

배포일시	2019.07.31(수)
보도요청	배포시 취급해 주시기 바랍니다.
담당자	기획팀 부장 이억수(042-930-8677) 부장 이성국(042-930-8513)

바이오니아, RNAi 신약 후보물질 전임상 독성시험 성공

- RNAi 기반 특발성 폐섬유증 치료제 후보물질의 설치류, 영장류 대상 독성시험에서 기존 siRNA의 선천면역 관련 부작용 해소 등 안전성 확인
- 2020년 상반기 임상 1상 진행. 특발성 폐섬유증에 대한 RNAi 기반 first-in-class 치료제 개발 시 다국적 제약사와의 라이선싱 기대

(주)바이오니아(대표이사 박한오)가 특발성 폐섬유증(IPF) 신약후보물질 'SAMiRNA-AREG(Amphiregulin)'의 전임상 독성시험에서 안전성을 입증했다고 31 일 밝혔다.

바이오니아는 자체 개발한 RNAi 기반 플랫폼 원천기술인 SAMiRNA™를 이용해 특발성 폐섬유증에 효과가 있는 치료제 후보물질 SAMiRNA-AREG 을 도출했고, 동물실험에서 콜라겐 생성 억제 등 우수한 효능이 확인되었다. 특히 주목할 만한 것은 영장류에 대한 전신투여 안정성시험에서 기존 siRNA 신약의 공통적인 부작용인 선천면역자극(innate immune stimulation) 관련 부작용이 나타나지 않았다.

이번 전임상 독성시험은 식약처 비임상시험관리기준(GLP, 식약처 고시)에 의해 지정 받은 안전성평가연구소와 미국 전임상 시험 전문업체 찰스리버 랩(Charles River Laboratories)에서 진행되었다.

안전성평가연구소는 설치류와 영장류를 대상으로 일반독성시험(4 주 반복투여독성시험), 유전독성, 안전성약리시험을 실시했고, 찰스리버 랩은 영장류를 대상으로 심혈관계 안전성 약리시험을 실시했다. 그 결과 모든 파라미터에서 어떤 이상이나 변화가 발견되지 않아 약물동태학, 약리학, 조직병리학적으로 SAMiRNA-AREG 의 뛰어난 안전성이 확인되었다.

특발성 폐섬유증은 발병 원인 미상인 질환으로, 폐가 섬유화되면서 지속적으로 폐 기능이 저하되어 심각한 호흡 장애를 불러일으킨다. 진단 후 5년 생존율이 43%, 10년 생존율이 15% 정도로 치사율이 매우 높은 난치성 질병이다.

바이오니아 박한오 대표는 “기존에 개발되어 온 타사의 siRNA 신약후보물질들은 선천면역반응을 유도하여 부작용을 일으키는 문제점이 있었으나, 신약후보물질인 SAMiRNA-AREG는 SAMiRNA™의 독창적인 구조로 인해 인간과 가장 가까운 영장류를 대상으로 한 독성시험에서 이런 부작용이 없이 안전성이 입증되었으므로, 내년부터 진행될 임상시험을 통해 siRNA 신약개발의 새로운 지평을 열 수 있을 것이다”라고 언급하고 향후 “폐섬유증 치료제가 개발되면 간경화증, 신부전증, 만성 심근경색 등 근본적으로 발병 기전이 유사한 다른 난치성 섬유화증 질병들에 대해서도 적용할 수 있을 것”이라고 말했다.

회사 측은 특발성 폐섬유증을 대상으로 2020년 상반기에 임상 1상을 진행하는 것을 목표로 현재 임상 CRO 선정을 완료하고 식약처 임상시험계획(IND) 신청자료를 준비 중이라고 밝혔다.

아직까지 특발성 폐섬유증 완치를 위한 치료제는 개발되지 않았고 병의 진행을 늦추는 치료제만 개발되어 있어서 근본적인 치료를 위한 항체, 소분자 신약 등 많은 신약들이 경쟁적으로 개발되고 있다. 단일분자 RNAi 나노입자 신기술인 SAMiRNA™ 기반으로 최초신약(first-in-class) 개발 시 난치병 신약개발의 새로운 장을 열 것으로 기대된다.

바이오니아의 SAMiRNA™를 이용한 특발성 폐섬유증 치료제 혁신신약 개발 프로젝트는 (재)범부처신약개발사업단(단장 목현상)의 범부처전주기신약개발사업 과제로 선정되어 수행 중이다. 범부처전주기신약개발사업은 글로벌 신약개발을 통한 세계 시장 진출 지원 및 우리나라 제약기업의 경쟁력 확보를 위해 출범한 범부처 정부 연구개발(R&D) 사업이다.

SAMiRNA™ (Self-Assembled-Micelle-inhibitory-RNA)

바이오니아가 자체 개발한 단일분자 RNAi 나노입자로서 미국을 비롯한 전세계 주요국가에 물질특허를 등록한 플랫폼 기술이다. RNA의 염기서열을 특이적으로 공략할 수 있어 다양한 난치병의 원인 유전자를 대상으로 빠르게 신약을 개발할 수 있는 장점이 있다. SAMiRNA™는 단일분자(single chemical entity)로 만들어지기 때문에, 전자동합성기에서 경제적으로 생산할 수 있는 장점뿐만 아니라, 전달체가 필요 없고, 혈액 내 안정성이 뛰어나며, 독성이 매우 적다는 장점이 있다. 기존의 siRNA 치료제기술들의 여러 문제점들을 극복한 차세대 siRNA 치료제로서 임상개발 성공 시 수많은 난치병 치료제들을 빠르게 개발할 수 있어 주목되는 있는 기술이다.