애로우헤드 (ARWR.US)

피하주사 siRNA로 뇌의 문을 열다

2026년 10월 22일

✓ 투자판단	★★★★☆	✓ 목표주가 (Bloomberg, 컨센서스)	107.6 달러
✓ 상승여력	82.7%	✓ 현재주가 (10월 20일)	58.9 달러

신한생각 최초로 BBB를 넘은 ARO-MAPT, 뇌질환 새로운 패러다임

10월 14일 알츠하이머 ARO-MAPT 1/2a상 건강인 결과에서 피하주사로 CSF* 타우* 최대 -73% 및 3개월 투약 가능성 확인. 전신투약 siRNA 최초의 뇌 전달 임상적 검증 성공. 애로우헤드와 유사한 TfR* 셔틀 사용하는 올릭스 ARC(항체-siRNA 접합체)도 기대. 내년 ARO-MAPT 조기 알츠하이머 결과에서 증상 개선 확인될 시 뇌질환 게임체인저 등극 기대

TfR 리간드로 siRNA 뇌전달 성공하며 척수강 투여 한계 극복

ARO-MAPT 105일(마지막 투약 후 90일) 기준 2.1 / 6.4 / 12.8mg/kg에서 CSF 타우 -40 / -69 / -73%(vs. 위약 +16%) 억제하며 용량 의존적인 효능과 분기 1회 투약 가능성 확인. 동일 타깃 척수강 ASO인 바이오젠/아이오니스 디라너센 2상의 CSF 타우 -50~-65% 수준을 피하주사로 달성. 심각한 부작용과 투약 중단도 0건으로 내약성도 우수해 큰 우위 전망

영장류 임상 결과 피하주사가 척수강내 주사보다 뇌심부 포함 모든 영역을 고르게 억제. ARO-MAPT와 같은 플랫폼인 파킨슨병 ARO-SNCA(노바티스), ARO-HTT(사렙타) 및 유사한 TfR 활용하는 올릭스 OASIS-CNS도 향후 성공적 결과 기대. OASIS-CNS는 연내 후보물질 확인 예정

비만과 Dual-siRNA 선도기업: 4분기부터 산업 좌우할 데이터 공개

4분기 비만 ALK7(단회투여 8주 내장지방 -14%) 후속 데이터 공개. 젭바운드 병용까지 공개될 시 큰 서프라이즈. 10월 로슈/로나 ALK7 11.6억달러 L/O로 빅파마 관심 높은 상황에서 ALK7 가치 한 단계 높일 트리거. 9월 Dual-siRNA도 심혈관 DIMER-PA로 표적 동시 억제 임상적 확인. 내년 비만/MASH 타깃 Dual-siRNA 공개 시 큰 가치 상승 전망돼 주목

12월 결산	2024	2025	2026F	2027F	2028F
매출액 (백만달러)	4	829	466	297	689
영업이익 (백만달러)	(601)	98	(472)	(679)	(490)
영업이익률 (%)	(16,927.1)	11.9	(101.4)	(228.9)	(71.2)
EPS (달러)	(5.00)	(0.01)	(3.37)	(4.81)	(3.16)
PER (배)	-	-	-	-	-
ROE (%)	(262.5)	(0.5)	(75.2)	(167.5)	(24.1)
PBR (배)	39.5	17.2	22.2	41.3	3,928.0
EV/EBITDA (배)	-	36.2	-	-	-

자료: Bloomberg, 신한투자증권

[제약/바이오]

윤석현 연구원

✉ sh.yun@shinhan.com

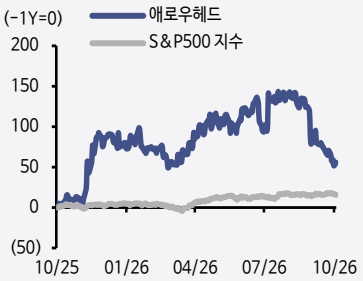
엄민용 연구위원

✉ my.eom@shinhan.com

S&P500 지수 (pt)	7,712.6
시가총액 (십억달러)	8.3
발행주식수 (백만주)	135.7
유동주식비율 (%)	96.3
52주 최고가 (달러)	95.5
52주 최저가 (달러)	36.7
주요주주 (%)	
BlackRock Institutional Trust	9.4
Avoro Capital Advisors LLC	8.0

수익률 (%)	1M	3M	12M	YTD
절대	(11.4)	(17.8)	53.2	(11.3)
상대	(12.2)	(21.4)	38.6	(23.9)

주가

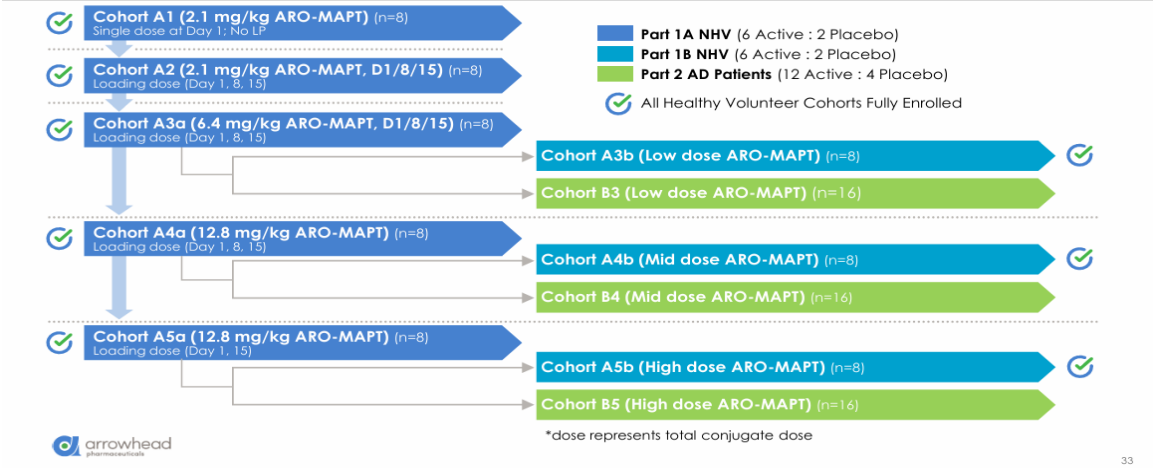


CSF: 뇌척수액, 뇌와 척수를 둘러싼 체액

타우: 신경세포 내 미세소관 지지 단백질, 비정상적으로 엉킬 시 알츠하이머 등 유발

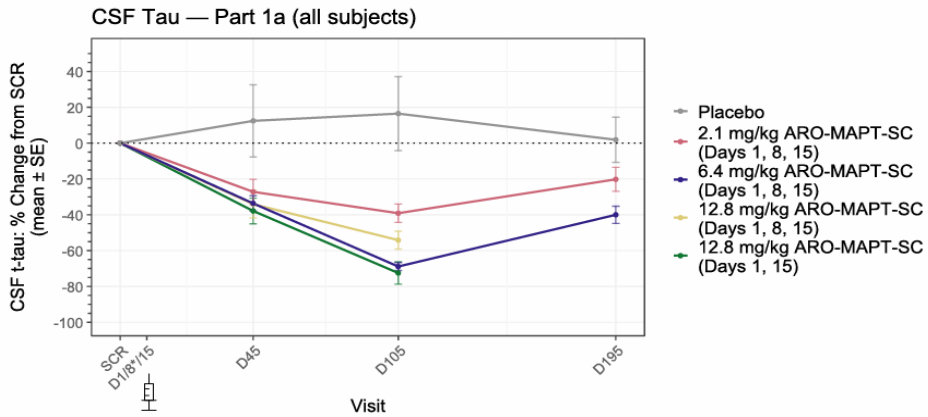
TfR: 트랜스페린 수용체, 뇌혈관 내피세포에 다수 발현되는 철분 운반 수용체

ARO-MAPT 임상 1상(AROMAPT-SC-1001) 디자인: 건강인 및 초기 알츠하이머 환자 대상



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

ARO-MAPT 건강인 대상 용량별 CSF 타우 변화: 40~73% 억제



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

ARO-MAPT 부작용: 심각한 부작용(SAE), 사망 및 치료 중단 0건

Characteristic	Placebo (N=15)	ARO-MAPT Part 1A (N=30)	ARO-MAPT Part 1B (N=12)
Overall			
Any TEAEs, n (%)	8 (53.3)	27 (90.0)	10 (83.3)
Serious TEAEs, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Deaths, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Discontinuations due to TEAE, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Reported in >10% of the Study Participants			
Injection site reaction, n (%)	1 (6.7)	6 (20.0)	3 (25.0)
Vessel puncture site bruise, n (%)	0 (0.0)	4 (13.3)	3 (25.0)
Upper respiratory tract infection, n (%)	0 (0.0)	5 (16.7)	2 (16.7)
Back pain, n (%)	1 (6.7)	5 (16.7)	0 (0.0)
Headache, n (%)	2 (13.3)	6 (20.0)	4 (33.3)

- ARO-MAPT was **well tolerated** in normal healthy volunteers.
  - Most TEAEs were Grade 1 (mild)
  - No serious TEAEs
  - No TEAEs led to study or study drug discontinuation
- No persistent anemia or neurobehavioral AEs.

