

선도적 면역세포치료제 전문기업



바이젠셀은 면역세포치료제 개발을 통해
난치성질환 환자의 생명을 연장하고 삶의 질을 높이는데
기여하고 있습니다.

Forward Looking Statement

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 투자미팅에서의 정보제공을 목적으로 바이젠셀(주) (이하 “회사”)에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다.

본 투자미팅에의 참석은 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 관련 증권거래 법률에 대한 위반에 해당 될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. “예측정보”는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래에 발생할 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 경영현황 및 재무실적을 의미하고, 표현상으로는 ‘예상’, ‘전망’, ‘계획’, ‘예정’, 등과 같은 단어를 포함합니다.

위 “예측정보”는 향후 경영환경의 변화 등에 따라 영향을 받으며, 본질적으로 불확실성을 내포하고 있는 바, 이러한 불확실성으로 인하여 실제 미래실적은 “예측정보”에 기재되거나 암시된 내용과 중대한 차이가 발생할 수 있습니다. 또한, 향후 전망은 투자미팅 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 현재 시장상황과 회사의 경영방향 등을 고려한 것으로 향후 시장환경의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 발생하는 손실에 대하여 회사 및 회사의 임원들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려 드립니다. (과실 및 기타의 경우 포함) 본 문서는 주식의 모집 또는 매매 및 청약을 위한 권유를 구성하지 아니하며 문서의 그 어느 부분도 관련 계약 및 약정 또는 투자 결정을 위한 기초 또는 근거가 될 수 없음을 알려드립니다.



