

**HELI****MITH**

# 기자 간담회

2022년 6월 28일



# 목 차

## □ 엔젠시스 DPN 임상 3상 (김선영, 박영주)

- 제품, 활성, 특징, 임상시험, 중간 분석, 사업 전략, 시장 전략

## □ 바이오 플랫폼 사업 (유승신)

- 신약개발 전주기 경험과 노하우를 활용한 수익 사업

## □ 차세대 치료제 개발 (유승신)

- 글로벌 스케일 바이오 의약 후보 개발

## □ 목표와 비전 (김선영)

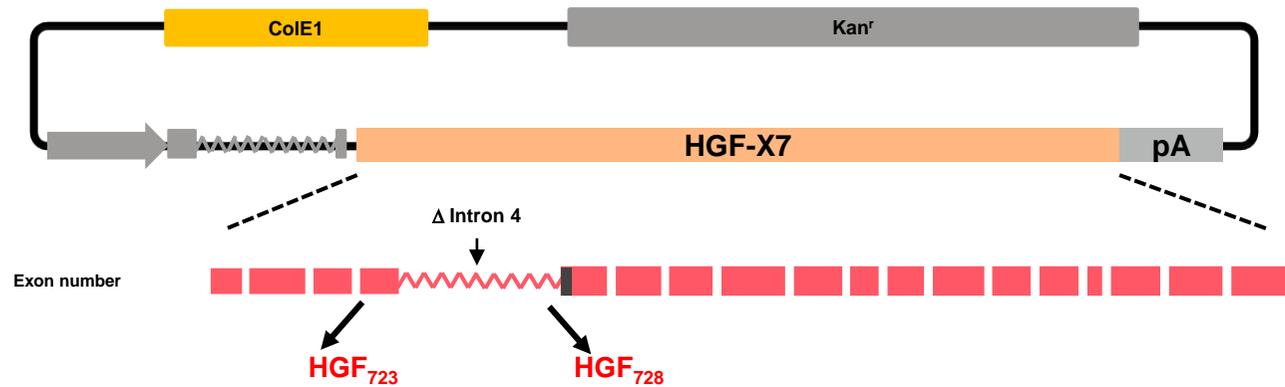
- 2025년 글로벌 유전자치료 기업

# 엔젠시스 DPN 임상 개발

- ✓ 엔젠시스 소개
- ✓ 통증성 당뇨병성 말초신경병증 (Painful DPN)
- ✓ DPN 임상개발 경과
- ✓ DPN 임상 3상 (3-2) 중간 분석 원리와 절차 이해
- ✓ DPN의 unmet medical need 와 예상 시장규모
- ✓ 향후 방향

# 엔젠시스 (Engensis) VM202

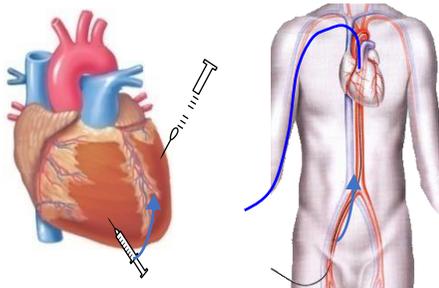
엔젠시스: HGF 유전자를 발현하는 플라스미드 DNA



동결건조

주사방법: 질환에 따라 적절한 타겟 부위에 근육주사

[심장]



심장질환

[종아리]



DPN  
DFU

[손 혹은 발]

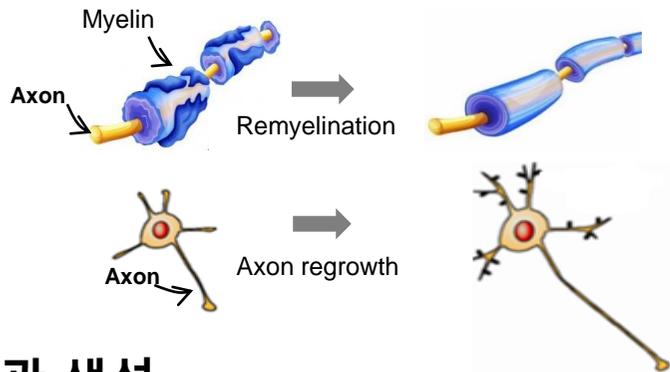


CMT  
ALS

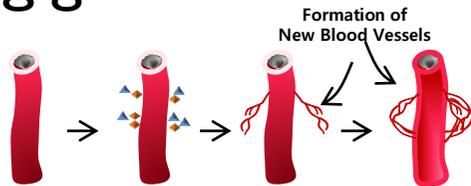
# 작용 원리와 생물학적 활성화 - 신개념 의약

## 작용 원리

### 1 재(再)수초화와 신경 축손의 성장



### 2 혈관 생성



### 3 통증 유발 인자 조절

(CSF-1, IL-6, microglial cells,  $\alpha 2\delta 1$ , 5-HTT, etc.)

### 4 근육 재생 및 퇴행 인자 조절

(miR206, HDAC4, atrogen-1 and MuRF, etc)

## 임상 효과

### ■ 손상된 말초신경계 재생

Regeneration of the PNS neurons, motor and sensory neurons, and improvement in the speed of electrical impulses in neurons

### ■ 미세혈관 재구축

Improvement in the microvasculature environment

### ■ 통증 감소

Significant, long-term analgesic effects

- \* Anti-neuroinflammatory activities
- \* Regulation of pain generating factors
- \* Control of microglial cells in the spinal cord

### ■ 근육 퇴행 개선

Improvement in muscle atrophy

# VM202-DPN, RMAT 지위 획득 (Regenerative Medicine Advanced Therapy)

PDPN에서 엔젠시스(VM202)의 사용: 미국 FDA로부터 2018년 5월 21일 RMAT 지위 획득  
(미국 최초의 통증 치료제 RMAT)

## Benefits

- **Fast track**과 **Breakthrough** 프로그램의 모든 혜택
- FDA와 조기 협의 등 **BLA 허가 기간 단축** 가능

## 만연질환 대상 RMAT

- 지금까지 총 52개 의약에 RMAT 지위 부여<sup>1</sup>
- RMAT 지위가 부여된 유전자치료제 중 **만성질환 치료제는 단 2개:**
  - ✓ **엔젠시스 (VM202) (헬릭스미스): 당뇨병성 신경병증**
  - ✓ VY-AADC (Voyager): 파킨슨병

<sup>1</sup>Cumulative CBER Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT) Designation Requests Received by Fiscal Year, FDA website, Data as of Sep, 2020

# 대상 질환

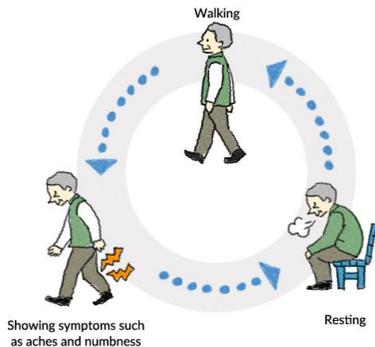
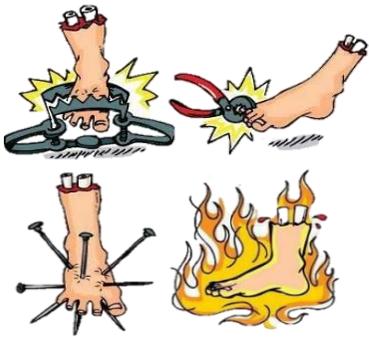
당뇨병성  
신경병증

