



HLB innoVation

Verismo
THERAPEUTICS

KIR-CAR Platform for Cancer Immunotherapies

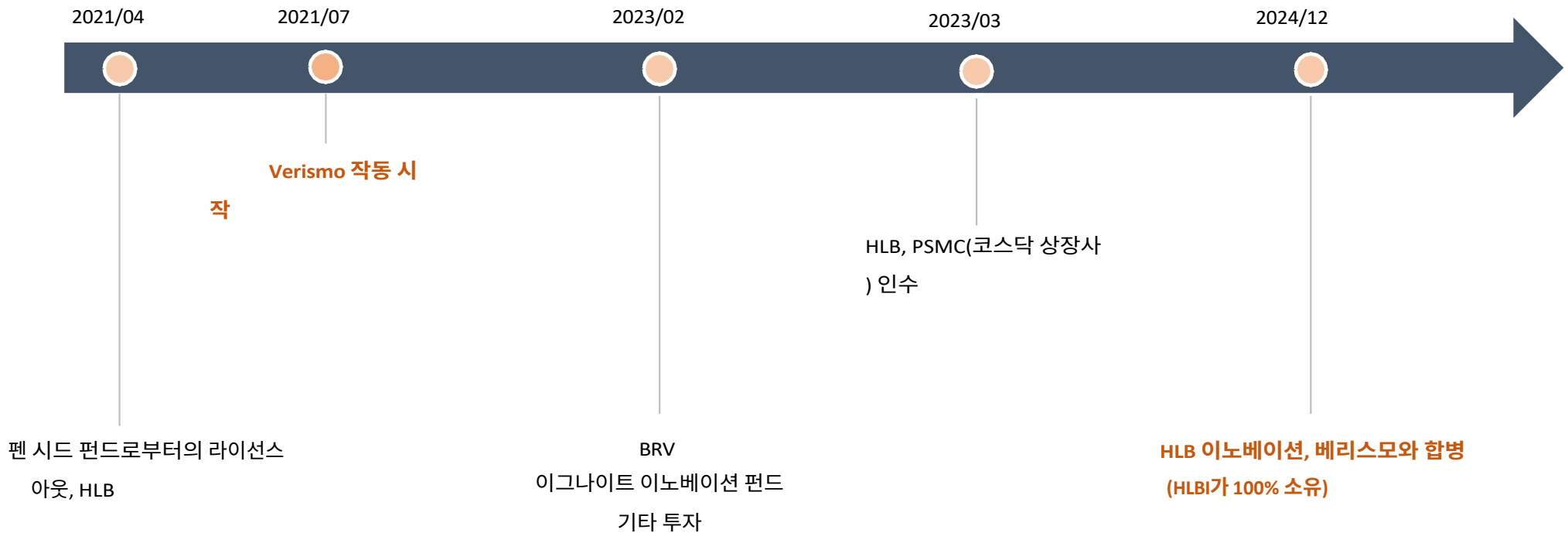
March 2025



미래예측 진술

- 이 프레젠테이션에는 1995년 증권민사소송개혁법의 의미 내에서 미래예측진술이 포함되어 있습니다. 이러한 진술에는 '믿다', '기대하다', '예상하다', '의도하다', '계획하다', '추정하다', '계획하다', '~할 것이다', '~할 수 있다', '목표하다' 및 이와 유사한 표현은 물론 사업 전략, 계획, 예상 마일스톤 및 회사 경영진의 목표에 관한 진술을 포함하되 이에 국한되지 않는 역사적 사실 진술 이외의 진술이 포함될 수 있습니다. 이러한 미래예측진술은 미래 사건에 대한 회사의 현재 견해를 반영하며 SynKIR-110 또는 SynKIR-310 개발에 내재된 위험, 회사가 진행 중이거나 계획 중인 임상시험의 향후 결과, 회사가 계획된 임상시험 및 기타 비용에 자금을 조달하기 위한 적절한 자금 조달 능력, 업계 동향, 업계의 법률 및 규제 체계, 향후 지출 등 회사에 대한 알려진 위험 및 알려지지 않은 위험의 영향을 받습니다. 이러한 위험과 불확실성을 고려할 때 미래예측 진술에 언급된 사건이나 상황이 않을 수도 있습니다. 실제 결과는 예상 결과와 다를 수 있으며 이러한 변화는 중대한 영향을 미칠 수 있습니다. 이러한 미래예측진술은 예측이나 약속으로 간주되어서는 안 되며, 근거가 된 가정이 정확하거나 완전하다는 표시, 보증 또는 보장을 암시하는 것으로 간주되어서는 안 되며, 가정이 있는 경우 프레젠테이션에 충분히 명시되어 있어야 합니다. 이 프레젠테이션 현재를 기준으로 한 이러한 미래예측진술에 지나치게 의존하지 않도록 주의하시기 바랍니다.
- 본 프레젠테이션의 정보(시장 데이터 및 통계 정보 포함)는 다양한 출처(제3자 출처 포함)에서 입수한 것이며, 회사는 해당 정보의 정확성이나 완전성을 보장하지 않습니다. 모든 예측, 가치 평가 및 통계 분석은 정보 제공 목적으로만 제공됩니다. 이러한 정보는 주관적인 평가와 가정을 기반으로 할 수 있으며 다른 결과를 도출하는 여러 대체 방법론 중 하나를 사용할 수 있으며, 과거 정보를 기반으로 하는 한도 내에서 미래 실적의 정확한 예측으로 신뢰해서는 안 되며 과도한 가중치를 부여하지 않도록 주의하시기 바랍니다.
- 이 프레젠테이션에서는 임상 연구 중이며 아직 미국 식품의약국으로부터 시판 승인을 받지 않은 제품 후보에 대해 설명합니다. 이러한 제품 후보가 연구 중인 치료 용도에 대한 안전성이나 효과에 대해서는 어떠한 진술도 하지 않습니다.
- 본 프레젠테이션은 매도 제안 또는 매수 제안 권유를 구성하지 않으며, 해당 주 또는 기타 관할권의 증권법에 등록 또는 자격을 갖추기 전에 그러한 제안, 권유 또는 판매가 불법이 되는 주 또는 기타 관할권에서 이러한 증권을 판매해서는 안 됩니다.

에이치엘비 이노베이션 (코스닥: 024850)+ 베리스모 테라퓨틱스



CAR T 세포 치료: 놀라운 제작의 역사

Cell-ebration – and Beyond



The first-of-its-kind FDA approval of an immune cell therapy for cancer was big news on Penn's campus. It marked the culmination of a chapter of discovery, collaboration, and spectacular feats of surviving once-deadly cancers. And it's the start of much more.