Contents

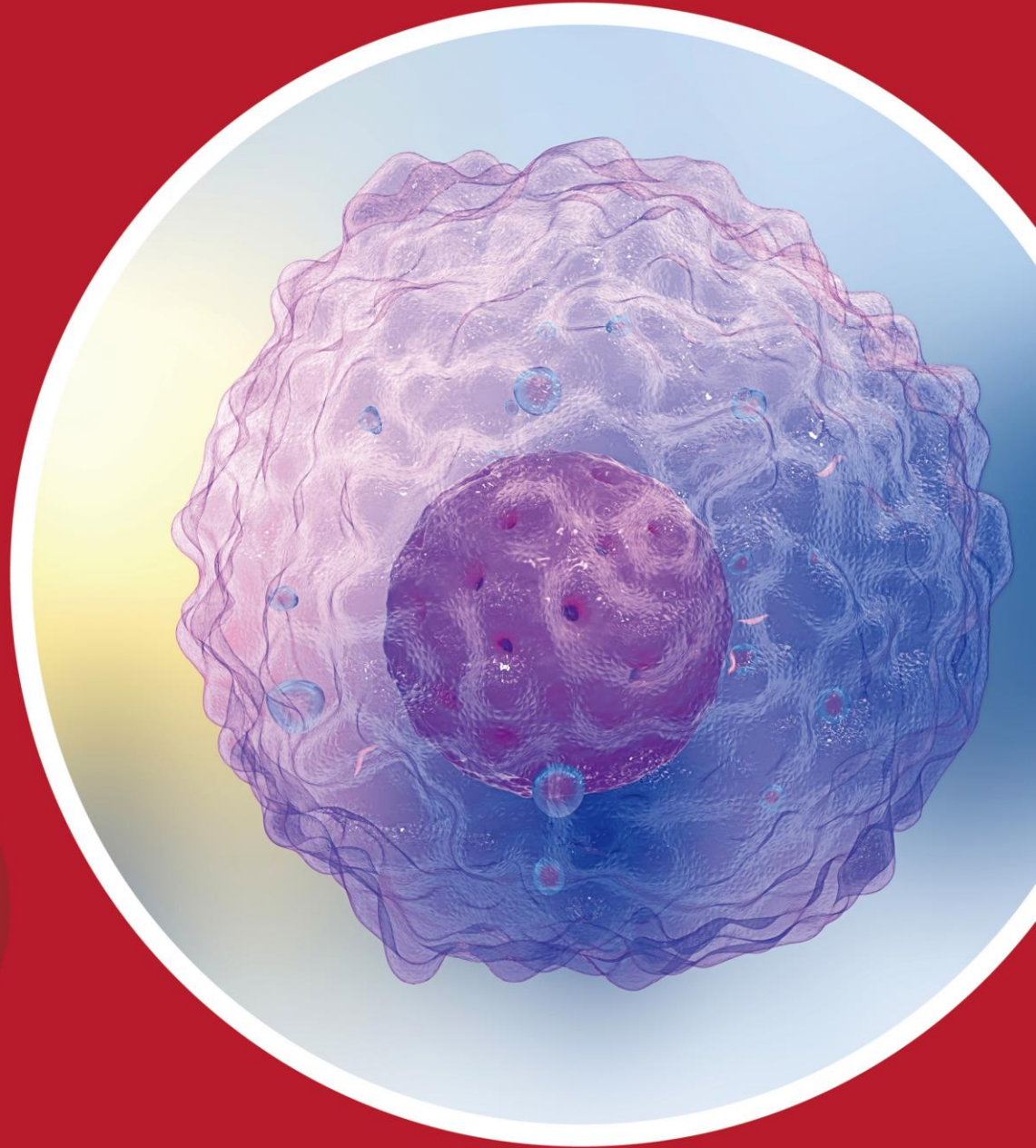
Chapter 1. 바이젬셀 플랫폼 개요

Chapter 2. 임상 및 기술개발 현황

Chapter 3. 사업화 전략



Chapter 1.
바이젬셀 플랫폼 개요



01 Corporate Identity

ViGenCell

Vitalization + **G**enetic engineering + **C**ell therapy

선도적 난치질환 치료제 개발



유전자 치료

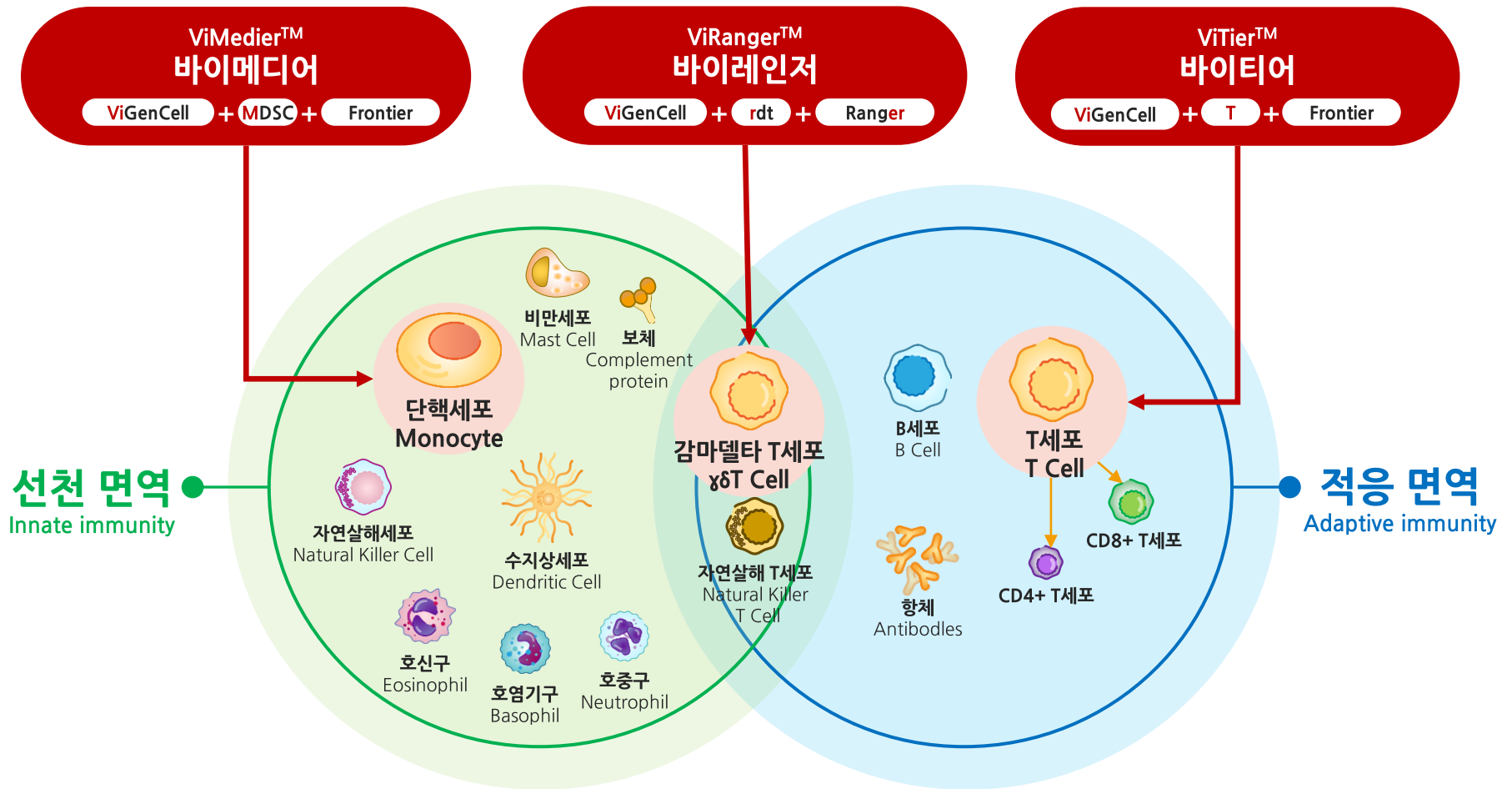


면역세포치료



정밀맞춤의료

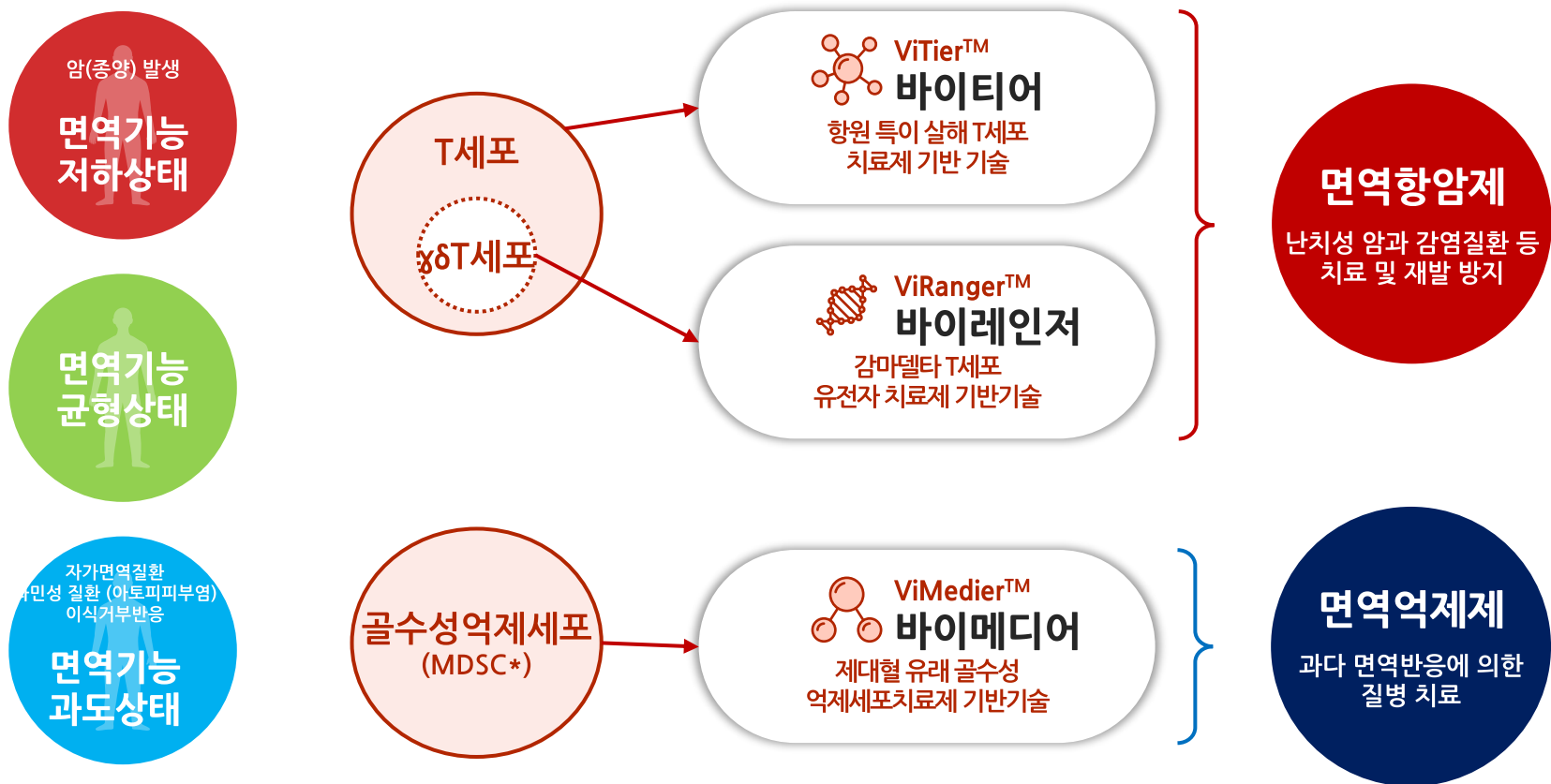
02 면역세포 및 바이젬셀 플랫폼 기술 개요



※ Dranoff G. Nat Rev Cancer, 2004

03 바이젬셀 플랫폼 기술 적용분야

면역세포 기능 저하 & 과도에 따라 발생하는 질환 치료



*MDSC (Myeloid-derived suppressor cell)

04 바이젬셀 플랫폼 핵심경쟁력

면역세포치료제 플랫폼 3종 보유 및 포트폴리오 구축

ViTier	ViRanger	ViMedier
✓ 국내 최초, 최다 임상 경험 ✓ VT-EBV-N 5년 무재발생존율 90% ✓ 표적항원 및 적응증에 따른 파이프라인의 높은 확장성	✓ 범용 'Off-the shelf' 세포유전자치료제 ✓ 독자적인 신호 전달 체계 VR-CAR 개발 ✓ 고형암 시장 진출	✓ 세계 최초 골수성 면역억제세포 임상시험 시행 ✓ 기존 줄기세포대비 높은 효과 및 안전성 ✓ 전임상 효력시험을 통한 적응증 확장

우수한 연구인력 및 팀워크 보유

(국내 최초, 최다 살해 T세포 치료제 임상연구를 진행한 김태규 대표를 필두로 주요 핵심 연구진 가톨릭대학교에서부터 10년 이상 한 팀으로 연구개발 진행)

