

IR Book | Aug. 2022

ST PHARM

Technology Driven Gene therapy CDMO
From Oligonucleotide to xRNA





ST PHARM

Dong-A Socio Group 의 CDMO 전문 계열회사로 1983년 설립, 뉴클레오사이드(Nucleoside) 계열 API 공급을 시작으로 약 30여 년 이상 Global Track Record를 쌓아왔습니다. 이를 기반으로 Oligonucleotide, mRNA CDMO 인프라를 구축하여 유전자치료제 시대를 함께 개척하고 있습니다.



> Introduction

- 동아쏘시오그룹 소개
- 에스티팜 연혁 / 시설 인증
- 에스티팜 사업 전략
- 자회사 소개

> Market

- xRNA 치료제 시장
- Oligonucleotide
- mRNA

> Business

- Overview
- CDMO
- CRO
- R&D

> Financial Highlight

- 매출 실적
- 기타 주요 재무 정보
- Appendix (주요 공시 요약)



PART 01

Introduction

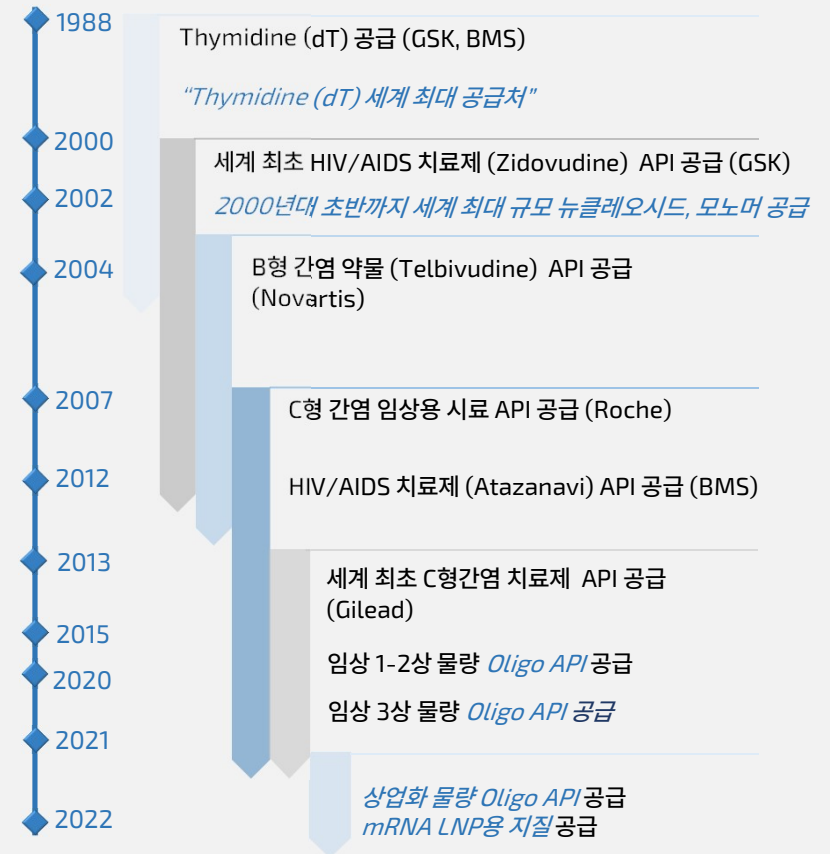
Introduction

HISTORY & SUPPLY RECORD

ST PHARM 연혁

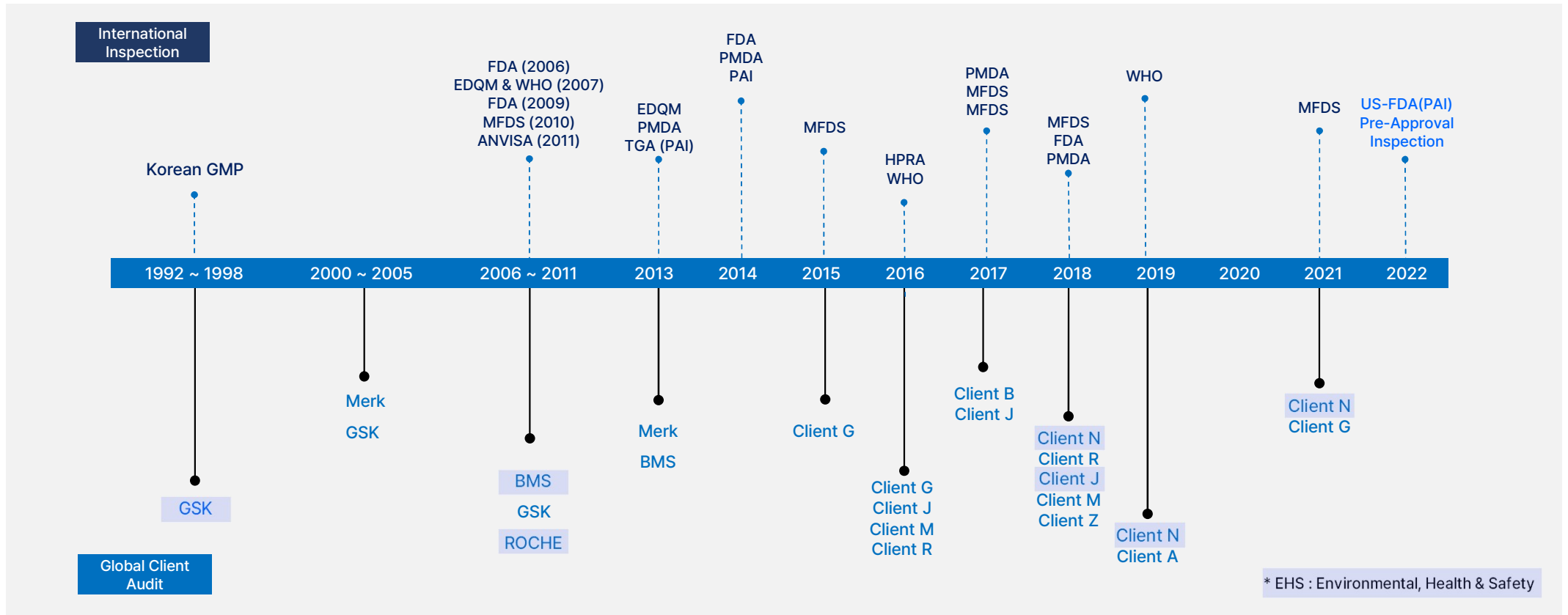
- 1983 삼천리 제약 설립
- 2010 동아쏘시오그룹 편입 (ST PHARM 사명 변경)
- 2011 B형 간염 치료제 세계 일류상품 선정 (지식경제부)
- 2015 반월 1공장 준공, 반월 2공장 인수
FDA(USA), PMDA (Japan) cGMP 인증
- 2016 미국 자회사 STAR (NJ, USA) 설립
KOSDAQ (KOSDAQ: 237690) 상장 (IPO), 혁신기업 대상 대통령상 수상
- 2018 글로벌 성장 우수 리더십상 수상 (Frost & Sullivan)
울리고 전용 신 공장 준공
- 2019 환경관리 우수 사업장 선정 (반월 공장)
유럽 비임상 CRO 업체 인수 (AnaPath Services & Research)
STP1002(항암제) 임상1상(USA) IND 승인
- 2020 Roche CDMO Award 2019 수상
STP0404 (AIDS치료제) 임상1상(EU) IMPD 승인
- 2021 미국 LEVATIO / VERNAGEN 설립 (mRNA & CAR-NKT 신약개발)
mRNA GMP (Mid-scale) 설비 구축 (연 350~1,000만 도즈)
울리고 제 2공장 증설 발표
노사문화우수기업 대통령상 수상
- 2022 mRNA (Covid19) 백신 임상 1상 진행
아태지역 최고 울리고 CDMO 선정, 올해의 기업상 우수 제조업체 (CDMO) 수상 (Frost & Sullivan)
울리고 1공장 증설 (총 6.4Mole) 완료
반월캠퍼스 NAI (No Action Indicated, 최고 등급) FDA cGMP 인증
STP0404 (AIDS치료제) 임상1상 (EU) 완료

Supply Record



Introduction

글로벌 인증 및 실사



Successfully Inspected by



Introduction

ST PHARM GLOBAL FAMILY

Seamless Development from Manufacturing to Non-clinical animal safety service

ANAPATH SERVICES
BASEL, SWITZERLAND
(HISTOPATHOLOGY SERVICE)

ANAPATH RESEARCH
BARCELONA, SPAIN
(PRE-CLINICAL RESEARCH)


ST PHARM
(HQ)
SOUTH KOREA

STP AMERICA RESEARCH
DELAWARE, USA

VERNAGEN
ATLANTA, USA
(BIOTECH, MRNA R&D)

LEVATIO
SAN DIEGO, USA
(BIOTECH, CAR-NKT R&D)


