



16

정중훈 엘바이오 대표 (E-mail: jchung@snu.ac.kr)

# “세계 최초로 암세포·암줄기세포 사멸시키는 siRNA 나노항암제 개발했습니다”

엘바이오는 폴리머 유전자전달체(벡터)와 유전자(siRNA)를 이용해 암세포와 암줄기세포를 사멸시키는 표적형 siRNA 나노항암제를 개발하고 있는 스타트업이다.

서울대 실험실 벤처기업인 엘바이오는 서울대 바이오시스템공학과 교수로 재직 중인 정중훈 대표(64)가 2019년 4월에 설립했다.

엘바이오는 비바이러스성 폴리머 유전자전달체를 이용해 뇌종양, 폐암 등의 모든 암 치료를 위한 siRNA 항암제를 개발 중이다. 정 대표는 “개발한 폴리머 벡터는 삼투압성이 매우 높아 뇌혈관장벽(BBB) 및 중앙혈관장벽(BTB)를 통과하며 유전자 전달효율이 높아서 뇌암, 폐암 등의 고형암 치료를 위한 플랫폼으로써 매우 효과적”이라고 말했다.

정 대표는 2010년부터 나노입자의 폴리머 벡터를 개발하기 시작했다. “siRNA 나노항암제의 기전은 유전자전달체에 비타민 B6를 결합해 암세포를 표적하고 유전자전달체에 탑재된 siRNA로 DNA(티민) 합성을 억제함으로써 암세포를 사멸시킵니다. 또한 유전자전달체에 TR7 펩타이드를 결합해 암줄기세포를 표적하고 또 다른 siRNA로 암줄기세포의 신호전달체계를 차단해 암줄기세포의 자기재생을 막음으로써 사멸시킵니다. 암세포와 암줄기세포를 동시에 사멸시킴으로써 암을 완치시키는 메커니즘으로 모든 암에 적용할 수 있습니다.”

엘바이오는 국내 최초로 마우스 뇌종양 모델에 성공했다. 정 대표는 “마우스에 나노입자의 항암제를 2주간 처리한 결과 뇌종양의 크기를 평균 62% 감소시켰다며 “특히 나노체인 형태의 항암제로 2주간 치료하면 뇌종양의 크기를 평균 85%, 최대 97%까지 줄였다”고 말했다. 나노체인은 나노입자들을

체인 형태로 연결해 유전자들을 탑재해 치료 효과를 높이는 기술이다. 덧붙여 정 대표는 “마우스 등에서 사람 폐암세포의 종양에 나노입자 항암제를 4주간 처리한 결과 종양의 크기를 평균 약 75~80%까지 감소시킬 수 있었다”고 말했다.

특히 나노체인 형태의 항암제로 2주간 치료하면 뇌종양의 크기를 평균 85%, 최대 97%까지 줄였다. 나노체인은 나노입자들을 체인 형태로 연결해 유전자들을 탑재해 치료 효과를 높이는 기술이다. 정 대표는 “자일리톨 기반의 유전자전달체에 CRISPR(유전자가위)를 탑재해 암줄기세포를 사멸시키고 암을 빠르게 치료할 수 있음을 확인했다”고 말했다.

“유전자 나노항암제는 모든 암에 적용이 가능한 4세대 유전자 치료제입니다. 20~30%의 낮은 치료율과 부작용이 있는 3세대 면역항암제를 대체시킬 수 있습니다. 이 유전자 나노항암제는 암을 정복할 수 있는 새로운 항암제로서 전 세계 시장을 석권할 수 있습니다.”

siRNA 나노항암제의 경쟁력으로 정 대표는 “유전자 전달의 폴리머 벡터가 독성이 거의 없고 유전자 전달 효율이 60~80%로 매우 높다”고 말했다.