05 바이젬셀 주요 파이프라인

면역항암제

플랫폼명	파이프라인명	적응증	탐색	전임상	임상1상	임상2상	임상3상
ViTier™	VT-EBV-N	NK/T 세포림프종					
	VT-Tri(1)-A	급성골수성백혈병					
	VT-Tri(2)-G	교모세포종					
ViRanger™	VR-CAR	-					

면역억제제

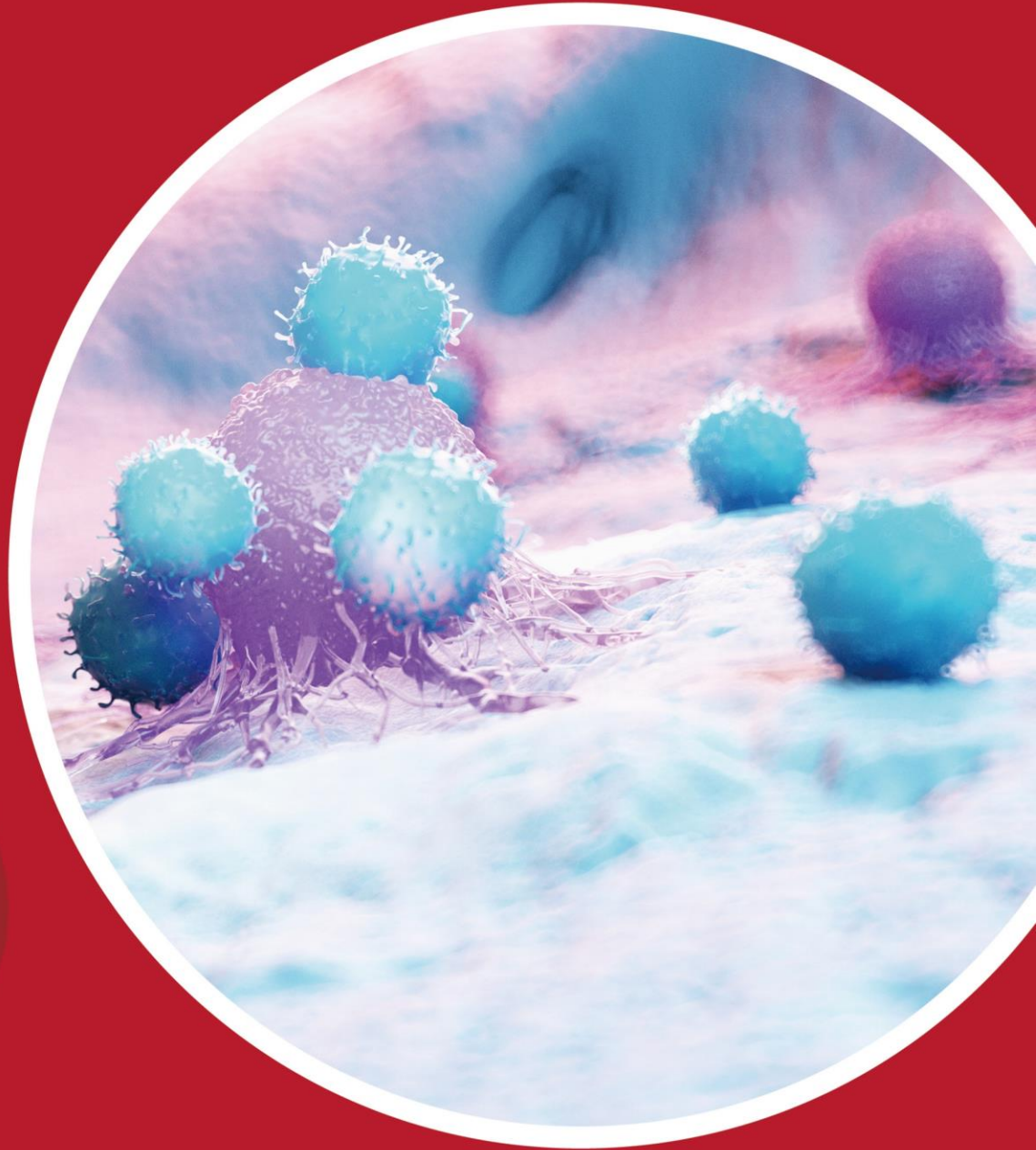
플랫폼명	파이프라인명	적응증	탐색	전임상	임상1상	임상2상	임상3상
ViMedier™	VM-GD	이식편대숙주질환					
	VM-AD	아토피피부염					

06 임상 및 연구개발 주요 일정

구 분		ViTier	ViRanger	ViMedier
2021년 4Q		VT-Tri(1)-A 임상개시 및 환자등록	VR-CAR 타겟 항체 공동개발	
2022년	1Q	VT-EBV-N 임상환자 모집 완료	VR-CAR 후보물질 확립 및 특허 출원	
	2Q	VT-Tri(2)-G IND 신청	VR-GDT 보조배양세포 개선 특허 출원	VM-AD 논문 게재 및 학회 발표
	3Q	VT-Tri(2)-G IND 승인	VR-GDT GMP 생산공정 확립	VM-AD IND 신청(해외임상)
	4Q	VT-EBV 적응증 확장 임상 IND	VR-CAR 논문 게재 및 학회 발표	VM-AD IND 승인(해외임상)
2023년		VT-Tri(1)-A 임상 1상 완료	VR-GDT 전임상 완료	VM-AD 임상 1/2a상 완료
2024년		VT-EBV-N 임상 2상 완료 VT-EBV-N 품목허가 및 판매개시 VT-Tri(2)-G 임상 1상 완료	VR-GDT 해외임상 IND 신청 및 승인	



