



기업분석 | 제약/바이오

## 제약/바이오

02 3779 8808

kangx687@ebestsec.co.kr

**NR**

목표주가	<b>NR</b>
현재주가	18,000 원

## 컨센서스 대비

상회	부합	하회

**Stock Data**

KONEX	
시가총액	1,510 억원
발행주식수	8,387 천주
52주 최고가/최저가	34,100 / 12,600 원
자본	41 억원
액면가	500 원
주주구성	이상현 (외 9인) 46.8%
	한국투자파트너스 (외 2인) 7.4%
	한화투자증권 (외 2인) 5.6%

**Stock Price**

# 펨토바이오메드

(327610)

## 유전자전달 플랫폼으로 mRNA-CAR를, 그리고 무한한 가능성

한국거래소 코넥스기업 분석보고서 발간 지원사업(KONEX Research Project)에 따라 선정되어 작성된 보고서입니다.

**원천기술을 이용한 유전자 전달, 전달을 넘어 안전성/효율성 향상**

동사는 2011년에 설립되어 2019년에 코넥스 상장. 전기청공기술을 이용하여 mRNA와 DNA plasmid 등 주요 유전물질을 세포내로 균일하게 전달 가능. 독자적인 나노공정인 FEMTOFAB 공정 또한 보유중으로 기존의 유전자전달 체계와는 다르게 독보적으로 단시간에 고효율의 유전자 전달이 가능해짐. 동사의 셀샷은 10억개의 세포를 1시간안에 보낼 수 있는 효율성, 그리고 그 중 90%이상의 세포생존율을 보이며 형질 전환 효율을 극대화 시킨 플랫폼 기술임.

**Cellshot mRNA-CAR: one-day personalized on-site mRNA system**

동사는 항암면역세포치료제(CAR-T, CAR-NK 등)제조 시에 세포 내에 물질을 전달하는 전달플랫폼 기술을 주력으로 함. 다양한 유전자와 물질을 전달 할 수 있는 플랫폼에, 연구용 셀샷 CCD 전달 체계(기계)와 카트리지를 공급하고 장비의 상용화를 준비 중에 있음. 현재 '기적의 치료제'라고 불리는 CAR-T는 바이러스 벡터를 사용해야 하는 한계점이 있음. 바이러스를 이용한 CAR-T는 랜덤 삽입으로 인한 세포 독성과 암화 위험성 해소가 아직도 존재하며 고비용 문제는 여전히 CAR-T 치료제의 해결해야 할 숙제로 남아있음. 동사의 셀샷은 안전성이 보장된 사이트에 정확하게 유전물질 전달이 가능하며 바이러스를 사용하지 않기 때문에 가격적으로도 획기적임. 글로벌 제약바이오 회사들이 관심을 갖고 있는 유전자 편집 또한 타겟 사이트를 자르는 물질과 삽입할 유전자 물질을 전달해야 하기 때문에 큰 물질을 효과적으로 전달해야 함. 기존의 전기청공방식이나 바이러스전달로는 한계점이 존재하기 때문에 셀샷 플랫폼의 분리전달방법이 다양한 유전물질을 안전하고 효과적으로 전달하는데 차별적인 장점을 가짐.

**Financial Data**

(십억원)	2016	2017	2018	2019	2020
매출액	0.2	0.4	0.4	0.2	0.3
영업이익	-0.8	-1.0	-1.2	-2.8	-3.6
세전계속사업손익	-0.8	-1.1	-1.2	-4.5	-3.6
순이익(지배주주)	-0.8	-1.1	-1.2	-4.5	-3.6
EPS (원)	n/a	n/a	n/a	-880	-646
증감률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PER (x)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
PBR (x)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
EV/EBITDA (x)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
영업이익률 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
EBITDA 마진 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
ROE (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a
부채비율 (%)	n/a	n/a	n/a	n/a	n/a

주: IFRS 별도 기준

자료: 펨토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

## 기업개요와 중장기 사업 전략

동사는 Cellshot 플랫폼 기술 기반의 면역항암치료제 개발업체로, 2011년에 설립되어 2019년 7월에 코넥스에 상장하였다. 2020년까지는 cell shot 전달 기기 개발과 소모성 카트리지 개발 및 생산 주력, 2021년은 본 시스템을 기반으로 mRNA, 암 항원 등 항암 세포 치료제 개발에 중요한 생체 물질들을 세포 질 내로 직접 전달하는 바이오 플랫폼 개발에 매진하고 있다.