자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

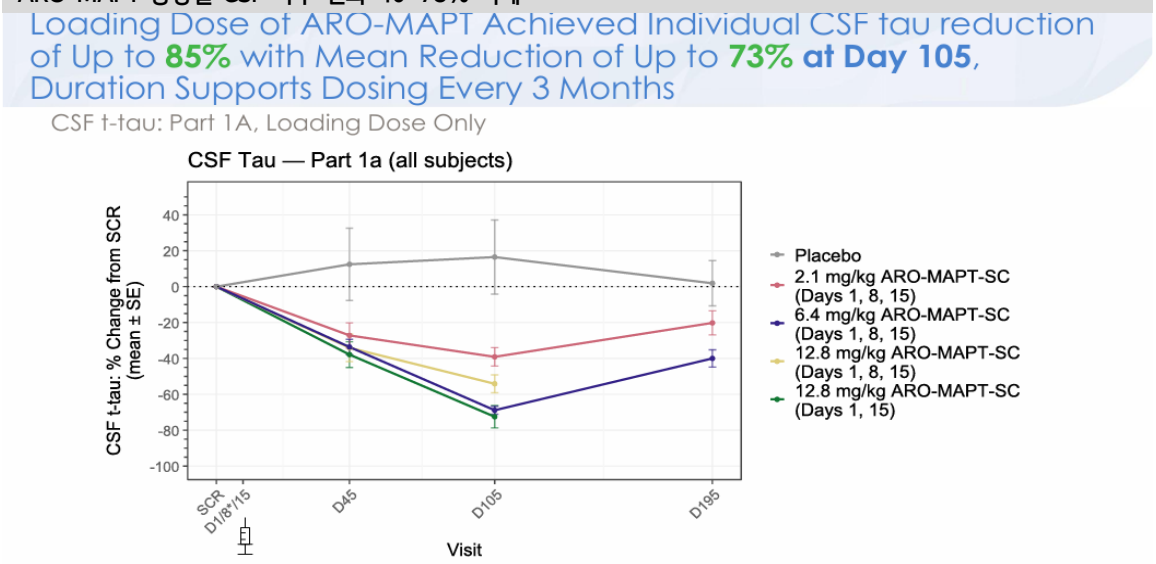
ARO-MAPT 임상 1/2a상 중간 결과: 피하주사로 뇌내 타우 억제

CSF(뇌척수액) 타우 최대 -73% 억제로 척수강 주사 이상의 효능 확인

10월 14일 애로우헤드는 ARO-MAPT(타우 생성 유전자인 MAPT 타깃 siRNA)의 임상 1/2a상 건강인 결과(PART 1)을 공개했다. 105일차(마지막 투약 90일 후) 기준 CSF 총 타우가 2.1mg/kg(3회 투약) 40%, 6.4mg/kg(3회 투약) 69% 및 12.8mg/kg(2회 투약) 73% 감소했으며 위약군은 +16%로 큰 격차를 보였다.

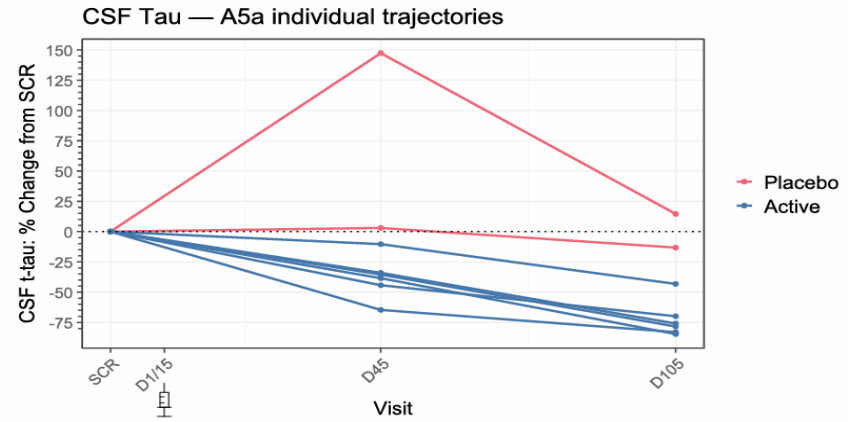
해당 결과로 용량 의존적인 타우 억제력과 90일 이상의 효능 유지 기간을 확인하며 분기 1회 혹은 반기 1회의 투약 주기를 기대할 수 있게 됐다.

ARO-MAPT 용량별 CSF 타우 변화: 40~73% 억제



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

최고 용량군(12.8mg/kg) 개별 추이: 활성군 전원에서 타우 감소, 최대 85%



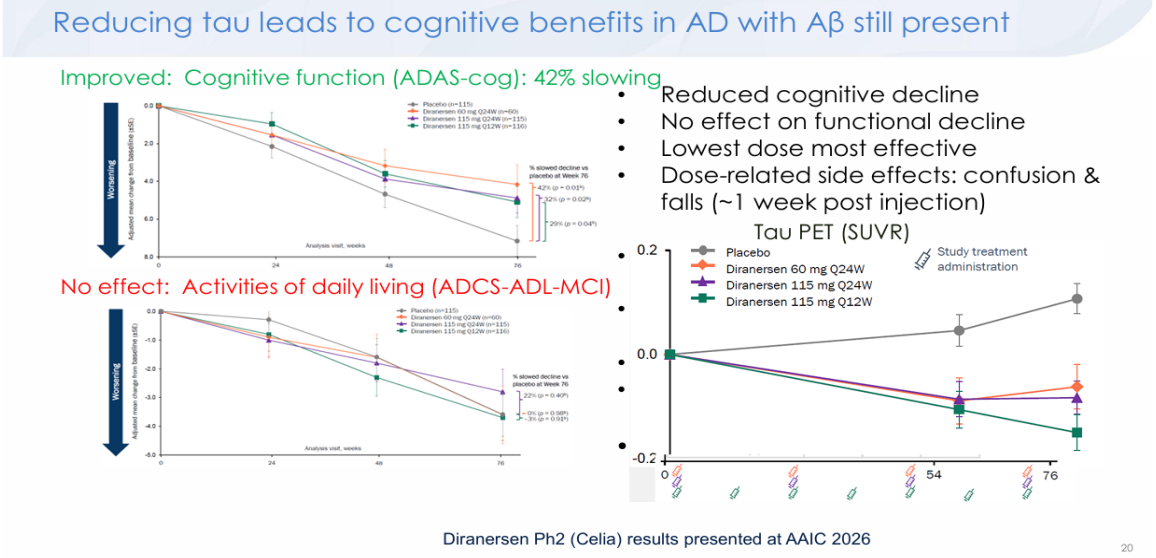
자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

이번 결과가 더 중요한 이유는 기존 척수강 주사와 유사한 CSF 타우 억제를 피하주사로 달성했기 때문이다. 바이오젠/아이오니스의 알츠하이머 적응증 MAPT 타깃 ASO 디라너센은 임상 2상에서 환자 대상 CSF 타우를 전용량 -50 ~ -65% 억제하며 ARO-MAPT(건강인 대상 -40 ~ -73%)와 유사한 효능을 보여줬다.

