DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

INVESTING VALUE

IV Research

Company Note
2026.11.09.

Telegram: t.me/IVResearch

투자의견	Not Rated
목표주가	- 원
현재주가	8,440 원
Upside	- %

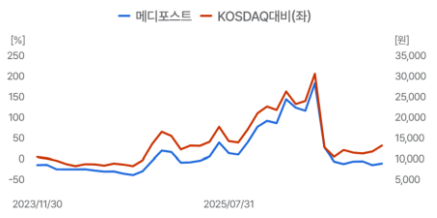
Company Info

주요주주	(%)
박한수 외 4 인	6.38

Stock Info

기준일	2026 년 11 월 06 일
산업분류	코스닥 생물공학
KOSDAQ(pt)	644.27
시가총액 (억원)	3,309
발행주식수 (천주)	39,205
유동비율 (%)	52.48
외국인 지분율 (%)	2.8
52 주 고가 (원)	29,100
저가 (원)	7,250

주가 및 상대수익률



주가상승률 (%)	1M	6M	12M
	-18.7	-68.2	-48.4

메디포스트(078160)

지속되는 모멘텀

기업개요

동사는 2000 년 설립된 세포치료제 전문기업으로, 제대혈은행 셀트리, 동종 제대혈 유래 중간엽줄기세포(Mesenchymal Stem Cell, MSC) 치료제, 세포유전자치료제(Cell & Gene Therapy, CGT) CDMO, 건강기능식품 모비타 등 다양한 사업을 영위하고 있다. 국내에서 2012 년 허가 받은 무릎 연골재생 치료제 CARTISTEM(카티스템)을 중심으로 일본과 미국 시장 진출을 추진하고 있으며, 후속 파이프라인으로 관절강 내 주사형 무릎 골관절염 치료제 SMUP-IA-01 과 미숙아 기관지폐이형성증(Bronchopulmonary Dysplasia, BPD) 치료제 PNEUMOSTEM 을 개발하고 있다. CARTISTEM 은 세포를 직접 이식하는 수술형 제품이고, SMUP-IA-01 은 비수술적으로 투여하는 주사형 제제로서 서로 다른 환자군을 타겟한다.

CARTISTEM 개요

CARTISTEM 은 사람 제대혈에서 유래한 동종 MSC 와 히알루론산(Hyaluronic Acid, HA) 지지체를 조합한 수술형 연골재생 치료제로, 2012 년 국내 품목허가를 획득했다. MSC 와 HA 지지체를 손상 부위에 적용해 연골재생을 촉진하고 연골 기질 분해 및 염증 반응을 조절하는 기전이다. HA 는 세포가 국소 결손부에 위치하도록 돕는 제형 구성요소이자 관절연골의 세포외기질(ECM)과 연관된다. CARTISTEM 은 관절경 또는 절개를 통해 결손 연골을 정리하고 병변의 연골하골에 일정 깊이의 천공을 시행한 뒤, 형성한 구멍과 결손 부위에 세포, HA 복합물을 충전하는 수술 방법으로 적용된다. 연골하골 천공은 결손부의 재생 환경을 형성하고 이식 물질을 안정적으로 배치하기 위한 것이며, 주변 골수 성분이 노출되는 국소 미세환경과 함께 연골 회복을 유도한다.

해외로 뻗어 나가는 CARTISTEM

일본 품목허가 절차는 임상시험 최종 결과보고서, 제조 및 품질 관련 제출자료, 의약품 허가 신청 및 심사, 약가 협상과 보험급여 등재를 거쳐 판매로 이어질 전망이다. 동사는 2026 년말 품목허가 신청, 2027 년 품목허가 승인 및 약가 협상 개시, 2028 년 약가 및 보험급여 결정과 하반기 판매 개시를 목표로 한다. 미국은 CARTISTEM 의 장기 글로벌 성장전략에서 가장 큰 시장규모를 보유한 지역으로, 미국 FDA 는 국내 임상과 시판 후 데이터를 활용한 개발 패키지를 토대로 임상 2 상없이 후기 임상에 진입하는 것을 수용했다. 이에 따라 1Q26 FDA 임상 3 상 IND 승인 후 3Q26 첫 환자 투약이 진행되었다. 주목할만한 것은 FDA 와 협의된 미국 개발전략이 single pivotal study 를 활용한다는 점이다. 이에 따라 기존에 가정했던 pivotal 및 confirmatory 두 건의 독립 임상 대신 하나의 pivotal study 로 허가신청이 가능하다. 2027 년 환자모집 완료 및 24 개월 평가 자료 확보 이후 결과 분석과 허가신청 절차가 진행될 전망이다.

구분(억원, %, 배)	2021	2022	2023	2024	2025
매출액	549	642	686	707	737
영업이익	-53	-174	-251	-485	-680
영업이익률	-	-	-	-	-
지배순이익	-7	31	58	-625	-854
PER	-	91.9	38.0	-	-
PBR	2.30	1.69	0.99	1.73	2.86
ROE	-	1.8	2.4	-	-

(Source: IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

기업개요

동사는 2000 년 설립된 세포치료제 전문기업으로, 제대혈은행 셀트리, 동종 제대혈 유래 중간엽줄기세포(Mesenchymal Stem Cell, MSC) 치료제, 세포유전자치료제(Cell & Gene Therapy, CGT) CDMO, 건강기능식품 모비타 등 다양한 사업을 영위하고 있다. 국내에서 2012 년 허가 받은 무릎 연골재생 치료제 CARTISTEM(카티스템)을 중심으로 일본과 미국 시장 진출을 추진하고 있으며, 후속 파이프라인으로 관절강 내 주사형 무릎 골관절염 치료제 SMUP-IA-01 과 미숙아 기관지폐이형성증(Bronchopulmonary Dysplasia, BPD) 치료제 PNEUMOSTEM 을 개발하고 있다. CARTISTEM 은 세포를 직접 이식하는 수술형 제품이고, SMUP-IA-01 은 비수술적으로 투여하는 주사형 제제로서 서로 다른 환자군을 타겟한다.

제대혈은 출산 후 탯줄과 태반에 남아 있는 혈액으로 조혈모세포를 비롯한 다양한 세포를 포함한다. 가족제대혈은행은 출산 과정에서 채취한 제대혈을 적정한 검사와 가공 및 냉동보관을 거쳐 장기간 보존하는 서비스이다. 동사의 제대혈은행 셀트리는 국내 제대혈 보관 시장점유율 1 위를 차지하고 있다. 제대혈은행 매출액은 2023 년 327 억원, 2024 년 392 억원, 2025 년 414 억원으로 매년 꾸준히 증가하고 있으며, 2025 년 연결 매출액 737 억원의 약 56%를 차지한다.

건강기능식품 모비타는 임상부, 여성 및 가족의 생애주기별 영양 수요를 중심으로 원료와 제품을 구성해 병원, 온라인 판매채널에서 유통한다. 건강기능식품 매출은 2023 년 96 억원, 2024 년 89 억원, 2025 년 104 억원을 기록했다.

2022 년 동사는 OmniaBio 인수를 통해 CGT CDMO 및 세포치료제 생산 역량을 확보하고, 캐나다 OmniaBio를 사업 거점으로 활용하고 있다. OmniaBio는 캐나다의 재생의료 상업화 기관 CRM(Center for Commercialization of Regenerative Medicine)에서 분리된 CGT CDMO 기업으로, 토론토 및 해밀턴에 GMP 관련 시설을 보유하고 있다. 동사는 북미 CARTISTEM 과 SMUP-IA-01 의 임상 및 상업화 생산 기지 구축과 외부 CGT 고객 대상 CMDO 사업을 병행할 계획이다. 국내에서는 서울 구로 GMP 생산시설을 운영하고 있다.