동사의 주력 플랫폼인 Cellshot은 물질과 매개체에 구애를 받지 않는 비바이러스성 무매개체 세포 내 직접 전달 기술이다. 바이러스를 통한 세포 형질 전환에 의존하여 발전해 온 기존 바이오 제약 방식을 뛰어넘어 면역세포를 직접 몸에 투약하는 방식을 사용한다. 웹타이드 암 항원을 비롯하여, 구조가 불안정한 mRNA과 같은 유전자 전달에 있어서 매개체를 사용하는 경쟁 기술보다 뛰어난 기술력을 제공한다.

그림1 기업 개요

회사명	주식회사 펨토바이오메드
시장구분	코넥스 (327610)
설립일	2011년 7월 11일
자본금	27.3억원
대표이사	이상현
업종	의학 및 약학 연구개발업
주요사업	항암 면역 세포 치료 백신 기술 개발
임직원수	23명 (박사: 8명, 석사: 4명)

자료: 펨토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

그림2 공동연구 확대



셀라토즈와의 CAR-NK 연구/개발 계약을 기반으로 셀샷 기술의 편리성, 안전성, 효율성, 그리고 상업성을 증명하며 차후 세포치료제/유전자치료제 전문 회사들과의 공동개발을 기대한다. 선천성 면역세포인 NK세포는 바이러스벡터(유전자전달체) 전달 효율이 매우 낮은데, 세포 내 전달체 없이 다이렉트로 유전자를 전달하는 셀샷은 NK세포에 다루기 어려운 mRNA를 직접 전달하는, mRNA CAR-NK를 만들어냈다.

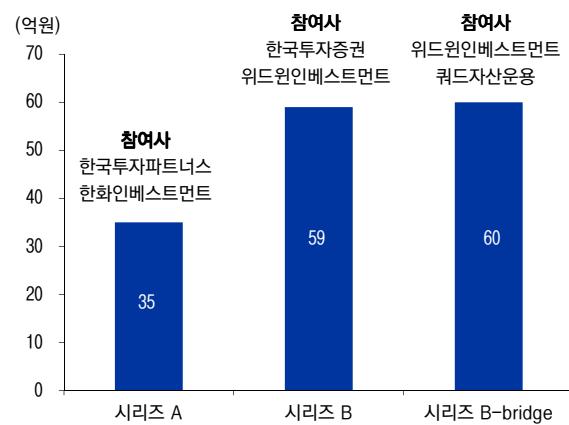
기존의 전기청공방식의 전달체계는 전용완충액을 필수적으로 사용하여 유전자 전달을 해야하기 때문에 1) 추가적인 비용 발생, 2) 세포생존율 감소, 3) 전달효율 감소, 4) 세포 자체소실이 일어나 임상시험에도 적합하지 않다. 그러나 세포에 추가적인 완충액, 물질을 사용하지 않아도 되는 셀샷의 경우 공동개발사에게 저비용 고효율이라는 베스트 시나리오를 가져다 줄 수 있다. 셀샷은 미국 특허권을 기반으로 하기 때문에 학교나 병원 등 비연리 연구기관에 대한 장비 공급부터 글로벌 제약바이오 회사들을 대상으로 하는 연구용 장비와 시스템 판매로 조기상용/상업화가 가능할 것이다.

