

이 보고서는 코스닥 기업에 대한 투자정보 확충을 위해 발간한 보고서입니다.

기술분석보고서

[▶ YouTube 요약 영상 보러가기](#)

메드팩토(235980)

제약/생명과학

요약

기업현황

시장동향

기술분석

재무분석

주요 변동사항 및 전망



작성기관

(주)NICE디앤비

작성자

조성아 선임연구원

- 본 보고서는 「코스닥 시장 활성화를 통한 자본시장 혁신방안」의 일환으로 코스닥 기업에 대한 투자정보 확충을 위해, 한국거래소와 한국예탁결제원의 후원을 받아 한국IR협의회가 기술신용 평가기관에 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 “한국IR협의회” 채널을 추가하시면 매주 보고서 발간 소식을 안내 받으실 수 있습니다.
- 본 보고서에 대한 자세한 문의는 작성기관(TEL.02-2122-1300)로 연락하여 주시기 바랍니다.



한국IR협회

메드팩토(235980)

암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 선별 치료하는 신규 기전의 항암제 개발

기업정보(2021/03/12 기준)

대표자	김성진
설립일자	2013년 06월 19일
상장일자	2019년 12월 19일
기업규모	중소기업
업종분류	의학 및 약학 연구개발업
주요제품	전문약품, 항암제, 면역항암제

시세정보(2021/03/19 기준)

현재가	88,400원
액면가	500원
시가총액	1조 8,010억 원
발행주식수	20,372,842주
52주 최고가	134,200원
52주 최저가	21,375원
외국인지분율	6.67%
주요주주	
(주)테라젠이텍스	15.2%
김성진	10.3%
고진업 외 5인	8.4%

■ 신약개발 전문기업

(주)메드팩토(이하 동사)는 바이오마커 기반의 혁신 신약 개발을 목표로 다양한 암질환의 신규 타겟 발굴을 위한 기초 연구 및 작용 기전을 규명하고 있다. 동사는 신약개발기업인 (주)테라젠이텍스의 신약연구소를 분사(Spin-off)하여 설립되었고, 항암신약 연구의 기술력을 인정받아 2019년 12월 기술특례상장 제도를 통해 코스닥 상장되었다.

■ 암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 치료하는 항암제

암 발병률 증가와 고령화로 항암제 시장은 꾸준한 성장세를 유지하고 있으나, 기존 항암제의 내성과 부작용 문제로 신규 기전의 항암제에 대한 필요성이 제기되고 있다. 동사는 종양미세환경 조절과 관련된 단백질인 TGF- β 를 표적으로 하는 백토서팁, 면역세포의 활성을 억제하여 면역치료의 효능을 억제하는 단백질인 BAG2를 표적으로 하는 MA-B2/MO-B2, 히스톤 메틸화에 관련하는 효소인 EZH2(Enhancer of zeste homolog2)와 결합하여 암의 생성에 관여하는 단백질인 DRAK2를 표적으로 하는 MU-D201 등의 항암 치료제를 개발하고 있다. 백토서팁은 각 적응증별로 식품의약품안전처(식약처)와 미국 식품의약국(FDA)의 승인을 얻어 임상시험을 진행 중이며, MA-B2, MU-D201은 전임상시험을 진행 중이다.

■ 2021년 본격적으로 백토서팁의 기술이전 추진 예상

동사는 백토서팁을 주요 파이프라인으로 보유하고 있으나 아직 기술이전이 현실화되지 않아 매출이 전무한 상태를 지속하고 있다. 이러한 가운데, 임상시험 등에 따른 대규모 연구개발비가 발생하고 있어 2020년 12월에도 전환우선주와 전환사채를 각각 300억 원, 700억 원의 규모로 발행하는 등 소요자금을 유상증자 및 회사채 발행 등을 통해 충당하고 있다. 한편, 동사는 그동안 쌓아온 임상시험 데이터를 바탕으로 2021년 백토서팁의 기술이전을 본격적으로 추진할 것으로 예상되고 있으며, 향후 이에 따른 매출의 발생이 기대되고 있다.

요약 투자지표 (K-IFRS 별도기준)

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	0.0	-	-32.3	-	-34.7	-	-	-	-113.0	-340	-1,008	-	-
2018	0.0	-	-101.6	-	-375.8	-	1,316.3	-226.7	594.4	-2,831	295	-	-
2019	0.0	-	-132.4	-	-135.2	-	-32.5	-24.0	2.6	-815	3,897	-	5.7

기업경쟁력

신약개발 전문기업

- 차세대 시퀀싱 기반의 신약개발 플랫폼
 - 암 조직 유전체 시퀀싱을 실시하여 타깃 유전자를 발굴한 후 신약 후보물질 가능성을 검증하는 신약개발 플랫폼 구축
- 바이오마커 기반 신약개발
 - 암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 선별 치료하는 신규 기전의 항암제 개발

풍부한 개발인력과 네트워크 확보

- 해외 네트워크 확보
 - 기술이전을 위해 해외 파트너사와의 네트워크를 유지하고 공동연구 진행
- 신약개발 프로세스를 경험한 R&D 인력 보유
 - 후보물질 발굴부터 임상시험, 상용화까지 신약개발의 전체 프로세스를 경험한 인력 보유

핵심기술 및 적용제품

바이오마커 기반 신약개발

- 백토서팁
 - 종양미세환경 조절과 관련된 단백질인 TGF- β 를 표적으로 하는 면역항암제
- MA-B2/MO-B2
 - 면역세포의 활성을 억제하여 면역치료의 효능을 억제하는 단백질인 BAG2를 표적으로 하는 항암제 및 진단키트
- MU-D201
 - 히스톤 메틸화에 관련하는 효소인 EZH2와 결합하여 암의 생성에 관여하는 단백질인 DRAK2를 표적으로 하는 항암제

기존 항암제와의 병용요법 및 바이오마커 동반진단

- 병용요법
 - 백토서팁을 MSD의 키트루다, 아스트라제네카의 임핀지와의 병용요법 공동개발
- 동반진단
 - 유전체 분석을 이용하여 항체 치료제와 진단키트를 동시에 개발하고, 타깃 단백질의 발현이 높은 환자군에게 맞춤형 치료를 제공하는 전략

매출실적

- 매출 실적
 - 2019년 영업손실 132억 원, 순손실 135억 원을 기록하며 적자 시현
 - 최근 3개년간 매출 전무, 대규모 연구개발비 발생 등으로 적자기조 지속
- 매출 목표는 임상단계 라이선스 아웃
 - 백토서팁 병용요법으로 기술이전 추진 및 희귀의약품 지정으로 조기 상용화하는 투트랙 전략

시장경쟁력

세계 항암제 시장규모 및 성장률

년도	시장규모	성장률
2019년	2,419억 달러	연평균 10.1% ▲
2026년(E)	4,697억 달러	

국내 항암제 시장규모 및 성장률

년도	시장규모	성장률
2019년	9,474억 원	연평균 9.3% ▲
2023년(E)	1조 3,521억 원	

항암제 산업 동향

- 지속적인 암 발병률 증가로 항암제 시장규모 확대
- 면역항암제인 키트루다와 옵디보의 매출규모 확대

최근 변동사항

신규 바이오마커 VRGS 발굴

- 대장암/위암 치료반응을 예측할 수 있는 바이오마커 VRGS 발굴

비소세포폐암 치료제 임상 2상 진입

- 비소세포폐암 치료제로 키트루다-백토서팁 병용임상 2상 시험계획(IND) 식약처 승인

데스모이드 종양 치료제 희귀의약품 지정 준비

- 희귀병인 데스모이드 종양에 백토서팁-글리벡 병용요법 적용

I. 기업현황

바이오마커 기반 FIRST-IN-CLASS 신약개발 회사

동사는 바이오마커 기반의 혁신 신약 개발을 목표로 다양한 암질환의 신규 타겟 발굴을 위한 기초 연구 및 작용 기전을 규명하고 있다.

