SK COMPANY Analysis

SK securities

2023-04-27

큐리언트 (115180/KQ | 매수(신규편입) | T.P 20,300 원(신규편입))

텔라세벡에 대한 가치 재평가로 반등이 시작된다

- 텔라세벡은 2 월 TB 얼라이언스와 기술이전 계약 체결, 2026 년 허가 및 PRV 수령
- PRV 의 가치는 현재보다 상승할 가능성 높아. 2~3 억달러 수준까지 상승 가능
- 항암제 전문 바이오텍으로의 가치 재평가도 필요. Q702, Q901 임상 1/2 상 순항
- Q702, Q901 기전 고려 시 키트루다와의 병용 임상 시너지 기대 가능
- 목표주가 20,300 원 제시. 텔라세벡 가치 재평가만으로도 상승 여력은 풍부

텔라세벡 기술이전 및 항암제 파이프라인에 대한 가치 재평가 필요

2 월 글로벌 결핵치료제 개발 가구인 TB 얼라이언스와 텔라세벡에 대한 기술이전 계약을 체결했다. 하반기 중 FDA 에 2b 상 IND 신청, 2024 년 임상 개시, 2026 년 허가 및 이에 따른 로열티 수입과 PRV 수령이 예상된다. 하지만 기술이전의 중요성에도 불구하고 텔라세벡에 대한 가치는 제대로 평가 받지 못하고 있다. 특히 2026 년 허가 시 수령하는 PRV 의 가치는 향후 변화될 PRV 제도를 고려 시 향후 2~3 억달러 수준까지도 상승 가능하다는 점에서 해당 가치에 주목할 필요가 있다.

항암제 전문 바이오텍으로의 재평가가도 기대된다. 2 개의 임상 파이프라인을 보유중이며 하반기부터 본격적인 임상 성과가 확인될 전망이다. Axl/Mer/CSF1R 저해제 Q702 와 CDK7 저해제 Q901 은 단독 및 키트루다 병용 1/2 상을 진행 중이다. 작용 기전을 고려할 때 면역항암제 병용개발의 가능성을 충분히 기대할 수 있다. Q702 는 종양미세환경을 개선함과 동시에 암세포에 직접적으로 작용해 면역반응을 극대화시킬 수 있다. Q901 은 세포주기 억제로 암세포의 DNA 복구 기전에 문제를 일으켜 유전체적 불안정성을 높일 수 있다. 특히 키트루다의 바이오마커인 MSI-H/dMMR 을 유발시킬 수 있다는 점에서 병용 임상에서 고민이 높아진 머크의 고민을 해결해줄 반응률 상승 시너지가 기대된다.

투자의견 '매수', 목표주가 20,300 원으로 커버리지 개시

목표주가는 텔라세벡의 파이프라인 가치와 허가 시 수령하는 PRV 의 가치 2,521 억원만을 반영하여 산출했다. 텔라세벡의 가치만으로 산출된 목표주가 대비 현 주가 상승 여력은 77.6%에 달한다. 연내 기술이전이 기대되는 아토피성 피부염 치료제 Q301 과 단독 및 병용 임상을 진행 중인 항암제 Q702, Q901 의 가치는 보수적으로 목표주가 산출에서 제외했다. 큐리언트는 오버행에 따른 수급 이슈에 대한 시장의 우려로 보유 중인 파이프라인들에 대한 충분한 가치 반영이 이뤄지지 못하고 있는 것으로 판단된다. 하지만 잔여 전환우선주는 상장주식수의 약 7%에 불과하고, 전환가액은 현 주가 대비 여전히 높은 수준이다. 텔라세벡 단일 파이프라인 가치에도 크게 못 미치는 기업 가치에 대한 재평가가 시급하다.

영업실적 및 투자지표

구분	단위	2020	2021	2022	2023E	2024E	2025E
매출액	십억원	0	5	8	9	10	11
yoy	%	0.0	0.0	73.3	11.0	1.6	15.0
영업이익	십억원	-21	-24	-27	-24	-25	-26
yoy	%	0.0	15.3	13.3	-10.8	1.0	5.0
EBITDA	십억원	-20	-24	-27	-24	-24	-26
세전이익	십억원	-21	-24	-27	-24	-25	-26
순이익(지배주주)	십억원	-20	-23	-25	-23	-23	-24
영업이익률%	%	0.0	-496.2	-324.4	-260.6	-259.0	-236.6
EBITDA%	%	0.0	-482.6	-316.0	-256.6	-255.8	-234.0
EPS(계속사업)	원	-1,779	-1,894	-1,952	-1,745	-1,528	-1,611
PER	배	-19.1	-16.0	-5.4	-6.5	-7.5	-7.1
PBR	배	6.9	7.1	4.5	11.0	5.5	24.9
EV/EBITDA	배	-11.9	-9.4	-3.5	-5.4	-4.6	-5.3
배당수익률	%	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
ROE	%	-36.2	-42.2	-61.7	-102.3	-102.9	-127.4
순차입금	십억원	-58	-51	-32	-13	-30	-4
부채비율	%	6.8	6.6	9.3	22.2	11.3	64.0



Analyst
이동건
dglee@sks.co.kr
3773-9909

Company Data	
자본금	6 십억원
발행주식수	1,217 만주
자사주	0 만주
액면가	500 원
시가총액	139 십억원
주요주주	
쿼드자산운용	11.26%
한국파스퇴르연구소 (외1)	8.84%
외국인지분율	1.39%
배당수익률	0.0%

Stock Data	
주가(23/04/26)	11,430 원
KOSDAQ	830.44 pt
52주 Beta	0.
52주 최고가	30,300 원
52주 최저가	7,670 원
60일 평균 거래대금	1 십억원

주가 및 상대수익률



주가상승률	절대주가	상대주가
1개월	46.7%	45.6%
6개월	-1.5%	-18.9%
12개월	-62.3%	-58.6%

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

Contents

1. 투자의견 및 밸류에이션 3

2. 기업 개요 5

3. 투자 포인트 7

(1) 텔라세벡의 TB 얼라이언스 기술이전 성과 재평가 7

(2) 텔라세벡 상업화 시 PRV 의 가치 상승 전망 10

(3) 항암제 전문 바이오텍으로 가치 재평가 필요 20

1. 투자의견 및 밸류에이션

투자의견 '매수', 목표주가 20,300 원으로 커버리지 개시

목표주가 20,300 원 제시. 상승 여력은 77.6%. 텔라세벡과 PRV 가치만 보수적으로 포함 (주식수는 잔여 전환우선주 100% 전환을 보수적으로 가정)

큐리언트에 대해 투자의견 '매수', 목표주가 20,300 원으로 커버리지를 개시한다. 전일 종가 대비 상승 여력은 77.6%다. 목표주가 20,300 원은 다제내성결핵 치료제 후보물질 '텔라세벡'의 파이프라인 가치(PRV 가치 포함) 2,521 억원에 순차입금을 합산하여 산출했다. 연내 기술이전이 기대되는 아토피성 피부염 치료제 Q301 과 단독 및 키트루다 병용 임상을 진행 중인 항암제 파이프라인 Q702, Q901 의 가치는 보수적으로 목표주가 산출에서 제외했다. 또한 주식수 역시 향후 잔여 전환우선주 100% 전환을 보수적으로 반영했다.

큐리언트는 기존 개발 중이던 텔라세벡과 Q301 은 개발 목표에 도달했던 만큼 추가 자본 투자 없이 기술이전을 통한 최종 임상 진행 및 이를 통한 수익 실현이 기대된다. 앞서 지난 2 월 글로벌 최대 결핵치료제 개발 기구인 TB 얼라이언스와 텔라세벡에 대한 기술이전 계약을 체결했다. 하반기 중 FDA 에 2b 상 IND 신청, 2024 년 임상 개시가 예상된다. Q301 역시 연내 기술이전을 목표로 다양한 파트너사와 기술이전 논의를 진행 중인 것으로 파악된다.

항암제 전문 바이오텍으로써의 재평가도 필요하다. 현재 임상 단계에 진입한 후보물질 2 개(Q702, Q901)를 보유하고 있다. Axl/Mer/CSF1R 삼중 저해제 Q702 와 CDK7 저해제 Q901 모두 단독 및 키트루다 병용 임상을 진행 중이다. Q702 와 Q901 모두 병용 1/2 상 진행 중으로 이르면 2023 년 하반기부터 순차적으로 병용 임상에서의 성과를 확인할 수 있을 전망이다.

오버행 우려는 잔여 전환우선주 물량 및 전환가액 고려 시 과도

큐리언트는 오버행에 따른 수급 이슈에 대한 시장의 우려로 보유 중인 파이프라인들에 대한 충분한 가치 반영이 이뤄지지 못하고 있는 것으로 판단된다. 하지만 잔여 전환우선주는 875,765 주로 현재 상장주식수의 약 7%에 불과하고, 전환가액 고려 시 797,765 주는 23,555 원, 78,000 주는 17,500 원으로 현 주가 대비 높은 수준으로 확인된다. 따라서 현재 텔라세벡 단일 파이프라인 가치에도 크게 못 미치는 기업 가치에 대한 재평가가 시급하다고 판단된다.

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

큐리언트 목표주가 산출

(십억원, 천주, 원)		비고
1. 파이프라인 가치 (A+B+C+D)	**252.1**	보수적으로 텔라세벡 가치만 포함
A. 텔라세벡(PRV 가치 포함)	252.1	25 년 허가 가정. PRV 가치는 최근 3 년 평균 가격 적용
B. Q301	-	보수적으로 가치 산출에서 제외
C. Q702	-	보수적으로 가치 산출에서 제외
D. Q901	-	보수적으로 가치 산출에서 제외
2. 순차입금	(13.0)	2023 년 말 추정치 기준
3. 보통주주식수	13,042	잔여 전환우선주 100% 전환 가정
4. 적정주가 산출	**20,300**	
5. 현재 주가	11,430	2023 년 4 월 26 일 종가
6. 상승여력	**77.6%**	

자료: SK 증권 추정

텔라세벡 파이프라인 가치 산출(PRV 가치 포함)

