NOVARTIS



발견

‘유전자 치료’에 주목하라

Dec 04, 2019

사람의 유전 형질은 다양합니다. 사람의 대표적인 유전 형질로는 머리카락과 눈동자 색이 있으며, 키 큰 사람과 작은 사람, 높은 목소리와 낮은 목소리 등 키와 목소리 톤도 유전 형질 중 하나입니다. 드물지만, 생명을 위협하고 삶의 질도 크게 저하해, 삶을 송두리째 바꿔버리는 유전 형질을 물려 받는 경우도 있습니다. 오늘 소개하는 스토리는 유전 이상에 관한 것입니다.

수세기 동안 유전 이상은 ‘운명’으로 여겨졌고, 사람들은 이러한 ‘운명’을 바꿀 수 있기를 원했습니다. . 오늘날, 과학자들은 운명이라 여겼던 유전 이상 중 일부를 해결하고, 앞으로 더 많은 종류의 유전 이상을 해결 할 수 있는 방법을 찾아냈습니다. 그것이 바로 ‘유전자 치료’ 입니다.

유전 이상을 고치는 ‘유전자 치료’

노바티스 창립 파트너이자 스위스 바젤 분자 및 임상 안과 연구소(Institute of Molecular and Clinical Ophthalmology)의 소장인 보톤드 록사 박사(Dr. Botond Roska)를 소개합니다. 지난 20년 동안 망막에 대해 연구해 온 록사 박사는 최근 망막 질환 분야가 놀랄 만큼 큰 발전을 거듭했다고 말합니다.

[[{"fid":"3791","viewmode":"default","fields":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1bfsudjqb","fieldtitle[ko][0][value]":""},"linktext":null,"type":"media","fielddeltas":{"4":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1bfsudjqb","fieldtitle[ko][0][value]":""}},"attributes":{"class":"media-element file-default","data-delta":"4"}}]]

몇 개의 세포에 이상이 있어서 제대로 작동하지 않는 유전자가 있다고 가정해봅시다. 유전 이상은 중요한 단백질이나 효소 생성에 영향을 끼쳐 전신 이상을 유발할 수 있습니다. 만일 유전 이상이 있는 세포에 정상 유전자를 삽입한다면, 그 세포도 정상적으로 작동하여 단백질을 잘 생성할 수 있게 됩니다.

과학자들은 ‘바이러스성 벡터(어떠한 병원성도 없는 이상바이러스, 유전자 전달 매개체)’를 활용해 유전 이상이 있는 세포에 치료 유전자를 전달 합니다. 이상 세포에 치료 유전자가 잘 삽입되면, 유전 이상으로 인해 생성하지 못했던 단백질을 생성할 수 있게 됩니다.

유전자 치료로 가능한 것과 불가능 한 것

“사람들의 유전자를 바꾸어도 괜찮을까요?” 라는 질문에 록사 박사는 이렇게 답합니다.

“유전자 치료에는 여러 형태가 있고, 현재 널리 사용되는 형태는 사람의 게놈을 바꾸지 않는 ‘자동 관련 바이러스 기반 요법’(auto-associated virus-based therapy) 입니다. 이 때 사용하는 바이러스는 세포의 핵 안으로 침투하지만 게놈 밖에 머물러 게놈에 영향을 끼치지 않고, 유전 이상으로 인해 생성되지 않았던 단백질을 정상적으로 발현시켜 세포가 제대로 기능하게 해줍니다.”

[[{"fid":"3796","viewmode":"default","fields":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1lbr8dxkn","fieldtitle[ko][0][value]":""},"linktext":null,"type":"media","fielddeltas":{"5":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1lbr8dxkn","fieldtitle[ko][0][value]":""}},"attributes":{"class":"media-element file-default","data-delta":"5"}}]]

밝은 미래

록사 박사는 유전자 치료 분야의 미래가 아주 밝다고 말합니다. 신체 어느 부분으로든 치료제를 전달할 수 있는 유전자 치료의 특성상 응용 범위가 다양하기 때문입니다. 하지만 유전자 치료가 기존의 치료법들을 대체할 가능성은 낮습니다.

“현대 의학에서 유전자 치료가 차지하는 비중은 앞으로 급격히 늘어날 것 입니다. 하지만 유전자 치료가 유일한 치료 요법이 되지는 않을 것 입니다. 유전자 치료제는 생물학적제제나 소분자제제 처럼 새로운 형태의 치료제로서 자리잡고, 각 치료제들은 고유의 적용 방식이 있을 것 입니다.”

과학자들을 위한 제언

록사 박사는 질병 치료의 비밀을 밝히는 꿈이 실현되기 시작했다는 생각에 유전자 치료에 대해 이야기할 때면 경이로움에 가득 차고 눈이 빛나곤 합니다. 환자의 가장 시급한 문제를 해결할 때 ‘대담해 지는 것’이 과학자에게 있어 얼마나 중요한지를 설명할 때면 그의 눈은 더 밝게 빛납니다.

“대담해지세요. 우리는 과학의 힘을 과소 평가 하는 경향이 있습니다. 목표를 작게 세우는 것은 ‘실수’와 같습니다. 연구실에서 망막을 만드는 것을 많은 과학자들이 꿈꿨던 시절이 있었습니다. 그때는 아무도 가능한 일이라 생각하지 않았던 것이 오늘날에는 가능해졌습니다.”

[[{"fid":"3801","viewmode":"default","fields":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1ztldhp95","fieldtitle[ko][0][value]":""},"linktext":null,"type":"media","fielddeltas":{"6":{"format":"default","filenamefield[ko][0][value]":"1ztldhp95","fieldtitle[ko][0][value]":""}},"attributes":{"class":"media-element file-default","data-delta":"6"}}]]

보톤드 록사 박사 (Dr. Botond Roska)는 이제 유전자 치료에 대해 주목해야 할 때라고 말합니다.

Source URL: *https://www.novartis.com/kr-ko/stories/discovery/newsletter-3*

List of links present in page

- https://www.novartis.com/kr-ko/kr-ko/stories/discovery/newsletter-3
- https://www.novartis.com/kr-ko/kr-ko/stories/discovery