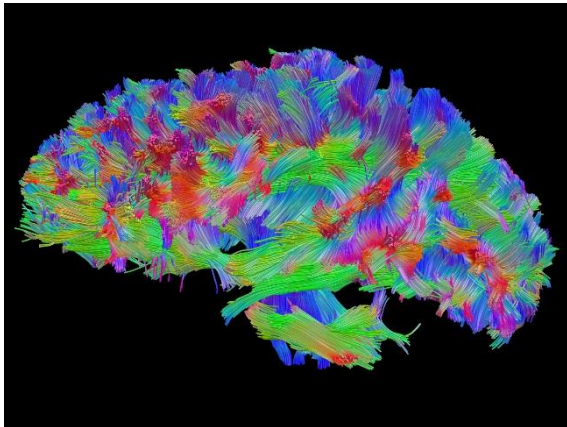


# 주간 뇌 연구 동향

2015-06-26



한국뇌연구원  
뇌연구정책센터

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 1. 살아있는 쥐 해마 CA1에서의 수상돌기 전환 역동성

### Impermanence of dendritic spines in live adult CA1 hippocampus

Alessio Attardo<sup>1,2,†\*</sup>, James E. Fitzgerald<sup>1,†\*</sup> & Mark J. Schnitzer<sup>1,2,3</sup>

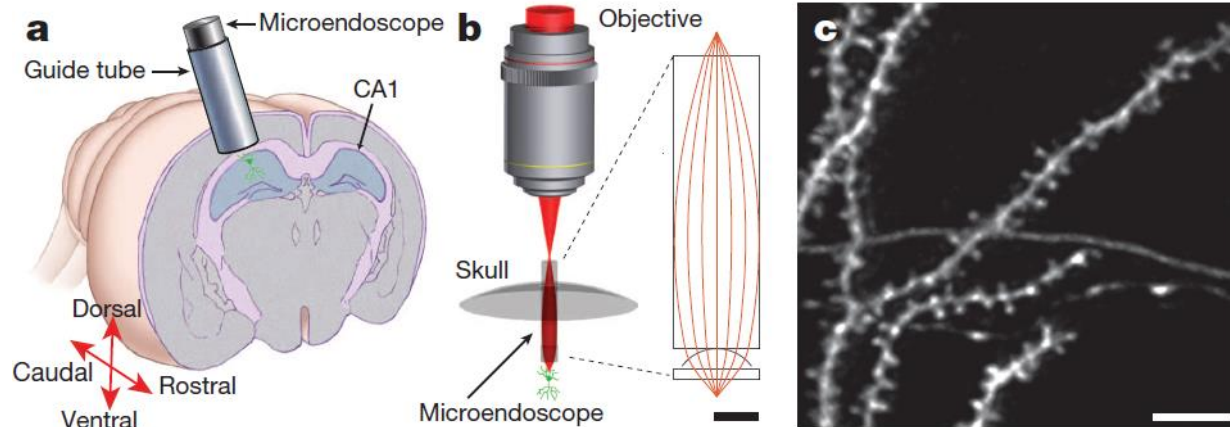
NATURE

Published online 22 June 2015

- 포유 동물의 해마는 일화적 기억의 형성에 중요하며, 성인 쥐에서는 약 3~4주, 인간에서는 더 오랫동안 정보를 지속시킴. 신경 과학자들은 신경 시냅스가 정보 저장의 기본 장소라고 생각하지만, 해마 시냅스가 해마 의존적 기억이 지속되는 동안 유지된다는 직접적 증거는 없음
- 미국 스탠포드대학 Mark J. Schnitzer 박사 연구팀은 해마 시냅스의 수명이 해마에서의 기억 지속성과 일치하는지를 예측하는 실험을 함
- 연구팀은 살아있는 쥐의 해마 CA1 영역에서 시간 경과 두 광자 현미경(time-lapse two-photon microendoscopy)을 사용하여 피라미드 신경세포의 기저수상돌기에 대한 전환 역동성(turnover dynamics)을 모니터링 함. 신경세포의 기저수상돌기는 시냅스 후 구조이며 전환 역동성은 흥분성 시냅스 연결을 반영한다고 간주함. 놀랍게도, CA1에서의 수상 돌기 전환 역동성은 이전 신피질에서 보여진 것과 크게 달랐음. 수학적 모델링은 연구 결과가 약 1-2주의 평균 수명을 가진 단일 수상 돌기 집단의 역학 모델과 가장 잘 일치함을 보여주었고, 이것은 이 기간 동안 2 ~ 3번의 100 % 전환이 일어나 시냅스 연결 패턴의 거의 전체가 삭제됨을 의미함
- NMDA(N-methyl-D-aspartate) 수용체 차단은 신피질에서는 수상돌기를 안정화시키지만, CA1에서는 일시적으로 수상돌기 손실률을 증가시켜 수상돌기 밀도를 감소시킴이 확인됨
- 이러한 연구 결과들은 성인의 신피질과 해마 피라미드 신경세포는 수상돌기 제어의 다양한 패턴을 가지며, 해마 의존적 기억의 일시성은 해마 시냅스의 전환 역동성을 직접적으로 반영함을 보여줌