파행

족부 궤양

ALS

CMT



신경 혈관

혈관 신경

신경 / 혈관

신경 근육

- 미국 임상 3상 (3-2) 진행 중
- 2022 하반기 탐라인 데이터

- 미국 임상 2상 Northwestern 대학 진행 중

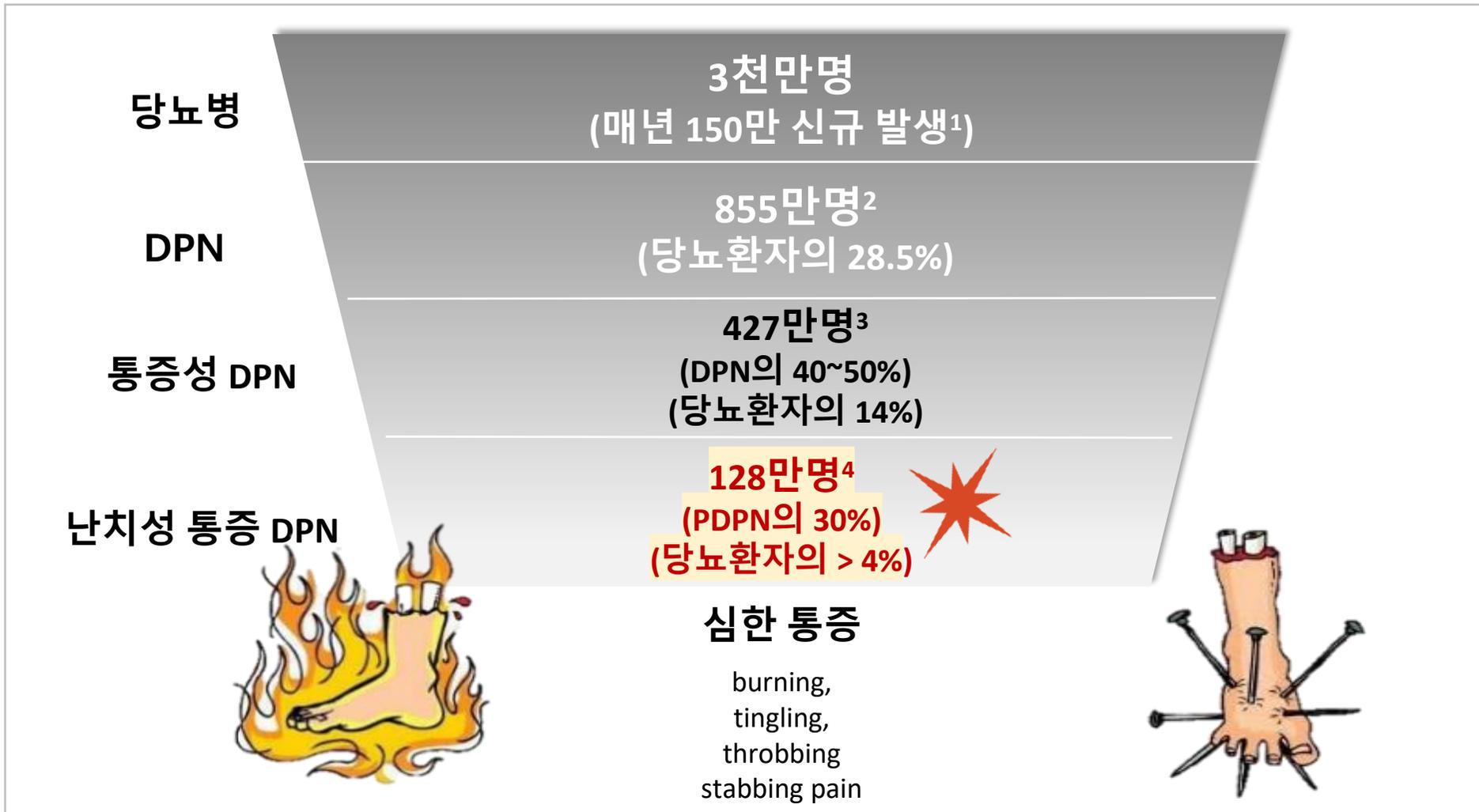
- 미국 임상 3상 중간분석 후 재설계 중
- 중국 임상 3상 진행 중

- 미국, 한국 임상 2a 진행 중
- 호흡 기능 개선 임상 ½ 계획 중
- ALS 집중 프로그램

- 한국 임상 1상 완료 (2021년 12월 결과발표)

# 통증성 당뇨병성 신경병증 (Painful DPN) 시장 규모

## 미국 시장



1 A Boulton et al. Management of diabetic peripheral neuropathy; Clinical diabetes 2005

2 MJ Young et al. A multicenter study of the prevalence of diabetic peripheral neuropathy in the United Kingdom hospital clinic population. Diabetologia. 1993 Feb;36(2):150-4

3 PDPN market research, The Dominion Group 2018,

4 PR Patil et al. Opioid use in the management of diabetic peripheral neuropathy in a large commercially insured population, Clin J Pain. 2015 May

# 통증성 당뇨병성 신경병증 (Painful DPN) 시장 현황

## 미국 시장

### □ 현재 사용되는 의약

- 프리가발린 (Lyrica<sup>®</sup>, Pfizer)
- 가바펜틴 (Neurontin<sup>®</sup>, Pfizer)
- 둘락색틴 (Cymbalta<sup>®</sup>, Eli Lilly)
- 타펜타돌 (Nucynta<sup>®</sup> ER, Depomed)
- 캡사이신 (Qutenza<sup>®</sup>, Averitas)

### □ 미충족 의료 요구 (Unmet medical need)

- \* 현재 의약 문제점: 일시적 통증 완화, 미미한 효과, 안전성 좋지 않음
- \* 마약성 진통제 (opioid) 의존성 매우 높음:
  - 대략 33%의 환자가 오피오이드 처방으로 치료를 시작하며
  - 대략 60%의 환자가 단기 작용 오피오이드의 만성사용을 경험
  - 심각한 PDPN 환자의 88%가 오피오이드를 복용한다.

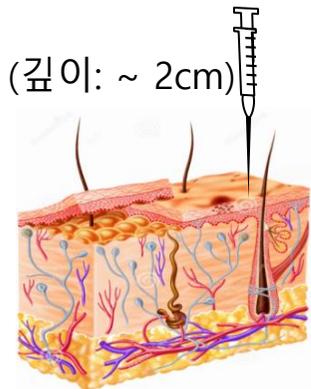
**※ 전체 PDPN 환자의 40~50%가  
기존 약물을 사용하지 못하고 있음**

# 통증성 DPN 임상개발사(史)



**존 케슬러 교수**  
(미국 노스웨스턴 대학교 의과대학)

## ■ 주사 방법

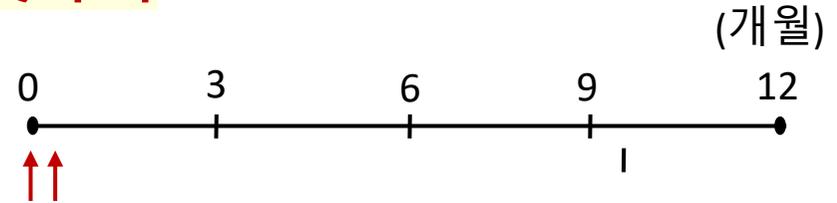


\* 트리트먼트: 2주 간격 2번 방문 주사

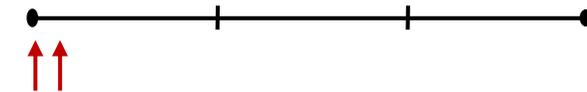
- ↑↑ • 8mg / 2 legs (Day 0)
- ↑↑ • 8mg / 2 legs (Day 14)

## 임상시험 기간 및 주사

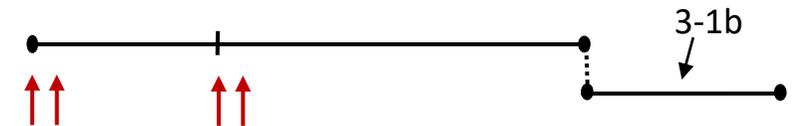
**임상 1/2**  
(N=12)



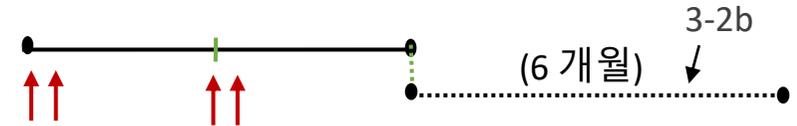
**임상 2**  
(N=104)



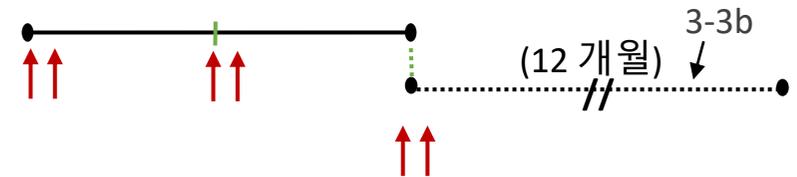
**임상 3-1**  
(N=500)



**임상 3-1b**  
(N=101)



**임상 3-2**  
(N=152)

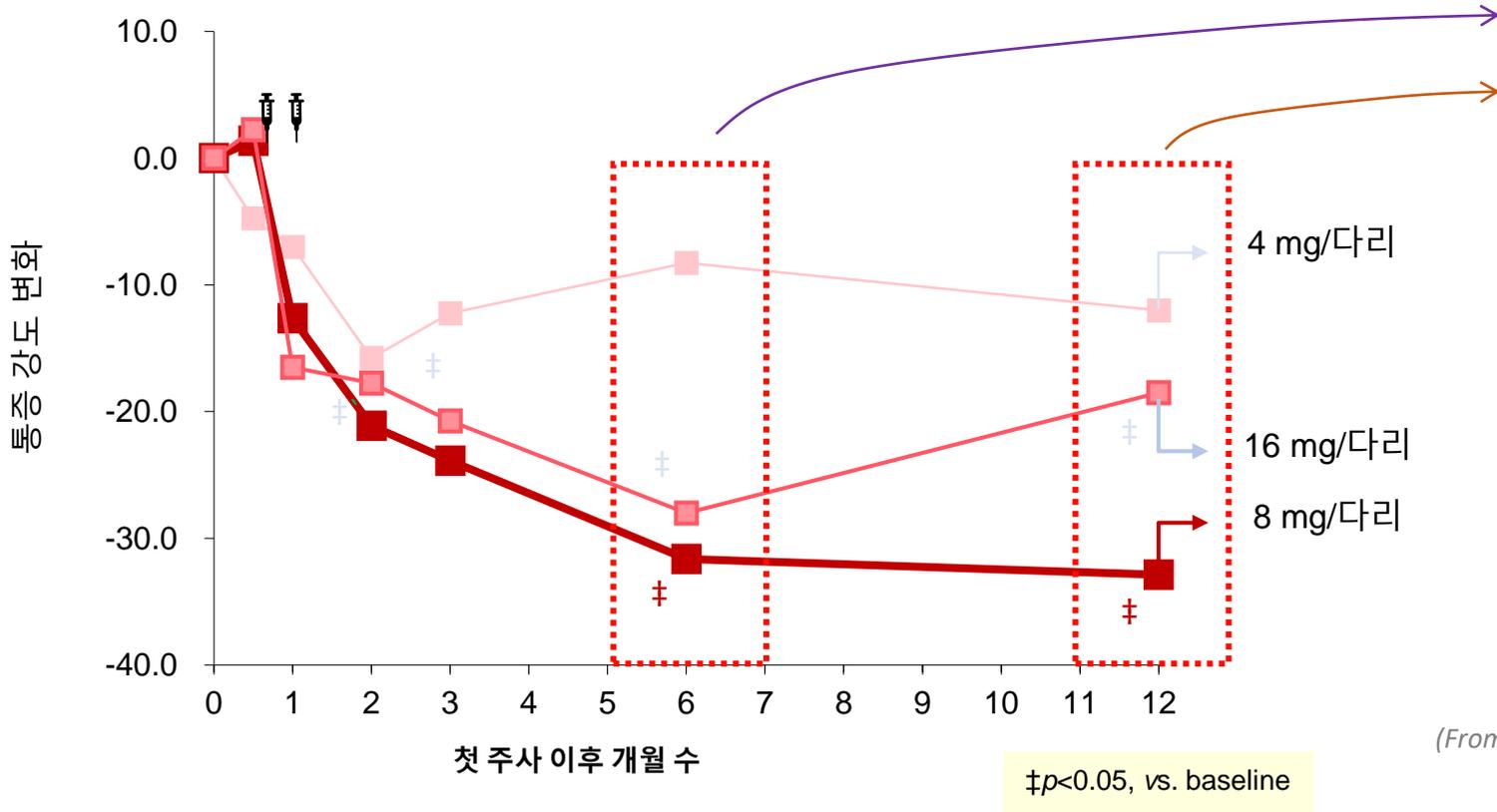


**임상 3-3**  
(N=152)

# DPN 임상 1상 결과

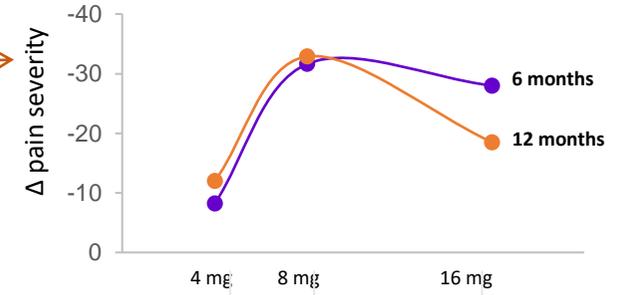
- 통증에 대한 효과 -

2회 주사 사이클 (1회 처치) – Day 0/14



(From Driss et al., 2013)