그림3 펜토바이오메드 비즈니스 로드맵



자료: 펜토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

그림4 투자유입 추이 및 주요 참여사



자료: 펜토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

그림5 이전 상장 전략



자료: 펜토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

## Maxcyte는 CRISPR/Editas, 펩토바이오메드는?

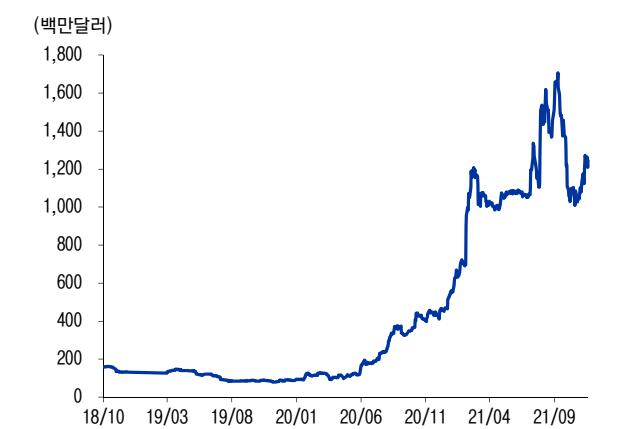
동사의 글로벌 경쟁업체인 Maxcyte는 차세대세포기반의약품 개발을 설계하고 생산을 돋는 바이오텍 플랫폼 회사이다. 동사와 마찬가지로 전기천공(Flow electroporation) 기술을 사용하며 유전자 물질 전달 체계를 기반으로 한다. 기초연구단계에서부터 임상 단계를 거쳐 신약개발까지 가능한 플랫폼 장비를 제공하며 공동연구개발에 적합한 모델로 중장기 성장전략을 삼았다. Maxcyte는 유전자 편집(gene editing)을 이끄는 글로벌 리딩그룹인 CRISPR, Editas, Allogene, Caribou와 공동개발계약을 체결한 바 있다. 이는 Maxcyte의 전기천공 기술이 cas-9(유전자가위)와 같이 입자크기가 큰 단백질을 전달 할 수 있기 때문이며 유전자 가위 기술을 활용하는 기업 90%이상이 전기천공 방식을 사용할 수 밖에 없다.

표1 유전자 편집기술 사용 기업

기업	시가총액(11.21기준)	편집 기술	전달 방식	제공기업
Intellia Thera	11조 5천억원	CRISPR/Cas9	전기천공	미공개
CRISPR Thera	7조 5천억원	CRISPR/Cas9	전기천공	Maxcyte
BEAM Thera	7조 3천억원	Base editing	전기천공	Maxcyte
Editas Med	2조 9천억원	CRISPR/Cas9	전기천공	Maxcyte
Caribou Bio	1조 5천억원	chRDNA	전기천공	Maxcyte
Sangamo Thera	1조 6천억원	ZFN	전기천공	Maxcyte
Precigen	1조원	TALEN	전기천공	Proprietary
Precision Bio	7천억원	ARCUS	전기천공	Maxcyte
Cellectis	4천억원	TALEN	전기천공	Proprietary

자료: 11월 21일 환율 1190원/달러 기준 적용, 20일 종가 시가총액 기준, 이베스트투자증권 리서치센터

그림6 Maxcyte 시가총액 추이



자료: Bloomberg, Maxcyte, 이베스트투자증권 리서치센터

그림7 Maxcyte 공동개발기업 시가총액 추이



자료: Bloomberg, 이베스트투자증권 리서치센터

크리스퍼 유전자가위를 통해 노벨화학상을 받은 두 명의 과학자인 샤르팡티에와 다우드 나는 각각 크리스퍼와 인텔리아에 있다. 2020년 두명의 과학자가 노벨화학상을 받고, 인텔리아가 2021년 6월 크리스퍼 Cas9을 이용한 임상1상결과를 발표하며 세계최초로 유전자 편집을 통한 치료 성공사례를 선보였다. 인텔리아는 LNP(지질막)을 이용한 전

달체계를 이용하는데에 반해 그 외 크리스퍼와 에디타스는 모두 전기천공기술을 기반으로 한다. 크리스퍼는 크리스퍼 Cas9을 이용하여 임상시험에 들어간 첫 기업으로 앞으로의 발표가 기대되는 바이다. 글로벌 유전자 편집기술 선두주자인 크리스퍼와 범, 에디타스의 임상이 성공하게 되면 맥스사이트가 마일스톤과 로열티를 지급받기 때문에 동시에 성장하는 구조이다. 이러한 공동개발이 증가하고, 성공할수록 맥스사이트의 상업화는 극대화되는 것이다. 이러한 유전자편집 기업들과 공동개발, 공동계약을 하고 있는 맥스사이트와 맥스사이트를 벤치마킹하는 펨토바이오메드의 첫 발걸음도 공동개발에서 시작될 것이라고 기대한다.