Article | [Published: 02 February 2022](#)

Decade-long leukaemia remissions with persistence of CD4⁺ CAR T cells

[J. Joseph Melenhorst](#) , [Gregory M. Chen](#), ... [Carl H. June](#)  [+ Show authors](#)

[Nature](#) (2022) | [Cite this article](#)

18k Accesses | 1 Citations | 1911 Altmetric | [Metrics](#)

Abstract

The adoptive transfer of T lymphocytes reprogrammed to target tumour cells has demonstrated potential for treatment of various cancers^{1,2,3,4,5,6,7}. However, little is known about the long-term potential and clonal stability of the infused cells. Here we studied long-lasting CD19-redirected chimeric antigen receptor (CAR) T cells in two patients with chronic lymphocytic leukaemia^{1,2,3,4} who achieved a complete remission in 2010. CAR T cells remained detectable more than ten years after infusion, with sustained remission in both patients. Notably, a highly activated CD4⁺ population emerged in both patients, dominating the CAR T cell population at the later time points. This transition was reflected in the stabilization of the clonal make-up of CAR T cells with a repertoire dominated by a small number of clones. Single-cell profiling demonstrated that these long-persisting CD4⁺ CAR T cells exhibited cytotoxic characteristics along with ongoing functional activation and proliferation. In addition, longitudinal profiling revealed a population of gamma delta CAR T cells that prominently expanded in one patient concomitant with CD8⁺ CAR T cells during the initial response phase. Our identification and characterization of these unexpected CAR T cell populations provide novel insight into the CAR T cell characteristics associated with anti-cancer response and long-term remission in leukaemia.

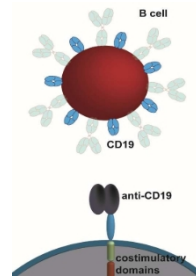
Nature 602, 503-505 (2022)

김리아 h™ (티사겐레클루셀): 세계 최초로 승인된 CAR T 치료제

펜실베이니아에서의 발견과 개발은 CAR T 분야에 불을 붙인 펜-노바티스 연구의 토대가 되었습니다



하하머 (2017)



CAR T 세포



75명의 B세포 백혈병 환자를 대

상으로 한 2상 엘리아나 임상시

험 81% 완전 관해

12개월 동안 59% 재발 없음

이전 표준 치료 요법의 유효성

<20% 완전 관해

OS 중앙값 1년 미만

구조:

Anti-CD19 scFv

CD3ε 세포 내 신호는 4-1BB 코스티몰레

이션 도메인을 수행합니다.

III

liance

hts:

CAR-T:

© The American Society of Gene Therapy

original article

Chimeric Receptors Containing CD137 Signal Transduction Domains Mediate Enhanced Survival of T Cells and Increased Antileukemic Efficacy In Vivo

Michael C. Milone^{1,2}, Jonathan D. Fish^{1,4}, Carmine Carpenito¹, Richard G. Carroll¹, Gwendolyn K. Binder¹, David Teachey^{1,4}, Minu Samanta², Mehdi Lakhai¹, Brian Gloss¹, Gwenn Danet-Desnoyers⁵, Dario Campana^{6,7}, James L. Riley^{1,2}, Stephan A. Grupp^{1,4} and Carl H. June^{1,2}

분자 치료 2009 17(8):1453-64

THE NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

BRIEF REPORT

Chimeric Antigen Receptor–Modified T Cells for Acute Lymphoid Leukemia

Stephan A. Grupp, M.D., Ph.D., Michael Kalos, Ph.D., David Barrett, M.D., Ph.D., Richard Aplenc, M.D., Ph.D., David L. Porter, M.D., Susan R. Rheingold, M.D., David T. Teachey, M.D., Aron D. Cohen, Ph.D., Bernd Hauck, Ph.D., J. Fraser Wright, Ph.D., Michael C. Milone, M.D., Ph.D., Bruce L. Levine, Ph.D., and Carl H. June, M.D.

N Engl J Med 2013;368(16):1509-1519

김리아 h™ 는 베리스모 창립 멤버들의 수년간의 과학적 연구와 기여를 바탕으로 구축되었습니다.

환자 치료 결과의 비약적인 도약

소아 r/r B-ALL 환자에서의 유효성(표준 치료 ~2017년 대비 김리아*)

김리아 승인 당시의 표준 치료법*		KYMRIA ^h ™
목표 응답 비율	<20%	81%
완료 관해	<15%	61%
5년 생존	10%	55%

* 중추적인 PhII ELIANA 연구 데이터 기반; 티사겐레클루셀의 FDA 승인 근거
클로파라빈, 빈크리스틴 동결 건조 주사제, 블리나투모맄, 이노투주맄 오조 가미신

1992

칼 준 G 브루스 레빈, 생체 외 T 세포 활성화 및 성장 방법 발명
CAR T 제조의 황금 표준으로 남아 있는 프로세스

2009

칼 준 G 마이클 밀론이 CTL01G를 발명했습니다.

2010

칼 준 C 데이비드 포터가 CTL019로 치료한 두 명의 CLL 환자, CAR T에 대한 극적인 반응을 보인 첫 번째 사례

2012

노바티스와의 협력을 통해 펜실베이니아대학교의 B-ALL 임상시험에 CTL019가 진입했습니다.

2017

김리아 h™ (티사겐레클루셀)는 최초로 FDA 승인을 받은 세포 기반 유전자 치료제입니다.



우리의 사명:

치료가 어려운 암에 대해 장기적인 반응을 보이는 CAR T 세포 치료법 발전

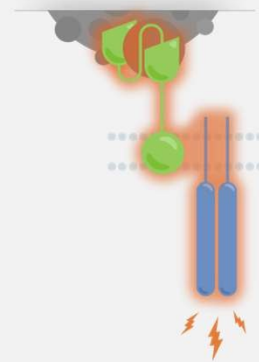
광범위한 CAR T 노하우



펜실베이니아 대학교의 김리아 공동 발명가들 h™
이 가져왔습니다.

- 마이클 밀론(공동 설립자)이 CAR T의 T세포 지속성 문제를 해결하기 위해 발명했습니다.

플랫폼 기술



SynKl R™,
새로운 듀얼 체인 KIR-CAR 구조

- 생체 내 지속성 개선 가능성
- 고형 종양 및 혈액암에 대한 임상 시험 진행 중

임상 파이프라인

고형 종양

SynKl R™ -110

난소암, 중피종, 담관암에 대한 메소텔린
표적 CAR T

혈액 악성 종양

SynKl R™ -310

B-NHL에 대한 CD19 표적 CAR T
(CAR 무경험자 및 CAR 재발 후)

베리스모의 KIR-CAR 플랫폼 기술은 기존 CAR T 기술의 주요 한계인 T세포 고갈과 고형암 치료 실패를 해결하기 위해 기술입니다.

새로운 KIR-CAR 구성

이중 체인 설계를 적용한 최초의 CAR T 구조로 기능적 지속성 제공

실적이 있는 노련한 팀

브라이언 김은 다양한 성장 단계를 거치며 상장, 비상장, CMO 바이오 제약 회사를 설립했습니다.