Bell 모양 투약 반응표

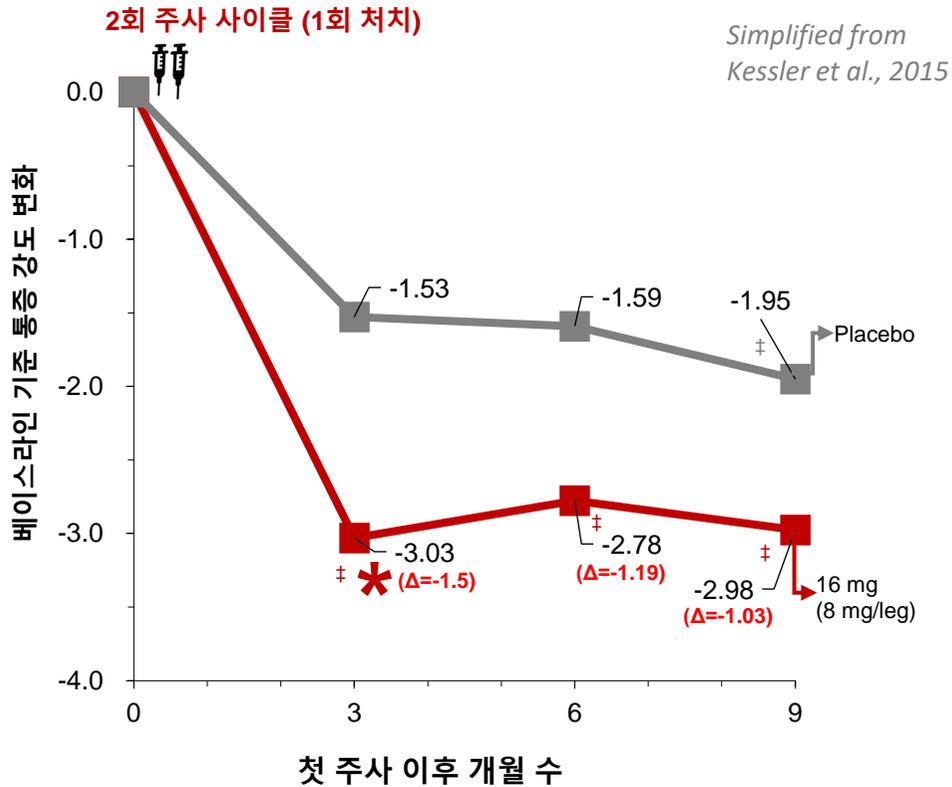


- 8 mg cohort에서 3~12개월 사이에 주목할 만한 통증 감소가 나타남.
- 투약 dose에 따라 VM202의 효과가 8mg → 16mg → 4mg 순서로 나타남.
- 2개 투약군이 임상 2상의 dose로 선정됨.

# DPN 임상 2상 결과

- 통증에 대한 효과 -

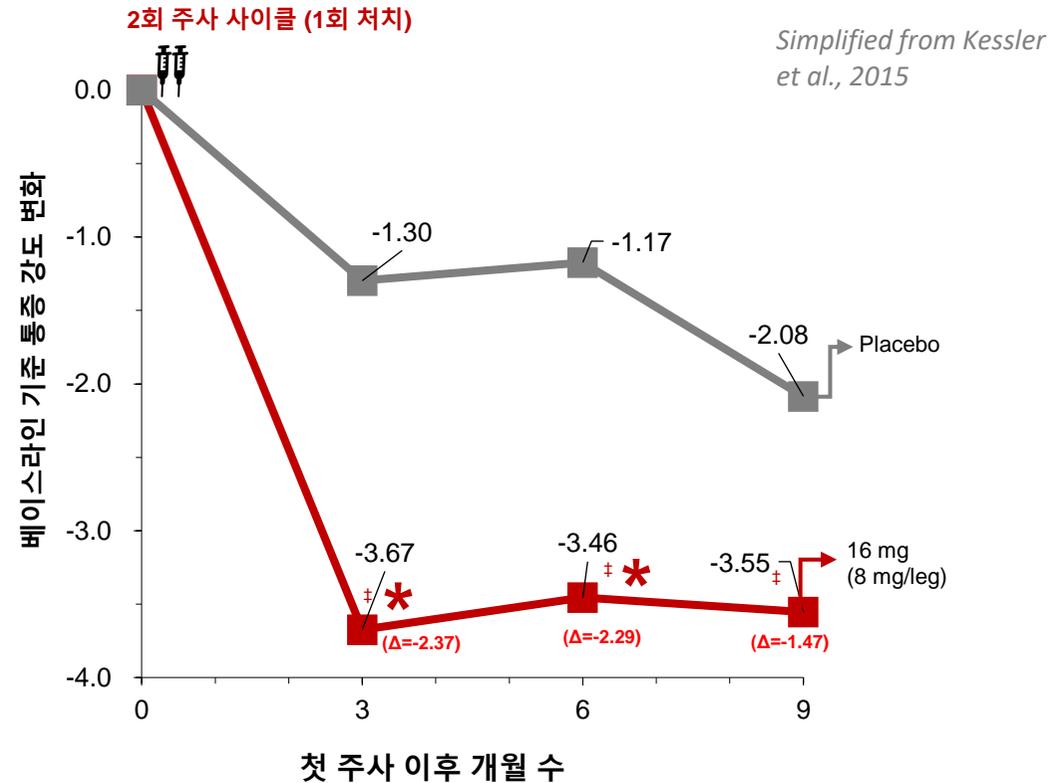
전체 임상환자 (N=84)



\* $p < 0.05$ , vs. placebo, ‡ $p < 0.05$ , vs. baseline,  $\Delta$  VM202 16 mg - Placebo

장기적으로 높은 통증 완화 효과  
9개월까지 진통 트렌드 유지

임상 환자 중 프리가발린 또는 가바펜틴 미투약자 (N=49)



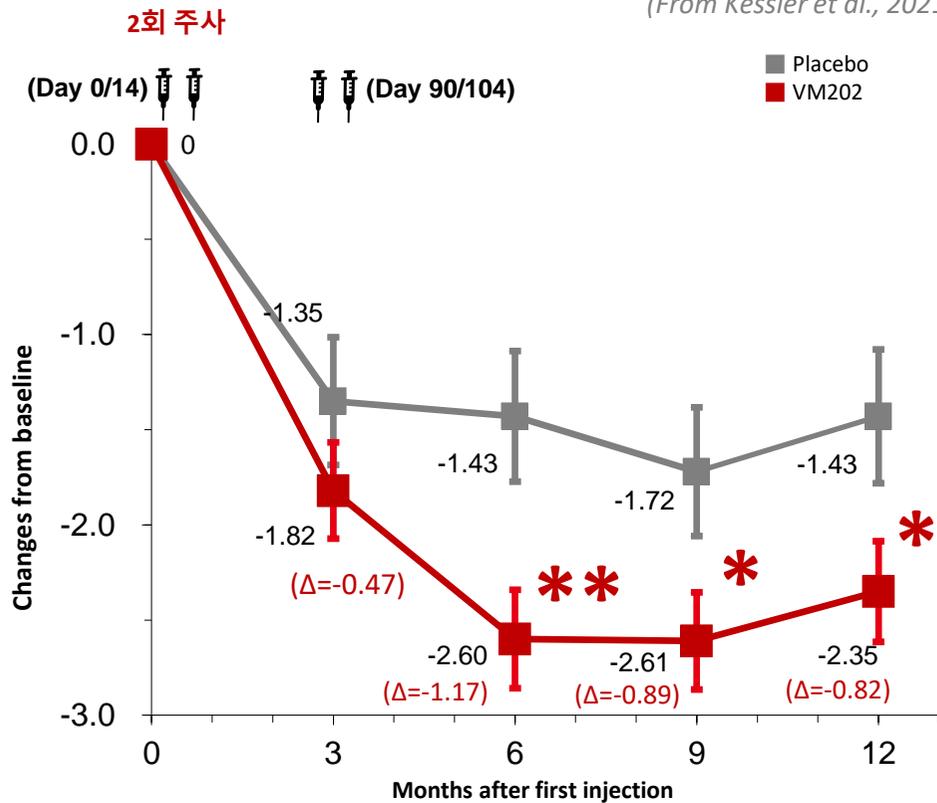
\* $p < 0.05$ , vs. placebo, ‡ $p < 0.05$ , vs. baseline,  $\Delta$  VM202 16 mg - Placebo

가바펜티노이드 비복용자군에서  
더 높은 통증 완화 효과를 보임.