셀라토즈와의 NK세포에 mRNA를 전달해 CAR-NK치료제를 공동 개발하는 것 기반으로 세포치료제의 리더 지씨셀과 유전자편집분야의 리더인 툴젠과의 공동개발을 기대해볼 수 있다고 판단한다.

그림8 펨토바이오메드 시가총액 추이 비교



자료: Bloomberg, 이베스트투자증권 리서치센터

그림9 Maxcyte&amp;Femtobiomed 시가총액 추이 (~11/19)



자료: Bloomberg, 이베스트투자증권 리서치센터

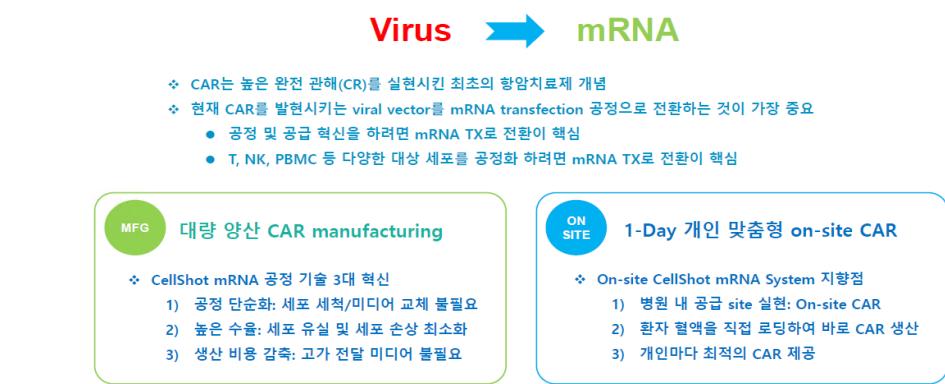
## 세포치료제 시장의 KEY: mRNA-CAR/CAR-NK

CAR-T와 같은 세포치료제는 공정비용이 1억원 수준이고 이중에서 바이러스 벡터의 공정이 약 2천만원 정도 소요되는데, 이를 단순히 기존의 전기청공기술로 대체한다고 했을 때 크게 가격적인 메리트가 없기 때문에 대체재로 인식이 될 수 없었다. 이는 기존 방식의 '공정 복잡성'에 의한 것으로 혼합전달 방식의 전기청공은 최소 몇 백만원에서 천만원까지의 미디어(배양액) 교체비와, 전달용 버퍼용액, 발현소모품, 유전물질 비용 등에 대해 각각 고려하게 되면 이미 CAR-T 바이러스 벡터 공정 가격과 맞먹는 비용이 소모된다.

항암제분야의 새로운 패러다임으로 자리잡은 CAR-T는 환자의 혈액에서 T세포를 분리한 후 특정 항원을 인지하는 CAR를 바이러스벡터로 전달하여 암세포를 공격한다. 현재 승인받은 노바티스의 캠리아, 길리어드의 예스카르타는 바이러스의 종류인 렌티바이러스(lenti-virus)로 T세포에 원하는 유전자를 전달한다. 기적의 치료제라고 불리는 CAR-T 조차도 아직은 한계를 직면하고 있는 고형암과 같은 경우 1)종양세포의 이질성, 2)면역억제가 강한 종양미세환경, 3)물리학적 장벽 등의 제약이 있으며 가장 치료효

과가 확실한 적응증 중 하나인 '혈액암'에서도 1) 사이토카인 신드롬, 2) 신경독성, 3) 암사이트 오프타깃과 같은 부작용, 그리고 그외에도 환자 본인의 혈액에서 세포를 채취해야하기 때문에 고비용이라는 단점이 존재한다.

그림10 셀샷의 mRNA-CAR와 기존의 한계점 극복



자료: 펨토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

이러한 한계점 때문에 Next CAR-T로 주목받고 있는 것이 CAR-NK이다. NK세포를 이용한 CAR-NK같은 경우 대량생산이 가능해 치료제 비용을 절감할 수 있으며, 면역원성이 낮아 고형암에 적합하고, 사이토카인 부작용을 낮출 수 있는 가능성이 보이기 때문이다. 이러한 고도의 기술을 필요로하는 세포치료제는 유전자 전달이 어려울뿐만 아니라 불안전하기 때문에 베퍼(완충제) 베퍼와 미디어교체는 기본적으로 세포 소실율을 높인다. 세포는 기본적으로 약하기 때문에 잣은 배양액 교체와 세척은 세포 소실율을 높일 수밖에 없다.

