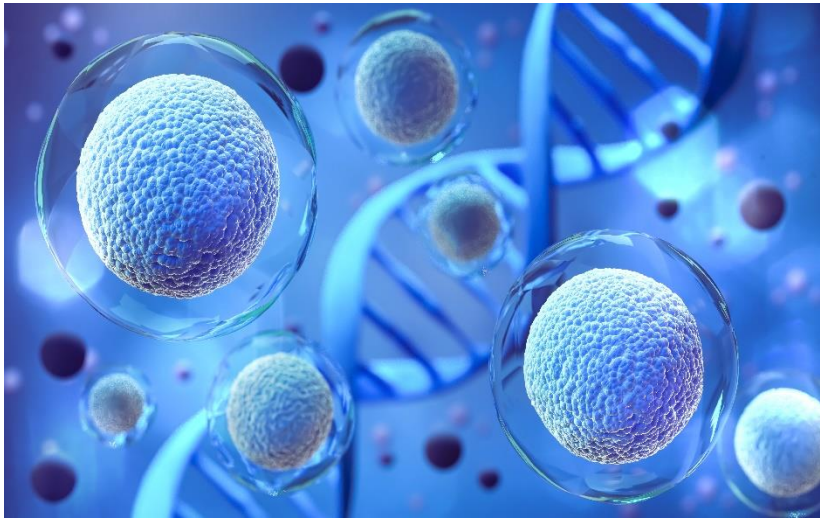


ISSUE REPORT

첨단재생의료 치료제 및 치료기술의
국내외 동향과 제언



- 들어가며
- 첨단재생의료 치료제 및 치료기술 글로벌 동향
- 국내 첨단재생의료 동향
- 결론 및 제언

글로벌 주요 동향

- ◆ 영국, 백신 예방접종 가치 개선 촉구
- ◆ FDA, 제네릭의약품 부족 해결을 위한 경제성 강조
- ◆ 필리핀, 의약품 및 API 허가 규정 변경 논의
- ◆ 중국·유럽, 공동협력 중요성 재확인
- ◆ WHO, 우수규제기관목록 33개 추가 등재
- ◆ ICH, 약물상호작용 및 RWD활용 가이드라인 공개
- ◆ 일본, 의료기반법 개정을 통한 개인정보 활용 촉진

※ KPBMA FOCUS는 제약바이오 산업계의 최근 이슈를 발굴하고, 전문가의 시선으로 주요 동향을 깊이 있게 분석하였습니다.

첨단재생의료 치료제 및 치료기술의 국내외 동향과 제언

조인호[#] 범부처재생의료기술개발사업단 단장

■ 들어가며

- 2022년부터 시작된 바이오분야에 대한 글로벌 투자의 찬바람이 코로나19 팬데믹 이후에도 여전히 불고 있음
- 글로벌 컨설팅기업인 맥킨지 보고서¹⁾에 따르면 바이오분야에 대한 투자가 저조한 가운데서도 글로벌 벤처캐피털(VC)의 세포·유전자치료제(Cell & Gene Therapy, CGT) 개발 기업에 대한 투자가 집중되고 있음
- 특히 최근 미국을 비롯한 선진국들은 신속개발 프로그램을 적극적으로 도입하여 첨단재생치료제 개발을 가속화하고 있으며, 실제 2020년 이후 세계 세포·유전자치료제 품목허가 건수는 급증함
- 우리나라는 2001년 이래 총 15개 품목의 세포치료제 제조허가 실적을 보유하고 있으나 2019년 4월 이후에는 국내 개발 품목허가 건수가 없으며, 2021년 3월 해외 제약사 노바티스사의 킴리아주에 대한 품목허가 이후 총 4건의 수입 유전자치료제에 대한 품목허가 실적만 있음
- 현재 재생의료(Regenerative medicine)²⁾기술 중 성체줄기세포 기술은 선진국의 85% 수준이나, 세포·유전자치료제 기술은 선진국과의 4~7년의 격차를 보이고 있음.³⁾ 선진국과의 기술격차를 줄이고자 노력하고 있으나 발전이 정체되고 있으며, 기술, 마케팅, 규제 등의 관점에서 선진국으로 도약하기 위한 정부의 혁신적 정책과 지원전략이 필요함

