

SECTOR UPDATE

2026. 3. 5

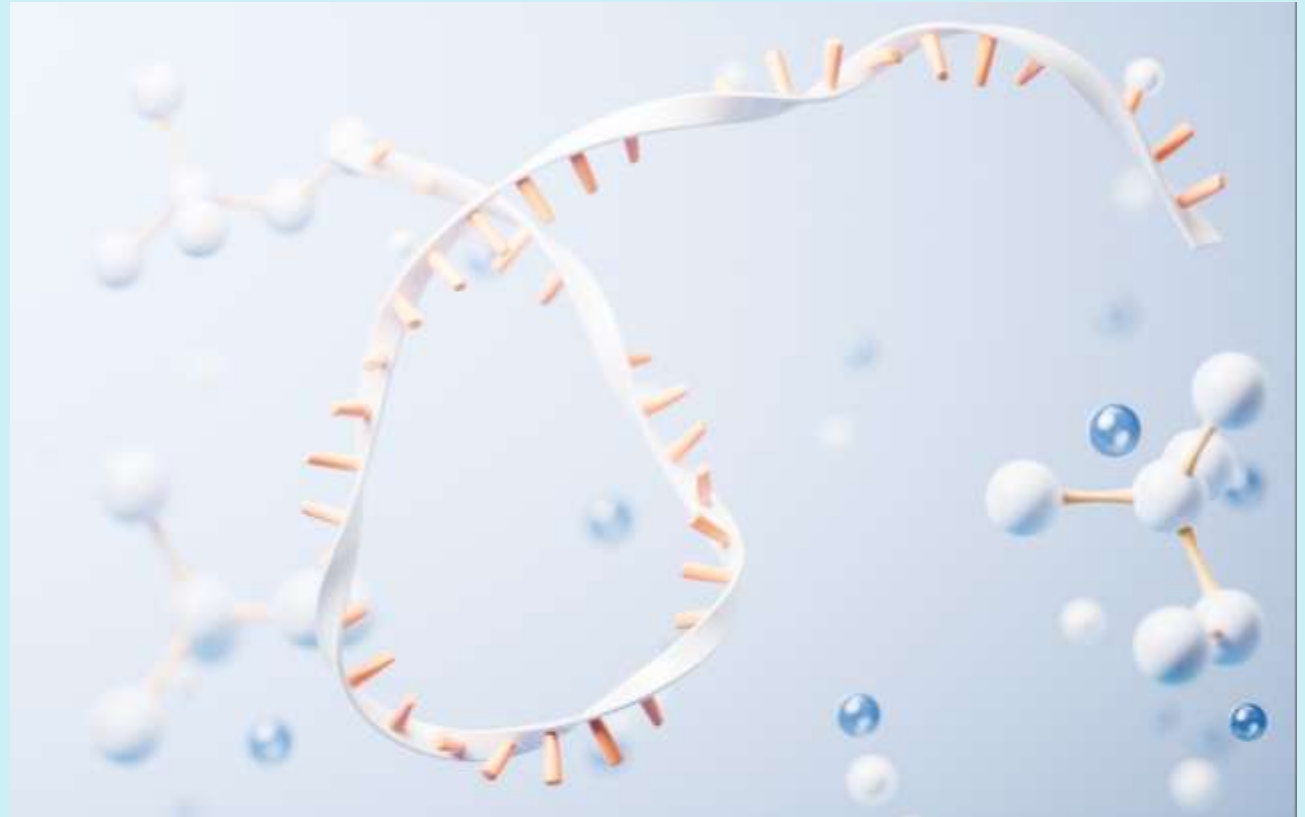
Innovation팀

서근희 Ph.D. 팀장
keunhee.seo@samsung.com

신수한 Research Associate
shn.shin@samsung.com

본 자료는 고객의 투자에 참고가 될 수 있는 각종 정보 제공을 목적으로 제작되었습니다. 본 자료는 합리적인 정보를 바탕으로 작성된 것이지만, 투자권유의 적합성이나 완전성을 보장하지 못합니다. 따라서 투자 판단의 최종 책임은 투자자 본인에게 있으며, 본 자료는 어떠한 경우라도 법적 책임소재의 증빙으로 사용될 수 없습니다.

삼성증권



헬스케어 산업

RNAissance 2026: 기대에서 확신으로

RNAissance 2026

RNA 2.0: 만성질환 치료제로의 위대한 전환

삼성증권 서근희입니다.

그동안 RNA 치료제라고 하면 코로나 백신이나 아주 희귀한 병을 고치는 약으로만 생각하셨을 텐데요. 이제 RNA는 단순한 유행이 아니라 우리 몸의 설계도를 직접 수정해 병을 고치는 '표준 기술'로 자리 잡았습니다. 2026년 현재, RNA는 비만이나 고혈압처럼 우리 주변에 흔한 만성질환을 해결하는 가장 강력한 무기가 되고 있습니다. 1년에 딱 두 번만 주사를 맞아도 병이 관리되는 시대가 열리면서, 글로벌 제약사들도 이 엄청난 시장을 잡기 위해 RNA 기술을 가진 기업들을 선점하느라 분주한 상황입니다.

예전에는 RNA 약물이 주로 간(Liver)으로만 가서 치료 범위가 좁았지만, 이제는 폐나 근육, 심지어 뇌 조직까지 약물을 정확히 배달하는 기술이 완성 단계에 접어들었습니다. 여기에 한 번 투여하면 몸속에서 더 오래 버티거나 스스로 복제되는 차세대 RNA 기술들이 더해지면서 치료 효과가 몰라보게 좋아졌는데요. 특히 시가 약물을 설계하기 시작하면서 새로운 약이 나오는 속도도 이전과는 비교할 수 없을 만큼 빨라졌습니다.

시장을 이끌고 있는 앨나일램 파마슈티컬스(ALNY US, Alnylam)나 아이오니스 파마슈티컬스(IONS US, Ionis)는 이미 만성질환 약들을 성공적으로 출시하며 저력을 증명하고 있습니다. 글로벌 제약사에 RNA 원료를 공급하는 에스티팜은 최근 미국 규제 변화의 가장 큰 수혜자로 손꼽히며 독보적인 존재감을 보여주고 있습니다. 또한, 자신들만의 독특한 기술로 비만치료제나 뇌 질환 분야에서 세계 무대와 손잡고 있는 올릭스, 알지노믹스 같은 기업들도 우리 시장에서 빼놓을 수 없는 핵심 주인공들입니다.

감사합니다.

01

RNA 치료제: 관리와 교정의 시대

4p

- 1) RNA 치료제 정의
- 2) siRNA: 장기 지속성 및 고혈압, 비만 등 대중적인 만성질환의 표준 치료제로 자리매김
- 3) ASO: 중추신경계 질환 치료에 가장 앞서 있는 기술
- 4) Circular RNA: 압도적 반감기로 기존 mRNA 치료제 단점 보완
- 5) RNA editing: RNA 수준에서의 편집으로 부작용 걱정을 덜어낸 차세대 치료 기전
- 6) Oligonucleotide CDMO: 글로벌 공급망 재편의 핵심이자 상업화의 필수 관문

02

대표 종목 분석

23p

- 1) 에스티팜(237690)
- 2) 아이오니스 파마슈티컬스(IONSUS)
- 3) 올릭스(226950)
- 4) 알지노믹스(476830)

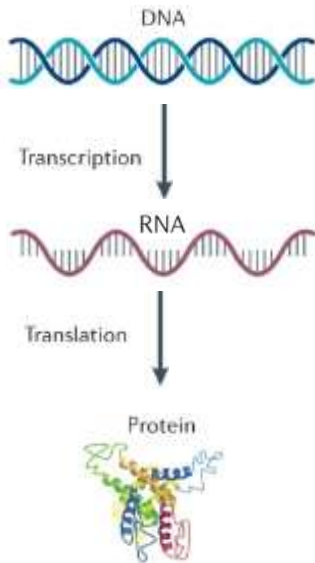
#RNA 치료제란?

RNA 치료제의 정의 및 작동 원리

▶ RNA 치료제, 유전자 발현의 스위치 on-off

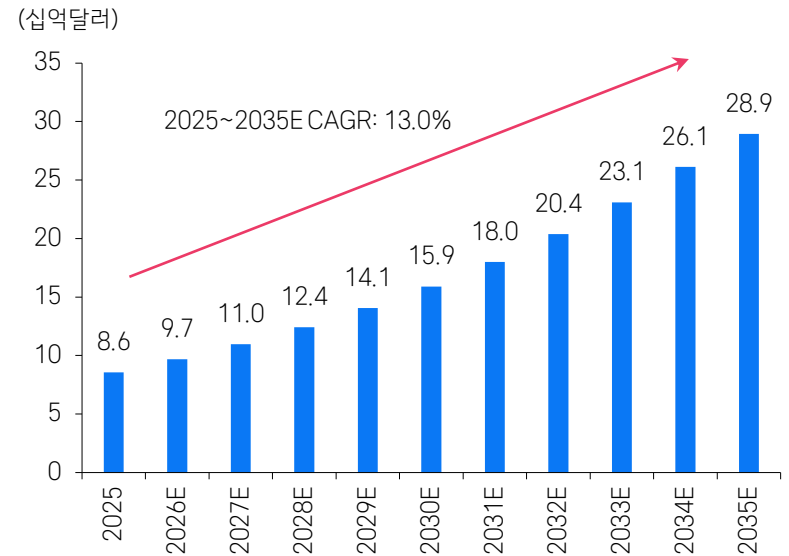
- 정의: 유전자 발현 조절을 통한 질병 치료의 새로운 패러다임. Central Dogma 상에서 RNA 수준에서 작용하여 질병의 원인이 되는 단백질의 생성 자체를 RNA의 on-off를 통해 조절, 억제 혹은 교정하는 새로운 계열의 의약품. 이론상 모든 단백질이 타겟 가능.
- 기존 약물로 치료 불가능했던 유전성 질환, 신경퇴행성 질환들은 RNA 치료제가 유일한 대안으로 부상. 구체적으로 TTR(Transthyretin) 아밀로이드증, ALS 루게릭병, 헌팅턴병 등에 대해 질병의 근본 원인을 타격하는 RNA 치료법으로 접근.

Central Dogma(DNA→RNA→단백질)



자료: Wahlestedt, 2013, 삼성증권

RNA 치료제 시장 규모 추이 및 전망



자료: NovaOneAdvisor, 삼성증권

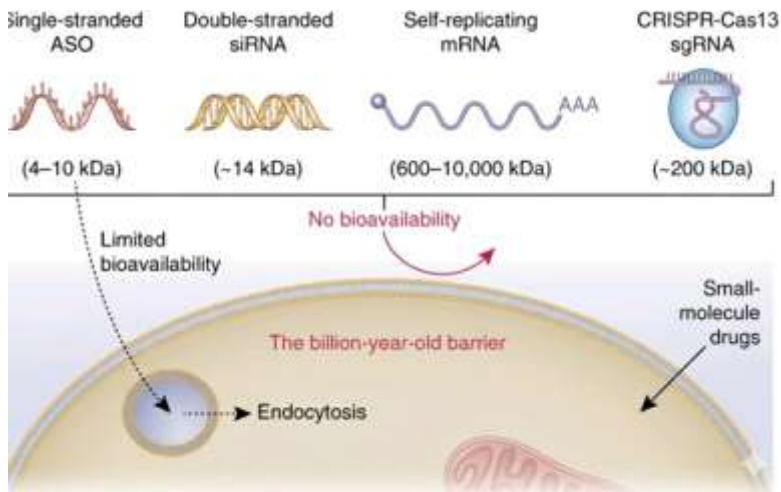
#RNA 치료제란?

RNA 치료제 작용 원리 및 전달 기술

▶ 미충족 수요 해결의 열쇠 RNA

- 작동 원리: mRNA를 분해하거나(ASO RNase H, siRNA RISC), 기능을 차단하는 방법(ASO splicing 교정)과 정상적인 mRNA를 주입하거나, 결함이 있는 RNA의 염기 서열 교정(RNA editing)하여 기능 회복.
- 다만 세포 내 전달의 근본 난제는 음전하를 띠는 거대한 핵산 분자가 음전하인 세포막에 의해 거부당하기 때문에 발생. 이를 극복하기 위한 LNP, GalNac 등의 전달체 기술이 RNA 치료제 상업화의 핵심.

RNA 치료제 작용 원리



자료: Dowdy, 2017, 삼성증권

화학적 안정성 개선 및 전달체 기술의 발전

구분	비고
화학적 안정성	인산당 골격에 2'-O-Methyl 또는 2'-Fluoro와 같은 화학적 변형을 적용하여 체내 Nuclease에 의해 분해되는 것을 막고 안정성 개선.
전달 기술의 발전	LNP(Lipid nanoparticle): 주요한 표적은 간. siRNA를 지질 나노입자 안에 포장하여 주입. 초기 RNAi 신약인 Onpatro(엘나일렘)에 적용. 정맥 주사(IV)로 투여 가능.
	GalNac: GalNac 분자를 연결하여 간세포 표면의 ASGPR 수용체를 통해 간세포로 효율적으로 전달. 주요 표적은 간. GivMarri, Oxlumio, Leqvio(엘나일렘 개발) 등에 적용. LNP는 정맥주사(IV), GalNac은 피하 주사(SC)로 개발.
	간 외에 뇌, 폐, 심장, 지방 조직으로 siRNA를 전달하는 기술(C16 전달체) 등을 개발.

자료: Dowdy, 2017, 삼성증권

#RNA 치료제란?

