

이 보고서는 코스닥 기업에 대한 투자정보 확충을 위해 발간한 보고서입니다.

기술분석보고서

 YouTube 요약 영상 보러가기

# 올릭스(226950)

## 제약/생명과학

요약

기업현황

시장동향

기술분석

재무분석

주요 변동사항 및 전망



작성기관

NICE평가정보(주)

작성자

박지원 책임연구원

- 본 보고서는 「코스닥 시장 활성화를 통한 자본시장 혁신방안」의 일환으로 코스닥 기업에 대한 투자정보 확충을 위해, 한국거래소와 한국예탁결제원의 후원을 받아 한국IR협의회가 기술신용평가기관에 발주하여 작성한 것입니다.
- 본 보고서는 투자 의사결정을 위한 참고용으로만 제공되는 것이므로, 투자자 자신의 판단과 책임하에 종목선택이나 투자시기에 대한 최종 결정을 하시기 바랍니다. 따라서 본 보고서를 활용한 어떠한 의사결정에 대해서도 본회와 작성기관은 일체의 책임을 지지 않습니다.
- 본 보고서의 요약영상은 유튜브로도 시청 가능하며, 영상편집 일정에 따라 현재 시점에서 미게재 상태일 수 있습니다.
- 카카오톡에서 “한국IR협회” 채널을 추가하시면 매주 보고서 발간 소식을 안내 받으실 수 있습니다.
- 본 보고서에 대한 자세한 문의는 작성기관(TEL.02-2124-6822)로 연락하여 주시기 바랍니다.

# 올릭스(226950)

독자적인 원천기술 확보와 전략적 포트폴리오를 바탕으로 한 핵산치료제 개발 전문기업

## 기업정보(2020/07/31 기준)

대표자	이동기
설립일자	2010년 02월 26일
상장일자	2018년 07월 18일
기업규모	중소기업
업종분류	의학 및 약학 연구개발업
주요제품	siRNA 시약 및 핵산치료제

## 시세정보(2020/09/08 기준)

현재가(원)	56,000
액면가(원)	500
시가총액(억 원)	3,679
발행주식수	6,568,921
52주 최고가(원)	61,400
52주 최저가(원)	19,600
외국인지분율	1.5%
주요주주	이동기

### ■ 독자적인 RNA간섭 치료제 플랫폼 기술 구축

올릭스(이하 동사)는 올리고 핵산치료제 중 RNA간섭 기술을 이용하여 undruggable target에 대한 신약후보물질을 도출하여 부가가치 창출을 도모하고 있다. 동사는 기존 대칭구조 형태로 개발된 siRNA보다 짧은 이중가닥 길이와 비대칭 구조를 가진 siRNA를 고안하였으며, 세포 투과 효율 및 안전성을 개선하여 표적 유전자의 발현을 효과적으로 억제할 수 있는 자가전달 비대칭 siRNA(cp-asiRNA) 플랫폼 기술을 개발하였다.

### ■ 원천기술을 기반으로 하는 난치성 질환 파이프라인 확보

기존 siRNA의 한계인 부작용 및 세포 내 전달 이슈를 극복한 cp-asiRNA 플랫폼 기술은 효율적인 표적 유전자 억제 효과를 보이고 있으며, 이중가닥 염기서열만 변경한다면 다양한 유전자를 타겟할 수 있어 적응증 확장성이 높은 기술이다. 이를 기반으로 동사는 피부, 안과, 폐 질환 등 약 13개의 파이프라인을 보유하고 있으며, 주요 개발 프로그램은 비대흉터치료제(OLX101A), 특발성폐섬유화치료제(OLX201A), 건성/습성 황반변성치료제(OLX301A), 망막하 섬유화증/습성 황반변성치료제(OLX301D) 등이 있다. 국소투여 치료제뿐만 아니라 전신투여를 통한 치료가 가능한 기술도 개발하고 있어 신규 파이프라인 확대는 지속될 것으로 전망된다.

### ■ 기술제휴 및 기술이전을 통한 기술 사업화 전략

동사는 원천기술인 플랫폼 기술과 비임상/임상시험의 결과를 바탕으로 기술이전을 사업화 목표로 하고 있다. 2013년 비대흉터치료제(OXL101) 및 2019년 건성/습성 황반변성치료제(OLX301A)에 대한 기술이전에 대한 성과에 이어 2020년 GalNAc-asiRNA를 기반으로 하는 간 질환 치료제에 대한 공급계약을 체결하였다. GalNAc 접합기술 확보는 기술경쟁력 강화에 큰 역할을 하고 있고, 이로 인해 글로벌 기술이전에 대한 기대감은 한층 더 상승하고 있어 추가적인 수익창출로 이어질 것으로 예상된다.

## 요약 투자지표 (K-IFRS 연결 기준)

구분 년	매출액 (억 원)	증감 (%)	영업이익 (억 원)	이익률 (%)	순이익 (억 원)	이익률 (%)	ROE (%)	ROA (%)	부채비율 (%)	EPS (원)	BPS (원)	PER (배)	PBR (배)
2017 (개별)	2	(37.7)	(54)	(2,217.5)	(52)	(2,116.7)	(33.1)	(28.1)	15.9	(1,110)	3,588	-	0.0
2018	3	-	(82)	(2,726.5)	(77)	(2,563.6)	-	-	1.3	(1,334)	8,447	-	8.1
2019	11	274.3	(151)	(1,337.4)	(144)	(1,269.8)	(29.7)	(28.5)	8.1	(2,204)	6,401	-	6.6

## 기업경쟁력

### 안정적인 기업 경영

- 검증된 연구 기술력 및 단계별 전문인력 구성 (R&D 및 임상시험, 사업화 영역 등 전문성 강화)
- 원천기술 확보와 적응증 확대 (독자적인 플랫폼 기술 보유)
- 체계적인 개발 전략 시스템 구축 (후보물질 도출 및 비임상/임상 시험 검증 시스템)

### 원천기술 확보와 전략적 사업화 모델

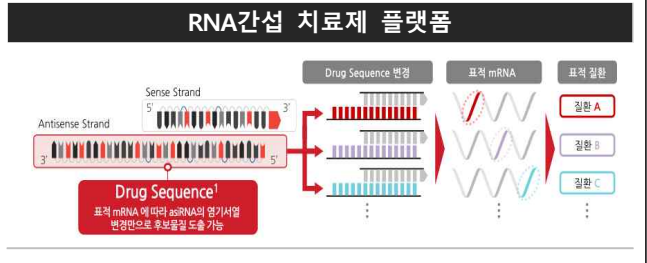
- RNA간섭 플랫폼 기반 국소투여 치료제 개발 (OLX101A, OLX201A, OLX301A/D 등)
- GalNAc 접합 기술 도입을 통한 전신투여 치료제 개발 (간질환을 타깃으로 하는 GalNAc-asiRNA)
- 기술이전 및 기술제휴의 활성화 (휴젤(한국), Thea Open Innovation(프랑스) 등)

## 핵심기술 및 적용제품

### 핵심기술

- RNA간섭 치료제 플랫폼 구축 (asiRNA, cp-siRNA, GalNAc-siRNA 등)
- 난치성 질환 대상 파이프라인 확보 (비대흉터, 탈모, 황반변성, 간염유 등)
- 기술이전/기술제휴에 대한 적극적인 대응 의지 (기술이전에 대한 성과 및 기술 인지도 향상)

### 적용제품



## 시장경쟁력

### 목표 시장의 고성장

- 핵산치료제 시장 및 적응증 관련 시장의 높은 성장성  
핵산치료제 시장 CAGR: 7.5%
- 비대흉터치료제 시장 CAGR: 9.9%
- 노인성 황반변성 치료제 시장 CAGR: 8.1%

### 핵산치료제 시장의 활성화

- 미국 FAD 품목허가 승인 (Patisiran, Givosiran, TEGSEDI 등)
- 연구개발의 활성화 및 투자 의지 상승

## 최근 변동사항

### 파이프라인 확대

- GalNAc-siRNA 기술 플랫폼 기술 확보 (전신투여 및 표적 치료제 개발에 대한 가능성 제고)
- 새로운 적응증 추가 (GalNAc를 통한 간질환 치료제, 코로나19 치료제 등)

### 글로벌 기술이전 가속화

- 올릭스 플랫폼에 대한 시장경쟁력 상승 (비임상/임상에서의 긍정적 성과로 인한 기술력 인정)
- GalNAc 접합 기술 도입을 통한 기술이전 다각화 시도 (2020년 GalNAc siRNA 공급 계약 체결)

# I. 기업 현황

## 핵산치료제 개발 전문기업

올릭스는 검증된 기술력과 전문인력을 통해 독자적인 원천기술을 확보하고 있고, 이를 기반으로 난치성 질환에 적용이 가능한 혁신적인 신약을 개발하는 전문 바이오기업이다.

