

앨나일람 (ALNY.US)

희귀질환 치료제 1위, 고혈압으로 2막 개시

2026년 10월 22일

✓ 투자판단	★★★☆☆	✓ 목표주가 (Bloomberg, 컨센서스)	369.2 달러
✓ 상승여력	60.0%	✓ 현재주가 (10월 20일)	230.7 달러

신한생각 수익명 잠재환자의 고혈압/비만으로 다음 퀀텀점프 준비

유전자 치료제 매출 1위. 2분기 희귀질환 ATTR* 치료제 암부트라 첫 분기 매출 10억달러 돌파. 올해 ATTR 매출 가이드스는 2차 치료 수요 정상화 반영해 소폭 하향했으나 1차 치료 전환 본격화로 더 큰 시장 진입 기대

다음 성장은 만성질환으로 고혈압(질레베시란) 3상, 비만(ALN-2232) 1상 순항 중. 질레베시란(로슈 공동개발) 주요 7개국 잠재환자 2.2억명, 연간 600mg 투약해 톤 단위 원료 필요. 로슈가 에스티팜에 설비 무상지원 중인 것으로 추정돼 안정적인 공급처 확보. 2030년 출시로 미래 주력 제품 기대

연 2회 투약 고혈압 3상 진입 & 앨나일람 ALK7 첫 비만 1상 결과 주목

로슈와 AGT* 억제 고혈압 치료제 질레베시란 고위험군 대상 표준 치료(1일 1회 경구제) 병용으로 공동개발. 연 2회로 경구제 낮은 순응도(1년 내 중단 50%) 보완, 야간 혈압 조절 어려운 환자 효능(2상 수축기 혈압 -10) 등 병용 유인 충분. 3상은 이노제 복용 고위험군(수축기 혈압 ≥140) 1.1만 명 대규모 위약 대조. 병용 시너지 입증 기대돼 2030년 전후 상업화 전망

지방 ALK7 타깃 비만 치료제 ALN-2232 연내 1상 결과 발표. 시장 기준 점인 애로우헤드 ARO-ALK7 대비 체중 및 제지방 변화 주목. 자체 개발 목표로 GLP-1 제네릭 병용 전략 추정. ALK7 가치 높일 트리거로 주목

ATTR 치료제 성장 이상 무, 펀더멘털 핵심은 만성질환 업사이드

ATTR(암부트라, 온파트로) 연매출 가이드스는 42~45억달러로 2억달러 하향. 그러나 1차 치료 확대, 경쟁약품 에플론터센(AZ) 3상 실패로 가파른 성장세 유지 전망. ATTR 우려보다 고혈압/비만 업사이드에 주목 권고

12월 결산	2024	2025	2026F	2027F	2028F
매출액 (백만달러)	2,248	3,714	5,471	6,897	8,230
영업이익 (백만달러)	(177)	459	1,192	1,721	2,208
영업이익률 (%)	(7.9)	12.4	21.8	25.0	26.8
EPS (달러)	(2.18)	2.33	6.53	9.90	13.02
PER (배)	-	170.7	35.7	23.6	17.9
ROE (%)	362.3	73.3	59.2	47.1	35.8
PBR (배)	448.6	39.1	15.1	8.6	7.1
EV/EBITDA (배)	-	94.1	24.0	17.2	14.1

자료: Bloomberg, 신한투자증권

[제약/바이오]

윤석현 연구원

✉ sh.yun@shinhan.com

엄민용 연구위원

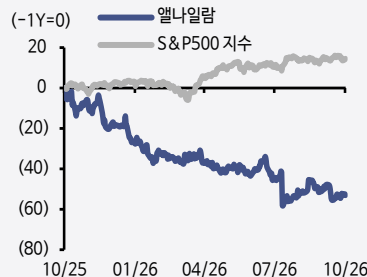
✉ my.eom@shinhan.com

S&P500 지수 (pt)	7,712.6
시가총액 (십억달러)	30.9
발행주식수 (백만주)	132.4
유통주식비율 (%)	99.8
52주 최고가 (달러)	490.1
52주 최저가 (달러)	197.8

주요주주 (%)	
Fidelity Management & Research	10.1
Capital World Investors	8.3

수익률 (%)	1M	3M	12M	YTD
절대	(3.7)	(15.4)	(53.0)	(42.0)
상대	(4.5)	(19.0)	(67.5)	(54.6)

주가



* ATTR: 트랜스티레틴 아밀로이드증, 간 TTR 단백질 변형·축적으로 장기 기능 저하

* AGT: 안지오텐시노겐, 혈압 조절 경로 (RAAS)의 최상위 단백질

유전자 치료제 1위 기업, 다음 성장 동력은 만성질환 후속 물질

엘나일람은 siRNA 6개를 상업화한 유전자 치료제 매출 1위(2025년 29.9억달러/4.2조원), 시가총액 1위(294억달러, 41.2조원) 기업이다. 지금까지의 성장은 희귀 질환 ATTR(트랜스티레틴 아밀로이드증) 치료제 암부트라(2025년 매출 23.1억달러/3.2조원)가 이끌었지만 엘나일람이 선택한 다음 성장 영역은 만성질환이다.

노바티스와 공동개발한 만성질환 최초 siRNA 렉비오가 작년 고지혈증 단독요법 승인 및 블록버스터(연매출 12억달러/1.7조원)에 등극하며 만성질환 유전자 치료제 시장을 직접 개화했다. 후속 물질로는 초대형 질환인 고혈압 치료제 질레베시란, 비만 치료제 ALN-2232(ALK7), ALN-6222(INHBE)가 개발 순항 중이다.

로슈와 공동개발하는 질레베시란은 이노제 복용 고위험군(수축기 혈압 ≥ 140) 1.1만명 대상 3상(ZENITH)이 진행 중이다. 1차 지표는 고혈압 표준 치료와 병용 시 심혈관 사건 감소다. 2상에서 이노제 병용 시 24시간 수축기 혈압 -12.1(위약 보정)을 달성했고 3상과 같은 조건의 사후 분석에서는 -9.2를 달성했다. 혈압 -10당 약 20%의 심혈관 사건 감소를 가정하면 약 10~18% 개선을 기대해 볼 수 있다. 상업화 성공 시 주요 7개국 잠재환자 2.2억명 규모 시장에서 연간 1인당 600mg 투약이 필요한 만큼 대규모 원료 수요가 이어질 것으로 판단한다.

ALN-2232(ALK7)은 연내 첫 임상 결과를 공개한다. 영양류에서 ALK7 발현을 95% 낮춰 억제력은 검증됐고 체중과 제지방 변화가 중요하다. 췌바운드 병용 데이터까지 발표되면 GLP-1 시너지 검증까지 한 번에 가능한 서프라이즈 결과다. 애로우헤드 ARO-ALK7 1상 중간 결과(8주 내장지방 -13.6%) 및 4분기 후속 데이터와 비교로 비만 siRNA의 경쟁 구도가 처음 확인되는 의미도 크다. 두 기업의 경쟁력 있는 데이터 공개는 ALK7 기전의 가치를 높일 트리거다. 내장지방 데이터로 GSK/시란(10억달러), 로슈/로나(11.6억달러) 대형 계약이 체결됐었다.

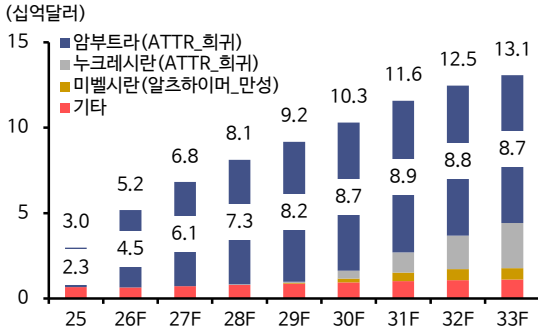
만성질환 치료제 상업화 물량은 자체 설비로 감당할 수 없어 외부 CMO가 담당할 것으로 판단한다. 렉비오는 이미 국내 에스티팜의 단일 물질 최대 수주 품목이며 로슈와 공동개발 중인 질레베시란도 에스티팜 생산 가능성이 높다. 로슈는 2020년 10월부터 에스티팜에 설비투자를 무상 지원(2030년 12월까지 총 6,520만달러 규모) 중인 것으로 추정된다. 에스티팜의 증설 일정(2029년까지 10mol)도 질레베시란 출시 시점과 타이밍이 맞기 때문에, 질레베시란 승인 시 즉각적인 대규모 발주로 이어질 수 있다. 지금부터 주목 필요한 시점이다.

