유전자치료 기반기술 구축

과기부, 선도기술개발사업(G7 프로젝트) 성과 보고

과학기술부 G7 프로젝트로 선정돼 연구를 진행해온 서울대 김선영 박사팀은 G7 프로젝트를 통해 우수한 유전자전달체와 이에 수반되는 시스템을 개발해 지적재산권을 확보하고 이에 기반한 다양한 질병치료제를 개발했다.

유전자치료는 인체에 유전물질을 도입해 불치, 난치병을 치료하는 재료와 이에 관련된 기술을 통칭하는 표현으로 유전자치료에 유전자가 치료약으로 사용되는 것이다.

많은 의약품들이 단순히 질병의 증상만을 치료하는 것임에 반해 유전자치료는 유전적 결함을 보정한다든지, 세포에 새로운 유전적 기능을 부여하는 등의 방법으로 질병의 원인을 치료한다는 점에서 지금까지의 의약품과는 근본적으로 다른 성격들을 가지고 있다.

유전자치료의 핵심소재는 치료유전자, 유전자전달체, 세포공학기술로 현재 유전자치료제의 제품화에 가장 큰 장애가 되고 있는 것은 안전하면서도 효율적으로 인체에 유전자를 전달할 수 있는 유전자전달체가 없다는 점으로 지적되고 있다.

현재 유전자치료에 사용되는 유전자전달체 중 가장 빈번하게 사용되는 것은 레트로바이러스 벡터로 전세계적으로 허가를 받은 유전자치료 임상시험의 40% 이상에서 레트로바이러스 벡터가 사용되고 있다.

유전자치료에 사용되는 대부분의 레트로바이러스 벡터는 뮤린 류케미아 바이러스(Murine Leukemia Virus) 게놈을 기본 게놈으로 사용하고 있는데, 바이러스 제조가 비교적 간단하고, 안정하게 장기간 유전자 발현이 지속되는 등의 많은 장점을 가지고 있으나 기존의 레트로바이러스 벡터는 안전성과 유전자 발현량, 바이러스 생산 농도 측면에서 아직도 많은 개선의 여지가 있다.

연구팀은 기존 레트로바이러스 벡터의 단점을 개선해 안전성과 유전자 발현 수준이 향상된 세계 최고급의 레트로바이러스 벡터들을 개발했다. 바이러스 코딩 염기서열이 완전 제거돼 동종재조합에 의한 복제가능 바이러스 생산 가능성이 전혀 없어 안전하면서 기존의 벡터들에 비해 유전자 발현량, 바이러스 생산량이 우수하다. 또 기반기술의 성격을 가져 매우 다양한 질병에 적용될 수 있어 파급효과가 큰 것으로 지적되고 있다.

연구팀의 레트로바이러스 근간기술을 이용해 치료제 개발이 가능한 대상에는 골수이식으로 치료가 가능한 모든 질환이 포함된다. 즉, 단일 유전자 결함에 의한 유전병으로, 골수줄기세포에 정상유전자를 전달해줌으로써 치유가 가능한 질병인 중증의 선천성 면역결핍증과 헌터증후군, 고셔병등의 각종 대사질환, 혈우병 등의 혈액질환 등이 모두 대상이 될 수 있다.

연구결과의 개선된 레트로바이러스 벡터 관련기술은 다수의 국내외 특허로 출원/등록돼 있는데, 2세대 레트로바이러스 벡터는 한국, 미국, 영국에 특허 등록됐으며, 3세대 레트로바이러스 벡터는 싱가폴에서 특허등록됐고, 곧 미국에서도 등록될 예정이다.

일부 품목은 일본의 타카라 슈조로 라이선싱해 현재 전세계로 판매중이다.

<Chemical Daily News 2002/10/22>