

KOSDAQ | 제약과생물공학

올릭스 (226950)

저평가된 siRNA 기업

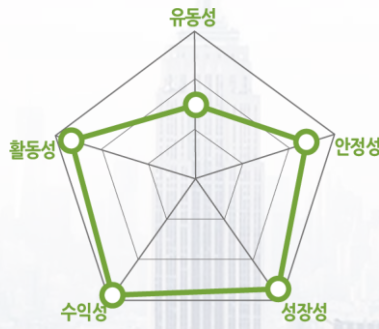
체크포인트

- 동사는 2010년에 설립, 2018년 코스닥 시장에 상장된 RNAi(RNA interference) 신약 개발 기업. 동사는 RNA간섭기술 중 siRNA(small interfering RNA)의 원천기술인 '자가전달 비대칭 siRNA(cp-siRNA)' 기술을 통해 난치성 질환에 대한 신약을 연구개발 중
- 동사는 자체개발 비대칭 RNA 간섭 플랫폼인 cp-siRNA와 간 질환 타겟 플랫폼 GaINAc-siRNA 플랫폼을 보유 중. 이 플랫폼을 활용해 다양한 후보물질을 개발 중인데 주요 후보물질로는 비대흉터 치료제(OLX101A), 황반변성 치료제(OLX301A), NASH(비알코올성지방간염)/비만치료제(OLX702A) 치료제가 있음
- 글로벌 경쟁업체들의 경우 가장 시가총액이 높은 앨라일람(35,2조원)을 비롯하여 아이오니스(8,3조원), 애로우헤드(4,1조원), 그리고 노보 노디스크에 인수된 다이서나(2021년 인수당시 시가총액 4조원)가 있음. 동사가 개발 중인 비대흉터 치료제, 황반변성 치료제, NASH 및 비만치료제들의 긍정적인 임상 결과 도출을 감안하면 동사의 시가총액 2,743억원(9/13 기준)은 저평가 되었다는 판단임

주가 및 주요이벤트

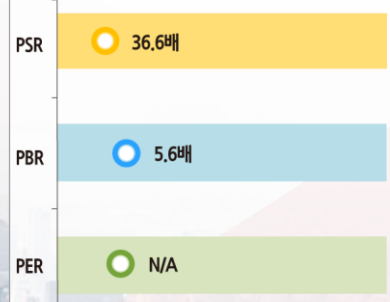


재무지표



주: 2022년 기준, Fnguide WICS 분류 상 건강관리산업 내 등급화

벨류에이션 지표



주: PSR, PER은 2022년 기준, PBR은 2Q23기준 Trailing, Fnguide WICS 분류 상 건강관리산업 내 순위 비교, 우측으로 갈수록 저평가

RNA 간섭 플랫폼 기술 보유

동사는 2010년에 설립, 2018년 코스닥 시장에 상장된 RNAi(RNA interference) 신약 개발 기업입니다. 동사가 보유한 RNA간섭기술은 제3세대 플랫폼 기술로 불리는 올리고 핵산치료제 중, 질병의 원인이 되는 유전자 발현 및 단백질 생성을 효율적으로 억제할 수 있는 기술을 뜻함. 특히 동사는 RNA간섭기술 중 siRNA의 원천기술인 ‘자가전달 비대칭 siRNA(cp-asiRNA)’ 기술을 통해 난치성 질환에 대한 신약을 연구개발 중.

자체개발 플랫폼을 통해 다양한 후보물질 개발 진행 중

동사는 자체개발 비대칭 RNA 간섭 플랫폼인 cp-siRNA와 간 질환 타겟 플랫폼 GalNAc-asiRNA 플랫폼을 보유 중. 이 플랫폼을 활용해 다양한 후보물질을 개발 중인데 주요 후보물질로는 비대칭 치료제(OLX101A), 황반변성 치료제(OLX301A), NASH(비알코올성 지방간염)/비만치료제(OLX702A) 치료제가 있음. 최근의 주가 상승은 OLX702A의 비만치료제로서의 가능성에 대한 기대감 때문으로 비임상 결과가 좋아 향후 임상 결과가 기대되는 후보물질임.

글로벌 경쟁사 대비 저평가된 기업가치

글로벌 경쟁업체들의 경우 가장 시가총액이 높은 엘라일람(35.2조원)을 비롯하여 아이오니스(8.3조원), 애로우헤드(4.1조원), 그리고 노보 노디스크에 인수된 다이서나(2021년 인수당시 시가총액 4조원)가 있음. 엘라일람과 아이오니스의 경우 siRNA 기전 선두주자로 이미 시판 중인 치료제를 보유하면서 시가총액이 크게 상승하였고 다이서나의 경우 GalXC RNAi 플랫폼 기술 보유로 4조원에 노보 노디스크에 인수, RNA 간섭 기술을 활용한 업체들의 기업가치는 매우 높은 상황. 동사가 개발 중인 비대칭 치료제, 황반변성 치료제, NASH 및 비만치료제들이 최근 긍정적인 임상 결과를 도출, 이를 감안하면 동사의 시가총액 2,743억원(9/13 기준)은 저평가 되었다는 판단임.

Forecast earnings & Valuation

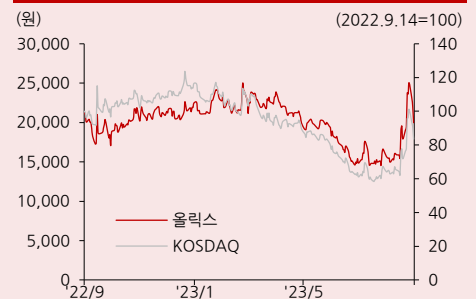
	2019	2020	2021	2022	2023F
매출액(억원)	11	25	37	93	135
YoY(%)	274.3	118.9	48.5	153.7	44.8
영업이익(억원)	-151	-162	-242	-224	-166
OP 마진(%)	-1,337.4	-656.4	-659.4	-240.1	-123.0
지배주주순이익(억원)	-144	-194	-297	-195	-155
EPS(원)	-1,102	-1,474	-2,171	-1,260	-922
YoY(%)	적지	적지	적지	적지	적지
PER(배)	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
PSR(배)	244.5	267.4	152.7	33.8	27.4
EV/EBIDA(배)	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
PBR(배)	6.6	15.0	30.3	5.2	7.4
ROE(%)	-29.7	-44.5	-93.1	-46.2	-26.6
배당수익률(%)	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0

자료: 한국IR협의회 기업리서치센터

Company Data

현재주가 (9/12)	22,050원
52주 최고가	25,050원
52주 최저가	14,540원
KOSDAQ (9/12)	898.04p
자본금	84억원
시가총액	3,028억원
액면가	500원
발행주식수	16백만주
일평균 거래량 (60일)	23만주
일평균 거래액 (60일)	47억원
외국인지분율	4.21%
주요주주	이동기 외 14인 29.90% 미래에셋자산운용 외 1인 5.98%

Price & Relative Performance



Stock Data

주가수익률(%)	1개월	6개월	12개월
절대주가	34.0	-7.5	2.3
상대주가	36.2	-18.8	-11.4

▶ 참고 1) 표지 재무지표에서 안정성 지표는 ‘부채비율’, 성장성 지표는 ‘매출액 증가율’, 수익성 지표는 ‘ROE’, 활동성 지표는 ‘순운전자본회전율’, 유동성 지표는 ‘유동비율’임.
2) 표지 밸류에이션 지표 차트는 해당 산업군내 동사의 상대적 밸류에이션 수준을 표시. 우측으로 갈수록 밸류에이션 매력도 높음.



기업 개요

1 RNA간섭 플랫폼 기술 보유 기업

RNA간섭 플랫폼 기술 기반으로
신약을 개발하고 있는 기업

동사는 2010년에 설립, 2018년 코스닥 시장에 상장된 RNAi(RNA interference) 신약 개발 기업이다. 동사가 보유한 RNA간섭기술은 제3세대 플랫폼 기술로 불리는 올리고 핵산치료제 중, 질병의 원인이 되는 유전자 발현 및 단백질 생성을 효율적으로 억제할 수 있는 기술을 뜻한다. 특히 동사는 RNA간섭기술 중 siRNA의 원천기술인 '자가전달 비대칭 siRNA(cp-asiRNA)' 기술을 통해 난치성 질환에 대한 신약을 연구 개발하고 있다.

GalNAc-asiRNA 기술을 통해
국소투여 치료제 이외에도
다양한 간질환 치료제로까지
확장

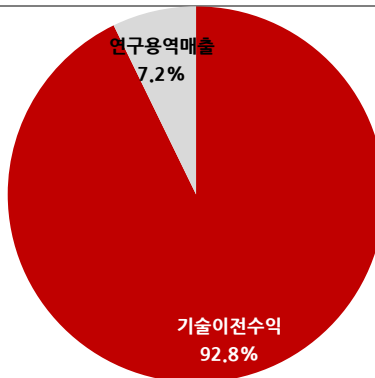
동사는 2020년 전신투여로 치료 물질을 간 조직까지 전달할 수 있는 GalNAc-asiRNA 기술을 확보하며 RNAi 신약 개발의 파이프라인을 넓혀갔다. 특히 2021년 중국의 한소제약(Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co, Ltd)에 GalNAc-asiRNA 기술 기반으로 심혈관 질환 치료제 개발을 위한 라이선스 계약을 체결하는 등 글로벌 기업과 적극적으로 협업하고 있다.