엘나일람 2026년 4분기 ~2027년 핵심 이벤트

시기	이벤트	체크포인트
4Q26	ALN-2232(ALK7) 비만 임상 1상 결과	체중 및 내장/간 지방 변화, ARO-ALK7 대비 효력 (공개 시) GLP-1 시너지 여부
2026	ATTR(암부트라, 온파트로) 1차 처방 추이 확인	연매출 42~45억달러 달성 여부, 1차 치료 전환 기반 성장세 유지 여부 판단
1H27	렉비오 심혈관 사건 3상 결과	주요 심혈관 사건(MACE) 개선 정도, 렉비오 시장 규모 확대에 추가 물량 발주 전망
2027	질레베시란 고혈압/심혈관 사건 3상 환자 모집	1.1만명 등록 목표: 3상부터 대규모 원료 수요 필요해 CMO 계약 진전 기대

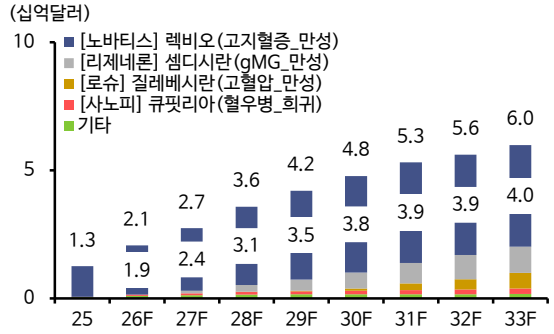
자료: 회사 자료, 언론 종합, 신한투자증권

엘나일람 직접 판매 물질 매출 전망



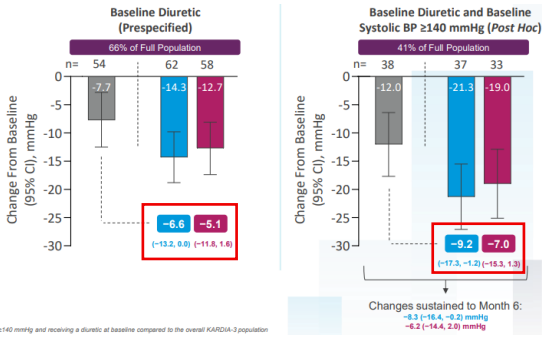
자료: Evaluate Pharma, 신한투자증권

엘나일람 로열티 계약물질 매출 전망



자료: Evaluate Pharma, 신한투자증권

질레베시란 2상 하위군: 이노제 / 이노제 + 혈압 ≥140



자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

혈압 10 감소당 주요 심혈관 사건 위험 20% 감소

Risk reduction per 10 mm Hg decrease in SBP	
Major CV Events	20%
CHD	17%
Stroke	27%
HF	28%
Renal Failure	5%
All cause mortality	13%

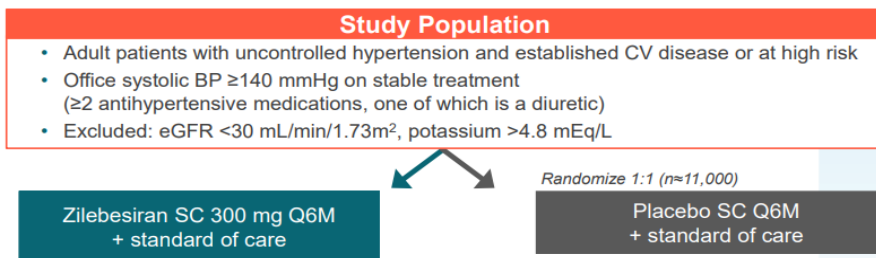
자료: Ettehad D, et al. Lancet 2016; 387: 957-67, 신한투자증권

질레베시란 임상 3상 디자인: 이노제 투약에도 혈압 조절이 불가능한 혈압 ≥140 환자, 심혈관 사건 및 혈압 개선 측정

Phase 3 Cardiovascular Outcomes Trial

Randomized, Double-Blind, Event-Driven Study in High CV Risk Patients with Uncontrolled Hypertension

zenith



Event-driven with a minimum follow-up of 2 years



Primary Outcome: CV death, nonfatal myocardial infarction (heart attack), nonfatal stroke, or HF event

FDA
FAST TRACK DESIGNATION

NATIONAL MEDICAL PRODUCTS ADMINISTRATION
国家药品监督管理局
BREATHROUGH THERAPY DESIGNATION

자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

엘나일람 ALK7 ALN-2232 전임상 - 타깃 억제력 95%

ALN-2232 (ACVR1C)

Adipose Target for Durable, Fat-Specific Weight Loss



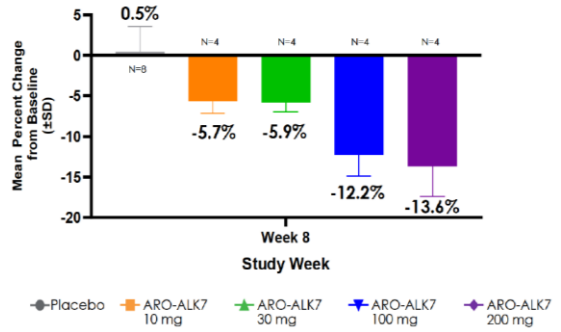
1 in 2 people

expected to be living with overweight or obesity by 2030²

ACVR1C Knockdown*

자료: 회사 자료(2026.09), 신한투자증권

애로우헤드 ARO-ALK7 임상 1상 - 내장지방 감량



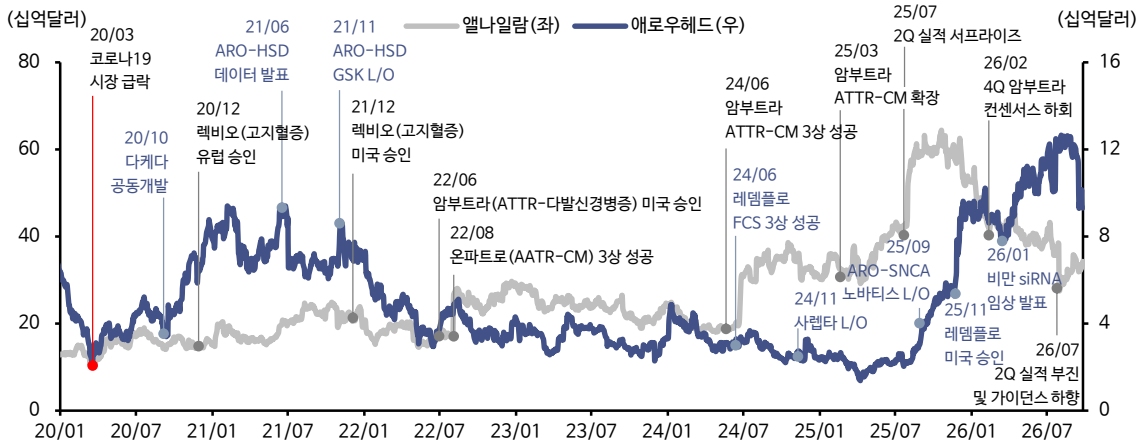
자료: 애로우헤드(2026.01), 신한투자증권

ALK7 타깃 siRNA 현황

기업	물질	임상 단계	비고
애로우헤드	ARO-ALK7	임상 1/2a상	[자체 개발] 유일한 인체 데이터 공개
엘나일람	ALN-2232	임상 1/2상	[자체 개발] 젠바운드 병용 투여 코호트 존재, 연내 결과 공개 예정
GSK/시란	SA030	임상 1상	[L/O 완료] 계약규모 1.3조원(10.05억달러)
올릭스	OLX501A	전임상	[L/O 목표] 2027년 임상 1상 IND 예정, 영장류에서 표적 억제 -89%
로슈/로나	-	전임상(추정)	[L/O 완료] 계약규모 1.6조원(11.6억달러)

자료: 각 사, 신한투자증권

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



자료: Bloomberg, 신한투자증권

[고혈압] 질레베시란 연 2회로 24시간 혈압 관리, 병용 필수 전망

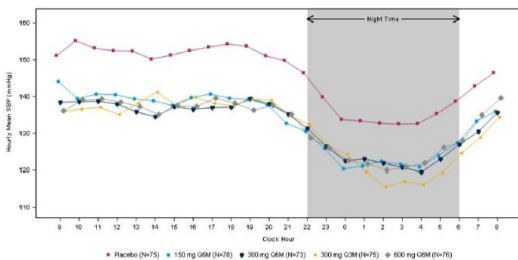
고혈압은 심혈관 질환 중 가장 빈번하게 발생한다. 7대 주요 시장(7MM) 고혈압 환자는 2.2억명이고, 그 중 심혈관 위험이 높고 혈압 조절이 어려운 환자는 약 6,000만명 이상으로 추정된다. 표준 치료로는 1일 1회 경구제(ACEI, ARB, CCB, 이뇨제 등)가 처방되며 복합제 및 병용요법이 사용된다. 그러나 혈압이 조절되는 환자는 20%에 불과하고, 1년에 50%가 중단하는 낮은 순응도는 미충족 수요다.