■ 기업 개요

동사는 2013년 06월 설립되어 의학 및 약학 연구개발업을 영위하고 있다. 동사는 신약개발기업인 (주)테라젠이텍스의 신약연구소를 분사(Spin-off)하여 설립되었고, 항암신약 연구의 기술력을 인정받아 2019년 12월 기술특례상장 제도를 통해 코스닥 상장되었다.

동사는 차세대 시퀀싱 기반의 유전체 분석기술을 활용하여 환자에 대한 치료 효과를 높일 수 있는 신약 후보 물질을 발굴하고, 독성이 적고 선택성과 유효성이 우수한 항암치료제를 개발하고 있다. 동사는 암 세포 및 암 조직에 대한 전 유전체 시퀀싱, 전사체 시퀀싱을 실시하여 돌연변이, DNA 증폭 등을 분석하고 특정 암에서 과발현하는 유전자를 발굴한 후, 기초 연구를 통해 표적 항암제 개발 가능성, 신약 타겟으로서의 가능성 등을 검증하는 신약 개발 플랫폼을 구축하고 있고, 해당 플랫폼을 이용한 약물 발견 및 초기 임상 개발에 경쟁력이 있다.

동사의 대표이사 김성진 박사는 한국인 최초의 유전체 시퀀스 분석과 한국인 위암환자의 시퀀스 분석에 성공하였으며, 암세포에서 $TGF-\beta$ 수용체 유전자의 결손과 돌연변이를 규명한, 유전체 및 암질환 연구 분야의 권위자이다. 또한, 동사는 후보물질 발굴부터 임상시험, 상용화에 이르는 신약개발 전체 프로세스를 경험한 R&D 인력을 보유하고 있다. 보유 인력은 총 33명으로, 의사, 약사, 바이오 분야의 박사 학위 등을 보유한 전문 인력으로 파악된다(2020년 9월 동사 회사소개서 기준).

■ 주요주주 및 관계회사 현황

동사의 최대주주는 (주)테라젠이텍스(대표이사 고진업, 최대주주 김성진(3.26%))로 지분 15.2%를 보유하고 있고, 2대주주는 김성진 대표이사로 10.3%를 보유하고 있다. 동사의 관계회사로는 동사가 지분 32%를 보유하고 있는 Celloram,INC.과 동사의 주식을 보유한 (주)테라젠이텍스, 리드팜(주)가 있다. Celloram,INC.는 미국에 위치한 신약개발 기업으로 세포치료제를 개발하고 있다.

[표 1] 동사의 관계회사 및 주요주주 현황

주요 관계회사		주요주주 현황	
회사명	사업부문	주요주주	지분율(%)
Celloram,INC.	신약개발	(주)테라젠이텍스	15.2
(주)테라젠이텍스	완제의약품 제조, 유전체분석, 신약개발	김성진	10.3
리드팜(주)	의약품 도매	고진업 외 5인	8.4

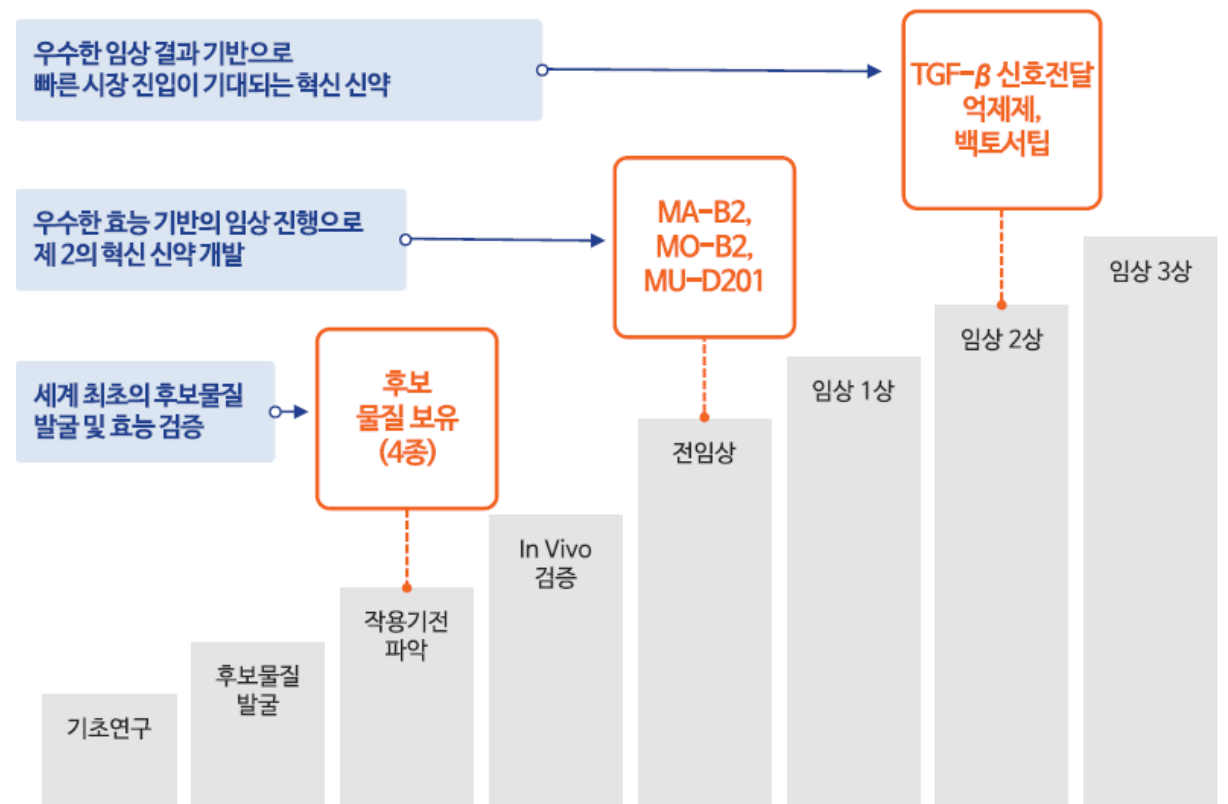
*출처: 분기보고서(2020.09), NICE디앤비 재구성

■ 주요 사업 범위

동사는 중앙미세환경 조절과 관련된 단백질인 TGF- β 를 표적으로 하는 백토서팁, 면역세포의 활성을 억제하여 면역치료의 효능을 억제하는 단백질인 BAG2를 표적으로 하는 MA-B2/MO-B2, 히스톤 메틸화에 관련하는 효소인 EZH2와 결합하여 암의 생성에 관여하는 단백질인 DRAK2를 표적으로 하는 MU-D201 등의 항암제를 개발하고 있다. 백토서팁은 각 적응증별로 식약처와 미국 FDA의 승인을 얻어 임상시험을 진행 중이며, MA-B2, MU-D201은 전임상시험을 진행 중이다.