RNA 치료제의 종류 및 관련 기업

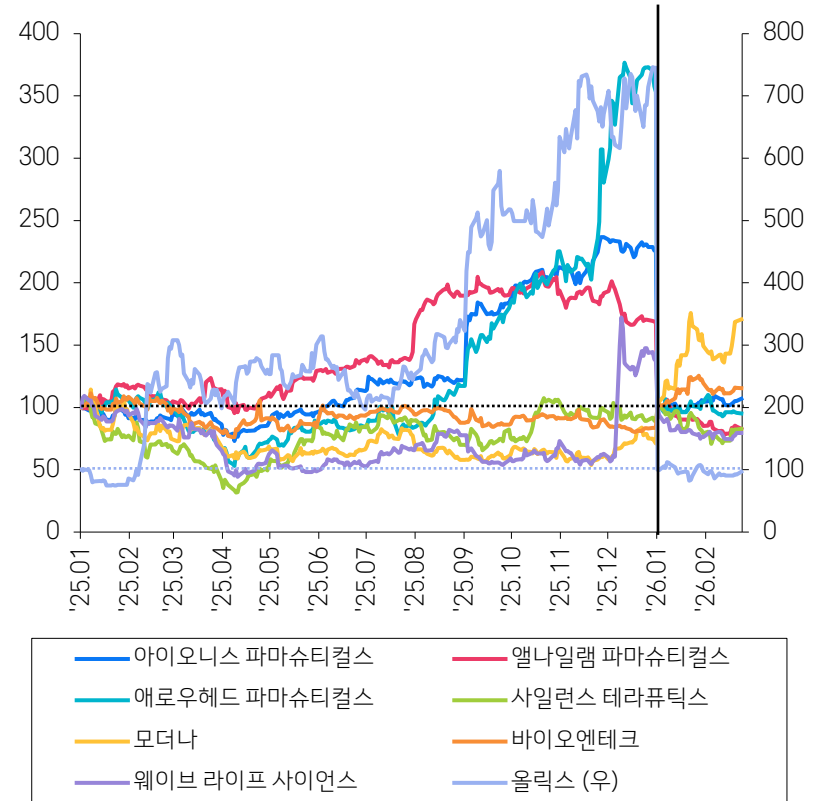
RNA 치료제 종류 및 특징, 관련 기업

기술	비고	기업
ASO (Antisense Oligonucleotide)	단일 가닥의 짧은 합성 핵산. 표적 mRNA와 결합하여 RNase H 효소 유도하여 mRNA 분해하거나, splicing 과정 조절. 주사 주기는 월 1회, 분기 1회.	아이오니스 파마슈티컬스
siRNA (Small interfering RNA)	이중 가닥의 짧은 핵산. RISC 복합체에 의해 표적 mRNA를 정확히 절단하여 분해. 주사 주기는 분기 1회, 연 2회.	엘나일럼 파마슈티컬스, 애로우헤드 파마슈티컬스, 사일런스 테라퓨틱스, 올릭스
mRNA (Messenger RNA)	단백질 정보를 담고 있는 선형 RNA. 세포 내로 주입되어 특정 단백질을 직접 생성. 수일-수주 효과 지속.	모더나, 바이오엔테크
CircRNA (Circular RNA)	양 끝이 연결된 고리 형태의 mRNA. 선형 mRNA와 같이 단백질 생성하지만, 월등히 높은 안정성.	Orna Therapeutics*
RNA editing	DNA를 건드리지 않고 RNA 수정. 주로 ADAR 효소를 유도하여 단일 염기 교정.	웨이브 라이프 사이언스

참고: *2026년 2월, 일라이 릴리(LLY US)는 Orna therapeutics 인수
자료: 삼성증권정리

RNA 치료제 개발 업체 추가 추이

(2025.1.1=100, 2026.1.1=100)



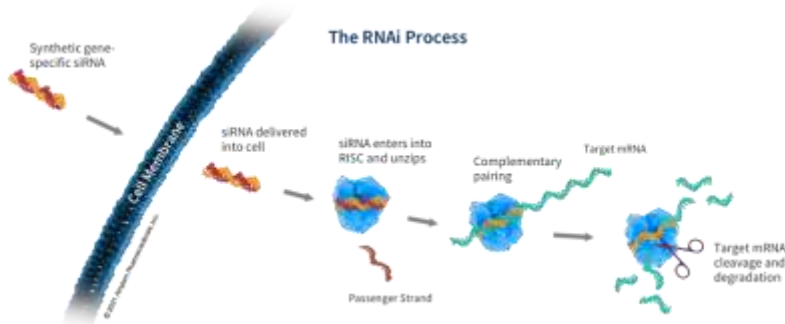
자료: Bloomberg, 삼성증권

#siRNA (small interfering RNA) 강력하고 효율적인 침묵: siRNA

▶ 표적 mRNA를 정확하고 효과적으로 분해하는 siRNA

- 기전: RNA 간섭(RNA interference) 현상을 활용하며, 일반적으로 21~25개의 염기쌍으로 구성된 이중 가닥 RNA 분자.
- RISC 복합체: siRNA는 RISC(RNA-induced Silencing Complex)라는 효소 복합체에 결합. 이 과정에서 siRNA의 이중 가닥 중 하나는 분해, 나머지 가닥(antisense strand)이 RISC를 표적 mRNA로 유도하는 가이드 역할. 이후 Ago2가 antisense strand에 상보적으로 결합한 mRNA를 절단, 분해하여 질병 유발 단백질의 생성을 억제(gene silencing).
- 1회 투여로 수개월~1년 표적 mRNA 억제 지속. RISC 재사용을 통해 소량으로 대량의 mRNA 절단. 90% 이상의 단백질 감소 확인.

siRNA 작용 원리



자료: 앨나일램, 삼성증권

siRNA 기술의 특징 및 특허 보유

구분	비고	
기초 특허	Tuschl I&I: 21nt+21nt 3' overhang 구조의 siRNA 기본 구조. 앨나일램이 독점 라이선스 보유.	
	Kreutzer-Limmer: 유럽에서의 siRNA 기초 특허.	
화학적 안정성	인산당 골격에 2'-O-Methyl 또는 2'-Fluoro와 같은 화학적 변형 적용하여 체내 Nuclease에 의해 분해되는 것을 막고 안정성 개선.	
	2'-Ome	앨나일램, 아이오니스
	2'-F	앨나일램
	PS(Phosphorothioate) backbone	아이오니스
	ESC(Enhanced Stabilization Chemistry)	앨나일램
IKARIA chemistry	앨나일램	

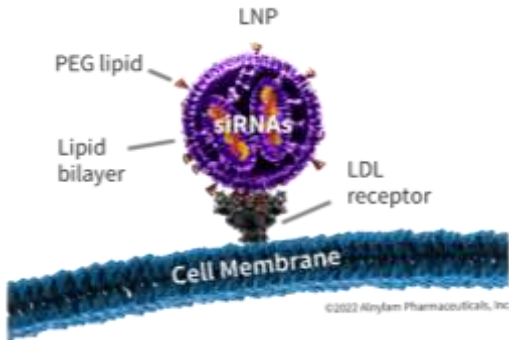
자료: 삼성증권 정리

#siRNA (small interfering RNA) siRNA의 다양한 전달 시스템

▶ siRNA의 delivery system: 이중 가닥 구조와 큰 크기 때문에 전달 시스템 필수적

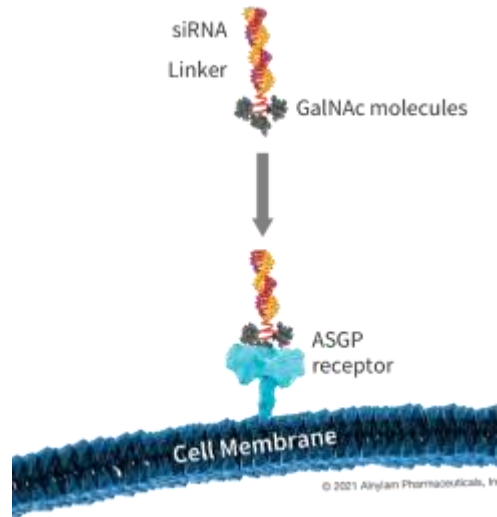
- LNP: siRNA를 내부에 담고 있는 나노 크기의 인공 지질막(ionizable lipid, PEG, 인지질, 콜레스테롤로 구성) 주머니. IV를 통해 투여되며, 주로 간세포로 이동. COVID-19 mRNA 백신 성공으로 안전성과 대량 생산 기술 입증.
- GalNAc: GalNAc라는 당 분자를 화학적으로 결합. SC를 통해 투여되며, 간 세포 표면에 있는 ASGPR 수용체에 특이적으로 결합.
- C16: 간 외 조직을 표적으로 개발되는 siRNA 전달 기술 중 하나. C16 지방산 리간드를 사용, 중추신경계, 종양, 지방 조직으로 전달.

LNP 작용 원리



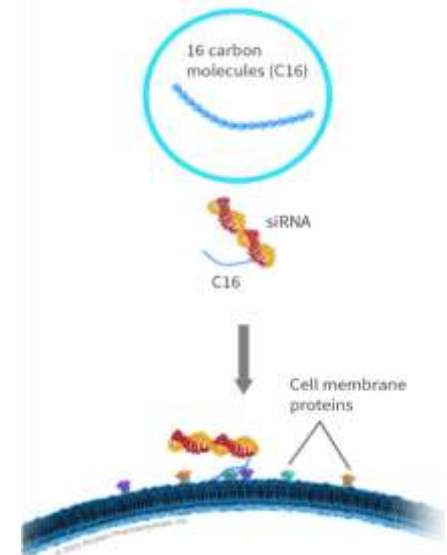
자료: 엘나일랩, 삼성증권

GalNAc 작용 원리



자료: 엘나일랩, 삼성증권

C16 작용 원리



자료: 엘나일랩, 삼성증권

#siRNA (small interfering RNA) siRNA의 다양한 전달 시스템

▶ 전달 시스템 확보에 있어 후발 주자들의 특허 포지셔닝 중요

- GalNAc 특허: GalNAc 특허 회피를 위해서는 GalNAc 개수, 스캐폴드 구조, 암 링커, siRNA 연결 위치 중 하나 이상을 변형하는 것이 현실적인 전략. 올릭스처럼 독자적 스캐폴드를 설계하거나, 애로우헤드처럼 다른 결합 위치를 선택하는 방식이 활용.
- CNS BBB 서틀: 현재 TfR1, C16 lipophilic conjugate, 콜레스테롤-HDO 등 복수의 접근법이 동시에 선점 경쟁 중인 초기 국면으로, 간질환에서 GalNAc 특허 전쟁이 벌어진 것과 유사한 구도가 향후 CNS 딜리버리 특허에서도 반복될 가능성 높음.

Lipid/LNP 특허 상세

구분	비고
이온화 지질	LNP에서 가장 중요한 특허 분쟁 발생 지역. 이온화 지질은 pH에 따라 전하가 바뀌어 세포 내 엔도솜에서 분리되는 역할. 아버터스 바이오파마(ABUSUS)가 가장 넓은 원천 특허 (SNALP) 보유. 이온화 지질 구조 자체+LNP 제형 방법 전반을 커버. 코로나19 백신에 사용된 ALC-0315 특허 보유. 엘나일램이 아버터스에 IPR(특허 무효 심판) 제기해 일부 특허 무효. 엘나일램 이온화 지질은 1~4세대로 구분. 기존 치료제는 3세대 사용. 현재 4세대 플랫폼 사용.
Helper lipid	DSPC, DPPC: 구조 안정화. 특허 약함 Cholesterol: 막 유동성. 단독 특허 없음 PEG-lipid: 응집 방지, 순환시간 연장. PEG 분자량, Anchor lipid 길이, shedding kinetics 특허 존재

자료: 삼성증권

GalNAc linker 부문 특허 비교

구분	엘나일램	다이서나	애로우헤드
GalNAc 개수	3개 (triantennary)	4개 (tetravalent)	3개 (triantennary)
Scaffold	Serinol 기반	없음	γ -glutamyl dipeptide
Arm linker	Phosphodiester	없음 (직접 결합)	비공개
연결 위치	3' end	Tetraloop 내에 G-A-A-A에 결합	5' end

자료: 삼성증권 정리

▶ 엘나일램, siRNA 기술 관련 핵심 특허 보유

- siRNA 치료제 분야의 원천 기술 및 선두 주자. 기전 및 전달 기술(LNP, GalNAc 기반)에 대한 강력한 특허 포트폴리오 보유. GalNAc 활용하여 간에서 발현되는 단백질을 표적하는 희귀/만성질환 치료제 개발에 집중.
- siRNA의 RNAi 기전은 표적 mRNA를 강력하고 효율적으로 분해. 또한 GalNAc이라는 기술 덕분에 SC 투여 가능, 투여 간격을 획기적으로 늘릴 수 있게 됨(Leqvio는 연 2회 투여).

엘나일램 시판 중인 제품

구분	약명	적응증	현황
TTR	ONPATTRO (patisiran)	hATTR 아밀로이드증 (말초신경병증 동반)	시판
	AMVUTTRA (vutrisiran)	ATTR 심근병증, hATTR 말초신경병증	시판
희귀 질환	GIVLAARI (givosiran)	급성 간성 포르피린증(AHP)	시판
	OXLUMO (lumasiran)	원발성 고옥살산노증형(PH1)	시판
	Qfitlia (fitusiran)	혈우병 A 또는 B	시판
심혈관 질환	Leqvio (incisiran)	고콜레스테롤혈증	시판

자료: 엘나일램, 삼성증권 정리

엘나일램 주요 파이프라인

구분	약명	적응증	현황
TTR	Nucresiran	ATTR 심근병증	P3
	Nucresiran	hATTR 말초신경병증	P3
희귀 질환	Cemdisiran (+/- Pozelimab)	중증 근무력증	P3
	Cemdisiran (+ Pozelimab)	발작성 야간 혈색소뇨증(PNH)	P3
	ALN-6400 (PLG)	출혈성 질환	P2
	AG-236 (ALN-TMP)	진성 적혈구증가증(PV)	P1
심혈관 질환	ALN-CFB	발작성 야간 혈색소뇨증(PNH)	P1
	Zilebesiran	고혈압	P3
대사 질환	Zilebesiran + REVERSIR	고혈압	P1
	Rapirosiran (ALN-HSD)	MASH(대사기능장애 연관 지방간염)	P2
	ALN-4324 (GRB14)	제2형 당뇨병	P1
	ALN-PNP	비알코올성 지방간질환 (NAFLD)	P1
	ALN-APOC3	이상지질혈증	P1
	ALN-CIDEB	MASH	P1
신경계 질환	Mivelsiran (ALN-APP)	뇌 아밀로이드 혈관병증(CAA)	P2
	Mivelsiran (ALN-APP)	알츠하이머병	P1
	ALN-HIT02	헌팅틴병	P1
	ALN-SOD	SOD1 변이 ALS	P1
	ALN-5288 (MAPT)	알츠하이머병	P1
기타	Cemdisiran (+/- Pozelimab)	지리적 위축(Geographic Atrophy)	P3
	Elebsiran (+ Tobevibart)	D형 간염(HDV) 감염	P3
	ALN-BCAT	간세포암	P1
	ALN-ANG3	건강한 지원자 대상	P1
	ALN-F1202	건강한 지원자 대상	P1

자료: 엘나일램, 삼성증권 정리

▶ 애로우헤드, 첫 제품 (Redempro, apoc-III 타겟) 상업화 성공으로 수익성 전환 교두보 마련

- 2015년 노바티스의 RNAi 연구 포트폴리오 및 자산 인수하면서 이전에 노바티스가 엘나일램과 체결했던 라이선스 계약의 양도. 노바티스가 선택했던 30개의 유전자 표적에 대해 엘나일램의 IP를 사용할 수 있는 권리 확보.
- 자체 개발한 독점적인 Dynamic Polyconjugate(DPC) 및 TRiM 전달 플랫폼 기술. 이 기술은 간 외 조직으로의 전달 능력 개선하여 차별화된 파이프라인 확장 잠재력 보유.

