

## 제약/바이오

제약/바이오 김정현 3771-9351  
[jh.kim@iprovest.com](mailto:jh.kim@iprovest.com)

### [세계는 그리고 우리는] 세포치료제 편 (큐로셀,애플론)

- Car-T 세포치료제 시장은 23년 35~40억\$에서 향후 6~7년 내 최소 100억\$까지 성장 전망
- 기존 Car-T 경쟁은 승인 순서 보다는 후속 임상에 따라 정해져. Yescarta, Carvykti가 Best-In-Class로 등극
- 최근 과거 대비 세포치료제에 대한 관심은 낮아졌으나 여전히 상업성 높은 파이프라인 투자 이어져.
- 항암제 이외 자가면역질환/만성심부전 적응증 대상 세포치료제에 대해 빅파마가 투자를 진행 중
- 국내에서는 큐로셀/애플론 등이 임상을 진행 중. 특히 큐로셀은 24년 승인 신청하고 25년 중순 제품 출시 목표

- 21년까지 세포치료제는 유전자치료제와 함께 글로벌 모험 자본의 최선호 투자 섹터. 세포치료제 중 Car-T는 혈액암 적응증에서 뛰어난 효능을 증명. 특히 Gilead의 Yescarta가 22년 매출 11.6억\$를 기록하며 최초의 블록버스터 세포치료제로 성장. 또한 전체 Car-T 시장 규모는 23년 35~40억\$ 시장으로 성장했으며 향후 6~7년 내 최소 100억\$ 이상까지 성장할 것

- 현재 주목할 점은 후속 임상 결과에 따라 개별 치료제의 상업성은 크게 달라졌다는 것. 예를 들어 Gilead의 Yescarta는 성공하고 Novartis의 Kymriah는 DLBCL 3차 치료제로 함께 승인 받았으나 2차 치료제 임상에서 Yescarta는 성공하고 Kymriah는 실패하면서 Yescarta의 예상 Peak Sales는 크게 상향. 또한 다발성골수종에서는 BMS의 Abecma가 FDA 승인은 먼저 받았으나 J&J의 Carvykti가 훨씬 뛰어난 효능을 증명.

- 다만 최근 임상 단계 세포치료제 파이프라인에 대한 투자 매력도는 낮아진 편. 이는 바이오텍에 대한 투자 선호도가 하락한 것이 가장 큰 원인이나 동 분야에 혁신이 두드러지지 않았던 것도 또 하나의 원인. 세포치료제는 1) 혈액암을 넘어서 고형암에서는 효능을 증명하지 못하고, 2) 동종 세포치료제 개발에 난항을 겪었으며, 3) 관해 이후 재발 가능성도 높아. 따라서 기존의 Unmet Needs를 해소하는 구체적인 상업화 계획 없는 바이오텍의 시가총액은 하락을 피할 수 없어

- 그럼에도 상업성 높은 세포치료제에 대한 투자 이어져. NK세포 보다는 Car-T, 고형암보다는 혈액암 중심으로 빅파마의 투자 이어져. 또한 CD20/GPRC5D 등의 혈액암 신규 표적이 관심을 받고 있어. J&J는 CD19/CD20 이중저해 기전의 림프종 Car-T 치료제에 대규모 투자를 집행했으며 BMS도 GPRC5D 표적 다발성골수종 Car-T 치료제 허가 임상에 진입. 또한 중소형 바이오텍 중 차별화 전략을 가진 Autolus Therapeutics에도 주목해볼 필요. Autolus의 obe-cel은 경쟁자가 많은 림프종이 아니라 희귀암인 성인 백혈병(ALL)으로 후기 임상을 진행. 이후 성공적인 임상 결과 발표 후 23년말까지 FDA에 BLA 신청 예정. 참고로 obe-cel은 기존 CD19 Epitope인 FMC63을 사용하는 대신 KAT을 표적 삼았던 점도 차별화 포인트

- 항암제 이외의 적응증 세포치료제에 대한 적극적인 투자 움직임도 흥미로운 점. Eli Lilly는 당뇨병 세포치료제를 개발 중이 Sigilon Therapeutic를 3.1억\$에 인수하였으며 Amgen은 크론병 세포치료제를 개발 중인 Tscan과 기술 이전 계약을 체결. 또한 Novo nordisk는 만성심부전 세포치료제 개발을 위해 재단 설립 위해 1.3억€ 투자 발표.