### ■ 개요

올릭스(이하 동사)는 2010년 2월 의학 및 약학 연구개발업을 영위하기 위해 설립되었으며, 2018년 7월 코스닥시장에 상장된 기업이다. 동사는 핵심기술인 비대칭, 자가전달 RNA간섭(RNA interference; RNAi) 플랫폼 기술을 기반으로 미충족 의료 수요가 높은 난치성 질환에 대응할 수 있는 치료제를 개발하고 있다. 비대흉터, 아토피피부염, 건성 및 습성 황반변성, 망막하 섬유화증 및 습성 황반변성, 특발성폐섬유화 등 다양한 파이프라인을 확보하고 있으며, 이를 바탕으로 국내외 바이오기업 및 제약회사에 기술이전을 사업화 목표로 하고 있다. 2020년 1분기 보고서에 따르면, 본사는 경기도 수원시 영통구 대학 4로 17(에이스광교타워1)에 위치하며, 총 52명이 근무하고 있다.

### ■ 주요 관계회사와 최대주주

동사의 최대주주는 대표이사 이동기로, 전체 26.38% 지분을 보유하고 있는 것으로 파악된다. 2020년 1분기 보고서에 따르면, 관계회사는 OliX US, Inc(Cambridge, USA)이며, 비상장 종속회사로 파악된다. OliX US, Inc은 동사가 100% 지분을 보유한 회사로, 2018년 10월 미국에 설립되었으며, 미국 임상개발 및 인허가, IP 전략, 기술제휴 및 기술이전 등에 대한 업무를 수행하고 있다[표 1].

표 1. 주요주주 및 관계회사 현황

주요주주	지분율(%)	관계회사	지분율(%)
이동기	26.38	OliX US, Inc	100.00%
김소연	3.06		
휴젤	5.78		

\*출처: 1분기 보고서(2020), NICE평가정보 재구성

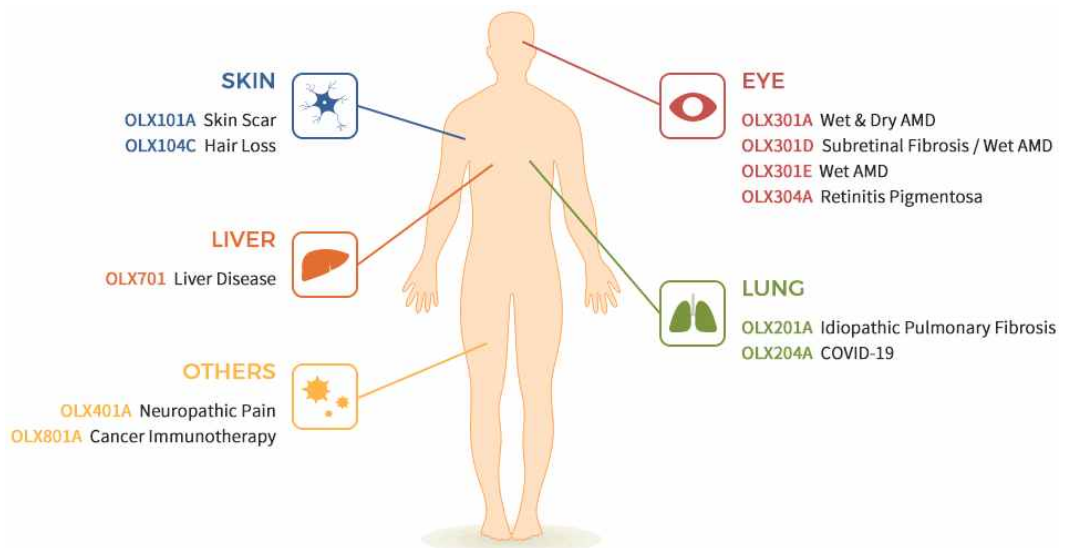
### ■ 대표이사 정보

대표이사 이동기는 KAIST 화학과를 졸업하고 미국 Cornell University 생화학과 박사 학위를 취득하였다. 핵산치료제에 관한 연구를 이어가면서 포항공과대학교 조교수로 재직하였으며, 현재 동사를 안정적으로 운영하면서 성균관대학교 화학과 교수직을 유지하고 있다. 또한, 2018년 미국 지사인 OliX US, Inc를 설립하여 대표이사로 겸임하고 있다.

### ■ 주요 사업 및 기술 역량

동사의 주요 사업영역은 RNA간섭 플랫폼 기술을 토대로 난치성 질환 치료가 가능한 신약 후보물질을 도출하고 국내외 제약회사에 기술이전을 하여 가치를 창출하는 것이다[그림 1]. RNA간섭 기술은 국내외 많은 연구진을 통해 작용기전을 규명하고 있고, 희귀질환 및 난치성 질환에 적용 가능성을 높이기 위해 다방면으로 연구개발이 이루어지고 있는 분야이다. 동사는 기존 siRNA 구조의 단점을 개선하고자 비대칭 구조에 자가전달이 가능한 지질 성분을 도입하고 화학적 변형을 시도하였다. 이를 통해 세포 내 전달률을 높일 뿐만 아니라 면역반응과 관련된 부작용 감소 효과를 거두게 되었다. 동사는 원천기술을 기반으로 임상 1상 시험(인체에 독성 관련 시험)을 성공적으로 마친 후, 임상 2상 시험 초기 단계에서 기술이전을 목표로 하고 있다. 또한, 기술제휴를 통해 파트너사의 적응증 및 표적 유전자를 도입하여 최적화된 치료제를 개발하여 기술이전을 피하기도 하며, 정부 기관, 대학 연구진 등 비영리기관에서 제안한 적응증 및 표적 유전자를 동사의 기술과 접목하여 공동 개발하는 사업화 전략도 함께 추진하고 있다.

그림 1. 주요 파이프라인 현황



\*출처: 홈페이지

### ■ 매출 비중

주요 매출은 신약연구개발을 바탕으로 한 기술이전 계약에 따른 기술료이다. 신약연구개발 사업 부문 특성상 매출은 주기적으로 발생하는 구조가 아니며, 개발 단계 및 계약 형태에 따라 시현되는 매출은 유동적인 편이다. 2020년 분기 보고서에 따르면, 동사의 매출구조는 기술이전에 의한 수익으로, 2019년 신약연구개발사업 부문에서 약 11.1억 원의 매출을 시현하였다. 2020년 6월 GalNAc-siRNA 플랫폼에 대한 기술공급계약을 체결하여 수익창출 성과를 거뒀으며, 현재 글로벌 제약회사와의 활발한 기술이전 및 연구 제휴에 대한 논의가 지속해서 이루어지고 있어 매출 증가에 대한 가능성은 차후 커질 것으로 예상된다.