Figure 1. 동사의 주요 사업 영역



(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

동사가 치료제를 개발하는 무릎 골관절염(Knee Osteoarthritis, KOA)은 관절연골 손상뿐 아니라 연골하골(subchondral bone), 활막, 반월상연골, 인대와 주변 근육의 변화가 함께 진행되는 만성 관절질환이다. 퇴행성 골관절염은 연령 증가, 비만, 관절 정렬 및 누적 기계적 하중과 관련되는 반면, 반복 외상과 외과적 손상 이후 발생하는 외상 후 골관절염은 다른 발생경로를 가진다. 류마티스관절염(Rheumatoid Arthritis, RA)은 면역매개 염증질환으로 KOA 와 구분된다.

환자의 방사선학적 중증도는 Kellgren-Lawrence(K&L) 등급으로 평가하며, K&L 2 는 경증, 3 은 중등도, 4 는 심한 관절간격 소실과 골변화를 보이는 중증에 해당한다. 연골 표면의 실제 결손 정도는 ICRS 와 Outerbridge 등급으로 구분하는데, ICRS 4 는 전층 연골 결손이 연골하골까지 이르는 상태를 의미한다. 동일한 K&L 2~3 환자라도 국소 연골결손의 깊이와 면적은 다를 수 있다.

무릎 골관절염 치료는 운동, 체중관리, 물리치료, 비스테로이드성 항염증제(NSAIDs), 관절강 내 스테로이드, 히알루론산 주사, 관절 보존 수술, 부분 또는 전치환술로 이어진다. 주사제는 주로 통증과 염증 관리에 활용되며, 진행된 구조 손상에 대한 수술에는 미세천공술, 연골복원술, 정렬교정절골술 및 인공관절치환술이 포함된다. 동사는 CARTISTEM 을 구조적 연골결손이 존재하는 중등증 환자의 수술형 재생치료제로, SMUP-IA-01 을 경중~중등증 환자를 대상으로 하는 비수술형 세포치료제로 개발하고 있다.

Figure 2. 동사의 주요 파이프라인 현황

적응증	치료제	임상국가	전임상	Phase I	Phase II	Phase III	품목허가	Notables
무릎 골관절염	CARTISTEM®	한국						2012년 시장진출, 블록버스터 의약품
		미국						임상 3상 첫 환자 투약 완료 한국 임상 및 시판데이터를 근거로 임상 2상 생략
		일본						임상 3상 종료 품목 허가 신청 준비 중 한국 임상 및 시판데이터 근거로 임상 1상, 2상 생략
	SMUP-IA-01	한국						임상 2상 종료 임상 3상 준비 중
		미국						Pre-IND 미팅 완료 한국 임상 결과를 근거로 임상 1상 생략
기관지폐이형성증 (BPD)	PNEUMOSTEM®	한국						첨단재생의료 치료계획 심의 중 임상 2상 종료
		미국						임상 1/2상 종료 미국 및 유럽 희귀의약품 지정 미국 Fast Track 지정

(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

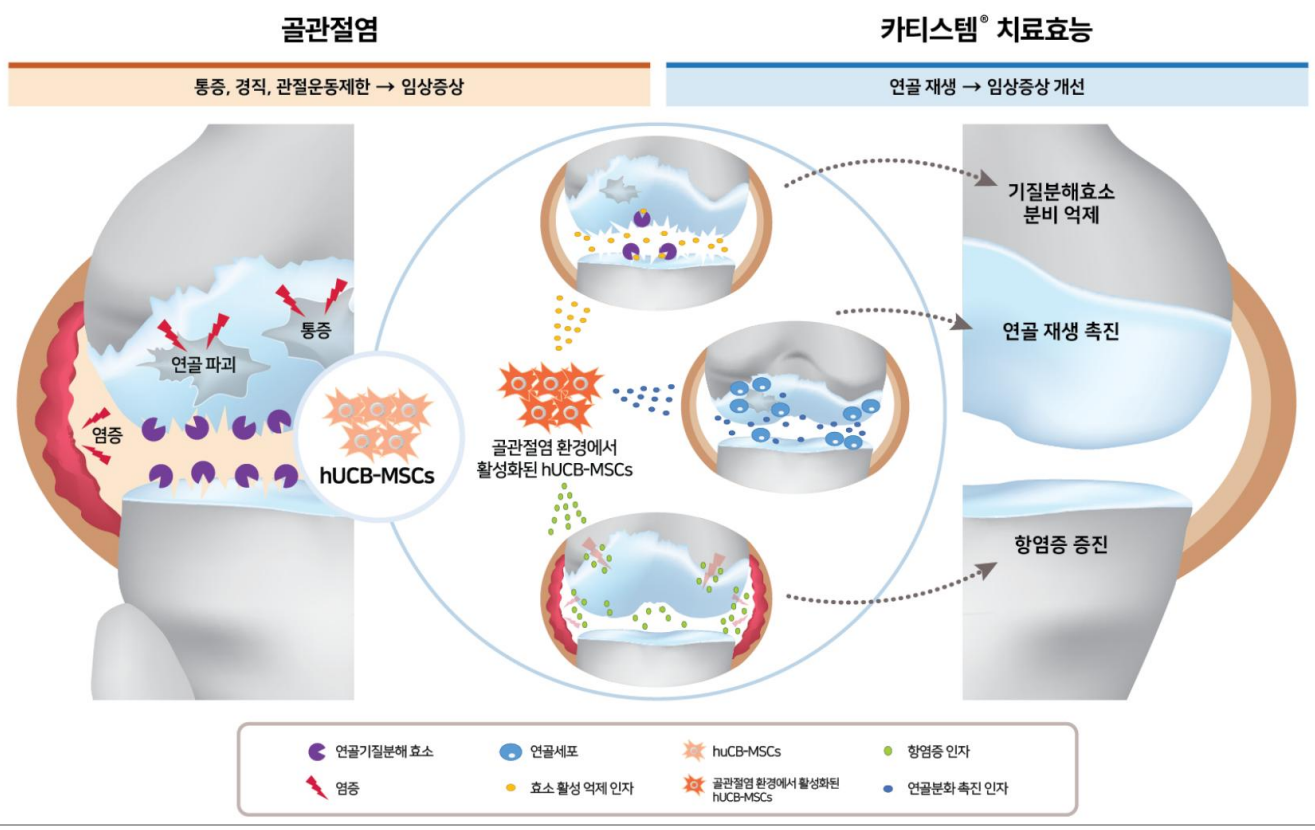
DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

CARTISTEM 개요

CARTISTEM 은 사람 제대혈에서 유래한 동종 MSC 와 히알루론산(Hyaluronic Acid, HA) 지지체를 조합한 수술형 연골재생 치료제로, 2012 년 국내 품목허가를 획득했다. MSC 와 HA 지지체를 손상 부위에 적용해 연골재생을 촉진하고 연골 기질 분해 및 염증 반응을 조절하는 기전이다. HA 는 세포가 국소 결손부에 위치하도록 돕는 제형 구성요소이자 관절연골의 세포외기질(ECM)과 연관된다. CARTISTEM 은 관절경 또는 절개를 통해 결손 연골을 정리하고 병변의 연골하골에 일정 깊이의 천공을 시행한 뒤, 형성한 구멍과 결손 부위에 세포, HA 복합물을 충전하는 수술 방법으로 적용된다. 연골하골 천공은 결손부의 재생 환경을 형성하고 이식 물질을 안정적으로 배치하기 위한 것이며, 주변 골수 성분이 노출되는 국소 미세환경과 함께 연골 회복을 유도한다.