저자 약력: 서울대학교 약학대학 학·석사, 美 뉴욕주립대학교 의과대학 생물물리학과 박사, 美 하버드의과대학교 생리학과 박사후 연구원, 前 질병관리본부 생명과학센터 센터장, 前 이화의료원 서울병원 첨단생명연구원장, 한국조직공학 재생의학회 명예회장, 범부처재생의료기술개발사업단 단장(현재)

1) McKinsey & company, "What are the biotech investment themes that will shape the industry?", 2022.6.10. '19 ~ '21년 까지 1,000만 달러 이상 거래 규모를 가진 비상장 생명공학기업의 VC 및 사모펀드 펀딩 현황분석에 따르면 정확하게 타겟 부위에 전달할 수 있는 환자 맞춤형 치료법을 제공하는 새로운 기술 플랫폼을 보유하고 있는 신생기업에 대한 투자 비중이 2/3 이상이며, 이중 세포치료제 및 유전자치료제 기술개발기업에 대한 투자비중이 가장 높은 것으로 나타남

2) 재생의료(Regenerative medicine)는 사람의 신체 구조 및 기능을 재생, 회복·형성하거나 질병 치료·예방을 위해 인체세포 등을 이용하는 의학분야로 '세포치료', '유전자치료', '조직공학치료' 등으로 분류

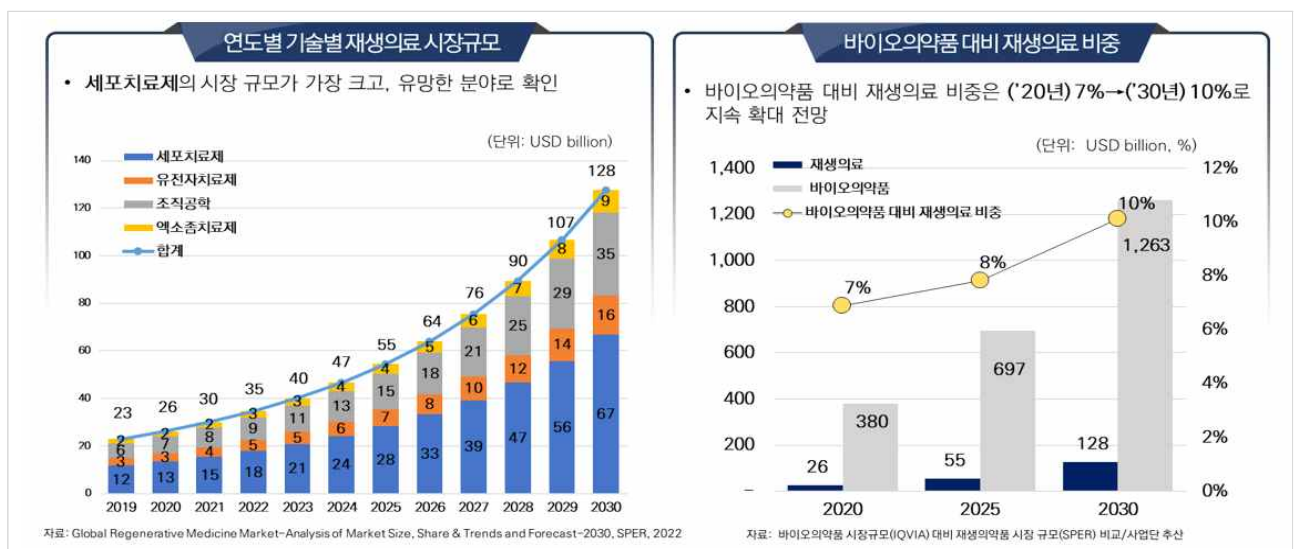
3) 한국보건산업진흥원, "2022년 보건산업 대국민 인식조사" 중 산업계 인식 조사 결과, 2023.7.3. 전국 보건산업분야 산업체 종사자를 대상으로 우리나라와 선진국 간 첨단재생의료산업 격차 극복 방안을 조사한 결과 R&D 강화 42.9%, 규제개선 및 정비 32.1%, 펀드조성 및 M&A 지원 14.3% 순으로 응답함

■ 첨단재생의료 치료제 및 치료기술 글로벌 동향

▶ 시장 동향

- 글로벌 재생의료 시장규모는 크게 확대되고 있음. 2019년 229억 달러에서 2030년 1,277억 달러 (약 177조 원) 규모로 연평균 17.45%로 성장할 것으로 전망⁴⁾
- 글로벌 시장조사 전문기관인 Evaluate Pharma에 따르면 재생의료 분야 중 세포·유전자치료제의 시장규모는 2021년부터 2026년까지 무려 연평균 49%의 높은 성장률을 보일 것으로 전망⁵⁾ (동기간 합성의약품은 연평균 5.7% 성장 예상)

