

코아스텍, 다계통위축증 줄기세포치료제 임상 1상 본격 시동

- ▶ 2016년 다계통위축증 줄기세포 치료제 임상1상 승인 이후 환자 투여 시작
- ▶ 루푸스, 무산소성 뇌손상, 난치성 뇌전증 등 희귀 난치성질환 치료제 연구개발 집중

[2018-05-14] 줄기세포치료제 개발 전문기업인 코아스텍(대표이사 김경숙)이 개발중인 다계통위축증 줄기세포치료제에 대한 임상1상을 본격화한다고 밝혔다.

코아스텍은 다계통위축증 줄기세포 치료제 'CS10BR05'의 효력평가 및 독성시험 완료하고 2016년 식약처로부터 임상1상을 승인 받은 이후 첫 환자가 등록되면서 1상 임상시험이 본격적으로 시작된 것으로 보인다.

다계통위축증은 자율신경 실조증(기립성 저혈압, 배뇨장애, 발기부전, 만성 변비 등), 파킨슨 증상(움직임 저하, 손발 떨림 등), 소뇌성 운동 실조증상(비틀거림, 발음 부정확 등)의 징후가 동반되어 나타나는 중추신경계의 신경퇴행성질환이다.

이 질환은 파킨슨병과 유사한 증상을 보이지만 약제로는 증상 호전이 없으며, 주로 노년에 발병하는 파킨슨병과 달리 모든 연령대에서 발생한다. 특히, 파킨슨병에 비해 진행속도가 빠르고 약제나 수술적인 방법이 없는 실정이다.

코아스텍에서 개발한 'CS10BR05'는 자가골수유래 중간엽 줄기세포를 주성분으로 하는 시험의약품으로 염증반응을 억제하며, 신경세포의 생존 및 사멸신호 조절을 통해 신경보호작용을 하는 등 세포가 사멸하는 환경을 차단하는 효과를 예상하고 있다.

회사 관계자는 “다계통위축증은 다양한 세포사멸 기전들이 연결되어 나타나기 때문에 한 가지 기전을 목표로 한 치료제는 효과가 제한적일 수밖에 없다”며 “CS10BR05의 주성분인 중간엽 줄기세포는 다양한 인자 및 사이토카인의 분비를 통해 신경세포의 염증반응을 억제하고 신경보호작용을 나타내 세포사멸을 복합적으로 차단하는 기전을 나타내는 획기적인 효과를 갖고 있다”고 설명했다.

이어, “특히, 치료제가 병소 부위로 잘 전달되도록 경동맥으로 투여할 수 있게 개발된 시험의약품으로 세계 최초의 다계통위축증 치료제가 될 것으로 기대하고 있다”고 회사측은 설명했다.

이번 임상시험은 보건복지부의 연구비 지원을 통해 연세대학교 신촌세브란스병원 신경과에서 소뇌형-다계통위축증 환자를 대상으로 내약성과 안전성에 대한 평가를 진행할 예정이다.

코아스텍 관계자는 “다계통위축증 외에도 루푸스, 무산소성 뇌손상, 난치성 뇌전증 등에 대한 연

구개발도 활발히 이뤄지고 있으며 뇌신경계 및 자가면역 희귀 난치성 질환 치료제 개발에 집중하고 있다”고 말했다.

또, “2015년도에 출시한 세계 최초 루게릭병 치료제인 ‘뉴로나타-알’의 경우, 지난해 3분기부터 해외 환자 유입이 증가세를 보이고 있으며, 국내 건강보험 등재를 위한 약가 협상도 순조롭게 진행하고 있으며, FDA 허가에 대해서도 연내 마무리를 목표로 하고 있다”고 말했다.

한편, 코아스템은 줄기세포 치료제 전문 기업으로 세계 최초로 루게릭병 치료제인 ‘뉴로나타-알’을 판매하는 등 희귀 난치성 질환 치료제를 개발생산 하고 있다.

용어설명

***내약성(tolerability):** 약을 복용(투여)하고 견딜 수 있는 정도

***기립성 저혈압:** 갑자기 일어날 때 순간적으로 핑 도는 증상을 호소하는 경우를 말함. 기립 시 혈압조절기구에 장애가 있어 혈압이 낮아지고 어지럽고 때로는 실신하게 되는 상태로, 원인으로는 약제(특히 자율신경계에 작용하는 강압제), 신경질환(척수손상, 그밖의 척수내지 자율신경을 침범하는 질환), 당뇨병성 신경증, 부신부전, 갈색세포종 등이 있다

***신경세포사:** 1개의 신경세포가 호흡이나 에너지 생산 등의 기본적 생명현상을 비가역적으로 상실하는 현상, 즉 신경세포가 사멸하는 현상

***중간엽줄기세포:** 수정란이 분열하여 생긴 중배엽에서 분화된 연골, 골조직, 지방조직, 골수의 기질(stroma) 등에 존재하는 줄기세포를 의미한다. 시험관내에서 뼈모세포, 지방세포, 연골세포로 분화하는 능력을 가지고 다양한 종류의 성장인자와 면역조절물질을 분비한다.

***성장인자:** 각종 세포분열이나 성장 및 분화를 촉진하는 폴리펩티드의 총칭

***사이토카인:** 세포로부터 분비된 후 다른 세포나 분비한 세포 자신에게 영향을 줄 수 있다. 즉, 대식세포의 증식을 유도하거나 분비 세포 자신의 분화를 촉진하기도 한다.