## II. 시장 동향

### 신약개발에 대한 극화된 시장 현황에서 경쟁력 강화를 통한 안정적인 경영 유지

핵산치료제 시장은 미충족 수요에 대한 기대감으로 지속해서 성장하고 있으나, 현재 기술 상용화까지 도달하기에는 여전히 높은 진입장벽이 존재하고 있다. 이런 시장 흐름에서 올릭스는 시장 내 기술경쟁력을 내세워 지속적인 개발 투자가 이루어지고 있으며 전략적 사업화를 통해 안정적인 경영과 수익창출을 이어가고 있다.

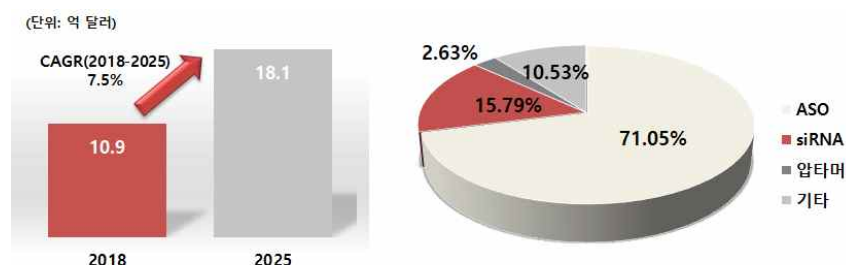
#### ■ 핵산치료제 시장

핵산치료제는 질병을 유발하는 단백질을 비활성화 시키기 위해 세포 내로 DNA나 RNA를 투여하여 발현되는 특정 mRNA를 조절함으로써 타겟 질환 치료에 목적을 두고 있다. 이는 기존 화합물 및 저분자 물질을 이용한 치료제 개발 영역에서 실패한 표적(undruggable target)에 대한 접근 가능성, 염기서열 특이성, 합성의 용이성 등과 같은 특징점을 지닌 것으로 평가되었다. 적용되고 있는 올리고 핵산은 ASO(antisense oligonucleotide), siRNA(small interfering RNA), aptamer(아파트머), anti-microRNA, microRNA mimic, CRISPR-Cas9 등이며, 이를 활용한 치료제가 다양한 적응증에 적용되고 있다.

#### ▶▶ 핵산치료제 시장규모 및 전망

핵산치료제는 크게 단일가닥 핵산 물질을 이용한 ASO 기반 기술과 이중가닥 핵산 물질인 siRNA 기반 기술로 구분된다. Grand view research의 핵산치료제 시장보고서(2019년)에 따르면, 세계 시장규모는 2018년 10.9억 달러를 형성할 것이며, 연평균(CAGR) 7.5%로 증가하여 2025년 18.1억 달러를 보일 것으로 예상된다. 핵산치료제 중 ASO 치료제 비중이 가장 크며, 그 뒤로 siRNA 치료제, aptamer 치료제, 기타(anti-microRNA, microRNA mimic, CRISPR-CAS, PNA 등) 순이다[그림 2]. 한편, Mordor Intelligence의 Global RNAi Technology Market(2017-2022) 보고서(2018년)에 의하면, 세계 RNA간섭 치료제 시장규모는 2017년 3.1억 달러를 달성하였으며, 연평균(CAGR) 19.9%로 증가하여 2022년 768.3억 달러를 보일 것으로 추정된다. 이는 현재 시판되고 있는 RNA간섭 치료제의 다양성이 부재하여 시장규모는 작은 편이나, 추후 상용화를 앞둔 제품들의 수익창출 효과를 통해 시장성장세는 급속하게 커질 것으로 전망된다.

그림 2. 핵산치료제 시장규모 및 현황



\*출처: Grand view research, Antisense & RNAi Therapeutics 보고서(2019), NICE평가정보 재구성

▶▶ 참여업체

핵산치료제는 2016년 Sarepta Therapeutics(미국)의 뒤센 근이영양증 치료제 Exonys(eteplirsen)과 Biogen(미국)/Ionis Pharmaceuticals(미국)의 척수성 근육위축증 치료제 Spinraza(nusinersen)가 미국 FDA 승인을 획득하면서 상용화가 시작되었다. siRNA 기반 치료제 전문개발업체인 미국의 Alnylam은 2018년 유전성 트란스타이레틴 매개성(hATTR) 아밀로이드증 치료제인 Patisiran을 세계 최초 RNA간섭 치료제로 FDA 판매 승인을 획득하여 2019년 매출액 1.7억 달러를 달성하였다. 2019년 3월 급성 간성포르피린증(AHP, Acute Hepatic Porphyria) 치료제인 Givosiran은 임상 3상 시험을 마치고 2019년 11월 미국 FDA 판매 허가를 받아 현재 시판되고 있다. 또한, 원발성 옥살산뇨증 치료제인 Lumasiran은 현재 FDA로부터 우선 심사 지정을 받고 2020년 하반기에 심사가 완료될 예정이다. 이뿐만 아니라 Alnylam은 가족성 고콜레스테롤 혈증, 혈우병 등 난치성 질환에 대한 파이프라인을 확보하고 있고 점차 신규후보물질 발굴로 적응증을 확대하고 있다.

2020년 초반, Alnylam은 코로나19를 대응하기 위한 후보물질을 선정하였으며, 바이러스 신약 전문 개발업체인 Vir Biotechnology(미국)와 공동연구를 통해 치료제 개발에 본격적으로 착수하였다. 국내 업체인 바이오니아도 자회사인 써나젠테라퓨틱스와 공동연구를 통해 코로나 19 바이러스 증식을 억제하는 SAMiRNA 기반 치료제를 개발하고 있다. 이와 더불어 RNA간섭을 포함한 핵산치료제 개발에 참여하는 업체는 Ionis Pharmaceuticals(미국), Sirnaomics(미국), Arbutus Biopharma(미국), Arrowhead Pharmaceuticals(미국), Regulus Therapeutics(미국), Dicerna Pharmaceuticals(미국) 등이 있으며, 국내에서는 대표적으로 올릭스, 바이오니아, 에스티팜, 올리팜, 인코드젠 등이 있다[표 2].

표 2. RNA간섭 치료제 개발 현황

기업명	제품명	개발 단계	적응증
Ionis Pharmaceuticals	SPINRAZA	Commercial	척수성근위축증
	IONIS-HTTRx	Late Stage	헌팅틴 증후군
	Tofersen	Late Stage	근위축성 측삭경화증
	AKCEA-TTR-LRx	Late Stage	아밀로이드 신경병증
	AKCEA-APO(a)-LRx	Late Stage	심혈관계 질환(CVD)
Alnylam	Patisiran (Onpattro)	Commercial	아밀로이드 신경병증
	Givosiran (GIVLAARI)	Commercial	간성포르피린증
	Lumasiran	Registration	원발성 옥살산뇨증
	Inclisiran	Registration	가족성 고콜레스테롤 혈증 등
Dicerna Pharmaceuticals	Fitusiran	Late Stage	혈우병
	Nedosiran (DCR-PHXC)	Late Stage	원발성 옥살산뇨증
	RG6346 (DCR-HBVS)	Early Stage	B형 간염바이러스
Arrowhead Pharmaceuticals	DCR-A1AT	Early Stage	A1AT 간 질환
	ARO-AAT	Late Stage	Alpha-1 간 질환
	ARO-APOC3	Early Stage	트리글리세리드 과잉혈(증)
AKCEA Therapeutics	ARO-ANG3	Early Stage	이상지질혈증
	TEGSEDI	Commercial	유전성 ATTR 아밀로이드증

Early Stage: IND, 임상 2상 단계, Late Stage: 임상 2b상 및 임상 3상 단계, Commercial: 상용화 단계

\*출처: IR 자료, NICE평가정보 재구성

핵산치료제 시장은 고령화 사회에 따른 질병 증가, 미충족 의약품에 대한 욕구 증대 등으로 인해 시장의 성장세는 유지될 것으로 전망된다. 특히, 관련 기술은 다양한 질병에 대한 접근성이 넓으며 기술집약도가 높아 최종 치료제 허가 여부에 따라 막대한 부가가치 창출이 가능한 기술로 여겨진다. 다만, 초기 핵산치료제 개발기술은 구조적 불안정성, 질병 부위 외 부작용 등에 대한 부정적인 이슈로 임상시험에 대한 잦은 실패를 경험하면서 한동안 시장성장 둔화세를 보였다. 기술적 한계점을 극복하고자 국내외 연구진은 지속적으로 연구개발을 수행하고 있고, 그 결과 세포 내 전달 기술에 대한 완성도를 높이고 있으며 독성 및 면역반응에 대한 거부감을 해소하여 안정성과 효율을 높이는 방향으로 기술이 점차 진보되고 있다.

