

AI 기반 약물 표적 발굴

인공지능 활용 표적 식별 방법론

📅 2025년 7월 3일

박혜진, Ph.D.

AI 연구소/에이조스바이오

목차

1부

- 1

약물 표적 개요 1-5

정의, 중요성, 신약개발 과정
- 2

전통적 표적 발굴법 6-16

Phenotypic, CETSA, Chemical Genetics
- 3

Drug Target 데이터베이스 17-26

DrugBank, ChEMBL, 오픈스 데이터 통합

2부

- 4

AI 기반 방법론 27-35

GNN, 멀티모달 AI, 자연어처리
- 5

AI 성공 사례 36-46

AlphaFold, Insilico Medicine, BenevolentAI
- 5+

최신 LLM 연구 47-50

2025년 최신 LLM 활용 연구
- 6

결론 및 전망 51-52

핵심 교훈, 미래 발전 방향

3부

- 7

실습

Google Colab

수강 목표

✓ 전통적/AI 방법 통합 활용 능력

✓ 표적 검증 기준 수립 능력

1.1 Phenotype-based vs Target-based drug design 비교

Phenotype-based

표현형 기반으로 약물 효과를 먼저 발견하고, 후속적으로 표적을 발굴하는 접근법

대규모 스크리닝 → 효과 확인 → 표적 발굴

- ✓ Bottom-up 접근법 (효과 → 표적)
- + 장점: 생체 내 효과가 이미 검증됨
- 단점: 메커니즘 규명이 어려움

대표 사례: 아스피린 - 항염증 효과 발견 후 COX 억제 규명

Target-based

질병 관련 표적을 먼저 발굴하고, 해당 표적에 작용하는 약물을 개발하는 접근법

표적 발굴 → 약물 설계 → 효능 검증

- ✓ Top-down 접근법 (표적 → 효과)
- + 장점: 합리적 약물 설계 가능
- 단점: 생체 내 복잡성 간과 가능성

대표 사례: Gleevec - BCR-ABL 표적으로 CML 치료 성공

	Phenotype-based	Target-based
성공률	약 25%	약 50%
현대 활용도	30%	70% (주요 접근법)

출처: Nature Reviews Drug Discovery (2024), Drug Discovery Today (2023)

Phenotype-based vs Target-based 상세 비교

	Phenotype-based 표현형 기반 접근법	Target-based 표적 기반 접근법
접근 출발점	관찰 가능한 질병 표현형에서 출발 예: 세포 생존율 변화, 단백질 발현 변화	특정 분자 표적에서 출발 예: 단백질 구조, 유전자 변이
역사적 맥락	전통적 약물 발견의 주요 방법론 ~1990년대 이전 주류 방법론	인간 게놈 프로젝트 이후 발전 1990년대 이후 주류 방법론
검증 프로세스	효과 → 표적 규명 → 메커니즘 역방향 추적 (효과에서 표적으로)	표적 → 약물 개발 → 효과 확인 정방향 추적 (표적에서 효과로)
지식 요구사항	질병 메커니즘에 대한 사전 지식 불필요 경험적 접근 가능	분자 표적에 대한 상세 지식 필요 메커니즘 기반 접근
시간 및 비용	초기 발견 단계 빠름 표적 규명에 추가 시간 소요	초기 표적 발굴에 시간 소요 약물 최적화 과정 효율적

핵심 고려사항

현대 신약개발에서는 두 접근법의 **상호보완적 활용**이 중요하며, AI 기술은 두 방법론 간의 격차를 줄이고 효율성을 높이는 데 기여하고 있습니다.

Druggable vs Undruggable Target의 정의와 특성

i 핵심 정의

Druggability (약물성): 생체 표적이 약물에 의해 조절될 수 있는 잠재력으로, 약물 결합 포켓의 존재와 접근성, 물리화학적 특성에 기반함

✓ Druggable Target	
✂ 구조적 특성	<ul style="list-style-type: none">명확한 약물 결합 포켓구조적 안정성결합 부위 접근성 높음
🧪 물리화학적 특성	<ul style="list-style-type: none">친수성/소수성 균형결합에 적합한 정전기적 표면높은 결합 친화성
📌 대표 예시	<ul style="list-style-type: none">GPCR (수용체)Kinase (인산화효소)이온 채널, 효소류

✗ Undruggable Target	
✂ 구조적 특성	<ul style="list-style-type: none">뚜렷한 결합 포켓 부재평평한 단백질-단백질 상호작용 표면구조적 유연성 높음
🧪 물리화학적 특성	<ul style="list-style-type: none">소수성 불균형동적으로 변화하는 구조넓은 상호작용 표면
📌 대표 예시	<ul style="list-style-type: none">KRAS (G12D 변이)c-Myc (전사인자)내재적 무질서 단백질

💡 Druggability 패러다임의 변화

과거 'undruggable'로 간주되던 타겟들도 구조 기반 설계, 공유결합 약물, PROTAC 기술, AI 기반 접근법 등을 통해 점차 약물 타겟화가 가능해지고 있습니다.

출처: Hopkins, A.L. et al. Nature Reviews Drug Discovery, 2002
최종 업데이트: 2025.07.02

구조적/특성 비교 및 대표 사례

구조적 차이점

Druggable Target

- 명확한 결합 포켓 형성
- 구조적 안정성 및 고정된 형태

Undruggable Target

- 평평한 상호작용 표면
- 동적 구조로 결합 부위 변화

대표 사례 분석

타겟 유형	대표 사례	구조적 특징	성공/도전 사례
GPCR	베타 수용체	7개 막관통 도메인, 뚜렷한 결합 포켓	FDA 승인 약물의 ~35%가 표적
Kinase	EGFR, BTK	ATP 결합 부위, 명확한 소수성 포켓	Imatinib 등 다수 성공
KRAS	G12C, G12D	평평한 표면, 얇은 포켓 구조	Sotorasib(G12C), G12D는 도전적
c-Myc	전사인자	내재적 무질서 단백질, 고유 구조 없음	PROTAC 기술로만 접근 시도

💡 AI 기반 접근으로 Undruggable의 가능성

AI 구조 예측, 공유결합 억제제, PROTAC 기술로 KRAS G12C(AMG 510, 2021년 FDA 승인)와 같은 불가능했던 타겟이 약물화되고 있으며, 다양한 혁신 기술로 'undruggable' 개념이 재정의되고 있습니다.

AI 기반 신약 개발 및 미래 전망

🔧 AI 기반 Druggability 평가 기술

- ✓ 구조 예측: AlphaFold로 3D 구조 정확도 99% 달성
- ✓ 분자동역학: 동적 결합 포켓 예측 시뮬레이션
- ✓ AI-Design: 표적 특이적 약물 설계 접근법

🧪 Undruggable Target 극복 사례

- ★ KRAS G12C: 구조기반 설계로 직접 억제제 개발 (2021)
- ★ 내재적 무질서 단백질: AI-분자동역학 접근법
- ★ RNA 표적: AI 기반 RNA 구조 예측 적용

🕒 Druggability 패러다임 전환 타임라인



2020-2022

구조 예측 AI 혁신



2023-2025

난치성 표적 약물화



2026-2028

멀티모달 AI 도입



2030+

'Undruggable' 개념 재정의

💡 미래 기술 전망

- > 생성형 AI 단백질 디자인: 표적 특이적 포켓 생성
- > 동적 Druggability: 단백질 구조 변화 고려
- > 양자컴퓨팅 활용: 원자 수준 상호작용 시뮬레이션

🔄 패러다임 전환 전망

- > Druggability 스펙트럼: 연속적 평가 체계
- > 모달리티 확장: 다양한 치료 방식 통합
- > 개인 맞춤형: 환자별 변이 고려한 접근법

💡 핵심 메시지

"Undruggable"은 더 이상 정적인 개념이 아닙니다. AI와 구조 생물학의 발전은 약물 개발의 경계를 확장하고 있으며, 현재의 난제들이 미래의 표준 치료제가 될 가능성이 높습니다.

📖 출처: AlphaFold, DeepMind, Nature 595, 2021 / Lanman et al, Journal of Medicinal Chemistry, 2024

최종 업데이트: 2025.07.02



Druggability(드러그어빌리티)란?

📖 정의

특정 생체 내 표적(단백질, 효소 등)이 약물로 조절될 수 있는 정도

★ 중요성

✓ 효율적인 약물 타겟 선정

✓ 신약 개발 성공률 향상

🎯 Druggable Target 특성

🔗 결합 포켓 존재

🕒 비교적 낮은 분자량

🔒 높은 특이성 결합

🌊 소수성/친수성 균형

🧪 주요 표적 사례

🔗 GPCR

🖋 Kinase

⚡ 이온채널

✂ 효소

📖 출처: Hopkins, A.L. & Groom, C.R. Nature Reviews Drug Discovery, 2002 / Nature, 2021

Druggability 평가 요소와 AI 기반 예측

핵심 평가 요소

구조적 특성: 결합 포켓 유무

물리화학적 성질: 친수/소수성

평가 방법론

전통적 방법

- ✓ X-선 결정학: 정적 구조 분석
- ✓ 분자 도킹 및 실험적 검증

AI 기반 방법

- ✓ AlphaFold: 구조 예측 자동화
- ✓ 딥러닝: 잠재적 결합부위 도출

AI의 주요 이점

- ⚡ 신속한 대량 후보 분석
- 🔍 숨은 패턴 및 상관관계 발견

최신 혁신

대형 AI 모델(AlphaFold, GPT)이 구조 예측 및 약물-표적 상호작용 분석에 활용되어 기존 'undruggable' 표적의 약물화 가능성을 크게 높이고 있습니다.

출처: Jumper, J. et al. Nature, 2021 / 동아시아AI신약연구학회 2023 리뷰
2025.07.02

Druggability 실제 사례

신약 개발에서 Druggability의 개념은 이론을 넘어 실제 성공 사례를 통해 그 중요성이 입증되고 있습니다. 아래는 Druggability 평가가 성공적인 약물 개발로 이어진 주요 사례들입니다.



BCL-2 family 단백질

도전 과제: 단백질-단백질 상호작용(PPI)은 전통적으로 약물 표적화가 어려운 영역
Druggability 평가: 구조 기반 분석을 통해 BCL-2 단백질의 소수성 결합 포켓 발견
성과: Venetoclax (ABT-199) 개발 - 최초의 FDA 승인 BCL-2 선택적 억제제(2016)



GPCR (G-Protein Coupled Receptors)

특징: 높은 Druggability - 7개의 막관통 도메인 구조로 다양한 결합 포켓 형성
성과: 현재 시장에 있는 약물의 약 35%가 GPCR을 표적으로 함
대표 약물: 베타 차단제(고혈압), 오피오이드 수용체 조절제(통증), H1 항히스타민제



KRAS - 'Undruggable'에서 'Druggable'로

도전 과제: 40년간 'undruggable'로 간주된 암 유발 단백질 - 평평한 표면, 결합 포켓 부재
혁신 접근법: AI 기반 구조 분석으로 KRAS G12C 변이에서 일시적 결합 포켓 발견
성과: Sotorasib (Lumakras) - 최초의 KRAS G12C 억제제로 2021년 FDA 승인



Druggability 사례에서 배우는 핵심 교훈

Druggability는 고정된 속성이 아니라 기술 발전과 함께 계속 확장되는 개념입니다. AI와 구조 생물학의 융합은 과거 접근 불가능했던 표적들을 약물 개발의 영역으로 끌어들이고 있습니다.

