

# IBKS Spot Comment

제약/바이오

정이수, CFA

02) 6915-5677

## [알지노믹스]

### 차별화된 RNA 교정 기술로 밸류업 기대

#### RNA 치환효소 플랫폼 기반 유전자 치료제 개발

알지노믹스는 RNA 치환효소 기반 RNA 편집/교정 플랫폼과 원형 RNA 플랫폼을 보유한 바이오텍으로, 2017년 8월 설립되었으며 2025년 12월 18일 코스닥에 상장될 예정이다. 확정공모가는 22,500원(시가총액 3,098억 원)이다. RNA 치환효소 플랫폼을 활용하여 항암 및 희귀난치성 질환에 대한 유전자 치료제 후보물질을 발굴해 4개 파이프라인을 개발 중이다. 2024년에는 과학기술정보통신부로부터 국가전략기술 1호 기업으로 지정되며 기술 경쟁력을 인정 받았고, 2025년 5월 일라이 릴리와 총 13억 달러 규모의 RNA 치환효소 플랫폼 기술이전 계약을 체결해 기술력을 다시 한 번 입증한 것으로 판단한다.

#### 2026년 파이프라인 임상 데이터 발표 및 기술이전 기대감 부각될 것

개발 파이프라인 중 RZ-001은 간세포암과 교모세포종을 대상으로 임상 1/2a상을 진행 중이며, 2026년 상반기 간세포암 대상 임상 1b상의 중간 결과 발표가 예정되어 있다. 현재 간암 1차 표준치료제인 아테졸리주맙·베바시주맙과 병용요법으로 임상이 진행되고 있으며, 알지노믹스는 로슈·셀트리온과의 파트너십을 통해 병용 약물을 무상 공급받고 있다. 교모세포종 환자에서는 총 5개 용량 중 3번째 용량 단계까지 투약을 완료했으며, 현재 4번째 용량 투약이 진행 중이다.

알츠하이머 치료제 후보물질 RZ-003은 위험인자인 APOE4 유전자의 RNA를 APOE2 또는 APOE3로 치환하는 기전이다. First-in-Class 신약 개발을 목표로 하며 임상 진입 전 기술이전을 추진 중이다. RZ-004는 망막색소변성증 치료제로, 호주 임상시험 승인을 받아 2026년 임상 1상 개시가 예정되어 있다. 코스닥 상장 이후 2026년 임상 데이터 발표와 임상 진전에 따라 기업가치 상승이 기대된다.

#### 글로벌 레퍼런스 기반 기술 경쟁력 확보

RNA 편집/교정 기술은 아직 초기 단계로 임상에서의 효능과 안전성 검증이 필요하다. 그럼에도 글로벌 제약사들이 전임상 및 Discovery 단계에서 플랫폼 기술을 적극 도입하고 있어 시장 수요는 빠르게 확대되고 있는 것으로 판단한다. 알지노믹스와 계약한 일라이 릴리는 복수 타깃에 대해 RNA 치환효소 플랫폼을 활용한 유전성 난치 질환 치료제 개발 권리를 확보했으며, 알지노믹스는 첫 번째 타깃 개발에 이미 착수했다. 이에 따라 올해 3분기 약 70억 원 규모의 마일스톤 수익이 발생했다. 자체 파이프라인 임상 진전뿐 아니라 일라이 릴리와 타깃 확장도 임상 진입 마일스톤도 추가적으로 기대된다.

www.ibks.com

본 조사분석자료는 당사 리서치본부에서 신뢰할 만한 자료 및 정보를 바탕으로 작성한 것이나 당사는 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없으며, 과거의 자료를 기초로 한 투자참고 자료로서 향후 주가 움직임은 과거의 패턴과 다를 수 있습니다. 고객께서는 자신의 판단과 책임 하에 종목 선택이나 투자시기에 대해 최종 결정하시기 바라며, 본 자료는 어떠한 경우에도 고객의 증권 투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.