■ 주요 적응증에 대한 시장 현황

올릭스는 원천기술인 RNA간섭 플랫폼을 기반으로 난치성 질환에 대한 치료제 개발 파이프라인을 확보하고 있다. 주요제품인 OXL101A는 비대흉터(hypertrophic scar)에 대응하는 치료제이며, 이 외에도 노인성 황반변성, 망막하 섬유화증, 특발성 폐섬유화증, 간 질환 등에 대한 파이프라인을 확보하고 있다.

▶▶ 비대흉터 및 켈로이드 상처 치료제 시장

비대흉터는 외과적 수술 또는 외상 후 진피층의 콜라겐이 과다하게 증식하여 비대한 흉터를 생성하는 것이다. 또한, 켈로이드는 피부의 섬유화 조직이 종양처럼 비정상적으로 증식하는 것으로, 콜라겐 생성과 분해의 불균형이 주된 원인이다. 외과 수술 환자의 39~68% 이상이 비대 흉터 발병을 보이고 실리콘 시트, 물리적 압박요법, 스테로이드 주사 등으로 치료를 하고 있어 그 시장규모는 큰 수준이다. Grand View Research, Hypertrophic and Keloid Scar Treatment Market 보고서(2018년)에 의하면, 세계 시장규모는 2017년 48.0억 달러로, 연평균 CAGR 9.9%로 성장하여 2025년 102.0억 달러를 형성할 것으로 전망된다[그림 3]. 예측 기간 큰 폭의 성장세를 보일 것으로 예상되는데, 이는 삶의 질 향상에 따른 외모에 관한 관심 증가, 교통사고 증가로 인한 외과적 수술 증가 등의 요인에 의한 것이다.

그림 3. 비대흉터 및 켈로이드 상처 치료제 시장규모 및 전망



\*출처: Grand View Research, Hypertrophic and Keloid Scar Treatment Market 보고서(2018), IR 자료, NICE평가정보 재구성

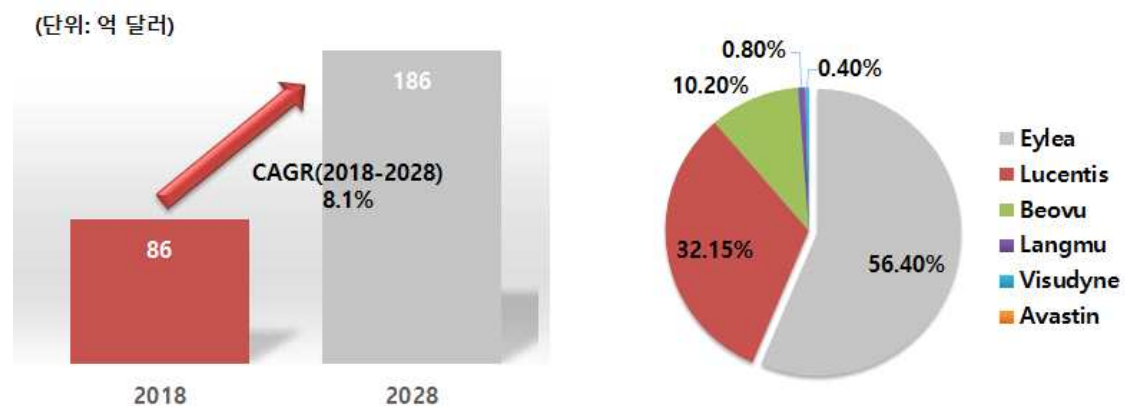


▶▶ 노인성 황반변성 치료제 시장

노인성 황반변성은 시력 유지에 가장 중요한 역할을 하는 황반부에 존재하는 망막 색소 상피(retinal pigmented epithelium; RPE) 세포에 드루센(drusen) 축적, 망막 색소 상피 위축(RPE atrophy), 맥락막 신생 혈관(choroidal neovascularization) 등을 통한 비가역적 변성이 생겨 실명에 이르게 되는 중대한 안구질환이다. 전 세계적으로 고령화 사회로 진입함에 따라 노인성 황반변성에 대한 유병률은 높아질 것으로 예상되며, 이에 따라 병원에 내원하는 환자 수와 총진료비는 계속해서 증가할 것으로 추정된다.

GlobalData’s latest report, Age-Related Macular Degeneration: Global Drug Forecast and Market Analysis to 2028 보고서(2020년)에 따르면, 세계 노인성 황반변성(습성) 시장은 2018년 86.0억 달러의 매출을 올렸으며, 2018년에서 2028년 사이에 8.1%의 CAGR로 성장할 것으로 예상된다. 노인성 황반변성 치료를 위한 대표적인 치료제는 Eylea(aflibercept), Lucentis(ranibizumab), Beovu(brolucizumab) 등이 있으며, 2018년 매출 기준으로 Eylea(aflibercept)가 가장 높은 비중을 차지한다. 예측 기간 동안 노인성 황반변성 시장은 노인 인구 증가, 비만 및 고혈압과 같은 생활 습관에 의한 질병 증가, 건강관리 비용 증가 등에 의해 성장세는 지속화될 것으로 전망된다[그림 4].

그림 4. 노인성 황반변성(습성) 치료제 시장규모 및 전망



\*출처: GlobalData’s latest report, Age-Related Macular Degeneration: Global Drug Forecast and Market Analysis to 2028 보고서(2020년), NICE평가정보 재구성

### Ⅲ. 기술분석

#### 독자적인 RNA간섭 치료제 플랫폼 기술을 통한 신약개발

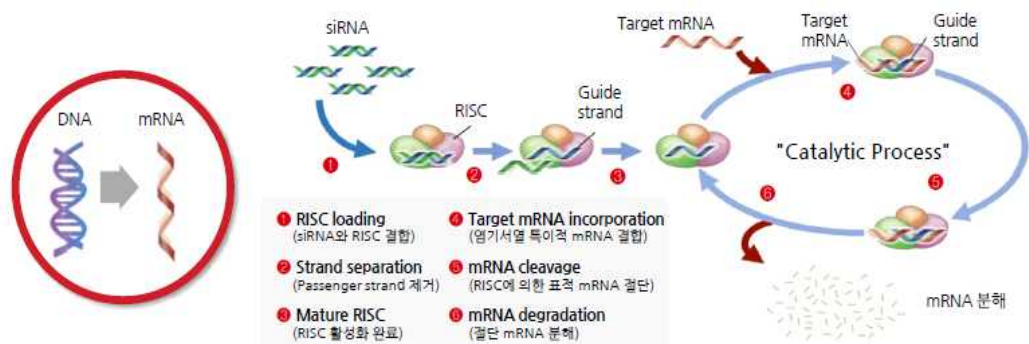
올릭스는 비대칭, 자가전달 RNA간섭(RNA interference; RNAi) 플랫폼 기술을 기반으로 국소투여 및 전신투여가 가능한 혁신적인 신약을 개발하고 있다. 독자적인 siRNA 구조는 기존 기술 대비 우월성이 검증되었으며, 표적이 가능한 접합기술의 도입으로 독보적인 핵산치료제 개발업체로 성장하고 있다.