동사의 기업개요

회사명	주식회사 올릭스
대표이사	이동기
설립연도	2010년 2월
임직원수	105명
사업영역	RNA 간섭 플랫폼 기술업
자본금	83억원(2023년 2분기 기준)

자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

동사의 매출비중



자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

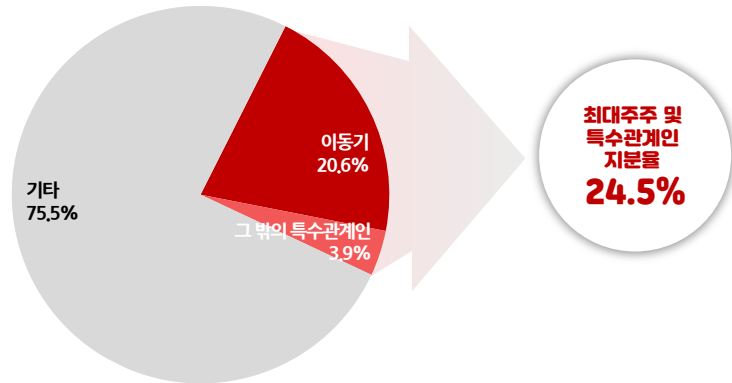
주: 2023년 2분기 누적 기준

동사의 연혁



자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

동사의 주주구성



자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터
주: 2023년 2분기 기준

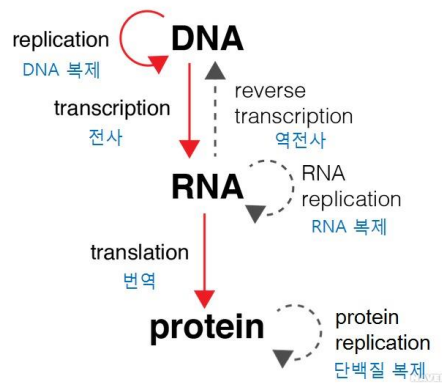
산업 현황

1 유전정보의 흐름경로 Central Dogma(중심원리)

DNA로부터 RNA 그리고 단백질 합성까지 이어지는 유전정보의 흐름경로를 Central Dogma(중심원리)라 함

1953년 DNA는 RNA 분자의 주형 기능을 하고, RNA는 세포질로 이동하여 그곳에서 단백질 내의 아미노산 배열을 결정한다는 가설이 세워졌다. 이후 1956년 영국의 분자생물학자 Francis Crick은 이러한 유전정보의 흐름 경로를 'Central Dogma(중심원리)'라고 명명했다.

유전정보의 흐름경로 Central Dogma



자료: 언론보도, 한국IR협의회 기업리서치센터

위의 그림을 살펴보면 실선 화살표 방향은 유전 정보의 흐름을 나타낸다. DNA를 둘러싸는 등근 형태의 화살표는 DNA가 자가복제를 할 수 있다는 것을 나타낸다. DNA 주형에 의해 RNA의 합성(transcription)이 지시되고 단백질의 합성(translation)은 전사과정을 거쳐 형성된 RNA 주형에 의해 지시된다.

DNA에서 전사과정을 통해 mRNA로, mRNA에서 번역과정을 통해 단백질 합성이 이루어짐. 이 과정을 간섭하는게 RNA 치료제의 원리임

여기서 중요한 핵심 요소는 화살표가 한 방향으로만 진행된다는 것이다. RNA서열은 절대 단백질 주형에 의해 결정되지 않고 DNA도 RNA 주형에 의해 만들어지지 않는다는 가설이 DNA의 이중나선 구조를 밝힌 Francis Crick에 의해 세워졌었는데 이것이 중심원리다. 중심원리는 기본적으로 유전정보가 핵산에 담겨있으며 이 정보는 핵산(DNA)에서 핵산(RNA)으로 혹은 핵산에서 단백질로 전달이 가능하지만 단백질에서 단백질로, 혹은 단백질에서 핵산으로 전달하는 것은 불가능하다는 방향의 한계를 말한다. 하지만 이 개념은 다소 모호해서 1970년 네이처 저널을 통해 개정이 되었고 현재는 Francis Crick이 제안한 중심원리를 1) '일반적 정보전달의 흐름'으로 정의하고 그 외의 예외적인 현상들은 2) '특수한 정보전달의 흐름'으로 구분한다.

'일반적 정보전달의 흐름'이란 모든 생명체의 세포에서 공통적으로 발견되는 보편적인 현상이다. 생물체 내에서 유전정보에 관여되는 세가지 고분자는 DNA, RNA, 그리고 단백질이다. 앞장에서 서술한 바와 같이 DNA에서 DNA로(복제, replication), DNA에서 RNA로(전사, transcription), 그리고 RNA에서 단백질로(번역, translation) 가는 세가지 정보전달이 Central Dogma의 일반적 정보전달의 흐름이다. 즉, DNA 분자는

유전정보의 보존과 증식에 사용되고, RNA 분자는 유전정보의 일시적 운반체로 사용되며, 단백질은 유전정보의 최종 산물로서 세포 내에서 다양한 생리활동의 직접적인 활성을 가지는 효소로 작용한다는 의미이다.

RNA 치료제 중 RNA 간섭 치료제가 선두주자

DNA는 두가닥의 염기서열로 이루어져 있어 안정적, RNA는 한가닥으로 이루어져 있어 다양한 형태로 만들 수 있음

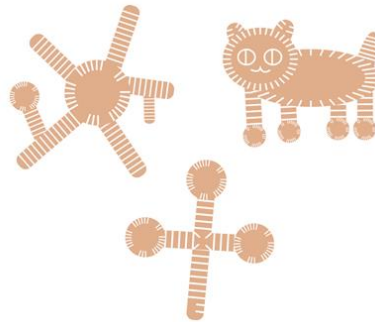
RNA는 DNA와 마찬가지로 인산, 5탄당, 염기의 결합으로 구성된 뉴클레오타이드가 연결된 폴리머를 이루고 있다. 하지만 DNA가 두 가닥 사슬을 형성하는 반면 RNA는 한 가닥 사슬로 이루어져 있다. 두 가닥 사슬로 인해 DNA는 안정적인 구조를 유지할 수 있으나 RNA는 1개의 분자 속에서 여러가지 형태를 취할 수 있다. 예를 들어 RNA 어딘가에 AGGCC라는 염기배열이 있고 또 다른 어딘가에 GGGCC라는 염기배열이 있으면 둘은 짝을 이룰 수 있기 때문에 그 부분만 두 가닥 사슬이 될 수 있다. 따라서 염기 배열을 바꾸기만 하면 원하는 대로 모양을 만들 수 있는데 이러한 특성 때문에 단순히 복제 분자로서만이 아니라 다양한 역할을 할 수 있어 최근에는 DNA보다 RNA에 대한 연구가 더 많이 이루어지고 있다.

DNA와 RNA의 차이점

	분자구조	5탄당	염기	기능
DNA	2중나선	디옥시리보오스	A, T, G, C	유전정보를 다음 세대에 전달
RNA	단일사슬	리보오스	A, U, G, C	단백질 합성에 관여함

자료: 언론 보도, 한국R협회의 기업리서치센터

한 사슬로 이루어진 RNA가 취할 수 있는 다양한 모형



자료: 만화로 쉽게 배우는 분자생물학, 한국R협회의 기업리서치센터

RNA의 기능으로는 크게 5가지가 있다. 1) 유전적인 정보를 전달해주는 메신저 역할을 하는 mRNA, 2) 단백질 합성 시 mRNA에 저장된 유전정보와 상응하는 아미노산을 전달해주는 tRNA, 3) 단백질을 합성하는 리보솜에 존재하는 rRNA, 4) 유전자 발현의 정도를 조절하는 miRNA, 5) mRNA의 번역에 관여하는 siRNA 나 splicing 과정에 관여하는 snRNA 등이 있다. 이중 RNA치료제에서 응용하는 유전자 발현 조절 관여 RNA는 miRNA (microRNA)와 siRNA (small interfering RNA)가 있다.

RNA의 종류

구분	RNA 명	기능
mRNA	messenger RNA	중심원리에서 번역과정으로 나타난 주형. 진행생물에서 mRNA는 줄기-고리 구조 같은 모양인데 이것은 번역의 효율과 mRNA의 수명을 조절해줌.
tRNA	transfer RNA	tRNA에는 아미노산이 끝에 달려있는데 20개의 아미노산들 각각에 대해 적어도 한가지의 tRNA가 존재. mRNA 주형이 지시하는 순서, 즉 mRNA에 상보적인 tRNA가 peptide bond로 붙게됨. 결합을 형성하게 되면 활성화된 아미노산들을 리보솜으로 운반하여 결합할 수 있도록 도움.
rRNA	ribosomal RNA	리보솜의 소단위체와 대단위체를 구성하는 주요 성분. 한때는 rRNA가 리보솜의 구조만 담당하는 줄 알았으나 실제로 단백질 합성을 하는 촉매로 작용하는 기능도 있다는게 밝혀짐.
snRNA	small nuclear RNA	snRNA의 대표적인 기능은 RNA exon을 이어 맞추는 것임(splicing) snRNA의 단위체들은 U1, U2, U4 이렇게 나뉘는데, 이 단위체들이 모인 복합체가 snRNA의 역할을 함.
miRNA	micro RNA	상보적인 mRNA 분자에 결합하여 번역을 방해하거나 억제하여 RNA의 발현을 조절하는 혹은 암호화가 되지 않은 작은 RNA 부류를 일컫음.
siRNA	small interfering RNA	mRNA에 결합하여 특정 부위의 분해를 수월하게 하는 작은 RNA 분자. 과학계에서 miRNA와 siRNA는 세포 안에서 특정 유전자들의 발현을 억제, 조절할 수 있는 강력한 실험도구로 이용됨.

자료: 언론 보도, 한국IR협회의 기업리서치센터

RNA 치료제에는 크게 4가지 종류가 존재

RNA 치료제에는 크게 4가지 종류가 있다. RNA 간섭기능을 이용한 siRNA, 뉴클리오타이드 단일가닥으로 RNA 간섭을 하는 RNA ASO, mRNA를 활용하여 치료 단백질에 대한 항원을 표현하는데 사용하는 mRNA 치료제 등이 있다. 그 중에서도 가장 널리 사용되고 있는 RNA 치료제는 RNA 간섭인 siRNA 치료제이다.

RNA 치료제의 종류

종류	내용
siRNA (RNA 간섭)	<ul style="list-style-type: none"> 15~30개의 뉴클리오타이드로 이루어졌으며 두가닥의 RNA 형태로 이루어짐. 안티센스와 달리 두줄로된 구조이며 같은 유전자 서열을 갖는 mRNA에 RISC(RNA-induced silencing complex) 효소 복합체를 통해 mRNA를 분해, 단백질 발현을 불가하게 함. 음전하 형태로 세포막 투과가 어려워 지질이나 폴리머로 지용성을 높이는 전달체가 있어야 함. 앨라임의 '온파트로'가 2018년 8월에 유전성 트랜스티레틴 아밀로이드증이라는 희귀질환 치료제로 미국 FDA에 처음 승인됨.
RNA ASO	<ul style="list-style-type: none"> 15~21개의 뉴클리오타이드로 이루어진 DNA 형태. 똑같은 유전자 서열을 갖는 mRNA에 결합하여 RNase H 효소를 통해 분해, 결합상태로 번역과정이 일어나지 않게 하여 단백질 생성을 억제함. Ionis의 '스핀라자'는 RNA ASO기반 기술을 활용하여 FDA 승인을 받은 최초의 척수성 근위축증 치료제임.
mRNA	<ul style="list-style-type: none"> DNA의 정보를 단백질로 전달되는 과정에서 아미노산으로 표현될 때 역할을 담당하는 mRNA를 활용하여 다양한 희귀유전, 대사 및 신경 질환에 대한 백신 또는 치료 단백질에 대한 항원을 표현하는 데 사용 중.
RNA Aptamer	<ul style="list-style-type: none"> Aptamer는 특정 표적 분자를 결합할 수 있는 짧은 단일가닥 RNA로 RNA의 서열정보가 아니라 3차원 구조를 이용한 RNA 치료제임. 작은 크기, 높은 안정성, 유연한 구조, 쉽고 빠른 제조, 낮은 면역원성 등과 같은 장점이 있음.

