

HELIX**MITH**

Global leader in gene therapy

Helixmith



Sep. 2025

Disclaimer

본 자료는 기관투자자와 일반투자자들을 대상으로 실시되는 당사의 IR presentation을 통한 정보제공을 목적으로 주식회사 헬릭스미스(이하 "회사")에 의해 작성되었으며 이의 반출, 복사 또는 타인에 대한 재배포는 금지됨을 알려드리는 바입니다. 본 자료의 소지는 위와 같은 제한 사항의 준수에 대한 동의로 간주될 것이며 제한 사항에 대한 위반은 증권거래 법률에 대한 위반에 해당될 수 있음을 유념해주시기 바랍니다.

본 자료에 포함된 회사의 경영실적 및 재무성과와 관련된 모든 정보는 기업회계기준에 따라 작성되었습니다. 본 자료에 포함된 "예측정보"는 개별 확인 절차를 거치지 않은 정보들입니다. 이는 과거가 아닌 미래의 사건과 관계된 사항으로 회사의 향후 예상되는 사업전략, 경영사항 및 추정실적을 의미하고, 표현상으로는 '예상', '전망', '계획', '기대' 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 presentation 실시일 현재를 기준으로 작성된 것이며 향후 시장환경 및 회사의 경영전략의 변화와 전략수정 등에 따라 변경될 수 있으며, 별도의 고지 없이 변경될 수 있음을 양지하시기 바랍니다.

본 자료의 활용으로 인해 발생하는 손실에 대하여 회사 및 각 계열사, 자문역 또는 representative들은 그 어떠한 책임도 부담하지 않음을 알려드립니다(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

1. 기업 개황
 2. 신약개발 파이프라인
 3. R&D 현황
 4. 기타 및 재무 현황
-

1. 기업 개황

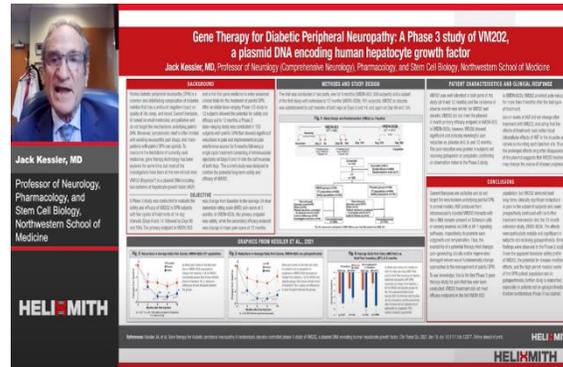
“글로벌 시장 Unmet Medical Needs 해소를 위한 혁신 세포유전자치료제 개발 기업”

● 기업 정보

상호명	(주)헬릭스미스 (Helixmith Co, Ltd)
설립일	1996. 11. 21 (서울대 학내벤처)
상장일	2005. 12. 29 (코스닥, 기술특례)
소재지	서울 강서구 마곡중앙8로 7길 21
대표이사	장승선
업종	바이오/천연물 신약개발, 연구용역 서비스 등
임직원 수	44 명 (2025 2Q 기준)
최대주주	(주)바이오솔루션 (코스닥 상장, 지분 18.23%)
자본금	230억 원

● 주요 특징

- ✓ 후보물질 단계부터 글로벌 임상 3상까지 직접 경험 (통증 분야 유전자치료제 최초 임상 3상)
- ✓ 28년간 유전자치료제 개발에 집중하며 pDNA, AAV, CAR-T 등 다양한 전달체(플랫폼) 임상 연구 및 비임상 개발 노하우 확보
- ✓ 용도, 물질, 제형, 상표 등 전분야에 걸친 국내외 특허 다수 확보 (2025.03 기준 133건)
- ✓ US FDA로부터 RMAT, Orphan Drug(희귀의약품) 지정, 네이처 바이오테크놀로지 주목할 만한 임상결과 선정 등 난치성 질환에 대한 혁신 신약 개발로 업계 및 학계 높은 주목도



2. 신약개발 파이프라인

바이오 의약품



	적응증	개발 단계				BLA
		전임상	임상 1상	임상 2상	임상 3상	
pDNA	VM202 (엔젠시스)	중증하지허혈(CLI) - 중국				● (中파트너사, 진행중)
		중증하지허혈(CLI) - 미국		● (완료)		
		근위축성 측삭경화증(ALS, 루게릭병) - 한국, 미국		● (완료)		
		샤르코-마리-투스병(CMT) - 한국		● (완료)		
항체	VM507	신장질환	● (진행중)			
CAR-T	CX801	대장암	● (진행중)			
	CX804	난소암	● (진행중)			

