

JP Morgan Healthcare Conference 2023

국가신약개발사업단 기획팀 곽서연 선임연구원

국가신약개발사업단 기획팀 김효인 연구원

Overview

매년 1월 샌프란시스코에서 개최되는 세계 최대 규모의 제약·바이오 행사인 JP Morgan Healthcare Conference 2023(JPM 23)이 지난 1월 9일부터 12일까지 개최되었다. JPM은 매년 50여 국가에서 1500여개 제약·바이오 업체와 투자 전문가 등이 참여하여 연구 성과 및 비즈니스 전략을 소개하고, 다수의 기술이전 및 공동 연구, 인수합병(M&A) 등의 계약이 성사되어 한 해의 제약·바이오 분위기를 전망해볼 수 있는 자리이다. 본 편에서는 JPM 23 기간 중 체결된 4건의 인수합병과 공동연구 및 기술이전 거래 중 가장 규모가 컸던 2건의 CGT 거래에 대해 알아본다.

■ M&A

컨퍼런스 기간 중 이루어진 인수합병은 4건으로 파이프라인 보강에 중점을 둔 중소형 규모의 거래였다. 특히 BioNTech의 AI 기업인수 건을 제외한 나머지 3건의 경우, 모두 유럽 제약·바이오 회사들이 10억 달러 이상이 되는 규모로 미국 바이오텍 회사의 인수합병을 진행하였다는 특징이 있었다(표 1).

가장 큰 규모의 인수합병은 AstraZeneca의 CinCor Pharma 인수였다. 이번 인수합병으로 AstraZeneca는 고혈압·만성 신부전증 후기 에셋인 baxdrostat(고혈압: 임상 3상 진행 예정, 만성 신부전증: 임상 2상 진행 중)을 확보함으로써, 2025년에 특허 만료 예정인 심부전 및 당뇨병 치료제 Forxiga의 포트폴리오 공백을 메우고, Forxiga와 baxdrostat의 병용투여로 미충족의학수요가 높은 심혈관 질환에서의 적응증 확대를 기대한 것으로 보인다. BioNTech의 IstaDeep 인수합병은 최근 3년 동안 이어진 파트너십에 기반한 것으로, 이번 인수합병을 통해 BioNTech은 암백신 개발을 위한 신항원(neoantigen) 발굴 기술을 포함한 차세대 면역항암제 및

백신 개발에 박차를 가할 것으로 보인다.

나머지 2건의 딜은 모두 희귀 질환 분야에 대한 것이었다. 희귀 질환 및 호흡기 질환 분야에 집중하고 있는 Chiesi Farmaceutici는 해당 분야에서 다수의 시판 의약품 보유하고 있었던 Amryt Pharma 인수를 통해, 희귀 질환 에셋을 더욱 강화하게 되었다. Ipsen 또한 Albireo Pharma 인수를 통해 확보한 Bylvay가 2021년에 FDA 승인을 받은 진행성 가족성 간내 담즙정체증 외에도 쓸개즙 폐쇄증(Biliary Atresia)과 알라질 증후군(Alagille Syndrome)에 대한 추가 적응증 확장을 위한 임상 3상을 각각 진행하고 있어, 희귀 간질환 포트폴리오를 보완할 수 있을 것으로 보인다.

표 1. M&A

	인수자	인수대상	질환분야	인수대상 주요 에셋·모달리티	인수금액 (USD mn)
1	AstraZeneca	CinCor Pharma	Cardio-renal	Aldosterone synthase inhibitor Baxdrostat (고혈압, 임상 3상; 만성 신부전증 임상 2상)	1800
2	BioNTech	InstaDeep	Oncology, infectious	AI 신약개발 플랫폼 DeepChain	683
3	Chiesi Farmaceutici	Amryt Pharma	Rare disease	Small molecules, Peptide Marketed drug: Juxtapid(희귀 고콜레스테롤혈증 치료제, FDA 승인(2012)) Mycapssa(말단 비대증 치료제, FDA 승인(2020)) Filsuvez(수포성 표피박리증 치료제, EMA 승인(2022)) Myalept(지방이영양증, FDA 승인(2014))	1480
4	Ipsen	Albireo	Rare liver disease	Marketed drug: Bylvay, IBAT inhibitor (진행성 가족성 간내 담즙정체증 치료제, FDA 승인 (2021))	952

(Source: company releases, EvaluatePharma, FiercePharma)

■ 공동연구 및 기술이전

이번 JPM 23에서 공동연구 및 기술이전의 수요가 가장 높았던 분야는 CGT(Cell and Gene Therapy)였다. 특히 10억 달러가 넘는 계약들이 모두 CGT분야에 해당하였다(표 2).