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 1. 살아있는 쥐 해마 CA1에서의 수상돌기 전환 역동성



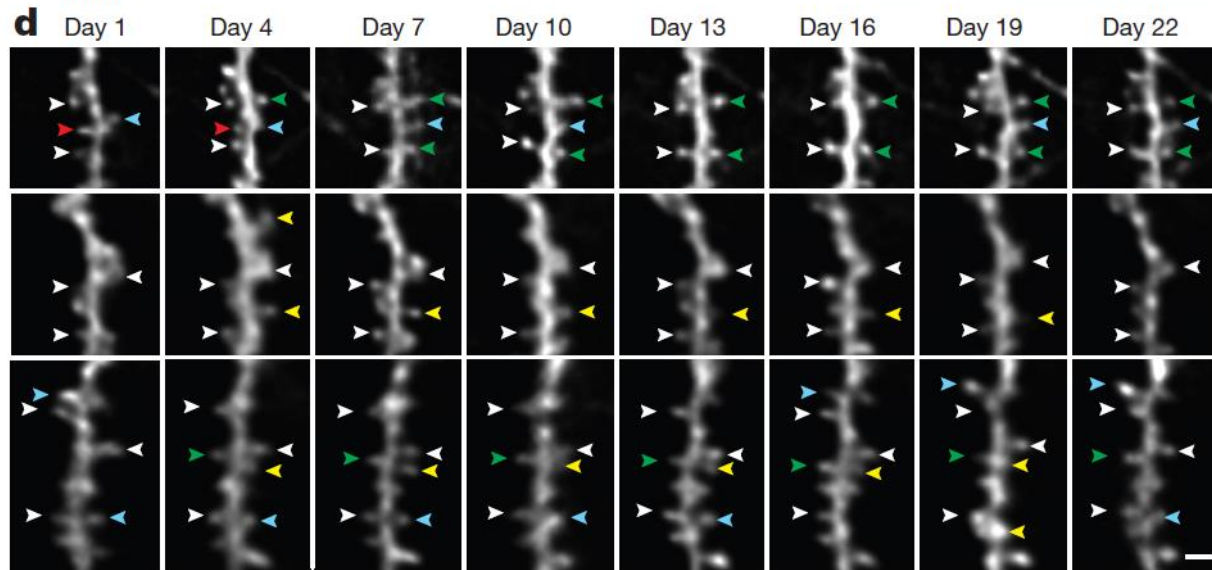
### Dendritic spines are dynamic in CA1 hippocampus of the adult mouse.

a, A sealed, glass guide tube implanted dorsal to CA1 allows time-lapse in vivo imaging of dendritic spines.

b, A doublet microendoscope projects the laser scanning pattern onto the specimen plane in the tissue. Inset: red lines indicate optical ray trajectories.

c, CA1 dendritic spines in a live Thy1-GFP mouse.

d, Time-lapse image sequences. Arrowheads indicate spines that either persist across the sequence (white arrowheads), disappear midway (red), arise midway and then persist (green), arise midway and then later disappear (yellow), or disappear and then later appear at an indistinguishable location (cyan). Scale bars: 500 μm (b, inset); 10 μm (c); 2 μm (d).



▷ Persistent    ▶ Disappearing    ▶ Newborn persistent    ▶ Newborn fleeting    ▶ Recurrent location

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 2. 포배단계 잠재력을 보유한 신경 능선 세포

### Shared regulatory programs suggest retention of blastula-stage potential in neural crest cells

Elsy Buitrago-Delgado,<sup>1\*</sup> Kara Nordin,<sup>1\*</sup> Anjali Rao,<sup>1</sup>  
Lauren Geary,<sup>1</sup> Carole LaBonne<sup>1,2†</sup>