(명, 백만달러, 십억원)		23E	24E	25E	26E	27E	28E	29E	...	32E
고소득 국가 인구 수(백만명)		1,249	1,251	1,253	1,255	1,257	1,259	1,261		1,266
고소득 국가 결핵 신규 환자 수(명)	10 만명당 약 50 명	625	625	626	628	629	630	631		632
중/저소득 국가 인수 수(백만명)		6,746	6,818	6,888	6,957	7,026	7,094	7,161		7,358
중/저소득 국가 결핵 신규 환자 수(명)	10 만명당 약 187 명	12,616	12,749	12,880	13,010	13,138	13,265	13,391		13,638
다제내성 결핵(MDR/RR-TB) 환자 수(천명)	신규 환자 중 3.9%	522	527	532	537	542	547	552		562
타임라인		2b IND 제출	2b 개시/ 종료	2b 허가 신청/ 승인	출시					
시장 점유율	TB 얼라이언스 주도로 WHO 표준치료제 등재 시 사실상 독점이나 보수적으로 80% 가정				44%	58%	70%	80%		80%
TB 얼라이언스 예상 매출액	고소득: 도브프렐라 미국 보험약가(정당 19.48 달러), 중/저소득: 364 달러 기준	0.0	0.0	0.0	120.2	161.5	195.9	224.2		228.7
PRV 예상 가치	**허가 시점 판매 가정 (최근 3 년 평균 가격) 기준**	**0.0**	**0.0**	**105.0**	**0.0**	**0.0**	**0.0**	**0.0**		**0.0**
큐리언트 예상 매출액	**로열티 비율 고소득: 20%, 중/저소득: 10% 가정**	**0.0**	**0.0**	**105.0**	**16.3**	**21.9**	**26.6**	**30.4**		**30.9**
큐리언트 예상 EBIT		0.0	0.0	105.0	16.3	21.9	26.6	30.4		30.9
NOPLAT	**법인세율 20% 가정**	**0.0**	**0.0**	**84.0**	**13.1**	**17.5**	**21.3**	**24.3**		**24.7**
Sum of FCFF	WACC 8.7% 가정	147.6								
Terminal Value	영구성장률 -3% 가정	204.7								
PV of Terminal Value		88.9								
최종가치	성공확률 82% 가정	193.9								
최종가치(십억원)	**환율 1,300 원/달러 가정**	**252.1**								

자료: 산업 자료, SK 증권 추정

2. 기업 개요

매력적인 기전을 보유한 항암 신약 전문 바이오텍

초기 도입 파이프라인 기술 이전 완료 및 준비 중. 현재는 항암제 개발 전문 바이오텍으로의 전환 완료

큐리언트는 2008 년 7 월 한국파스퇴르연구소에서 분사 설립된 바이오 기업이다. 설립 초기에는 NRDO 사업모델을 통해 안정적으로 파이프라인 포트폴리오를 구축했다. 한국파스퇴르연구소로부터 결핵 치료제와 항염증 치료제 프로그램을 기술 도입했다. 이어서 독일의 Max Planck Institute/Lead Discovery Center 로부터 항암면역/내성암 치료제를 도입했다. 신약 개발의 임상이나 생산과 같은 기능적인 부분은 외부 소싱을 통해 진행하며, 연구개발 과제의 실질적인 부분에 집중해 효율적인 개발이 가능하다.

기업 초기에는 글로벌 기초연구 소싱 네트워크를 바탕으로 NRDO 사업에 집중해 안정적인 파이프라인 포트폴리오를 구축했다. 초기 도입했던 파이프라인의 기본적인 연구 개발은 완료해 기술이전을 검토하고 있다. 이제는 포텐셜이 높은 항암 신약에 주력하는 전문 바이오텍으로 전환해 개발을 진행 중이다.

총 4 개의 파이프라인을 보유하고 있다. 항암제 파이프라인 Axl/Mer/CSF1R 삼중 저해제 Q702(성분명: Adrixetinib)와 CDK7 저해제 Q901 은 각각 임상 1/2 상을 진행 중이다. 다제내성결핵 치료제 텔라세벡(Telacebec)은 임상 2a 상을 종료했고 2023 년 2 월 글로벌 최대 결핵치료제 개발 기구인 TB 얼라이언스와 텔라세벡에 대한 기술이전 계약을 체결했다. 하반기 중 FDA 에 2b 상 IND 신청, 2024 년 임상 개시가 예상된다. 아토피성 피부염 치료제 Q301 은 임상 2b 상에서 긍정적인 결과를 확보한 후 3 상 진입을 위한 제형 개발 및 공정을 확정했다. 지난 10 월 안정성 시험을 완료했다.

큐리언트 파이프라인 현황

구분	파이프라인	작용기전	단독/병용	임상 단계	임상 지역	적응증	비고
항암제	Q702	Axl/Mer/CSF1R Triple Inhibitor	단독	임상 1 상	미국	진행성 고형암	- 별도의 연구자주도 혈액암 임상 진행
			병용	임상 1b/2 상	미국, 한국	위암, 식도암, 간세포암, 자궁경부암	- MSD 와 공동연구개발 계약(21.11) - 키트루다 병용 임상 진행
	Q901	CDK7 inhibitor	단독	임상 1/2 상	미국	유방암, 폐암, 전립선암, 난소암, 췌장암, 자궁내막암	- 임상 기간 단축을 위한 가속 개발
			병용	Pre-IND	미국	진행성 고형암	- MSD 와 공동연구개발 계약(22.09) - 키트루다 병용 임상 진행
항생제	Q203	Cytochrome bc1 inhibitor	단독	2a 상 완료	미국, 남아공	다제내성결핵	- FDA PRV 수령 가능 - TB 얼라이언스와 기술이전 체결(23.02)
항염증제	Q301	Topical 5-LO inhibitor	단독	2b 상 완료	미국	아토피성 피부염	- 제형 안정성 시험 완료 - FDA EOP2 미팅 및 기술이전 예정

자료: 큐리언트, SK 증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

큐리언트 파이프라인별 주요 이벤트

파이프라인	주요 이벤트	예상 시점
Q702	Immunological proof-of-concept from Phase 1	2Q23
	Phase 1 completion and initial efficacy results from combination	**4Q23**
Q901	**Phase 1 dose escalation completion**	**3Q23**
	Initial monotherapy efficacy results	**3Q23**
	Initiate Keytruda combination study	**2Q24**
Telacebec	Out-licensing to TB Alliance	1Q23
	Approval strategy layout	**4Q23**
Q301	Ready for Phase 3 initiation	2Q23
	Establishment of regional phase 3 partnerships	**3Q23**

자료: 큐리언트, SK증권

3. 투자 포인트

(1) 텔라세벡의 TB 얼라이언스 기술이전 성과 재평가 필요

텔라세벡의 가치 재평가에 따른 주가 상승 기대

다제내성결핵 치료제 후보물질 '텔라세벡(Telacebec)'의 가치 재평가에 따른 주가 상승이 기대된다. 크게 1) 텔라세벡의 기술이전에 대한 성과 재평가, 2) 텔라세벡 상업화 시 수령하게되는 PRV(우선심사권)에 대한 가치 상승 가능성에 주목할 필요가 있다.

텔라세벡(Telacebec)은 다제내성결핵 치료제로 개발 중인 파이프라인이다. 단독투여로 진행된 임상 2a 상에서 투여를 시작한 지 14 일만에 결핵균의 활성도 저하를 확인했으며, 투여용량 증가에 따라 약효가 정비례하는 것을 확인했다. 이는 단독투여만으로도 First-in-class 결핵 치료제로써 유의미한 임상 성과를 확인했다는 점에서 고무적이였으며, 실제로 이에 따라 글로벌 최고 권위의 학술지인 NEJM(New England Journal of Medicine)에 관련한 임상 결과가 게재된 바 있다. 당시 결핵 치료제 임상연구 분야의 최고 권위자 중 하나인 안드레아스 다이아콘 교수로부터 텔라세벡이 신규 결핵 치료제와 병행 처방을 통해 차세대 치료법을 완성하기 위한 약물이라고 강조했다.

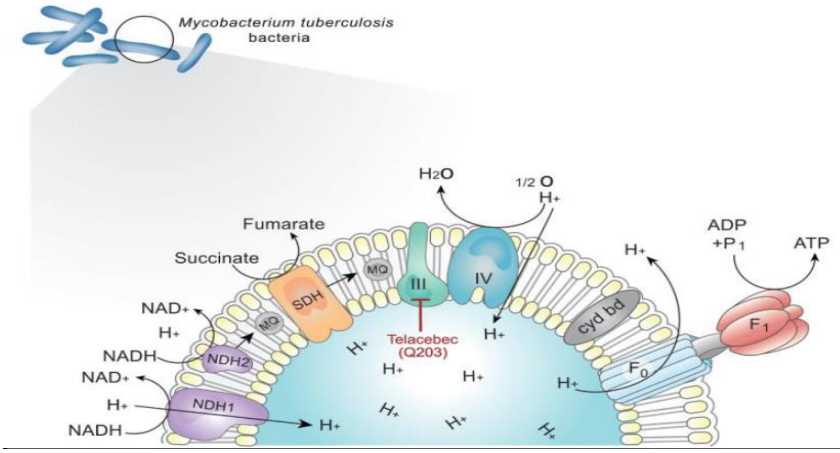
큐리언트는 2018 년 텔라세벡에 대해 FDA 로부터 신속심사 대상 지정(Fast track designation)을 받은 만큼 2 상 이후 조건부 허가가 가능하다. 이에 따라 허가를 위한 2b 상 진행을 위해 2023 년 2 월 글로벌 최대 결핵치료제 개발 기구인 TB 얼라이언스에 텔라세벡 기술이전을 완료했다. TB 얼라이언스는 결핵 치료제를 연구, 개발, 공급하기 위해 2000 년 설립된 결핵 치료제 개발 글로벌 파트너십으로 빌&멜린다 게이츠 재단을 비롯해 미국, 영국 등 선진국 정부의 지원을 받아 운영되고 있는 기구다.

TB 얼라이언스는 2023 년 하반기 중 2b 상 IND 를 FDA 에 제출, 2024 년부터 임상 2b 상을 진행할 예정이다. 다제내성결핵 환자들을 대상으로 진행되는 임상인 만큼 대규모 환자 모집이 필요하지 않아 2024 년 말~2025 년 초 임상 2b 상 종료, 이후 2026 년 FDA 허가가 예상된다. 큐리언트는 기술이전 계약 조건에 따라 허가 시 발급되는 PRV(Priority Review Voucher, 우선심사권)에 대한 권리를 확보하게 되며, 별도의 로열티를 매출에 따라 수령하게 될 예정이다.

PRV 제도는 FDA 가 소외질병 치료제 개발을 독려하기 위한 목적으로 시행하고 있으며 PRV 를 사용 시 해당 의약품에 대한 허가 심사 기간 단축 및 제 3 자에게 양도도 가능하도록 한 제도로 최근 약 1 억달러 수준에서 거래된 것으로 파악된다. FDA 의 PRV 지정 기준 변경 등에 따른 영향으로 큐리언트가 PRV 를 수령하게 될 것으로 기대되는 2026 년의 PRV 가치는 현재 수준 대비 상승할 가능성이 높다고 판단된다.