- 국내에서는 큐로셀(11월 상장 예정), 애플론, 티카로스(비상장) 등이 Car-T 임상 진행 중. 이 중 큐로셀이 가장 빠르게 치료제를 개발하고 있으며 애플론이 뒤를 이어. 항체 치료제와 달리 세포치료제는 다수의 맞춤형된 생산 사이트 구축이 필요해 글로벌 제약사의 국내 진입이 쉽지 않아. 예를 들어 FDA로부터 DLBCL 2차 치료제로 승인 받고 사실상 DLBCL Best-In-Class인 Yescarta는 국내 승인을 아직 받지 못해. 자체 생산 사이트 구축이 되어 있고 국내 초대형 병원의 혈액종양내과와 협업을 진행할 수 있다면 국내 치료제도 상업적 성공 가능성이 있다고 판단. 큐로셀의 경우 23년 내 2상을 종료하고 24년 식약처 승인을 신청할 것. 경쟁 약물인 Kymriah가 제조에 4~6주 가량 소요되는데 비해 큐로셀의 경우 16일까지 단축할 수 있을 것으로 기대되는 점 역시 차별화 포인트.

# 1. 지금까지의 Car-T 성공

세포치료제(Car-T) 시장  
23년(e) 35~40억\$  
30년(e) 최소 100억\$

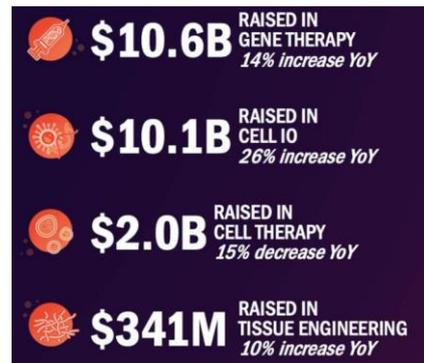
20년~21년까지 세포치료제는 유전자치료제와 함께 글로벌 모험 자본의 최선호 투자 섹터였다. 대표적인 세포치료제인 Car-T는 혈액암에서 뛰어난 효능을 증명하고 기적의 항암제라는 호칭을 얻기도 하는 등 놀라운 혁신을 이뤄냈다. 17년 FDA가 Novartis의 Kymriah가 최초 승인을 받은 이후 현재까지 CD19 4종 / BCMA 2종 등 총 6종의 Car-T 치료제가 승인을 받았으며 이 중 Gilead의 Yescarta가 22년 매출 11.6억\$를 기록하며 최초의 블록버스터 세포 치료제가 되었다. 또한 6종 치료제의 23년 합계 매출은 35~40억\$까지 성장할 것으로 예상되고 있으며 향후 6~7년 내 100억\$ 이상의 시장이 될 것으로 추정한다. 그리고 Car-T 투약 후 재발 환자에 대한 임상시험이 진행되는 GPRC5D 표적이나 CD19/CD20 Dual 표적 후속 임상 결과에 따라 Car-T 시장 추정치는 추가적으로 확대될 수 있다.

[도표 1] Cell & Gene Therapy 글로벌 투자 동향



자료: labiotech, 교보증권 리서치센터

[도표 2] 면역항암세포치료제 2021년 투자 YoY +26%



자료: labiotech, 교보증권 리서치센터

[도표 3] 6종의 CAR-T 치료제 연간 매출 추이와 예상 Peak Sales(단위: 백만\$)

Brand Name	Kymriah	Yescarta	Tecartus	Breyanzi	Abecma	Carvykti	합계 매출
Generic Name	tisa-cel	axi-cel	brexu-cel	liso-cel	ide-cel	cilta-cel	
Company	Novartis	Gilead	Gilead	BMS	BMS	J&J	
Target	CD19	CD19	CD19	CD19	BCMA	BCMA	
출시일	2017-08-30	2017-10-18	2020-07-24	2021-02-05	2021-05-24	2022-02-28	
2017	6	7					13
2018	76	264					340
2019	278	456					734
2020	474	563	44				1,081
2021	587	695	176	87	164		1,709
2022	538	1,160	299	182	388	103	2,670
1H23	264	739	177	171	279	189	1,819
Peak Sales (e)	5~6 억\$	25~30 억\$	5~6 억\$	15~20 억\$	15~20 억\$	40~45 억\$	최소 100억\$ 이상

자료: 교보증권 리서치센터

## 2. 달라지는 혈액암 Car-T 경쟁 구도

후속 임상에 따라  
크게 달라지는 상업성

혈액암 중심의 현재 Car-T 경쟁 구도는 크게 1) 후속 임상 결과 2) 적응증 전략에 따라 달라졌다. 우선 Gilead의 Yescarta, Novartis의 Kymriah 등 CD19 Car-T는 DLBCL 3차 치료제 임상까지는 성공하였으나 2차 임상에서 Gilead의 Yescarta, BMS의 Breyanzi는 성공하고 Novartis의 Kymriah는 실패한 바 있다. 이후 Yescarta의 예상 Peak Sales 크게 상향되고 Kymriah에 대한 기대감은 낮아졌다. 또한 BMS의 Abecma, J&J Carvykti 등 BCMA 표적 다발성골수종 시장에서 Abecma가 FDA 승인을 먼저 받았으나 J&J의 Carvykti 가 훨씬 뛰어난 효능을 증명하며 더 높은 상업적 기대감을 받고 있다. 또한 Gilead의 Tecartus는 희귀암 종인 성인 백혈병(ALL) 시장에서 유일한 Car-T 치료제로 자리잡음에 따라 역시 매출이 빠르게 성장하고 있다.