애로우헤드 vs 엘나일램 IP 충돌 가능 영역

구분	약명	적응증
Delivery/ Conjugation	GalNAc	GalNAc의 구체 구조, 결합개수, 결합 위치
	Linker/Spacer	Linker 구성(길이, 작용기), 절단가능 여부, 결합방식 (Amide, Thioester)
	Extra-hepatic	애로우헤드는 TRiM 플랫폼으로 extrahepatic 강조
siRNA duplex 디자인	2'-F/2'-Ome + PS	표준 조합으로 특허도 많고 겁치기 쉬움
	Overhang, bluntend, 말단캡/보호기	3'-overhang 길이(1-6nt 등) 같은 디테일이 특허 청구항에 포함
타겟/서열/사용	유전자타겟	타겟에 대한 특허는 지역/유효성에 따라 달라짐. 어떤 서열, 투여방법/적응증에서 분리
특허 유효성	Kreutzer-Limmer 계열	엘나일램의 광범위한 원천 특허 묶음이었으나, 유럽에서는 과도하게 넓은 claim으로 취소 또는 축소. 최근에는 GalNAc, 2'-F/2'-Ome, PS backbone, TRiM 등 기술로 극복

자료: 애로우헤드, 엘나일램, 삼성증권 정리

애로우헤드 주요 파이프라인

구분	약명	적응증	현황	파트너사
심혈관 및 대사질환	Plozasiran	가족성 킬로미크론혈증	판매 중	
	Zodosiran	중증 고중성지방혈증	P3	
		이상 지질혈증	P2	
		이상 지질혈증	P2	
	Olpasiran	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증	P3	
	APO-ALK7	심혈관질환	P3	암젠 L/O
	APO-INHBE	비만	P1	
GSK4532990	비만	P1		
신경계질환	APO-PNPLA3	MASH	P2	GSKL/O
	APO-PNPLA3	MASH	P1	
신경계질환	ARO-ATXN2	척수소뇌성 운동실조증 2형	P1	샤렘타
폐질환	ARO-RAGE	염증성 폐 질환	P1	
	ARO-MMP7	특발성 폐섬유증	P1	샤렘타
간질환	Fazirsiran	알파-1 간 질환	P3	다케다
	ARO-HBV	B형 간염	P2	GSKL/O
근질환	ARO-DUX4	안면경갑상완 근이영양증	P1	샤렘타
	ARO-DM1	근긴장성 이영양증	P1	샤렘타
보체계 질환	ARO-C3	보체계 질환	P1	
	ARO-CFB	보체계 질환	P1	

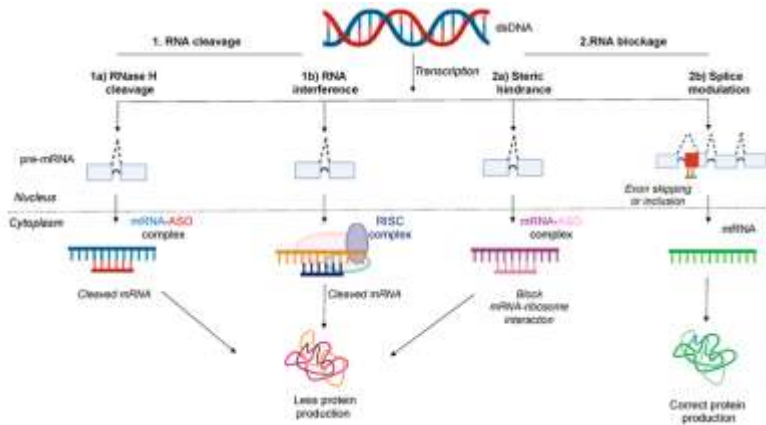
자료: 애로우헤드, 삼성증권 정리

#ASO(Antisense Oligonucleotide) 다양한 조절 방식의 ASO

▶ ASO, mRNA에 결합하여 유전자 발현 방해(파괴, 물리적 방해 등)

- 기전: ASO는 일반적으로 12~25개 염기쌍으로 이루어진 단일 가닥의 짧은 핵산. ASO는 표적 mRNA에 상보적으로 결합하여 방해.
- RNase H 유도 분해: RNase H 효소가 DNA-RNA 하이브리드 구조 인식, mRNA 가닥을 절단하고 분해(gene knock-down).
- 스플라이싱 조절: Pre-mRNA의 특정 부위(스플라이싱 접합 부위)에 결합하여 스플라이싱 변형 또는 오류를 교정.
- 장점: 디자인이 비교적 쉽고, 다양한 표적에 적용 가능. 전달체 없이도 세포 내로 흡수. 특히 척수강 주사를 통해 혈액뇌장벽(BBB, Blood-Brain Barrier)을 우회하여 CNS 질환 치료제로 개발 가능. 한번 투여로 수개월 동안 효과 유지.

ASO 작용 원리



자료: Dhuri et al., 2020, 삼성증권

ASO 기술의 특징 및 특허

구분	비고
1세대	PS(Phosphorothioate) backbone <ul style="list-style-type: none"> • 인산기 중 하나의 비가교 산소 원자를 황 원자로 치환하여 RNase에 대한 저항성 개선. • 아이오니스의 초기 ASO에 주로 사용.
2세대	2'-O-MOE(2'-O-Methoxyethyl) 변형 <ul style="list-style-type: none"> • 리보스의 2' 위치에 메톡시에틸 그룹을 도입하여 결합력과 안정성을 크게 향상. • 현재 아이오니스의 파이프라인에 널리 사용.
3세대	LNA(Locked Nucleic Acid)/GalNAc 접합 <ul style="list-style-type: none"> • 화학적 변형 덕분에 전달 시스템 없이도 세포로 전달. • LNA: 핵산 구조를 고정시켜 결합력을 극대화한 변형. • GalNAc: ASO에 GalNAc 분자를 접합하여 간세포 표면의 ASGPR에 특이적으로 결합.

자료: 삼성증권 정리

▶ 아이오니스, ASO 치료제의 상용화 주도

- ASO 분야의 원천 기술 및 2세대/3세대 화학 변형 기술의 상당 부분 보유. 주요 ASO 화학 변형 플랫폼 기술과 광범위한 특허 포트폴리오가 ASO 시장에서의 지배력을 가지게 함.
- 다수의 빅파마와 라이선스 및 공동 개발 계약을 체결하여 특허 및 기술 플랫폼을 활용한 치료제 개발.
- 특히, 중추 신경계와 심혈관/대사성 질환 분야에서의 파이프라인에 주목.

아이오니스 시판 중인 제품

구분	약명	적응증	현황	파트너사
신경질환	Wainua/eplintersen (TTR)	유전성 TTR 아밀로이드증 - 다발신경병증	FDA 승인	아스트라 제네카
	Qalsody/tofersen (SOD1)	SOD1 변이 ALS	FDA 승인	바이오젠
	Spinraza/nusinersen (SMN2)	척수성 근위축증	FDA, EMA 승인	바이오젠
심대사질환	Tryngolza/olezarsen (ApoC-III)	가족성 킬로미크론혈증	FDA 승인	
희귀질환	Dawnzera/donidalorsen (PLK2)	유전성 혈관부종 발작 예방	FDA 승인	

자료: 아이오니스, 삼성증권 정리

아이오니스 주요 파이프라인

구분	약명	적응증	현황	파트너사
신경질환	Zilganersen (GFAP)	알렉산더병	P3	
	ION582 (UBE3A-ATS)	안젤만 증후군	P3	
	ION717 (PRNP)	프리온 질환	P2	
	ION356 (PLP1)	펠리자우스-메르츠바허병	P2	
	ION464 (SNCA)	다계통위축증 & 파킨슨병	P2	
	ION440 (MECP2)	MECP2 중복 증후군	P2	
	Ulefnersen (FUS)	근위축성측삭경화증(ALS)	P3	오츠카
	Tofersen (SOD1)	SOD1 변이 기반 ALS / (전증상 SOD1)	P3	바이오젠
	IONIS -MAPTRx (TAU)	알츠하이머병	P2	바이오젠
	Tominersen (HTT)	헌팅톤병	P2	로슈
Salanersen (SMN2)	척수성 근위축증(SMA)	P2	바이오젠	
심대사질환	Olezarsen (ApoC-III)	중증 고중성지방혈증	FDA 승인	
	Eplintersen (TTR)	트랜스티레틴 아밀로이드 심근병증	P3	아스트라제네카
	Pelacarsen (Apo(a))	심혈관질환	P3	노바티스
기타질환	Tonlamarsen (AGT)	급성 중증 고혈압	P2	Kardigan
	Bepirovirsen (HBV)	B형간염 감염	P3	GSK
	Sefaxersen (CFB)	IgA 신병증	P3	로슈
	Sapablursen (TMPRSS6)	진성 적혈구증가증	P2	오노
	Opemalirsen (APOL1)	만성신장질환	P2	아스트라제네카

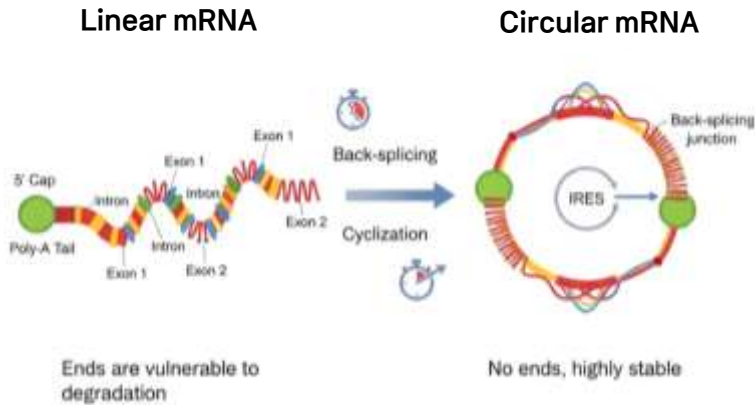
자료: 아이오니스, 삼성증권 정리

RNA 치료제의 새로운 지평: Circular RNA

▶ 안정성을 개량한 원형 RNA

- 선형 mRNA와는 달리 3' 말단과 5' 말단이 서로 결합하여 폐쇄된 고리 구조(Closed-loop structure)를 이룬 RNA 분자.
- 선형 RNA를 분해하는 효소(Exonuclease)가 공격할 끝단이 없어, 체내 반감기가 선형 mRNA보다 수십 배 이상 김.
- 안정성이 높기 때문에 한 번의 투약으로 단백질을 훨씬 오랫동안, 일정하게 생성 가능.

Linear mRNA vs Circular RNA



자료: 삼성증권

Linear mRNA vs Circular RNA 비교

구분	선형 mRNA	원형 mRNA
구조	말단이 있는 선형	닫힌 고리
체내 안정성	낮음(빠른 분해)	매우 높음(장기간 지속)
제조 복잡도	상대적으로 단순	높음(고리화 공정 필요)
콜드 체인	저온 보관 필수	안정적 보관 기대

자료: 삼성증권 정리

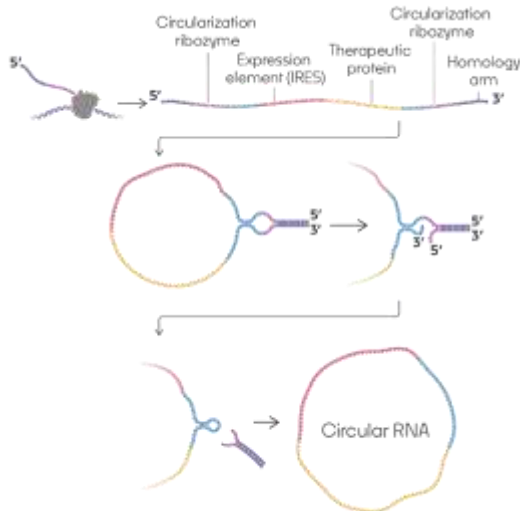
Circular RNA 기술을 치료제로 전환하는데 가장 앞선 Orna therapeutics

(비상장, 2026년 2월 일라이 릴리가 24억달러에 인수)

▶ 대량 생산하고, 단백질 발현 효율 극대화한 시스템 개발한 Orna Therapeutics

- oRNA: Self-splicing 기법을 개량하여, 긴 선형 RNA가 스스로 끝과 끝을 찾아가 닫히게 만드는 독자적인 공정 개발.
- 높은 순도의 circRNA를 대량으로 합성할 수 있게 되었으며, 기존 선형 mRNA보다 세포 내 반감기가 최대 수십 배 길어지는 효과 입증.
- Ribosome을 유도하기 위해 IRES라는 특수 서열을 내부에 삽입하여 단백질을 만들어 낼 수 있음. 적은 양의 RNA로도 더 많은 단백질 생성 가능.

