mRNA	폐	에어로졸 형태의 직접 분사 전달	RCT1100

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

표 2. RNA 치료제의 투여 주기

구분	약물명 (성분명)	투여 경로	초기 투여	유지 투여 주기
siRNA	온파트로 (Patisiran)	IV (정맥)	-	3주 1회
	기브라리 (Givosiran)	SC (피하)	-	1개월 1회
	옥슬루모 (Lumasiran)	SC (피하)	3개월간 1개월 1회	3개월 1회
	렉비오 (Inclisiran)	SC (피하)	첫 투여 후 3개월 뒤	6개월 1회
	앰부트라 (Vutrisiran)	SC (피하)	-	3개월 1회 (최근 6개월 확대)
	리플로자 (Nedosiran)	SC (피하)	-	1개월 1회
	피튜시란 (Fitusiran)	SC (피하)	-	2개월 1회
ASO	스핀라자 (Nusinersen)	IT (척수강)	초기 4회 집중 투여	4개월 1회
	엑손디스51 (Eteplirsen)	IV (정맥)	-	1주 1회
	테그세디 (Inotersen)	SC (피하)	-	1주 1회
	빌텝소 (Viltolarsen)	IV (정맥)	-	1주 1회
	칼소디 (Tofersen)	IT (척수강)	초기 3회 (2주 간격)	4주 1회
	웨이누아 (Eplontersen)	SC (피하)	-	1개월 1회
	도니다로센 (Donidalorsen)	SC (피하)	-	4주 또는 8주 1회

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

I. RNAi, 모달리티의 검증은 끝났다

1. 희귀질환 치료제도 블록버스터가 될 수 있다

과거, 희귀질환 치료제는 대상 환자 수가 적어 블록버스터(글로벌 연간 매출 10억 달러 이상)가 되기 어려웠다. 하지만 시대가 바뀌었다. 최근 블록버스터가 되는 희귀질환 치료제들이 다수 등장하고 있다. 아제닉스의 비브가르트(희귀 자가면역질환 치료제), 앨나일람의 앰부트라(아밀로이드증 치료제) 등이다. 두 치료제는 약가가 비싼 이유도 있으나 특정 희귀질환 영역을 확장하는 전략으로 블록버스터 진입이 가능했다. 비브가르트의 경우 근무력증이라는 질환에서 중증근무력증, 혈청음성근무력증, 안구근무력증과 같이 하위 그룹의 전 영역으로 적응증을 확대했다. 앰부트라도 신경병증 아밀로이드증에 대해 처음 허가를 받은 후, 심근병증 아밀로이드증까지 적응증을 확대한 바 있다. 높은 매출을 달성하는 데에는 환자의 수보다 기업의 전략이 더 중요해졌다.

표 3. FDA 허가를 받은 RNA 치료제 (백만 달러)

약물명 (브랜드명)	적응증	종류	회사/원개발사	FDA 허가	2025 매출	2032F 매출	희귀질환
Plozasiran (Redemplo)	가족성 지질단백 지질분해효소 결핍증	siRNA	애로우헤드	2025	-	1,319	YES
Donidalorsen (Dawnzera)	유전성 혈관부종	ASO	아이오니스	2025	8	420	YES
mNexspike	코로나19	mRNA vaccine	모더나	2025	-	84	NO
Fitusiran (Qfitlia)	혈우병A	siRNA	사노피/앨나일람	2025	10	393	YES
Olezarsen (Tryngolza)	가족성 지질단백 지질분해효소 결핍증	ASO	아이오니스	2024	108	1,163	NO
mRNA1345 (mRESVIA)	호흡기세포융합바이러스 예방	mRNA vaccine	모더나	2024	8	636	NO
Imetelstat (Rytelo)	골수 형성 이상 증후군	Phosphorodiamidate oligonucleotide	제론	2024	184	1,034	YES
Nedosiran (Rivfloza)	고옥살산뇨증	siRNA	노보노디스크/Dicerna Pharmaceuticals	2023	47	164	YES
Eplontersen (Wainua)	아밀로이드성 다발신경병증	ASO	아스트라제네카/아이오니스	2023	212	2,953	YES
Avacincaptad pegol (Izervay)	이베릭바이오 지도형 위축(GA)	RNA aptamer	아스텔라스	2023	515	1,259	NO
Tofersen (Qalsody)	루게릭병	ASO	바이오젠/아이오니스	2023	87	137	YES
Vutrisiran (Amvuttra)	가족성 아밀로이드 신경병증	siRNA	앨나일람	2022	2,314	8,858	YES
Casimersen (AMONDYS 45)	듀시엔형 근이영양증	ASO	사렙타	2021	292	145	YES
Inclisiran (Leqvio)	고지혈증	siRNA	앨나일람	2021	1,198	3,724	NO
mRNA-1273 (Spikevax)	코로나19	mRNA vaccine	모더나	2020	1,810	1,302	NO
BNT162b2 (Comirnaty)	코로나19	mRNA vaccine	화이자/바이오엔텍	2020	4,367	1,961	NO
Viltolarsen (Viltepso)	듀시엔형 근이영양증	ASO	Nippon Shinyaku Pharm	2020	143	107	YES
Lumasiran (Oxlumo)	원발성 과산소증 1형	siRNA	앨나일람	2020	191	359	NO
Golodirsen (Vyondys 53)	듀시엔형 근이영양증	ASO	사렙타/바이오마린	2019	124	62	YES
Givosiran (Givlaari)	급성 간헐성 포르피린증	siRNA	앨나일람	2019	308	639	YES
Volanesorsen (Waylivra)	가족성 클로미크론혈증 증후군	ASO	PTC Therapeutics/아이오니스	2019	46	81	NO
Patisiran (Onpattro)	아밀로이드성 다발신경병증	siRNA	앨나일람	2018	173	58	YES
Inotersen (Tegsedi)	아밀로이드성 다발신경병증	ASO	PTC Therapeutics/아이오니스	2018	27	38	YES
Nusinersen (Spinraza)	척수성 근위축증	ASO	바이오젠/아이오니스	2016	1,547	1,122	YES
Eteplirsen (Exondys 51)	듀시엔형 근이영양증	ASO	사렙타/바이오마린	2016	521	260	YES

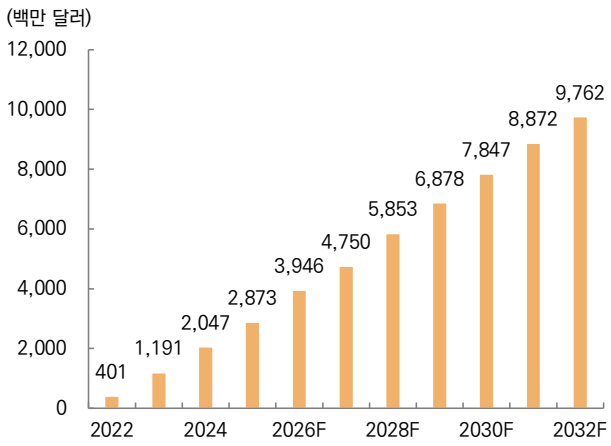
주: 시장 철수한 Macugen, Kynamro 제외
자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

2. 희귀질환에서 만성질환 치료제 영역으로 확대

첫번째 ASO(antisense oligonucleotide) 치료제 허가는 2016년, 첫번째 siRNA(Small interfering RNA) 치료제 허가는 2018년이다. 약 10년의 시간이 지난 현 시점, 블록버스터급 RNA 치료제는 5개가 되었다. 2025년에는 고지혈증치료제 렉비오와 아밀로이드증 치료제 앰부트라가 10억 달러를 넘기며 첫 siRNA 블록버스터 제품이 되었다. 블록버스터급이 예상되는 siRNA 치료제 Plozasiran, DYNE-101, Del-desiran이 순차적으로 출시될 것으로 기대된다.

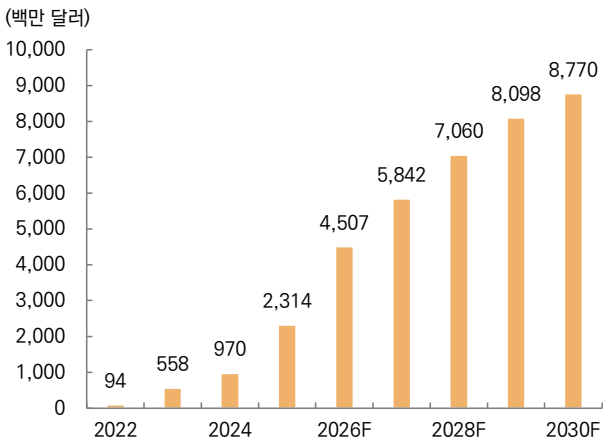
많은 RNA 치료제가 희귀질환 적응증을 대상으로 개발이 되었으나, 2021년 앨나일람의 고지혈증 치료제 렉비오의 FDA 허가를 시작으로 만성질환 치료제로써의 가능성이 확인되었다. 최근에는 비만, 신경계질환 등 의학적 미충족 수요가 존재하거나 상업화 시, 큰 매출을 발생시킬수 있는 적응증으로도 진입하고 있다.

그림 3. 비브가르트 매출액 추이 및 전망



자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

그림 4. 앰부트라 매출액 추이 및 전망



자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

표 4. 10억 달러 이상의 매출이 예상되는 RNA 치료제

(백만 달러)

약물명 (브랜드명)	기업명	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2026F	2027F	2028F	2029F	2030F	2031F	2032F
Del-desiran	Amgen									151	462	916	1,497	1,959
DYNE-101	Dyne Therapeutics								60	269	645	1,080	1,535	1,924
Plozasiran (Redemplo)	Arrowhead Pharmaceuticals							23	42	225	484	748	1,038	1,319
Olezarsen (Tryngolza)	Ionis Pharmaceuticals						108	148	170	351	539	751	961	1,163
Imetelstat (Rytelo)	Geron					76	184	236	326	447	574	731	891	1,034
Eplontersen (Wainua)	AstraZeneca				1	85	212	393	734	1,166	1,671	2,152	2,585	2,953
Avacincaptad pegol (Izervay)	Astellas Pharma				84	383	515	699	874	987	1,081	1,139	1,198	1,259
Vutrisiran (Amvuttra)	Alnylam Pharmaceuticals			94	558	970	2,314	4,507	5,842	7,060	8,098	8,770	8,932	8,858
Inclisiran (Leqvio)	Novartis		12	112	355	754	1,198	1,672	2,143	2,736	3,103	3,360	3,519	3,724
mRNA-1273 (Spikevax)	Moderna	200	17,675	18,435	6,671	3,084	1,810	1,846	1,747	1,703	1,513	1,436	1,356	1,302
BNT162b2 (Comirnaty)	Pfizer	154	36,781	37,806	11,220	5,353	4,367	3,583	3,487	3,040	2,518	2,261	2,088	1,961
Nusinersen (Spinraza)	Biogen	2,052	1,905	1,794	1,741	1,573	1,547	1,532	1,433	1,350	1,275	1,222	1,171	1,122

자료: 이밸류에이트파마, 미래에셋증권 리서치센터

3. RNA 치료제와 함께 성장하는 RNA CDMO

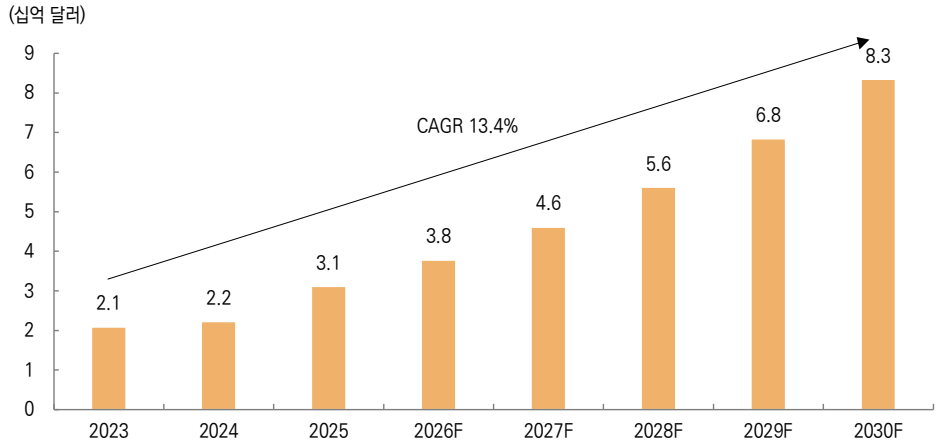
InsightAce Analytic 자료에 따르면 RNA 치료제 CDMO 시장 규모는 2024년 25억 4,090만 달러 규모에서 2034년 86억 8,820만 달러로 연평균 13.2%로 성장할 것으로 전망된다. Towards healthcare 자료에서도 유사하게 2030년 RNA 치료제 CDMO 시장을 83억 달러로 전망한다.

올리고뉴클레오타이드 시장은 상업화 단계에 진입한 블록버스터 신약(렉비오 등)의 원료 대량 공급이 핵심이라 애질런트, 에스티팜 등의 소수 기업 과점 구조가 뚜렷하다. 현재 주요 RNA 치료제 CDMO 기업은 미국 애질런트, 일본 니토텐코 아베시아, 중국 우시앱텍, 한국 에스티팜이다. 새로운 진입자가 등장하지 않는다고 가정하면, 4개의 주요 RNA 치료제 CDMO 기업은 2030년까지 약 3배의 매출 증가가 예상된다.

RNA 치료제를 개발하고 생산하는 기업들은 RNA 치료제 대량 생산 방법에 대해서도 고민하고 있다. 지금까지는 블록버스터급 RNA 치료제가 없었기 때문에 대량 생산을 할 이유가 없었으나 RNA 치료제가 희귀질환을 넘어 비만, 고혈압 등의 치료제로 적응증이 확장되면서 킬로그램의 양이 아닌 톤 단위의 치료제가 필요한 상황이 되었기 때문이다.

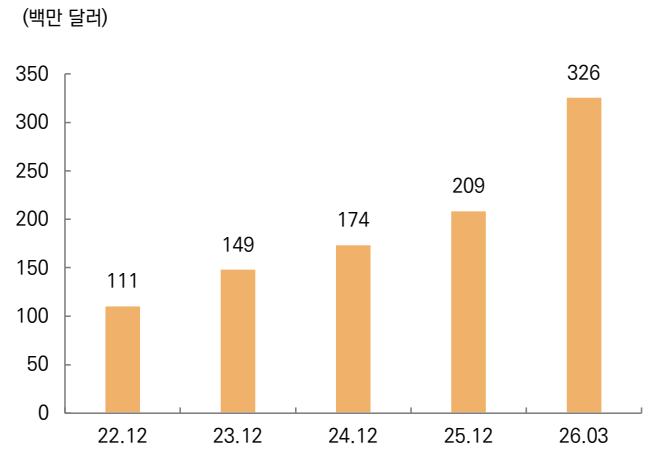
앨나일람과 에스티팜 모두 RNA 치료제의 대규모 생산을 위해 기존 화학 합성을 대체할 효소 촉매 기반 합성 기술을 도입하고 있다. 기존 RNA 치료제 제조 공정으로는 대량 생산 시 비용 및 효율성에 제한이 있기 때문이다. 이는 생산 효율성 향상, 비용 절감, 환경 지속가능성 측면에서 전략적 전환점이 될 것으로 보인다.

그림 5. 글로벌 RNA 치료제 CDMO 시장 전망



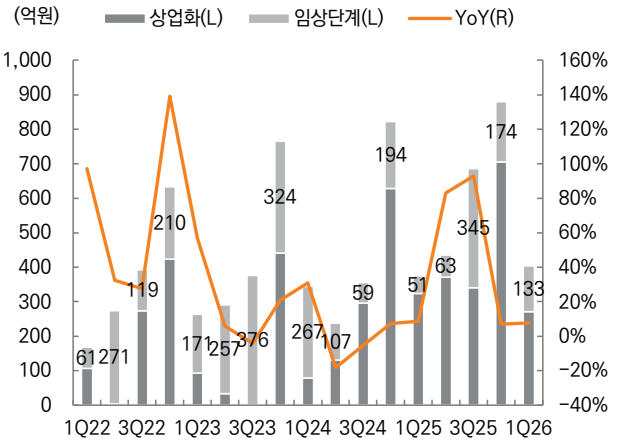
자료: Towards healthcare(2025), 미래에셋증권 리서치센터

그림 6. 에스티팜 수주잔고 추이



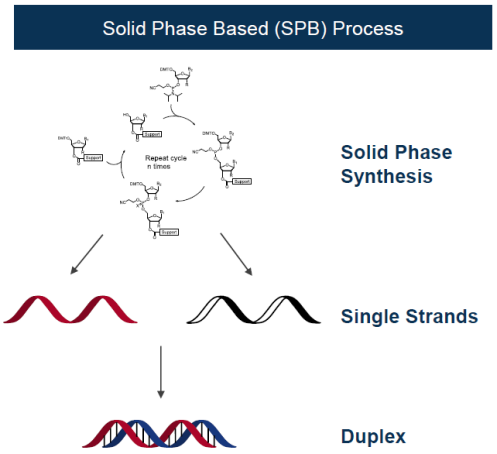
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 7. 에스티팜 RNA 치료제 CDMO 매출 추이



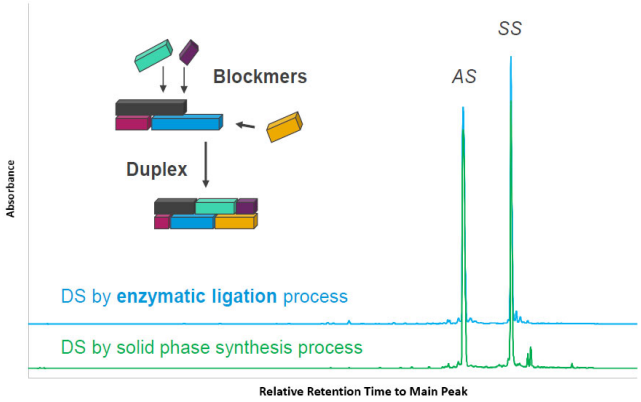
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 8. Solid Phase Based (SPB) Process



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 9. Enzymatic Ligation



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

II. 비만과 신경계질환 영역까지 확장 중

1. RNA 비만 치료제: 기존 치료제 한계를 보완하는 전략

노보 노디스크의 위고비(세마글루타이드)와 일라이 릴리의 젭바운드(티르제파티드)가 출시되면서 비만 치료제 시장은 급속도로 성장했다. 하지만 비만 치료에도 충족되지 않은 부분은 남아있다. 1) 내약성 문제로 치료를 중단하는 환자가 존재하며, 2) 잦은 투약, 3) 근육 손실의 한계를 가지고 있다. 또한 4) 감량된 체중의 60%가 첫 1년 이내에 다시 돌아오며, 5) 회복된 체중의 대부분이 지방이라는 점도 한계점으로 지적되고 있다.

현재 개발 중인 비만 치료제는 체중 감량의 양보다는 질에 초점을 맞추고 있다. 세마글루타이드는 72주간 약 15%, 티르제파티드는 약 21%의 체중 감소 효과를 보인다. 현재까지도 다수의 비만치료제가 체중 감량에 우선 순위를 맞추고 있다. 하지만 두 약물 모두 BMI를 달성한 환자는 약 14~23%다. 체중감량에서는 효과적인 약물이었으나 내장지방 등의 수치 개선에 미흡한 항목들이 존재한다는 의미다. 또 하나의 문제는 제2형 당뇨병과 비만을 동반한 환자들을 치료할 때 심혈관 질환 관련 결과 측면에서 충분한 성과를 내지 못하고 있다는 점이다. 따라서 내장 지방이 많은 환자, 특히 당뇨병과 같은 합병증을 동반한 내장 지방 축적 환자들을 위해서는 특별한 치료가 필요하다.