Chapter 2.
임상 및 기술개발 현황



2.1 ViTier 플랫폼 기술

항원 특이 살해 T세포 제조로 맞춤형(자가) 세포치료제 기술 확보

ViTier™

ViGenCell

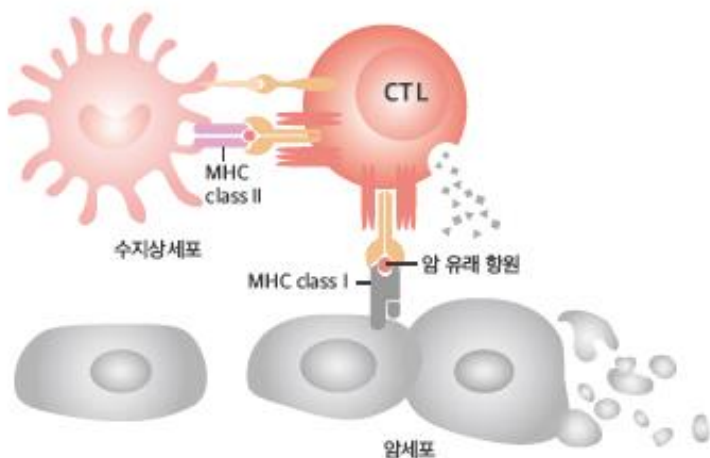
+

T

+

Frontier

바이티어는 사람 혈액에서 채취한 T세포를
'항원 특이적인 살해 T세포(CTL)'로
분화-배양시키는 기술



ViTier 핵심 기술

1 인체 친화적, 기억기능보유 살해 T세포

- 수지상세포 활용, 인체 환경과 유사한 항원제시 과정
- 인체에서 지속적으로 작용하여 잔존율을 완치할 수 있는 기술

2 다중항원 표적 가능 살해 T세포

- 3중 항원 특이 살해 T세포 생산 기술 보유
- 암세포의 면역회피기능 극복 가능

3 상업화에 최적화된 우수한 배양기술

- 인체 혈액 조성과 유사한 배양 환경기술
- 면역기능이 저조한 환자에서도 높은 생산성공률

4 암을 정복할 수 있는 3가지 핵심 요소 보유

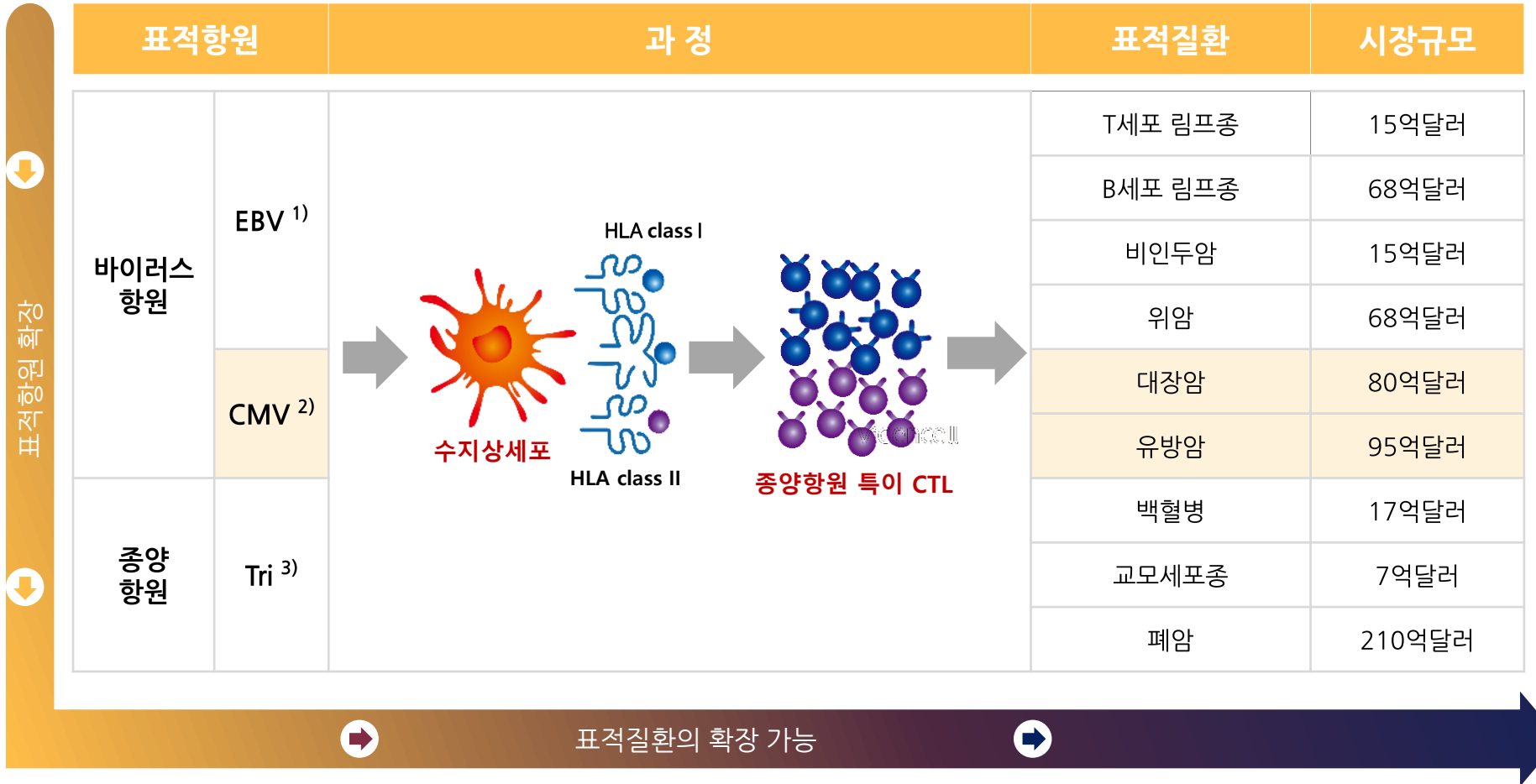
- 특이성 (Specificity), 기억능 (Memory), 적응능 (Adaptiveness)

2.1

Chapter 2. 임상 및 기술개발 현황

ViTier(바이티어) (2) 확장 가능한 시장

표적항원 및 표적질환 확장으로 다양한 적응증 치료제 개발 가능



※ 1) EBV : Epstein-Barr virus 2) CMV : Cytomegalovirus, 3) Tri : 공통종양항원(WT1, Survivin, TERT)을 지칭

엡스타인바 바이러스(Epstein Barr Virus, EBV)는 다양한 암종 발생의 결정적인 원인

EBV는 체액, 특히 타액을 통해 흔하게 퍼지며 감염될 경우 EBV는 평생 잠복감염 상태로 유지됨

**면역 기능 저하에 따른 EBV 감염 세포 증폭
→ 림프종 뿐만 아니라 고형암까지 유발**

1 버킷림프종(BL), 이식후림프증식성질환(PTLD), 호지킨림프종(HL), 비호지킨림프종(NHL), 비인두암(NPC), 위암(GC) 등
연간 200,000건의 EBV 관련 악성 종양 발병