Orna의 self-splicing circular RNA 제작



자료: Orna, 삼성증권

Orna therapeutics 파이프라인

Delivery	적응증	접근법	임상 계획	파트너사
panCAR™ Immune Cells	B세포 기반 자가면역질환	Anti-CD19 in-vivo CAR	개발 후보 2024년 선정, 2026년까지 P1/2	
	B세포 종양	Anti-CD19 / Anti-BCMA in-vivo CAR	개발 후보 2024년 선정, 2026년까지 P1/2	Simnova (중국)
Proprietary	겸상적혈구병 및 베타 지중해빈혈	Gene editing		버텍스 파마슈티컬 (미국)
	감염병 및 기타 질환	Protective antigens & other strategy		머크 앤 코 (미국)

자료: Orna, 삼성증권 정리

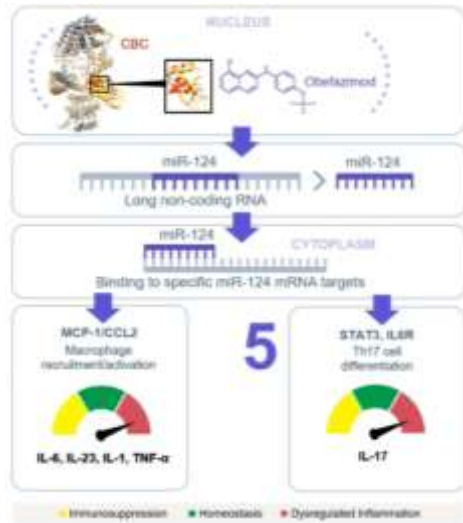
miR-124 조절을 활용한 전략: 아비백스

(ABVX US)

▶ 아비백스, miRNA

- 핵심 파이프라인인 Obefazimod는 소분자 의약품으로 miRNA-124 발현을 유도하는 조절제로 염증성 사이토카인 및 케모카인 발현 감소를 유도하여 항염증 효과를 나타냄. 궤양성 대장염 치료 목적의 경구용 치료제로 현재 개발 중.
- Obefazimod는 유도기(8주) 관해율이 JAK 억제제나 IL-23 대비 절대 효능은 낮은 편이지만, 경구 투여와 신규 miRNA-124 기전 기반으로 장기 유지 단계에서 안정적 효능을 노리는 포지션.
- First-line을 대체하기보다는 JAK 사용이 부담되거나 주사제 순응도가 낮은 중등도 환자에게 대안이 될 수 있는 약물.

Obefazimod에 의한 miRNA-124 작용 기전



자료: 아비백스, 삼성증권

Obefazimod vs 기존 UC 치료제 비교

구분	Obefazimod	Upadacitinib (Rinvoq, AbbVie)
기전	miR-124 발현을 선택적으로 증가시키는 경구 소분자	JAK inhibitor로 경구 소분자
투여	1일 1회 50mg 경구	1일 1회 경구 45mg 유도, 15mg 유지
P2b	8주 유도 MMS 변화: 50mg -3.2 vs placebo -1.9	
P3	8주 유도 관해: 50mg 13.4%~19.3%	8주 유도 관해: 26~33%

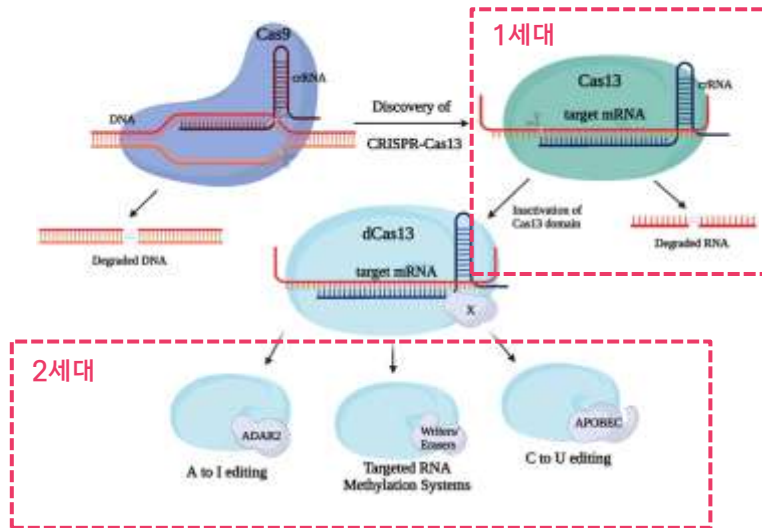
자료: 삼성증권 정리

CRISPR/CAS13 기반 RNA editing

▶ CRISPR/Cas13을 활용하는 RNA 정밀 수리 기술

- CRISPR 시스템 중 RNA를 표적으로 삼는 Type VI Cas13 단백질을 활용하여 특정 RNA 서열을 교정하거나 파괴하는 기술.
- 타겟 RNA 서열과 상보적인 crRNA를 제작, Cas13 단백질과 함께 타겟 mRNA와 결합한 뒤 ADAR 효소와 결합하여 특정 염기를 치환.
- 유전체 안정성, 가역성, 고도의 정밀성, 다기능성 등의 장점. 활용성은 독성 RNA 축적 질환, point mutation 질환 치료제로 개발 중.

CRISPR/CAS13 기반 RNA editing



자료: Lo et al., 2022, 삼성증권

1세대부터 최신 기술 비교

구분	1세대 (knockdown)	2세대 (Base editing)	3세대 (소형화)	CRAFT (Trans-splicing)
기전	Cas13이 타겟 RNA 절단	dCas13(비활성)+ADAR 효소 융합	미니 Cas13 발굴 및 측면 절단 억제	Cas13 유도 exon 전체 교체
범위	서열 파괴(기능 상실)	단일 염기 교체 (A→I, C→U 등)	단일 염기 교체 또는 구간 파괴	Exon 단위 교체
작용	유해 mRNA 제거(헌팅턴 등)	Point mutation 정밀 수정	생체 내 전달 최적화	거대 유전자 복구
강점	구조 단순, 반응 빠름	질환 근본 치료	면역 반응 감소 및 전달 효율 상승	RNA editing 대안
한계	타겟 주변 RNA 까지 자를 위험	단일 염기 이상 수정 불가	단일 수정 위주	아직 초기 단계

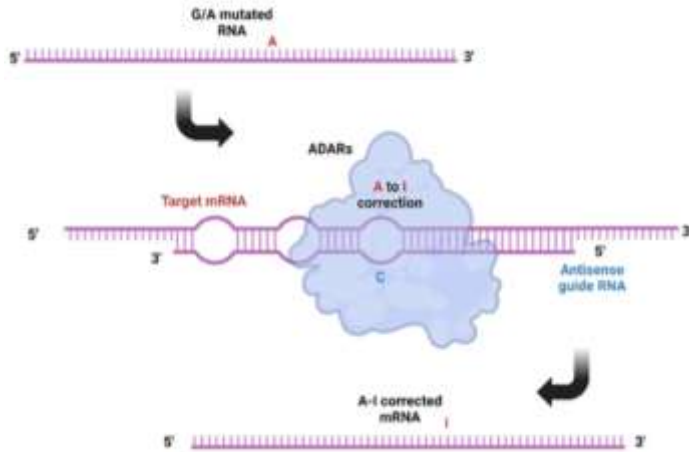
자료: 삼성증권 정리

ADAR 효소만을 활용한 RNA editing: 웨이브 라이프 사이언스 (WVE US)

▶ CRISPR/Cas13 없이 ADAR 효소를 활용한 RNA editing

- 웨이브 라이프 사이언스: CRISPR/Cas13 처럼 외부 효소를 넣지 않고, ADAR 효소를 이용해 RNA 염기를 직접 수정. ADAR 효소가 좋아하는 특수한 고리 구조 RNA 설계(작은 RNA 조각만 활용). GSK와 4.4조원 규모의 전략적 협력 체결.
- dCAS13은 사이즈가 커서 세포 안으로 넣기가 까다로움. 또한 우리 몸의 면역 세포가 공격할 확률이 높음. 외부 단백질을 만드는 것보다 화학적으로 합성한 RNA를 만드는 것이 생산 비용 측면에서 저렴.

ADAR 효소 기반 RNA editing



자료: 웨이브 라이프 사이언스, 삼성증권

웨이브 라이프 사이언스 파이프라인

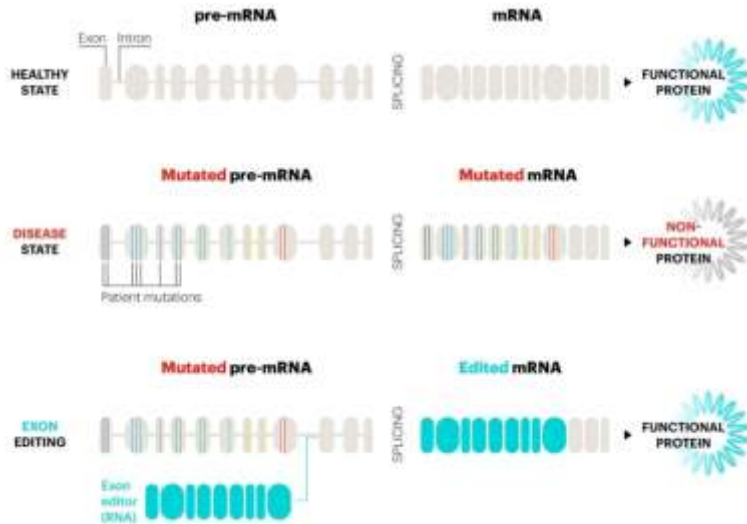
구분	약명	타겟	단계	비고
RNA Editing	WVE-006	SERPINA1	P1b/2a	GSK
	GalNAc-AiMer	PNPLA3	Discovery	Global
	GalNAc-AiMer	LDLR	Discovery	Global
	GalNAc-AiMer	APOB	Discovery	Global
RNAi	WVE-007 (GalNAc)	INHBE	P1	Global
	GalNAc-siRNA	미공개	Discovery	Global
Allele-selective silencing	WVE-003	mHTT	P1b/2a	Global

자료: 웨이브 라이프 사이언스, 삼성증권 정리

▶ 세포 내 자동화 공정을 활용한 순정 부품 리모델링 RNA 편집 기술

- 세포 내 Trans-splicing(Spliceosome 기구)을 활용하여 AON(Antisense oligonucleotide) 또는 RNA 기반 가이드 설계해 pre-mRNA 단계에서 여러 종류의 돌연변이가 집중된 RNA exon구간을 통째로 교체 가능.
- 안전성: DNA를 직접 건드리지 않아 off-target에 의한 돌연변이 위험이 낮으며, RNA는 체내에서 분해되므로 부작용 통제 가능.
- Ascidian therapeutics: 기존 기술 대비 효율성 극대화(반응 효율 5% vs 20~40%), 전달 한계 극복(수리가 필요한 exon 구간만). 이를 기반으로 로슈와 2조원 규모의 계약 체결.

내인성 시스템 활용형 RNA exon editing 기전



자료: Ascidian, 삼성증권

RNA exon editing 1세대 vs Ascidian 기술 비교

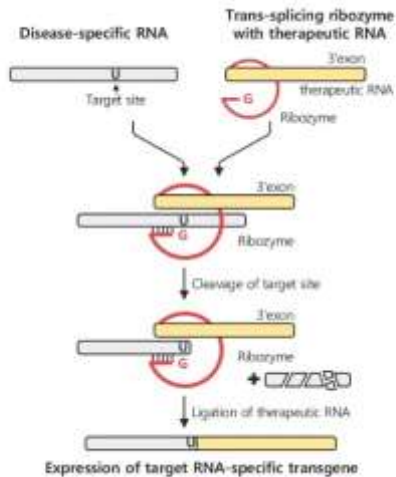
구분	1세대	Ascidian
편집 효율	5% 미만(치료 효과 낮음)	20~40%(치료 유효 수치)
수정 단위	수백 kb 단위(제한적)	수천 kb 단위(Exon 전체 교체)
전달 용량	보통	제한 없음(필요한 부분만)
안전성	보통	RNA만 수정
면역반응	낮음	매우 낮음(내인성 시스템 활용)
설계 방식	단순 서열 매칭	NGS&AI 기반 최적화

자료: 삼성증권 정리

▶ 모듈형 부품 교체 기반의 RNA 편집 기술

- Trans-splicing ribozymes을 활용하여 질병을 일으키는 RNA를 제거하는 동시에 치료용 RNA를 결합. 일부 기업은 세포 내의 복잡한 splicing 시스템을 활용해야 하지만, 경쟁력 있는 기업은 스스로 효소 기능을 하는 RNA(ribozyme)을 활용.
- 장점: 유전 질환은 환자마다 돌연변이가 일어난 위치가 다를 수 있기 때문에 문제가 있는 구간 전체를 통째로 갈아 끼울 수 있어 하나의 치료제로 여러 환자 대응 가능.
- 고효율 Ribozyme 설계로 타겟 RNA를 90% 이상 제거(기존 10% 미만), 질병 원인 물질 완벽 차단. 치료 인자 발현량 유효 농도 도달.

Trans-splicing ribozyme 기반 RNA editing



자료: 알지노믹스, 삼성증권

Ascidian vs 알지노믹스 기술 비교

구분	Ascidian	알지노믹스
핵심기전	Spliceosome 하이재킹	Trans-splicing ribozyme
편집도구	AON+내인성 Spliceosome	RNA 자체
교정 단위	Exon 단위 교체	3' 절반 이후 구간 전체 교체
내인성의존도	높음	낮음
DNA 변형	없음	없음

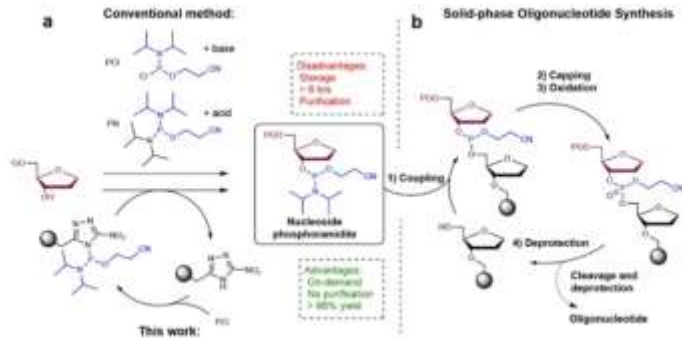
자료: 삼성증권 정리

RNA 치료제 시대의 강력한 제조 인프라

▶ 올리고뉴클레오타이드 생산이 어려운 이유

- 올리고뉴클레오타이드는 모든 RNA 기반 치료제의 기능적 핵심 단위로, RNA 치료제 상업화될 때 고순도 올리고 원료 공급 필요.
- 올리고뉴클레오타이드는 고체상 합성(Solid-phase peptide synthesis) 방식으로 제조하는데, 핵심 문제는 커플링 수율의 누적 손실.
- 염기 하나를 붙일 때마다 커플링 효율이 곱연산으로 적용되기 때문에, 올리고 길이가 길어질수록 최종 수율이 기하급수적으로 감소.
- siRNA는 통상 20~30mer 수준인데, 커플링 효율이 99.5%를 달성해야 90% 수율. 0.5%p 차이가 최종 수율에서 수십 %p 차이를 만들어 내는 구조.