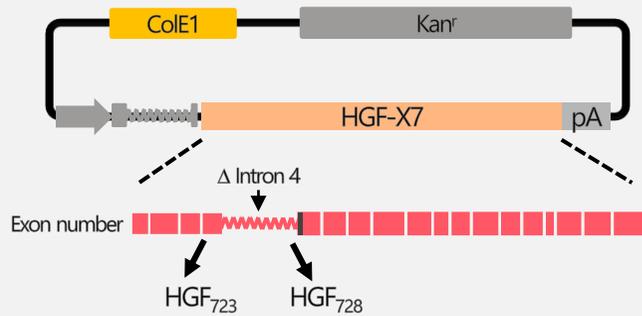
*주요 파이프라인에 대해 기재하였으며, 변경/추가될 수 있음

건강 기능 식품



	적응증	개발 단계		개별인정 획득
		전임상	임상시험	
식물성 소재	PG102	면역과민반응 개선		● (완료)
	HX106	기억력 개선		● (완료)
	HX107	혈당 개선		● (완료)

● 엔젠시스(VM202) : *2개의 HGF 유전자가 동시에 발현되도록 설계된 *플라스미드 DNA

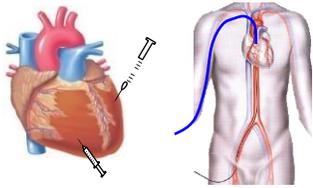


동결건조

* HGF(간세포성장인자): 초대배양 간세포에 대한 증식촉진인자. 간, 신장, 폐 등의 재생을 촉진하는 기관재생인자로 기능함.
 * 플라스미드 DNA: 유전 정보를 갖고 있는 작은 고리 모양의 DNA. 염색체 DNA와 독립적으로 존재함.

● 주사 방법 : 질환에 따라 적절한 타겟 부위에 근육주사

[심장]

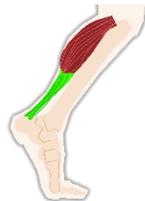


직접 주사

카테터

심장질환

[종아리, 다리]



CKD/DFU

[손 또는 발]



CMT, ALS

제품 특징

- ✓ 2개 이형체 동시 발현
: HGF723 + HGF728
- ✓ 우수한 발현 효율
- ✓ 완제 제형 개발 (동결 건조)