자료: 생명공학정책연구센터, 한국IR협회의 기업리서치센터

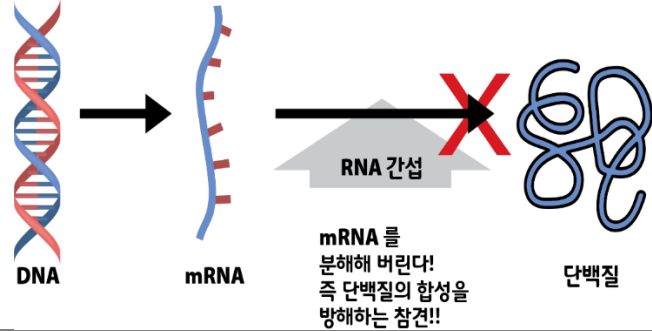
RNA 간섭은 mRNA를 분해하여 단백질 합성을 방해함

RNA 간섭 (RNA interference, RNAi)이란 아주 짧은 RNA가 유전정보를 복제한 mRNA에 대하여 참견, 즉 mRNA를 분해하는 현상이다. 이렇게 되면 단백질을 생성할 수 없다. mRNA를 분해함으로써 그 유전자의 발현을 억제하고, 따라서 우리 몸이 균형을 유지하고 있는 것이다.

이러한 작용은 초기에는 바이러스에 대한 단순 방어 메커니즘으로 생각되었으나 최근에는 이렇게 참견하는 짧은 RNA가 세포 속에서 많이 활동하고 있는 것이 알려졌다. 이에 따라 RNA 간섭 현상은 바이러스와 같은 기생 유전자로부터 세포를 보호하는 기능과 동시에 일반적인 유전자의 발현을 조절하는 기능도 담당한다.

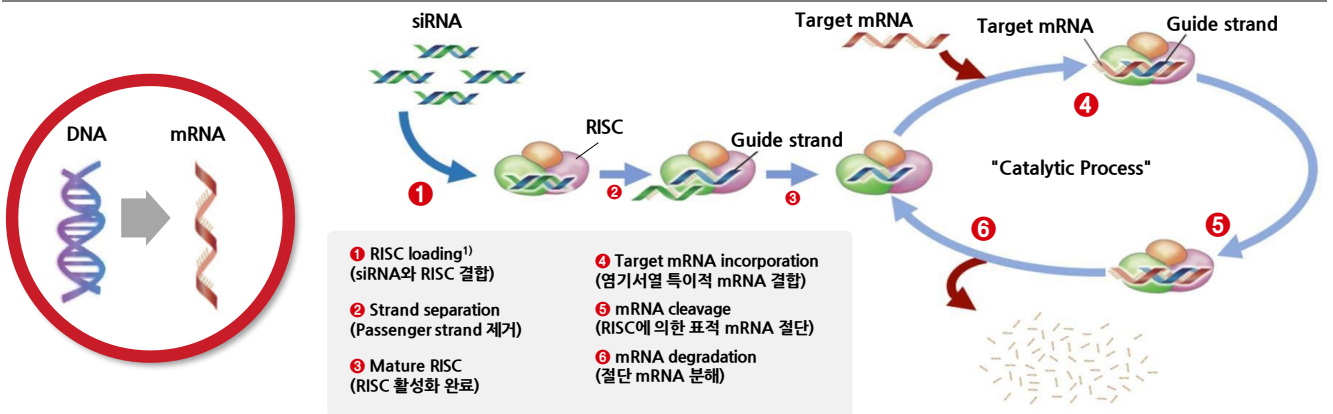
따라서 RNA 간섭 현상을 이용해 질병을 일으킬 만한 단백질이 만들어지지 않도록 사전에 차단하여 치료제를 개발할 수 있다. 그리고 이러한 치료제는 저분자화합물, 항체 등을 활용해 이미 형성된 단백질이나 세포밖의 단백질만 표적이 가능한 기존 치료제와는 근본적으로 작용방식이 다르다.

RNA 간섭의 원리



자료: 만화로 쉽게 배우는 분자생물학, 한국IR협의회 기업리서치센터

RNA 간섭기술은 유전자 발현을 억제한다



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

siRNA 치료제의 기전은 인위적으로 siRNA 가닥을 만들고 RISC라는 효소와 결합하게 되면 타겟 mRNA로 guide strand가 붙게 되어 타겟 mRNA를 효소가 분해함

이러한 RNA 간섭 기전이 알려지면서 누구나 유전자 염기 서열을 이용하여 siRNA를 디자인할 수 있게 되었고 매우 높은 효율로 원하는 단백질의 생성을 억제시킬 수 있게 되었다. 즉, 질병과 관련된 특정 단백질의 생성을 억제하기 위한 치료제의 개발은 RNA 간섭현상을 이용하는 것이다. 우선 해당 단백질이 생성되기 전 단계인 mRNA와 상보적인 배열을 갖는 이중가닥의 siRNA를 인공적으로 합성한다. 그리고 이것을 세포내로 전달하면 RISC가 이중가닥 중 대상 mRNA의 염기서열과 상보적인 배열을 갖는 하나의 가닥과 결합하여 대상 mRNA를 절단하도록 하는 방법이다.

RNA를 이용한 치료제로는 siRNA와 같은 RNA간섭기반 기술뿐만 아니라 올리고 핵산 치료제 기술인 안티센스 올리고 핵산 (antisense oligonucleotide, ASO) 기술이 있다. 이들 각각의 치료제는 세포 내 도입 시 표적하는 mRNA에 상보적인 결합을 하거나 mRNA를 절단하여 질병 단백질 생성을 억제함으로써 치료효과를 나타낸다는 부분에서 서로 공통점이 있다.

그러나 기존 안티센스 치료제에 비해 siRNA 치료제가 mRNA 절단 효율성 및 단백질 합성 억제 효율 측면에서 월등히 우수하다고 알려져 있다. 그 이유는 siRNA는 RISC와 결합하여 효소와 같이 작용하는데 이렇게 결합된 siRNA는 1개당 다수의 mRNA를 절단할 수 있기 때문이다. 또한 siRNA는 표적 단백질의 mRNA 염기 서열을 바탕으로 디자인되기 때문에 유전 정보를 바탕으로 한 약물 설계가 가능하다. 따라서 최근에는 siRNA 치료제가 부각되고 있는 상황이다.

현재 개발 중인 주요 RNA 간섭 치료제 현황

기업명	후보물질	개발단계	적응증
Alynlam (미국)	Patisiran (ONPATTRO)	시판	유전성 트랜스티레틴 아밀로이드 다발신경병증
	Givosiran (GIMLAARI)	시판	급성 간성 포르피린증
	Lujmasiran (OXLUMO)	시판	제 1 형 원발성 고옥살산노증
	Inclisiran (Leqvio)	시판	고콜레스테롤혈증
	Vutrisiran (AMVUTTRA)	시판	유전성 트랜스티레틴 아밀로이드 다발신경병증
	Fitusiran	임상 후 단계	혈우병
	Cemdisiran (+/- pozelimab)	임상 2-3 상	보체 매개성 질환
Arrowhead (미국)	ALN-HBV02	임상 2상	B형 간염
	ARO-APOC3	임상 3 상	고중성지질혈증
	Olpasiran	임상 3 상	심혈관계 질환
	Fazirsiran (ARO-AAT)	임상 3 상	알파 1-간질환
	JNJ-3989	임상 3 상	B형 간염
Dicerna(미국) (Novo Nordisk)	ARO-ANG3	임상 3상	이상지질혈증
	Nedosiran	임상 3 상	원발성 고산소노증
	RG6346	임상 2 상	B형 간염
Silence(미국)	Belcesiran (DCR-A1AT)	임상 2상	알코올성 지방간질환
	Zerlasiran (SLN360)	임상 2 상	심혈관계 질환
Sylentis(스페인)	Tivanisiran	임상 3 상	안구건조증
	SYL1801	임상 2상	황반병성
ArButus (미국)	AB-729 Combo trial	임상 2 상	B형 간염
Simaomics(홍콩)	STP705	임상 2 상	흉터치료

자료: 올릭스, 한국R협의회 기업리서치센터

주: Dicerna는 2021년 12월 Novo Nordisk에 인수됨

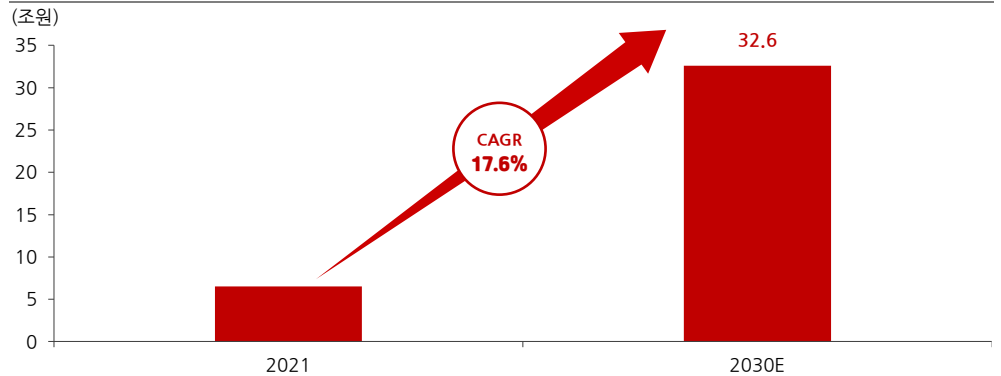
3 글로벌 RNA치료제 시장성장률은 연평균 17.6% 전망

RNA 치료제 시장규모는
2021년 6.5조원에서
2030년에는 32.6조원까지
증가할 전망

RNA 치료제는 현재 시장성장 초기 단계에 있으며 산업자료에 따르면 시장규모는 2021년 6.5조원에서 2030년 32.6조원으로 연평균 17.6%의 성장세를 보일 것으로 예상되고 있다. RNA 치료제는 2016년 처음으로 신약승인을 받은 스피라자 (척수성 근위축증, 아이오니스)가 상업화에 성공하면서 향후 시장 성장성을 높게 평가받게 되었고, 이후 RNA 치료제에 대한 연구가 더욱 늘어났다.