디라너센은 해당 타우 억제 구간에서 최저용량(60mg, 반기 1회)에서 ADAS-Cog(알츠하이머 인지 척도) 42% 진행 둔화를 달성하며 타우 억제의 임상적 근거도 확인했다. 그러나 디라너센은 1차 지표 CDR-SB(임상치매척도)에서 용량 의존성이 확인되지 않았고 ADCS-ADL(일상생활지표) 등에서는 큰 효능이 관찰되지 않았다.

이는 타우 억제 자체의 영향보다는 너무 늦은 치료 진입이 원인으로 분석됐으나 아직 표적 검증이 완벽하게 이뤄지지는 않았다. 내년 공개될 ARO-MAPT의 조기 알츠하이머 대상 결과가 더 중요한 이유다.

디라너센 임상 2상: ADAS-Cog 42% 확인, 그러나 ADCS-ADL 효과 부족, CDR-SB 용량 의존성 미충족 등 단점



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

CSF 타우 억제만 비교하면 ARO-MAPT는 건강인 대상 40~73% 억제, 디라너센은 환자 대상 50~65% 억제로 유사한 구간에 위치한다. 비교 시점이 다른 교차분석이라 우위를 판단할 수는 없겠으나 척수강 주사 없이 유사한 범위에 근접한 것 만으로도 전신투약이 가능한 ARO-MAPT의 큰 편의성 우위로 판단된다.

내약성도 매우 우수했다. 8월 25일 컷오프 기준 42명(건강인)에서 SAE(심각한 부작용), 사망 및 투약 중단 모두 0건 발생했다. 부하용량(Loading dose)을 2~3회 투약받은 PART 1A(30명)과 개별 코호트 저용량으로 넘어간 PART 1B(12명) 환자간 TEAE 발생률 차이는 크지 않았고 세부 부작용도 유사한 경향성을 띈다.

가장 빈번하게 발생한 부작용은 주사 부위 반응(PART 1A 20%, PART 1B 25%)이었으며 대부분 경미한 1등급이었다. 그 외에도 두통, 채혈 부위 멍 등이 심각하지 않은 수준으로 나타났다.

현재 FDA 승인된 알츠하이머 항체 치료제인 레켐비(3상 기준, SAE 14%, 사망 0.7%, 투약 중단 6.9%), 키순라(SAE 17.4%, 사망, 1.9%, 투약 중단 13.1%) 대비하면 큰 안전성 우위다. 또한 BBB 셔틀 미부착 항체에서 관찰되는 ARIA(아밀로이드 관련 영상 이상반응)도 관찰되지 않았다.

회사는 지속된 빈혈이나 신경행동학적 이상이 없었다고 밝혔는데, 이는 BBB 투과를 위해 부착된 TfR1 리간드 관련 부작용(철 흡수 방해로 인한 빈혈)과 약물의 뇌 노출에 따른 신경계 부작용이 없었다는 것으로 해석된다. 향후 장기 투약 시에도 문제가 없는지 추가 확인이 필요하지만 디라너센에서 보고됐던 투여 후 일시적 혼동 및 낙상 등 신경계 이상 반응이 없었다는 점은 매우 긍정적이다.

ARO-MAPT 부작용: 심각한 부작용(SAE), 사망 및 치료 중단 0건

ARO-MAPT Demonstrates a Favorable Safety Profile

N of Subjects with Treatment-Emergent AEs

Characteristic	Placebo (N=15)	ARO-MAPT Part 1A (N=30)	ARO-MAPT Part 1B (N=12)
Overall			
Any TEAEs, n (%)	8 (53.3)	27 (90.0)	10 (83.3)
Serious TEAEs, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Deaths, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Discontinuations due to TEAE, n (%)	0 (0.0)	0 (0.0)	0 (0.0)
Reported in >10% of the Study Participants			
Injection site reaction, n (%)	1 (6.7)	6 (20.0)	3 (25.0)
Vessel puncture site bruise, n (%)	0 (0.0)	4 (13.3)	3 (25.0)
Upper respiratory tract infection, n (%)	0 (0.0)	5 (16.7)	2 (16.7)
Back pain, n (%)	1 (6.7)	5 (16.7)	0 (0.0)
Headache, n (%)	2 (13.3)	6 (20.0)	4 (33.3)

- ARO-MAPT was **well tolerated** in normal healthy volunteers.
  - Most TEAEs were Grade 1 (mild)
  - No serious TEAEs
  - No TEAEs led to study or study drug discontinuation
- No persistent anemia or neurobehavioral AEs.

자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

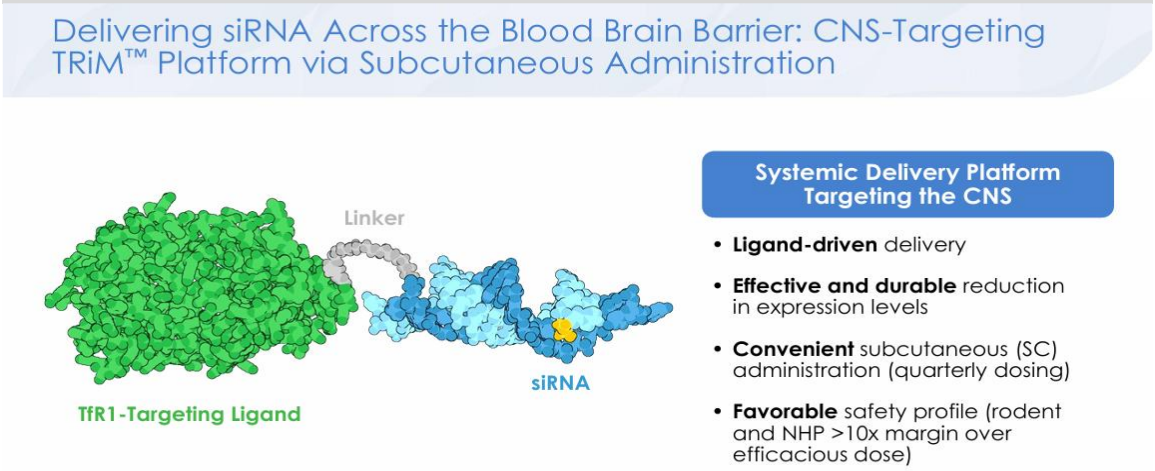
내년 공개될 ARO-MAPT 알츠하이머 환자 결과에선 CSF 타우 억제와 함께 타우-PET 변화 등 환자에서의 타우 억제력 입증이 핵심이다. 나아가 CDR-SB, ADAS-Cog 등 알츠하이머 증상 개선 지표에서도 유의한 결과가 나오면 분기~반기 피하주사에 뛰어난 내약성을 갖춘 알츠하이머 게임체인저 등극이 기대된다.

TRiM CNS 플랫폼: 척수강을 뛰어넘는 뇌질환 효능 확인

ARO-MAPT에 적용된 siRNA 전달 플랫폼 TRiM CNS는 TfR1에 결합하는 리간드와 siRNA 약물을 링커로 결합한 구조다. 뇌혈관 내피에 다수 발현되는 TfR1을 매개로 BBB를 투과해 세포로 들어가는데, 항체 셔틀 대비 분자가 작아 적은 용량으로도 유효성을 확보할 수 있다고 회사는 설명한다.