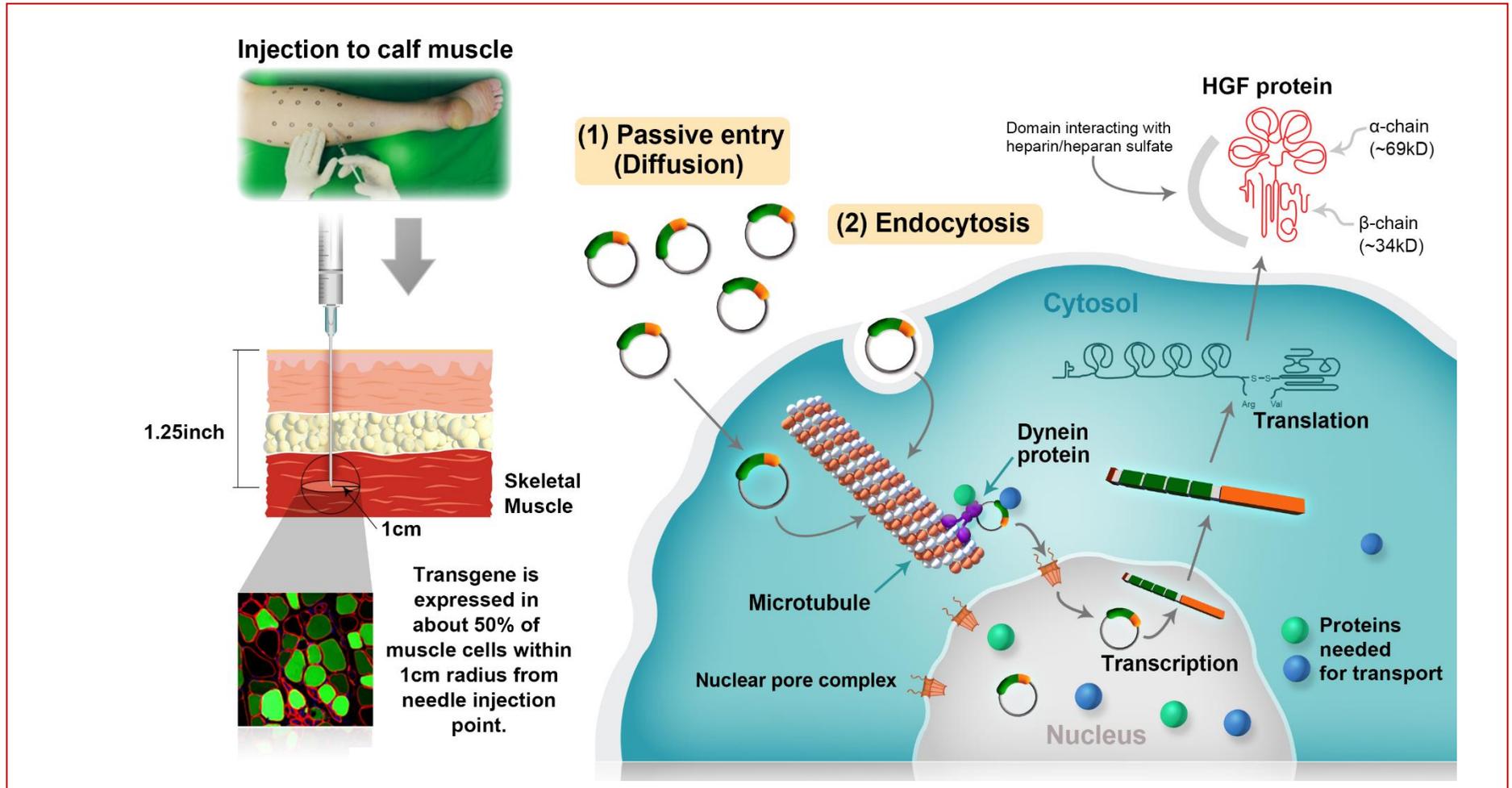
작용 원리

- ✓ 혈관 생성 촉진
- ✓ 통증 유발 인자 조절
- ✓ 근육재생 및 퇴행인자 조절

임상적 효과

- ✓ 손상된 말초신경 재생
- ✓ 미세혈관 재구축
- ✓ 통증 감소
- ✓ 근육퇴행 개선

● 엔젠시스(VM202) - 근육 세포에서의 HGF 발현 과정



허혈성 질환 대상 유효성 확인_엔젠시스(VM202) 미국 CLI 2상

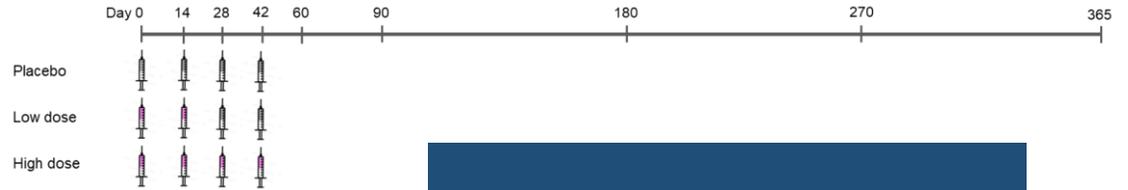


- 대상 환자: 중증하지허혈 (Rutherford class 4-5)
- 시험군: 위약, VM202 Low dose, VM202 High dose
- 투여 경로: 근육 주사
- 투여 일정

-위약: 위약을 0, 14, 28, 42일에 투여

-VM202 Low dose: VM202 4mg을 0, 14에 투여. 28일과 42일에는 위약을 투여

-VM202 High dose: VM202 4mg을 0, 14, 28, 42일에 투여



글로벌 임상 재추진 검토
(미국, 유럽, 중동,
남미, 일본, 오세아니아 등)

방문 일자 별 궤양 완치율 (완치된 궤양 개수 / 전체 궤양 개수)

