

연구과제제안서(RFP)					
세부사업명	4031-301 의약품 등 안전관리(R&D)		과제번호	25202바약안003	
세사업명	2) 첨단바이오의약품 안전관리				
단위과제명	② 심사·평가 과학화 (첨단바이오의약품)				
과제명	유전자편집 및 전달 기술에 따른 유전자치료제 품질 평가기술 개발 연구				
제안부서	첨단바이오융복합연구과		주관/수행부서	첨단바이오융복합연구과	
참여부서	세포유전자치료제과	과제담당자	김선희		
			중복성 검토 실시여부 (○)		
유전자변형 생물체실험	포함 (○) 미포함 ()		동물실험	포함 () 미포함 (○)	
IRB 심의대상	인간(), 인체유래물(), 기타(), 미해당(○)				
연구기간	단년도		다년도	총(3)개년 (2025-02-01 ~ 2027-11-30)	
수행방법	자체		용역	공모	○
				지정	
소요예산	총액	1,950,000 천원	1차연도	650,000 천원	
			2차연도	650,000 천원	
			3차연도	650,000 천원	
			4차연도	0 천원	
			5차연도	0 천원	
연구형태	조사연구(), 시험연구(○)				
안전기술 분류체계	1	2	3	4	5
	D0107	D0211	D0307		

연구의 필요성	○ 최근 유전자 편집을 통해 난치성 질환*을 치료하는 유전자치료제**가 세계 최초로 영국('23.11) 및 미국 FDA('23.12)에서 허가되었음 * 겸상적혈구병(sickle cell disease), 재발성 혈관 막힘위기(recurrent vaso-occlusive crises) ** 허가 제품 : 카스게비(버텍스 파마슈티컬스&크리스퍼 테라퓨틱스社) ○ 기존의 CRISPR-Cas보다 더 정밀하고 안전한 차세대 유전자가위 기술(Base editing, Prime editing)뿐만 아니라 후성유전체 편집을 활용한 제품이 연구·개발 중임 ○ 현재 CRISPR-Cas를 이용한 유전자치료제의 허가 및 임상시험이 활발히 개발되고 있으나, 기술의 발전 속도에 비하여 품질 및 안전성 평가 시 활용할 수 있는 자료가 충분치 않은 실정임 ○ 따라서 유전자 편집 도구 및 전달 기술별 품질 평가 시험법을 개발하여 안전한 유전자 편집 유전자치료제 개발 및 심사에 활용할 필요가 있음
연구목표	(1차년) 동향정보집 발간, 유전자 편집 도구별 안전성 관련 분석법 SOP (2차년) 유전자 편집 도구 및 제조공정 중 잔류물질 분석법 SOP

