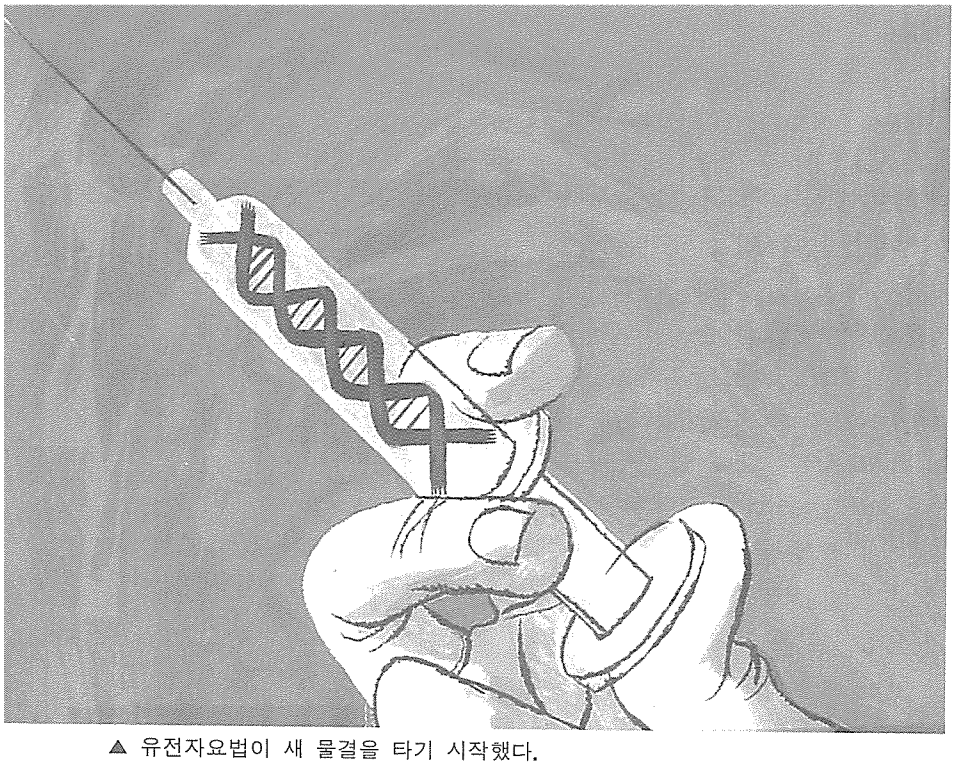


▲ 유전자요법이 새 물결을 타기 시작했다.

첨단과학기술현장

제2의 물결타는 유전자치료

그동안 소리만 요란하고 실적이 없다는 비판을 받아 온 유전자치료가 새로운 기술개발을 통해 실용화의 문턱에 바짝 다가서고 있다. 대학연구실에서 의료업계로 옮겨진 유전자치료 연구는 결실을 맺기 시작하여 2000년대 초부터 머리와 경부암을 비롯한 각종 질병의 치료용제품이 뒤를 이어 선을 보일 것으로 기대된다. 2010년경에는 연간 4백50억달러의 방대한 시장을 형성할 것으로 전망되는 유전자치료 개발의 현장을 찾는다.

玄 源 福 〈과학저널리스트/본지 편집위원〉

트로이의 목마

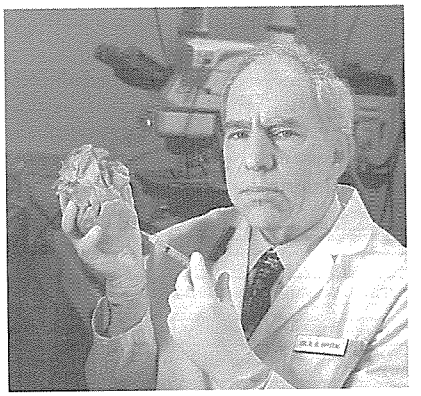
오늘날 수많은 사람들이 날마다 유전병으로 쓰러지고 있다. 특히 유전병으로 죽는 어린이들은 수천명에 이르고 있다. 많은 경우에 이들에게는 치료법이 없다. 이들의 유일한 희망은 연구자들이 하루 빨리 잘못된 세포 속으로 들어가서 치명적인 유전적인 잘못을 시정할 수 있는 방법을 개발해 주었으면 하는 것 뿐이다.〈별항의 박스기사 "유전자치료에 모두를 건 비운의 일가" 참조〉