액티빈 E/ALK7 경로는 지방세포에서 지방 저장을 촉진하며 내장 지방 축적을 조절하는 중요한 인자다. 간에서 INHBE 유전자는 액티빈 E 단백질을 생성하는데, 이 단백질은 혈액으로 분비되어 지방세포 표면의 수용체인 ALK7에 결합함으로써 지방분해를 억제하고 지방세포 비대를 촉진한다.

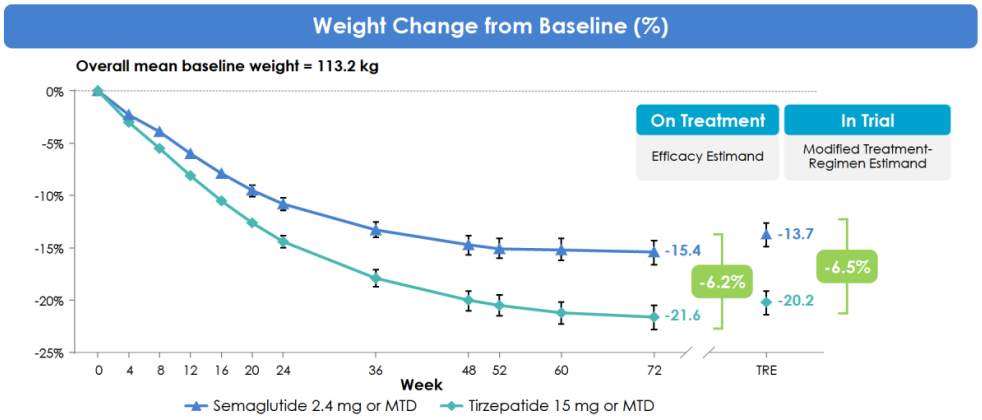
INHBE와 ALK7 유전자의 기능 상실 변이는 허리-엉덩이 비율 개선, 조정된 BMI 감소, 죽상동맥경화성 심혈관질환 위험 감소, 제2형 당뇨병 위험 감소, ApoB 감소(당화혈색소), 내장 지방량 감소와 관련이 있다는 보고가 있다.

표 5. ALK7 siRNA 치료제 비교

항목	애로우헤드(ARO-ALK7)	앨나일람(ALN-2232)	올릭스(OLX501A)	시란바이오(SA030)
개발 단계	임상 1/2a상	임상 1상	전임상 단계	임상 1상
인간 데이터 유무	있음 (mRNA -88% 감소, 내장지방 -14.1% 감소)	없음	없음	없음
전임상 최고 효능	원숭이 모델에서 약 90% 억제	NHP 지방세포에서 약 95% 억제	전임상 모델에서 약 84% 억제	원숭이 모델에서 약 80% 억제
목표 일정	임상 진행 및 후속 병용 임상 확장 중	2H26 임상 1상 결과 발표 예정	2027년 IND 제출 목표	1H27 임상 1상 종료 예상

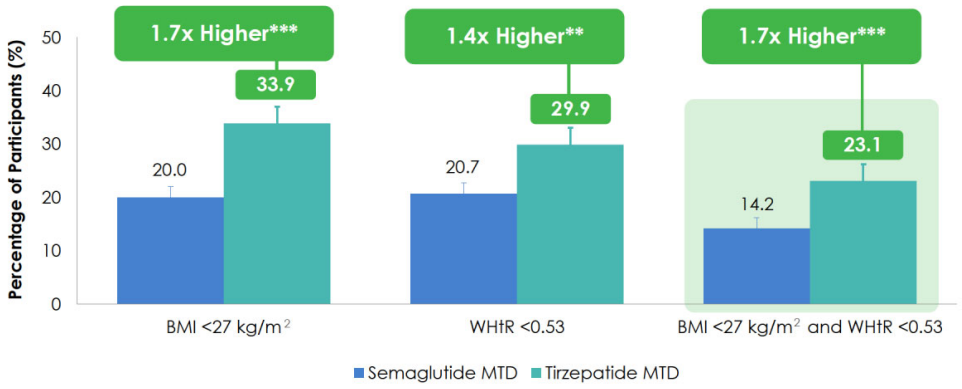
자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

그림 10. 기존 치료제들의 체중 감량 달성률



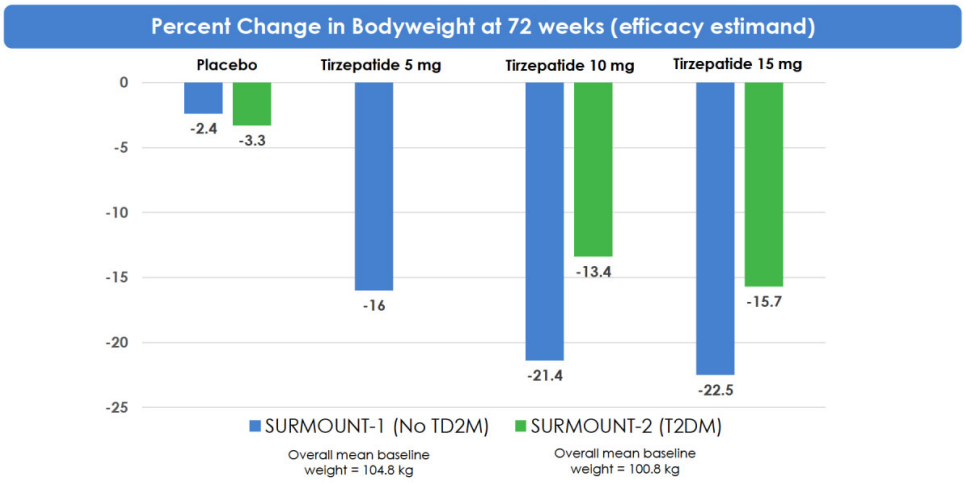
자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 11. BMI 달성률 14~23% 불과



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 12. 당뇨 동반 환자에 좋은 효과를 내지 못함



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

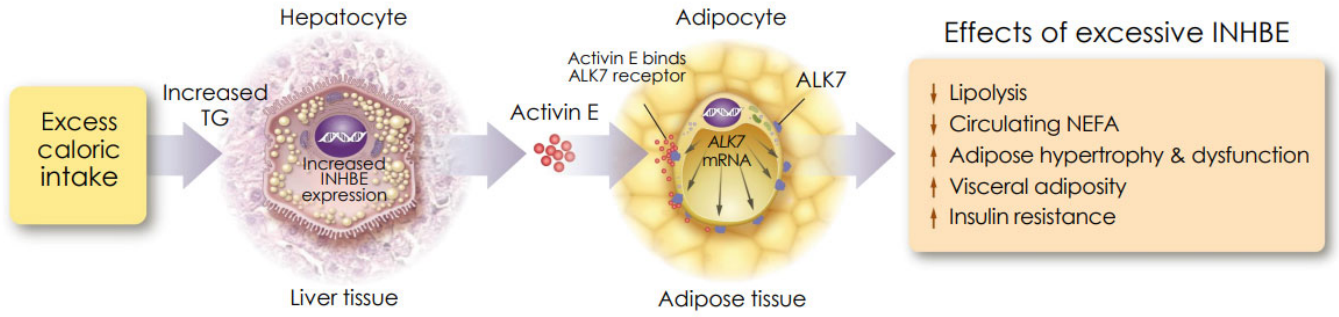
애로우헤드, 앨나일람, 웨이브 라이프사이언스, 올릭스 등의 기업이 siRNA를 이용하여 비만 치료제 임상을 진행 중이다. INHBE의 발현을 억제하는 파이프라인이 가장 많으며, ACVR1C(ALK7)을 타깃으로 하는 파이프라인도 함께 관심을 받고 있다.

Hepatokine
간세포(hepatocytes)에서 합성되어 혈류로 분비된 후, 체내 다른 장기나 조직에 호르몬처럼 작용하여 대사를 조절하는 단백질 물질들을 총칭

애로우헤드는 26년 1월, ARO-INHBE와 ARO-ALK7에 대한 임상 1/2a상 중간 결과를 발표했다. INHBE는 주로 간세포에서 발현되는데 Activin E는 간에서 분비되는 강력한 hepatokine이다. INHBE 유전자에 의해 만들어지는 Hepatic Activin E는 지방조직에서 에너지 항상성을 유지한다. 순환하는 Activin E는 지방 조직에서 지방 분해를 억제하고, 지방 저장을 촉진한다. INHBE siRNA를 처리한 고칼로리 식단의 쥐는 대조군에 비해 체중이 19% 감소했다.

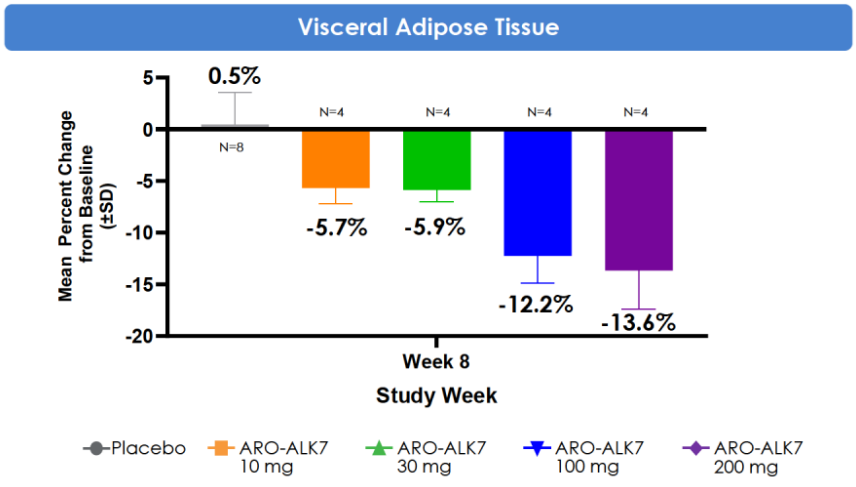
애로우헤드의 임상 결과 ARO-INHBE 대비 ARO-ALK7에서 더 높은 체중 감소가 나타났다. ALK7은 생식 기관을 포함한 다양한 조직에 걸쳐 여러 리간드를 가지고 있기 때문에 부작용은 고려해야 한다.

그림 13. INHBE와 ALK7의 역할



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

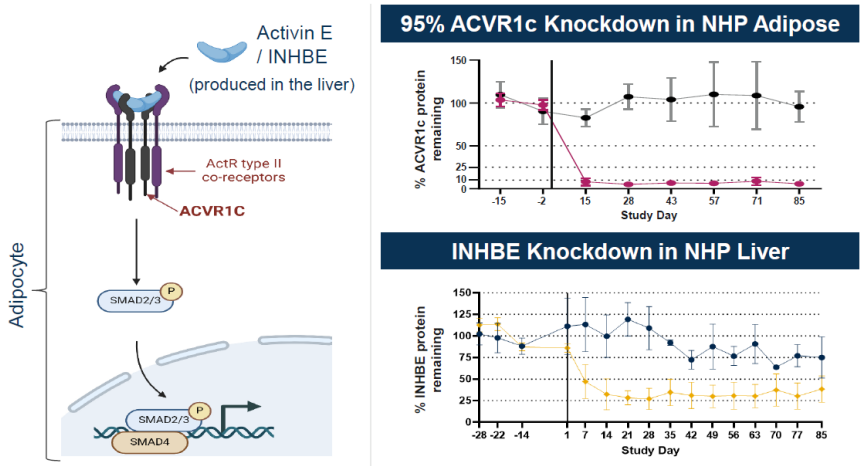
그림 14. ARO-ALK7 siRNA: 8주차(약 2개월) 싱글도즈에서 13.6% 감소



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

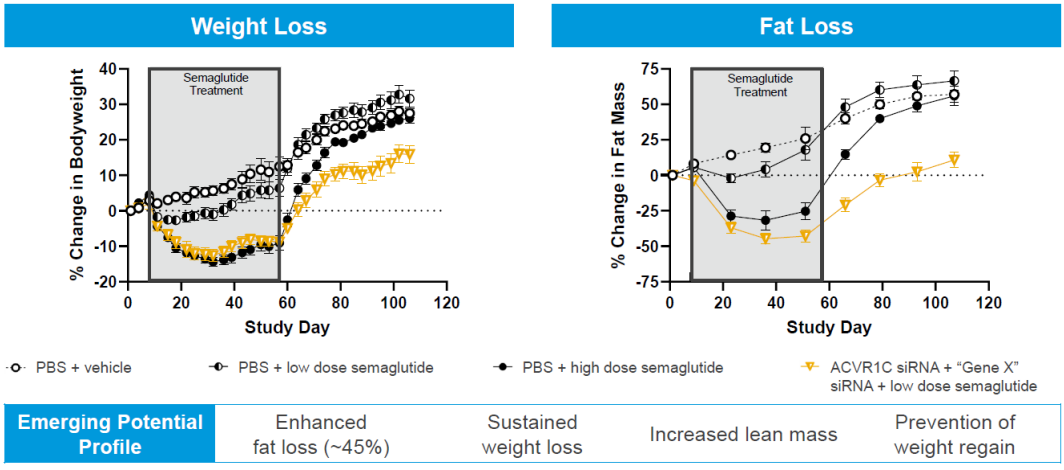
앨나일람은 비만 치료 관련 3가지 전임상 데이터를 보유하고 있다. 1) ACVR1C(ALK7) 또는 INHBE 단독 타깃(NHP 모델)에서는 강력하고 지속적으로 타깃 유전자 발현이 억제됨을 확인했다. 체지방 감소, 근육량 유지, 체중 재증가 억제도 확인했다. 2) 저용량 인크레틴 병용 마우스 모델에서는 시너지 효과로 체지방이 더 많이 감소됨을 확인했다. 체중 재증가 속도가 둔화되고, 근육량도 더 잘 유지되었다. 3) 이중 siRNA 병용(ACVR1C+추가 타깃) 임상에서는 위고비(세마글루타이드) 고용량과 유사한 체중 감소 효과를 보였다. 45% 이상의 지방이 감소했고, 인크레틴 치료 후 근육량 증가와 체중 증가 방지도 확인했다. 환자에서도 동일한 패턴이 확인된다면, 비만 환자 관리와 치료 측면에서 좋은 방법이 될 것으로 보인다. 앨나일람은 ACVR1C(ALK7) siRNA(ALN-2232)의 임상 1상을 진행 중이며, 2H26 임상 1상 결과 발표 예정이다.

그림 15. 지방세포와 간 세포에서의 ACVR1c와 INHBE 발현 억제



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 16. 세마글루타이드와의 병용으로 체중 및 지방 감소



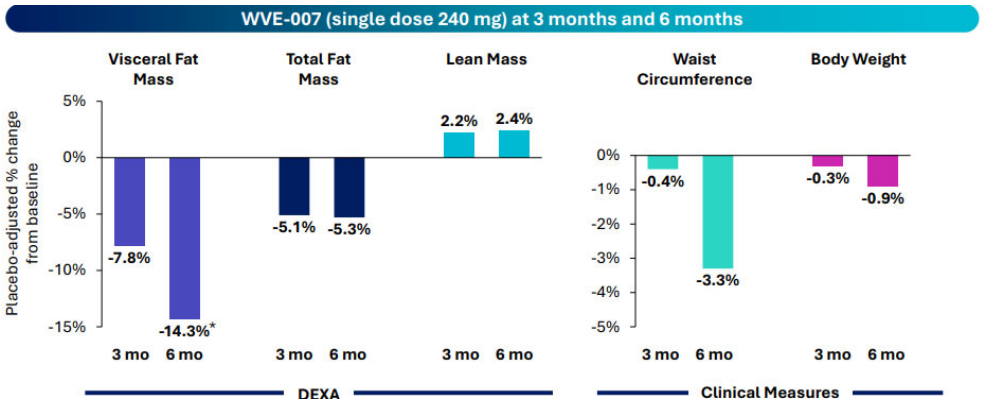
자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

기대에 못 미쳤던 Wave life science의 비만 치료제 임상

웨이브의 WVE-007 INLIGHT 1상 중간 결과에서는 240 mg 투여군 3개월 데이터에서 체지방 5.1% 감소, 내장지방 7.8%가 감소함을 보여주었다. 제지방량은 2.2% 증가했다. 3월에 발표한 데이터에서도 WVE-007 240 mg 용량을 6개월 동안 투여한 결과, 내장 지방이 14.3% 감소하고, 허리둘레가 3.3% 감소하며 체성분 효과가 뚜렷하게 나타났다. 하지만 실제 전체 체중의 0.9%만 감소한 결과를 발표하며 주가는 49.6% 하락했다.

2Q26 400 mg 투여군에서 6개월 후속 데이터와 600 mg 투여군의 3개월 후속 데이터 발표가 예상된다. 웨이브는 계획대로 임상 2a상 진행 중이다. 기저질환이 있는 환자를 포함한 고BMI 인구를 대상으로 진행 예정이며, 2Q26부터는 고BMI 환자를 대상으로 하는 INLIGHT 임상 시험 2a상이 개시되었다. 2026년 내 인크레틴 병용 요법 및 인크레틴 치료 후 유지 요법으로서 WVE-007의 새로운 임상시험을 시작할 계획이다.

그림 17. WVE-007 투여 후 3개월 및 6개월 결과



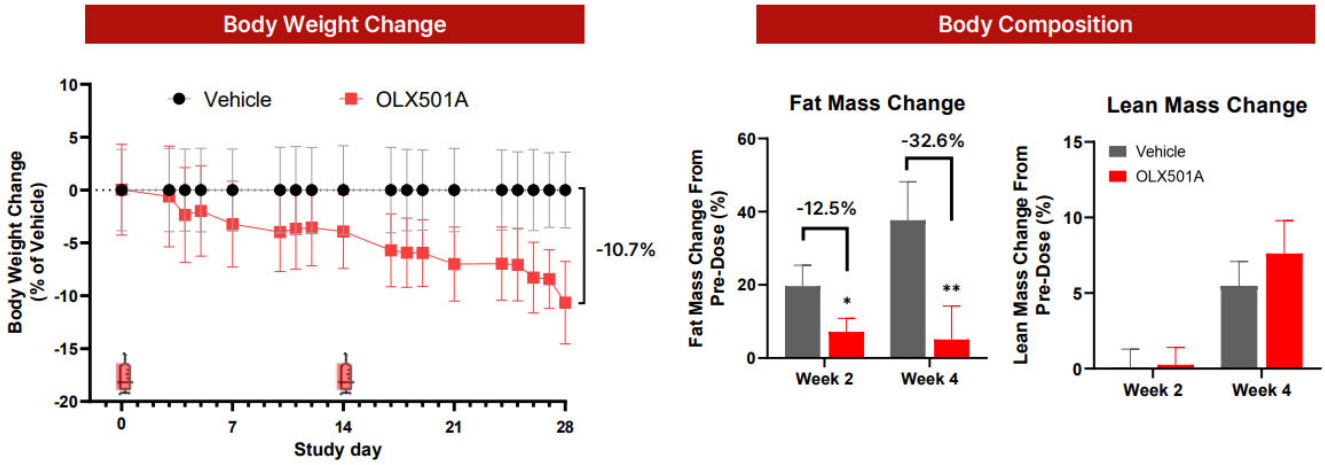
자료: Wave life science, 미래에셋증권 리서치센터

올릭스의 OLX501A는 비만 마우스 모델에서 투여 28일째 대조군 대비 10.7%의 체중을 감소시켰다. 또한, 투여 28일차 대조군 대비 32.6%의 체지방 감소도 확인되었다.

비만 마우스 모델에서 젭바운드 저용량과 OLX501A 병용 투여 시, 젭바운드 고용량 단독 대비 1/10 용량임에도 체지방 감소는 유사했다. 근육 감소는 큰 폭으로 완화하여 체중 감소의 질적 개선 가능성을 보여주었다. 젭바운드 투여 중단 후 요요현상 비교 실험에서는 고용량 단독 투여군은 +54.8% 체지방 증가, OLX501A 병용 투여군은 +25.2% 체지방이 증가했다.

