

사업명 : 유전자, RNA 및 후성유전체 편집기술 기반의 유전자치료제 개발 사업(R&D)

RFP 1

유전자, RNA 및 후성유전체 편집기술 기반의 유전자 치료제 개발 사업

사업명	유전자, RNA 및 후성유전체 편집기술 기반의 유전자치료제 개발 사업		사업 유형 해당 여부	<input type="checkbox"/> 혁신도전형 R&D <input checked="" type="checkbox"/> 다부처 협업 패키지 R&D <input type="checkbox"/> 연구데이터 관리계획 제출 대상		
제안요청서명	유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술 기반의 유전자치료제 임상 최적화 연구					
공모 유형	품목지정형	TRL 단계 (시작 ~ 종료) * TRL 단계 공모안내서 참고	의약품 TRL 3~5	기술료 납부대상	×	

▶ 사업목적

- 유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술을 적용한 차세대 유전자치료제 임상 진입 가속화 지원

▶ 지원대상

- 주관연구개발기관은 산·학·연·병 모두 가능
- 일반적인 사항은 공모안내서의 '신청요건' 부분 참고

▶ 지원규모

지원분야	지원기간	연간 연구개발비 (1차년도)	선정 예정 과제수
유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술 기반의 유전자 치료제 임상 최적화 연구	3년 이내	500백만원 이내 (375백만원이내)	6개

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

※ 연도별 예산 상황에 따라 연간 연구개발비 변동 가능

▶ 성과목표 및 연구내용

※ 기술 개념 및 정의

- 유전자치료제 정의(근거: 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제2조(정의))
 - 유전물질의 발현에 영향을 주기 위하여 투여하는 것으로 유전 물질을 함유한 의약품 또는 유전물질이 변형·도입된 세포를 함유한 의약품
 - 유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술 기반 유전자치료제
 - 유전자 편집·제어 기술을 이용하여 특정 유전자 서열을 변형하거나 결함을 교정하여 질병을 치료하는 기술 기반의 유전자치료제
 - RNA 편집·제어 기술을 통해 특정 유전자의 발현을 억제하거나 활성화하여 질병을 치료하는 기술 기반의 유전자치료제
 - 후성유전체 제어 기술을 통해 DNA 메틸화, 히스톤 변형 등 유전자 발현에 영향을 미치는 후성적 변화를 조절하여 질병을 치료하는 기술을 기반의 유전자치료제
- * 저분자 화합물을 이용한 후성유전체 제어 기술은 제외

지원분야	성과목표	연구내용
유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술 기반의 유전자치료제 임상 최적화 연구	① 질환 영역별 SCIE급 논문 게재 2건 * JCR 기준 상위 10% 이상 저널 ※ 유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기반 유전자치료제 개발 관련 내용이 포함된 논문이어야 함 ② 특허 출원 1건 또는 이에 준하는 실용화(기술이전, 창업) 성과 1건 ③ 안전성과 유효성 검증 결과 보고서 각 1건(non-GLP) * 식품의약품안전처의 기준에 맞는 평가 프로토콜 및 평가기준 수립 포함 ④ 파일럿 규모의 CMC 결과보고서 1건 * 품질평가 기준 포함 ※ ①, ②, ③, ④의 성과를 모두 달성해야 함	○ 유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어의 유전자치료제 후보물질 확보 - 표적 세포/조직/질환 기반의 유전자치료제 개발 연구 - 편집·제어기술을 이용한 표적 질환에 대한 치료 효능 연구 ○ 유전자치료제 후보물질의 임상 적합성 확보를 위한 최적화 연구 - 유전자치료제의 체내 안정성(Stability) 확보 및 유효성 최적화를 위한 기술개발 ○ 유전자치료제 안전성·유효성 검증(non-GLP) - 유전자치료제를 평가할 수 있는 질환 맞춤형 동물 모델 또는 그에 준하는 질환 모델 확보 - 동물모델 또는 그에 준하는 모델을 활용하여 치료제 작용 기전 및 병리적 특성 연구 - 유전자치료제의 안전성 및 유효성 평가 실시(non-GLP) * 단회/반복투여 독성, 유전독성, 발암성(종양원성), 생식발생독성, 면역독성(면역원성) 시험 등 개발하고자 하는 유전자치료제 특성에 맞는 시험을 2건 이상 연구 ○ 파일럿 규모의 CMC 작성 - 유전자치료제에 대한 생산 최적화 기술 확보 - 유전자치료제에 대한 품질평가 기준 수립

