

# 보도자료



작성부서	(주)바이오니아 신약연구부문		
책임자	양주성 이사(042-930-8670)	담당자	이역수 팀장 (042-930-8590)
2014. 11. 25(화) 배포 시 취급하여 주시기 바랍니다.			

## 바이오니아, RNAi 나노입자 SAMiRNA™ 원천기술을 이용한 뎅기 치료제 개발 보건복지부 지원, 혁신형 제약기업 국제공동연구 지원 과제 선정

- 바이오니아, 차세대 신약 기반기술 SAMiRNA™ 나노입자를 이용한 뎅기 치료제 개발과제가 보건복지부 지원, 혁신형 제약기업 국제공동연구 지원과제로 선정.
- 바이오니아가 특허 출원한 SAMiRNA™기술이 적용된 뎅기 치료제 후보물질을 협력연구 수행기관인 미국 라호야(La Jolla) 알레르기-면역학 연구소에서 뎅기 바이러스를 실험동물에 공격 접종 후 치료제의 효능평가를 수행할 예정.
- 지난 11월 4일 태국 왕립 마히돌대학교 의과대학 씨리랏 병원의 뎅기출혈열 연구그룹과 MOU를 통해 임상평가 등 뎅기 연구 전반 공동연구 환경을 이미 구축하여, 본 협력연구를 통해 향후 뎅기 치료제의 실용화 기반을 더욱 견고히 함.
- 뎅기(출혈)열은 30억 명의 인구가 사는 전세계 110여 개 국가의 지역에서 모기에 의해 감염되며 치사율이 1~5%로 매년 4억명 정도가 감염되어 고열 등의 증상으로 5천만 명이 병원치료를 받으며, 이들 중 수만 명이 출혈열 증세로 사망하는 질병임.
- 국내의 경우, 제주도에서 뎅기 바이러스를 전파시키는 흰줄이집트숲모기가 작년 여름에 처음으로 발견되었고(2013.07.28), 빈번한 동남아시아 여행과 봉사활동 증가로 최근 해마다 200여명 이상의 해외감염자가 발생, 지구의 온난화에 따른 한반도 아열대화도 우리나라에도 발생가능성이 높은 질병임.
- 이번 과제 지원으로 현재 상용화된 치료제나 예방백신이 없는 뎅기 치료제 개발로 다국적 제약사와의 라이선싱 기대.

바이오니아(대표이사 박한오)의 “신개념 RNAi 나노입자를 이용한 뎅기출혈열 치료제” 신약개발 기술이 보건복지부 지원 혁신형 제약기업 국제공동연구 지원과제로 선정되어 한국보

건산업진흥원과 과제협약을 체결했다고 밝혔다.

(주)바이오니아는 향후 2년간 정부지원금(1차년도 5억원)을 포함하여 총 13.3억 원을 투자하여 나노입자형 RNAi 치료제 신기술인 새미알앤에이(SAMiRNA™)를 이용한 Dengue 치료제 개발에 나선다.

이번 과제를 통해 바이오니아는 동물을 대상으로 바이러스 증식 억제효과 및 생존을 확인 실험을 통해 SAMiRNA™기술이 적용된 치료제의 유효성을 증명할 예정이다. 이 동물 실험은 Dengue 바이러스 동물모델 시스템을 구축하고 있는 세계 선도그룹인 미국 샌디에고 소재의 라호야 알레르기-면역학 연구소에서 수행하게 된다.

바이오니아는 지난 11월 4일 태국 왕립 마히돌대학교 의과대학 씨리랏 병원의 Dengue 출혈열 연구그룹과 MOU를 통해 임상평가 등 Dengue 연구 전반에 대한 공동연구 환경을 이미 구축하였고, 이번 협력과제를 통해 향후 Dengue 치료제의 실용화 기반이 더욱 견고해질 것으로 기대하고 있다.