## 주요 파이프라인 개발 현황

### RZ-001

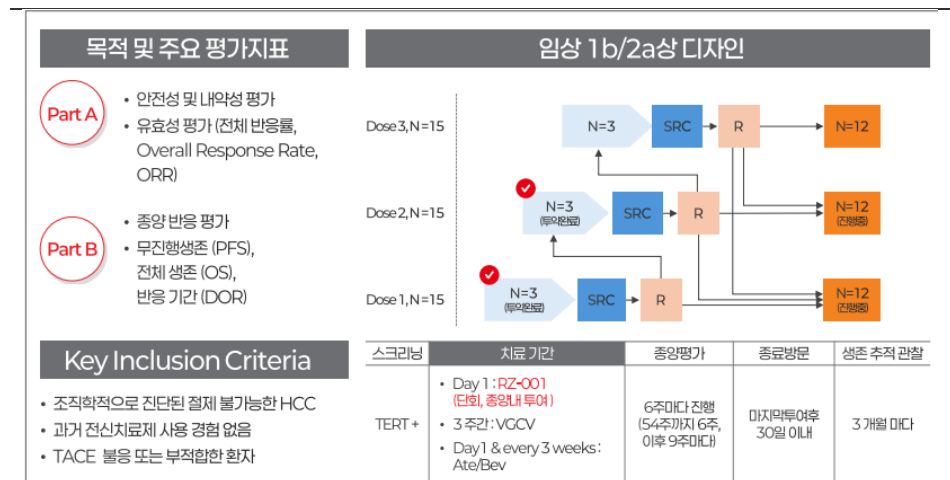
RZ-001은 암세포에서 발현되는 텔로머라제의 핵심 요소인 hTERT(human telomerase reverse transcriptase) RNA를 표적하는 RNA 치환효소 기반 항암 유전자 치료제다. 아데노바이러스 5형(AAV5)을 전달체로 사용한다. 간세포암 적응증에서 RZ-001은 국내 식약처와 미국 FDA로부터 1차 치료제 약물 병용요법 임상 1b/2a상 승인을 받았으며, 병용 약물인 아테졸리주맙·베바시주맙은 로슈와 셀트리온으로부터 무상 공급받고 있다.

RZ-001은 간세포암 국제 표준 병기 체계인 BCLC 기준 B~D 병기 환자군 대상을 목표로 개발 중이다. NCCN 가이드라인에 따르면 BCLC B 병기에서는 국소 요법이 권고되며, BCLC C 병기에서는 아테졸리주맙·베바시주맙 병용요법과 트레멜리루맙·더발루맙 병용요법이 1차 치료 선호 요법이다. 아테졸리주맙·베바시주맙 병용요법의 임상 3상 결과에 따르면 진행성 간세포암 1차 치료에서 전체 생존기간(OS) 중앙값 19.2개월, 객관적 반응률(ORR)은 27.3% 수준으로, 여전히 미충족 의료 수요가 큰 영역이다.

현재 국내에서 임상 1b/2a상 진행 중이며, 2026년 상반기 임상 1b상 중간 결과 발표가 예상된다. 알지노믹스는 국내 임상 데이터를 기반으로 향후 미국 임상 시험 확장을 계획하고 있다.

교모세포종 적응증 개발도 진행되고 있으며 초기 임상 단계에서 안전성을 입증하고 있다. EAP(Expanded Access Program, 동정적 사용) 승인을 받아 재발성 교모세포종 환자에게 투여가 시작되었으며, 절제술 이후 RZ-001을 단회 투여하는 방식으로 진행 중이다. 임상 1/2a상에서 총 5개 용량 중 3번째 용량까지 투약을 완료했으며, 현재 4번째 용량 투약이 진행되고 있다. 최근 ESMO Asia에서 발표된 임상 1상 중간 결과, Grade 3 이상반응은 4건으로 모두 회복되었고, Grade 4/5 이상반응은 발생하지 않아 안전성이 확인되었다.