 **AnaPath Research**
Barcelona, Spain

 **AnaPath Services**
Basel, Switzerland

 **ST PHARM**
South Korea

 **LEVATIO**
San Diego, USA

 **VERNAGEN**
Atlanta, USA

 **STP America Research**
Delaware, USA



ST PHARM CDMO 확장 전략



1983. Nucleoside/tide

- Monomer (PNS / PA)
- Zidovudine (에이즈 치료제)
- Sofosbuvir (C형 간염 치료제)



2008. Oligonucleotide

- Antisense (ASO)
- siRNA / miRNA
- Aptamer
- Decoys
- Others



2018. Polynucleotide

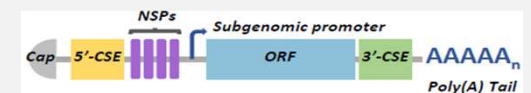
- mRNA



- circRNA (원형)



- samRNA (자가 증폭)





PART 02

Market Overview



Overview

RNA 기반 치료제는 1세대 저분자 화합물, 2세대 항체 치료제의 한계를 뛰어넘는 3세대 치료제로, 질병의 원인이 되는 단백질에 직접 작용하지 않고 해당 단백질이 생성되는 것을 차단함으로써 원천적인 치료가 가능함

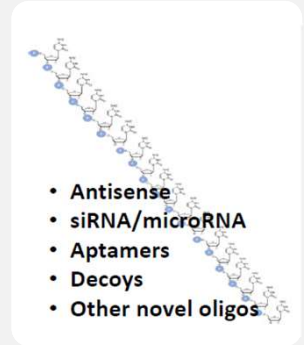
RNA 기반 치료제

유전자치료제 하위 개념으로 유전 정보 전달에 관여하는 RNA를 이용한 약물

- 작용 기전: 질병 유발 단백질을 사전에 차단 또는 발현 조절
- 유형: **Anti-sense (ASO), siRNA, miRNA** 등
- 대표 약물: 1. Spinraza (Ionis / Biogen) 척수성근위축증 (연매출 약 2조)
2. Leqvio (Alynlam / Novartis) 유전성 고지혈증

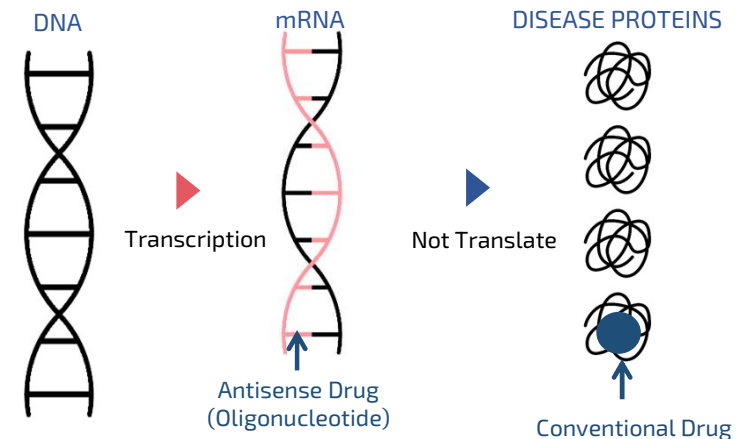
RNA 기반 치료제 특성

- 강점:** 질병 (표적 단백질)에 대한 선택성이 높음
 신속한 개발 (간단한 약물 디자인) ▶ 전임상 과정 2년 이내
 내성 거의 없음 (단백질 상호작용 없음) ▶ 기존 치료제 단점 극복
 피하주사, 약물 지속성 우수 ▶ Leqvio 2회/연, Repatha 1-2회/월
 항체 대비 경제성 ▶ Leqvio \$4,000 이하, Repatha \$5,850
- 약점:** 조직 (표적 장기)에 대한 선택성이 낮음, 간, 뇌 이외 장기로 잘 못 감
 ▶ LNP 등 다양한 전달기술 개발 (폐)
 경구, 점안 등 투약방법 개선으로 표적장기 확대 (위장, 안과)
 Avidity社 AOC (Antibody oligonucleotide conjugates)
 대량생산 난이도 높음, 전문가 부족 ⇒ 소수의 CDMO 과점, Shortage



Central Dogma (중심 원리)

RNA 기반 치료제 (예. ASO) 작용 원리



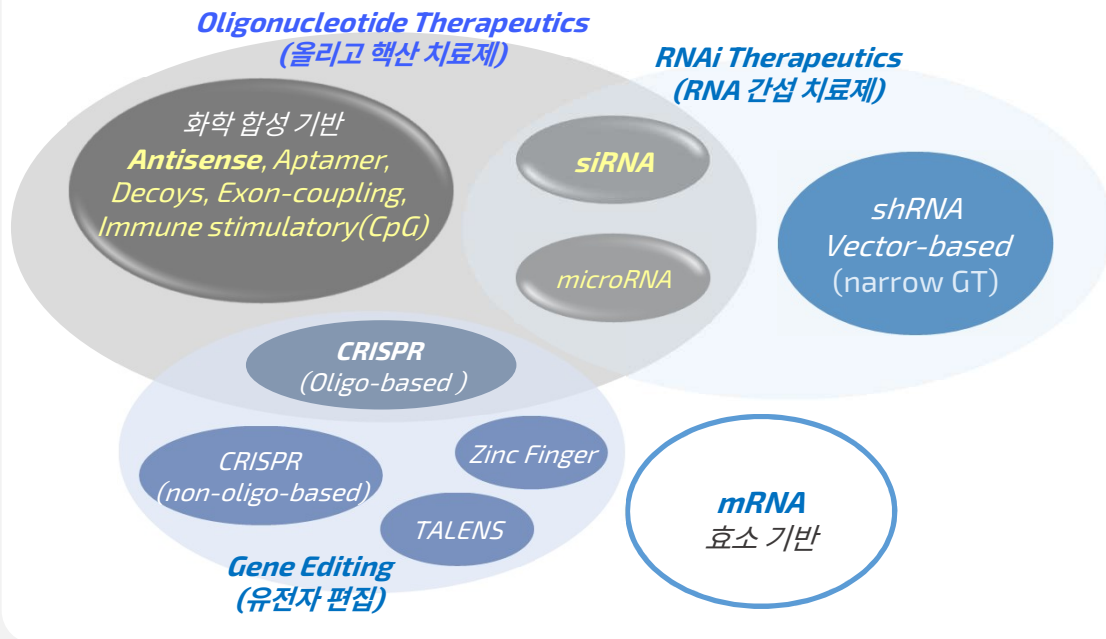
Market



RNA-based Therapeutics 개념

■ 유전자 치료제 (Gene Therapy (GT)) 범위

핵산 치료제 (Nucleic Acid-based Therapeutics)

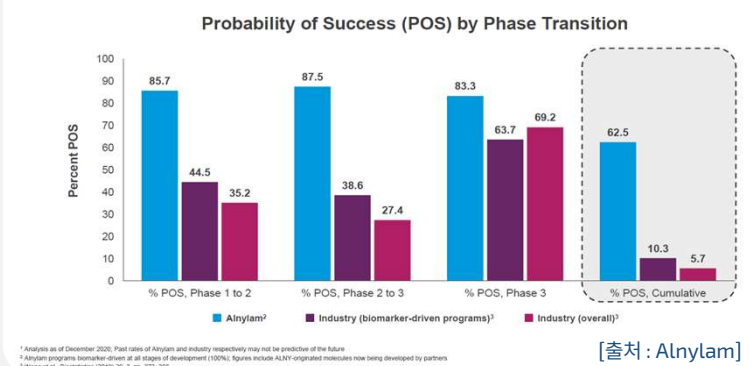


Gene Therapy (GT): 유전자 치료제
 Nucleic Acid-based Therapeutics (NAT): 핵산 치료제
 Oligonucleotide Therapeutics: 올리고 핵산 치료제
 mRNA Therapeutics: messenger RNA 치료제

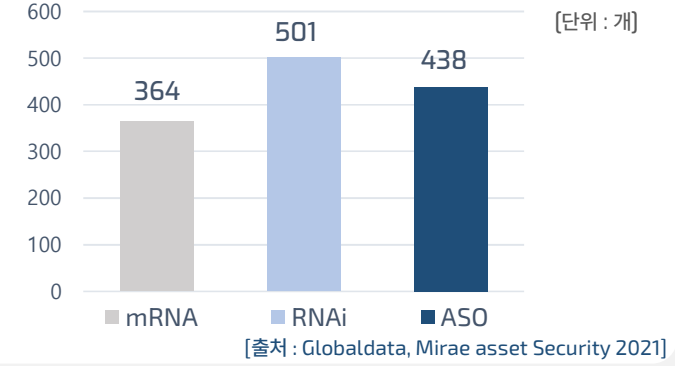
RNA interference (RNAi): 유전자 간섭
 Antisense oligonucleotide (ASO): 안티센스 올리고
 Aptamer: (올리고)아파트머
 Gene editing: 유전자 가위

■ Alnylam 자체 siRNA 임상 성공율: 62.5%

High-Yield Productivity of Alnylam RNAi Therapeutics Platform Comparison of Historical Industry Metrics to Alnylam Portfolio¹