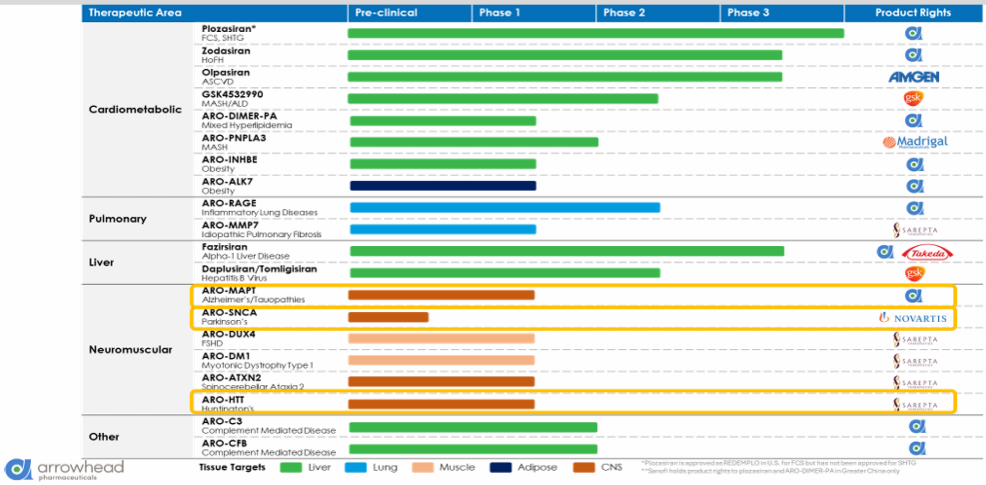
TRiM CNS는 siRNA를 교체하는 방식으로 다양한 뇌질환에 적용될 수 있으며 현재 파이프라인 중 파킨슨병 ARO-SNCA(노바티스 L/O)와 ARO-HTT(사렙타 L/O)에 적용돼있다. 이번 ARO-MAPT 결과로 두 약물의 긍정적인 임상 결과를 예측할 수 있는 이유다.

TRiM CNS 구조: TfR1 타깃 리간드 + 링커 + 질환별 siRNA (분기 1회 피하투여 & 영장류 치료 마진 10배 이상)



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

애로우헤드 파이프라인: ARO-MAPT, ARO-SNCA, ARO-HTT 모두 TRiM CNS 적용

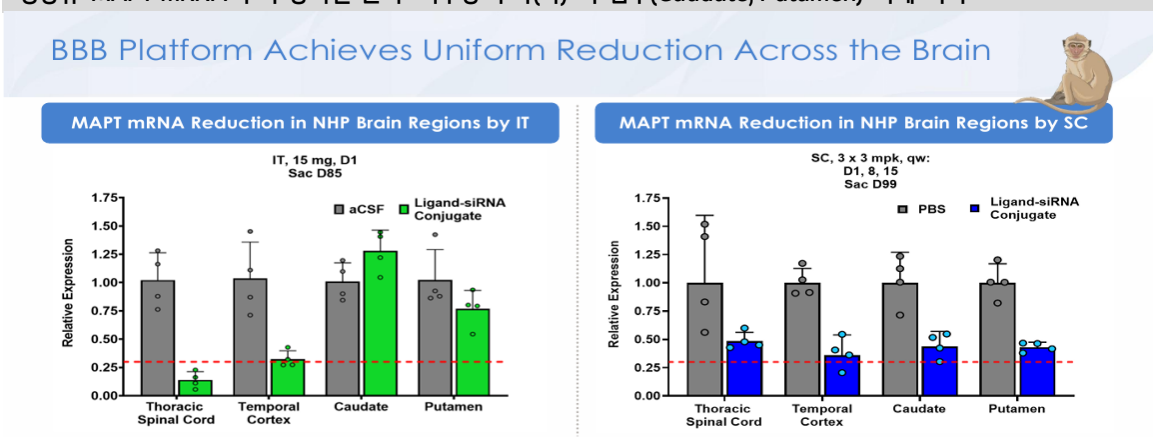


자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

이번 결과에서 가장 중요한 부분은 ARO-MAPT가 전신 투여인 피하주사였음에도 국소 투여인 척수강 주사와 유사한 효능을 보여준 것이다. 오히려 척수강 주사는 척수와 대뇌피질 표면에만 약물이 집중되며 가장 중요한 뇌 심부로는 잘 들어가지 않는다고 분석됐다. 전신투여 뇌질환 유전자 치료제가 편의성은 물론 유효성에서도 우위인 근거로 차세대 물질의 개발 방향성이 명확해지는 결과다.

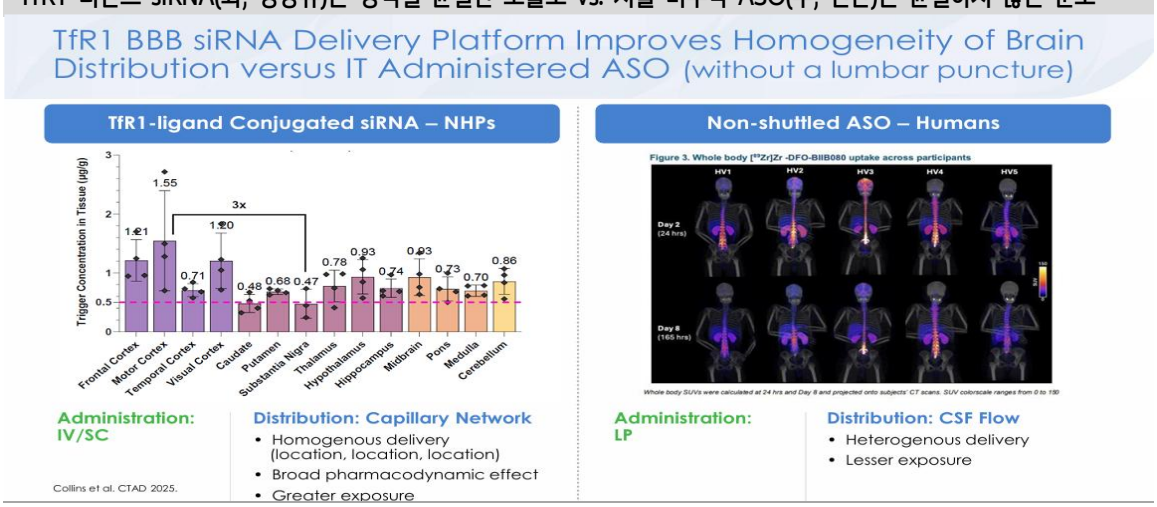
애로우헤드 자체 영장류 임상에서 MAPT 타깃 mRNA를 척수강 주사 혹은 피하주사하여 억제력을 비교했다. 척수강 주사는 Thoracic Spinal Cord, Temporal Cortex 등에서 억제력이 컸지만 Caudate, Putamen 같은 뇌 심부에서는 억제력이 미미했으나 피하주사는 모든 영역이 고르게 억제됐다. 실제로 TfR1 리간드를 부착한 siRNA의 경우 뇌 모세혈관을 따라 영역 간 농도가 고르게 분포됐으나, 척수강 ASO는 영상 분석에서 분포가 균일하지 않은 것으로 설명된다.

영장류 MAPT mRNA 투여 방식별 분석: 척수강 주사(좌) 뇌 심부(Caudate, Putamen) 억제 미미



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

TfR1 리간드 siRNA(좌, 영장류)는 영역별 균일한 노출도 vs. 셔틀 미부착 ASO(우, 인간)은 균일하지 않은 분포

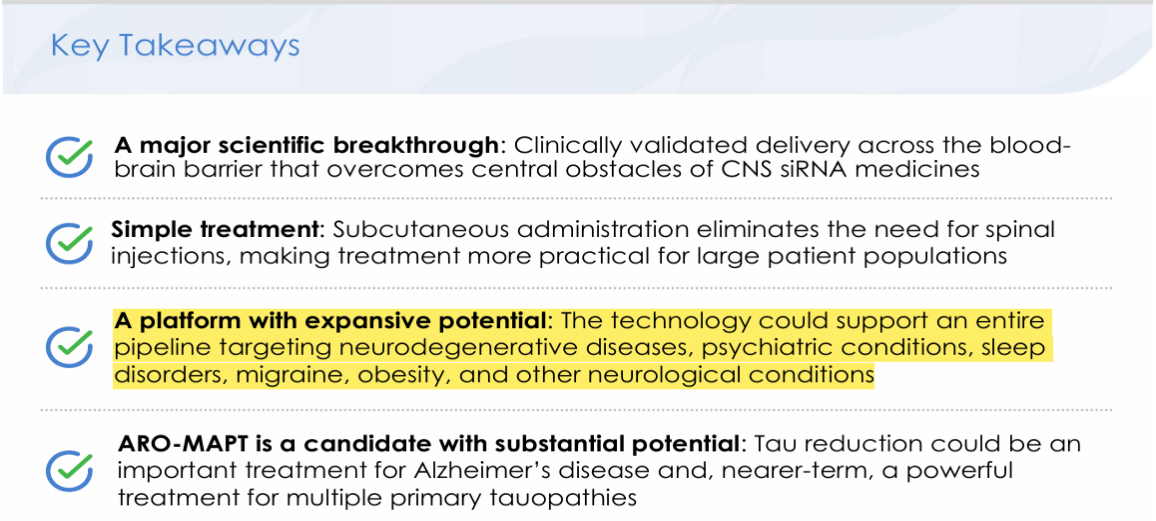


자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

전신투여 뇌질환 유전자 치료제의 가치는 TRiM CNS가 적용된 파킨슨병 치료제 ARO-SNCA을 통해서 확인된다. 2025년 9월 노바티스는 전임상 단계였던 ARO-SNCA을 계약 규모 22억달러(선급금 2억달러)에 도입하며 큰 기대감을 보였고 이번 ARO-MAPT 결과로 ARO-SNCA의 임상 성공과 마일스톤 유입 가능성도 크게 올라갔다고 판단한다.