[도표 4] CD19 Car-T 임상 결과 비교, 음영은 상업화를 결정한 2차 치료제 임상 (단위: 백만\$)

Company	Name	Clinical Trial	Indication	Result(괄호는 대조군인 SOC)
Gilead	Yescarta	ZUMA-1 NCT02348216, n=101	DLBCL 3L	ORR 82%, CR Rate 54%, OS rate at 18m 52%
		ZUMA-7 NCT03391466, n=359	DLBCL 2L	ORR 83% (vs 50%), CR Rate 65% (vs 32%), EFS 8.3m (vs 2.0m)
		ZUMA-12 NCT03391466, n=40	DLBCL 1L	ORR 89%, CR Rate 78%
Novartis	Kymriah	JULIET NCT02445248, n=115	DLBCL 3L	ORR 52%, CR Rate 40%
		BELINDA NCT03570892, n=332	DLBCL 2L	ORR 46.3% (vs 42.5%), EFS 3m. EPS 개선 효과 없어
	YTB323	NCT03960840, n=45	DLBCL 3L	ORR 69%, CR Rate 65%, CR Rate at 6m 69%
BMS	Breyanzi	TRANSCEND NHL 001 NCT02631044, n=256	DLBCL 2L	ORR 73%, CR Rate 54%
		TRANSFORM NCT03575351, n=184	DLBCL 2L	CR Rate 66% (vs 39%), EFS 10.1m (vs 2.3m), mPFS 14.8m (vs 5.7m)
		TRANSCEND-PILOT NCT03483103, n=61	DLBCL 2L	ORR 80%, CR Rate 54%

자료: 교보증권 리서치센터

[도표 5] BCMA Car-T 임상 결과 비교 (단위: 백만\$)

Company	Name	Clinical Trial	Indication	Result(괄호는 대조군인 SOC)
J&J	Carvykti	CARTITUDE-1 NCT03548207, n=97	MM 4L+	ORR 98%, sCR Rate 78% mPFS 34.9m
		CARTITUDE-4 NCT04181827, n=101	MM 2L~4L	ORR 85% (vs 67%), CR Rate 73% (vs 22%) mPFS Not Reached (11.8m), PFS rate at 12m 76% (vs 49%)
BMS	Abecma	KarMMa NCT03361748, n=128	MM 4L+	ORR 73%, CR Rate 33%
		KarMMa-3 NCT03651128, n=381	MM 3~5L	mPFS 13.3m (4.4m)

자료: 교보증권 리서치센터, 교보증권 리서치센터

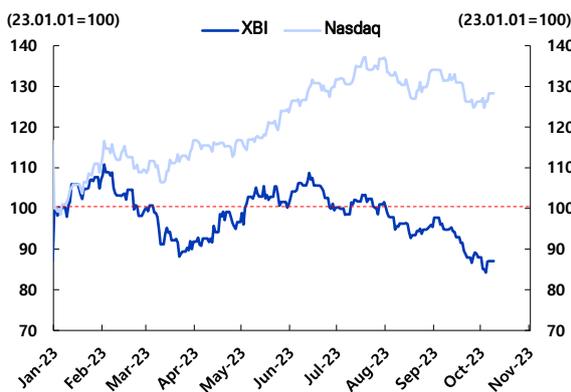
### 3. 성과가 좋지 않았던 세포치료제 투자

근본적인 혁신이 더딘  
세포치료제 개발 흐름

다만, 최근에는 최근 임상 단계 세포치료제 파이프라인에 대한 투자 매력도가 낮아졌다. 이는 세포치료제와 같이 도전적인 연구 개발을 하는 바이오텍에 대한 투자 선호도가 하락한 것이 가장 큰 원인이다. 이는 대표적인 나스닥 바이오텍 지수인 NBI가 나스닥에 비해 크게 Underperform하고 있는 것에서도 알 수 있다. 또한 해당 섹터 내 혁신이 두드러지지 않았던 것도 하나의 원인이다. 현재 세포치료제는 1) 동종 세포치료제 개발을 통해 수십만\$에 달하는 자가 세포치료제 1인당 치료비용을 낮출 필요가 있으며 2) 전체 Oncology 시장의 일부만 차지하는 혈액암에서 벗어나 고형암에 대해서도 효능을 증명해야 하며 3) 관해가 확인된 이후의 재발 문제 등이 남아있다.