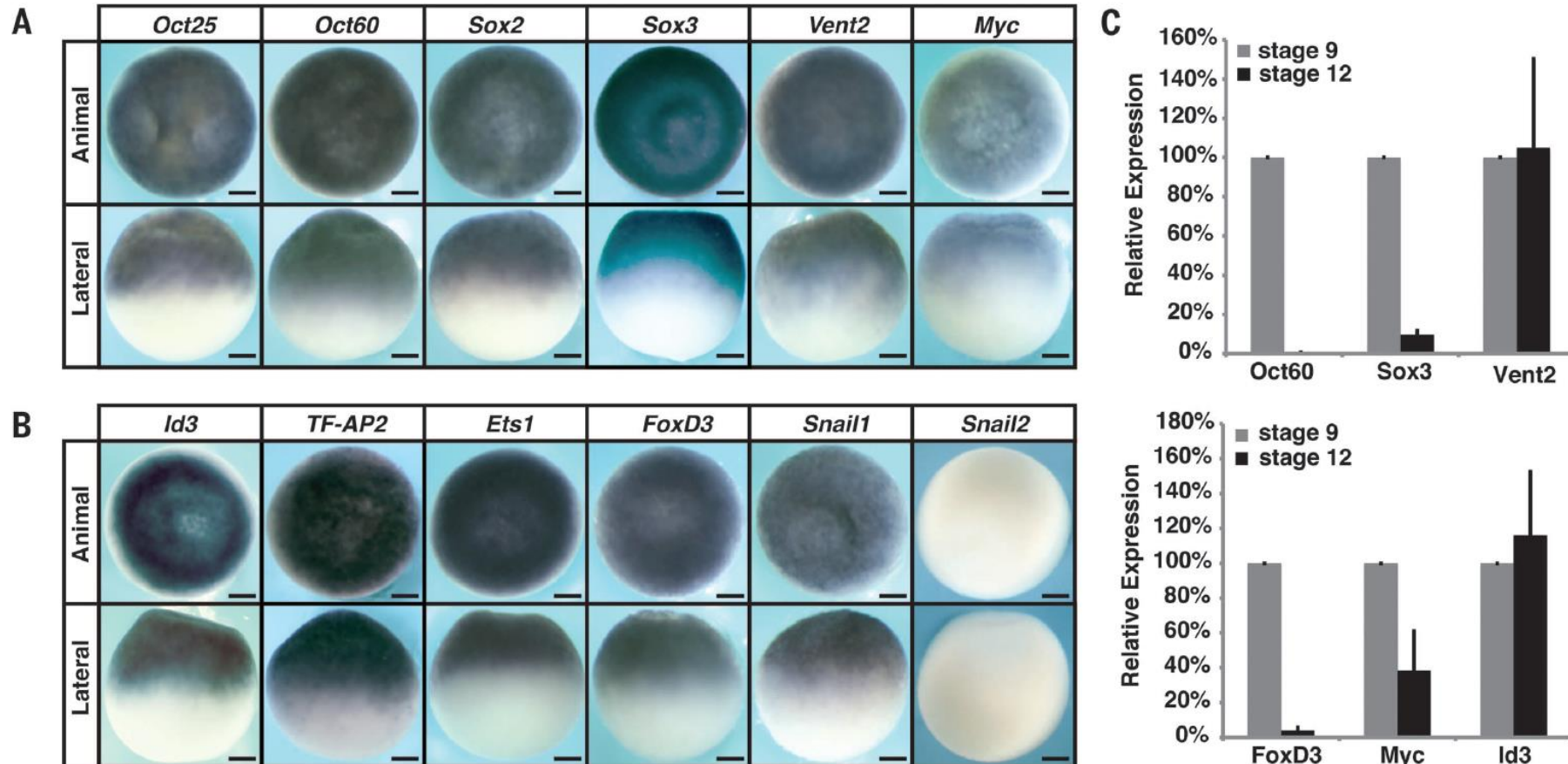
SCIENCE  
19 JUNE 2015 VOL 348 ISSUE 6241

- 척추 동물 특이적 신경 능선세포(neural crest cells)는 외배엽에서 발생하지만, 통상적으로 중배엽으로 분류되는 유형의 세포들을 생성할 수 있음. 신경 능선의 폭 넓은 발달 잠재력은 대부분의 외배엽 유래 세포가 계보 제한적(lineage-restricted)이 되는 시기 이후까지 지속되며, 어떻게 이러한 잠재력이 획득되는지에 대해서는 아직 잘 알려져 있지 않음
- 미국 노스웨스턴 Carole LaBonne 박사 연구팀은 신경 능선과 포배 세포(blastula)에서 공유되는 잠재력의 분자 기초에 대해 연구함. 연구팀은 개구리(Xenopus)에서 핵심 신경 능선 조절인자들이 포배 동물극 세포(blastula animal pole cells)에서도 발현되며, 두 종류 세포 모두에서 분화능을 촉진시킴을 보여줌
- 연구팀은 신경 능선 세포가 전능성을 가진 포배 세포의 한 분야(subset)로 진화하였음을 제시함

