신규의 개량된 염기 편집 또는 교정용 융합단백질 및 이의 용도

기술보유 기관	고려대학교 산학협력단	기술 판매 형식	양도, 통상실시권
연구 책임자	김 경 미 교수	기술완성 단계 (TRL)	4 단계_실험단계

기/술/개/요

- CRISPR/Cas9 시스템에 염색질 조절 펩타이드(Chromatin-modulating peptides :CMP)를 추가로 포함하여 염기 편집 효율을 개선하고, deadCas9(dCas9)를 이용하여 무작위 염기 삽입 및 결실 발생 빈도가 현격하게 감소한 신규 염기 편집기를 제공함

기존 기술의 문제점

① **기존 염기 편집기 변이체의 효율성 문제가 있음**

AncBE4max의 편집 효율은 69~77%, ABEmax의 편집 효율은 27~52%에 불과한 효율 향상 문제

원치 않는 추가적인 염기 서열의 삽입 및 결실과 오프타겟 문제

기술특징 및 대표도면

- CRISPR/Cas9 시스템에 제공되어 염기 편집 효율을 향상시킬 수 있는 융합단백질을 염기 편집기(base editor)로서 제공함

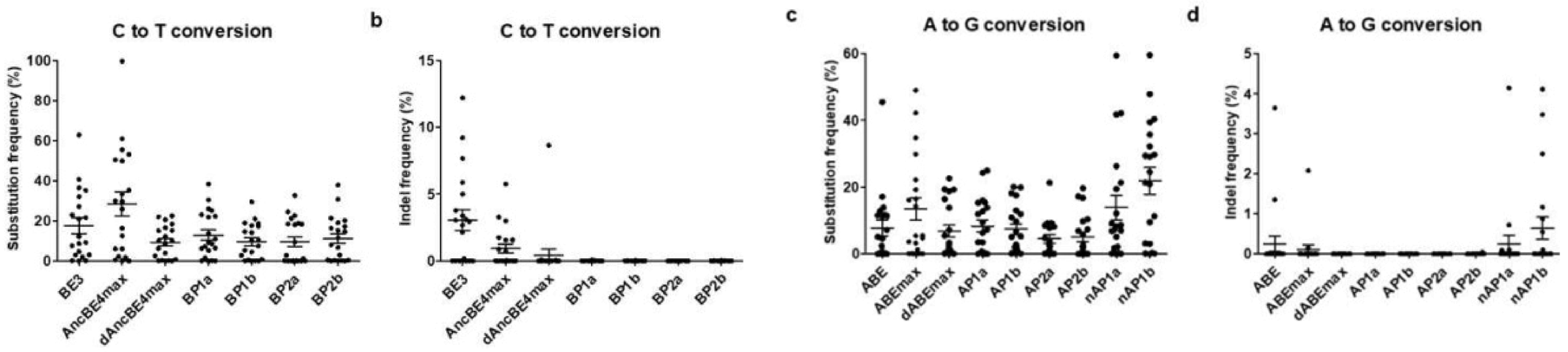
① 융합단백질은 Cas9 단백질과 함께 하나 이상의 염색질 조절 펩타이드(CMP)를 포함함

➢ CMP는 고-이동성 그룹 뉴클레오솜 결합 도메인 1 (high-mobility group nucleosome binding domain 1: HN1), 히스톤 H1 중심 구형 도메인 (histone H1 central globular domain: H1G), 및 이의 조합으로 이루어진 군으로부터 선택되는 1종 이상일 수 있음

② 융합단백질이 사이토신 디아미네이즈를 포함하여 CBE(사이토신 염기 편집기)로 제공되는 경우,
Cas9 단백질은 dead Cas9 (dCas9) 임

③ 융합단백질이 TadA(tRNA 아데노신 디아미네이즈)를 포함하여 ABE(아데닌 염기 편집기)로 제공되는 경우,
Cas9 단백질은 dCas9 또는 nickase Cas9 (nCas9) 임

『CBE 변이체의 염기 치환 효율』 『 무작위 인델 발생 빈도 』 『ABE 변이체의 염기 치환 효율』 『무작위 인델 발생 빈도』



[CMP를 포함하는 염기 편집기에서 원치 않는 무작위 인델이 제거됨을 확인함]

효과

- 융합 단백질은 염색질-조절 펩타이드(Chromation-modulating peptides, CMPs) 를 포함하여 염기 편집 효율이 향상됨
- dead Cas9을 이용하여 무작위 인델을 현저하게 감소시킴
- 증진된 게놈 편집 효율 및 표적 특이성이 담보된 염기 편집기를 제공함