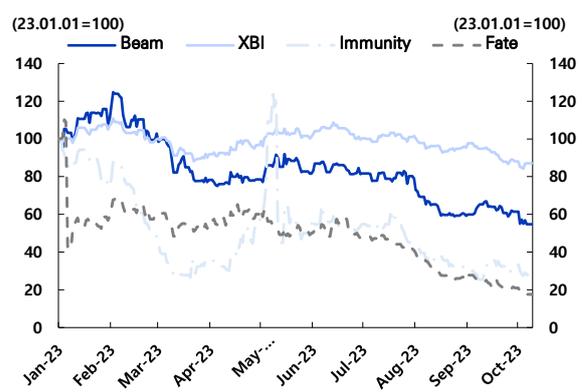
하지만 1) 동종 세포치료제는 개발 과정에서 자가 세포치료제에 비해 비열등한 효능을 증명하지 못하거나 자가 세포치료제 대비 반응 지속 기간이 낮은 문제 등이 확인되었다. 2) 또한 고형암 치료에서는 중앙 미세 환경 같이 면역이 억제되는 환경이나 Heterogenic한 중앙 세포의 영향으로 세포치료제 기전에 대한 기대감이 낮다. 빅파마는 고형암의 경우 ADC나 방사성의약품(RLT)와 같이 직관적인 기전의 치료제에 대한 관심이 더 크다. 마지막으로 3) 현재 CD19 Car-T의 경우 2-Year-PFS-Rate가 40%에 불과할 만큼 재발이 빈번하게 발생하고 있으며 Car-T 투약 후 재발시 치료 옵션이 극히 제한적인 상황에 놓이게 된다. 참고로 현재까지의 연구결과에 따르면 투약 이후 치료의 지속 기간을 결정하는 것은 초기의 강력한 관해 현상(Deep Response)이 공통적으로 언급되고 있다.

[도표 6] 나스닥 바이오텍에 대해 좋지 못한 투심



자료: 교보증권 리서치센터

[도표 7] 바이오텍 중에서도 부진한 동종 세포치료제 개발 기업



자료: 교보증권 리서치센터

[도표 8] 나스닥 상장 글로벌 면역세포치료제 기업 리스트, 음영은 연초 대비 시가총액이 유의미하게 상승한 경우(단위: 백만\$)

