

# 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 3 글로벌 희귀질환 치료제 중점연구

사업명 (내역사업명)	희귀질환 진단치료 기술개발 (글로벌 희귀질환 선도치료제 중점 연구)		사업유형 해당여부	<input type="checkbox"/> 혁신도전형 R&D <input type="checkbox"/> 다부처 협업 패키지 R&D <input type="checkbox"/> 연구데이터 관리계획 제출 대상	
제안요청서명	글로벌 희귀질환 치료제 중점연구				
공모유형	품목지정형(Middle-up)	TRL 단계 (시작 ~ 종료) * TRL 단계 공모안내서 참고	의약품 TRL 4~6	기술료 납부대상	○

### ▶ 사업목적

- 혁신 치료제 개발 가능성 또는 글로벌 경쟁력을 갖추고 선도할 수 있는 희귀질환 치료제 개발 지원을 통해 전세계 희귀질환자의 치료 기회 확대에 기여

### ▶ 지원대상

- 주관연구개발기관은 산·학·연·병 모두 가능  
\* 단, 병원과 기업 모두 주관 또는 공동연구개발기관으로 반드시 참여하여야 함
- 일반적인 사항은 공모안내서의 '신청요건' 부분 참고

### ▶ 지원규모

지원분야	지원기간	연간 연구개발비 (1차년도)	선정 예정 과제수
글로벌 희귀질환 치료제 중점연구	5년 이내(3+2)	1,000백만원 이내 (750백만원 이내)	3개

※ 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)
글로벌 희귀질환 치료제 중점연구	1단계 (25~27년)	① SCIE급 논문 게재 1건 ② 비임상시험성적에 관한 자료 (비임상 약리시험 보고서 및 비임상 GLP 독성시험 보고서) ③ IND 신청(식약처 접수 완료) ※ ①, ②, ③의 성과를 모두 달성해야 함	○ 희귀질환 치료제 후보물질 선정 - 동물 또는 이와 동등하거나 대체 가능하다고 인정되는 시험에서 안전성이 확보되고 약리작용을 확인할 수 있는 물질을 후보물질로 선정 - 비임상 PoC검증 또는 타겟 검증 데이터를 객관적으로 확보

	2단계 (‘28~‘29년)	① SCIE급 논문 게재 3건 * 분야별 IF 상위 10% 논문 1건 이상 또는 IF 상위 20% 논문 2건 이상 포함 ② 특허등록 2건 이상 또는 기술이전 등 연구내용에 적합한 실용화 성과 1건 ③ 임상 1상 또는 1/2a IND 승인서 ④ 임상1상 진입(첫 번째 환자 투여 포함) ※ ①, ②, ③, ④의 성과를 모두 달성해야 함	○ 비임상 시험 - 후보물질의 약리작용에 관한 연구 (흡수, 배포, 대사, 배설 포함) - non-GLP 및 GLP 독성 시험 ○ 후보물질 원료 생산 공정 연구 ○ 후보물질 제제연구 및 생산 공정 연구 ○ 기준 및 시험법 개발 ○ IND 신청을 위한 임상시험 계획서 작성·제출 ○ IND 승인/임상1상 개시 - IRB 신청·승인 - 환자모집 및 첫 환자 투여
--	-------------------	---	---

※ 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 또는 2에 신청한 주관 및 공동연구책임자는 본 과제(RFP 3)에서 주관 및 공동 연구책임자로 신청할 수 없음
- 연구자주도임상시험(IIT)는 제외함
- 혁신 치료제 또는 글로벌 경쟁력을 갖추고 선도할 수 있는 희귀질환 치료제를 개발하는 과제임을 연구개발계획서에 구체적으로 제시하여야 함

#### ▶ 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	해당 없음
------	-------

구분	평가항목(배점)	
	대 항목	소 항목
서면·발표 평가	1. 연구개발 계획의 적절성 (50)	○ 사업목적에 대한 이해도(5) - 사업목적에 대한 이해도가 높음 ○ 중점연구개발의 창의성 및 타당성(10) - 연구개발 내용이 창의적이며 타당함. ○ 연구목표의 구체성 및 실현가능성(10) - 대상 질환 선정, 해결해야 할 문제 제시, 문제 해결을 위한 기술개발 목표 설정 등이 혁신적이며 타당함

		<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 연구 추진전략 및 내용의 우수성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구 추진전략, 절차 등이 체계적이고 적절함</li> </ul> </li> <li>○ 마일스톤 및 목표 설정의 적절성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구개발 수행 계획이 구체적이며 충실함</li> </ul> </li> <li>○ 추진일정의 적절성(5) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 추진일정이 적절하고 효율적임</li> </ul> </li> </ul>
	2. 연구자 및 연구환경의 우수성 (40)	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ 연구책임자의 전문성 및 연구실적의 우수성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구책임자가 해당 연구 수행에 필요한 전문성과 연구경력을 갖추고 있음</li> </ul> </li> <li>○ 연구개발기관 연구수행 환경의 우수성(10) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구개발기관이 해당 연구 수행에 필요한 역량과 인프라를 갖추고 있음</li> </ul> </li> <li>○ 과제구성, 연구진 역할 배분 및 협력방안의 적절성(20) <ul style="list-style-type: none"> <li>- 해당 연구 수행에 필요한 역량과 인프라를 갖추고 있는 참여기관 및 연구진으로 구성되어 있으며, 연구개발 추진을 위해 적절한 역할 배분 및 협력방안을 제시함.</li> </ul> </li> </ul>
	3. 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