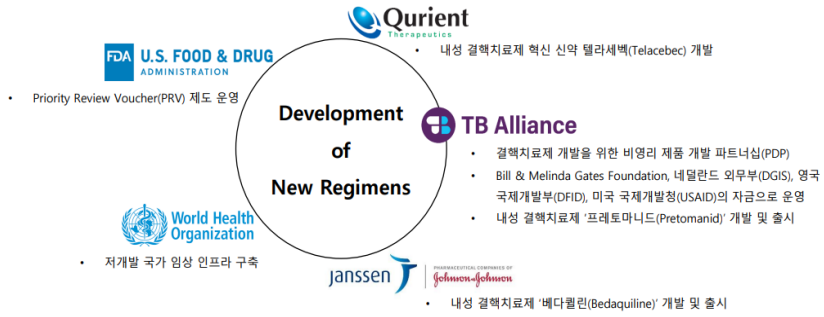
Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

텔라세벡의 작용 기전



자료: 큐리언트, SK증권

결핵 치료제 개발 공동체



자료: 큐리언트, SK증권

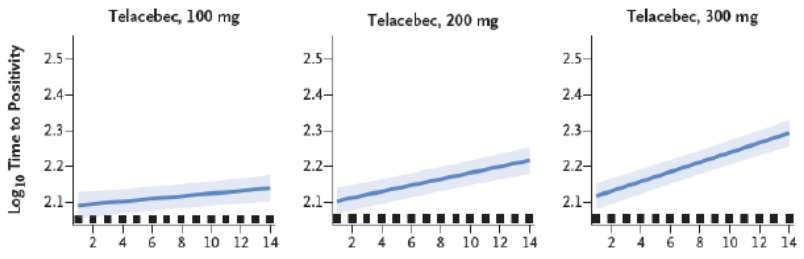
기존 다제내성결핵 치료제 옵션은 제한적, 부작용이 높다는 한계 지님. 텔라세벡은 2a 상에서 유효성 및 안전성 평가 지표 달성

다제내성결핵이란 결핵 중 결핵 치료에 중요한 약제인 이소니아지드(isoniazid)와 리팜핀(rifampin)에 모두 내성인 결핵을 의미한다. 다제내성결핵 환자의 경우 치료 기간이 기존의 6 개월에서 최소 18 개월로 늘어나며, 치료 성공률 역시 떨어져 치료가 어려운 것으로 알려져 있다. 이에 따라 치사율은 30~50%에 달한다. WHO(세계보건기구)에 따르면 다제내성결핵 신규환자는 약 56 만명 수준으로 추정되며, 인도(14 만명), 중국(7 만명), 러시아(6 만명) 등 주로 신흥국에 환자가 다수 분포한 것으로 알려져 있다. 다제내성결핵 환자수와 WHO 가 조사한 1 인당 다제내성결핵 환자의 처방 비용 약 5 천달러를 기준으로 추정할 경우 주요 3 개국(인도, 중국, 러시아)의 시장 규모는 약 13 억달러에 달한다. 다만 현재 시판된 의약품은 얀센의 Sirturo(bedaquiline), 오츠카제약의 Deltyba(delamanid) 등 3 가지로 내성균을 치료하기 위한 병용처방법이 제한적이고 부작용 역시 높다는 점에서 한계가 있다.

큐리언트의 텔라세벡은 시판된 다제내성결핵 치료제들과는 차별적으로 결핵균의 전달계인 CytochromeC 구성요소인 QcrB subunit 을 타겟해 결핵균의 호흡을 저해하는 신규 기전의 약물이다. Telacebec 은 결핵균에만 작용함으로써 약물내성 및 부작용을 최소화했다. 2019 년 6 월 완료한 임상 2a 상에서 1, 2 차 유효성 충족점과 안전성 평가 목표를 달성했다고 발표했다.

이후 2019 년 10 월 개최된 글로벌 최대 결핵학회인 WGND(Working Group on New TB Drug)와 세계 최고 권위의 학술지인 NEJM 에서 세부 임상 데이터가 공개됐다. 해당 데이터에 따르면 18 세 이상 결핵 환자 58 명을 대상으로 텔라세벡 100mg, 200mg, 300mg 또는 rifampin, isoniazid, pyrazinamide, ethambutol(RHZE, Rifafour e-275) 복합제를 각각 14 일간 투여한 결과 1 차 평가 지표인 TTP(Time to Positivity) 분석을 통해 텔라세벡 단독투여 14 일만에 결핵균의 활성도 저하를 확인했으며, 투여용량 증가에 따라 약효가 정비례하는 것을 확인했다. 또한 텔라세벡은 얀센의 bedaquline 과 병용요법 효능 실험을 통해 병용처방 시 시너지 효과 창출이 가능함을 입증했으며, 이는 결핵연구그룹에서 목표로 하는 '범용처방법(Universal regimen)' 개발을 위한 후보물질임을 의미한다.

텔라세벡의 투여농도별 결핵균 활성도 감소 효과



자료: 큐리언트, NEJM, SK 증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

(2) 텔라세벡 상업화 시 수령 가능한 PRV의 가치 상승 전망

PRV 제도에 따라 텔라세벡 상업화 시 PRV 수령 가능. 현재는 약 1억달러에 거래 중이나, PRV 수령 예상 시점인 2026년 가치는 현재 대비 상승 가능성 높아

텔라세벡은 2015년 12월과 2018년 11월 FDA로부터 각각 희귀의약품(Orphan Drug) 지정 및 신속심사 대상 의약품으로 지정된 바 있다. 이에 따라 임상 2b 상 종료 후 가속 승인(Accelerated Approval)이 가능하다. 또한 텔라세벡이 효과를 보이고 있는 결핵, 브룰리 궤양, 한센병은 미국 FDA 의 PRV 발급 대상 질환으로 향후 조건부 허가 완료 후 PRV 획득이 기대된다. PRV 제도는 FDA가 소외질병 치료제 개발을 독려하기 위한 목적으로 시행하고 있으며 PRV 를 사용 시 해당 의약품에 대한 허가 심사 기간 단축 및 제 3자에게 양도도 가능하도록 한 제도다. 2022년 PRV는 평균 약 1억달러 수준에서 거래 된 것으로 나타난다. 다만 FDA 의 PRV 지정 기준 변경 등에 따른 영향으로 큐리언트가 PRV 를 수령하게 될 것으로 기대되는 2026 년의 PRV 가치는 현재 수준 대비 상승할 가능성이 높다고 판단된다.

1. PRV(Priority review voucher) 프로그램이란?

PRV는 FDA에서 특정 신약을 개발 중인 제약사에게 우선심사권리를 보장하는 증명서. 3자간 거래 가능

PRV 란 미국식품의약국(FDA)에서 소외열대질환과 소아희귀질환을 대상으로 하는 신약과 대테러 의약품을 개발중인 제약사에게 해당 신약의 우선심사권리를 보장하는 일종의 증명서이다. FDA 에서 대상으로 규정하는 질병의 신약허가신청 제출 시 PRV 취득 권리를 부여 받는다. PRV는 제 3자와의 거래도 가능하다. 해당 바우처를 지참하면 PRV 발급의 대상이 되었던 신약이 아니더라도 NDA 와 BLA 우선심사 권리가 적용될 수 있다.

과거 에이즈의 유행 당시, 신약 개발이 지연되며 의약품의 신속한 심사와 승인의 필요성에 대한 논의가 시작되었다. 이에 미 의회는 1992 년 처방의약품 사용자수수료법(Prescription Drug User Fee Act, 이하 PDUFA)을 통해 의약품 심사 시간 개선을 위한 구체적인 목표에 합의하고 표준심사와 우선심사의 2단계 심사 시스템을 만들었다.

처방의약품 사용자수수료법 은 이후 5년의 주기의 재승인과 개정을 통해 신약 개발 임상시험 단계의 우선심사 대상 포함(1997, PDUFA II), 신약 검토 속도 촉진을 위한 PRV 프로그램 신설(2007, PDUFA IV), 바이오 의약품의 우선심사 대상 포함(2017, PDUFA VI), 제네릭 의약품의 우선심사 대상 포함(2022, PDUFA *VII*)등의 법령을 추가로 제정했다.

FDA 의 표준심사는 약 10 개월. 다만 신약허가의 이력이 없는 적응증은 심사기간이 18 개월에 달해

PRV 사용 시 최대 1 년까지 심사기간을 단축할 수 있다는 점에서 장점 커. 동일 적응증 대상 경쟁 신약 존재 시 가치 더욱 부각

PDUFA 에 따르면 신약물질에 대한 FDA 표준심사는 10 개월을 그 기한으로 하고 있다. 하지만, 신약허가의 이력이 없는 적응증은 심사기간의 평균값이 18 개월로 크게 증가하며, 이 경우 PRV 를 이용하여 최대 1 년까지 심사기간을 단축할 수 있다는 점에서 빠른 상용화의 장점이 있다. 또한, 동일 적응증을 대상으로 하는 경쟁 신약 제품이 있을 경우, 우선 검토를 보장 받는다는 그 가치가 더 크게 부각된다.

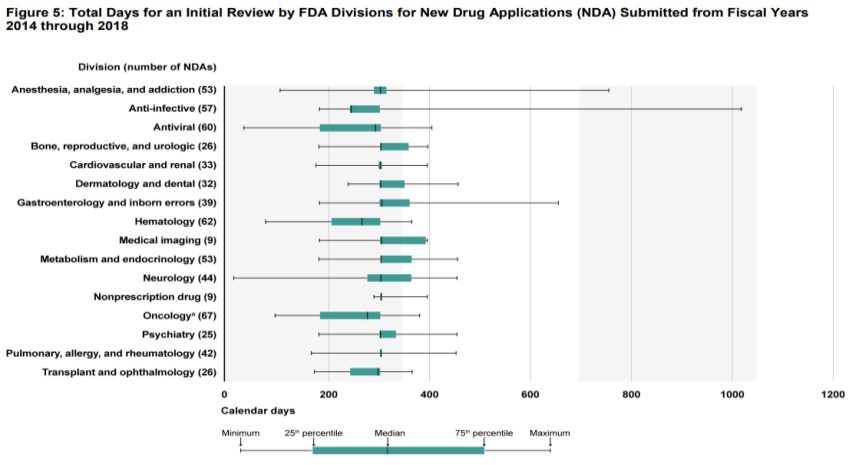
PRV 는 제출 90 일 전까지 FDA 에 사용 의사를 통지해야한다. 해당 기한은 기존 365 일에서 2014 년 PRV 프로그램 에볼라 추가 법안을 통해 90 일로 줄어든 바 있다. 이는 365 일의 기한이 약물의 신속한 심사 및 승인 절차에 걸림돌이 된다는 판단에서이다. FDA 에 따르면, 우선심사에는 표준심사보다 더 많은 노력과 자원이 투입되기 때문에 PRV 를 사용하는 기업은 표준심사 수수료 외에도 매년 갱신되는 우선심사에 대한 추가 수수료를 부담해야한다. 추가 수수료는 이전 회계연도 중 표준심사와 우선심사 과정에서 FDA 가 부담한 평균 비용의 차액으로 결정되며 올해 9 월 30 일까지 적용되는 우선심사 추가 비용은 150 만 달러로 결정되었다.