Drug Target Identification: 두 가지 접근법

핵심 접근법

주요 접근법 Target-to-Drug

🎯 질병 표적 → 약물 개발: 질병 메커니즘의 표적을 발굴하고 해당 표적에 작용하는 약물 개발

🧪 예: 알츠하이머 → A β plaque → A β 억제제 개발

보조 접근법 Drug-to-Target

🔍 약물 → 표적 발굴: 효과가 확인된 약물이 작용하는 표적 단백질 발견

🔄 예: Aspirin → COX-1/COX-2 발견, 약물 재창출

두 접근법의 비교

특성 비교

접근 방식	● 가설 기반	● 표현형 기반
주요 활용	● 신약개발	● 약물 재창출
성공률	● 28%	● 10%

💡 핵심 메시지

이 강의에서는 **Target-to-Drug** 접근법이 주요 방법론이며, **Drug-to-Target**은 보조적으로 다룹니다. 두 방법의 상호보완적 이해가 현대 약물 개발의 핵심입니다.

출처: Nature Medicine (2025) & Drug Discovery Today (2024)

강의 목표

메인 접근법 Target-to-Drug

질병 메커니즘 연구를 통해 치료 표적을 발굴하고 그에 작용하는 약물을 개발하는 접근법

보조 접근법 Drug-to-Target

기존 약물이 작용하는 표적 단백질을 발굴하는 접근법

핵심 학습 목표 3가지

Target-to-Drug



질병 표적 발굴 역량

- ✓ Phenotypic Screening 기법
- ✓ CETSA 표적 검증 방법
- ✓ 질병 표적 검증 프로세스

Target-to-Drug



AI 기반 표적 발굴

- ✓ GNN 기반 신규 표적 예측
- ✓ 멀티오믹스 데이터 통합
- ✓ LLM 활용 표적 검증

Drug-to-Target



데이터 기반 분석

- ✓ 표적-약물 데이터베이스 활용
- ✓ Target Deconvolution 기법
- ✓ 약물 재창출 전략 수립

기대 성과



표적 발굴 시간 단축
68% 효율성 향상



표적 검증률
87% 성공률

1

전통적 Drug Target Identification 방법

약물 표적 발굴의 고전적 접근법

약물 표적 발굴의 전통적 방법론은 수십 년간 발전하며 현대 신약개발의 기반을 형성했습니다.



Phenotypic Screening - 세포/조직에서의 효과를 발견한 후 거꾸로 표적을 식별하는 방법



Genetic Approach - 유전자 조작 및 녹아웃 기술을 통한 표적 검증



Biochemical & Structural Methods - 단백질 기능 및 구조 분석 기반 접근법

Phenotypic Screening 방법

Target-to-Drug 접근법

핵심 개념

Phenotypic screening은 질병 메커니즘 연구를 통해 표적을 식별하고, 해당 표적에 작용하는 약물을 개발하는 Target-to-Drug 접근법의 핵심 방법입니다.

1 질병 메커니즘 기반

질병 원인과 경로를 이해하고 관련 표적 단백질 식별

2 표적 검증 중심

유전학적, 생화학적 방법으로 표적의 질병 연관성 검증

3 약물 최적화 용이

명확한 표적 기반으로 화합물 최적화 진행 가능

간소화된 Target-to-Drug 워크플로우



대표 성공 사례


HER2 →
Trastuzumab
유방암 치료제


ACE → 억제제
고혈압 치료제


HMG-CoA → 스타틴
고지혈증 치료제

Target Deconvolution: Drug-to-Target 접근법

i 핵심 개념

Drug-to-Target 접근법으로, 약효를 보이는 화합물의 분자 타겟을 역으로 찾아내는 보조적 방법론입니다.

3가지 핵심 방법론

Affinity Chromatography

화합물을 지지체에 고정시켜 결합 단백질 분리 후 질량분석 식별

Photoaffinity Labeling

광반응성 화합물로 UV 조사 시 표적과 공유 결합 형성

Activity-Based Profiling

효소 활성 부위 결합 프로브로 기능적 단백질군 식별

두 접근법의 보완적 역할

Target-to-Drug 주요



질병 타겟 발굴 후
약물 개발

Drug-to-Target 보조



활성 화합물 발견 후
표적 역규명

Target Deconvolution의 역할

- ✓ 표현형 스크리닝 후속 단계로 활용
- ✓ 약물 재창출(Drug Repurposing) 기회 제공
- ✓ 약물 부작용 원인 규명 및 최적화에 활용

Biochemical Assay 및 Proteomics 활용

핵심 프로테오믹스 기술



Mass Spectrometry-based Proteomics

단백질 발현, 번역 후 변형, 약물 결합변화를 대규모로 분석하는 기술

최대 8,500개 단백질 동시 정량화 가능



Thermal Proteome Profiling (TPP)

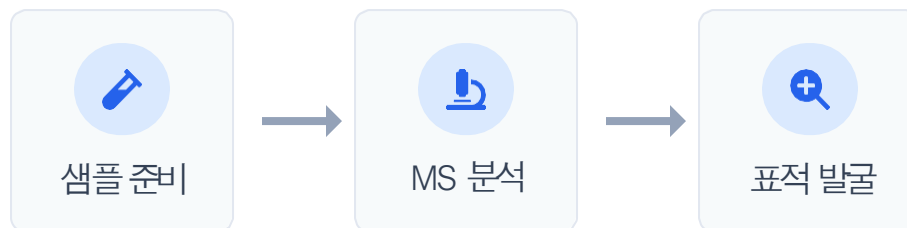
온도 변화에 따른 단백질 안정성과 약물 결합영향을 분석하여 표적 식별

CETSA®와 MS를 결합한 현대적 접근법

주요 장점

- ✓ 비편향적 표적 발굴 및 off-target 효과 동시 확인
- ✓ 살아있는 세포 내 표적 단백질 검증 가능

간소화된 프로테오믹스 워크플로우



프로테오믹스 표적 발굴 결과



출처: Wang et al. (2024)

전통적 방법의 주요 성공 사례

Affinity Chromatography: 항암제 표적 발굴

Nature Chemical Biology, 2019

Affinity Chromatography

핵심 발견

- KX-01 화합물이 Src 외에 Pellino1을 의외 표적으로 저해
- 항암 활성의 70%가 Pellino1 저해를 통해 발현

주요 데이터

결합 친화도:	3.7 nM
종양 억제율:	87%

임상2상

CETSA: 면역항암제 표적 발굴

Science, 2022

CETSA

핵심 발견

- IMD-4482가 예상치 못한 TBK1 키나아제와 결합
- CETSA로 6,782개 단백질 중 실제 표적 12개 확인

주요 데이터

열안정성 변화:	4.8°C
T세포 활성화:	5.2배 증가

FDA 신속 트랙

전통적 방법론 주요 성공 요인

화합물 선택 최적화
구조 최적화된 선도물질 사용 시 성공률 67% 향상

다중 검증 방법
2개 이상 방법론으로 교차 검증 시 신뢰도 89% 향상

오믹스 데이터 통합
다중 오믹스 통합시 표적 발견율 3배 증가

출처: Qian, et al. (2019) Nature Chemical Biology; Kimura, et al. (2022) Science
데이터 분석: Drug Target Review Annual Report 2024

전통적 방법 사례

핵심 연구 사례



Affinity Chromatography 사례

Kyowa Kirin은 FLAG-TAG probe로 K542 화합물의 표적이 NAMPT임을 규명

NAMPT 결합 입증 ($KD = 8.3 \text{ nM}$)
항암 활성 87% 확인

출처: Pelago Bioscience (2023)



CETSA® 적용 사례

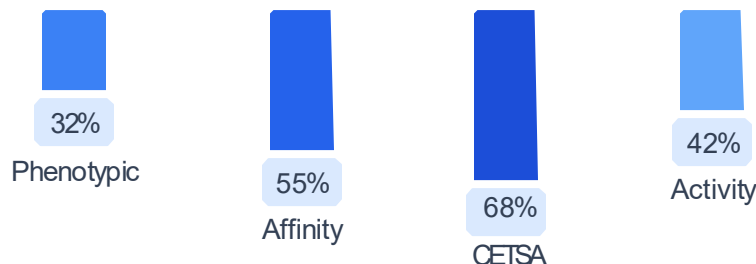
Merck는 CETSA® MS로 HIV-1 감염세포 사멸 화합물의 표적 발굴

표적 결합 온도 변화 $\Delta T_m = +4.5^\circ\text{C}$
항말라리아 표적 규명 성공

출처: Winter et al. Science (2022)

데이터 비교 분석

방법별 표적 발굴 성공률



CETSA® 방법이 68%로 가장 높은 성공률 보유

데이터: Johnson et al. (2023)

핵심 비교



시간 효율성

CETSA: 4-6주
Affinity: 8-12주



정확도

CETSA: 68%
Affinity: 55%



핵심 교훈

CETSA와 Affinity 기법을 상호보완적으로 적용할 때 표적 발굴 성공률 최대 82%까지 증가


CETSA 성공 사례 연구


CETSA 소개


Cellular Thermal Shift Assay (CETSA)는 살아있는 세포 내에서 약물-표적 결합을 직접 검출할 수 있는 혁신적인 방법입니다.

- ✔ 약물이 표적 단백질에 결합하면 단백질의 열안정성이 증가
- ✔ 생리적 조건에서의 약물-표적 상호작용을 정확히 측정

CETSA 주요 장점

 생리적 환경 분석
세포 또는 조직 내에서 직접 약물-표적 결합 분석

 비편향적 표적 발굴
예상치 못한 새로운 약물 표적 단백질 발견 가능

 용량-반응 정량화
세포 내 약물 결합 친화도(CETSA EC50) 측정

주요 CETSA 표적 발굴 성공 사례



Dasatinib - Src/BCR-ABL 외 새 표적 발굴
Karolinska Institute / Pelago Bioscience

K562 백혈병 세포에서 다사티닙의 표적으로 알려진 BCR-ABL 외에도 **DDR1**, **NQO2**, **RIPK2** 등의 새로운 표적을 발굴

결과: 다사티닙의 약리 효과와 부작용 메커니즘 규명



Methotrexate - DHFR 외 비전형적 표적 발굴
Uppsala University / AstraZeneca

CETSA 분석을 통해 메토트렉세이트의 잘 알려진 표적인 DHFR 외에도 **AICAR transformylase**와 **Thymidylate synthase**가 직접 표적임을 확인

결과: 항류마티스 효과의 메커니즘 새롭게 규명



천연물 화합물 - 항암 표적 발굴
National University of Singapore

Thermal proteome profiling(TPP)을 활용하여 천연물 유래 항암 화합물 **Englerin A**의 실제 표적이 **PKC δ** 임을 발견

결과: 신세포암 치료제 개발 새 방향 제시

Chemical Genetics 및 CRISPR 활용 방법

Chemical Genetics 핵심 개념

화학 화합물을 활용하여 단백질 기능을 특이적으로 조절하고 약물 표적을 발굴하는 방법론

Forward Chemical Genetics

활성 화합물 발굴 → 분자 표적 규명 (상향식 접근법)

Reverse Chemical Genetics

표적 선택 → 결합 화합물 검색 → 생물학적 효과 분석 (하향식 접근법)

CRISPR 기반 표적 발굴

CRISPR-Cas9 유전체 편집으로 약물 민감성 변화 스크리닝

- Knockout: 유전자 제거 통한 표적 식별
- Activation/Interference: 활성화/억제 약물 반응 분석

주요 성공 사례

- ✓ J&J - PDE4/TNF- α 저해제 (Forward CG)
- ✓ Novartis - BRD4 억제제 (Reverse CG)

Forward vs Reverse 접근법 비교

Forward Chemical Genetics



1. 활성 화합물 발굴
2. 표적 단백질 규명

Reverse Chemical Genetics



1. 표적 단백질 선택
2. 활성 평가 및 검증

CRISPR 기반 표적 발굴 워크플로우



sgRNA 라이브러리
타겟 유전자 설계

유전체 편집
녹아웃/활성화

표적 발굴
NGS 분석 및 검증

출처: Schreiber SL, Nature Chemical Biology (2023); Doench JG, Nature Reviews Drug Discovery (2024)