특히 COVID-19 이후 mRNA 백신 기술의 혁신성이 부각되면서 시장 성장성은 더욱 증가할 전망이다. mRNA 백신은 짧은 개발 기간과 신속한 허가로 범용적인 mRNA 의약품 개발과 대량생산이 가능하다는 장점이 있다. 현재까지는 화이자와 모더나의 두 제품밖에 없으나 다양한 파이프라인이 연구 중, 이에 따라 2021년 시장규모 60조원에서 2026년에는 126조원까지 커질 것으로 전망되고 있다.

RNA 치료제는 연평균 17.6% 성장세가 예상



자료: 에스티팜, Research & Market, 한국IR협의회 기업리서치센터

현재 시판중인 RNA 치료제로는
Spinraza, Exondys51,
Onpatro, Leqvio가 있음

현재 시판중인 주요 RNA 치료제로는 Spinraza, Exondys51, Onpatro, Leqvio가 있다. 초창기에 허가를 받은 대부분의 RNA 간섭 치료제는 희귀질환에 국한되어 있었다. 그러나 RNA 전달기술이 발달되면서 만성 질환으로도 의약품이 출시되고 있는데 그 첫번째가 Leqvio(성분명 inclisiran)로 2021년 고지혈증 적응증으로 출시가 되었다. 희귀질환 치료제는 많은 양을 필요로 하지 않지만 만성질환은 지속적인 투여가 필요, 따라서 RNA 치료제 시장의 성장성은 무궁무진 하다는 판단이다.

현재 시판 중인 주요 RNA 간섭 치료제

제품명	Spiraza (Nusinersen)	Exondys 51 (Eteplirsen)	Onpatro (Patisiran)	Leqvio (Inclisiran)
개발사	Ionis	Sarepta	Alnylam	
작용기전	Antisense (ASO)		siRNA	
FDA 승인	2016	2016	2018	2021
적응증	척수성 근위축증(SMA)	DMD 근위축증	hATTR 아밀로이드증	고지혈증
임상 Dose	12mg/4months	1~2g/week	0.3mg/kg/3weeks	284mg/6months
투약경로	척수 주사	정맥 주사	정맥주사	피하주사
1년 약가	375,000-750,000 USD	300,000USD	450,000+USD	6,500USD
비고	2012년 Biogen 에 L/O (2억7천만\$ 기술료) 2021년 매출: 19억\$	효능이 부족하나 환자들의 요구에 의해 FDA가 시판 승인 2021년 매출: 4.5억\$	최초의 siRNA 치료제 2021년 매출: 4.7억\$	최초의 범용적 치료제 거대 품목 예상

자료: 올릭스, 각사, 한국IR협의회 기업리서치센터

전체 RNA 치료제 출시 현황

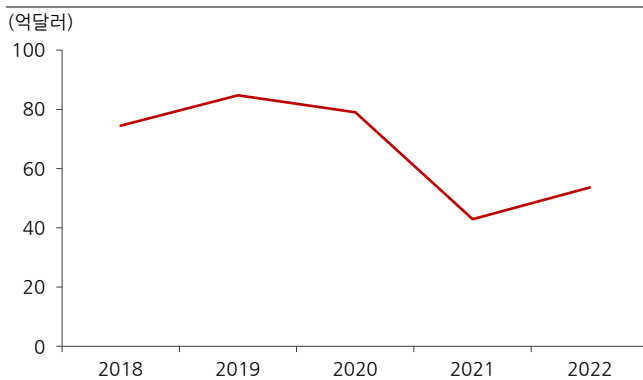
후보물질	RNA 기전 종류	기업명	적응증	시판 현황
Nusinersen (Spinraza)	ASO	Ionis	척수성 근위축증	FDA 허가완료(2016)
Eteplirsen (Exondys 51)	ASO	Sarepta	듀센 근이영양증	FDA 허가완료(2016)
Inotersen (Tegsedi)	ASO	Ionis	가족성 아밀로이드성 다발신경병증	FDA 허가완료(2018)
Volanesorsen (Waylivra)	ASO	Ionis	가족성 킬로미크론혈증	FDA 허가완료(2019)
Patisiran (Onpattro)	siRNA	Alnylam	다발성 신경병증	FDA 허가완료(2018)
Givosiran	siRNA	Alnylam	급성 간성 포르피린증	FDA 허가완료(2019)
Pegaptanib (Macugen)	RNA aptamer	Bausch+Lomb	황반변성	FDA 허가완료(2014)
BNT162b2	mRNA vaccine	Pfizer-BioNTech	코로나 19 바이러스	FDA, EMA 긴급 사용 허가(2020)
mRNA-1273	mRNA vaccine	Moderna	코로나 19 바이러스	FDA, EMA 긴급 사용 허가(2020)
Lumasiran	siRNA	Alnylam	일차성 과옥살산노증	FDA 허가완료(2020)
Leqvio(Inclisiran)	siRNA	Alnylam	고지혈증	FDA 허가완료(2021)

자료: 한국바이오협회, 한국R협의회 기업리서치센터

글로벌 RNA 간섭 치료제
선두주주로서는 아이오니스와
엘라일람이 있어

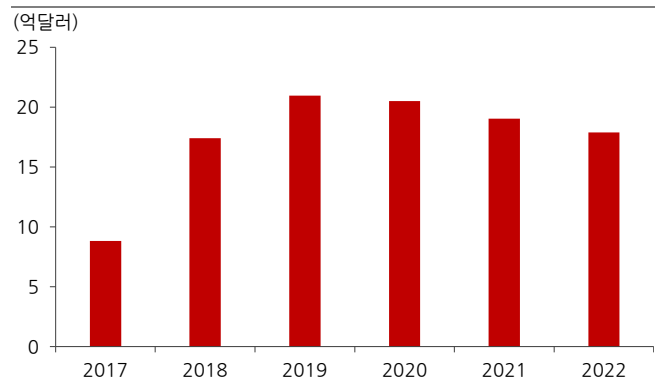
글로벌 RNA 치료제 업체의 선두주자로는 아이오니스사와 엘라일람사 두 군데를 들 수 있다. 우선 아이오니스에서 RNA 치료제로 가장 처음 출시한 스피라자는 단일 가닥 핵산 물질을 이용하는 ASO(antisense oligonucleotide) 기반 기술로 개발되었다. 엔도솜 지질 이중층 장벽을 통과하는 능력이 없는 이중나선 siRNA와는 달리 ASO는 엔도솜 지질 이중층을 통과해 세포질과 핵으로 빠져나가는 능력이 있다. 이러한 장점으로 간과 중추신경계(CNS)를 표적으로 많은 ASO 임상이 진행되고 있다. 스피라자의 경우 출시 이후 다음해인 2017년에 884백만 달러의 매출을 달성하면서 기존 추정치를 9배 수준으로 크게 상회하는 매출 호조세를 보였다. 하지만 단일 가닥 핵산물질을 이용하는 ASO의 특성 중 하나가 부작용이 있다는 점으로 인해 2022년 2월에 화이자로 라이선스 아웃 되어 개발중이던 아이오니스의 심혈관 치료제 ‘부파노르센(Vupanorsen)’의 임상개발이 중단되었다.

Ionis 시가총액



자료: 아이오니스, 한국R협의회 기업리서치센터

스핀라자 매출액 추이



자료: 아이오니스, 한국R협의회 기업리서치센터

**엘라일람은 siRNA 분야의
선도기업으로 가장 많은
치료제를 출시하였음**

엘라일람은 siRNA 분야의 선도기업으로 2002년에 설립되었다. siRNA 치료제로 FDA 승인을 최초로 받았는데 2018년 8월 온파트로를 처음으로 승인, RNA 치료제로서는 두번째로 승인 받았다.

온파트로는 유전성 트랜스티레틴 매개성(hATTR) 아밀로이드증 성인 환자의 다발신경병증에 대한 치료제로 승인되었다. 이는 희귀질환으로 미국과 유럽에서 3~5만명의 환자가 존재한다. 하지만 최근에 적응증 확장으로 긍정적인 임상3상 결과를 발표한 심근병증 유형 환자는 25만명 수준이다. 이 적응증으로 화이자의 Vyndamax가 2021년 연간 20억달러 이상의 매출을 기록한 만큼 적응증 확대로 향후 시장성이 더욱 커질 전망이다.

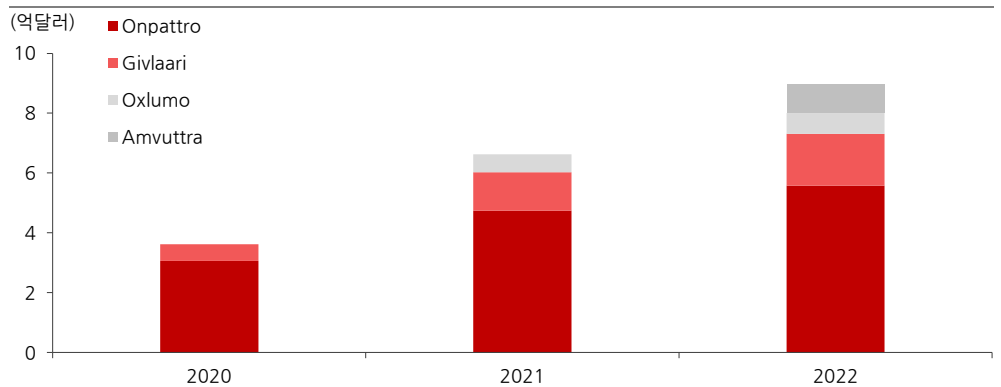
siRNA 치료제는 ASO와는 달리 전달인자가 필요하다. 따라서 엘라일람은 siRNA가닥의 말단에 지질나노입자 (LNP:lipid nanoparticle)와 GalNAc 기술을 도입하여 전달체로 사용하고 있다.

LNP는 표적 조직으로 전달하기 위해 siRNA를 캡슐화하는 화학적으로 합성된 다성분 지질 제형(~100nm 크기)이다. LNP에 캡슐화된 siRNA는 효소에 의한 분해로부터 보호되어 표적세포까지 안전하게 도달할 수 있다. 온파트로는 LNP를 전달체로 활용하며 COVID-19 mRNA 백신 또한 LNP 기술이 활용되고 있다.

GalNAc은 간세포에서 풍부하게 발현되는 세포 표면 단백질인 ASGPR을 인식하고 결합할 수 있는 당 분자이다. siRNA에 GalNAc을 접합시켜 siRNA 전달의 효율성을 높여줄수 있는데 엘라일람의 Givlaari, Oxlumo, Leqvio는 GalNAc 전달기술을 활용하였다.