Company	시총 (2/25)	YTD	1 (Type, Indication, Target)	2 (Type, Indication, Target)	3 (Type, Indication, Target)
Legend Biotech	11,428	43.0%	Cilta-cel (Auto Car-T, MM, BCMA)	LB1901 (Auto Car-T, T-Cell Lymphoma, CD4)	LB1908 (Auto Car-T, Gastric, CLDN18.2)
CRISPR Therapeutics	3,419	6.5%	CTX110 (Allo Car-T, NHL/ALL, CD19)	CTX120 (Allo Car-T, MM, BCMA)	CTX130 (Allo Car-T, Renal Cell Carcinoma, CD70)
Intellia Therapeutics	2,658	-8.8%	NTLA-5001 (Auto TCR-T, AML, WT1-TCR)		
Beam Therapeutics	1,697	-35.5%	BEAM-201 (Allo Car-T, ALL, Silenced CD7)		
Iovance	1,001	3.8%	Lifileucel (Auto TIL, Melanoma/Cervical)	LN-145 (Auto TIL, NSCLC/HNSCC)	
Immunity Bio	948	-50.4%	PD-L1 t-haNK (Allo Car-NK, Solid, PD-L1/hnCD16)		
Immatics	802	22.8%	IMA201 (Auto TCR-T, MAGEA4/8)	IMA202 (Auto TCR-T, MAGEA1)	IMA203 (Auto TCR-T, PRAME)
Sana Biotechnolog	748	5.2%	SC2XX (Auto Car-T, NHL/ALL/CLL, CD19/CD22)		
Allogene Therapeutics	508	-38.9%	ALLO-501A (Allo Car-T, NHL, CD19)	ALLO-715 (Allo Car-T, NHL, CD19)	ALLO-316 (Allo Car-T, RCC, CD70)
Caribou Biosciences	401	-0.6%	CB010 (Allo Car-T, NHL, CD19/PD1KO)		
Autolus Therapeutics	387	19.7%	Obe-cel (Auto Car-T, ALL, CD19)		
Lyell Immunopharma	359	-57.2%	LYL797 (Auto Car-T, TNBC/NSCLC/Others, ROR-1)	LYL132 (Auto TCR-T, Synovial Sacroma/Ohters, NY-ESO-1)	
Poseida Therapeutics	203	-59.1%	P-PSMA-101 (Auto Car-T, Prostate, PSMA)	P-BCMA-ALL01 (Allo Car-T, MM, BCMA)	P-MUC1C-ALL01 (Allo Car-T, Solid, MUC)
Fate Therapeutics	175	-82.2%	FT516 (Allo iNK, AML, hnCD16)	FT596 (Allo iNK, BCL/ALL, hnCD16+IL15RF+CD19)	FT538 (Allo iNK, AML/MM/Solid hnCD16+IL15RF+CD38-KO)
Adaptimmune Therapeutics	161	-41.1%	ADP-A2M4 (Auto TCR-T, Sarcoma, MAGEA4)	ADP-A2AFP (Auto TCR-T, Carcinoma, AFP)	
Atara Biotherapeutics	143	-54.2%	Tab-cel (Allo T, EBV+PTLD)	ATA188 (Allo T, MS)	ATA2271 (Auto Car-T, MPM, MSLN)
Vor Biopharma	133	-70.0%	VCAR33 (Auto Car-T, AML, CD33)		
Gamida Cell	132	26.3%	GDA201 (Allo-NK, NHL)		
Cellectis	81	-22.1%	UCART22 (Allo Car-T, ALL, CD22)	UCART123 (Allo Car-T, ALL, CD123)	UCARTCS1 (Allo Car-T, MM, CS1)
Nkarta	66	-77.5%	NKX101 (Allo Car-NK, AML, NKG2D)	NKX019 (Allo Car-NK, B-Cell Malignancies, CD19)	
Adicet Bio	56	-84.9%	ADI-001 (Allo $\gamma\delta$ T, B Cell Malignancy, CD20)		
Instil Bio	49	-36.5%	ITIL-168 (Auto TIL, Melanoma)		
Celularity	42	-74.6%	CyCART-19 (Allo Car-T, B-Cell Malignancies, CD19)	CYNK-101 (Allo Engineered NK, HER2+Gastric, hnCD16)	
Precision BioSciences	37	-71.5%	PBCAR0191 (Allo Car-T, Post-Auto Car-T NHL/ALL, CD19)		
Achilles Therapeutics	35	-15.6%	ATL001 (TIL (Neoantigen), NSCLC/Melanoma, PSMA)		
Alaunos Therapeutics	27	-82.2%	Unnamed (Auto TCR-T, LUNG, KRAS/TP53/EGFR)		

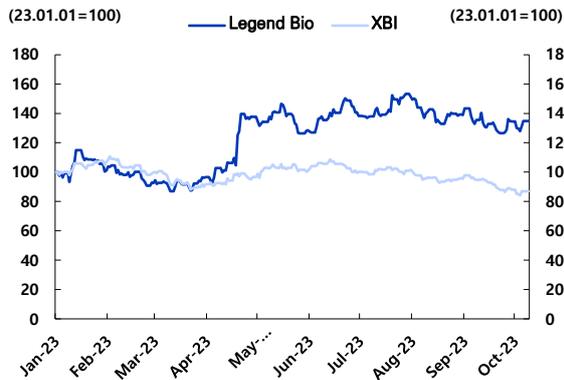
자료: 교보증권 리서치센터

## 4. 그래도 투자는 이어진다

상업성 높은 치료제는  
언제 어디서나  
환영 받는다

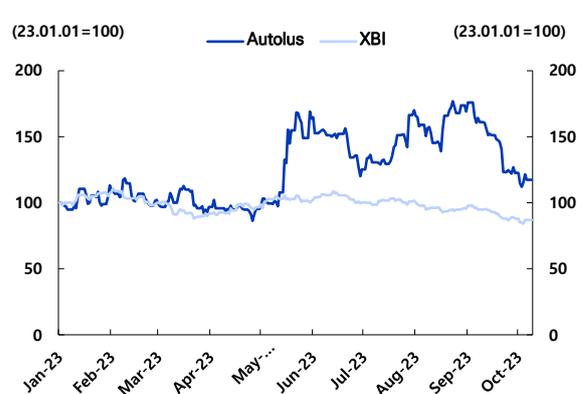
부진한 투자 성과에도 불구하고 상업성 높은 세포치료제에 대한 투자는 계속되고 있다. 특징은 여전히 검증이 필요한 NK세포나 고형암보다는 상업성이 검증된 Car-T 혹은 혈액암 중심 투자가 이어지고 있다. 예를 들어 세포치료제 기업들의 시가총액이 크게 하락한 가운데 다발성골수종 시장 내 Best-In-Class 약물인 Carvykti의 권리 50%를 가지고 있는 Legend Biotech의 경우 23년 내 시가총액이 43% 상승했다. 그리고 CD20/GPRC5D 등의 혈액암 신규 표적에 대한 관심이 높다. J&J는 CD19/CD20 이중저해 기전의 림프종 Car-T 치료제에 대규모 투자를 집행했으며 BMS도 GPRC5D 표적 다발성골수종 Car-T 치료제 허가 임상에 진입했다. BMS-986393 1상에서는 BCMA Car-T 투약 후 재발 환자도 포함된 점이 눈길을 끈다. 그리고 중소형 바이오텍 중 차별화 전략을 가진 Autolus Therapeutics의 상업화 전략에도 주목해볼 만하다. Autolus의 obe-cel은 림프종이 아니라 희귀암인 성인 백혈병(ALL)으로 후기 임상을 진행했으며 성공적인 임상 결과 발표한 바 있다. 그리고 23년말까지 FDA에 BLA 신청할 예정이다. 성인 백혈병의 경우 희귀암이긴 하지만 현재 Car-T 치료제 중에서는 Tecarturs만이 승인을 받아 림프종에 비해서는 경쟁이 덜한 편이다. 참고로 obe-cel은 기존 CD19 Epitope인 FMC63을 사용하는 대신 KAT을 표적 삼았던 점도 차별화 점이였다.