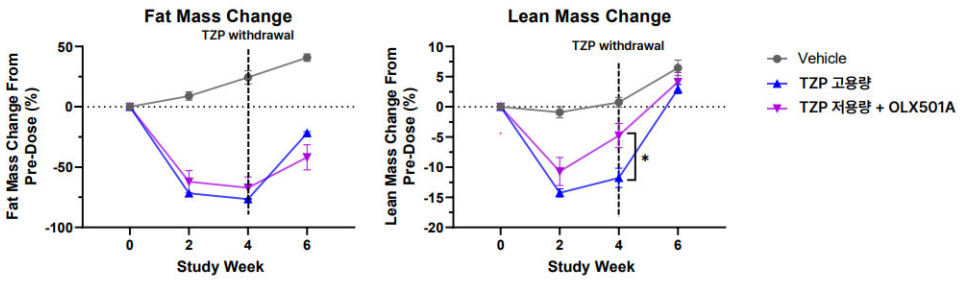
현재 진행 중인 OLX501A 비임상 영장류 시험 결과 단회 투여(3mg/kg, SC)로 최대 84% ALK7 mRNA 감소를 확인했다. 현재는 효력 및 지속기간 개선된 최적화 물질로 개발물질 도출 진행 중이다. 올해 전임상 동물실험 PoC 확보 후 1H27 IND 신청 예정이다.

그림 18. OLX501A: 비임상 마우스 모델 유효성 확인



자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 19. 젭바운드 병용 투여 시, 체지방 감소



자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

2. 신경계질환: 정복하지 못한 영역 공략 중

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

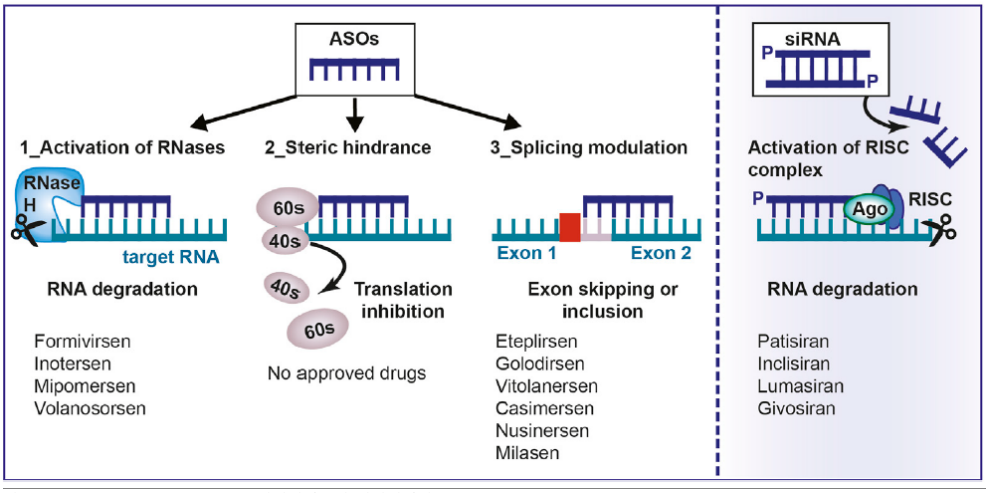
중추신경계질환을 타깃으로 하는 siRNA 치료제 개발은 오랫동안 혈뇌장벽(BBB) 투과와 간 이외 조직에 존재하는 표적으로의 전달이라는 큰 기술적 장벽에 가로막혀 있었다. 하지만 최근 임상 단계에 진입한 신경계질환 파이프라인들은 화학적 변형 유도체(예: 앨나일람의 C16 지질 접합) 및 척수강 내 투여(Intrathecal, IT) 방식을 통해 신경계 전반으로 영역을 확장하고 있다.

RISC(RNA-induced silencing complex)
세포 내에서 특정 유전자의 발현을 억제하는 핵심적인 단백질 복합체

중추신경계 시장은 스핀라자(Spinraza), 칼소디(Qalsody) 등 이미 상용화 트랙 레코드가 두터운 아이오니스/바이오젠의 ASO 플랫폼이 선점하고 있다. 상업화된 신경계질환 siRNA 치료제는 없었다. siRNA는 매커니즘 특성상 RISC(RNA-induced silencing complex)를 재활용하므로 단백질 억제 지속 기간과 효력 면에서 ASO 대비 더 나은 효과를 기대할 수 있다. 향후 임상 2/3상에서의 유의미한 효과 입증이 RNAi 모달리티 밸류에이션 리레이팅의 핵심이 될 것으로 보인다.

아이오니스/바이오젠은 여전히 ASO를 이용하여 신경계질환 영역으로 확장하고 있다. 하지만 최근 알츠하이머병 치료제 BIIB080은 임상 2상에서 주요 평가 지표를 달성하지 못했다. BIIB080은 ASO 치료제로 초기 알츠하이머병 환자에서 척수강 내 주사를 통해 타우 단백질을 만드는 MAPT mRNA를 감소시키는 기전이다. 이처럼 ASO로도 알츠하이머 치료제와 같이 궁극적인 치료제가 나오지 못하는 적응증들이 많이 남아있는 상황이다.

그림 20. ASO와 siRNA의 매커니즘 비교



자료: Frontiers in Pharmacology, 미래에셋증권 리서치센터

앨나일람은 2019년 리제네론 파마슈티컬스와 총 10억 달러 규모의 중추신경계 및 안구 질환 대상의 RNAi 기반 치료제 공동 개발 계약을 체결했다. 현재, 알츠하이머병 치료제에 대한 임상시험을 진행 중이다.

로슈는 2024년 6월, 애시디언 테라퓨틱스(Ascidian Therapeutics, 비상장)와 신경계질환을 치료하기 위한 계약을 체결했으며, 자체 보유 CNS 전달기술과 애시디언의 RNA 편집 기술을 결합해 신경계질환 치료제를 개발할 것으로 보인다.

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

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

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

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

앨나일람의 기업가치에 크게 기여할 알츠하이머 치료제

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

개발 중인 핵심 기술은 1) siRNA에 트랜스페린이나 인슐린 수용체와 같은 BBB 수용체를 타깃으로 하는 리간드를 결합한 리간드 기반 BBB 셔틀 기술, 2) 올리고뉴클레오타이드의 구조 및 화학 수정을 통해 뇌 투과성 및 반감기를 향상시키거나 다중 조직 타깃팅이 가능하한 혁신 전달 플랫폼, 3) 이중 리간드 또는 모듈형 구조를 활용하여 선택적 조직 전달이

가능하게 하는 조합형 전달 방식이다. 2030년까지 모든 주요 조직으로 siRNA를 전달하는 것이 목표다.

앨나일람의 기업가치에 중요한 역할을 할 수 있는 파이프라인은 알츠하이머 치료제로 판단된다. Mivelsiran(ALN-APP)는 앨나일람의 가장 앞서 있는 중추신경계 치료제 파이프라인이기 때문이다. 또한, APP mRNA를 직접적으로 타깃팅하는 첫번째 치료제인 것에도 의미가 있다.

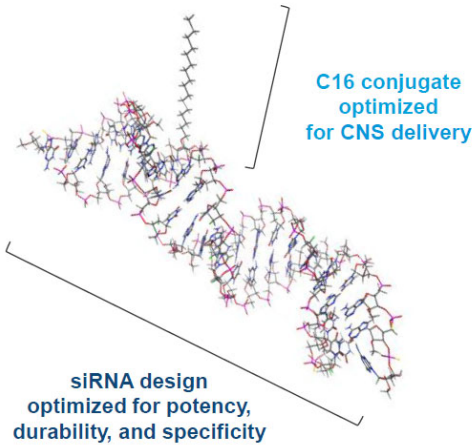
앨나일람의 후보물질 Mivelsiran은 아밀로이드 전구체 단백질(APP) mRNA를 타깃으로 한다. APP 유전자는 가족성 알츠하이머 발병에 관련 있는 유전자 중 하나다. 또한, 특정 돌연변이는 아밀로이드 베타(Aβ) 단백질의 생산을 증가시키는 것으로 알려져 있다. 아밀로이드 베타의 축적은 알츠하이머병과 대뇌 아밀로이드 혈관병증 발병과 관련이 있다.

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

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

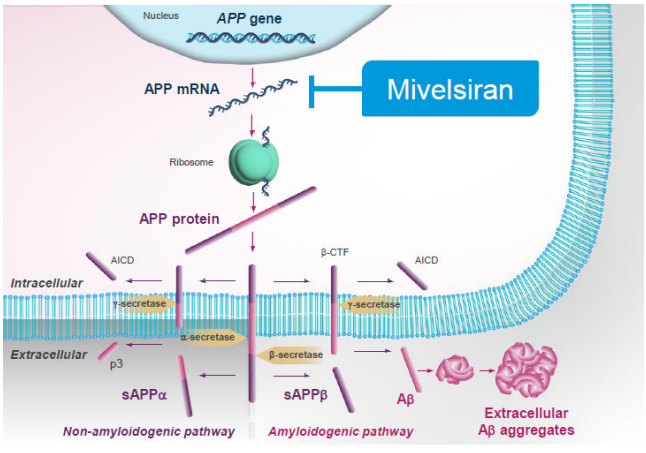
현재 Mivelsiran의 알츠하이머 임상 1상 용량 증대 시험이 진행 중이다. 초기 임상에서 50 mg 및 100 mg 용량 투여 시, 뇌척수액(CSF) 내 APP 단백질 농도를 60~75% 감소시켰다. 또한, 투여 후 10개월까지 장기간 지속 효과를 보여주었다. 또한, 다회 투여군에서 더 큰 APP 단백질 감소 효과가 나타났다. CSF 내 염증 지표(WBC, 단백질, NfL) 증가가 없는 것을 통해 면역학적 안정성도 보였다. 1H26 임상 2상이 개시되었다.

그림 21. CNS 전달에 이용되는 C16



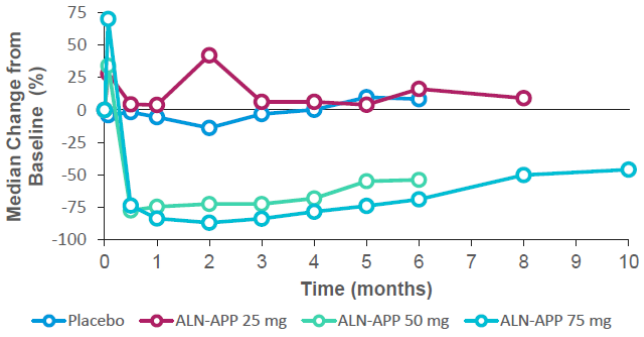
자료: 앨나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터

그림 22. APP mRNA 억제를 통한 아밀로이드베타 감소



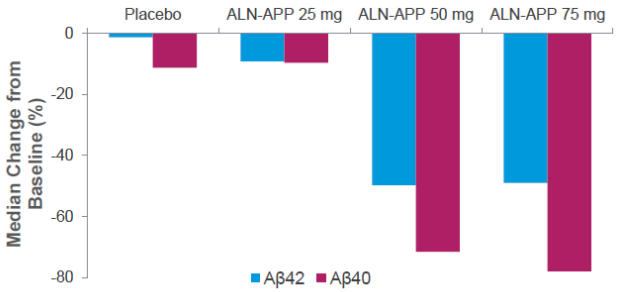
자료: 앨나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터

그림 23. CSF에서 APP의 감소



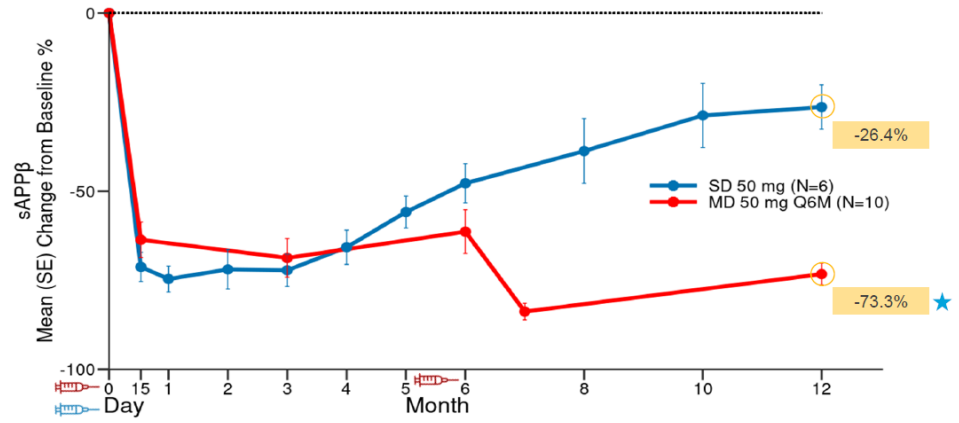
자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 24. 2달 만에 Aβ42 및 Aβ40 감소



자료: 앨나일람, 미래에셋증권 리서치센터

그림 25. 다중 투여를 통해 APP 감소율을 높일 수 있음



자료: 앨나일람(25.02), 미래에셋증권 리서치센터

III. 중국도 시작했다

1. Argo Biopharmaceutical: 글로벌 빅파마가 선택한 기업

노바티스는 심혈관치료제 개발을 위해 중국 바이오 기업인 Argo Biopharmaceutical(이하 아르고)와 기술이전 계약을 체결했다. 총 계약 규모는 52억 달러이며, 1억 6천만 달러의 선급금을 지급한다. 노바티스는 임상 2상 중인 ANGPTL3를 이상지질혈증 병용요법 연구에서 활용하게 된다. 또한, 노바티스는 향후 ANGPTL3에 대한 라이선스를 확보하기 위한 우선 협상권을 갖게 되었다. 25년 10월의 계약은 노바티스-아르고의 3번째 계약이다. 양사는 중국과 미국에서 수익을 공유할 수 있는 옵션을 가지고 있다.

노바티스는 렉비오를 최초이자 유일한 siRNA LDL 콜레스테롤 저하 치료제로 성공시킨 기업으로, RNAi 모달리티를 이용하여 주력하는 심혈관계 질환 적응증을 확장하려는 것으로 보인다.

아르고는 미국 알레르기·천식·면역학회(AAAAI)에서 BW-20805의 2상 중간 데이터를 발표했다. BW-20805는 유전성 혈관부종(HAE) 치료제로 프리칼리크레인(PKK)을 표적으로 한다. BW-20805는 혈장 PKK 수치를 현저하게 감소시키고, 시간에 따른 HAE 발작률 또한 유의미하게 감소시키는 것으로 나타났다. HAE 발작률은 60 0mg 24주 간격 투여군에서 100%, 300 mg 24주 간격 투여군에서 89%, 300 mg 12주 간격 투여군에서 87% 감소했다. 혈장 PKK 수치는 85일째에 300 mg 투여군(24주 간격 투여 및 12주 간격 투여)을 통합했을 때 혈장 PKK의 평균 감소율은 92%를 초과했으며, 600 mg 24주 간격 투여군의 경우 PKK 감소율은 약 97%다.

참고로 도니달로센의 경우 4주 간격 투여군에서 24주 동안 월평균 HAE 발작 비율이 위약 대조군 대비 81% 감소하며 유의미한 효능을 입증했다. BW-20805는 아직 임상 3상이 남아있으나, 임상 2상과 유사한 결과 확보 시 기존 약물 대비 효능과 투약 주기 측면에서 상업화에 유리할 것으로 판단된다.

아르고는 2021년 설립된 신생 기업임에도 불구하고, 노바티스와의 대규모 파트너십을 통해 그 가치를 입증하고 있다. 아르고는 siRNA 업계의 선구자인 애로우헤드 출신의 핵심 인력(CEO, CSO)이 기술 개발을 주도하고 있다. 자체 플랫폼을 통해 기존 siRNA보다 뛰어난 안정성을 확보했으며, 주요 자산에서 연 1회 투여(Once-annual dosing) 가능성을 영장류 데이터로 입증했다. 노바티스로부터 수령한 선급금을 포함해 현재 3억 달러 이상의 현금을 보유하고 있으며, 이는 2029년까지 운영 가능한 자금이다.

올해 가장 중요한 타임라인은 홍콩시장 상장 시점이다. 아르고는 2025년 8월 홍콩 증권거래소에 비공개로 IPO 서류를 접수를 마친 상태이며, 이는 기업 가치 재평가를 위한 핵심 변곡점이 될 것으로 보인다.

현재 여러 차례의 내부 심의를 거쳤으나, 중국 당국(CSRC)의 검토 과정에서 복수의 부처가 의견을 조율하고 있어 타임라인에 불확실성이 존재한다. 특히 '레드칩(Red-chip)' 법인에 대한 규제 이슈와 케이맨 제도 법인 구조가 맞물려 있어, 당초 예상했던 2Q26 상장 일정은 규제 환경에 따라 유동적으로 대응해야 하는 상황이다.

아르고의 핵심 경쟁력인 RATS 플랫폼은 siRNA 치료제의 세 가지 난제인 화학적 변형(Chemical Modification), RNA 서열 디자인, 전달체 리간드(Delivery Ligand)를 최적화한 기술이다.

아르고는 기존 시장 지배자인 앨나일람의 3세대 기술을 정밀하게 분석하여 이를 뛰어넘는 데이터를 목표로 하고 있다. 특히 앨나일람의 3세대 TTR 분자를 공개 특허를 바탕으로 역설계(Reverse Engineering)하여 실시한 영장류(NHP) 헤드 투 헤드(Head-to-head) 비교 실험에서 아르고의 분자는 경쟁사 대비 더욱 깊은 억제 효과를 보였으며, 단 1회 투여로 6개월 후에도 TTR 수치를 90% 이상 억제하는 지속성을 기록했다. 노바티스 CEO는 이를 근거로 연 1회 투약 가능성을 언급했으며, 2027년 임상 3상 진입을 목표로 하고 있다. 현재 아르고는 7개의 임상 프로그램을 운영 중이며, 이 중 6개가 임상 2상 단계로 후기 임상 파이프라인이 많다.

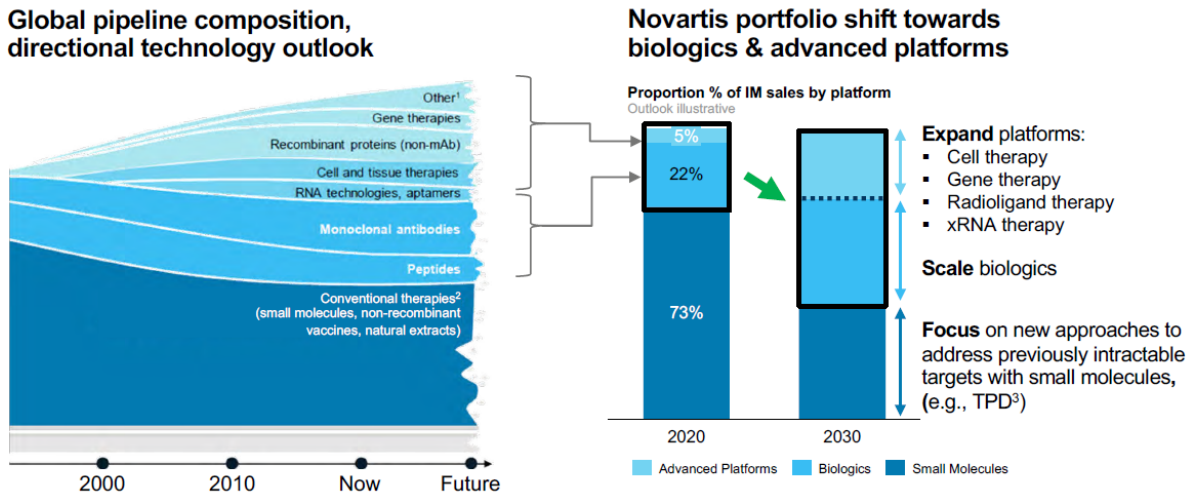
아르고의 CNS 전달 기술 차별점은 피하 주사(Subcutaneous, SQ)를 통해 혈액-뇌 장벽(BBB)을 통과한다는 점이다. 대다수 경쟁사가 척수강 내 주사를 요구하는 것과 달리, 아르고는 SQ 방식으로 뇌 조직에서 70~75%의 유전자 억제 효과를 확인했다. 이는 환자 순응도 측면에서 게임 체인저가 될 것으로 보인다.