임상 중인 RNA 치료제 파이프라인 수



Market



RNA-based Therapeutics 시장

RNA 기반 치료제 시장의 개화기

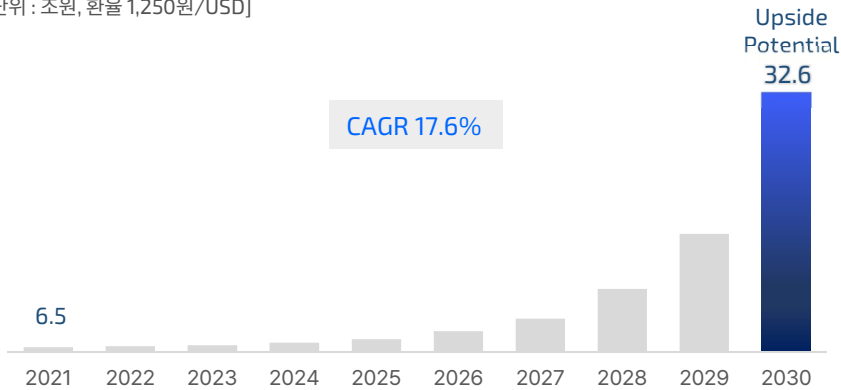
'18년 간세포 투과 기술 (Gal-Nac) 개발로 만성질환으로 치료제 영역 확장, 글로벌제약사들의 RNA 기반 치료제 파이프라인 개발 급증
Leqvio (Inclisiran) 을 필두로 '24년부터 만성질환 RNA 신약 상업화 승인 예상 ▶ 원료 (Oligonucleotide) 수요 급증 전망

시장 현황

RNA 기반 치료제 Global 시장 규모 : '21년, 6.5조원 ▶ '30년, 약 >32.6조원 전망
글로벌제약사 동향: Ionis, Alnylam 등에서 기술도입 ▶ 자체 개발 확대

Global RNA 백신/치료제 시장 전망 (mRNA 제외)

[단위 : 조원, 환율 1,250원/USD]



[출처: Research & Market July, 2021]

올리고뉴클레오타이드 CMO

올리고뉴클레오타이드 수요 예측 ▶ 상업화 시 연간 약 12 Ton 필요

만성 질환 관련 올리고뉴클레오타이드 개발 현황 및 필요한 연간 생산량 산출

기업	치료제	질환	타겟	개발 단계	한번 투약 (mg)	투약 간격 (년)	1인 연간 투약량 (mg)	타겟 환자 수 (1년)*	연간 필요 생산량 (kg)	비고
Ionis	Pelacarsen	심혈관 질환	Apo(a)	P3	80	12번	960	1,000,000	960	Novartis
	Vupanorsen	고지혈증 치료제	ANGPTL3	P2	80	12번	960	1,380,000	1,325	임상 중단
	Olezarsen	심혈관 질환	ApoCIII	P3	50	12번	600	1,000,300	600	
	IONIS-AGT-Lrx	저항성 고혈압	AGT	P2	80	8번	640	540,675	346	
	ION449 (AZD8233)	이상지질혈증	PCSK9	P2	120	2번	360	1,380,000	497	AstraZeneca
	ION224	비알콜성지방간염	DGAT2	P2	80	12번	960	640,000	614	
	IONIS-MAPTfx	알츠하이머, 치매	TAU	P2	100	4번	400	1,500,000	600	Biogen
Bepirovirsen	B형 간염 치료제	HBV	P2	300	6번	1,800	1,000,000	1,800	GSK	
Leqvio (Inclisiran)	이상지질혈증	PCSK9	판매 중	300	2번	600	1,380,000	828	Novartis	
Alnylam	Zilebesiran (ALN-AGT)	고혈압 치료제	AGT	P2	600	2번	1,200	1,000,000	1,200	
	ALN-HBV02 (MR-2218)	B형 간염 치료제	HBV	P2	200	2번	400	500,000	200	
Dicerna	DCR-HBV5 (RG6346)	B형 간염 치료제	HBV	P2	360	4번	1,440	500,000	720	Roche
Arrowhead	ARO-ANG3	이상지질혈증	ANGPTL3	P2	200	2번	400	1,380,000	552	
	ARO-HSD	비알콜성지방간염	HSD17b13	P2	200	2번	400	1,000,000	400	GSK
	JNU-3989	B형 간염 바이러스	HBV	P2	400	3번	1,200	500,000	600	Janssen
AMG890 (olpasiran)	심혈관 질환	LP(a)	P2	200	4번	800	1,000,000	800	Amgen	

참조: 임상 2상 단계의 물질은 투약 용량 및 투약 간격 변동 가능; 미국, 유럽, 일본, 중국 등 선진국 내 타겟 환자 수의 10-20%로 가정
자료: 각 사 자료, 삼성증권 추정

[출처: 삼성증권]

Market



RNA-based Therapeutics (mRNA 시장)

Overview

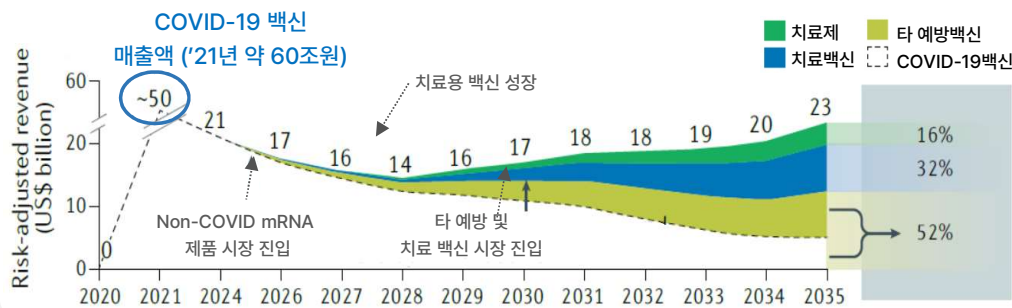
COVID-19 mRNA 백신의 짧은 개발 기간과 신속한 허가로
범용적인 mRNA 의약품 개발 증가 및 대량생산이 가능해짐 ('21년 매출 60조원)

※ BCC Research: 2026년 mRNA 시장 규모 126조원 전망

mRNA 기반 치료제 / 약물 특성

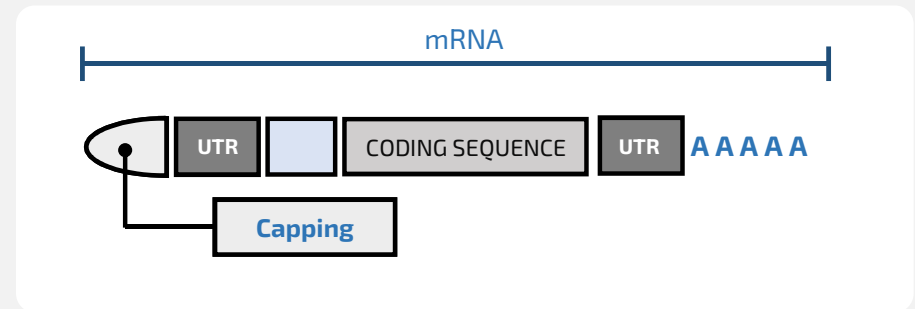
- 안전성 / 유효성 : 비 감염성, 높은 표적 단백질 선택성
 - ▶ 핵막 투과 불필요 / 유전자 변형 가능성 낮음
- 생산성 : 신속성 ▶ 빠른 Scale-up 가능
- 치료제 확장 가능성 (Platform 형태) ▶ 항체 의약품 및 유전자 치료제 대체 가능

mRNA 백신 및 치료제의 글로벌 매출 추정 (위험 조정)

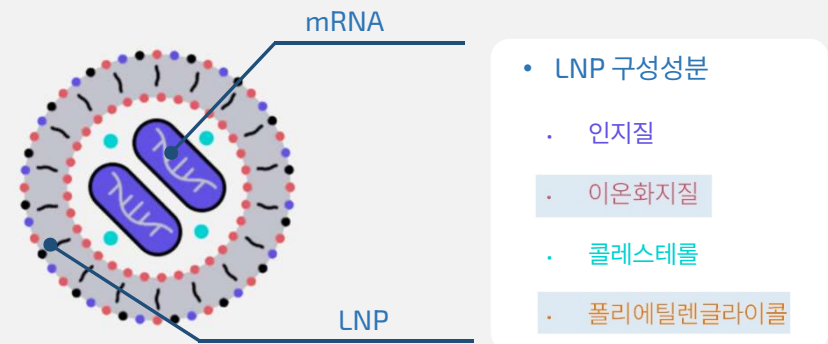


mRNA Platform (핵심기술)

1) 5' Cap ping (캡핑 합성 기술)



