

# 48

## IGF-1 유전자 돌연변이 왜소증 동물모델 및 그 제조방법



### ▶ 기술 개요

- 라론 증후군 치료제 의 유효성 및 안전성을 평가할 수 있는 IGF-1 유전자 돌연변이 왜소증 동물모델 및 그 제조방법
- IGF-1 유전자를 암호화하는 gDNA, Cas9 단백질을 암호화하는 뉴클레오티드와 프로모터를 연결하여 재조합 발현벡터를 만들
- CRISPR/Cas9 시스템을 활용한 IGF-1 특이적 유전자기위를 이용하여 IGF-1 유전자를 녹아웃 시키고, 형질전환 체세포 복제 기법의 적용에 의해 왜소증 즉, 라론 증후군에서 나타나는 다양한 표현형을 갖는 형질전환 동물을 생산함
- 재조합 발현벡터는 오프-타겟 문제 없이, 체세포 복제에 의한 형질전환 동물모델의 생산과정에서, 공여세포주의 IGF-1 유전자만을 특이적으로 녹아웃 시킬 수 있음

#### 기존 기술

- 유전질환의 약물치료나 기전연구를 위한 질병모델로 사용되는 설치류는 사람에서 관찰되는 병리양상과 증상이 많은 차이를 보임
- 라론 증후군의 증상을 모두 발현하는 모델 동물이 아직까지 확립되지 않음

#### 기술 우위성

- 본 발명의 IGF-1 유전자 돌연변이 왜소증 동물모델은 출생 직후 사망하는 문제가 개선됨
- 라론 증후군 환자들에서 보이는 대다수의 표현형이 관찰되며, 성격유전자의 감소된 발현을 나타냄

### ▶ 세부 내용

- 생후 56일령의 IGF-1 녹아웃(KO) 형질전환 미니돼지와 정상(WT) 미니돼지를 비교함



### ▶ 연구자 정보

김선욱 박사  
한국생명공학연구원

### ▶ 적용처

- 왜소증 관련 질환 모델
- 애완용 미니돼지
- 이종장기이식용
- 인공혈액 개발용

#### 특허 원문 보기



IGF-1 유전자 돌연변이 왜소증 동물모델 및 그 제조방법  
(10-2019-0132552)

### ▶ 특화분야

- 농생명융합

### ▶ 문의처

#### 기술정보문의

- 소 속 : 한국생명공학연구원 미래형동물자원센터
- 담당자 : 김선욱 박사
- 연락처 : 043-240-6321
- 이메일 : sunuk@kribb.re.kr

#### 지원사업문의

- 소 속 : (주)SYP
- 담당자 : 김선영 변리사
- 연락처 : 010-3487-4289
- 이메일 : sykim@sypip.com