동사의 셀샷은 베퍼 없이도, 타사 베퍼를 쓰더라도, 더 높은 세포 전달 효율성과 생존율을 보인다. 전달체계에 대한 관심이 고조된 지금, 글로벌 리딩EP회사들은 다양한 공동개발계약을 체결하고 있다. 그러나 Primary cell에 베퍼 사용을 권하지 않기 때문에, 유전물질 전달 후 여러 번 계대 배양 한 세포를 쓰는 것은 세포 퀄리티가 떨어지는 단점이 있다. 이를 배제한 것이 배양배지 상태로 바로 유전물질 전달을 가능하게 한 동사의 셀샷 플랫폼이다.

전달공정수율이란 세포 자체에 유전물질의 기능이 부여되어 형질전환이 확실히 이루어졌는지에 대한 세포 수득률이다. eTX는 세포 내 물질 전달 과정만을 나타내기 때문에 실질적인 공정값을 비교해 보았다.

표2 전달공정수율 비교

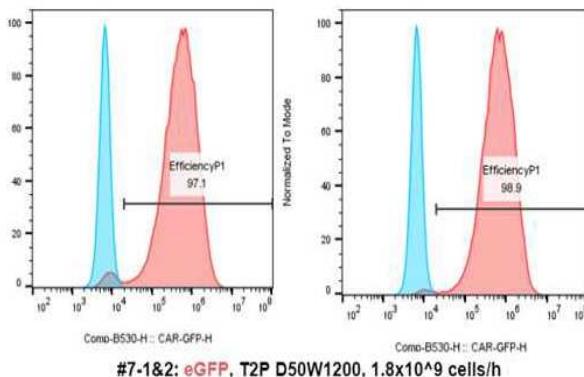
	yTX	ePR	생존율	eTX	ePS
셀샷 CCD	<b>93.44%</b>	<b>100%</b>	<b>94%</b>	<b>99.40%</b>	<b>100%</b>
Maxcyte	50.40%	70%	80%	90%	100%
NEON	46.72%	70%	71%	94%	100%

주: ePR=전처리 효율, Viability, eTX= 전달과정, ePS=후처리 효율, yTX=ePR x Viability x eTX x ePS, 11월8일 발간자료 참조  
자료: Maxcyte과 NEON 공식 홈페이지 자료와 자체 측정값 동시 적용값, 이베스트투자증권 리서치센터

셀샷의 배양배지 직접 전달이 90%이상의 높은 효율성과 생존율 또한 원천적으로 높은 것을 보이는데, 기존 베퍼 전달은 컨트롤(전달이 되지 않은 세포negative control)의 생존율보다도 10~20%정도 감소하게 되는데, 셀샷 기술은 5% 미만 정도만 감소하는 등 세포세척과 미디어교체가 일어나지 않기 때문에 당연한 부분이다.

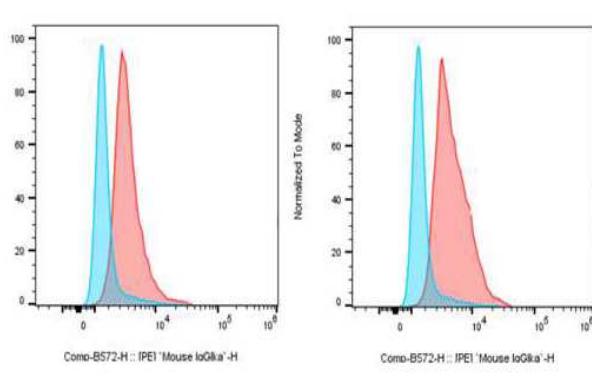
이러한 셀샷의 유전자전달 플랫폼으로서의 전달 효율을 증명하고, 셀샷의 POC 결과를 다시한번 확인하며 NK-92세포에 CAR-eGFP-mRNA 전달시험을 진행중에 있다. NK-92세포에 녹색 형광 단백질인 eGFP 및 CAR 설계도를 가진 mRNA를 전달하며 eGFP를 통해 mRNA 발현 효율을 파악하고 PE-FMC63을 통해 CAR 발현 효율을 확인했다. 기존의 CAR-mRNA대비 두배 사이즈의 mRNA로, eGFP코딩이 없는 CAR-mRNA전달 시 두 배 이상의 CAR발현과 cytotoxicity증대를 기대해 볼 수 있다.