#### ■ 핵산치료제 개요

핵산치료제는 DNA 유전 정보로부터 질병을 유발하는 단백질을 생성하는 단계를 조절하여 질병을 치료하는 개념이다. 이로 인해 핵산치료제는 3세대 바이오의약품으로 알려지면서 신약개발에서 주목받고 있다. 일반적으로 1, 2세대 바이오의약품은 인간 유전자 중 15% 내외로 표적이 가능하나 3세대 바이오의약품인 핵산치료제는 이론적으로 모든 표적 유전자에 대한 치료제 개발이 가능하여 접근이 어려운 질환까지 치료 효과를 기대할 수 있다.

RNA 유전자를 조절하는 현상을 RNA 간섭(RNAi)이라고 총칭하며, 짧은 길이의 단백질로 암호화되지 않는 RNA를 small RNA라 하고 microRNA(miRNA)와 siRNA(small interfering RNA)로 구분된다. 이는 RISCs(RNA-induced silencing complex)에 결합하는 특징을 가지나 miRNA는 유기체의 genome에서 유래되어 덜 상보적인 가닥으로 이루어져 있으며 타깃 RNA의 번역을 저해하거나 mRNA를 분해하는 메커니즘을 가진다. 반면, siRNA는 화학적 합성 방법으로 제조된 외부 유래 물질로, 이중가닥의 RNA가 RISCs와 결합하여 선택된 하나의 가닥만 타깃 mRNA에 완벽하게 결합하고 절단하여 특정 단백질의 발현을 억제하는 것으로 알려져 있다[그림 5]. 하지만, 일부 siRNA는 비표적 유전자의 발현을 저해하는 off-target 효과가 나타날 수 있으며, 외부의 과도한 siRNA의 유입은 세포 내에 존재하는 RISCs를 포화시켜 세포의 정상적인 유전자 발현을 방해한다. 또한, 생체 내 과도한 면역반응을 유도시킬 수 있어, 이를 극복하기 위해 안전하고 효과적인 RNA간섭 기반 기술에 대한 연구가 많이 시도되고 있다.

그림 5. RNA간섭 작용기전



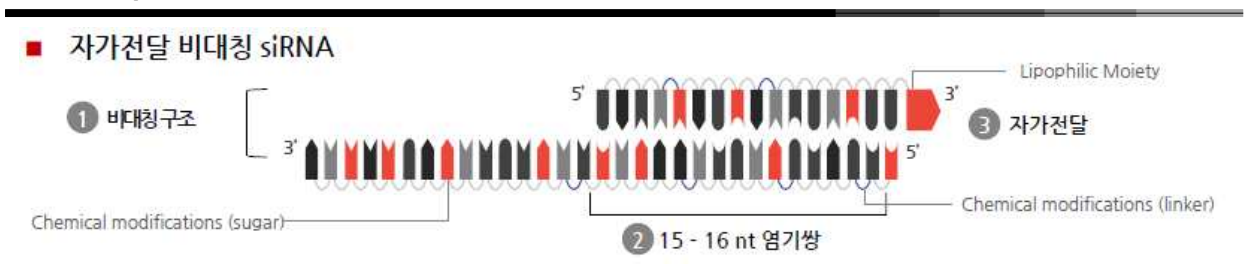
\*출처: IR 자료

■ 국소투여 및 전신투여가 가능한 RNA간섭 플랫폼 기술 구축

▶▶ 자가전달 비대칭 siRNA(cp-asiRNA)을 이용한 국소투여 치료제 개발

동사는 기존 siRNA의 한계를 극복하고자 독창적인 비대칭 siRNA 플랫폼 기술을 개발하였는데, 이는 siRNA 구조적 특징, 표적 단백질에 대한 siRNA의 염기서열, 효율적인 세포 내 전달 기술이 모두 내재화된 것이다[그림 6]. 비대칭 siRNA 구조인 cp-asiRNA는 기존 대칭 구조와 유사한 효율을 보이거나 off-target 효과 및 면역 부작용을 최소화하였다. 또한, 해당 구조에 인산골격(phosphate backbone), 뉴클레오타이드 리보스(nucleotide ribose)의 화학적 변형, 친유성 화합물의 적용은 세포 내 유입을 향상시켜 전달 효율을 높였다. 표적 염기서열을 중심으로 비대칭 구조와 자가전달 시스템이 도입된 플랫폼 기술은 효율적으로 특정 유전자(mRNA)를 억제하여 타겟 단백질 생성을 저해하는 효과를 보였다.

그림 6. cp-asiRNA 플랫폼



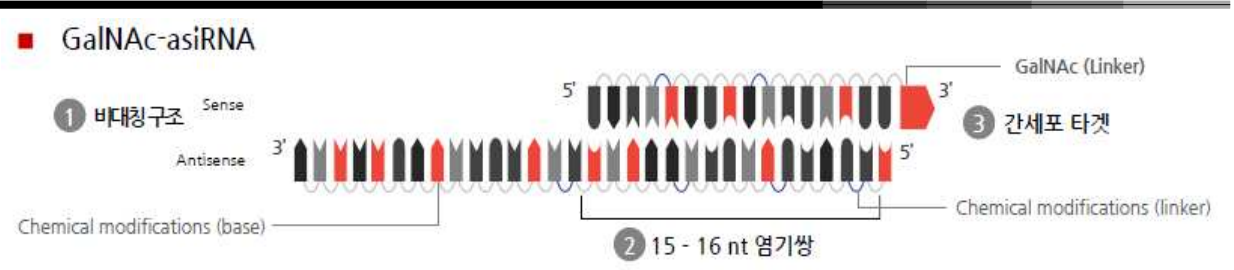
\*출처: IR 자료

cp-asiRNA 플랫폼 기술은 특정 질환에 대한 타겟 유전자에 따라 피부, 안과, 폐 질환 등 국소투여가 가능한 치료제로 개발되고 있다. 비대칭 치료제인 OLX101A(cp-asiCTGF)은 섬유화의 주요 인자인 CTGF를 표적하여 효과적으로 섬유화를 억제한다는 것을 동물모델을 통해 확인되었다. 임상시험에서의 유효성 및 안전성 검증은 휴젤에 의해 국내 임상 2상 시험이 진행되고 있으며, 동사가 주도적으로 이끈 영국 임상 1상 시험은 2019년 하반기에 종료되어 2020년 하반기 미국 임상 2상 시험 진입을 계획하고 있다. 또한, 동사는 건성 및 습성 황반변성 동물모델에서 노인성 황반변성 치료제인 OLX301A의 효능을 검증하였으며, 현재 비임상 독성시험을 진행하고 있다. 해당 치료제는 건성/습성 황반변성 환자에게 동반 치료가 가능하여 추후 신약 치료제로서 높은 상업성이 기대된다.

▶▶ GalNAc-asiRNA을 이용한 전신투여 치료제 개발

동사는 비대칭 siRNA 구조인 asiRNA에 표적 리간드인 GalNAc(N-acetylgalactosamine) chemistry를 접합하여 간세포에 특이적 유입이 가능한 GalNAc-siRNA 플랫폼을 개발하였으며, 이를 구현하기 위해 GalNAc 접합기술은 미국 AM케미컬로부터 도입하였다[그림 7]. 해당 기술은 siRNA에 접합된 GalNAc 분자가 간세포에 많이 분포하는 GalNAc 수용체인 ASGPR(asialoglycoprotein receptor)을 인식하여 간세포 내로 유입이 용이하도록 고안된 것이다. 동사는 미국 하버드의대 산하 병원 중 하나인 BIDMC(Beth Israel Deaconess Medical Center) 소속의 간 질환 분야 전문가 3인을 과학기술자문위원으로 영입하여 간 질환에 대한 타겟 및 적응증에 대한 후보물질 도출에 관한 연구가 진행 중이며, 2020년 하반기 비임상 시험을 계획하고 있다.

