**붙임 1** **1:1 비즈니스 네트워크 기술소개자료 양식**

# 기술(파이프라인) 명

<기본 정보>

| | |
|---|---|
| 분류 | ☐ target ☐ 후보물질 ■ 기반기술 ☐ 기타( ) |
| 물질 분류 | ☐ Small molecule ☐ 천연물 ☐ 단백질 ■ 유전자 ☐ 세포<br>☐ 기타( ) |
| 적응증 | ■ 항암 ■ 면역 ■ 대사성질환 ☐ 심혈관질환 ☐ 호흡기질환<br>☐ 신경계질환 ☐ 안과질환 ☐ 감염성질환 ☐ 신장 및 비뇨계질환<br>☐ 소아질환 ☐ 기타( ) |
| 개발단계 | ■ Target ☐ Hit ☐ Lead ☐ Lead Optimization<br>☐ GLP Toxicity ☐ 초기 임상(P1/2a) ☐ 후기 임상(P2b/3) |
| 제안유형 | ■ 공동 연구 ■ 공동 개발 ☐ 공동 판매 ☐ 라이센싱 ☐ 투자<br>☐ 합작투자회사 설립 ☐ 기타( ) |
| 기술요약 | 1. Single domain 항체와 E3 ligase fragment를 융합한 유전자 기반의 신규 TPD 플랫폼 |

<기술 정보>

| | |
|---|---|
| 국내 특허 | 1. 안정화된 면역글로불린가변도메인 선별 방법 및 선별된 도메인의 응용, (☐ 출원 전 ☐ 출원 ■ 등록) KR10-1732552 B1 |
| 해외 특허 여부 및 번호 | ■ 있음 ☐ 없음<br>1. Screening and engineering method of super-stable immunoglobulin variable domains and their uses, US 10078085 B2 |
| 연구개발 상황 | ☐ 종료 ■ 진행 중 ☐ 기타( ) |
| 유효성 자료 여부 | ■ 있음(■ in vitro ☐ in vivo) ☐ 없음 |
| 안전성 자료 여부 | ☐ 있음(☐ in vitro ☐ in vivo) ■ 없음 |

<연구자 정보 및 기술관련 문의처>

| | | | |
|---|---|---|---|
| 연구자 기관명 | GC녹십자 | 연구자명 | 김동식 팀장 |
| 기술 담당자명 | 김우현 | 담당자 연락처 및 이메일 | 02-6301-2165<br>ip@kpbma.or.kr |

## <기술 정보>

| | |
|---|---|
| 기업 개요 | 1. 기업 명 : GC녹십자<br>2. 설립연월 : 1969.11<br>3. 임직원 수 : 2,105명 (2022년 기준, 기간제 근로자 제외)<br>4. 매출액 : 1조 2,449억 (2022년 기준)<br>5. 기업 개요 및 주요 품목<br>당사의 주요 제품군은 혈액제제와 백신이며, 수십년간 쌓인 경험을 바탕으로 제품을 업그레이드 하며 시장을 지속적으로 넓혀나가고 있습니다. 혈액제제의 대표 제품은 면역글로불린 'IVIG-SN' 이며 올 해 미국 BLA 제출을 완료하였습니다. 백신의 대표 품목은 독감백신과 수두백신입니다. 독감백신은 WHO PQ를 세계 네 번째로 획득하였고, 수두백신 역시 올 해 WHO PQ를 획득하여 세계적인 수준의 품질을 인정받았습니다.<br>희귀질환 분야의 치료제 개발도 주력 연구 및 투자 분야입니다. 3세대 유전자재조합 치료제 '그린진에프'는 중국 품목 허가를 받아 글로벌 진출의 발판을 마련하였고, 세계에서 두 번째로 개발한 헌터증후군 치료제는 국내 시장에 안정적으로 자리 잡았을 뿐 아니라 중국 허가를 받는 등 세계 시장으로 입지를 인정받고 있습니다. |
| 기술 개요 | ○ 정밀 의학의 발전으로 차세대 치료 방법이 마련되고 있지만 human proteome 의 85 % 는 타겟팅의 한계로 "undruggable" 단백질로 남아있습니다. 이런 한계점을 극복하기 위하여 최근 표적 단백질을 제거하는 TPD (targeted protein degradation) 기술의 연구가 활발히 진행되고 있습니다. 그 중 PROTAC 물질의 임상 실험을 진행하고 있지만, 여전히 남아있는 단백질 타겟팅 문제, 높은 합성 난이도와 장기투여 시 E3 ligase 복합체의 돌연변이 및 발현양 감소에 의한 효력 감소의 어려움을 겪고 있습니다.<br>따라서 본 기업에서는 위와 같은 문제를 해결하고자, 약 600 종의 E3 ligase 중 복합체가 아닌 단독으로 ubiqutinylation을 일으킬 수 있는 약 300 종의 E3 ligase fragment 라이브러리를 구축하여 PROTAC 이 가지고 있는 제한적인 E3 ligase 사용의 문제에서 자유로워졌습니다. 구체적으로 첫째, 기업 내에서 보유 중인 단일 도메인 항체 라이브러리를 이용하여 단백질 타겟팅 문제를 해결하였으며, 이를 유전적 결합을 통하여 개발의 용이성을 확보하였습니다. 둘째, 각각의 E3 ligase 는 표적 단백질에 대하여 특이적으로 반응하기 때문에 300 종의 E3 ligase fragment 라이브러리를 구축함으로서, 타겟팅에 쓰이는 항체에 따라 새로운 단백질을 표적 할 수 있도록 플랫폼화시켰습니다.<br>본 플랫폼을 이용하여 표적 단백질을 제거할 수 있는 hit clone들을 선별하고, gene delivery를 통해 세포 내 전달 및 표적 단백질을 제거하여 innovative biotherapeutics 로 개발하고자 합니다. |