CAR T에 대한 광범위한 노하우

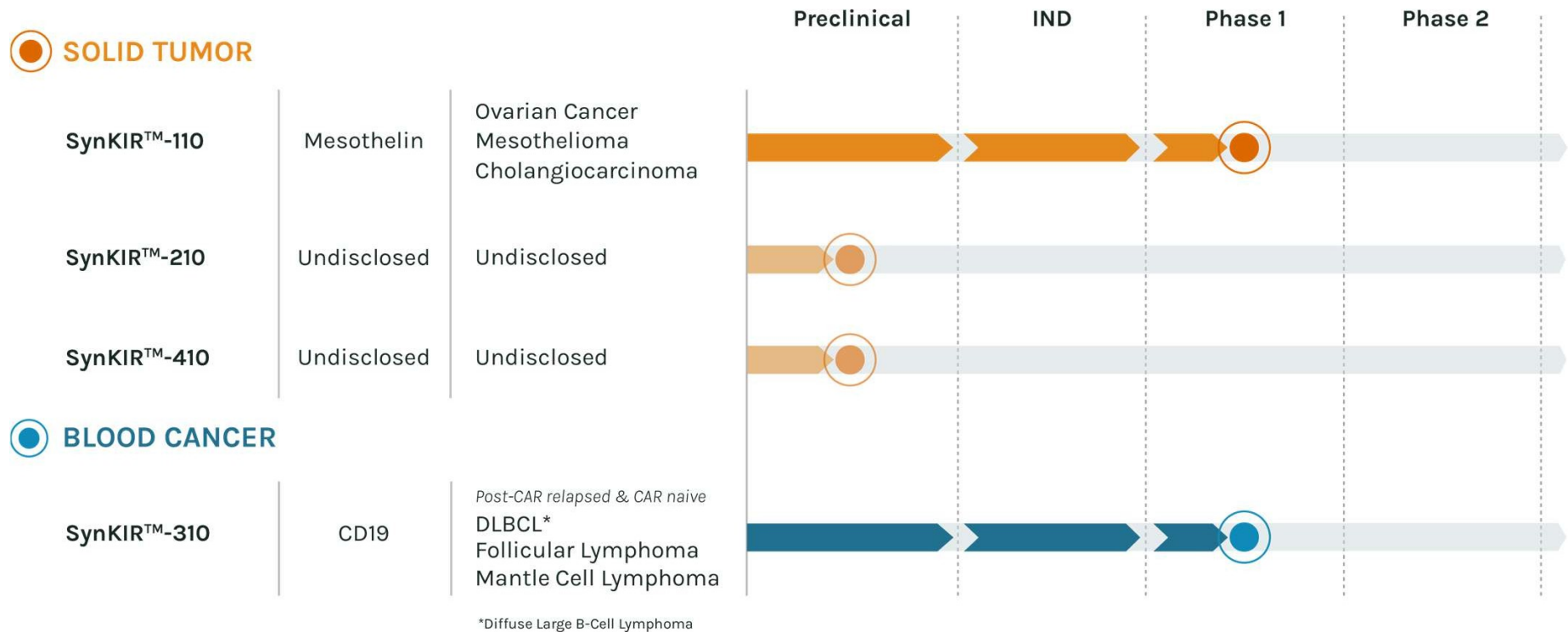
펜실베니아 대학교의 CAR-T 과학자, 임상의, 제조 전문가와의 지속적인 협력 및 관계 유지

시장 잠재력

CAR T 산업은 **연평균** 성장률 **32.1%**(2024~2032년)*로 빠르게 성장할 것으로 예상됩니다.

*출처: 데이터 호라이즌 리서치

베리스모는 치료가 어려운 고형암과 혈액암을 대상으로 새로운 KIR-CAR 플랫폼에 집중하고 있습니다.