Dengue열은 30억 명의 인구가 사는 전세계 110여 개 국가의 도시지역에서 모기에 의해 감염되며 치사율이 1~5%에 달한다. 최근에는 북미와 유럽을 비롯해 금년에는 일본에서도 70년 만에 Dengue열이 발생해 도쿄 시내 요요기 공원이 폐쇄되기도 했다. 이러한 상황을 볼 때 우리나라도 Dengue(출혈)열 환자의 발생 위험을 간과할 수 없는 상황이다.

지난 50년 동안 전 세계적으로 Dengue(출혈)열 발생 국가 수는 30배 증가하였고, 지구온난화로 인해 개발국과 개발도상국 구분없이 치료제 적용 대상 환자층이 다양화되고 증가하는 추세이다. 그럼에도 불구하고, 현재 Dengue(출혈)열에 대한 예방 백신 및 치료제가 전무한 상태이다. 최근 백신개발을 진행하고 있는 글로벌 제약사들은 2020년 예방백신의 매출액을 31억여 달러로 전망하고 있으며, Dengue 치료제 시장규모 또한 클 것으로 예측된다.

바이오니아에서는 2011년부터 4가지 혈청형(1, 2, 3, 4)의 Dengue 바이러스 RNA 유전체들을 모두 분해하여 바이러스증식을 효과적으로 차단시킴으로써 세포 내 바이러스 생산을 억제할 수 있는 SAMiRNA™기술이 적용된 치료물질을 개발해 특허 출원한 바 있다.

이번 연구를 통해 동물에서 이 치료물질의 효과가 검증되면 Dengue 출혈열(DHF) 및 Dengue 쇼크증후군(DSS)을 치료할 수 있는 새로운 RNAi 치료제로서 Dengue열 뿐만 아니라 다양한 출혈열 바이러스 치료제 개발에서도 획기적인 전기가 마련될 것으로 보고 있다.

과제 연구책임자인 양주성 이사는 “이번 과제의 지원을 통해서 바이오니아의 SAMiRNA™ 기술을 적용한 Dengue 치료제 개발로 국내·외의 인수공통을 포함하는 신·변종 감염성 바이러스 출현에 대해 신속하게 대처할 수 있는 최상의 대응전략으로써 적용 가능성이 증명될 것으로 보고 있다. 이를 통해 전세계에서 출현하고 있는 신종 바이러스성 질병에 대한 종합적인 대책의 일환으로 제시될 수 있기를 기대 하고 있으며, 에볼라출혈열과 라싸열과 같은 다

양한 바이러스성 출혈열 치료제 개발로도 적용 가능할 것"이라고 말했다.

현재 바이오니아가 개발한 세계 유일의 단일분자 RNAi(RNA interference) 나노입자 SAMiRNA™ 기술은 식약처 인증 비임상시험실시기관(GLP)의 독성시험을 통해 유효 약물농도보다 20배인 100 mg/kg으로 4주 반복투여 시험에서도 독성이 관찰되지 않은 매우 안전한 물질로 밝혀졌다. 현재 바이오니아는 SAMiRNA™ 기술을 적용해 사노피사와 공동으로 간암 치료제를 개발하고 있으며, 범부처신약개발사업단의 지원으로 특발성 폐섬유화증(IPF) 치료제 개발에 나서는 등 치료제가 없는 난치성 질환들을 타깃으로 다양한 신약개발을 추진하고 있다.



#### **Dengue virus 에 의한 감염:**

-뎅기 바이러스(Dengue virus; DENV) 감염증의 잠복기간은 3~8 일 정도이며, 대다수의 환자는 근육통·관절통을 동반한 고열과 발진, 경미한 출혈 및 독감과 유사한 증상 등을 나타내는 뎅기열(Dengue Fever; DF)을 앓게 됨.

