

## Issue Comment

2017. 4. 4

# 제넥신 095700

## PGHD 임상 2상 중간결과 발표, 순항 중

### 제약/바이오

Analyst 이태영  
02. 6098-6658  
taeyoung.lee@meritz.co.kr

### 소아성장호르몬결핍증(PGHD) 치료 임상 2상 중간결과 발표

지난 4월 1일 미국 플로리다 올랜도에서 열린 세계 최대 내분비학 학회인 ENDO 2017에서 현재 개발 중인 지속형 성장호르몬 GX-H9의 소아 성장호르몬 결핍증 환자 대상 임상 2상에 대한 중간 결과 발표. 소아 대상 임상 결과 대조군인 1일 1회 투여 군의 연간 키 성장률 12.7cm대비 월 2회 투여 시 12.4cm(-2.3%)의 키 성장률 확인. 주 1회 투여의 경우 0.8mg/kg, 1.2mg/kg 을 투여한 환자 군이 각각 10.7cm, 15.3cm의 성장률을 기록. 본 데이터는 전체 목표 피험자의 약 50%인 24명의 3개월 추적 관찰 결과를 바탕으로 측정. 현재 모집 환자수는 53명으로 2분기 중 임상 완료 기대

### 경쟁 파이프라인 대비 효과 및 부작용 측면에서 우위 선점

대부분의 경쟁사의 경우 주1회투여에 대한 임상 결과를 측정하고 있어 2주 1회 투여임상에서 비열등성(non-inferiority)을 입증한 동사는 해당 시장에서의 우위를 선점할 가능성이 높아짐. 뿐만 아니라 대조군 대비 유사한 수준의 부작용이 나타나 면역원성 등의 부작용이 일부 존재하는 경쟁사 대비 안전성 측면의 차별성 역시 확보. 특히 이러한 안전성은 hyFc 플랫폼에 대한 신뢰도를 높여주는 요소로도 작용

### 2020년 4조원 규모로 확대 기대 되는 시장에서 높은 점유율 차지 전망

기존 글로벌 제품들의 특히 만료에 따라 다소 주춤했던 성장호르몬 시장은 지속형 주사제의 허가에 따라 다시 성장세에 접어들어 2020년 4조원 규모로 확대 예상. GX-H9이 중간결과와 유사한 임상적 효과를 향후 완료될 임상을 통해 증명할 경우, 확대되는 지속형 주사제 시장에서 우수한 유효성과 안전성을 바탕으로 높은 시장 점유율을 차지해 나갈 전망. 현재 주요 제품 판매사 중 후속 파이프라인을 보유하지 않은 회사는 Eli Lilly, Merck Serono, Genentech 등이 있음. 이들 회사의 제품은 현재 모두 특허가 만료되어 시장 점유율 축소가 불가피한 상황. 이번 임상 결과 발표에 따라 상기 언급한 회사들의 동사에 대한 관심도 높아질 전망

표1 개발 중인 주요 지속형 성장호르몬의 파이프라인 별 특징

| 원개발사/파트너사 | 제넥신/한독                     | Ascendis  | Versartis                                    | OPKO/Pfizer                 | Novo Nordisk        |
|-----------|----------------------------|---|--|-----------------------------|---------------------|
| 개발명       | GX-H9                      | ACP-001   | somavaratan(VRS-317)                         | somatrogon(MOD-4023)        | NNC-0195-0092       |
| 작용지속기전    | 지속형 Hybrid 항체에 인간 성장호르몬 접합 | Polyethylene Glycol(PEG)와 특수 Linker를 이용 인간성장호르몬을 서서히 방출 | XTEN 반감기 연장 기술, 인간성장호르몬 단백질 양측 말단에 추가 단백질 도입 | 인간성장호르몬 단백질 C 말단에 추가 단백질 도입 | 인간성장호르몬에 Albumin 접합 |
| 희귀의약품 지정  | 미국                         | 미지정   | 미국, 유럽                                       | 미국, 유럽                      | 미지정                 |
| CMC       | 유전자 재조합                    | 화학 접합   | 유전자 재조합                                      | 유전자 재조합                     | 화학 접합               |

주: CMC(Chemical, manufacturing and Control; 개발 및 품질관리기법)

