

[유전자치료제 안전관리] 기술정의서

* 본 기술정의서의 추진현황은 2010년~2019년까지 수행된 관련 과제 및 연구를 토대로 작성하였습니다.

분야	바이오의약품 안전관리	핵심기술분야 21.	유전자치료제 안전관리
1. 기술의 개요			
<ul style="list-style-type: none"> - 유전자치료제의 품질 및 안전성·유효성 평가 연구 및 표준화를 위한 기술 - 기술의 범위는 유전자치료제 품질평가, 안전성, 유효성 및 평가기술 표준화를 포함함 			
2. 기술의 범위			
<ul style="list-style-type: none"> - 유전자치료제 품질평가 - 유전자치료제 안전성 및 유효성 평가 - 유전자치료제 평가기술 표준화 			
3. 구성기술 및 주요내용			
<ul style="list-style-type: none"> ○ 유전자치료제 품질평가 <ul style="list-style-type: none"> - (개요) 유전자치료제의 품질평가 또는 평가기술 개발 연구 분야로 원료품질평가 분석연구, 숙주유래 불순물 분석 연구, 미생물 오염 신속검사법 연구 등이 포함될 수 있음 - (추진현황) 유전자치료제의 품질평가 기술개발을 위한 기반 연구, 신기술 이용 유전자치료제 개발 및 평가에 관한 조사연구, 아데노바이러스·아데노부속바이러스·플라스미드·종양용해성 바이러스 유전자치료제 비임상 평가 연구, 유전자치료제의 in vitro 특성 및 in vivo 특성 평가 연구, 유전자치료제의 품질평가 기술개발을 위한 기반연구 및 유전자치료제의 심사평가 기반연구 등이 수행됨 ○ 유전자치료제 안전성 및 유효성 평가 <ul style="list-style-type: none"> - (개요) 유전자치료제의 안전성 및 유효성 평가 또는 평가기술 개발 연구 분야로 유전자치료제 체내 분포 평가기술 개발, 유전자치료제 효능의 in vitro 평가모델 연구 등이 포함될 수 있음 - (추진현황) 유전자치료제의 임상평가를 위한 질환별 임상시험평가방법에 관한 연구, 바이러스 유래 유전자치료제의 안전성평가 기반연구 복제가능 레트로바이러스의 생체분포 평가 시험법 개발, 유전자가위를 기반으로 한 유전자치료제의 비임상 연구 조사가 수행됨 ○ 유전자치료제 평가기술 표준화 <ul style="list-style-type: none"> - (개요) 유전자치료제의 개발 촉진 및 평가기술의 국제조화를 위한 표준화 분야로 표준물질의 제조, 품질분석법 등 평가기술 표준화 연구 등이 포함될 수 있음 - (추진현황) 유전자치료제 생산세포주의 외래성바이러스 검출평가 시험법 개발, 유전자치료제 			

생산세포주의 잔류 DNA 및 단백질 검출 정량 시험법 개발, 고분자 결합 복합체의 아데노바이러스 정량 검출 시험법 개발, 유전자가위기술 기반 유전자치료제의 off-target 확인 분석법 개발을 위한 연구가 수행됨