애로우헤드 내부에서도 연말 혹은 내년 상반기 중 신규 뇌질환 후보물질 2건의 임상시험계획(CTA)를 준비 중이다. 신경퇴행성질환 뿐만 아니라 정신질환, 수면장애, 편두통 그리고 비만까지 확장 가능한 플랫폼으로 내부 평가하고 있어 다양한 적응증 확장 전략도 긍정적이다. TRiM CNS 검증에 따른 초기 단계 L/O 등의 수익화로 이어질 수 있어 적응증에 큰 주목 필요하다. 최근 간 외 전달 siRNA 계약 가격은 검증된 플랫폼의 경우 최소 10억달러부터 시작되기 때문에 임상적 검증을 마친 TRiM CNS의 L/O 가치가 더 기대되는 시점이다.

TRiM CNS 향후 계획: 신경퇴행, 정신질환, 수면 장애, 편두통 및 비만까지 확장 가능한 잠재력 강조



자료: 회사 자료(2026.10), 신한투자증권

간 외 조직 전달 siRNA 계약 추이: 최소 10억달러부터 시작

시점	도입(원개발사)	자산	계약규모(선급금)
2023.07	노바티스(DTx파마)	기업 인수(지방산 접합 플랫폼)	10억달러(5억달러)
2024.11	사렙타(애로우헤드)	근육·CNS·폐 7개 + 발굴 6개	110억달러(8.25억달러)
2025.05	애브비(아다릭스)	신경·면역·항암 siRNA	82.2억달러(3.35억달러)
2025.05	바이오젠(시티)	CNS 전달 RNAi 트리거	10.5억달러(0.16억달러)
2025.09	노바티스(애로우헤드)	ARO-SNCA(파킨슨병)	22억달러(2억달러)
2025.10	노바티스(어비디티)	기업 인수(AOC 플랫폼)	120억달러
2026.05	GSK (시란바이오)	SA-030(ALK7, 비만)	≥10억달러
2026.10	로슈(로나테라퓨틱스)	ALK7 siRNA	11.6억달러(1억달러)

자료: 각 사, 신한투자증권

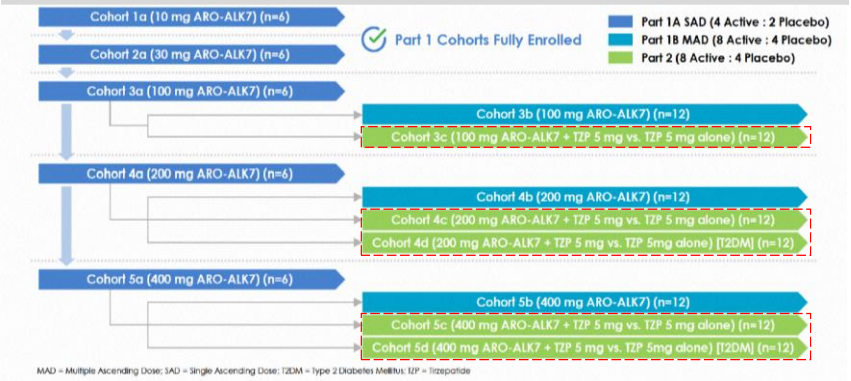
ALK7: 4분기 후속 데이터, 젭바운드 병용 공개 시 가치 상승 트리거

올해 1월 애로우헤드는 ARO-ALK7로 지방세포 타깃 비만 유전자 치료제 최초 임상 데이터를 공개했고 그 후속 데이터가 올해 4분기에 공개된다. 당뇨를 포함한 세부 하위군별 체중 및 체성분 데이터(간지방, 내장지방) 발표가 예상되며 젭바운드 병용 데이터 공개 여부는 확실치 않지만 공개 시 큰 서프라이즈다.

ARO-ALK7 임상 디자인을 보면 ALK7은 1일차와 85일차(12주차)에 2회 투약, 젭바운드 5mg은 15일차부터 253일차(36주차)까지 매주 투여한다. INHBE보다 투여 주기가 길고(INHBE 4주, ALK7 12주), 계획된 젭바운드 병용기간이 길며(INHBE 24주, ALK7 36주) 임상 진행도 약 2분기 정도 늦다고 회사는 소통했다. 병용 기간과 진행 속도를 감안하면 4분기에는 단독요법 및 하위군 결과만 공개될 가능성이 높고, 병용 데이터까지 공개되면 기대 이상의 개발 속도로 판단한다.

만약 ALK7 + 젭바운드 저용량 병용 데이터까지 함께 공개된다면 ALK7 타깃 siRNA 최초의 젭바운드 병용 시너지 확인이라는 점에서 산업 내 파급력이 매우 클 것이다. GSK와 로슈는 ALK7의 INHBE 대비 내장지방 우위 데이터만 확인됐을 때도 각각 1.3조원, 1.6조원으로 ALK7 에셋을 확보했었다. 간/내장지방뿐만 아니라 체중 감량에서 젭바운드 시너지가 확인되면 ALK7 프리미엄이 크게 올라갈 수 있어 빅파마의 ALK7 확보 경쟁으로도 이어질 수 있다.

AROALK7-1001(1/2a상) 코호트 디자인: 당뇨 동반/미동반 비만 대상



자료: 회사 자료(2026.01), 신한투자증권

ARO-INHBE 및 ARO-ALK7 임상 디자인 비교

항목	ARO-INHBE	ARO-ALK7
임상 코드	NCT06700538(AROINHBE-1001)	NCT06937203(AROALK7-1001)
siRNA 투여 젭바운드 투여	1일차, 29일차(0주차, 4주차) 15~169일차(약 24주간, 주 1회)	1일차, 85일차(0주차, 12주차) 15~253일차(약 36주간, 주 1회)
데이터 이력	[1월] 간·내장지방 12주차, 체중 16주차 / [5월] 간·내장지방 24주차	[1월] 간·내장지방 8주차(mRNA 12주)
환자 모집 규모	최대 78명	150명(확대)

자료: clinical trials, 신한투자증권

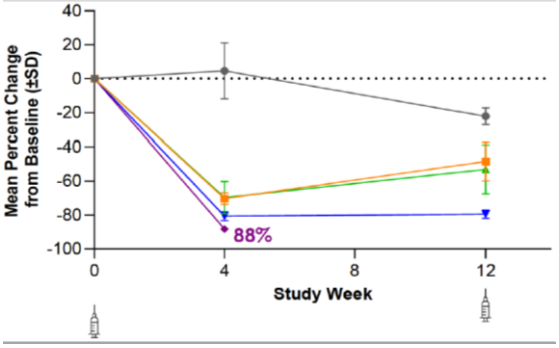
1월 ARO-ALK7 단독요법 데이터 Review

ALK7(ACVR1C)은 지방세포에서 발현되는 수용체로, 음식 섭취 후 간세포에서 만들어지는 Activin E와 결합 시 지방분해가 억제된다. ARO-ALK7은 지방세포의 ALK7 생성 mRNA를 억제해 지방분해가 정상적으로 이뤄지도록 촉진한다. ARO-INHBE를 포함한 기존 siRNA 치료제는 전달이 용이한 간세포를 중심으로 발전했으나 ARO-ALK7은 지방조직을 직접 타깃하는 차이가 있다.