처방의약품 사용자수수료법(PDUFA) 개정의 역사

단계	연도	적용기간	주요 법령
PDUFA I	1992	FY 1993 - 1997	표준심사, 우선심사의 2 단계 심사 시스템 신설
PDUFA II	1997	FY 1998 - 2002	신약 개발 임상시험 단계의 우선심사 대상 포함
PDUFA III	2002	FY 2003 - 2007	신약 검토 속도 개선을 위한 FDA 추가 인력 고용 허용
PDUFA IV	**2007**	**FY 2008 - 2012**	**신약 검토 속도 촉진을 위한 PRV 프로그램 신설**
PDUFA V	2012	FY 2013 - 2017	-
PDUFA VI	2017	FY 2018 - 2022	바이오의약품의 우선심사 대상 포함
PDUFA VII	2022	FY 2023 - 2027	제네릭의약품의 우선심사 대상 포함

자료: U.S. Congress, SK 증권

FDA 의 신약 신청 초기 검토에 소요되는 기간



자료: GAO, SK 증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

FY 2023 PRV 추가 수수료

연도	항목	계산식	비용 (달러)
FY 2021	연간 NDA, BLA 검토 비용의 합 주1)	(47 α × 1.67) + (29 α) 주2)주3)	240,559,727
FY 2021	NDA, BLA 표준 검토 비용의 평균	α	2,237,973
FY 2021	NDA, BLA 우선 검토 비용의 평균	α × 1.67	3,737,415
FY 2023	**NDA, BLA 우선 검토 비용**	**(α × 1.67 - α) × 1.6404% 주4)**	**1,524,038**

자료: U.S. Congress, SK증권
주 1: FY 2021 중 우선검토 47 건(NDA 27 건, BLA 20 건), 표준검토 29 건(NDA 14 건, BLA 15 건)
주 2: 우선검토 비용 추정 시 표준검토 비용에 1.67(10 개월/6 개월)의 배율 적용
주 3: α = 표준검토 비용
주 4: FY 2022 이전 3 개년 연간 비용 증가율의 평균값

2. PRV 지정 요건

PRV 지정 요건:
1) 소외열대질환, 2) 소아희귀질환, 3) 대테러 상황에서 의료 대응책 역할을 하는 의약품

PRV 는 1) 소외열대질환(Neglected Tropical Disease) 또는 2) 소아희귀질환(Rare Pediatric Disease)을 대상으로 하는 신약 또는 바이오의약품을 개발하거나, 3) 대테러 상황에서 의료 대응책 역할을 하는 의약품(Material Threat Countermeasure)을 개발하는 제약사에 부여될 수 있다.

세계보건기구(WHO)는 아열대 및 열대지방에서 주로 발생하는 질병 20 가지에 대해 소외열대질환으로 규정하고 있다. 개발도상국 저소득층에서 흔히 발생하는 소외열대질환의 종류에는 흑열병, 주혈흡충증, 노마병 등이 포함되며 빅 3 감염병으로 분류되는 HIV/AIDS, 결핵, 말라리아와 동시 감염 시 인체에 더욱 치명적인 영향을 끼칠 수 있다. 하지만, 소외열대질환의 특허가 갖는 경제적 가치는 매우 낮거나 거의 없는 수준으로 대부분의 개발이 정부와 자선단체에 의해 이루어지고 있다. FDA 는 민간 제약사의 소외열대질환에 대한 개발의 촉진을 위해 PRV 프로그램을 통해 경제적 인센티브를 부여하고 있는 것이다.

소아희귀질환은 18세 이하의 환자에게 주로 영향을 미치는 질환 중 미국 내 환자가 20 만명 미만이며 미 연방 식품, 의약품 및 화장품법(Federal Food, Drug, and Cosmetic Act)에 희귀 질환으로 명시된 질환을 의미한다. 소아희귀질환 역시 낮은 유병률로 인해 제약사의 개발 수요과 관심이 낮은 상황이며 FDA 의 PRV 프로그램을 통해 수익성 보장이 이루어지고 있다.

대테러 의료 대책은 생화학테러 또는 방사능이나 핵 물질을 사용한 테러 및 자연 발생한 신종 질병 또는 공중 보건 비상사태 발생 시 사용할 수 있는 FDA 규제 제품으로 정의된다. 대테러 의료 대책으로 분류되어 PRV 를 부여 받은 의약품으로는 차가스병 치료제 Lampit 과 엠폭스 치료제 Jynneos 등이 있다.

PRV 프로그램은 2007 년 신설, 당시에는 소외열대질환에 대해서만 PRV 발급. 이후 PRV 대상 확대

PRV 프로그램은 2007 년 처방의약품 사용자수수료법 3 차 개정안(PDUFA IV)을 통해 신설되었으며 최초에는 소외열대질환에 대해서만 그 대상을 규정했다. 이후 2012 년 FDA 안전 및 혁신법(FDA Safety and Innovation Act)을 통해 소아희귀질환, 2014 년 PRV 프로그램 에볼라 추가 법안(Adding Ebola to the FDA Priority Review Voucher Program Act)을 통해 에볼라 바이러스, 2016 년 의료 대책 혁신법(Countermeasure Innovation Act)을 통해 대테러 의료 대책 제품이 PRV 대상으로 확대 적용되었다.

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

PRV 지정 대상 질환 목록

Chagas	Chikungunya virus disease	Cholera
Cryptococcal meningitis	Dracunculiasis	Human African trypanosomiasis
Dengue	Fascioliasis	Lassa fever
Malaria	Filoviruses (including Ebola)	Leishmaniasis
Blinding trachoma	Opisthorchiasis	Leprosy
Neurocysticercosis	Paragonimiasis	Lymphatic filariasis
Onchocerciasis	Rabies	Yaws
Brucellosis	Soil transmitted helminthiasis	Zika
Schistosomiasis	Tuberculosis	Buruli Ulcer
Medical countermeasures	Rare pediatric disease	

자료: FDA, SK증권 정리

법안별 PRV 적용 대상의 확대

연도	법안	대상
2007	PDUFA IV	소외열대질환
2012	FDASIA	희귀소아질환
2014	PRV 에볼라 추가 법안	에볼라 바이러스
2016	의료 대책 혁신 법안	대테러 의료 대책 제품 및 의약품

자료: FDA, SK증권 정리

3. PRV 의 가치

PRV 는 초기 최대 3.5 억달러까지 거래 가격 상승. 이후 PRV 지정 대상 확대 및 발급 건수 증가로 약 1 억달러 내외로 하향 안정화

PRV 는 2007 년 프로그램이 신설된 이후 2014 년까지 단 4 건만 발급되었다. 정해진 가격 없이 시장의 수요와 공급에 따라 가치가 결정되는 만큼 시장형성 초기의 PRV 가격은 그 등락이 매우 심했다. 최초의 PRV 거래는 2014 년 바이오마린과 사노피 사이에서 일어났다. 2014 년 2 월 바이오마린은 뮤코다당증 IVA 형 치료제인 Vimizim 의 승인을 통해 획득한 PRV 를 같은 해 7 월, 리제네론과 사노피에 6,750 만 달러에 매각했다. 같은 해 11 월, 나이트 테라퓨틱스와 길리어드의 거래에서 PRV 는 1 억 2,500 만 달러의 가치를 인정받았고, 이듬해 애브비와 사노피가 구매한 PRV 는 각각 3 억 5 천만 달러, 2 억 4,500 만 달러의 가치를 인정받았다. 이후 PRV 지정 대상의 확대와 발급 건수 증가에 따라 PRV 시장 가치는 1 억 달러 내외로 하향안정화 되었다.

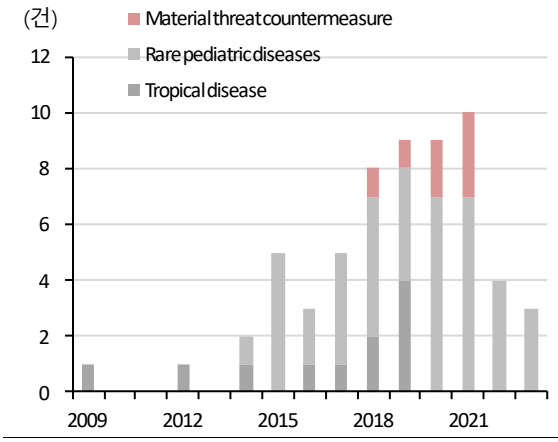
PRV 프로그램의 지정 대상은 크게 소외열대질환, 소아희귀질환, 대테러 의료 대책으로 구분된다. 소외열대질환은 PDUFA IV(2007)를 통해 지정되었으며, 소아희귀질환과 대테러 의료 대책은 각각 FDASIA(2012)와 의료 대책 혁신법(2016)을 통해 PRV 지정 대상에 포함되었다. 세가지 적응증 중, 소아희귀질환과 대테러 의료 대책에 대한 PRV 발급은 그 만료일을 명시한 '일몰 조항(Sunset Provisions)'이 존재한다.

소아희귀질환의 PRV 발급은 2026 년 9 월 30 일 허가 시까지만 가능. 소아희귀질환 PRV 발급 건수는 총 60 개 발급 신약 중 70%에 해당

소아희귀질환의 PRV 발급 만료일은 최초 2016 년 10 월 1 일이었지만, 2016 년 9 월 30 일 공표된 '희망 증진법(Advancing Hope Act, S.1878)'에 의해 FY 2022 까지 한차례 연장되었다. 이후 2020 년에 재승인된 '희망 만들기 법(Creating Hope Act)'에 의해 소아희귀질환의 PRV 발급 만료일은 2024 년 9 월 30 일까지 추가 연장되었다. 이에 따라 2024 년 9 월 30 일 이전까지 소아희귀질환 의약품 지정을 받은 제약사만이 2026 년 9 월 30 일까지 허가를 받는 경우까지만 향후 PRV 를 발급 받을 수 있는 권리를 갖게 된다. 2007 년 프로그램 신설 이후 총 60 개의 신약이 PRV 를 발급 받았다. 그 중 소아희귀질환은 42 건으로 가장 높은 비중(70.0%)를 차지한 반면, 소외열대질환은 11 건(18.3%), 대테러 의료 대책은 7 건(11.7%)에 그쳤다.