동사의 주요 타겟 환자군은 K&L 2~3 의 무릎 골관절염과 ICRS 4 또는 Outerbridge 3~4 의 심부 연골결손을 동반한 환자이다. 치료효과는 환자의 증상, 무릎 기능, 연골 구조 및 이상반응으로 평가한다. WOMAC(Western Ontario and McMaster Universities Osteoarthritis Index)은 통증, 경직, 신체기능을 종합 평가하고, VAS(Visual Analogue Scale)는 통증 강도를, IKDC(International Knee Documentation Committee)는 증상과 무릎 기능을, KOOS(Knee injury and Osteoarthritis Outcome Score)는 통증, 기능, 삶의 질 등을 평가한다. 연골재생의 구조적 변화는 ICRS 관절경 등급, 조직학적 연골 특성, MRI 기반 MOCART(Magnetic Resonance Observation of Cartilage Repair Tissue) 및 MOAKS(MRI Osteoarthritis Knee Score)로 측정한다. 증상 개선은 일상생활의 임상적 변화를, 구조 평가는 연골 결손의 복원상태를 나타내기 때문에 서로 다른 평가변수를 병행하는 임상 설계가 주를 이룬다.

Figure 3. CARTISTEM 치료효능



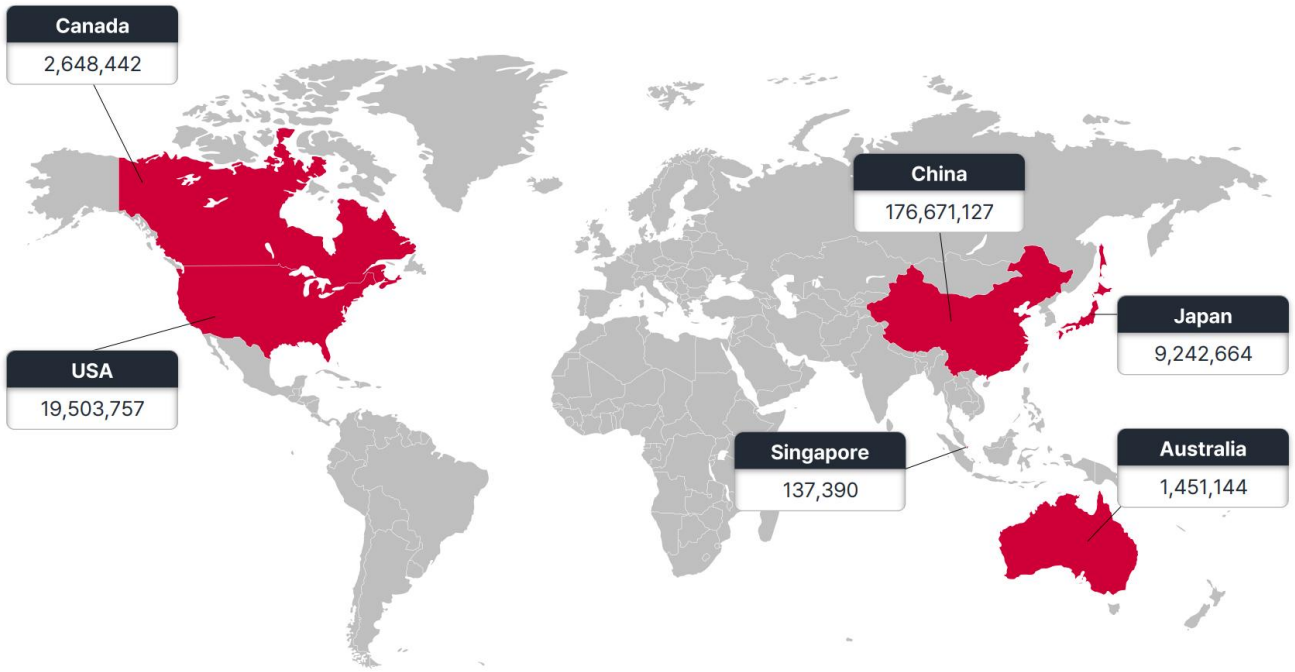
(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

국내 품목허가 및 장기간의 임상 사용 경험은 CARTISTEM 해외 임상 진입의 기반이 되었다. 미국은 국내 임상과 시판 데이터를 토대로 임상 2 상을 생략하고 임상 3 상에 진입했으며, 일본에서는 임상 1 상과 임상 2 상을 생략하고 임상 3 상을 시행했다. 두 시장 모두 기존 국내 임상, 제조, 시판 데이터가 규제당국과의 개발 전략 협의에 활용되었다. 동사의 글로벌 임상은 일본에서 HA 대조 수술형 치료의 52 주 결과, 미국에서 외과적 연골 절제술 대조 24 개월 결과를 각각 확인하도록 설계되어 있다.

Figure 4. 글로벌 무릎 골관절염 Prevalence



(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 5. CARTISTEM 연골재생 데이터

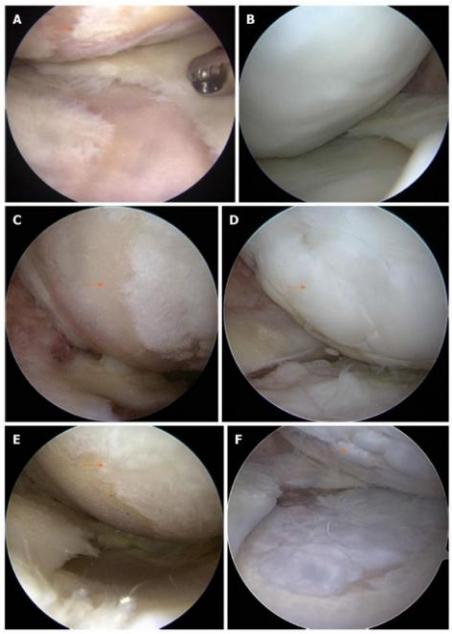


Figure 4 Second-look arthroscopic findings. A: Cartilage lesions classified as International Cartilage Repair Society (ICRS) grade IV in the medial femoral condyle (MFC) (arrow) and tibial plateau in a 61-year-old female patient; B: Cartilage was regenerated to ICRS grade I (arrow) via second-look arthroscopy, performed 13 mo after the initial operation; C: A cartilage lesion classified as ICRS grade IV in the MFC (arrow) of a 52-year-old male patient; D: Cartilage was regenerated to ICRS grade II (arrow) via second-look arthroscopy, performed 22 mo after the initial operation; E: A cartilage lesion of ICRS grade IV in the MFC (arrow) of a 68-year-old female patient; F: Cartilage was regenerated to ICRS grade III (arrow) via second-look arthroscopy, performed 16 mo after the initial operation.

Reference: Song J.S. et al. (2020) World J Stem Cells 2020 June 26; 12(6): 514-526

(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

강력한 CARTISTEM 일본 진출 모멘텀

일본은 동사가 CARTISTEM 의 첫 해외 상업화를 추진하는 시장이다. 일본 무릎 골관절염 환자는 900 만명 이상이며, 고령 인구 비중이 높고 관절 보존 수술과 인공관절치환술에 대한 의료수요가 존재한다. 일본 임상은 기존 국내 임상과 장기간 시판자료를 바탕으로 일본에서 임상 1 상 및 임상 2 상을 생략하고 임상 3 상을 진행했다. 일본 임상 3 상은 통증, 기능 개선과 연골 구조 복원을 동시에 평가하는 프로토콜로, 총 120 명의 평가자료를 통해 유효성 지표를 분석했다.