<그림 1> 글로벌 재생의료 시장 규모 및 비중



출처: 범부처재생의료기술개발사업단(KFRM) 제공(2022.12)

▶ 글로벌 기술동향

- 글로벌 다국적 제약사 노바티스가 2017년 CAR-T 세포·유전자치료제인 킴리아를 개발한 이후 미국 및 EU를 중심으로 세포·유전자치료제는 전 세계적으로 빠르게 품목허가 되고 있음
- 미국 FDA는 2020년 이후 2024년 4월까지 총 20개 제품을 허가 하였으며, 최근 미국 FDA 심사 현황 자료에 의하면 2024년 5월 이후 연말까지 4개 제품의 추가 허가가 예상됨

<표 1> 2020년 이후 세계 세포·유전자치료제 허가 현황(2024년 4월 기준)

미국 FDA	유럽 EMA	일본 PMDA	한국 식약처
20개 제품	11개 제품	13개 제품 (6개 자국제품)	4개 제품 (모두 외국제품)

* EMA: European Medicine Agency, PMDA: Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

출처: FDA, EMA, PMDA, 식약처, 오송첨단의료산업진흥재단(KBioHealth) 재구성(2024.5)

4) SPER, "Global Regenerative Medicine Market-Analysis of Market Size, Share & Trends and Forecast-2030", 2022.

5) Evaluate Pharma, Kx Advisors, "Cell and Gene Therapy: The Next Frontier in Healthcare", 2022.

<표 2> 2020년 이후 미국 세포·유전자치료제 허가 현황(2024년 4월 기준)

	제품명	업체명	허가일	구분		주성분	적응증
1	Tecartus	Kite Pharma	2020.07	유전자치료제	세포	CAR-T 세포 브렉수캡타진 오토류셀	급성 림프구성 백혈병/포 외투마세포 림프종
2	Breyanzi	Juno Therapeutics	2021.02	유전자치료제	세포	CAR-T 세포 리소캡타진 마라류셀	B세포림프종
3	Abecma	Celgene	2021.03	유전자치료제	세포	CAR-T 세포 이데캡타진 비클류셀	다발성골수종
4	Stratagraft	Stratatech	2021.06	조직공학제제	동종	각질세포, 피부섬유아세포	피부화상
5	Rethymic	Enzyvant Therapeutics	2021.08	조직공학제제	동종	홍선조직	선천성무홍선
6	Carvykti	Janssen Biotech	2022.02	유전자치료제	세포	CAR-T 세포 실타캡타진오토 류셀	다발성골수종
7	Zynteglo	bluebird bio	2022.08	유전자치료제	벡터	오나셀조진 아베파보백	베타지중해성 빈혈
8	Skysona	bluebird bio	2022.09	유전자치료제	벡터	엘리발도진 오토템셀	부신백질 이영양증
9	Hemgenix	CSL Behring	2022.11	유전자치료제	벡터	에트라코진 데카파보백	혈우병 B
10	Adstiladrin	Ferring Pharmaceuticals	2022.12	유전자치료제	벡터	나도파라진피라 데노백	비근육침습성 방광암
11	Omisirge	Gamida Cell	2023.04	세포치료제	동종	조혈전구세포	혈액암
12	Vyjuvek	Krystal Biotech	2023.05	유전자치료제	벡터	베레마진 게페파백	수포성 표피박리증
13	Elevidys	Sarepta Therapeutics	2023.06	유전자치료제	벡터	에란디스트로진 모섹파보백	듀센 근이영양증
14	Lantidra	CellTrans	2023.06	조직공학제제	동종	이자섬세포	제1형 당뇨병
15	Roctavian	BioMarin Pharmaceutical	2023.06	유전자치료제	벡터	발록토코진 록사파보백	혈우병 A
16	Casgevy	Vertex Pharmaceuticals	2023.12	유전자치료제	세포	유전자편집세포	겸상적혈구병
17	Lyfgenia	bluebird bio	2023.12	유전자치료제	세포	로보티베그로진 오토템셀	겸상적혈구병
18	Amtagvi	Iovance Biotherapeutics	2024.02	세포치료제	세포	리필류셀	흑색종
19	Lenmelday	Ochard Therapeutics (Europe)	2024.03	유전자치료제	세포	마티다사진오토 템셀	이염성백질 이영양증
20	Beqbez	Pfizer	2024.04	유전자치료제	벡터	피다나코진엘레 파보백	혈우병 B