올리고뉴클레오타이드 생산 과정



자료: Sandahl et al., Nature communications 2021, 삼성증권 인용

올리고뉴클레오타이드 길이에 따른 Coupling 수율

		Coupling efficiency				
		90.0%	95.0%	97.0%	98.5%	99.5%
Length (bases)	10	34.9%	59.9%	73.7%	86.0%	95.1%
	20	12.2%	35.8%	54.4%	73.9%	90.5%
	50	0.5%	7.7%	21.8%	47.0%	77.8%
	100	0.0%	0.6%	4.8%	22.1%	60.6%
	150	0.0%	0.0%	1.0%	10.4%	47.1%
	200	0.0%	0.0%	0.2%	4.9%	36.7%

자료: Mettler Toledo, Sigmaaldrich, 삼성증권 인용

올리고뉴클레오타이드 CMO 공급 규모

▶ 올리고뉴클레오타이드 제조 경쟁력

- 올리고뉴클레오타이드는 고난도 공정 집약 산업으로 고객사는 빅파마+RNA 전문 바이오텍.
- 생산 난이도 결정하는 4대 요소: 공정 노하우(커플링 효율 극대화), 불순물 관리(불완전 서열 제거), GMP 트랙 레코드, Lock-in 구조.
- 차별화 포인트는 대량합성, 고순도 정제, 임상 → 상업 생산 전환 성공 사례 보유 여부.
- Wuxi 배제 움직임이 가시화될수록 비중국 올리고 CMO로의 물량 이동 불가피.

올리고뉴클레오타이드 치료제 CMO 생산 규모 (2020~2026E)

	니토 덴코 아베시아		애질런트		에스티팜		바캠		우시	
	생산 Capa	연간 생산량	생산 Capa	연간 생산량	생산 Capa	연간 생산량	생산 Capa	연간 생산량	생산 Capa	연간 생산량
2020	3mol	1,400kg	2.3mol [^]	1,000kg	1.8mol	800kg				
2021					3.6mol	1,600kg				
2022	4.6mol	2,000kg	4.6mol	2,000kg	6.4mol		1.8mol	800kg	1.0mol	1,000kg
2025					8.7mol(P1)					
2026E					14mol(P2)	~7,000kg				

올리고뉴클레오타이드 CMO 업체 2026년 Capa 합산: ~13,000kg

참고: 각 사 증설 발표에 따라 가동 시작 기준으로 Capa 증설 표기. * 증설 Capa 미공개이나 2.2억달러 투자규모 기반으로 추정; [^] 연간 생산량 1,000kg 기준으로 환산;
 mol to g 환산: mass of ssRNA (g) = moles of ssRNA (mol) × ((length of ssRNA (nt) × 321.47 g/mol) + 18.02 g/mol) 및
 mass of dsDNA (g) = moles of dsDNA (mol) × ((length of dsDNA (bp) × 617.96 g/mol) + 36.04 g/mol) 자료: 각 사 자료, 삼성증권 정리

에스티팜 (237690) - 투자의견 BUY, 목표주가 190,000원

- 2026년 outlook:** 2026년 매출액 4,146억원(+25.1% y-y, 올리고뉴클레오타이드 CMO 매출액 2,810억원 (+18.2 % y-y)), 영업이익 709억원(+28.8% y-y) 전망, 안산 반월 공장 증설이 완료되며 생산 Capa가 기존 대비 2배 수준으로 확대, 이에 따라 매출 인식 가능한 물량도 큰 폭으로 확대될 것으로 예상. 주요 고객사인 글로벌 빅파마와의 장기 공급 계약 기반 수주 잔고가 뒷받침되고 있어 매출 가시성 매우 높으며, 가동률 상승으로 원가 구조도 점진적으로 개선될 것으로 전망.
- 올리고뉴클레오타이드 시장 전망:** RNA 기반 치료제 시장은 구조적 성장 국면에 접어들었음. 희귀 질환 중심이던 초기 적응증이 심혈관, 종양학, 중추신경계, 감염병 등으로 빠르게 확장 중이며, FDA와 EMA 승인 건수도 매년 증가함. 특히 GalNAc 접합 기술의 고도화로 피하주사 투여가 가능해지면서 환자 편의성이 크게 개선되고, 기전적 특성으로 인해 임상 성공률도 상승하는 추세임. 글로벌 올리고뉴클레오타이드 CDMO 시장은 2030년까지 연평균 20% 이상씩 성장할 것으로 전망(Towards Heatichare)되며, 공급 가능한 GMP 생산 설비를 보유한 업체 수가 제한적이라는 점에서 우수한 생산 역량을 갖춘 에스티팜에게 구조적 수혜가 예상됨.
- 투자의견 BUY 유지, 목표주가 19만원 유지:** 이미 확정된 물량이 실적의 하단을 지지하는 만큼 하방 경직성은 있으나, 추가적인 실적 업사이드 역시 단기적으로 크지 않을 수 있음. 그럼에도 주목해야 하는 이유는 아이오니스 파마슈티컬스(IONS US)와의 협력 모멘텀 때문임. 에스티팜은 아이오니스 파이프라인의 원료 공급 파트너로서 장기적 물량 확대 수혜를 받을 수 있는 위치. 단기 실적보다는 아이오니스 파이프라인의 임상 성공 및 상업화 속도에 연동된 중장기 성장 스토리에 대한 평가가 밸류에이션 프리미엄의 핵심 변수.

AT A GLANCE

현재주가	148,800원
시가 총액	3,092십억원
Shares (float)	20,777천주
120일-평균 거래대금	27십억원
52주 최저/최고	67,300원/160,600원
상대수익률 (3m/6m)	4.5% /10.4%
배당률 (25P)	0.4%
BVPS (25P)	28,377원
유통주식비율	62.0%
외국인 지분	10.7%
최대주주	동아쏘시오홀딩스 외 (37.5%)

Key data

	2024	2025P	2026E	2027E
매출액 (십억원)	274	332	415	513
영업이익 (십억원)	28	55	71	117
지배주주순이익 (십억원)	35	55	74	114
EPS (adj) (원)	1,780	2,700	3,565	5,486
EPS (adj) growth (%)	71.0	51.7	32.1	53.9
EBITDA margin (%)	19.5	25.7	25.1	28.9
ROE (%)	7.8	10.1	12.0	16.2
P/E (adj) (배)	50.0	44.2	41.8	27.1
P/B (배)	3.6	4.2	4.7	4.1
EV/EBITDA (배)	34.8	29.6	29.7	20.1
Dividend yield (%)	0.6	0.3	0.3	0.3

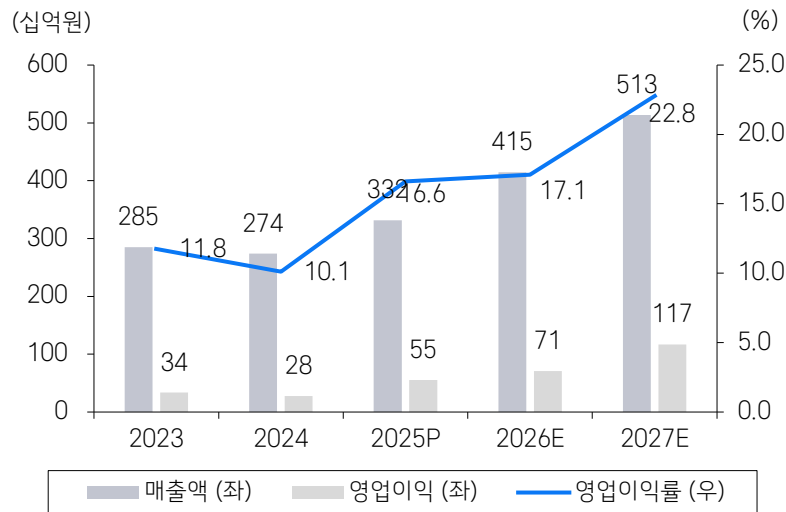
참고: 3월 5일 종가 기준
 자료: 에스티팜, 삼성증권 추정

에스티팜, 글로벌 Top-tiered 올리고뉴클레오타이드 CMO

▶ 고객사 상업화 물량 증대에 따른 실적 성장 및 생산 역량 강화

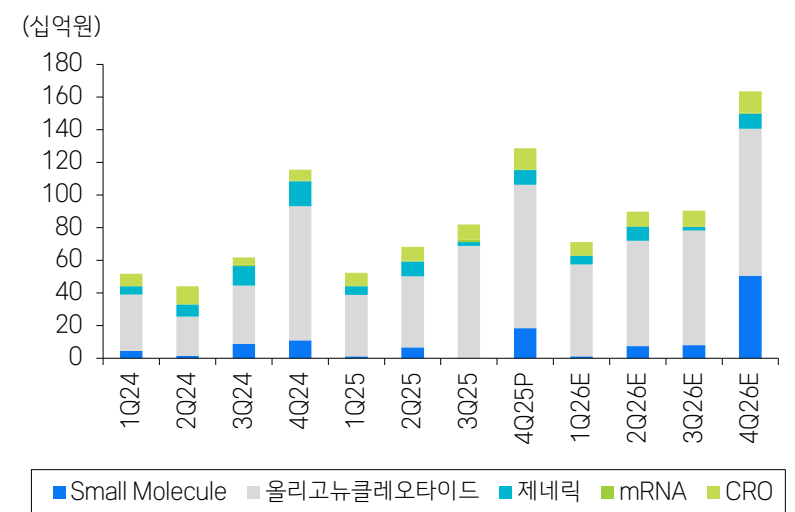
- 상업용 올리고 API 공급 확대에 따라 2026년 매출액 4,146억원(+25.1% y-y, 올리고뉴클레오타이드 CMO 매출액 2,810억원(+18.2% y-y)), 영업이익 709억원(+28.8% y-y)으로 수익성 대폭 개선될 전망.
- 2026년부터 본격 가동될 신규 생산 라인을 통해 글로벌 수요에 선제적으로 대응하며, 단일 공장 기준 세계 최대 수준의 생산 능력 확보.
- 대규모 증설을 통한 단위당 생산 원가 절감 및 상업화 단계로 전환되는 파이프라인이 늘어남에 따라 가동률 상승으로 인한 수익성 개선 기대. 고도의 공정 기술을 필요로 하는 올리고 CDMO 시장 내 Top-tier 입지를 굳히며, 2027년 매출액 5,000억원 도달 기대.

에스티팜 실적 추이 및 전망



자료: 에스티팜, 삼성증권 추정

에스티팜 사업부별 매출 추이 및 전망



자료: 삼성증권 정리

글로벌 빅파마항 CMO 물량 확대 전망

▶ 주요 고객사 제품 처방 확대 기대

- Rytelo(lmetelstat): 저위험 및 중간-1 위험군의 MDS(골수형성이상증후군) 환자 중 수혈 의존증 빈혈 치료제로 판매 중.
- Leqvio(Inclisiran): 2026년 이후 대규모 심혈관 결과 시험(CVOT)이 도출됨에 따라 본격적인 보험 급여 및 처방 확대 예상.
- Tryngolza(Olezarsen): 2025년 FCS(가족성 킬로미크론혈증 증후군) 적응증으로 출시 후 빠르게 침투 중이며, 2025년 매출액 1.1 억 달러 기록. 2026년 sHTS(고중성지방혈증) 적응증 확대 시 타겟 환자군이 수만 명 단위로 급증하여 매출 성장 예상.