# 임상 3-1B 결과 (Pain Diary)

## 전체 피험자 (N=101)

(From Kessler et al., 2021)

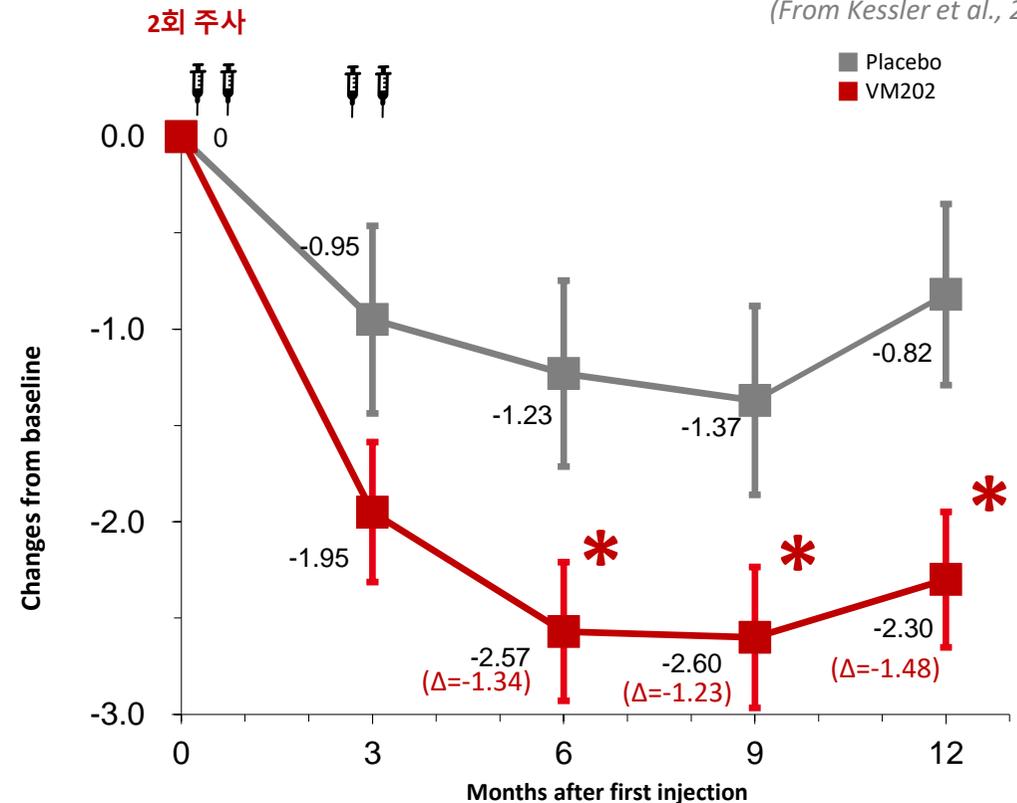


\* $p < 0.05$ , vs. placebo group, \*\* $p < 0.01$ , vs. placebo group

장기간 높은 통증감소 효과  
마지막 주사 후 8개월 이상 효과 지속

## 프리가발린/가바펜틴 미복용자 (N=53)

(From Kessler et al., 2021)



\* $p < 0.05$ , vs. placebo group

가바펜티노이드 비복용자군에서  
보다 높은 통증감소 효과

Kessler et al., Clin Transl Sci 2021

# 통증성 DPN 임상 1상, 2상, 3상 결과 요약

## ① 안전성과 내약성이 뛰어남

## ② 최적 농도의 결정

1번 트리트먼트: 2주 간격, 2번 방문 주사 (1번 방문시 8mg/leg 주사)

## ③ 유효성

임상 2상에서는 첫번째 주사 후 3개월, 임상 3상 (3-1B)에서는 첫번째 주사후 6, 9, 12개월에서 통계적으로 유의미하게 강력한 진통 효과를 보임

## ④ 가바펜틴 계열 약물 비복용 환자에서는 더욱 우수한 진통 효과를 보임.

임상 2상: 3개월, 6개월에서 통계적 유의미성; 임상 3상 (3-1B), 6, 9, 12개월에서 통계적 유의미성

## ⑤ 재생 잠재력

약물이 사라지고 HGF발현이 없음에도 불구하고 8개월 이상 효과 지속.

# 첫번째 미국 DPN 임상 3상 (3-1, 3-1B) 결과 발표

“네이처 바이오테크(誌)에서 2021년 ¼분기 “주목할 만한 임상결과” 로 선정”  
“CTS 학술지에서 2021년 가장 많이 다운로드 된 논문 TOP 10 중 하나로 선정”

CTS Clinical and  
Translational Science  
Open Access

Article | [Open Access](#) |   

Gene therapy for diabetic peripheral neuropathy: A randomized, placebo-controlled phase III study of VM202, a plasmid DNA encoding human hepatocyte growth factor

- **DPN 3-1B (N=101)** 3-month extension study met 6-, 9-, 12-month efficacy as well as safety endpoints. The 9- month main study did not achieve the 6-month primary endpoint due to operational issues. (Main reason: CRO had to be replaced when ~70% subjects had entered the trial.)

- ① 첫번째 DPN 임상 3상 (3-1; 3-1B): 3-1B (N=101)에서 6, 9, 12개월에 위약 대비 유의미한 통증감소가 관찰되었음.
- ② 다만 3-1(N=500)에서는 운영상의 문제로 주평가 지표를 충족시키지 못하였음 (중간에 CRO 변경)

# 현재 진행 중인 DPN 임상 3상 (3-2)

1. 대상 환자	가바펜틴/프리가발린 비복용 DPN 환자	
2. 시험군	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 152 명, Adaptive design</li> <li>- 1:1 (VM202 : placebo)</li> </ul>	
3. 기관	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 20개 기관 (미국)</li> </ul>	
4. 투약 방법	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>2회 치료 (각 16 mg)</b></li> <li>- Day 0/14, 90/104</li> </ul>	
5. 평가변수	<p>(1차 평가변수) 180일째, 7일간의 평균 통증 수치 변화</p>	<p>(2차 평가변수) 180일째, 7일간의 최악 통증 수치 변화 180일째, 응답자 비율 (통증 감소 <math>\geq 50\%</math>)</p>
	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 분석: <ul style="list-style-type: none"> <li>* 90일째와 180일째의 취침 전 감각 검사값 변화</li> <li>* 180일 째 응답자 비율 (통증 감소 <math>\geq 20\%</math>, <math>30\%</math>, <math>40\%</math>, <math>60\%</math>, 그리고 <math>70\%</math>)</li> <li>* 90일째 7일 간의 일간 평균 통증 수치 변화</li> </ul> </li> </ul>	
6. 추적기간	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 3-2 (6 개월)</li> <li>- 3-2b (6 개월 연장, 총 12 개월)</li> </ul>	

# DPN Phase 3-2 현황

## DPN 3-2



### 임상 기관

### 총 20개 기관

- 20 기관 참여
- 16 기관 (무작위)
- 20 기관 (스크리닝)



### 등록

### 무작위 배정

- 134 명 (6월 25일 기준)
- 152 명 (22년 8월 초까지)
- 임상 대상자 수는 adaptive design에 따라 IDMC가 7월 통보 예정.
  - 152
  - 153 - 250
  - 중단

# DPN 임상 3상 (3-3) 계획

1. 대상 환자	가바펜틴/프리가발린 비복용 DPN 환자	
2. 시험군	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 152 명, Adaptive design</li> <li>- 1:1 (VM202 : placebo)</li> </ul>	
3. 기관	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 미정 (북미와 유럽)</li> </ul>	
4. 투약 방법	<ul style="list-style-type: none"> <li>- <b>3회 치료 (회당 16 mg)</b></li> <li>- <b>Day 0/14, Day 90/104, Day 180/194</b></li> </ul>	
5. 평가변수	<p>(1차 평가변수) 180일째 7일간의 일간 평균 통증 수치 변화</p>	<p>(2차 평가변수)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 주요 2차 평가변수: 365일째 7일간의 일간 평균 통증 수치 변화</li> <li>▪ 기타 2차 평가변수: <ul style="list-style-type: none"> <li>✓ 270일째 7일간의 일간 평균 통증 수치 변화</li> <li>✓ 180일째 7일간의 최악 통증 수치 변화</li> <li>✓ 180일째 응답자 비율 (통증 감소 &gt;50%)</li> </ul> </li> <li>▪ 위약 대비 엔젠시스의 HGF의 특정 T-lymphocytes 존재 여부 비교</li> <li>▪ 위약 대비 엔젠시스의 anti-HGF 항체 존재 여부 비교</li> </ul> <p>- 분석: 365일째, 270일째, 180일째, 90일째에 대한 각각의 취침 전 감각 검사값 변화</p>
6. 추적기간	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 3-3 (12 개월)</li> <li>- 3-3b (6 개월 연장, 총 18 개월)</li> </ul>	

# 중간 분석 (Interim Analysis)

## □ 절차

- 1) 76명 대상자에 대한 180일 결과가 모아지면, 통계전문가(CRO)와 데이터관리센터 (CRO)에서 중간분석에 필요한 데이터를 IDMC 통계 전문가에게 전달
- 2) 통계 조건부 검정력을 계산하여 IDMC와 공유
- 3) IDMC 검토 (만장일치 원칙)
- 4) 헬릭스미스에게 결과 통보

# IDMC 통보 내용

76명 대상으로 기저값 대비 180일 시점에서의 통증 평균 변화량 산출

Conditional power <39.6%

군간 차이가 계획된 추정치와 일치하지 않으므로 futility에 의거하여 의뢰자에게 환자 등록 중단 권고

39.6% ≤ Conditional power <80%

대상자 수 재산정 필요.  
의뢰자에게 153명 이상 250명 이내로 재산정하여 임상 지속 권고

Conditional power ≥80%

군간 차이가 계획된 추정치와 일치하므로 사전 계획된 대상자 수로 임상시험 지속 통보

# 향후 방향

□ DPN 임상 3-2의 성공적 완료 (2023년 ¼ 분기)

□ 시판 허가 및 상용화 본격 준비

- BLA 테스트 포스(TF) 가동 중 (임상, 안전성, 전임상, CMC 등 8개 분야)
- 사용자 편의성 강화
  - Pre-filled syringe
  - Needle free injector
- DPN 임상 3상 (3-3) 개시

