

연구자인터뷰

미국 국립보건원(NIH) 중개과학지원센터위원회 자문위원 스티븐 스피버그 박사



“

우리가 유전학, 환경 및 성장과 발달이라는 전체를 복합적으로 모아보면 전 세계 환자의 삶을 개선하는 것이 점점 더 '팀 스포츠'라는 사실을 분명히 깨닫게 됩니다.

우리 모두가 여기에 함께 참여하고 있으며, 바로 거기에 지구 상의 질병으로 고통받는 모든 사람들을 도울 수 있는 엄청난 기회가 있는 것입니다.

”

Q. 우선 인터뷰에 응해 주셔서 진심으로 감사드립니다.

한국의 KoNECT 뉴스레터 독자들을 위하여 박사님 소개를 간단히 부탁드립니다.

한국임상시험산업본부(KoNECT)에 기고할 기회를 주셔서 감사합니다. 저는 40년 넘게 임상 약리 연구에 참여해 왔습니다. 시카고 대학에서 MD와 PhD (약리학)를 받았고 보스턴 어린이 병원(Boston Children's Hospital)에서 소아과 수련을 했으며, 미국 국립 보건원(National Institutes of Health)의 유전학과에서 전공의 수련과정(fellowship)을 거쳤습니다. 저는 존스 홉킨스 대학교(Johns Hopkins)의 소아과 및 약리학과의 교수직을 역임했으며 토론토 어린이 병원 (Hospital for Sick Children, Toronto)에서 임상 약리학 국장을 지냈습니다. 그 후 저는 존슨 앤 존슨 (Johnson & Johnson) 소아과 약물 개발 담당 부사장을 포함, 제약 업계에서 종사한 후 학계로 복귀해 다트머스 의학대학원 (Dartmouth Medical)의 학장 및 캔자스시티 아동 자선 병원 (Children's Mercy Hospital)의 약물 유전체학과 교수로 재직했으며, 최종적으로는 미국 식품의약국 (FDA)의 의료 제품 및 담배관리국의 부국장으로 일했습니다. 저는 이제 비상근직으로 미국 국립보건원(NIH) 중개 과학 지원센터(National Center for Advancing Translational Science)의 위원회에서 일하면서 소아과 약물 개발 자문을 하고 있고 국제 아동 자문 네트워크 (International Childrens Advisory Network)의 의료 자문단 (Medical Advisory Board) 책임자로도 근무하고 있습니다.

Q. 박사님께서 어떤 계기로 임상시험 분야에 입문하게 되셨는지요?

또한 지난 40여 년간 약물유전체학(Pharmacogenomics) 및 정밀의학(precision medicine) 분야에서 많은 업적을 남기셨다고 알고 있습니다. 주요 연구 분야에 대한 간략한 소개 부탁드립니다.

임상 및 기초 과학이라는 저의 교육 배경 때문에 초기에는 특이 약물 과민 반응에 대한 유전적인 감수성 차이에 초점을 두면서, 임상 증후군을 정의해 나가고 발병기전 및 유전 기작을 이해하기 위해 노력하다 보니 인간 약물유전체학(Pharmacogenetics)에 대해 관심을 가지게 되었습니다. 저는 많은 박사과정(PhD) 학생과 임상 전임의(clinical fellow) (일부 MD-PhD 및 일부 수의사 - 박사과정 학생)를 교육시키는 영광과 기쁨을 누렸으며, 그들 중 상당수가 기초, 중개 및 임상 연구분야에서 탁월한 경력을 쌓았습니다. 저는 캔자스 시티에서 맞춤 의학(personalized medicine) 프로그램 설립을 도와주었습니다. 거기에서 임상 약리학 분야는 저의 옛 제자 중 한 명인 Steven Leeder 박사가 이끌고 있습니다. 미국 식품의약국(FDA) 재직 시에 저는 "규제 과학"을 확장하려고 노력했고 맞춤 의학 및 정밀 의학에 중점을 두었습니다. 저는 발달 및 소아 임상 약리학 연구에도 초점을 두었습니다. 제약업계에 있을 때에는 소아에서 복수 약물(multiple medications)에 대한 임상 시험을 수행한 팀을 이끌었습니다. 저는 소아과 약물 개발을 국제적으로 조화시키기 위해 ICH E-11의 조사위원(rapporteur)으로 일했으며 소아과 임상 시험을 실시하는 기업에 인센티브를 제공하는 어린이를 위한 의약품 법(the Best Pharmaceuticals for Children Act)을 설계하고 구현하는 것을 도왔습니다.

Q. 올해 초 박사님께서 작성하신 'Why "Therapeutic Innovation and Regulatory Science" '제하 기고문을 보았습니다. "진보한 지식에도 불구하고, 많은 환자들이 치료적인 면에서 '보류' 상태로 남아있다. 그들의 삶은 우리가 매일 중개연구 발전에 매진해야 하는 의미를 부여해주고 있다"라는 부분이 마음에 와 닿았습니다.

의사로서, 연구자로서, 그리고 TIRS의 편집장으로서, 어떠한 비전을 가지고 계시는지 궁금합니다.