표 6. 아르고 주요 파이프라인

카테고리	제품	적응증	임상단계	파트너/타깃
심혈관질환	BW-01	심혈관질환	임상 2상	
	BW-20829(DII235)	심혈관질환	임상 2상	노바티스
	BW-00112	심혈관질환	임상 2상	노바티스/ANGPTL3
희귀질환	BW-20805	HAE	임상 2상	PKK
	BW-40202	보체 매개 질환	임상 2상	CFB
	BW-50218	아밀로이드증	임상 1상	TTR
감염질환	BW-20507	Hepatitis B	임상 2상	HBV

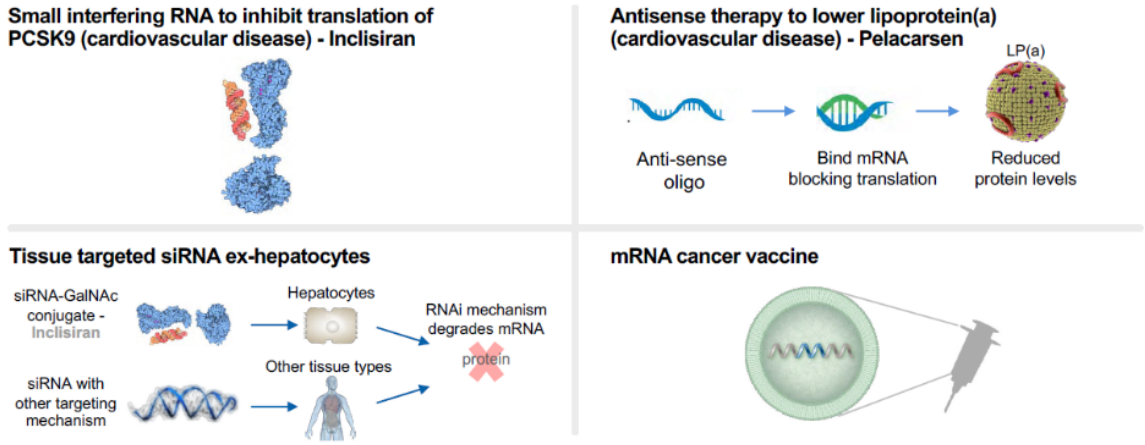
자료: Argo Biopharmaceutical, 미래에셋증권 리서치센터

그림 26. 장기 전략: 새로운 플랫폼 기술의 확장



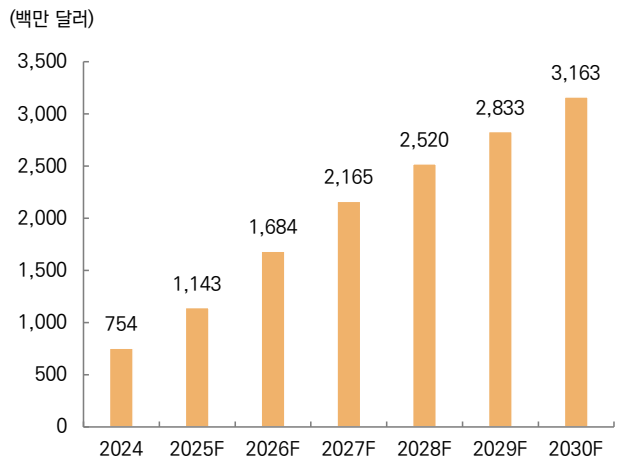
자료: Novartis(2021), 미래에셋증권 리서치센터

그림 27. RNA 치료제 확장을 위한 계획



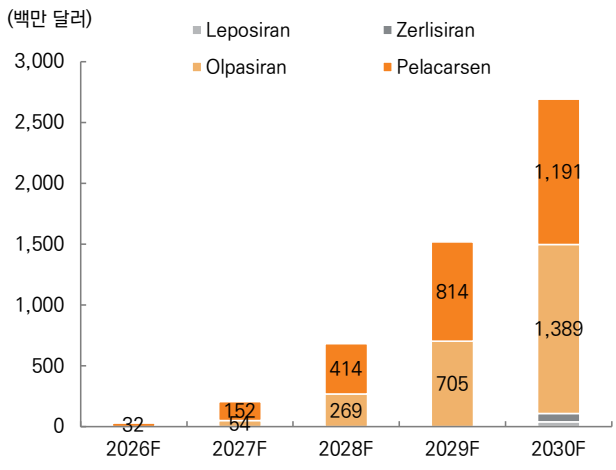
자료: Novartis, 미래에셋증권 리서치센터

그림 28. 렉비오 매출 추이 및 전망



자료: Evaluate Pharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 29. 심혈관계 질환 RNA 치료제 매출 전망



자료: Evaluate Pharma, 미래에셋증권 리서치센터

2. SiranBio: siRNA 약물 개발 전 과정 플랫폼 보유

5월 7일, GSK는 중국 시란바이오와 ALK7 siRNA 치료제에 대해 10억 달러의 계약을 체결했다. SA030은 최근 호주에서 임상 1상에 진입했다. 전임상 결과에서 원숭이에게 SA030(ALK-7 siRNA)를 1회 투여했을 때 ALK-7 mRNA가 80% 이상 감소됨을 확인했고 4달간 지속되었다.

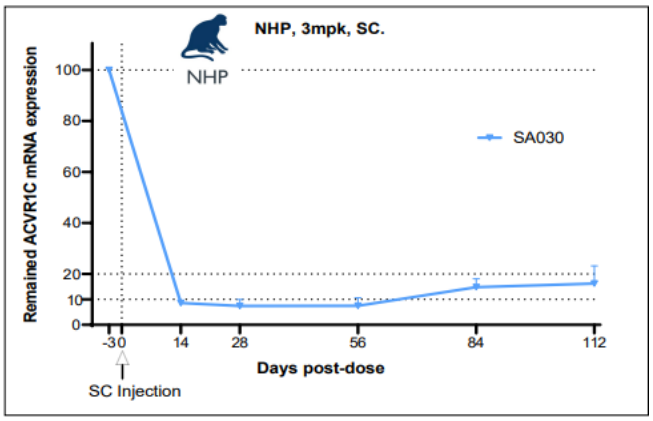
시란바이오는 2022년 5월 중국 쑤저우에서 설립된 siRNA 신약 개발 기업이다. 화학적 변형(eSAFE), 간 및 간 외 전달(STORK), 이중 표적 siRNA 등 siRNA 약물 개발의 전 과정을 아우르는 플랫폼 기술을 보유하고 있다.

STORK-X는 다중 조직 전달 플랫폼으로 중추신경계, 신장, 근육, 지방을 포함한 다양한 간 이외의 조직에서 전달 효율, 선택성, 독성 프로파일 데이터를 확보했다. STORK-F는 간 표적 전달 플랫폼으로 GalNAc 접합 기반의 독자적인 간 표적화 기술을 보유하고 있다. GalNAc 단량체를 포스포라미다이트 형태로 설계했다. 이는 간 표적화 분자의 합성을 크게 단순화하여 원료의약품(API) 비용을 절감할 수 있을 것으로 보인다.

STORK-W는 이중 표적 플랫폼이다. 두 개의 siRNA를 화학적으로 결합하여 하나의 분자로 만들고 동일한 조직에 전달하게 된다. 이중 표적 siRNA는 1) 두 개의 siRNA를 동일한 세포에 전달할 수 있으므로 두 유전자의 발현을 억제하는 시너지 효과를 극대화할 수 있다. 2) 이중 표적 siRNA는 두 가지 siRNA 약물을 개발하는 것보다 훨씬 빠르고 비용 효율적으로 개발할 수 있다. 3) 다양한 전달 기술과 결합된 이중 표적 siRNA는 여러 조직에 전달되어 다양한 적응증에 사용될 수 있다. 25년 10월에는 만성 B형 간염 치료제 SA1211에 대한 IND를 획득했으며, SA1211은 이중표적 siRNA다.

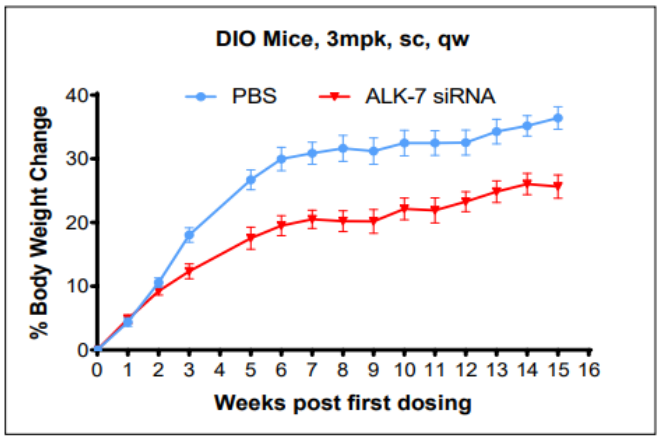
시란바이오는 siRNA 분자의 효능을 유지하면서 안전성을 크게 향상시킬 수 있는 독자적인 화학적 변형 플랫폼(eSAFE)을 가지고 있다. 이 기술은 siRNA의 오프타깃 효과를 완화하고 대사 안정성을 개선하여 siRNA 약물의 안전성, 효능 및 지속성을 높여 줄 수 있을 것으로 보인다. 시란바이오는 siRNA 분자의 합성, 정제 및 분석을 효율적으로 수행할 수 있는 핵산용 고체상 플랫폼도 보유하고 있다.

그림 30. 영장류에서의 ALK7 억제 및 지속성



자료: SiranBio, 미래에셋증권 리서치센터

그림 31. 쥐에서의 체중 감량



자료: SiranBio, 미래에셋증권 리서치센터

표 7. SiranBio 주요 파이프라인

질환 영역	적응증	플랫폼	타깃	임상 단계
간 질환	B형 간염	이중 타깃	PD-L1+HBV	임상 1/2상
대사 질환	비만	지방 조직 전달	ALK7	임상 1/2상
		M지방 조직 전달	다중 타깃 미공개	전임상
	대사 증후군	지방 조직 전달 및 이중 타깃	다중 타깃 미공개	전임상

자료: SiranBio, 미래에셋증권 리서치센터

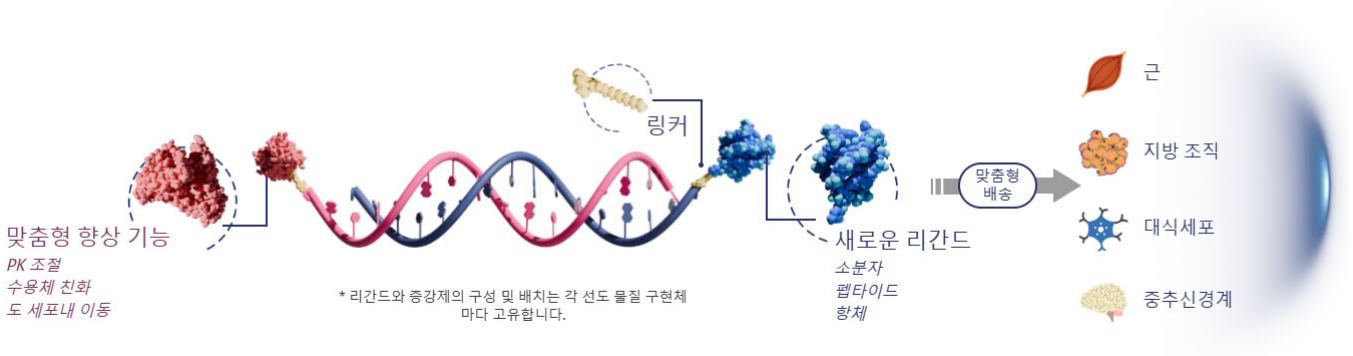
3. SanegeneBio: 새로운 조직 전달과 장기 지속성

26년 2월, 사네진바이오(SanegeneBio)는 제넨텍(Genentech)과 RNAi 플랫폼을 이용한 신약 개발 계약을 체결했다. 사네진바이오는 선급금 2억 달러를 수령하게 되며, 개발 및 상용화 단계별로 최대 15억 달러의 추가 지급금과 단계별 로열티를 받게된다. 사네진바이오는 25년 11월 일라이 릴리와도 계약을 체결한 바 있다. 사네진바이오는 신약 발굴, 개발, 규제 승인 및 상업화 관련 마일스톤 지급금으로 최대 12억 달러를 받을 수 있으며, 향후 제품 판매에 대한 단계별 로열티도 받을 수 있다.

사네진바이오는 2021년 설립된 RNAi 기반 치료제 개발 기업이다. LEAD™(Ligand and Enhancer Assisted Delivery)를 기반으로 대사 질환 치료를 위한 RNAi 후보 물질을 개발 중이다. 이는 간, 지방 조직, 근육 및 면역 세포에서 질병 유발 유전자의 조직 특이적 발현 억제를 가능하게, 연간 2회 피하주사가 목표다.

간조직을 표적으로 하는 자가면역치료제 SGB-9768은 임상 2상 중에 있으며, 비만치료제 SGB-7342(INHBE RNAi), ACVR1C RNAi 파이프라인도 보유하고 있다. SGB-7342 파이프라인은 26년 1월, 임상 1상 첫 환자 투약을 개시했다.

그림 32. LEAD™ 플랫폼을 이용한 간 외 약물 전달



자료: SanegeneBio, 미래에셋증권 리서치센터

표 8. SanegeneBio 주요 파이프라인

질환 영역	프로젝트명	적응증	타깃	표적 조직	임상 단계	파트너
자가면역 질환	SGB-9768	IgAN (면역글로불린 A 신증)	C3	간	임상 2상	
		C3G (C3 사구체병증)			임상 2상	
		IC-MPGN (면역복합체 막증식성 사구체신염)			임상 2상	
	SGB-3383	aHUS (비정형 용혈성 요독 증후군)	CFB		임상 1상	
		PNH (발작성 야간 혈뇨증)			임상 1상	
대사/비만 질환	SGB-7342	비만	INHBE		임상 1상	
심혈관 질환	SGB-3908	고혈압	AGT		임상 1상	이노벤트(Asia)

자료: SanegeneBio, 미래에셋증권 리서치센터

IV. 투자포인트: 전달과 지속기간

지금까지 대부분의 RNA 치료제들의 타깃은 간에 존재했다. GalNac을 이용하여 간으로 치료제를 쉽게 표적화할 수 있었기 때문이다. 하지만 우리가 원하는 더 많은 타깃들이 간 이외의 조직에 존재하며, 간 이외의 조직에 전달할 수 있는 플랫폼 보유가 핵심이다.

1. 전달: 항체의 도움을 받는다

25년 10월, 노바티스는 어비디티 바이오사이언스(Avidity Biosciences)를 약 120억 달러(주당 72달러)에 인수했다. 2026년 2월 27일, 어비디티 바이오사이언스는 노바티스의 완전 자회사로 편입되었다.

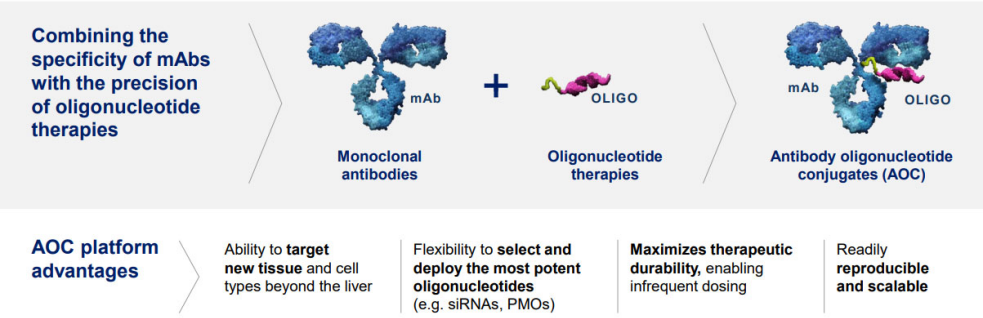
어비디티는 임상에서 가장 먼저 근육으로의 siRNA 전달을 성공적으로 입증한 선두 주자다. 어비디티는 항체-올리고뉴클레오타이드 결합체(Antibody-Oligonucleotide Conjugate, AOC) 기술을 기반으로 RNA 치료제를 근육 조직에 직접 전달하는 3개의 치료제를 개발 중이며, 2026년 승인을 목표로 하고 있다. 어비디티의 AOC 기술은 siRNA 또는 핵산 유사체인 PMO(Phosphorodiamidate morpholino oligomer)를 선택하여 단클론 항체에 접합시킴으로써 올리고뉴클레오티드를 표적에 효율적으로 전달할 수 있다. 기존 RNA 약물이 주로 간에만 전달되는 한계를 넘어, 근육세포 등 간 외 조직에 존재하는 표적으로 전달이 가능하다는 점이 차별화 포인트다.

AOC의 단클론 항체 부분은 근육 세포에서 고도로 발현되는 TfR1(Transferrin Receptor 1) 수용체를 표적으로 하도록 설계되었다. 따라서 근육조직으로의 전달에 용이하다. 특히 근육조직은 기존 antisense나 siRNA 약물 전달이 어려웠던 영역이다. 항체는 근육세포에 다수 발현된어 있는 TfR을 표적하여 근육세포로 들어가고, 여기에 붙은 PMO 또는 siRNA 가 세포 내에서 유전자 발현을 조절한다.

이를 통해 기존 약물 대비 높은 조직 내 농도를 확보할 수 있었고 분자적 효과가 실제 임상 개선으로 이어질 가능성을 높였다. 기존 PMO 기반 엑손 스키핑 약물은 디스트로핀 단백질 발현을 1~2% 수준으로 소폭 증가시키는데 그쳤으나, AOC 기반 DMD 약물은 25% 이상의 디스트로핀 회복을 보였고, 일부 환자에서는 정상인의 절반 이상 수준에 도달했다. 또한, 기존 약물은 매주 정맥 투여가 필요했으나 AOC는 6주 간격만으로 효과를 유지할 수 있어 환자의 편의성과 치료 순응도 개선이 가능했다.

어비디티는 동일한 TfR1 항체 등을 활용해 심장 근육과 면역세포로 영역을 확장하고 있다. 뇌 모세혈관 내피에도 TfR1(Transferrin Receptor 1)의 발현이 높아 신경계질환 적응증 확장도 가능할 것으로 보인다.