그림 7. RNA간섭 작용기전



\*출처: IR 자료

▶▶ RNA간섭 플랫폼 기술의 확장성

동사의 RNA간섭 치료제 플랫폼 기술은 후보 물질 선정시간을 획기적으로 단축시킬 수 있으며, 1, 2세대 신약개발 기술에서 접근이 어려웠던 표적 공략이 가능하여 적응증 확대를 기대할 수 있다. 이를 통해 동사는 비대흉터치료제(OLX101A), 특발성폐섬유화치료제(OLX201A), 노인성 황반변성치료제(OLX301A/D), 망막색소변성증 치료제(OLX304A) 등과 같은 다양한 난치성 질환을 대상으로 한 파이프라인을 구축하고 있다. 또한, 동사는 최근 RNA간섭 치료제 기반 기술을 통해 코로나19 치료제 후보 물질을 발굴하고 있고 효능 검증을 위해 비임상시험을 진행하고 있어 치료제 개발에 대한 기대감도 커지고 있다. 이뿐만 아니라 동사는 원천기술을 기반으로 지속적으로 잠재력이 있는 후보물질을 도출하여 신규 적응증을 확대하고 있고 내부 검증을 통해 기술의 완성도를 높이기 위한 기술의 다각화를 모색하고 있다[그림 8].

그림 8. 파이프라인 및 개발 현황

분야	프로그램	적응증	R&D	Animal POC	Pre-clinical	Clinical	비고
SKIN	OLX101A	비대흉터	[Red bar]				휴젤(아시아)
	OLX104C	탈모	[Grey bar]				(국내) Phase 2 진행 (영국) Phase 1 종료
EYE	OLX301A	간성 황반변성 및 습성 황반변성	[Yellow bar]				Théa (유럽 등)
	OLX301D	망막하 섬유화증 및 습성 황반변성	[Yellow bar]				
	OLX301E	습성 황반변성	[Grey bar]				
	OLX304A	망막색소변성증	[Grey bar]				
Liver	OLX701	간 섬유화	[Grey bar]				
	OLX702	간 질환 (NASH, Diabetes 등)	[Grey bar]				
	OLX703	HBV	[Grey bar]				
LUNG	OLX201A	특발성 폐섬유화	[Grey bar]				
	OLX204A	COVID-19	[Grey bar]				
CNS & Oncology	OLX401A	신경병성통증	[Grey bar]				
	OLX801A	면역항암제	[Grey bar]				

\*출처: IR 자료



▶▶ 기술이전 및 기술제휴를 통한 시장가치 제고

동사는 원천기술을 기반으로 다양한 적응증에 적합한 신약후보물질을 발굴하고 있으며, 가능성을 보이는 신약후보물질을 국내외 바이오업체 또는 제약회사에 기술이전하여 수익창출을 꾀하고 있다. 동사가 확보한 파이프라인 중 가장 진척도가 빠른 비대흉터치료제(OLX101A)는 2013년 국내 바이오기업 휴젤에 아시아 지역을 대상으로 기술이전되어 2019년부터 임상 2상 시험 중이다. 한편, 동사가 유럽 및 미주 진출을 위해 주도적으로 수행한 영국 임상 1상 시험은 2019년 하반기에 완료되었으며, 현재 미국 임상 2상 시험을 준비하고 있다. 건성/습성 황반변성치료제(OLX301A)는 2019년 3월 프랑스 안과 전문의약품 개발 및 제조사인 Thea Open Innovation에 유럽, 중동, 아프리카 지역을 한정하여 총 807억 원 규모로 기술이전되었다. 한편, 동사는 LGC바이오서치테크놀로지(미국)와 비임상 및 임상시험용 API(Active Pharmaceutical Ingredient, 원료의약품) 생산계약을 체결하고 향후 임상 단계별 가치를 극대화하기 위해 전력을 모색하여 미주와 아시아 지역으로 추가적인 기술이전을 계획하고 있다.

또한, 동사의 플랫폼 기술은 전신투여가 가능한 치료제로 기술력이 확장되어 새로운 가치창출을 도모하고 있다. 동사는 미국 AM케미컬사로부터 GalNAc 접합기술에 대한 특허권과 노하우에 대한 권리를 독점적으로 확보하였으며, 이를 토대로 간 질환과 관련된 신규 파이프라인을 구축하고 있다. 간 질환 분야 전문기술자문단 영입으로 연구개발 역량과 전문성을 높이고 있어 하반기에 가시적인 성과를 거둘 것으로 기대된다. 이와 더불어, 최근 2020년 6월 유럽에 있는 바이오기업과 약 18억 원 규모의 GalNAc-siRNA 연구개발 공급계약을 체결하였고, 간 질환과 관련된 타깃 4종에 대해 후보물질을 도출하여 제공할 계획이다. 동사의 원천기술과 GalNAc 접합기술의 융합으로 글로벌 기업과의 기술이전 협상에 대한 기대감은 커질 것이며, 이를 통해 기술에 대한 시장가치 제고와 더불어 기업의 인지도 상향에 큰 영향을 미칠 것으로 전망된다.

■ SWOT 분석

그림 9. 동사 SWOT 분석



\*출처: NICE평가정보



▶▶ (Strong Point) 원천기술 확보를 통해 기술경쟁력 제고 및 수익창출 기대

RNA간섭 플랫폼 기술은 모든 유전자를 표적할 수 있다는 장점을 가지고 있어 짧은 시간에 저비용으로 후보물질 선정이 가능하다. 이를 토대로 동사는 국소 및 전신투여가 가능한 치료제를 개발하고 있어 undruggable target에 대한 신약개발의 기대감이 크다. 보유하고 있는 파이프라인의 유의미한 비임상/임상시험 결과는 기업의 기술력을 입증하고 있고, 파이프라인의 조기 기술이전과 후속 파이프라인 개발에 대한 빠른 사업화 전략은 기술가치 창출 효과에 긍정적인 요인으로 작용하고 있다.

▶▶ (Weakness Point) 핵산치료제에 대한 잠재적인 위험성으로 인한 불확실성

동사는 기존 국소투여 치료제에 대한 한계를 극복하고자 전신투여가 가능한 기술을 도입하여 신규 파이프라인을 구축하고 있다. 다만, RNA간섭을 이용한 전신투여 치료제는 여전히 한계점을 보이고 있어 전달체에 대한 구조적 안정성, 효율적인 전달 및 효능 범위, 표적 장기 외 부작용 등에 대한 면밀한 검토가 필요하다. 또한, 동사는 원천기술을 기반으로 다양한 파이프라인을 확보하고 있으나, 대다수가 초기 개발 단계에 머물고 있고 연구진척도는 특정 적응증에 편중화되고 있다. 동사의 사업전략 특성상 개발 초기 단계에서 기술이전을 목표로 하고 있어 기술이전에 대한 성과가 동사의 매출에 크게 영향을 미칠 것으로 예상된다. 이에, 추가적인 기술이전을 위한 파이프라인별 기술성 업그레이드와 안정적인 수익창출을 위한 다각화된 사업전략 모색은 지속적으로 필요할 것으로 사료된다.