엘라일람이 출시한 제품 중 가장 기대가 큰 제품은 렉비오이다. 렉비오는 기존 siRNA 치료제들이 희귀질환에 국한되었다면 최초로 만성질환 적응증으로 허가된 제품이다. 1년에 2번 투여로 LDL-C를 절반으로 낮출 수 있다. 렉비오는 2026년 매출액 21억달러(약 2조4,938억원) 달성 예상으로 블록버스터급 의약품이 될 전망이다.

엘라일람의 제품별 매출 추이



자료: 엘라일람, 한국IR협의회 기업리서치센터

앨라일람의 주요 R&D 파이프라인

후보물질	적응증	임상단계	판권 현황
Patisiran	유전성 트랜스티레틴 아밀로이드 다발신경병증	시판	글로벌
Givosiran	급성 간성 포르피린증	시판	글로벌
Lumasiran	원발성 과옥살산뇨증	시판	글로벌
Vutrisiran	유전성 트랜스티레틴 아밀로이드 다발신경병증	시판	마일스톤 및 최대 20%의 로열티
Inclisiran	고콜레스테롤혈증	시판	글로벌
Patisiran	트랜스티레틴 아밀로이드 심근병증	임상 후 단계	글로벌
Vutrisiran	트랜스티레틴 아밀로이드 심근병증	임상 후 단계	글로벌
Vutrisiran	스타가르트병	임상 후 단계	글로벌
Fitusiran	혈우병	임상 후 단계	15~30% 로열티
Lumasiran	요로결석	비임상	글로벌
Cemdisiran	보체 매개성 질환	임상 후 단계	50-50 마일스톤/로열티
Belcesiran	알파 1-간질환	비임상	임상 3 단계 후 논의
ALN-HBV02	B형 간염	비임상	50-50 (임상 2 단계 후 추후 논의)
Zilebesiran	고혈압	비임상	글로벌
ALN-HSD	비알코올성 지방 간염	비임상	50-50
ALN-APP	알츠하이머	비임상	50-50
ALN-XDH	통풍	비임상	글로벌

자료: 앨라일람, 한국IR협의회 기업리서치센터

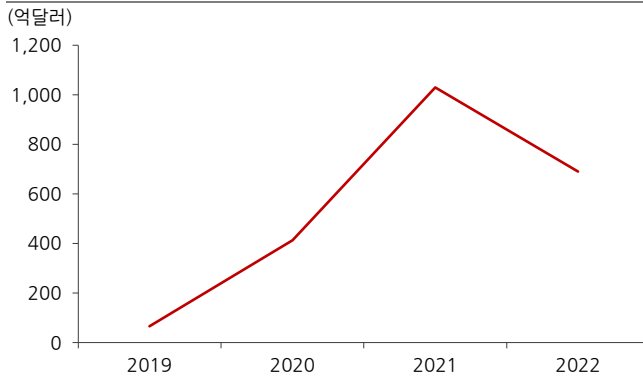
**모더나는 mRNA 치료제 업체로
최근 COVID-19으로 인해
mRNA 백신 개발 선두주자**

모더나는 2010년에 설립된 mRNA 기업으로 하버드 의대 교수이자 mRNA 구조 연구에 평생을 바친 Derrick J. Rossi가 창업한 벤처회사이다. 2013년에 아스트라제네카와 심혈관과 대사질환 치료를 위한 mRNA 치료법을 개발하기 위해 독점 계약을 체결하였다. 또한 2014년에는 알렉시온과 크리글러-나자르 증후군 치료제, 2015년에는 머크와 mRNA를 이용한 항바이러스 백신 및 수동면역 치료제를 공동개발하기로 계약을 맺었다. 그 이후 COVID-19 이 발생하면서 신속한 COVID-19 mRNA 백신 개발에 성공하면서 크게 주목을 받고 있다.

2020년 12월 COVID-19의 임상3상 결과 94.1%의 예방효능을 입증하며 미국 FDA와 유럽 EMA로부터 긴급사용승인을 득했다. 이는 화이자/바이오엔텍의 95%와 비슷한 수준이나 콜드체인 조건이 영하 70도가 요구되는 화이자 백신보다 모더나의 백신은 영하 20도로 보다 안정적인 것으로 알려져 2021년에만 전세계적으로 1억명 이상이 접종하였다.

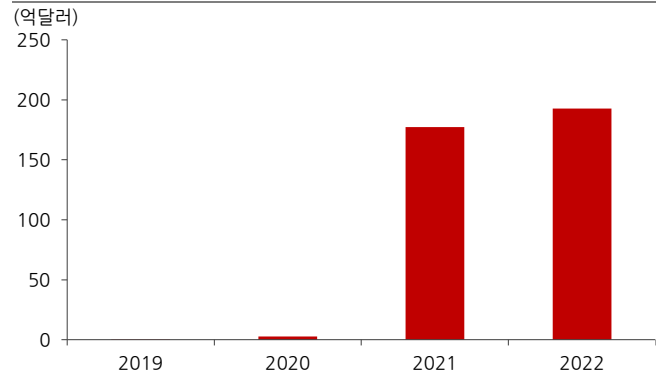
현재 모더나는 COVID-19 백신 이외에도 후보물질을 개발하기 위해 46개의 연구 프로그램을 진행 중이며 백신 개발에 있어 호흡기 바이러스, 잠복 바이러스, 말라리아, 지카 등 WHO가 지정한 위험한 바이러스 예방 백신에 개발을 집중하고 있다. 또한 백신 뿐만 아니라 다양한 질환으로 mRNA 기술을 확대하여 치료제 개발에 박차를 가할 것으로 예상된다.

모더나 시가총액



자료: 로이터, 한국IR협의회 기업리서치센터

모더나 매출액 추이



자료: 로이터, 한국IR협의회 기업리서치센터

RNA 치료제는 초기단계에서
기술수출이 활발히 이루어지고
있어 주목해야 함

무궁무진한 가능성을 바탕으로 RNA치료제는 임상 초기단계에서도 활발한 기술수출이 이루어지고 있다. 특히 기존 신약개발 기술로는 개발이 쉽지 않았던 난치성 질환에 대해 First-in-class 신약으로 개발될 수 있는 가능성이 높는데 최근에는 락비오와 같이 만성질환쪽으로도 기술수출도 이루어지고 있다. 이에 따라 RNA 치료제 분야에서 지난 10년간 2천억원 이상 규모의 기술수출이 총 18건 이상 발생했고 1조원 규모의 메가딜도 15건이 발생할 정도로, RNA치료제는 이제 새로운 패러다임의 혁신 치료제로 자리매김하고 있다.

RNA 치료제 주요 Deal 현황

개발사	협력제약사	연도	계약규모	Type	당시 진행상태
lonis	AstraZeneca	2021	>3.5B(4.6조원)	ATTR	임상 3상
	Pfizer	2019	>3.5B(4.6조원)	제2형 당뇨 등	임상 2상
	Biogen	2018	>3.5B(4.6조원)	뇌신경 질환	전임상
Alnylam	Regeneron	2019	>1B(1.3조원)	안구, 신경계 간 관련 질환	전임상
	Sanofi	2018	>1B(1.3조원)	혈우병 등 출혈질환	임상 3상
	Vir	2017	>1B(1.3조원)	만성 B형간염, COVID19 등 감염병	임상 2상
Arrowhead	GSK	2021	>1.03B(1.4조원)	NASH	임상 1/2상
	Horizon	2021	>0.7B(9,274억원)	통풍	전임상
	Takeda	2020	>1B(1.3조원)	간 관련질환	임상 2상
	Janssen	2018	>3.7B(4.9조원)	ARO-HBV 및 신규타겟	임상 1상
Dicerna	Novo Nordisk	2021	>3.3B(4.4조원)	M&A	
	Roche	2019	>1.7B(2.3조원)	B형간염	임상 1상
	Novo Nordisk	2019	0.36B/target(4,769억원)	간질환 및 대사질환	전임상
	Eli Lilly	2018	0.35B/target(4,637억원)	심혈관대사질환, 신경변성 등 10개	전임상
	Alexion	2018	>0.64B(8,479억원)	보체매개성질환	전임상
The Medicines Company	Novartis	2020	>9.7B(12.8조원)	M&A	
Silence	Hansoh	2021	1.3B(1.7조원)	비공개 표적 3개	
	Takeda	2020	비공개	비공개	
	AstraZeneca	2020	>4.2B(5.6조원)	심혈관, 신장, 대사, 호흡기 질환	탐색

자료: 올릭스, 올리패스, 한국IR협의회 기업리서치센터

투자포인트

동사는 자체개발 siRNA 플랫폼을 통해 다양한 R&D 파이프라인 구축

1 자체개발 cp-siRNA 및 GalNAc-asiRNA 플랫폼 보유

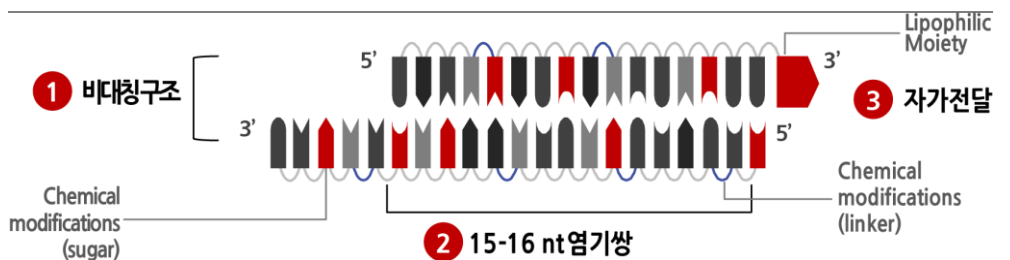
동사는 자체개발 siRNA 플랫폼을 보유, 이 플랫폼을 통해 다양한 R&D 파이프라인을 구축하고 있다. RNA 간섭기술의 한계점은 siRNA 자체가 음전하를 띠고 있어 세포막 투과가 어렵다는 점이다. 또한 원치 않은 유전자인 오프타겟 유전자를 억제하는 부작용, 정상적인 세포 내 활동을 방해하는 부작용 등이 발생한다. 동사는 이러한 부작용을 막기 위해 자체적으로 개발한 Olix 비대칭 siRNA(asiRNA, asymmetric siRNA)가 주요 플랫폼이며 이에 대한 특허 등록을 하였다.