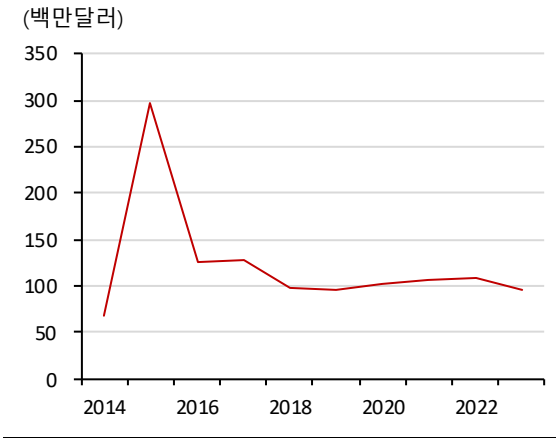
Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

연도별 PRV 발급 현황



자료: FDA, priorityreviewvoucher.org, SK 증권

연도별 PRV 평균 거래가격



자료: FDA, priorityreviewvoucher.org, SK 증권

PRV 발급 내역 (1)

Program	Indication	Drug name	Company	Awarded year
Tropical disease	Malaria	Coartem	Novartis	2009
Tropical disease	Multi-drug-resistant tuberculosis	Sirturo	Janssen Pharmaceutica	2012
Rare pediatric diseases	Morquio A syndrome	Vimizim	BioMarin	2014
Tropical disease	Leishmaniasis	Impavido	Knight Therapeutics	2014
Rare pediatric diseases	High-risk neuroblastoma *Cancer	Unituxin	United Therapeutics	2015
Rare pediatric diseases	Rare bile acid synthesis disorders	Cholbam	Asklepion	2015
Rare pediatric diseases	Hereditary orotic aciduria	Xuriden	Wellstat	2015
Rare pediatric diseases	Hypophosphatasia	Strensiq	Alexion	2015
Rare pediatric diseases	Lysosomal acid lipase deficiency	Kanuma (sebelipase alfa)	Alexion	2015
Tropical disease	Cholera prevention	Vaxchora	PaxVax	2016
Rare pediatric diseases	Duchenne muscular dystrophy	Exondys 51	Sarepta Therapeutics	2016
Rare pediatric diseases	Spinal muscular atrophy	Spinraza	Biogen (Ionis Pharmaceuticals)	2016
Rare pediatric diseases	Duchenne muscular dystrophy	Emflaza	Marathon	2017
Rare pediatric diseases	Batten disease	Brineura	BioMarin	2017
Tropical disease	Chagas disease	Benznidazole	ChemoResearch	2017
Rare pediatric diseases	B-cell acute lymphoblastic leukemia	Kymriah	Novartis	2017
Rare pediatric diseases	Mucopolysacchari-dosis (MPS) VII	Mepsevii	Ultragenyx	2017
Rare pediatric diseases	Biallelic RPE65 mutation-associated retinal dystrophy	Luxturna	Spark Therapeutics	2018
Rare pediatric diseases	X-linked hypophosphatemia (XLH)	Crysvita (burosumab-twza)	Ultragenyx	2018
Tropical disease	Onchocerciasis	Moxidectin	Medicines Development for Global Health	2018
Rare pediatric diseases	Seizures associated with Dravet Syndrome or Lennox-Gastaut Syndrome	Epidiolex (cannabidiol oral solution)	GW Research	2018
Material threat countermeasure	Smallpox	Tpoxx	SIGA Technologies	2018
Tropical disease	Malaria	Krintafel	GlaxoSmithKline	2018
Rare pediatric diseases	Adenosine deaminase-severe combined immunodeficiency (ADA-SCID)	Revcovi (elapegademase-lvlr) injection	Leadiant Bioscience	2018
Rare pediatric diseases	Primary haemophagocytic lymphohistiocytosis (HLH)	Gamifant (emapalumab-lzsg)	Sobi and Novimmune SA	2018
Tropical disease	Fascioliasis	Egaten	Novartis	2019
Rare pediatric diseases	Cystic fibrosis with F508del mutation	Symdeko	Vertex Pharmaceuticals	2019
Tropical disease	Dengue	Dengvaxia	Sanofi	2019
Rare pediatric diseases	Spinal muscular atrophy (SMA) with bi-allelic mutations in the survival motor neuron 1 (SMN1) gene	Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi)	AveXis/Novartis	2019
Tropical disease	Tuberculosis	Pretomanid	TB Alliance	2019
Material threat countermeasure	Smallpox	Jynneos	Bavarian Nordic	2019
Rare pediatric diseases	Cystic fibrosis	Trikafta (elexacaftor/ivacaftor/tezacaftor)	Vertex Pharmaceuticals	2019
Tropical disease	Ebola	Ervebo	Merck & Co.	2019
Rare pediatric diseases	Duchenne muscular dystrophy (patients with error in exon 53)	Vyondys 53 (golodirsen)	Sarepta Therapeutics	2019
Rare pediatric diseases	Neurofibromatosis type 1 (NF1)	Koselugo (selumetinib)	AstraZeneca	2020
Rare pediatric diseases	Spinal muscular atrophy in pediatric and adult patients	Evrysdi (risdiplam)	Genentech	2020
Rare pediatric diseases	Duchenne Muscular Dystrophy in patients amenable to Exon 53 Skipping	Viltepso (viltolarsen)	Nippon Shinyaku Co./NS Pharma Inc.	2020

자료: FDA, SK 증권 정리

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

PRV 발급 내역 (2)

Program	Indication	Drug name	Company	Awarded year
Rare pediatric diseases	Hutchinson-Gilford Progeria syndrome and Processing-Deficient Progeroid Laminopathies	Zokinvy (lonafarnib)	Eiger BioPharmaceuticals	2020
Rare pediatric diseases	Neuroblastoma, relapsed or refractory	Danyelza (naxitamab)	Y-mAb Therapeutics	2020
Rare pediatric diseases	Obesity due to proopiomelanocortin (POMC), proprotein convertase subtilisin/kexin type 1 (PCSK1) or leptin receptor (LEPR) deficiency	Imcivree (setmelanotide)	Rhythm Pharmaceuticals	2020
Rare pediatric diseases	Primary hyperoxaluria type 1	Oxlumo (lumasiran)	Alnylam Pharmaceuticals	2020
Material threat countermeasure	COVID-19 Vaccine, mRNA	Veklury (remdesivir)	Gilead Sciences	2020
Material threat countermeasure	Treatment for COVID-19	INMAZEB (atoltivimab, maftivimab, and odesivimab-ebgn)	INMAZEB	2020
Rare pediatric diseases	Duchenne Muscular Dystrophy in patients with gene amenable to exon 45 skipping	Amondys 45 (casimersen)	Sarepta Therapeutics	2021
Rare pediatric diseases	Molybdenum Cofactor Deficiency Type A	Nulibry (fosdenopterin)	Origin Biosciences, affiliate of BridgeBio Pharma	2021
Rare pediatric diseases	Plasminogen deficiency type 1 (hypoplasminogenemia)	Ryplazim (plasminogen, human-tvmh)	ProMetic Biotherapeutics /Liminal Biosciences	2021
Rare pediatric diseases	Pruritus in all types of progressive familial intrahepatic cholestasis (PFIC)	Bylvay (odevixibat)	Albireo Pharma	2021
Rare pediatric diseases	Cholestatic Pruritus in Patients with Alagille Syndrome	Livmarli (maralixibat)	Mirum Pharmaceuticals	2021
Rare pediatric diseases	Congenital athymia	Rethymic (allogeneic processed thymus tissue-agdc)	Enzyvant	2021
Rare pediatric diseases	Achondroplasia	Voxzogo (vosoritide)	BioMarin Pharmaceutical	2021
Material threat countermeasure	Adults with Thermal Burns	STRATAGRAFT	Stratatech, a Mallinckrodt Company	2021
Material threat countermeasure	COVID-19 Vaccine, mRNA	Comirnaty	BioNTech Manufacturing GmbH	2021
Material threat countermeasure	COVID-19 Vaccine, mRNA	SPIKEVAX	ModernaTx	2021
Rare pediatric diseases	Seizures of genetic epilepsy	Ztalmy (ganaxolone)	Marinus Pharmaceuticals	2022
Rare pediatric diseases	Beta thalassemia	Zynteglo (betibeglogene autotemcel)	Bluebird Bio	2022
Rare pediatric diseases	Sphingomyelinase deficiency (ASMD)	Xenpozyme (olipudase alfa)	Sanofi	2022
Rare pediatric diseases	Cerebral adrenoleukodystrophy	Skysona (elivaldogene autotemcel)	Bluebird Bio	2022
Rare pediatric diseases	Moderate alpha-mannosidosis.	LAMZEDE (velmanase alfa-tycv)	Chiesi Farmaceutici S.p.A.	2023
Rare pediatric diseases	Friedreich ataxia	SKYCLARYS (omaveloxolone)	Reata Pharmaceuticals	2023
Rare pediatric diseases	Rett syndrome	DAYBUE (trofinetide),	Acadia Pharmaceuticals	2023

자료: FDA, SK 증권 정리

4. PRV 의 가치는 향후 점진적 우상향 전망. 큐리언트에 대한 가치 재평가 필요

PRV 가치는 현재 약 1 억달러 수준에서 우상향할 전망

PRV 의 가치는 현재 약 1 억달러 수준에서 향후 우상향할 것으로 예상된다. 이는 앞서 언급한 소아희귀질환 및 대테러 의료 대책의 PRV 발급 일몰 조항 시행에 따른 PRV 가치 상승 가능성에 기인한다. 2007 년 PRV 프로그램 신설 이후 총 60 개의 신약이 PRV 를 발급 받았다. 그 중 일몰 조항 시행에 따라 향후 PRV 수령이 불가능한 소아희귀질환과 대테러 의료 대책 의약품 개발에 따른 PRV 수령 건수는 49 건(81.7%)이다.

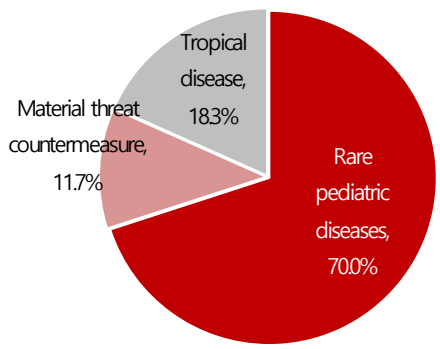
소아희귀질환 및 대테러 의료 대책 의약품에 대한 PRV 수령은 각각 2026, 2023 년 만료 예정. 두 카테고리로 PRV 를 수령한 의약품은 전체에서 81.7% 차지

하지만 소아희귀질환 치료제 개발에 따른 PRV 수령은 2026 년 9 월 30 일까지 허가를 획득한 의약품에 한해서만 가능하며, 대테러 의료 대책은 2023 년 9 월 30 일까지만 적용된다. 즉 PRV 제도 시행 이후 PRV 를 수령한 의약품의 81.7%를 차지한 카테고리에서의 PRV 지정이 2026 년 10 월을 기점으로 모두 종료됨에 따라 PRV 의 가치는 향후 상승할 가능성이 매우 높다고 판단된다.