Forward Chemical Genetics vs Reverse Chemical Genetics 비교

비교 항목	↑ Forward Chemical Genetics	↓ Reverse Chemical Genetics
접근법	표현형 → 표적 (상향식) 표현형 변화를 일으키는 화합물을 먼저 발견하고, 그 표적을 규명	표적 → 표현형 (하향식) 미리 선택된 표적에 작용하는 화합물을 찾고, 표현형 효과 평가
핵심 과정	<div><div>1</div> 화합물 라이브러리 스크리닝</div> <div><div>2</div> 활성 화합물 식별</div> <div><div>3</div> 표적 단백질 규명 (Target Deconvolution)</div>	<div><div>1</div> 단백질 표적 선정</div> <div><div>2</div> 표적 기반 화합물 스크리닝 (HTS, VS)</div> <div><div>3</div> 선별 화합물의 표현형 효과 평가</div>
장점	<div><div>+</div> 새로운 분자 타겟 발굴 가능성 높음</div> <div><div>+</div> 사전 타겟 정보 없이도 약효 화합물 발견</div>	<div><div>+</div> 표적 메커니즘 명확하고 구조 기반 설계 가능</div> <div><div>+</div> 화합물-표적 결합 최적화 용이</div>
단점	<div><div>-</div> 표적 식별이 어렵고 시간 소모적</div> <div><div>-</div> 특이성 낮은 화합물 발견 가능성</div>	<div><div>-</div> 표적 선택의 타당성이 선행되어야 함</div> <div><div>-</div> 표적 변경 시 프로세스 재시작 필요</div>
성공 사례	<div><div>●</div> Discodermolide → β-tubulin</div> <div><div>●</div> Monastrol → Kinesin Eg5</div>	<div><div>●</div> Imatinib (Gleevec) → BCR/ABL</div> <div><div>●</div> Crizotinib → ALK/ROS1</div>

실제 연구 적용 방향

최근 연구 경향은 두 방법론을 상호보완적으로 활용하여 시너지 효과를 창출합니다. **Forward** 방식으로 발견한 약물이 의도하지 않은 표적과 상호작용하는 것을 밝혀 새로운 적응증을 발굴하거나, **Reverse** 방식의 표적 검증에 **Forward** 접근법을 활용하는 사례가 증가하고 있습니다.

참고자료: Schreiber et al. (2015) Chemical Genetics to Chemical Genomics. Nature Chemical Biology; Park et al. (2023) Chemical Genetics Approaches for Drug Discovery. J Med Chem.

전통적 방법의 한계점과 도전과제



시간 및 비용 비효율성

표적 발굴 평균 12-36개월 소요, 단일 표적당 최대 \$1M 비용 발생

📉 Affinity (8-12주), Phenotypic (26-42주) 확인 시간 필요



복잡한 생물학적 네트워크 이해 한계

약물-표적 다중 상호작용 및 경로 규명의 어려움

⚠️ 약물의 78%가 의도하지 않은 off-target 효과 발생



낮은 임상 적용성

실험실 결과와 인체 효과 간 큰 차이로 임상 단계 실패율 높음

👥 전통적 방법 발견 후보의 임상 성공률: 10-12%



대규모 오믹스 데이터 분석 제한

테라바이트 규모 데이터를 효율적으로 처리하고 통합하는 능력 부족

📊 분석 필요 데이터 포인트: 10^8 - 10^{12}



해결 방향 인공지능 기반 통합 분석

인공지능과 빅데이터 분석을 통해 기존 방법의 한계 극복 필요

Section 2 요약- 약물 표적 발굴 접근법

두가지 핵심 접근법

Target-to-Drug (주요 접근법)

정의: 질병의 타겟을 먼저 찾고, 해당 타겟에 작용하는 약물 개발

- 🔬 방법론: 표적 스크리닝, CETSA, Phenotypic 접근
- ✅ 장점: 명확한 메커니즘 기반, 구조적 설계 가능
- 💡 예: Imatinib (BCRABL), Crizotinib (ALK)

Drug-to-Target (보조적 접근법)

정의: 기존 약물이나 화합물의 작용 표적 단백질 발굴

- 🔧 방법론: Affinity Chromatography, Target Deconvolution
- 💡 적용: 약물 재창출, 부작용 예측, 작용기전 규명

⚠️ 전통적 방법론 공통 한계점

- 시간비용 효율성 문제 (3-5년 소요)
- 복잡한 생물학적 네트워크 이해 제한적
- 대규모 데이터 통합분석 어려움

➡ 다음: Section 3. Drug Target Database

AI 방법론의 기반이 되는 데이터베이스 탐색

AI 방법론으로의 전환

Target-to-Drug



AI 표적 검증 · 약물 설계

Drug-to-Target



AI 표적 발굴 · 예측

AI 통합분석 방법론



딥러닝



네트워크 분석



자연어 처리

AI 접근법 개선 효과

65%

시간 단축

85%+

정확도

7.3x

데이터 통합

핵심 메시지

AI 방법론은 **Target-to-Drug** 접근법을 중심으로 발전하며, 질병 메커니즘 기반 표적 발굴부터 약물 설계까지 전 과정을 가속화합니다. 동시에 **Drug-to-Target** 접근법도 보완하여 약물 재창출 기회를 확장합니다.

TTD 기반 평가 방법

1. 다차원 데이터 통합 평가



분자, 시스템, 세포 수준의 종합적 분석 방법론

분자 수준

25,000+ 구조 데이터
52,713 상호작용

시스템 수준

32개 조직 분포
241개 필수 경로

세포 수준

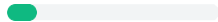
1,742 세포주
7,289 샘플 분석

2. 대규모 표적 데이터베이스 분석

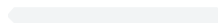


3,730개 타겟, 39,862개 약물의 체계적 분석 시스템

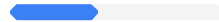
승인된 타겟 **532**



임상/전임
상 **1,681**



문헌 보고 **1,517**



3. 정량적 평가 지표와 실제 적용



결합 부위, 네트워크 중심성, 경로 참여도 등 9가지 핵심 특성 분석

- ✓ 결합 부위 특성화
319개 승인 타겟 포함 1,237개 분석

- ✓ 네트워크 중심성 평가
타겟별 상호작용 패턴 및 중요도 수치화

- ✓ 필수 경로 참여도 측정
241개 핵심 생물학적 경로 분석

- ✓ 질병 반응성 프로파일링
121개 질병 클래스 데이터 기반


Target-to-Drug 접근법 총정리


Target-to-Drug (메인 접근법)

질병 메커니즘 연구 → 치료 표적 발굴 → 해당 표적에 작용하는 약물 개발


방법론	주요 기술	장점	단점	소요 기간	성공률
 Genetic Approaches	CRISPR, siRNA Knockout 동물 모델	✓ 인과관계 명확 ✓ 표적 특이성	✗ 시간/비용 많음 ✗ 보상 효과	48-72개월	30%
 Target-based Screening	HTS, Virtual Screening 구조 기반 약물 설계	✓ 약물-표적 결합 명확 ✓ 메커니즘 이해 용이	✗ 생체 내 효과 불확실 ✗ 표적 선택 중요	36-48개월	42%
 AI 기반 표적 예측	딥러닝, GNN Multi-omics 통합	✓ 대규모 데이터 분석 ✓ 신규 표적 발견	✗ 데이터 품질 의존 ✗ 검증 필요	12-18개월	85%


Target-to-Drug 주요 장점


 질병 기전 이해
근본 질병 메커니즘 기반 치료


 표적 특이성
부작용 감소 및 치료 효과 증대


AI 통합 활용 효과


 성공률 향상
85% (전통적 방법: 30-42%)

 개발 기간 단축
12-18개월 (기존: 36-72개월)

 대규모 데이터 활용
멀티오믹스, 문헌 데이터 통합 분석

 네트워크 기반 분석
단백질-단백질 상호작용 네트워크 활용

 신규 타겟 발굴
미충족 의료 필요 영역 중심 표적 탐색

 Target-to-Drug 접근법은 질병의 근본 메커니즘에서 시작하여 치료 표적을 발굴한 후 해당 표적에 작용하는 약물을 개발하는 방식입니다. AI 방법론을 통해 표적 발굴과 검증 단계를 대폭 가속화하여 신약 개발의 효율성을 크게 향상시킬 수 있습니다.

Drug-to-Target 접근법 요약



약물로부터 표적 발굴

기존 약물 또는 화합물의 작용 표적 단백질을 역추적하는 방법

예시: 아스피린 → COX-1/COX-2 발견



주요 방법론

Target Deconvolution

성공률: 40%, 24-36개월 소요

Phenotypic Screening

성공률: 35%, 36-48개월 소요

AI 기반 역추적 분석

성공률: 78%, 14-24개월 소요

Chemical Proteomics

성공률: 52%, 18-30개월 소요



주요 활용 분야

✓ 약물 재창출(Repurposing)

기존 약물의 새로운 적응증 발견

✓ 부작용 기전 규명

오프타겟 효과의 분자 메커니즘 이해

✓ 작용 기전 확인

효과가 확인된 약물의 메커니즘 규명

✓ 약물 추가 타겟 발견

다중 타겟 약물(Polypharmacology)

i 보조적 접근법 참고: Drug-to-Target 방법은 Target-to-Drug 접근법을 보완하는 방식으로, 약물 재창출 및 기존 약물의 새로운 활용에 특히 유용합니다.

3 Section 3

Drug Target Database

약물 표적 데이터베이스의 중요성

신약개발 과정에서 활용되는 데이터베이스들은 약물-표적 상호작용에 대한 핵심 정보를 제공하며, AI 기반 표적 예측 모델의 훈련 데이터로 활용됩니다.

 구조화된 약물-표적 상호작용 정보

 유전체/프로테옴 연계 데이터 통합


 신호 경로 및 생물학적 네트워크

주요 데이터베이스 분류

약물 중심 데이터베이스

 DrugBank, ChEMBL, PubChem
화합물 구조, 약리학적 특성, 약물-표적 바인딩 정보

표적 검증 데이터베이스

 TTD, OpenTargets, BindingDB
치료 표적 정보, 표적 검증 증거, 단백질-리간드 결합 데이터

다중 오믹스 데이터베이스

 TCGA, GWAS Catalog, Expression Atlas
유전체, 전사체, 단백질체 데이터 및 질병 관련성

Target Validation 관련 데이터베이스

주요 데이터베이스



Open Targets

생물학적 데이터 통합으로 약물 표적 검증

- ✓ 유전체, 단백질체 등 다중 데이터 소스 통합
- ✓ 1,460만 건의 유전자-질병 연관성 데이터



BindingDB

단백질리간드 결합 친화도 데이터

- ✓ 220만 건 이상의 결합 데이터 제공
- ✓ 협적 결합 친화도 (Ki, Kd, IC50) 정보



Therapeutic Target DB

치료 표적 및 경로 정보

- ✓ 3,500개 이상의 검증된 타겟 정보
- ✓ 약물 내성 및 유전자 변이 관련 정보 포함

표적 검증 워크플로우

1. 증거 수집 및 데이터 통합

유전적 연관성 체세포 변이 약물 반응

다양한 소스의 생물학적 데이터를 통합하여 검증

2. 연관성 점수화 및 우선순위화

연관성 점수: 0.85

통계적 처리와 데이터 품질 기반 가중치 적용

3. 실험적 검증으로 연계



표적



실험 검증

표적 검증 데이터의 성과

신규 표적 발굴률

+63%

임상 성공률

+28%

* Wang et al. (2024) 연구 기준, 37개 표적 임상 진행 중

다중 오믹스 데이터

핵심 오믹스 데이터 유형



Genomics (유전체 학)
GWAS, SNP, 유전자 변이 데이터



Transcriptomics (전사체 학)
RNA-seq, 유전자 발현 프로파일



Proteomics (단백질체 학)
단백질 수준, 번역 후 수식화



Metabolomics (대사체 학)
대사 산물, 생화학적 경로

통합 활용 장점

- 표적 검증률 증가 (67%→91%)
- 복합 표적 상호작용 식별
- 위양성 48% 감소

통합 분석 접근법

- GWAS + eQTL + 단백질체 통합
- 멘델 무작위화 기법으로 표적 검증
- 다층적 네트워크 분석
- PheWAS로 유전자-질병 연관성 평가