출처: FDA, 오송첨단의료산업진흥재단(KBioHealth) 재구성(2024.5)

- 최근 첨단재생의료치료제 글로벌 시장에서는 세포·유전자치료제 1개 제품에서 연간 1조원 이상 매출액이 나오는 제품들이 나오고 있음⁶⁾. 고액의 약가로 실제 임상현장에 사용되는 데는 어려움이 따르지만 세포·유전자치료제 시장 선점을 위해 글로벌 제약 바이오 기업들은 신약개발, 인수합병(M&A), 설비투자 확대 등 치열한 경쟁이 진행 중

6) 길리어드의 예스카타 CAR-T 세포·유전자치료제, 2023년 기준 연매출 1조 원 돌파

- 또한, 최근에는 오가노이드연구와 3D 프린팅 기술을 활용한 융복합 조직공학치료제 개발도 활발히 연구되고 있음
 - 손상조직을 치료할 수 있는 대체제로서 조직공학치료제 시장은 3D 프린터를 사용한 조직공학 기술 발전으로 성장이 가속화될 것으로 전망됨
 - 유전자 편집에 의한 세포치료제가 2023년 11월 영국과 미국에서 각각 허가되어 고도화된 CRISPR/Cas9 등 유전자 편집 기술을 활용한 유전자치료제 개발이 가속화될 전망
- 한편, 전 세계적으로 실시 중인 재생의료 분야 임상건수는 2,220건(2022년 4분기 기준)이며 이 중 임상 2상이 53%, 임상 1상이 38%를 차지

<표 3> 글로벌 임상동향

구분	세포치료제	유전자치료제	조직공학치료제	세포기반 면역항암제
임상 1상 (834건, 38%)	319	95	7	413
임상 2상 (1,184건, 53%)	584	229	22	349
임상 3상 (202건, 9%)	119	57	5	21
합계 (2,220건)	1,022(46%)	381(17%)	34(2%)	783(35%)

출처: Alliance for Regenerative Medicine(ARM) 재구성(2023)

▶ 정책 동향

- 미국 FDA는 재생의료 첨단약품에 해당하는 의약품이 신속심사제도를 이용할 수 있도록 다양한 제도를 운영하고 있음
 - 특히, 새로운 치료법 개발과 첨단약품 및 의료기기 개발 촉진을 위한 신속한 허가를 지원하기 위해 21세기 치료법(21st Century Cures Act)을 2016년 제정하고, 동법을 통해 첨단재생의료 치료제(Regenerative Medicine Advanced Therapy, RMAT)에 대한 정의와 범주를 신설하고 불필요한 규제들을 정비함
 - RMAT은 의학적 미충족 수요(Medical Unmet Needs)를 해결할 수 있는 재생의료치료제의 개발을 가속화하기 위한 제도로써, RMAT 지정을 받게 되면 FDA가 시행 중인 신속 개발 프로그램의 혜택을 받을 수 있음
 - 최근의 미국의 세포·유전자치료제 승인 건수 증가는 FDA의 혁신 신약 허가 지원 제도 도입 등 신약 개발에 대한 우호적인 분위기에 힘입은 결과로 보여짐