그림 1. RZ-001: 원발성 간암(HCC, Hepatocellular Carcinoma) 임상시험 개요



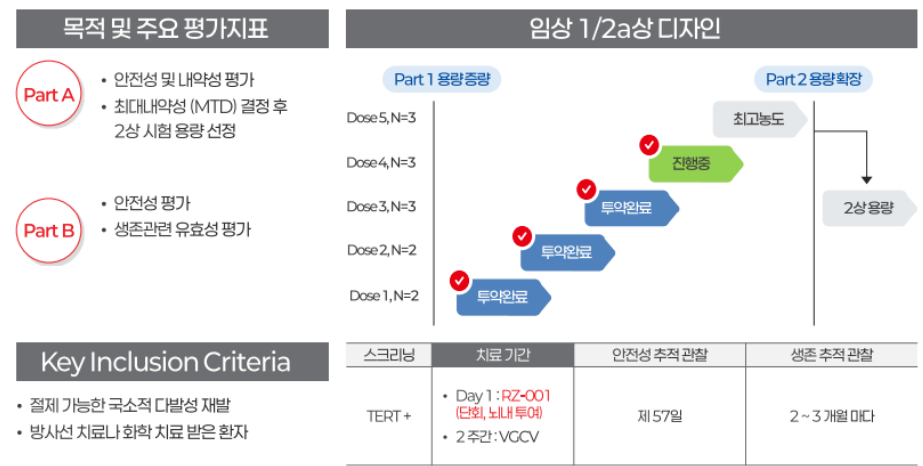
자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 2. 원발성 간암의 BCLC 병기별 예후 그룹 정의

| Stage                  | Definition   |
|------------------------|--|
| Very early stage (0)   | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Single ≤2 cm</li> <li>• Preserved liver function,<sup>a</sup> PS 0</li> </ul>                     |
| Early stage (A)        | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Single, or ≤3 nodules each ≤3 cm</li> <li>• Preserved liver function,<sup>a</sup> PS 0</li> </ul> |
| Intermediate stage (B) | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Multinodular</li> <li>• Preserved liver function,<sup>a</sup> PS 0</li> </ul>                     |
| Advanced stage (C)     | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Portal invasion and/or extrahepatic spread</li> <li>• Preserved liver function, PS 1-2</li> </ul> |
| Terminal stage (D)     | <ul style="list-style-type: none"> <li>• Any tumor burden</li> <li>• End stage liver function, PS 3-4</li> </ul>                           |

자료: NCCN Guidelines, IBK투자증권

그림 3. RZ-001: 교모세포종(GBM, Glioblastoma) 임상시험 개요



자료: 알지노믹스, IBK투자증권

표 1. 교모세포종 임상 1상 중간 결과 안전성 데이터

| AE, n(%)      | Grade 1 | Grade 2 | Grade 3 | Grade 4 | Grade 5 | Total |
|---------------|---------|---------|---------|---------|---------|-------|
| All AEs (N=8) | 8(22)   | 24(67)  | 4(11)   | 0(0)    | 0(0)    | 36    |

자료: 알지노믹스, ESMO Asia, IBK투자증권

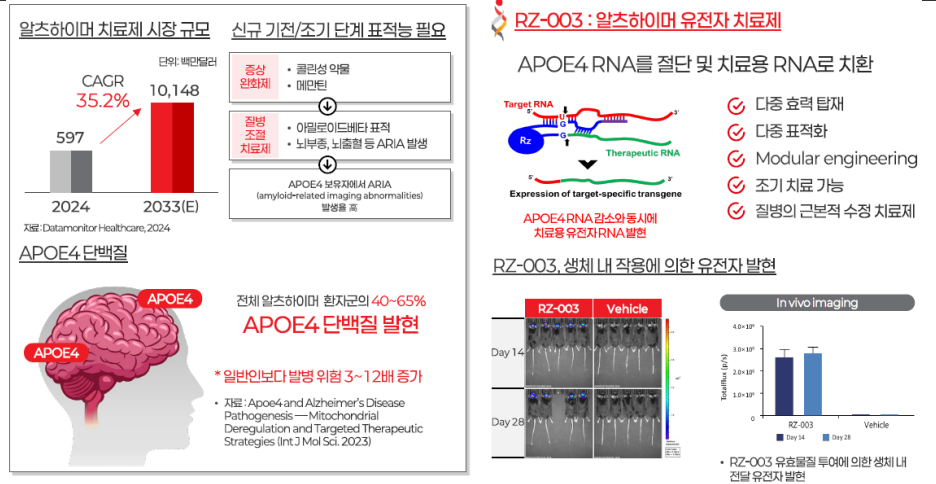
### RZ-003

RZ-003은 알츠하이머 질환의 주요 위험 인자인 아포지단백 E4(APOE4) 유전자의 RNA를 표적해 발현을 감소시키고, APOE2 또는 APOE3로 편집/교정해 치료 효과를 유도하는 RNA 기반 치료제다.