ARO-ALK7 단회 투여 8주 기준, 내장지방 감소는 200mg -13.6%, 100mg -12.2%(vs. 위약 +0.5%)로 ARO-INHBE 단회 투여 8주 기준 400mg -7.1%보다 우수한 효능을 보였다. 지방의 수용체를 직접 억제한 효과로 해석되며, 연내 공개 가능한 체중 감량 지표에서도 INHBE 대비 우위 결과가 기대된다.

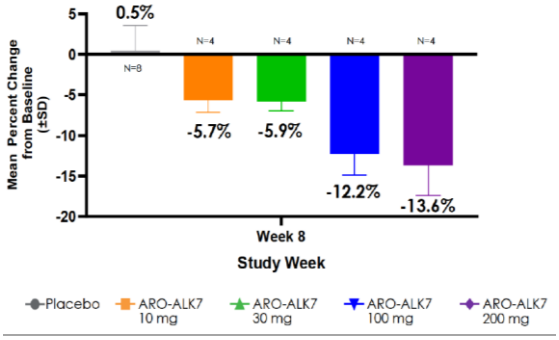
4분기 데이터는 당뇨 등 하위군의 체중 변화와 체성분(내장지방, 간지방, 총지방) 변화가 공개될 것으로 예상한다. 가장 주목해야 할 포인트는 1) 제지방 보존 효과, 2) 반복투여 시 효과 누적 여부다. 만약 여기에 젭바운드 병용 데이터가 함께 공개된다면 3) 젭바운드 용량 추가 감량 가능성과 4) 젭바운드 단독 대비 체중/체성분 개선 정도가 ALK7 검증의 최대 포인트가 될 것이다.

ARO-ALK7 임상 1/2a상 - ALK7 mRNA 변화



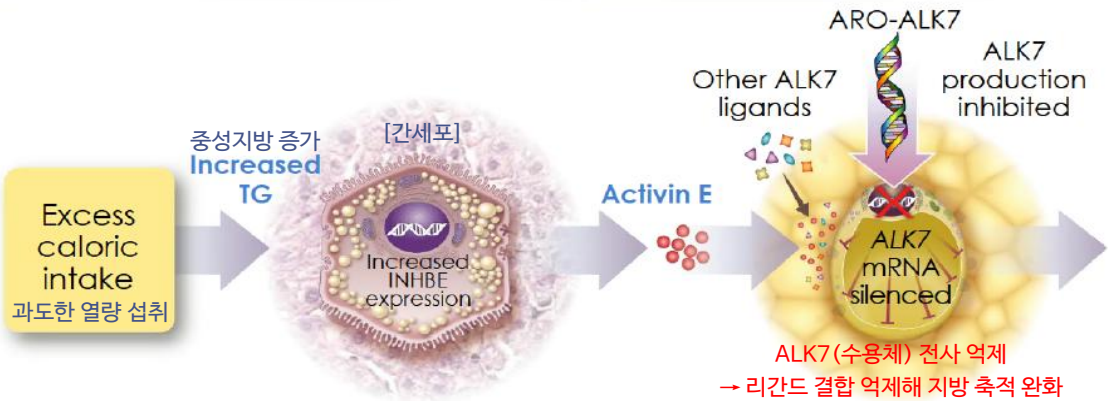
자료: 회사 자료(2026.01), 신한투자증권

ARO-ALK7 임상 1/2a상 - 내장지방 변화



자료: 회사 자료(2026.01), 신한투자증권

[INHBE/ALK7 기전] 지방 축적 경로 중 ALK7 수용체와 리간드의 결합을 막아 지방 축적 완화



자료: Emdin et al., Diabetes 2019, 회사 자료(2026.01), 신한투자증권

DIMER-PA: Dual-siRNA 단회로 단일 siRNA보다 높은 억제력

9월 15일 ARO-DIMER-PA(PCSK9 x APOC3 이중억제 siRNA) 혼합형 고지혈증 대상 임상 1/2a상 중간 결과를 공개했다. Dual-siRNA 단회 투여가 편의성과 함께 유효성까지 개선할 수 있다는 근거를 제시한 최초 데이터로 중요하다. 이미 단일 siRNA인 렉비오가 심혈관 질환에서 최대 40억달러(5.6조원) 매출이 기대되는 상황에서 Dual-siRNA 성공 시 더 큰 시장성을 기대해 볼 수 있다.

임상 1/2a상에서 ARO-DIMER-PA 단회 투여(최대 400mg 증량) 시 최대 표적 감소율은 PCSK9 -72%, APOC3 -88%를 기록했으며 실제 심혈관 증상 유발 지질/지단백도 LDL-C -54%, TG -73%, non-HDL-C -61%, ApoB -50%를 기록했다. 주사 부위 반응과 두통이 발생했으나 약물 관련 SAE는 없었다.

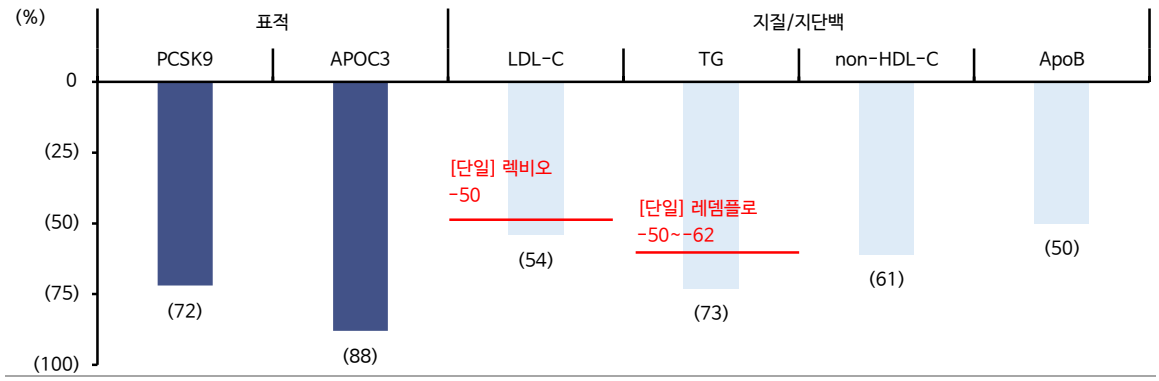
주목할 포인트는 두 가지다. ① 단일 siRNA보다 지질/지단백 개선이 컸다. ② 단일 siRNA 투약 시 발생하는 지질/지단백 간 상충관계 해결 가능성이 보였다.

PCSK9 타깃 siRNA 렉비오는 LDL-C(나쁜 콜레스테롤)를 약 50% 낮추지만 TG(중성지방) 효과는 미미하다. APOC3 타깃 siRNA 레덴플로는 혼합형 고지혈증 임상에서 TG를 50~62% 정도 개선했으나 LDL-C 변화는 미미했고 non-HDL-C(총콜레스테롤에서 좋은 콜레스테롤 제외) 개선은 최대 -24%에 그쳤다.

ARO-DIMER-PA는 상호 영향을 줄 수 있는 두 가지 표적을 동시에 억제해 LDL-C, TG, non-HDL-C 3개 지표 개선이 모두 단독요법 대비 높은 것으로 해석되며 이를 임상에서 처음으로 입증했다. 특히, 다수의 변수들이 질병의 원인이 되는 대사질환(비만/MASH) 및 심혈관 질환에 큰 강점이 있을 것으로 보인다.

데이터 발표 당시 LDL-C 개선율이 기존 렉비오와 유사하다는 이유와 차익실현으로 주가는 -10% 정도 하락했으나, 복수의 지질/지단백을 함께 개선한 최초 사례인 점을 과소평가한 결과다. 매우 성공적인 첫 데이터로 판단한다.