2 또한, EBV감염은 진행성 다발성경화증 (Progressive Multiple Sclerosis) 유발의 주요 원인임

EBV 유발 암은 표준치료법 없으며 예후가 매우 좋지 않으며 환자의 생존을 낮음

1 국소병기에도 불량한 예후

2 항암치료 내성 유전자 발현

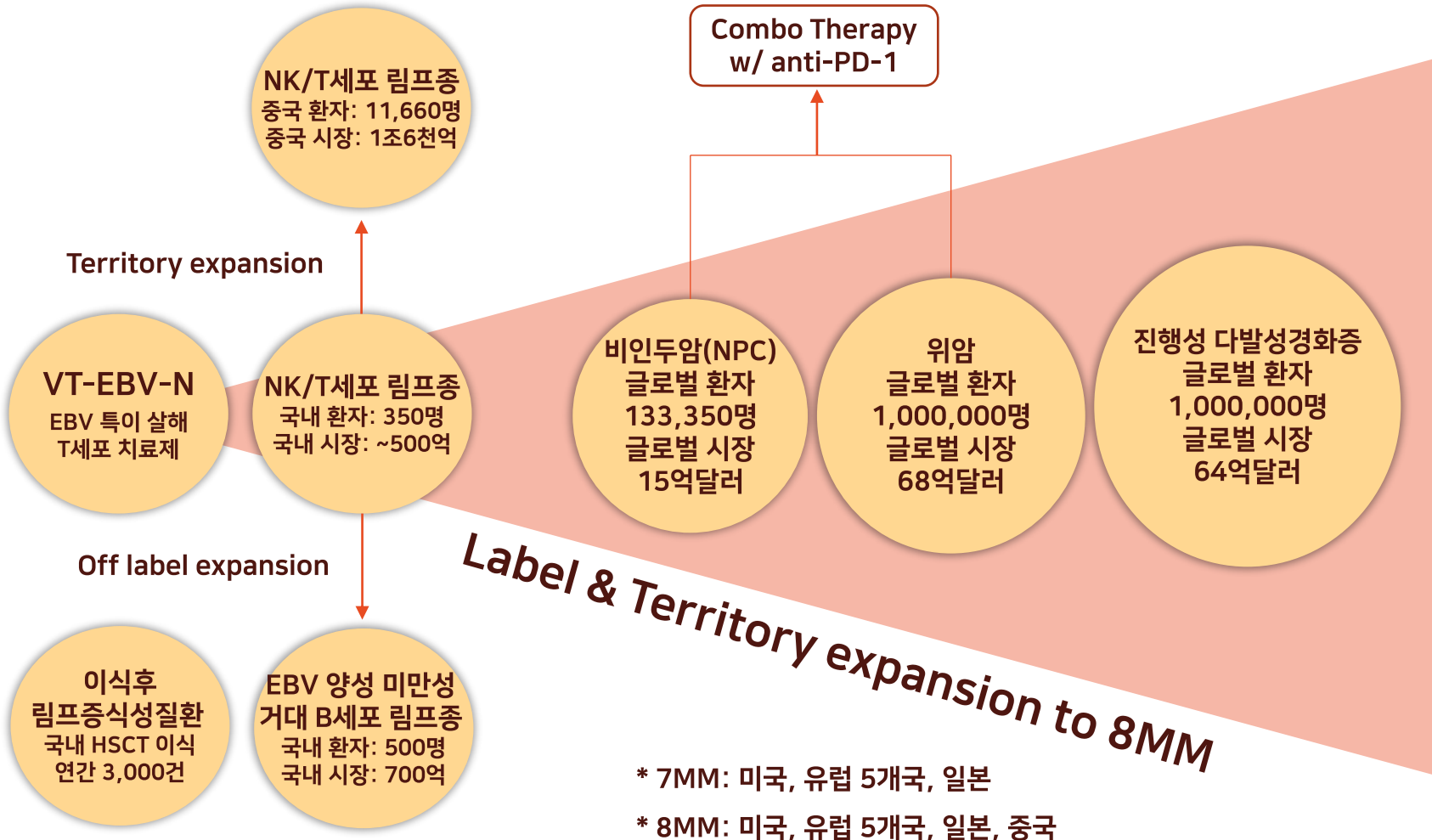
3 고강도 항암-방사선 병용치료에도 빈번한 재발

2.1

Chapter 2. 임상 및 기술개발 현황

ViTier(바이티어) VT-EBV-N (엡스타인바 바이러스, EBV)

2020년 기준 EBV 시장 (7MM) 17억달러



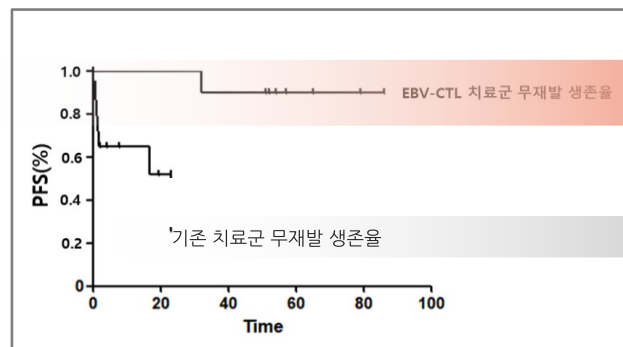
VT-EBV-N의 탁월한 임상1상 결과에 따른 임상2상의 높은 성공 가능성

NK/T 세포 림프종 임상 2상 개요

대상 질환	EBV 양성 절외 NK/T세포 림프종
표적 항원	EBV LMP1/LMP2a
대상 환자수	48명 (대조군: 24명, 시험군: 24명)
실시 기관	14개 기관
평가	유효성평가(무질병생존), 안전성평가(이상반응)



임상 1상(연구자주도임상) (2007~2015년)



90%

5년 장기관찰 무재발생존율 90%

→ 10명 중 9명이 재발없이 5년간 장기 생존

26%

해외저널(주1)에서 확인된 24개월 무재발생존율 26%
16명 중 약 4명 무재발 생존

* Molecular therapy Cho SG et al (2015)

* 주1 : Bone Marrow Transplantation 37,819, Kim HJ et al (2006)

VT-EBV 확장 Atara Biotherapeutics 벤치마킹

구분	바이젠셀 ViTier 플랫폼	국내 E社	해외 A社	해외 N社
시가총액 (2021.10.19 기준)	3,373억 원	4,002억 원	12.8억 달러(USD)	2.8억달러 (USD)
임상단계 파이프라인 (적응증)	1. VT-EBV-N - NK/T세포림프종 (임상2상) (2024년 허가 예상) 2. VT-Tri(1)-A - 급성골수성백혈병 (임상1상)	1.EBVINT - NK/T세포림프종 (임상1/2a상)	1.Tab-cel - 이식후림프증식성질환 (임상3상) (2022 허가 예상) - EBV 양성 종양 (임상2상) - 비인두암 (임상1상) - 진행성 다발성경화증 (임상2상)	1.NEXI-001 - 급성골수성백혈병 (임상1상) - 다발골수종 (임상1상)
주요 결과	1. NK/T세포림프종(임상1상, 10명) 5년 전체생존율 100% 5년 무재발생존율 90% 2. 이식후림프증식성질환 (연구자, 2명) ORR = 100% 5년 OS = 100% 3. 급성골수성백혈병(연구자임상, 7명) 무재발생존율 71% 2년 재발율 0%	1.EBV양성 종양 (연구자, n=8) NPC (4), HL (1), DLBCL(1), NKT(2) NK/T세포림프종 2명 - ORR = 50% - No Response (n=1) - CR 후 16주에 재발 (n=1)	1.이식후림프증식성질환(2상, 35명) ORR = 69% 2년 OS = 79%	1.임상 결과 없음

2.2 ViRanger 플랫폼 기술

동종 면역반응이 없는 $\gamma\delta$ T세포를 이용한 범용 세포유전자치료제(VR-CAR) 개발

기존 CAR-T 세포치료제의 한계

- 자가 세포유전자치료제
 - 투여까지 대기 시간
- 효능의 변동성
 - T 세포 가변성은 예측할 수 없는 치료 결과 초래
- 높은 생산 비용
- 고품암 타겟으로 개발 어려움
 - 종양미세환경으로 암세포 표면항원 인식 어려움
- 체내특성에 의한 사이토카인 폭풍의 안전성 미해결

VR-CAR 강점

- 동종 면역반응이 낮아 **범용(동종) 치료제**로 개발
 - 체외 대량 배양으로 다수의 환자치료 가능
 - 가격 경쟁력 있는 효율적인 제조 가능
 - 건강한 T 세포로 만든 제품으로 변동성 감소
 - 반복 투여 가능
- 높은 조직 침투력으로 **고형암 치료제**로 적합
- 체내 독성 **안전성 문제 해결** 가능