동사는 아직 신약개발 과정에 있어 제품이나 상품의 매출 및 관련 매출원가가 발생하지 않았다. 동사의 매출 목표는 임상시험단계에서 라이선스 아웃이고, 동사는 이를 위해 해외 파트너사와의 네트워크 유지 및 공동 연구개발 진행, 외부 기술이전 컨설팅사 관리 및 공동 업무, 국내외 기술이전 대상 업체 파트너링 및 계약 등을 포함한 기술이전 프로세스를 진행하고 있다.

[그림 1] 사업화 계획



*출처: 동사 IR자료(2020.11)

II. 시장 동향

지속적인 암 발병률 증가로 항암제 시장규모 확대

세계 항암제 시장은 연평균 10.1%, 국내 중양치료제 및 화학요법제 시장은 연평균 9.3% 수준으로 꾸준한 성장세를 유지하고 있다. 내성, 부작용 등의 문제로 신규 기전의 항암제에 대한 필요성이 제기되고 있고, 항암제 시장은 획기적인 기전의 항암제가 시장의 판도를 갑작스럽게 바꿀 수 있다.

■ 항암제 트렌드 변화

의약품이란 병을 치료하거나 증상을 완화하는데 쓰이는 특정한 물질로써, 의약품과 의료기기가 아닌 물질로 정의된다. 약사법에서는 의약품의 처방 유무에 따라 일반의약품과 전문의약품으로 구분하고 있고, 동사는 전문의약품을 개발하고 있다. 전문의약품 중 동사가 주력으로 개발하고 있는 분야는 난치성 암을 치료하기 위한 항암제이며, 동사는 저분자화합물과 항체치료제 등 다양한 기술이 적용된 형태의 항암제를 개발하고 있다.

항암제는 1세대 화학항암제, 2세대 표적항암제, 3세대 면역항암제 순으로 발전되어 왔다.

1세대 화학항암제는 세포독성 항암제를 사용해 암세포를 축소, 억제, 제거하는 요법으로, 빠르게 분화하는 세포를 직접 공격하는 방식의 가장 기본적인 항암치료법이지만, 화학항암제가 정상세포에도 영향을 준다는 단점이 있었다.

이에 따라 암세포에만 나타나는 특정 단백질이나 유전자 변화를 표적하는 방식의 2세대 표적항암제가 주목받기 시작하였다. 표적항암제는 환자 맞춤 의학으로 성장하였으나, 표적항암제 역시 정상세포 기능 저하에 영향을 줄 수 있으며, 암세포가 항암제로부터 생존하려는 특성 때문에 표적단백질에 돌연변이가 발생하거나 억제된 신호전달경로를 보완할 수 있는 새로운 신호전달경로를 활성화시킴으로써 기존 항암제에 더 이상 반응하지 않는 내성이 생겨 어느 시점부터 치료 효과가 나타나지 않는 연구 결과들이 보고되고 있다.

[그림 2] 항암제 트렌드 변화



*출처: 동사 IR자료(2020.11)



화학항암제와 표적항암제의 부작용이 뚜렷해지면서 3세대 면역항암제가 새로운 패러다임으로 자리매김 하였다. 면역항암제는 암세포나 원인 물질을 직접 공격하는 방식이 아닌, 신체의 면역체계를 강화하는 방식의 항암제로, 환자 스스로의 면역시스템을 사용하기 때문에 부작용이 적고 적용 가능한 암종이 다양하며 반응이 오래 지속된다는 장점이 있다. 그러나 면역항암제는 적용 가능한 암종이 제한적이고, 면역항암제 역시 내성이 발생하는 사례들이 보고되고 있다.

이와 같이 암 치료 분야에서 암 주변의 미세환경을 동시에 조절하지 않고 암세포를 직접 공격하는 항암제만으로는 암을 정복할 수 없다고 여겨져, 종양을 둘러싼 기질이 악성세포의 성장 및 진행을 가능하게 하는 환경을 제공하고, 종양미세환경 조절을 통해 암의 성장과 전이 억제, 항암제 내성을 극복할 수 있는 차세대 항암제나 기존의 치료제들을 혼용한 병용치료 요법이 대안으로 제시되고 있다.

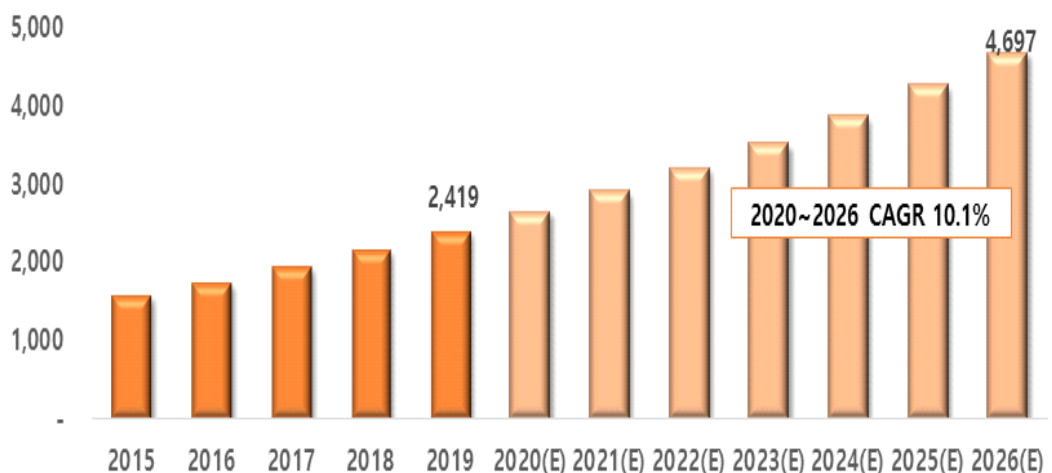
■ 세계 항암제 시장규모

동사 주요제품이 해당하는 의약품 산업은 관련 분야의 지식과 기술을 토대로 신약개발을 위한 고도의 기술이 요구되어 진입장벽이 높고, 인간의 생명과 관련되어 제품 개발, 임상시험, 인허가, 제조, 유통, 판매 등 전과정을 국가에서 엄격히 규제하고 있는 정부 규제 산업이다. 의약품은 생명 및 건강과 직접적으로 관련되어 있어, 경기변동 및 가격에 상관 없이 구매하려는 속성을 가져 경기변동 및 가격에 비탄력적인 장점이 있고, 기술 집약도가 높고 원료 및 항암제 생산과 판매여부에 따라 막대한 부가가치 창출이 가능해 미래 신성장 동력 산업으로 불린다.

2020년 12월 Global market Insights에 게재된 Global Trends Report에 따르면, 세계 항암제 시장(Oncology market) 규모는 2019년에 2,419억 달러를 초과했고, 2020년에서 2026년 사이에 10.1% 이상 성장할 것으로 전망했다. 동 보고서에서는 종양 검출을 위한 다양한 검사 기술의 발전과 북미 지역의 노인 인구 증가 등에 의해 암 질환 유병률 증가에 따라 항암제 시장이 확대될 것으로 분석했다.