자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

표2 각 파이프라인 별 소아 대상 임상 일정 및 결과

| 원개발사/파트너사                  | 제넥신/한독   | Ascendis   | Versartis                                | OPKO/Pfizer                    | Novo Nordisk                       |
|----------------------------|--|--|--|--------------------------------|------------------------------------|
| 개발명                        | GX-H9  | ACP-001  | somavaratan (VRS-317)                    | somatrogon (MOD-4023)          | somapacitan (NNC-0195-0092)        |
| 현재 단계                      | 임상 2상 진행중  | 임상 3상 시작   | 임상 3상 진행중                                | 임상 3상 진행중                      | 임상 2상 진행중                          |
| 예상 종료일                     | 1H17   | '18.12   | '17.8                                    | '19.2                          | '20.4                              |
| 모집 대상 국가                   | 유럽   | 미국   | 글로벌                                      | 미국                             | 글로벌                                |
| 모집(목표) 환자 수                | 48   | 150  | 136                                      | 220                            | 60                                 |
| 디자인                        | 무작위 배정, 개방 표지, Genotropin과의 비교   | 무작위 배정, 개방 표지, Genotropin과의 비교                                 | 무작위 배정, 개방 표지, 재조합인간 성장호르몬과의 비교          | 무작위 배정, 개방 표지, Somatropin과의 비교 | 무작위 배정, 일부 개방 표지, Norditropin과의 비교 |
| 투여방법                       | 주 1회, 2주 1회  | 주 1회   | 2주 1회                                    | 주 1회                           | 주 1회                               |
| 주 평가 변수                    | 연간 키 성장 속도   | 연간 키 성장 속도   | 연간 키 성장 속도                               | 연간 키 성장 속도                     | 연간 키 성장 속도                         |
| 중간/최종 결과<br>(가장 최근 발표된 결과) | 임상 2상 중간 분석<br>대조군 12.7cm<br>주 2회 12.4cm<br>주 1회(고용량) 15.3cm<br>주 1회(저용량) 10.7cm | 임상 2상 결과<br>대조군 11.6cm<br>주 1회(고용량) 13.9cm<br>주 1회(저용량) 11.9cm | 임상 2상 결과<br>5.9~10.3(1년)<br>5.5~10.2(2년) | 임상 2상 결과<br>12.2~13.6cm        | 발표된 Data 없음                        |
| 부작용                        | No Issue   | 약물에 대한 면역작용 발생   | 약물에 대한 면역작용 발생                           | 약물에 대한 면역작용 발생                 | 발표된 Data 없음                        |

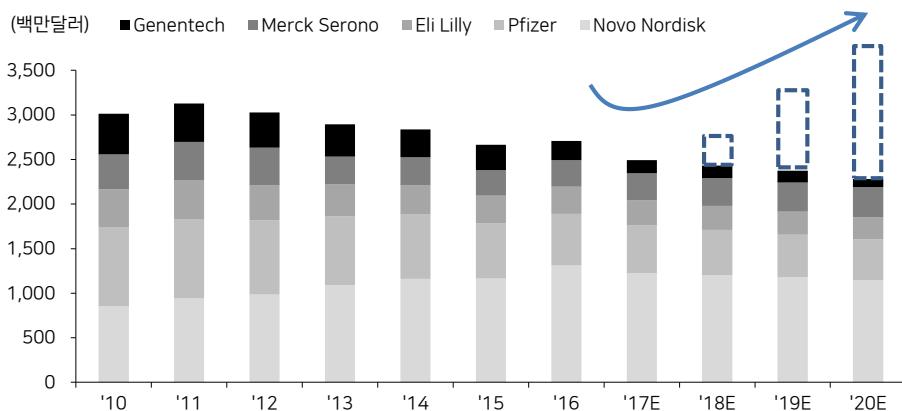
자료: Cortellis, Clinicaltrials.gov, 메리츠종금증권 리서치센터

표3 각 파이프라인 별 성인 대상 임상 일정 및 결과

| 원개발사/파트너사                  | 제넥신/한독  | Ascendis                   | Versartis                            | OPKO/Pfizer                | Novo Nordisk                |
|----------------------------|---|----------------------------|--------------------------------------|----------------------------|-----------------------------|
| 개발명                        | GX-H9   | ACP-001                    | somavaratan (VRS-317)                | somatrogon (MOD-4023)      | somapacitan (NNC-0195-0092) |
| 현재 단계                      | 임상 2상 진행중   | 임상 2상 완료                   | 임상 2상 완료                             | 임상 3상 실패                   | 임상 3상 진행중                   |
| 예상 종료일                     | 2Q17  | 완료                         | 완료                                   | 완료                         | 2Q18                        |
| 모집 대상 국가                   | 유럽/한국   | 유럽                         | 유럽/미국                                | 미국                         | 글로벌                         |
| 모집(목표) 환자 수                | 45  | 37                         | 36                                   | 189                        | 280                         |
| 디자인                        | 무작위 배정, 개방표지 방식, Genotropin과 비교                   | 개방표지방식, Omnitrope와 비교      | 개방표지방식, 대조군 없음                       | 무작위 배정, 이중 눈가림, 위약 대조      | 무작위 배정, 이중 눈가림, 위약 대조       |
| 투여방법                       | 주 1회  | 주 1회                       | 월 1회                                 | 월 1회                       | 주 1회                        |
| 주 평가 변수                    | 시간 및 용량에 따른 IGF-1 수치의 변화                          | IGF-1 수치의 변화               | IGF-1 수치의 변화                         | 트렁크 지방의 변화                 | 트렁크 지방의 변화                  |
| 중간/최종 결과<br>(가장 최근 발표된 결과) | 임상 2상 중간분석<br>모든 환자가 Genotropin 대비 $\pm 2$ SDS 이내 | 임상 2상 결과<br>Daily제형과 차이 없음 | 임상 2상 결과<br>투여 전 대비 +2 SDS인 환자 98.4% | 임상 3상 결과<br>위약과의 차이 밝히지 못함 | 발표된 Data 없음                 |