그림 33. Avidity Biosciences 핵심 기술



자료: Novartis, Avidity Biosciences, 미래에셋증권 리서치센터

표 9. Avidity Biosciences 주요 파이프라인

프로그램	적응증	단계	특이점 및 근거
Del-desiran	DM1 (근긴장이영양증 1형)	임상 3상 (HARBOR, fully enrolled)	DMPK mRNA 분해를 통한 원인 교정 접근 MARINA/OLE 결과에서 근력·기능 지속 개선, 안전성 양호 2H26 임상 3상 결과 발표 예정 2027년 허가 목표
Del-brax	FSHD (안면견갑상완형 근이영양증)	임상 3상 (FORTITUDE-3 진행 중)	DUX4 발현 억제. cDUX 및 CK 감소와 기능 향상 확인 FDA는 cDUX 감소를 가속승인 바이오마커로 인정
Del-zota	DMD44 (뒤시엔근이영양증 44 exon)	임상 1/2상 완료	Exon 44 스키핑 유도, 정상 디스트로핀 최대 58% 회복. CK 80% 감소 2026년 가속승인 신청

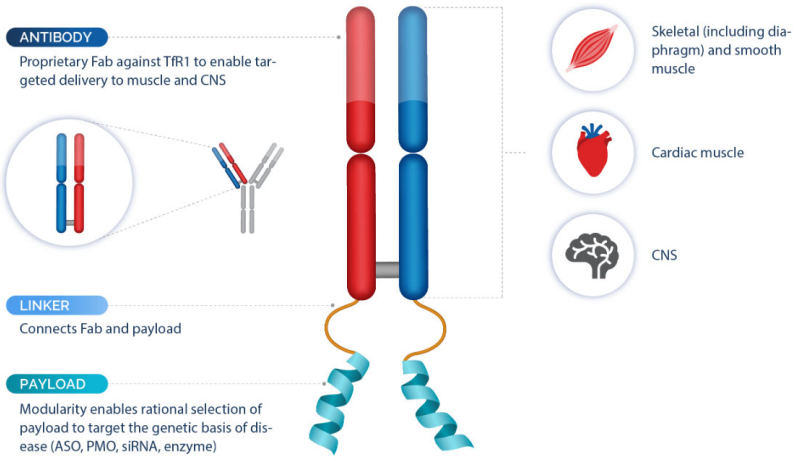
자료: Novartis, Avidity Biosciences, 미래에셋증권 리서치센터

AOC 시장은 초기 Avidity가 개척한 'TfR1 항체 + 근육 조직 타깃' 공식을 넘어, Denali의 BBB 투과 기술처럼 적용 조직과 페이로드(Payload)의 종류가 점차 다변화되는 추세다.

Dyne Therapeutics(DYN US)는 Avidity와 함께 근육 질환 타깃의 AOC 파이프라인을 보유하고 있는 바이오텍이다. 자체 FORCE™ 플랫폼을 기반으로, 근육 세포에 과발현되는 TfR1(트랜스페린 수용체 1)을 표적하는 항체에 PMO, ASO, siRNA, 효소와 같은 페이로드를 결합하는 방식을 사용한다.

Dyne의 가장 앞선 파이프라인은 듀센 근디스트로피(DMD) 치료제 DYNE-251로 DMD의 엑손 51 스키핑을 유도하는 기전이다. 페이로드로 PMO가 사용되었으며, 2Q26 BLA 신청 예정이다. 제1형 근강직성 디스트로피(DM1) 치료제 DYNE-101(Zeleciment basivarsen)는 어비디티의 Del-desiran와 동일하게 DMPK를 타깃으로 한다. 페이로드로 ASO를 사용하였으며, 최근 임상 3상에 진입했다. 안면견갑상완 근디스트로피(FSHD) 치료제 DYNE-302는 어비디티의 Del-brax와 동일하게 DUX4를 타깃팅하며 페이로드로 siRNA를 사용한다.

그림 34. Dyne Therapeutics의 FORCE™ Platform



자료: Dyne Therapeutics, 미래에셋증권 리서치센터

Denali Therapeutics(DNLI US)는 뇌질환 및 중추신경계(CNS) 전문 바이오텍으로, AOC 분야로 확장하고 있다. 드날리는 혈뇌장벽(BBB)을 통과하기 위한 TransportVehicle™(TV) 플랫폼을 보유하고 있다. 항체의 Fc 도메인을 엔지니어링하여 BBB의 TfR1에 결합·통과하게 만드는 기술인데, 이를 올리고뉴클레오타이드에 접목한 OTV(Oligonucleotide Transport Vehicle) 기술을 개발했다.

OTV(Oligonucleotide Transport Vehicle) 프로그램은 전신 투여(IV)를 통해 BBB를 통과하여 뇌 및 척수 전반의 뉴런, 성상교세포, 미세아교세포까지 ASO(안티센스 올리고뉴클레오타이드)나 siRNA를 전달하는 플랫폼이다. 알츠하이머병 및 파킨슨병 원인 유전자를 타깃하는 초기 파이프라인을 구축 중이며, 근육 조직으로의 핵산 전달 능력이 입증되어 신경근육 질환 영역으로도 확장을 시도하고 있다.

OTV 플랫폼이 적용된 DNL628는 MAPT를 타깃으로 하는 알츠하이머치료제로 임상 1b상 중이며, SNCA를 타깃으로 하는 파킨슨병치료제 DNL422는 전임상 단계다.

2. 전달: 다양한 방법으로 새로운 조직에 전달

앨나일람(ALNY US)

앨나일람은 RNAi 분야의 개척자답게 독자적인 화학적 변형 기술을 통해 비간 조직 전달을 구체화했다. siRNA 말단에 C16(2'-O-hexadecyl)이라는 친지성(Lipophilic) 지질 사슬을 접합하는 방식이다. 지질 성분이 세포막이나 막 단백질과의 상호작용을 촉진하여 세포 내 흡수를 유도한다. 별도의 LNP(지질나노입자) 캡슐화 없이 단일 화학 물질(Conjugate) 형태로 작용하므로 안전성이 높다.

중추신경계 전달은 척수강 내 주사 방식으로 뇌와 척수 조직에 전달한다. Regeneron(리제네론)과 공동 개발 중인 알츠하이머 치료제(ALN-APP)가 대표적이다. 안구 및 폐로의 전달은 국소 투여(유리체 내 주사 또는 흡입식)를 통해 망막 세포와 폐 상피 세포로 전달한다.

웨이브 라이프사이언스(WVE US)

자체 핵산 정밀 화학 플랫폼인 PRISM 기술을 기반으로, 올리고뉴클레오타이드의 입체화학적 구조를 조절(Stereopure Oligonucleotides)하여 전달력을 높였다. 특별한 항체나 복잡한 캐리어를 쓰기보다, PN(Phosphoryl guanidine) 백본 변형 등의 고유한 화학적 특성을 통해 세포 투과성과 조직 내 잔존 지속성을 높이는 방식을 사용하고 있다. 최근에는 비간 조직 타깃용 지질 접합체도 결합하고 있다.

애로우헤드(ARWR US)

현재는 TRiM(Targeted RNAi Molecule) 플랫폼을 비간 조직에 적용하고 있다. 각 조직 세포 표면에 특이적으로 발현되는 수용체를 찾아내는 표적 리간드(주로 펩타이드 구조)를 siRNA에 직접 결합하는 방식이다.

폐조직 전달을 위해 흡입형(Inhaled) 경로를 통해 폐 상피 세포에 특이적으로 결합하는 리간드를 탑재, 만성 폐쇄성 폐질환(COPD)이나 특발성 폐섬유증(IPF) 치료제도 개발 중이다.

올릭스(226950 KR)

올리고 구조 자체에 친지성 물질을 결합한 자가전달형(Cell-Penetrating) siRNA 기술을 이용한다. 국소 투여 시 별도의 전달체 없이도 세포막을 스스로 통과한다. 피부나 안구의 경우 국소 투여(피부 주사, 유리체 내 주사)를 통해 흉터 치료제나 황반변성 치료제(OLX301A)를 해당 조직에 직접 전달했다.

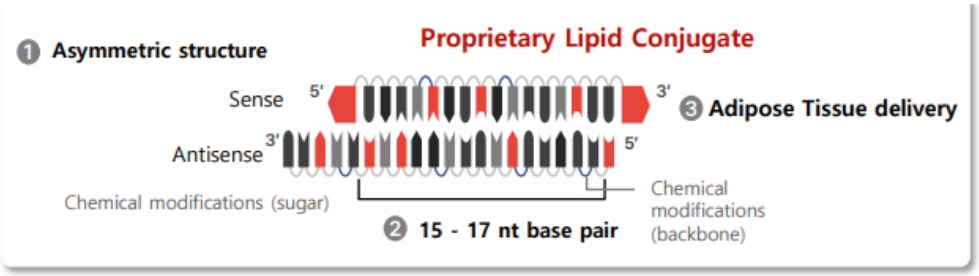
지방세포로 전달되어야 하는 ALK7 siRNA의 경우에는 리피드 컨쥬게이션을 통해 지방세포에 전달한다. 그 외의 조직들은 리피드 컨쥬게이션 부분만 변경하여 타깃 조직에 전달할 수 있게 한다.

최근에는 CNS 확장을 위해 외부 플랫폼과의 오픈 이노베이션을 적극 활용하고 있다. 뇌혈관장벽(BBB)을 통과하기 위해 Key2Brain, Vect-Horus 등 외부 셔틀 플랫폼 기술을 자사 siRNA에 접합하는 공동 개발도 진행하고 있다.

Argo Biopharmaceutical(비상장, 중국)

기본적으로 간 표적용 GalNAc 기술인 RADS 플랫폼을 고도화해 왔으나, 핵산 변형 기술을 응용하여 지질 접합 및 자체 표적 리간드를 결합한 extra-hepatic siRNA 캐리어를 도출하고 있다. 심혈관계(간 접합 연계) 외에도 CNS(중추신경계) 및 기타 다수 조직을 타깃으로 하는 초기 단계의 비간 조직 파이프라인을 확충하고 있다.

그림 35. 올릭스: 리피드 컨쥬게이션을 통해 지방세포에 전달



자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

표 10. siRNA 치료제 기업의 기술 비교

항목	Arrowhead	Argo	Avidity	Wave	Alnylam	OliX
핵심 플랫폼	TRiM™	RADS™	AOC™	PRISM™	GalNAc + C16	asiRNA
기술 개념	리간드 타깃팅	개선화학	항체-올리고 결합	입체화학+PN	지방친화성 결합체	비대칭 siRNA
투여 방식	전신/국소	전신	전신	전신/국소	전신/국소	전신/국소
지방	임상 1상	-	-	-	임상 1상	전임상
폐	임상 2상	-	-	-	-	-
CNS	임상 1상	개발중	-	-	임상 2상	기술 평가
근육	임상 2상	-	임상 3상	임상 2상	-	-
안구	-	-	-	-	-	임상 1상
피부	-	-	-	-	-	임상 1상
간	상업화	임상 2상	-	임상 2상	상업화	후보물질 발굴
특이적 강점	다중조직 타깃	장기지속성(1회/년)	근육 조직 전달	화학 정교	장기지속성	국소 간편

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

3. 장기 지속성: 1년 주기의 치료가 가능해진다

앨나일람의 1세대 약물인 온파트로(Patisiran, IV)가 2세대인 앰부트라(Vutrisiran, SC)로 진화하면서 투여 간격이 3주에서 3개월(최근 임상에 따라 최대 6개월)로 획기적으로 늘어난 핵심 이유는 ESC(Enhanced Stabilization Chemistry) 기술과 GalNAc의 결합에 있다. 단순히 주사 방식만 바뀐 것이 아니라, 약물 설계 자체가 완전히 달라졌다.

RNA 치료제가 과거와 달리 수개월씩 효과가 지속될 수 있게 된 배경에는 크게 두 가지 핵심적인 변화가 있었다. 원래 RNA는 우리 몸에 들어가면 수 분 내에 효소에 의해 분해되어 사라진다. 이를 막기 위해 RNA 백본을 인공적으로 개조했다. 또한 GalNAc 시스템도 잘 사용했다. 이제는 연간 1~2회 투여가 가능한 siRNA 치료제가 개발 중이다.

1) 전달 체계의 변화: LNP(지질나노입자) ➔ GalNAc

온파트로는 RNA를 기름 막인 LNP로 감싸서 정맥으로 주사한다. 혈액 내에서 비교적 빨리 분해되거나 간세포로 흡수된 후에도 대사가 빠르게 일어난다.

반면, 앰부트라는 LNP 대신 GalNAc을 RNA에 직접 붙였다. GalNAc은 간세포의 특정 수용체와 매우 강력하게 결합하여 약물을 간으로 끌어들인다. 이 방식은 LNP 방식보다 세포 내부로 약물을 훨씬 효율적으로 전달하고, 세포 내 엔도솜(Endosome)이라는 저장고에 약물을 쌓아두는 효과가 탁월하다.

2) 화학적 골격의 대대적 보강(ESC 기술)

앰부트라에는 앨나일람의 차세대 화학 변형 기술인 ESC(Enhanced Stabilization Chemistry)가 적용되었다. RNA의 당(Sugar) 부위와 Backbone에 2'-F와 2'-OMe 변형을 온파트로보다 훨씬 더 많이, 그리고 전략적으로 배치했다. 이렇게 하면 체내 분해 효소가 RNA를 분해 대상으로 인식하지 못해 파괴되지 않고 세포 내에서 훨씬 오랫동안 버틸 수 있다.

3) 세포 내 '서방형' 방출 메커니즘

앰부트라는 피하 주사(SC) 후 간세포로 들어가면 세포 내의 작은 주머니인 엔도솜에 저장된다. 화학적으로 매우 안정화된 앰부트라는 이 주머니 안에서 한꺼번에 쏟아져 나오지 않고, 수개월에 걸쳐 조금씩 세포질로 탈출(Endosomal Escape)하며 지속적으로 TTR 단백질 생성을 억제한다. 반면, 1세대인 온파트로는 상대적으로 안정성이 낮아 세포 내에서 머무는 기간이 짧아 3주마다 투약해야 했다.

표 11. 상업화된 siRNA 치료제의 투여 주기

약물명	승인년	적응증	경로	주기	용량	기술
Patisiran	2018	hATTR	IV	Q3W (3주)	0.3 mg/kg	LNP
Givosiran	2019	AHP	SC	Monthly	2.5 mg/kg	GalNAc
Lumasiran	2020	PH1	SC	로딩+Q1-3M	체중별	GalNAc
Inclisiran	2021	HeFH	SC	Q6M	284mg	GalNAc
Vutrisiran	2022	hATTR	SC	Q3M	25mg	GalNAc
Nedosiran	2023	PH1	SC	Monthly	160mg	GalNAc

자료: 각 사, 미래에셋증권 리서치센터

Global Company Analysis

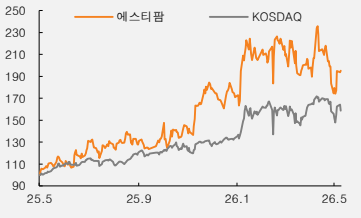
MIRAE ASSET 미래에셋증권

Equity Research
2026.5.28

투자의견(유지)	**매수**
목표주가(유지)	**200,000원**
현재주가(26/5/27)	139,700원
상승여력	43.2%

영업이익(26F,십억원)	94
Consensus 영업이익(26F,십억원)	75
EPS 성장률(26F,%)	32.8
MKT EPS 성장률(26F,%)	239.0
P/E(26F,x)	38.9
MKT P/E(26F,x)	9.0
KOSDAQ	1,133.13
시가총액(십억원)	2,914
발행주식수(백만주)	21
유동주식비율(%)	62.1
외국인 보유비중(%)	12.6
베타(12M) 일간수익률	1.06
52주 최저가(원)	76,400
52주 최고가(원)	168,700

(%)	1M	6M	12M
절대주가	-16.6	29.1	80.3
상대주가	-9.7	0.3	15.7



[글로벌 바이오텍]
서미화
mihwa.seo@miraeasset.com

237690 · 제약/바이오

에스티팜

RNA 치료제와 함께 성장 중

투자의견 매수, 목표주가 20만원 유지

투자의견 매수, 목표주가 20만원을 유지한다. 26년 매출액 4,131억원(+24.5% YoY), 영업이익 942억원(+71.4% YoY)이 예상된다. RNA 치료제 신약 승인 및 적응증 확장으로 매출 성장이 기대된다. 특히 기고객사의 만성질환 및 항암제 관련 3상 결과 2건이 2H26 나올 예정으로, 2026~2027년부터는 본격적인 매출 성장이 기대된다. 27년 이후부터는 연간 영업이익률 20% 이상의 안정적인 수익 구간에 진입할 것으로 추정했다.

2026년부터 실적의 계절성 완화도 기대된다. 에스티팜의 실적은 4분기 매출이 쏠리는 구조였다. 상업화된 올리고 수주 제품이 증가하고 신규 프로젝트 수가 확대되면서 분기별 매출 변동성은 점차 완화될 것으로 예상된다.

블록버스터급 RNA치료제가 늘어나고 있다는 점과 초기 단계의 RNA 치료제 에셋이 많아지고 있다는 점은 에스티팜 수주에 영향을 줄 수 있다. 이미 출시된 RNA 치료제의 매출이 확대되면 기존 CDMO의 케파 제한으로 새로운 CDMO에 수주를 맡길 가능성도 높아지기 때문이다.

또한, RNA 치료제 개발이 가속화되면서 4Q25 6개, 1Q26 4개 신규 프로젝트가 추가되었다. RNA 치료제 기업이 다양해지고 있는 만큼 1) 신규 기업의 수주와 2) 블록버스터가 예상되는 제품의 추가 수주가 주가를 견인할 것으로 판단된다.

1분기 실적 어닝 서프라이즈

에스티팜 1Q26 매출액은 670억원(+27.8% YoY), 영업이익 115억원(+1021.8% YoY)을 달성했다. 1분기 실적은 전통적인 비수기임에도 불구하고 고마진 품목 매출 확대와 환율 효과에 힘입어 시장 예상치를 상회하는 어닝 서프라이즈를 기록했다.

1분기 매출은 당초 연간 계획 대비 약 150억원 가량 이연되었으며, 이 물량이 2분기에 집중될 예정이다. 이에 따라 2분기 실적은 1분기보다 증가할 것으로 보이며, 올해 분기별 매출 규모는 4분기〉2분기〉3분기〉1분기 순으로 높을 것으로 전망된다. 올리고 CDMO 매출은 404억원으로 전체 매출액 중 60.3% 비중을 차지하며 매출액 및 영업이익 증가에 기여했다. 혈액암 등 고마진 상업화 품목의 매출이 수익성 개선을 견인했으며, 올리고 상업화 프로젝트 비중은 67.1%를 차지했다.