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 2. 포배단계 잠재력을 보유한 신경 능선 세포

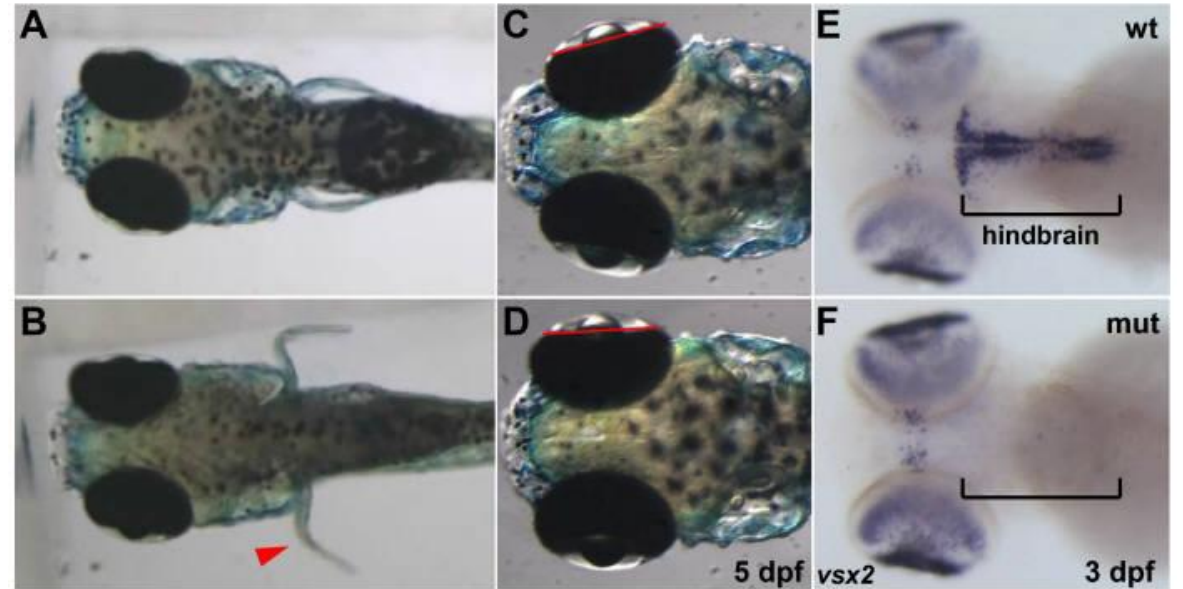
- **Neural crest cells and pluripotent blastula cells share a common regulatory circuitry.** (A and B) In situ hybridization of wild-type blastula (stage 9) *Xenopus* embryos examining expression of genes associated with (A) pluripotency or (B) neural crest formation. Scale bars, 250  $\mu$ m. (C) Quantitative reverse transcription polymerase chain reaction (RT-PCR) of wild-type ectodermal explants examining relative expression of pluripotency genes and neural crest genes over developmental time.



# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 3. 치료법 없던 간질, 치료 가능성 열렸다 출처: 전자신문

- 뇌신경행동 관련 치료제 개발은 세계적으로 매우 어려운 분야다. 특히 **간질(뇌전증)**은 현재 **원인 치료가 불가능**하고, 대안으로 항경련제, 근이완제 등을 병원에서 처방하는 실정이다. 하지만 최근 대규모 환자유전체 정보분석기술(NGS/GWAS) 발달로 인해 간질 원인유전자 규명이 가능해졌고, 간질 연구와 치료용 신약개발의 세계적 패러다임이 완전히 변했다
- 국내 연구진이 국제공동연구를 통해 간질과 지적장애 원인유전자를 발견하고, 병이 일어나는 원인을 밝혀 주목된다. 유전자가위기술을 이용한 질환모델동물로 제브라피쉬와 쥐 제작에 성공해 향후 관련 치료제 개발에 기여할 것으로 기대된다
- **충남대 생물과학과 김철희 교수팀**은 미국 그린우드 유전학연구소와 공동연구를 통해 간질과 같은 운동장애 증상의 원인을 밝혀냈다. 연구팀은 **중추신경계에서 신경흥분을 조정하는 신경전달물질 '감마 아미노뷰티르산(GABA)' 연합신경의 조절기능 이상**으로 중추신경계가 지나친 신경흥분 상태(뇌성마비)가 되고, 간질 등 운동장애 증상이 나타남을 밝혔다
- 연구를 통해 X염색체와 관련해 간질 및 지적장애 증상을 가지는 희귀유전질환 '**마일스-카펜터 신드롬(MCS)**' 원인유전자를 밝히고, 세계 최초로 그 분자기전을 규명했다. 그린우드 연구소와 공동으로 MCS환자 가계를 대규모 환자유전체 정보분석기술로 분석해 MCS 후보유전자를 발굴했다. 또 MCS 후보유전자에 대한 생물학적 검증을 위해 세계적인 유전자 녹아웃 신기술인 유전자가위를 활용해 질환모델동물 마우스와 제브라피쉬 제작에 성공했다