로슈/엘나일람의 연 2회 피하주사 질레베시란 병용으로 해당 미충족 수요가 해결될 수 있다. 현재 3상 중이며 2030년경 상업화 예정이다. 질레베시란은 혈압 조절 경로(RAAS)의 최상위 단계 단백질 AGT(안지오텐시노젠) 발현을 억제한다. 기존 경구제의 문제인 야간 혈압 조절 및 24시간 조절이 목표로 2상(KARDIA-1)에서 단회 투여만으로 24시간동안 위약 대비 안정적인 혈압 조절을 성공했다. 300mg 기준 위약 대비 3개월 혈압이 약 16 mmHg(이하 단위 생략) 감소했다.

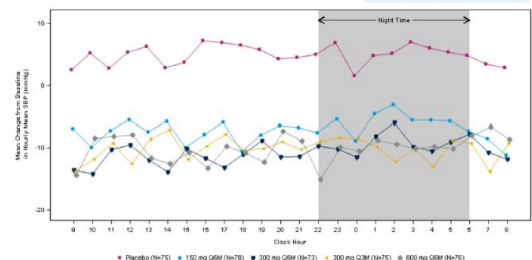
다른 2상(KARDIA-3)에선 2~4개 혈압약을 복용하는 고위험 대상 단회 투여 효능을 관찰했고 3상 용량인 300mg에서 위약 대비 혈압 강하가 5.0로 유의한 혈압 강하가 확인됐다. 그러나 600mg의 경우 위약 대비 혈압이 3.3 감소하며 유의성 도달에 실패했는데, 이는 300mg부터 AGT가 6개월 평균 93% 억제되기 때문에 그 이상에서는 이점이 적은 것으로 보이며 3상도 300mg으로 진행된다.

로슈/엘나일람 질레베시란 2상(KARDIA-1) 단회로 24시간 혈압 안정적 유지: (좌) 혈압 수치, (우) 기저 대비 변화

Hourly Mean SBP Assessed by ABPM at Month 3

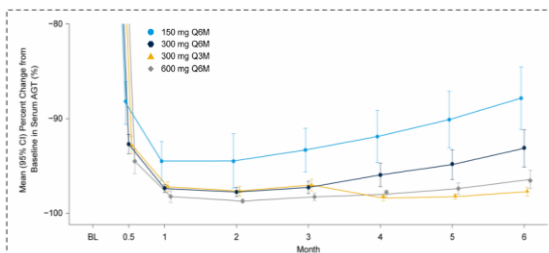


Change from Baseline in Hourly Mean SBP Assessed by ABPM at Month 3



자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

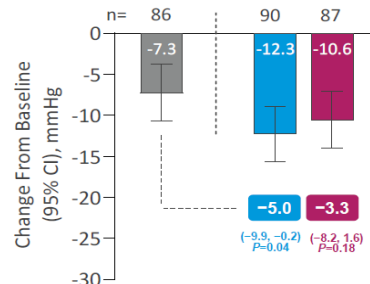
질레베시란 300mg(Q6M~Q3M) AGT 93~98% 억제



자료: AHA 2023(KARDIA-1), 신한투자증권

질레베시란 2상(KARDIA-3) 용량별 혈압 변화

■ Placebo ■ Zilebesiran 300 mg ■ Zilebesiran 600 mg



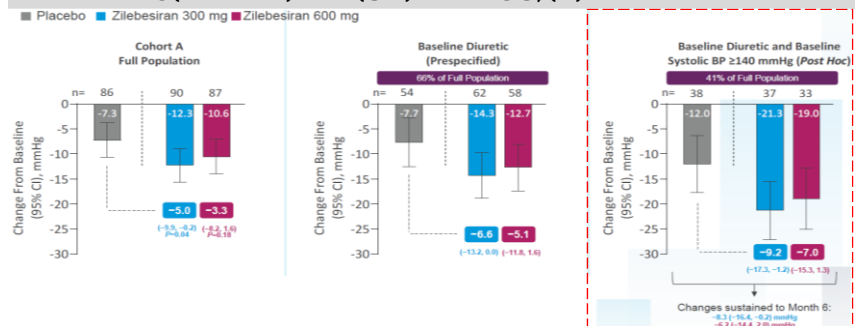
자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

질레베시란 임상 3상(ZENITH)은 고혈압 고위험군(수축기 혈압 ≥ 140) 1.1만명 대상 이노제 병용요법으로 진행 중이다. 1차 지표는 고혈압 표준 치료와 병용 시 심혈관 사건(심혈관 사망, 심근경색, 뇌졸중 및 심부전) 감소이며 최소 2년 추적 예정이다. 기존 치료제가 제공할 수 없는 심혈관 사건 개선 효능을 추가로 입증하는 디자인으로 처방 및 보험 적용 유인이 더 커질 것으로 기대한다.

기존 임상 2상에서 3상과 유사한 조건(이노제 복용 + 수축기 혈압 140 이상) 대상 사후 분석 결과에서 전체 환자군 혈압 대비 추가 개선이 관찰돼 더 유리한 디자인으로 판단한다. 300mg 단위 투약 기준 전체군 혈압 강하는 -12.3(위약 대비 -5.0)였으나 하위 분석군에서는 -21.3(위약 대비 -9.2)로 혈압 강하 효과가 개선됐다. 이노제 활용(나트륨 및 체액 배출) 시 보상경로(나트륨 재흡수)를 질레베시란이 끊어내는 보완적 기전으로 더 강한 혈압 강하 효과를 달성할 수 있다.

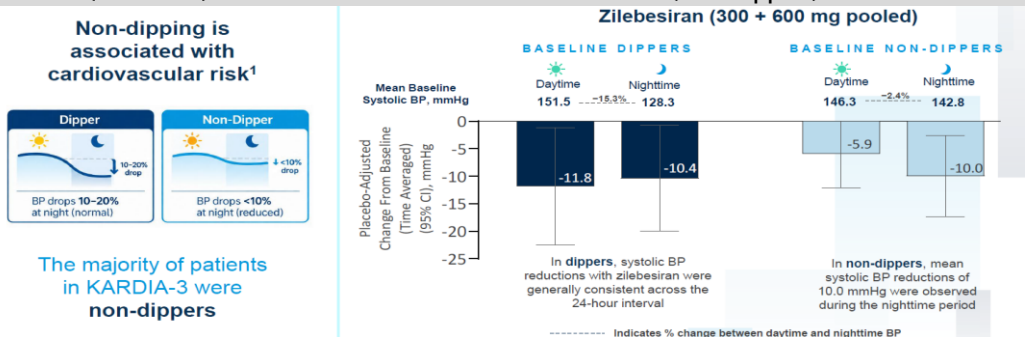
고위험군 환자는 대부분 야간 혈압 조절 능력이 떨어지며 이는 심혈관 사건에도 상당한 영향을 미친다. 질레베시란은 해당 환자들에서도 유의한 야간 혈압 조절 능력을 입증해 심혈관 개선 효과에도 이점이 있을 것으로 본다. 야간에 혈압이 떨어지지 않는 Non-dippers 환자군에서도 야간 혈압이 10 감소하며 낮시간대 5.9 개선보다 더 큰 감소를 보여줬다. 밤낮없는 혈압 조절 효능 및 3상에서 심혈관 사건 개선이 입증될 가능성을 보여주는 데이터로 판단한다.

질레베시란 2상(KARDIA-3) 혈압: (중간) 이노제 병용, (우) 이노제 + 혈압 ≥ 140



자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

질레베시란 2상(KARDIA-3) 주간 및 야간 혈압 변화 비교: 심혈관 고위험군(Non-dippers)에서 유의한 혈압 강하



자료: 회사 자료(2026.09), ESC 2026, 신한투자증권

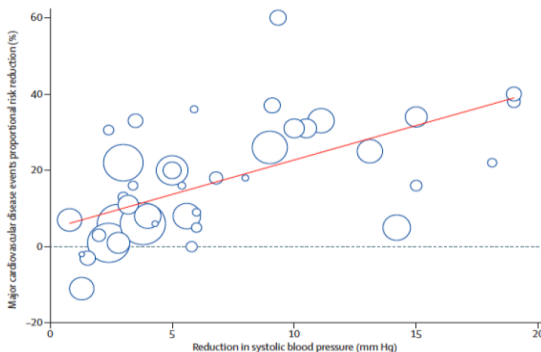
3상(ZENITH)의 핵심은 혈압 강하가 심혈관 사건 개선으로 이어질 수 있는가이다. 혈압-심혈관 사건 메타분석 및 임상 2상의 유의한 혈압 강하 효과를 근거로 성공적인 결과를 전망한다.