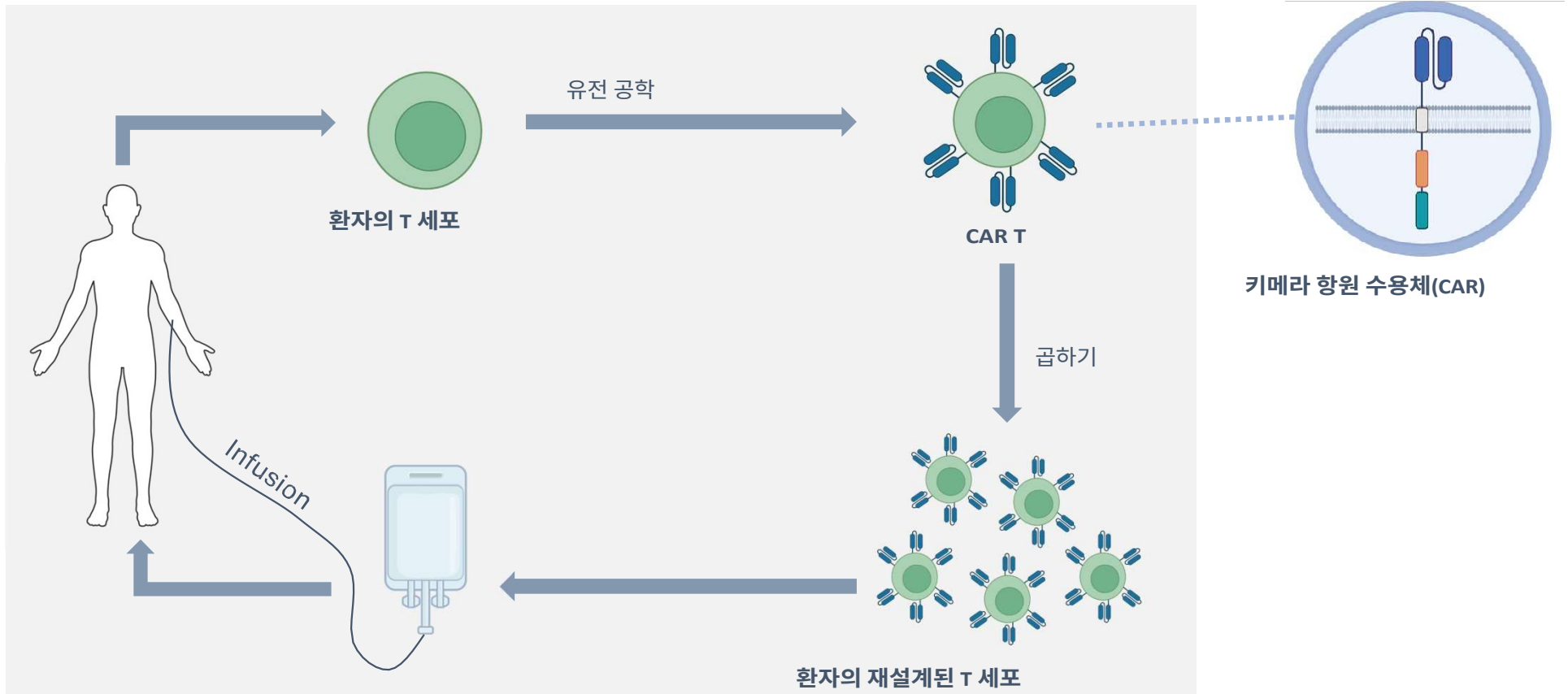




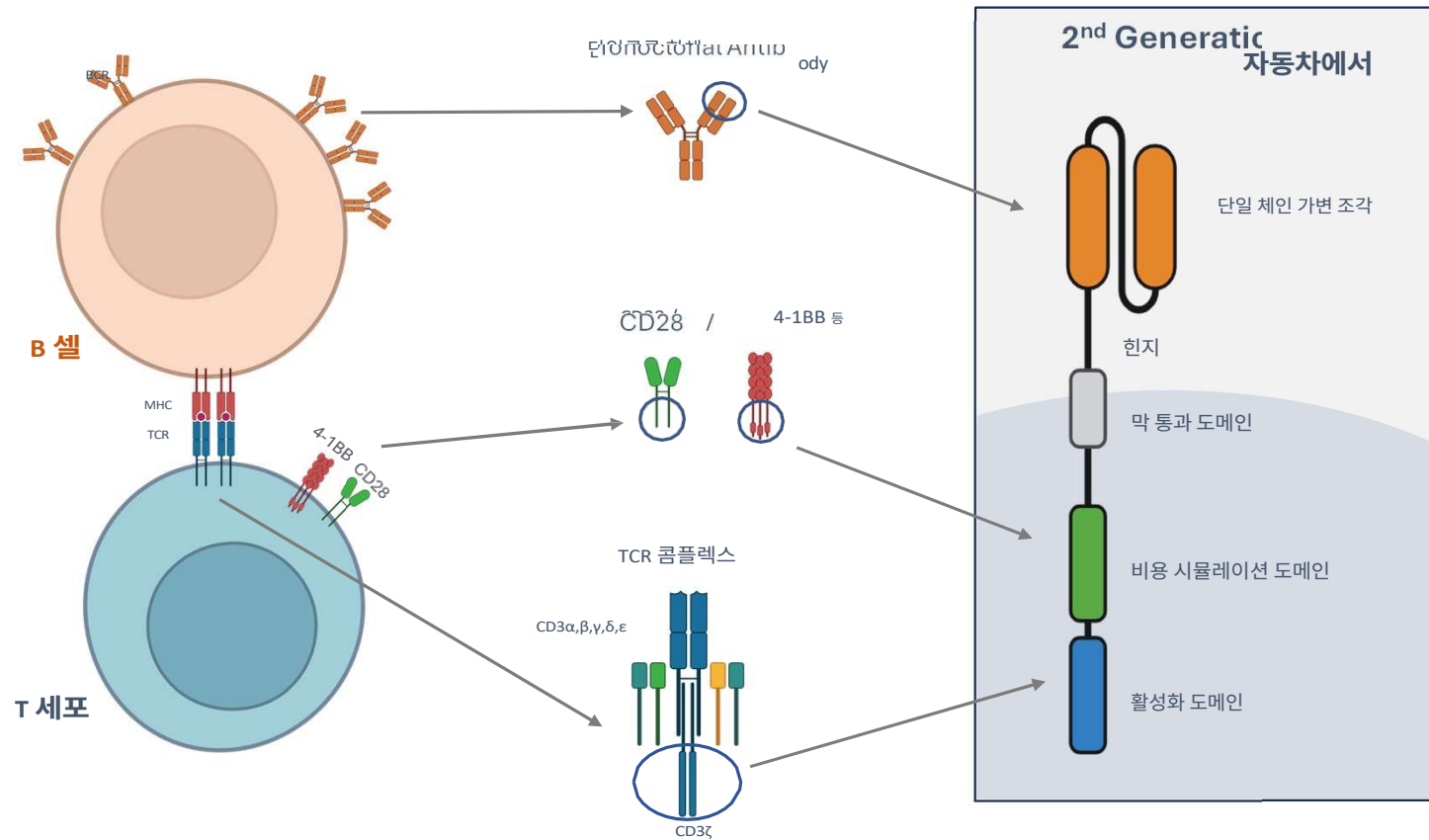
SynKI RTM 플랫폼



자가 CAR T 세포 치료는 환자 자신의 T 세포가 체내 암세포를 정확하게 표적화하여 공격할 수 있도록 합니다.

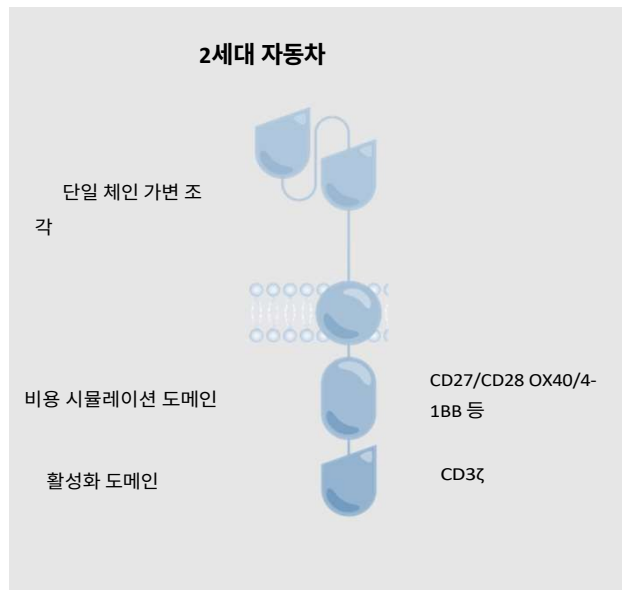


FDA 승인을 받은 모든 CAR T 치료제는 2세대('기존') CAR 설계입니다. 베리스모의 KIR CAR 설계는 기존 CAR 구조에서 완전히 벗어난 것입니다.