	Placebo	Low dose	High dose
Day 0	0/4 (0%)	0/13 (0%)	0/8 (0%)
Day 14	0/4 (0%)	1/13 (7.7%)	3/8 (37.5%)
Day 28	0/2 (0%)	1/13 (7.7%)	4/8 (50.0%)
Day 42	0/2 (0%)	2/12 (16.7%)	4/8 (50.0%)
Day 49	0/2 (0%)	2/12 (16.7%)	4/8 (50.0%)
Day 90	0/2 (0%)	4/11 (36.4%)	4/7 (57.1%)
Day 180	0/1 (0%)	8/11 (72.7%)	4/6 (66.7%)
Day 270	0/0 (N/A)	7/9 (77.8%)	3/5 (60.0%)
Day 365	0/0 (N/A)	5/8 (62.5%)	3/5 (60.0%)

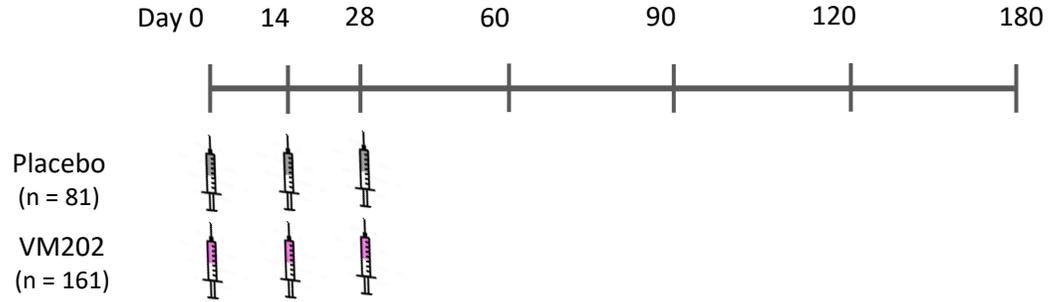
Treatment Emergent Adverse Events (TEAEs) in >10% subjects

System Organ Class, n (%)	Placebo (N = 11)	Engensis low dose (N = 21)	Engensis high dose (N = 20)
At least one TEAE	10 (90.9)	21 (100.0)	18 (90.0)
Infection and infestations	6 (54.5)	8 (38.1)	10 (50.0)
Gastrointestinal disorders	7 (63.6)	9 (42.9)	7 (35.0)
General disorders and administration site conditions	5 (45.5)	12 (57.1)	6 (30.0)
Musculoskeletal and connective tissue disorders	4 (36.4)	9 (42.9)	8 (40.0)
Vascular disorders	4 (36.4)	9 (42.9)	7 (35.0)
Metabolism and nutritional disorders	5 (45.5)	5 (23.8)	6 (30.0)
Skin and subcutaneous tissue disorders	5 (45.5)	8 (38.1)	3 (15.0)
Injury, poisoning and procedural complications	4 (36.4)	8 (38.1)	3 (15.0)
Nervous system disorders	3 (27.3)	1 (4.8)	7 (35.0)
Renal and urinary disorders	2 (18.2)	7 (33.3)	2 (10.0)
Respiratory, thoracic and mediastinal disorders	0	6 (28.6)	5 (25.0)
Psychiatric disorders	1 (9.1)	4 (19.0)	5 (25.0)
Blood and lymphatic system disorders	3 (27.3)	5 (23.8)	1 (5.0)
Cardiac disorders	2 (18.2)	3 (14.3)	4 (20.0)

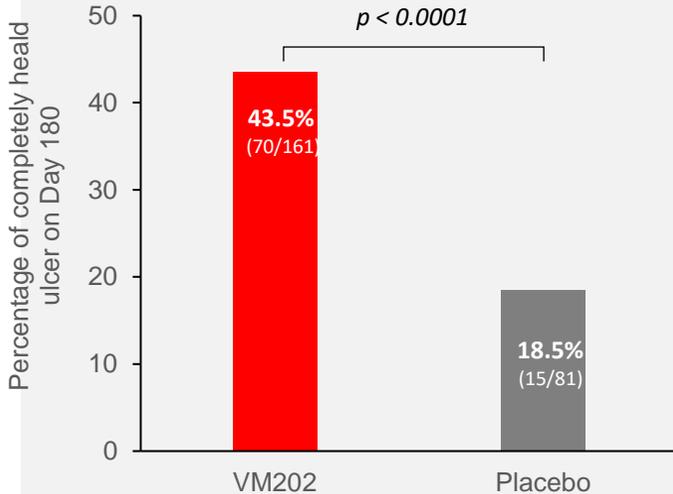
중국 노스랜드바이오텍 임상 3상 결과_엔젠시스(VM202) 기술이전



- 대상 환자: 중증하지허혈 (Rutherford class 5)
- 시험군: VM202 (161명) vs 위약 (81명)
- 투여 경로: 근육 주사
- 투여 일정: VM202 8mg을 0일, 14일, 28일에 투여