인간의 유전병을 바로 잡으려는 첫 번째 시도는 1990년 9월 당시 미 국립보건원의 프렌치 앤더슨이 아데노신 데미나제 결핍증(ADA)이라는 유전병을 앓고 있던 클리블랜드 출신의 네살 먹은 어린이 아샨티 데실바양에 대한 치료에 착수함으로써 시작되었다. 이 병은 ADA라는 효소의 유전자의 변이(變異)에서 발생하는데 면역조직을 무력하게 만들어 결국 환자는 병균의 전염으로부터 무방비상태가 된다. 당시 유전자치료 방법은 몇몇 연구실에서 개발중이던 한가지 '전략'에 의존할 수 밖에 없었다. 연구자들이 당면한 문제는 잘못된 유전자를 시정하는 유전자를 수천이나 수백만개의 병든 세포의 핵 속으로 완전히 삽입해야 한다는 것이었다. 그러나 이런 유전자를 필요로 하는 특정한 조직 속으로 무턱대고 주입한다고 해도 유전자가 세포핵에 도달하지 못하게 되면 아무 효과도 없게 된다. 연구자들은 자연이 이런 까다로운 작업을 할 수 있는 기막힌 연장을 제공하고 있다는 사실을 알게 되었다. 많은 바이러스들은 스스로의 힘으로 세포핵으로 들어가서 세포의 유전자와 융합하면서 질병을 일으킨다. 앤더슨은 아샨티양으로부터 백혈구를 끄집어 내어 여기에다 병을 일으키는 유전자를 제거하고 ADA 유전자를 복제 및 첨가한 바이러스를 섞었다. 만약에 이 바이러스가 연구자들이 기대한 대로 행동한다면 세포를 감염하여 바이러스의 질병을 일으키는 유전자 대신 ADA유전자를 전달하게 된다. 그래서 감염된 세포는 ADA유전자를 만들기 시작하여 아샨티양의 결핍증을 시정하게 된다. 앤더슨의 이런 착상은 실험결과 가능하다는 것이 드러났다. 2년간에 걸쳐 이런 처치는 12

차례나 되풀이 되었고 아샨티의 몸은 정상적인 ADA의 양의 25%를 생산할 수 있게 되었다. 그러나 이런 수준으로는 미흡하기 때문에 오늘날 12살이 된 아샨티양은 앞으로도 계속해서 ADA를 주입해야 한다. 결국 앤더슨의 치료방법은 연구실에서는 성공했으나 아샨티양에 시술한 결과는 실망적이었다. 요컨대 지금까지의 유전자치료는 그렇게 효과적이라고는 말할 수 없다. 앤더슨도 "세포 속에 유전자를 넣는 일은 당초 우리가 생각하던 것보다 훨씬 어렵고 일단 세포 속으로 들어간 유전자들도 며칠 또는 수주가 지나면 기능을 멈추어 버린다"고 말하고 있다. 그래서 유전자치료는 아샨티의 증세를 완화시키기는 했으나 아직도 완치와는 거리가 먼 형편이다. 과학자들은 다시 연구실로 돌아가서 보다 우수한 바이러스 전달시스템과 다른 방법을 설계하기 시작했다. 이들은 바이러스 운반체의 성능을 끌어 올리기 위해 세밀하게 조율하는 길을 찾는 한편 유전자를 세포 속으로 집어넣는 다른 방법도 개발하기 시작했다. 과학자들은 그동안 레트로 바이러스(RNA종양 바이러스), 노출형 DNA, 아데노관련 바이러스, 인공염색체를 포함한 유전자치료용의 새로운 '연장'들을 줄줄이 개발했다. 그래서 스탠퍼드대학 유전자치료기술 프로그램 책임자인 헬렌 블로는 "10년 내에 유전자치료법의 활용도는 기하급수적으로 늘어날 것"이라고 내다보고 있다.