시장 동향 및 기술적 유용성

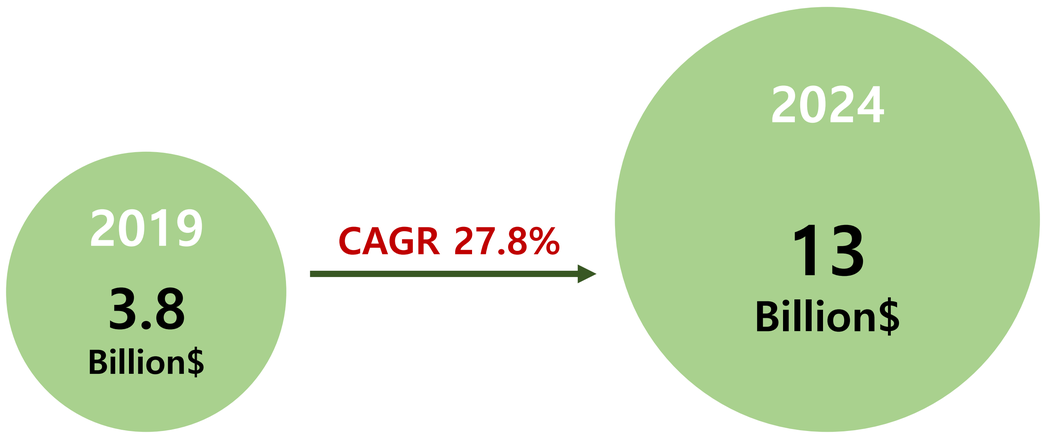
- 전 세계 유전자 치료 시장은 2019년 38억 달러에서 연평균 성장률 27.8%로 증가하여, 2024년에는 130억 달러에 이를 것으로 전망됨

➢ 유전자 치료 시장은 유전자 치료 연구에 대한 투자와 암 및 기타 표적 질환의 발생률이 증가함에 따라 성장하고 있음

- 국내 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 6,510만 달러 규모에서 2018년부터 2025년까지 연평균 41%로 성장하여 2025년에는 7.2억 달러 규모로 확대될 전망임

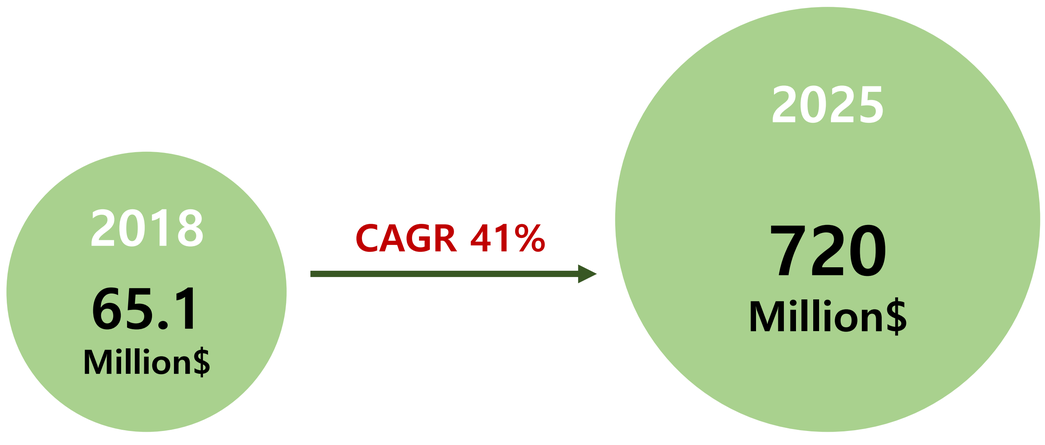
➢ 한국은 아시아·태평양 지역의 세포 및 유전자치료제 시장에서 가장 높은 점유율을 차지하고 있음

[세계 유전자 치료 시장 현황 및 전망]



* 출처 maximizemarketresearch

[국내 세포 및 유전자치료제 시장 현황 및 전망]



* 출처 BIS Research

기술 활용 분야

[유전자 치료제]

[형질전환 동물모델 제작 및 연구]

권리 현황

국가	발명의 명칭	출원번호	출원일	상태
KR	신규의 개량된 염기 편집 또는 교정용 융합단백질 및 이의 용도	2021-0107163	2021.08.13	공개

문의처

SIGONG

유광철 변리사	• Tel : 02-6453-9121 • Email : kcyou@sigong-ip.com
김성은 책임연구원	• Tel : 02-6453-8873 • Email : sekim@sigong-ip.com