2016년 Lancet에 게재된 61만명 메타분석에 의하면 수축기 혈압이 10씩 감소할 때마다 주요 심혈관 사건(Major CV Events) 발생률이 20% 정도 줄어들었다. 2상 기준 혈압 강하 5.0(전체 환자) ~ 9.2(이노제 복용 + 혈압 ≥ 140) 기준으로는 약 10~18% 수준의 심혈관 사건 개선이 계산된다. 임상적 환경이 일관되지 않은 메타분석 기반 추정으로 정확한 수치 가늠은 어렵겠으나, 이번 3상에서도 두 지표의 상당한 경향성이 관찰된다면 효능이 입증되는 결과로 판단할 수 있을 것이다.

현재 11,000명의 대규모 환자를 목표로 등록 진행 중이며 2030년 10월경 임상 최종 종료, 상업화는 2030년 전후가 예상된다. 임상 추적기간이 2년으로 장기인 만큼 그 사이 중간 분석에서 도출된 유의한 데이터를 기반으로 승인 신청도 가능해 상업화 타임라인이 추가 단축될 수도 있다. 상업화 성공 시 주요 7개국 잠재환자 2.2억명 규모 시장에서 연간 1인당 600mg 투약이 필요하다. 3상 본격화 혹은 상업화 가시화 시점에 대규모 원료 수요가 이어질 것으로 판단한다.

BP(혈압) 감소 및 CV(심혈관) 위험간 상관관계 메타분석: 혈압 -10당 주요 심혈관 사건 위험 20% 감소

CV Risk is Lower With Effective BP Reduction



Meta-analysis of 123 studies, 613815 patients

Risk reduction per 10 mm Hg decrease in SBP	
Major CV Events	20%
CHD	17%
Stroke	27%
HF	28%
Renal Failure	5%
All cause mortality	13%

자료: 회사 자료(2026.09), Ettehad D, et al. Lancet 2016; 387: 957-67, 신한투자증권

질레베시란 임상 3상(ZENITH, NCT07181109) 임상 디자인: 주요 심혈관 사건 개선 및 혈압 비교

항목	내용
대상	심혈관 질환 동반 혹은 심혈관 고위험 환자: 이노제 포함 2개 이상 혈압약 복용 중이나 수축기 혈압이 140 이상인 환자
환자 수	11,000명(목표): 35개국, 1,000개 이상 기관 모집 중
투여	질레베시란 300mg SC(Q6M) + 표준치료 vs. 위약 + 표준치료: 1:1 무작위 배정
추적 기간	최소 2년: 임상적 사건이 충분하게 관찰될 때까지 임상 지속
1차 지표	주요 심혈관 사건 발생 시간(심혈관 사망, 심근경색, 뇌졸중, 심부전)
일정	환자 등록 진행 중: 출시 목표 2030년 전후(로슈 공동개발·공동판매)

자료: 회사 자료(2026.09), clinical trials(NCT07181109, ZENITH), 신한투자증권

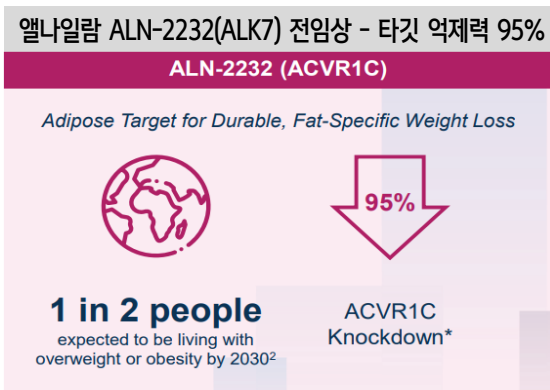
[비만] 엘나일람 ALK7 1상 연내 공개: 비만과 간 외 전달 첫 입증

엘나일람의 ALK7 타깃 비만 유전자 치료제 ALN-2232의 1/2상(1분기 개시) 중간 결과가 4분기에 최초 공개된다. 체중 감량, 제지방 보존 혹은 췌바운드 병용 코호트 데이터 공개 시 GLP-1 시너지, 췌바운드 감량 정도가 핵심 데이터다. 경쟁사 애로우헤드가 1월 공개했던 ARO-ALK7 4~8주차 데이터 혹은 4분기 공개될 추가 데이터와 비교가 가능할 것으로 경쟁구도를 첫 확인하는 의미가 크다.

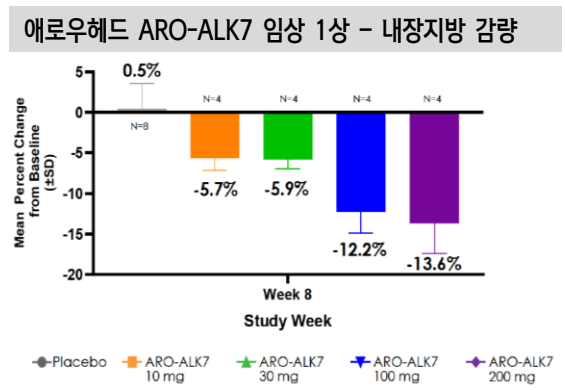
ALN-2232 1/2상은 약 156명 대상 단회 투여(PART A), 반복투여(PART B) 및 췌바운드 병용 반복투여(PART C)로 디자인됐다. 1상부터 별도 췌바운드 병용 코호트를 두며 GLP-1과의 병용을 염두한 물질이다. 경쟁사 애로우헤드와 마찬가지로 파트너 없는 자체 개발 목표 중으로, 앞으로 출시될 비만 제네릭들과 병용하는 전략으로 추정한다. 유전자 치료제로 GLP-1 사용량을 줄여 부작용과 체성분 개선, 장기 유지요법까지 가능할 것으로 기대된다.

저렴한 GLP-1 제네릭과 병용하며 비싼 유전자 치료제 가격이 일부 상쇄될 수 있다는 점도 중요하다. 기존 비만 기업(노보, 릴리 등)들과 직접적인 경쟁 구도가 형성되며 비만 기업들의 유전자 치료제 수요도 함께 커질 이벤트로 판단한다. 이번 엘나일람 1상 및 애로우헤드 ALK7 추가 데이터가 중요한 이유다.

동일한 ALK7 타깃에서 선두인 애로우헤드 ARO-ALK7은 200mg 단회 투여에서 내장지방을 -13.6% 개선하며 ALK7의 기준점을 세웠다. 4분기에 두 기업의 ALK7 데이터에서 ① 투여 용량 및 주기, ② 간/내장지방 및 체중 감량, ③ 근육 보존 능력 등이 직접적으로 비교될 수 있어 주목 필요하다.



자료: 회사 자료(2026.09), 신한투자증권



자료: 애로우헤드(2026.01), 신한투자증권

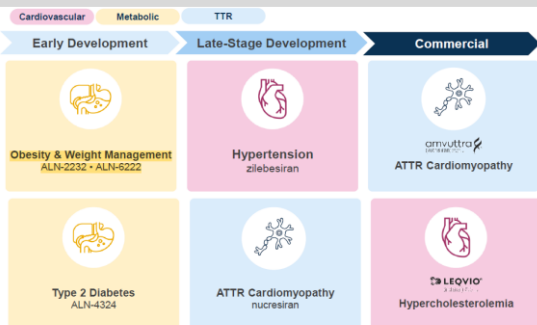
ALN-2232 임상 1/2상(NCT07463846) 임상 디자인: ALK7 단독 및 췌바운드 병용 시너지 평가

항목	내용
대상	BMI 30~40이며 당뇨병이 없는 비만 성인: 156명
투여	PART A: 단회 투여(vs. 위약) / PART B: 반복 투여(vs. 위약) / PART C: ALN-2232 + 췌바운드 반복 투여(vs. 췌바운드 단독)
1차 지표	안전성 및 내약성
일정	1분기 첫 투여: 연내 첫 데이터 공개, 2028년 3월 종료 예정

자료: clinical trials(NCT07463846), 신한투자증권

엘나일람은 비만을 ATTR(암부트라) → 고지혈증(랙비오) → 고혈압(질레베시란) 이후 심혈관 시장의 핵심으로 보고있다. 빠른 임상 개발 및 향후 심혈관 개선 능력 입증 임상이 추가될 것으로 예상된다. 2050년 기준 비만으로 인한 심혈관 위험 인구는 약 2.59억명으로 추정되며 고혈압 3.84억명 다음으로 잠재 환자가 많다. ALK7 치료제 중 심혈관 개선 능력을 선제적으로 입증할 시 보험 적용 및 환자 수요 확보에 큰 도움이 될 것이다. 간의 INHBE 타깃인 ALN-6222도 임상 1상 단독요법 순항 중으로, 향후 병용 혹은 이중 표적까지 기대할 수 있다.