1) Neurocrine Biosciences-Voyager Therapeutics

올해 JPM 23에서 가장 높은 금액으로 체결된 계약은 Neurocrine과 Voyager의 파킨슨병 대상 AAV 유전자치료제 개발에 대한 전략적 파트너십이었다. Neurocrine은 Voyager에 3900만달러의 지분투자를 포함한 1억 7500만달러의 계약금과 더불어 개발 및 상업화에 따른 마일스톤으로 최대 42억 달러를 지급한다.

이번 파트너십 체결로 Voyager는 GBA1(Glucosylceramidase Beta 1) 매개 파킨슨병과 기타 GBA1 매개 질환을 타겟하는 TRACER 기반의 GBA1 유전자치료제를 개발하고, Neurocrine은 GBA1 유전자치료제의 임상 1상까지의 연구자금 지원 및 연구개발, 상업화를 담당한다. 이후 미국내 후속 임상개발과 상업화는 Neurocrine과 Voyager가 공동으로 진행하고, 향후 이익/손실은 50:50으로 공유하는 옵션을 가지게 되며, Voyager는 옵션행사 여부와 상관없이 미국 외 지역에서의 개발 및 상업화에 따른 마일스톤을 Neurocrine으로부터 수령한다. 더불어 Voyager는 희귀 중추신경계질환 치료제 3개의 개발 및 상업화 마일스톤으로 약물 당 1억7500만 달러를 받게 된다.

이번 계약에 핵심적인 역할을 한 것은 Voyager의 신규 AAV 캡시드 발굴 플랫폼인 TRACER(Tropism Redirection of AAV by Cell-type-specific Expression of RNA)이다. TRACER 플랫폼은 vector engineering 기술로써 tropism을 개선해 원하는 조직 및 세포에 높은 특이도(specificity)를 가지는 신규한 AAV 캡시드를 발굴한다. 기존 AAV 치료제의 경우, 정맥투여 시 혈액뇌장벽(Blood-Brain Barrier, BBB) 투과능력이 떨어지고, 고농도로 투여할 경우에는 off-target effect로 인한 부작용이 있었다. 하지만 TRACER 기술을 적용한 캡시드는 높은 특이도로 인해 낮은 용량으로도 효과적인 중추신경계로의 전달이 가능하며 기존의 AAV 치료제가 가지는 off-target effect의 위험을 감소시킨다. 실제로 Voyager는 영장류 신경질환 모델에서 TRACER가 발굴한 AAV 캡시드의 증진된 BBB 투과와 더불어 기존의 AAV9 대비 1000배 이상 높은 타겟유전자의 발현률을 제시했다. TRACER 플랫폼은 보다 폭넓은 스펙트럼의 질환들을 대상으로 single-dose 유전자 치료제를 개발하기 위해, 다양한 조직 및 세포유형을 대상으로 tropism을 개선시키는 캡시드 발굴을 진행 중이다.

Voyager는 높은 뇌로의 이행/유전자 발현을 가능케하는 TRACER 플랫폼을 기반으로 Neurocrine 외에도 Pfizer(6억 3000만달러), Novartis(16억 5000만 달러)와 각각 공동연구 및 라이선싱 파트너십을 맺고 TRACER 플랫폼 기반 AAV 유전자치료제 개발을 진행하고 있다.