알츠하이머 유전자 치료제 중 앞서 있는 후보물질은 렉세오 테라퓨틱스(NASDAQ: LXEO; 시가총액 약 \$690M)의 LX1001로, APOE2 유전자를 뇌세포에 직접 전달하는 AAV 기반 유전자 치료제다. APOE4 동형 접합 알츠하이머 환자를 대상으로 한 임상 1/2상 중간 결과에서 총 15명의 환자 뇌척수액에서 APOE2 단백질 발현이 확인되었으며, 12개월까지 지속된 것으로 발표했다. 안전성 측면에서는 내약성이 양호했고 ARIA 발생은 없었으나, 약물 관련 경도~중등도 감각신경성 난청 1건이 중대한 이상반응으로 보고된 바 있다.

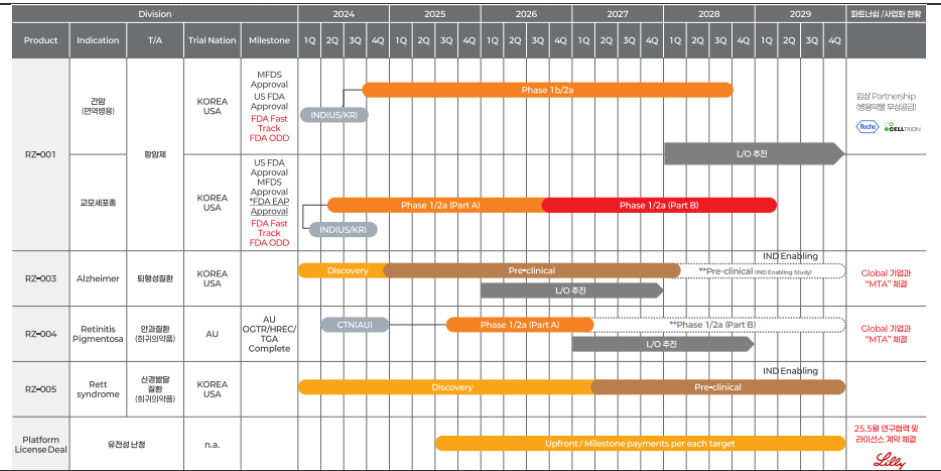
RZ-003은 DNA가 아닌 RNA를 표적으로 하는 방식으로, 상대적으로 안전성이 확보될 것으로 기대된다. 현재 전임상 연구가 진행 중이며, First-in-Class 신약 개발을 목표로 임상 단계 진입 전 기술이전을 추진하고 있다.

그림 4. RZ-003: 알츠하이머(AD, Alzheimer's Disease)