□ 파트너 물색

- 기술 이전
- 공동 개발
- 투자 유치

# 기술 이전 목표 - VM202 순현재가치 (NPV) 추정 (미국 PDPN 시장 기준)

분석 기관	Viewpoint (2017.11)	Xcenda (2017.03)	VM (2016)
VM202 약가	\$50,000	\$36,000	\$36,000
엔젠시스 사용 환자수 (2021~2032) 12년	1,363,150	3,096,830	2,657,265
매출 추정 기간	10년	12년	12년
Peak 매출액 (\$ Billion)	\$14.0	\$10.3	\$12.4
성공 확률	100%	56% (임상3상 62% X BLA 90%)	71% (임상3상 74% X BLA 96%)
할인율	15%	11%	11%
VM202-DPN 순 현재가치 (\$ Billion)	\$14.1~\$15.5 Billion (약 16조원)	\$6.2 Billion (약 6.8조원)	\$8.9 Billion (약 9.8조원)

※ 2017년 기준 VM202의 순현재가치는 6.8~16조원으로 계산되었음

# 바이오 플랫폼 수익 사업

- ✓ CGT 사업 (CDMO)
- ✓ 동물실험 센터 (동물 연구 CRO)
- ✓ 개별인정형 건강기능식품 사업 (큐비안)

# 바이오 플랫폼 사업

“신약 개발에 필요한 전(全)주기 시스템을 구축하여 혁신 신약 개발과 시장 진입 가속화”

## 바이오 플랫폼 사업과 신약 후보 창출

연구    개발    생산    품질    임상    규제



동물  
실험

- 동물 실험
- 유효성 테스트



임상  
시험

- 프로토콜 디자인
- 규제
- 임상 진행
- 통계 분석



공정  
개발

- pDNA
- 세포치료제
- CAR-T
- 바이러스 벡터



생산

- 임상용  
유전자세포치료제  
GMP 생산



분석  
(QC)

- 유전자치료제
- Biopotency
- QC
- 임상 샘플

## Business Model

1. 자체 수요
2. 수익 사업 :
  - 외부 기업 지원
3. 인큐베이션:
  - 스타트업 발굴
  - 상장 지원

# 플랫폼 사업 #1 - CDMO 사업과 CGT(GMP) 센터

“CAR-T 치료제 분야에서 전(全)주기, one-stop 서비스 제공”

**: CAR 시퀀스에서 CAR-T세포까지 ~2년**



서울 마곡 소재  
헬릭스미스 CGT 센터 (4층)

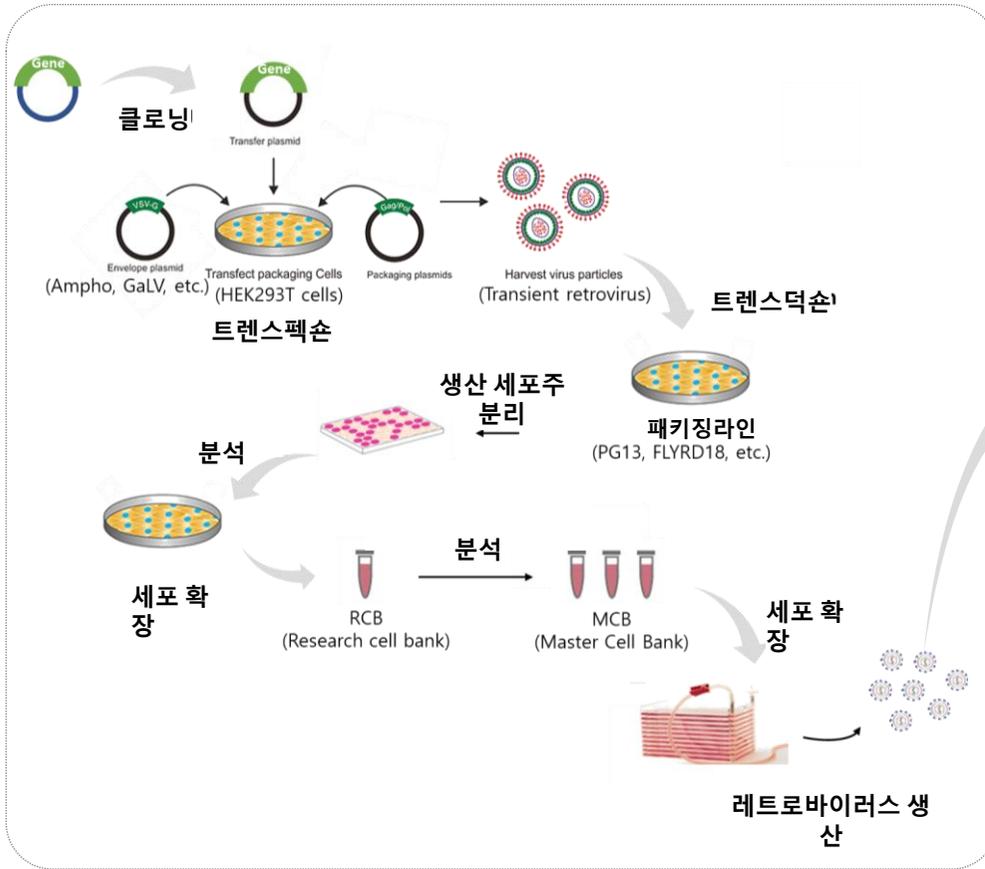


## □ 유전자세포치료제 GMP 생산

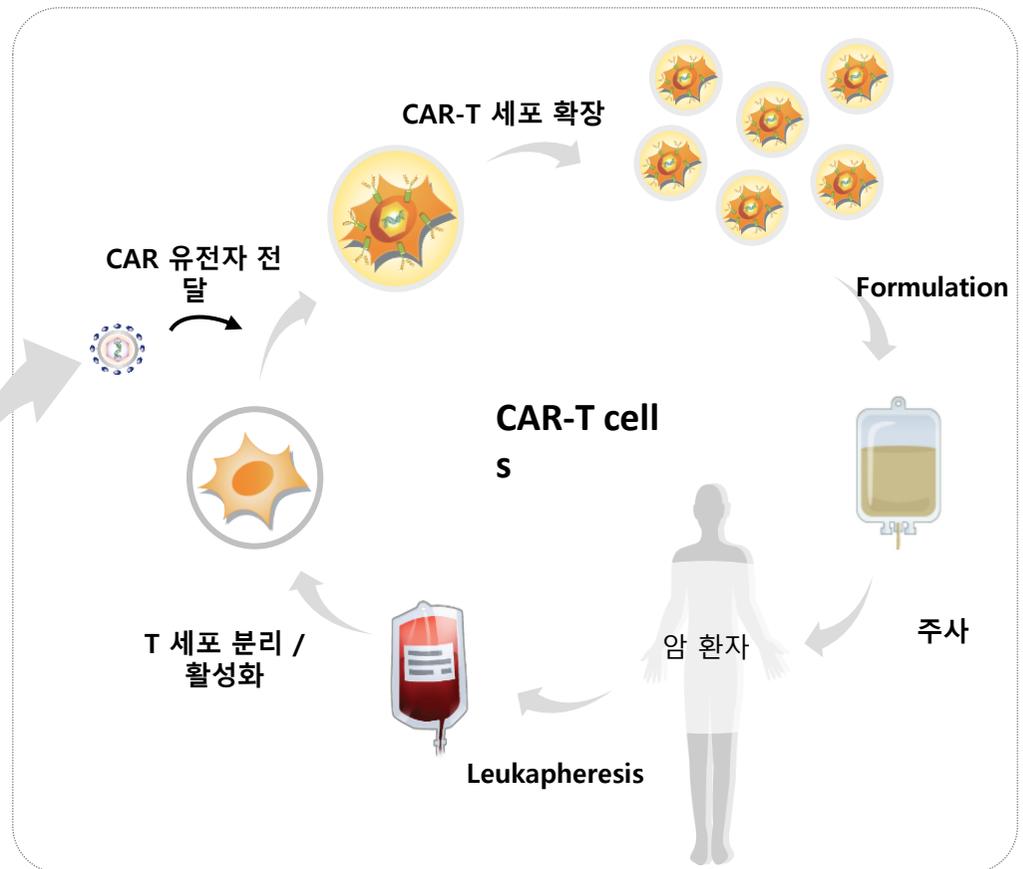
- 바이러스 벡터: 배양실 1개, 충전실 1개, 준비실 1개 등
- 세포치료제 : 제조실 2개, 준비실 1개, 포장실 1개, 보관실 1개 등