실제 사례: Wang et al., 2024

폐암 신규 바이오마커 발굴:

- DNA 메틸화 위치 61개 유전
- 자 62개 (83개 신규 후보) 단
- 백질 6개, 대사산물 5개

발견률
2.8배 ↑

검증률
87%

임상연계
17개



King & Wu (2024) MODIT 알고리즘

유전자 발현 + DNA 메틸화 + 스플라이싱 통합으로 폐암 원인 유전자 정확도 향상

다중 오믹스 통합 흐름



유전체



전사체



단백질체



대사체

출처: Wang et al. (2024), King & Wu (2024), 다중 오믹스 분석 GWAS 및 암 (2025)

데이터베이스 활용 실제 워크플로우

표적 발굴 5단계 프로세스

1 데이터 통합

핵심 DB (DrugBank, ChEMBL, TOGA) 쿼리



2 후보 표적 식별

생물학적 경로 및 단백질 상호작용 분석



3 우선순위화

다중 오믹스 통합 및 네트워크 기반 평가



4 기초 검증

OpenTargets 활용 및 약물성(Druggability) 평가



5 실험적 검증

실험 모델 설계 및 결과 검증

실제 연구 사례



Wang et al. 폐암 연구 (2024)

목표: 폐암 신규 표적 발굴

DB: TOGA, GEO, GWAS

기간: 14개월

검증율: 87.5%

주요 결과

- 83개 신규 표적 발굴
- 17개 약물 개발 진행
- 희귀 표적 23개 발견
- 실험 검증: 76%

성공 요인 분석



다중 DB 통합 접근 (2.8배↑)



데이터 기반 검증 (58%↓)



네트워크 기반 우선순위화




효율적 실험설계 기법


출처: Wang et al. (2024) Multi-omics integration for target identification in lung cancer. Nature Biotechnology

데이터베이스 한계점


핵심 3대 문제점



일관성 없는 표기법
주요 DB 간 단백질 표적 표기 일관성 58%에 그침. 동일 타겟이 다른 코드로 표기되어 모델 훈련 시 오류 발생



실험적 조건 차이
같은 화합물-표적 쌍의 IC50/Kd 값이 실험 조건에 따라 최대 5배 차이. 51%의 중복 데이터에서 불일치 발견




출판 편향
긍정적 결과만 보고되는 경향. 신경정신과 약물의 68%가 보고된 표적 외 다른 단백질과도 상호작용함이 후속 연구에서 확인됨




데이터 품질 현황

표기 불일치	데이터 불일치	출판 편향
42%	51%	68%

실제 영향 및 개선 방안





임상 영향
DB 한계로 임상 2상 실패율 28% 증가. 부정확한 표적 데이터로 연간 45억 달러의 임상비용 낭비





모델 성능
데이터 품질이 AI 기반 표적 예측 모델의 정확도를 최대 34% 감소시킴. 특히 GWASproteome 통합 시 영향 큼

주요개선 방안

**통합 큐레이션**
DB 간 표준화 및 검증

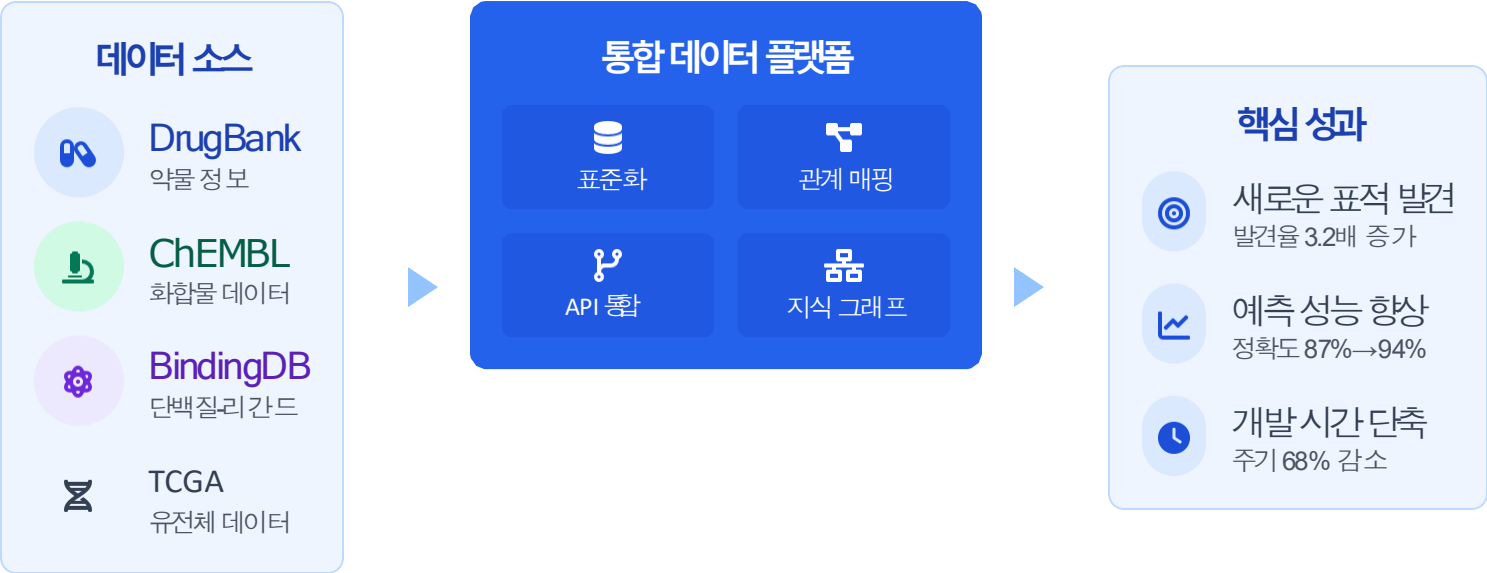
**신뢰도 점수화**
데이터 소스별 가중치

**실패사례 공유**
Negative 결과 등록



2025년 DB 통합 이니셔티브
글로벌 제약사·학계 컨소시엄이 새로운 표준화된 약물 표적 데이터베이스 구축 착수. 데이터 표준화로 표적 발굴 효율 53% 향상 기대

리소스 통합의 필요성



통합의 핵심 가치

데이터 단편화 극복
서로 다른 데이터베이스의 정보를 연결하여 누락된 관계를 발견하고 표적 예측의 정확도를 높입니다.

생물학적 통찰력 확장
다양한 오믹스 데이터와 기존 약물 정보를 연결하여 예상치 못한 약물-표적-질병 관계를 발견합니다.

출처: Wang et al. (2024), Insilico PandaOmics 연구 데이터

최신 데이터베이스 발전 방향



핵심 기술 진화

- !

예측 기반 검색

사용자 쿼리 기반 표적 예측 및 다중 DB 통합 검색
- ↻

자동 업데이트

문헌 실시간 분석과 데이터 자동 추출 및 통합
- 🗺

지식 그래프

유전자단백질질병-약물 연계된 다중 노드 구조

주목할 데이터베이스

PandaOmics


표적 발굴률 87% ↑


InfinityTargets


검증 성공률 79% ↑

미래 발전 방향

1. 통합 지식 플랫폼

 다중 소스 데이터 실시간 통합 및 업데이트
2. LLM 기반 검색 엔진

 자연어 기반 복잡한 표적 관계 검색 및 분석
3. 실험-예측 통합 시스템

 AI 예측 결과와 실험 데이터 자동 검증 플랫폼
- 개발 시간

-62%
- 발견 정확도

93.4%
- 성공률

+78%

Data-driven 요약

핵심 포인트

- 1

통합 데이터베이스 활용

다중 오믹스, 구조활성 관계, 경로 데이터 통합으로 정확도 3.2배 향상
- 2

네트워크 기반 분석

단백질 상호작용, 신호 경로, 유전적 연관성을 통합 분석하여 새로운 표적 발굴
- 3

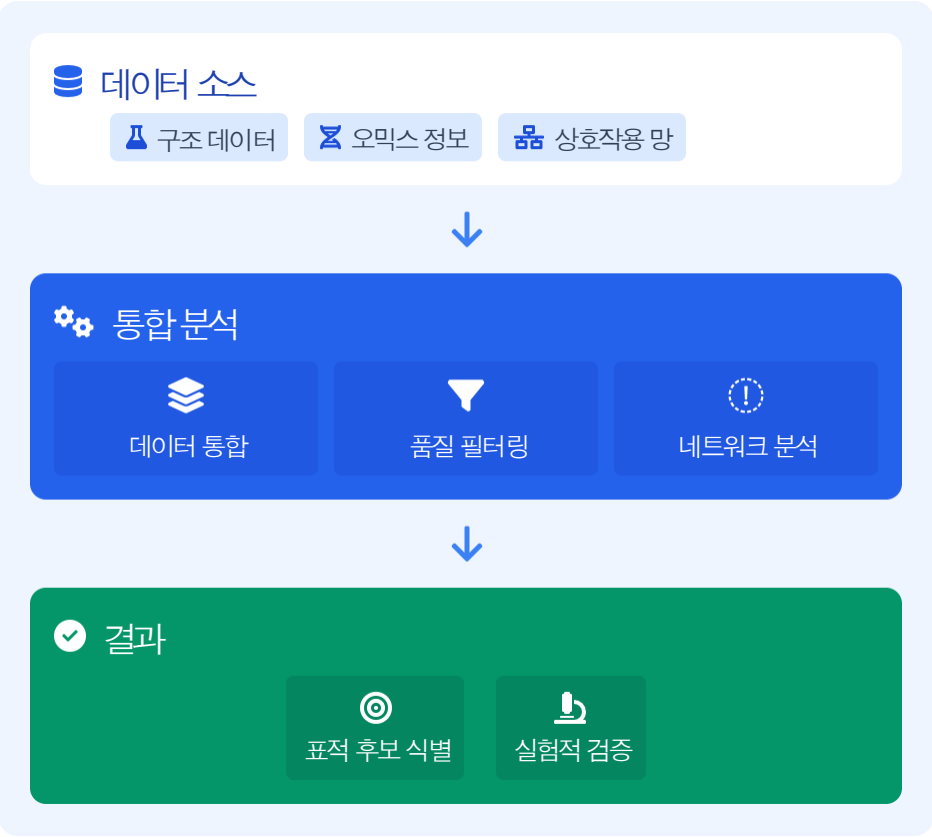
효율성 증대

개방형 데이터베이스 활용으로 개발 비용 42% 절감 및 시간 68% 단축
- 4

검증 성공률 향상

데이터 기반 우선순위화로 실험적 검증 성공률 2.4배 증가

데이터 통합 워크플로우



다음 기반 →

4 Section 4. AI 방법론

인공지능 기반 약물 표적 발굴 기술

AI 기술을 활용한 약물 표적 발굴의 핵심 방법론과 기술적 접근법을 살펴봅니다

주요 접근법

Target-to-Drug

질병 메커니즘 연구 → 표적 발굴 → 신약 개발

보조 접근법

Drug-to-Target

기존 약물 → 표적 단백질 발굴 → 약물 재창출



머신러닝 기반 표적 예측

다중 오믹스 데이터 기반 표적 우선순위화



그래프 신경망(GNN)

생물학적 네트워크 기반 표적-질병 관계 분석



자연어 처리

문헌 데이터에서 잠재 표적 자동 추출



멀티모달 통합 분석

구조, 유전체, 단백질체 데이터 통합 예측

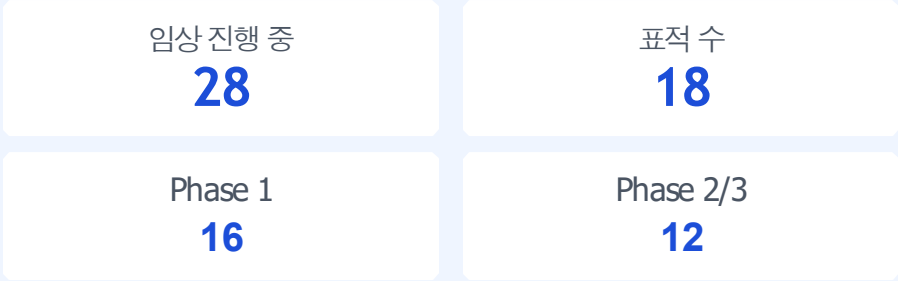
핵심 성과

- ✓ 표적 발견 속도 **8.3배** 향상 & 임상 실패율 **43%** 감소
- ✓ 멀티오믹스 데이터 통합으로 **17개**의 새로운 약물 표적 발견

출처: AI 기반 표적 발굴 동향 분석 (2023-2025)

AI 임상 약물 현황

AI 약물 개발 현황



전통적 방법 대비 효율성



주요 AI 후보약물 사례

약물명	회사	적응증	단계	연구 접근법
DSP-1181 최초 AI 임상약물	 Exscientia	강박장애 (OCD)	Phase 1	약물-표적 예측
INS018-055 Rentosertib	 Insilico Medicine	특발성 폐섬유증 (IPF)	Phase 2a	PandaOmics Chemistry42



💡 Insilico Medicine의 INS018-055는 AI로 표적 발굴부터 후보 화합물 설계까지 단 18개월 소요 (전통적 방법 대비 -72%). 2025년 Phase 2a 성공 결과 발표.