따라서 2025~2026 년 PRV 수령 예상되는 텔라세벡의 가치는 재평가될 필요

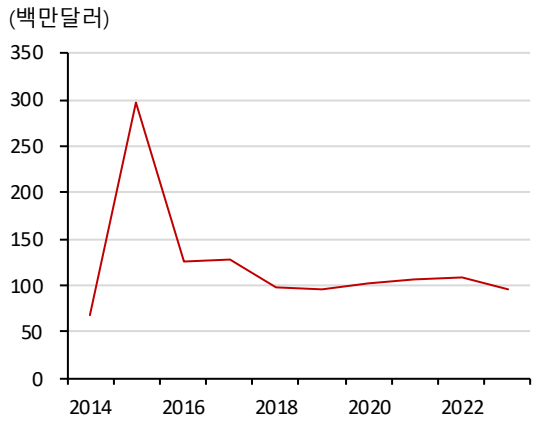
앞서 언급한 바와 같이 큐리언트는 2025~2026 년 텔라세벡의 FDA 허가를 획득할 것으로 기대된다. 이미 2a 상을 통해 단일투약임에도 불구하고 충분한 가능성을 입증한 만큼 기존 결핵 치료제들과의 복합 투여 임상인 2b 상의 성과는 더욱 고무적일 것으로 예상되는 만큼 FDA 의 허가 및 이에 따른 PRV 수령에 대한 가시성은 매우 높다고 판단된다. 특히 PRV 수령이 예상되는 2026 년 소아희귀질환 및 대테러 의료 대책의 PRV 발급 일몰 조항이 시행이 됐거나, 될 예정인 만큼 PRV 의 가치는 해당 시점을 전후로 우상향할 것으로 예상된다. 과거 PRV 의 가치가 2~3 억달러 수준에서 형성됐던 바도 있는 만큼 큐리언트의 잠재적 수령 가능한 PRV 에 대한 가치 재평가도 필요하다고 판단된다.

누적 PRV 발급건 분포



자료: FDA, priorityreviewvoucher.org, SK 증권

연도별 PRV 평균 거래가격



자료: FDA, priorityreviewvoucher.org, SK 증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

(3) Q702, Q901: 항암제 전문 바이오텍으로 가치 재평가 필요

1. Q702: 과학적인 기전에 근거할 때 면역항암제 병용요법 가능성 기대

리드 파이프라인의 기전과 개발 전략은 긍정적

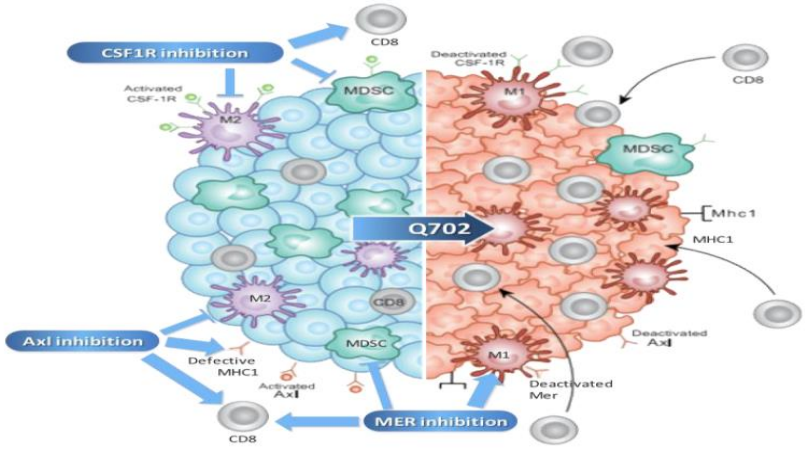
바이오텍을 평가할 때 우선적으로 리드 파이프라인의 타겟 혹은 기전과 개발 전략을 평가한다. 항암 전문 바이오텍으로 탈바꿈한 큐리언트의 리드 파이프라인 Q702는 Axl, Mer, CSF1R 을 저해한다. 세 가지 주요 작용 기전에 근거할 때 현재 진행 중인 키트루다 병용요법 개발 전략의 가능성을 충분히 기대할만 하다.

Q702 는 항암효과를 저해시키는 종양미세환경을 개선하면서 동시에 암세포에도 직접적으로 작용해 면역반응을 끌어올릴 수 있기 때문이다. Axl, Mer, CSF1R 은 면역 억제에 관여하는 Treg, M2 대식세포, MDSC 등의 세포를 늘리고 이 세포들은 내성의 기전 중 하나인 EMT(Epithelial-mesenchymal transition)를 촉진한다. Q702는 이들을 저해해 M2 대식세포를 M1으로 전환하며 MDSC를 감소시키고 CD8+ T세포를 증가시킨다. 또한 암세포에 있는 MHC-1 의 발현도를 높여 CD8+ T 세포가 암세포에 대한 면역반응을 더욱 활발하게 일으키게 만든다.

면역항암제와 병용 시너지 극대화 기대

면역항암제가 잘 반응하지 못하는 특정 암종이나 환자 케이스의 경우 위와 같은 내성발생 및 면역억제 기전이 일어나곤 한다. Q702 는 관련 기전들을 억제하여 내성발생을 최소화하면서 면역을 정상화시켜 면역항암제와 병용 시너지를 극대화시킬 수 있을 것으로 기대된다. 특히 CSF1R 은 골수성 세포(myeloid cell) 활성화에 관여하는데 골수성 세포 비율이 높은 간암, 신장암, 삼중음성유방암 등에서 면역반응이 떨어진다. 실제로 면역항암제들은 해당 암종들에서 반응률이 낮다고 보고된다. Q702 는 CSF1R 을 저해하기 때문에 효능 개선을 기대할 수 있다.

Q702 의 작용 기전



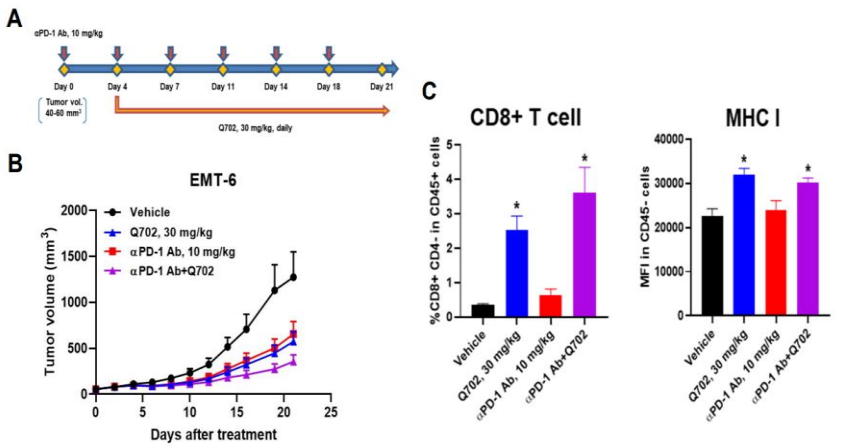
자료: 큐리언트, SK 증권

긍정적인 전임상 결과를 통해 해당 기전의 컨셉 증명

전임상 결과를 통해 해당 기전의 컨셉을 증명했다. 앞서 살펴본 종양 미세 환경 개선에 대한 논문도 다수 발표했다. Q702를 처리했을 때 마우스 모델에서 면역 억제에 관련된 M2 대식세포와 MDSC 감소가 확인 됐다. 또한 암 세포 면역 반응에 관여하는 M1 대식 세포와 세포독성 CD8+ T 세포 증가가 확인됐다. 암세포에서 MHC-I 과 E-cadherin 발현 증가도 확인됐다. 특히 E-cadherin은 EMT가 활성화될 경우 발현이 떨어지는 대표적인 지표다. 이를 증가시켰다는 것은 역으로 mesenchymal 상태의 세포를 epithelial로 되돌렸다고 볼 수 있다.

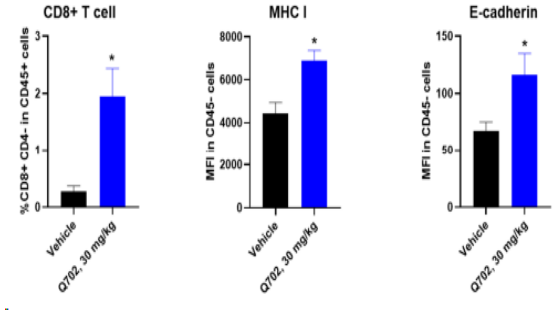
PD-1 항체와 병용을 했을 때도 PD-1 항체 단독 대비 위와 같은 지표에서 우수한 전임상 데이터를 확보했다. 특히 Q702 와 병용으로 투여할 경우 종양 항원 특이적인 CD8+ T 세포가 다수 발현됨을 관찰할 수 있었다. 이는 PD-1 항체와 병용할 경우 단순하게 CD8+ T 세포 수를 증가시키는 것이 아니라 암세포와 면역반응을 직접적으로 일으킬 수 있는 T 세포의 수를 증가시켰다는데 의미가 있다.

Q702 의 anti PD-1 항체 병용 전임상 데이터



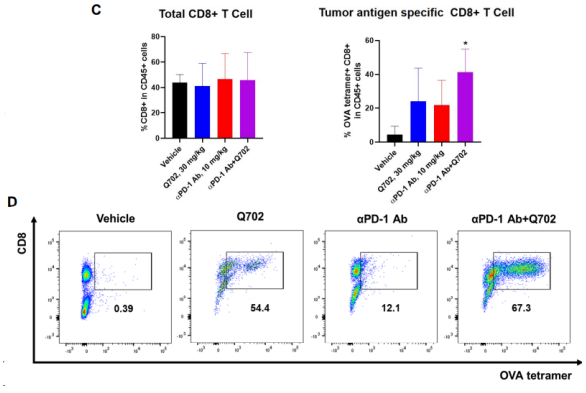
자료: AACR, 큐리언트, SK증권

Q702 면역반응 관련 지표 전임상 데이터



자료: AACR, 큐리언트, SK증권

Q702 종양 특이적 CD8+ T세포 유도 데이터



자료: AACR, 큐리언트, SK증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

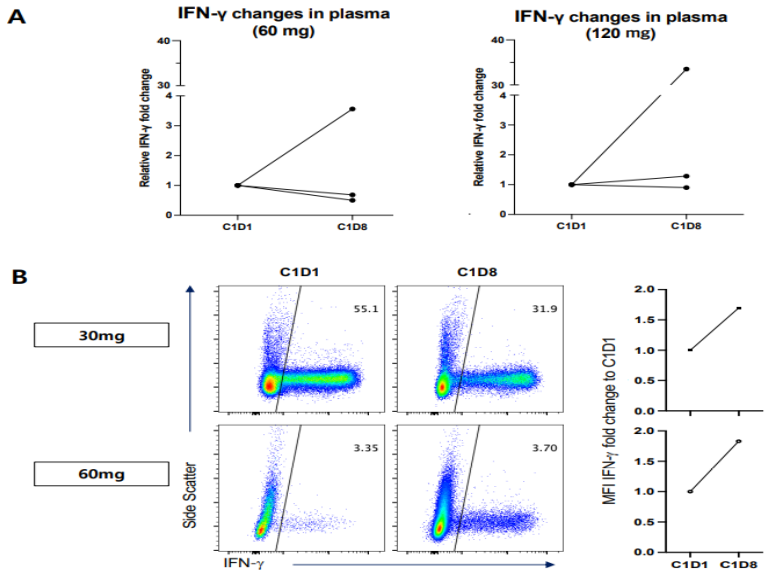
최근 AACR 2023 에서 임상 1 상 인터페론감마 혈중 농도 증가 확인

2020 년부터 Q702 단독요법으로 난치성 고형암 환자 대상 임상 1 상을 진행 중이다. 상반기 중 용량 확정을 바탕으로 2024 년 2 상 진입이 예상된다. 최근 열린 AACR 2023 에서 1 상 면역지표 데이터를 공개했다. 공개된 결과에서 Q702 를 유효용량 투여 시 대표적인 항암 면역지표 중 하나인 인터페론감마(IFN-γ)의 혈중 농도가 최고 30 배 이상 증가한 것을 확인했다. 이는 병용요법으로 진행되는 면역항암제 키트루다의 효능을 높일 수 있다는 가능성을 입증했다는 점에서 의미가 크다.