# CAR 서열에서 CAR-T 세포까지 – 2년 ONE STOP 서비스

## 벡터



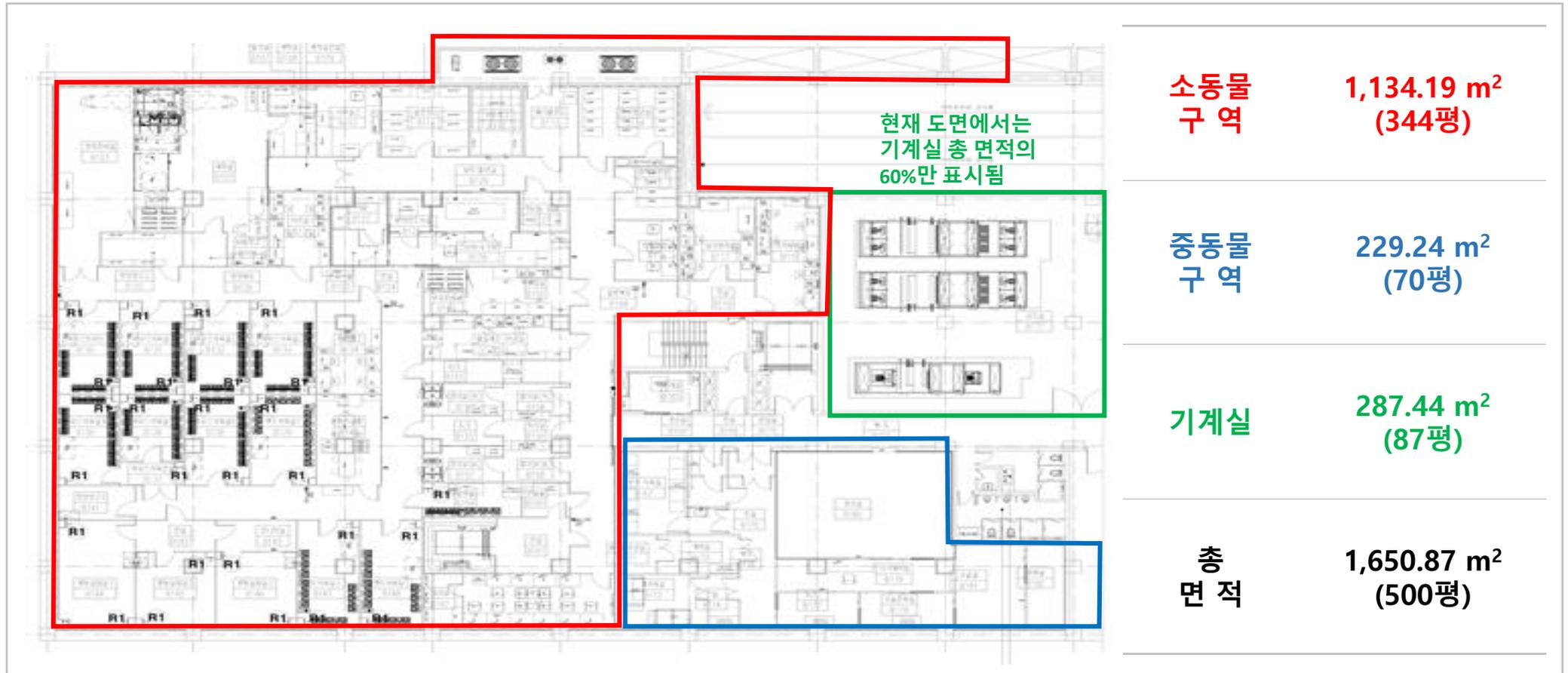
## CAR-T 세포



※ [CAR 염기서열 제공 ⇒ 임상시험 용 CAR-T세포 완료]를 2년 내 완결

# 플랫폼 사업 #2 - 동물실험 센터 (Animal Research Center)

“동물 실험은 현재 국내 바이오텍 기업의 최대 제한요인”



사육동물	마우스	랫드	토끼	개/돼지
동시 사육 가능 최대 개체수	<b>12,800</b> • 6 Holding rooms = 1,920 cages • 1 breeding room = 320 cages • 1 Isolation room = 320 cages • 1 quarantine room = 80 cage	<b>910</b> • 3 Holding rooms = 420 cages • 1 quarantine room = 35 cages	<b>24</b> • 24 cages	<b>8</b> • 8 cages

# 플랫폼 사업 #3 - 건강기능식품 전문 브랜드 큐비엔

“26년 연구 노하우로 자체 개발한 천연물 혁신치료제를 기반한 건강기능식품 전문 브랜드”

## 사업현황

### 유통 사업

#### 온라인 유통

- 큐비엔 자사몰, 네이버 스마트스토어 운영
- 쿠팡,종합몰, 오픈마켓 외 다수채널 직영 영업

#### 오프라인 유통

- B2B 기업특판\_명절,창립기념일
- H&B, 주요 할인점 입점 제안 진행 중\_22년 하반기 입점목표

### 개별인정형 원료 사업

#### 원료 영업

- 국내 주요 제조사 개별인정형 원료 영업\_PG102,HX106
- 자사원료로 생산된 완제품 납품\_온누리 약국 “아비토젠”

#### 해외 영업

- 미국 Newtramax 반려 동물용 건식 원료 납품\_PG102
- 베트남,대만 완제품 수출\_“Allex”, Eucomix M”

\*PG102: 면역과민반응 개선 원료 다래추출물 / HX106: 기억력 개선 원료 천마등 복합추출물

## 주요 품목



다래추출물



천마/복합추출물

### ✓ 큐비엔 총 11SKU 판매 중

- 기억력에 천마등 복합추출물 2종(일반,키즈): **식약처 인정 개별인정형 원료**
- 면역밸런스엔 다래추출물 3종(정제,액상스틱,키즈용)  
**국내 최초 면역 개선 개별 인정형 원료**
- 관절건강엔 MSM: **Eucomix(관절기능성부원료) 함유 / 순도 99.9% opti MSM 사용**
- 유산균,콜라겐,오메가3,루테인아스타잔틴,홍경천미크시슬비타민B컴플렉스

cure by nature — cubyN 큐비엔

# · 차세대 혁신 치료제 개발 ·

## □ 차세대 바이오 의약

- ✓ 플라스미드 DNA 제품
- ✓ AAV 제품
- ✓ CART 제품
- ✓ 항체

## □ 천연물 혁신 치료제

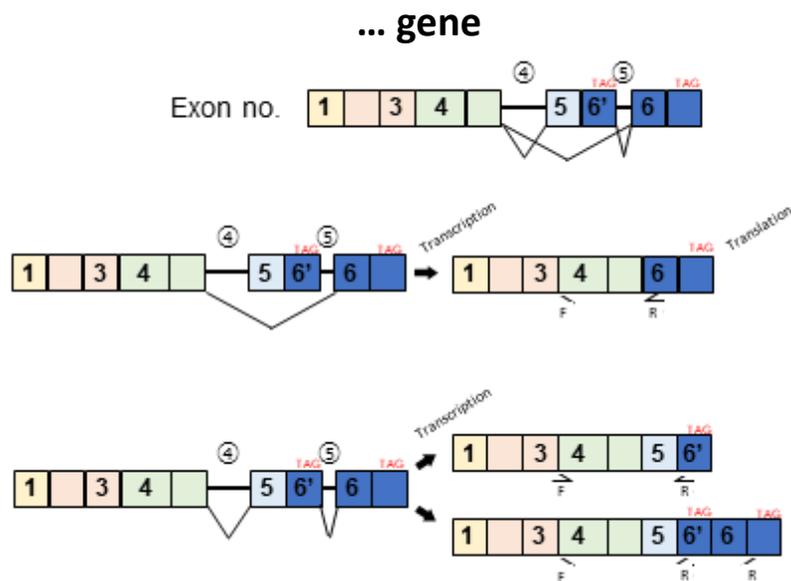
# 현재 신약 개발 포트폴리오 요약

	연구 5년	개발 3 ~ 5년	임상 시험 10 ~ 15년		20년 ~
	후보 물질	전임상	임상1상	임상2상	시판허가
<b>바이오</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>유전자 치료</li> <li>항체</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>NM101</b> 퇴행성 근육손상 질환</li> <li><b>NM102</b> 심혈관 질환</li> <li><b>VM301</b> 신경근육 질환</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>HX507(항체)</b> 신장질환</li> <li><b>CX804</b> 암</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>샤르코마리투스 (CMT)</b> 한국</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>파행 (Claudication)</b> 미국</li> <li><b>루게릭병 (ALS)</b> 미국, 한국</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>당뇨병성 신경병증 (DPN) 미국</li> <li>당뇨병성 족부궤양 (DFU) 미국</li> <li>중증 하지 허혈 (CLI) 중국</li> </ul>
<b>천연물</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>의약</li> <li>개별인정</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>HX204(IBD)</b> 염증성 장질환</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>HX110</b> 호흡기 건강</li> </ul>		<ul style="list-style-type: none"> <li><b>코로나 치료제</b> 타디오스 (인도)</li> <li><b>전립선 건강 (HX109)</b></li> <li><b>여성갱년기 (HX112)</b></li> </ul>	

# NM101 프로젝트

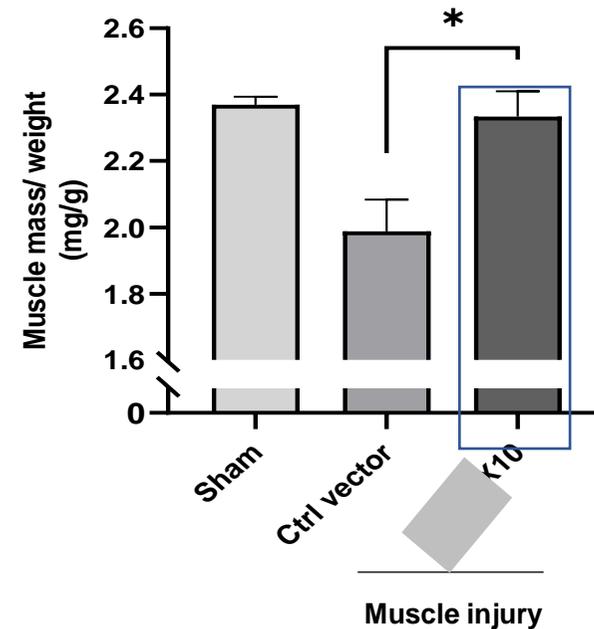
- 핵심 개념: 근육 관련 질환 치료를 위한 신규 유전자 치료제 프로그램
- 후보 물질:            이형체를 발현하는 플라스미드 DNA 혹은 AAV 벡터
- 핵심 기전: 근육양의 감소를 완화시키고 효율적으로 근육 조직을 재생시킴
- 적용 질환: 다양한 원인의 퇴행성 근육 손상 모델에서 치료 효과를 나타내었음