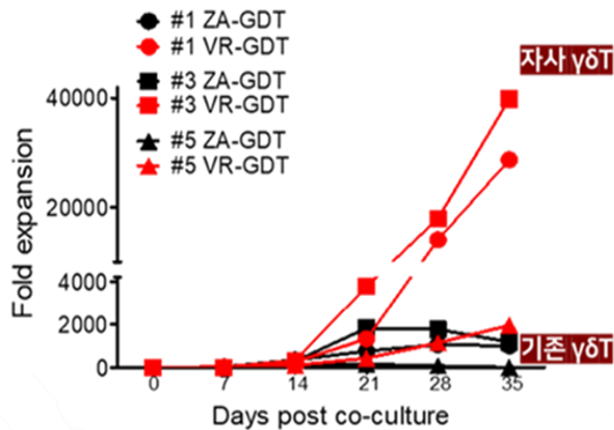
2.2

Chapter 2. 임상 및 기술개발 현황

ViRanger(바이레인저) (2) 핵심 기술 원천

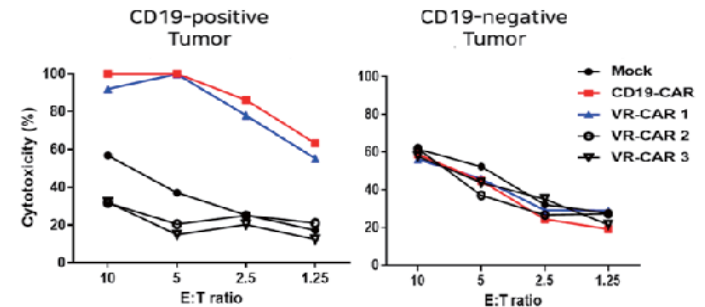
독자적인 기술(특허&노하우)에 의한 우수한 배양 성공

γδT세포의 장기배양

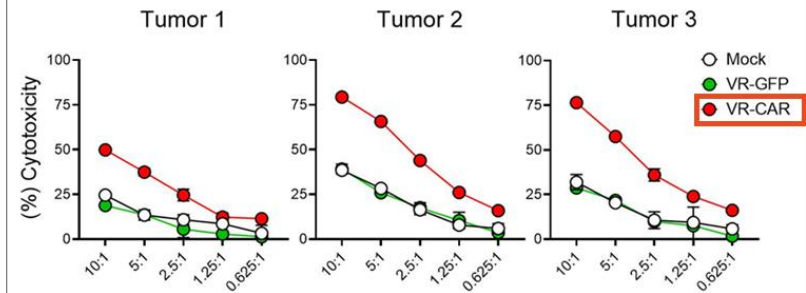


신규 CAR 신호 전달 도메인 개발에 의한 독자적인 VR-CAR 원천 기술 확보 및 고형암 시장 진출

Novel signal VR-CAR 종양살해능 조사



종양에 대한 세포 독성 증가



2.2

ViRanger(바이레인저) (3) 확장 가능한 시장

혈액암

B세포 림프종
급성림프구백혈병

고형암

기존의 CAR-T치료제가
타겟 불가능한
고형암 시장 진출

비소세포폐암
난소암
췌장암
위암

ViRanger™ (VR)

γδT 맞춤형 CAR

질환	시장규모
비소세포폐암	192억 → 329억 달러 (‘19~29 CAGR 5.5%)
난소암	18억 → 67억 달러 (‘18~28 CAGR 14.4%)
췌장암	13억 → 23억 달러 (‘16~26 CAGR 5.7%)
위암	15억 → 39억 달러 (‘19~29 CAGR 9.3%)
B세포 림프종	57억 → 92억 달러 (‘17~27 CAGR 4.9%)
급성림프구성백혈병	15억 → 23억 달러 (‘19~29 CAGR 4.4%)

출처: Global Data

VR-CAR 동종 플랫폼 고품암 시장 진출

구분	바이젠셀 ViRanger 플랫폼	국내 G社	국내 N社	해외 A社
시가총액 (2021.10.19 기준)	3,373억 원	1조 332억	7,545억	22.4억달러(USD)
기반기술	$\gamma\delta$ T세포 (감마델타T세포)	NK세포	NK세포	T세포
임상단계 파이프라인 (적응증)	1. VR-GDT (전임상) 2. VR-CAR (전임상)	1. MG4101 - 간암 (임상2상) 2. MG4101+병용요법 - 재발성, 난치성 림프종 (임상1상) 3. CAR-NK (전임상)	1. SNK01-US01 - 불응성 암+병용요법 (미국 임상1상) 2. SNK01-N12a - 비소세포폐암+병용요법 (한국 임상1/2a상) 3. SNK01-TRN12a - TKI 불응성 비소세포폐암 + 병용요법 (한국 임상1/2a상) 4. CAR-NK(전임상)	1. 동종 CD19 CAR-T - 비호지킨스 림프종 (임상1상) 2. 동종 BCMA CAR-T - 다발골수종 (임상1상) 3. 동종 CD70 CAR-T - 신장암 (임상 1상)