2023 년 하반기 중 병용 1b 상 효능 데이터 발표 이뤄질 예정

머크와의 공동개발 파트너십을 통해 진행 중인 키트루다 병용 1b/2 상은 지난 1 월 첫 환자 투약이 이뤄졌다. 128 명의 면역항암제 투여 후 재발한 위암, 식도암, 간암, 자궁경부암 환자들을 대상으로 진행 중이다. 2023 년 하반기 중 병용 임상 1b 상에 대한 효능 데이터 발표가 이뤄질 전망이다. 간암의 경우 CSF1R 기전과 관련된 myloid 세포들의 비율이 높으며 MDSC 가 간세포암에서 암 진행 정도에 대한 지표로의 가능성도 연구된바가 있기 때문에 Q702 와 병용이 기대된다. 또한 키트루다는 최근 간세포암 1 차 치료요법 임상 3 상에서 렌비마 병용으로 실패했었기 때문에 간세포암에 대한 개발 니즈가 높아 공동개발 가속화가 기대된다.

Q702 임상 1 상 인터페론감마 혈중 농도 증가 확인



자료: AACR, 큐리언트, SK 증권

Q702 단독 및 병용 임상 개요

	Q702 monotherapy	Q702 combination therapy	
Clinical stage	Phase 1	Phase 1B/2	
NCT identifier	NCT04648254	NCT05438420	
Approval date	2020.04.24	2022.02.16	2022.09.06
Study site	US	US	S.Korea
Indication	Advanced solid tumors	Esophageal, gastric, hepatocellular, cervical cancers	
Enrollment	78	120	
Cycle	1 Cycle: 4 weeks	1 Cycle: 6 weeks	
Summary	Multicenter, open-label, dose-escalation, safety, tolerability, pharmacokinetic and pharmacodynamic study with cohor expansion at the RP2D to evaluate safety and anti-tumor activity of Q702	Open-label study to determine safety and preliminary efficacy of Q702 in combination with pembrolizumab in study subjects with selected advanced solid tumors	
Dosing of first patient	Jan 2021	Jan 2023	

자료: 큐리언트, clinicaltrials.gov, SK증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

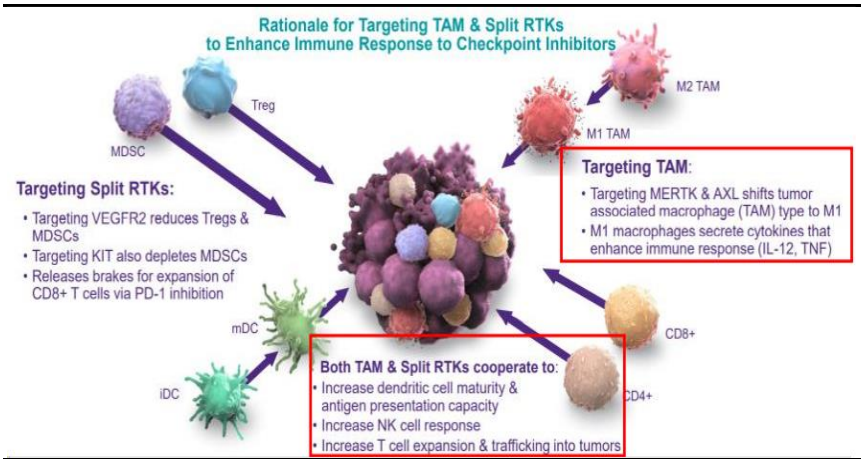
글로벌 개발 현황을 통해 면역항암제 병용요법과 기전적 상관성 및 관심도 확인 가능

글로벌 현황을 봤을 때 Q702 의 기전 중 Axl/Mer 저해는 연구가 활발한 기전 중 하나다. 물론 다중 kinase 저해제들이 잡는 부분 중 하나이며, Kinase 선택성이 완전히 동일한 경우가 없기 때문에 직접적으로 비교하긴 어렵겠지만 TAM(Tyro3/Mer/Axl) family 타겟 기반의 저분자 화합물이 면역항암제와 병용으로 연구되는 케이스는 글로벌에 다수 있다.

특히 Axl 은 다중 kinase 인 cabozantinib 같이 단독과 옵디보 병용으로 승인 받은 약물의 기전 중 하나일 정도로 많이 알려져있다. Axl 선택적 저해제인 버젠바이오의 Bemcentinib 도 STK11 돌연변이 대상으로 키트루다 병용요법 개발 중이다. 후기 임상 단계에 있는 다중 kinase 저해제 신약 중에 TAM familiy 와 VEGFR2, KIT 을 저해하는 미라티 테라퓨틱스의 sitravatinib 도 있다. Sitravatinib 은 BMS 의 PD-1 면역항암제 옵디보와 병용요법으로 2/3 차 비편평 비소세포폐암 임상 3 상 진행 중이다. 중간 결과 발표가 올해 연말에 예정돼있다. 물론 Q702 가 VEGFR2 와 KIT 을 잡지는 않지만 면역항암제 병용요법과 TAM familiy 의 기전적 상관성과 관심도는 간접적으로 확인 가능하다.

Q702 의 경우 TAM familiy 를 기반으로 면역 억제 환경을 정상화시키면서 CSF1R kinase 를 저해하기 때문에 다른 물질 대비 추가적으로 myeloid cell 이 높은 암종에 대해 면역항암제와의 병용요법 시너지를 기대해볼 수 있다.

Mirati Therapeutics 의 Sitravatinib 작용기전 모식도



자료: 미라티 테라퓨틱스, SK 증권

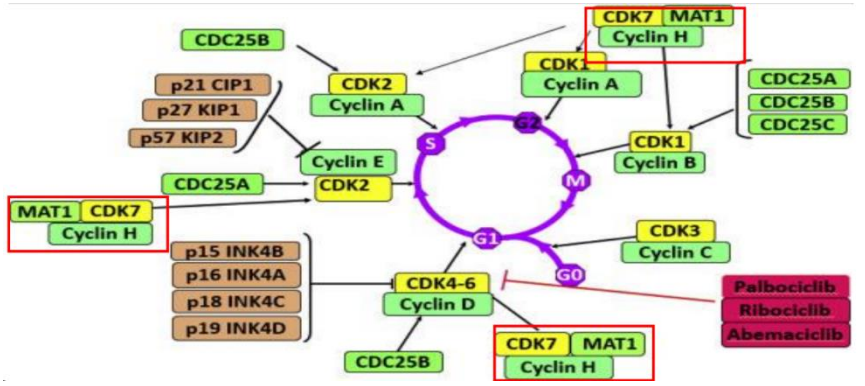
2. Q901: 바이오마커 기반 면역항암제 병용과 CDK4/6 내성 타겟 가능성

Q901 의 핵심 경쟁력은 1) 높은 CDK7 선택성과 2) CDK7 기전의 매력도(upstream regulator)

Q901 은 세포 주기 조절 인자 중 CDK7 을 저해하여 세포 주기에 대한 조절 작용을 잃어버린 암세포를 사멸시킨다. 각 세포 주기 마다 특정 cyclin 단백질이 CDK(cyclin dependent kinase)에 결합한 후 Rb-E2F 단백질에서 Rb 가 인산화되면 세포 복제나 분열관련 유전자가 발현돼 세포주기가 진행된다. 암세포에서는 해당 경로 중 일부에 문제가 생겨 증식이 가속화되는 경우가 발생한다. Q901 은 이를 억제할 수 있다. 대표적인 CDK 타겟 약물로는 최초의 CDK4/6 저해제인 HR+ HER2- 전이성 유방암 치료제 입랜스(palbociclib)가 있다.

Q901 의 핵심 경쟁력은 1) CDK7 에 대한 선택성이 매우 높다는 점과 2) CDK7 이 CDK4/6, CDK1, CDK2 등의 업스트림 기전으로 작용하기 때문에 이들을 모두 조절할 수 있는 타겟이라는 점이다. 대표적인 CDK4/6 저해제인 입랜스도 bypass 를 통한 내성이 다수 발생한다. Q901 은 이런 내성이 생긴 환자에 대해서도 효능을 기대할 수 있다는 장점이 있다. 전임상 데이터를 보면 이런 경쟁력을 확인할 수 있다. Kinase profile 을 분석했을때 다른 CDK 를 건드리지 않으면서 CDK7 에 대한 선택성이 굉장히 우수했다. 또한 HR+/HER2- 유방암 1 차 치료요법인 Palbociclib+Fulvestrant 내성 모델에서 효능을 나타냈다.

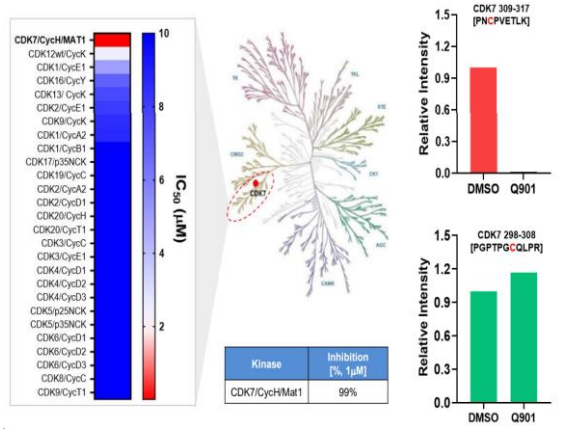
세포주기에 작용하는 cyclin 및 CDK 모식도



자료: Science, SK 증권

Analyst 이동건 dglee@sks.co.kr / 3773-9909

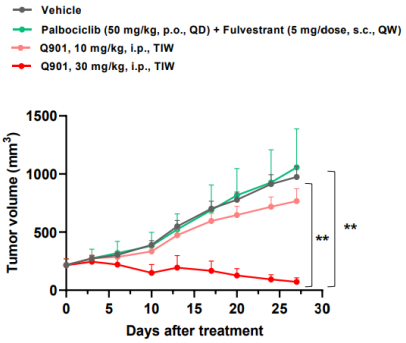
Q901 kinase profile



자료: AACR, 큐리언트, SK 증권

Q901 표준치료 내성 모델 전임상 데이터

PDX	Tumor grade	ER/PR/HER2 status	Gene Amplified	Gene Deleted	Palbociclib Response
CTG-3302	Grade III	ER+, PR-, HER2-	CCNE1 CCND1/2	RB	No response



자료: AACR, 큐리언트, SK 증권

Q901 은 키트루다의 바이오마커를 인위적으로 유발시킬 수 있는 기전 보유

Q901 역시 키트루다와의 병용요법 개발 파트너십을 체결했다. Q901 이 키트루다 병용 파트너로 선정된 이유는 Q702 과 다르게 조금 특별하다. 키트루다는 다른 면역항암제와는 다르게 기전과 직접적으로 관련된 PD-L1 외에 추가적인 바이오마커를 가지고 있다. 키트루다는 MSI-H(높은 현미부수체 불안정성) 혹은 dMMR(불일치 복구결함) 바이오마커 기반 환자 대상으로도 승인을 획득했다.