그림11 eGFP-CAR-mRNA NK 세포 녹색형광 발현 특정 결과



자료: 펩토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

그림12 PE-FMC63 형광항체 CAR 발현 측정 결과



자료: 펩토바이오메드, 이베스트투자증권 리서치센터

NK세포 내 eGFP-mRNA전달 시험은 표준 연구용 셀샷 플랫폼을 적용하여 시간당 15억 세포의 처리속도를 적용했다. 1회 처리 용량은 1억~10억세포로 확인되었으며 전달과정 중 생존한 세포의 양, 생존율은 평균 94.3%(표준편차 2.3%), 유효성은 99.4%(표준편차 0.7%)으로 확실한 유전자(mRNA) 전달효율을 증명해 내었고, CAR 전달실험의 경우 중간결과분석에서 충분한 전달효율을 보이고 있는 것으로 파악되며 [그림10], 차후 CAR-NK 치료제에서의 유효성을 입증할 예정이다.

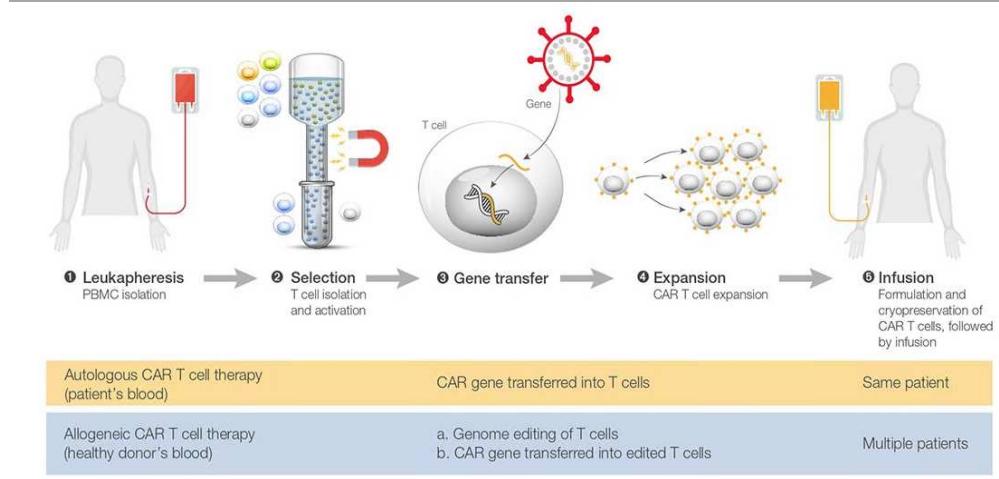
### 환자 맞춤형, on-site CAR

현재 동사의 사업모델은 Maxcyte와 first endpoint가 동일하게 기존 세포치료제 공정에 transfection(발현) 공정을 넣는 것인데, 이를 기반으로 향후 셀샷은 CAR전용 카트리지인 'CAR-in Lab Cartridge'를 개발하여 세포공정을 하나의 카트리지에 담아 저비용에 공급이 쉬운 전략을 짜고 있다. 글로벌 경쟁업체로 삼고 있던 Allogene Therapeutics(TALEN으로 타겟)의 CAR-T세포치료제의 경우 안전성 우려에 의해 2021년 10월 임상 보류가 결정되었다. 동종세포치료제(Allogenic CAR-T)의 선도 개발사로서 첫 실패로, 이러한 FDA의 결정은 ALPHA2 임상시험에서 치료받은 환자에게서 염색체 이상이 보고되었으며 TALEN으로 타겟하는 유전자편집부위에서 변이가 발생

생되었기 때문이다.

