

유전자교정 기술

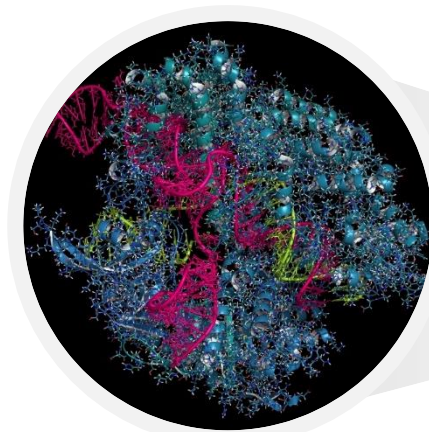
유전자가위 : 효율적인 유전자교정을 위해 유전자를 절단하는 분자도구



CRISPR/Cas9 : 쉽고 정확한 유전자교정 도구

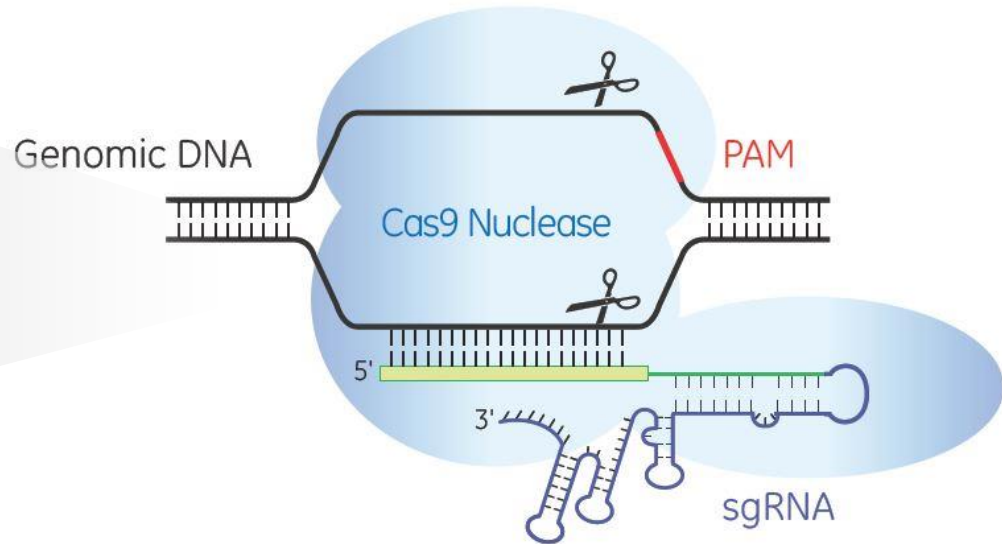
CRISPR/Cas9 주요 구성요소

- **Guide RNA (sgRNA)** : 특정유전 서열 자리로 이끄는 RNA
- **Cas9** : 유전자를 자르는 역할을 하는 효소/단백질



Cas9 / Guide RNA / DNA

<https://www.twistbioscience.com/50-percent-you/>



Cas9

+

Guide RNA

CRISPR 특허 전략

진핵세포의 유전자교정에 CRISPR/Cas9을 사용한 세계 최초의 특허

IP strategy.

▪ IP ownership

: L/O 및 유전자가위 원천기술 IP 확장

▪ IP portfolio 확장

: 치료제 (Therapeutics), 동식물분야(GreenBio) 등



2012.10

※ CRISPR 관련 특허

- Total 특허 등록 7건
- Total 특허 출원 20건

PCT/KR2013/009488

(National Phase in 10 countries)

2016.08

• Australia

- patent allowed
- 특허 승인 1건
- 특허 출원 1건

2016.09

• Korea

- patent registration
- 특허 등록 3건
- 특허 출원 2건

2018.07

• Europe

- patent registration
- 특허 등록 1건
- 특허 출원 2건

2018.11

• Singapore

- patent registration
- 특허 등록 1건
- 특허 출원 2건

2019.04

• Japan

- patent registration
- 특허 등록 1건
- 특허 출원 1건

2019.10

• CHINA

- patent registration
- 특허 등록 1건
- 특허 출원 6건

✓ Other 5 countries (USA, CANADA ...)

Therapeutics_ 유전자교정기술의 치료제 분야 확장

유전자교정 기술

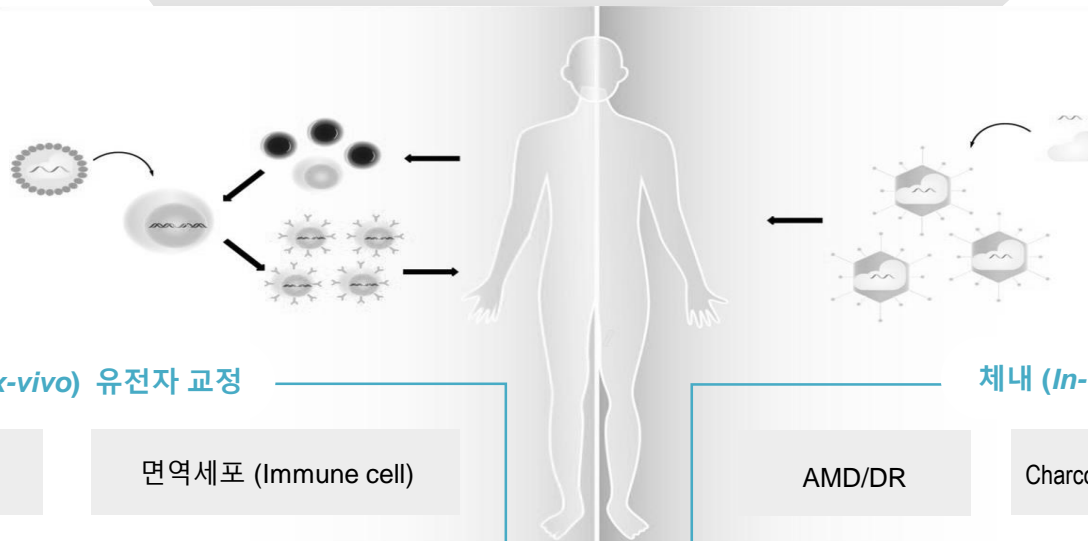
- CRISPR/Cas9 Platform
- Cas9의 발전
- Guide RNA 조절
- 심층적인 기능분석

유전자교정 전략

- 유전자 제거 (*Knockout*)
- 유전자 조절 (*Regulation*)
- 유전자 삽입 (*Addition*)
- 염색체 구조 변화

치료제 (Therapeutics)

- CAR-T
- 중간엽줄기세포 / 조혈모세포
- 아데노부속 바이러스 (AAV)
- 지질 나노입자 (LNP)



체외 (*Ex-vivo*) 유전자 교정

유전자교정 기술이 적용된
CAR-T

면역세포 (Immune cell)

체내 (*In-vivo*) 유전자 교정

AMD/DR

Charcot-Marie-Tooth

Hemophilia / LSD

Verification of genome editing in GreenBio