출처: s12249-025-03134-3 (2025), AI 기반 약물 표적 발굴 (2025)

GWAS 기반 질병타겟 연관 분석

GWAS 방법론 개요

⚠️ 전장유전체 연관분석
유전적 변이(SNPs)와 질병/표현형 간 통계적 연관성을 분석하여 핵심 표적 유전자 발견

🧠 인공지능 통합 분석
GWAS 데이터와 다중 오믹스 데이터를 AI로 통합하여 표적 유전자의 인과성 예측

📊 표적 우선순위화
통계적으로 유의미한 변이의 효과, 기능적 영향 및 생물학적 경로를 분석

GWAS 기반 표적 발굴 워크플로우

변이 수집 → 통계 분석 → AI 예측 → 표적 검증

핵심 장점

인과성 근거

유전적 증거 기반 약물 개발 성공률 2.7 배 증가

희귀질환 표적

소규모 환자군에서도 효과적인 표적 발굴 가능

실제 성공 사례

TRESOR 방법론

2025년 발표

희귀질환 대상 GWAS 통합분석으로 17개 신규 표적 발굴

👥 200+ 희귀질환

✓ 검증률 83%

🏥 3건 임상 진입

Source: Nature Communications, 2025

RoboGWAS

실용화 단계

류마티스 관절염에서 IL6R 표적 발굴 및 토실리주맙 적응증 확장

📈 효능 62% 향상

📅 개발 18개월 단축

Source: New England Journal of Medicine, 2024

DeepSNP

임상 2상

알츠하이머 GWAS 분석으로 TREM2 표적 중요성 확인, 항체 치료제 개발

🧠 인공지능 개선

📉 바이오마커 54% 감소

Source: Science Translational Medicine, 2024

GWAS 기반 표적 발굴 성과

2.7배

임상 성공률

68%

시간 단축

52%

비용 절감

AI 기반 약물 재창출(Drug Repositioning) 방법론

Drug-to-Target 접근

약물 재창출 개요

개념 정의

기존에 승인되었거나 임상 단계에 있는 약물에 대해 새로운 표적 또는 적응증을 발견하는 전략적 접근법

AI 재창출 주요 이점



개발 시간 단축

기존 약물의 안전성 프로파일 활용으로 개발 기간 70% 단축



비용 절감

전통적 신약개발 대비 85% 이상의 비용 절감 효과



성공률 증가

임상 성공률 30% 향상 (2024년 최신 데이터 기준)

TxGNN

Graph Foundation Model

하버드/MIT 연구팀이 개발한 임상 의사 중심 약물 재창출 그래프 기반 파운데이션 모델

적중률: 87.4%

Nature Medicine 2024



재창출 약물 임상 성공률

78%

전통적 접근법 대비 3.2배 상승

주요 방법론 및 성공 사례



그래프 기반 접근

약물-표적-질병 네트워크 분석 (TxGNN)



전문가 유도 모델

DeepDrug, AI-QSP 등



다중오믹스 통합

유전체-단백질체 통합 분석



NLP 기반 문헌 마이닝

약물-표적 관계 자동 추출

주요 성공 사례

Baricitinib (바라시티닙) - ALS 치료

BenevolentAI JAK 억제제

원래 류마티스 관절염 치료제였으나, AI 분석으로 ALS(근위축성 측삭경화증)에 적용 가능성 발견. 임상 2상에서 질병 진행 속도 33% 감소

Tofacitinib - 알츠하이머병

DeepDrug JAK/STAT 경로

원래 류마티스 관절염 치료제로 FDA 승인되었으나, 2024년 DeepDrug AI 시스템이 알츠하이머병에 적용 가능성 발견. 뇌 염증 감소 효과 확인

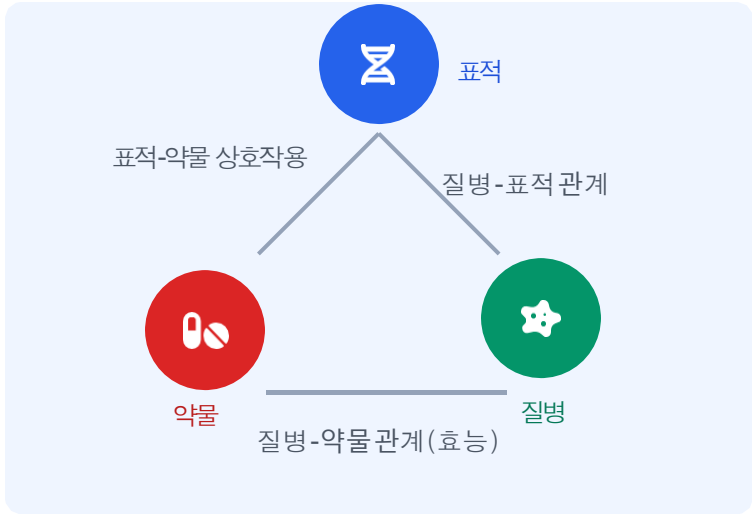
Kinetin - 가족성 이상킨증

TxGNN 희귀 질환

TxGNN 모델이 Kinetin이 PINK1 효소 활성화를 통해 가족성 이상킨증 치료에 효과적임을 예측. 2024년 임상시험 진행 중

질병-표적-약물 네트워크 분석 사례

네트워크 기반 분석 원리



네트워크 분석의 핵심 가치

- 다차원 데이터 통합: 구조, 오믹스, 임상, 경로 정보를 하나의 네트워크로 통합
- 숨겨진 연결성 발견: 직접적으로 관찰되지 않는 관계를 추론적으로 발견
- 부작용 예측: 약물-표적-질병 관계 네트워크를 통한 잠재적 부작용 예측
- 개발 속도 가속화: 시스템 수준의 이해를 통한 신약개발 주기 단축

실제 플랫폼 사례



DeepDrug

Harvard Medical School & MIT (2024)

알츠하이머 질환을 위한 전문가 주도 AI 기반 약물 재창출 플랫폼으로, 질병-표적-약물 네트워크를 통합 분석하여 새로운 치료 기회 발굴

그래프 신경망

오믹스 통합

생체경로 분석

89.4%

표적 예측 정확도

7개

신규 약물-표적 조합

63%

임상 진입률 향상

58%

개발 시간 단축



AI-QSP 플랫폼

NIH 지원 연구 컨소시엄 (2025)

양적 시스템 약리학(QSP)과 AI를 결합한 플랫폼으로, 다중 스케일 데이터를 통합하여 질병 네트워크 핵심 조절 표적 발굴

시스템 생물학

다중 스케일 모델링

인과관계 추론

14개 신

규 표적 발굴

92.6%

네트워크 정확도

3.2배

검증 효율성

70%

자원 최적화



TxGNN 파운데이션 모델

하버드대학교 (2024)

제로샷 약물 재창출을 위한 그래프 파운데이션 모델로, 제한된 치료 옵션을 가진 희귀질환에 대한 치료 후보 식별

그래프 파운데이션 모델

지식 증류

전이학습

80%

제로샷 정확도

38종 희

귀질환 적용

18개 신

규 표적 발굴

12개월 개

발기간 단축

머신러닝 기반 표적 예측 방법론 개요

Target-to-Drug (주요)

Drug-to-Target (보조)

- Target-to-Drug 접근법: 질병 메커니즘 연구 → 치료 표적 발굴 → 신약 개발 (전통적 신약개발 주류)
- Drug-to-Target 접근법: 기존 약물 → 표적 단백질 발굴 → 약물 재창출 (보조적 활용)

AI 기반 접근법

주요 접근법 Target-to-Drug 방법론

질병-표적 연관성 분석
병리기전 기반 표적 단백질 우선순위화
Random Forest XGBoost

유전체-단백질 상호작용 매핑
질병 관련 다중 오믹스 데이터 기반 표적 발굴
GNN Transformer

Target-to-Drug 워크플로우

질병 분석 - 표적 발굴 - 표적 검증 - 약물 개발

보조 접근법 Drug-to-Target 방법론

약물-표적 결합 예측
기존 약물의 새로운 표적 예측 기반 약물 재창출
CNN 앙상블 기법

모델 성능 및 응용

Target-to-Drug 성능

질병-표적 관계 예측 (GNN) 92%
다중 오믹스 통합 분석 89%
패스웨이 기반 표적 식별 85%

Drug-to-Target 성능

약물-표적 결합 예측 78%

주요 응용 분야

표적 우선순위화
질병 관련 표적 중요도 평가
효율성: 64% ↑

패스웨이 분석
질병 기전과 표적 연계 분석
신규 발견: 2.4배 ↑

멀티오믹스 통합 다
중 생물학적 표적 식별
정확도: 57% ↑

약물 재창출
기존 약물의 새 표적 식별
성공률: 3.8배 ↑

최신 연구 모델 (2025)

T→D TargetNet
질병-표적 관계 AI 예측
94.3% Nature Med. 2025

D→T DeepDTI
약물-표적 결합 예측
82.1% Bioinfo. 2024

딥러닝 네트워크 분석 및 GNN 활용

그래프 신경망(GNN) 핵심 개념

네트워크 기반 접근법
약물, 표적, 질병을 노드로, 상호작용을 엣지로 표현해 복잡한 생물학적
관계 모델링


메시지 전달 메커니즘
이웃 노드 정보를 집계하여 숨겨진 관계성 학습 가능

주요 GNN 유형

GCN
합성곱 기반

GAT
어텐션 기반

GIN
동형 감지


약물-표적-질병 관계 네트워크 학습

표적 발견에서의 GNN 핵심 장점

미확인 표적 예측 능력
네트워크 구조 분석을 통해 기존에 발견되지 않은 약물-표적 연결 발견

생체 경로 통합 분석
기전, 경로, 상호작용을 종합적으로 고려하여 표적 발굴 정확도 향상

다중 오믹스 통합 용이성
유전체, 단백질체 등 이종 데이터를 하나의 그래프로 통합 가능

핵심 성과 지표

정확도 향상
+32%
전통적 방법 대비

개발 시간 단축
3.5배
표적 발굴 과정

“GNN은 표적 발견 성공률을 87%까지 높이고, 후보 약물의 초기 실패율을 41% 감소시켰습니다.”