<녹아웃 제브라피쉬 모델동물을 이용한 운동장애 기전 규명>

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 3. 치료법 없던 간질, 치료 가능성 열렸다

- 질환모델동물과 수백 종의 유전자마커를 이용한 기능분석 연구에 성공해 발병 원인이 간질 발병기전 최상위에 위치한 GABA 생성에 있음을 밝혔다
- GABA 신경조절 이상은 결과적으로 운동신경에도 영향을 미쳐 근력저하증, 관절구축, 척추측만증 등 발달장애를 동반한다. 눈 운동신경 조절에도 문제가 생겨 안구운동실행증, 외사시, 안검하수증, 입과 턱관절의 비정상적 운동으로 인해 침을 많이 흘리는 상태가 되기도 한다
- GABA 연합신경세포에서 시작한 신경조절 및 중추신경계 이상은 최종적으로 지적장애로 이어진다
- 세계적으로도 간질 연구를 위한 유전 질환모델동물이 알려진 것이 거의 없다. 이번 연구를 통해 만들어진 녹아웃 동물모델은 국내 간질 치료제 연구개발에 보급하고 활용될 것으로 기대된다. 연구팀은 앞으로 간질 관련 전문임상연구진, 치료제 개발기업과 협력연구를 진행할 계획이다. 이를 통해 신규 간질 분자타겟 발굴, 동물모델에 대한 임상과 신약 개발 차원에서의 빠른 검증, 실전에서의 활용 등을 모색할 계획이다
- 김철희 교수는 “간질의 근본원인이 GABA 신경전달에 있다는 사실을 유전자 수준으로 규명한 것”이라며 “새로운 개념의 간질 치료제 개발뿐 아니라 유사한 운동장애인 근위축증, 파킨슨병 기전연구에도 도움이 될 것”이라고 말했다. 이어 “자폐증 환자의 3분의 1이 간질을 동반하므로 자폐스펙트럼장애(ASD) 연구에도 기여할 것으로 기대된다”고 밝혔다
- 연구팀은 국내에서 본격적인 자폐연구를 위해 최근 관련 연구자 모임인 ‘자폐프리즘연구회’를 구성했다. 연구결과는 유전학 분야 국제학술지 ‘인간분자유전학(Human Molecular Genetics)’ 8일자 온라인 판에 게재됐다

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 4. 척수 소뇌 운동 실조증 6형 진행에 뇌내 면역 시스템 관여 출처 KISTI 미리안 『글로벌동향브리핑』

Loss of MyD88 alters neuroinflammatory response and attenuates early Purkinje cell loss in a spinocerebellar ataxia type 6 mouse model

Tomonori Aikawa<sup>1,4</sup>, Kaoru Mogushi<sup>2,4,5</sup>, Kumiko Iijima-Tsutsui<sup>2,4,6</sup>, Kinya Ishikawa<sup>3,4</sup>, Miyano Sakurai<sup>1</sup>, Hiroshi Tanaka<sup>2,4</sup>, Hidehiro Mizusawa<sup>1,3,4,7</sup> and Kei Watase<sup>1,4,\*</sup>

Human Molecular Genetics  
published June 18, 2015

- 일본 도쿄의과대학 연구진은 척수 소뇌 운동 실조증 6형(SCA6)의 병세 진행에 뇌내 면역을 담당하는 미세아교세포(microglia)라고 불리는 세포의 활성화가 관련되어 있다는 것을 발견하였다
- 척수 소뇌 운동 실조증은 알츠하이머병, 파킨스병에 이어 환경수가 많은 신경성 질환으로 유효한 치료법이 아직 확립되지 않았다. 특히 연구대상인 SCA6은 일본에서 환자수가 가장 많은 척수 소뇌 운동 실조증의 하나로 치료법의 개발이 필요하다. SCA6은 그 원인 유전자 CACNA1A 유전자에 존재하는 CAG 리피터 배열이 반복하면서 염기서열의 이상으로 이어져있다. CACNA1A 유전자는 P/Q형 전위 의존성 칼슘채널이라는 신경세포 간의 전기신호 전달에 중요한 단백질에 관련된 유전자이지만, SCA6 환자의 경우 아미노산의 일종인 글루타민의 반복 배열(폴리 글루타민)의 이상이 있는 채널 분자가 생산되어 세포 내 축적된다고 알려져 있었다. 하지만 이것이 신경세포 변성에 다다른 메커니즘은 지금까지 밝혀지지 않았다. 연구진은 신장 CAG리피터 반복 배열 마우스 CACNA1A 유전자 조합기술을 이용하여, SCA6 환자의 증상(운동기능 저하 및 Purkinje cells 변성)을 재현한 SCA6 모델 마우스 개발에 성공하였다. 향후 이 마우스를 이용한 병세의 해명에 기여할 것으로 기대된다
- 구체적으로 연구진은 Purkinje cells라 불리는 소뇌 신경세포가 SCA6에서 어떻게 변성이 일어나는지를 해명하기 위해 SCA6 모델 마우스의 소뇌 유전자 발현 상태를 마이크로 어레이법으로 해석하였다. 그 결과 SCA6 모델 마우스에서는 Purkinje cells 셀의 변성이 확인되기 전, 뇌 내의 면역계를 담당하는 미세아교세포가 활성화된다는 것을 확인하였다



# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 4. 척수 소뇌 운동 실조증 6형 진행에 뇌내 면역 시스템 관여