자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 5. 파이프라인 현황



자료: 알지노믹스, IBK투자증권

주: EAP는 허가 이전 임상시험 단계에 있는 신약을 생명이 위독한 환자에게 인도주의 차원에서 지원하는 제도

그림 6. 연구개발 실적

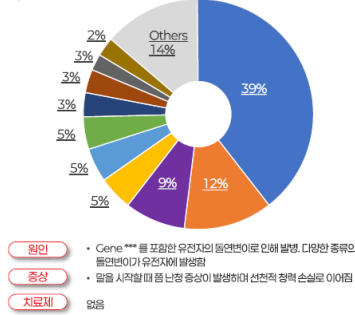
| 품목                 | 적응증     | 연구시작일 | 현재 진행단계                      |                | 비고                       |
|--------------------|---------|-------|------------------------------|----------------|--------------------------|
|                    |         |       | 단계(국가)                       | 임상시험계획 승인      |                          |
| RZ-001             | 원발성 간암  | 2020년 | 임상1b/2a상(한국)<br>임상1b/2a상(미국) | 2023년<br>2024년 | 임상1b/2a상 진행 중 (면역항암제 병용) |
| RZ-001             | 교모세포종   | 2021년 | 임상1/2a상(한국)<br>임상1/2a상(미국)   | 2023년<br>2023년 | 임상1/2a상 진행 중             |
| RZ-004             | 망막색소변성증 | 2018년 | 임상1/2a상(호주)                  | 2024년          |                          |
| RZ-003             | 알츠하이머   | 2018년 | 전임상                          | -              |                          |
| RZ-005             | 신경퇴행성질환 | 2021년 | 신약유효/선도물질                    | -              |                          |
| 자가환형화 RNA (원형 RNA) | -       | 2021년 | 플랫폼 구축 완료                    | -              |                          |
| RNA 치환효소 플랫폼       | 유전성 난청  | 2025년 | 공동연구개발                       | -              | 알라이 윌리와 공동개발 및 기술이전계약 체결 |

자료: Dart, IBK투자증권

## RNA 교정 플랫폼 기술이전 현황

그림 7. Eli Lilly와의 플랫폼 기술 관련 라이선스 계약

### 개발 대상 질환: 유전성 난청



- 원인**
  - Cene \*\*\* 를 포함한 유전자의 돌연변이로 인해 발생. 다양한 종류의 돌연변이가 유전자에 발생함
- 증상**
  - 말음 시지할 때 음 난청 증상이 발생하며 선천적 청력 손실로 이어짐
- 치료제** 없음

- 정밀한 유전자별 변이 조정이 필요함
- 돌연변이 발생 패턴이 모두 달라 달리 교정기술을 활용하는 것이 가장 적합한 질병
- 교정의 정확성, 일시적이며 경미한 비표적 반응

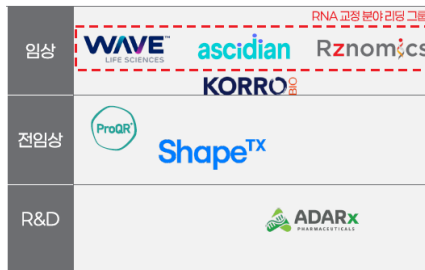
### 플랫폼 기술이전 계약 내용

|        |  |
|--------|--|
| 계약 상대방 | · 엘라이 릴리 (Eli Lilly and Company) (미국)  |
| 계약 형태  | · Research Collaboration and License Agreement   |
| 대상 기술  | · RNA 지원효소 플랫폼(Trans-splicing ribozyme)<br>(타겟별 후보물질 발굴, 표적 특이 RNA 지원효소 및 백터 최적화 기술)   |
| 계약 내용  | · 알지노믹스의 RNA 지원효소 플랫폼 기술을 활용한 유전성 난청질환 치료제의 공동연구 및 상업화 권리 이전 (타겟 별로 개발 옵션 행사 시 사전에 정해진 조건에 따라 마일스톤 수령)<br>· 알지노믹스는 초기 단계의 연구 및 후보물질 발굴을 담당하고, Eli Lilly는 전임상 / 임상 등 후기 단계의 개발 및 생산, 상업화를 담당<br>· 한도 내 타겟별 연구비 및 연간 목표 판매량 기준에 따른 로열티 별도 지급 |
| 계약기간   | · 2025.05.13 ~ 로열티 기간 종료일까지  |
| 총 계약금액 | · USD 1,334,000,000 / 경상로열티 별도   |

자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 8. RNA 교정 분야 리딩 그룹은 모두 글로벌 빅파마와 각각 라이선스 계약

### RNA 교정 치료 개발사 Landscape



- RNA 교정은 RNA 치료제 분야에서 최근 각광받고 있는 기술로서 현재 전세계적으로 7개사가 대표적으로 원천 기술을 확보하고 있음
- 글로벌 빅파마 대상 플랫폼 기반 라이선스 및 체결 및 임상진입 여부기 기업가치를 형성하는데 있어 핵심적인 요소임
- Wave Life Sciences는 임상 1/2a에서 최초로 사람 대상 유전자 교정을 확인한 신약 개발사로서, 이를 기반으로 CSK이란 기술이전용 시약으로 ADI가용액 1조 이상을 달성함
- Ascidian은 임상 전 ROCH-2와 플랫폼 라이선스 등을 체결하였으며 현재는 임상 1 상을 진행 중