180일째 궤양이 완치된 비율



임상시험에서 관찰된 부작용 요약

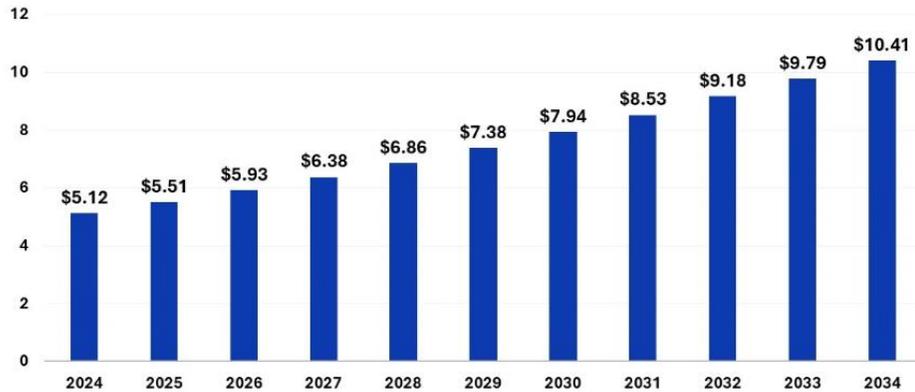
Number of subject n (%)	VM202 (n = 161)	Placebo (n = 81)	Total (N = 242)
TEAE	98 (60.9)	58 (71.6)	156 (64.5)
TEAE Leading to death	0 (0)	3 (3.7)	3 (1.2)
TEAE Leading to drop-out	7 (4.3)	9 (11.1)	16 (6.6)
SAE	28 (17.4)	24 (29.6)	52 (21.5)
SAE Related to drugs	0 (0)	0 (0)	0 (0)
ADR	9 (5.6)	8 (9.9)	17 (7.0)

TEAE: Treatment-Emergent Adverse Event; SAE: Serious Adverse Event; ADR: Adverse Drug Reaction

중국 노스랜드바이오텍 임상 3상 결과_韓 세포유전자치료제의 中 최초 상용화 **HELIXMITH**

중국 현지 시판 후 7년간 헬릭스미스 로열티 발생

- *총 매출의 4% 또는 순 매출의 7% 중 높은 액수를 로열티로 수령
- *노스랜드바이오텍과 헬릭스미스는 2004년부터 기술이전 및 공동개발 계약(2019년 갱신)하여 협업 관계
- *노스랜드는 2020년 베이징증권거래소 상장, 현재 시총 한화 약 1.3조 형성
- *중국 내 CLI 환자 600만 명 이상 / 2020년부터 연간 10만 여 명 투약 가능한 GMP 생산시설 건립 중
- *2024년 7월 NDA 신청, 2025년 연내 품목허가 기대



▲ 중증하지허혈(CLI) 글로벌 시장 규모, Precedence Research (단위: 10억 달러)



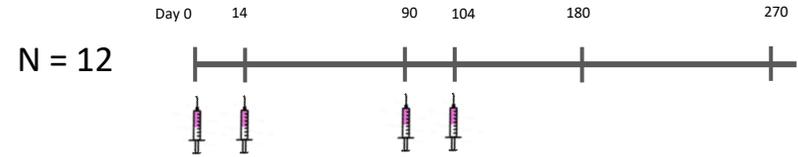
▲ 노스랜드바이오텍 NL003 생산 시설(2025년 하반기 준공 예정)