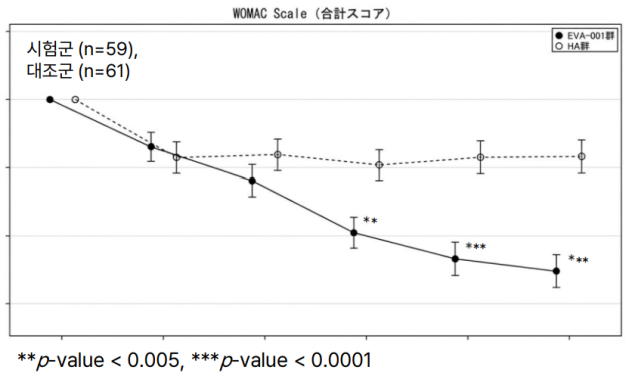
일본 임상 3 상의 분석집단은 CARTISTEM 군 59 명, HA 활성대조군 61 명으로 구성된다. 공동 1 차 평가지표는 52 주차 WOMAC 총점의 baseline 대비 변화량과 ICRS 등급이 1 단계 이상 개선된 환자 비율이다. 2026 년 5 월 발표된 최종 분석에서 WOMAC 은 p<0.0001, ICRS 는 p=0.0002 로 각각 대조군 대비 통계적 유의성을 확보했다. 두 평가변수를 동시에 충족하여 환자보고 증상과 연골 구조 개선을 모두 확보하였다. 2 차 평가변수에서는 WOMAC 의 pain, physical function, stiffness 세 하위척도, 100mm VAS, KOOS, IKDC, ICRS score 가 평가되었다. 주요 2 차 지표의 대조군 비교에서 각각 p<0.0001 이 보고되었으며, 임상 중 발생한 중대한 이상반응은 약물과의 인과관계가 확인되지 않았다.

Figure 6. CARTISTEM 일본 임상 3 상 결과 모든 평가지표에서 대조군 대비 통계적 유의성 확인

평가항목		P-value
Primary Endpoints (1차 평가지표)	WOMAC Scale	<0.0001
	ICRS	=0.0002
Secondary Endpoints (2차 평가지표)	WOMAC Sub-scale	<0.0001
	ICRS Score	<0.0001
	100mm VAS	<0.0001
	IKDC Score	<0.0001
	KOOS Scale	<0.0001

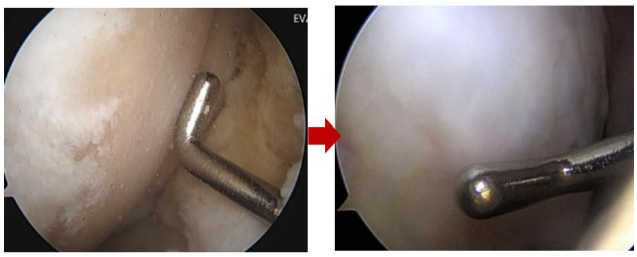
(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 7. CARTISTEM 일본 임상 3 상 WOMAC



(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 8. CARTISTEM 일본 임상 3 상 ICRS

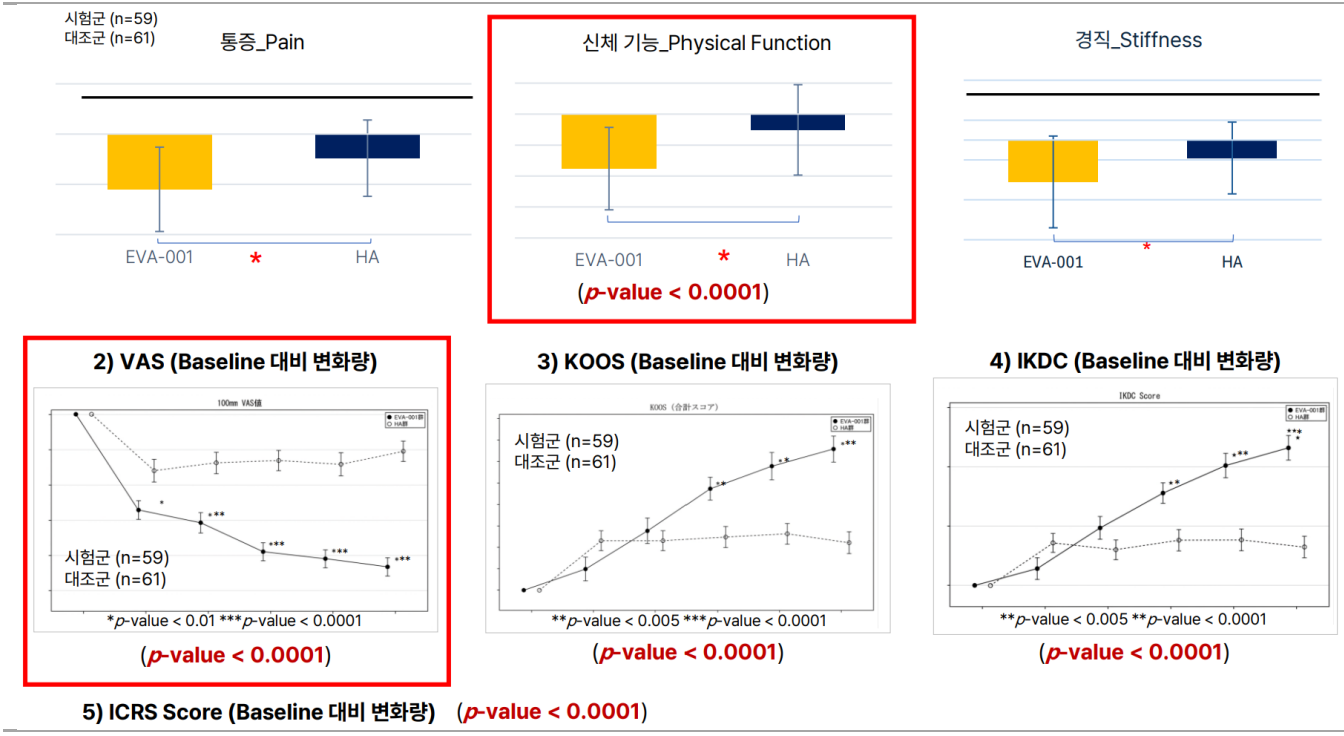


(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

Figure 9. CARTISTEM 일본 임상 3 상 각 WOMAC Sub-Scale Baseline 대비 변화량



(Source: 메디포스트, IV Research)

일본 품목허가 절차는 임상시험 최종 결과보고서, 제조 및 품질 관련 제출자료, 의약품 허가 신청 및 심사, 약가 협상과 보험급여 등재를 거쳐 판매로 이어질 전망이다. 동사는 2026 년말 품목허가 신청, 2027 년 품목허가 승인 및 약가 협상 개시, 2028 년 약가 및 보험급여 결정과 하반기 판매 개시를 목표로 한다. 동사는 2025 년 일본 현지 Teikoku Seiyaku 와 CARTISTEM 독점 판매권 라이선스 계약을 체결했다. 계약기간은 10 년이며, 선수금 117 억원과 단기 인허가 마일스톤 147 억원 및 중장기 판매실적 연동 마일스톤을 포함한다. 동사가 제품 생산권을 보유하고 완제의약품을 직접 공급하는 구조이며, 현지 영업 및 판매에 대한 권리를 파트너사가 갖는다. 일본 시장에서 축적되는 판매 경험을 기반으로 향후 미국, 중국, 유럽, 중동 등 기타 지역의 사업개발 협의에 활용할 계획이다.

