

# 뇌희귀질환 치료제 개발을 위한 제브라피쉬 기반 평가기술

연구책임자

배명애 책임연구원 · mbae@krikt.re.kr

한국화학연구원 의학바이오연구본부 희귀질환치료기술연구센터

## 요소기술별 분류

대분류	중분류	소분류
의료기반기술	의료 플랫폼 기술	기타 의료 플랫폼 기술

## 기술개요 및 개발배경

- 뇌희귀질환 (드라베/레트 증후군) 모델인 제브라피쉬를 이용한 치료 약물 후보물질 스크리닝 기술

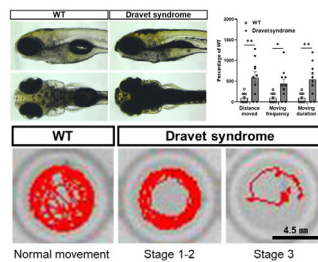
Core key word

#드라베 증후군  
#레트 증후군 #동물모델  
#제브라피쉬

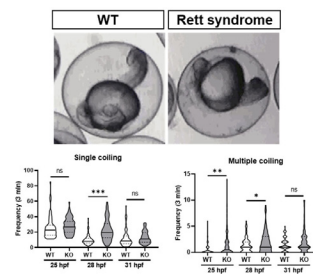
## 기술내용 및 대표이미지

뇌희귀질환(드라베/레트 증후군) 모델인 제브라피쉬를 이용한 치료 약물 후보물질 스크리닝 기술

- 척추동물 모델인 제브라피쉬 (Danio rerio, zebrafish)는 인간과 유전적 상동성이 높은 동물 모델로 다량의 투명한 발생배를 확보할 수 있어 다수의 약물에 대한 독성 및 효능 평가에 용이함.
- 본 연구에서는 뇌희귀질환으로 알려진 드라베 증후군 (Dravet syndrome)과 레트 증후군 (Rett syndrome)에 대한 치료 약물 발굴을 위하여 두 질환에 대한 제브라피쉬 질환 모델을 제작하였고, 이를 활용하여 드라베 증후군 치료 후보 약물을 발굴한 바 있음.
- 드라베 증후군은 영아기에 열을 동반한 발작을 시작으로 중증 근간대성 뇌전증 증상을 보이는 난치성 희귀질환임. 원인은 SCN1A 유전자의 돌연변이로 알려져짐.
- 드라베 증후군 제브라피쉬 모델은 치어 시기에서 과행동과 자세상실이 반복적으로 일어나는 발작 유사 행동이 관찰되며, 이를 완화시키는 방법으로 치료 후보물질 스크리닝에 활용 가능
- 레트 증후군은 거의 여아에게서 발생하는 희귀 유전적 신경 질환으로 말하기, 걷기, 먹기, 숨쉬기에 이르는 삶의 거의 모든 측면에서 영향을 끼치는 질환. 원인은 X염색체의 MECP2 유전자 돌연변이로 알려져짐.
- 레트 증후군 제브라피쉬 모델은 발생배 시기에 정상보다 자발적 꼬리 수축이 증가하는 경향이 관찰되며, 이를 완화시키는 방법으로 치료 후보 물질 스크리닝에 활용할 수 있음.



[Dravet syndrome in zebrafish larvae]



[Rett syndrome in zebrafish embryo]

## 기술 한계점 vs 개선점

### [ 기존기술한계점 ]

- 척추동물 모델인 제브라피쉬는 인간과 유전적 상동성이 높은 동물 모델로 다량의 투명한 발생배를 확보할 수 있어 다수의 약물에 대한 독성 및 효능 평가에 용이함

### [ 개발기술개선점 ]

- 본 연구에서는 뇌희귀질환으로 알려진 드라베 및 레트 증후군에 대한 치료 약물 발굴을 위하여 두 질환에 대한 제브라피쉬 질환 모델을 제작하고, 이를 활용하여 치료 후보 약물을 발굴한 바 있음

## 관련시장동향

- 25년 기준 신경퇴행성 질환 시장은 590.6억 달러로 예상되며, 2030년 833.7억 달러 추정 및 동 기간동안 CAGR은 7.14%로 전망됨



## Business Idea / 응용·적용분야

- 뇌 희귀질환 치료제 개발에 활용
- 응용분야: 뇌 희귀질환 치료제용 질환 모델
- 적용제품: 레트/드라베 증후군 치료제



## 기술성숙도



Lab-scale 성능 평가 단계 : 실험실 규모의 기본성능 검증

드라베 증후군 모델은 질환 모델 특이적인 표현형 평가 지표가 확립되었으며, 약물 평가지원 서비스에 활용 가능 / 레트 증후군 모델은 질환 모델 특이적인 표현형 평가 지표 연구 중

## IP Portfolio

No	발명의 명칭	국가	출원번호	출원일자	등록번호	등록일자
1	SCN1LAB 유전자 돌연변이를 갖는 제브라피쉬 모델 및 이의 용도	KR	10-2023-0115617	2023-08-31		
2	mecp2 유전자 돌연변이를 갖는 제브라피쉬 모델 및 이의 용도	KR	10-2024-0166177	2024-11-20		

## 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