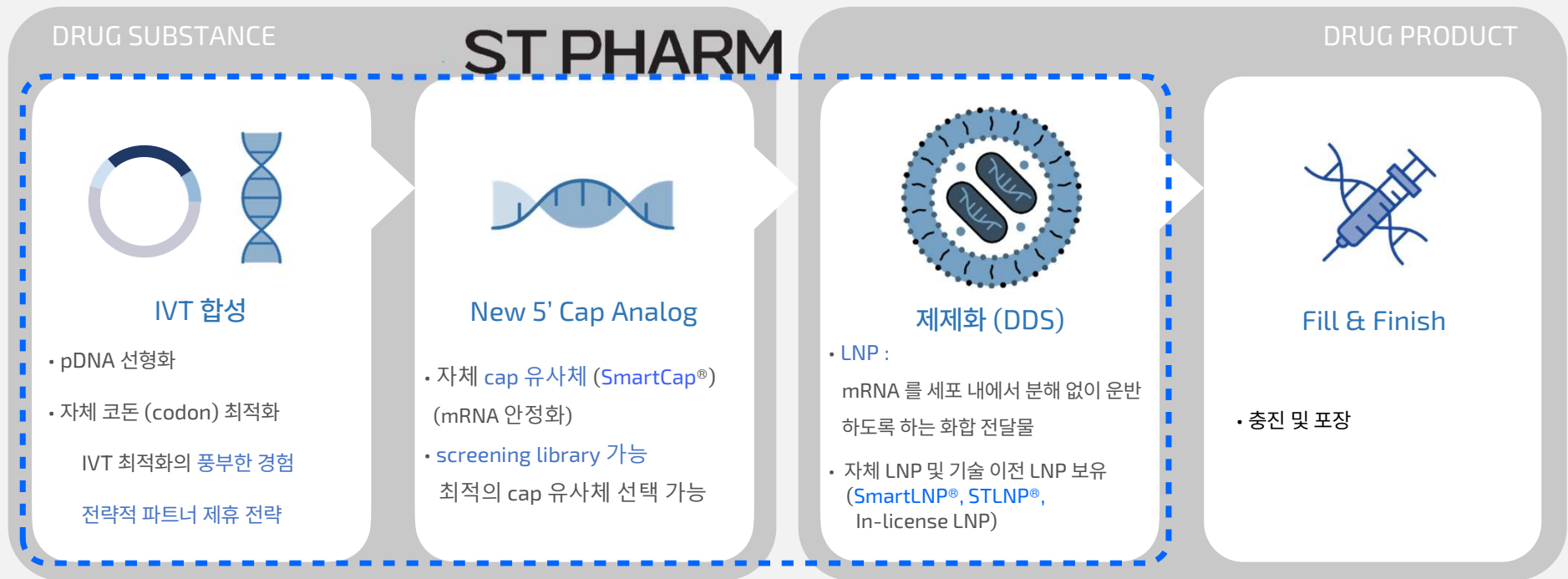
2) LNP (Lipid Nano Particle) – mRNA 세포 전달체



- LNP 구성성분
 - 인지질
 - 이온화지질
 - 콜레스테롤
 - 폴리에틸렌글라이콜



▪ mRNA 백신/치료제 제조 공정



mRNA 백신 및 치료제 제조 과정은 1) Plasmid DNA(pDNA)에서 전사된 mRNA를 합성, 2) 정제, 3) 충전, 포장하는 단계로 구성
STPHARM은 핵심 기술인 Capping과 LNP, 주요 원료인 PEG-lipid, Cationic (LNP의 구성성분) 생산 역량 보유



PART 03

Business Overview



■ Oligonucleotide CDMO의 핵심 경쟁력

- Global 3 위 내 Oligo CDMO 역량 (생산능력 6.4mol, Global No. 1)
- Global 유일의 Monomer / Oligo 동시 생산 시스템
 - ▶ 중간마진 없는 가격 경쟁력, 품질의 균일성, 안정적인 공급
- Global 최초 Pharma 컨셉의 Oligo 공장
- Strong Track Record (Since 1983)

■ 지속적인 증설

- 1차 : 반월 공장 3,4층 의 60% 규모 ('22년 4월 완공)
- 2차 : 반월 공장 3,4층 의 40% 규모 ('22년 7월 완공)
 - * 글로벌 제약사의 무상지원, 공용 설비로 운영
- 3차 (22년 설계) : 반월 캠퍼스 주차장 부지 (2단계 증설 예정)

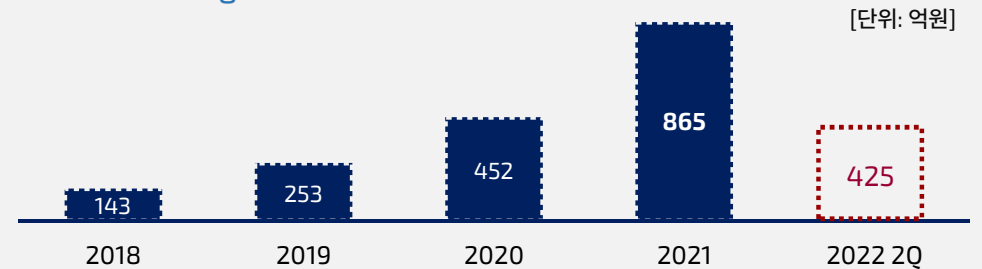
■ 글로벌 인증 수상

- 국내 최초 2018 Global API 제조 성장 우수 리더십 상 수상 (Frost & Sullivan)
- Roche CDMO Award 2019 수상
(Oligo 신약 분야 : Global 최초 / Small molecule 신약 분야 : 아시아 최초)
- 2021년 아태지역 최고 Oligo CDMO 선정, 올해의 기업상 수상 (Frost & Sullivan)
- 반월캠퍼스 NAI(No Action Indicated, 최고 등급) FDA cGMP 인증

■ ST PHARM Oligo Pipeline (전체 프로젝트 >20개)

고객사	적응증	Stage			
		Phase1	Phase2	Phase3	Commercial
글로벌제약사 A	고지혈증	[Progress bar to Commercial]			
글로벌제약사 B	척수성근위축증	[Progress bar to Commercial]			
글로벌제약사 A	동맥경화증	[Progress bar to Phase3]			
글로벌바이오텍 C	MDS / MF	[Progress bar to Phase3]			
글로벌바이오텍 D	심혈관 질환	[Progress bar to Phase3]			
글로벌제약사 E	B형 간염	[Progress bar to Phase2]			
글로벌제약사 F	B형 간염	[Progress bar to Phase2]			
글로벌제약사 G	혈전증	[Progress bar to Phase2]			
글로벌바이오텍 D	유전성혈관부종	[Progress bar to Phase2]			
글로벌제약사 F	NASH	[Progress bar to Phase2]			
글로벌제약사 H	B형 간염	[Progress bar to Phase2]			

■ ST PHARM Oligo CDMO 매출 추이



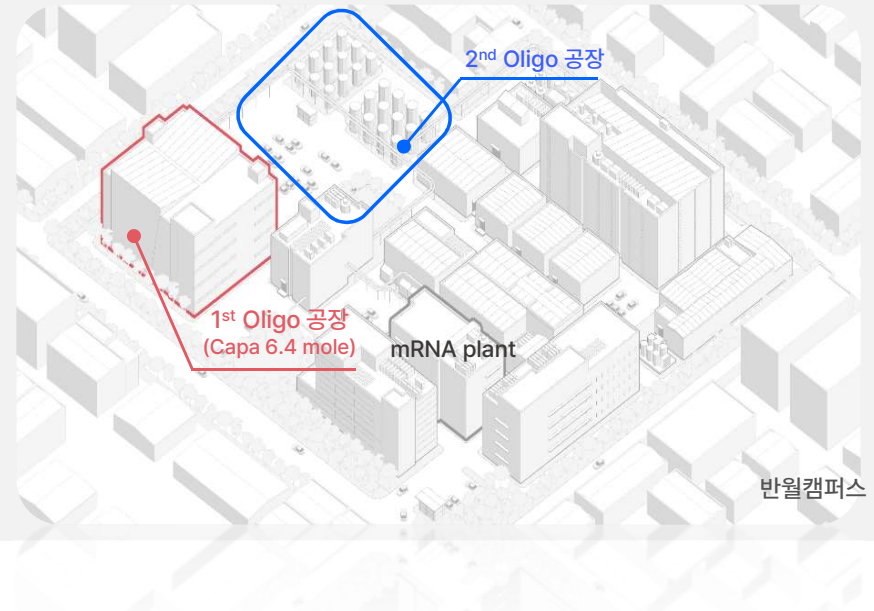
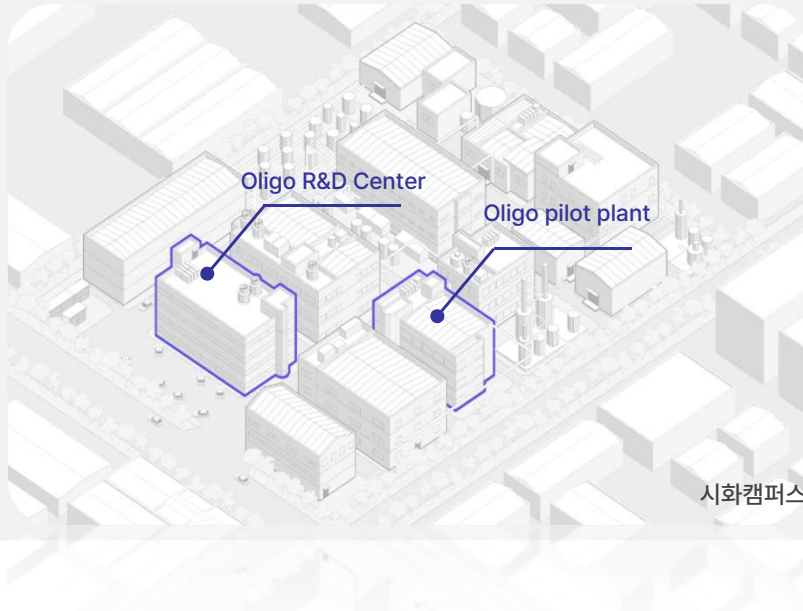