애로우헤드 Dual-siRNA 고지혈증 후보물질 ARO-DIMER-PA: 최대 400mg 단회 투여 결과 (최대 감소율)



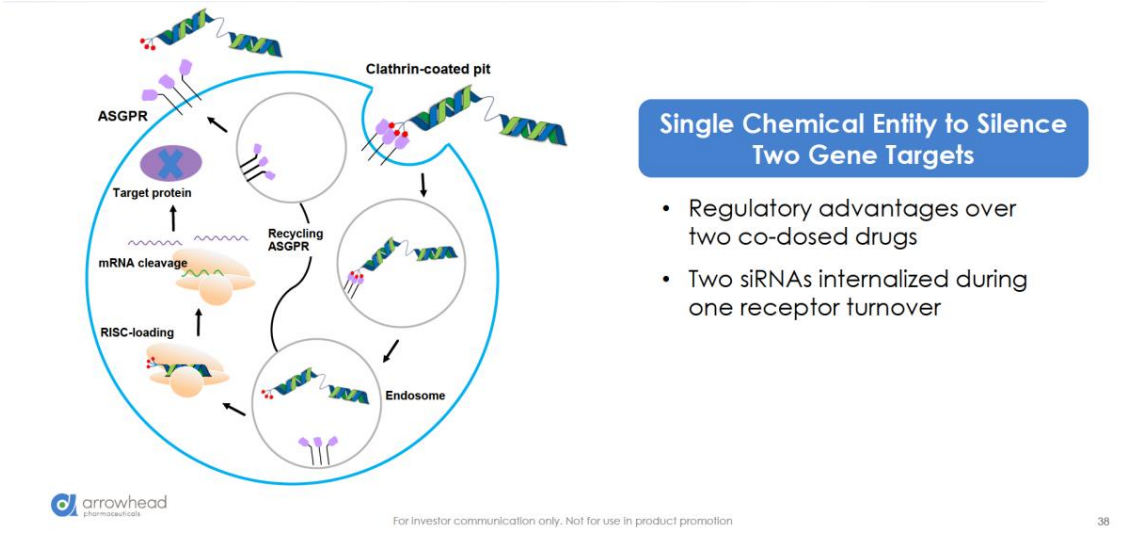
자료: 회사 자료(2026.09 보도자료), 신한투자증권

단독 표적 siRNA vs. Dual-siRNA 지표 개선 비교

(%)	렉비오 (PCSK9 타깃 siRNA)	레덤플로 (APOC3 타깃 siRNA)	ARO-DIMER-PA (PCSK9 x APOC3 타깃 siRNA)
LDL-C	-50 ~ -52	-4 ~ -14	-54
TG	-	-50 ~ -62	-73
non-HDL-C	-43 ~ -47	-17 ~ -24	-61
ApoB	-39 ~ -43	-10 ~ -19	-50
투여 간격	6개월에 1회	3개월에 1회	미정
기준	임상 3상(ORION-10, -11) 72주차 기준	임상 2b상(MUIR) 24주차 기준	임상 1/2a상 단회 투여

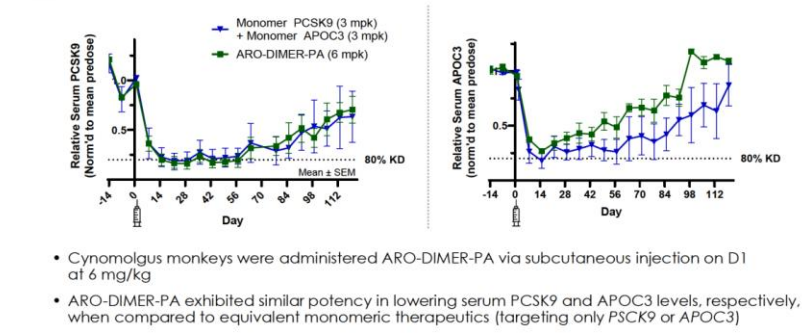
자료: NEJM 2020;382:1507-19(ORION-10/11), FDA label(렉비오), NEJM 2024;391:899-912(MUIR), 회사 자료(2026.09), 신한투자증권

애로우헤드 Dual-siRNA 플랫폼 기전: 하나의 분자가 Endosome 탈출 이후 분리돼 각자 역할 수행



자료: 회사 자료(2026.06), 신한투자증권

원숭이 시험: Dual-siRNA 단독 vs. 단일 siRNA 병용 비교 시 유사한 억제력



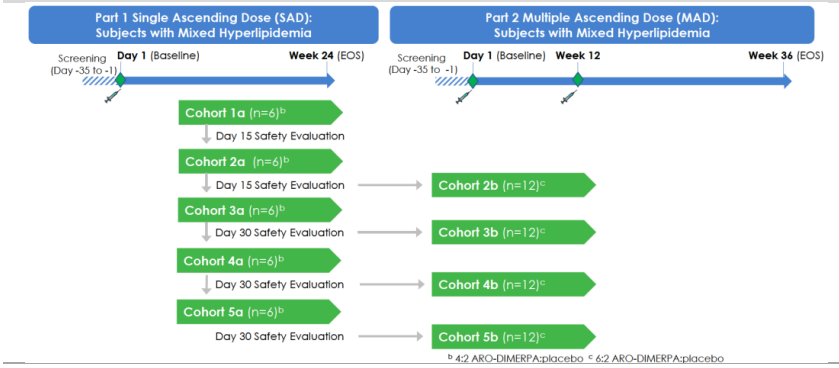
자료: 회사 자료(2026.06), 신한투자증권

ARO-DIMER-PA는 반복투여(2회) 파트(Part 2)를 추가해 적정 용량을 도출한 후, 2b상에서 2~3개 용량을 분기 1회로 1년간 반복투여해 유효성을 확인하고, LDL-C를 1차 평가변수로 하는 혼합형 고지혈증 3상과 장기 심혈관 결과 시험(CVOT)을 병행할 계획이다. PCSK9 단일 siRNA 렉비오가 LDL-C로 고지혈증에 FDA 승인받은 이력이 있어 허가의 불확실성은 낮다고 판단한다.

혼합형 고지혈증은 미국에서만 약 2천만명의 환자가 있는 것으로 추정된다. 파이프라인 중 레덤플로(희귀질환 FCS → 만성질환 sHTG, 미국 내 300만명)에 이어 대중질환으로 확장되는 두 번째 사례로 기술적 의미 뿐만 아니라 상업적 성과에도 매우 중요한 에셋이다. 상세 데이터는 추후 학회에서 발표될 예정이다.

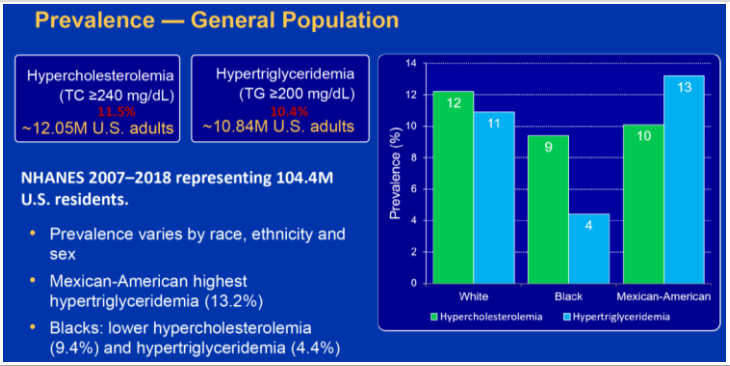
이번 플랫폼 검증을 계기로 다수의 Dual-siRNA 파이프라인이 추가될 수 있다. 심혈관, 비만 및 MASH에서 추가 Dual-siRNA가 내년 공개될 예정이며, 표적 간 조합을 통해 다수의 파이프라인이 연구 중인 것으로 파악된다. 세부 적응증 혹은 증상별로 적합한 조합을 도출하는 방식이 예상돼 다양한 미충족 수요 질환이 공략될 수 있을 것이다. 앞으로 공개될 파이프라인들에 큰 관심 필요하다.