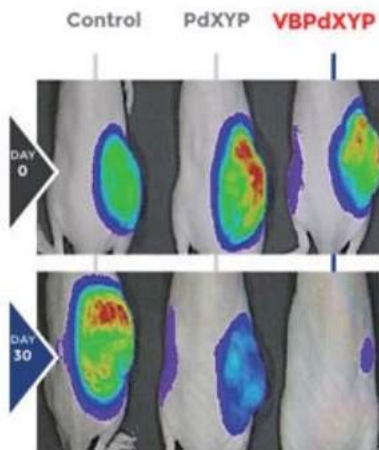
“유전자 전달 벡터에 siRNA를 탑재해 암세포의 DNA 합성을 억제하며 암세포의 세포주기 정지와 자기사멸을 유도해 암세포를 죽일 수 있습니다. 벡터에 특정 펩타이드를 결합해 암 줄기세포를 표적하고, siRNA로 암 줄기세포의 자기재생을 막음으로써 암 줄기세포도 자기사멸을 유도합니다. siRNA 치료제 4개 제품이 2018년 이후에 FDA에 의해 승인돼 siRNA 치료제의 효과가 입증됐습니다. 엘바이오에서는 폐암 세포 종양과 뇌종양의 동물모델에서 siRNA 항암제의 치료 효과를 입증함에 따라 세계 최초로 siRNA 항암제를 개발하고 있습니다.”

엘바이오는 중소벤처기업부의 초기창업패키지사업, 창업성장기술개발사업, 그리고 한국기술보증기금의 유테크밸리사업 등을 통해 siRNA 나노항암제를 개발하고 있다. 개발에는 대표 겸 연구소장인 정중훈 교수를 비롯해 반가지 연구교수, 삼하비 박사, 김재은 박사, 박상배 박사, 임재운 연구원, 손현목 연구원, 박병주 연구원 등이 참여하고 있다.

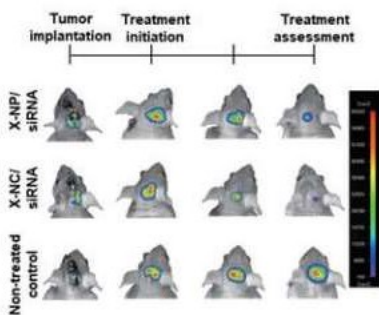
엘바이오는 현재 항암제의 플랫폼인 유전자 전달 폴리머 벡터를 개발 완료함에 따라 제약회사의 GMP에서 제조하고 있다. 이를 이용해 siRNA 나노항암제를 GLP기관에서 독성시험, 약리시험 등의 비임상 시험을 할 예정이다.



(왼쪽부터) 손현목 연구원, 임재운 연구원, 박상배 박사, 정중훈 대표, 박병주 연구원, 김재은 박사



마우스 등에서 사람폐암세포의 종양을 30일간 나노입자 항암제로 직접주사로 치료한 결과, 종양의 크기를 약 75~80% 감소시킬 수 있었음(n=4).



마우스 뇌종양 모델에서 나노입자(NP) 항암제와 나노체인(NC) 항암제의 치료효과: 나노입자 항암제를 정맥주사 치료 2주후 교모종세포의 종양 크기를 약 62%, 나노체인 항암제로 치료한 경우는 종양 크기를 약 85%(최대 97%) 감소시켰음(n=4) (2022. 1, Biomaterials).

**설립 연도** 2019년 4월 | **주요 사업** siRNA 나노-항암제 개발  
**성과** 2019년 중소벤처기업부 초기창업패키지 최우수 선정, 2019년 한국기술보증기금 유테크밸리사업 선정 20억원 보증, 2021년 학술진흥 기여로 대통령 표창장 수상, 플러머 벡터와 항암제로의 응용 국내 및 미국 특허 등록

정 대표는 '비임상 시험 후에는 임상시험계획서를 식약처에 제출해 병원의 임상시험센터에서 뇌종양 임상시험을 할 계획이라며 "이를 위해 단계적으로 국가신약개발과제를 신청할 것"이라고 말했다.

글로벌 제약사와 siRNA 항암제 공동 개발도 준비 중이다. '전 세계 항암제 시장 규모는 2024년 기준 238조원입니다. siRNA 치료제 시장 규모는 약 20조원으로서 규모가 급속도로 증가하고 있습니다. 엘비아가 개발한 유전자 전달체를 유전자 전달용 시약(제품명: Xyliifectamine)으로 전 세계에 판매할 계획입니다. siRNA 치료제를 생산하거나 관심이 있는 글로벌 제약사들을 접촉해 공동 개발도 고려하고 있습니다. 나노항암제의 암세포 치료용 siRNA 항암제, 암줄기세포 치료용 siRNA 항암제, 나노체인 형태의 항암제, CRISPR 나노항암제 등의 여러 파이프라인 중에 일부 기술은 글로벌 제약 회사에 기술이전도 준비 중입니다.' ①