결산기 (12월)	2024	2025	2026F	2027F	2028F
매출액 (십억원)	274	332	413	490	582
영업이익 (십억원)	28	55	94	123	151
영업이익률 (%)	10.2	16.6	22.8	25.1	25.9
순이익 (십억원)	35	55	75	104	145
EPS (원)	1,780	2,706	3,594	5,004	6,944
ROE (%)	7.8	10.0	12.0	14.8	17.7
P/E (배)	50.0	44.1	38.9	27.9	20.1
P/B (배)	3.6	4.2	4.4	3.9	3.3
배당수익률 (%)	0.6	0.4	0.4	0.4	0.4

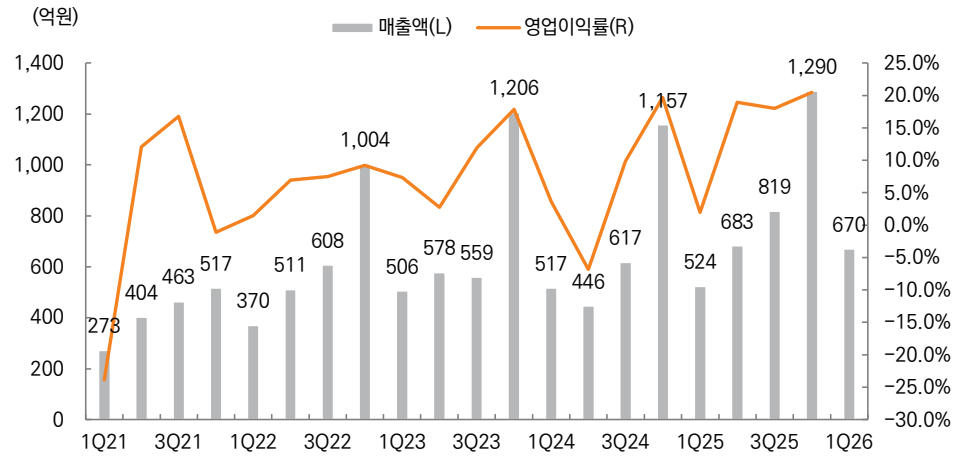
주: K-IFRS 연결 기준, 순이익은 지배주주 귀속 순이익
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

표 12. 에스티팜 실적 추이 및 전망 (억원)

		1Q25	2Q25	3Q25	4Q25	1Q26	2Q26F	3Q26F	4Q26F	2024	2025	2026F	2027F
매출액		524	683	819	1,291	670	962	954	1,544	2,738	3,317	4,131	4,896
YoY		*1.4%*	*53.1%*	*32.7%*	*11.5%*	*27.8%*	*41.0%*	*16.5%*	*19.6%*	*-3.9%*	*21.2%*	*24.5%*	*18.5%*
신약 원료의약품	저분자화합물	11	67	1	184	46	101	91	221	257	263	458	481
CDMO	올리고	375	435	686	880	404	653	720	1,100	1,761	2,376	2,877	3,596
영업이익		10	129	147	263	115	202	239	386	277	549	942	1,227
YoY		*-45.5%*	*흑전*	*141.6%*	*15.3%*	*1021.8%*	*56.4%*	*62.0%*	*47.0%*	*-17.4%*	*98.4%*	*71.4%*	*30.3%*

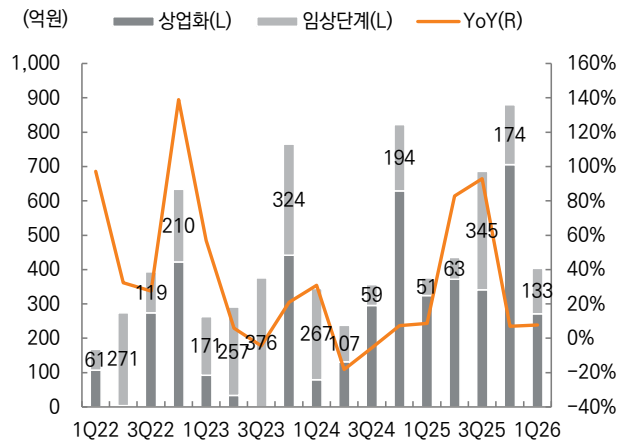
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 36. 에스티팜 실적 추이



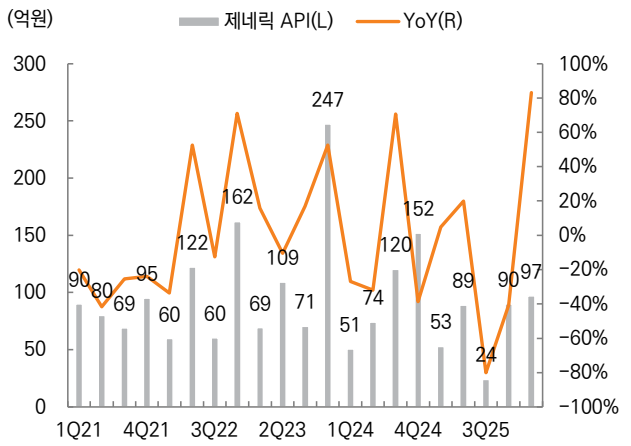
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 37. 올리고뉴클레오타이드 CDMO 매출 추이



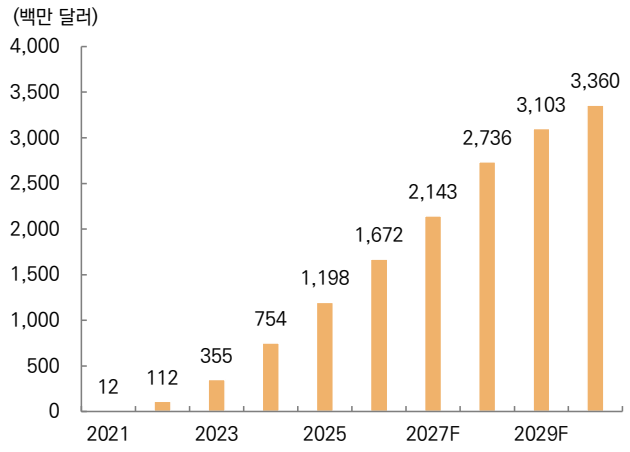
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 38. 제네릭의약품 CDMO 매출 추이



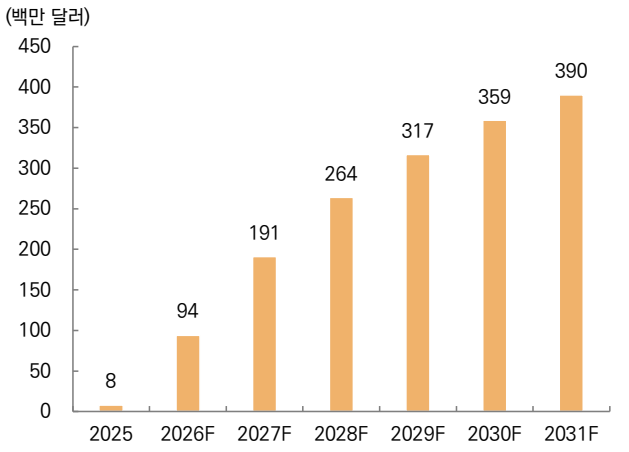
자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

그림 39. 고지혈증 치료제 연간 매출 추이 및 전망



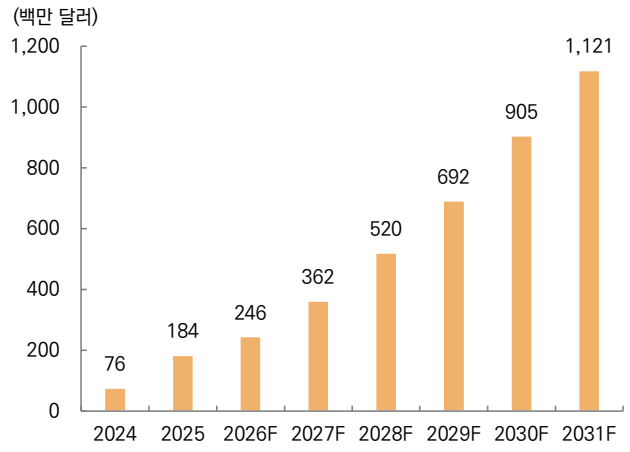
자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 40. 유전성혈관부종 치료제 연간 매출 전망



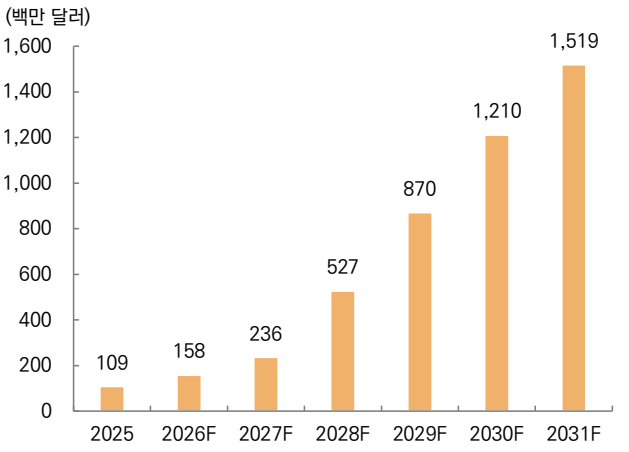
자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 41. 혈액암 치료제 연간 매출 추이 및 전망



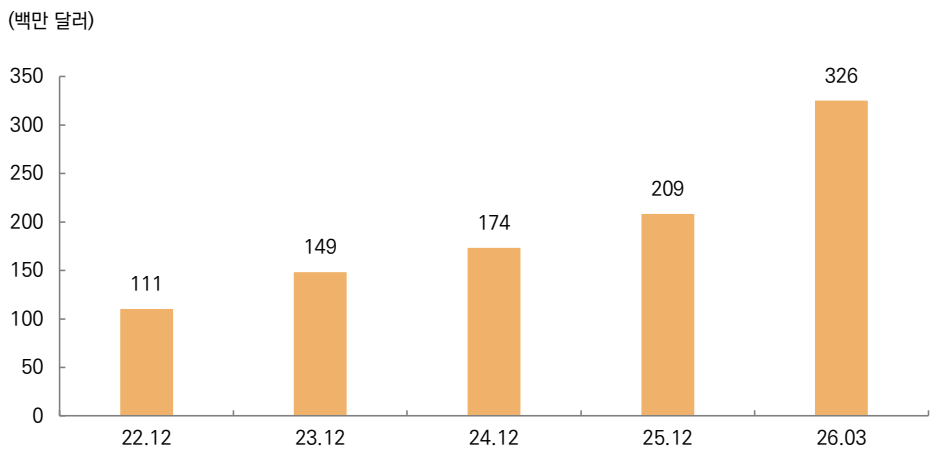
자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 42. 심혈관계 치료제 연간 매출 전망



자료: EvaluatePharma, 미래에셋증권 리서치센터

그림 43. 에스티팜 수주 잔고 추이



자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

표 13. 에스티팜 올리고 수주 파이프라인(일부)

파트너사	적응증	임상단계
글로벌제약사A	고지혈증	상업화
글로벌제약사B	척수성근위축증	상업화
글로벌바이오텍C	MDS/MF/AML	상업화
글로벌바이오텍D	심혈관 질환	상업화
글로벌바이오텍D	유전성혈관부종	상업화
글로벌제약사A	동맥경화증	임상 3상
글로벌제약사E	만성 B형 간염	임상 3상
글로벌바이오텍D	혈전증	임상 2상
글로벌제약사F	만성 B형 간염	임상 2상
글로벌제약사G	황반변성	임상 2상
글로벌제약사G	만성 B형 간염	임상 2상

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

에스티팜 (237690)

예상 포괄손익계산서 (요약)

(십억원)	2025	2026F	2027F	2028F
매출액	**332**	**413**	**490**	**582**
매출원가	**195**	**235**	**266**	**314**
매출총이익	**137**	**178**	**224**	**268**
판매비와관리비	**81**	**84**	**101**	**116**
조정영업이익	**55**	**94**	**123**	**151**
영업이익	**55**	**94**	**123**	**151**
비영업손익	**4**	**0**	**8**	**21**
금융손익	-1	0	8	21
관계기업등 투자손익	0	0	0	0
세전계속사업손익	59	94	131	172
계속사업법인세비용	4	19	26	27
계속사업이익	55	75	105	145
중단사업이익	0	0	0	0
당기순이익	**55**	**75**	**105**	**145**
지배주주	55	75	104	145
비지배주주	0	0	0	0
총포괄이익	**56**	**75**	**105**	**145**
지배주주	56	75	104	144
비지배주주	0	0	1	1
EBITDA	85	125	150	176
FCF	-33	70	82	99
EBITDA 마진율 (%)	25.6	30.3	30.6	30.2
영업이익률 (%)	16.6	22.8	25.1	25.9
지배주주귀속 순이익률 (%)	16.6	18.2	21.2	24.9

예상 재무상태표 (요약)

(십억원)	2025	2026F	2027F	2028F
유동자산	**373**	**488**	**634**	**822**
현금 및 현금성자산	31	91	173	285
매출채권 및 기타채권	98	118	140	166
재고자산	169	203	241	287
기타유동자산	75	76	80	84
비유동자산	**410**	**380**	**353**	**329**
관계기업투자등	0	0	0	0
유형자산	357	327	301	277
무형자산	17	16	15	14
자산총계	**783**	**868**	**987**	**1,151**
유동부채	**165**	**182**	**202**	**226**
매입채무 및 기타채무	31	37	44	53
단기금융부채	91	93	97	100
기타유동부채	43	52	61	73
비유동부채	**25**	**29**	**34**	**40**
장기금융부채	3	3	3	3
기타비유동부채	22	26	31	37
부채총계	**190**	**211**	**236**	**265**
지배주주지분	**593**	**657**	**751**	**886**
자본금	10	10	10	10
자본잉여금	358	358	358	358
이익잉여금	204	269	363	497
비지배주주지분	**0**	**0**	**0**	**0**
자본총계	**593**	**657**	**751**	**886**

예상 현금흐름표 (요약)

(십억원)	2025	2026F	2027F	2028F
영업활동으로 인한 현금흐름	**14**	**70**	**82**	**99**
당기순이익	55	75	105	145
비현금수익비용가감	48	50	46	31
유형자산감가상각비	28	30	27	24
무형자산상각비	1	1	1	1
기타	19	19	18	6
영업활동으로인한자산및부채의변동	-79	-36	-42	-50
매출채권 및 기타채권의 감소(증가)	-31	-19	-22	-26
재고자산 감소(증가)	-53	-33	-38	-46
매입채무 및 기타채무의 증가(감소)	1	2	3	3
법인세납부	-9	-19	-26	-27
투자활동으로 인한 현금흐름	**-26**	**16**	**26**	**39**
유형자산처분(취득)	-47	0	0	0
무형자산감소(증가)	0	0	0	0
장단기금융자산의 감소(증가)	22	-1	-1	-1
기타투자활동	-1	17	27	40
재무활동으로 인한 현금흐름	**-20**	**-25**	**-26**	**-26**
장단기금융부채의 증가(감소)	-41	3	3	4
자본의 증가(감소)	43	0	0	0
배당금의 지급	-10	-10	-10	-10
기타재무활동	-12	-18	-19	-20
현금의 증가	**-33**	**60**	**82**	**112**
기초현금	63	31	91	173
기말현금	31	91	173	285

예상 주당가치 및 valuation (요약)

	2025	2026F	2027F	2028F
P/E (x)	44.1	38.9	27.9	20.1
P/CF (x)	23.7	23.3	19.4	16.5
P/B (x)	4.2	4.4	3.9	3.3
EV/EBITDA (x)	29.8	22.8	18.5	15.2
EPS (원)	2,706	3,594	5,004	6,944
CFPS (원)	5,024	6,005	7,205	8,443
BPS (원)	28,666	31,483	35,987	42,431
DPS (원)	500	500	500	500
배당성향 (%)	19.1	13.9	10.0	7.2
배당수익률 (%)	0.4	0.4	0.4	0.4
매출액증가율 (%)	21.2	24.5	18.5	19.0
EBITDA증가율 (%)	59.2	47.5	20.1	17.2
조정영업이익증가율 (%)	98.4	71.4	30.3	23.4
EPS증가율 (%)	52.0	32.8	39.2	38.8
매출채권 회전율 (회)	4.0	3.9	3.9	3.9
재고자산 회전율 (회)	2.2	2.2	2.2	2.2
매입채무 회전율 (회)	17.4	18.1	17.2	17.1
ROA (%)	7.3	9.1	11.3	13.6
ROE (%)	10.0	12.0	14.8	17.7
ROIC (%)	9.3	12.7	16.1	20.2
부채비율 (%)	32.0	32.1	31.4	30.0
유동비율 (%)	226.2	268.0	313.8	364.0
순차입금/자기자본 (%)	10.6	-8.3	-17.8	-27.4
조정영업이익/금융비용 (x)	13.6	5.4	6.7	8.0

자료: 에스티팜, 미래에셋증권 리서치센터

MIRAE ASSET 미래에셋증권

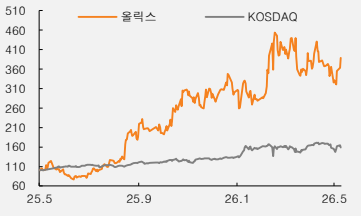
Equity Research
2026.5.28

Not Rated

목표주가	-
현재주가(26/5/27)	177,200원
상승여력	-

영업이익(26F,십억원)	-
Consensus 영업이익(26F,십억원)	-
EPS 성장률(26F,%)	-
MKT EPS 성장률(26F,%)	-
P/E(26F,x)	-
MKT P/E(26F,x)	-
KOSDAQ	1,133.13
시가총액(십억원)	3,597
발행주식수(백만주)	20
유동주식비율(%)	82.8
외국인 보유비중(%)	10.6
베타(12M) 일간수익률	0.80
52주 최저가(원)	34,800
52주 최고가(원)	207,000

(%)	1M	6M	12M
절대주가	-9.8	42.4	242.7
상대주가	-2.4	10.6	119.9



[글로벌 바이오텍]

서미화
mihwa.seo@miraeasset.com

226950 · 제약/바이오

올릭스

오랜 내공이 빛을 발하다

RNA 치료제 자체 플랫폼 기술 보유 기업

올릭스는 2010년 설립하여 2018년 코스닥 시장에 상장한 기업으로 자체 개발한 RNA 간섭(RNAi, RNA Interference) 플랫폼 기술을 보유하고 있다. 올릭스의 경쟁력은 독자적으로 개발한 자가전달 비대칭 RNA(asiRNA) 플랫폼이다. 비대칭 구조를 적용하여 원치 않는 유전자가 억제되는 부작용을 획기적으로 줄였다. 또한, 별도의 전달체(전달용 지질 나노입자 등) 없이도 세포 내로 효율적으로 흡수되어 안전성이 높다. 올릭스는 국소 투여(피부, 안과) 질환에서 시작하여, 현재는 GalNAc 기술을 활용한 전신 투여 치료제까지 파이프라인을 다각화하고 있다.

개발 성과들이 나오는 구간

올릭스는 후보 물질의 임상 1상 전후 단계에서 글로벌 제약사에 기술을 이전하여 마일스톤과 로열티를 확보했다. 플랫폼을 기반(asiRNA)으로 타깃 유전자 서열만 바꾸면 새로운 치료제를 빠르게 설계할 수 있기 때문이다. 올릭스는 글로벌 탑티어 기업(릴리, 로레알)들과 파트너십을 체결하면서 기술적 검증을 거치고 있다.

올릭스는 RNAi 시장의 성장세와 함께 기술적 진입 장벽을 성공적으로 구축하고 있어 장기적인 성장 잠재력이 높다. 1) 핵심 파이프라인(탈모, 황반변성, MASH, 비만 등)의 임상 데이터 결과, 2) GalNAc 기반 간 질환 파이프라인의 추가적인 글로벌 기술 수출(L/O)에 따라 기업가치는 더 높아질 것으로 판단된다.

26년 주요 이벤트는 1) 릴리 MASH 임상 1상 종료 및 2상 개시, 2) 탈모 치료제 호주 임상 1b상 완료, 3) OLX501A 치료제 영장류 데이터 공개를 통한 추가 글로벌 딜 가능성 확인 등이다.

특히 OLX501A의 타깃인 ALK7의 경우 siRNA 치료제의 비만 치료 타깃으로 관심을 받고 있는 유전자다. 올릭스는 전임상 결과에서 OLX501A의 비만치료 가능성을 확인하였다. 올해 동물 실험 PoC 확보 후, 1H27 IND 신청을 목표로 하고 있어 경쟁 물질과의 임상 단계도 비슷한 상황이다. 따라서 경쟁 물질 대비 좋은 효능 데이터 확보는 기술이전 가능성을 높여줄 수 있을 것으로 기대된다.