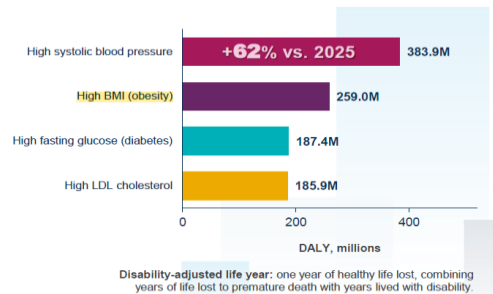
엘나일람 심혈관 질환 포트폴리오: 비만 2종 포함



자료: 회사 자료(2026.09), 신한투자증권

2050년 기준 심혈관 부담 위험 요인별 인구 수

CVD BURDEN BY RISK FACTOR in 2050²



자료: 회사 자료(2026.09), 신한투자증권

엘나일람 최초의 전신투여 간 외 전달 임상 결과라는 점도 중요하다. 간 전달 기술인 GalNAc을 최초 개발 및 상업화했으나 간 외 전달에서는 명확한 결과가 없었다. 이번 ALN-2232 데이터 중 ALK7 억제 및 노출 정도를 통해 전달력을 판단할 수 있을 것이다. 이는 지방조직에만 국한될 결과가 아니며 엘나일람이 표방한 2030년까지 10개 조직 전달 목표의 가능성을 판단할 첫 근거다. 향후 엘나일람 포트폴리오 확장성에 있어서 중요한 분기점으로 의미는 더 크다.

연내 엘나일람과 경쟁사 애로우헤드가 공개할 ALK7 데이터가 기존 비만 치료제 대비 경쟁력을 보여주는 것이 ALK7의 가치를 높일 트리거다. 1월 공개된 ARO-ALK7 내장지방 데이터만으로 GSK/시란(10억달러), 로슈/로나(11.6억달러) 등 대형 계약이 체결됐다. 국내 올릭스가 유일한 L/O 목표 ALK7 에셋을 보유하고 있어 가장 큰 수혜가 기대돼 이번 결과에 특히 주목 필요하다.

ALK7 타깃 siRNA 현황

기업	물질	임상 단계	비고
애로우헤드	ARO-ALK7	임상 1/2a상	[자체 개발] 유일한 인체 데이터 공개
엘나일람	ALN-2232	임상 1/2상	[자체 개발] 췌바운드 병용 투여 코호트 존재, 연내 결과 공개 예정
GSK/시란	SA030	임상 1상	[L/O 완료] 계약규모 1.3조원(10.05억달러)
올릭스	OLX501A	전임상	[L/O 목표] 2027년 임상 1상 IND 예정, 영양류에서 표적 억제 -89%
로슈/로나	-	전임상(추정)	[L/O 완료] 계약규모 1.6조원(11.6억달러)

자료: 각 사, 신한투자증권

[고지혈증] 내년 렉비오 심혈관 3상 성공 시 타깃 환자 무려 4배↑

노바티스와 공동개발한 렉비오(PCSK9 타깃)는 연 2회 투여 고지혈증 치료제다. 작년 단독요법 승인 후 매출 12억달러(1.7조원)를 기록하며 만성질환 유전자 치료제 최초의 블록버스터에 등극했다. 내년 발표될 심혈관 사건 개선 3상(ORION-4) 성공 시 ASCVD(죽상경화성 심혈관질환)까지 확장될 수 있어 타깃 환자는 4배(6,500만명 vs. 고지혈증 1,600만명), 2033년 매출 40억달러로 고속성장 가능성이 예상된다. 엘나일람 최초의 대규모 심혈관 사건 개선 입증으로, 고혈압/심혈관 질레베시란 및 비만/심혈관 ALN-2232(ALK7)에도 중요한 선례다.

3상 결과는 성공적일 것으로 판단한다. ORION-4는 ASCVD 환자 16,000명 대상으로 심혈관 사건 감소 여부를 약 5년간 추적하는 임상인데, 렉비오의 표적과 동일한 PCSK9을 억제하는 항체 의약품인 암젠의 레파타가 이미 심혈관 사건 감소(HR 0.85, 상대 위험 15% 감소)를 입증해 상업화된 선례가 있다. 렉비오 3상 결과인 LDL-C 50% 및 레파타 대비 더 긴 추적 시간을 고려하면 렉비오는 HR 0.80, 상대 위험 20% 수준의 결과가 기대된다. 레파타가 월 1회 투약임에도 작년 매출 30억달러, 피크 50억달러가 예상되기 때문에, 연 2회 투약의 편의성을 앞세운 렉비오가 현재 추정되는 40억달러 보다 큰 매출을 기록할 가능성도 있다.

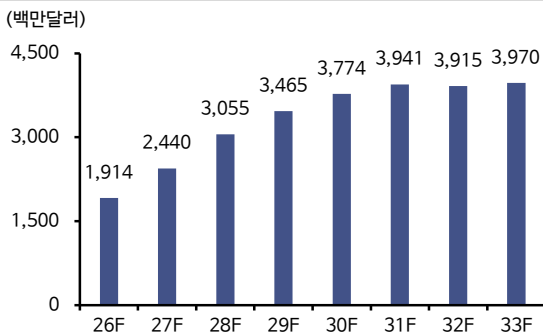
적응증 및 시장 확장을 기점으로 원료 수요의 폭증도 전망된다. 단 5%의 침투율만 가정해도 연 1.95톤의 원료가 필요한데, 이는 핵심 CMO 에스티팜의 현재 CAPA인 3톤의 65% 수준이다. 노바티스/엘나일람의 자체 생산으로 일부분 충당하겠으나 상업화 물량 대부분은 CMO 사용 확대에 이어질 것으로 판단한다.

렉비오 CVRR 3상 ORION-4 (NCT03705234) 임상 디자인

항목	내용
설계	이중맹검, 위약 대조 무작위 배정
모집 대상	죽상경화성 심혈관질환(ASCVD) 유병자: 16,124명
투약 방법	렉비오 300mgSC(초기 2회 Q3M → Q6M) + 표준치료 vs. 위약 + 표준치료
임상 기간	약 5년 → 2026년 하반기 추적 종료, 2027년 초 탑라인 발표
1차 평가변수	심혈관 사건 MACE(사망, 심근경색, 뇌졸중, 긴급 재관류술 치료 등) 최초 발생 시간

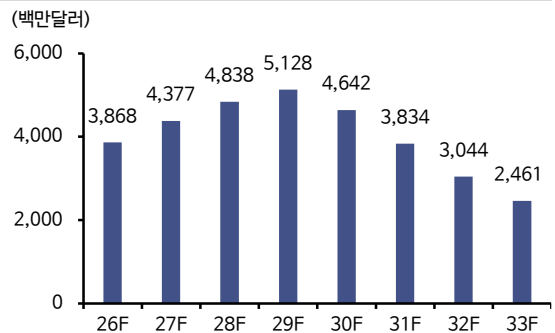
자료: Am Heart J(2026), clinicaltrials.gov, 신한투자증권

노바티스 PCSK9 siRNA 렉비오 매출 전망



자료: Evaluate Pharma, 신한투자증권

암젠 PCSK9 항체 레파타 매출 전망



자료: Evaluate Pharma, 신한투자증권

만성질환 치료제 생산 전략: 메인은 CMO, 자체 역량도 준비 중

엘나일람 개발 물질별 생산 CMO는 판매 권리를 가진 파트너사가 결정하는 것으로 추정된다. 엘나일람이 자체 판매하는 암부트라, 온파트로 등은 미국 애질런트사와 자체 공장을 주로 이용한다. 파트너사 물질 중 대표적인 렉비오(노바티스)는 국내 에스티팜을 주요 CMO로 활용하는 것으로 추정된다. 렉비오는 에스티팜의 최대 수주(2.75억달러 이상 추정) 물질로 추정된다.

질레베시란은 파트너사 로슈가 미국 외 개발 및 상업화 권리를 갖고있어 CMO 선택권이 있을 것으로 추정되며 고혈압 환자 규모를 고려하면 미국 내 공급 역시 로슈가 주도할 가능성도 높다. 에스티팜이 임상 원료를 공급한 것으로 추정되며 큰 문제가 없었다면 상업화 물량까지 발주가 이어질 것으로 예상된다.

