

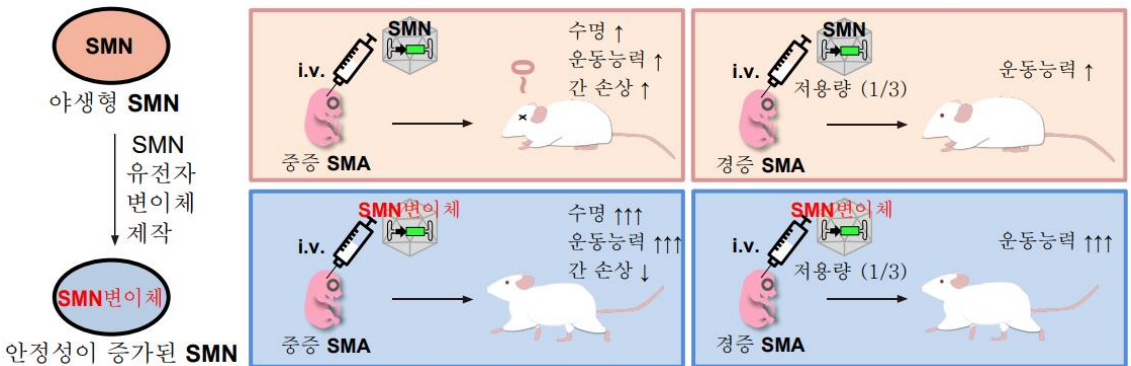
SMN 유전자 변이체를 이용한 척수성 근육 위축증 치료제

서울대학교 자연과학대학 공영운 교수

기술내용

- 본 기술은 아데노 연관 바이러스(AAV)를 이용하여 야생형 SMN을 전달하는 방식으로 SMA 환자를 치료하는 Zolgensma (Novartis) 대비 우수한 치료효과를 가진 개량형 SMA 치료제 기술
- Zolgensma로 치료한 환자들의 불충분한 치료로 연구개발이 필요

주요 도면 및 사진



[SMN 유전자 변이체를 이용한 SMA 치료 효과]

기술 개발 배경

- 기존 기술인 Zolgensma로 치료한 환자들의 불충분한 치료효과 및 투여 환자에게서 나타나는 과도한 바이러스 용량에 의한 부작용과 같은 문제점이 있음
- SMA가 SMN의 부족에 의해 나타나는 질병이므로, 과발현 시스템으로 이를 보충해주는 것이 좋은 접근이기는 하지만 SMA 환자가 이미 SMN의 부족에 의한 여러 병증을 나타내는 상태일 수 있으므로 더 개선된 방식의 치료법이 필요할 수 있음.
- 비슷한 예로, 혈액응고인자의 부족에 의해 발생하는 혈우병의 경우, 야생형의 혈액응고인자를 과발현 하는 것이 아니라 **기능성이 향상된 혈액응고인자**를 과발현 시키는 방식이 FDA 승인을 받았으며, 이 치료제의 경우 350만 달러 (약 47억원)의 최고가 치료제로 책정됨.

특장점(효과)

- 야생형 SMN 대비 안정성이 증가된 SMN 변이체를 이용하여 기존 Zolgensma 치료 효과와 비교하여 수명, 몸무게, 운동능력 및 간 기능장애의 개선 가능
- 적은 양의 바이러스로도 치료효과가 나타남
- 본 연구실에서는 **안정성이 증가된 SMN**을 선별하였으며, 이를 Zolgensma와 동일한 방식의 바이러스 시스템으로 과발현 시키는 방식을 도입할 경우 SMA 환자에 대한 치료효과가 더 증가할 것으로 예측하고 있으며, 시장에서의 가치도 높아질 것으로 예측하고 있음.

기술활용분야

신경 장애 예방 및 치료 분야

응용분야 및 적용제품	관련 업체
<ul style="list-style-type: none"> • 응용분야 - 뇌, 척수, 신경 장애질환 예방 및 치료 분야 • 적용제품 - SMA 질환 예방 및 치료용 약학 조성물 	<ul style="list-style-type: none"> • 의약품 제조 업체 • SMA 환자 치료제 개발 업체

기술개발단계



지식재산권 현황

No.	기술명	출원번호	등록번호	국가
1	인간 SMN1 단백질 변이체 및 이의 용도	10-2022-0057031	-	KR