[도표 9] Legend Bio 의 주가 추이



자료: 교보증권 리서치센터

[도표 10] Autolus 의 주가 추이



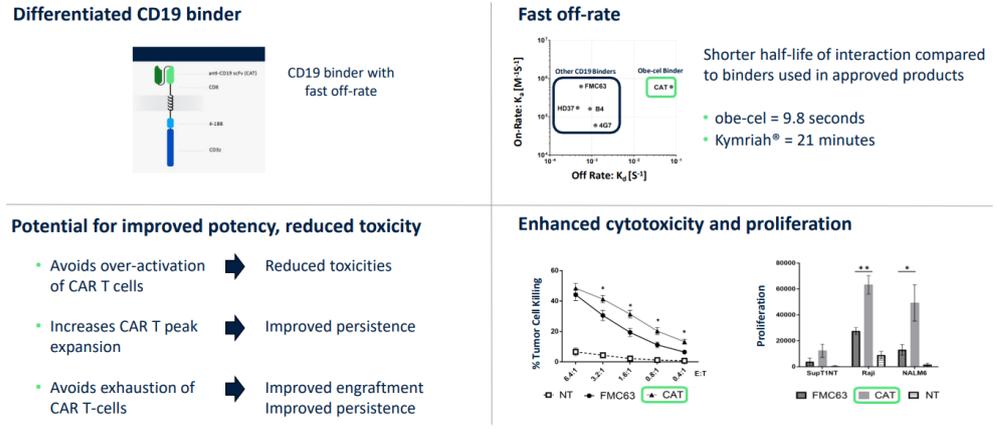
자료: 교보증권 리서치센터

[도표 11] 빅파마가 신규로 확보한 혈액암 Car-T 치료제 파이프라인

Company	내용
J&J	J&J는 23/05/02에 CBMG로부터 CD19/CD20 이중 표적 Car-T 치료제 C-CAR039을 확보하기 위해 Upfront 2.45억\$를 지급. C-CAR039는 21년 ASCO에서 DLBCL 1상 (28명)에서 ORR 92%, CR Rate 84%라는 기존의 CD19 Car-T의 CR Rate 60%를 넘어서는 데이터 발표하며 큰 주목을 받아. J&J는 Legend Bio로부터 Carvykti를 외부 도입하며 큰 성공을 거둔 바 있으며 이러한 성공을 CD19으로도 확장하기 위한 시도로 추정
BMS	BMS는 23년 7월 2Q23 실적 발표를 통해 GPRC2D 표적 다발성골수종 적응증 치료제 BMS-986393이 허가 임상에 진입할 것이라고 밝혀. 23년 ASH에 게재된 논문에 따르면 BMS-986393은 2~3에 치료 경험이 있는 다발성 골수종 환자 52명 대상으로 ORR 86.5%, CR 38.5%를 기록. 동 임상에는 BCMA Car-T 투약 후 재발 환자도 포함된 점이 특징

자료: 교보증권 리서치센터

[도표 12] Autolus의 obe-cel의 차별화된 Epitope



자료: Autolus, 교보증권 리서치센터

[도표 13] Autolus의 obe-cel의 차별화된 적응증 전략. 희귀암인 ALL 임상 진행 중

## Over 8,000 new cases of adult ALL annually worldwide

Successful therapy requires high level of activity and sustained persistence paired with good tolerability