▶▶ (Opportunity Point) RNA간섭 기반으로 한 신약개발에 대한 기대감 증폭

RNA간섭 기술을 기반으로 하는 치료제는 맞춤형 치료가 가능하여 저분자화합물질보다 표적 특이성이 높고 부가가치가 높으며, 후보물질에 대한 개발비용과 기간이 짧아 무한한 개발 가능성이 존재한다. 따라서 다양한 적응증에 대한 접근이 용이하여 RNA간섭 기술을 이용한 핵산치료제 개발의 관심이 증가하고 있고 글로벌 제약사 및 바이오기업의 투자도 확대되고 있다. 지속적인 투자와 관심으로 Alnylam의 아밀로이드 신경병증 치료제인 Patisiran 및 간성포르피린증 치료제인 Givosiran이 FDA 허가품목을 승인받아 상용화되고 있다. 이뿐만 아니라 2020년 하반기 임상시험을 완료하고 허가 승인을 기다리는 제품들도 있으며, 임상시험에서의 가능성을 검증받아 차후 신약으로써 기대되는 제품들도 존재하고 있다. 동사도 이런 시장 흐름에 맞춰 미충족 의료욕구에 대응할 수 있는 플랫폼 기술을 확보하고 다양한 파이프라인을 구축하여 시장경쟁력을 강화하고 있다.

▶▶ (Threat Point) 잦은 임상시험 실패에 따른 높은 시장 진입장벽

핵산치료제를 기반으로 개발된 의약품은 대다수 임상시험에서 제제의 안정성 및 독성 이슈로 인한 효능저하와 부작용 유발로 임상 성공률이 낮은 수준이다. 특히, RNA간섭 치료제 시장은 초기 단계이며, 현재 품목 허가받아 세계적으로 상용화되고 있는 제품도 많지 않은 수준이다. 많은 연구진에 의해 기술개발은 이어가고 있으나 기존 저분자화합물 대비하여 효능, 비용, 복용의 편리성 등 여러 측면에서 여전히 극복할 과제가 많다.

## IV. 재무분석

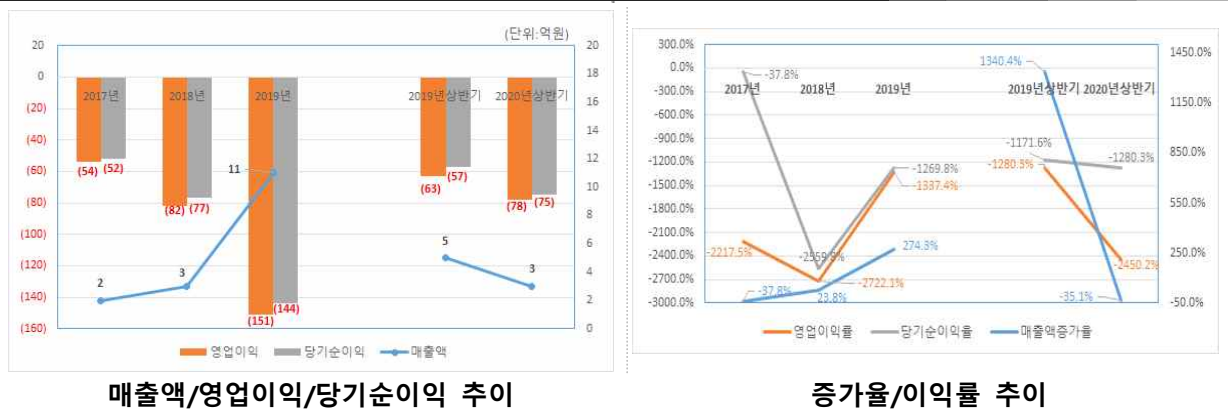
### 기존 치료제의 한계점 보완하는 기술경쟁력을 바탕으로 외형 신장 및 수익원 확보

동사는 건성 및 습성 황반변성 치료제 기술 이전에 따라 큰 폭의 외형 성장을 나타내었다. 현재 글로벌 제약사와 기술수출 및 연구제휴 논의가 이루어지고 있는 등 향후 매출 신장세를 보일 것으로 기대된다.

#### ■ 2019년 해외 기술이전 계약에 따라 큰 폭의 매출 성장 시현

동사는 RNA간접 플랫폼기술을 기반으로 신약 후보물질을 개발하여 관련 기술을 국내외 제약사에 이전하는 사업구조를 갖고 있다. 2019년 기준 신약 연구개발 사업부문에서 11.1억 원의 매출(총매출의 98.1%)을 시현하였다. 신약 연구개발 사업부문 매출은 사업개발에 의존적이므로 주기적인 매출액은 아니지만, 동사의 플랫폼기술은 기존 신약개발 기술의 문제점을 극복하고 있으며, 다양한 의학적 미충적 수요가 높은 신약 연구개발이 활발히 진행되고 있어 해당 부문의 꾸준한 매출 시현이 이루어질 것으로 예상된다.

그림 10. 동사 연간 및 상반기 요약 포괄손익계산서 분석 (연결기준)

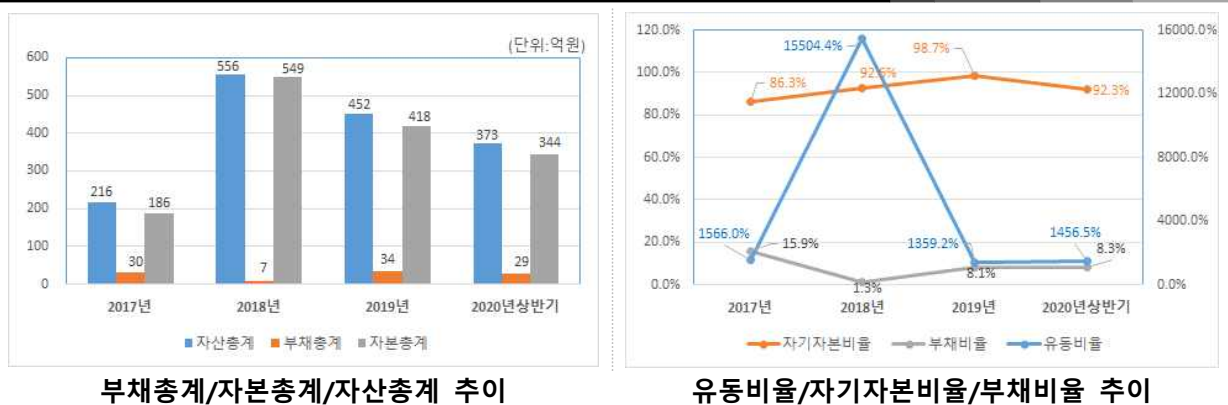


매출액/영업이익/당기순이익 추이

증가율/이익률 추이

\*출처: 동사 사업보고서(2019), 상반기보고서(2020)

그림 11. 동사 연간 및 상반기 요약 재무상태표 분석 (연결기준)



부채총계/자본총계/자산총계 추이

유동비율/자기자본비율/부채비율 추이

\*출처: 동사 사업보고서(2019), 상반기보고서(2020)

■ **건성 및 습성 항반변성 치료제 기술 이전에 따른 외형 성장에도 손실 확대**

동사는 2019년 기준 신약 연구개발의 해외 기술이전 계약 체결로 전년 대비 274.3% 대폭 증가한 11억 원의 매출을 시현하며 매출 정체에서 탈피하였다. 매출유형 측면에서 전기와 다른 점은 기술이전과 공동연구를 통한 수익이 국내에서 발생한 전기와는 달리, 당기 기술이전수익은 해외 수출을 통해 대규모로 발생된 것에 있다.

동사의 매출액은 2017년 2억 원(-37.8% YoY), 2018년 3억 원(+23.8% YoY)에서 2019년 11억 원(274.3% YoY)을 기록하며 2019년 매출 성장세가 두드러졌다.

수익성 측면에서는 글로벌 임상 시험 진행에 따른 경상연구개발비 증가 등으로 영업이익 적자폭이 전년 대비 심화되었고, 매출액영업이익률이 2018년 -2,726.5%, 2019년 -1,337.4%를 기록하며 여전히 열위한 영업수익성을 나타낸 가운데, 금융수지 등 영업외수지 개선에도 순손실 규모 또한 전년 대비 대폭 확대되었고, 2018년 매출액순이익률 -2,563.6%, 2019년 매출액순이익률 1,269.8%를 기록하는 등 수익성 적자세를 지속하였다.

