

117

테크비즈 파트너링 기술분류 + 바이오융합기술

## 폐 조직 선택적 핵산약물 전달 기술

+ 연구자\_한국전기연구원\_조영식  
 + 기술완성단계\_TRL 5(구현환경 적용실험)  
 + Keyword\_폐섬유증, 약물전달체

## 지재권현황

권리현황	특허번호	발명의 명칭
등록	10-1973043	생체 내 효소 단백질 전달을 위한 핵산 구조체 및 그의 용도
출원	10-2019-0138845	폐 섬유증의 예방 또는 치료를 위한 올리고 뉴클레오티드 중합체와 생체 적합성 양이온성 펩타이드로 이루어지는 폐특이적 약물 전달체 및 이의 이용

## 기술성

### ▶ 기존 기술의 문제점

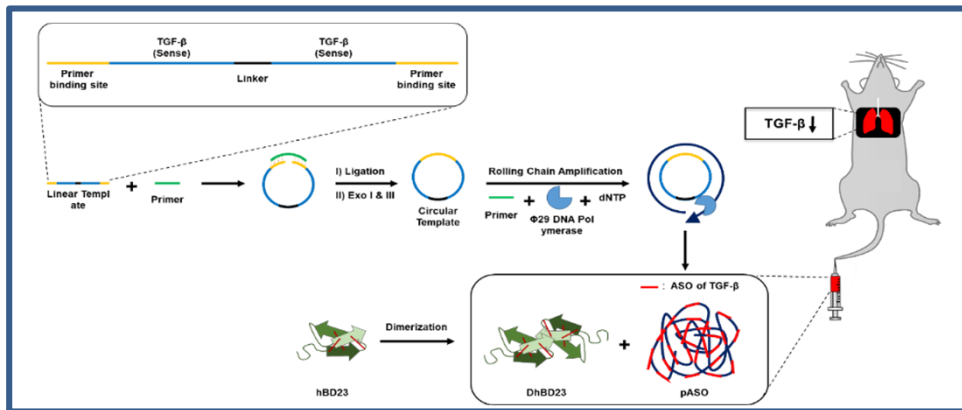
- ▶ 폐 섬유증의 발병율은 증가하고 있으나, 이에 대한 현재의 치료방법은 매우 제한되어 있음
- ▶ 섬유증이 진행되는 동안, 많은 성장 인자가 상향 조절되며, 섬유 증식 과정에서 중심적인 역할을 하는 TGF- $\beta$  및 이의 하류 유전자가 질병의 치료를 위한 잠재적 표적이 될 수 있음
- ▶ TGF- $\beta$ 를 표적으로 하는 ASO 및 siRNA 및 관련 하류 인자는 심장, 신장 및 장과 같은 다른 조직에서 섬유증의 치료를 위한 잠재적 치료제로서 사용되어 옴
- ▶ 이 인자들이 다른 조직에서 표적의 바람직하지 않은 억제로 인한 부작용 방지를 위해 올리고뉴클레오티드 등을 이용한 폐-특이적 전달이 필요함

### ▶ 기존 기술과의 차별성(기술의 특징점 또는 효과 등)

- ▶ 폐 섬유증 치료를 위해 생체 적합성 양이온 펩타이드를 활용하여 약물 전달체 개발
  - 안티센스 올리고뉴클레오티드(antisense oligonucleotides, ASO) 및 mRNA를 표적으로 하는 작은 간섭 RNA(siRNA)와 같은 올리고뉴클레오티드 기반 유전자 조절자는 소분자 약물로 다루기 어려운 질병을 치료하는 유망한 분자임
  - 복잡한 단백질 구조를 고려하지 않고 표적 서열을 기반으로 간단하게 설계할 수 있으며 표적에 독성이 비교적 낮은 녹다운(Knock-down)을 제공함
  - 폐 섬유증을 치료하기 위해, TGF- $\beta$  mRNA를 표적으로 하는 ASO의 시스템적 폐 특이 전달에 대한 전달체로 생체 적합성 양이온 펩타이드를 활용하였음

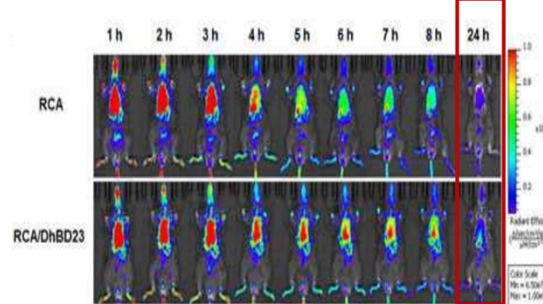
➤ **주요기술구성(상세설명 등)**

- ▶ 안티센스 올리고뉴클레오티드(pASO)와 이량체 베타-디펜신 펩타이드를 결합하여 폐섬유증 치료제를 개발함
- ▶ 롤링 서클 증폭(RCA) 방법을 이용하여 Target sequence를 여러 번 복제하여 pASO를 생성함
- ▶ 이량체 베타-디펜신 펩타이드와 결합하여 폐 선택적으로 약물을 전달함

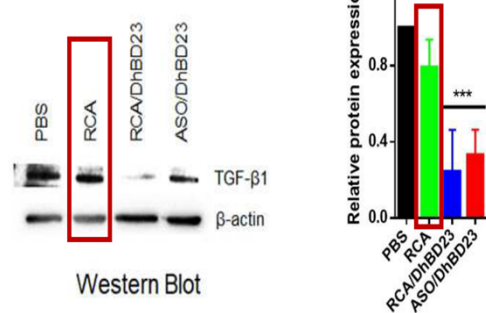


RCA/DhBD23 복합체의 블레오마이신-유발 폐 섬유증 마우스 모델에서의 폐 특이적 축적 및 TGF-β 녹다운 효과 검정

A. 생체 내 및 생체 외 형광 이미징



B. 생체 내 TGF-β의 녹다운 확인 결과



**활용분야**

➤ **적용분야 및 적용제품**

- ▶ 폐 섬유증 치료제
- ▶ 기타 폐질환 치료제

**문의처**



담당자 배영심 변리사  
 연락처 02-958-6889  
 이메일 ysbae@kist.re.kr



담당자 홍유성 차장  
 연락처 010-3426-5579  
 이메일 cjsfkr@sypip.com