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

▶ 특기사항

- 유전자, RNA 및 후성유전체 편집·제어 기술이 적용되지 않은 유전자치료제 개발이나 유전자치료제의 안정성(Stability) 등을 위한 단순 전달기술에 대한 연구는 지원 범위에 해당하지 않음
 - 외부에서 세포에 도입한 유전물질(DNA, RNA)이 편집·제어 과정을 거치지 않고 직접 효능을 나타내는 유전자치료제는 제외
- 유전자치료제의 안전성 유효성 평가 기준을 연구개발계획서에 구체적으로 제시
- 본 사업 주관연구개발기관은 '25년도 바이오헬스 R&D 다부처 협업 추진에 따라 '다부처 협업예산 패키지(안)'를 바탕으로, 해당 사업간 연계·협력에 적극 참여하여야 함
- ※ 패키지 사업 : 유전자치료제 딥테크 연구개발 지원 사업
 - 특히, ①부처 협업사업(과기부, 복지부, 식약처 등) 간 연계·실증·활용에 협조, ②식약처가 추진 중인 규제정합성 검토 제도 등 협조하여야 함

※ 규제정합성 검토 사업

- 규제정합성 검토란?
 - 혁신제품 개발을 위하여 국가연구개발사업을 추진하거나 추진할 예정인 중앙행정기관의 장이 식품의약품안전처(장)에게 해당 제품에 대한 안전성, 유효성 품질 등에 대한 검토를 요청하고, 해당 요청사항을 식품의약품안전처가 검토하는 제도
- 규제정합성 검토 대상
 - 국가연구개발사업 대상
- 규제정합성 검토 범위
 - 식품·의약품 등 해당 여부 및 적용 가능 법령
 - 혁신제품 개발에 필요한 평가 기준 및 방법, 요건
 - 식품의약품안전처와의 공동연구개발사업 추진 필요 여부
 - 그 밖에 식품의약품안전처장이 필요하다고 인정하는 사항(제품화 규제전략 등)

▶ 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 「보건의료기술연구개발사업 가이드라인」 참고

▶ 선정평가 기준

적용가점		해당없음
구분	평가항목(배점)	
	대 항목	소 항목
서면·발표 평가	1. 연구개발 계획의 혁신성 및 적절성 (60)	<ul style="list-style-type: none"> ○ 사업목적에 대한 이해도(15) <ul style="list-style-type: none"> - 제안요청서(RFP)의 목표와 지원내용에 부합함 - 사업목적에 대한 이해도가 높음 ○ 연구목표의 구체성 및 실현가능성(15) <ul style="list-style-type: none"> - 과제구성 및 추진일정이 적절하고 효율적임 - 연구목표의 실현 가능성이 높음 ○ 연구 추진전략 및 수행내용의 충실성(20) <ul style="list-style-type: none"> - 연구개발 수행 계획이 구체적이며 충실함 - 연구 추진전략, 절차 등이 체계적이고 적절함 ○ 연구개발과제의 창의성(10) <ul style="list-style-type: none"> - 적합한 대상 질환 선정, 해결해야 할 문제 제시, 문제 해결을 위한 기술개발 목표 설정 등이 혁신적이며 타당함

	2. 연구자 및 연구환경의 우수성 (20)	<ul style="list-style-type: none"> ○ 연구책임자의 전문성 및 연구실적의 우수성 (10) <ul style="list-style-type: none"> - 연구책임자가 해당 연구 수행에 필요한 전문성과 연구경력을 갖추고 있음 ○ 연구개발기관 연구수행 환경의 우수성(10) <ul style="list-style-type: none"> - 연구개발기관이 해당 연구 수행에 필요한 역량과 인프라를 갖추고 있음
	3. 연구개발 기대성과 (20)	<ul style="list-style-type: none"> ○ 연구를 통한 성과물의 활용 가능성(10) <ul style="list-style-type: none"> - 연구개발 성과물이 제안요청서에 제시된 목표에 부합함 - 연구개발 성과물의 활용계획이 충분히 고려됨 ○ 연구결과의 파급효과(10) <ul style="list-style-type: none"> - 연구결과가 국민건강증진, 질병극복, 공공복지실현에 기여함

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