[그림 3] 세계 항암제 시장규모

(단위: 억 달러)



*출처: Oncology Market Forecasts 2026, Global Trends Report, 2020.12

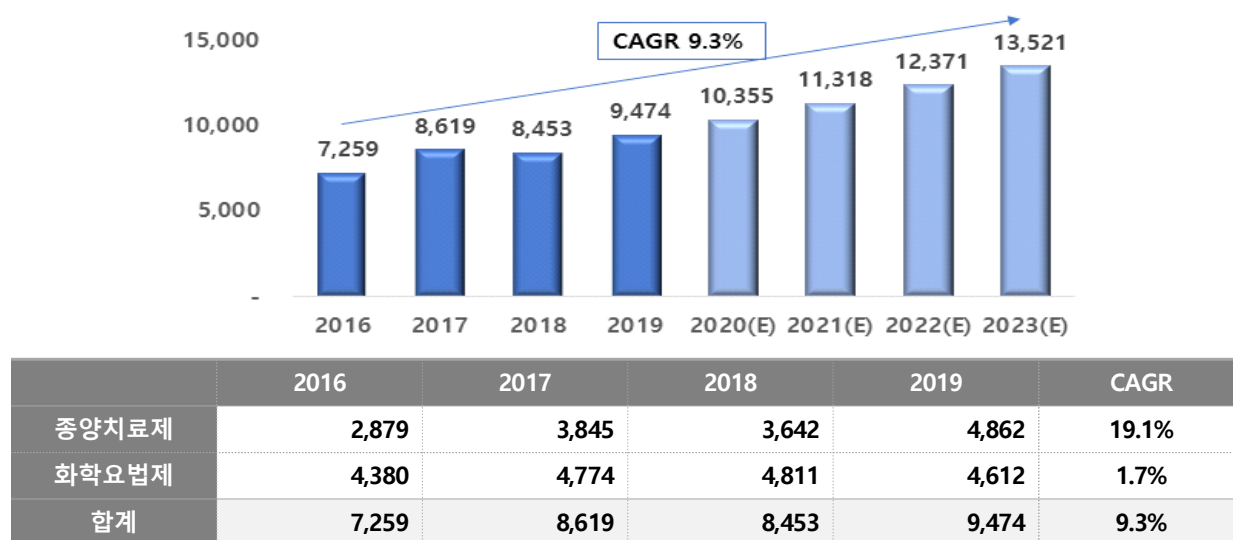
■ 국내 항암제 시장규모

국내 의약품 산업은 신약개발보다는 원료의 합성을 통한 최종 완제 의약품 생산이 대부분인 내수 완제품 중심의 산업 특성을 가진다. 국내 항암제 시장은 아직 수입의존도가 높고, 신약개발 성공률이 낮은 수준이지만, 고령화에 따른 암 환자의 증가와 정부 및 기업의 투자 확대, FDA의 빨라진 신약 승인 절차 등에 의해 시장 성장이 촉진되고 있다. 이에 따라, 세포의 발생과 성장기전에 대한 기초연구 단계부터 투자하여 장기적인 연구개발을 통한 새로운 항암제 개발이 필요한 것으로 분석된다.

국내 항암제 시장규모를 확인하기 위해 식약처의 의약품 생산 및 수출수입 실적 통계자료를 참고하였다. 약효별 완제의약품 생산액 항목 중 종양치료제의 경우 2016년 2,879억 원에서 2019년 4,862억 원으로 연평균 19.1%의 성장률을 보이며 증가하는 것으로 파악되었고, 화학요법제의 경우 2016년에는 4,380억 원 수준으로 종양치료제보다 많이 판매되었으나, 2019년에는 4,612억 원으로 종양치료제보다 적은 판매량을 기록하였다. 항암치료를 위해 사용되는 종양치료제와 화학요법제 전체 매출액은 2016년 7,259억 원에서 2019년 9,474억 원으로 연평균 9.3% 증가하였으며, 고령화와 암 발병률이 증가 추세를 보이는 세계 시장과 유사한 동향을 보일 것으로 판단되어 동일 CAGR을 반영하여 추정한 2023년 매출액은 1조 3,521억 원 수준으로 전망하였다.

[그림 4] 국내 종양치료제 및 화학요법제 생산액 규모

(단위: 억 원)



*출처: 식약처, 약효별 완제의약품 생산 및 수출수입 실적, 2016~2019, NICE디앤비 재구성

■ 항암제 매출 동향 및 경쟁업체 현황

국가항암신약개발사업단에서 Globaldata의 Drug Database 자료를 바탕으로 세계 38개 제약사의 매출을 추정하여 세계 항암제 매출 동향을 분석하였다. 표 2에 상위 6개 항암제 매출 동향을 2018년 매출액 순위로 나타내었다.

2018년 매출 1위는 세엘진의 레블리미드이고, 매출이 꾸준히 증가하고 있다. 2위는 MSD의 면역항암제 키트루다였다.



키트루다는 2017년부터 매출이 급격히 증가하여 2018년 매출 2위를 기록하였다. 한편, 2014년 1, 2, 3위를 차지했던 로슈의 제품들이 2018년 3, 4, 5위로 밀려났으며, 이러한 추세는 이후에도 계속되어 Globaldata 에서는 2025년에는 10위권 밖으로 밀려날 것으로 예상하고 있다.

키트루다와 같은 기전으로 또 다른 PD-1 항체인 옵디보 역시 매출액 6위를 차지하고 있다. 10위권내에 한 개의 제품도 없던 MSD와 BMS가 PD-1 항체 제품으로 상위권으로 도약한 것은 획기적인 기전의 항암제가 시장의 판도를 갑작스럽게 바꿀 수 있다는 것을 보여준다.

[표 2] 세계 항암제 매출동향 (단위: 억 달러)

매출 순위	제품명	제약사	2014	2015	2016	2017	2018	2025 예상순위
1	레블리미드	세엘진	50	58	70	82	97	2
2	키트루다	MSD	0.5	0.6	14	38	72	1
3	허셉틴	로슈	69	6,8	6,9	71	71	19
4	아바스틴	로슈	70	70	69	68	70	18
5	맵테라주/리톡산	로슈	75	73	74	75	69	23
6	옵디보	BMS	0.06	9	37	49	67	3

*출처: 항암제 매출 동향(국내외), 국가항암신약개발사업단, 2019.06

동사의 주력 파이프라인 백토서팁, MA-B2/MO-B2 및 MU-D201 모두 해당 단백질을 표적으로 하는 항암제가 없어 국내 경쟁업체는 없는 것으로 판단된다. 또한 MA-B2/MO-B2 및 MU-D201의 표적인 BAG2와 DRAK2는 동사에서 최초로 발굴한 표적으로, 국외에도 경쟁업체가 전무한 것으로 확인된다.

백토서팁과 동일하게 암종에서 TGF- β 를 타겟으로 한 약물을 개발중인 기업으로는 EMD세로노, 일라이릴리, 화이자, 노바티스, 사노피, 트라베더슨 등 여러 글로벌 제약사가 있고, 그 중 백토서팁과 매커니즘이 유사하다고 판단되는 제품으로는 일라이릴리의 LY3200882, EMD세로노의 빈트라푸스프 알파(M7824)가 있지만, 두 후보물질은 임상시험 단계에서 충분한 유효성이 나타나지 않아 임상시험을 중지함에 따라 백토서팁이 TGF- β 저해제의 First-in-class 선도물질로 부상하게 되었다.

Ⅲ. 기술분석

암종과 무관하게 특정 바이오마커를 가진 환자만을 치료하는 항암제 개발

동사는 차세대 시퀀싱 기반의 신약 개발 플랫폼을 구축하고, 해당 플랫폼을 이용하여 후보물질을 발견하고 임상 연구를 수행한다. 주요제품인 백토서팁은 중앙미세환경 조절과 관련된 단백질인 TGF- β 를 표적으로 하여 암종과 무관하게 작용하는 특징이 있다.