### RNA 교정 플랫폼 라이선스 딜

| Licensor | Licensee |
|----------|----------|
| Rznomics | Lilly    |
| WAVE     | GSK      |
| ascidian | Roche    |

- RNA 교정 분야 선도 신약개발사들은 모두 글로벌 빅파마와 보유 플랫폼을 활용하여 글로벌 빅파마가 희망하는 타겟을 개발하는 플랫폼 라이선스 계약을 체결함
- WAVE Life Sciences는 GSK와 임상-1 후보특성 플랫폼을 포화한 최대 8개 대상 항암제 개발을 계약에 대한 법률 체결함
- Ascidian은 Roche 대상 RNA 플랫폼 기술을 활용한 신경계 질환 타겟 약물 개발을 진행
- 알지노믹스는 유전성 난청 질환대상 플랫폼 라이선스 딜을 체결

자료: 알지노믹스, IBK투자증권

표 2. RNA 교정 치료 개발사 기술 라이선스 계약

(단위: \$M)

| Licensor              | 시가총액  | Licensee     | 선금금 | 총 계약 규모     | 대상  | 기술이전 단계       | 계약시기    |
|-----------------------|-------|--------------|-----|-------------|---|---------------|---------|
| Shape Therapeutics    | 비상장   | Roche        | 비공개 | 3,000 이상    | RNAfix, AAVid 플랫폼 기반 타깃 개발 및 상업화 권리 확보    | Discovery     | 2021.08 |
| ProQR Therapeutics    | 223   | Eli Lilly    | 125 | 3,750       | 전임상 타깃 5개 포함 15개 타깃에 Axiomer 플랫폼 적용       | 전임상/Discovery | 2021.09 |
| Wave Life Sciences    | 3,096 | GSK          | 170 | 3,335~3,695 | WVE-006 독점 라이선스 및 최대 8+3개 프로그램 개발 협력      | 전임상           | 2022.12 |
| Ascidian Therapeutics | 비상장   | Roche        | 42  | 1,842       | RNA exon 편집 플랫폼 기반 신경계 치료제 개발 및 상업화 권리 확보 | Discovery     | 2024.06 |
| Korro Bio             | 71    | Novo Nordisk | 비공개 | 530         | OPERA 플랫폼 기반 심혈관질환 2개 타깃 개발 및 상업화 권리 확보   | Discovery     | 2024.09 |

자료: 각 사, IBK투자증권

주1: 시가총액은 2025년 12월 8일 기준

주2: ProQR-Lilly 계약금은 '21년 첫 계약금 및 '22년 계약 확장에 따른 추가 지급금 포함

주3: 2025년 11월 Korro는 Novo Nordisk와 계약 수정했으며, 이를 통해 첫번째 연구 프로그램의 타깃에 대한 타당성을 재검토하기 위해 12개월 간 연구 일시 중단하기로 함.

