

I 행사장 오시는 길



부산 BEXCO 컨벤션홀 107~110호

부산광역시 해운대구 APEC로 55 ☎ 051-740-7300 🌐 bexco.co.kr

I 교통 안내

* 주차비 별도 지원 없음



철도 지하철 부산역(1호선) 탑승 → 서면역에서 2호선으로 환승 → 센텀시티역 또는 벡스코역 하차



공항 지하철(부산김해 경전철) 공항역 탑승 → 사상역에서 2호선으로 환승 → 센텀시티역 또는 벡스코역 하차



지하철
· 2호선 센텀시티역
센텀시티역 1번 출구로 나와서 약 160m 도보로 진입
· 2호선 벡스코역
벡스코역 9번 또는 11번 출구로 나와서 약 270m 도보로 진입



버스 5-1, 31, 39, 40, 63, 100, 100-1, 107, 115, 115-1, 139, 141, 141(심야), 155, 181, 200, 307, 1001, 1001(심야), 1002, 3001, 3006

I 참가 대상

- 희귀질환 연구자
- 희귀질환치료제 개발 관련 기업
- 연구개발 지원 기관(인허가 기관, 투자사 등)

I 토론 분야



희귀 신경질환 기초 연구
(Basic research for neuromuscular diseases)



희귀질환 치료제 임상 개발 현황
(Clinical Approval)



희귀질환 치료제 인허가 전략
(Regulatory Affairs)



희귀질환 치료제 투자 동향 및 재단의 역할
(Company & Foundation)

희귀유전질환심포지엄 조직위원회

Rare Genetic Diseases Symposium Organizing Committee

🌐 www.raregds.com

📍 부산광역시 금정구 부산대학로50번길 68, 2층 A2호(장전동, PNU AVEC)

☎ 070-4124-8708

@ raregds.kr@gmail.com

제6회 희귀유전질환심포지엄

Thinking, Moving, Sensing
Freely!



2025. 09. 22(월) ~ 09.23(화)
부산 BEXCO 컨벤션홀 (107 ~ 110호)

주최 희귀유전질환심포지엄 조직위원회

주관 The Yakup 장수·해양바이오혁신인력 양성 교육연구단



Welcome Message

안녕하십니까?
희귀유전질환심포지엄 조직위원회입니다.

제6회 희귀유전질환심포지엄이 오는 2025년 9월 22일(월)부터 23일(화)까지 부산 벡스코 컨벤션홀(107호~110호)에서 개최됩니다.

이번 심포지엄은 “Thinking, Moving, Sensing Freely!”라는 주제 아래, 치료제가 없어 오랜 시간 고통 속에 살아가는 신경병증 환자들이 자유롭게 생각하고, 움직이고, 느낄 수 있는 세상을 향한 희망의 메시지를 전하고자 합니다.

이번 행사는 희귀 신경질환 분야를 중심으로, 최신 연구 성과와 치료제 개발 현황, 규제 전략, 글로벌 시장 동향은 물론 관련 환자 단체와의 협력 사례까지 폭넓게 조명할 예정입니다.

희귀유전질환심포지엄은 2017년 처음 시작된 이후, 질환의 발병 기전 연구와 치료 후보물질 발굴, 연구자 간 네트워크 강화 등을 통해 희귀 질환 극복을 위한 학술 교류의 장으로 자리매김해 왔습니다.

제6회를 맞는 올해 심포지엄 또한 국내외 희귀질환 연구자와 전문가, 바이오 기업, 규제 기관 관계자들이 함께 모여, 치료제의 상용화와 실 질적인 환자 혜택 확대를 위한 방향을 함께 고민하는 뜻깊은 자리가 될 것입니다.

희귀유전질환에 관심 있는 여러분의 적극적인 참여와 성원을 부탁드립니다.

희귀유전질환심포지엄 조직위원회

Program

Day 1 2025. 9. 22.(월) 사회자 | 황재연 부산대학교 분자생물학과 교수

Time	Topic
~13:00	Arrival & Registration
13:00~13:30	Opening Remark 강봉균 생화학분자생물학회 회장 박영민 국가신약개발사업단 단장 정선주 한국분자·세포생물학회 회장
Special Session	How to collaborate with Korean R&D Community
13:30~ 13:55	박영민 국가신약개발사업단 단장
Session 1	Basic Research for Neuromuscular Diseases 좌장 : 박종훈 숙명여자대학교 생명시스템학부 교수
13:55~14:20	Functional genomics approach to understand rare neurological diseases 최무림 서울대학교 의과대학 교수
14:20~14:45	Disruption of nuclear-cytoskeletal linkage by lamin A mutations in severe Emery-Dreifuss Muscular Dystrophy 강소미 부산대학교 생명시스템연구소 박사
14:45~15:10	Brain organoid-based virtual cell modeling predicts novel autism and neurodevelopmental disorder genes 안준용 고려대학교 바이오시스템의과학부 교수
15:10~15:35	Distinct Signaling Pathways Underlie Tissue-Specific Phenotypes in Carpenter Syndrome Models 고혁완 연세대학교 생화학과 교수
Break	
Session 2	Clinical Approval 좌장 : 한진 인제대학교 의과대학 교수
15:45~16:10	Therapeutic development of GNE myopathy 신진홍 부산대학교 의과대학 교수
16:10~16:35	Therapeutic effects of Fasudil on various symptoms of Fabry disease 한용만 KAIST 의과학대학원 교수
16:35~17:00	Current status of therapeutic development for amyotrophic lateral sclerosis 오기욱 한양대학교 의과대학 교수
Break	

Session 3	Regulatory Affairs 좌장 : 송재환 연세대학교 생화학과 교수
17:10~17:35	Regulatory support for Orphan and essential drug Of Korea Orphan and essential drug center (KOEDC) 김영림 한국희귀필수의약품센터 원장
17:35~18:00	Regulatory Process and Requirements for Biological Products 권오석 식품의약품안전처 유전자재조합의약품과 보건연구관
Reception & Dinner (그랜드애플 5F 빌바�홀)	

Day 2 2025. 9. 23.(화)

Time	Topic
Session 4	Company & Foundation 좌장 : 이경하 부산대학교 분자생물학과 교수
9:30~9:50	Funding Strategy : from Lab to Market 우정규 유안타인베스트먼트 이사
9:50~10:10	Inhibition of SOD1 trimerization is a novel drug target for ALS disease 우태균 PRG S&Tech 연구본부 팀장
10:10~10:25	Finding Freedom : The path of Korea GNE Myopathy Society 강태은 한국GNE근육병환우회 회장
10:25~10:40	(영상) The Role of ALS Patient Organizations in Supporting ALS Research Bonnie Ouyang AskHelpU AI Research Head
10:40~11:00	Early Phase Regulatory Affairs for Rare Disease Drug Development 이형주 KCRN Research 대표이사
제6회 희귀유전질환심포지엄 경품 추첨 이벤트	
Closing Remark 박범준 희귀유전질환심포지엄 조직위원장	

* 상기 일정은 변동될 수 있습니다.