기존 RNA 간섭 기술의 한계점



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

동사의 자체개발 자가전달 비대칭 siRNA 플랫폼(cp-asiRNA)

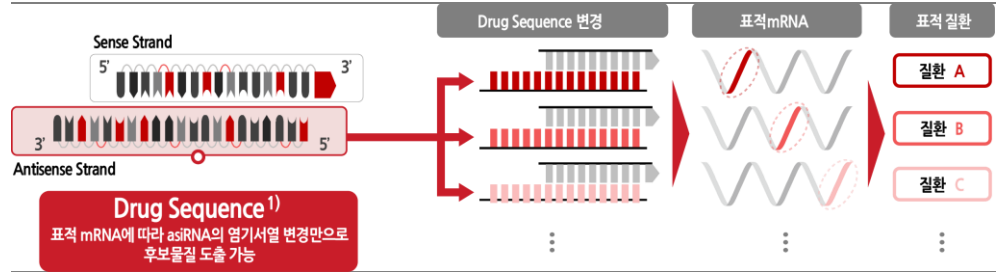


자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

이러한 동사의 비대칭 asiRNA 플랫폼은 신속한 후보물질 선정 및 이론적으로 모든 유전자에 대해 높은 효율로 발현억제가 가능하다. 최종 후보물질 도출 시간까지 약 3개월이 소요되는데 이는 기존 1,2 세대 신약 개발 기술 대비 획기적으로 단축된 기간이다. 그리고 기존 1,2 세대 기술로 접근 불가능한 표적 공략이 가능하여 다수의 파이프라인을 단기간에 그리고 저비용으로 확보가 가능하다는 장점이 있다. 이에 따라 파이

프라이드의 조기 기술이전이 가능하다.

올릭스 asiRNA 플랫폼의 확장성



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

동사는 cp-siRNA 플랫폼을 통해 다양한 임상 파이프라인을 보유하고 있는데 그 중에서 가장 기대되는 파이프라인은 OLX101A(비대흉터)와 OLX301A(황반변성) 치료제이다.

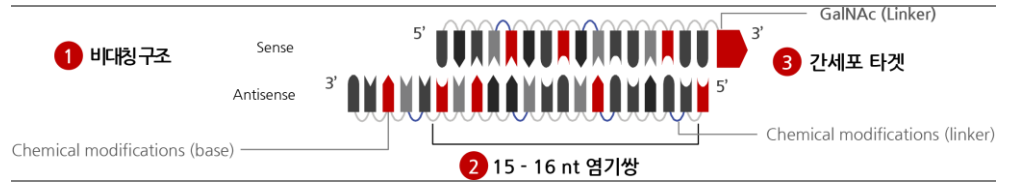
동사의 다양한 R&D 파이프라인 현황

프로그램	적응증	Platform Development	Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical	기술이전 공동개발
OLX101A	비대흉터					(미국) Phase 2	
OLX301A	건성 및 습성 황반변성					(미국) Phase 1	Théa (전 세계: 아시아태평양 지역 제외)
OLX104C	탈모					(호주) Phase 1	
OLX702A	비알코올성지방간염(NASH)						
OLX703A	B형 간염(HBV)						
OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성						Théa (전 세계: 아시아태평양 지역 제외)
OLX706A	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
OLX706B	대사성 질환						한소제약 (Greater China)
OLX304C	망막색소변성증						
OLX801A	면역항암제						
OLX702X	비만						
OLX706C	심혈관 질환						한소제약 (Greater China)
OLX201A	특발성 폐섬유화						
OLX401A/B	신경병성통증						
OLX402	뇌 질환						

자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

또한 2020년 초 동사의 비대칭 siRNA 기술에 간 표적 리간드인 GalNAc을 도입한 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술 확립을 완료하였다. 이 플랫폼은 기존 동사의 siRNA 플랫폼인 cp-asiRNA가 국소 투여 치료제에 만 개발이 가능하다는 점을 보완, 체내 대사가 일어나는 간을 타겟하는 링커인 GalNAc을 동사의 asiRNA 가닥에 연결한 것이다. 따라서 이 플랫폼은 간세포 특이적이며 단회 피하투여로 효력기간이 50일에 달해 길게 유지된다는 장점이 있다.

동사의 GalNAc-asiRNA 플랫폼



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

현재 GalNAc-asiRNA 플랫폼을 이용하여 다양한 간질환 파이프라인을 보유하고 있다. 그 중에서도 가장 주목받고 있는 후보물질은 OLX702A(NASH/비만) 치료제이다.

간질환 파이프라인 현황

적응증	프로그램	Stage of the Program			
		Discovery	Animal POC	Preclinical	Clinical
비알코올성지방간염 (NASH)	OLX702A	[Red bar spanning Discovery, Animal POC, and Preclinical stages]			
	OLX702F	[Pink bar spanning Discovery and Animal POC stages]			
	OLX702L	[Pink bar spanning Discovery and Animal POC stages]			
	OLX702M	[Grey bar in Discovery stage]			
비만	OLX702X	[Grey bar in Discovery stage]			
B형 간염(HBV)	OLX703A	[Red bar spanning Discovery, Animal POC, and Preclinical stages]			
심혈관 질환	OLX706A	[Pink bar spanning Discovery and Animal POC stages]			
	OLX706C	[Grey bar in Discovery stage]			
대사성 질환	OLX706B	[Pink bar spanning Discovery and Animal POC stages]			

자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

동사의 비대흉터 치료제는 현재 미국 임상2상 완료

2 비대흉터 치료제 OLX101A와 황반변성 치료제 OLX301A에 주목

동사의 후보물질 중 비대흉터 치료제인 OLX101A는 미국 임상2상 완료, 지난 4월에 중간결과를 발표하였는데 1차 유효성을 달성하였다. 미국 FDA에서 9개월 추적관찰을 하여 2023년 말에 최종결과가 나올 예정이다. 현재 라이선스 아웃을 위해 파트너사들과 미팅을 진행 중, 긍정적인 데이터를 확보하였기 때문에 라이선스 아웃은 가능하다는 판단이다.

비대흉터 치료제는 제왕절개, 성형수술 혹은 외상 이후 발생한 비대흉터 환자를 대상으로 표적 유전자인 CTGF를 타겟하는 siRNA를 피내주사하여 섬유화를 억제, 흉터를 줄이는 치료제다. 미국 임상2상 중간결과에서 흉터 재건술로부터 24주 시점에서 연구자의 흉터를 비교한 결과 줄어든 모습을 확인하며 유효성을 입증하였다.

비대흉터 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황	대상 환자
CTGF	피내주사	미국 2상 임상 중간 결과 수령	제왕절개/성형수술, 외상 이후 발생한 비대흉터 환자

주: Connective Tissue Growth Factor: 결합조직 생성인자, 연결 조직 성장 인자로 섬유화 촉진의 주요 인자
 자료: 올릭스, 한국R협의회 기업리서치센터

비대흉터 치료제 임상2상 중간결과

1차 평가지표	흉터 재건술로부터 24주 시점에 연구자의 POSAS overall opinion score를 이용하여 비대흉터의 재발정도를 비교 1) 시험군 Baseline 평균 POSAS Score: 5.1 점 투약 24주 후 POSAS Score: 3.3 점 → 평균 1.8 점 감소
임상 결과	통계적 분석: 시험군의 Baseline 대비 평균 POSAS Score 감소는 통계적으로 유의함 (p=0.017) 2) 대조군의 Baseline 대비 평균 POSAS Score 감소는 통계적으로 유의하지 않음

자료: 올릭스, 한국R협의회 기업리서치센터

비대흉터 치료제 이외에 주목해야 할 치료제는 황반변성 치료제(OLX301A)이다. 황반변성 치료제는 현재 미국 임상1상을 진행 중, 안구에 직접, 단회투여 5개 코호트(Cohort)를 올해 안으로 끝내고 내년에는 다회 투여를 진행하는 것을 목표로 하고 있다.

이 치료제는 2019년 프랑스 안과 전문기업인 떼아(Thea)로 총 807억원에 기술수출이 되었다. 이후 2020년 마일스톤이 최대 9,139억원 규모로 확장 체결되어 향후 긍정적인 임상결과 도출 시 더 많은 마일스톤 획득이 가능하게 되어 기대가 된다. 떼아로의 기술이전은 아시아태평양 지역 이외의 관권만 기술수출되어 향후 아시아태평양 지역의 추가 라이선스 아웃도 가능한 상황이다.

황반변성 치료제 개요

표적 유전자	투여방법	진행상황
Undisclosed	안구 내 주사	미국 1상 임상 진행 중

주: 적응증: 건성 및 습성 노인성 황반변성 (AMD): Anti-VEGF 치료와 함께 단일 요법 및 복합 요법으로 개발
 자료: 올릭스, 한국R협의회 기업리서치센터

2020년 기술이전 확장 계약 개요(Thea Pharma)

프로그램	세부내용
OLX301A	기존 기술이전 계약 범위 확대 (기존 유럽, 중동, 아프리카에 미주 지역 추가 → 아시아태평양 지역 제외 전 세계)
OLX301D	전 세계 범위 기술이전 계약(아시아태평양 지역 제외)
안과질환 프로그램 (2개)	본계약과 동일 조건의 기술이전 계약 권리 부여

자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

최대 계약규모: EUR 668,000,000(약 9,500억원)

선금금 (OLX301A/D)	EUR 10,600,000(약 150 억원) → 2019 년 EUR 2,000,000(약 29 억원) 포함
마일스톤(OLX301A/D)	EUR 323,300,000(약 4,617 억원)
옵션 계약금	EUR 200,000(약 2.9 억원)
옵션 계약 규모	EUR 333,900,000(약 4,771 억원)
로열티	순 매출액의 5% 또는 10% 비율
대상지역	전 세계 (아시아태평양 지역 제외)

자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

3 NASH(비알코올성지방간염) 치료제의 비만치료제로서의 가능성 확인

동사의 비만치료제

파이프라인이 가장 기대되고

있음

동사의 GalNac 플랫폼은 미국의 AM케미칼로부터 도입한 플랫폼을 동사의 asiRNA 가닥에 접합하여 완성된 간 타겟 플랫폼이다. 이 플랫폼은 2021년 10월 12일에 중국의 한소제약사로 마일스톤 약 5,300억원 규모로 기술수출 되었다.