2) Eli Lilly - TRexBio

두 번째로 규모가 큰 CGT 거래는 Eli Lilly가 TRexBio와 면역매개질환 치료를 위해 개발 중인 신규 세포치료제에 대한 공동연구 및 라이선싱 계약이었다. TRexBio에 따르면 이번 계약은 예전부터 Eli Lilly와 진행해오던 공동연구를 기반으로 이루어졌다. 이번 계약으로 Eli Lilly는 TRexBio에 계약금 5500만 달러와 11억 달러의 개발 및 상업화 마일스톤을 지급하며, 제품 판매에 대한 단계별 로열티는 별도로 지급한다. 이에 Lilly는 TRB-031, TRB-041, 그리고 TRB-051의 개발과 상업화에 대한 전세계 독점적 권리를 보유하고 임상개발 및 상업화와 관련된 모든 비용을 책임진다. 이 중 TRB-051은 TRexBio의 리드 에셋으로 임상시험계획(IND) 제출을 준비하고 있으며, 나머지 두 에셋은 lead optimization 단계인 것으로 알려졌다. 해당 에셋들은 TRexBio의 T_{reg} behavior 분석 플랫폼인 Deep Biology를 기반으로 발굴된 후보물질들이다.

TRexBio는 면역세포 중 T_{reg}을 주요 타겟으로 차세대 면역질환 치료제를 개발하는 데에 집중하고 있다.

TRexBio의 Deep Biology 플랫폼은 인간 조직 내 T_{reg}의 single cell RNA 시퀀싱/*in silico* 분석, 최첨단 전산생물학, 그리고 scalable translational biology assay system이 결합된 T_{reg}-enriched genes 및 면역조절 메커니즘 규명이 가능한 T_{reg} behavior mapping tool이라 볼 수 있다. 다양한 donor와 target들을 스크리닝하고, 인간 조직을 이용함으로써 기존 마우스 모델을 이용한 연구들에서 나타나는 중간 조직면역학적 차이로 인한 한계점을 극복할 수 있을지 기대된다. TRexBio의 Deep Biology 기술은 인간조직을 이용한만큼, 기존 마우스 모델 연구가 가지고 있던 중간 조직면역학적 차이로 인한 한계점을 극복할 수 있을 것으로 보인다.

한편, TRexBio는 지난해 1월 Janssen과 면역매개질환을 적응증으로 Deep Biology 기반 T_{reg} 신규 약물 개발을 위한 연구개발 및 라이선싱 계약을 체결한 바 있다. 해당 거래의 규모는 공개되지 않았다.

표 2. 공동연구 및 기술이전

	도입업체	개발사	질환분류	적응증	모달리티	세부내용	Upfront (USD mn)	Milestone (USD mn)
1	Exelixis	Ajinomoto Co.	Oncology	암	ADC	AJICAP(site-specific bioconjugation and linker technology)	u/d	u/d
2	Schrodinger	Astex(Otsuka)	Neuroscience	u/d	AI Discovery	AI-driven drug discovery	u/d	u/d

3	Schrodinger	BMS	Neuroscience	u/d	AI Discovery	AI-driven drug discovery	u/d	u/d
4	Astellas	Twist Bioscience	Oncology	암	Antibody	DNA synthesis platform to lower tumor micro-environment (TME)-mediated immunosuppression	u/d	11 per product
5	AskBio	Recode	Metabolic	간, 폐질환	CGT	Combine synthetic DNA+CRISPR application with LNP delivery technology	u/d	u/d
6	Astellas	Selecta	Metabolic	성인 후기 발병 포페병	CGT	Immunoglobulin G protease(AAV)	10	340
7	Boehringer Ingelheim	3T Bioscience	Oncology	암	CGT	Drug discovery platform to identify shared TCR targets of productive immune response	u/d	268
8	Cabaletta	Autolus	Immunology	자가면역질환	CGT	RQR8 safety switch platform for use in CD19-CAR T cell therapy	u/d	u/d
9	Eli Lilly	TRexBio	Immunology	면역매개질환	CGT	Single cell RNA sequencing	55	1100
10	Neurocrine	Voyager	Neuroscience	파킨슨병, 고셔병	CGT	GBA1 gene replacement payload with capsids	175	4200
				희귀 CNS질환		Capsids from Voyager's capsid discovery platform		
11	Royalty Pharma	Ionis	Neuroscience/ Cardiovascular	u/d	CGT	25% of Spinraza and pelacarsen royalty payment	500	625
12	Vertex	Arbor	u/d	u/d	CGT	Precision gene editing using reverse transcriptase	u/d	u/d
13	GreenLight	EpiVax	Oncology	암	RNA	mRNA cancer vaccines	u/d	u/d
14	National Resilience	Matinas	u/d	u/d	RNA	Oral lipid nanoparticle(LNP) delivery for nucleic acid therapies	u/d	u/d

