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 □ 기타( )
적응증	□ 항암 □ 면역 □ 대사성질환 □ 심혈관질환 □ 호흡기질환 ■ 신경계질환 □ 안과질환 □ 감염성질환 □ 신장 및 비뇨계질환 □ 소아질환 □ 기타( )
개발단계	□ Target □ Hit □ Lead □ Lead Optimization □ GLP Toxicity ■ 초기 임상(P1/2a) □ 후기 임상(P2b/3)
제안유형	■ 공동 연구 ■ 공동 개발 □ 공동 판매 ■ 라이센싱 ■ 투자 □ 합작투자회사 설립 □ 기타( )
기술요약	다중 타겟 약물로서 치료효능은 높이고 부작용이슈가 없는 치료기술을 확보하여, 자폐 스펙트럼 장애(ASD), 취약 X 증후군을 포함한 뇌신경 발달 장애에서 “First-in-Disease” 치료제를 개발하고 있음 또한, 과학에 근거한 근거중심의학 (Evidence-based medication)으로 “행동치료, 마이크로바이옴, 기능성식품” 등과 차별화되는 ASD 치료의 표준 플랫폼을 구축하고자 함

〈기술 정보〉

국내 특허	1. ****을 유효성분으로 포함하는 취약 X 증후군 또는 관련 발달 장애 치료용 조성물	(□ 출원 전 ■ 출원 □ 등록)
	2. ****을 유효성분으로 포함하는 취약 X증후군 또는 관련 발달 장애 치료용 조성물	(□ 출원 전 □ 출원 ■ 등록)
	3. 신규 화합물 및 이의 정서행동장애 치료 용도	(□ 출원 전 ■ 출원 □ 등록)
	4. **** 및 이의 약학적으로 허용 가능한 염을 포함하는 취약 X 증후군을 포함하는 발달장애의 예방 또는 치료용 약학조성물	(□ 출원 전 □ 출원 ■ 등록)
	5. **** 또는 이의 약학적으로 허용 가능한 염을 유효성분으로 포함하는 자폐 범주성 장애 예방 또는 치료용 약학적 조성물	(□ 출원 전 □ 출원 ■ 등록)
	그 외 (7) 건	
해외 특허 여부 및 번호	■ 있음(출원) □ 없음	
	1. ****을 유효성분으로 포함하는 취약 X 증후군 또는 관련 발달 장애 치료용 조성물: PCT, 미국, 중국, 유럽, 일본 2. ****을 유효성분으로 포함하는 취약 X증후군 또는 관련 발달 장애 치료용 조성물: PCT, 미국, 중국, 유럽, 일본 3. 신규 화합물 및 이의 정서행동장애 치료 용도: PCT 4. **** 또는 이의 약학적으로 허용 가능한 염을 유효성분으로 포함하는 자폐 범주성 장애 예방 또는 치료용 약학적 조성물: 미국 등록	
연구개발 상황	□ 종료 ■ 진행 중 □ 기타( )	
유효성 자료 여부	■ 있음(■ in vitro ■ in vivo) □ 없음	
안전성 자료 여부	■ 있음(■ in vitro ■ in vivo) □ 없음 (NV01-A02, NV01-A03) ■ 있음(■ in vitro □ in vivo) □ 없음 (NV01-062)	