- 미세아교세포는 신경조직이 손상을 입으면 활성화되며, 활성화된 미세아교세포는 신경변성을 악화시켜 신경세포 상해적 타입(M1)과 신경세포 보호적 타입(M2) 및 중간 상태가 있다. 상세한 해석 결과, SCA6 모델 마우스의 경우 병 초기에는 M1형의 세포 상해적 미세아교세포가 우위에 있어, Purkinje cells의 변성을 악화시킬 가능성이 있었다
- 활성화된 미세아교세포에 있는 특정 Toll-like receptor(TLR, Toll 유사 수용체) 단백질이 발현하면, TLR 시그널이 미세아교세포를 활성화시키는 것으로 보인다. 다음으로 TLR 시그널의 전달을 중개하는 분자인 MyD88 유전자를 결손시킨 마우스를 이용하여 SCA6 모델 마우스와 교배하여 미세아교세포의 활성화를 억제시키는 시험을 하였다. 그 결과 작성한 2중 변이 마우스에서는 운동기능 개선이나 Purkinje cells 변성이 억제되어 SCA6 증상이 개선됨을 확인하였다. 이는 Purkinje cells의 활성화가 SCA6의 병태를 악화시킨다는 것을 시사한다
- 본 연구는 SCA6의 초기 병태에 미세아교세포의 활성화 및 이에 의한 신경염증의 역할을 밝혀내, TLR 시그널의 기능을 저해하면, 초기 병태를 경감할 수 있을 가능성을 제시하였다. 최근 TLR의 자기면역질환 등의 주요 치료 타겟으로 주목받으면서, 그 기능을 억제하는 소분자 화합물의 개발이 주목받고 있다. 이후 이 화합물을 SCA6 모델마우스에 투여하는 검증 실험을 통해 보다 유효한 치료법이 개발될 것으로 기대된다. 또한 향후 SCA1 등 다른 척수 소뇌 운동 실조증 모델이나 SCA6 병태의 중기 이후의 미세아교세포의 역할도 상세히 해명할 수 있을 것으로 기대된다
- 본 연구성과는 Human Molecular Genetics에 게재된 논문 "Loss of MyD88 alters neuroinflammatory response and attenuates early Purkinje cell loss in a spinocerebellar ataxia type 6 mouse model"에서 확인할 수 있다

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 5. "지방·당분 과다섭취, 인지기능 떨어뜨려" 출처: 한국경제

- 지방이나 당분 과다섭취가 기억력을 포함, 인지기능을 떨어뜨릴 수 있다는 연구결과가 나왔다
- 미국 라이너스 폴링 연구소(Linus Pauling Institute)의 캐시 마그누슨 박사는 지방 또는 당분 과다섭취가 특정 장(腸)박테리아의 수에 변화를 일으켜 인지기능에 영향을 미칠 수 있다는 동물실험 결과를 발표했다고 메디컬 뉴스 투데이가 23일 보도했다.
- 그의 연구팀은 생후 2개월 된 쥐들을 3그룹으로 나누어 각각 고지방 먹이(지방 42%, 탄수화물 43%), 고당분 먹이(탄수화물 72%, 지방 12%), 일상적인 먹이를 2주 동안 주고 실험 전후에 물속 미로 찾기 등 일련의 인지기능 테스트를 시행했다. 그 결과 **고지방 또는 고당분 그룹 쥐들은 보통 먹이를 먹은 쥐들에 비해 장-단기 기억 등 전반적인 인지기능과 인지적 유연성(cognitive flexibility)이 현저히 떨어진 것으로 나타났다.** 특히 고당분 그룹 쥐들은 장-단기 기억력 저하와 함께 인지적 유연성이 가장 크게 떨어졌다. 인지적 유연성이란 이를테면 평소 다니던 길이 갑자기 봉쇄됐을 때 재빨리 다른 길을 찾아가는 능력을 말한다
- 연구팀은 이와 함께 쥐들의 분변을 채취, 장 박테리아의 분포가 실험 전과 후에 어떻게 달라졌는지 분석했다. **고지방 또는 고당분 그룹 쥐들은 대조군 쥐들에 비해 장 박테리아 중 클로스트리둠(Clostridiales)목(目)이 증가하고 박테로이데스(Bacteroidales)목이 줄어든 것으로 밝혀졌다.** 특히 고당분 그룹 쥐들은 장 박테리아의 이러한 변화가 가장 두드러지게 나타났다. 이 결과는 대장에 서식하는 장내균총(腸內菌叢: microbiome)이 뇌와 교신한다는 또 하나의 증거일 수 있다고 마그누슨 박사는 설명했다. 지방과 당분이 많은 전형적인 서구식 식사가 장내균총의 변화를 통해 인지기능에 부정적인 영향을 미친다는 연구결과가 발표된 일이 있다고 그는 지적했다. 그는 **장 박테리아는 신경전달물질과 유사한 물질을 방출해 감각신경 또는 면역체계를 자극할 수 있다고 밝히고 이 물질이 뇌에 어떤 신호를 어떻게 보내고 어떤 결과가 나타나는지가 앞으로 밝혀내야 할 과제**라고 강조했다
- 이 연구결과는 '신경과학'(Neuroscience) 최신호에 발표됐다