새 심장병 치료법

유전자치료 연구의 중심이 대학 연구실을 떠나 산업계로 이전하기 시작하면서 해마다 유전자치료 개발에 참여하는 기업이 늘어나서 오늘날 그 수는 수십개를 헤아리게 되었다. 특히 유전자요법으로 심장병을 치료하는 새로운 방법이 개발되어 2~3년 내에 미국의 발란티스, 바이칼 그리고 휴먼게놈 사이언스사의 산하기업인 바스큘러 제네틱스사가 이 요법을 완성할 것으로 기대하고 있다. 오늘날 유전자치료에서 가장 큰 관심을 끌고 있는 분야는 심장병 치료다. 뉴욕 소재 코넬대 의대의 로널드 크리스탈은 유전자를 이용하여 바이패스(側副路 : 환부를 피하여 혈액 따위를 흐르게 하는 대체용의 관)수술 또는 혈관형성술의 대체방법을 고안한 연구자중의 한사람이다. 크리스탈의 요법은 혈관성장을 부추기는 유전자로 손을 본 아데노바이러스(상부기도의 점막 및 임파절을 침범하는 바이러스)를 사용한다. 이 바이러스를 환자의 막힌 관상동맥 근처에 주입하면 막힌 혈관 주변에 일종의 바이패스인 새로운 동맥의 성장을 부추길 수 있다. 초기의 실험결과는 매우 고무적이지만 실험이 끝나자면 앞으로 최소한 2년은 더 걸린다고 크리스탈은 말하고 있다. 이 실험은 미국 매릴랜드주 로크빌 소재의 젠벡사와 워너 램버트사의 산하기업인 파크 데이비스 제약사가 시행하고 있다. 한편 바이칼사와 인트로젠 테라퓨틱스사는 현재 흑색종과 머리 및 경부암을 치료할 유전자요법의 (사람)임상실험을 마무리하는 단계에 있다. 타겟티드 제네틱스사는 사람의 낭포성 섬유증에 대한 유전자치료의 초기단계를 성공적으로 마쳤는가 하면 셀 제네시스사, 아비젠사 그리고 치론 테크놀로지즈사는 혈우병을 치료하는 유전자치료법을 개발하고 있다. 유전자치료 연구는 이제



▲ 유전자요법으로 심장병치료의 길을 연 코넬대학의 로널드 크리스탈

실용화의 문턱에 바짝 접근하고 있다. 초기의 실망적인 결과로 주춤하던 연구자들도 유전자를 세포로 운반하는 새로운 방법을 고안하기 시작했다. 이들이 개발하고 있는 것중에서 가장 장래가 촉망되는 신기법중의 하나는 사람인구의 80%가 이미 보유하고 있는 에데노관련 바이러스(AAV)에 의존하는 기법이다. AAV는 질병을 일으키지 않기 때문에 사람 면역조직의 방어작용이 주는 영향에서 벗어날 수 있다. 그래서 신경조직인 머리 속의 여러 가지 세포와 1세대 유전자치료 바이러스가 도달할 수 없었던 폐세포 속으로 교묘하게 들어갈 수 있다. 쥐와 원숭이에게 시험한 결과 시정용의 AAV 유전자는 최대한 2년까지 기능을 발휘할 수 있다는 것이 드러났다.

미국 펜실베이니어대학 인간유전자치료연구소의 제임스 윌슨소장은 1999년 후반기부터 근위측증과 혈우병치료를 위해 AAV를 사용하는 인간안전실험을 개시한다고 밝히고 있다. 윌슨소장은 운반시스템이 무엇을 할 수 있고 무엇을 할 수 없는가 보다 현실적인 사실에 바탕을 두고 이런 시스템을 가장 잘 치료할 수 있는 질병과 짝을 맺어 줄 수 있게 되었다고 말하고 있다.

▲ 유전자요법을 기다리고 있는 판코니 빈혈증환자 에이미양(왼쪽)과 그의 부친 프론메이어총장(오른쪽)

한편 치론 테크놀로지즈사는 혈우병을 가진 개를 치료하기 위해 AAV실험을 하고 있는가 하면 타게티드 제네틱스사는 스탠퍼드대학과 손을 잡고 AAV를 낭포성 섬유증환자의 동염(洞炎)치료에 사용하고 있다. 1999년 3월 발표된 초기의 안전시험 결과 이 요법은 부작용이 전혀 없고 23명의 환자의 정맥동염(靜脈洞炎)을 감퇴할 수 있다는 것이 밝혀졌다.