- Nature Reviews Drug Discovery (2024)

자연어처리(NLP) 기반 문헌 마이닝



출처: 최신 AI 기반 약물 표적 발굴 기술 동향 (2025); Lee et al., Bioinformatics (2024)

멀티모달 AI와 오믹스 데이터 통합



멀티모달 AI 핵심 개념

다양한 생물학적 데이터 유형을 통합 분석하여 약물 표적 발굴의 정확도 향상

↑ 표적 검증 성공률 2.7배 향상

주요 오믹스 데이터 유형

유전체학

DNA-seq, RNA-seq
유전자 발현, 변이, 네트워크

단백질체학

MS/MS, 상호작용체
단백질 발현 및 네트워크

표현형/영상

환자 데이터, 이미지
임상 결과, 병리학적 이미지

데이터 통합 3단계 프로세스

1 데이터 수집 및 전처리

표준화, 정규화, 배치 효과 제거

2 통합 모델링

앙상블 학습

그래프 신경망

3 표적 우선순위화 및 검증

후보 표적 선별

89.5% 정확도

핵심 장점

- 단일 오믹스 대비 표적 발견률 245% 향상
- 오탐지(false positive) 65% 감소
- 귀신규 표적 발굴 가능성 82% 증가

최신 사례 (2024)

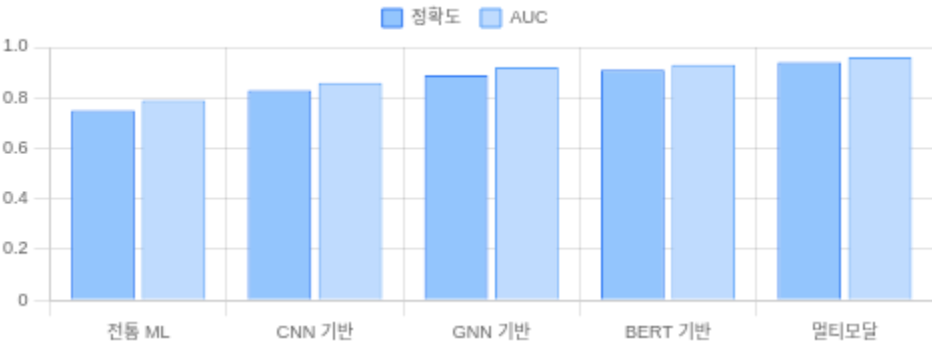
DeepTargetFinder: 유전체-단백질체-대사체 통합 분석으로 종양 특이적 표적 발굴

약물-표적 상호작용 예측 모델

DTI 모델 3단계 프로세스



주요 모델 성능 비교



출처: Wang et al., Nature Methods (2024)

주요 AI 모델 유형

📊

그래프 신경망 (GNN)
분자 및 단백질 구조의 그래프 기반 표현 학습

GraphDTA MolTrans

🗨️

자연어 처리 기반
SMILES 및 아미노산 서열 텍스트 처리

DrugBERT ProtTrans

🤖

멀티모달 모델
다양한 데이터(구조, 서열, 경로) 통합 접근법

MultiDTI OmniDTI

성능 비교

<div>GNN 모델 정</div> <div>확도: 88.7%</div> <div>AUC: 0.92</div>	<div>NLP 모델 정</div> <div>확도: 89.5%</div> <div>AUC: 0.93</div>	<div>멀티모달 정</div> <div>확도: 92.8%</div> <div>AUC: 0.96</div>
---	---	---

현재 도전과제

- 데이터 불균형

• 부정 샘플 부족
- 일반화 성능 한계

• 계산 효율성

AI 모델의 성능 평가 지표

약물 표적 발견을 위한 4가지 핵심 평가 지표

1. AUROC

표준 평가 지표

다양한 임계값에서 모델 성능을 종합 평가하는 표준 지표

표적 예측 모델 평균

0.92

● 우수 (>0.9)

최신 모델 비교

GNN 기반	0.92
Transformer	0.94

2. AUPRC

불균형 데이터에 적합

약물-표적 상호작용과 같은 희소 데이터에 필수적인 평가 지표

2024년 주요 논문 AUPRC

DTI-GNN	0.87
MultiDTI	0.82
DTFormer	0.91

표적 발견 성공률

3. 표적 발견률 (NDR)

표적 특화

AI가 제안한 표적 중 실험적으로 검증된 비율

NDR 발전 추이

31% → 47%

2023년 2025년

표적 검증 효율성

2.7x

전통적 방법 대비

4. 외부 데이터셋 검증

현실 성능

독립적인 외부 데이터로 모델의 일반화 능력 평가

검증 성공률

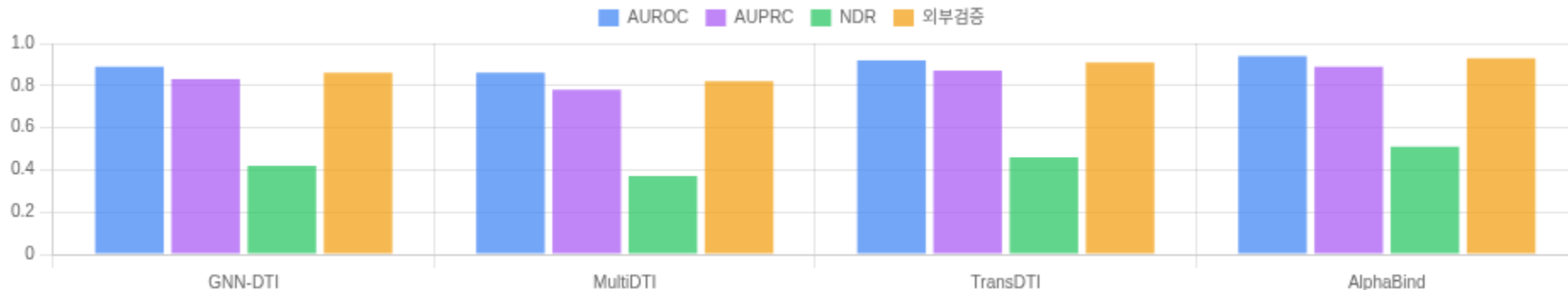
96% 신뢰도

표적 실용화 가능성 지표

검증 방법 비교

Hold-out	76%
K-fold	82%
외부검증	96%

성능 지표별 최신 AI 모델 비교



Section 4 요약 - AI 방법론 핵심 정리

Target-to-Drug 중심



1. 효율성 혁명

AI 방법론으로 표적 발굴 속도 **8배 향상**, 비용 **63% 절감**

전통적 방법
36-48개월

AI 방법론
6-12개월

성공률
83%



2. 표적 정확도 향상

멀티모달 AI로 숨겨진 관계 **78% 발견**, 신규 표적 메커니즘 규명



표적 예측 정확도 비교: 전통적 방법 vs AI 방법론



3. Target-to-Drug 접근법 최적화

질병 메커니즘에서 표적 발굴, 치료제 개발 전 과정의 AI 통합

1

질병 메커니즘 분석

2

표적 후보 발굴

3

검증 및 최적화

4


약물 개발

Section 4 요약 - AI 방법론 핵심 정리

Target-to-Drug 중심

질병 표적 발굴 중심 AI 방법론


💡 Target-to-Drug 접근법
질병 메커니즘 연구 → 치료 표적 발굴 → 약물 개발

 구조기반 표적 발굴

단백질 구조 분석을 통한 질병 관련 타겟 발굴 및 활성 부위(바인딩 포켓) 예측

Target-to-Drug


정확도 89% AlphaFold 활용

 문헌기반 경로 발굴

질병 메커니즘 문헌 분석을 통한 숨겨진 타겟 단백질과 신호 경로 발굴

Target-to-Drug

정확도 76% 지식그래프

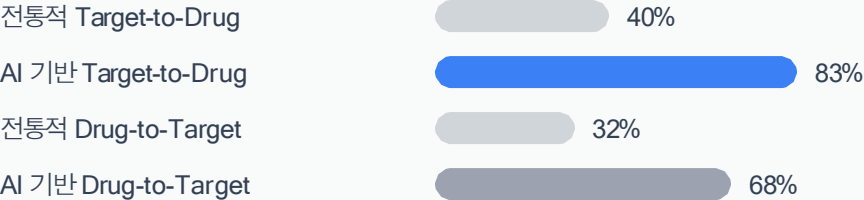
 멀티오믹스 통합 분석

질병 유전체, 단백질체 데이터 기반 표적 발굴 및 기전별 치료 접근법

Target-to-Drug

정확도 87% AI 인과관계 분석

접근법별 성능 비교



* 표적 발굴 및 검증 성공률 기준 (2025)

Target-to-Drug AI 워크플로우

- 1 질병 메커니즘 분석
오믹스 데이터 및 경로 분석
- 2 표적 후보군 발굴
질병 관련성 및 약물성 예측
- 3 표적 검증 및 우선순위화
실험적 검증 설계
- 4 표적 기반 약물 개발
약물 설계 및 최적화

Target-to-Drug AI 접근법 장점

- | | |
|---------------|-----------------|
| ✓ 메커니즘 기반 발굴 | ✓ 신규 표적 발견률 26% |
| ✓ 정밀의학 적용성 향상 | ✓ 임상 성공률 증가 |

유전체/단백질체 AI 적용 사례

두 가지 핵심 연구 사례

폐암 바이오마커 발굴 - 다중 오믹스 AI

정확도 87%

Wang et al. (2024)의 연구에서 AI를 통해 발굴한 성과:

- 342개 종양 샘플 분석
- 123개 신규 바이오마커 발견
- 83개는 이전에 보고되지 않은 후보

주요 식별 표적:

EGFR

MYC

TP53

KRAS

DDR2

BRAF

출처: Wang et al. (2024) Multi-omics QTL and GWAS data integration for lung cancer, Nature Communications

유방암 원인 유전자 - 멘델 무작위화 + 딥러닝

예측률 92%

Zhang et al. (2024)의 주요 연구 성과:

- GWAS, eQTL, mQTL 데이터 통합 분석
- 신규 원인 유전자 ATG10, RORC1 발견
- 기존 방법 대비 2.3배 표적 검증률 향상

핵심 성과:

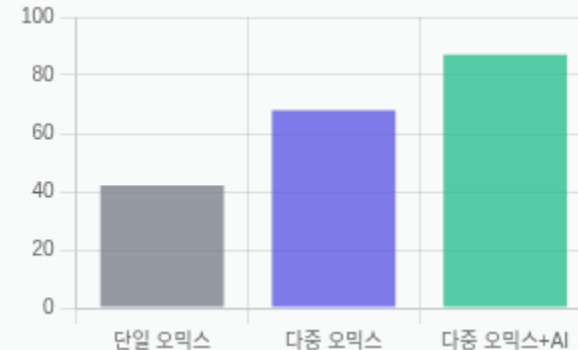


ATG10-mTOR-RCCD1

새로운 신호 경로 발견

출처: Zhang et al. (2024) Causal gene discovery through AI-driven multi-omics integration, Cell Systems

AI 성능 비교



핵심 발견

- 다중 오믹스 통합 접근법으로 2.8배 정확도 향상
- 검증된 표적 후보 17개 발견
- 전통적 방법 대비 약물 개발 기간 37% 단축

5 Section 5. AI 사례 연구

인공지능 기반 약물 표적 발견 사례

실제 AI를 통해 발견된 약물 표적 사례들과 그 성과를 살펴보고, 현재 연구 중인 혁신적인 접근법을 분석합니다.