결산기 (12월)	2021	2022	2023	2024	2025
매출액 (십억원)	4	9	16	6	15
영업이익 (십억원)	-25	-23	-18	-26	-27
영업이익률 (%)	-625.0	-255.6	-112.5	-433.3	-180.0
순이익 (십억원)	-30	-20	-20	-41	-16
EPS (원)	-2,196	-1,292	-1,184	-2,389	-790
ROE (%)	-86.6	-45.2	-33.6	-120.5	-19.4
P/E (배)	-18.7	-15.7	-12.3	-8.1	-177.7
P/B (배)	27.0	5.0	4.9	20.4	20.9
배당수익률 (%)	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0

주: K-IFRS 개별 기준, 순이익은 지배주주 귀속 순이익
자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

1. MASH/대사질환 파이프라인(OLX702A)

1) 임상 진행 및 데이터 관전 포인트

OLX702A(Mac1 siRNA)는 일라이 릴리와 파트너십을 맺은 MASH 치료제 파이프라인이다. MASH 치료제는 단회투여(SAD) 이후 용량 최적화를 위해 임상을 끊고 반복투여(MAD)로 전환 하지만, 올릭스는 안전성에 대한 리스크가 적어 바로 용량을 증량하는 구조를 취해 개발 기간을 단축했다. 건강한 자원자와 비알코올성 지방간 질환 환자를 동시에 타깃팅하여 안전성 및 유효성 데이터를 함께 확보 중이다

OLX702A는 시장에서 주목하는 장기 지속성 관점에서 강점이 입증될 수 있을 것으로 기대된다. 투여 주기가 6개월 1회로 되어 있기 때문이다. 간 지방 감소율은 60%~80% 수준으로 Best-in-class(MASH 기준 60% 이상) 목표치에 부합할 것으로 기대된다. 올해 1상 종료가 예상되며, 릴리 주도 임상 2상이 진행된다면, 마일스톤 수령도 가능할 것으로 예상된다.

2) 경쟁 약물과의 비교

노보 노디스크가 2025년 단회투여(SAD) 결과 공개 시점에 MASH 치료제 Mac1 프로젝트를 중단하면서 시장의 우려가 있었으나, 이는 기술적 결함보다는 전략적 선택으로 해석된다. 노보 노디스크는 위고비가 일라이 릴리의 젭바운드 대비 MASH 반응률이 떨어진 상황에서, 임상 3상 단계의 아케로(Akero)의 파이프라인을 도입했기 때문이다. 반면, 일라이 릴리는 마일드한 단계의 환자층을 타깃팅하여 Marc1 타깃에 대한 매력도는 여전히 높다. 올릭스의 OLX702A는 노보 노디스크 대비 낮은 농도에서도 우수한 반응율을 보여 높은 용량 설정 시 발생하는 안전성 이슈에서도 상대적으로 자유롭다.

3) GLP-1 병용 전략 및 듀얼 타깃 플랫폼

릴리는 올릭스와의 계약에서 듀얼 타깃 플랫폼에 대한 우선 검토 권리도 가지고 있다. 중성지방과 다른 리간드를 동시에 타깃하는 듀얼 타깃의 경우, 단일 물질을 섞어 쓰는 병용보다 유전자 억제율이 훨씬 강력할 것으로 보인다. siRNA는 장기지속형(6개월~1년)과 근손실 방지 등을 동시에 충족할 수 있어 최적의 대안이다. GLP-1 단독 투여보다 병용 투여 시 체중 및 복부 둘레 감소 효과가 드라마틱하게 나타나기 때문에 듀얼 타깃에 대한 관심도 높은 것으로 보인다.

2. 탈모 파이프라인(OLX104C)

1) 탈모 치료제 임상 현황 (OLX104C)

OLX104C는 호주에서 임상 1b/2a상을 진행 중이며, 2025년 12월 첫 환자 투여가 시작되었다. 올해 1b상(안전성 및 용량 설정, 24명)을 종료하고 내년에 2a상(134명)을 종료하는 빠른 타임라인을 목표로 하고 있다. 기존 프로페시아 등이 호르몬(테스토스테론, DHT) 자체를 표적하여 성기능 부작용 등을 유발하는 것과 달리, 올릭스는 세포의 알로페시아 리셉터(안드로겐 수용체) 시그널을 원천 차단하는 기전이다. 따라서 가임기 여성 탈모 환자에게도 안전하게 사용 가능하다. 기전상 탈모를 방지하는 목적이지만 비임상 및 초기 데이터에서 실제 모발이 두꺼워지고 발모가 촉진되는 효과가 확인되었다. 분자 크기가 수 나노미터로 작아 바르는 세럼 타입으로도 효과가 있으나, 피내 주사 시 확실한 전달과 유효성을 보일 것으로 보인다.

2) 로레알(L'Oreal) 공동 연구 계약의 가치

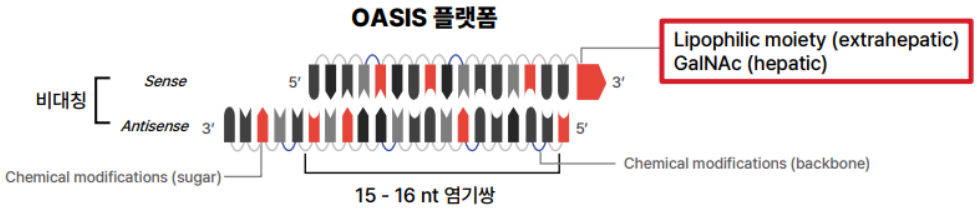
피부 및 모발 재생 탈모 타깃의 R&D 협약으로, 화장품부터 의약품 영역까지 적용 가능한 것으로 보인다. 기술 개발의 주도권이 올릭스에 있어 향후 유리한 본계약으로 진행될 가능성도 존재한다. 화장품으로 출시할 경우 핵심 원료 기능 테스트만 거치면 되므로 빠른 상업화도 가능(의약품은 임상 3상 필요)하다. 글로벌 기업인 로레알의 유통 및 규제 파워를 활용해 전 세계 시장을 빠르게 선점할 수 있으며, 향후 갈더마 사례처럼 지분 투자 유치 가능성도 열려 있다는 점이 긍정적이다.

3. 기타 파이프라인

황반변성(OLX301A) 치료제는 임상 1상이 완료되었으며 건성/습성 황반변성 환자 전체 시력 개선(BCVA) 데이터를 확보했다. 현재는 환자 수를 추가 확보하는 전략을 취하고 있으며, 계약 체결 시 주가 추가 모멘텀으로 작용할 것으로 판단된다.

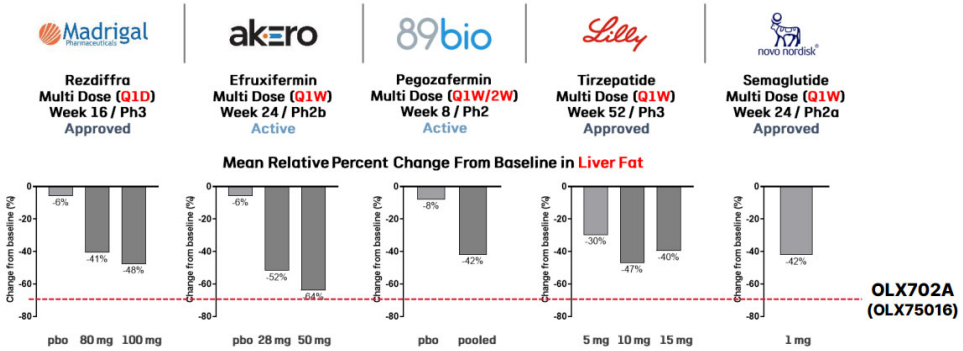
올릭스가 내부적으로 가장 기대하는 분야는 지방세포 표적(ALK7 타깃 등) 치료제이다. 애로우헤드의 데이터와 유사한 수준의 마우스 유전자 발현 억제율(약 84% 이상)을 확인했다. 비간(Non-liver) 조직인 CNS(알츠하이머, 파킨슨) 쪽도 BBB 셔틀을 달아 초기 데이터를 확보 중이며, 의미 있는 데이터 확보 시 파트너링이 가능할 것으로 보인다.

그림 44. 올릭스 플랫폼 OASIS



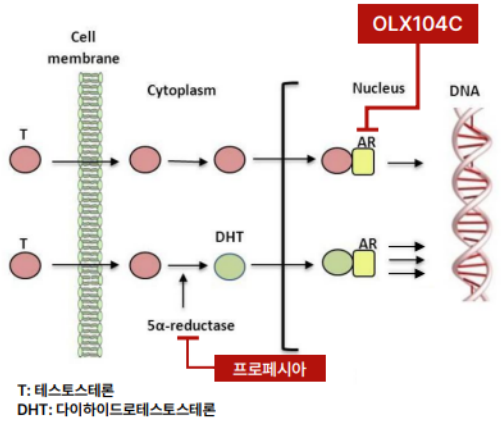
자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 45. MASH 치료제 경쟁 제품과의 비교



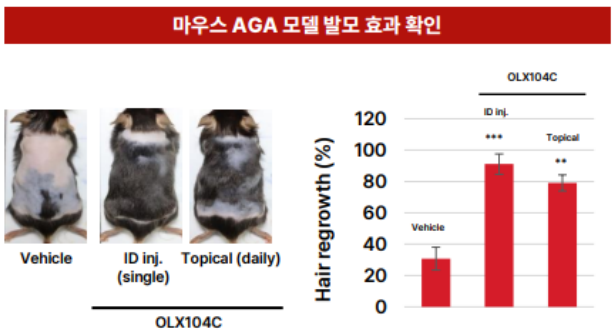
자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 46. 탈모치료제 OLX104C 기전



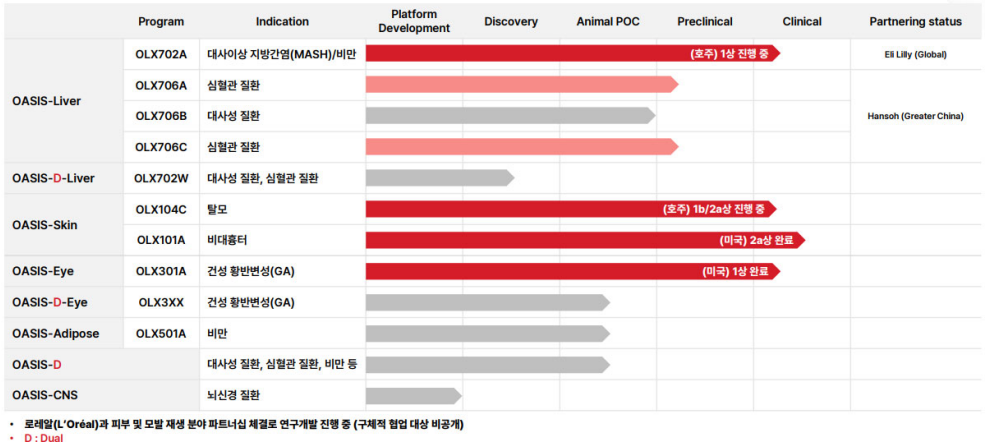
자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 47. 마우스 모델에서 발모 효과 확인



자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

그림 48. 올릭스의 주요 파이프라인



자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

올릭스 (226950)

예상 포괄손익계산서 (요약)

(십억원)	2022	2023	2024	2025
매출액	**9**	**16**	**6**	**15**
매출원가	**0**	**0**	**0**	**0**
매출총이익	**9**	**16**	**6**	**15**
판매비와관리비	**32**	**34**	**31**	**41**
조정영업이익	**-23**	**-18**	**-26**	**-27**
영업이익	**-23**	**-18**	**-26**	**-27**
비영업손익	**2**	**-1**	**-15**	**13**
금융손익	-1	-2	-4	-1
관계기업등 투자손익	0	-1	-1	0
세전계속사업손익	-21	-19	-41	-14
계속사업법인세비용	-1	1	0	2
계속사업이익	-20	-20	-41	-16
중단사업이익	0	0	0	0
당기순이익	**-20**	**-20**	**-41**	**-16**
지배주주	-20	-20	-41	-16
비지배주주	0	0	0	0
총포괄이익	**-15**	**-23**	**-50**	**-17**
지배주주	-15	-23	-50	-17
비지배주주	0	0	0	0
EBITDA	-22	-17	-25	-25
FCF	-30	-30	-36	-16
EBITDA 마진율 (%)	-244.4	-106.3	-416.7	-166.7
영업이익률 (%)	-255.6	-112.5	-433.3	-180.0
지배주주귀속 순이익률 (%)	-222.2	-125.0	-683.3	-106.7

예상 재무상태표 (요약)

(십억원)	2022	2023	2024	2025
유동자산	**62**	**27**	**12**	**135**
현금 및 현금성자산	3	8	3	6
매출채권 및 기타채권	0	5	1	5
재고자산	0	0	0	0
기타유동자산	59	14	8	124
비유동자산	**69**	**74**	**62**	**60**
관계기업투자등	16	16	8	8
유형자산	31	39	50	49
무형자산	2	2	2	2
자산총계	**131**	**101**	**74**	**196**
유동부채	**40**	**7**	**34**	**24**
매입채무 및 기타채무	3	4	7	7
단기금융부채	31	0	24	4
기타유동부채	6	3	3	13
비유동부채	**23**	**43**	**23**	**23**
장기금융부채	20	40	21	18
기타비유동부채	3	3	2	5
부채총계	**63**	**50**	**56**	**47**
지배주주지분	**68**	**51**	**17**	**149**
자본금	8	8	9	11
자본잉여금	151	157	175	323
이익잉여금	-101	-121	-166	-191
비지배주주지분	**0**	**0**	**0**	**0**
자본총계	**68**	**51**	**17**	**149**

예상 현금흐름표 (요약)

(십억원)	2022	2023	2024	2025
영업활동으로 인한 현금흐름	**-28**	**-22**	**-21**	**-15**
당기순이익	-20	-20	-41	-16
비현금수익비용가감	0	5	18	-5
유형자산감가상각비	1	1	1	1
무형자산상각비	0	0	0	0
기타	-1	4	17	-6
영업활동으로인한자산및부채의변동	-8	-7	2	9
매출채권 및 기타채권의 감소(증가)	0	-5	4	-5
재고자산 감소(증가)	0	0	0	0
매입채무 및 기타채무의 증가(감소)	0	1	3	0
법인세납부	0	-1	0	-1
투자활동으로 인한 현금흐름	**-53**	**32**	**-4**	**-107**
유형자산처분(취득)	-1	-8	-10	0
무형자산감소(증가)	0	0	0	-1
장단기금융자산의 감소(증가)	-38	43	10	-92
기타투자활동	-14	-3	-4	-14
재무활동으로 인한 현금흐름	**57**	**-5**	**20**	**125**
장단기금융부채의 증가(감소)	7	-11	-8	-10
자본의 증가(감소)	60	5	19	150
배당금의 지급	0	0	0	0
기타재무활동	-10	1	9	-15
현금의 증가	**-24**	**5**	**-5**	**3**
기초현금	28	3	8	3
기말현금	3	8	3	6

예상 주당가치 및 valuation (요약)

	2022	2023	2024	2025
P/E (x)	-15.7	-12.3	-8.1	-177.7
P/CF (x)	-16.0	-16.2	-14.3	-133.7
P/B (x)	5.0	4.9	20.4	20.9
EV/EBITDA (x)	-12.7	-15.3	-16.2	-110.1
EPS (원)	-1,292	-1,184	-2,389	-790
CFPS (원)	-1,272	-898	-1,348	-1,050
BPS (원)	4,043	2,998	945	6,705
DPS (원)	0	0	0	0
배당성향 (%)	0.0	0.0	0.0	0.0
배당수익률 (%)	0.0	0.0	0.0	0.0
매출액증가율 (%)	153.8	73.2	-65.5	158.3
EBITDA증가율 (%)	적지	적지	적지	적지
조정영업이익증가율 (%)	적지	적지	적지	적지
EPS증가율 (%)	적지	적지	적지	적지
매출채권 회전율 (회)	152.7	9.3	3.3	5.7
재고자산 회전율 (회)	-	-	37.7	97.3
매입채무 회전율 (회)	-	-	-	-
ROA (%)	-18.5	-17.2	-46.9	-11.9
ROE (%)	-45.2	-33.6	-120.5	-19.4
ROIC (%)	-82.5	-50.1	-53.6	-51.7
부채비율 (%)	93.6	99.2	324.0	31.7
유동비율 (%)	154.8	377.4	34.2	564.5
순차입금/자기자본 (%)	-7.4	43.1	247.6	-50.7
조정영업이익/금융비용 (x)	-8.0	-5.6	-5.8	-14.8

자료: 올릭스, 미래에셋증권 리서치센터

MIRAE ASSET 미래에셋증권

Equity Research
2026.5.28

Not Rated

Refinitiv 평균목표주가	USD 86.1
현재주가(26/5/27)	USD 78.99
상승여력	9.0%

나스닥 종합(p)	26,674.73
EPS 성장률(26F,%)	-
P/E(26F,x)	-
배당수익률(%)	0.0
시가총액(십억USD)	11.13
시가총액(조원)	16.78
상장주식수(백만주)	140.9
60일 평균 거래대금(백만USD)	136.01
52주 최저가(USD)	14.71
52주 최고가(USD)	79.69

(%)	1M	6M	12M
절대주가	7.3	36.9	413.9
상대주가	0.1	19.1	269.9

[글로벌 바이오텍]

서미화
mihwa.seo@miraeasset.com

ARWR US · 글로벌 바이오텍 · 미국

애로우헤드 파머슈티컬스

siRNA 치료제계의 다크호스

떠오르는 siRNA 치료제 기업

애로우헤드 파마슈티컬스는 1989년 설립되었다. 현재의 RNAi 플랫폼 중심 사업은 2011년 로슈의 RNAi 자산 인수 이후 본격화되었다. 자체 개발한 TRiM™ 플랫폼을 활용하여 질병을 유발하는 특정 단백질의 발현을 원천 차단하는 RNA 간섭(RNAi) 기반 신약을 개발 중이다.

기존 RNAi 치료제가 주로 간(Liver) 조직에만 국한되었던 한계를 넘어, 다양한 장기로 전달 가능 영역을 확장하고 있다. 애로우헤드는 글로벌 빅파마(Amgen, Takeda, GSK, J&J 등)와의 대규모 라이선스 계약을 통해 선급금 및 마일스톤을 수취하는 모델로 성장했다. 최근에는 핵심 파이프라인 Plozasiran을 독자적으로 상업화하여 바이오텍에서 자체 제약사로 진화하는 전략을 추진하고 있다.

확장하는 플랫폼 기술

애로우헤드는 siRNA 치료제의 기존 한계점으로 지적되었던 1) 짧은 지속성과 2) 간조직만 타깃이 가능했던 점, 3) 희귀질환에 국한된 적응증을 극복하고 있다.

상업화되었거나 임상 진행 중인 주요 물질들(Plozasiran, Zelasiran 등)은 분기별 1회(연 4회) 또는 반년에 1회(연 2회) 투여 주기를 목표로 하고 있다. 이는 매일 약을 챙겨 먹기 힘든 고혈압, 고지혈증 등 만성질환 환자들에게 강점이다.

기존 1세대 siRNA 치료제들은 주로 간(Liver) 조직에만 도달할 수 있었다. 간세포 표면에 GalNAc 리간드가 결합할 수 있는 수용체가 많았기 때문이다. 하지만 애로우헤드는 리간드를 자체 개발 및 변경함으로써 타깃 장기를 확장하고 있다. 애로우헤드는 천식 및 만성폐쇄성폐질환(COPD)을 타깃으로 하는 흡입형(Inhaled) RNAi 치료제(ARO-RAGE 등)의 임상에서 유의미한 유전자 억제 데이터를 확보했다. 최근에는 지방세포 및 신경계조직으로 전달 가능한 물질로 임상을 확장하고 있다.

애로우헤드는 플랫폼을 통해 다양한 조직으로 전달이 가능해지고 지속기간을 늘리는 것이 가능해지면서 비만, 신경계질환, 대사질환 등 시장규모가 큰 질환으로 임상을 확장하고 있다. 현재는 R&D에 대한 비용이 큰 상황이나, 시장 규모가 큰 질환에 대한 치료제 상업화를 통해 이익 개선이 가능할 것으로 보인다.