에이즈 바이러스도 한몫

새로 개발되고 있는 유전자요법에서 가장 놀라운 변화의 사례로써 캘리포니아주 소재 소크생물연구소 바이러스학자인 인더 버마박사가 에이즈 바이러스를 사용하여 유전자요법 운반시스템을 만들고 있다는 사실을 들 수 있다. 그는 인간의 세포를 감염할 능력은 보유하되 치명적인 유전자는 더 이상 내포하지 않는 비활성화된 에이즈 바이러스를 개발했다. AAV와 마찬가지로 HIV(인간면역결핍 바이러스의 약자. 에이즈를 발병시키는 바이러스)는 실상 인체의 어떤 세포도 어렵지 않게 감염시킬 수 있다. 그러나 HIV는 AAV보다 만들기 쉽고 더 많은 조각의 DNA를 수용할 수 있기 때문에 버마박사는 장차 과학자들이 가장 많이 이용하는 바이러스 운반시스템이 될 수 있다고 생각하고 있다.

버마연구실은 이 바이러스를 사용하여 유전자를 생쥐와 쥐의 뇌, 간장, 근육, 골수 그리고 망막세포로 운반했다. 이런 세포로 들어간 유전자는 적어도 5개월동안 기능을 발휘한다는 것이 드러나 수정된 에이즈 바이러스가 인간의 세포에서도 이와 같은 역할을 할 수 있게 되기를 바라고 있다. 그는 최초의 인체실험은 혈우병과 판코니 빈혈증에 대해 실시할 계획이다. 이밖에도 엡스타인 바르 바이러스(EBV : 림프종에서 처음 분리된 헤르페스 바이러스로서 전염성 단핵체의 병원체이며 버키트림프종 및 비인두암과 밀접한 관계가 있다고 생각됨)와 헤르페스 바이러스(疱疹 바이러스)를 포함하여 적어도 40여종의 바이러스가 잠재적인 유전자운반체로서 테스트를 받고 있다. 그러나 일부 연구자들은 바이러스를 이용하는 접근방법에서 손을 털고 있다. 예컨대 트랜스진사와 발렌티스사는 종양억제 유전자를 직접 암종양으로 운반하게 설계된 작은 지방구체(脂肪球體)를 개발하고 있다. 또 바이칼사와 바스큘라 제네틱스사는 운반시스템을 몽땅 배제하고 대신 페니실린 주사를 놓듯 간단한 절차를 통해 유전자를 직접 근육에 주입한다. 이 기법을 사용하면 유전자는 최소한 짧은 기간동안 쥐의 근육세포에서 유망한 항암제인 엔도스타틴을 생산할 수 있다고 보고하고 있다. 이 약은 곧 쥐의 혈관을 타고 이동하여 암종양의 성장을 억제하고 암이 번지는 것을 막는데 도움이 되었다. 그러나 이 비(非)바이러스형 운반시스템의 한가지 단점은 유전자를 세포 속으로 집어넣는데 바이러스보다 효율면에서 훨씬 미흡하다는 점이다. 이밖에도 유전자는 치료에 도움이 될만큼 충분히 오래 생존하지 못한다는 점을 들 수 있다. 크로모스 모레큘러시스템사와 애터시스사는 인간의 염색체처럼 행동하는 긴 섬유끈 모양의 유전자물질인 인공염색체를 개발하여 이런 문제를 해결하는 방법을 찾고 있다. 인공염색체는 시정용 유전자가 세포 속에서 장기간 기능을 발휘하는데 필요한 부품을 수반하게 구성되어 있다. 지금까지 배양된 사람세포의 연구를 통해 인공염색체가 세포의 수명만큼 유지할 수 있다는 것이 드러났다. 그러나 충분한 양의 유전자를 표적조직으로 주입하는데는 아직도 문제가 있으며 인체실험은 6~7년 후에나 실시될 것으로 어림하고 있다.