- Median overall survival is < 1 year in r/r adult ALL
- Combination chemotherapy enables 90% of adult ALL patients to experience Complete Response (CR)
  - Only 30% to 40% achieve long-term remission
- Current T cell therapies for adult patients are Blincyto® and Tecartus®
  - Both therapies are highly active, but frequently followed by subsequent treatments (e.g. alloSCT)
  - Blincyto®: favorable safety profile, few patients experiencing severe CRS and ICANS, but limitations on convenience - continuous i.v. infusion during 4-week treatment cycles
  - Tecartus® more challenging to manage - induces elevated levels of severe CRS, a high levels of severe ICANS, and requires vasopressors for many patients
- Opportunity to expand the addressable patient population in earlier lines of therapy



자료: Autolus, 교보증권 리서치센터

[도표 14] CD19 Car-T ALL 적응증 임상 결과 비교 (단위: 백만\$)

Company	Name	Clinical Trial	Indication	Result
Gilead	Tecartus	ZUMA-3, NCT02614066, n=55	Adult ALL ≥ 18 years	ORR 71% (CR 56%, Cri 15%), OS 18.2m
Autolus	obe-cel	Felix, NCT04404660, n=94	Adult ALL ≥ 18 years	ORR 76% (CR 54.3%, Cri 21.3%),

자료: 교보증권 리서치센터

## 5. 세포치료제의 적응증 확장 가능성

세포치료제는  
적응증 확장에 도전

지금까지 면역세포치료제의 경우 항암제를 적응증으로 개발되어 왔으나 최근에는 빅파마들이 다른 적응증으로 확장해 개발하고자 하는 움직임도 확인된다. 우선 Eli Lilly는 23년 6월 Type 1 세포치료제를 개발 중이 Sigilon Therapeutic를 3.1억\$에 인수하였다. Sigilon Therapeutics는 지난 5년간 당뇨병 치료제 SIG-002를 함께 개발해온 바 있다. 또한 Novo nordisk는 만성심부전 등 다양한 적응증의 세포치료제 개발을 위해 1.3억€ 투자 발표하고 23년 2월 만성심부전증 세포치료제 1상 투약을 완료하는 등 빅파마의 적응증 확장 시도가 눈에 보인다. 또한 초기 연구 단계이긴 하나 면역질환 중 하나인 루푸스 환자에게 CD19 Car-T를 투약했더니 완전관해가 확인되었다는 독일 연구 진의 연구 결과도 있으며 자가면역질환 치료 목적으로 엔지니어링된 조절 T세포를 활용하자는 의견도 자주 제시되고 있다.

[도표 11] 세포치료제 적응증 확장 가능성

Company	내용
Eli Lilly	Eli Lilly는 23년 6월 지난 5년간 당뇨병 치료제 SIG-002를 함께 개발해오던 Sigilon Therapeutics를 3억 \$에 인수. SIG-002는 1형 당뇨병 환자 대상의 치료제 후보물질로 인슐린을 생산하는 췌도 세포(islet cells)을 캡슐화한 제품. Sigilon Therapeutics의 기술을 활용할 경우 면역 반응을 낮출 수 있을 것으로 기대
Novo Nordisk	Novo Nordisk는 23년 9월 생산 설비 등 세포치료제를 위해 1.27€를 투자하겠다고 발표, 또한 23년 2월 Novo Nordisk가 Heartseed와 공동 개발 중인 심부전증 세포 치료제 HS-001의 1/2상 첫 환자 투약을 완료했다고 밝히기도
독일 FAU, DZI	CD19 Car-T를 전신홍반루푸스(SLE) 환자 5명에게 투약했으며 전원 완전관해 현상이 관찰되었으며 최대 17개월간 관해 유지.

