

# 사업명 : 희귀질환 진단치료 기술개발(R&D)

## <알림>

본 RFP는 RFP 사전공시 제도에 따라 연구자분들의 의견수렴을 위한 초기 RFP로서 추후 변경 될 수 있습니다. 이 점 유의하여 주시기 바랍니다

## RFP 2 희귀질환 치료제 개발 중개연구

사업명 (내역사업명)	희귀질환 진단치료 기술개발 (희귀질환 치료표적 개발연구)		사업유형 해당여부	<input type="checkbox"/> 혁신도전형 R&D <input type="checkbox"/> 다부처 협업 패키지 R&D <input type="checkbox"/> 연구데이터 관리계획 제출 대상	
제안요청서명	희귀질환 치료제 개발 중개연구				
공모유형	품목지정형(Middle-up)	TRL 단계 (시작 ~ 종료) * TRL 단계 공모안내서 참고	의료기술 TRL 3~5 의약품 TRL 3~5	기술료 납부대상	X

### ▶ 사업목적

- 희귀질환 치료를 위한 기초기반 연구 결과의 중개연구를 지원하여 치료제 개발로 연계 강화

### ▶ 지원대상

- 주관연구개발기관은 산·학·연·병 모두 가능
- (주관 또는 공동) 연구책임자로 임상의\* 1인 이상 구성 필수
  - \* 임상수련과정을 마치고 진료업무가 있는 M.D.(Medical Doctor) 및 D.D.S.(Doctor of Dental Surgery)를 의미
  - \*\* 진단검사의학과, 핵의학과, 영상의학과, 병리과 포함
- 일반적인 사항은 공모안내서의 '신청요건' 부분 참고

### ▶ 지원규모

지원분야	지원기간	연간 연구개발비 (1차년도)	선정 예정 과제수
희귀질환 치료제 개발 중개연구	4년 이내(3+1)	300백만원 이내 (225백만원 이내)	2개

※ 1차년도 연구개발기간 9개월 이내, 연구개발비는 9개월 이내 기준으로 지급

※ 연도별 예산 상황에 따라 연간 연구개발비 변동 가능

### ▶ 성과목표 및 연구내용

- 「희귀질환 관리법」 제2조에 따른 질환으로 질병관리청-희귀질환정보(<https://helpline.kdca.go.kr>)에 등록된 질환
  - 상기 정보에 등록되지 않은 미등록 희귀질환의 경우 연구자가 직접 희귀질환임을 객관적으로 증빙할 수 있는 근거(OMIM 데이터베이스 등록 정보)를 제시할 것

지원분야	성과목표		연구내용(예시)
희귀질환 치료제 개발 중개연구	1단계 (‘25~’27)	① SCIE급 논문 게재 1건 ② 특허출원 1건 ③ 연구개발의 실용화 진행을 확인할 수 있는 자료 1건 * (의료기술) 임상진료지침 초안 등 * (의약품) non-GLP 비임상 유효성 확인 등을 포함 ※ ①, ②, ③의 성과를 모두 달성해야 함	○ 희귀질환 치료를 위한 개념 증명(PoC) 확립 및 유효성 검증연구 ○ 질환 모델시스템(세포주, 동물 모델 등) 수립 및 타겟 평가· 검증연구 ○ 희귀질환 후보물질의 안전성· 유효성 확보를 위한 연구 ○ 기존치료법의 미충족 수요(Unmet Needs) 해결을 위한 최적 치료법 연구
	2단계 (‘28)	① SCIE급 논문 게재 2건 * 분야별 IF 상위 10% 논문 1건 이상 또는 IF 상위 20% 논문 2건 이상 포함 ② 특허등록과 해외출원(PCT 출원 포함) 각 1건, 총 2건 ③ 연구개발의 실용화 성과* 1건 * (의료기술) 임상진료지침 개발(대한의학회 등 관련 학회의 인증을 득할 것) 등 * (의약품) GLP 비임상연구 진입 또는 공정 개발 등 ※ ①, ②, ③의 성과를 모두 달성해야 함	

※ 상기 성과목표를 연구개발계획서에 포함하여 제출하여야 하며, 제시된 성과목표 이외 성과목표 추가 가능

※ 과제 전체의 성과목표는 1, 2단계 성과목표를 모두 합한 누적 성과로 합산

#### ▶ 특기사항

- 연구개발 수요 대비 한정된 선정과제 수를 고려하여 다양한 연구자의 참여를 위해 본 사업(희귀질환 진단치료기술개발) 중 RFP 1, 2에서 주관연구책임자로 신청할 수 있는 과제 수는 1개로 한정함

#### ▶ 일반사항

- 연구개발계획서 작성시 주요사항
  - 기술성숙도(TRL)에 근거, 성과목표 달성을 위한 전략제시
  - 연구목표 달성을 위한 공동연구과제 및 참여연구진 간의 구체적인 역할 배분 및 협력방안 제시
  - 총 연구기간 동안 연차별 마일스톤(정량지표)을 제시
- ※ 마일스톤은 연구개발 단계별로 달성해야만 하는 주요한 기술적인 실적으로 평가를 통해 실적 달성 여부를 판단 시 주요 기준으로 활용 예정
- 일반적인 사항은 「보건의료기술 연구개발사업 운영·관리규정 및 가이드라인」 참고

#### ▶ 선정평가 기준

적용가점		해당 없음
구분	평가항목(배점)	
	대항목	소항목
서면·발표 평가	1. 미충족의료수요의 적절성(25)	○ 임상현장에서의 미충족의료수요의 구체성(15) - 미충족의료수요가 명확하며 기술개발 필요성이 적절함 ○ 미충족의료수요 해결을 위한 연구내용의 적절성(10) - 법률적·기술적 현안에 대한 사전검토 및 대응방안이 적절함
	2. 연구계획의 적절성(20)	○ 연구목표의 구체성 및 달성가능성(10) - 연구목표 설정이 합리적이고 달성가능함 ○ 추진일정의 적절성(10) - 추진일정이 적절하고 효율적임
	3. 연구전략 및 방법의 적절성(25)	○ 연구전략의 적절성(10) - 추진전략, 진도점검, 수행 절차 등이 체계적이고 적절함

		<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 연구내용의 창의성(5) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구내용이 기존 연구개발 대비 창의적임</li> </ul> </li> <li>○ 연구방법의 타당성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 제시한 연구방법이 구체적이며 타당함</li> </ul> </li> </ul>
	4. 연구인력의 우수성 (20)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 연구책임자의 우수성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구책임자가 해당 연구를 수행에 필요한 전문성과 연구경력을 갖추고 있음</li> </ul> </li> <li>○ 참여연구진 구성 및 역할 배분의 적절성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 참여연구진이 해당 연구 수행에 필요한 역량을 갖추고 있으며 연구개발 추진을 위해 적절한 역할이 배분됨</li> </ul> </li> </ul>
	5. 연구개발 기대성과 (10)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 연구의 성공가능성(5) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구개발을 통한 기술·경제·사회적 가치 창출 가능성이 높음</li> </ul> </li> <li>○ 연구결과의 파급효과(5) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구결과가 국민건강증진, 질병극복, 공공복지실현에 기여함</li> <li>- 연구개발 성과물의 활용 및 확산 계획이 충분히 고려됨</li> </ul> </li> </ul>

※ 선정평가 계획 수립 시 일부 평가항목(배점) 및 내용이 달라질 수 있음