로슈는 2020년 10월 에스티팜 설비투자 무상지원 계약(총 6,520만달러)을 체결한 글로벌 제약사로 추정돼 그 개연성은 더욱 높다. 2분기 기준 해당 계약의 잔고는 1,940만달러(270억원)이며 계약기간은 2030년 12월까지다. 질레베시란의 상업화 목표 시기와 유사한 기간으로 초기 상업화 물량부터 대형 발주가 이어질 수 있다는 점도 중요하다.

질레베시란도 렉비오급의 톤 단위 원료 수요가 예상된다. 3상 디자인 상 300mg을 받기 2회 투여해 연간 600mg 투약이 필요하다. 주요 7개국 고혈압 위험 환자 6,000만명 중 1%만 처방받아도 연간 0.36톤, 5%에서 연간 1.8톤의 원료가 필요할 것으로 계산된다. 2030년 기준 에스티팜 CAPA는 약 5톤 정도로 추정되는데 렉비오와 질레베시란 단 2개 물질의 합산만으로 3.75톤(침투율 5%)이 필요하다. 일부 물량 배정만으로 CAPA 대부분이 채워질 수 있는 상황이다.

엘나일람 주요 RNA 만성질환 신약 침투율 가정별 필요 원료량 추정

자산	파트너사	기전	적응증	침투율 가정별 필요 원료(kg)				타깃 환자 (백만명)	용량 ×연간 횟수
				1%	5%	10%	20%		
렉비오 (인클리시란)	노바티스	siRNA	[만성] 심혈관(ASCVD)	390 (1.95톤)	1,950 (3.90톤)	3,900 (7.80톤)	7,800 (15.6톤)	65	300mg×2 (600mg)
			[만성] 고콜레스테롤혈증	96 (0.48톤)	480 (0.96톤)	960 (1.92톤)	1,920 (3.84톤)	16 (스타틴 불응)	300mg×2 (600mg)
질레베시란	로슈	siRNA	[만성] 고혈압(고위험군)	360 (0.36톤)	1,800 (1.80톤)	3,600 (3.60톤)	7,200 (7.20톤)	60	300mg×2 (600mg)
뉴클레시란	-	siRNA	[희귀] ATTR 심근병증	0.9	4.5	9.0	18.0	0.15	300mg×2 (600mg)
암부트라 (부트리시란)	-	siRNA	[희귀] ATTR 심근병증	0.2	0.8	1.6	3.2	0.15	26.5mg×4 (106mg)

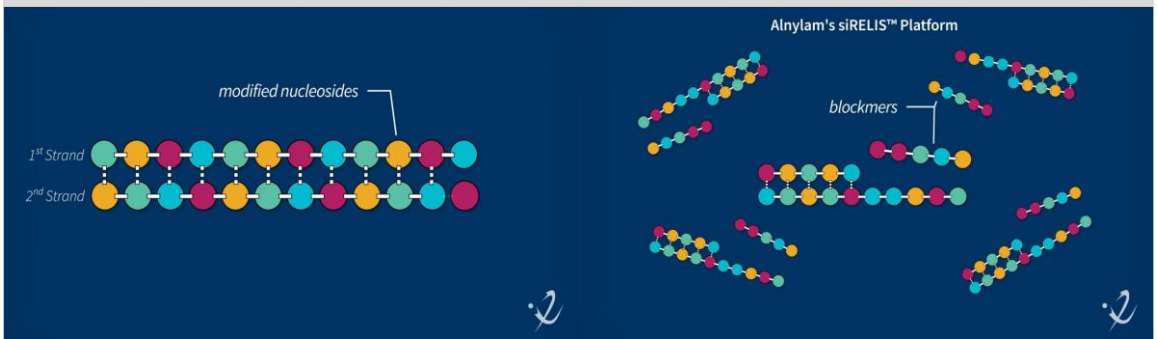
자료: 각 사(타깃 환자 수), DelveInsight(7MM ASCVD, 2025), FDA Label(용량 및 투약), 신한투자증권

앨나일람도 원료를 확보하기 위해 투자를 지속 중이다. 2025년 12월 2.5억달러를 투자해 자체 공장에 효소적 라이게이션(Enzymatic ligation, 효소 결합) 생산 플랫폼 siRELIS를 구축했다. 짧은 길이의 고순도 블록머를 효소로 이어 붙이는 방식으로 효율적인 생산 및 원가를 줄일 수 있다고 설명한다. 질레베시란과 뉴클레시란으로 공정 검증을 완료했으며 내년말 완전 가동이 목표다.

자체 생산하는 제품 중 희귀질환 치료제(암부트라, 뉴클레시란)는 원료 확보가 가능한 수준으로 판단되나, 수천만명 규모의 만성질환 치료제 상업화 물량을 소화할 규모는 아니다. 렉비오의 CMO 결정권은 여전히 노바티스에 있으며, 질레베시란도 로슈가 CMO 선정을 주도할 것으로 전망된다.

에스티팜도 수율 개선을 위한 효소적 라이게이션과 액상 올리고 합성(LPOS)를 차세대 공정으로 확보 중이다. 기존 고상 합성 라인과 병행해 원가와 생산 기간을 줄이는 전략으로 판단된다. 다양한 고객사의 서열·변형·스케일에 대응 가능해 렉비오, 질레베시란 등 앨나일람의 다양한 에셋에도 적용이 용이할 것으로 본다.

앨나일람 siRELIS: 짧은 길이의 블록머를 효소로 붙여 siRNA 구조 완성

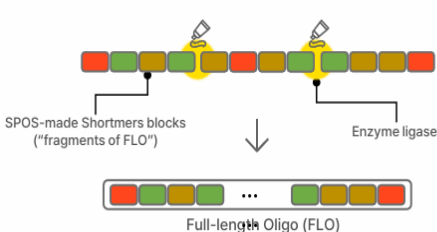


자료: 회사 자료(2025.12), Youtube(Alnylam's siRELIS(TM) Enzymatic Ligation Platform), 신한투자증권

에스티팜 하이브리드 효소적 라이게이션 공정

- 1 Phosphoramidite 기반 방식으로 shortmer 및 oligomer fragment 합성
 - 2 효소를 통해 shortmer들을 full-length oligo로 연결
- * 기술 상용화를 위해 글로벌 제약사/고객사 총 3사와 공동 연구 진행 중

Hybrid Enzymatic Ligation

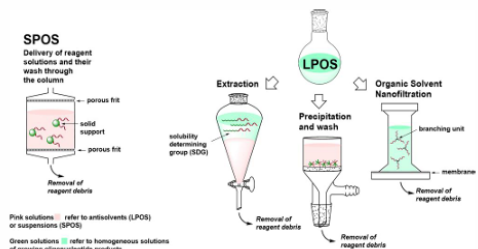


자료: 에스티팜(2026.07), 신한투자증권

에스티팜 LPOS(액상 올리고 합성) 기술

- 1 Blockmer/shortmer를 Small Molecule 방식으로 대량 합성
 - 2 보다 효율적인 Enzymatic Ligation 공정을 위한 차세대 올리고 생산법
- * LPOS 전용 액상 resin 라이선스 확보로 연구개발 진행 중

Liquid Phase Oligonucleotide Synthesis



자료: 에스티팜(2026.07), 신한투자증권

[희귀질환] ATTR, 단기 가이드스는 하향됐지만 고점은 높아졌다.

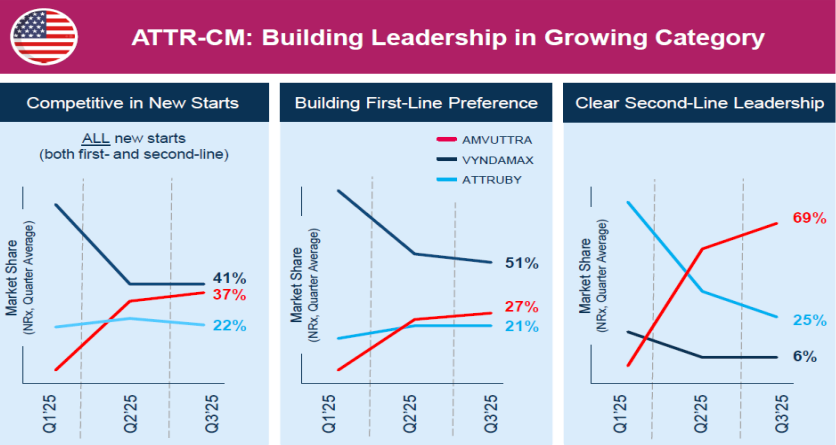
올해 2분기 암부트라 매출 10.1억달러가 컨센서스를 약 4% 하회하며 엘나일람도 연간 ATTR(아밀로이드증) 프랜차이즈(암부트라, 온파트로 등) 매출 가이드스를 42~45억달러로 2억달러 하향했다. 그 영향으로 주가는 당일(7월 30일) 28% 하락(286달러 → 205달러) 했으며 아직 회복되지 않았다.