Capacity (Oligonucleotide)

급증하는 Oligonucleotide 수요 대응을 위해 세 차례 공장 증설 단행 (1·2차(Global제약사 무상 설비 지원) 증설 완료, 21년 : 3차 (2공장 증설 계획 발표))

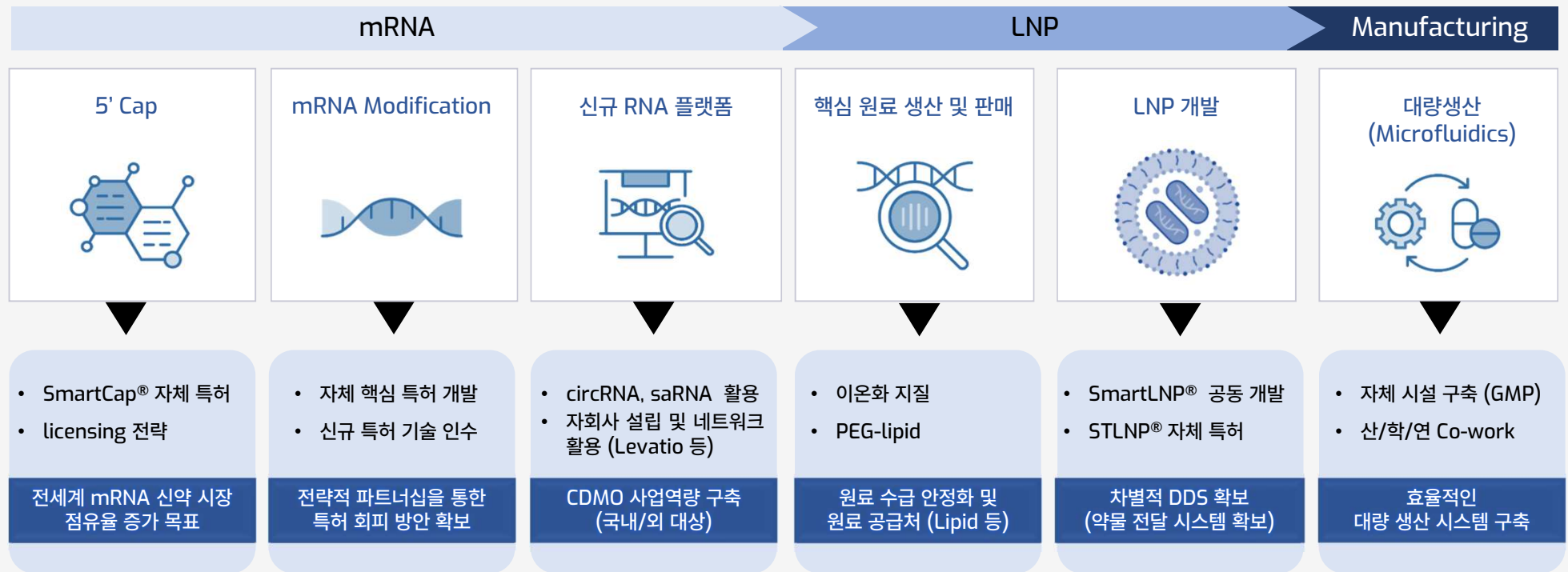
Oligo 생산	현재	22년 2Q	24년 3Q	26년 1Q
	제 1동	제1동 1, 2차 증설 (Global 제약사 공용 포함)	제 2동 1단계	제 2동 2단계
총 CAPA 설비 Line (대)	2.0 mole (약 330kg~1t)	6.4 mole (약 1t~3.2t)	10.2 mole (약 1.7t~5.1t)	14.0 mole (약 2.3t~7t)
	1	4	7	10
	1배	3.2 배	5.1 배	7.0 배

단위 : 1mole / 167kg ~ 500kg





▪ mRNA Business 전략



국내/외 산/학/연구 기관을 통한 기술 내재화 (mRNA - LNP (약물 전달체)) 및 원료 생산 능력을 기반으로 mRNA CDMO 역량 구축

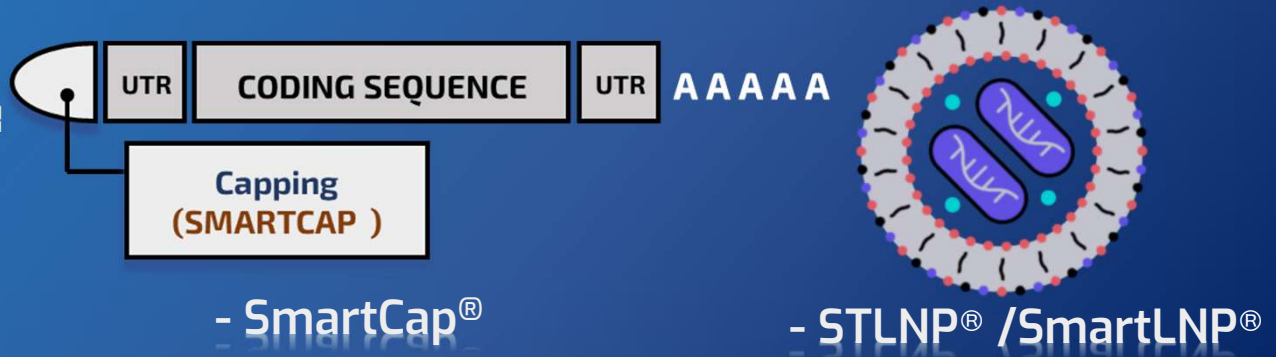


Core Technology

ST PHARM은 mRNA 주요 합성기술을 모두 보유한 유일한 기업

1) 5'capping 2) LNP Platform Technology

ST PHARM 고유의 Capping 기술 SmartCap® 특허
ST PHARM 고유의 LNP, STLNP®, SmartLNP® 특허



> SmartCap®

- mRNA 안정화 합성 기술
- '20년 10월, 국내 특허 등록 / 국제 특허 진행 중
- 다양한 Cap analogue 보유 (30종 이상)
- 경쟁사 대비 저렴한 가격

> CAP Library Screening System

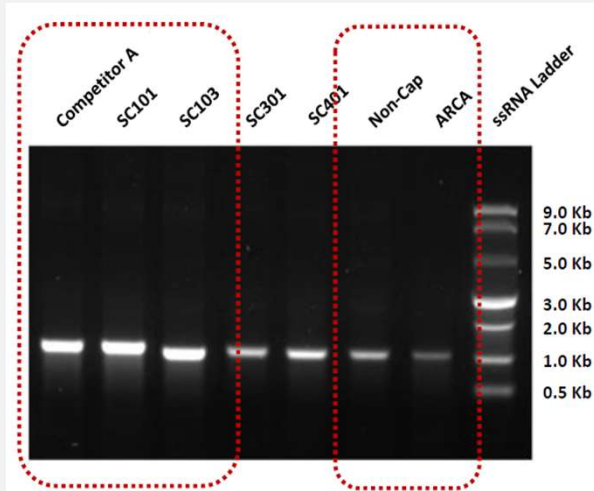
- 고객 맞춤형 analogue 보유 → 다양한 고객사 확보 용이
- 높은 발현 효율 → 타겟 유전자 조절 용이