2.3 ViMedier 플랫폼 기술

제대혈 줄기세포를 이용한 골수성억제세포 세계 최초 증식 및 분화 성공

ViMedier™

ViGenCell

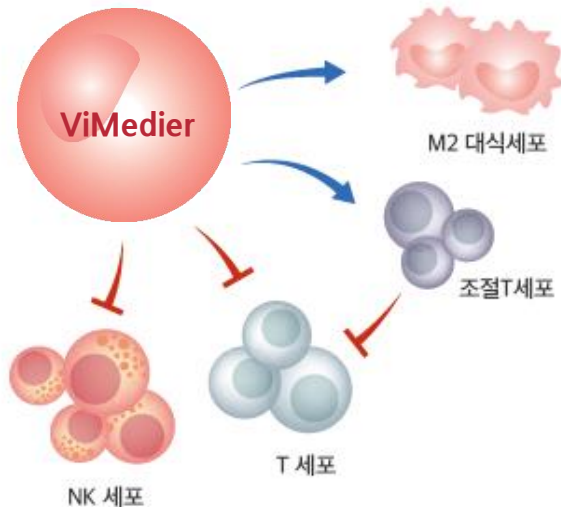
+

MDSC

+

Frontier

면역기능을 억제해주는
‘제대혈 줄기세포 유래 골수성억제세포’
치료제 기반기술



ViMedier 핵심 기술

1 세계 최초 골수성억제세포 대량 배양 기술 보유

- 제대혈 줄기세포 유래 골수성억제세포 증식 및 분화

2 다양한 적응증 확장 가능

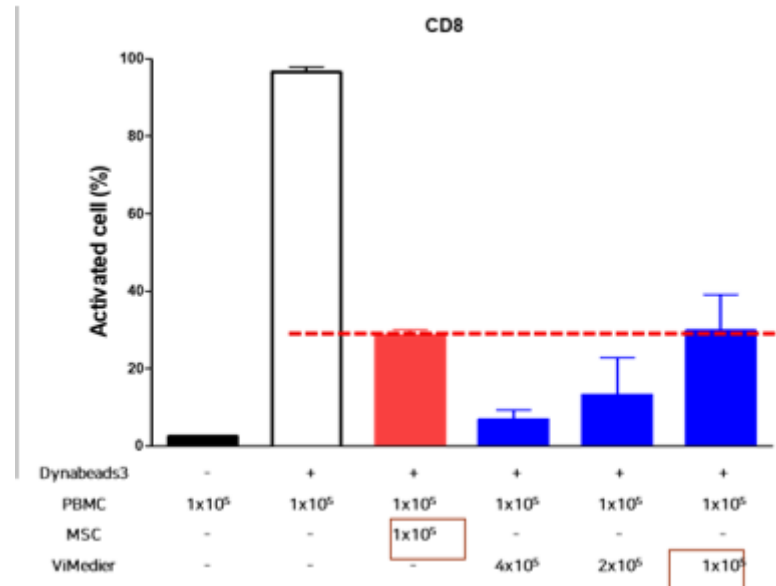
- 과도한 면역 반응 억제 기전
- 이식편대숙주질환, 아토피피부염 등

3 유전자 전이를 통한 효능 향상

기존 세포치료제 MSC 대비 탁월한 안전성 및 강한 면역억제능 보유

골수성억제세포(MDSC)는 중간엽줄기세포(MSC) 보다 세포크기가 1/4~1/8배 가량 작아 우수한 안전성 및 반복/대량 투여 가능

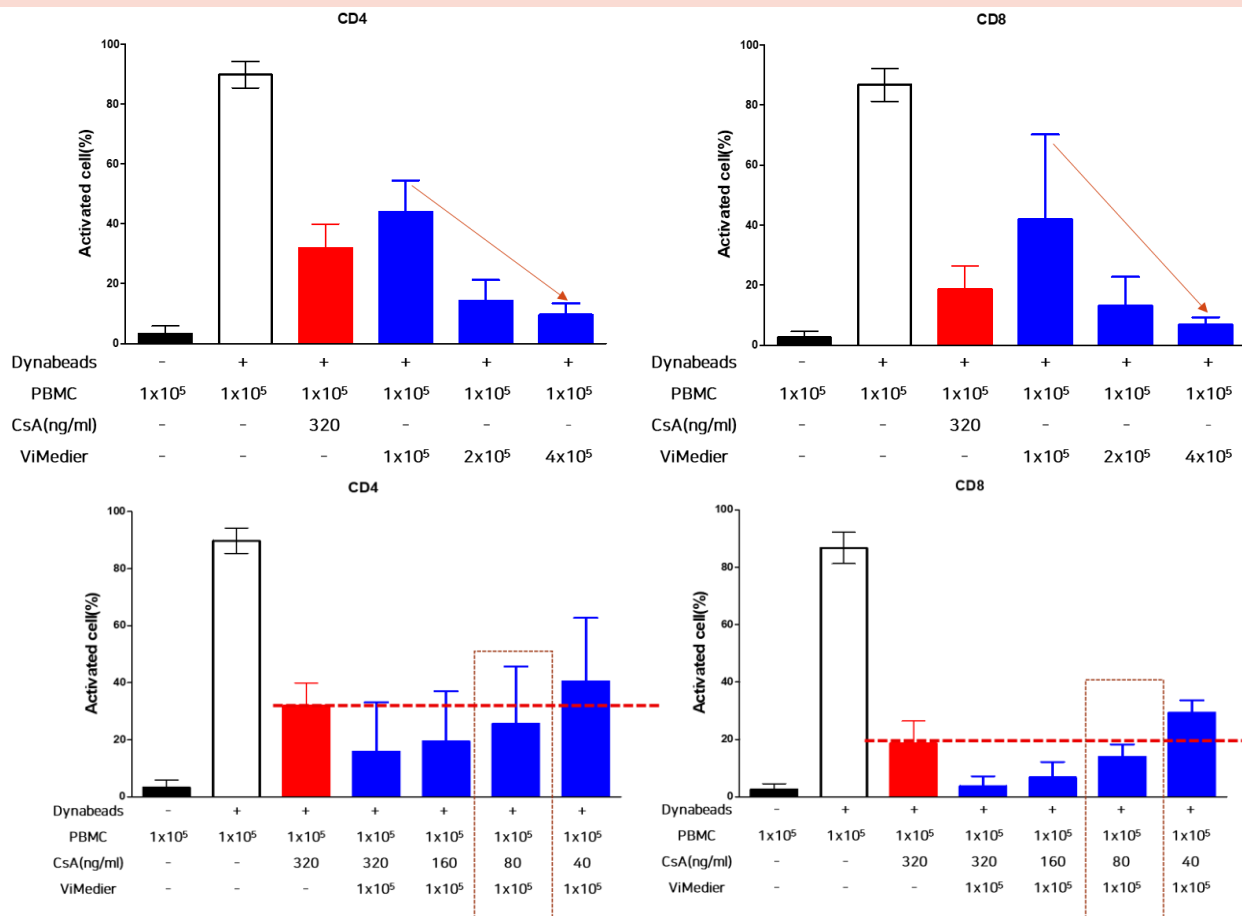
ViMedier와 기존 면역억제세포치료제와의 크기 비교



MSC 세포의 크기로 인한 주입 속도가 1.7x10⁵/min 제한된 반면 MDSC는 1x10⁸/min로 500배 이상 대량/반복 투여 가능
 MSC 세포의 특성에 따라 혈액과 접촉할 때 응고를 시작하는 조직 인자(TF)의 발현과 관련된 응고촉진 활성(PCA)을 나타냄

기존 면역억제제 대비 기능적 우위 및 병용치료까지 가능

기존치료제 대비 높은 T 세포 억제능 확인 및 병용치료로 신장기능 저하, 혈압상승, 위장장애 등 부작용 감소



2.3

Chapter 2. 임상 및 기술개발 현황

ViMedier(바이메디어) (3) 확장 가능한 시장

자가면역질환

정상적인 세포를 무분별하게 파괴하는 자가항체로 인한 염증으로 다양한 질환 발생

류마티스관절염
전신홍반루푸스
크론병
전신경화증
궤양성대장염
섬유근육통

과민성질환

아토피피부염
건선
과민성 대장 증후군

ViMedier™ (VM)

제대혈 유래 골수성
억제세포치료제

세계 최초 MDSC 기술

질환	시장규모
VM-GD (이식편대숙주질환)	4.1억 → 9.1억 달러 (*18~28 CAGR 7.9%)
VM-AD (아토피피부염)	64억 → 183억 달러 (*17~27 CAGR 11.1%)
VM-MI (심근경색)	78억 → 121억 달러 (*15~25 CAGR 4.5%)
궤양성대장염	68억 → 122억 달러 (*19~29 CAGR 6.0%)