Figure 10. 일본 현지 Teikoku Seiyaku 와 CARTISTEM 독점 판매권 라이선스 계약을 체결



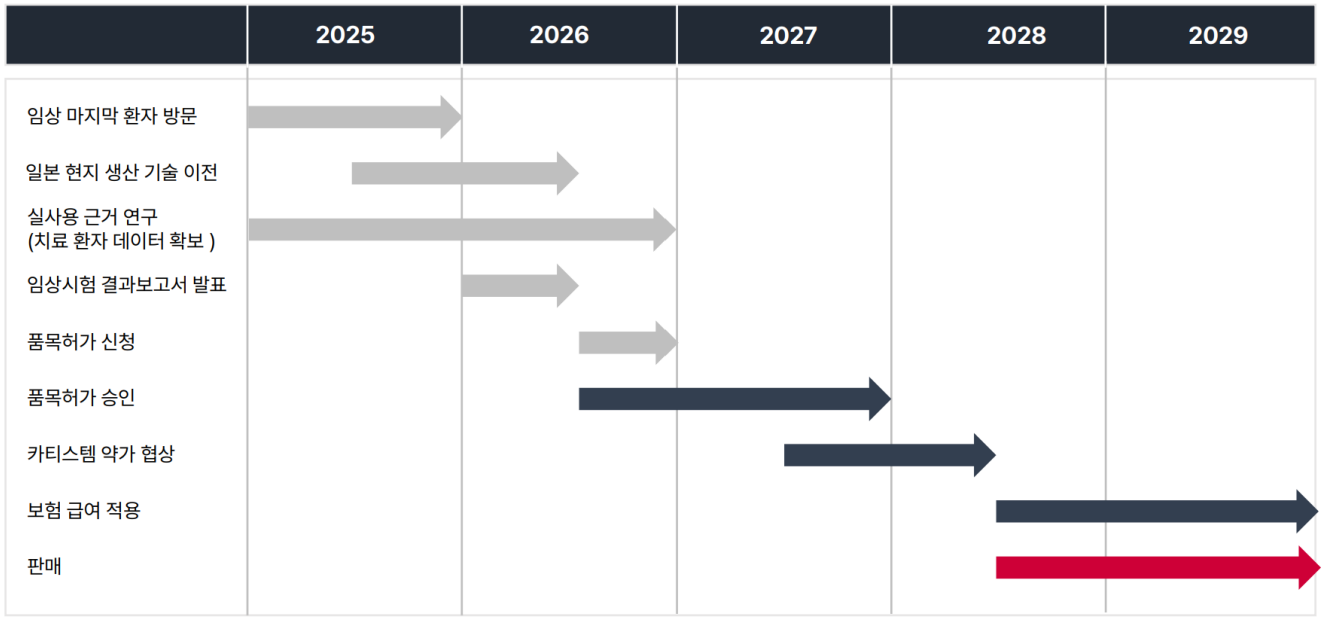
(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

2026 년말 발표될 것으로 기대되는 장기 Real world evidence(RWE) 데이터는 일본 허가 이후 치료의 지속성과 경제적 가치를 뒷받침하는 자료로 활용될 예정이다. 동사는 국내에서 2012~2022 년 CARTISTEM 치료 환자 약 500 명의 장기 임상자료를 11 개 의료기관을 통해 수집하여, 약물 작용 지속기간, 인공관절치환술 전환률, 이상반응 및 복원된 연골의 특성 등을 평가하였다. 2025 년 10 월 기준 약 300 명의 추적자료가 확보되었고, 2026 년말 최종 연구결과 발표가 계획되어 있다. 장기간의 통증 및 기능 개선과 인공관절 전환 지연이 확인될 시 일본의 약가 협상 및 보험급여 논의에서 임상적 편익과 후속 의료자원 사용을 설명하는 근거자료로 활용될 수 있을 전망이다.

Figure 11. CARTISTEM 일본 상업화 Timeline



(Source: 메디포스트, IV Research)

CARTISTEM 미국

미국은 CARTISTEM 의 장기 글로벌 성장전략에서 가장 큰 시장규모를 보유한 지역으로, 미국 무릎 골관절염 환자 수는 약 2 천만명 수준이다. 동사는 미국 임상에서 K&L 2~3 수준의 무릎 골관절염과 Outerbridge 3~4 의 심부 연골결손을 함께 가진 환자에서 CARTISTEM 의 구조적 복원과 증상 개선을 검증할 계획이다. 미국 FDA 는 국내 임상과 시판 후 데이터를 활용한 개발 패키지를 토대로 임상 2 상없이 후기 임상에 진입하는 것을 수용했다. 이에 따라 1Q26 FDA 임상 3 상 IND 승인 후 3Q26 첫 환자 투약이 진행되었다.

미국 임상 3 상은 CARTISTEM 군은 세포, HA 복합물의 이식 수술을, 대조군은 외과적 연골 절제술(arthroscopic debridement)을 시행한다. 절제술은 관절경을 통해 손상된 연골 가장자리와 표면의 불규칙한 조직을 정리하고 관절강 내 염증성 조직을 제거하는 수술방법이다. 이 처치는 단기적으로 통증 및 기능을 개선할 수 있지만 새로운 연골 조직을 형성하기 위한 세포 이식과는 치료기전이 다르다.

1 차 평가지표는 수술 후 24 개월 시점의 VAS Pain Score 변화량과 WOMAC Scale 변화량이다. VAS 는 환자의 통증을 정량화하고 WOMAC 은 통증, 경직, 신체기능을 포함한 골관절염 증상을 평가하기 때문에 연골 복원의 구조적 변화가 장기 증상 개선과 연결되는지 측정한다. 2 차 평가지표는 24 개월 MRI 를 활용하는 Modified MOCART 점수와 MOAKS 연골 형태 점수로 구성됐다. MOCART 는 재생 연골의 결손부 충전, 조직 형태 및 주변 연골과의 통합 상태를 평가하고, MOAKS 는 연골을 포함한 골관절염의 구조적 변화를 영상으로 평가한다.

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

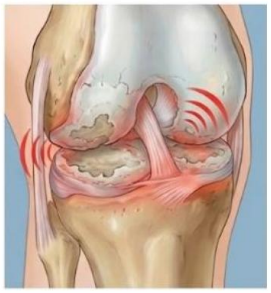
DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

Figure 12. CARTISTEM 미국 임상 3 상 Protocol

구분		임상 3상
임상대상 및 목적		▪ Outerbridge Grade 3 or 4, K&L Grade 2~3 무릎 골관절염 환자를 대상으로 카티스템의 유효성 및 안전성 평가
임상디자인		▪ 무작위 배정, 단일 맹검(피시험자 및 평가자 맹검), 다국가, 전향적(Prospective)
그룹설정		▪ 시험군 : 카티스템 ▪ 대조군 : 외과적 연골 절제술(Debridement)
평가변수	1차	▪ 수술 후, 2년(24개월)차 VAS Pain score 변화 ▪ 수술 후, 2년(24개월)차 WOMAC scale 변화
	2차	▪ 수술 후, 2년(24개월)차 Modified MOCART 점수 변화 ▪ 수술 후, 2년(24개월)차 MOAKS 연골 형태 점수 변화

(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 13. CARTISTEM 미국 임상 3 상 활성대조군

구분	활성대조군 (Active Control)		
처치명	외과적 연골 절제술 (Debridement)		
주요 목적	손상된 조직의 물리적 정리를 통한 단기적 통증 완화 (Short-term pain relief) 및 증상 개선		
수술 방법	관절내시경을 통해 손상된 연골/뼈/염증 조직을 물리적으로 제거(Removal)하고 거친 표면을 다듬는 구조적 감량 (Subtractive) 처치		
참고 이미지	수술 전: 거칠고 손상된 연골 표면	수술 직후: 일시적으로 연골이 정리된 상태 (연골층이 얇아짐)	수술 후 장기: 구조적 재생 실패로 연골 소실 및 뼈 마찰
			

(Source: 메디포스트, IV Research)

주목할만한 것은 FDA 와 협의된 미국 개발전략이 single pivotal study 를 활용한다는 점이다. 이에 따라 기존에 가정했던 pivotal 및 confirmatory 두 건의 독립 임상 대신 하나의 pivotal study 로 허가신청이 가능하다. 목표 환자 수는 총 600 명에서 300 명으로, 예상 총 개발기간은 48 개월에서 42~45 개월로 조정되었다. 임상 개발 비용 역시 20~30% 수준 감소할 것으로 추정된다. 2027 년 환자모집 완료 및 24 개월 평가 자료 확보 이후 결과 분석과 허가신청 절차가 진행될 전망이다.