〈연구자 정보〉

연구자 기관명	㈜뉴로벤티	**연구자명**	신찬영
기술 담당자명	권경자		

<기술 정보>

기업 개요	○ 뉴로벤티는 2015년 7월, 신경약리학, 행동신경과학, 신경학 분야의 전문가인 과학자와 의사들이 설립한 순수 국내자본의 생명공학 벤처임 ○ 자폐 스펙트럼 장애, 취약 X 증후군을 포함한 뇌신경 발달 장애 치료제 개발에 주력하고 있음. 현재 박사급 인력 6인, 석사급 인력 5인, 학사급 인력 1인으로 구성되어 기술 개발에 참여하고 있음 ○ 소분자 물질 기반의 파이프라인을 구축하여 현재 2023년 임상 2상 시험을 목표로 개발중인 약물을 포함하여 다중타겟의 물질로 3종의 파이프라인을 보유 개발하고 있음. 이들 파이프라인 중 하나는 취약 X 증후군에 대한 희귀의약품 지정으로 2022년 10월 미국 FDA의 승인을 받음 ○ 2020년 시리즈 A 펀딩을 받은바 있고, 현재 drug repositioning 파이프라인 2종으로 NV01-A02와 NV01-A03, 신규 화합물 (NCE)로 NV01-062에 대한 효능평가를 완료하고 임상 진입을 위한 준비를 하고 있음 ○ 2021년 11월 보건산업진흥원 보건의료기술 우수기업선정으로, 2022년 7월 한국일보-한국특허정보원 대한민국 우수특허 대상으로 표창을 받음 ○ 뇌신경과학연구 경험을 바탕으로 중추신경계 (신경, 정신 및 신경 발달) 장애에 대한 치료제 후보발굴 및 비임상 연구 컨설팅, 후보 물질의 비임상 효능 및 안전성 평가를 위한 연구 서비스를 제공하고 있음 ○ 국내외 제품화 및 기술 라이센싱아웃 계획 등 사업화 및 출구전략을 수립하고, 주력 타겟질환인 자폐스펙트럼장애 이외에도 outreach program을 통해 유사한 병리 기전의 ADHD, 틱장애 등 유사 뇌발달장애 및 우울증과 같은 난치성 뇌질환 및 사회성장애 치료제로 적응증을 확대해 나가고, 파이프라인 가치 향상을 모색하고 있음 ○ 자폐스펙트럼장애치료제 글로벌 최초 상용화 및 백업물질 (NCE)을 확보하고, NV01-062를 비롯한 신물질 (NCE)의 전임상 독성, 약리 평가 및 모든 후보물질들의 글로벌 사업화를 추진하고 있음. 또한, 글로벌 사업의 확대 및 후속연계 제품 R&D를 위한 운영자금을 유치하고자 하고, 제품 인허가, 임상 및 기술 license out을 통한 글로벌 사업화와 코스닥 기술상장특례 IPO를 추진하고자 함
기술 개요	○ 개발기술의 개요 - 다중타겟약물로서 치료효능은 높이고 부작용이슈가 없는 치료기술을 확보하였기에 “First-in-Disease” 치료제를 개발하고 있음 - 과학에 근거한 근거중심의학 (Evidence-based medication)으로 “행동치료, 마이크로바이옴, 기능성식품” 등과 차별화되는 ASD 치료의 표준 플랫폼을 구축하고자 함 1. NV01-A02

	- 자폐증 환자와 동물의 전사체 데이터 분석을 통해 ASD관련 유전자 네트워크의 발현 패턴 이상회복을 조절할 수 있는 약물을 약물 재창출 전략을 통해 발굴함 - NV01-A02는 최적의 다중 신경전달물질 수용체 조절을 통해 ASD 핵심 증상인 사회성과 반복적 강박행동 치료효과와 다양한 동반증상들인 과잉행동과 불안/충동행동 등의 개선효과를 확인하였음 - NV01-A02는 현재 PCT 및 개별 국가 특허 출원이 완료되었고, 임상 2상 연구를 위한 IND 제출을 위해 제형 연구를 수행하고 임상 연구 계획을 준비하고 있음. NV01-A02는 이러한 다중타겟에 대한 작용기전을 바탕으로 미국 FDA로부터 취약X증후군 희귀의약품 지정이 승인되었음 2. NV01-A03 - 자폐증의 동물 모델뿐만 아니라 인간 자폐증 샘플에서 얻은 데이터들의 빅 데이터 분석을 통해 약물재창출 전략을 통해 발굴된 물질로 ASD (자폐 스펙트럼 장애) 치료제로 개발중임 - NV01-A03는 ASD 병인 및 병태생리와 관련된 것으로 알려져 있는 수용체에 복합적으로 작용하고 사회적 상호작용을 조절하는 주요 호르몬의 발현을 증가시킴 - NV01-A03은 경구 투여를 통해 ASD 마우스 모델에서 사회적 상호 작용의 결함을 개선하고 반복행동 및 과잉행동 개선효능에 대한 결과를 확보하였으며, 2024년 EU에서 임상 2상을 시작할 수 있도록 준비하고 있음 - NV01-A03은 현재 국내특허 등록, PCT 및 개별 국가 특허 출원이 완료되었음 3. NV01-062 (NCE) - NV01-062는 신규화합물로서 내인성 신경전달물질인 아그마틴을 분해하는 효소인 아그마티네이즈를 치료 표적으로 하고, ASD 조절과 관련된 다양한 신경전달물질들의 수용체에 복합적으로 작용함 - NV01-062는 자폐 동물모델에서 다양한 행동학적 효력 평가, PK시험 등을 진행하였고 이러한 비임상 연구결과를 바탕으로 2023년 추가적인 독성 연구를 준비하고 있음 - 현재 국내특허 출원 및 PCT 출원이 완료되었음 ○ 중추신경계 약물효능 평가 및 안전성 평가 플랫폼 - 중추신경계 (신경, 정신 및 신경 발달) 장애에 대한 치료제 후보발굴 및 비임상 연구 컨설팅, 후보 물질의 비임상 효능 및 안전성 평가 플랫폼이 구축되어있어 서비스 제공 - in vitro/in vivo 효능평가, 기전연구를 위한 질환모델 확보 (치매, 파킨슨병, 조현병, ADHD, 자폐증, 뇌졸중, 우울증 등)

	- in vivo 효능평가법 구축: 인지기능, motor function, 사회성, 과잉행동, 반복행동, 우울행동 등 - 중추신경계 부작용 평가법 구축: 수면장애, 의존성, 충동성, 성장저해등 - MoA, PoC 확립위한 연구법 구축: 타겟 발굴(RNA sequencing), 기전연구