> LNP 구축 전략

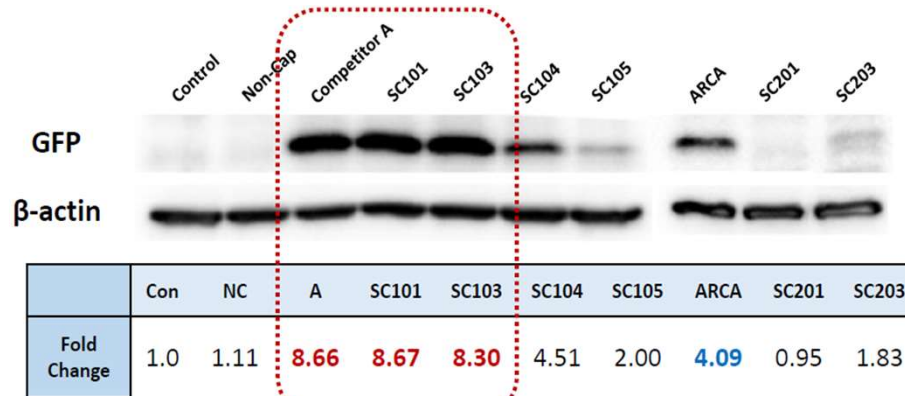
- 1. In-Licensing LNP
 - Global 시장에서 입증된 기술 (GENEVANT)
- ST Pharm LNP (STLNP®)
 - ST PHARM 자체 개발 LNP (국내 특허 출원)
 - mRNA CDMO 사업을 위한 Platform
- Next generation LNP (SmartLNP®)
 - 이화여대 이혁진 교수 연구팀과의 공동 연구로 후보물질 2종 도출
 - 면역반응 향상과 안정성 개선 목표 (국내 특허 출원)



SmartCap®

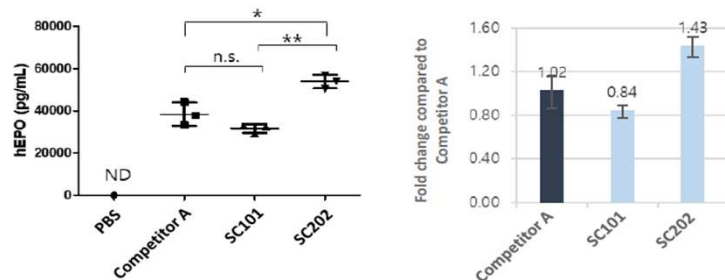


■ GFP (녹색 형광단백질) 베타 액틴 정량 분석

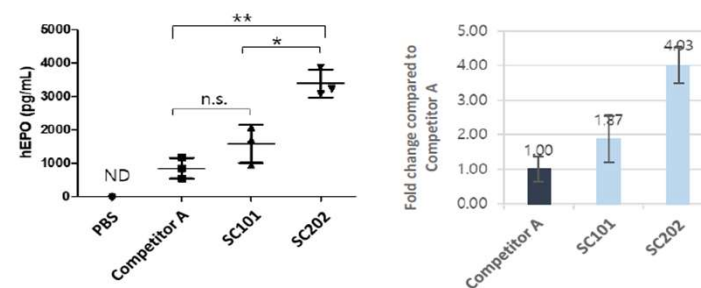


* Fold Change: 유전자 발현량 비교 분석

■ HEK293 (레트로바이러스) 세포주에서 hEPO 표출



■ Huh7 (간암) 세포주에서 hEPO 표출



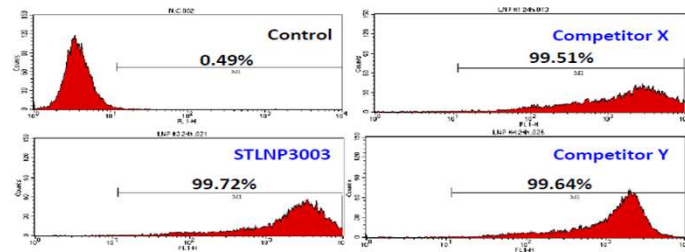
[자사 시료로 자사 및 녹십자 등에서 분석한 데이터]



STLNP®

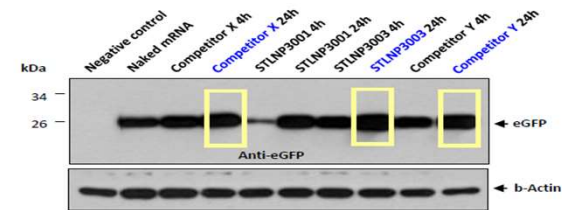
Sample	Competitor X	Competitor Y	STLNP3003
Z-Average (nm)	81.16	94.95	83.47
PDI	0.096	0.191	0.076
Intensity(%)	100	98.7	100
Encapsulation efficacy (%)	94.8	95.5	95.3

▪ eGFP mRNA LNP 형질주입 Flow cytometry analysis (유세포분석)



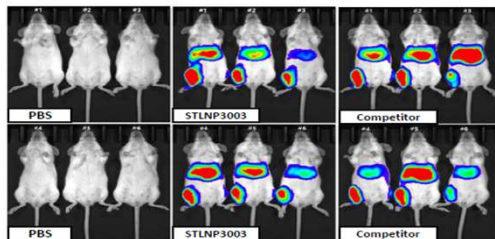
Control	Competitor X		Competitor Y		STLNP3003	
	4h	24h	4h	24h	4h	24h
0.49	99.71	99.51	99.09	99.64	99.72	99.72

▪ 293 T 세포주에 대한 eGFP mRNA LNP Western blot analysis

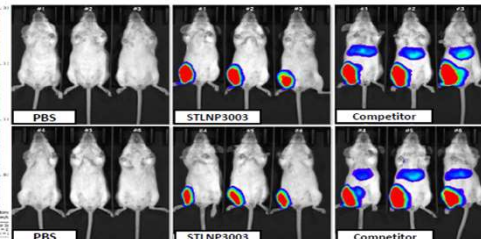


Sample	Competitor X		Competitor Y		STLNP3003	
	4h	24h	4h	24h	4h	24h
Relative Expression Level	57.88	100	71.94	133.46	59.89	111.11

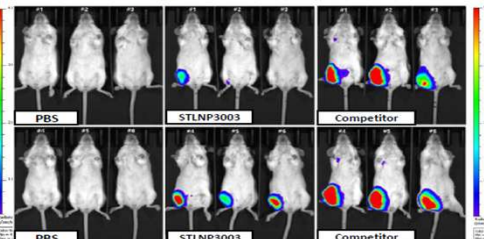
▪ After 0.5 hr



▪ After 6 hr



▪ After 72 hr



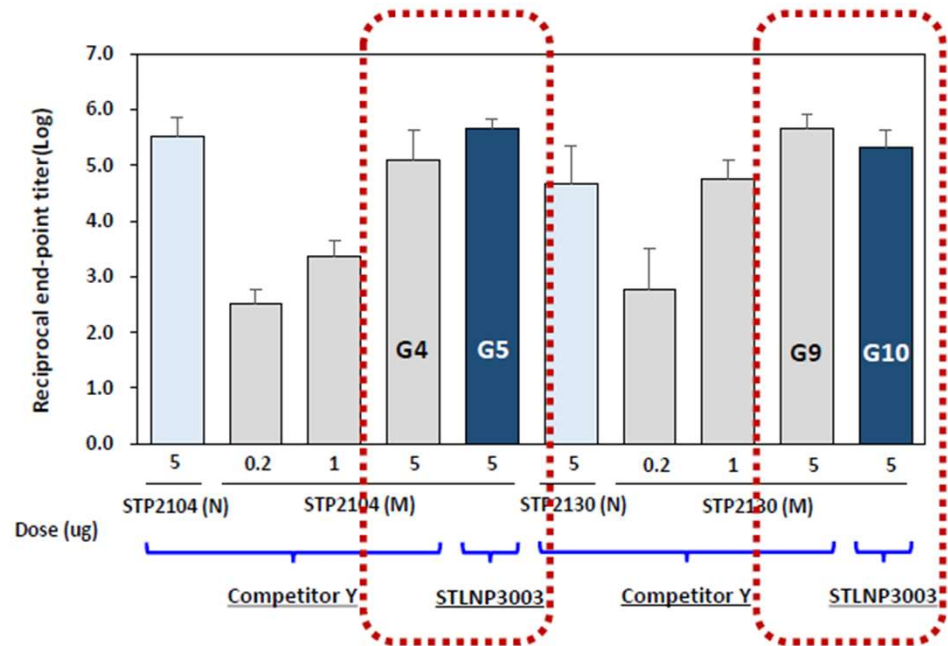
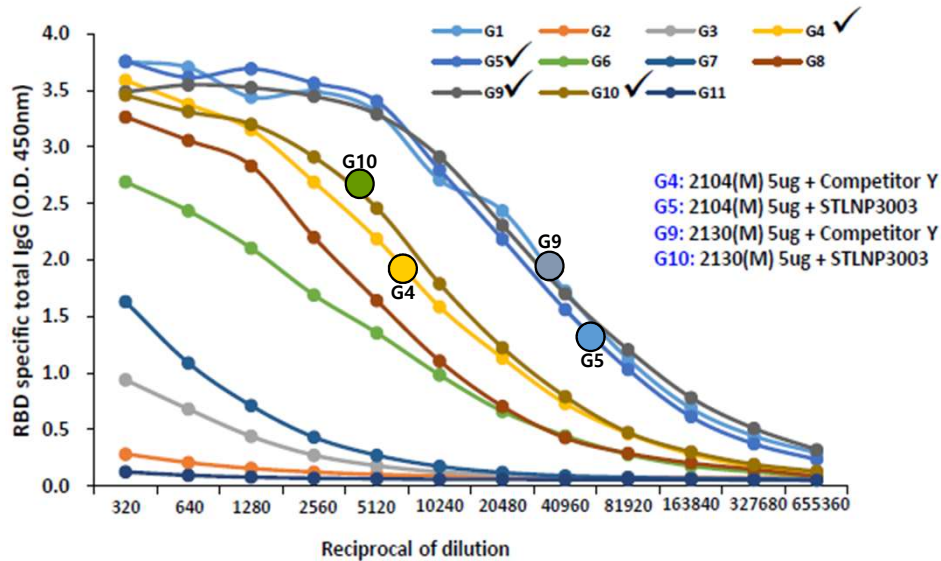
[자사 시료로 자사 및 녹십자 등에서 분석한 데이터]