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

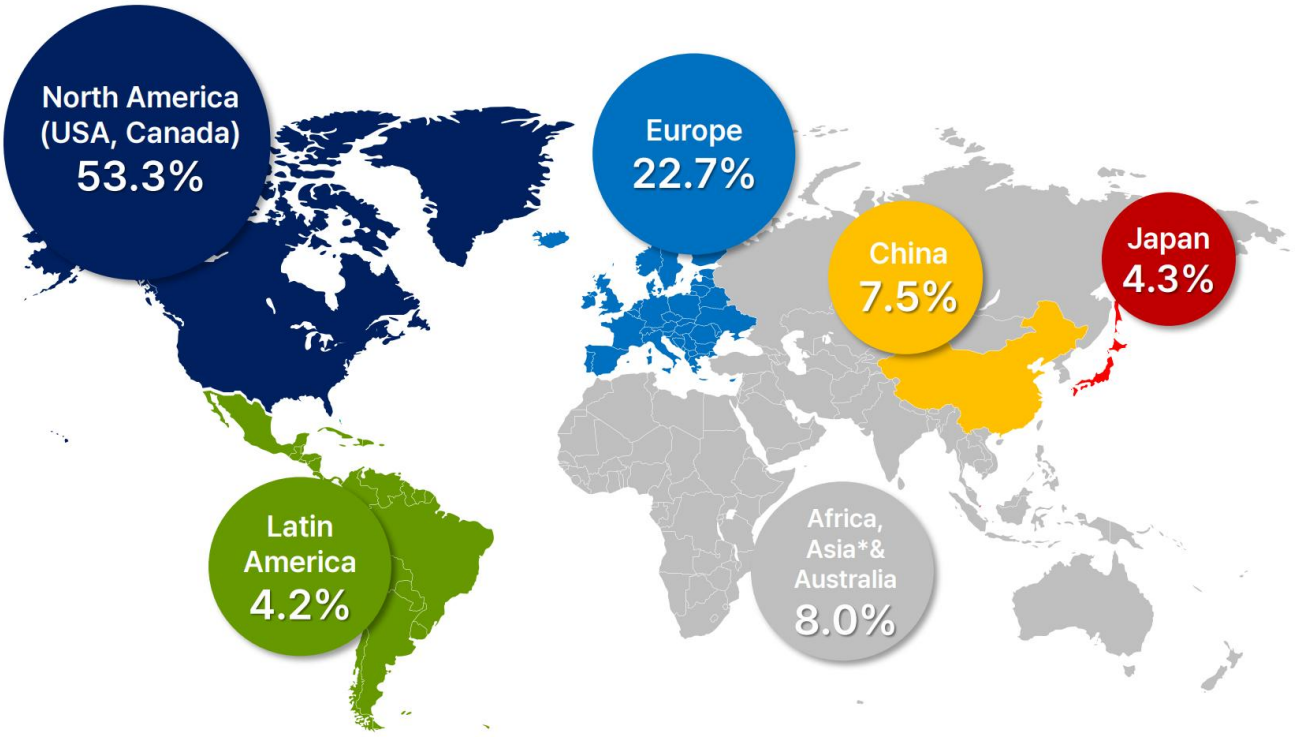
Figure 14. 미국 임상 3 상 Single Pivotal Study 진행

항목	BEFORE	AFTER
01 임상 구성 필요 임상 시험 수	중추(Pivotal) + 확증(Confirmatory) 2개의 독립 임상	Single Pivotal 1개의 단일 중추 임상
02 환자 수 총 모집 대상	총 600명 300명 × 2 임상	총 300명 ▼ 50% 감소
03 임상 기간 예상 소요 기간	~48개월 순차 진행 기준	~45~42개월 ▼ 최대 1~2 분기 단축 예상
04 개발 비용 총 임상 비용 (상대 지표)	100% 기존 2건 임상 합계	70–80% ▼ 약 20–30% 절감 예상
05 임상 사이트 수 총 임상 사이트	총 70개 35개 x 2 임상	총 70개 환자 모집 속도 가속화

* 출처: Prasad V, Makary MA. One Pivotal Trial, the New Default Option for FDA Approval - Ending the Two-Trial Dogma. N Engl J Med 2026;394:815-817.
* 저자: Vinay Prasad (M.D., M.P.H.), Martin A. Makary (M.D., M.P.H.)

(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 15. 2023 년 기준 글로벌 의약품 시장



(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

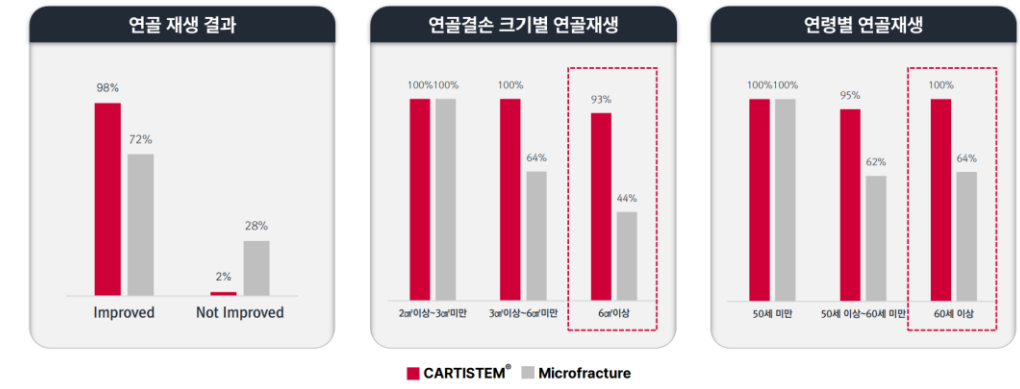
DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

CARTISTEM 국내 및 장기추적 데이터

CARTISTEM 은 2012 년 국내허가 후 무릎 골관절염 및 연골결손 환자에게 수술적 방식으로 적용되어 왔다. 국내 판매 경험은 당연하게도 임상 이전 단계의 후보물질과 달리 실제 의료기관의 시술, 재활, 장기관찰 데이터를 지속적으로 생산한다는 특징을 갖는다. 2017 년 3 월 기준 600 례 이상의 시판 후 조사(PMS) 사례가 축적되었으며, 국내허가 임상과 장기간 추적관찰 연구는 통증, 경직, 신체기능, 연골재생 등 평가를 포함한다. 다수 의료기관에서 축적된 이러한 데이터는 해외 임상에서 대상 환자 선정, 안전성 정보, 수술방법 및 장기관찰 항목을 설정할 때 활용되는 임상 근거를 제공한다.

