

ICGM Newsletter

유전자의학 이노베이션센터에서 발행하는 소식지입니다.

2020-12 11호

RNAi-based Gene Therapy (상)



이바다 박사과정 연구원 / 최진우 교수 경희대학교 약학대학

연속되는 2편의 기고문을 통해 RNAi를 이용한 신약개발의 현황을 알아보려고 합니다. 세포내 전달의 기술적 해결 방안, CRISPR-CAS9 과의 차별성, 앞으로 넘어야 할 문제점 등에 대해 다룰 것이며, 이 글은 그 중 첫번째 기고문입니다.

Abstract

RNA 간섭(RNA interference, RNAi)은 특정 유전자를 침묵(silencing)하여 mRNA의 안정성 및 단백질 번역(translation)을 조절하는 메커니즘이다. 이중가닥(double strand)으로 이루어진 작은 RNA 분자를 이용하면 특정 유전자의 침묵(silencing)을 효과적으로 유도할 수 있으나, 이를 치료적으로 적용하기에는 안전성 및 효능과 관련된 수많은 한계점이 존재한다. 하지만 2018년 8월 미국 Food and Drug Administration (FDA)가 처음으로 RNAi 기반 약물(Onpattro®)을 승인하면서 RNAi 치료제 분야에 새로운 가능성이 제시되었다.

본 글에서는 RNAi의 작용 기전 및 치료제로서의 개발 역사를 살펴보고 최근까지 개발된 RNAi의 치료적 장점 및 한계점을 비교하며, RNAi 분자 전달 방식을 비바이러스적 및 바이러스적 방식으로 분류하여 비교하고자 한다. 또한 현재 유전자 치료제 분야에서 각광받고 있는 CRISPR/Cas9시스템과 비교하여 RNAi 기술의 장단점 및 필요성을 시사하고, 마지막으로 최근 진행되고 있는 RNAi 관련 임상시험을 각 전달 방식에 기반하여 정리하고 최근 RNAi 기술의 연구 동향을 분석하고자 한다.

RNAi 치료의 개념 및 역사

1998년, Andrew Fire와 Craig Mello는 *Caenorhabditis elegans*에서 전사 후 유전자침묵(post-transcriptional gene silencing, PTGS)을 유도할 수 있는 이중가닥 RNA (double-strand RNA, dsRNA)를 처음 관찰하였고 이 현상을 RNAi라 명명하였다.

포유류 세포에서 RNAi 침묵이 일어나는 과정을 보면 먼저 miRNA의 초기 형태인 primary microRNA (miRNA) transcript (pri-miRNA)가 핵 내에서 전사된 후 microprocessor complex (Drosha-DGCR8)에 의해 pre-miRNA라 불리는 30 뉴클레오타이드(nucleotide, nt) 내외의 짧은 헤어핀 RNA (short-hairpin RNA, shRNA)로 잘린다.

[더보기](#) 더보기를 클릭하시면 바로 다운로드 하실 수 있습니다.

NOTICE

2020 KRIBB Annual Conference

일시 | 2020. 12. 9 (수) ~10 (목) 10:30~18:00
참가 | 한국생명공학연구원 YouTube 채널 내 라이브 스트리밍 또는 Cisco Webex를 통한 온라인 화상회의 참가

[프로그램 바로가기](#)

KSBMB Partnership Workshop

일시 | 2020. 12. 7 (월) ~13. (일)
장소 | 온라인 개최
참가비 | 무료

[Thermo Fisher] 세포유전자 치료제 e-conference : 12/15-16

일시 | 2020. 12. 15 (화) ~16 (수)
장소 | 온라인 개최
사전등록 | 11. 23 ~ 12. 14

[사전 등록 바로가기](#)

[식약처] 첨단바이오의약품 장기추적조사 가이드라인(안)

식품의약품안전평가원 세포유전자치료제과에서는 첨단재생 바이오법 시행에 따라 장기추적조사 대상을 명확히 하고 관련 고려사항을 제시하기 위해 '첨단바이오의약품 장기추적조사 가이드라인(안)'을 마련하였습니다.

[가이드라인 바로가기](#)