근본적인 치유

유전자요법의 직접적인 목표는 재래식 치료방법으로는 별로 도움을 줄 수 없는 수백만명의 환자들의 질병진도를 늦추어 주거나 멈추어 주자는데 있다. 그러나 궁극적으로는 인간의 정자와 난자의 유전적인 결함을 시정하는 유전자요법까지 개발할 수 있게 될 것으로 보고 있다. 이런 배선(胚線) 요법은 개인의 질병을 바로 잡을 뿐 아니라 그들의 자손으로부터 유전적인 결함을 제거할 수 있다. 이것은 심장병이나 유방암으로 고통을 받는 가족이 자식들에게 이런 유전적인 취약점을 물려주는 것을 피할 수 있는 길을 제공한다. 그래서 우리가 우리의 자손들에게 물려주는 유전적 유산은 처음으로 우리의 손으로 제어할 수 있게 된다. 이것은 질병치료에 도움을 줄 수는 있겠

으나 동시에 성가신 도덕과 윤리문제도 제기한다. 일부 생명윤리학자들은 유전자를 바꾸는 힘은 인간을 보다 강력하거나 보다 지능적으로 만드는 따위의 '수상한 결과'도 가져올 수 있다고 걱정하고 있다.

1990년대 초에 일부의 연구자들은 유전자치료를 통해 암에서 혈우병에 이르기까지 어떤 질병이든 치유할 수 있다고 약속하여 유전자요법은 많은 과학자들은 물론 금융가(월가)의 투자자들의 마음을 사로잡았다. 그러나 그 뒤 실험할 때마다 이런 약속을 뒷받침할만한 결과를 내놓는데 실패하자 유전자요법에 대한 사람들의 흥분은 사라지고 연구개발자금의 유입도 끊겼다. 그 결과 유전자치료계로 진출한 신진기업들중에서 임상실험을 거쳐 제품을 생산할 때까지 소요되는 10년의 세월을 생존할 수 있었던 기업은 많지 않다. 특히 유전자요법을 비롯한 생물공학 분야에 대해 낙관적인 견해를 가진 투자가들이 크게 줄어들었다. 그러나 이런 상황에서도 유전자요법의 개발연구는 느리기는 하지만 착실한 진전을 이루고 있어 주로 암과 심장병 분야에서는 5년 내에 유전자요법을 사용하여 환자를 치료할 수 있는 길이 열릴 것이라고 일부 전문가들은 내다보고 있다. 이제 문제는 누가 기술을 갖고 있는가 하는 것이 아니라 누가 먼저 실질적인 치료법을 출시하는가 하는 단계에 이르렀다는 것이다.

그래서 1990년 초 이래 수백억달러의 방대한 시장을 놓고 '부(富)의 찬스'를 움켜 잡기 위해 여러 관련기업들이 생물공학기법으로 손을 본 바이러스 등 중요한 유전자운반시스템에 대한 권리를 확보하려고 치열한 경쟁

유전자치료에 모두를 건 비운의 일가

미국 오레건대학교 총장 데이브 프론메이어박사와 라인부인은 1980년대 초까지만 해도 세상에서 가장 복받은 부부라고 생각했다. 당시 오레건주 검찰총장이었던 데이브와 사회사업가인 라인은 슬하에 건강하고 훌륭한 세명의 자녀를 두었다. 그러나 이들 부부는 결혼 13주년을 축하하던 1983년 어느날, 열살이던 장녀 커스턴양에 관한 끔찍한 뉴스를 접하게 되었다. 유전자검사 결과 희귀한 유전병인 판코니 빈혈증에 걸려 있다는 것이 드러난 것이다.

'판코니 빈혈증'

당시만 해도 이 병에 관해 별로 알려진 것이 없었다. 미국에서 이 병에 걸린 사람은 불과 1천5백명 안팎이었고 전세계를 통틀어도 3천명밖에 되지 않았다. 그래서 어떤 유전자가 발병의 원인이며 어떻게 피해를 주는 것인지 알고 있는 사람은 아무도 없었다. 다만 무엇인가 피를 생산하는 골수세포를 파괴하고 이 병에 걸린 환자는 특히 백혈병을 포함하여 암에 걸리기 쉽다는 사실만 알려져 있었다. 커스턴양은 몸의 피곤을 느끼고 쉽게 출혈하기 시작했다.

