

# 상동재조합 유전자 교정의 효율 증대용 조성물 및 이를 이용한 상동재조합 유전자 교정의 효율 증대 방법

연구책임자

남 해 진 책임연구원 · hjnam@krikt.re.kr

한국화학연구원 의학바이오연구본부 희귀질환치료기술연구센터

## 요소기술별 분류

대분류	중분류	소분류
의료기반기술	바이오 의약품	유전자 치료제

## 기술개요 및 개발배경

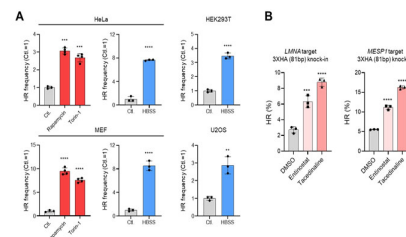
- 유전질환은 많은 경우 특정 유전자의 돌연변이에 의해 유발되고, 대부분의 돌연변이는 유전자의 정상적인 기능 상실을 유도
- 유전자 교정 기술을 활용하여 유전질환을 치료할 수 있는데, 유전자 녹아웃(knock out)을 통한 방법으로 병증을 치료할 수 있는 경우는 거의 없고, 돌연변이를 정확하게 교정하여 야생형으로 교체하는 것이 필요

Core key word

# 상동재조합 # 기능적 유사체인  
# 리보핵산단백질 복합체  
# 핵산분해효소 코딩 서열 # 국소 주입법

## 기술내용 및 대표이미지

- 유전자 가위에 의한 DNA 이중나선의 절단 시에 유도되는 수선 기작 중, 상동재조합에 의한 수선 기작(Homology-directed DNA repair, HDR)을 높은 효율로 진행되도록 유도하는 기술
- 유전자 편집 도구와 함께 HDAC inhibitor, 오토파지 유도제를 함께 처리하는 경우 HDR 효율이 증대하는 것을 확인



[유세포 분석 혹은 차세대시퀀싱(NGS)를 통해 정밀유전자편집 효율(HR efficiency)을 측정한 결과]

## 기술 한계점 vs 개선점

### [ 기존기술한계점 ]

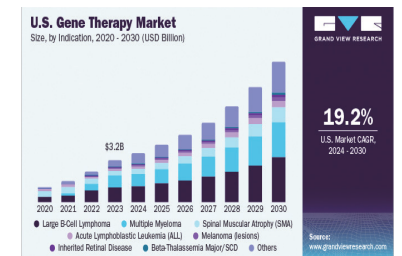
- 상동재조합에 의한 수선 기작은 효율이 매우 낮다는 문제점이 있으며, 특정 세포주기(G2-S)에서만 작동하는 한계
- 기존 기술은 세포 혹은 식물에서 HDR을 증대시키는 기술로서 세포에서는 어느정도 효과가 나타날 수 있으나 동물에서는 사용하기 어려운 측면이 있음

### [ 개발기술개선점 ]

- 신규한 화합물을 병용처리함으로써 유전자 가위에 의한 상동재조합 유전자 교정 효율을 현저히 증대시켜 기존의 상동재조합 효율 증대 기술의 한계점을 극복
- 정확하고 효율적인 유전자 교정을 가능하게 하여 생명과학 연구, 유전자 치료 및 신약 개발 등의 다양한 분야에서 유용하게 활용 가능

## 관련시장동향

- 2024년 글로벌 유전자 치료제 시장 규모는 약 103억 달러로 추정되고, 2030년까지 연평균 성장률(CAGR) 18.88%로 성장하여 182억 달러에 이를 것으로 전망
- 2025년부터 매년 10~20개의 새로운 유전자 치료제 승인 예상됨



## Business Idea / 응용·적용분야

- V5
- 응용분야 : 유전자 치료제
- 적용제품 : 유전질환 치료제



## 기술성숙도



기초연구 단계 : 기초 이론 및 실험 방법 확립

## IP Portfolio

No	발명의 명칭	국가	출원번호	출원일자	등록번호	등록일자
1	상동재조합 유전자 교정의 효율 증대용 조성물 및 이를 이용한 상동재조합 유전자 교정의 효율 증대 방법	KR	10-2022-0180045	2022-12-21		

## 기술이전 문의처 한국화학연구원 기술사업화센터

이난영 책임연구원 ☎ 042-860-7940 ✉ nylee@krikt.re.kr 심형훈 선임연구원 ☎ 042-860-7078 ✉ hhsim@krikt.re.kr  
권민수 선임연구원 ☎ 042-860-7337 ✉ mskwon@krikt.re.kr