다만 단기 가이드스의 하향이 암부트라 성장의 끝을 의미하진 않는다. 이번 가이드스 하향 원인으로 엘나일람은 2차 치료 수요의 정상화를 언급했다. ATTR은 1차 치료로 ATTR 안정제(불안정한 단백질 구조를 잡아주는 역할)를 사용하며 안정제 투약 후에도 질병이 진행되면 암부트라 등 유전자 치료제가 활용된다.

작년 3월 암부트라가 ATTR-CM(심근병증)으로 적응증을 확장하자 신규 치료 옵션을 기다리던 2차 치료 신규 환자가 한꺼번에 암부트라로 전환됐다. 당시 (2025년 3분기) 2차 치료 신규 처방 중 69%가 암부트라였다. 폭발적인 수요에 비해 공급은 제한적이었고 그 대기 수요가 올해 1분기까지 암부트라 성장을 이끈 것으로 추정된다.

2025년 3분기 ATTR-CM 치료제 신규 처방의 80%가 1차 치료에서 발생되는데, 암부트라의 1차 치료 점유율은 27%로 안정제 1위 약물 화이자의 빈다맥스 51% 대비 열위다. 1차 치료제 영역에서 신규 처방이 늘어나는 것이 암부트라 향후 성장의 핵심이며 가능할 것으로 기대한다.

미국 ATTR-CM 치료제 단계별 점유율: 2차 치료 암부트라가 장악, 1차 치료는 아직

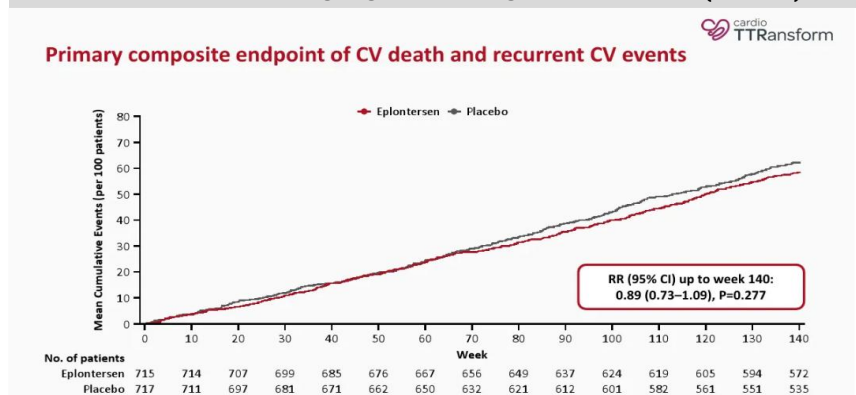


자료: 회사 자료(JPM 2026), 신한투자증권

1차 치료 확대 신호와 경쟁 구도도 개선 중이다. ATTR-CM 적응증 확장 후 신규 처방 의사가 1,700명 이상 늘었으며 해당 의사들 중 절반이 암부트라를 신규 환자에 처방했다. 아직 ATTR 처방 의사 중 2/3이 처방 이력이 없어 추가 성장 여력도 높다고 볼 수 있다. 실제 처방 데이터가 누적되며 신규 의사들의 처방 개시도 시간 문제로 보고있다.

올해 7월 경쟁약물 아스트라제네카의 에플론터센(월1회 ASO)의 심근병증 3상 실패는 경쟁 강도를 낮추는 이벤트다. 1,432명 대상으로 심혈관 사망 및 재발 사건을 측정했으나 위약 대비 HR 0.89로 상대 위험 감소 11%에 그치며, 암부트라가 계속해서 유일한 심근병증 효능을 입증한 유전자 치료제로 남게됐다. 안정제 빈다맥스의 제네릭 출시가 미국 2031년으로 연기된 점도 수익성에서 긍정적이다.

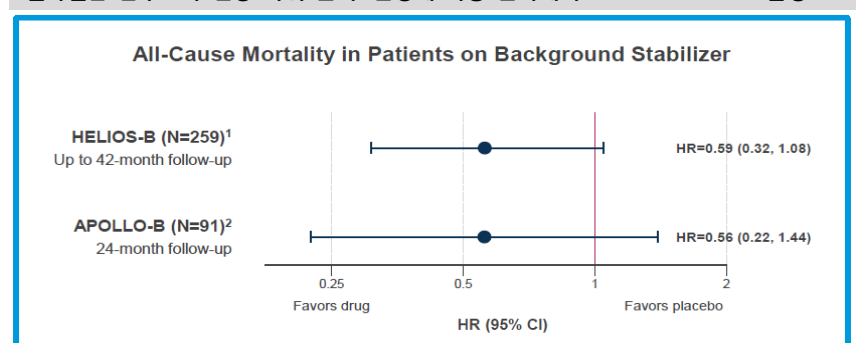
아스트라제네카 에플론터센 임상 3상: 위약 대비 상대 위험 감소 11%(HR0.89)



자료: ESC 2026, 신한투자증권

이번 에플론터센 결과에서 안정제 병용 환자군의 이점이 관찰되지 않았고 이를 기전 전체의 문제로 보는 시각이 있으나 그럴 가능성은 낮다고 본다. 암부트라의 경우 임상 하위분석에서 안정제 병용환자에서 HR 0.59 ~ 0.56이 확인됐으며 상대 위험 감소 44~41% 수준이다. 다만, 신뢰구간이 1을 포함해 통계적으로 확실한 결과는 아니지만 긍정적 경향성이 있다는 점은 명백하다.

엘나일람 암부트라 임상 하위 분석: 안정제 사용 환자에서도 HR 0.59~0.56 달성



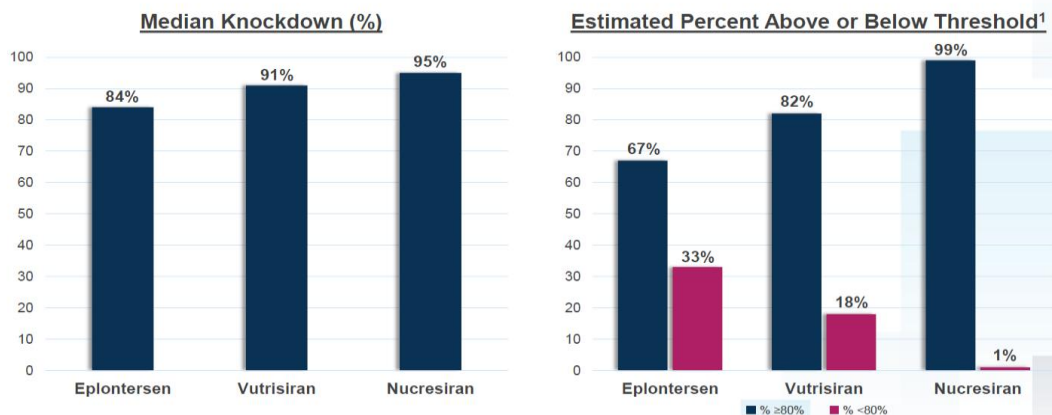
자료: 회사 자료(2Q26), 신한투자증권

앨나일람은 에플론터센의 임상 실패를 낮은 TTR 억제율로 보고있다. 에플론터센(월1회, 35주차)과 앨나일람의 암부트라(분기 1회, 18개월) 및 뉴클레시란(1상 기반 모델 예측)의 TTR 억제율을 비교하면 에플론터센 84%, 암부트라 91%, 뉴클레시란 95%로 앨나일람 두 개 에셋이 월등히 높은 것으로 추정된다. 80% 이상 억제 확률은 에플론터센 67%, 암부트라 82%, 뉴클레시란 무려 99%다.

임상적 효능을 만들어내는 TTR 억제 수준이 검증된 것은 아니지만 유효성 측면에서 상당한 관계성이 있을 것으로 추정된다. 그 검증은 현재 진행 중인 뉴클레시란 ATTR-PN(다발신경병증) 3상 및 ATTR-CM(심근병증) 3상에서 확인될 수 있다. ATTR-PN은 출시 목표가 2028년으로 임상 결과는 내년 하반기 중 공개된다. 암부트라 이후 ATTR 프랜차이즈를 책임질 핵심 물질로 큰 관심 필요하다.

