

Helios (IKZF2)를 분해하는 molecular glue degrader

연구책임자

황 종 연 책임연구원 · jyhwan@krikt.re.kr
한국화학연구원 의약바이오연구본부 신약정보기술연구센터

요소기술별 분류

대분류	중분류	소분류
의료기반기술	암 치료제	혈액암/고형암 치료제

기술개요 및 개발배경

- Helios는 IKZF2 transcription factor로서 Treg 면역세포에 발현이 증가되어 있으며, 발현 억제시 Treg 세포가 불안정해 면역반응을 유지하는데 어려움
- Helios 결핍 마우스 모델에서 Treg 이 Teff cells로 변하여 면역이 활성화 됨
- Helios를 분해시켜 Treg를 Teff로 변화 유발하여 종양 억제 효과가 가능
- Plexium (PLX-4545)와 BMS는 Helios 분해제에 대한 임상 1상 진행중, anti-PD1 병용투여



Core key word

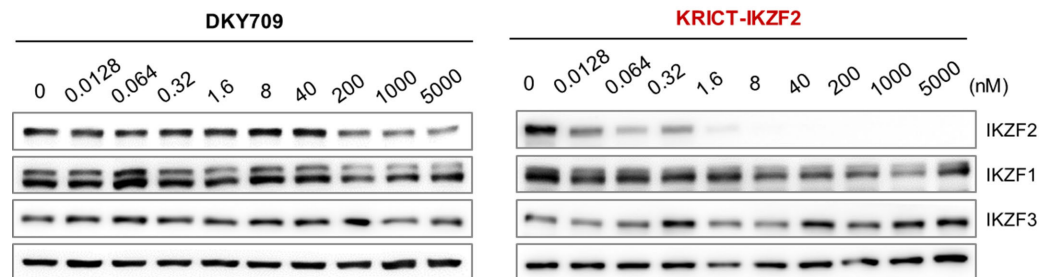
#Helios #IKZF2 #Degrader

#혈액암 #고형암

기술내용 및 대표이미지

CRBN-기반 Helios 분자접착제 (molecular glue) 분해제

- 대조약물 (DKY709) 대비 우수한 분해능 / 선택적 Helios 분해 (DC50 = 0.2 nM) / IKZF1/3, GSPT1는 분해하지 않음



기술 한계점 vs 개선점

[기존기술한계점]

- Regulatory T (Treg) 세포는 CD4+ T 세포 중 하나로 과도한 면역반응을 억제하여 면역 자기 관용 (Self-tolerance) 및 면역체계의 항상성 유지하는 역할을 함
- 암에 노출된 Treg 세포는 tumor specific effector T (Teff) 세포의 활성을 억제하거나 PD-1 같은 면역억제 수용체 발현을 증가시켜 항암 면역반응을 억제하는 역할도 수행

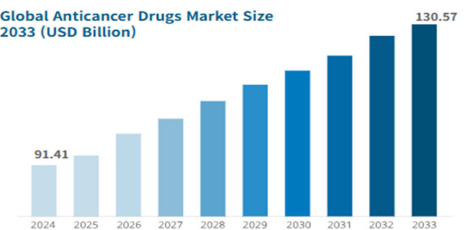
[개발기술개선점]

- 본 발명에 따른 화학식 1의 화합물은 IKZF2 단백질에 대하여 신규한 작용 기전을 갖는 작용제를 제공하며, IKZF2 단백질과 관련이 있는 질환 및 장애의 치료에 유용하며 특별히 암의 예방 또는 치료에 유용하게 이용될 수 있음

관련시장동향

- 다양한 고형암 치료제로 활용 가능하며, PD1 저해제인 키트루다와 병용 투여 가능
- 노바티스사 (DKY709) 임상 1상 진행 중단 (2024년)
- Plexium (PLX-4545, 2023년), BMS (2024년) 임상 1상 진행
- 그외 Proteovant, Gilead 등 다수 기업 특허 출원

Global Anticancer Drugs Market Size 2023 (USD Billion)



Business Idea / 응용·적용분야

- 신규 암치료에 적합한 MGD를 활용한 의약품
- 응용분야 : 면역항암제
- 적용제품 : 면역항암제



기술성숙도



Lab-scale 성능 평가 단계 : 실험실 규모의 기본성능 검증

IP Portfolio

No	발명의 명칭	국가	출원번호	출원일자	등록번호	등록일자
1	IKZF2를 분해하는 인돌 화합물 및 이의 용도	KR	10-2023-0013038	2023-01-31		
2		KR	10-2024-0013568	2024-01-29		
3		PCT	PCT/KR2024/001426	2024-01-30		

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