에스티팜의 주요 고객사 및 제품

구분	비고
제론	<ul style="list-style-type: none"> • Rytelo(lmetelstat): telomerase 억제 • 저위험 및 중간-1 위험층의 MDS 환자 중 수혈 의존성 빈혈을 나타내며 ESA에 내성이 있거나 사용할 수 없는 성인 대상으로 승인 • 미국 외 유럽 시장 진출 준비(1H26) • MF(골수섬유증) P3 진행 중; AML(급성골수성백혈병)은 P2 진행 중
노바티스	<ul style="list-style-type: none"> • Leqvio(Inclisiran): PCSK9 억제 • 동맥경화성 심혈관 질환 또는 이형접합 가족성 고콜레스테롤 보조요법, Statin+ezetimibe 이후이상지질혈증 고위험군

자료: 삼성증권 정리

에스티팜의 주요 고객사 및 제품

구분	비고
바이오젠	<ul style="list-style-type: none"> • Spinraza(Nusinersen): SMN2 유전자 스플라이싱 조절 • SMA 치료제로 유아-성인 승인. 4개월 유지 투약 • 경쟁약물로 Zolgensma(단회, 유전자 치료제), Evrysdi(경구용), Apitegromab(Review 중) • 바이오젠은 차세대 약물 Salanersen: 연 1회, P3 진행 중
아이오니스	<ul style="list-style-type: none"> • TRYNGOLZA(Olezarsen): ApoC-III 억제 • FCS(가족성킬로미크론혈증 증후군)로 발매. 월 1회 투약 • sHTG, HTG(비유전성 중증 및 고중등도 고중성지방혈증)로 P3 결과 발표(25.9.2) 및 PDUFA(26.6) • 1인당 연간 1g 올리고 필요(FCS는 전세계 5,000명 수준, HTG는 20~30만명으로 연간 200~300kg 필요) • 경쟁 약물로는 애로우헤드의 Plozasiran(FCS, P3)

자료: 삼성증권 정리

올리고뉴클레오타이드 수요 예측

아이오니스 파이프라인 개발 현황 및 필요한 연간 생산량 산출

치료제	질환	타겟	단계	한번 투약 (mg)	투약 간격 (1년)	1인 연간 투약량 (mg)	타겟 환자 수 (1년)*	연간 필요 생산량 (kg)	비고
Spinraza(Nusinersen)	SMA	SMN2	판매	12	7	84	10,000	1	바이오젠
Waylivra(Volanersorsen)	가족성 중성지방혈증*	ApoCIII	판매	284	52	14,768	2,000	29	유럽 SOBI
WAINUA(Eplontersen)	유전성 아밀로이드증**	TTR	판매	285	48	13,680	5,000	74	아스트라제네카
Tryngolza(Olezarsen)	가족성 중성지방혈증	ApoCIII	판매	45	26	2,340	4,000	9	독자 상업화
Tegsedi(Inotersen)	유전성 아밀로이드증**	TTR	판매	80	52	2,080	10,000	20	독자 상업화
Pelacarsen	심혈관 질환	Apo(a)	P3	80	12	960	1,000,000	960	노바티스
Sefaxersen	IgA 신병증	Factor B	P3	80	26	82,080	8,000	16.6	로슈
Bepirovirsen	B형 간염 치료제	HBV	P3	300	6	1,800	1,000,000	1,800	GSK
Tonlamarsen	고혈압	Angiotensinogen	P2	120	4	480	10,000	4.8	Kardigan
Vupanorsen	고지혈증 치료제	ANGPTL3	P2	80	12	960	1,380,000	1,325	화이자
ION449(AZD8233)	이상지질혈증	PCSK9	P2	120	2	360	1,380,000	497	아스트라제네카
IONIS-MAPTrx	알츠하이머, 치매	TAU	P2	100	4	400	1,500,000	600	바이오젠
Tominersen	헌팅틴	HTT	P2	200	12	2,400	1,000	2.4	로슈
ION306	SMA	SMN2	P2	20	7	140	10,000	1.4	바이오젠
Olezarsen	심혈관 질환	ApoCIII	P3	50	12	600	1,000,000	600	
Donidarsen	유전성 혈관 부종	PKK	P3	80	12	960	20,000	20	
Zilganersen	알렌산더	GFAP	P3	100	6	600	3,000	1.8	
IONS582	앵겔만	UBE3A-ATS	P2	100	12	1,200	1,000	12	
ION269	알츠하이머	APP	P2	200	12	2,400	1,500,000	2,400	
ION717	프리온(광우병)	PRNP	P2	100	12	1,200	2,000	2.4	
ION356	펠리저우스-머즈바허	PLP1	P2	80	6+	480	1,000	0.48	
ION859	파킨슨	LRRK2	P2	200	12	2,400	500,000	1,200	
ION464	다계통 위축증/파킨슨	SNCA	P2	150	12	1,800	1,000,000	180	
ION440	MECP2 중복 증후군	MECP2	P2	60	6	360	300,000	1.1	

참고: 임상 2상 단계의 물질은 투약 용량 및 투약 간격 변동 가능; 미국, 유럽, 일본, 중국 등 선진국 내 타겟 환자 수의 10~20%로 가정; *, 유전적으로 LPL 결함된 극소수 환자만; **, Tegsedi는 hATTR-PN, Wainua는 hATTR-PN, ATTR-CM
 자료: 각 사 자료, 삼성증권 추정

#에스티팜

에스티팜 품목별 수주 잔고

품목 (단위: 1천)	수주일자	납기	적용증	결제 통화	수주총액	기납품액	수주잔고
올리고핵산치료제 신약 원료의약품 (Oligonucleotide)	2023.05	2025.12	혈액암(상업화)	USD	18,691	12,635	6,056
	2024.07	2025.12	혈액암(상업화)	USD	27,758	22,038	5,720
	2024.07	2025.12	혈액암(상업화)	USD	7,971	2,656	5,315
	2024.08	2026.12	고지혈증(상업화)	USD	63,263	29,719	33,544
	2024.12	2026.12	혈액암(상업화)	USD	10,486	-	10,486
	2024.11	2025.12	유전성 혈관부종(3상)	USD	1,687	-	1,687
	2025.01	2027.12	혈액암(상업화)	USD	14,518	-	14,518
	2025.01	2026.03	동맥경화증(3상)	USD	14,665	5,206	9,459
	2025.01	2026.06	IgA 신병증(3상)	CHF	2,269	-	2,269
	2025.02	2026.06	IgA 신병증(3상)	CHF	1,361	-	1,361
	2025.03	2025.12	가족성 킬로미크론혈증	USD	11,040	-	11,040
	2025.03	2026.12	혈액암(상업화)	USD	14,275	-	14,275
	2025.03	2026.12	혈액암(상업화)	USD	13,482	-	13,482
	2025.03	2026.12	미공개 siRNA	USD	3,258	-	3,258
	2025.05	2026.02	안구건조증	CHF	2,073	-	2,073
	2025.06	2026.04	가족성 킬로미크론혈증	USD	11,040	-	11,040
	2025.06	2026.04	가족성 킬로미크론혈증	USD	5,520	-	5,520
	2025.06	2026.12	혈액암(상업화)	USD	13,285	-	13,285
	2025.06	2025.12	당뇨병	USD	1,690	-	1,690
	2025.07	2026.12	혈액암(상업화)	USD	7,688	-	7,688
2025.08	2026.08	헌팅턴증후군	CHF	1,240	-	1,240	
	2026.01	2026.12	중증 고중성지방혈증	USD	56,340	-	56,340
글로벌제약사의 설비 투자 무상 지원 및 설비사용 수수료 지급	2020.1	2030.12	-	CHF	54,353	35,702	18,651
모노머	2024.10.	2025.12	MOR-PA	USD	3,980	717	3,263
저분자 화학합성 신약 원료의약품	2024.04	2025.06	소아 근위축증	USD	4,333	3,905	428
	2024.07	2025.09		USD	2,889	-	2,889
	2025.01	2025.10.		USD	7,222	-	7,222
	2025.05	2026.09		USD	7,222	-	7,222
	2025.05	2026.09		USD	7,666	-	7,666
	2025.06	2026.09		USD	7,666	-	7,666
	2025.04	2026.04	미공개	USD	5,029	-	5,029
제네릭 원료의약품	2024.12	2025.12	MRI 조영제	USD	7,665	-	7,665
	2025.07	2026.10.		USD	7,194	-	7,194
합계				USD	357,523	76,876	280,647
				CHF	61,296	35,702	25,594

참고: 3분기 사업보고서 기준, 신규 수주 반영; 납품 완료한 수주는 제외
자료: 에스티팜, 삼성증권 정리

아이오니스 파마슈티컬스 (IONS US) – 투자의견 Not Rated

- 희귀질환 중심에서 대중 질환으로 영역 확장:** 2026년 아이오니스는 ASO(Antisense oligonucleotide) 플랫폼 기반의 상업화 포트폴리오 확장로 로열티 수익 구조의 안정화가 기대. 현재 상업화된 주요 제품으로는 Spinraza(SMN), Wainua(ATTRv-PN), Tegsedi(ATTRv-PN), Tryngolza(FCS)가 있으며, 후속 제품으로 donisalorsen(유전성 혈관부종) 및 eplontersen(아스트라제네카 공동, ATTR 심근병증)의 상업화가 단계적으로 예정되어 있음. 향후 3년간 자체 브랜드 4종, 파트너 프로그램 4종 등 총 8건의 신규 출시가 가시권에 들어옴.
- 플랫폼 기술 고도화:** 과거 아이오니스는 전달체 부재로 임상 결과 면에서 앨나일램 대비 열세를 보였으나, GalNAc(LICA) 기술을 성공적으로 확보하며 반전에 성공. 이를 통해 간 타겟 파이프라인에서 우수한 효능과 안전성 입증하며 로슈, 아스트라제네카 등 글로벌 빅파마와의 파트너십 강화. 중추신경계 분야에서는 척수강 주사 방식 강점 활용해 Spinraza에서 출발해 HTT(헌팅턴), ALS(루게릭), 알츠하이머 등 파이프라인 확대 중. 뇌혈관장벽(BBB) 투과 효율을 극대화할 차세대 BBB 셔틀 기술 개발 및 확보(바이시클 테라퓨틱스(BCYC US), Vect-Horus 등과 협력)에 주력하며 기술적 우위를 지키기 위한 전략적 행보 지속.
- 수익성 개선 본격화 및 2028년 흑자 전환 기대:** 자체 상업화 비중 확대와 로열티 수입 증가에 힘입어 아이오니스의 수익 구조는 가파르게 개선될 것으로 기대. 다수의 신약이 시장에 안착하는 2028년을 기점으로 손익분기점을 통과하고 본격적인 이익 창출 구간에 진입할 것으로 예상. 향후 주요 파이프라인의 적응증 확대 승인 및 후기 파이프라인 임상 결과 등이 추가적인 업사이드 모멘텀으로 작용할 것으로 생각.

AT A GLANCE

현재주가	79.5 USD
블룸버그 평균목표주가	94.7 USD
시가총액	13.1 십억 USD
시가총액 (원)	19.0 조원
Shares (float)	160.9 백만주 (97.4%)
52주 최저//최고	24.0 USD, 86.7 USD
90일-평균거래대금	0.2 십억 USD
국가	US
상장거래소	NASDAQ GS
산업	Biotechnology

Key data

	2022	2023	2024	2025
매출액 (백만달러)	587	788	705	944
영업이익 (백만달러)	(410)	(354)	(475)	(382)
순이익 (백만달러)	(270)	(366)	(454)	(381)
EPS (adj) (달러)	(2)	(3)	(3)	(2)
EPS (adj) growth (%)	850.0	34.7	18.8	(21.7)
EBITDA margin (%)	(65.6)	(40.3)	(62.8)	n/a
ROE (%)	(40.1)	(76.3)	(93.1)	(70.7)
P/E (adj) (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
P/B (배)	9.4	18.9	9.4	26.2
EV/EBITDA (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
Dividend yield (%)	n/a	n/a	n/a	n/a

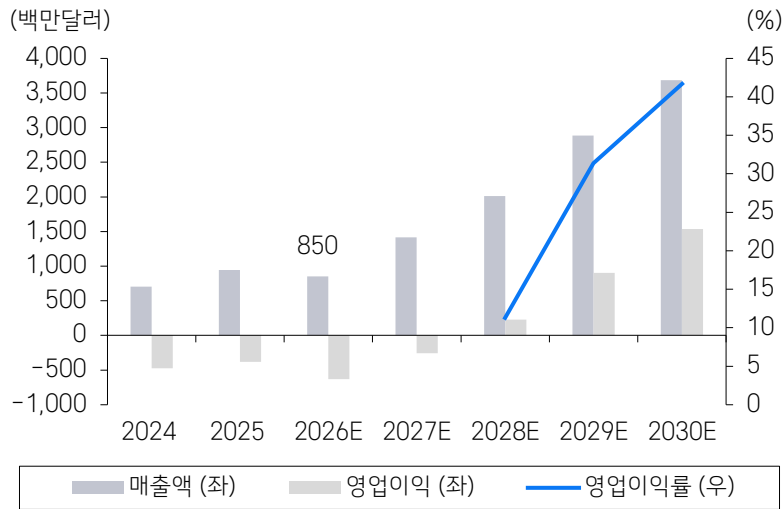
참고: 3월 5일 기준
자료: Bloomberg, 삼성증권

차세대 ASO 상업화: 로열티를 넘어선 자체 수익 구조 확보

▶ 2026년, 성장을 위한 변곡점

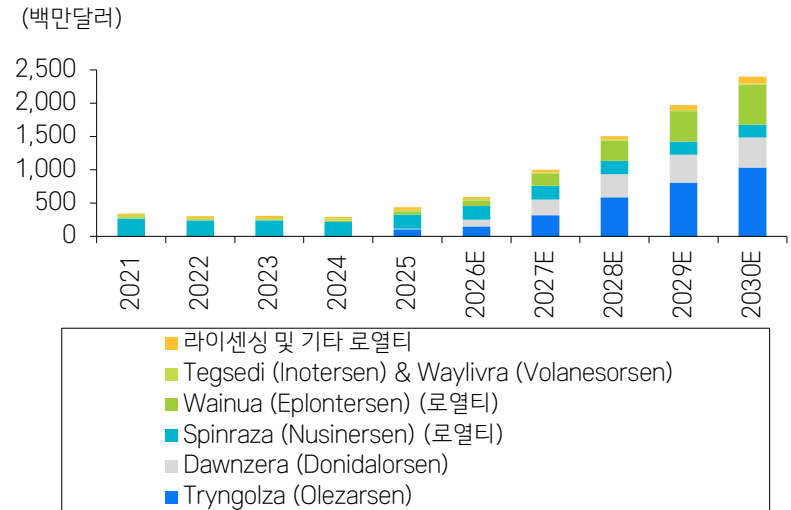
- 2025년 하반기부터 독립적 상업화 모델 기반으로 성과를 냈으며, 2026년에는 대규모 환자군을 보유한 sHTG(중증 고중성지방혈증) 시장 진출로 매출의 질적 성장 기대.
- 2026년 8~8.25억 달러 매출 가이드스 제시, 일회성 수익을 제외한 핵심 제품 매출이 전년 대비 20% 이상 고성장하고 있으며, 2028년 손익분기점 달성을 향한 로드맵 보유.
- RNA 치료제 분야의 선도적 기술력 바탕으로 희귀질환에서 만성질환으로 포트폴리오 확장하며 밸류에이션 리레이팅 구간에 진입.