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 6. 유전자 변이(Genetic Variation)를 이용한 새로운 통증 타깃 개발 출처: KISTI 미리안 『글로벌동향브리핑』

- 어떤 사람들은 통증에 관련한 유전자 추첨제(genetic lottery)에서 승리한다. 그래서 그들은 심각한 신경 통증으로 발달할 수 있는 유전변이의 기회가 적다
- 이제, 하버드대의 한 연구팀이 세포 내에서 어떤 바이오 물질을 생산함으로써 그러한 유전적인 차이의 영향을 모방할 수 있는 방법을 보고했다. 이에 대해 이번 연구에는 참여하지 않은 텍사스대 신경생물학자인 Theodore Price는 “이번 연구는 이 분야에서 매우 뛰어난 연구 성과이다. 이러한 연구 결과는 새로운 통증 의약품 관련 타깃을 만들어낼 수 있다”고 말했다

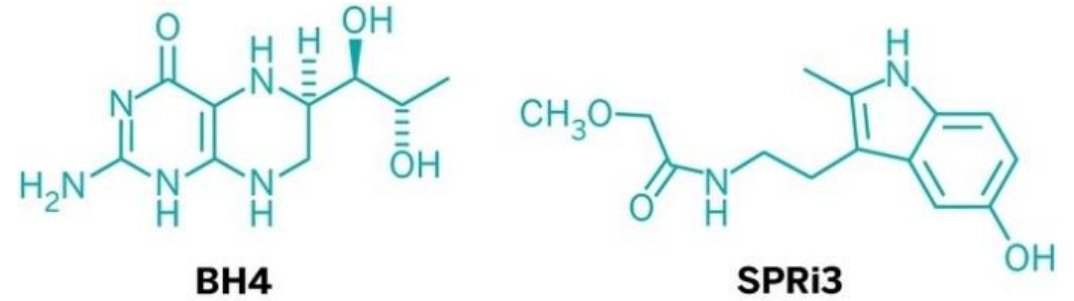


그림: BH4와 마우스에서 고통을 덜어주는 작은 분자인 SPRI3의 구조

- 많은 의사들이 새로운 의약품을 만들 수 있기를 고대하고 있는데 그 이유는 현재의 것들은 신경 손상(nerve damage)에 의한 만성적인 통증을 덜어주는데 미흡하기 때문이다. 이러한 통증은 오피오이드(opioid)\*의 중독을 포함한 많은 심각한 부작용을 초래할 수 있기 때문이다. 이에 대해 이번 연구 논문의 공동저자인 하버드대의 Alban Latremolier 박사는 “환자들은 때때로 치료를 포기하는데 그 이유는 이 고통보다 이 치료로 인해 야기되는 부작용이 더 심각하기 때문”이라고 설명했다
- 하버드대의 Michael Costigan과 Clifford J. Woolf를 포함한 Latremolier와 동료 연구자들은 사람들 사이에서 고통과 관련이 있는 것으로 알려진 타깃을 찾기를 원했다. 통증과 관련해 이들에 저항성을 보다 많이 지닌 사람들은 GTP 사이클로하이드롤레이즈 1(GTP cyclohydroxylase 1 (GCH1))을 코딩하는 유전자에서 유전적인 차이를 보이는 것으로 알려져 있다. 그 유전자들은 반응을 촉매하는 것으로 알려진 분자인 테트라하이드로바이오테린(tetrahydrobiopterin (BH4))의 생산에 있어서 중요한 역할을 수행한다. 연구팀의 몇몇 연구자들은 이미 이전에 고통스러운 신경 손상을 경험하고 있는 쥐들이 높은 BH4 레벨을 보인다는 사실을 입증한 바 있다. 그래서 연구자들은 이들의 레벨을 낮추면 고통이 줄어들지도 모른다고 생각했다