▪ STP2104 면역원성 테스트

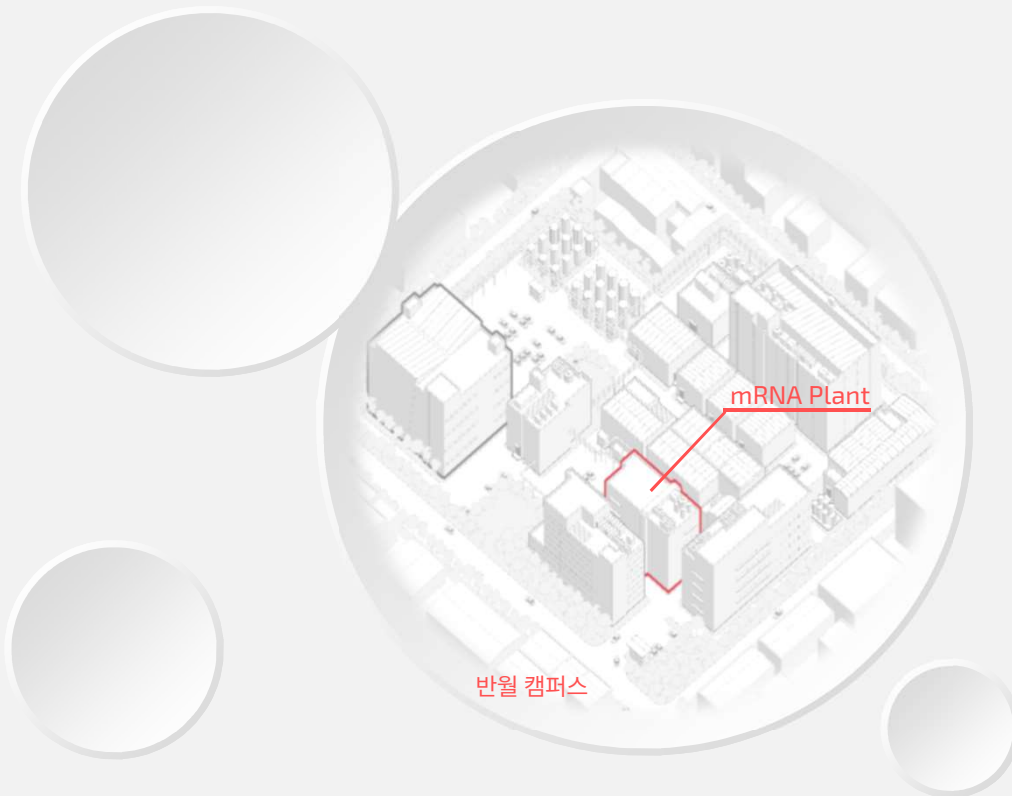
STP2104 (프로토타입) mRNA 백신 후보물질은 동일한 용량 수준에서 경쟁사의 COVID-19 mRNA 백신과 유사한 면역원성 데이터를 보여줌

▪ RBD (수용체 결합 도메인) 특이 항체역가 비교





“ From milligram to kilogram scale production ”



> 1. R&D / Small scale production

반월 mRNA공장 (1층)
Completion: 20년 8월
Capacity : 비 임상 연구용

> 2. Mid-scale production (GMP)

반월 mRNA 공장 시설 확충 (1층)
Completion: 21년 5월
Capacity: Milligram to multi-gram /month
1,000만 도즈 /년

> 3. Large / Commercial scale production (GMP)

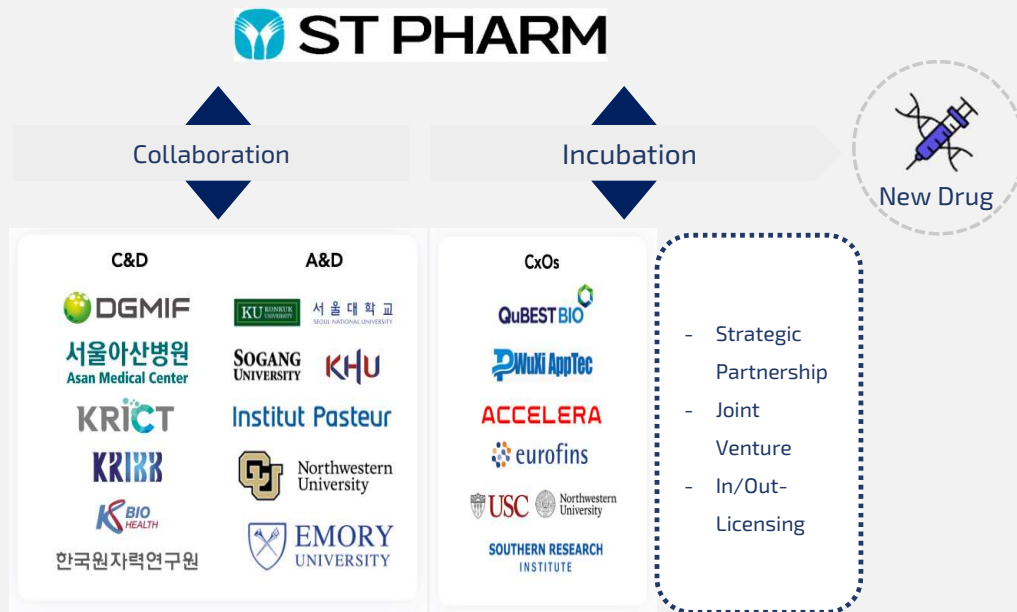
반월 mRNA 공장 시설 확충 (3, 5층) *계획 중*
Capacity: 100-120 g /월
3,500만 ~ 1억 도즈 /년

* 고객사 등의 요청에 따라 변동 가능



ST PHARM Virtual R&D 전략

"Minimizing R&D cost and expediting drug development process"
"Creating a synergy effect with API CDMO business"



ST PHARM Pipeline

STP0404 - "세계 최초 완치 치료제로서의 가능성이 있는 AIDS 치료제"
 "2018년 미국 국립보건원(NIH) 연구지원 과제 선정"
 "ALLINI 기전으로는 유일하게 임상 진행 중인 First in class"
 "인터그라제 효소의 비특매 부위 저해, 기존 에이즈 치료제들의 내성 극복"
 "1일 1회 경구용 외 장기 지속형 주사"

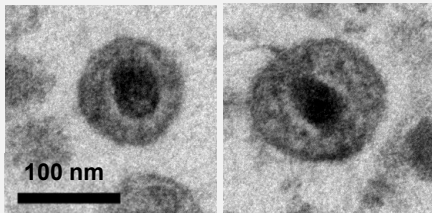
STP1002 - "세계 최초 1일 1회 경구용으로 개발 중인 대장암 치료제 (First in class)"
 "대장암 외 비소세포성폐암, 간암 등으로 적응증 확대"
 "어비투스 무반응 및 내성 환자, KRAS/NRAS 돌연변이 유전자 환자 타겟"

Pipeline	Partner	Stage		
		Discovery	Pre-clinical	Phase1
STP0404 (AIDS)	Emory Univ. Colorado State Univ.	Progressing through Phase 1		
STP1002 (고형암)	Asan Hospital	Progressing through Pre-clinical		
STP2104 (Covid 19 백신)	자체	Progressing through Phase 1		
STP2150 (Covid 19 백신 (오미크론 Variant))	자체	Progressing through Discovery		

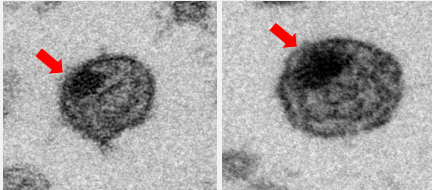


➤ STP0404의 신규 MOA(작용 메커니즘)

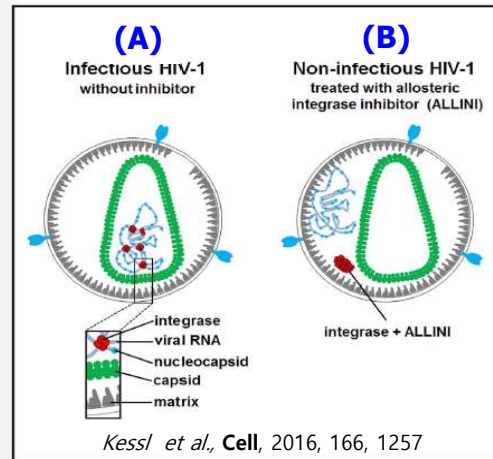
처치 없음 (A)



STP0404 0.2 마이크로몰 (μM) 투여 (B)



TEM study in Emory Univ.