■ 다양한 암종에 대한 파이프라인 보유

암치료제 개발 과정은 일반적으로 1) 표적을 발굴하고 화합물 제제 또는 항체 제제를 개발하는 단계, 2) 개발된 제제에 대하여 다양한 세포주 또는 동물 모델을 이용한 전임상시험을 통해 안전성, 유효성, 효익을 검증하는 단계, 3) 전임상시험으로 검증된 제제에 대하여 임상시험을 거쳐 상용화하는 단계 순서로 진행된다.

동사는 차세대 시퀀싱 기반의 유전체 분석기술을 활용하여 환자에 대한 치료 효과를 높일 수 있는 신약 후보를 발굴하고 독성이 적고 선택성과 유효성이 우수한 항암치료제를 개발하고 있다. 동사는 기반기술을 활용하여 17가지 적응증에 대한 신약 파이프라인(2021년 1월 홈페이지 기준, 타깃이 비공개인 MPD-001~4포함)을 확보하였다.

[표 3] 동사 주요 파이프라인

표적	치료제	병용약물	적응증	개발단계
TGF- β	백토서팁	키트루다 (펄름롤리주맵)	대장암/위암	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(SIT ¹⁾)
			비소세포폐암 1L	한국 임상 2 상 진행 중(SIT)
			흑색종	미국 임상 2 상 계약 체결(IIT ²⁾)
		임핀지 (더발루맵)	비소세포폐암 2L	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(SIT)
			방광암	한국 임상 2 상 진행 중(SIT)
		파클리탁셀	위암	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(SIT)
		파클리탁셀, 라무시루맵	위암	한국 임상 12 상 진행 중(IIT)
		폴록스	췌장암	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(IIT)
		5FU/LV/오니바이드	췌장암	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(IIT)
		글리벡 (이마티닙)	데스모이드종양	한국 임상 1b/2a 상 진행 중(IIT)
BAG2	MA-B2/MO-B2(바이오마커)		고형암, 암진단키트	전임상 진행 중
DRAK2	MU-D201		미만성거대 B 세포림프종, 감마델타림프성 백혈병	전임상 진행 중

*출처: 동사 IR자료(2020.11)

1) SIT: Sponsor-initiated trial, 회사(의뢰자) 주도 임상시험

2) IIT: Investigator-initiated trial, 연구자 주도 임상시험

동사의 핵심제품은 동사가 영위 중인 사업 중 미래 성장성, 원천기술 확보 수준 및 상용화 가능성이 높은 기술로 판단되는 기술인 백토서팁, MA-B2/MO-B2, MU-D201이 있다.

1. 백토서팁

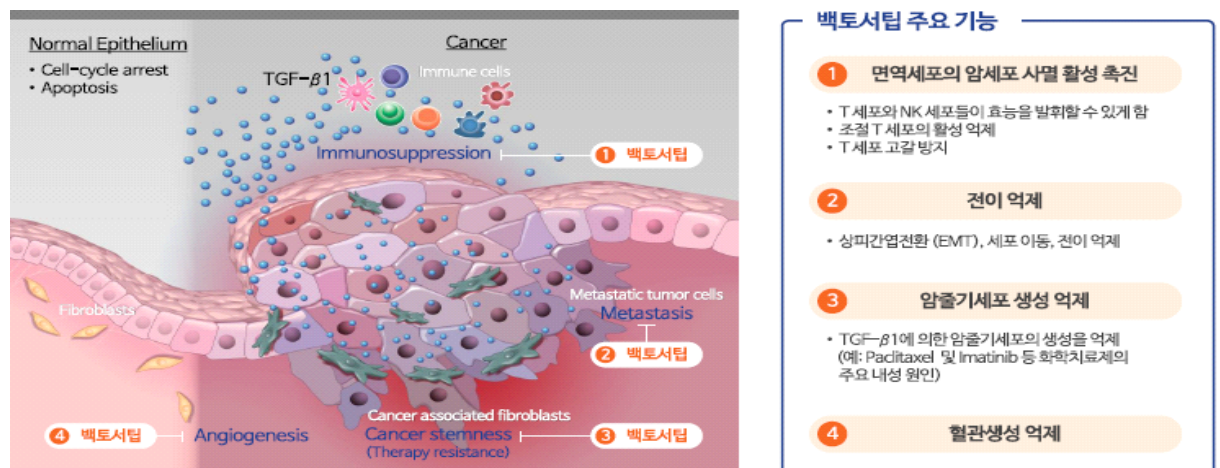
백토서팁은 저분자 합성 신약으로 다발성골수종, 폐암, 위암, 대장암, 방광암 등 TGF- β 반응 유전자(Transforming growth factor- β response signature, TBRs) 발현율이 높은 모든 암종을 적응증으로 하는 항암제이다.

TGF- β 는 생체내 다양한 조직에서 발현되며, 세포 성장, 분화, 사멸, 발생 등 다양한 생리과정에 관여하는 중요한 조절인자로 보고되어 있으며, TGF- β 신호전달과정의 이상은 각종 암을 포함하여 다양한 질환 발병의 요인으로 알려져 있다. TGF- β 는 정상조직에서 세포의 성장을 억제하여 세포의 항상성을 유지하는데 중요한 역할을 하고 있으나, 암조직에서는 TGF- β 신호전달체계에 변이가 일어나 세포증식 억제를 하지 않게 되면서 암세포가 악성화되고 다른 장기로 전이할 수 있는 환경을 제공하여 암을 형성하게 된다.

TGF- β 신호전달의 억제는 리간드인 TGF- β 의 직접적인 억제보다 그 수용체인 ALK5의 인산화를 억제하는 것이 부작용을 줄일 수 있는 방법으로 알려져 있다. 백토서팁은 ALK5의 인산화를 차단하여 TGF- β 신호를 저해하는 작용기전을 나타낸다.

TGF- β 는 악성종양의 발생부터 침습, 전이, 면역회피 및 기존 항암치료제들에 대한 내성 획득 과정까지 광범위하게 관여하기 때문에, TGF- β 신호를 저해하는 백토서팁은 암종이나 발생부위와 관련 없이 TGF- β 발현이 높은 다양한 암종에 두루 적용할 수 있고, 내성 문제를 극복할 수 있다는 특징이 있다.

[그림 5] 백토서팁 주요 기능



*출처: 동사 IR자료(2020.11)

2. MA-B2 / MO-B2

MA-B2는 BAG2 단백질을 표적하는 항체치료제로 삼중음성유방암, 췌장암 등을 적응증으로 하며, MO-B2는 암 환자의 혈청에서 BAG2의 양을 진단하는 항체 기반 진단키트이다. 동사는 유전체 분석을 통하여 BAG2 단백질이 삼중음성유방암에 특이적으로 과발현한다는 사실을 밝히고, 이를 표적으로 하는 치료제 MA-B2와 동반진단키트 MO-B2를 개발하고 있다.



BAG2 단백질은 암의 전이에 관여하는 카텝신의 전구체(pro-CTSB)에 결합하여 카텝신의 자가절제를 저해함과 동시에 카텝신 전구체-BAG2 결합체는 혈액으로 분비되어 면역활성억제와 암 전이 촉진을 유도한다. 동사에서 개발한 BAG2 단일항체 MA-B2는 암화 과정에서 암 전이에 관여하는 카텝신의 전이 활성을 억제하고, BAG2 단백질의 면역활성 억제 작용을 저해함으로써 면역계를 활성화시켜 항암효과를 나타낼 수 있다.