얼마 뒤 당시 네살이던 둘째딸 케이티양도 이 병에 걸려있다는 것이 밝혀졌다. 다행히도 장남인 마크는 걸려 있지 않았다. 판코니 빈혈증은 열성 유전병이어서 자녀가 부모로부터 각각 한개씩 모두 두개의 결손 유전자를 물려받는 경우에만 발병하게 된다. 판코니 유전자를 한개씩만 지니고 있는 데이브와 라인이 서로 합치는 경우에만 발병하는 것이다. 이들의 자녀들이 각각 2개의 이 유전자를 갖는 기회는 4대 1이었다. 이 병이 아들은 그대로 두고 딸들만 덮친 것은 우연한 일이었을 뿐이다.

프론메이어부부는 공영방송의 '노바'라는 쇼에서 유전자요법의 가능성을 알게 되었고 이것만이 아이들을 살릴 수 있는 길이라고 생각했다. 이들 부부는 이 병에 대처할 수 있는 방법을 알아 보기 위해 판코니 빈혈증을 앓고 있는 다른 가족들을 찾아나서 얼마 뒤 열아홉가족을 알게 되었다. 이들은 서로 정보를 나눌 수 있는 뉴스레터를 제작하기 시작했다. 1985년에 이르러 커스턴의 혈구계산(일정량의 혈액중의 적혈구·백혈구·혈소판 수의 측정)은 계속 떨어지고 있었다. 이들은 딸을 데리고 하버드의대를 찾았더니 의사들은 옥시메탈론이라는 남성호르몬으로 치료해 보라고 권했다. 커스턴양이 열세살 되었을 때 남성호르몬을 투약한 결과 혈구계산은 좋아져서 안정을 되찾았다. 그러나 둘째딸 케이티양에게 병의 첫번째 증세가 나타나기 시작했다.

1988년 프론메이어부부는 판코니 빈혈증을 연구하는 연구자들에 관심을 갖기 시작했다. 그중에서 록펠러대학 유전학자인 아린 아우어바호박사가 연구에 필요한 자금 5만달러를 갹출할 수 있을까고 물어왔다. 이들은 친구와 친척들에게 편지를 보내 얼마 뒤 이 돈을 거뒀다. 1989년에는 다른 두사람의 연구자들이 또 연구자금을 요청해 왔다. 그래서 프론메이어부부는 연구비 신청의 내용을 평가할 과학심사위원회를 소집하고 판코니 빈혈증연

을 벌이고 있다. 미국 샌디에이고시의 바이칼사와 포스터시의 셀 제네시스사는 현재 상당한 양의 특허권을 보유하고 있다. 뉴저지주 이스트하노버 소재 노바티스제약회사는 유전자요법의 주요한 선발기업으로서의 지위를 굳히기 위해 1998년 9월 산하기업인 사이시스템사와 제네틱 세라피스사를 합병했다. 한편 진메디신사와 메가바이오스사도 1999년 4월 초 합병을 선언하고 캘리포니아주 버링게임에서 발렌티스사를 설립했다.

이런 합병바람은 유전자발견에서 치료제 운반에 이르기까지 여러 연구분야에서 다른 기업보다 탁월해야 한다는 것이 얼마나 어려운 일이라는 것을 보여주는 대표적인 현상이다.

그런데 유전자요법계에서 성공하자면 한개 이상의 기업들이 보유하는 노하우를 확보할 필요가 있다고 알려져 있다. 전문가들은 유전자치료 개발회사가 실용제품을 개발하게 되면 투자가들이 다시 돌아올 것이라고 기대하고 있으나 현재 여러 기업들은 바로 개발을 완성하는 단계에 와있다. 예컨대 전이성 흑색종을 치료하는 바이칼사의 알로벡틴-7은 1998년 5월 임상실험 제3단계로 들어갔는가 하면 인트로젠 테라퓨틱스사의 머리와 경부암용의 p53요법도 마지막 임상단계에 있어 2000년 초에 제품생산에 착수할 계획이다.