■ **2020년 상반기 전년 동기 대비 매출 증가하였으나, 적자 지속**

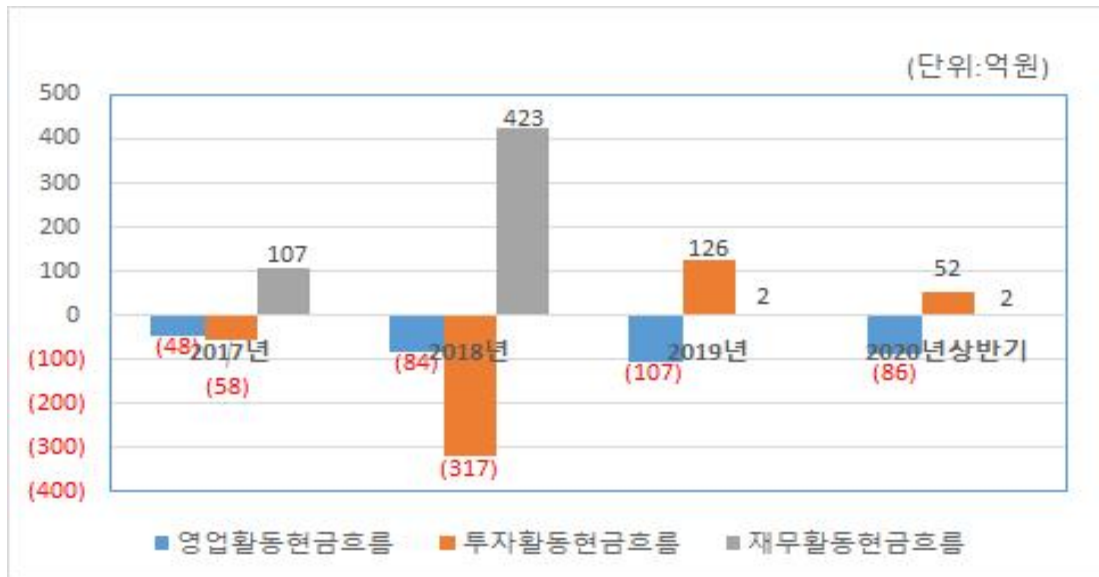
2020년 상반기 기준 매출액은 기술이전수익 부진 등으로 전년 동기 대비 35.1% 감소한 3억 원을 시현하며 2019년 결산 이전 수준으로 축소된 가운데, 매출액영업이익률이 -2,450.2%, 매출액순이익률이 -1,280.3%를 기록하며 전년 동기 대비 적자세가 심화되는 모습이다.

주요 재무안정성 지표는 부채비율 8.3%, 자기자본비율 92.3%, 유동비율 1,456.5%를 기록하는 등 재무구조는 낮은 부채부담 등의 전반적으로 양호한 수준을 견지하였다.

■ **부(-)의 영업활동현금흐름 지속에도 투자활동을 통한 거액의 현금유입**

2019년 영업활동현금흐름은 순손실 확대 등으로 전년 대비 부(-)의 상태가 심화된 -107억 원을 나타내었으나, 약 137억 원의 단기금융자산 및 유동금융자산 처분 등을 통해 거액의 투자활동현금흐름을 시현함에 따라 전년 대비 21억 원 가량의 현금증가를 시현하였다.

그림 12. 동사 현금흐름의 변화 (연결기준)



\*출처: 동사 사업보고서(2019), 상반기보고서(2020)

## V. 주요 변동사항 및 전망

### RNA간섭 플랫폼 기술의 업그레이드와 추가적인 기술제휴를 통한 수익창출

올릭스는 전달 비대칭 RNA간섭 플랫폼 기술을 기반으로 파이프라인을 확보하고 있고 기업경쟁력 제고를 위해 기술력을 강화하고 전략적 비즈니스 모델을 통해 수익창출을 도모하고 있다.

#### ■ RNA간섭 플랫폼 기술을 기반으로 하는 파이프라인 확대 가속화

기존 siRNA 구조의 문제점을 극복한 비대칭 siRNA 구조 기술은 동사의 독자적인 기술력이 내재화되었으며, 이를 통해 undruggable target에 대한 플랫폼 기술이 마련되었다. 동사는 자가전달 비대칭 RNA간섭 플랫폼 기술을 바탕으로 피부, 안과, 폐 등 약 13개의 적응증에 대한 연구를 진행하고 있다. 주요 파이프라인은 비대칭치료제, 특발성폐섬유화치료제, 건성/습성 황반변성치료제 등이며, 2020년 코로나바이러스 대응을 위한 치료제 개발도 추가되었다. 해당 치료제는 폐 전달에 적합한 흡입 제형으로 개발되어 현재 비임상 동물 효력 시험 검증 단계에 있으며, 추후 가시화된 결과를 얻을 것으로 예상된다. 또한, 동사는 GalNAc 기반 기술을 통해 간 전달 효율성이 높은 플랫폼 기술을 구축하였으며, 이를 통해 비알코올성 지방간염(NASH)이나 간 섬유화 등의 간 질환 치료제를 개발하고자 한다. 최근 영입한 간 질환 전문가(SAB)와의 논의를 통해 동사는 타깃 후보물질을 선정하고 있으며, RNA간섭 치료제를 이용한 전신성 주사제 개발에 대한 영향력을 피하고 있다. 이뿐만 아니라 동사는 보유하고 있는 파이프라인별 비임상 결과를 자체적으로 도출하고 있고 그 성과에 따른 임상시험에 대한 개발전략을 다방면으로 모색하고 있다.

#### ■ 기술이전 및 협약을 통한 수익창출 모델

비대칭치료제(OLX101A)은 2013년 국내 바이오기업 휴젤에 아시아 지역을 대상으로 기술이전되어 2019년 국내 임상 2상 시험이 진행되고 있다. 또한, 건성/습성 황반변성치료제(OLX301A)는 2019년 3월 프랑스 안과 전문의약품 개발 및 제조사인 Thea Open Innovation에 유럽, 중동, 아프리카 지역을 대상으로 기술이전 되었다. 최근 동사는 GalNAc-siRNA 플랫폼 기술을 바탕으로 2020년 6월 유럽 소재 글로벌제약회사와 18.15억 원 규모의 공급계약을 체결하였으며, 계약 기간 1년(2020.06.24~2021.06.23.) 동안 간 질환과 관련된 타깃 4종에 대한 RNA간섭 치료제 후보물질을 도출할 계획이다. 이는 동사의 원천 기술에 진보성이 부여된 것으로, 국소투여 치료제와 더불어 전신투여 치료제 개발의 가능성을 보여준 계기가 된 것이다. 기존 관련 업체에서 확보하지 못한 GalNAc 접합기술은 동사의 기술력에 차별성을 부각시킬 수 있는 요인으로 작용되며, 이를 통해 글로벌 기업과의 협상 테이블에서 우위적인 위치에 놓일 것으로 기대된다. 동사는 보유한 원천기술과 파이프라인 확장성을 기반으로 기술경쟁력을 확보하고 있고 이를 통해 추가적인 기술제휴 및 기술이전을 모색하고 있어 추후 수익창출에 대한 성과가 가시화될 것으로 예상된다.



■ 증권사 투자 의견

작성기관	투자 의견	목표주가	작성일
하나금융투자	Not Rated	-	2020.07.28
	<ul style="list-style-type: none"> <li>• GaINAc 기술 도입으로 국소투여의 한계 극복</li> <li>• 비대흉터치료제 미국 임상 2상 IND신청 임박</li> </ul>		
삼성증권	Not Rated	-	2020.03.18
	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 2020년 OLX101 미국 임상 2상 개시 예정</li> <li>• 2021년 미국 임상 진행 중인 파이프라인 3개 이상 전망</li> </ul>		

■ 시장정보(주가 및 거래량)



\*출처: Kisvalue(2020.09)