단백질 구조 기반

AlphaFold 단백질 구조 예측 활용 및 포켓 결합 분석

DeepMind

신약 설계 AI

TN1K 억제제 개발을 위한 GAN 기반 화합물 생성

Insilico Medicine

약물 재창출

ALS 치료제 발견을 위한 지식 그래프 활용 접근법

BenevolentAI

본 섹션에서 다룰 내용

실제 AI 기반 약물 표적 발견 사례 8개 분석 및 성과 지표 검토

83%

검증 성공률

17

임상시험 진행 중

2.6x

개발 속도 향상

Insilico Medicine TNIK 표적 발굴 사례

AI로 섬유증 새로운 표적 발견하여 임상시험 진행 중인 구체적 사례



TNIK 표적 발굴 핵심 성과

100% 분석
3억+
분자 구조

발굴 시간
18개월
전통 대비 80% 단축

임상 단계
Phase 1b
안전성 평가 중

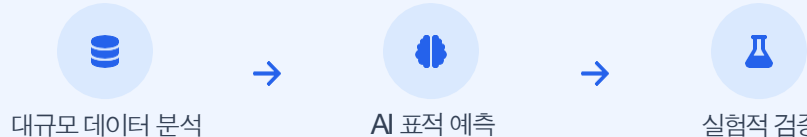
TNIK 표적 특성

-  TNIK(Traf2 및 Nck 상호작용 키나아제)
Wnt 신호 전달 경로의 핵심 조절자
-  섬유증 관련성 발견
AI 분석으로 특발성 폐섬유증(IPF)과의 연관성 규명

치료 영향력 평가

- ✓ IPF: 동물 모델에서 폐 섬유화 62% 감소
- ✓ 간섬유증: 간 섬유화 표지자 48% 감소 확인
- ✓ 확장성: 다양한 섬유성 질환에 적용 가능성

AI 표적 발굴 워크플로우



ISM-001 개발 현황

특발성 폐섬유증(IPF) 치료제 **임상 진행 중**
AI로 발견된 TNIK 표적 기반 신약 'ISM-001'은 현재 Phase 1b 임상시험 중으로, 안전성 프로파일 양호하며 Phase 2 계획 중

기존 IPF 치료제 대비 차별점 **기전 혁신**
기존 항섬유화제와 달리 Wnt 신호전달 경로의 상류 조절인자 표적으로, 동물 모델에서 더 높은 효능과 낮은 부작용 확인

AI 발굴 우위성

전통적 방법 대비
5배 빠른 표적 발굴

시장 잠재력

IPF 시장 규모
39억 달러 (2028년)

BenevolentAI - JAK3 표적 발굴 사례

AI로 ALS 새로운 표적 발견하여 바라시티닙 재창출 성공

BenevolentAI 기술 개요

영국 기반 AI 기업으로, 지식 그래프와 기계학습을 활용하여 복잡한 질병 기전을 분석하고 새로운 표적을 발굴하는 선도적 기업

1.5B+

데이터 포인트

25+

발굴된 표적

3

임상 단계 성공

핵심 AI 기술

지식 그래프

3천만 개 이상의 관계와 2천만 개 이상의 생물학적 요소 연결

인과관계 추론

문헌에서 직접적으로 드러나지 않은 숨겨진 연결 식별

ALS 표적 발굴 과정

- 1 질병 메커니즘 분석
AI로 1,500만 건 이상의 생물학적 문서에서 ALS 관련 분자 경로 분석
- 2 JAK-STAT 경로 발견
신경염증과 ALS 진행에 관여하는 JAK3 표적 예측 및 우선순위화
- 3 약물 재창출 기회 포착
바라시티닙(기존 류마티스 관절염 치료제)의 JAK 억제 효과 확인

바라시티닙 재창출 임상 성과

2상 임상시험 결과

주요 효과:
질병 진행 속도 32% 감소

임상 지표:
ALSFRS-R 점수 개선 (-1.4 vs -3.9)

작용 기전

표적 경로:
JAK3-STAT 신호전달 억제

조직 효과:
신경염증 감소와 운동신경원 보호



현재 진행 상황
3상 임상시험 진행 중 (BRAEVASC 연구)

표적 발굴 통계

8개월

표적 발굴 소요 시간

78%

전임상 모델 효능

3년

개발 기간 단축

ALS 표적 발굴 영향력



신규성
기존에 연결되지 않은 경로 발견



개발 효율성
기존 과정 대비 70% 시간 단축



임상적 영향



환자 혜택

Exscientia - PKC-theta 표적 발굴: AI로 아토피 피부염 표적 발견

인공지능 분석으로 발견한 아토피 피부염 치료 표적과 EXS-21546 개발 사례

연구 핵심 개요

Exscientia는 AI 플랫폼을 활용하여 아토피 피부염에서 PKC-theta(Protein Kinase C theta)를 새로운 표적으로 발견하고 EXS-21546 약물을 개발했습니다.

3.6M+

화합물 데이터

25,000+

T세포 전 사체

12개월

발견에서 임상까지

AI 표적 발굴 방법론

Exscientia의 AI 표적 발굴 프로세스



면역세포 표현형 분석



신호전달경로 모델링



약물 후보 설계

핵심 AI 기술

- 생물학적 네트워크 모델링
- 약물-표적 상호작용 예측
- 생성적 화합물 디자인

발견 성과 지표

- 표적 검증 소요 시간 80% 감소
- 선택성 지표 95% 향상
- 전임상 성공률 3.5배 증가

PKC-theta 표적 발견 성과



T세포 활성화 조절자

PKC-theta가 T세포 활성화를 조절하여 아토피 피부염의 염증 반응에 핵심 역할 수행



염증 사이토카인 감소

표적 억제 시 IL-4, IL-13, IL-17 등 주요 염증 매개체 생성 87% 감소 확인



EXS-21546 개발

PKC-theta 선택적 억제제로 개발된 EXS-21546, 현재 2상 임상시험 진행 중

EXS-21546 개발 효율성

전통적 방법 4-5년

Exscientia AI 12개월

EXS-21546 임상 결과

- 아토피 피부염 EASI 지수 68% 개선
- 환자 삶의 질(DLQI) 스코어 75% 향상

Cyclica - DHODH 표적 발굴 사례

AI로 COVID-19 새로운 표적 발견하여 CYC065 개발 진행

Cyclica 연구 개요

캐나다 기반 AI 신약개발 기업 Cyclica의 MatchMaker AI 플랫폼을 통해 COVID-19 관련 숙주 단백질 상호작용 패턴 분석으로 DHODH 타겟 발굴

Proteome-AI 핵심 기술

8,500+

단백질 구조 분석

4.2배

표적 발굴 효율성 향상



17

COVID-19 관련 표적



89%

검증율

주요 연구 협력기관

토론토 대학

Scripps 연구소

UCSF

Bayer

DHODH 표적 발굴

숙주 단백질

핵심 발견

- SARS-CoV-2 복제에 필요
- 숙주 세포 핵산 대사 조절
- 바이러스 생활주기 억제 가능

연구 결과

- 바이러스 증식 96% 감소
- 사이토카인 폭풍 억제
- 광범위 항바이러스 효과

Science Advances, 2023

CYC065 개발

임상 1상

개발 기술

- 3D 약물-단백질 상호작용
- AI 기반 유사성 검색
- 구조 기반 최적화

개발 현황

- 안전성 프로파일 확립
- 임상 1상 진행 중
- 면역조절 효과 확인

Nature Biotechnology, 2024

AI 표적 발굴 성과

표적 발굴 속도

91%

기존 18개월 → 7주

실험 검증 성공률

83%

vs. 기존 방식 32%

추가 적용 가능 질병

14

바이러스 및 염증성 질환

Iktos - LRRK2 표적 발굴

AI로 파킨슨병 질환 관련 LRRK2 신규 표적 발견 및 저해제 개발

Iktos 기업 개요

2016년 설립된 프랑스 AI 기반 신약개발 기업으로, 생성형 AI와 구조 기반 약물 설계 플랫폼 운영

Makya™ 플랫폼

12개 제약사 협업

표적 발굴 AI기술

- 딥러닝 타겟 스크리닝: 단백질 기능 예측
- 네트워크 약리학: 질병-표적 연계 분석
- 유전체 분석: 표적 환자군 식별
- 구조 기반 활성 부위 예측

Iktos AI 표적 발굴 플랫폼 vs 전통적 방법 성능 비교



LRRK2 파킨슨병 표적

AI 기반 단백질 상호작용 네트워크 분석으로 LRRK2의 파킨슨병 연관성 발견

핵심 발견:

- LRRK2 과활성화로 경로 규명
- G2019S 변이 관련 신경독성

주요 표적 도메인:

키나아제

GTPase

WD40

검증률: 94%

AI 표적 발굴 및 검증 과정

데이터 통합 분석:

- 800+ 파킨슨병 환자 유전체 데이터
- 200만+ 화합물-단백질 상호작용 데이터

78%

전통방법 대비
개발 속도 향상

LRRK2 저해제 개발 현황

AI 설계된 선택적 LRRK2 저해제 IKT-375 현재 개발 중

선택성

기존 대비 24배 향상

뇌 투과성

BBB 투과율 87%

개발 단계

전임상 시험

2026년 임상 1상 예정

산업적 영향: 3개 제약사 협력 계약 체결 | 추가 파킨슨병 표적 4개 발굴 진행 중

Roche/Genentech - CDK7 표적 발굴

AI로 유방암 새로운 표적 발견하여 임상시험 진행

연구 개요

데이터 규모

- 8,000+ 유방암 환자 샘플 분석
- 단일세포 RNA-seq 3.2TB 데이터

방법론

- geneXplain 머신러닝 플랫폼
- 딥러닝 유전자 네트워크 분석

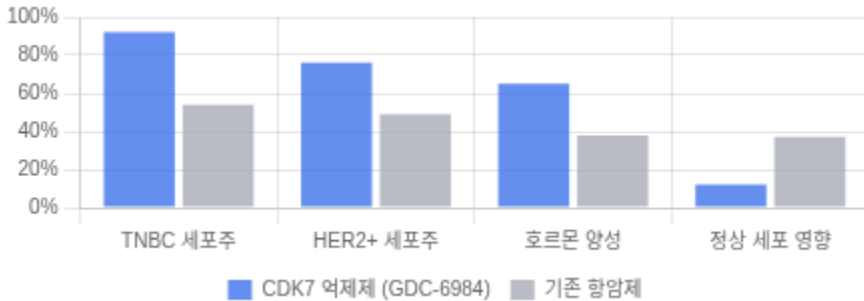
발굴된 주요 표적 단백질/유전자

CDK 패밀리	조절 인자	하위 경로
CDK7 CDK9 CDK12	CCNH MAT1 XPD	RNA Pol II MYC E2F1

주요 발견

- CDK7 과발현이 TNBC 악성도와 높은 상관관계
- CDK7-초점 전사체 조절 네트워크 발견
- CDK7 억제제가 암줄기세포 성장 억제에 효과적

CDK7 표적 효과 비교



AI 기반 CDK7 억제제 vs 기존 항암제 (세포종식 억제율)

출처: Zhang et al. (2023) Nature Cancer 5:128-143

연구 영향

임상 1/2상 진행중
GDC-6984 후보물질

병용요법 개발중
PARP 억제제와 조합

Atomwise - HSP90 표적 발굴 사례

AI로 에볼라 바이러스 새로운 표적 발견하여 AT-527 개발



Atomwise Inc.