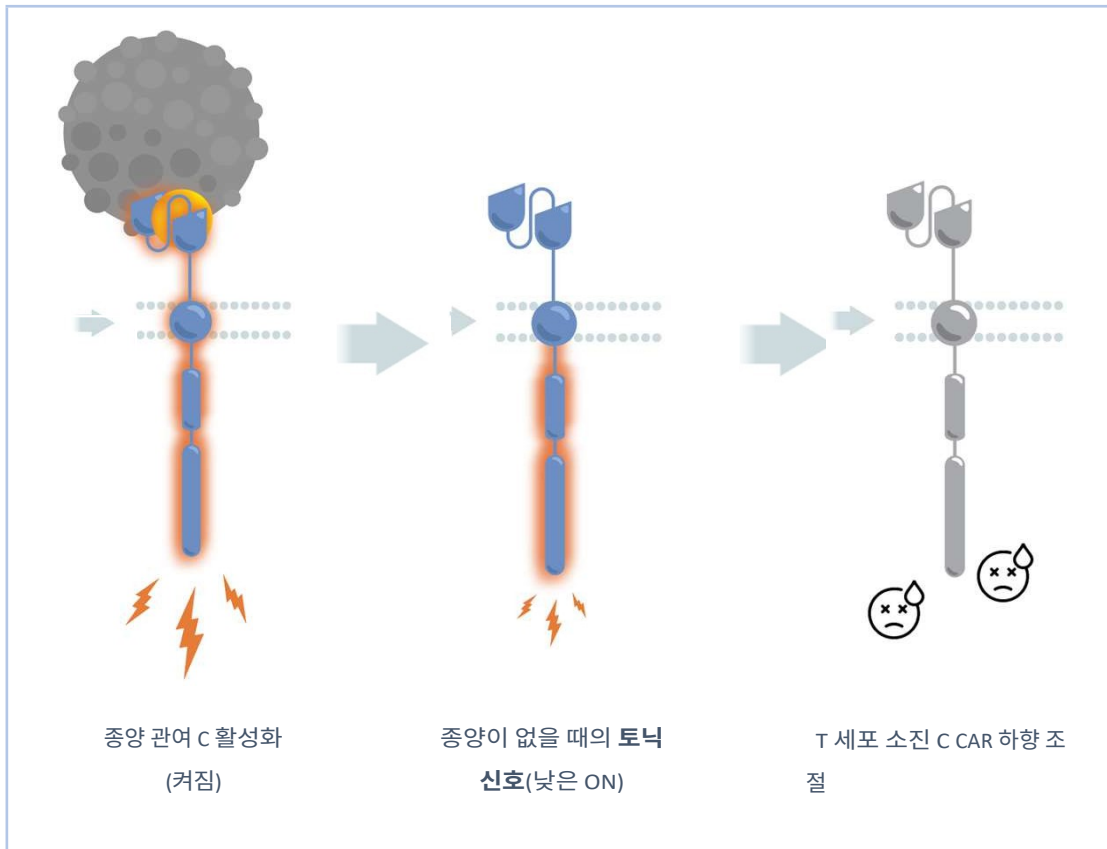
기존 CAR T: 인공 단일 사슬 구성

- FDA 승인을 받은 7가지 CAR T 치료제는 모두 **혈액암에만** 적응증이 있으며 **2세대 CAR 설계를** 기반으로 합니다.



								
표적 항원		BCMA		CD19				
표시	B-ALL			✓		✓	✓	
	CLL/SLL				✓			
	LBCL*				✓	✓		✓
	FL				✓	✓		✓
	MCL				✓		✓	
	MM	✓	✓					
비용 시뮬레이션 도메인		4-1BB					CD28	
활성화 도메인		CD3ζ						

기존 CAR T 세포는 세포 소진에 취약합니다.



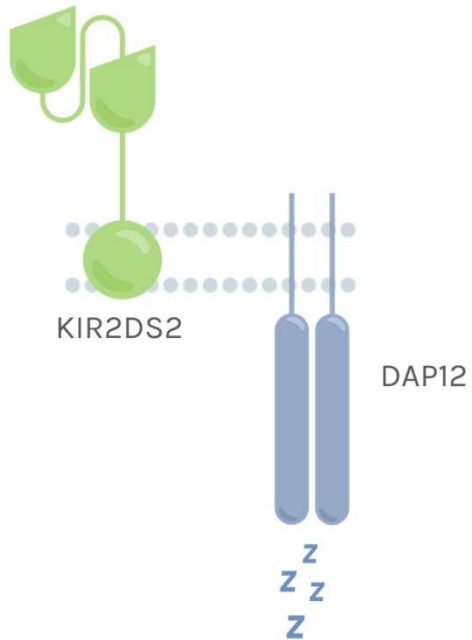
불안정한 단일 사슬 CAR 구조로 인해 기존의 CAR T 세포는 표적 항원과 결합하지 않아도 활성화되어 **조기에 소진됩니다.**

- **고형 종양에서** 기존의 CAR T 세포는 면역 억제 종양 미세 환경에 맞서 싸우고 있습니다.
- **혈액암의 경우**, 기존 CAR T 세포는 초기에는 효과가 있지만 **재발하기 쉽습니다.**

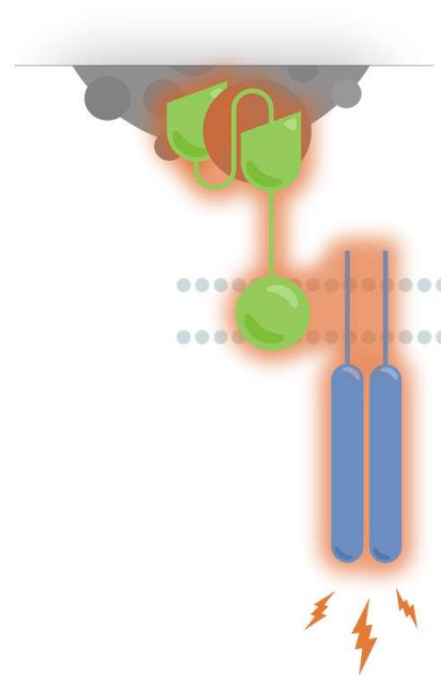
SynKIR™:

KIR-CAR 이중 사슬 디자인, 기존 CAR T 치료에서 관찰된 T 세포 고갈 극복할 수 있어

휴식 시 브리딩으로 선택



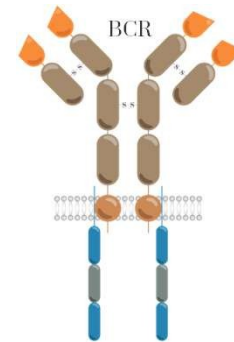
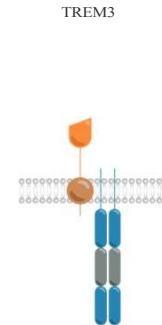
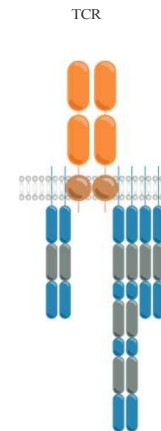
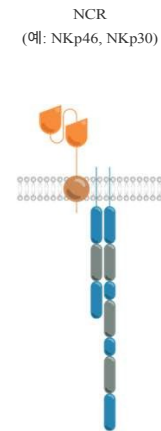
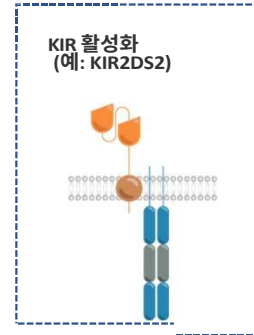
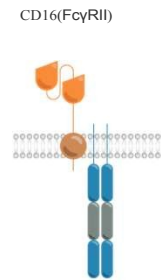
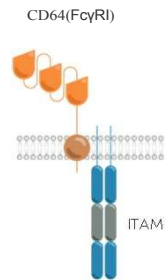
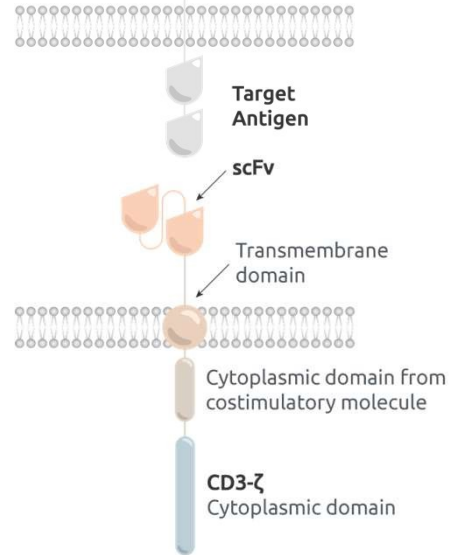
조양과 결합된 경우