대부분의 투자와 관심이 집중되고 있는 'Allogenic CAR'는 'Autologous CAR' 대비 1) 저렴하고, 2) 공급이 편리하다는 장점이 있지만 1) 효과가 상대적으로 떨어지고, 2) 부작용(타 혈액사용으로 인한 반응)이 심하다. 이에 FDA의 입장에서 가장 선호되는 CAR-T/NK임상은 1) 유전자편집이 적거나 2) 환자 자체의 혈액을 이용(autogenic approach)하는 것으로 판단되며, mRNA를 이용한 mRNA-CAR가 이에 해당된다고 할 수 있다. 현재의 Autologous CAR은 공정이 비싸고 공급이 어려운데, 이러한 한계점을 제거한 것이 셀샷의 mRNA-CAR이다.

그림13 Autologous 와 Allogenic CAR-T therapy 비교



자료: ThermoFisher, 이베스트투자증권 리서치센터

이에 더불어 동사의 카트리지는 세포를 제외한 모든 요소를 다 담고 시험을 진행하기 때문에 병원에 공급하기 용이하며, 병원에서는 환자 유형에 맞는 카트리지에 환자의 세포만 담아 CAR발현만 시키면 되기 때문에 미래 주력 사업으로 on-site CAR를 도약 하려 한다.

그림14 셀샷의 환자맞춤형 on-site CAR



자료: 이베스트투자증권 리서치센터

Allogenic CAR 보다 저렴하고, 공급적인 측면에서도 편리함 셀샷의 Autologous on-site CAR는 셀샷의 분리전달기술을 기반으로 하여 mRNA와 CAR를 공정시켜 단순화 되고 안전성을 높인 Cellshot mRNA CAR을 담은 카트리지 개발에 집중하여 on-site CAR를 중간기 성장전략으로 삼았다. 다양한 CAR 라인업으로 환자별 맞춤형 세포치료제 개발이 가능해지며 본격적인 1) 저렴하고, 2) 공정이 간단하며, 3) 공급이 쉽고, 4) 안전한 환자맞춤형 치료제 공급을 실현할 예정이다.

### Compliance Notice

본 자료에 기재된 내용들은 작성자 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 작성되었음을 확인합니다(작성자: 강하나)

본 자료는 고객의 증권투자를 돋기 위한 정보제공을 목적으로 제작되었습니다. 본 자료에 수록된 내용은 당사 리서치본부가 신뢰할 만한 자료 및 정보를 바탕으로 작성한 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으므로 참고자료로만 활용하시기 바이며 유가증권 투자 시 투자자 자신의 판단과 책임하에 최종결정을 하시기 바랍니다. 따라서 본 자료는 어떠한 경우에도 고객의 증권투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.

본 자료는 당사의 저작물로서 모든 저작권은 당사에게 있으며 어떠한 경우에도 당사의 동의 없이 복제, 배포, 전송, 변형될 수 없습니다.

- \_ 동 자료는 제공시점 현재 기관투자가 또는 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- \_ 동 자료의 추천종목은 전일 기준 현재당사에서 1% 이상 보유하고 있지 않습니다.
- \_ 동 자료의 추천종목은 전일 기준 현재 당사의 조사분석 담당자 및 그 배우자 등 관련자가 보유하고 있지 않습니다.
- \_ 동 자료의 추천종목에 해당하는 회사는 당사와 계열회사 관계에 있지 않습니다.
- \_ 동 자료는 한국거래소 코넥스기업 분석보고서 발간 지원사업(KONEX Research Project)에 따라 선정되어 작성된 보고서입니다.

### 투자등급 및 적용 기준

구분	투자등급 guide line (투자기간 6~12 개월)	투자등급	적용기준 (향후 12 개월)	투자의견 비율	비고
Sector (업종)	시가총액 대비 업종 비중 기준 투자등급 3 단계	Overweight (비중확대) Neutral (중립) Underweight (비중축소)			
Company (기업)	절대수익률 기준 투자등급 3 단계	Buy (매수) Hold (보유) Sell (매도)	+15% 이상 기대 -15% ~ +15% 기대 -15% 이하 기대	93.6% 6.4%	2018년 10월 25일부터 당사 투자등급 적용기준이 기존 ±20%에서 ±15%로 변경
		합계		100.0%	투자의견 비율은 2020. 10. 1 ~ 2021. 9. 30 당사 리서치센터의 의견공표 종목들의 맨마지막 공표의견을 기준으로 한 투자등급별 비중임 (최근 1년간 누적 기준. 분기별 갱신)