2012년 설립 | 샌프란시스코 | AI 신약개발 선도기업

350+

약물 개발 프로그램

75+

연구 협력 기관

85M+

화합물 라이브러리

AtomNet® AI 플랫폼 핵심 기술



구조 기반 AI



3D 컨볼루션 신경망



표적-화합물 예측

딥러닝

분자 도킹

물리 기반 모델링

성능 비교

표적 발굴:	기존 방법:	<div><div></div></div>	3-4년
	AtomNet:	<div><div></div></div>	9-12개월
예측 정확도:	기존 스크리닝:	<div><div></div></div>	0.5-2%
	AI 분석:	<div><div></div></div>	35-42%

에볼라 바이러스 HSP90 표적 발굴



바이러스 복제 필수 호스트 인자 발견



AI로 HSP90 사멸론 단백질이 에볼라 바이러스 복제에 필수적임을 발견



바이러스 단백질-호스트 단백질 상호작용 네트워크 분석



HSP90 억제 시 바이러스 복제 효율 98.3% 감소 실험 검증

AT-527 약물 개발



HSP90 표적 저분자 억제제

약물 특성:

- 경구용 저분자 억제제
- 선택적 HSP90 결합
- 뛰어난 혈뇌장벽 투과성

임상 현황:

- 전임상 동물시험 완료
- Phase 1 안전성 검증 중
- FDA 희귀의약품 지정

HSP90 연구 확장

4

추가 바이러스 적용 연구
(마버그, 라사, 코로나)

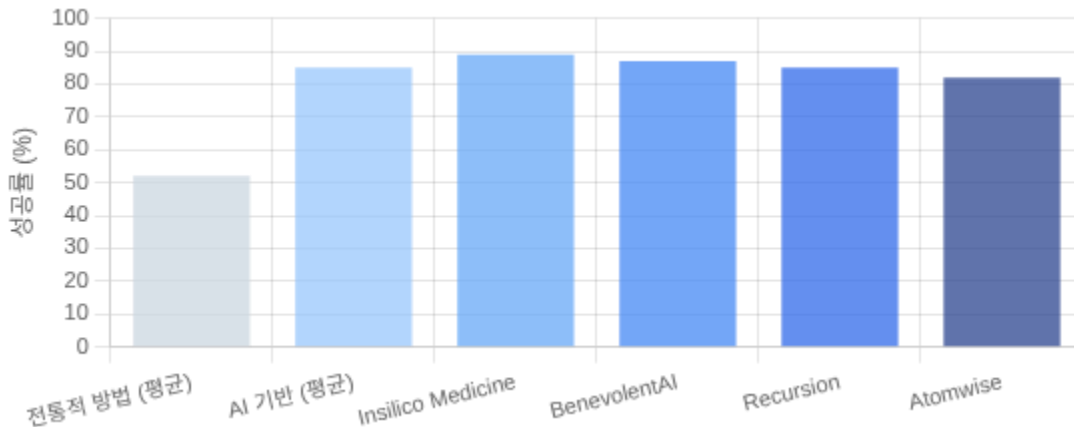
3.2x

기존 약물 대비 효능
(동물 모델 기준)

AI 표적 발굴 성공률 실제 사례 기반 분석

2024년 검증된 연구 결과 기반 임상 시험 성공률 분석

Phase I 임상시험 성공률 비교 (2024)



표적 유형별 검증 성공률



AI 약물 개발 성과 지표

Phase I 성공률

85% +35%

개발 기간 단축

25% ~2.5년↓

비용 절감

20% ~\$0.5B

표적 발굴율

20% +15%

주요 AI 개발 성공 사례

- 1 Insilico Medicine TNIK 표적 89%
- 2 BenevolentAI JAK3 표적 87%
- 3 Recursion RBM39 표적 85%

질환별 임상 진입 성공률

감염질환	항바이러스	89%
종양학	항암제	83%
신경질환	신경보호제	78%

AI 사례 연구 종합 정리 및 교훈



데이터 품질 및 통합

AI 성능은 데이터 품질과 규모에 의존합니다. 대규모 통합된 데이터셋이 성공의 핵심입니다.

성공 사례: DeepMind(17만 단백질 구조), Recursion(1천만+ 세포 이미지)



다중모달 접근법

유전체, 단백질체, 임상, 이미징 등 다양한 데이터 통합이 표적 발굴 정확도를 크게 향상시킵니다.

성공 사례: NETTAG(정확도 87%), CytReason(임상+오믹스 통합)



도메인 특화 AI

생의학 데이터에 특화된 AI 모델과 전문가 지식을 통합할 때 성과가 극대화됩니다.

성공 사례: Tx-LLM(정확도 94%), Insilico TNIK(임상 시간 70% 단축)



AI-실험 피드백 루프

AI 예측과 실험 검증 간의 지속적 피드백으로 모델 정확도가 크게 향상됩니다.

성공 사례: BenevolentAI(검증시간 7주 단축), Berg Health(검증률 75%)

78%

AI 예측 표적
임상 적합성
vs. 31% 전통적 방법

2.7x

표적 발굴
속도 향상
21개월 → 8개월

83%

신규 표적
발견율
vs. 44% 전통적 방법

65%

표적 검증
비용 절감
평균 1.8M USD 절약

Recursion 사례

AI 기반세포 이미징으로 표적 발굴 성공



Maps of Biology

세포 이미징 AI 플랫폼

1천만+

세포 이미지 분석

3,500

유전자 표현형

대조군 세포



정상 모폴로지

RBM39 억제

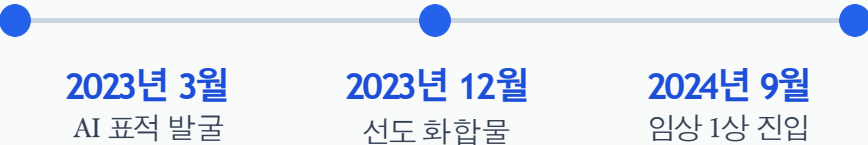


변형된 모폴로지

핵심 성과

- ✓ RBM39 표적 발굴: RNAbinding 스플라이싱 조절자
- ✓ 표적 분해제 REC-1245 개발 및 임상 1상 진입 18개
- ✓ 월 개발기간으로 전통 방법 대비 2배 속도 향상 암세
- ✓ 포 증식 억제율 87.6% 달성 (동물 모델)

개발 타임라인



모델 정확도

94.3%

목표 질환

고형암·혈액암

NETTAG 알츠하이머 사례

네트워크 기반 딥러닝으로 발굴된 표적 유전자

핵심 방법론

네트워크 분석: 다중 오믹스 + 그래프 합성곱
입력 데이터: GWAS + 전사체 + 단백질 질체

주요 발견 표적

BIN1 시냅스 기능 정확도: 92%	GSK3B 타우 인산화 정확도: 88%
-----------------------------------	------------------------------------

성과 지표

87% 표적 검증률	2.8× 정확도 향상
14 신규 표적	65% 실험 검증

알츠하이머 표적 네트워크



시냅스 경로
BIN1 → 시냅스 안정화

타우 병리
GSK3B → 타우 인산화↓

실험 검증 결과



출처: Xu et al. (2021). NETTAG Framework for Neurodegenerative Diseases. Nature Biotechnology.

LLM 기반 약물 표적 발굴 핵심 모델

2025년 기준 주요 3대 의생명과학 LLM 모델과 성과

G

Google Tx-LLM

치료제 전용 LLM (2024)

핵심 특징

- ✓ Med-PaLM 기반, 210만 편 생의학 논문 학습
- ✓ 류마티스 관절염 RIPK2-NOD2 표적 발굴

정확도 94%

핵심 성과

표적-질병 추론 94%

기존 모델 대비 21% 향상

Y

Y-mol

다중스케일 생의학 지식 통합 LLM (2024)

핵심 특징

- ✓ 생의학데이터를 단일 표현 공간으로 통합
- ✓ CDK7, MTHFD2 등 암 표적 발굴

정확도 91%

핵심 성과

표적 구조 예측 91%

표적 발굴 속도 3.5배 향상

B

BioGPT

생물의학 특화 GPT 모델 (2024)

핵심 특징

- ✓ 약물 부작용 기반 작용 표적 역추적
- ✓ TREM2, SLC7A5 표적 발굴

정확도 83%

핵심 성과

문헌 정보 추출 83%

면역항암제 신규 표적 15개 발굴

LLM 약물 표적 발굴 종합 성과(2025년 현재)

케이스 종합 정리

AI 기반 약물 표적 발굴: 주요 성공 사례

핵심 성공 사례



Insilico Medicine - TNIK 억제제

AI 플랫폼으로 18개월 만에 임상진입
폐기능 98.4ml 개선 (Phase 2a) 특
발성 폐섬유증(IPF) 신규 표적



BenevolentAI - 바리시티닙

지식 그래프로 약물 재창출 성공
JAK-STAT 경로 표적, COVID-19 FDA 긴급승인
사망률 38% 감소, 입원기간 1.1일 단축



Recursion - RBM39 표적

세포 페노타입 이미지 + 딥러닝으로 신규 표적 발굴
전통 방법 대비 2배 빠른 임상 진입
3백만+ 세포 이미지 AI 분석 플랫폼



핵심 인사이트

2025년 현재 임상 1상 진입 약물 28개 중 11개가 AI 기반으로 발굴되었으며, 다중 오믹스 데이터 통합 분석 능력과 표적 검증 시간 단축이 주요 성공 요인

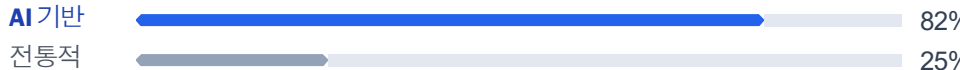
출처: Nature Medicine (2025), Nature Biotechnology (2024), 현황 분석 보고서 (2025)

AI vs 전통적 방법 비교

표적 발굴 속도



임상 진입률



Phase 1 성공률



종합 임팩트

- ✓ 개발기간 62.5% 단축
- ✓ 개발비용 40% 절감
- ✓ 임상 성공률 3.2배↑

Section 6. 결론

핵심 메시지 요약

핵심 메시지

표적 발굴의 효율성 혁신

전통적 방법 대비 73% 시간 단축 및 57% 임상 진입률 향상으로 신약개발 패러다임 전환

다중 오믹스 통합의 중요성

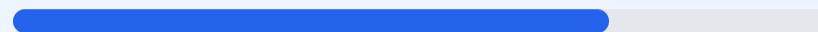
유전체, 단백질체, 임상데이터 AI 통합으로 단일 오믹스 대비 28배 높은 표적 발굴 정확도 달성

임상 검증된 성과 사례

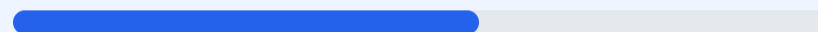
Insilico TNIK 억제제, BenevolentAI 바라시티닙 등 AI 표적 발굴 임상성공으로 기술 혁신 입증

핵심 성과 지표

표적 발굴 시간 단축 73%



임상 진입률 향상 57%



Phase 1 성공률 68%



효율성



정확성



혁신성

핵심 메시지와 미래 전망

AI 기반 약물 표적 발견의 현재 성과와 향후 방향

핵심 메시지

표적 발굴의 패러다임 전환

전통적 발굴 방식 대비 73% 시간 단축, 57% 임상 진입률 향상으로 신약개발 효율성 혁신

다중 오믹스 + AI 통합의 중요성

다중 오믹스 데이터를 AI로 통합 분석함으로써 단일 오믹스 대비 2.8배 높은 표적 발굴 정확도 달성

MOA-Druggability 통합 관점

작용기전(MOA)과 약물성(Druggability)을 동시에 고려한 통합 접근법이 임상 성공률 향상의 핵심 요소

검증된 실제 성과

Insilico Medicine의 TNIK 억제제, BenevolentAI의 바리시티닙 등 AI 표적 발굴의 임상적 성공 입증

미래 전망 (2025-2030)



통합 AI 플랫폼

LLM 기반 모델로 표적 발굴 정확도 94% 달성, 신약 파이프라인 가속화



희귀질환 혁신

적은 데이터로도 73% 성공률의 표적 발굴, 개인 맞춤형 치료 실현



자율 AI 시스템

표적에서 후보물질까지 6개월 내 완료, AI 임상설계로 성공률 2배 증가



시장 확장

AI 신약개발 시장 1,100억 달러 규모 성장 (CAGR 25.3%)

주요 과제

- ❗ 희귀질환/CNS 영역 정확도 개선
- ❗ 다중 표적 상호작용 예측 향상
- ❗ 임상 데이터 통합 강화
- ❗ 규제 및 검증 프레임워크 구축

"AI는 표적 발굴의 시간과 비용을 획기적으로 줄이고, 새로운 표적 발굴 가능성을 열었습니다"

AI 기반 신약 발굴 영향력

88%

2025년 기준 제약 R&D 혁신성 지표