3. R&D 현황

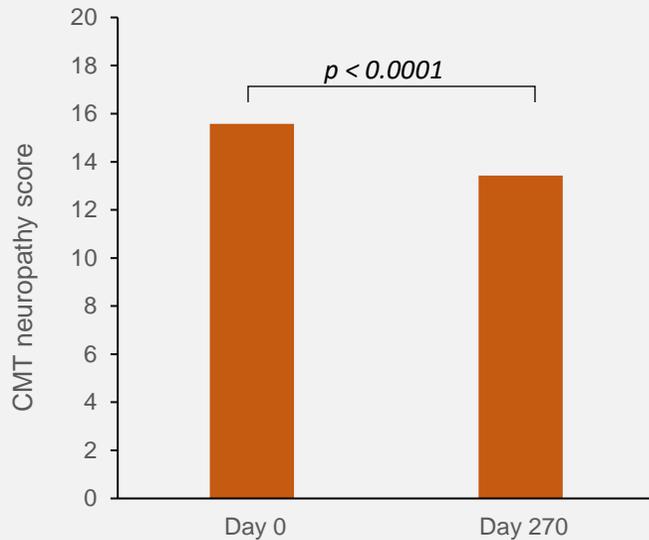
VM202_pDNA 유전자치료제 – CMT 타겟



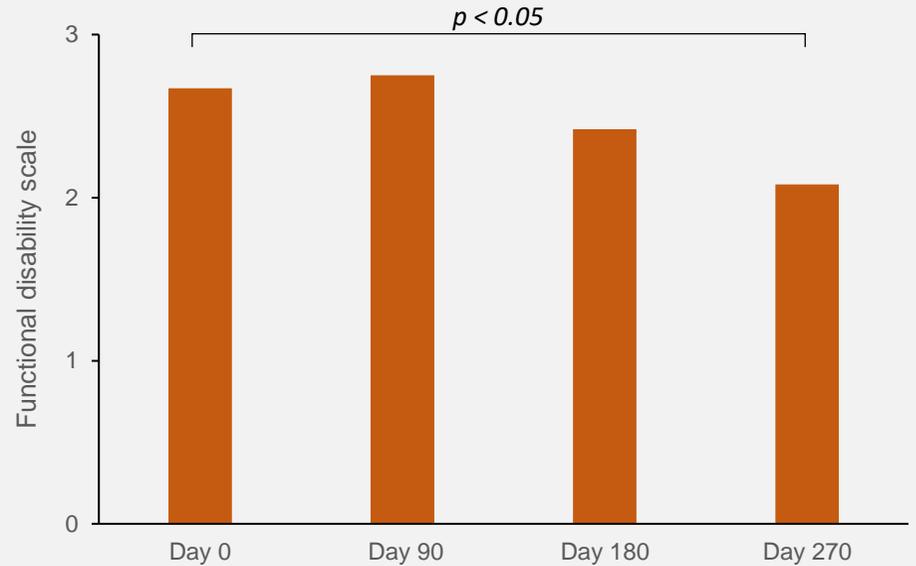
- 대상 환자: 샤르코-마리-투스, 1A형
- 시험군: VM202 (12명)
- 투여 경로: 근육 주사
- 투여 일정: VM202 14 mg을 0일, 14일, 90일, 104일에 투여