ARO-DIMER-PA 임상 1/2a상 설계: Part 2에서 2회 투여 효과 검증



자료: 회사 자료(2026.06), 신한투자증권

혼합형 고지혈증 환자 추산



자료: 회사 자료(2026.06), 신한투자증권

BBB를 넘은 첫 siRNA: 비만, Dual, CNS 모두 선두기업으로 주목

애로우헤드는 올해에만 비만 ALK7, Dual-siRNA 그리고 전신투여 뇌질환 유전자 치료제까지 가장 중요한 영역에서 최초 임상 데이터를 확보하며 siRNA 플랫폼 기업으로 거듭났다. 올해 4분기와 내년에도 해당 분야들에서 혁신적인 데이터와 성과가 기대되는 기업으로 관심 권고한다.

뇌질환 ARO-MAPT는 임상 1/2a상에서 피하주사 2~3회로 CSF 타우를 최대 73% 억제했고 분기 투약 가능성을 확인했다. 기존 척수강 주사였던 뇌질환 유전자 치료제의 패러다임을 전환할 첫 근거로 중요하다. 내년 공개될 ARO-MAPT 조기 알츠하이머 결과에서 환자 CSF 타우 억제와 증상 개선 신호가 관찰될 시 타우 표적 검증도 함께 이뤄져 큰 파장이 기대된다. 동일한 플랫폼이 적용된 파킨슨병 ARO-SNCA(노바티스), 헌팅턴병 ARO-HTT(사렙타)의 가치도 동반 상승 전망하며 뇌질환 게임체인저 등극이 기대된다. 내년 자체 후보물질 2건의 CTA 제출도 계획 중이며 플랫폼 확장성이 확인될 이벤트로 주목 권고한다.

비만 ARO-ALK7은 지난 1월 ALK7 최초 임상적 검증(단회투여 8주차 내장지방 14.1% 감량)에 이어 4분기 후속 데이터가 공개된다. 당뇨 등 하위군별 체중 및 제지방 변화 공개 예정이며 만약 젭바운드 병용 시너지가 함께 공개될 시 큰 서프라이즈로 판단한다. 경쟁사 앨나일람 ALN-2232도 첫 임상 1상 결과를 4분기에 공개하며 두 에셋의 긍정적 데이터 확인 시 ALK7 기전의 가치가 한 단계 높아질 것으로 전망한다. ALK7은 단독 내장지방 감량 데이터만으로 GSK, 로슈 등 빅파마가 계약규모 10억달러 이상을 베팅했기 때문에 기대감은 더욱 크다. 국내 올릭스의 ALK7 OLX501A도 L/O 목표 중으로 큰 영향을 받을 것으로 본다.

Dual-siRNA 심혈관 질환 ARO-DIMER-PA는 단회 투여로 PCSK9 72%, APOC3 88%를 동시 억제하며 단일 siRNA로는 도달 불가한 억제력을 입증했다. 다음 계획은 지방세포 2개 표적, 간 2개 표적을 억제하는 비만 Dual-siRNA와 CNS 플랫폼을 활용한 뇌질환/중추신경계 Dual-siRNA 에셋으로 내년 중 표적 공개가 전망된다. 해당 적응증들에서 다중 표적 기반 압도적 유효성이 관찰될 시 다시 한번 siRNA 패러다임이 전환될 수 있어 산업적인 관점에서 관심 권고한다.

애로우헤드 2026년 4분기 ~2027년 비만/Dual-siRNA 핵심 이벤트

시기	이벤트	체크포인트
4Q26	[비만] ARO-ALK7 신규 데이터	투약 주기, 체중 감량 및 제지방 보존, (공개 시) 젭바운드 용량 추가 감량
4Q26	[비만] ARO-INHBE 신규 데이터, MASH 2b 설계 공개	MASH 임상 설계(조직생검, GLP-1 병용 등), 간지방 감량 정도
4Q26	[비만, 경쟁사] 앨나일람 ALK7 타깃 ALN-2232 비만 1상 결과	ARO-ALK7 대비 체중 감량 및 제지방 보존 정도
2027	[CNS] 자체 신규 CNS 후보물질 2건 CTA 제출	적응증(신경퇴행, 수면 장애, 정신질환 비만 등) 및 표적
2027	[CNS] ARO-MAPT 건강인 반복투여 결과	저용량 타우 억제 지속성, 빈혈 및 신경계 부작용 여부
2027	[CNS] ARO-MAPT 조기 알츠하이머 코호트 결과	환자 CSF 타우, 타우-PET 변화, 신경계 부작용 여부
2027	[Dual] ARO-DIMER-PA 반복투여 결과	투약 주기, 고지혈증 및 심혈관 증상 이점 확인
2027	[비만, Dual] 간 혹은 지방 비만 Dual-siRNA 공개	신규 표적 조합

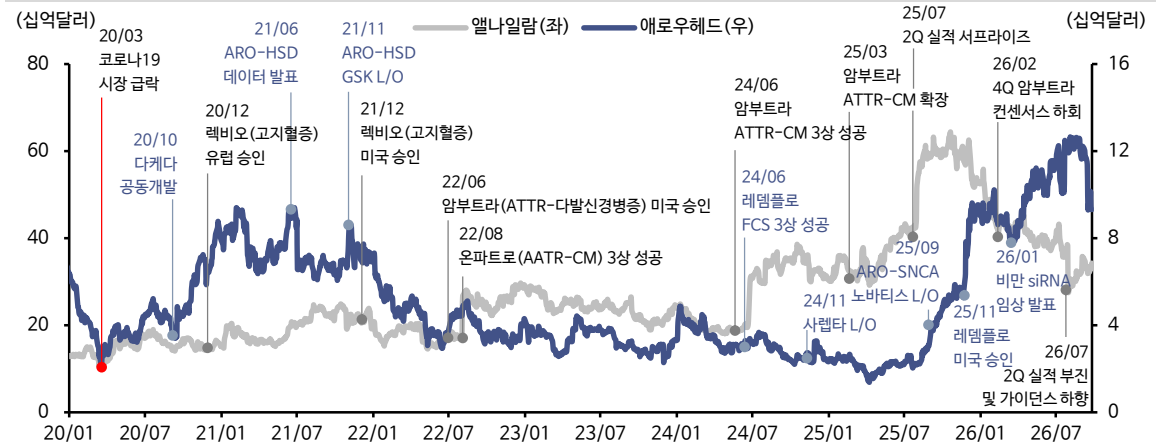
자료: 회사 자료, 언론 종합, 신한투자증권

애로우헤드 파이프라인 현황

영역	후보물질	적응증	1상	2상	3상	상업화	파트너십
심혈관, 대사	Plozasiran (APOC3)	가족성 킬로미크론혈증 증후군					Arrowhead
		고중성지방혈증					Arrowhead
	Zodasiran (ANGPTL3)	동형접합 가족성 고콜레스테롤혈증					Arrowhead
	Olpasiran (Lp(a))	죽상경화성 심혈관질환					Amgen
	ARO-HSD	MASH					GSK
	ARO-DIMER-PA	**혼합형 고지혈증(PCSK9&APOC3)**					Arrowhead
	ARO-PNPLA3	MASH					Madrigal
	ARO-INHBE	**비만**					Arrowhead
	ARO-ALK7	**비만**					Arrowhead
간	Fazirsiran (ATT)	알파-1 항트립신 결핍증					Takeda
	ARO-HBV	만성 B형 간염					GSK
CNS	**ARO-MAPT**	**알츠하이머(타우)**					Arrowhead
	ARO-SNCA	**파킨슨병**					Novartis
	ARO-ATXN2	척수소뇌실조증 2형(척수강투여)					Sarepta
	ARO-HTT	**헌팅턴병**					Sarepta
근육	ARO-DUX4	FSHD					Sarepta
	ARO-DM1	근긴장성 이영양증 1형					Sarepta
폐	ARO-RAGE	염증성 폐질환					Arrowhead
	ARO-MMP7	특발성 폐섬유증					Sarepta
비고		타깃 조직 구분	간	지방	CNS	근육	폐

자료: 회사 자료, 신한투자증권

엘나일람/애로우헤드 시가총액 추이: 1) 에셋 최초 상업화 시 급상승, 2) 신규 적응증 임상 결과 기반 상승세 관찰



자료: Bloomberg, 신한투자증권