GalNac-asiRNA 플랫폼 기술이전 개요

계약회사	한소제약 (Jiangsu Hansoh Pharmaceuticals Group Co, Ltd)
계약대상	심혈관 및 대사질환 치료제 후보물질
계약내용	<ul style="list-style-type: none"> 주계약: 올릭스의 GalNac-asiRNA 플랫폼 기술을 이용해 한소제약이 제시한 타겟에 대한 2종의 신약 후보물질을 제공 옵션계약: 올릭스가 주계약의 첫번째 후보물질 도출을 완료한 때부터 90일 전까지 한소제약은 올릭스의 GalNac-asiRNA 기반 기술을 이용한 최대 2종의 추가 후보물질에 대해 옵션 행사 가능

자료: 올릭스, 한국IR협회의 기업리서치센터

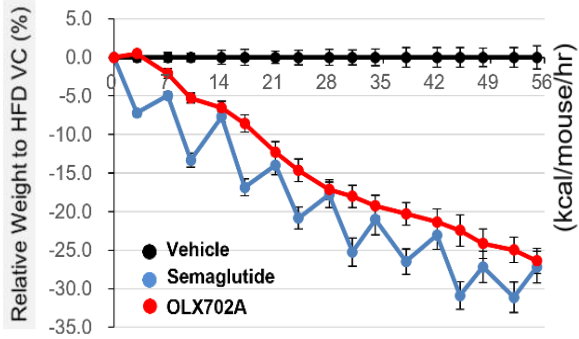
현재 GalNac 플랫폼을 통해 개발되고 있는 치료제 중에서 가장 앞서 있는 후보물질은 NASH(비알코올성 지방간염) 치료제(OLX702A)이다. 현재 전임상 막바지 진행 중, OLX702A를 2달 동안 원숭이에게 투여 후 지방이 최대 40% 줄어든 결과를 도출하였으며 긍정적인 전임상 결과를 바탕으로 연내에 호주 임상 신청에 들어갈 예정이다.

이 전임상 결과를 바탕으로 동사는 비만치료제를 동시에 개발 중, OLX702A를 마우스에게 투여했더니 2달 동안 26%의 체중감소 효과를 나타내었다. 이는 현재 안센에서 개발한 비만치료제 위고비가 일주일에 한번 투여했을 때 유사한 체중감소 효과를 나타내는데 동사의 치료제는 2주일에 한번 투여로 투약 편의성이 높다는 장점이 있다.

기존의 비만치료제 위고비는 GLP1 저해제로 식욕을 감소하여 체중을 감량시키나 동사의 OLX702A는 에너지 대사를 높이는 기전이기 때문에 투약 중단 시 흔히 나타나는 요요현상이 적으며 위고비와 병용투여를 했을 때 추가적으로 10% 정도의 체중감소 효과가 있었다. 따라서 전임상 이후 임상1상은 NASH 적응증으로 진행 한 이후 임상2상에서 NASH와 비만 적응증을 따로 진행할 예정이다.

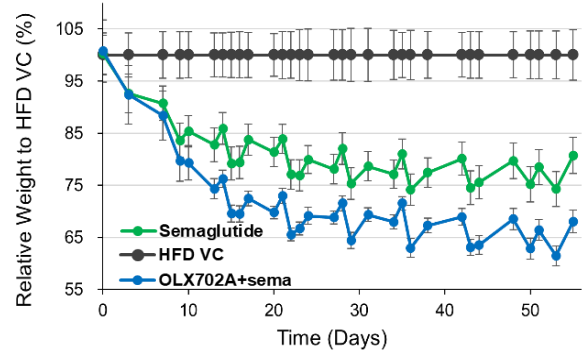
최근 동사의 주가는 OLX702A의 비만치료제로서의 가능성에 대한 기대감으로 상승하였다. 따라서 향후 긍정적인 결과 도출 시 지속적인 주가 상승 모멘텀으로 작용할 가능성이 높다는 판단이다.

마우스에서의 체중 감소 및 에너지 대사 증가 효력 확인



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

OLX702A와 위고비 병용 투여 시 체중 감소 시너지 효과 확인



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

실적 추이 및 전망

1 매출액의 대부분은 마일스톤

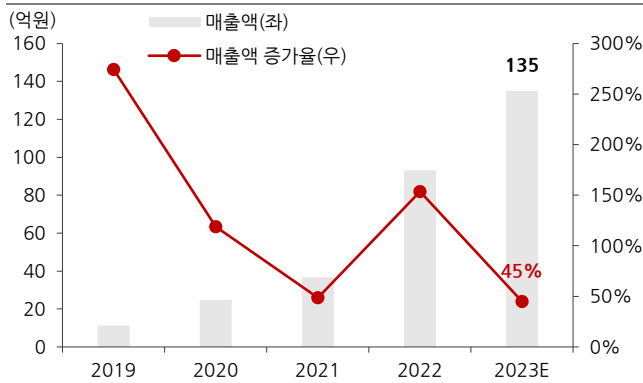
동사의 매출액 대부분은
마일스톤으로 이루어져 있음

동사는 R&D 기업으로써 매출액의 대부분은 마일스톤으로 이루어졌다. 2019년 황반변성 치료제의 기술수출로 인해 ‘폐아’로부터 본격적인 마일스톤이 유입되면서 매출액이 인식되기 시작하였으며 2021년 한소제 약사로의 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술수출로 인해 유입된 마일스톤은 더욱 늘어나 2021년 연간 매출액 37억원을 달성, 2022년에는 마일스톤의 분할 인식으로 매출액 93억원(+ 153.7%YoY)을 시현하였다. 동사의 영업이익은 R&D 비용 집행에 따른 영업적자가 지속되고 있는데 2021년 242억원, 2022년 224억원 적자를 시현하였다.

2023년 연간 실적은 매출액 135억원(+ 44.8%YoY), 영업적자 166억원 시현이 전망되면서 매출액 증가로 인해 영업적자는 소폭 축소될 전망이다. 2023년 연간 매출액 증가의 원인은 추가적인 마일스톤 인식 때문인데 1) 황반변성 치료제의 2023년 연내 단회 투여 임상 완료에 따라 일부 마일스톤 수령 예정, 2) 한소제 약으로부터 추가 후보물질에 대한 옵션 행사에 따라 유입되는 마일스톤이다. 따라서 2023년은 매출액 100억원을 돌파하는 원년이 될 예정이다.

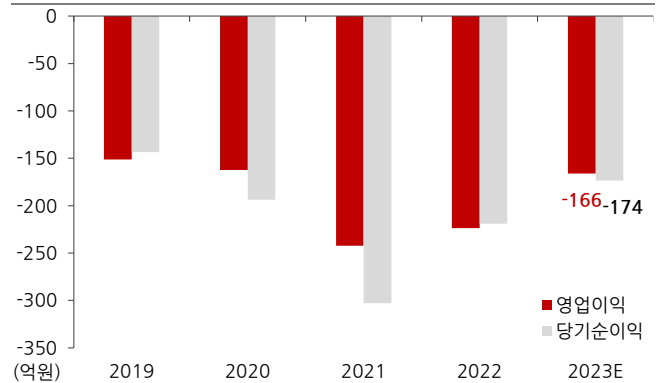
동사의 2023년 상반기 실적은 매출액 45억원(+ 7.1%YoY), 영업적자 154억원을 시현하였다. 동사의 실적은 하반기에 마일스톤 유입이 증가하면서 하반기 실적은 상반기대비 개선될 전망이다.

동사의 연간 매출액 추이



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

동사의 연간 수익 추이



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

Valuation

1 조단위 시가총액을 기록 중인 글로벌 경쟁사들

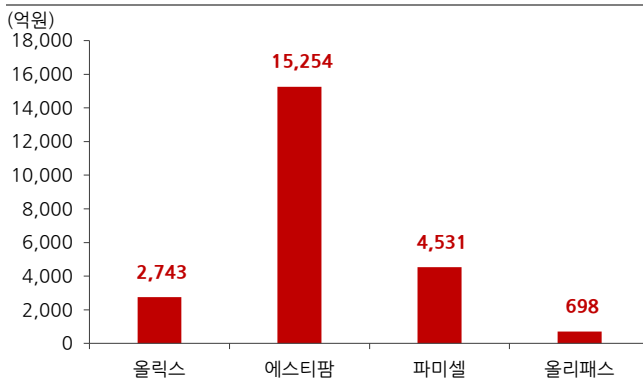
글로벌 기업들의 시가총액과 비교 시, 동사는 저평가. 현재 개발 중인 비대흉터 치료제, 황반변성 치료제, NASH 및 비만치료제들의 긍정적인 임상 결과 도출 시 기업가치상승이 가능할 전망

RNA 관련 기업으로는 mRNA, siRNA, RNA의 근간이 되는 올리고 핵산 CMO 등 다양한 업체들이 존재한다. 동사의 경우 RNA 간섭 기술을 이용하여 신약을 개발하는 업체로 국내에는 관련 경쟁사는 없고 유사 업체들만 존재한다. 유사 업체로는 올리고 핵산 CMO 업체인 에스티팜(1.5조원), 파미셀(4,531억원)이 있으며 올리팜(698억원)은 RNA 관련 업체이긴 하나 동사의 기전과는 다른 업체이다. 따라서 동사의 주요 경쟁업체들은 글로벌 siRNA 업체들이라 할 수 있다.

글로벌 경쟁업체들의 경우 가장 시가총액이 높은 앨라일람(35.2조원)을 비롯하여 아이오니스(8.3조원), 애로우헤드(4.1조원), 그리고 노보 노디스크에 인수된 다이서나(2021년 인수당시 시가총액 4조원)가 있다. 미국 siRNA 바이오업체로 사일런스(4,374억원)도 존재한다. 우선 앨라일람과 아이오니스의 경우 siRNA 기전으로 이미 시판 중인 치료제를 보유하면서 시가총액이 크게 상승하였고 다이서나의 경우 GalXC RNAi 플랫폼 기술 보유로 4조원에 노보 노디스크에 인수, RNA 간섭 기술을 활용한 업체들의 기업가치는 매우 높은 상황이다.

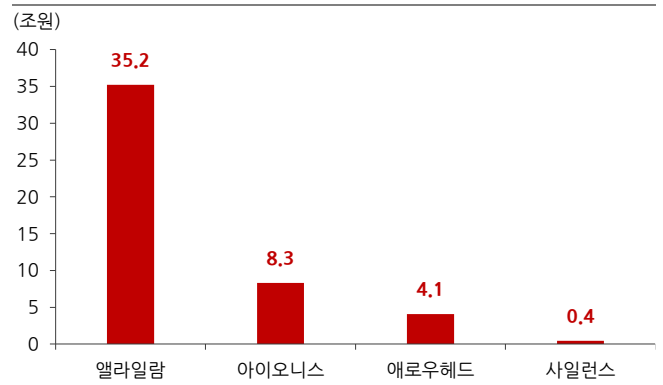
이러한 글로벌 경쟁 상황은 향후 동사의 기업가치에도 긍정적인 영향을 미칠 것으로 전망되는데 현재 개발 중인 비대흉터 치료제, 황반변성 치료제, NASH 및 비만치료제들이 긍정적인 임상 결과 도출하고 있다. 그러나 현재 동사의 시가총액은 2,743억원(9/13 기준) 수준으로 저평가 되었다는 판단이다. 따라서 향후 추가적인 기술수출이나 긍정적인 임상결과 도출은 추가 상승 모멘텀이 될 전망이다.