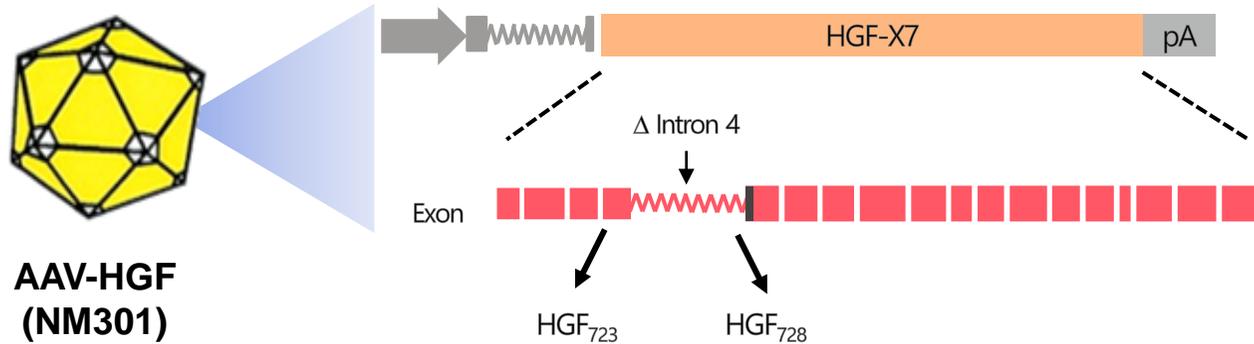


CMT Neuropathy Score version 2



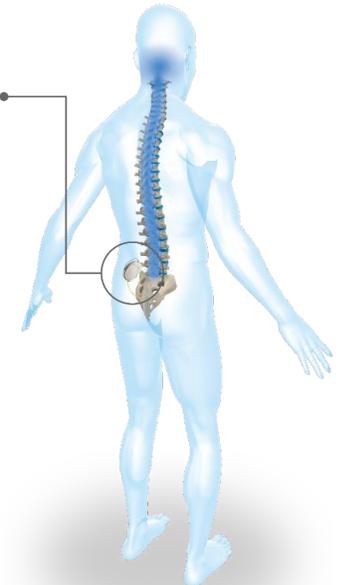
Functional Disability Scale



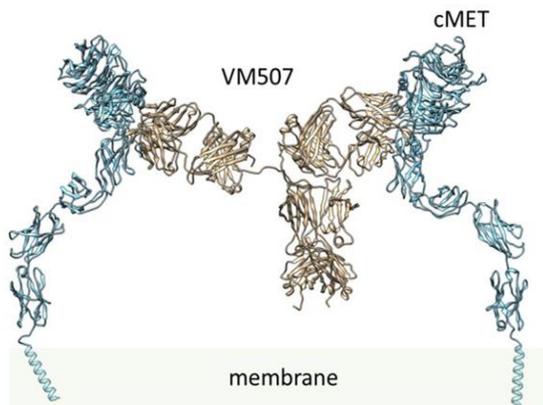


- 치료유전자: HGF-X7 (HGF₇₂₃과 HGF₇₂₈ 두 개 이형체를 동시에 발현)
- AAV 혈청형, 9번: 신경 세포로 전달 효율이 높음
- 투여 경로: 척수강 투여 (중추신경계에 직접 전달)
- 비임상 개발 단계
- 신약개발사업단 정부과제 수주

Intrathecal
Targeted delivery of the drug directly into the cerebral spinal fluid.



Model of VM507 and c-Met binding



작용기전 :	c-Met에 결합하여 활성화 신호를 생성
항체 종류 :	완전 인간화 항체, IgG1, κ light chain
cMet에 대한 결합력 :	<ul style="list-style-type: none"> • $2.98 \times 10^{-10} K_d$ to human cMet-Fc • $6.15 \times 10^{-10} K_d$ to mouse cMet-Fc
종간 반응성 :	Mouse, rat, rabbit, dog, cat
에피토프(epitope) :	Conformational ($_{301}\text{TEKRKKR}_{307} + _{590}\text{FRRNNK}_{595}$)
약동학 (생쥐 모델) :	<ul style="list-style-type: none"> • $t_{1/2}$ (ELISA): 37-93 h (serum)
안정성 :	<ul style="list-style-type: none"> • Thermostability: T_m 59.6°C

타겟

- 항원: L1CAM (L1 Cell Adhesion Molecule)
- 대상질환: 재발성 난소암 (Recurrent ovarian cancer)

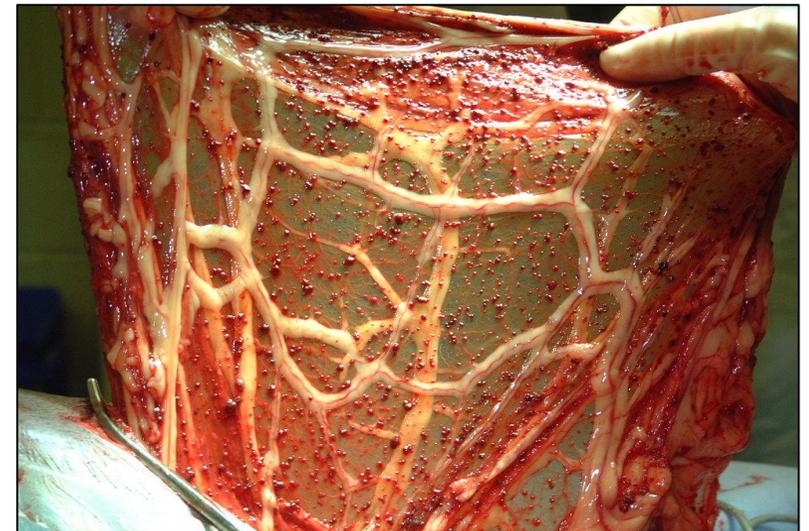
시장 현황 (난소암)