인간 질병의 병리 생리학에 대한 우리의 지식은 작년에 게놈 수준까지 괄목할 만큼 향상되었습니다. 그 지식을 중재(intervention)의 발전으로 중개(translate)하고 임상 연구를 통해 그러한 중재를 평가하려는 도전이 계속되어 왔습니다. 암을 비롯해 수많은 선천성 대사질환 및 유전 질환의 치료법의 발전은 실로 놀랄만한 것이어서 표적 정밀 의학 분야의 선두를 달려왔습니다. 지난 2년 동안 미국 식품의약국(FDA)가 승인한 새로운 화학 물질의 약 40 % 가 표적 '희귀(orphan)'제품이었습니다. 중개 패러다임이 성공적으로 구현되려면 '증후군'의 임상적 측면, 질병의 자연 경과(natural history), 이론에서 시작해 임상적 사용까지의 초기 효과를 평가할 수 있는 검증된 바이오 마커, 임상적 유효성을 평가하기 위한 결과 검증용 측정법에 대한 상세하고 검증된 지식이 필요합니다. 낭포성 섬유증은 낭포성 섬유증 막 횡단 전도 조절

연구자인터뷰

유전자(CFTR)의 특정 돌연변이에 대한 표적 치료가 현저하게 효과적인 새로운 치료법으로 이끌었던 좋은 모델입니다. 이러한 노력이 성공하려면 낭포성 섬유증(CF)에 대한 상세한 임상적 이해, 낭포성 섬유증 막 횡단 전도 조절 유전자(CFTR)의 다양한 돌연변이에 대한 포괄적인 이해와 그 단백질체학적 결과, 기형(defect)을 고치는 표적화된 소 분자의 개발, 초기 효과를 추적하는 명확한 바이오 마커 (발한 검사: sweat test), 낭포성 섬유증(CF)에 대한 안정된 임상 시험 네트워크, 그리고 임상 연구의 설계 및 구현에 환자와 그 가족의 적극적인 참여가 필요합니다. 이러한 모든 상황이 맞아야 성공할 수 있습니다. 우리는 괄목할 만한 진보에도 불구하고 솔직히 인간 생물학에 대한 지식은 아직 초기 단계에 있습니다. 많은 질병들이 제대로 이해되지 않고 잘 치료되지 않고 있지만, 지난 20년 동안의 발전을 보면 우리는 향후 20년간의 발전이 과학적으로도 훨씬 흥미롭고 도움이 필요한 환자에게 더욱 도움이 될 것임을 알 수 있습니다. 모든 이러한 복잡한 일이 성공하려면 기초, 중개 및 임상 과학자 간, 그리고 학계와 산업 간, 전 세계 환자 간의 협력이 필요할 것입니다.

Q. 한국 의료계 혹은 임상시험 관련하여 교류할 기회가 있는지요? 있었다면 경험을 공유해 주실 수 있으신지요?

저는 한국에 여러 번 방문했습니다. 첫 방문은 1998년에 서울 대학교의 임상 연구소 개소식에서 강연을 하기 위함이었고 그 이후로 미국 임상 약리학 회의 (American Pharmacology Society for Clinical Pharmacology meeting)를 포함해서 수년간 계속해서 동료 학자들과 교류를 이어 왔습니다. 최근 몇 년 동안은 동료 소아과 의사인 연세대학교 의과대학 및 부속 세브란스 병원의 박민수 박사와 함께 일해 왔습니다. 우리는 다 국가 소아 임상 시험에서 협력해 왔습니다.

Q. 마지막으로, 한국의 임상시험 관련하여 어떤 인상을 받으셨는지, 또한 임상시험 분야가 발전하기 위해서는 어떠한 노력이 필요한지에 대한 조언을 부탁드립니다.

한국에서 임상 연구가 크게 확대되어서 연구의 양과 질 둘 모두에서 두드러졌다는 사실이 인상적이었습니다. 전 세계적으로 협력을 확대하기 위해 부단히 노력하는 것이 우리 모두에게 중요합니다. 경험을 통해 저는 의학, 연구, 건강 및 질병에 관한 사회적 견해에 대한 토론을 통해 다른 사람으로부터 얼마나 많이 배우는지 감탄해 왔습니다. 우리는 보건 의료 체계, 다양한 자원의 가용성, 생물학 및 유전체학, 식생활 및 다른 생활 양식에 걸친 차이점 때문에 질병의 진단, 치료 및 결과도 매우 다양하다는 사실을 깨닫고 있습니다. 이는 곧 우리가 지속적으로 협력해야 발전한다는 것을 의미합니다. 우리가 유전학, 환경 및 성장과 발달이라는 전체를 복합적으로 모아보면 전 세계 환자의 삶을 개선하는 것이 점점 더 '팀 스포츠'라는 사실을 분명히 깨닫게 됩니다. 우리 모두가 여기에 함께 참여하고 있으며, 바로 거기에 지구 상의 질병으로 고통받는 모든 사람들을 도울 수 있는 엄청난 기회가 있는 것입니다.