MO-B2는 암 환자의 혈청에서 BAG2의 양을 진단하는 항체 기반 진단키트이다. 동사는 정상인의 혈액에서는 BAG2가 검출되지 않고 암의 전이나 재발이 된 환자의 혈액에서 다량 검출이 된다는 사실을 기반으로 암의 전이나 재발을 예측할 수 있는 표적이 될 수 있을 것으로 예상하고 진단키트 개발을 진행하고 있다. 현재 암의 재발이나 전이를 예측할 수 있는 검진법이 없어 동사의 BAG2 단백질의 혈중 양을 측정하는 검진법은 활용도가 높을 것으로 예상된다.

3. MU-D201

MU-D201은 세린/트레오닌 키나아제 억제제로, DRAK2(DAP kinase-related apoptosis-inducing protein kinase 2) 단백질을 선택적으로 억제하는 저분자 합성 신약이다. DRAK2는 T 세포의 사멸을 유도하는 음성적 조절인자로 알려져 있으며, 히스톤 메틸화에 관련하는 효소인 EZH2와 결합하여 암의 생성에 관여하며, 암조직에서 과발현 시 TGF- β 의 암 억제 활성을 저해하여 암 성장 및 전이를 촉진한다. MU-D201은 DRAK2의 활성을 억제하여 TGF- β 신호 기작과 암 후성 유전학적 기전을 동시에 억제할 수 있다. MU-D201은 EZH2 유전자 변이를 가진 미만성거대B세포림프종과 감마델타T세포백혈병 등의 희귀질환을 적응증으로 하여 조기판매 승인 계획을 수립하고 있다.

동사는 MI-S4, MPD-001~4 등 다양한 질환에서 과발현되는 신규 표적을 지속적으로 발굴하고 있고 이를 통해 자가면역질환, 비만, 지방간 등으로 질환 영역을 확장해 나갈 계획이다.

■ 항암제 기술동향

기존 항암제의 부작용 및 내성 문제에 따라 기존의 치료제들을 혼용한 병용치료 요법과 바이오마커를 이용한 동반진단이 대안으로 제시되었다.

1. 면역항암제 병용요법

병용투여 요법은 암 환자의 상태 혹은 필요에 따라 각기 다른 표적에 대한 치료제들의 투여 용량과 투여 일정을 유연하게 조율하여 효능을 극대화하면서 부작용은 적게 관리하며 항암 효능의 상승효과(Synergic effect)를 기대할 수 있다.

최근 면역항암제 개발 추세는 신규 표적 발굴보다 이미 검증된 표적에 대한 치료제들을 어떤 임상적 근거에 따라 어떻게 병용하여 최적의 항암효과를 얻을 수 있을 것인가에 대한 연구로, 다양한 신호전달 과정과 상호작용을 통해 시너지 효과를 낼 수 있는 병용약물을 찾기 위해 현재까지 밝혀진 면역체크포인트에 대한 길항제 또는 작용제를 다양하게 조합하여 다중 신호전달과정을 동시에 공략함으로써 내성을 극복하고자 하는 연구가 이루어지고 있다.

동사의 파이프라인은 기존의 면역항암제 및 항암제와 병용요법이 가능하기 때문에 면역항암제 및 항암제 시장의 성장이 동사에게 기회요인으로 작용하고 있다. 동사의 주력제품인 백토서팁은 글로벌 제약사인 머크(MSD)의 키트루다(위암, 대장암), 아스트라제네카의 임핀지(비소세포폐암)와의 병용요법을 공동으로 개발하고 있다.

2. 바이오마커 및 동반진단

바이오마커란 정상 또는 병리적 상태를 구분하거나 약물 반응성 등을 객관적 견지에서 예측 및 측정할 수 있는 지표를 뜻한다. 미국 생명공학관련 협회가 조사한 2006~2015년 임상시험 성공률 결과를 보면 임상 1상에서 승인까지의 성공률은 바이오마커를 활용할 경우 25.9%, 그렇지 않은 경우 8.4%로 바이오마커 기반의 신약개발 성공률이 3배 이상 높은 것으로 조사되었다.

동반진단은 환자 개개인의 특정 바이오마커 보유 여부를 판단하여 항암제에 대한 안전성 및 효율성이 입증된 환자군을 선별하는 공인된 진단기술로, 신약 임상에 준하는 임상시험을 거쳐 유용성을 입증해야만 동반진단으로 인정받을 수 있으며, 규격화된 제품 및 프로토콜을 사용하기 때문에 데이터 오차 범위와 판독자의 주관성을 줄여 객관적인 결정을 내릴 수 있게 한다.

동반진단을 사용하며 환자군 선정이 용이하고 치료 효과가 보장된 환자를 대상으로 임상시험을 진행하기 때문에 개발 위험성이나 비용을 줄일 수 있고, 예후에 대해 예측이 가능하게 되면서 치료 일정 및 과정을 계획하는 데 용이하다. 바이오마커를 활용한 동반진단의 큰 장점은 암종에 상관없이 특정 바이오마커 유무에 따라 항암제를 투여할 수 있게 된 점이 있다.

동사는 유전체 분석을 이용하여 항체 치료제와 진단키트를 동시에 개발하여 타겟 단백질의 발현이 높은 환자군에게 맞춤형 치료 전략을 제공하고자 하며, 바이오마커로써 규제기관의 빠른 허가를 획득하여 기술이전이나 상업화를 앞당길 수 있을 것으로 전망된다.

■ 유전체 분석기술, 신약 개발 플랫폼 및 풍부한 R&D 인력을 보유한 신약개발 기업

[그림 6] SWOT 분석



IV. 재무분석

매출이 전무한 가운데, 대규모 연구개발비 발생으로 적자기조 지속

동사는 신약 개발을 주력사업으로 영위하고 있으며, 현재 임상시험 등 개발 과정에 있어 매출실적은 전무한 상태이고, 대규모 연구개발비의 발생 등으로 적자기조가 지속되고 있다.

■ 바이오마커 기반의 신약 개발 중으로 매출은 아직 전무한 상태

동사는 바이오마커 기반의 신약 개발 및 판매를 주력사업으로 영위하는 업체로 현재 신약개발 과정에 있어 매출액은 전무한 상태이며, 차후 보유 파이프라인의 기술이전(License out)을 통한 매출 발생을 목표로 하고 있다.

[표 4] 동사 연간 및 3분기(누적) 요약 재무제표

(단위: 억 원, K-IFRS 별도 기준)

항목	2017년	2018년	2019년	2019년 3분기	2020년 3분기
매출액	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
매출액증가율(%)	-	-	-	-	-
영업이익	-32.3	-101.6	-132.4	-108.2	-198.1
영업이익률(%)	-	-	-	-	-
순이익	-34.7	-375.8	-135.2	-108.3	-173.5
순이익률(%)	-	-	-	-	-
부채총계	116.3	272.4	20.0	25.5	35.1
자본총계	-102.9	45.8	786.9	223.7	631.7
총자산	13.3	318.2	807.0	249.2	666.9
유동비율(%)	9.0	1,146.3	5,323.9	1,107.8	1,851.3
부채비율(%)	-113.0	594.4	2.5	11.4	5.6
자기자본비율(%)	-771.5	14.4	97.5	89.8	94.7
영업현금흐름	-26.9	-81.2	-152.0	-98.3	-179.5
투자현금흐름	1.3	-303.1	-459.2	71.9	195.8
재무현금흐름	25.7	387.2	610.0	24.7	0.1
기말 현금	0.2	3.0	1.7	1.3	18.1

※ 분기: 누적 실적

*출처: 동사 사업보고서(2019.12), 동사 분기보고서(2020.09)

■ 최근 3개년간 매출이 전무한 상태로 적자기조 지속

동사는 백토서팁(TGF- β 1 저해제)을 주요 파이프라인으로 보유하고 있다. 백토서팁은 2건의 단독 투여 임상 1상을 완료한 상태이며, 미국과 한국에서 12건의 병용 투여 임상 2상이 진행 중인 상태로 아직 기술이전이 현실화되지 않아 동사의 매출은 최근 3개년간 전무한 상태이다.