국내 CARTISTEM 허가 임상에서 비교 대상으로 사용된 미세천공술은 연골결손 부위의 연골하골에 작은 구멍을 형성해 골수유래 세포와 혈액성분이 노출되도록 하는 관절 보존술이다. 동사는 임상 3 상 결과와 더불어 해당 환자들의 5 년 연장 추적관찰 결과를 통합한 논문을 발표하였다. 임상 3 상은 다기관 무작위 비교 임상에서 114 명이 무작위배정 되었고, 수술 후 48 주 관절경 평가를 완료한 CARTISTEM 43 명과 대조군 46 명이 연골복원 분석에 포함되었다. ICRS 등급이 1 단계 이상 개선된 비율은 CARTISTEM 97.7%, 미세천공술 71.7%였고, 약 70%의 CARTISTEM 투여 환자는 2 단계 이상의 ICRS 개선을 보였다. 조직학적 복원 점수도 CARTISTEM 군에서 더 높아 대조군 대비 구조적 연골재생 결과가 확인되었다. 5 년 추적관찰에는 73 명이 등록되었으며, 수술 전 대비 VAS, WOMAC, IKDC 변화가 장기간 평가되었다. 수술 후 48 주에는 양 군 모두 증상 개선이 관찰되었고, 이후 3~5 년 구간에서는 CARTISTEM 군의 개선이 유지되는 반면, 미세천공술군의 일부 지표가 악화되어 군 간 차이가 관찰되었다.

Figure 16. CARTISTEM 국내 임상 3 상 결과



(Source: 메디포스트, IV Research)

동사는 CARTISTEM 의 2012~2022 년 수술받은 약 500 명을 대상으로 11 개 기관에서 장기 임상정보를 수집하여 2025 년 10 월 기준 약 300 여명의 자료가 확보되었다. 평가 항목은 통증, 기능 상태뿐 아니라 평균 작용기간, CARTISTEM 시술 이후 인공관절 치환술로의 전환률, 이상반응, 재생 연골의 질 및 구성을 포함한다. 동 연구의 전체 결과는 4Q26 중 발표될 것으로 예상된다. 장기 실사용 데이터는 임상시험과 비교해 상당히 폭넓은 실제 환자의 특성을 반영하며, 해외 허가자료와 치료의 지속성 및 의료경제적 가치평가를 보완할 수 있을 것으로 기대한다.

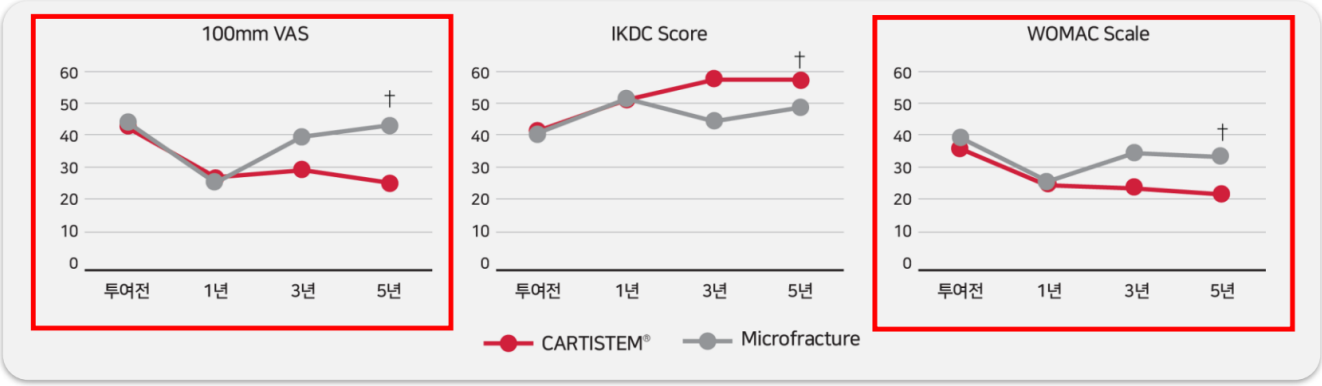
DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

국내 CARTISTEM 매출액은 2023년 216억원, 2024년 202억원, 2025년 195억원을 기록했다. 현재 국내 CARTISTEM 수술은 환자의 보험적용 및 부담 구조에 따라 치료 접근성이 달라지며, 국민건강보험 비급여에 따른 환자 비용 부담이 시장 확대의 주요 제약요소로 판단된다. 또한 시술에는 세포치료제 가격 이외에도 의료기관의 수술, 검사, 입원, 재활비용 등이 수반된다. 따라서 국내 1 회 치료에 수반되는 환자 총비용은 시술 여건에 따라 1,000 만원에서 2,000 원 수준으로 추정된다. 반면 일본의 경우 보험 약가 및 급여 결정 과정을 통해 국내와 다른 환자 부담구조가 형성될 수 있을 것으로 전망되며, 이러한 차이가 국가별 실적을 가를 것으로 예상한다. 국내에서의 판매경험, 시판 후 조사, 장기추적 논문, RWE 등 기반이 강력한 임상 및 의료경제적 근거로서 해외시장 진출에 중요한 발판이 될 것으로 판단된다.

Figure 17. CARTISTEM 국내 임상 3 상 환자 5 년 장기 추적 결과

· 재생된 연골의 기능평가인 100mm VAS[1], IKDC Score[2], WOMAC[3] scale 평가를 **5년간 추적 관찰한 결과**,
카티스템 수술군에서 대조 수술방법인 Microfracture보다 **통계적으로 유의하게 개선 확인**



(Source: 메디포스트, IV Research)

SMUP-IA-01 임상 데이터 기대

SMUP-IA-01 은 차세대 제대혈 유래 MSC 기반 무릎 골관절염 치료제로, CARTISTEM 과 달리 관절강 내 (Intra-articular) 주사 방식으로 투여한다. 주요 타겟 환자군은 K&L 2~3 의 경증~중등증 환자이다. 골관절염에서는 IL-1β, TNF-α 등 염증 관련 신호전달이 연골세포의 기질대사와 연골분해효소 발현에 관여하며, 활막염 및 연골하골 변화가 증상과 진행에 영향을 준다. SMUP-IA-01 은 MSC 가 분비하는 면역조절 및 항염증 관련 인자를 통해 연골 기질 분해와 염증성 미세환경을 조절하는 기전이다.