	(3차년) 바이러스/비바이러스 품질관리 평가법 SOP, 유전자편집 도구 지속성 및 안정성 평가																																
연구내용	○ 본 연구의 범위 및 대상 - 유전자 편집 도구 : CRISPR-Cas, Base Edit, Prime Edit - 유전자 전달 기술 : 바이러스, 비바이러스 - 세포 조작 방법 : in vivo, ex vivo ○ 효율적인 연구 추진을 위해 필요한 경우 세부 과제로 구성할 수 있음 [1차년도] ○ 최신 연구 및 개발 동향 조사 및 정보집 발간 * 동종치료제 개발 동향, 후성유전체 편집 연구 및 개발 동향, Knock-in 시스템을 이용한 CDS 삽입 기술, Multiplex genome editing 등 ○ 유전자 편집 도구별 안전성 관련 문제점 발굴, 분석법 개발 및 검증을 통한 시험법 마련 - Large deletion, Bystander effect 등 발생 조건 분석 및 정량적 측정 방법 개발 * 예시 : Genome-wide off-target, Large deletion, Bystander effect, gRNA dependent/independent off-target, RNA off-target 등 - 편집 효율에 영향을 미치는 요인 발굴 및 확인 * 편집 효율을 확인할 수 있는 in vitro 시험법 개발 및 검증 [2차년도] ○ 유전자 편집 도구 및 제조에 사용되는 물질의 품질 검증 시험법 개발·검증 - 유전자 편집 구성요소(핵산분해효소, gRNA 등)에 대한 품질 관리 평가법 - 유전자 편집 도구의 제조 공정 중 잔류물질(주성분 유래 불순물, 공정 중 불순물 등)의 분석법 ○ 유전자 전달 기술에 따른 품질 관리 항목 및 평가법 초안 마련 - 바이러스 전달체(2종 이상)의 품질관리 항목 및 평가법 개발 - 비바이러스(Lipid nanoparticle, Virus-like particles 등)의 품질관리 항목 및 평가법 개발 [3차년도] ○ 바이러스 및 비바이러스 전달체의 품질관리 시 사용되는 평가법 검증 및 시험법 마련 ○ 유전자 편집 도구 지속성 및 안정성 평가 - 세포 조작 방법별 유전자 편집 도구의 ex vivo 또는 in vivo 조작 내 잔류 시간과 효율성 관계 탐색 및 전달체에 따른 세포별 또는 조직별 적정 잔류 시간 제시 * ex vivo: Plasmid DNA, gRNA, RNP 전달에 따른 세포 내 유전자 가위의 잔류시간, 효율성, off-target 효과 분석 * in vivo: 바이러스 및 비바이러스 전달에 따른 조직 내 유전자 가위의 잔류시간, 효율성, off-target 효과 분석																																
연구성과 활용유형	<table><tr><td>사회적성과_제도개선 및 정책활용</td><td>()</td><td>사회적 평가</td><td>()</td></tr><tr><td>제도개선 및 정책활용</td><td>()</td><td>과학적성과_사회적 평가</td><td>()</td></tr><tr><td>인력양성</td><td>()</td><td>지식재산</td><td>()</td></tr><tr><td>사회적성과_인력양성</td><td>()</td><td>기술적성과_지식재산</td><td>()</td></tr><tr><td>연구성과 홍보·확산</td><td>(○)</td><td>규제 과학적 근거 마련</td><td>(○)</td></tr><tr><td>사회적성과_연구성과 홍보·확산</td><td>()</td><td>기술적성과_규제 과학적 근거 마련</td><td>()</td></tr><tr><td>사회적성과_국제협력</td><td>()</td><td>성장 동력 창출</td><td>()</td></tr><tr><td>국제협력</td><td>()</td><td>기술적성과_성장 동력 창출</td><td>()</td></tr></table>	사회적성과_제도개선 및 정책활용	()	사회적 평가	()	제도개선 및 정책활용	()	과학적성과_사회적 평가	()	인력양성	()	지식재산	()	사회적성과_인력양성	()	기술적성과_지식재산	()	연구성과 홍보·확산	(○)	규제 과학적 근거 마련	(○)	사회적성과_연구성과 홍보·확산	()	기술적성과_규제 과학적 근거 마련	()	사회적성과_국제협력	()	성장 동력 창출	()	국제협력	()	기술적성과_성장 동력 창출	()
사회적성과_제도개선 및 정책활용	()	사회적 평가	()																														
제도개선 및 정책활용	()	과학적성과_사회적 평가	()																														
인력양성	()	지식재산	()																														
사회적성과_인력양성	()	기술적성과_지식재산	()																														
연구성과 홍보·확산	(○)	규제 과학적 근거 마련	(○)																														
사회적성과_연구성과 홍보·확산	()	기술적성과_규제 과학적 근거 마련	()																														
사회적성과_국제협력	()	성장 동력 창출	()																														
국제협력	()	기술적성과_성장 동력 창출	()																														

		과학적성과_학술성과	()	DB 구축 및 활용	()	
		학술성과	(○)	인프라성과_DB 구축 및 활용	()	
		과학적성과_신 자원·물질	()	경제적성과_기술사업화	()	
		신자원 · 물질	()	기술사업화	()	
		사회적 평가	()			
기대성과		○ 최신 기술이 도입된 유전자치료제의 품질평가 시험법을 선제적으로 마련함으로써 안전한 의약품 심사·평가의 과학적 근거 마련				
연구성과 활용계획		○ 유전자 편집 유전자치료제 개발 및 심사·평가시 활용				
색인	국문	유전자 편집	전달체	후성유전체 편집	유전자치료제	안전성
단어	영문	gene editing	delivery system	epigenome editing	gene therapy product	safety