TTR 억제 유전자 치료제별 억제력 비교: (좌) TTR 감소율 중앙값, (우) TTR 80% 이상 감소 환자 비율

RNAi Drives Deep, Consistent Knockdown of TTR



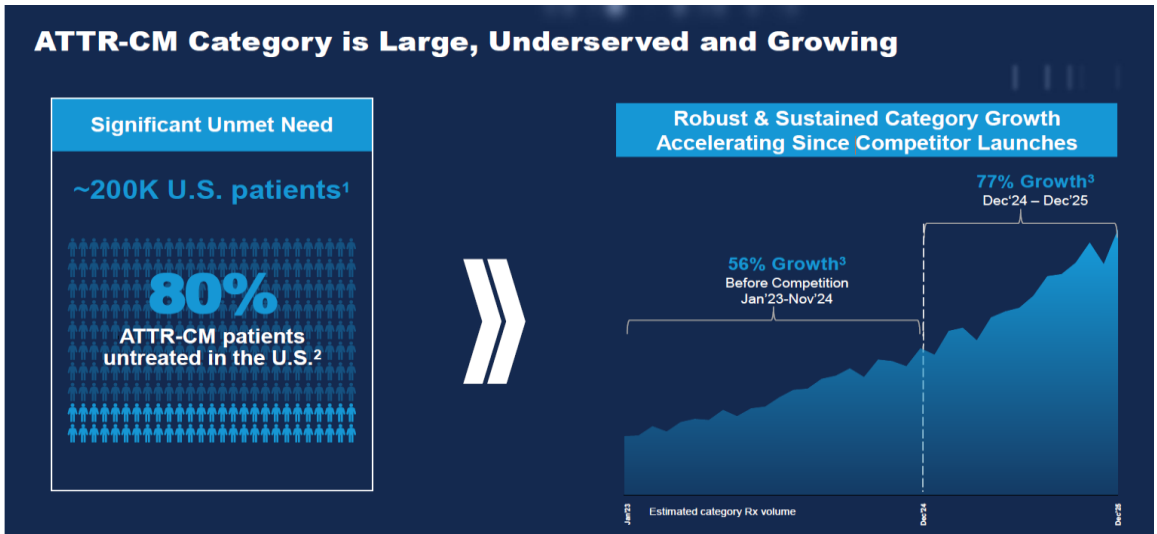
Eplontersen data: NEURO-TTRtransferrin; Vutrisiran data: HELIOS-A; Nucleosiran data: model predicted using Phase 1 data (300 mg Q6M). Steady state KD numbers are based on week 35 data for eplontersen and M18 data for vutrisiran and nucleosiran. The proportion of patients are model-based approximate estimates and calculated using observed (eplontersen and vutrisiran) or predicted (nucleosiran) median & IQR and lognormal distribution assumption. ¹ Polydefkis, et al. ISA 2018

자료: 회사 자료(2Q26), 신한투자증권

결론적으로, 올해 가이던스는 2차 치료 대기수요 소화를 반영해 조정이 완료됐으며 암부트라의 성장 핵심인 1차 치료에서도 경쟁 완화 및 처방 확대가 이어지는 상황이다. 미국 ATTR-CM 환자는 약 20만명이나 그 중 80%가 치료를 받고있지 않고있다. 앨나일람은 해당 환자들을 우선적으로 공략하며 1차 치료 점유율을 늘려갈 계획이며 해당 전략의 현실성은 3~4분기 실적에서 확인될 것이다.

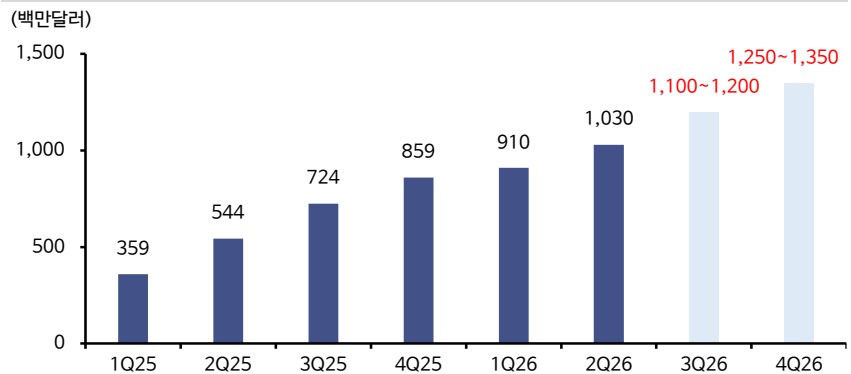
하향된 가이던스(42~45억달러)를 맞추려면 하반기 ATTR 제품 매출은 약 22.6~25.6억달러가 필요하다. 분기별 성장세를 고려해도 3분기에 최소 11~12억달러의 매출 발생이 필요하며 이번 앨나일람 3분기 실적의 최대 관전 포인트로 주목 권고한다. 만약 해당 수치 하회 시 컨센서스 추가 하락이 발생할 것으로 본다.

미국 내 ATTR-CM 잠재 환자 20만명 중 80%가 미치료 / ATTR-CM 카테고리 처방 작년 77% 성장하며 상승세



자료: 회사 자료(TTR Investor Webinar), 신한투자증권

엘나일람 ATTR 프랜차이즈 가이드런스 예상 경로: 3분기 실적에서 성장세 확인 필요



자료: Evaluate Pharma, 신한투자증권 / 주) 암부트라 + 온파트로 매출 합산

시장은 ATTR을 과도하게 우려하고 있으나 엘나일람의 핵심은 고혈압과 비만으로 이동하고 있다. 로슈와 공동개발 중인 연 2회 투여 고혈압 치료제 질레베시란은 이노제를 복용하는 고위험군 1.1만명 대상 3상 진행 중이며 2030년 전후 상업화 목표다. 잠재환자만 약 6,000만명이고 환자당 연 600mg 투여가 필요해 톤단위의 원료가 필요하다. 에스티팜이 임상 원료 공급한 것으로 추정되며 상업화 물량 수주로 이어질 가능성 높다고 판단한다.

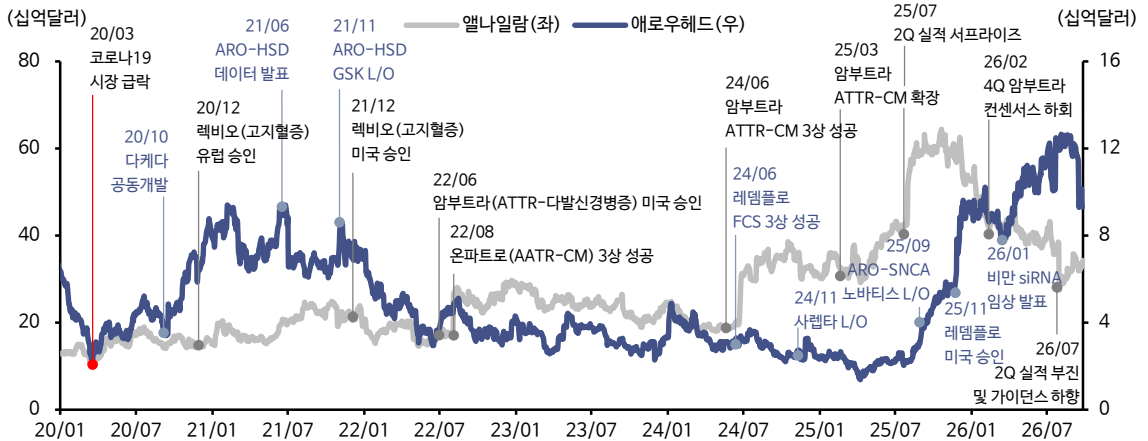
연내 엘나일람의 첫 지방 조직 타깃 물질이자 비만 치료제 ALN-2232(ALK7)의 1상 결과도 공개된다. 경쟁사 애로우헤드의 ARO-ALK7 신규 데이터와의 비교로 비만 유전자 치료제 경쟁 구도가 처음 확인되며 ALK7의 가치를 높일 트리거로 판단한다. ATTR 우려보다 고혈압·비만이 이끌 산업 성장에 주목 권고한다.

엘나일람 2026년 4분기 ~2027년 핵심 이벤트

시기	이벤트	체크포인트
4Q26	ALN-2232(ALK7) 비만 임상 1상 결과	체중 및 내장/간 지방 변화, ARO-ALK7 대비 효력 (공개 시) GLP-1 시너지 여부
2026	ATTR(암부트라, 온파트로) 1차 처방 추이 확인	연매출 42~45억달러 달성 여부, 1차 치료 전환 기반 성장세 유지 여부 판단
1H27	렉비오 심혈관 사건 3상 결과	주요 심혈관 사건(MACE) 개선 정도, 렉비오 시장 규모 확대에 추가 물량 발주 전망
2027	질레베시란 고혈압/심혈관 사건 3상 환자 모집	1.1만명 등록 목표: 3상부터 대규모 원료 수요 필요해 CMO 계약 진전 기대

자료: 회사 자료, 언론 종합, 신한투자증권

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



자료: Bloomberg, 신한투자증권