# 01. 국내외 뇌 연구 학술 동향

## 6. 유전자 변이(Genetic Variation)를 이용한 새로운 통증 타깃 개발

- 이번 새로운 연구에서, 연구자들은 마우스의 감각 뉴런에서 GCH1이 파괴된 실험용 마우스를 준비했다. 이들 마우스들은 낮은 BH4 레벨을 보여주었으며 신경에 손상이 일어난 뒤에도 고통에 대한 낮은 민감성을 보였다. 연구팀은 다음으로 BH4 생산 경로에 대한 저해제를 디자인해 테스트해 보았다. 이 분자는 GCH1을 억제하지는 않았는데 이 효소를 완전히 제거하면 부작용이 일어날 수도 있기 때문이다. BH4는 신경전달물질들과 심장기능을 조절하는 질산화물(nitric oxide)을 만드는데 중요한 역할을 한다. 연구진은 또 다른 효소인 세피아프테린 리덕테이스(sepiapterin reductase)에 대한 연구를 수행해 BH4를 제거하지 않고 줄일 수 있었다
- 억제제를 투여한 마우스들은 신경과 관련된 통증이 줄었으며 관절염을 앓고 있는 사람에게서 나타나는 염증 반응도 줄었다(Neuron 2015, DOI: 10.1016/j.neuron.2015.05.033). 또한 이 마우스들은 신경전달물질의 감소나 심장 기능의 이상과 같은 BH4 경로의 이상에 의해 발생하는 부작용도 적었다. 이에 대해 Latremoliere는 "이러한 연구 결과가 BH4의 합성을 타깃으로 하는 치료 방법이 믿을 만하다는 것을 보여주고 있다"고 말했다. 연구팀의 몇몇 연구자들에 의해 만들어진 Quartet Medicine이라는 바이오회사는 현재 세피아프테린 리덕테이스(sepiapterin reductase)의 새로운 억제제에 대한 개발을 진행하고 있다

오피오이드(opioid)\*: 오피오이드수용체와 결합하여 발현하는 물질군 총칭이다. 주요한 것은 아편류(opiate)와 오피오이드와 오피오이드 펩티드 및 이들 관련물질이다

## 02. 과학 기술 정책 및 산업 동향

### 1. 난치성 뇌전증 새 치료약물 SAGE-547에 기대 美신경학회서 전기임상시험 유망한 결과 발표, 출처: 메디컬트리뷴

- 표준치료의 효과가 없고 불가역성인 뇌장애나 사망 위험이 높은 난치성 뇌전증 중첩상태(SRSE). 아직까지 적응증을 가진 약물이 없는 가운데 현재 개발 중인 SAGE-547에 기대가 높아졌다
- 지난 18일 워싱턴에서 열린 미국신경학회(AAN 2015)에서 이 약물의 제I/II기 임상시험의 긍정적인 결과가 나왔기 때문이다

#### 표준치료에 효과없으면 전신마취요법

- 뇌전증 중첩상태(SE)는 "발작이 일정기간 계속되거나 짧은 발작이라도 반복하며 그 동안 의식이 회복되지 않는 경우"를 말한다
- 지속시간은 대개 30분으로 알려져 있는데, 발작이 5분 이상 계속될 경우 조기 치료해야 한다. 가장 흔한 원인은 항경련제 중단과 감량이며, 뇌혈관장애와 뇌종양 등도 많은 빈도를 차지한다
- 치료에는 로라제팜, 디아제팜, 페노바르비탈, 페니토인 등이 주로 사용된다. 하지만 이들 약제에 효과가 없는 경우는 난치성 SE(RSE)로 진단되며 집중치료실에서 인공호흡기와 전신마취요법으로 치료한다.
- 전신마취요법의 경우 미국에서는 시작 24시간 내에 해제하고, 발작이 얼마나 줄었는지 평가하는게 일반적이다
- 관해가 안나타면 다시 전신마취요법을 계속하는데 이 상태를 SRSE라고 한다. 아직까지 이 질환에 승인된 치료법은 없다

# 02. 과학 기술 정책 및 산업 동향

## 1. 난치성 뇌전증 새 치료약물 SAGE-547에 기대

2세 이상 환자 대상 검토에서 71%가 마취 해제, 피험제 감소에 성공

- SE는 억제성 신경전달물질인 GABAA수용체에 작용하는 벤조디아제핀 등의 효과를 급격하게 떨어뜨리는 만큼 빨리 치료해야 한다
- 호흡억제와 저혈압, 부정맥 등의 부작용도 있다. SAGE-547은 이들 약제에 치료저항성인 SRSE 치료를 위해 개발 중인 약제다
- GABAA 수용체의 단백질 변조약물로 분류되는 이 약물은 SE 모델쥐 실험에서 벤조디아제핀에 치료저항인 발작을 없애는 것으로 확인됐다
- 이번 AAN 2015에서 발표된 제I/II임상시험의 대상자는 2세 이상의 SRSE환자 20명
- 초록에 따르면 4일간의 시험기간 중 이 약물 투여 후 48시간 쯤 전신마취 해제율은 17명 중 12명(71%), 96시간 이내에 피험제를 줄이는데 성공한 비율도 71%였다
- 치료효과가 확인된 환자는 모두 치료 후 5일째 증상이 신속하게 개선됐으며, 30일째에도 양호한 상태를 유지했다. 65%에서 종종 부작용이 보고됐지만 피험제와 관련한 문제는 없었다
- 이 약물을 개발 중인 SAGE therapeutics사는 다음달 열리는 국제학회에서 이 시험의 최종분석 결과를 보고할 예정이다



감사합니다