아이오니스 실적 추이 및 전망



자료: Bloomberg, BloombergConsensus, 삼성증권

아이오니스 제품별 추이 및 전망



자료: Bloomberg, BloombergConsensus, 삼성증권

연이은 3상 데이터 도출 및 신약 승인

▶ 2026년 임상 결과의 해

- 2026년은 Pelacarsen(심혈관) 과 Sefaxersen(신장) 등 대형 적응증의 임상 3상 결과 발표가 집중되는 시기.
- 2026년에는 Zilganersen(알렉산더병) 및 Bepirovirsen(HBV)의 승인 신청, 2027~2028년에는 후속 신경계 파이프라인 데이터 발표와 4개 이상의 파트너사 협업 제품 출시 예정. 신경계와 간질환을 아우르는 다각화된 매출 구조 확립 기대.

파이프라인 주요 임상 결과 발표 일정

구분	약명	적응증	현황
심혈관	Pelacarsen	Lp(a) 유발 심혈관 질환	2026년 P3 HORIZON 결과 발표
대사	Olezarsen	중증 고중성지방혈증	2026년 6월 PDUFA 및 출시 예정
신경	Zilganersen	알렉산더병	2026년 하반기 미국 NDA 제출 예정
신경	ION582	엔젤만 증후군	2026년 P3 개시 2027년 P3 결과 발표
신장	Sefaxersen	IgA 신증	2026년 P3 IMAGINATION 결과 발표
간질환	Bepirovirsen	만성 B형 간염	2026년 FDA 허가 신청

자료: 아이오니스 파마슈티컬스, 삼성증권

아이오니스 주요 파이프라인

구분	약명	적응증	현황	파트너사
신경질환	Zilganersen (GFAP)	알렉산더병	P3	
	ION582 (UBE3A-ATS)	엔젤만 증후군	P3	
	ION717 (PRNP)	프리온 질환	P2	
	ION356 (PLP1)	펠리자우스-메르츠바허병	P2	
	ION464 (SNCA)	다계통위축증 & 파킨슨병	P2	
	ION440 (MECP2)	MECP2 중복 증후군	P2	
	Ulefnersen (FUS)	근위축성측삭경화증(ALS)	P3	오츠카
	Tofersen (SOD1)	SOD1 변이 기반 ALS / (전증상 SOD1)	P3	바이오젠
	IONIS-MAPTRx (TAU)	알츠하이머병	P2	바이오젠
	Tominersen (HTT)	헌팅틴병	P2	로슈
Salanersen (SMN2)	척수성 근위축증(SMA)	P2	바이오젠	
심대사질환	Olezarsen (ApoC-III)	중증 고중성지방혈증	FDA 승인	
	Eplontersen (TTR)	트랜스티레틴 아밀로이드 심근병증	P3	아스트라제네카
	Pelacarsen (Apo(a))	심혈관질환	P3	노바티스
	Tonlamarsen (AGT)	급성 중증 고혈압	P2	Kardigan
기타질환	Bepirovirsen (HBV)	B형간염 감염	P3	GSK
	Sefaxersen (CFB)	IgA 신병증	P3	로슈
	Sapablursen (TMPRSS6)	진성 적혈구증가증	P2	오노
	Opemalirsen (APOL1)	만성신장질환	P2	아스트라제네카

자료: 아이오니스 파마슈티컬스, 삼성증권

올릭스 (226950) - 투자의견 Not Rated

- 플랫폼 검증은 완료, 타겟의 경쟁력 입증 시기:** 올릭스는 간 적응증을 중심으로 일라이 릴리 (LLY US) (OLX702A, MARC1 비만·MASH)와 로레알(OR PA) (피부·모발), 한삼제약(03692 HK/Hansoh Pharma, 중화권 피부·안과) 등 3건의 파트너십을 연속으로 성사시키며 플랫폼 범용성 입증.
- 추가 기술 이전 가능성:** 2026년 주목해야 하는 파이프라인은 OLX501A(ALK7)로, 지방 분해 신호를 촉진하는 기전으로 GLP-1 계열과 병용 시너지가 가능함. 현재 원숭이 전임상에서 유의미한 데이터가 확보된 상태이며, 2026년 3월 NHP(원숭이) 데이터 공유 기대. 효력 데이터 기반으로 기술 이전 가능성 확인. IND 제출 목표는 2027년으로, 빠르게 움직이는 비만 siRNA 경쟁에서 선제적 파트너링이 중요한 상황. 일라이 릴리와 계약한 OLX702A(MARC1)의 임상 1b MAD 완료 예정, SAD 임상에서 10개월 이상 약효 지속 확인된 만큼 MAD 결과 확인 후 릴리가 후속 임상 진입할 것으로 기대. 또한 하반기 내 듀얼 타겟팅 전임상 데이터 공개 예정이며, 향후 대사질환 최적 조합 탐색의 근거가 되는 데이터가 될 것으로 기대. 연내 갈더마와 공동 개발 중인 OLX104C(탈모) 2a도 완료 예정. 임상 진전에 따른 마일스톤 유입 및 추가 딜도 기대.
- 투자 고려 상황:** 올릭스는 자체적인 GalNAc 접합 기술을 통해 간 타겟팅에서의 경쟁력 입증. 이제 비만 치료제 시장의 핵심인 지방조직 직접 타겟팅 및 BBB 통과 siRNA 기술 확보에 주력. 앨나일람, 아이오니스 등 글로벌 선두주자들이 CNS 진입을 위해 새로운 전달체를 도입하는 트렌드에 대응하여, 올릭스 역시 독자적인 BBB 셔틀 및 차세대 siRNA 기술을 고도화하는 중. 2026년 비만 치료제 전임상 결과 및 MASH 치료제 임상 결과 등이 구체화됨에 따라 밸류에이션 재평가 기대.

AT A GLANCE

현재주가	196,300원
시가 총액	3,963십억원
Shares (float)	20,190천주
120일-평균 거래대금	108십억원
52주 최저/최고	34,800원/196,300원
상대수익률 (3m/6m)	36.0%/60.8%
배당률 (25P)	n/a
BVPS (25P)	n/a
유통주식비율	82.9%
외국인 지분	10.4%
최대주주	이동기 외 (17.1%)

Key data

	2022	2023	2024	2025P
매출액 (십억원)	9	17	6	15
영업이익 (십억원)	(22)	(18)	(31)	(30)
지배주주순이익 (십억원)	(22)	(19)	(41)	(16)
EPS (adj) (원)	(1,260)	(1,139)	(2,369)	n/a
EPS (adj) growth (%)	적지	적지	적지	n/a
EBITDA margin (%)	(217.8)	(91.1)	(498.4)	n/a
ROE (%)	(46.2)	(33.0)	(120.1)	n/a
P/E (adj) (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
P/B (배)	5.2	4.9	19.9	n/a
EV/EBITDA (배)	(13.6)	(16.5)	(14.1)	n/a
Dividend yield (%)	0.0	0.0	0.0	n/a

참고: 3월 5일 종가 기준
 자료: 올릭스, 삼성증권

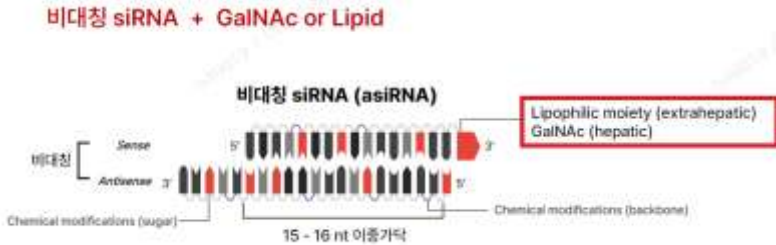
#올릭스

특허 회피의 기술

▶ 올릭스, 플랫폼 특허 기반 경쟁력 확보

- 올릭스는 siRNA(asymmetric siRNA) 구조 특허+ GalNAc 접합 특허(AMC 라이선싱) 두 축으로 앨나일랩 특허망 우회. 특히 3' end 에 dTdT 없이 21nt RNA만으로 구성된 guide strand가 RISC 복합체 형성 및 hAgo2 친화도를 높여 6배 이상 효능 향상.
- 또한 GWAS로 발굴한 새로운 타겟과 임상 진행을 통한 효능 검증으로 글로벌 제약사와의 협상에 있어서 유리한 입지 확보.

올릭스 주요 플랫폼 기술



자료: 올릭스, 삼성증권

올릭스 파이프라인 현황

구분	약명	적응증	현황	파트너사
Liver	OLX702A	MASH/비만	1상 (호주)	일라이릴리
	OLX706A	심혈관 질환	전임상	한삼제약
	OLX706B	대사성 질환	동물 POC	한삼제약
	OLX706C	심혈관 질환	전임상	한삼제약
	OLX702X	비만	Discovery	
	OLX702R	고혈압	Discovery	
Skin	OLX104C	탈모	1b/2a상 (호주)	
	OLX101A	비대흉터	2a상 완료(미국)	
Eye	OLX301A	건성/습성 황반변성	1상 완료(미국)	
	OLX304C	망막색소변성증	동물 POC	
Adipocyte	OLX501A	비만	동물 POC	
Dual Targeting Platform		대사성 질환, 심혈관 질환, 비만 등	동물 POC	
CNS Targeting Platform		뇌신경 질환	플랫폼 개발	

참고: 로레알과 피부 및 모발 재생 분야 파트너십 체결로 연구개발 진행 중 (구체 사항 비공개)
자료: 삼성증권

릴리는 왜 올릭스를 택했나?

▶ 글로벌 기업이 올릭스를 택한 이유

- OLX702A(MARC1 RNAi, MASH 치료제): 일라이 릴리에 기술 수출한 OLX702A는 호주에서 P1 MAD 진행 중으로 2Q26 투약 완료 예상. MARC1 RNAi 포함 듀얼 타겟에 대해서도 옵션 행사 기대. MARC1 유전 변이는 NAFLD 및 간 관련 사망률과 연관. 일라이 릴리가 자체 개발 중인 siRNA 타겟과 겹치지 않아 올릭스의 파이프라인이 독자적 가치를 가짐.
- SAD 1회 투여 후 10개월 이상 약효 지속 확인된 만큼 GalNAc-siRNA 평균 반감기(~6개월) 대비 유의미하게 우수. 단독 모달리티로서 지방간 감소율 역시 60~80% 수준으로 효능 측면에서도 우수. 현재까지 우려할 이상반응 보고 없음.

올릭스 공동개발 및 라이선스 계약 내용

구분	약명	적용증	현황
21.10	한삼제약 (Hansoh Pharma)	4.51억 달러	심혈관 및 대사질환 치료제 후보물질 주계약: 올릭스의 GalNAc-asiRNA 플랫폼 기술을 이용해 한삼제약이 제시한 타겟에 대한 2종의 신약 후보물질을 제공. 옵션계약: 올릭스가 주계약의 첫번째 후보물질 도출을 완료한 때부터 90일 전까지 한삼제약은 올릭스의 GalNAc-asiRNA 기반 기술을 이용한 최대 2종의 추가 후보물질에 대해 옵션 행사 가능.
25.2	일라이 릴리	6.3억 달러	OLX702A 계약체결 후 올릭스는 릴리에게 독점적 라이선스를 부여함. 올릭스는 OLX702A에 대한 임상 1상 활동을 계속하여 완료하고, 릴리는 후속 연구, 개발, 상업화를 수행함. ※ 타겟 유전자인 'MARC1'과 하나 이상의 다른 타겟 유전자를 동시에 표적으로 하는 치료제를 개발할 경우 릴리는 동 치료제에 대한 우선적인 권리를 가지며, 이로 인해 상기 총 계약금액이 추가되거나 독점적 협상이 진행될 수 있음.
25.6	로레알	수백만 유로 (세부 미공개)	피부 및 모발 재생과 수명 연장 올릭스는 siRNA 기반 피부·모발 재생 공동 연구의 결과물 개발을 주도하며 로레알은 이에 대한 연구비를 지원. 로레알은 향후 라이선스 포함 추가 계약체결에 대한 독점 협상권을 보유.

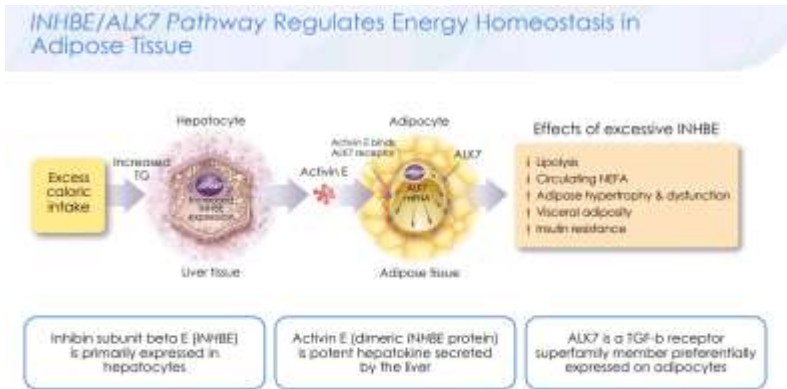
자료: 삼성증권

새로운 기술 이전 가능성

▶ ALK7 siRNA, 협상 테이블로 올라가기 위한 준비는 진행 중. 전신 딜리버리로 지방 조직에도 siRNA 전달되는지 확인

- 기전: 간에서 생성된 INHBE(Activin E)가 혈액을 타고 돌아 지방 세포의 ALK7 수용체에 결합하면, 지방 분해가 억제되어 체지방이 쌓임. 이 경로를 차단하면 지방 분해가 촉진되어 내장 지방과 간 지방이 선택적으로 감소, GLP-1 계열의 단점인 근육 소실이 거의 없음.
- 경쟁 현황: 애로우헤드가 ARO-INHBE와 데이터 동시 공개. siRNA 모달리티 장점인 장기 지속성과 지방 세포 선택적 작용하는 기전으로 근감소 최소화 가능성 확인. GLP-1 계열 약물 대비 차별화로 이어질 수 있다고 생각.
- 기존 경쟁 회사 대비 ALK7 siRNA 개발 격차 2~3년 수준. 올릭스가 경쟁력 있는 데이터를 발표하면 라이선스-아웃 협상 테이블이 열릴 것으로 기대.