국내 RNA 기업 시가총액 현황



자료: 각 사, 한국IR협회의 기업리서치센터

글로벌 RNA 기업 시가총액 현황



자료: 각 사, 한국IR협회의 기업리서치센터

⚠ 리스크 요인

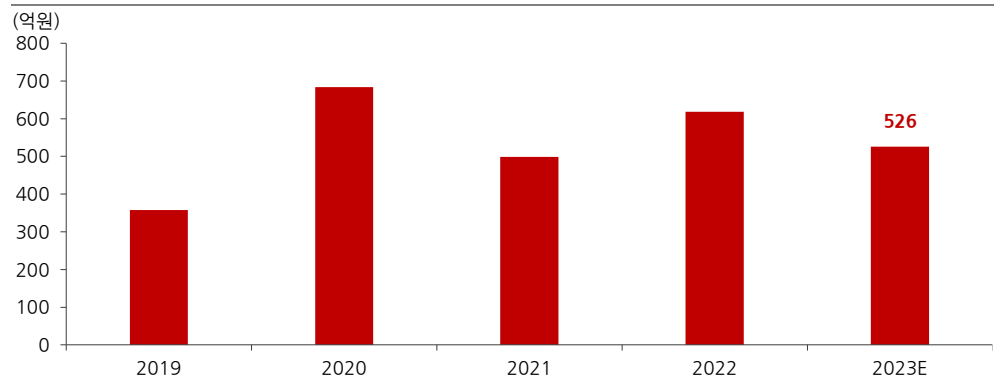
1 자금조달로 인해 발생한 오버행 존재하나 서서히 해소 중

자금조달로 인한 오버행 리스크 존재하나 서서히 해소 중

동사는 최근 자금조달로 인해 CB와 CPS를 발행하였는데 CB는 266억원이 남아있고 CPS는 570억원 중 70% 정도는 전환 청구가 되었고 나머지 30% 수준이 남아있다. 따라서 남아있는 물량이 있기 때문에 오버행은 존재한다는 판단이나 최근의 주가 상승으로 전환청구가 많이 되었기 때문에 오버행에 대한 해소는 서서히 되고 있다는 판단이다. 이번 자금조달로 인해 상반기 기준 보유현금은 약 500억 정도 있어 R&D 비용집행에 대한 현금은 충분하다고 생각된다.

동사는 전통적인 바이오 기업으로 마일스톤 이외의 매출 창출을 위해 노력 중이다. 동사의 파이프라인 중 탈모치료제가 있는데 향후 개발에 성공 시 매출 창출에 도움이 될 전망이다.

동사의 현금 및 현금성 자산 추이



자료: 올릭스, 한국IR협의회 기업리서치센터

포괄손익계산서

(억원)	2019	2020	2021	2022	2023F
매출액	11	25	37	93	135
증가율(%)	274.3	118.9	48.5	153.7	44.8
매출원가	0	0	0	0	0
매출원가율(%)	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
매출총이익	11	25	37	93	135
매출이익률(%)	100.0	100.0	100.0	100.0	100.0
판매관리비	162	187	279	317	301
판매비율(%)	1,472.7	748.0	754.1	340.9	223.0
EBITDA	-143	-151	-226	-203	-131
EBITDA 이익률(%)	-1,268.8	-610.3	-615.0	-217.8	-97.1
증가율(%)	적지	적지	적지	적지	적지
영업이익	-151	-162	-242	-224	-166
영업이익률(%)	-1,337.4	-656.4	-659.4	-240.1	-123.0
증가율(%)	적지	적지	적지	적지	적지
영업외손익	9	-43	-58	-67	-73
금융수익	9	5	6	17	16
금융비용	0	48	66	85	90
기타영업외손익	0	1	2	1	1
중속/관계기업관련손익	0	0	0	0	0
세전계속사업이익	-142	-205	-300	-291	-239
증가율(%)	적지	적지	적지	적지	적지
법인세비용	1	-11	-8	-10	-3
계속사업이익	-144	-194	-292	-281	-236
중단사업이익	0	0	-11	62	63
당기순이익	-144	-194	-303	-219	-174
당기순이익률(%)	-1,269.8	-783.4	-824.0	-234.8	-128.6
증가율(%)	적지	적지	적지	적지	적지
지배주주지분 순이익	-144	-194	-297	-195	-155

현금흐름표

(억원)	2019	2020	2021	2022	2023F
영업활동으로인한현금흐름	-107	-38	-191	-307	-105
당기순이익	-144	-194	-303	-219	-174
유형자산 상각비	6	9	14	18	32
무형자산 상각비	2	2	2	3	3
외환손익	0	0	0	0	0
운전자본의감소(증가)	16	100	24	-85	34
기타	13	45	72	-24	0
투자활동으로인한현금흐름	126	-314	155	-548	10
투자자산의 감소(증가)	29	103	14	-131	-45
유형자산의 감소	0	0	0	0	0
유형자산의 증가(CAPEX)	-10	-7	-260	-22	0
기타	107	-410	401	-395	55
재무활동으로인한현금흐름	2	417	266	560	57
차입금의 증가(감소)	-0	0	200	0	57
사채의증가(감소)	0	291	0	0	0
자본의 증가	0	124	0	0	0
배당금	0	0	0	0	0
기타	2	2	66	560	0
기타현금흐름	1	-1	0	-0	0
현금의증가(감소)	21	64	230	-294	-38
기초현금	28	50	113	343	49
기말현금	50	113	343	49	12

재무상태표

(억원)	2019	2020	2021	2022	2023F
유동자산	374	690	522	650	572
현금성자산	50	113	343	49	12
단기투자자산	308	571	156	569	514
매출채권	0	0	0	1	1
재고자산	4	3	4	7	10
기타유동자산	13	3	19	25	36
비유동자산	78	95	344	676	686
유형자산	59	62	315	372	340
무형자산	14	25	21	21	18
투자자산	2	6	7	277	322
기타비유동자산	3	2	1	6	6
자산총계	452	786	867	1,327	1,258
유동부채	28	45	404	395	487
단기차입금	0	0	0	0	0
매입채무	0	0	0	0	0
기타유동부채	28	45	404	395	487
비유동부채	6	287	269	269	283
사채	0	140	0	0	0
장기차입금	0	33	200	200	200
기타비유동부채	6	114	69	69	83
부채총계	34	332	673	664	769
지배주주지분	418	453	185	659	504
자본금	33	68	69	84	84
자본잉여금	715	911	929	1,519	1,519
자본조정 등	17	18	29	43	43
기타포괄이익누계액	1	-0	1	45	45
이익잉여금	-348	-544	-843	-1,032	-1,187
자본총계	418	454	194	662	488

주요투자지표

	2019	2020	2021	2022	2023F
P/E(배)	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
P/B(배)	6.6	15.0	30.3	5.2	7.4
P/S(배)	244.5	267.4	152.7	33.8	27.4
EV/EBITDA(배)	N/A	N/A	N/A	N/A	N/A
배당수익률(%)	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
EPS(원)	-1,102	-1,474	-2,171	-1,260	-922
BPS(원)	3,200	3,344	1,352	3,946	2,988
SPS(원)	87	188	268	602	805
DPS(원)	0	0	0	0	0
수익성(%)					
ROE	-29.7	-44.5	-93.1	-46.2	-26.6
ROA	-28.5	-31.3	-36.6	-20.0	-13.4
ROIC	-215.5	-240.2	-174.4	-73.6	-50.9
안정성(%)					
유동비율	1,359.2	1,538.4	129.4	164.5	117.6
부채비율	8.1	73.3	346.6	100.4	157.5
순차입금비율	-85.0	-118.8	-7.0	-9.2	18.1
이자보상배율	-2,696.1	-67.9	-10.0	-7.6	-5.0
활동성(%)					
총자산회전율	0.0	0.0	0.0	0.1	0.1
매출채권회전율	1,130.3	N/A	N/A	350.2	207.2
재고자산회전율	2.3	7.4	10.8	18.1	16.8

Compliance notice

본 보고서는 한국거래소, 한국예탁결제원과, 한국증권금융이 공동으로 출연한 한국IR협의회 산하 독립 (리서치) 조직인 기업리서치센터가 작성한 기업분석 보고서입니다. 본 자료는 시가총액 5천억원 미만 중소형 기업에 대한 무상 보고서로, 투자자들에게 국내 중소형 상장사에 대한 양질의 투자 정보 제공 및 건전한 투자문화 정착을 위해 작성되었습니다.

- 당사 리서치센터는 본 자료를 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 본 자료를 작성한 애널리스트는 자료작성일 현재 해당 종목과 재산적 이해관계가 없습니다.
- 본 자료를 작성한 애널리스트와 그 배우자 등 관계자는 자료 작성일 현재 조사분석 대상법인의 금융투자상품 및 권리를 보유하고 있지 않습니다.
- 본 자료는 중소형 기업 소개를 위해 작성되었으며, 매수 및 매도 추천 의견은 포함하고 있지 않습니다.
- 본 자료에 게재된 내용은 애널리스트의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 신의 성실하게 작성되었음을 확인합니다.
- 본 자료는 투자자들의 투자판단에 참고가 되는 정보제공을 목적으로 배포되는 자료입니다. 본 자료에 수록된 내용은 자료제공일 현재 시점의 당사 리서치센터의 추정치로서 오차가 발생할 수 있으며 정확성이나 완벽성은 보장하지 않습니다.
- 본 조사자료는 투자 참고 자료로만 활용하시기 바라며, 어떠한 경우에도 투자자의 투자 결과에 대한 법적 책임 소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.
- 본 조사자료의 지적재산권은 당사에 있으므로, 당사의 허락 없이 무단 복제 및 배포할 수 없습니다.
- 본 자료는 카카오톡에서 "한국IR협의회" 채널을 추가하시어 보고서 발간 소식을 안내받으실 수 있습니다.
- 한국IR협의회가 운영하는 유튜브 채널 'IRTV'에서 1) 애널리스트가 직접 취재한 기업탐방으로 CEO인터뷰 등이 있는 '小中한탐방'과 2) 기업보고서 심층해설 방송인 '小中한 리포트 가치보기'를 보실 수 있습니다.