- 대표적 여성 암, 사망원인 5위
- 초기 진단 시 수술 가능하지만, 말기에는 치료 옵션이 부재
- 전통적 화학요법만이 옵션, 최근 PARP 저해제 개발 중
- CAR-T 치료가 거의 유일한 옵션이 되는 환자의 숫자:
 - 미국 기준 타겟 환자 연 ~3,500명
 - 미국/유럽/일본 연 ~13,500명
- 선진국 매출 가능 금액: 6.7조원 (가격 5억원 기준)



직접 투여 전략으로 CAR-T의 치료 효과 극대화

- 복막 전이, 모래알 같은 small mass
- 복막 투여 전략 가능
- 치료제가 잘 들을 수 있는 암 환경



4. 기타 및 재무 현황

요약 재무정보(2025.2Q 기준)

● 요약 연결 재무정보

(단위: 백만원)

구분	FY2023	FY2024	FY2025(2Q)
유동자산	147,730	80,370	84,669
비유동자산	79,548	68,519	60,915
자산총계	227,279	148,889	145,584
유동부채	71,599	6,435	5,293
비유동부채	1,958	416	799
부채총계	73,557	6,851	6,093
자본금	24,531	23,046	23,046
자본잉여금	630,420	601,376	601,376
이익잉여금(결손금)	(461,452)	(476,900)	(479,191)
자본총계	153,721	142,037	145,584
매출액	4,201	4,973	1,543
판매비와관리비	37,367	20,835	5,379
영업이익	(35,245)	(35,245)	(4,858)
당기순이익	(64,088)	(15,471)	(2,305)

*현금및현금성자산 약 800억

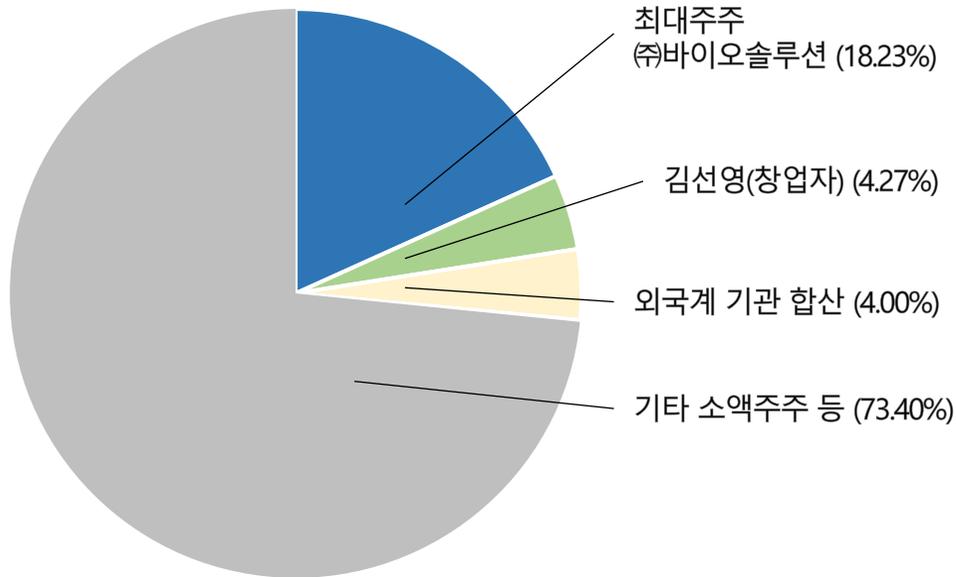
*'23->'24
 -세종메디칼 9CB 등 기존 카나리아바이오엠과의 관계 청산
 -건물 담보 장기차입금 상환

*주된 매출은 건강기능식품 원료 및 제품에서 발생
 (그 외 일부 연구용역 분야)

*구조조정 및 비용감축으로
 당기순손실 규모 연간 500~600억->150억 대로 축소
 (2025년 반기말 현재 23억)

지분 현황(2025.2Q 기준)

● 2023년 말 경영권 양수도로 소액주주 등 분쟁 정리 및 과거 최대주주와의 사법 리스크 청산 완료



발행주식총수 46,092,797주
(회사보유 자기주식 45,909주 포함)

2023년 12월말 3자배정 유상증자(신주 7,467,405주 발행)로
최대주주 지위 확보
(주당 4,898원)

2024년 2월 추가 3자배정 유상증자(신주 936,066주 발행) 참여
(주당 3,610원)

▶ 약 400억 원의 지분 투자