자료: 교보증권 리서치센터

## 6. 그리고 우리는, 큐로셀 & 애플론

### 국내 Car-T 기업의 상업화 성공 가능성

국내에서는 큐로셀(11월 상장 예정), 애플론, 티카로스(비상장) 등이 Car-T 국내 임상을 진행하고 있다. 이 중 큐로셀이 가장 빠르게 개발되고 있으며 애플론이 뒤를 이어 임상을 진행하고 있다. 여기서 국내 Car-T 기업에 주목할 점은 뛰어난 효능도 있지만 생산이 용이하다는 점이다. 대량 생산이 가능한 항체와 달리 세포치료제 생산에는 1) 맞춤형된 치료제 생산을 위한 별도의 생산 설비 구축이 필요하고, 2) 생산에 필요한 시간도 4~6주 정도로 길다. 이러한 점 때문에 글로벌 제약사 역시 생산의 Scale-Up에 애를 먹고 있었으며 이 때문에 FDA 승인 후 6년이 되어서야 최초의 블록버스터 Car-T 약물인 Yescarta가 등장하게 된 것이다. 실제 FDA로부터 DLBCL 2차 치료제로 승인받은 Best-In-Class 약물 Yescarta는 여전히 국내 승인을 받지 못한 상황이다. 따라서 국내에 생산 사이트가 구축되어 있고 국내 초대형 혈액종양내과 병원과 쉽게 협업할 수 있는 국내 Car-T 기업이 조기 상업화에 성공할 경우 글로벌 약물과 국내에서 경쟁이 가능하다고 판단한다. 특히 임상에 가장 앞서 있는 큐로셀의 Anbal-cel은 1) 2상(41명) 중간 분석 결과 ORR 84%, CR Rate 71%를 기록하며 효능도 입증했으며 2) 생산에 4~6주 가량 걸리는 Kymriah에 비해 크게 단축된 약 16일 정도에 생산이 가능할 것으로 기대되며 3) 임상 2상이 연내 종료되고 24년 승인을 목표로 할 정도로 상업화 속도가 빠르다. 24년 최초의 국산 Car-T 치료제 등장 가능성에 주목해보자.

[도표 4] 국내 기업과 CD19 Car-T 임상 결과 비교 (단위: 백만\$)

Company	Name	Clinical Trial	Indication	Result(괄호는 대조군 SoC)
큐로셀	Anbal-cel	2 상, n=41	DLBCL	ORR 84%, CR Rate 71%
애플론	AT101	1 상 NCT05338931, n=12	DLBCL	ORR 91.7%, CR Rate 66.7%
Gilead	Yescarta	ZUMA-1 NCT02348216, n=101	DLBCL 3L	ORR 82%, CR Rate 54%, OS rate at 18m 52%
		ZUMA-7 NCT03391466, n=359	DLBCL 2L	ORR 83% (vs 50%), CR Rate 65% (vs 32%), EFS 8.3m (vs 2.0m)
		ZUMA-12 NCT03391466, n=40	DLBCL 1L	ORR 89%, CR Rate 78%
Novartis	Kymriah	JULIET NCT02445248, n=115	DLBCL 3L	ORR 52%, CR Rate 40%
		BELINDA NCT03570892, n=332	DLBCL 2L	ORR 46.3% (vs 42.5%), EFS 3m. EPS 개선 효과 없어
	YTB323	NCT03960840, n=45	DLBCL 3L	ORR 69%, CR Rate 65%, CR Rate at 6m 69%
BMS	Breyanzi	TRANSCEND NHL 001 NCT02631044, n=256	DLBCL 2L	ORR 73%, CR Rate 54%
		TRANSFORM NCT03575351, n=184	DLBCL 2L	CR Rate 66% (vs 39%), EFS 10.1m (vs 2.3m), mPFS 14.8m (vs 5.7m)
		TRANSCEND-PILOT NCT03483103, n=61	DLBCL 2L	ORR 80%, CR Rate 54%

자료: 교보증권 리서치센터

■ Compliance Notice ■

이 자료에 게재된 내용들은 작성자의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 작성되었음을 확인합니다.

이 조사항목은 당사 리서치센터가 신뢰할 수 있는 자료 및 정보로부터 얻어진 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보증하는 것이 아닙니다. 따라서 이 조사항목은 투자참고자료로만 활용하시기 바라며, 어떠한 경우에도 고객의 증권투자 결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다. 또한 이 조사항목의 지적재산권은 당사에 있으므로 당사의 허락 없이 무단 복제 및 배포할 수 없습니다.

- 동 자료는 제공시점 현재 기관투자가 또는 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 전일기준 당사에서 1% 이상 보유하고 있지 않습니다.
- 추천종목은 전일기준 조사분석 담당자 및 그 배우자 등 관련자가 보유하고 있지 않습니다.

■ 투자 의견 비율공시 및 투자등급관련사항 ■ 기준일자\_2023.09.30

구분	Buy(매수)	Trading Buy(매수)	Hold(보유)	Sell(매도)
비율	91.6	6.5	1.9	0.0

【업종 투자 의견】

**Overweight(비중확대):** 업종 펀더멘털의 개선과 함께 업종주가의 상승 기대  
**Underweight(비중축소):** 업종 펀더멘털의 약화와 함께 업종주가의 하락 기대

**Neutral(중립):** 업종 펀더멘털상의 유의미한 변화가 예상되지 않음

【기업 투자기간 및 투자등급】 향후 6개월 기준, 2015.6.1(Strong Buy 등급 식제)

**Buy(매수):** KOSPI 대비 기대수익률 10%이상  
**Hold(보유):** KOSPI 대비 기대수익률 -10~10%

**Trading Buy:** KOSPI 대비 10%이상 초과수익 예상되나 불확실성 높은 경우  
**Sell(매도):** KOSPI 대비 기대수익률 -10% 이하