➤ STP0404 효능 (전임상)

Table 3. Antiviral activity in Raltegravir-resistant strains

Compounds	Average IC ₅₀ (range, nM)	
	PBMC	MT-4
STP0404	0.08 (0.02~0.22)	2.49 (0.95~3.48)
Zidovubine	7.96 (0.22~20.7)	37.94 (29.7~57.6)
Raltegravir	1,227.70 (12.5~3,036)	2525 (351~4,322)
Elvitegravir	-	2751.5 (276~10,000)
Dolutegravir	-	4.57 (3.07~8.54)

RAL-resistant strains: 4736_2, 4736_4, 5070_1, 5070_2, 1666_1

- 랄테그라비르에 내성이 발생한 감염된 세포에서 바이러스 활성 분석
- STP0404 단독 투여 만으로도 효능이 우수함, **병용투여로 내성 극복**
 * IC50: 바이러스의 활성을 50% 이상 감소시키는데 필요한 혈중약물농도

- 미국 콜로라도 대학 M. Kvaratskhelia 교수가 ALLINI (Allosteric integrase inhibitor)의 신규 작용 메커니즘을 발견, '16년 발표
- 인테그라제 효소는 에이즈 바이러스의 RNA를 숙주 세포에 전달하여 통합하는 것을 촉진하며, virion화 (숙주세포가 완전히 감염되어 외막으로 보호받고 있는 상태) 핵심 역할 (A)
- ALLINI는 인테그라제 효소가 바이러스의 RNA와 결합하는 것을 억제하여 인테그라제 효소의 비정상적인 올리고머화를 촉진하며, 바이러스 RNA의 불국소화 (정위치 상실, mislocalization)를 유도함 (B)
- STP0404 투여 (B)는 에이즈 바이러스의 RNA를 바이러스를 보호하는 외막인 캡시드 밖으로 유도하여 **비감염성 편심 입자를 형성함**
- New MOA for HIV-cure as "maturation inhibitor" - "Divide and Conquer", not 'Shock & Kill' or 'Block & Lock'
- ALLINI 신규 메커니즘 규명을 위해 '18년 미국 국립보건원 (NIH) 연구 지원 과제로 선정, 에모리 대학, 콜로라도 대학과 공동연구 진행 중



Global CRO (비임상시험수탁 서비스) 업체 인수를 통한 경쟁력 강화. Client-leading CDMO 전략
 '20년, Spain 법인 구조조정 완료 이후 본격적인 자회사 Turn around ('21년, 2Q 본격화)

■ AnaPath Research (Barcelona, Spain)

- 연혁 : 1986년 설립 (Envigo Spain 법인)
2019년 11월 AnaPath에 인수
- 현황(규모) : 건물 1만 sqm, 대지 2만 sqm, 동물 사육실 (38개)
- B원숭이, 토끼, 개 등 800여 마리 동물 보유

■ AnaPath Service (Basel, Switzerland)

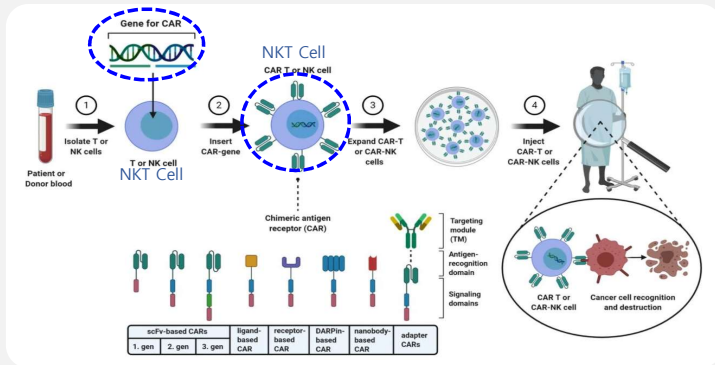
- CSO : Klaus Weber (Global 업계 내 저명한 독성병리학자)
- Global 수준의 비 임상 CRO업체 (조직 및 독성 병리학 특화)
- GLP 인증 (2006년), 유럽 Safety Alliance 가입
- 현재 동물을 이용한 1,000개 이상의 만성 독성 및 발암성 연구를 진행 중





LEVATIO Therapeutics (San-Diego, USA)

mRNA 및 circRNA를 이용한 항암백신, 자가면역질환 치료제 및 CAR-NKT 유전자치료제 개발



Technology: circRNA + CAR-NKT

- mRNA & circRNA & NKT cell 을 이용한 세포치료제 개발
- **circRNA**: 우수한 안정성, mRNA 대비 긴 반감기 (x2.5)
- **NKT cell**: T세포와 NK세포의 장점을 결합한 세포 (the 4th 림프구)
 - * 대량생산 최적화 (Off-the-shelf)
 - * 자가면역 질환에 높은 활용도 (Adjuvant)
- 최근 Merck, Orna Therapeutics 36.5억 달러 투자

VERNAGEN (Atlanta, USA)

미 충족 수요 (Unmet needs)의 감염성 질환 및 단백질 유전자 재조합 질환에 대한 mRNA 치료제 개발

설립 배경 & 운영 목표

- mRNA 치료제 및 백신 개발 (호흡기 감염 예방 등)
- 재조합형 단백질 biologics 대체 치료제 개발 / 고수익의 백신 개발
- 전략적 파트너십 (산/학/연 및 ST PAHRM 등)

정착 (2022 - 2023)

- 설립, 기능 구축
- mRNA vaccine 연구 개발
- Series A 완료

성숙 (2024 - 2025)

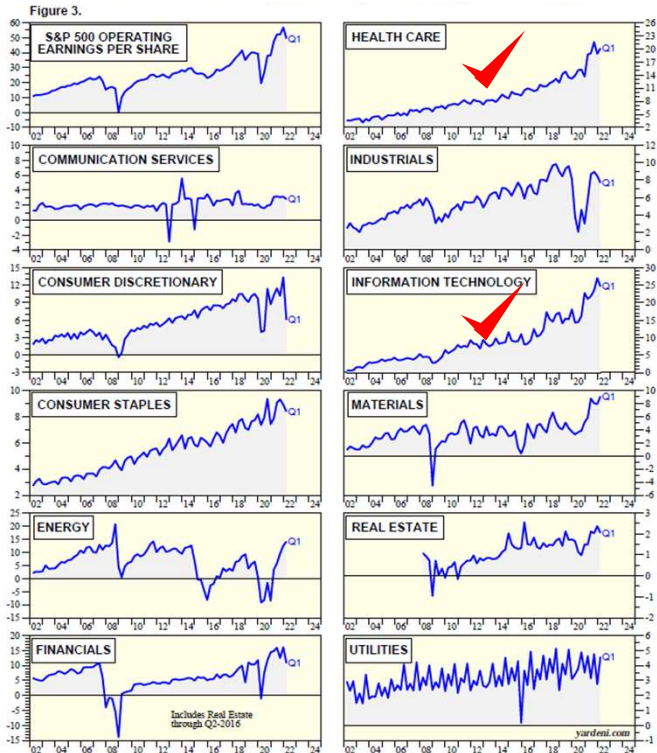
- 글로벌제약사와 파트너십
- 감염성 질환 mRNA 약물 개발 기술력 확보
- 수익 창출 다변화 (L/O, Data driven collabo.)
- Series B 완료

도약 (2026 - 2028)

- VERNAGEN 브랜드 창출
- Series C 완료
- Global IPO (2028년)



20년간 S&P 500 섹터별 분기 주당 수익 추이



[출처: Yardeni Research, 2022.08.10]

■ 제약/바이오가 높은 벨류에이션을 받는 이유?

- High Risk & High Return? Low Risk & High Return인 사업은?
- 안정적인 경기 방어주? VS 리스크가 높은 성장주?
- 자이언트 경쟁자 (중국) 진출 가능한 사업?

■ 제약/바이오의 메가 트렌드를 알면 안정적, 고성장 사업을 찾을 수 있다?

- 신약 개발에 장기간 소요, 메가 트렌드 변화 낮음 ▶ 장기간 안정적 성장 가능
- 우리 몸에 투약, 안전성 중요, GMP 등 규제 강함 ▶ 진입장벽이 높음
- 기술 기반 xRNA 블루오션 시장 ▶ 전문가 부족, 경쟁자 소수, Shortage, 독과점

■ 에스티팜 벨류에이션은?

- 에스티팜 PER 160배, 삼성바이오로직스 PER 102배 ▶ 실현 이익 대비 비쌈
- 신약 개발의 새로운 패러다임? xRNA (올리고, mRNA)
- GMP로 먹고 사는 사업은? CDMO
- 현재 벨류에이션에는 mRNA와 자체개발 신약 가치가 포함되어 있는가?

Thank You

ST PHARM

Technology-Driven Gene therapy CDMO
From Oligonucleotide to mRNA