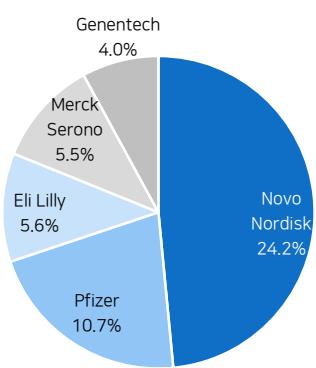
자료: Cortellis, Clinicaltrials.gov, 메리츠종금증권 리서치센터

그림1 지속형 성장호르몬의 등장에 따라 전체 시장은 다시 성장할 전망



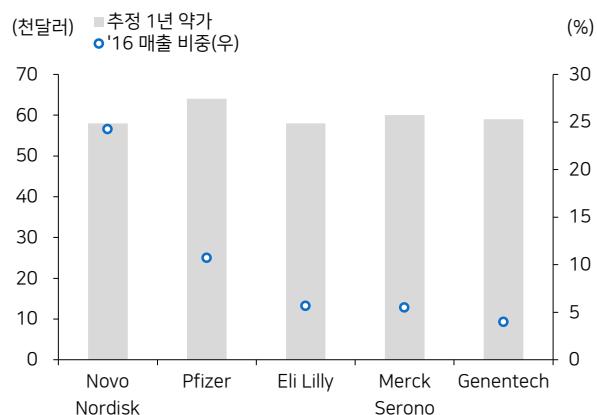
자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

그림2 '16년 기준 주요 5개 제품의 매출 비중



자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

그림3 추정 1년 약가와 '16년 시장 점유율



자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

표4 주요 제약사별 특허만료 및 후속제품 준비 현황

| 주요 판매사       | 상품명         | 추정 1년 약가(달러) | 미국 특허 만료             | 후속 제품 |
|--------------|-------------|--------------|----------------------|-------|
| Novo Nordisk | Norditropin | 58,000       | 2017 개발중             |       |
| Pfizer       | Genotropin  | 64,000       | 2013 개발중 (with OPKO) |       |
| Eli Lilly    | Humatrope   | 58,000       | 2014 없음              |       |
| Merck Serono | Saizen      | 60,000       | 2016 개발 실패           |       |
| Genentech    | Nutropin AQ | 59,000       | 2014 개발 실패           |       |

자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

표5 지속형 성장호르몬 관련 라이선스 계약 현황

| 계약일        | 원개발사      | 파트너사   | 계약 내용            | 계약 당시 개발 단계 | Upfront (백만달러) | Milestone (백만달러) | Total (백만달러) |
|------------|-----------|--------|------------------|-------------|----------------|------------------|--------------|
| 2014-12-15 | OPKO      | Pfizer | 전 세계 판권 라이선스 아웃  | 임상 3상 진행중   | 295            | 275              | 570          |
| 2016-08-05 | Versartis | Teijin | 일본 지역 판권 라이선스 아웃 | 임상 3상 진행중   | 40             | 125              | 165          |

자료: Cortellis, 메리츠종금증권 리서치센터

**Compliance Notice**

동 자료는 작성일 현재 사전고지와 관련한 사항이 없습니다. 당사는 동 자료에 언급된 종목과 계열회사의 관계가 없으며 2017년 4월 4일 현재 동 자료에 언급된 종목의 유가증권(DR, CB, IPO, 시장조성 등) 발행 관련하여 지난 6개월 간 주간사로 참여하지 않았습니다. 당사는 2017년 4월 4일 현재 동 자료에 언급된 종목의 지분을 1%이상 보유하고 있지 않습니다. 당사의 조사분석 담당자는 2017년 4월 4일 현재 동 자료에 언급된 종목의 지분을 보유하고 있지 않습니다. 본 자료에 게재된 내용들은 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 작성되었음을 확인합니다. (작성자: 이태영)

동 자료는 투자자들의 투자판단에 참고가 되는 정보제공을 목적으로 배포되는 자료입니다. 동 자료에 수록된 내용은 당사 리서치센터의 추정치로서 오차가 발생할 수 있으며 정확성이나 완벽성은 보장하지 않습니다. 동 자료를 이용하시는 분은 동 자료와 관련한 투자의 최종 결정은 자신의 판단으로 하시기 바랍니다.