출처: Global Data

노인 인구 증가 및 환경 변화에 따른 만성질환
및 자가면역질환 증가

신규 면역억제 치료제 개발

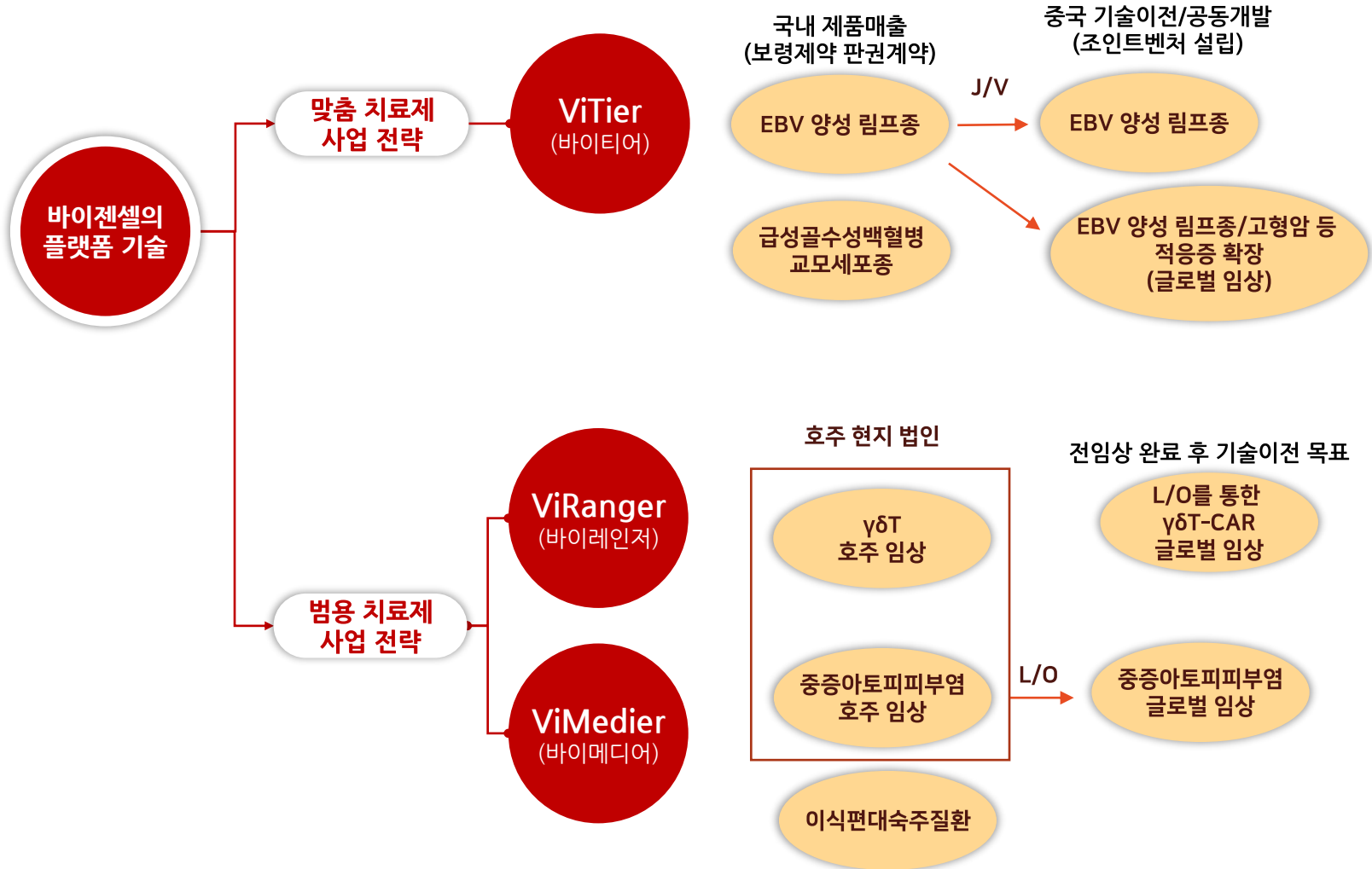
구분	바이젠셀 ViMedier 플랫폼	국내 S社	해외 M社
시가총액 (2021.10.19 기준)	3,373억 원	2,596억	8.2억달러(USD)
기반기술	MDSC (제대혈 유래 골수성 억제세포)	MSC (중간엽줄기세포)	MSC (중간엽줄기세포)
임상단계 파이프라인 (적응증)	1. VM-GD - 이식편대숙주질환 (임상1/2a상) 2. VM-AD - 아토피피부염 (전임상 완료) 3. VM-MI - 심근경색 (전임상 완료)	1. 성체줄기세포치료제 - 아토피피부염 (임상2상) - 이식편대숙주질환 (임상2상) - 급성 췌장염 (임상2상) 2. 자회사 코이문 파이프라인 - 수지상세포백신 (신장암, 미국 2상)	1. REMESTEMCEL-L - 급성 GvHD 소아 (캐나다, 호주, 일본 허가) - 급성 GvHD 성인 (임상1/2상) - 염증성 장질환 (임상1/2상) 2. REXLEMESTROCEL-L - 진행성 심부전 (임상3상) - 말기 허혈성 심부전 (임상1/2상) - 만성 하부 요통 (임상3상)



Chapter 3.
사업화 전략



사업화 전략



개발과 상업화를 위한 인프라



서울성모병원



옴니버스파크(가톨릭대학교)



더리즌 밸리(가산)

연구 개발시설

임상용 GMP 생산시설 및 동물 실험 인프라 구축

임상시험 기관과 같은
사이트에 있어 긴밀한 협조 및
지원이 가능한 지리적 이점
활용

대학기관 및 입주 예정 국내
중견 제약사와의 임상 및
연구개발 네트워크 강화

세포치료제 생산시설

상업용 GMP 생산시설 자체 구축

판매 수요를 충족 시킬 수 있는
충분한 시설 확보

상업용 GMP 구축

- 세포치료제와 세포유전자치료제를 동시 생산 가능한 국내 유일의 첨단 GMP
- GMP 수준의 mRNA 생산 및 품질보증 완비
- 자동화 생산 시설, 신속 자동화배양기 도입으로 QC 및 제품출하 기간을 획기적으로 단축
- 세포처리시설 허가 및 인체세포등 관리업 허가로 첨단재생바이오법에 따른 규제 대응

구 분	연구용 GMP (현재)	상업용 GMP (신축)		
위 치	서울 성모병원	서울 가산디지털단지		
면적 (실평수)	114평 (클린룸 4개 중 2개 사용)	400평 (클린룸 7개 규모)		
용 도	연구용 GMP	상업용 GMP		
		세포처리시설		
		LMO 시설		
활 용	ViTier 임상제품 생산	ViTier 판매용 제품생산		
		ViRanger 임상제품 생산		
		ViMedier 임상제품생산		
연간 Capa	-	ViTier	3,520 도즈	352명
		ViRanger	756 도즈	252명
		ViMedier	2,400 도즈	320~1,600명

Summary (1) 핵심 경쟁력

1

임상 2상 완료 후 조기 상업화 가능성이 높은 'VT-EBV-N' 파이프라인

2

3개의 면역세포치료제 플랫폼 원천 기술을 바탕으로 적응증 확장

3

맞춤(자가) 및 범용(동종) 세포치료제를 모두 개발하는 면역세포치료제 전문기업

Summary (2) 임상 및 연구개발 주요 일정

플랫폼	파이프라인	2021년	2022년				2023년	2024년	
		4Q	1Q	2Q	3Q	4Q			
ViTier	VT-EBV-N (NK/T세포 림프종)	임상 2상						판매	
			임상환자 모집 완료	기술이전/공동개발		VT-EBV 적응증 확장 IND	임상2상 완료	품목허가	
	VT-Tri(1)-A (급성골수성백혈병)	임상개시 환자등록	임상 1상					임상 2상	
							임상1상 완료	기술이전	
	VT-Tri(2)-G (교모세포종)	전임상	임상 1상						임상1상 완료
				IND 신청	IND 승인			기술이전	
ViRanger	VR-GDT	전임상						임상 1상	
				보조배양세포 개선 특허 출원	GMP 생산공정 확립		전임상 완료	해외임상 IND 신청/승인	
	VR-CAR	타겟 항체 공동개발	후보물질 확립 특허 출원				논문 게재 학회 발표	기술이전	
ViMedier	VM-GD (이식편대숙주질환)	임상 1/2a상						임상 2b상	
	VM-AD (아토피피부염)	전임상	해외임상 준비		임상 1/2a상(해외임상)			기술이전	
				논문 게재 학회 발표	IND 신청 (해외임상)	IND 승인 (해외임상)	임상1/2a상 완료		



서울특별시 서초구 반포대로222 서울성모병원 별관 7층 TEL 02-3478-1686