결산기 (09월)	2021	2022	2023	2024	2025
매출액 (USD 100mn)	1	2	2	0	8
영업이익 (USD 100mn)	-1	-2	-2	-6	1
영업이익률 (%)	-100.0	-100.0	-100.0	-	12.5
순이익 (USD 100mn)	-1	-2	-2	-6	0
EPS	-1.36	-1.67	-1.92	-5.00	-0.01
ROE (%)	-32.4	-43.6	-61.3	-262.5	-0.5
P/E (배)	-46.0	-19.8	-14.0	-3.9	-2,828.5
P/B (배)	15.9	8.8	10.6	13.0	9.0

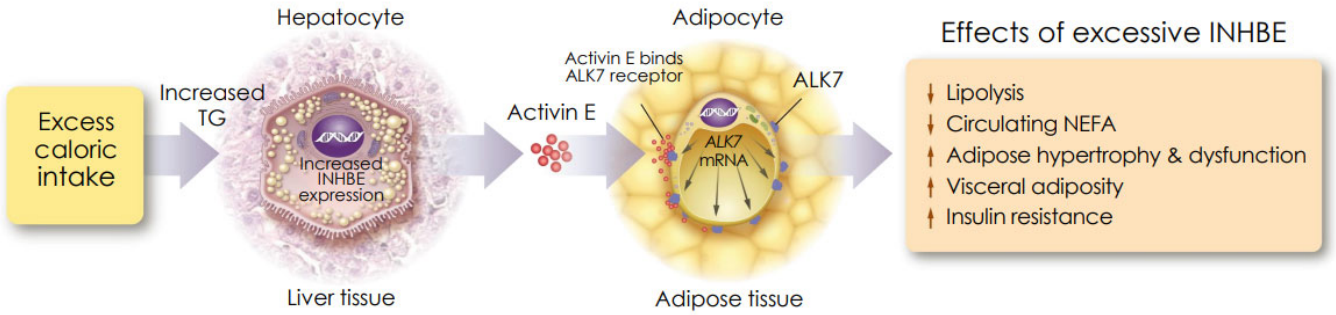
주: GAAP 기준, 순이익은 지배주주 귀속 순이익
자료: 애로우헤드 파머슈티컬스, 미래에셋증권 리서치센터

애로우헤드의 비만치료제 임상 현황

ARO-INHBE 임상은 BMI가 30 이상인 건강한 지원자를 대상으로 ARO-INHBE를 단독 요법으로 단회 또는 다회 증량 투여하는 방식으로 진행되었다. 또한, 비당뇨 및 비만 당뇨병 환자 코호트를 모집하여 각 코호트 시작 시점에 티르제파티드(tirzepatide)와 ARO-INHBE 병용 요법을 시행했다.

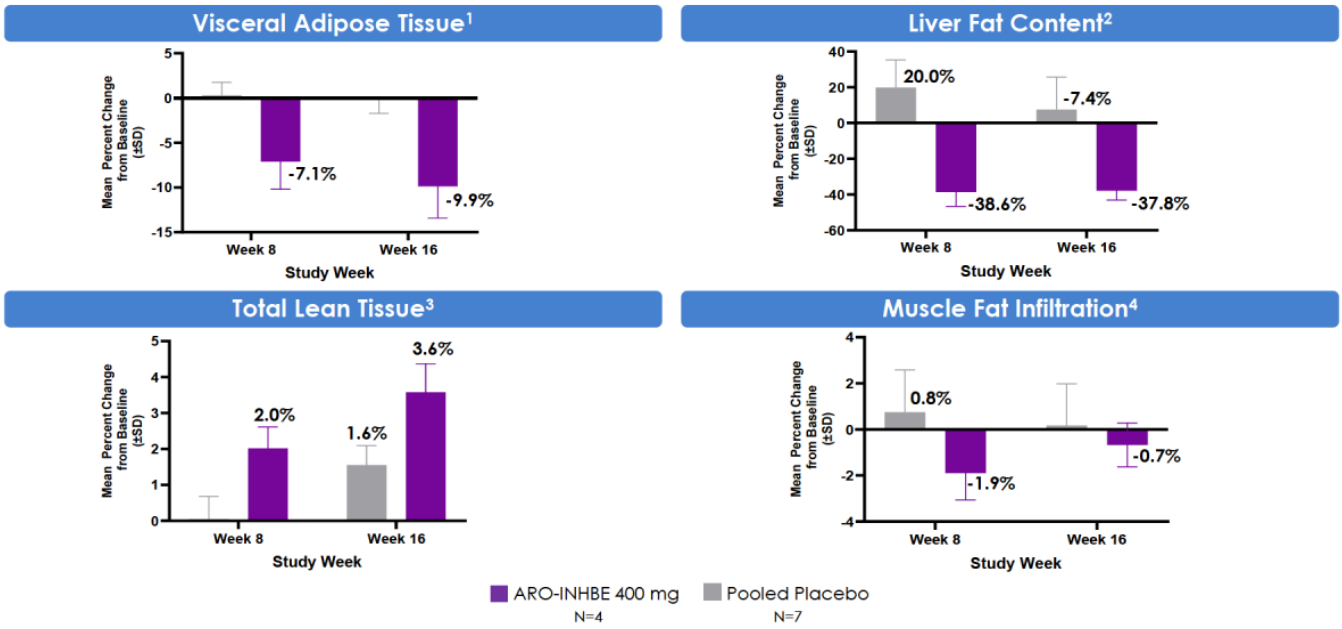
400 mg 용량에서 평균 최대 85%의 액티빈 E 감소 효과를 얻었으며, 단회 투여 후 3개월 이상 액티빈 E 억제 효과가 지속되었다. 구체적으로 내장 지방이 9.9% 감소하고, 간 지방이 37.8% 상대적으로 감소했으며, 제지방량이 3.6% 소폭 증가하고, 근육 지방 침윤이 감소했다. 본 연구에서는 ARO-INHBE를 반복 투여했을 때 내장 지방 감소 효과가 더욱 향상되었다.

그림 49. INHBE의 역할



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 50. ARO-INHB 투여 후 2, 4개월 후 개선 지표



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

당뇨병 환자의 비만은 아직 충족되지 않은 의료 수요가 있는 분야다. 비만 제2형 당뇨병 환자 코호트 그룹의 평균 기저 액티빈 E 수치가 약 661 pg/mL로 높다는 것은 특징적이다. 당뇨병 환자에서 나타나는 비정상적으로 높은 액티빈 E 수치는 기존 문헌에서도 보고된 바 있다. 생검에서 얻은 INHBE mRNA 발현량은 인슐린 저항성 수준과 강한 상관관계를 보인다.

또한 액티빈 E 수치는 체질량지수(BMI) 및 허리둘레와 같은 비만 지표와도 강한 상관관계를 보인다. 액티빈 E 수치는 비만 당뇨병 환자에서 더 높으며, 당뇨병 환자 집단에서 비만 지표와 가장 강한 상관관계를 보인다.

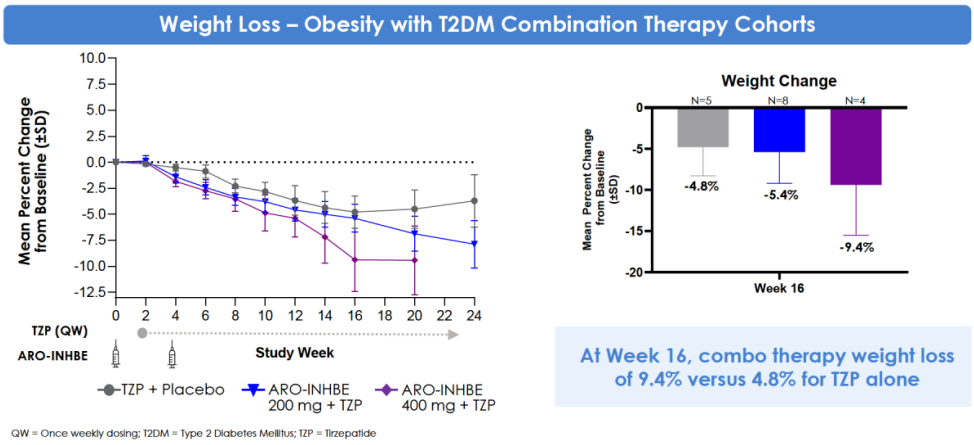
전임상 연구에서 INHBE siRNA와 티르제파티드를 병용 투여했을 때 비만 당뇨병 마우스에서 티르제파티드 단독 투여에 비해 상승적인 체중 감소 효과가 나타났다.

비만 당뇨병 환자를 대상으로 한 예비 데이터에 따르면, ARO-INHBE를 추가 투여했을 때 티르제파티드 단독 투여에 비해 체중 감소 효과가 향상되었으며, 16주 시점에서 고용량 병용 투여군의 평균 체중 감소율은 9.4%인 반면, 티르제파티드와 위약을 병용 투여한 군에서는 4.8%였다.

이 환자군에서 병용 요법은 12주 차 MRI에서 400 mg 용량 투여 시 내장 지방이 평균 23.2% 감소하고, 총 지방이 15.4% 감소하며, 간 지방이 최대 76.7% 상대적으로 감소하는 용량 반응 효과를 보였다. 이러한 감소 효과는 티르제파티드 단독 투여에 비해 약 3배 향상된 것이다.

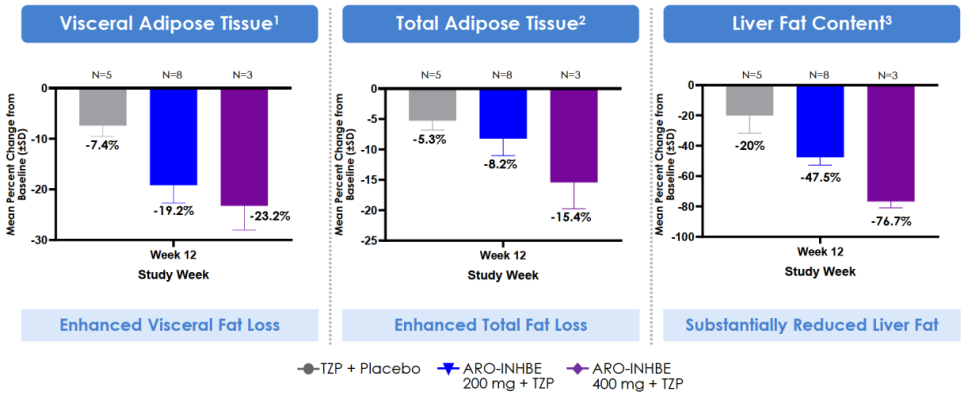
인슐린 저항성 또는 인슐린 분비 부족 상태에서는 액티빈 E 경로와 같은 다른 조절 인자가 지방 저장 조절에 더 중요한 역할을 할 수 있다. 액티빈 E를 억제하면 당뇨병 환자에서 지방 감소 효과가 향상될 수 있는데, 당뇨병 환자는 지방분해 조절 인자로서 액티빈 E에 더 의존할 가능성이 높기 때문이다.

그림 51. . INHBE siRNA와 티르제파티드를 병용 투여 시, 당뇨 마우스에서 체중 변화



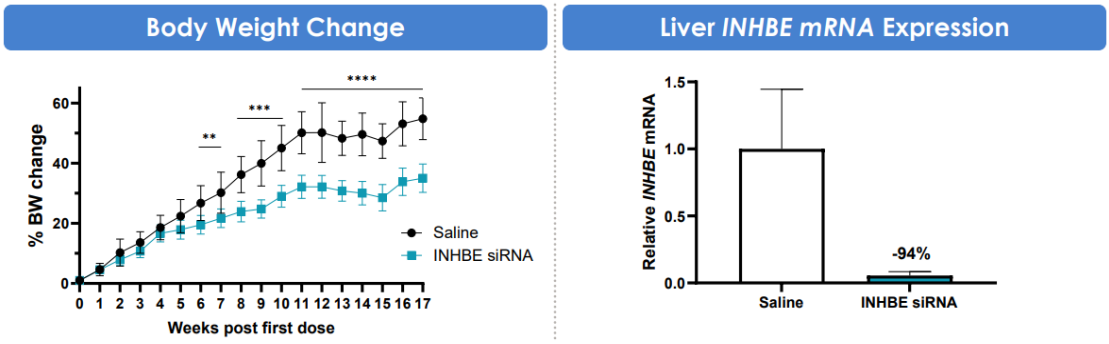
자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 52. 병용 요법의 12주 차 지방 감소율



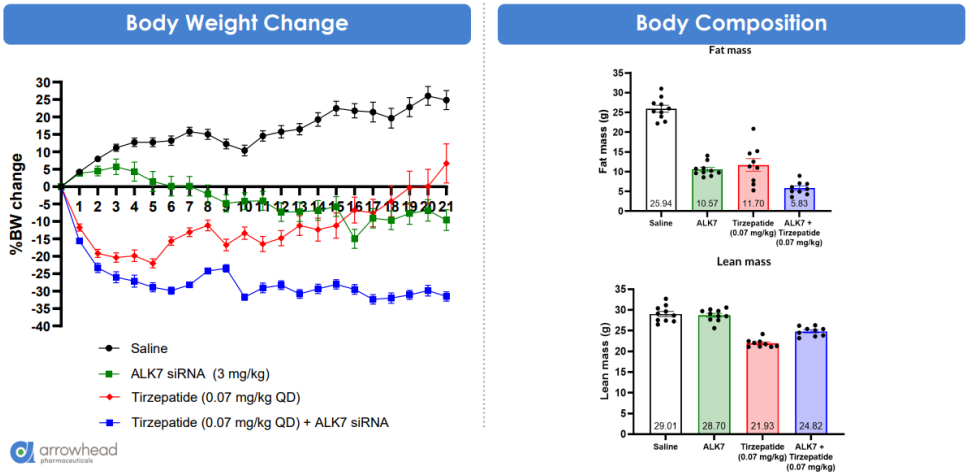
자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 53. INHBE 발현 억제는 고칼로리 식단 쥐의 몸무게를 감소시킴



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

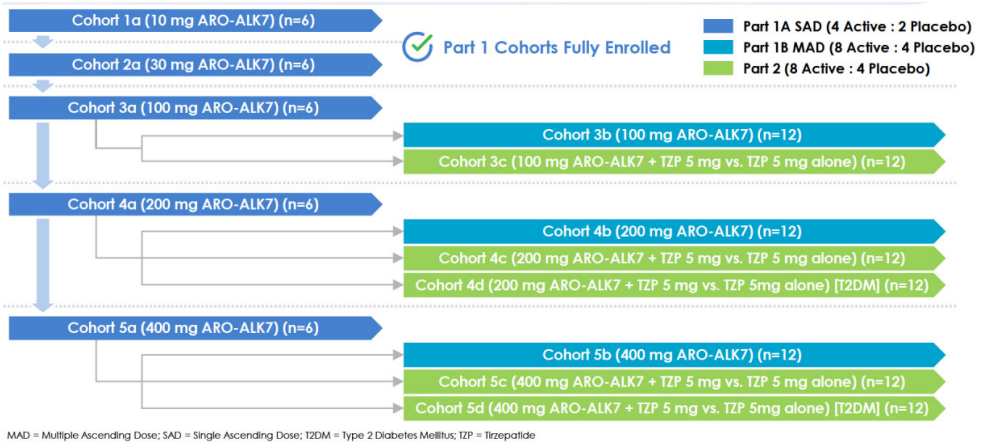
그림 54. ALK7 발현 억제는 고칼로리 식단 쥐의 몸무게 및 지방 감소



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

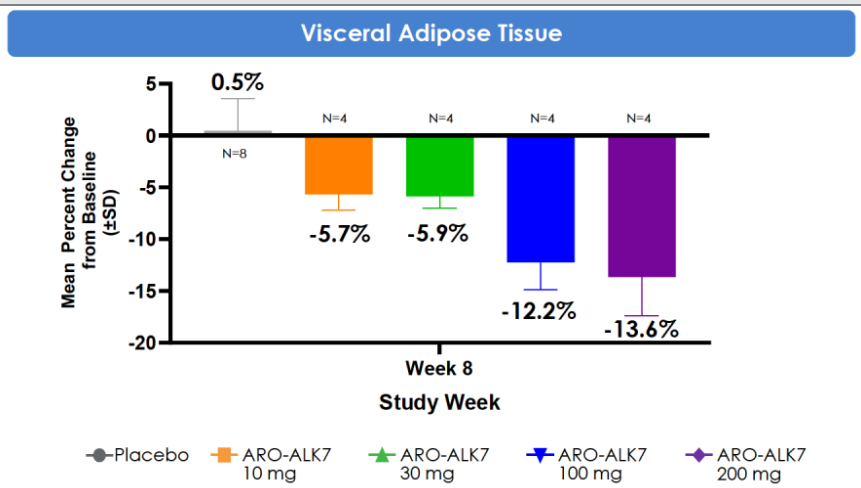
ALK7 경로가 활성화되면 지방분해가 억제된다. ARO-ALK7 임상의 경우 아직 단일 용량 ALK7 억제 데이터만 확보했다. TRiM™은 다양한 리간드를 사용하여 다양한 조직 타깃 가능하다. 지방세포를 표적으로 하는 플랫폼을 이용한 siRNA 매개 유전자 억제를 입증한 최초의 임상 시험 데이터다. 건강한 비만 환자 코호트는 등록이 완료되었으며, 병용 요법 코호트는 현재 등록 진행 중이다. 2026년 내 추가 데이터를 발표할 예정이다.

그림 55. ARO-ALK7 임상 1상 디자인



자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

그림 56. 8주차(약 2개월) 싱글도즈에서 13.6% 감소

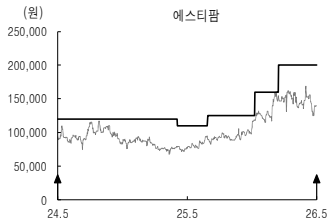


자료: 애로우헤드, 미래에셋증권 리서치센터

투자의견 및 목표주가 변동추이

제시일자	투자의견	목표주가(원)	괴리율(%)		제시일자	투자의견	목표주가(원)	괴리율(%)	
			평균주가대비	최고(최저)주가대비				평균주가대비	최고(최저)주가대비
에스티팜 (237690)					2025.07.25	매수	125,000	-23.31	-4.88
2026.02.10	매수	200,000	-	-	2025.04.30	매수	110,000	-26.65	-13.82
2025.12.05	매수	160,000	-17.12	0.38	2024.05.13	매수	120,000	-24.82	-2.50

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



투자의견 분류 및 적용기준

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

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

* 2025년 5월 12일 기준으로 투자의견 분류기준 변경(Trading Buy 의견 삭제)

* 향후 12개월 기준 절대수익률 10% 이상, 20% 미만의 주가상승이 예상되는 종목은 금융투자분석사 재량에 따라 '매수' 또는 '중립' 의견으로 제시함

투자의견 비율

매수(매수)	Trading Buy(매수)	중립(중립)	매도
80.84%	0%	18.56%	0.6%

* 2026년 03월 31일 기준으로 최근 1년간 금융투자상품에 대하여 공표한 최근일 투자등급의 비율

Compliance Notice

- 당사는 자료 작성일 현재 조사분석 대상법인과 관련하여 특별한 이해관계가 없음을 확인합니다.
- 당사는 본 자료를 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 본 자료를 작성한 애널리스트는 자료작성일 현재 조사분석 대상법인의 금융투자상품 및 권리를 보유하고 있지 않습니다.
- 본 자료는 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 애널리스트의 의견이 정확하게 반영되었음을 확인합니다.

본 조사분석자료는 당사의 리서치센터가 신뢰할 수 있는 자료 및 정보로부터 얻은 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으므로 투자자 자신의 판단과 책임하에 종목 선택이나 투자시기에 대한 최종 결정을 하시기 바랍니다. 따라서 본 조사분석자료는 어떠한 경우에도 고객의 증권투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다. 본 조사분석자료의 지적재산권은 당사에 있으므로 당사의 허락 없이 무단 복제 및 배포할 수 없습니다.