- CAR T의 첫 번째 구조는 별도의 모어 결합 도메인과 T 세포 활성화 닐링 도메인을 갖도록 합니다.
- Th1 세포 도메인이 결합되어 대상에 바인딩된 경우에만 T 세포를 활성화하여 튜럴 온/오프 스위치 역할을 합니다.
- Th1 세포는 고형 종양 환경에서도 장기간 기능적 T 세포 활성화를 제공합니다(까다로운 고형 종양 환경에서도).
- KIR-CAR은 활성화된 표면과 휴지 상태의 T 세포 표면 모두에 지속적인 수용체 압력으로 인해 향상된 표면 능력을 보여주었습니다.

기존 자동차는 자연과 닮지 않았습니다.

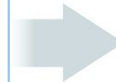
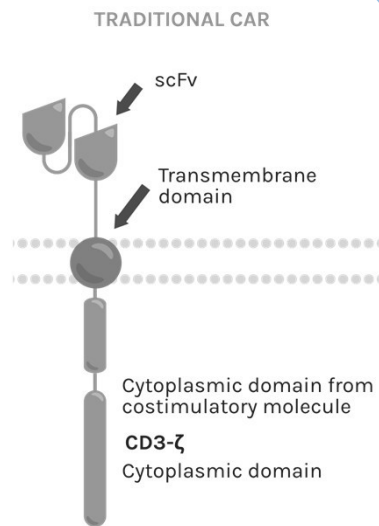
기존 자동차 디자인



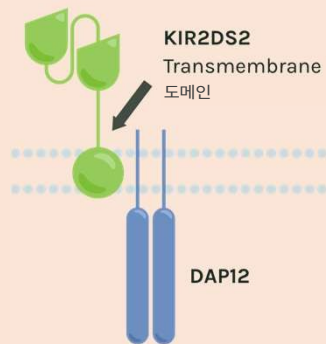
KIR-CAR는 CAR T의 패러다임 전환입니다:

듀얼 체인 커플링/디커플링 설계는 자연스러운 온/오프 스위치 역할을 하여 기능 지속성을 개선하고 피로를 제한합니다.

- 단일 사슬 설계는 면역 반응 메커니즘을 반영하지 않습니다.
- 일반적으로 체내에서 결합하지 않는 단백질로 구성되어 있습니다.
- 종양 미세 환경에서의 고갈



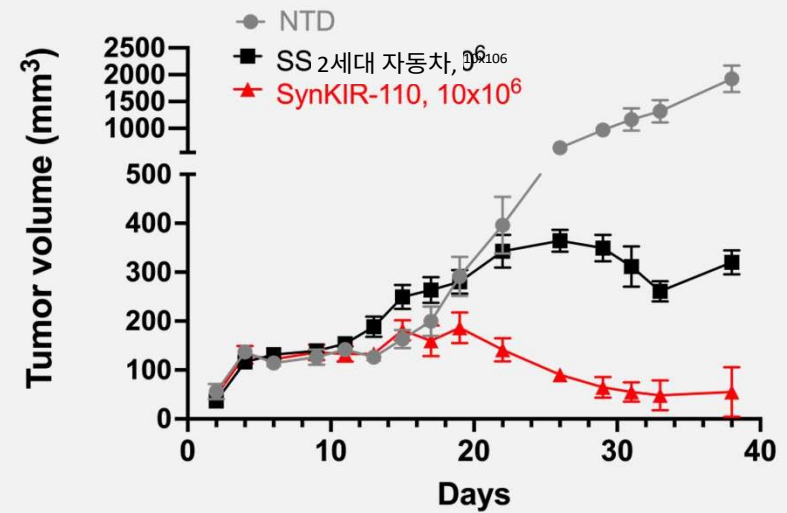
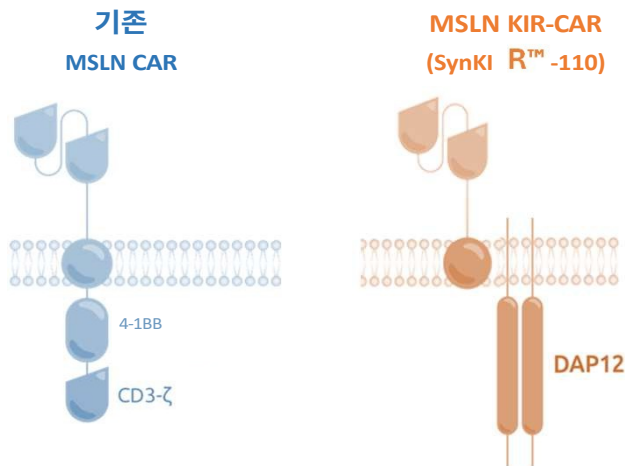
THE KIR-CAR



- ✓ NK 세포 수용체 기반 듀얼 체인 설계
- ✓ 인위적인 공동 자극이 필요 없는 DAP12 자극
- ✓ 종양 미세 환경에서 잠재적으로 더 나은 기능 및 지속성 제공
- ✓ T 세포 고갈을 극복하도록 설계

KIR-CAR은 까다로운 고형 종양 환경에서도 기능적 T 세포 활성화를 제공합니다: KIR-CAR T 세포는 생체 내에서 우수한 항종양 활성을 보였습니다.

중피종의 CAR 내성 이종이식 마우스 모델에서 메소텔린 표적 KIR-CAR과 기존 CAR을 비교하는 전임상 연구



- 기존 CAR T 세포는 생체 내에서 조기 소진 징후를 보였습니다.
- KIR-CAR T 세포는 연구 기간 동안 일관된 항종양 활성으로 생체 내에서 지속되는 능력을 보여주었습니다.

