

소아암 · 희귀질환지원사업단

2024 공동연구사업부 공모 제안요청서(RFP)

I. 제안요청 과제분류 및 과제명

세부	수요조사분류	RFP 과제명	지원규모	지원 기간	선정예정 과제수
1세부	코호트	한국 소아 신증후군 코호트를 이용한 최적 치료법 탐색 및 바이오마커 발굴	과제당 1.2억/년	3(2+ 1)년	1개 이내

II. 제안요청서

세부/분류	1세부 / 코호트
RFP 과제명	한국 소아 신증후군 코호트를 이용한 최적 치료법 탐색 및 바이오마커 발굴
지원규모 및 기간	○ 사업 기간: 3(2+1)년 ○ 사업비: 1.2억/년 ○ 선정 과제 수: 1개 이내
제안배경 및 필요성	<ol style="list-style-type: none">소아 신증후군의 희소성과 장기 데이터 수집 필요 - 장기적인 경과와 예후가 중요한 질환으로, 장기적인 데이터 수집이 필요임상시험 및 치료법 연구의 지속 필요 - 소아 신증후군의 희소성으로 더 많은 환자 데이터를 통해 최적의 치료 기간을 명확히 규명하고, 스테로이드 부작용을 최소화할 수 있음.바이오마커 연구의 지속 필요 - 소아 신증후군의 희소성으로 인해 현재까지 충분히 검증된 바이오마커는 적으며 이 연구를 통해 신뢰할 수 있는 바이오마커를 발굴하고 검증함으로써, 맞춤형 치료를 가능하게 하고 예후를 향상시킬 수 있음.국제 공동연구 및 협력의 확대 필요 - 현재 한국에서는 신증후군 코호트 연구가 초기 단계에 있으며, 이를 확장하여 국제 공동연구에 적극 참여함으로써 글로벌 연구 네트워크를 구축하고, 질병의 병인 및 치료법에 대한 통찰을 더욱 깊이 얻을 수 있음
연구 목표	○ 1차년도 목표 (2025년) <ol style="list-style-type: none">국내 소아 신증후군 코호트 확장 및 데이터 수집임상시험 및 연구 진행

	<ul style="list-style-type: none"> - "소아 스테로이드 반응성 신증후군(SSNS)의 최적 초회 치료법 탐색": 대상자 모집 지속 - "소아 스테로이드 불응성 신증후군(SRNS)의 최적 치료법 탐색": 대상자 모집 지속 <p>○ <u>2차년도 목표 (2026년)</u></p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 코호트 데이터 수집을 완료로 목표로 하여 1차 분석 시행 2. 임상시험 연구 완료 목표 3. 바이오마커 연구: 바이오마커 후보 발굴 및 검증 강화 <p>○ <u>3차년도 목표 (2027년)</u></p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 연구 데이터 통합 및 분석 2. 소아 신증후군 진료 지침서 권고안 업데이트 3. 국제 공동연구 및 협력 확대 <p>○ <u>장기 목표</u></p> <ul style="list-style-type: none"> - 소아 신증후군의 표준 지침 마련 및 바이오마커 검증
연구 내용	<p>○ <u>1차년도 연구내용 (2025년)</u></p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 코호트 확장 및 데이터 수집 <ul style="list-style-type: none"> - 환자 등록 확대: 5,000명까지 소아 신증후군 환자를 등록을 확대 - 데이터 품질 관리: 데이터 입력 오류를 최소화하고, 데이터 품질을 향상시킴. - 시료 수집 강화: 정기적인 시료 수집 및 보관 프로토콜을 최적화하여 혈액, 소변 샘플을 확보 2. 임상시험 및 연구 진행 <ul style="list-style-type: none"> - "소아 스테로이드 반응성 신증후군(SSNS)의 최적 초회 치료법 탐색": 대상자 250명 모집 지속하여 데이터를 확보 - "소아 스테로이드 불응성 신증후군(SRNS)의 최적 치료법 탐색": 대상자 140명 모집 지속하여 데이터를 확보 <p>○ <u>2차년도 연구내용 (2026년)</u></p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 코호트 데이터 분석 및 확장: 소아 신증후군의 임상 양상, 합병증, 예후 인자를 분석. 2. 임상시험 및 연구 진행 <ul style="list-style-type: none"> - SSNS 초기 치료 최적화 연구: 연구 완료를 목표 - SRNS 치료법 연구: 연구 완료를 목표 3. 바이오마커 연구: 바이오마커 후보들을 발굴하여 대규모 검증 연구를 진행 <p>○ <u>3차년도 연구내용 (2027년)</u></p> <ol style="list-style-type: none"> 1. 연구 데이터 통합 및 분석 <ul style="list-style-type: none"> - 소아 신증후군의 임상 특성, 예후 인자, 장단기 합병증을 종합적으로 평가 - 다기관 데이터를 통합하여 전국적인 소아 신증후군의 역학 및 치료 성과를 분석 2. 임상진료권고안 개발 및 배포 <ul style="list-style-type: none"> - 소아 신증후군의 진료 지침을 업데이트 함. SSNS 초기 치료 최적화, SRNS 치료법, 바이오마커 활용 방안 등이 포함 - 배포 및 교육: 개발된 진료 지침을 전국의 의료기관에 배포하고, 관련 의료진을 대상으로 교육 프로그램을 실시 3. 국제 공동연구 및 협력 확대 <ul style="list-style-type: none"> - 국제 협력: 한국 소아 신증후군 코호트를 기반으로 국제 공동연구에 참여

	분석					
	임상진료권 고안		신증후군 진료 지침서 권고안 업데이트	해당없음		
	국제 공동 연구	연구 성과 발표	발표된 논문 및 학회 발표 수	최소 3개		
기대 및 파급 효과	<p>○ 이 연구의 장기적인 기대효과와 파급효과는 소아 신증후군 환자의 치료와 예후를 획기적으로 개선하는 데 있으며, 이를 통해 환자 개개인의 삶의 질 향상뿐만 아니라, 의료 시스템 전체의 효율성과 효과성을 증대시킬 수 있음</p> <p>○ 연구를 통해 얻어진 지식과 성과는 국제적으로도 큰 기여를 할 것으로 기대됨.</p>					