그림 9. ProQR Therapeutics 시가총액 추이

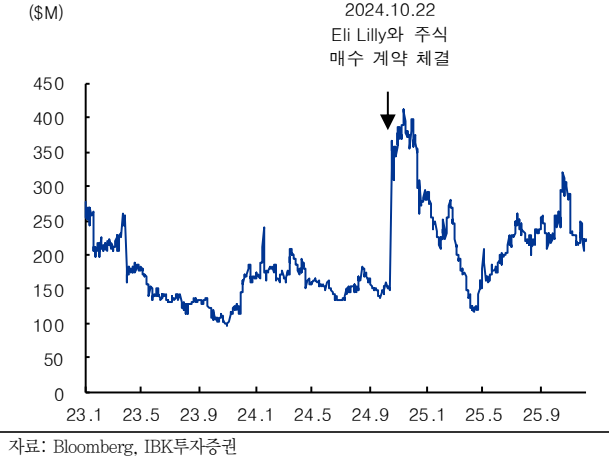


그림 10. Korro Bio 시가총액 추이

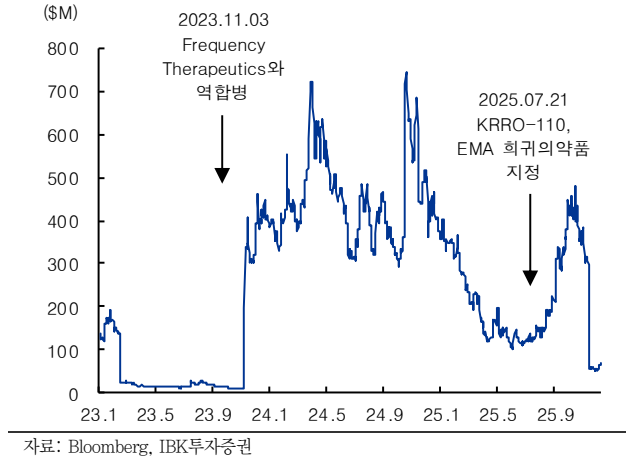


그림 11. Wave Life Sciences 시가총액 추이



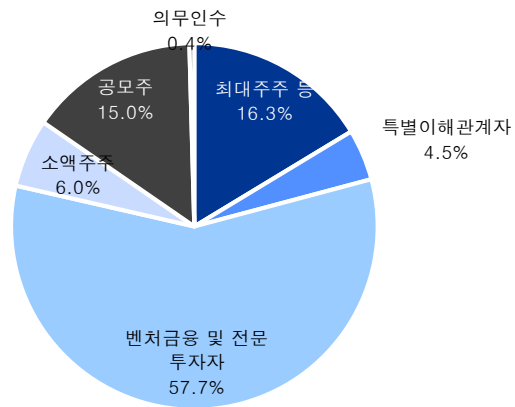
## IPO Appendix

표 3. 보호예수사항

| 주주명          | 의무보호예수    |        | 기간       |
|--------------|-----------|--------|----------|
|              | 주식 수(주)   | 비중     |          |
| 최대주주         | 2,250,000 | 16.34% | 상장 후 3년  |
| 특별이해관계자      | 621,078   | 4.51%  | 상장 후 3년  |
| 벤처금융 및 전문투자자 | 2,588,793 | 18.80% | 상장 후 3개월 |
|              | 3,376,388 | 24.52% | 상장 후 1개월 |
| 소액주주         | 16,129    | 0.12%  | 상장 후 3개월 |
|              | 8,065     | 0.06%  | 상장 후 1개월 |
| 의무인수         | 58,823    | 0.43%  | 상장 후 3개월 |
| 총계           | 8,919,276 | 64.77% |          |

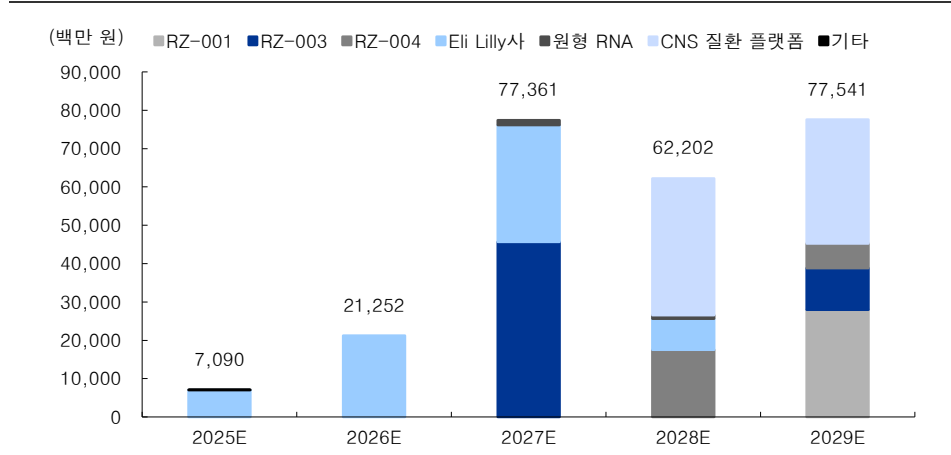
자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 12. 공모 후 주주 구성