베리스코 SynKIR-110 에 대한 2022 년 임상시험계획 승인 연구, SITC 2023 에서 발표

SynKI RTM-110(메소텔린): 고형 종양 치료를 위한 선도 파이프라인

최초의 인간 대상 1상 연구



적응증 난소암, 중피종, 담관암

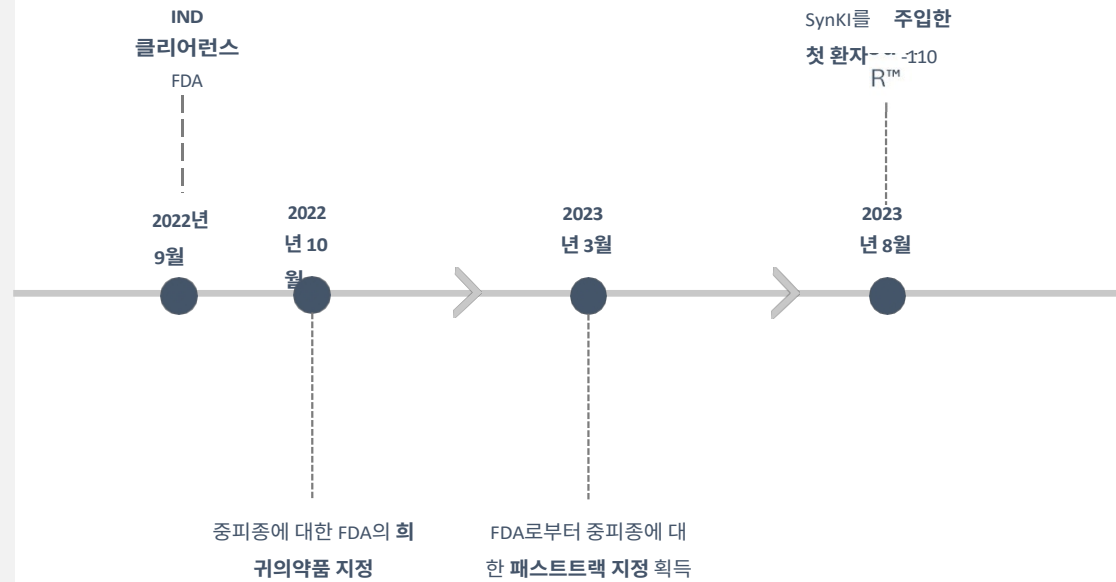


미국 4개 주요 병원에서 연구 진행 중
펜실베이니아, MD 앤더슨, 위스콘신, 캔자스 대학교



1차 평가지표: 안전 G 타당성

미국에서 다중 사이트 연구 진행 중 NCT05568680



SynKI R™ 새로운 결합체(CD19)를 통합한 -310: 재발성 또는 불응성 B-NHL C CAR 후 환자

최초의 인간 대상 1상 연구

2024년 5월 IND 승인



적응증: 재발성/불응성 B세포 비호지킨 림프종(CAR 음성 또는 CAR 치료 후 재발한 경우)



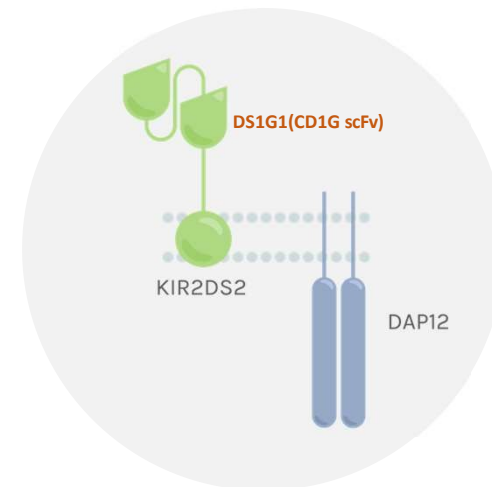
- 용량 에스컬레이션(2개 코호트)
- 용량 확장(1 코호트)



1차 평가변수: 안전성 C 권장 2상 용량(RP2D) 결정

미국에서 진행 중인 연구 [NCT06544265](#)

SynKI R™-310 건설

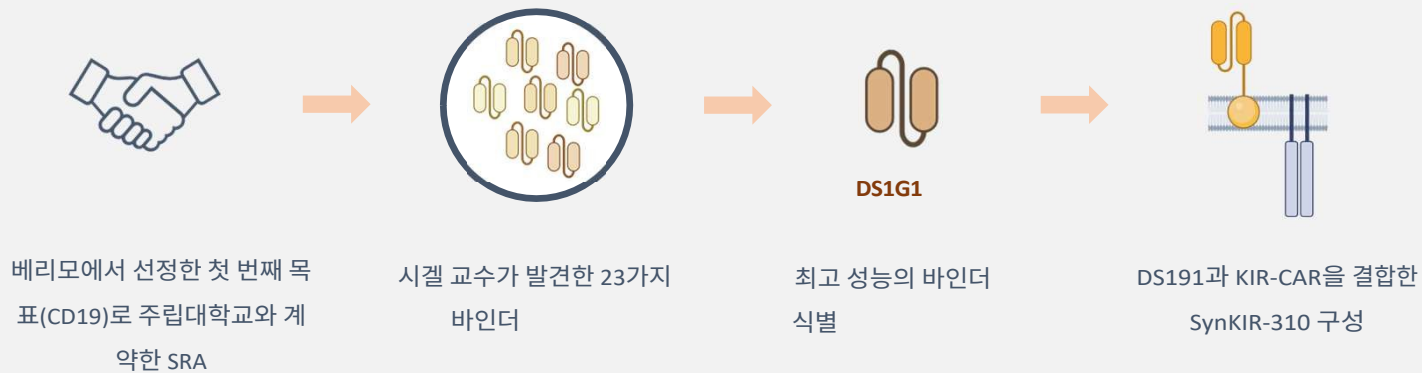


- 도널드 시겔(공동 설립자)이 펜실베이니아 대학교와의 후원 연구 계약에 따라 개발한 **새롭고 독점적인 CD1G 바인더(DS1G1)**를 개발했습니다.

가장 유망한 표적과 적응증을 추구할 수 있는 유연성을 제공하는 결합체 발견을 위한 Penn 후원 연구 계약 - 4년, 530만 달러 규모의 프로젝트

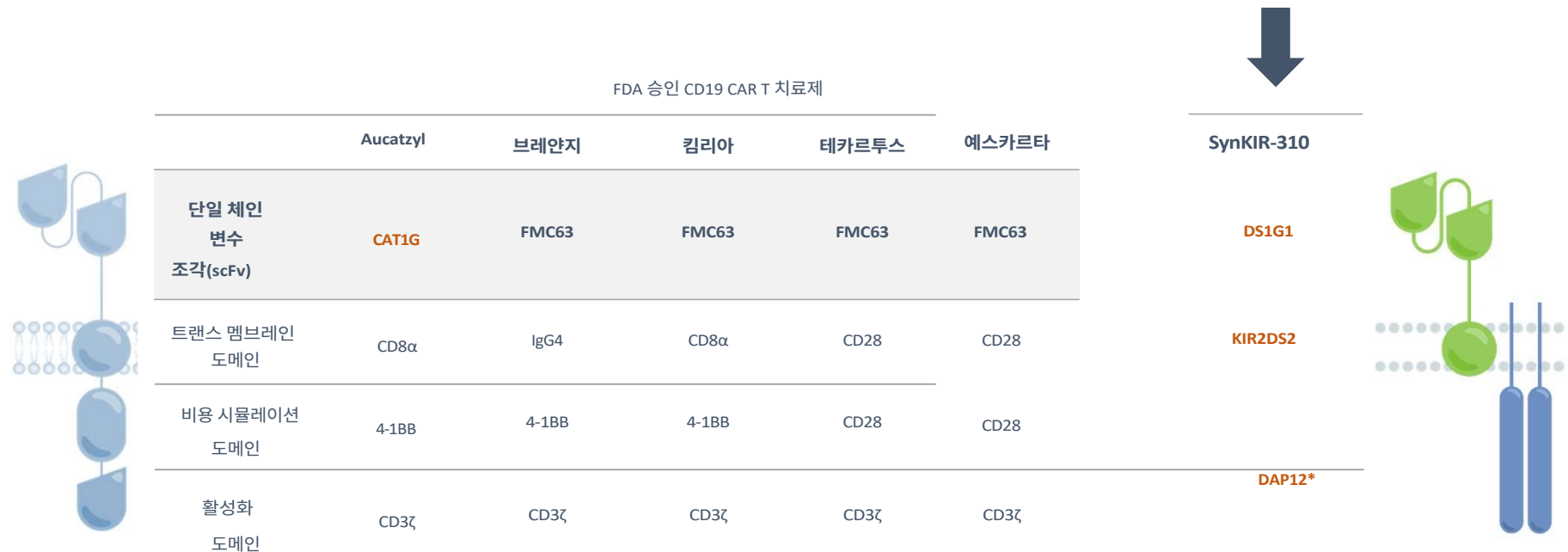
- 돈 시겔 교수(공동 설립자)는 최첨단 파지 디스플레이 기술을 이용한 결합체 발견 분야의 선도적인 전문가입니다.
- 마이클 밀론 교수는 CAR T 후보물질의 전임상 최적화를 주도하고 있습니다.

