

## 세미나 초록

성명	이규리
소속	고려대학교 바이오시스템의과학부
발표 주제	Development of RNA-based therapeutics/vaccines
발표 내용	<p>본 세미나에서는 희귀질환 치료, 백신 개발, 항암 요법 및 유전자 편집 (CRISPR/Cas9) 등 광범위한 의료 및 바이오 분야에 적용 가능한 RNA 기반 치료제와 백신의 전반적인 개발 원리를 심도 있게 다룬다. RNA 치료제가 성공적으로 임상에 적용되어 세포 내 대사 효소, 분비 단백질, 막 수용체 등을 효과적으로 발현하기 위해서는 지질나노입자(LNP)를 이용한 유전자 전달 시스템과 함께 화학적으로 변형된 RNA 구조 설계가 필수적으로 요구된다. 체내에 주입된 외부 RNA(Non-self RNA), 특히 변형되지 않은 Uridine(U) 성분은 세포 내 TLR7 및 TLR8 수용체를 자극하여 TNF-<math>\alpha</math>, IL-8, Interferon-<math>\alpha</math>와 같은 염증성 사이토카인 분비 등 원치 않는 선천성 면역 반응을 강하게 유발하는 구조적 한계가 존재한다. 하지만 이를 Pseudouridine(<math>\Psi</math>)이나 N1-methylpseudouridine(m1<math>\Psi</math>) 형태 등으로 치환하는 정교한 화학적 변형 과정을 거치면, 수용체 인식 과정에서 입체적 방해(Steric bump)를 형성하여 이러한 면역 자극을 성공적으로 회피할 수 있다. 결과적으로 이러한 구조적 최적화 기술은 단순한 면역 회피를 넘어, 동물 모델 실험에서 확인되듯 에리트로포이에틴(EPO)과 같은 타겟 치료 단백질의 체내 발현량과 유지 기간을 비약적으로 극대화하여 차세대 유전자 치료제로서의 실질적인 잠재력을 입증한다.</p>