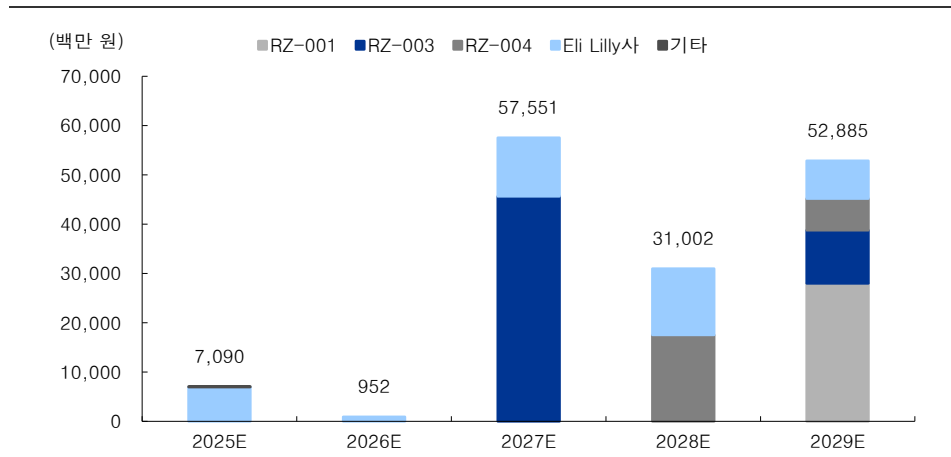
자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 13. 시나리오별 추정 매출(낙관적 시나리오)



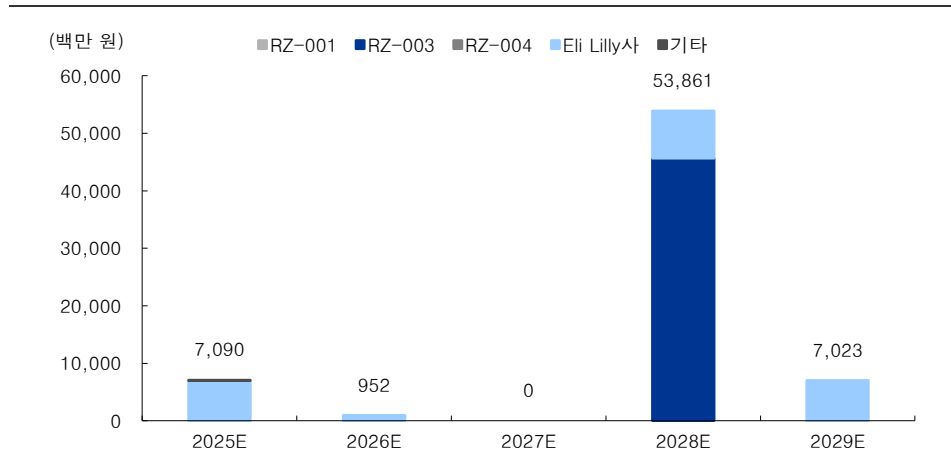
자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 14. 시나리오별 추정 매출(중립적 시나리오)



자료: 알지노믹스, IBK투자증권

그림 15. 시나리오별 추정 매출(보수적 시나리오)



자료: 알지노믹스, IBK투자증권

### Compliance Notice

동 자료에 게재된 내용들은 외부의 압력이나 부당한 간섭없이 본인의 의견을 정확하게 반영하여 작성되었음을 확인합니다.

동 자료는 기관투자가 또는 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.

동 자료는 조사분석자료 작성에 참여한 외부인(계열회사 및 그 임직원등)이 없습니다.

조사분석 담당자 및 배우자는 해당종목과 재산적 이해관계가 없습니다.

동 자료에 언급된 종목의 지분을 1%이상 보유하고 있지 않습니다.

당사는 상기 명시한 사항 외 고지해야 하는 특별한 이해관계가 없습니다.