

한국생명공학연구원 실명제 사업내역서

사업실명제 등록번호	2023-09	담당부서 작성자	유전자교정연구센터, 이정미 (042-860-4134/jm0223@kribb.re.kr)
정 책 명	신규 유전자가위 기반 유전자치료 원천기술 개발		
사업개요 및 추진경과	○ 추진배경 - 유전자가위는 4차 산업혁명의 핵심기술로 향후 시장이 크게 성장할 것으로 전망, 다양한 유전자교정 플랫폼 기술의 보급으로 현재 근본적 치료법이 부재한 희귀난치유전질환의 치료법을 제공할 것으로 기대 ○ 추진기간(단계) : 2019.01.01 ~ 2024.12.31. ○ 총사업비('23년) : 844백만원 ○ 주요내용 - 초소형 유전자가위를 이용한 유전자 치료제 개발 · 초소형 신규 유전자 가위 기술의 고효율 확립 · 유전자 가위 기반 유전병 치료 플랫폼 구축 · 바이러스 전달체를 이용한 유전자 전달 시스템 구축 - 신규 유전자가위 기반 분자진단기술 개발 · 인공지능 기반 차세대 크리스퍼 시스템 구축 · 현장 진단 시스템 구축 · 차세대 단백질과 고효율 탐지 발색체 이용 감도 향상 - 인간질환 형질전환 중대동물 모델 개발 · 중대동물 유전질환 모델 시스템 개발 및 고도화 · 인간질환 미니 돼지 모델 생산 및 표현형 분석 ○ 추진경과 - ('19.1. ~ '19.12) 1차년도 - ('20.1. ~ '20.12) 2차년도 - ('21.1. ~ '21.12) 3차년도 - ('22.1. ~ '22.12) 4차년도 - ('23.1. ~ 현재) 5차년도		

사업수행자 (관련자 및 업무분담 내용)	○ 최초 입안자 및 최종 결재자 － 최초 입안자 : 유전자교정연구센터 책임연구원 김용삼 － 최종 결재자('23년) : 원장 김장성 ○ 사업 관련자 <table><tr><th>구분</th><th>성명</th><th>직급</th><th>수행기간</th><th>담당업무</th></tr><tr><td>연구책임자</td><td>고정현</td><td>책임</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자가위 기술 효율화 및 응용 연구</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>우의전</td><td>선임</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자가위 기반 진단 기법 연구</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>심보웅</td><td>선임</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>질환모델제작 및 표현형분석</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>강정구</td><td>원급</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자가위 기술 응용연구</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>이정미</td><td>원급</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자 가위 기술 개발</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>손혜진</td><td>원급</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자가위 기술 개발</td></tr><tr><td>참여연구원</td><td>김정수</td><td>기사</td><td>'23.1.1 ~ '23.12.31</td><td>유전자가위 기술 응용연구</td></tr></table>	구분	성명	직급	수행기간	담당업무	연구책임자	고정현	책임	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 효율화 및 응용 연구	참여연구원	우의전	선임	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기반 진단 기법 연구	참여연구원	심보웅	선임	'23.1.1 ~ '23.12.31	질환모델제작 및 표현형분석	참여연구원	강정구	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 응용연구	참여연구원	이정미	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자 가위 기술 개발	참여연구원	손혜진	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 개발	참여연구원	김정수	기사	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 응용연구
구분	성명	직급	수행기간	담당업무																																					
연구책임자	고정현	책임	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 효율화 및 응용 연구																																					
참여연구원	우의전	선임	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기반 진단 기법 연구																																					
참여연구원	심보웅	선임	'23.1.1 ~ '23.12.31	질환모델제작 및 표현형분석																																					
참여연구원	강정구	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 응용연구																																					
참여연구원	이정미	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자 가위 기술 개발																																					
참여연구원	손혜진	원급	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 개발																																					
참여연구원	김정수	기사	'23.1.1 ~ '23.12.31	유전자가위 기술 응용연구																																					
다른기관 또는 민간인 관련자	없음																																								
추진실적	대표논문 ○ Covalent binding of uracil DNA glycosylase UdgX to abasic DNA upon uracil excision. Nature Chem. Biol. ('19) ○ Improving CRISPR Genome Editing by Engineering Guide RNAs. Trends Biotechnol. ('19) ○ Aglycosylated antibody-producing mice for aglycosylated antibody-lectin coupled immunoassay for the quantification of tumor markers (ALIUAT), Communications biology. ('20) ○ Selective Identification of α-Galactosyl Epitopes in N-Glycoproteins Using Characteristic Fragment Ions from Higher-Energy Collisional Dissociation, Analytical chemistry. ('20) ○ Highly efficient and safe genome editing by CRISPR-Cas12a using CRISPR RNA with a ribosyl-2'-O-methylated uridinylate-rich 3'-overhang in mouse zygotes, Experimental & Molecular Medicine. ('20) ○ Enhancement of target specificity of CRISPR-Cas12a by using a chimeric DNA-RNA guide, Nucleic Acids Research. ('20) ○ Prediction-based highly sensitive CRISPR off-target validation using																																								

- target-specific DNA enrichment, Nature communications ('20)
- CRISPR diagnosis and therapeutics with single base pair precision, Trends in Molecular Medicine. ('20)
 - Tetrameric architecture of an active phenol-bound form of the AAA+ transcriptional regulator DmpR, Nature Communications. ('20)
 - Detection of Infectious Viruses Using CRISPR-Cas12-Based Assay, Biosensors. ('21)
 - Efficient CRISPR editing with a hypercompact Cas12f1 and engineered guide RNAs delivered by adeno-associated virus, Nature Biotechnology.('21)
 - 2'-Hydroxy-cinnamaldehyde ameliorates imiquimod-induced psoriasiform inflammation by targeting PKM2-STAT3 signaling in mice, Experimental and Molecular Medicine. ('21)
 - Hypercompact adenine base editors based on transposase B guided by engineered RNA, Nature chemical biology('22)
 - Expansion of the Prime editing Modality with Cas9 from Francisella novicida. Genome Biology ('22)
 - Highly specific chimeric DNA-RNA guided genome editing with enhanced CRISPR-Cas12a system. Molecular Therapy - Nucleic Acids, ('22)
 - Dimeric architecture of maltodextrin glucosidase (MalZ) provides insights into the substrate recognition and hydrolysis mechanism. B.B.R.C.('22)

대표특허

- CRISPR/Cas14 시스템을 이용한 유전체 편집용 조성물 및 이의 용도 ('19)
- CRISPR/Cas12f1 시스템 효율화를 위한 엔지니어링 된 가이드 RNA 및 그 용도 ('20)
- Cas10/Csm4를 이용한 사이클릭 올리고아데닐레이트 제조방법('20)
- Cmah, Ggt1, 및 iGb3s 유전자가 결손된 형질전환 마우스, 및 그의 용도('21)
- 초소형 염기교정시스템 및 이의 용도('21)
- TaRGET 시스템을 이용한 상동지정복구 및 이의 용도 ('22)
- enCpf1 및 키메라 DNA-RNA 가이드를 포함하는 유전체 교정 또는 발현 억제용 조성물 ('22)

기술이전

- 핵산에 의해 가이드 되는 유전자-특이적 유전자 편집 기술
- 암 세포의 이동과 침윤 억제제