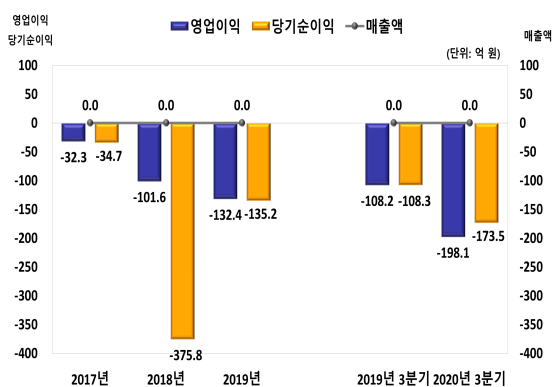
매출이 전무한 상황에서 임상시험 등에 따른 대규모 연구개발비를 비롯해 인건비 등 영업비용은 계속 발생하고 있어 적자기조를 지속하고 있다. 2019년에도 영업손실 132억 원, 순손실 135억 원을 기록하며 적자시현하였다.

■ 2020년 3분기(누적)에도 적자기조 지속

2020년에도 3분기까지 매출은 전무하며, 영업손실 198억 원, 순손실 174억 원을 각각 기록하는 등 적자기조를 지속하였다.

[그림 7] 동사 연간 및 3분기(누적) 요약 포괄손익계산서 분석

(단위: 억 원, %, K-IFRS 별도 기준)



매출액/영업이익/당기순이익 추이

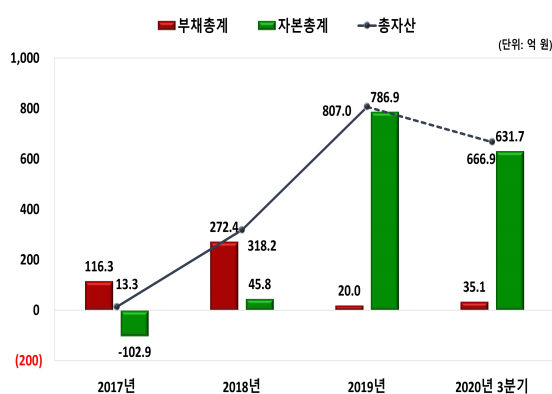


증가율/이익률 추이

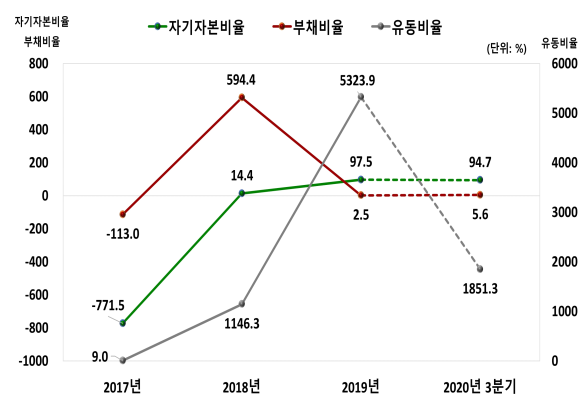
*출처: 동사 사업보고서(2019.12), 분기보고서(2020.09), NICE디앤비 재구성

[그림 8] 동사 연간 및 3분기(누적) 요약 재무상태표 분석

(단위: 억 원, %, K-IFRS 별도 기준)



자산/부채/자본 비교



자본구조의 안정성

*출처: 동사 사업보고서(2019.12), 분기보고서(2020.09), NICE디앤비 재구성

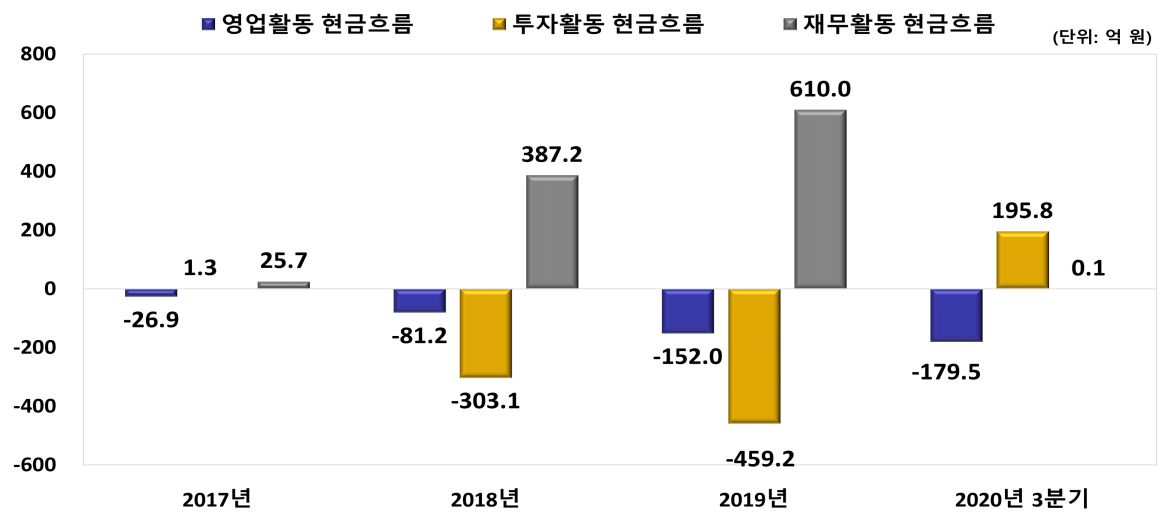
■ 2019년 코스닥 상장시 유입된 공모자금으로 현금유출을 충당

동사는 매출이 전무한 상태이며 적자기조를 지속하고 있어 최근 3년간 영업활동상 부(-)의 현금흐름을 나타냈다. 2019년에는 영업활동 현금유출과 금융상품의 취득 등 투자활동으로 인한 현금유출을 코스닥 상장시 유입된 공모자금 등 재무활동으로 유입된 현금으로 대부분 충당하는 현금흐름을 보였으며, 추가적인 현금유출은 보유 현금으로 충당하여 동사의 현금성 자산은 기초 3억 원에서 기말 2억 원으로 그 규모가 감소하였다.



[그림 9] 동사 현금흐름의 변화

(단위: 억 원, K-IFRS 별도 기준)



*출처: 동사 사업보고서(2019.12), 분기보고서(2020.09), NICE디앤비 재구성

V. 주요 변동사항 및 향후 전망

백토서팁 병용요법으로 기술이전 추진, 희귀의약품 지정으로 조기 상용화하는 투트랙 전략

동사는 대장암, 비소세포폐암 등 면역항암제와의 병용요법에 대한 기술이전을 적극 추진하고, 데스모이드종양 등 희귀 암종에 대해서는 허가용 임상시험을 통해 조기에 상용화하는 투트랙 사업 전략을 구사하고 있다.

■ 대장암/위암 치료반응을 예측할 수 있는 바이오마커 VRGS 발굴

동사는 30여개의 국내외 제약사와 기술이전 협의를 위한 비밀유지계약(CDA)을 체결 또는 협의하고 있고, 공동연구개발 계약을 체결하고 있는 등 지속적인 기술이전 활동을 수행하고 있다. 특히, 글로벌 제약사인 MSD와는 3건의 백토서팁-키트루다 병용 임상시험을 진행하고 있다.