-뎅기 바이러스는 항원 특성에 따라서 4 가지(DENV1~4) 혈청형으로 분류됨. 한 혈청형에 의한 감염은 나머지 3 가지 혈청형에 대한 방어면역을 형성하지 않고, 오히려 다른 혈청형의 바이러스에 감염될 경우 증상이 악화되며 뎅기출혈열(Dengue Hemorrhagic Fever; DHF) 또는 뎅기쇼크증후군(Dengue Shock Syndrome; DSS)으로 진행될 위험 가능성이 높아짐. DHF 와 DSS 는 주로 어린아이에서 많이 나타남. 여러 뎅기 바이러스의 혈청형이 공존하는 지역에 거주하는 사람들은 중증의 DHF 또는 DSS 의 감염 위험에 더 많이 노출되어 있음. DHF 는 적절한 임상 치료를 수행하지 않을 경우 치명률이 20% 이상으로 높지만 집중적인 치료 시 1% 이하로 줄일 수 있어 정확한 진단이 매우 중요함.

-현재 특정 치료제가 없음.

#### **작은 간섭 알앤에이 (siRNA: small interfering RNA):**

타깃 세포에 들어가 상동성이 있는 목표유전자의 mRNA(messenger RNA)를 서열 특이적으로 인식하여 분해하는 과정을 통해 목표 유전자의 발현을 저해하는 기술로서, 질병에 관련된 유전자의 발현을 억제함으로써 병을 치유할 수 있는 신개념의 신약이 될 것으로 기대되는 분야임. 얼라이드 마켓 리서치에 의하면 세계 RNA-기반 치료제 시장이 연평균 28.4%씩 급성장해 2020년까지 12억 달러 규모에 도달할 것이라고 예측함

#### **새미알앤에이 SAMiRNA™:**

SAMiRNA™는 바이오니아의 원천물질특허로 RNAi신약 분야의 혁신적인 기반기술로서, 질병을 일으키는 특정 RNA를 분해하여 단백질을 형성하지 못하게 하는 기술이며, 암 및 다양한 난치성 질병치료제에 적용 가능한 차세대 신약기반 기술임

SAMiRNA™는 "질병단백질을 생산하는 RNA를 파괴하는 나노입자 치료제"로 기존 siRNA 신약기술들의 문제점들을 혁신적으로 극복했음. 주사제로 사용되었을 때 혈액 내에서 보다 안정적이며, 초급면역반응을 일으키지 않아 부작용이 없고, 나노입자 물질 자체의 독성이 매우 낮아

치료제로서의 안전성이 뛰어나며, 치료물질의 단 분자 생산이 가능하여 대량생산이 가능하고 QC 과정이 용이하므로 RNAi 신약개발에서의 unmet needs 를 충족하는 획기적인 나노입자 원천기술임. 현재 바이오니아는 난치성 질병을 대상으로 다양한 치료제 개발을 진행하고 있음

**(주)바이오니아(Bioneer)에 대하여:**

유전자기술 전문기업인 (주)바이오니아(064550.KQ)는 2001년부터 siRNA 연구에 R&D 역량을 집중하여 siRNA합성에 필요한 원료물질들을 모두 개발 양산하고 있으며, 하루에 수천 종의 siRNA를 생산할 수 있는 대량생산체제도 갖추고 있음. 또한, 이 분야의 신약개발의 핵심기술로 자리매김할 SAMiRNA™ 기술에 대한 원천 특허와 다양한 응용 특허 포트폴리오도 구축하였음. 이러한 SAMiRNA™ 신약기술과 역량으로, 글로벌 제약회사들과 전세계적인 블록버스터 신약 공동개발 및 기술이전을 추진해 가고 있음.

지난해 글로벌 5대 제약회사 중 한 곳인 사노피사와 SAMiRNA™ 기술을 이용한 항암 신약 공동연구를 통해 간암 등 고형암에 대한 SAMiRNA™ 치료제의 유효성을 검증했고, 올 초에 추가 공동연구계약을 통해 치료제 개발 연구를 진행하고 있으며, 2012년 혁신형제약기업으로 선정됨.