## 스플래싱과 이형체 활용



## 효능 평가

### Muscle injury model

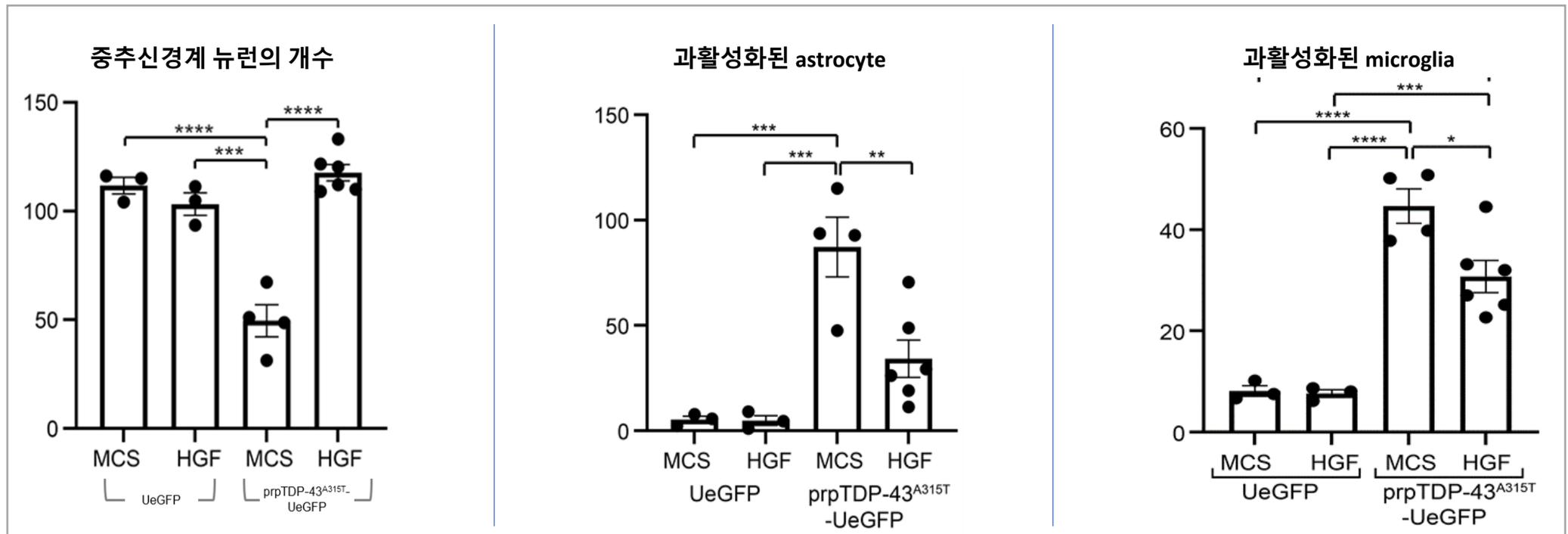


# VM301 프로젝트

- 핵심 개념 : ALS 등 신경근육 질환을 위한 유전자치료제 프로그램
- 후보 물질 : 두가지의 HGF 이형체를 발현하는 특수 재조합 AAV 벡터
- 핵심 기전 : 중추신경계 뉴런의 재생을 촉진하고 질병 진행을 완화시킴
- 적용 질환 : 질환 모델에서 유의미한 치료 효과를 확인함.

## 효능 평가

hTDP43 ALS model



# 카텍셀 플랫폼 기술

## 1. 벡터 기술

- 자체 개발 레트로바이러스 벡터
- 他 벡터 비교 월등, 우수
- 고효율 높은 안전성, 편의성 우수, 저비용

## 2. 서열 최적화 기술

- 자체적으로 CAR Modular library 확보
- 탐색 플랫폼 보유 ⇒ High Speed Screening

## 3. 생산 기술

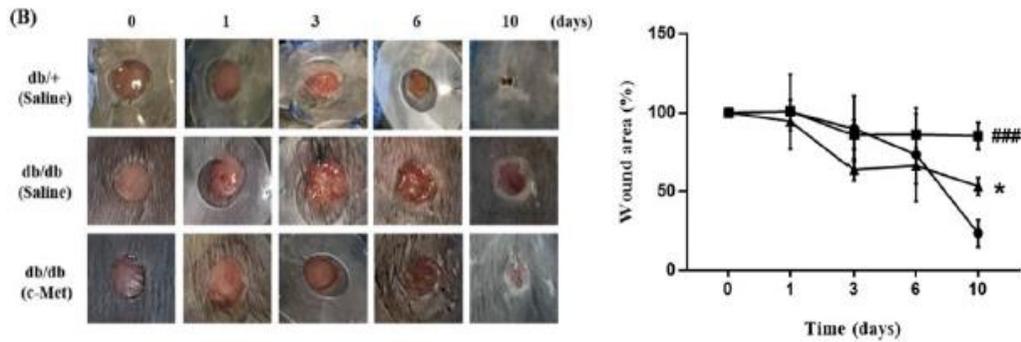
- 자체적으로 레트로바이러스 기반 GMP 생산 기술 확보
- 자체 품질 분석 시스템 확립

# CARTEXELL의 CART 파이프라인

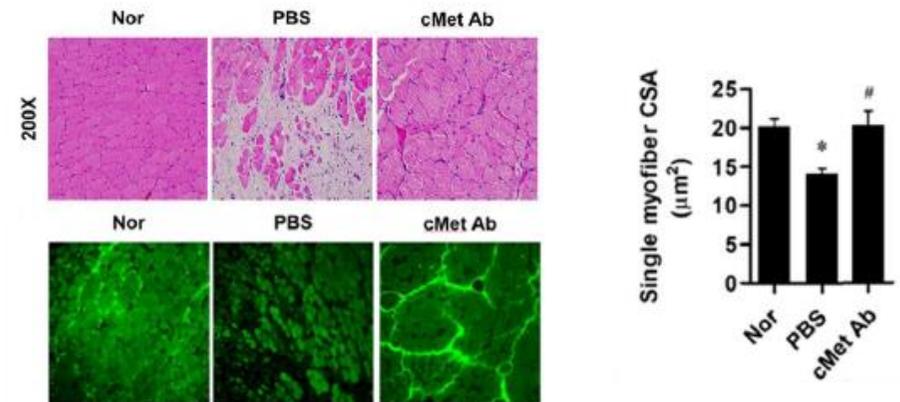
후보 물질	질환	현황
CX801	대장암	In vivo 유효성 확인 완료, 2023.12 IND 제출
CX802	B-세포 백혈병 / 림프종	In vivo 유효성 확인 완료
CX804	난소암  신경모세포종	In vivo 유효성 확인 완료, 2023.06 IND 제출  In vivo 유효성 확인 중
CX806	위암	최적 CAR 구조 개발 중
CX807	T-세포 림프종	scFv 개발 중
CX900	비공개	CAR-NK 연구 단계

# VM507 프로젝트 (c-Met 수용체를 활성화시킬 수 있는 항체)

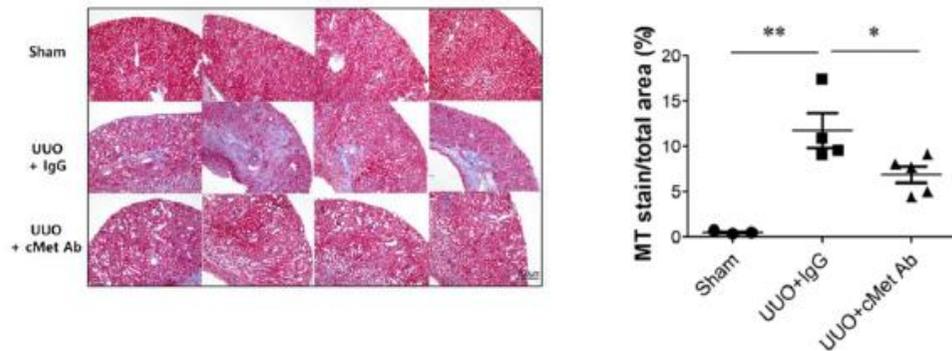
## 만성 궤양 모델



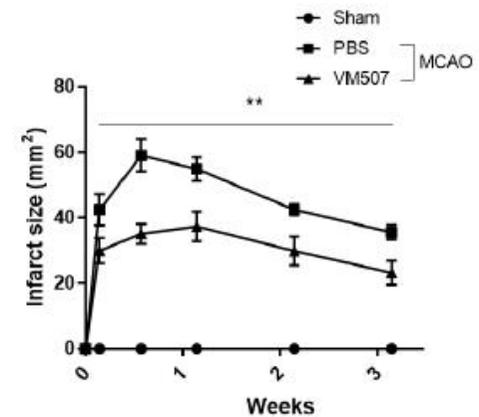
## 근육 위축 모델



## 만성 신장 질환 모델



## 뇌졸중 모델



# 천연물 혁신치료제 현황

## HX204: **염증성 장질환 치료제**



- 국내 염증성 장질환 환자 약 150만명 (2020년)
- 현행치료제 단순 증상완화에 불과, 심각한 부작용
- 후보물질 확인 / 임상시험 준비

## HX107: **혈당조절**



- 제 2형 당뇨병 환자 > 3백만명 (2020년)
- 예방적 차원으로 개입 필요
- 간이 임상에서 유효성 확인 / 임상시험 준비

## HX109: **전립선건강**



- 약 130만명
- 기존 치료제 장기 투약 시 부작용이 발생 → 보완요법에 대한 관심 증가

## HX112: **여성갱년기 건강**



- 2020년 기준, 갱년기 장애 환자수는 약 70만명, 시장규모는 약 1,200억원
- 기존 호르몬치료제는 자궁내막염 등 부작용 우려 → 안전한 대체제 수요 증가
- 후보물질 확보 / 임상 시험 준비

## HX110: **호흡기 건강**



- 연간 진료인원 및 진료비가 가장 많이 발생하는 질환
- 간접흡연, 황사, 미세먼지, Covid-19로 이어지는 호흡기 건강 문제 심화
- 후보물질 확보 / 임상시험 준비

## HX114: **피부 건강**



- 2020년 기준, 국내 이너뷰티 시장규모 약 6000억원
- 고령화, 마스크 착용 등으로 관심 증가

# 헬릭스미스 하이라이트

1. 다수의 **First-in Class 혁신 의약**을 개발하고 있습니다.  
(유전자치료제, 항체, 천연물치료제)
2. 선도제품인 **엔젠시스**를 미국과 중국에서 임상 3상을 실시하고 있습니다.  
[엔젠시스/DPN/미국의 **현재 가치(NPV)**는 5~15조원으로 추산되고 있습니다.]
3. **포트폴리오 기업**으로서 다양한 기술과 제품들을 보유하고 있습니다.
4. 25년 간 다양한 경험을 통해 신약개발에 필요한 **노하우, 지적재산, 인프라**를 구축했습니다.
5. 이를 바탕으로 **바이오 플랫폼** 사업을 추진하고 있습니다.
  - 스핀오프를 통한 적극적 신약 개발 (카텍셀 등) → 후보 물질 확보, 상장과 재무이익 추구
  - 바이오 플랫폼 (CDMO, 분석/품질 관리, 임상시험, 동물실험)
  - R & D 생태계 구축 → 신사업 기회 확보, 융복합 제품 개발, 스타트업 발굴을 통한 신기술 확보
6. 2022년 하반기~2023년 **퀀텀 도약**을 준비하고 있습니다.
7. 2025~2026년 **글로벌** 시장에서 주목받는 **바이오텍 기업**이 되겠습니다.