INHBE, ALK7 작용 기전



자료: 애로우헤드, 삼성증권

기업별 INHBE/ALK7 siRNA 파이프라인 비교

구분	파이프라인	타겟	단계	비고
애로우헤드	ARO-INHBE	INHBE	P 1/2	TRiM 전달체 사용; 마운자로 병용시 내장 지방 -23.2%. 단독으로 -15.6%
	ARO-ALK7	ALK7	P 1/2	TRiM 전달체 사용; 8주 차단 회 투여로 내장지방 -14.1%
앨나일랩	ALN-INHBE	INHBE	전임상	GalNAc 전달체 사용
	ALN-2232	ALK7	전임상	C16 전달체 사용
웨이브 라이프 사이언스	WVE-007	INHBE	P1	GalNAc 적달체 사용; 3개월 차 체지방 -4.5%
올릭스	OLX501A	ALK7	전임상	전달체 미공개; 원숭이 데이터 발표 예정

자료: 삼성증권 정리

알지노믹스(476830) - 투자의견 Not Rated

- Trans-splicing Ribozyme 기반의 멀티 교정 플랫폼:** 알지노믹스는 'Trans-splicing Ribozyme' 기술을 활용해 표적 mRNA를 절단함과 동시에 정상 서열을 접합하는 양방향 RNA 편집 플랫폼 보유. ADAR 효소 기반의 단일 염기 치환 방식(웨이브 라이프 사이언스 등)과 달리, 세포 내 독자적인 기전을 통해 독립적 입지 구축. 단일 돌연변이만 교정 가능한 기존 기술의 한계를 넘어, 하나의 물질로 다수의 변이를 동시 교정하는 '멀티 교정' 역량을 입증하며 일라이 릴리(LLY US)의 선택을 받음.
- 파이프라인 업데이트:** RZ-001(간암·교모세포종)은 hTERT 교정과 HSVtk 발현을 통한 이중 기전 항암제로, 현재 임상 1b/2a상 진행 중. 2026 AACR에서 원발성 간암 환자에 대해 티센트릭+아바스틴+RZ-001 요법에 대한 중간 데이터 구두 발표 예정. 티센트릭+아바스틴 간암 1차 P3(IMbrave150)에서 ORR 27.3%-30%, CR 8-11% 수준으로 RZ-001 add-on 시에 ORR 40% 이상 보여준다면 강력한 경쟁력을 가질 수 있음. 교모세포종 임상에 대해서는 하반기 업데이트 기대.
- 릴리와 협업은 순항 중:** 2025년 5월에 일라이 릴리와 난청 치료제 개발과 관련해 옵션 계약 체결(계약 규모 13억 달러). 현재 디스커버리 단계이며, 향후 후보물질 선정 등이 첫 마일스톤 트리거가 될 가능성 높으며 일라이 릴리는 복수의 치료 타겟에 대해 요청할 수 있음. 일라이 릴리는 유전성 난청을 단일 기술로 커버할 수 없는 다변이 질환으로 인식, 알지노믹스 뿐만 아니라 아쿠오스(Akouos) 인수를 통해 확보한 AK-OTOF(OTOF AAV 유전자 치료제) 파이프라인 개발 및 DNA 편집 기술을 보유한 심리스(Seamless)와의 협업을 통해 기술 층위별 포트폴리오를 구축, 알지노믹스와의 경쟁이 아닌 보완 관계로 해석. RZ-003(알츠하이머)과 RZ-004(망막색소변성)도 MTA 계약 이후 기술 검증 진행 중.
- 투자 고려 상황:** 글로벌 제약사와의 제휴로 플랫폼의 범용성을 입증했다는 점은 긍정적. 다만, 임상 초기 단계로 효능 데이터가 아직 제한적이며, 비공개 상태인 기술수출 계약 규모와 AAV 벡터 사용에 따른 유전자 크기 제한 및 전신 투여 면역 반응 극복은 중장기 해결 과제로 남아있음.

AT A GLANCE

현재주가	151,100원
시가 총액	2,105십억원
Shares (float)	13,934천주
120일-평균 거래대금	120십억원
52주 최저/최고	90,000원/193,900원
상대수익률 (3m/6m)	n/a
배당률 (25P)	n/a
BVPS (25P)	n/a
유통주식비율	77.5%
외국인 지분	1.8%
최대주주	이성욱 외 (16.6%)

Key data

	2022	2023	2024	2025P
매출액 (십억원)	0	0	0	7
영업이익 (십억원)	(19)	(16)	(13)	(15)
지배주주순이익 (십억원)	(32)	(14)	(19)	(105)
EPS (adj) (원)	(3,927)	(1,602)	(2,146)	n/a
EPS (adj) growth (%)	적지	적지	적지	n/a
EBITDA margin (%)	n/a (10,143.2)		n/a	n/a
ROE (%)	61.9	19.8	22.4	n/a
P/E (adj) (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
P/B (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
EV/EBITDA (배)	n/a	n/a	n/a	n/a
Dividend yield (%)	n/a	n/a	n/a	n/a

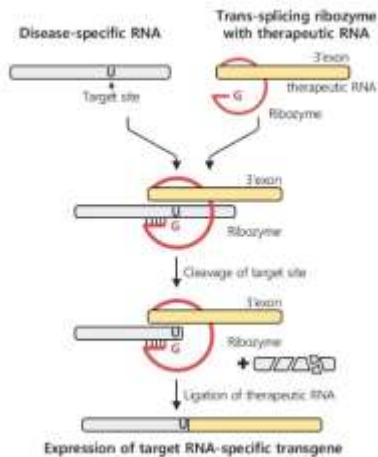
참고: 3월 5일 종가 기준
 자료: 알지노믹스, 삼성증권

RNA 편집 플랫폼의 진화와 글로벌 빅파마 파트너십

▶ 릴리와의 계약을 통한 기술 범용성 및 상업적 가치 증명

- Trans-splicing Ribozyme: 질병의 원인이 되는 표적 mRNA를 정밀하게 절단하는 동시에, 그 자리에 정상적인 유전 서열을 접합하여 기능을 회복시키는 알지노믹스만의 독자적인 양방향 RNA 편집 기술.
- 일라이 릴리와의 계약: 알지노믹스는 릴리와 난청 치료제 개발을 위해 총 13억 달러 규모의 옵션 계약 체결. 릴리로부터 연구비를 지원 받아 후보물질 도출 단계 진행.

알지노믹스 주요 플랫폼 기술



자료: 삼성증권

알지노믹스 공동개발 및 라이선스 계약 내용

구분	내용
계약상대방	• 일라이 릴리 (LLY US), 미국
계약형태	• Research Collaboration and License Agreement
대상 기술	• RNA 치환효소 플랫폼 (Trans-splicing ribozyme) (타겟별 후보물질 발굴, 표적 특이 RNA 치환효소 및 벡터 최적화 기술)
계약내용	<ul style="list-style-type: none"> • 알지노믹스의 RNA 치환효소 플랫폼 기술 활용한 유전성 난청질환 치료제의 공동연구 및 상업화 권리 이전 (타겟 별로 개발 옵션 행사 시 사전에 정해진 조건에 따라 마일스톤 수령) • 알지노믹스는 초기단계의 연구 및 후보물질 발굴을 담당하고, 일라이 릴리는 전임상/임상 등 후기단계의 개발 및 생산, 상업화를 담당 • 한도 내 타겟별 연구비 및 연간 목표 판매량 기준에 따른 로열티 별도 지급
계약기간	• 2025.05.13 ~ 로열티 기간 종료일까지
총 계약금액	• 13억달러, 경상 로열티 별도

자료: 알지노믹스, 삼성증권

RZ-001 임상 PoC 입증을 통한 플랫폼 검증

▶ 첫 인체 임상 데이터 확보를 통한 기술적 안전성 및 후속 파이프라인 신뢰도 제고

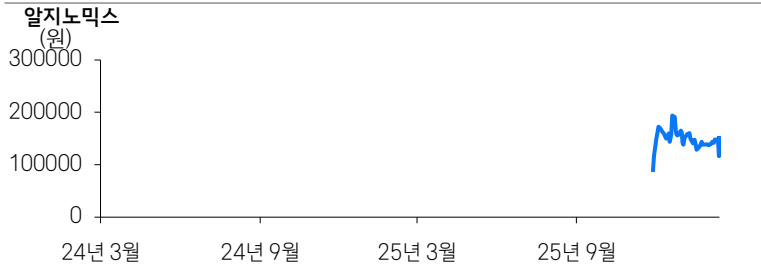
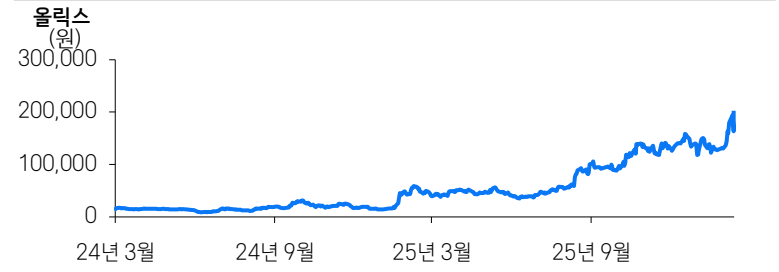
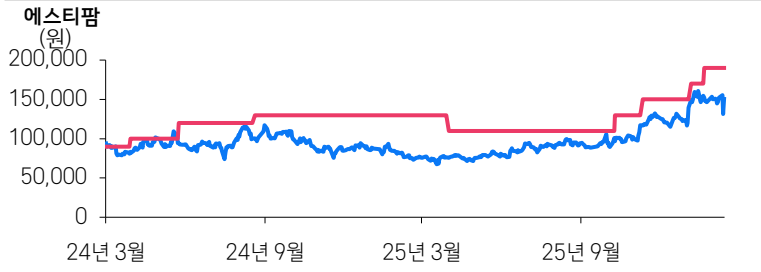
- 2026년 발표 예정인 RZ-001의 PoC 결과는 알지노믹스 플랫폼 기술이 인체 내에서 작동함을 증명하는 첫 번째 이정표가 될 것.
- 플랫폼 기술을 공유하는 RZ-003, RZ-004 등 후속 파이프라인의 성공 가능성을 높여주는 근거가 될 수 있음.
- 첫 플랫폼 기술의 임상적 입증은 글로벌 빅파마와의 추가 기술 수출 협상에서 강력한 협상력을 부여. 기업 전체 파이프라인에 대한 밸류에이션 리레이팅으로 작용 가능.

알지노믹스 파이프라인

구분	파이프라인/기전	적응증	임상 국가	마일스톤	임상 단계	파트너사
항암제	RZ-001 (hTERT RNA 절단, HSV-tk 접합시켜 암세포만 선택적으로 사멸)	간암(면역 병용)	한국/미국	FDA Fast track (25.2) FDA ODD(24.1)	병용 임상 1b/2a 진행 중	임상 파트너십(약물 무상 공급) 로슈, 셀트리온
		교모세포종	한국/미국	FDA Fast track(23.11) FDA ODD(24.10)	임상 1/2aPart A 진행 중	
퇴행성 질환	RX-003 (돌연변이 ApoE4 RNA 잘라내고 WT RHO로 치환)	알츠하이머	한국/미국		전임상	글로벌 기업과 MTA 체결
안과질환	RX-004 (돌연변이 RHO RNA 잘라내고 WT RHO로 치환)	망막색소변성증	호주		임상 1b/2aPart A 진행 중	글로벌 기업과 MTA 체결
신경발달질환	RZ-005 (돌연변이 MeCP2 RNA 잘라내고 WT MeCP2로 치환)	Rettsyndrome	한국/미국		후보물질 도출	
기타	Platform License Deal					25.5, 연구협력 및 라이선스 계약체결 Eli Lilly

자료: 알지노믹스, 삼성증권

최근 2년간 투자의견 및 목표주가 변경 추이



최근 2년간 투자의견 및 목표주가 변경 추이

에스티팜

일자	2023/11/2	2024/4/18	6/13	9/9	2025/4/21	10/30	12/1	2026/1/26	2/10
투자의견	BUY	BUY	BUY	BUY	BUY	BUY	BUY	BUY	BUY
TP (원)	90,000	100,000	120,000	130,000	110,000	130,000	150,000	170,000	190,000
과리율 (평균)	-22.92	-6.16	-21.35	-32.21	-21.42	-22.04	-16.82	-9.79	
과리율 (최대or 최소)	7.00	9.60	-3.83	-10.00	-3.91	-10.00	-6.93	-5.53	

올릭스

일자	2026/3/5
투자의견	Not Rated
TP (원)	n/a
과리율 (평균)	
과리율 (최대or 최소)	

알지노믹스

일자	2026/3/5
투자의견	Not Rated
TP (원)	n/a
과리율 (평균)	
과리율 (최대or 최소)	

Compliance Notice

- 당사는 2026년 3월 4일 기준으로 지난 1년간 알지노믹스의 증시 상장의 대표주관회사로 참여한 적이 있습니다.
- 본 조사분석자료의 애널리스트는 2026년 3월 4일 현재 위 조사분석자료에 언급된 종목의 지분을 보유하고 있지 않습니다.
- 당사는 2026년 3월 4일 현재 위 조사분석자료에 언급된 종목의 지분을 1% 이상 보유하고 있지 않습니다.
- 본 조사분석자료에는 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 애널리스트의 의견이 정확하게 반영되었음을 확인합니다.
- 본 조사분석자료는 당사의 저작물로서 모든 저작권은 당사에게 있습니다.
- 본 조사분석자료는 당사의 동의 없이 어떠한 경우에도 어떠한 형태로든 복제, 배포, 전송, 변형, 대여할 수 없습니다.
- 본 조사분석자료에 수록된 내용은 당사 리서치센터가 신뢰할 만한 자료 및 정보로부터 얻어진 것이나, 당사는 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없습니다. 따라서 어떠한 경우에도 본 자료는 고객의 주식투자의 결과에 대한 법적 책임소재에 대한 증빙자료로 사용될 수 없습니다.
- 본 조사분석자료는 기관투자가 등 제3자에게 사전 제공된 사실이 없습니다.

감사합니다

삼성증권

삼성증권주식회사

서울특별시 서초구 서초대로74길 11(삼성전자빌딩)

Tel: 02 2020 8000 / www.samsungcp.com

삼성증권 Family Center: 1588 2323

고객 불편사항 접수: 080 911 0900



Member of
Dow Jones
Sustainability Indices
Powered by the S&P Global 500