CD1G 바인더 디스커버리(DS1G1)



- 베리모는 바인더에 대한 독점적 권리를 보유하고 있습니다.
- CD19는 B세포 매개 질환에서 광범위하게 발현되며, CD19 결합체의 잠재적 아웃라이센싱을 위한 논의가 진행 중입니다.

SynKi RTM-310의 새로운 구조는 CD1G 이후 CAR T 재발성 B세포 악성종양에 대한 유망한 후보로 자리매김하고 있습니다.



- 대부분의 FDA 승인 및 임상시험 중인 CD19 CAR T 치료제는 FMC63 scFv에서 결합체를 추출합니다.
- DS1G1 바인더의 통합은 CD1G 항원의 다른 에피토프를 표적으로 하여 FMC63 기반 CAR T 치료 후 항원 탈출을 경험하는 환자에게 효과적인 치료 전략이 될 수 있습니다.
- DS191과 KIR-CAR 구조의 결합을 통해 SynKIR-310은 CAR 이후 재발한 B-NHL 환자들 사이에서 보다 지속적인 반응을 얻을 수 있는 잠재력을 가지고 있습니다.

SynKI의 임상 개발을 가속화하기 위해 IFLI로부터 전략적 파트너십 G 투자를 진행 중입니다. 여포성 림프종에서 -310 R™

전략적 파트너십과 투자는 SynKI
결할 수 있는 잠재력을 인정한 것입니다.

R -310의 항암화학요법 후 재발한 여포성 림프종 환자들의 미충족 의료 수요를 해
R™

- 여포성 림프종은 B-NHL의 두 번째로 큰 아형입니다.
- IFLI는 전임상 및 임상 RCD를 통해 여포성 림프종 환자들의 삶을 개선한다는 사명을 가지고 설립되었습니다.
- IFLI는 과거에 연구, 데이터 통합 및 협업을 지원하기 위한 보조금을 제공하여 FL 생물학에 대한 이해를 심화시키고 FL 환자를 위한 치료 환경을 변화시켰습니다.



- 최대 405만 달러의 주식 투자 유치
- FL 연구 및 치료에 대한 깊은 전문성을 갖춘 임상 현장, PI, KOL 및 옹호 그룹으로 구성된 광범위한 네트워크



- FL에 초점을 맞춘 임상 사이트를 추가하여 임상 개발을, 더 광범위한 FL 전문가 팀을 통해 FL 환자 등록을 늘립니다.

리더십



공동 창립자

브라이언 김, DMD CEO/사

장

- 전 TCB 벤처스 CEO
- 전 부사장, Inovio, VGXI, VGXI, Inc CEO(CMO)
- VGX Inter(코스피:011000) 및 VGXI 설립자
- 이노비오 파마슈티컬스(NASDAQ:INO)의 스타트업 회원사
- 임상 부교수, 펜실베이니아 대학교
- 포브스 2010, 포춘 2011 올해의 CEO 수상자



Laura A. Johnson PhD

COO/CSO

- 전 듀크대학교 뇌종양 면역치료센터(BTIP) 공동 설립자
- 칼 준 전 펜실베이니아대 세포 면역 치료 센터(CCI) 소장, 칼 준과 함께
- 전 중개 연구(전임상 및 임상 개발) 수석 이사, GSK
- 2012년 NIH 뉴 이노베이터 어워드 수상자



진 김, MBA CFO

- 전 CFO/CSO - 아프리카TV
- 전 CFO - 위메이드
- 전 CEO - 이노비오 아시아
- 이노비오 파마슈티컬스(NASDAQ:INO)의 스타트업 회원사
- IPO, MCA, 사모/블록 트레이딩, 투자자 관계 전반에 걸친 폭넓은 경험

과학 공동 창립자 G 과학 자문 위원회



공동 창립자

마이클 C. 밀론, MD, PhD

- 병리학 및 진단검사의학 부교수
펜실베이니아 대학교 병원에서
- 페렐만 의과대학 독성학 연구소 부소장, 부
국장
- 킴리아의 공동 발명가

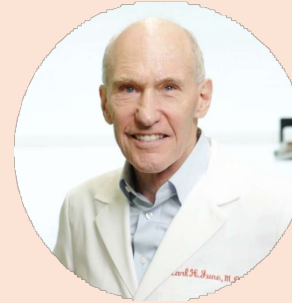
h™



공동 창립자

Donald L. Siegel, MD, PhD

- 펜실베이니아 대학교 병원 병리학 및 진
단검사의학과 교수
- 수혈 의학 및 치료 병리학 부문 책임자, 이사
- 임상 세포 및 백신 생산 시설 책임자, 이사
- 첨단 세포 치료 센터, 펜실베이니아 대학교 페렐만
의과 대학



창립 고문

Carl H. June, MD

- 리처드 W. 배그 면역치료학 교수
- 세포 면역 치료 센터 책임자
- 에이브람슨 암 센터, 중개 연구 책임자
- 페렐만 의과대학 파커 암 면역 치료 연구소 소장
- 킴리아의 공동 발명가

h™



과학 자문

스티븐 M. 알벨다, MD

- 윌리엄 M. 미시 의과대학 교수, 호흡기 및 중환자 치료
- 프로그램 공동 책임자, 에이브람슨 암 센터 폐암 우수성 중
개 센터
- 페렐만 의과대학 흉부 종양학 연구소 소장



Info@VerismoTherapeutics.com

+1 (215) 989-4840

3675 마켓 스트리트, 스위트 200

필라델피아, PA, 19104