# 2022-2023년 퀀텀 점프 → 2025년 글로벌 바이오 기업으로 도약

## □ 엔젠시스/DPN

- 미국 임상 3상 성공 – 빅딜 (Big Deal) 추진
- 조 단위 기술이전 (out-licensing) – 지역 별, 질환 별
- Joint venture

## □ 수익사업

- CDMO 사업 (세포유전자치료제 GMP 시설, CART 원스톱 서비스)
- 동물실험연구 CRO 사업
- 천연물 QbN 사업
- 카텍셀 (CART 항암치료제 개발)

## □ 신규 후보물질

- 엔젠시스급(級) 후보 물질 2-3개 개발

## □ 스피나아웃

- 신규 후보물질 지속 확보
- 상장을 통한 재무적 이익 추구

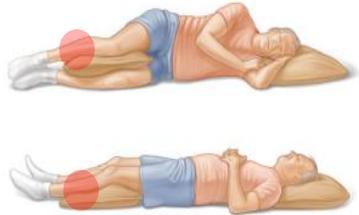


**End of Document**

# 신경 및 혈관성 하지 질환 - 질병 전개와 시장규모



- Hyperglycemia
- Atherosclerosis
- Neuropathy



환자 수 (미국)	~ 9 백만	~ 450 만	200 ~ 300 만
-----------	--------	---------	-------------

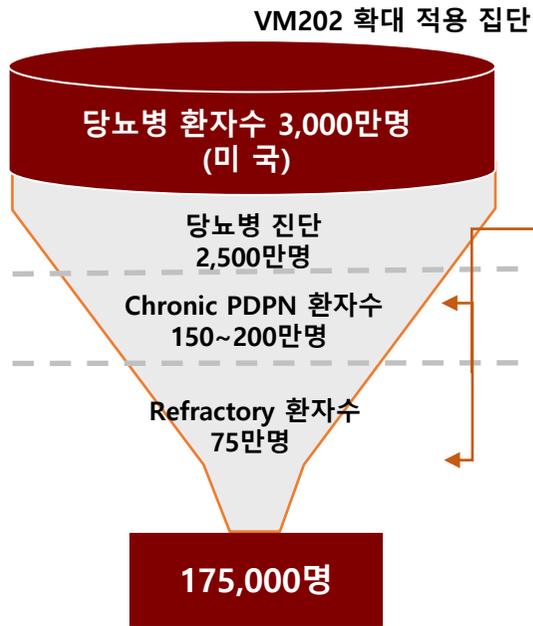
치 료 법	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 항혈소판 (예: Cilostazol)</li> <li>▪ 통증관리</li> <li>▪ 혈관 성형술</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 궤양 관리</li> <li>▪ 죽은 조직 제거</li> <li>▪ 특수 신발</li> <li>▪ 통증 관리</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ 혈관 재형성</li> <li>▪ 혈관 성형술, 이식수술</li> <li>▪ 괴사 조직 제거</li> <li>▪ 통증 관리</li> </ul>
-------	--	---	---

세계 시장 규모	
9 ~ 14 조원 <sup>1</sup> (\$ 7 ~ 11 B)	7.5 조원 <sup>2</sup> (\$ 6 B)

<sup>1</sup> Diabetic Foot Ulcer Treatment Market research, Fortune Business Insights 2019  
<sup>2</sup> Global Critical Limb Ischemia Treatment Market Research, Maximize Market Research 2019

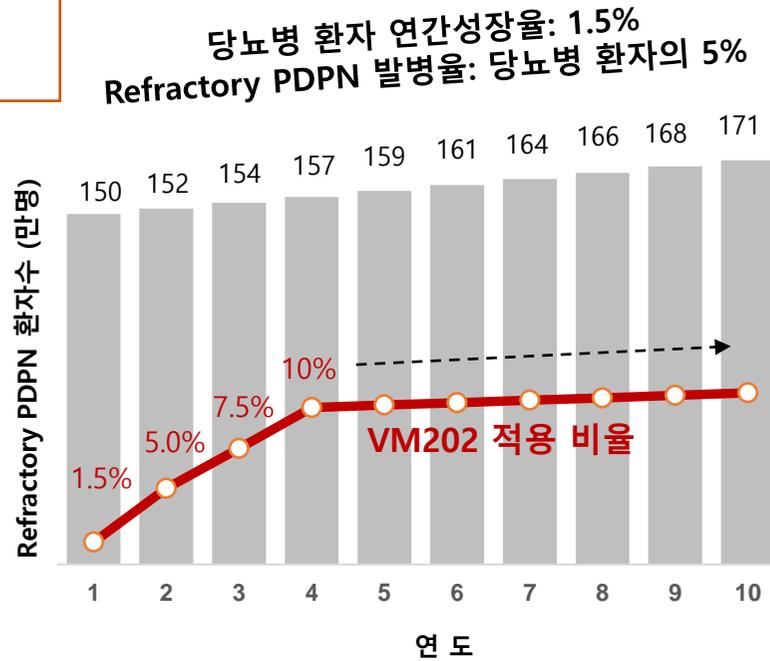
# PDPN 시장과 VM202

## 자료 1



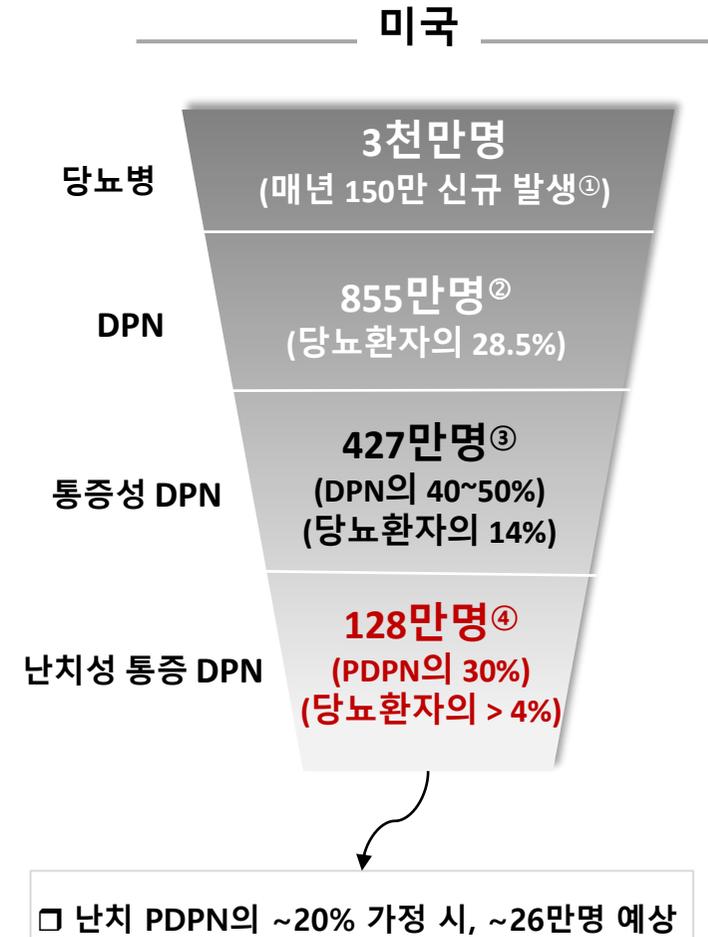
### □ VM202 적용 환자수

- 당뇨병 환자의 0.6%
- 만성 PDPN의 10%
- 난치 PDPN의 ~20%



시장 진입 4년차부터 환자 수 10% 캡처 가정

## 자료 2



자료 1 출처: 미국 Viewpoint 분석(2017.11)

자료 2 출처:

1 A Boulton et al. Management of diabetic peripheral neuropathy; Clinical diabetes 2005

2 MJ Young et al. A multicenter study of the prevalence of diabetic peripheral neuropathy in the United Kingdom hospital clinic population. Diabetologia. 1993 Feb;36(2):150-4

3 PDPN market research, The Dominion Group 2018,

4 PR Patil et al. Opioid use in the management of diabetic peripheral neuropathy in a large commercially insured population, Clin J Pain. 2015 May10

# 2022년 예산

(단위: 백만원)

구분	내용	금액
임상 부문	임상비	19,696
	지급수수료	9,498
	여비/교통비/일반관리비	107
	소계	<b>29,301</b> (44.1%)
R&D 부문	연구	5,178
	생산	3,814
	분석	2,951
	동물	2,100
	CGT	18
	여비/교통비/일반관리비	599
소계	<b>14,660</b> (22.1%)	

구분	내용	금액
경영 지원 부문	인사 (급여, 보험, 교육 등)	12,783
	관리 (세금, 공과금, 수수료 등)	8,624
	여비/교통비/일반관리비	540
	복리후생비	372
	접대비	165
소계	<b>22,484</b> (33.8%)	
합계		<b>66,445</b>

## 【기말 잔액 예측】

(단위: 백만원)

구분	현금	비고
기초잔액	137,000	21년말 현금 잔액
수입	18,000	
펀드회수	13,000	22년 만기 펀드
매출수입	5,000	22년 매출 계획
지출	66,445	22년 계획 예산
기말잔액	<b>88,555</b>	22년말 현금 잔액

# 개발 시간표와 주요 마일스톤 (2021 ~ 2025)