유전자요법이 두번째의 물결을 타기 시작하자 프랑스의 유전자치료 기업인 트라스젠사의 베르나르 질리사장이 예언한 것처럼 "앞으로 10년 내에 유전자요법이 의료계에서 최고 최상의 '의료용 무기'가 될 것"이라고 전망하는 사람들이 늘어나고 있다. ST

구재단을 설립하는 작업에 착수했다. 이들은 또 최초의 과학심포지엄을 개최하고 이 병을 연구하거나 또는 관심을 갖는 과학자는 모두 초청했다. 약 18명의 과학자와 같은 수의 환자들이 참석했다.

찾아낸 결손유전자

한편 프론메이어부부는 모금한 자금을 판코니 빈혈증 발병의 유전자를 찾는 프로젝트를 조성하는데 사용했다. 1991년에는 판코니 빈혈증 가족을 위한 최초의 연례 여름 캠프모임을 가졌다. 이들은 한 자리에 모여 서로 가족들의 아픔을 함께 나눴다. 이 무렵부터 케이티는 여러 가지 복합증세를 보이기 시작했다. 그중에는 목에서 뇌로 가는 경동맥이 좁아지는 이른바 '모야 모야' 증세도 있었다. 이것은 결국 뇌졸중으로 몰아 갔고 케이티는 두번 더 뇌졸중을 앓은 끝에 마침내 회복할 수 없게 되어 1991년 12살의 어린 나이에 세상을 떴다. 일곱살때 잘해야 두달밖에 더 못살 것이라던 케이티는 5년을 더 산 것이다. 케이티는 마지막 4개월간 18번이나 병원에 입원하면서 "엄마, 지난 세월을 살아 온 것을 정말 기쁘게 생각한다"고 고백했다.

여름캠프는 연구자들에게 처음으로 비교적 많은 판코니 빈혈증 가족으로부터 피를 모아 DNA검사를 할 수 있는 기회를 제공했다. 케이티양이 죽은 뒤 얼마 안되어 최초의 판코니 빈혈증 유전자가 발견되었고 이어서 2개의 유전자가 더 발견되었다. 오늘날 연구자들은 이 병을 일으킬 수 있는 8개의 유전자를 확인했다. 이렇게 판코니 빈혈증 유전학에 관한 수수께끼가 하나둘씩 풀리기 시작했으나 커스턴양의 생명을 구하지는 못했다. 남성호르몬 치료로 연명해 온 커스턴양은 1997년 6월, 24세를 일기로 세상을 하직했다.

두딸을 잃고 슬픔에 잠긴 프론메이어 일가에는 다시 어두운 그림자가 드리우기 시작했다. 긴 금발머리의 푸른 눈을 가진 열두살의 셋째 딸 에이미양에게도 판코니 빈혈증세가 나타나기 시작한 것이다. 그러나 프론메이어부부는 이번만은 딸이 죽어 가는 모습을 무력하게 보고만 있지 않게 되기를 간절히 바라고 있다. 연구자들도 에이미양을 구제하는데 온갖 노력을 다하기 시작했다. 미 국립보건원 혈액학자인 존슨 류박사는 교정유전자로 결함이 있는 유전자를 대신하는 방법을 사용하여 판코니 빈혈증을 치유할 계획을 추진하고 있다. 그는 먼저 에이미양의 골수세포를 연구하면서 병의 원인인 유전자의 결함을 시정할 수 있다는 것을 보여 주었다. 다음 단계는 이 기법이 쥐의 빈혈증을 시정할 수 있다는 것을 보여 주는 일이다. 만약 이것이 성공하면 다음 대상은 아마도 에이미가 될 것 같다. 그러나 인간에 대한 임상실험은 몇해를 더 기다려야 할 것으로 보인다.

한편 1999년 5월 15일 시카고에서 가진 프론메이어의 과학심포지엄에서는 소크생물연구소의 버마박사가 에이즈 바이러스를 사용하여 판코니 유전자를 골수세포로 전달한 그의 실험결과를 보여 주었다. 그는 장애를 모두 극복하지는 못했으나 매우 전망이 밝다고 말하고 있다.

프론메이어부부는 그동안 다른 많은 사람들을 도울 수 있는 엄청난 공헌을 했다. 라인부인은 "우리를 밀어준 힘의 원천은 에이미를 아직도 살릴 수 있다는 희망에서 나온 것"이라고 말하면서 에이미의 생명을 건질 수 있는 유전자요법이 개발되는 날을 애타게 기다리고 있다.