동사는 MSD와 2018년 7월부터 TGF- β 저해제인 백토서팁과 PD-1 면역관문억제제인 키트루다와의 병용요법으로 대장암/위암 치료제로서의 안전성과 유효성 검증을 위한 공동임상시험을 진행해 왔다. 대장암은 현미부수체 불안정형(MSI)과 안정형(MSS)으로 나눌 수 있는데, MSI형 환자는 치료 시도가 가능하지만, 전체 환자의 86%를 차지하는 MSS형 환자는 면역항암제 단독 투여 시 반응이 낮아 치료 효과가 없다. 동사는 치료제가 없는 MSS 환자군을 대상으로 1b/2a상 병용 임상시험을 진행하고 있다.

동사는 2020년 11월 미국 면역항암학회(SITC)에서 백토서팁-키트루다를 대장암 환자에게 병용 투여하고 치료 반응을 예측할 수 있는 바이오마커 VRGS(Vactosertib response gene signature)를 발굴했다고 공개했다. MSS형 환자 24명 중 종양이 줄어든 환자 24주 이상 종양이 커지지 않은 환자는 8명으로, 임상효용률(CBR)은 33.3%였고, VRGS가 많은 7명에 대한 CBR은 85.7%를 기록해 VRGS 바이오마커의 적용 가능성을 보여줬다.

■ 비소세포폐암 치료제로 키트루다-백토서팁 병용임상 2상 진입

동사는 2020년 8월 MSD와 공동으로 진행하는 백토서팁-키트루다 병용임상 2상 시험계획(IND)의 식약처 승인을 받았다고 공시하였다. 공시자료에 따르면, 임상시험은 TGF- β 저해제인 백토서팁과 PD-1 면역관문억제제인 키트루다(성분명: 펌브롤리주맵)를 병용투여하여 비소세포폐암 1차 치료제로서의 안전성과 유효성을 검증하기 위한 것으로, 서울삼성병원 등 3개 의료기관에서 환자 55명을 대상으로 진행할 계획이라고 밝혔다.

세포의 표면에 있는 단백질인 PD-L1(Programmed death-ligand 1), PD-L2가 T세포의 표면에 있는 PD-1(Programmed cell death protein 1) 수용체와 결합하면, 면역 체크포인트(immune checkpoint) 반응을 유발해 T세포는 암세포를 공격하지 못한다.

키트루다는 T세포의 PD-1 수용체에 붙어 암세포의 회피 기능을 억제하는 작용기전을 가지고 있어, PD-L1이 예측 바이오마커처럼 쓰인다. 키트루다는 PD-L1 발현 50% 이상인 환자에서 반응률이 약 40% 정도로 높은 수준이나, 여전히 치료에 반응하지 않는 환자들도 있다.



백토서팁-키트루다 병용임상이 PD-L1 발현 1% 이상의 환자를 대상으로 기대하는 반응율을 달성할 경우, 세포독성항암화학요법이 포함되지 않은 치료 선택권을 제안함과 동시에 PD-L1 발현이 높은 환자에서 치료성적이 개선될 것으로 보고 있다.

2021년 1월에는 백토서팁-키트루다 병용요법의 대상을 확장하여 흑색종 치료제로의 사용을 위한 연구자 주도 임상 계약을 체결하였다. 흑색종은 멜라닌 세포의 종양화로 피부에 발생하는 악성 종양으로, 피부암으로 인한 전체 사망자 중 65%를 차지한다. 흑색종 재발/불응성 환자가 TGF- β 신호전달체계 활성화에 의존하는 것이 알려져, TGF- β 저해제인 백토서팁과의 병용임상이 유의미한 결과를 도출해낼 수 있을 것으로 기대된다.

■ 희귀병인 데스모이드 종양에 백토서팁-글리벡 병용요법 적용

동사는 데스모이드종양 치료 목적의 백토서팁-글리벡 병용요법에 대해 희귀의약품 지정(Orphan Drug Designation, ODD)을 준비하고 있다. 희귀의약품은 특정 희귀질환을 치료, 진단 또는 예방하기 위해 개발되는 의약품을 의미한다. 희귀의약품으로 지정된 의약품은 임상 3상이 승인되어야 판매를 할 수 있는 일반 의약품과는 달리 적은 환자를 대상으로 하는 임상 2상 결과로 조기 승인을 받을 수 있어 의약품 개발의 주요 전략 중 하나로 인식되고 있다.

글리벡(성분명: 이마티닙)은 스위스 노바티스가 개발한 최초의 표적항암제이자 만성 골수성 백혈병 치료제로 알려져 있으나, 내성이 생기는 문제가 있다. 동사는 데스모이드종양 환자를 대상으로 글리벡과 백토서팁을 병용요법의 안전성 및 약동학을 평가한 결과, 우려할 만한 부작용이 관찰되지 않았고, 이에 따라 현재는 임상 2a상 단계에서 유효성 검증을 진행 중이다. 김성진 대표이사의 인터뷰 내용에 따르면, 동사는 데스모이드 종양에 대한 희귀의약품 지정을 받으면 한국과 미국 등 다국가 임상도 추진할 계획이며, 골육종을 포함한 2종의 희귀난치성 질환으로 적응증을 확대하여 조기에 상용화하는 전략을 구사할 계획이라고 밝혔다.

■ 2021년 본격적으로 백토서팁의 기술이전 추진 예상

동사는 백토서팁을 주요 파이프라인으로 보유하고 있으나 아직 기술이전이 현실화되지 않아 매출이 전무한 상태를 지속하고 있다. 이러한 가운데, 임상시험 등에 따른 대규모 연구개발비가 발생하고 있어 2020년 12월에도 전환우선주와 전환사채를 각각 300억 원, 700억 원의 규모로 발행하는 등 소요자금을 유상증자 및 회사채 발행 등을 통해 충당하고 있다. 한편, 동사는 그동안 쌓아온 임상시험 데이터를 바탕으로 2021년 백토서팁의 기술이전을 본격적으로 추진할 것으로 예상되고 있으며, 향후 이에 따른 매출의 발생이 기대되고 있다.

■ 증권사 투자의견

작성기관	투자의견	목표주가	작성일
키움증권	Not Rated	-	2021.02.09
	■ 백토서팁의 피어 파이프라인인 GSK의 M7824(PD-L1xTGF-β 이중항체)가 4기 비소세포 폐암에서 임상 실패를 선언하여 백토서팁 주가 흐름 및 임상 루머에 영향 ■ 미국암학회 AACR 발표 데이터 확정: ① 췌장암에서 백토서팁+오니바이드 전임상 결과 ② BAG2 (유방암) 연구성과 ③ DRAK1 (자궁경부암) 연구성과		



작성기관	투자의견	목표주가	작성일
키움증권	Not Rated	—	2021.01.14
	■ 상승기류 위에 있는 TGF-β 저해제의 정점 ■ 2021년 중순부터 백토서팅 기술이전 논의가 본격화 될 것으로 예상 ■ BAG2 타깃 물질 (MA-B2, MO-B2)은 올해 전임상 발표를 시작으로 차세대 파이프라인으로의 도약점을 마련할 것으로 판단		
유안타증권	Not Rated	—	2020.11.27
	■ 바이오마커를 활용한 신약연구 개발 기업 ■ 병용요법에 특화된 TGF-β 1 저해제의 기전 ■ 2021년, 더 구체화된 임상 결과 확인		