15	Phlox	Solid Bioscience	Cardiovascular	유전성 확장성 심근병증	RNA	RNA delivery to the heart	u/d	u/d
16	Prokarium	Ginkgo Bioworks	Oncology	암	RNA	Bacterial platform to deliver mRNA therapies	u/d	u/d
17	Abbvie	Anima Biotech	Oncology	암	Small molecule	mRNA biology modulators	42	540
18	Atavistik Bio	Plex Research	Oncology	암	Small molecule	AI powered drug discovery platform enrichment	u/d	u/d
19	Genentech	Kronos	Oncology	암	Small molecule	Use drug discovery platform and modulate transcription factor	20	554
20	STALICLA	Novartis	Neuroscience	물질사용장애, 신경발달장애	Small molecule	Mavoglurant(mGluR5 antagonist, 임상 3상 예정)	u/d	270

(Source: company releases, EvaluatePharma, BioCentury, FiercePharma, FierceBiotech)

<문의>

국가신약개발사업단 기획팀 광서연 선임연구원(seokwak@kddf.org)

국가신약개발사업단 기획팀 김효인 연구원(inakim@kddf.org)

Reference

키움증권, Kiwoom Healthcare 종합정리 (1/16), 2023.01.16

<https://www.kiwoom.com/h/invest/research/>

J.P. Morgan 2023-licensing deal flurry offers limited cash up front

<https://www.evaluate.com/vantage/articles/events/conferences-snippets/jp-morgan-2023-licensing-deal-flurry-offers-limited>

J.P. Morgan deal wrap: European buyers, RNA and gene editing in spotlight

<https://www.biocentury.com/article/646462/j-p-morgan-deal-wrap-european-buyers-rna-and-gene-editing-in-spotlight>

JPM23: Chiesi gets jump-start on JPM buzz with \$1.48B Amryt buyout

<https://www.fiercepharma.com/pharma/chiesi-gets-jump-start-jpm-buzz-148b-amryt-buyout>

Voyager Could Get Up to \$4.4 Billion in Neurocrine Partnership

<https://www.bloomberg.com/news/articles/2023-01-09/voyager-to-receive-as-much-as-4-4-billion-in-neurocrine-deal>

JPM23: Acquisition Announcements From JP Morgan Healthcare Conference 2023 Day One

<https://www.geneonline.com/acquisition-announcements-from-jp-morgan-healthcare-conference-2023-day-one/>

JPM23: Partnerships Take off From JP Morgan Healthcare Conference 2023 Day One

<https://www.geneonline.com/partnerships-take-off-from-jp-morgan-healthcare-conference-2023-day-one/>

JPM23: Development and Strategic Updates from JP Morgan Healthcare Conference 2023 Day Two

<https://www.geneonline.com/jpm23-development-and-strategic-updates-from-jp-morgan-healthcare-conference-2023-day-two/>

JPM23: More Deals Defining JP Morgan Healthcare Conference 2023 Day Two

<https://www.geneonline.com/jpm23-more-deals-defining-jp-morgan-healthcare-conference-2023-day-two/>

JPM23: More Deals as JP Morgan Healthcare Conference 2023 Enters the Third Day

<https://www.geneonline.com/jpm23-more-deals-as-jp-morgan-healthcare-conference-2023-enters-the-third-day/>

JPM23: Schrödinger expands neuroscience work with BMS, Otsuka partnerships

<https://www.fiercebiotech.com/medtech/jpm23-schrodinger-expands-neuroscience-work-bms-otsuka-partnerships>

Neurocrine Biosciences and Voyager Therapeutics Enter Strategic Collaboration for Development and Commercialization of Voyager's GBA1 Program and Other Next-Generation Gene Therapies for Neurological Diseases

<https://ir.voyagertherapeutics.com/news-releases/news-release-details/neurocrine-biosciences-and-voyager-therapeutics-enter-strategic>

TrexBio Announces Collaboration and License Agreement with Lilly to Develop and Commercialize Novel Therapies for Immune-Mediated Diseases

<https://trex.bio/trexbio-announces-collaboration-and-license-agreement-with-lilly/>