해당 바이오마커들은 암세포의 DNA 손상에 대한 복구 기능이 문제가 있는 환자들을 선별할 수 있다. DNA 손상 복구 기전은 크게 단일가닥절단(SSB) 복구와 이중가닥절단(DSB) 복구가 있는데, Q901 이 작용하면 세포주기가 억제되면서 동시에 DSB 복구가 이뤄지지 않는다. 이 말은 Q901 을 통해 DNA 손상에 대한 복구 기능 문제를 유발시켜 인위적으로 MSI-H 혹은 dMMR 을 발현하게 할 수 있다는 것이다. 즉 바이오마커에 근거해 키트루다의 반응률을 끌어올릴 수 있다.

이런 관점에서 합성치사 기전의 대표적인 약물인 PARP 저해제 약물과의 병용 가능성도 기대 가능하다. PARP 저해제는 SSB 복구를 저해하기 때문에 큰 틀에서 보면 DNA 손상 복구 기능에 문제를 일으켜 세포 사멸을 유도한다.

현재 단독 용량증대 임상 진행 중. 향후 병용 1/2 상 개시 예정

Q901 은 현재 미국에서 단독 및 병용 임상 1/2 상을 진행 중이다. 총 130 명을 대상으로 진행되는 이번 임상은 현재 진행 중인 Q901 단독투여에 대한 dose escalation 시험을 마친 후에 2023 년 말~2024 년 초부터 키트루다 병용요법에 대한 임상이 개시될 것으로 예상된다.

Q901 임상 1/2 상 개요

	Q901 monotherapy
Clinical stage	Phase 1/2
NCT identifier	NCT05394103
Approval date	2022.02.08
Study site	US
Indication	Advanced solid tumors
Enrollment	70
Cycle	1 Cycle: 4 weeks
Summary	Multicenter, open-label, dose-escalantion, safety, pharmacodynamic, and pharmacokinetic study of Q901 administered via intravenous infusion in adult patiens with selected advanced solid tumors with a cohort expansion at the recommended phase 2 dose
Dosing of first patient	Nov 2022

자료: 큐리언트, clinicaltrials.gov, SK 증권

Q901 임상 개발 계획

Program		Sites	2023				2024			
			1Q	2Q	3Q	4Q	1Q	2Q	3Q	4Q
Monotherapy	Breast, lung, prostate, overian, pancreatic, endometrial cancer	US	Phase 1/2							Phase 2/3
Combination with Keytruda	Selected advanced solid tumors	US						Phase 1/2		

자료: 큐리언트, SK 증권

Analyst **이동건** dglee@sks.co.kr / 3773-9909

재무상태표

12월 결산(십억원)	2021	2022	2023E	2024E	2025E
유동자산	54	34	16	32	6
현금및현금성자산	18	21	12	23	4
매출채권 및 기타채권	2	1	1	1	1
재고자산	0	0	0	0	0
비유동자산	4	4	4	4	4
장기금융자산	0	1	1	1	1
유형자산	0	0	0	0	0
무형자산	3	3	3	3	3
자산총계	58	38	20	36	11
유동부채	3	3	3	3	4
단기금융부채	0	1	1	1	1
매입채무 및 기타채무	2	2	2	2	3
단기충당부채	0	0	0	0	0
비유동부채	1	0	0	0	0
장기금융부채	0	0	0	0	0
장기매입채무 및 기타채무	0	0	0	0	0
장기충당부채	0	0	0	0	0
부채총계	4	3	4	4	4
지배주주지분	52	31	14	31	7
자본금	6	6	6	7	7
자본잉여금	177	177	177	217	217
기타자본구성요소	6	10	15	15	15
자기주식	0	0	0	0	0
이익잉여금	-137	-162	-185	-208	-232
비지배주주지분	2	4	3	1	-0
자본총계	54	35	16	32	7
부채와자본총계	58	38	20	36	11

포괄손익계산서

12월 결산(십억원)	2021	2022	2023E	2024E	2025E
매출액	5	8	9	10	11
매출원가	4	7	7	7	8
매출총이익	1	2	2	2	3
매출총이익률(%)	18.1	21.0	22.5	23.3	25.3
판매비와 관리비	25	29	27	27	29
영업이익	-24	-27	-24	-25	-26
영업이익률(%)	-496.2	-324.4	-260.6	-259.0	-236.6
비영업손익	0	0	0	0	0
순금융손익	0	1	0	0	0
외환관련손익	-0	-0	0	0	0
관계기업등 투자손익	0	0	0	0	0
세전계속사업이익	-24	-27	-24	-25	-26
세전계속사업이익률(%)	-488.8	-320.2	-258.7	-257.3	-235.5
계속사업법인세	-0	-0	-0	-0	-0
계속사업이익	-24	-27	-24	-24	-26
중단사업이익	0	0	0	0	0
***법인세효과**	0	0	0	0	0
당기순이익	-24	-27	-24	-24	-26
순이익률(%)	-484.7	-320.2	-258.0	-256.3	-235.0
지배주주	-23	-25	-23	-23	-24
지배주주귀속 순이익률(%)	-467.6	-300.6	-242.2	-240.6	-220.6
비지배주주	-1	-2	-1	-2	-2
총포괄이익	-24	-27	-24	-24	-26
지배주주	-23	-25	-23	-23	-24
비지배주주	-1	-2	-1	-2	-2
EBITDA	-24	-27	-24	-24	-26

현금흐름표

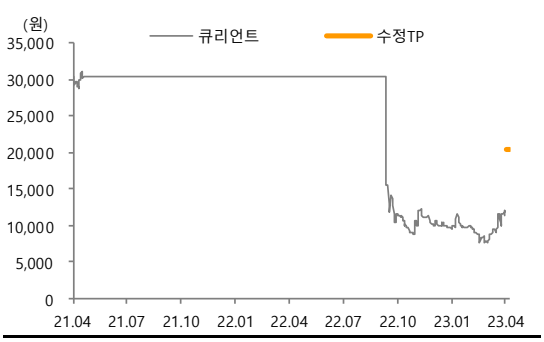
12월 결산(십억원)	2021	2022	2023E	2024E	2025E
영업활동현금흐름	-0	2	-24	-24	-25
당기순이익(손실)	-24	-27	-24	-24	-26
비현금성항목등	1	2	0	0	0
유형자산감가상각비	1	0	0	0	0
무형자산상각비	0	0	0	0	0
기타	1	1	-0	-0	-0
운전자본감소(증가)	-2	1	0	0	0
매출채권및기타채권의감소(증가)	-1	0	-0	-0	-0
재고자산의감소(증가)	-0	0	-0	-0	-0
매입채무및기타채무의증가(감소)	0	0	0	0	0
기타	-0	0	0	0	0
법인세납부	-0	-0	0	0	0
투자활동현금흐름	20	22	10	-5	7
금융자산의감소(증가)	0	0	10	-5	7
유형자산의감소(증가)	-0	-0	0	0	0
무형자산의감소(증가)	-0	-1	-0	-0	-0
기타	20	22	0	0	0
재무활동현금흐름	-1	-1	5	41	0
단기금융부채의증가(감소)	-1	0	0	0	0
장기금융부채의증가(감소)	-0	-0	0	0	0
자본의증가(감소)	14	0	0	41	0
배당금지급	0	0	0	0	0
기타	-14	-0	5	-0	-0
현금의 증가(감소)	14	2	-9	11	-19
기초현금	5	18	21	12	23
기말현금	18	21	12	23	4
FCF	-1	2	-24	-24	-25

주요투자지표

12월 결산(십억원)	2021	2022	2023E	2024E	2025E
성장성 (%)					
매출액	-	73.3	11.0	1.6	15.0
영업이익	적지	적지	적지	적지	적지
세전계속사업이익	적지	적지	적지	적지	적지
EBITDA	적지	적지	적지	적지	적지
EPS	적지	적지	적지	적지	적지
수익성 (%)					
ROA	-40.0	-56.5	-83.3	-87.7	-110.6
ROE	-42.2	-61.7	-102.3	-102.9	-127.4
EBITDA마진	-482.6	-316.0	-256.6	-255.8	-234.0
안정성 (%)					
유동비율	1,950.1	1,159.5	476.7	954.0	165.9
부채비율	6.6	9.3	22.2	11.3	64.0
순차입금/자기자본	-94.4	-91.9	-82.9	-91.4	-59.4
EBITDA/이자비용(배)	-644.4	-1,030.7	-778.1	-756.7	-751.2
배당성향	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
주당지표 (원)					
EPS(계속사업)	-1,894	-1,952	-1,745	-1,528	-1,611
BPS	4,276	2,373	1,038	2,071	459
CFPS	-1,839	-1,897	-1,717	-1,508	-1,592
주당 현금배당금	0	0	0	0	0
Valuation지표 (배)					
PER	-16.0	-5.4	-6.5	-7.5	-7.1
PBR	7.1	4.5	11.0	5.5	24.9
PCR	-16.5	-5.6	-6.7	-7.6	-7.2
EV/EBITDA	-9.4	-3.5	-5.4	-4.6	-5.3
배당수익률	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0

자료 : 큐리언트, SK증권 추정

일시	투자의견	목표주가	목표가격 대상시점	괴리율	
				평균주가대비	최고(최저) 주가대비
2023.04.27	매수	20,300원	6개월		



Compliance Notice

작성자(이동건)는 본 조사분석자료에 게재된 내용들이 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 신의성실하게 작성되었음을 확인합니다.

본 보고서에 언급된 종목의 경우 당사 조사분석담당자는 본인의 담당종목을 보유하고 있지 않습니다.

본 보고서는 기관투자가 또는 제 3 자에게 사전 제공된 사실이 없습니다.

당사는 자료공표일 현재 해당기업과 관련하여 특별한 이해 관계가 없습니다.

종목별 투자의견은 다음과 같습니다.

투자판단 3 단계(6 개월기준) 15%이상 → 매수 / -15%~15% → 중립 / -15%미만 → 매도

SK 증권 유니버스 투자등급 비율 (2023 년 04 월 27 일 기준)

매수	91.89%	중립	8.11%	매도	0.00%