

소아암·희귀질환지원사업단

2024 공동연구사업부 공모 제안요청서(RFP)

I. 제안요청 과제분류 및 과제명

세부	수요조사분류	RFP 과제명	지원규모	지원 기간	선정예정 과제수
1세부	코호트	만성 비세균성 골수염(chronic non-bacterial osteomyelitis; CNO)의 전국 다기관 코호트 구축 연구	과제당 0.5억/년	3(2+1)년	1개 이내

II. 제안요청서

세부/분류	1세부 / 코호트
RFP 과제명	만성 비세균성 골수염(chronic non-bacterial osteomyelitis; CNO)의 전국 다기관 코호트 구축 연구
지원규모 및 기간	<ul style="list-style-type: none">○ 사업 기간: 3(2+1)년○ 사업비: 0.5억/년○ 선정 과제 수: 1개 이내
제안배경 및 필요성	<ul style="list-style-type: none">○ 사업 배경<ul style="list-style-type: none">- 만성 비세균성 골수염(chronic non-bacterial osteomyelitis; CNO) 또는 만성 재발성 다발성 골수염(chronic recurrent multifocal osteomyelitis; CRMO)은 비세균성의 염증성 골병변이 장골(long bone)의 골간단부나 척추체에 단발성 혹은 다발성으로 발생하며 3~6개월 이상 지속되는 경우를 말함.- 자가 염증성 질환의 한 형태로 추정되나, 그 기전은 아직 명확하게 밝혀져 있지 않음- 진단 기준을 다음과 같음 (1) 3개월 이상의 지속된 임상 경과, (2) 조직검사의 결과가 만성 염증, (3) 어떠한 감염성 미생물도 동정되지 않은 경우. (1999년 Schultz 등)○ 사업 필요성<ul style="list-style-type: none">- 감염성 골수염은 주로 항생제와 수술적 치료가 이루어지나 CNO는 NSAID, 면역억제제, 및 biologic agent 등이 사용됨.- 감염성 미생물에 대한 동정 결과가 아직 확인되지 않은 상태에서 항생제 사용을 우선 시작하는 경우가 많음. 따라서 많은 CNO 환자들은 결과적으로는 필수적이지 않았던 항생제 치료를 받게 됨.- CNO의 확진을 위해서는 해당 부위의 개방을 통한 수술적 조직 검사가 필요하나 조직검사의 필요성과 방법 및 시기 모두 정립되어 있지 않음.

	<ul style="list-style-type: none"> - CNO는 빈도가 낮은 희귀질환으로 외국의 비교적 대단위 보고를 살펴보아도 수십 건의 증례를 나열하는 case series 수준에 그치고 있음. 국내의 보고에서는 CNO의 임상양상에 대한 대단위 연구는 전무하며, 모두 case report 수준임. - 따라서 CNO는 희귀질환으로서 잘 알려져 있지 않아 그 정확한 진단과 치료가 늦어지는 경우가 많고 체계적인 진단 및 치료 프로토콜에 대한 정립이 부족하기 때문에 국내 발생 소아청소년환자의 전국단위 코호트 구축이 필요함.
연구 목표	<ul style="list-style-type: none"> ○ 연구 목표 <ul style="list-style-type: none"> - CNO환자의 전국 다기관 후향적 및 전향적 코호트 구축을 통해 진단 및 치료 프로토콜을 확립하고 임상진단 및 예후를 예측할 수 있는 marker 후보군을 발굴함. - 표준진단 및 치료 가이드라인 제시 ○ 장기목표 <ul style="list-style-type: none"> - 최종적으로 체계화된 진단 및 치료 표준화를 통해 환자를 체계적으로 관리하고 해당 질환의 원인 규명 및 치료제 개발의 기초자료를 제공함.
연구 내용	<ul style="list-style-type: none"> ○ CNO 환자의 후향적 코호트 구축 <ul style="list-style-type: none"> - 전국단위 다기관 네트워크 구축 (수도권 외 지역 병원 필수 포함) - IRB 승인 및 eCRF 시스템 구축 - 임상역학(환자의 인구학적 data), 임상양상, lab 수치(ESR/CRP, TNF 및 각종 IL과 receptor와 같은 marker 등) 조직검사 시기 방법 등을 포함 - 후향적 코호트 구축은 각 기관의 최소 10년 자료를 확인하여 추정하며 최소 100증례 이상 등록 ○ CNO 환자의 전향적 코호트 구축 <ul style="list-style-type: none"> - 전향적 환자등록에 필요한 임상 및 lab자료, 조직검사 등의 종류, 검진 관찰 시기 등을 포함 - 전향적 코호트 구축은 다기관으로 최소 20증례 이상 등록 - 인체유래물뱅크를 통해 추후 원인규명 연구에 활용될 기반 마련 ○ 표준 진단 및 진료 프로토콜 구축 <ul style="list-style-type: none"> - 구축된 코호트를 분석하여 진단에 필수적인 요소를 확립하고 표준 진료 및 검사 프로토콜을 확립 ○ 진단 및 예후와 관련된 예측인자 발굴 <ul style="list-style-type: none"> - 구축된 코호트를 분석하여 진단 및 예후예측인자 발굴 ○ 관련 학회 발표 및 학술지에 게재
성과 지표	<ul style="list-style-type: none"> ○ 후향적 환자등록: 100 증례 이상 ○ 전향적 환자등록: 20 증례 이상 ○ 필수 진단 및 예측인자 발굴: 1건 이상 ○ 연구 결과 논문 발표: 1건 이상 ○ 표준 진단 및 진료 가이드라인 제시: 1건 이상

기대 및 파급 효과	<ul style="list-style-type: none">○ 진단 및 치료 프로토콜의 표준화로 CNO 특유의 지연된 진단 기간과 불필요한 치료를 최소화할 수 있음.○ CNO의 임상양상 및 예후와 관련된 예측인자를 제시를 통해 향후 CNO의 발생기전과 관련된 기초 연구 및 새로운 치료 target 등과 관련된 기초/임상 연구 가능
-----------------------	---