



• 이름 : 원미선
• 소속 : 유전체맞춤의료연구단
• 연구분야 : 암생물학

CYB5R3 유전자를 유효성분으로 하는 암 타겟 신규 유전자 치료제

기술개요

- 본 기술은 CYB5R3 (cytochrome b5 Reductase 5; cyb5R3) 유전자 또는 상기 유전자를 포함하는 벡터를 포함하는 암 치료용 기술이다.
- CYB5R3 발현이 감소되어 있는 암세포에 과다 발현하였을 때 암억제자(tumor suppressor)의 역할로 암세포의 성장을 효과적으로 억제하므로 유전자 치료용 조성물로 적용이 가능하다.

기존기술 대비 개선점

- 암대사/지방대사 조절 및 종양미세환경 조절로 우수한 항종양 효능 있음
- 폐암, 대장암, 위암, 췌장암 등 다양한 암에서 항종양 효능이 있음
- 발현량 적은 암조직에 CYB5R3를 과발현하여 미비한 부작용을 예측함
- 약물 내성, 방사선치료 내성을 극복하는 효능을 기대함

신규 암 표적 유전자 치료제

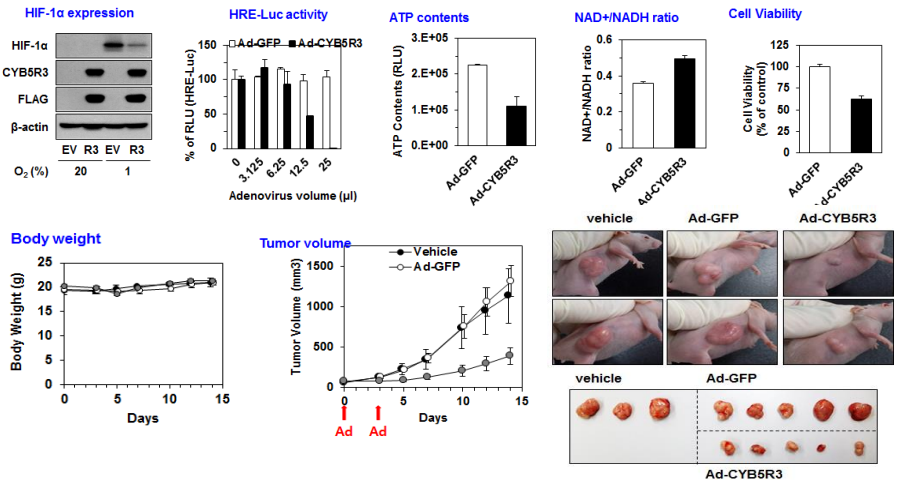
• 암/지방대사 조절
• 종양미세환경 조절

CYB5R3 발현양 적은 다양한 암 타겟

약물내성 극복, 방사선치료내성 극복

구현방법 및 대표도면

- HIF-1 α 발현 저해, ATP 생성 감소, NAD/NADH 증가, 및 세포증식 저해 활성
- glucose sensitivity 증가 및 미토콘드리아 호흡 억제로 암대사 조절
- Ad-CYB5R3를 사용한 대장암/폐암 모델에서 80%의 항종양 효능



시장규모

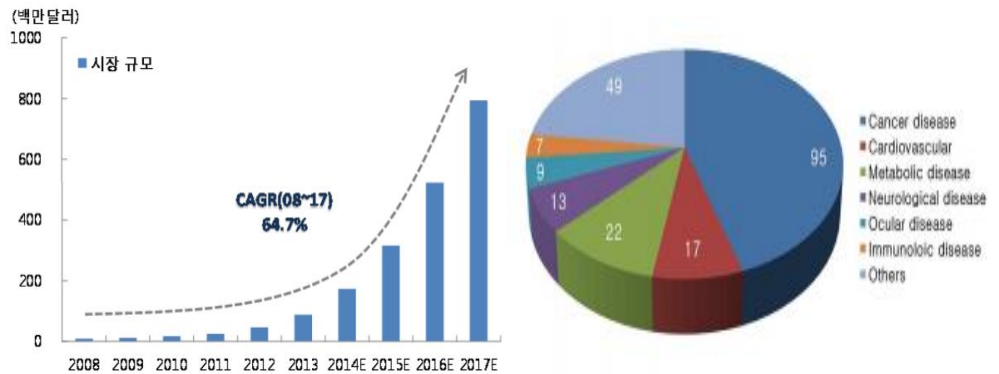
- 세계 유전자 치료제 시장 : 2017년 기준 7.8억 달러

기술동향

- 유전자치료제는 초기단계로 희귀·유전 질환이나 기존 치료법에 대한 미충족수요 (unmet needs)가 높은 퇴행성·난치성 질환 대상으로 활발한 연구가 진행됨
- 항암 유전자치료제는 환자 수요가 크고 아직까지 시판된 제품이 없으므로 치열한 연구 개발 경쟁이 이루어짐
- 임상실험 중인 65%가 난치성 암환자를 대상, 임상3상 단계에 방광암, 췌장암, 전립선암, 급성 백혈병 치료제임
- 암 치료를 위한 유전자치료제는 주로 oncolytic virus 개발 및 기존의 잘 알려진 유전자를 과발현하는 시스템을 사용하고 있음

시장동향

- 유전자치료제는 승인된 제품이 제한적이나 세계 시장 규모는 2015년 2.8억 달러에서 2020년 20억 달러까지 65% 이상 급속도로 성장할 것으로 전망함
- 현재까지 전 세계적으로 7개의 치료제가 품목허가를 취득하였으며, 전 세계적으로 578건의 유전자치료제 임상연구가 진행 중임
- 세계적으로 임상 3상이 허가된 연구는 25건에 이르며, 이중 4건은 국내 기업으로 글로벌 경쟁력을 갖추어 나가고 있음



자료: 생명공학정책연구센터, 교보증권 리서치센터

자료: www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed

유전자치료제 시장 전망

유전자치료제 연구개발 현황
(질환별/2014-2015년)

기술완성도



지적재산권 현황

No	특허명	특허출원번호/ 등록번호
1	cyb5R3 유전자 또는 단백질을 유효성분으로 포함하는 암 예방 및 치료용 약학적 조성물	10-2013-0117527 (출원) 10-1540319-0000 (등록)
2	Pharmacological composition containing a cyb5R3 protein or a polynucleotide encoding cyb5R3 for the prevention and treatment of cancer	15/087,563 (미국 출원) 201480064255.2 (중국출원) 14851311.2 (유럽출원)