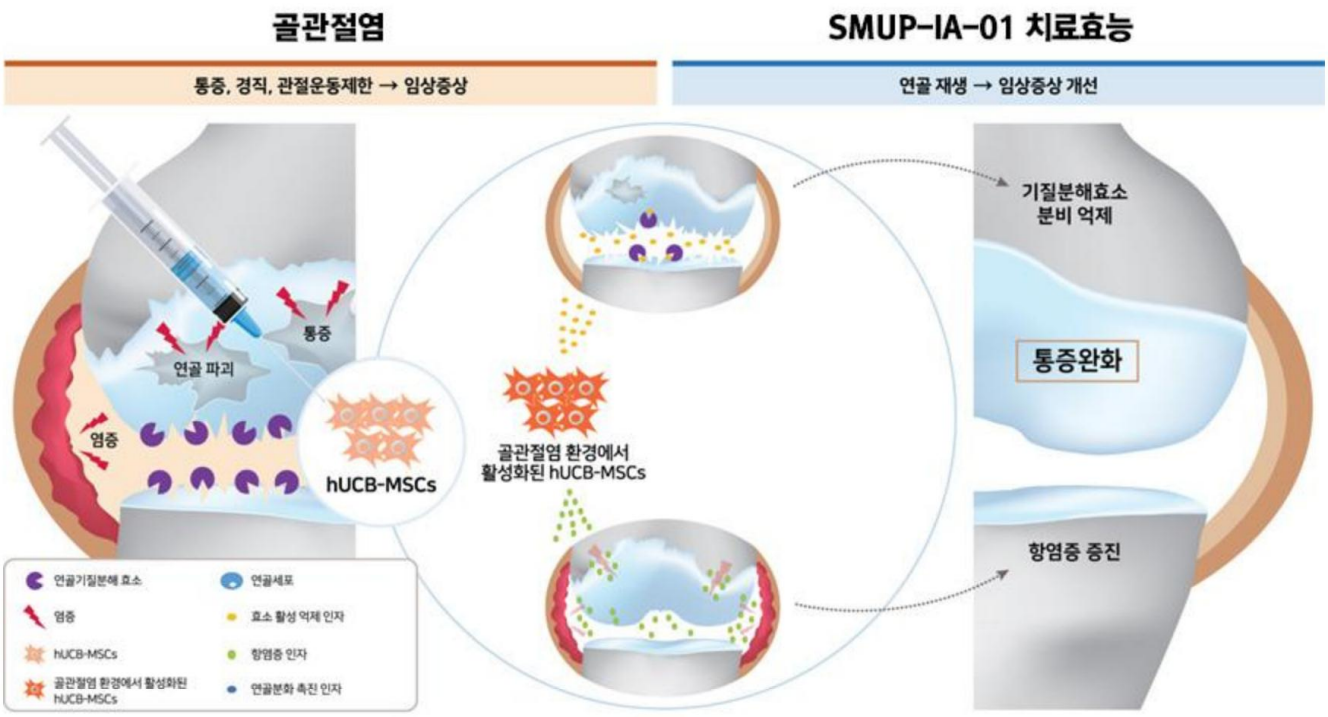
국내 임상 2 상은 K&L 2~3 환자 총 94 명으로 저용량군 31 명, 중용량군 33 명, HA 활성대조군 30 명을 비교했다. 투약 후 52 주 Baseline 대비 WOMAC 변화량은 저용량군 -17.61±2.35 점, 중용량군 -14.69±2.32 점, 활성대조군 -16.20±2.39 점이었다. 세 군 모두 Baseline 대비 WOMAC 개선이 관찰되었으며, 군 간 변화량 비교에서는 통계적으로 유의한 차이가 나타나지 않았다. 100mm VAS 및 IKDC 변화량에서도 군 간 통계적으로 유의한 차이는 확인되지 않았다.

현재 SMUP-IA-01 은 골관절염 유병기간을 기준으로 한 환자군 분석이 주요 후속연구 방향으로 연구 중이다. 장기간 질환을 경험한 환자는 이전의 NSAIDs, 스테로이드, HA 등 다양한 치료에 노출되었을 가능성이 있으며, 유병기간별 치료반응을 분석함으로써 MSC 주사제의 반응군을 구체화하는 것이다. 동사는 유병기간 3~4 년 이상 환자군에서의 subgroup analysis 결과를 2026 년말 발표할 계획이며, 이어 국내 임상 3 상 진입을 위한 IND 제출을 목표로 한다. 미국에서는 국내 임상 데이터를 기반으로 pre-IND 논의를 완료하여 임상 2 상 진입을 추진할 전망이다.

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

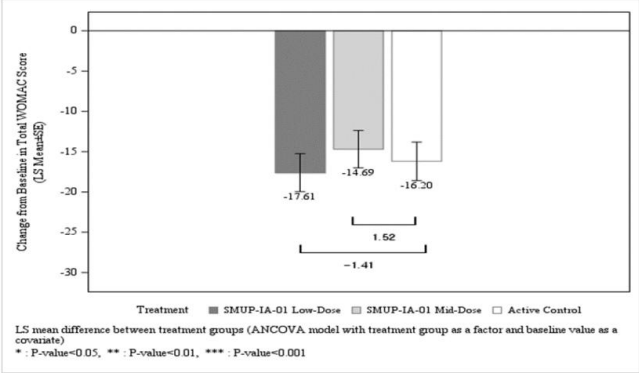
DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

Figure 18. SMUP-IA-01 치료 효능

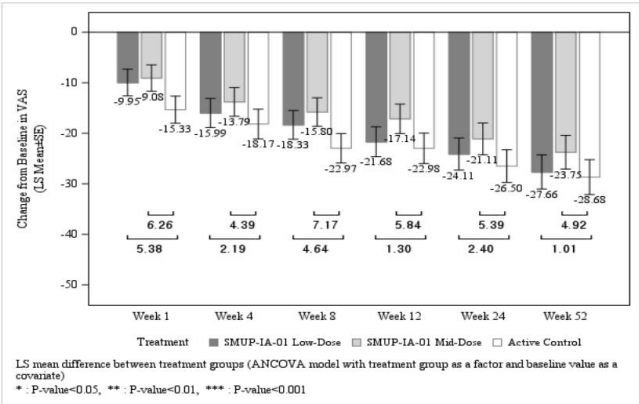


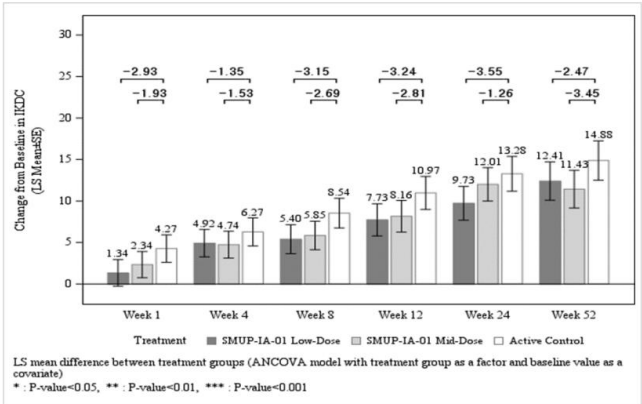
(Source: 메디포스트, IV Research)

Figure 19. SMUP-IA-01 국내 임상 2 상 결과



· K&L grade 2~3 환자 94명(저용량 31명, 중용량 33명, 활성대조군 30명)
· 관절강내 1회 투약 후, 52주 시점의 WOMAC 총점 변화량
· 중대한 이상반응 및 약물이상반응 없음 – 안전성 재확인
· 투여군간 **WOMAC 총점 변화량 비교결과, 통계적으로 유의한 차이 없음**
저용량군 -17.61±2.35,
중용량군 -14.69±2.32,
활성대조군 -16.20±2.39 개선
· 100mm VAS & IKDC 변화량도 투여군간 통계적으로 유의한 차이 없음





(Source: 메디포스트, IV Research)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)

▶ Compliance Notice

。동 자료는 외부의 부당한 압력이나 간섭 없이 작성되었으며, 본 작성자는 기재된 내용들이 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있음을 확인합니다.
。당사는 보고서 작성일 현재 해당회사의 지분을 1%이상 보유하고 있지 않습니다.
。본 자료는 기관투자가 또는 제 3 자에게 사전에 제공된 사실이 없습니다.
。당사는 지난 6 개월간 해당회사의 유가증권의 발행업무를 수행한 사실이 없습니다.
。본 자료는 당사의 투자의사결정을 위한 정보제공을 목적으로 작성되었으며, 작성된 내용은 당사가 신뢰할 만한 자료 및 정보를 기반으로 한 것이나 정확성이나 완전성을 보장할 수 없습니다. 그러므로 투자자 자신의 판단과 책임하에 최종결정을 하시기 바라며, 어떠한 경우에도 본 자료는 투자결과에 대한 법적 책임소재의 증빙자료로 사용될 수 없습니다.
。본 자료의 모든 저작권은 당사에 있으며, 무단복제, 변형 및 배포될 수 없습니다.

©. 2026 IV Research. All rights reserved

DB Copyright © FnGuide Inc. (WR::ME****ST::123.215.***.129::2026-11-10 07:21)