<표 4> 미국 FDA 신속심사제도

구분	가속승인(1992) Accelerated Approval	우선심사(1992) Priority Review	패스트트랙(1997) Fast Track(FT)	혁신신약(2016) Breakthrough Therapy(BT)	첨단재생의료치료제(2016) Regenerative Medicine Advanced Therapy(RMAT)
도입 목적	· 중증질환 치료제에 대하여 대리평가변수(surrogated endpoint)를 기반으로 의학적 미충족을 해결하기 위해 도입	· 신약승인 신청 후 6개월 이내 허가하는 것을 목표로 도입	· 신약개발 촉진 · 중대한 질환 치료, 의학적 미충족 해결을 위한 의약품 개발, 심사, 판매 신속화	· 기존 치료법 대비 안전성, 유효성 개선을 입증할 가능성이 있는 의약품의 개발 및 심사 신속화	· 신약개발과 심사절차를 가속화하기 위해 도입
특징	· 대리평가변수 또는 중간 임상적 평가 변수에 근거하여 승인	· 허가 심사 기간 단축 (6개월 이내 허가 목표)	· 신약개발과 심사절차를 가속화하기 위한 제도 · 비임상자료 근거로 신청가능 · Rolling Review 가능	· 신약 개발에 관한 상세 지침 제공 · 예비 임상자료 근거 필요 · 신속한 심사 절차 진행을 위한 기타 조치 제공 · Rolling Review 가능	· 혁신신약(BT)의 모든 특징을 포함 · 예비 임상자료는 해당 약물이 질병이나 상태에 대한 적절한 의학적 요구를 해결할 가능성이 있음을 나타냄
대상	· 생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제로서 임상적 유효성을 합리적으로 예측가능한 대리평가변수가 기존 치료제 대비 의미있는 개선을 입증한 의약품	· 중대한 질환의 치료, 진단 예방에서 표준치료보다 안전성, 유효성의 유의한 개선이 입증된 의약품 · 소아대상 임상시험 결과 보고와 관련하여 라벨 변경하는 경우 · 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물	· 중대한 질환의 치료를 위한 신약으로, 의학적 미충족을 해결하거나 기존 치료법보다 안전성, 유효성이 상당히 개선된 치료제 · 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물	· 중대한 질환, 생명을 위협하는 질환 치료 목적으로 예비 임상시험 결과에서 중요한 임상 평가변수에서 기존 치료제 대비 상당한 개선이 있는 의약품	-

출처: FDA, 범부처재생의료기술개발사업단(KFRM) 재구성(2024.4)

- EU는 첨단의료제품(Advanced Therapy Medical Product, ATMP)의 개발과 시판허가를 촉진하기 위하여 2007년 특별법을 제정
 - 이를 통해 EU 회원국 간의 제품의 안전성과 사후 추적관리를 효율적으로 관리하고 첨단약품 분야의 전문성을 공유하기 위해 중앙허가제를 도입
 - ATMP의 개발을 위한 임상시험 신청서는 국가 관할 당국에 개별적으로 제출되나, 판매 승인의 경우 유럽의약품청(EMA)에 의해 EU 전역에 적용 가능한 중앙집중식 승인 및 허가를 받고 있음
 - 일본은 국민들에게 신속하고 안전하게 재생의료를 제공하고, 보급을 촉진시키기 위해 2013년 재생의료안전법을 제정
 - 동법에서 임상연구를 통해 안전성과 유효성이 입증된 중위험 및 저위험으로 분류된 치료기술 중 지역 재생의료위원회의 심의, 승인을 받은 경우 지정 의료기관에서 자유진료를 허용하고 있음
 - 2015년에는 혁신적인 치료방법이 필요한 질환을 대상으로 하는 의약품과 세계 최초로 일본에서 조기 개발, 신청된 의약품을 우선적으로 상담 및 심사하는 사키가케 지정(Sakigake Designation) 제도를 도입
- ※ 사키가케 지정을 받은 경우, 일반적으로 임상 종료 후 12개월이 걸리는 승인 표준심사 대신 6개월간의 우선심사(priority review) 과정을 거치게 됨

■ 국내 첨단재생의료 동향

▶ 연구 및 기술 동향

- 우리나라는 2021년 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회가 구성되고 사무국이 설치되어 '첨단재생의료 임상연구제도'를 운영 중
 - 2024년 3월까지 22건의 연구과제에 대해 총 167억 원의 임상연구비를 지원⁷⁾
- 2021년 3월 과학기술정보통신부와 보건복지부가 공동 설립한 범부처재생의료기술개발사업단을 통해 2024년 6월 기준 173개 과제에 1,799억 원을 지원
 - 재생의료 원천기술개발과제에 53개 과제, 비임상연구지원이 포함된 연계기술개발과제에 109개 과제, 허가용 임상시험에 해당되는 치료제 및 치료기술개발과제에 11개를 각각 지원
- 세포·유전자치료제 임상 연구와 전세계 품목허가 현황을 보면 2010년대 중반까지는 미국이나 유럽에서 승인된 치료제는 그 수가 많지 않고 국내 기업의 줄기세포치료제 제품들이 다수 포진해 있음을 알 수 있음. 그러나 2019년 4월 이후 국내 개발 품목허가 실적이 없으며, 4건의 수입 유전자치료제에 대한 품목허가 실적만 있음

<표 5> 국내 세포·유전자치료제 허가 현황(2024년 6월 기준)

	기업 구분	기업명	제품명	성분명	적응증	질환군	최초 허가일	허가갱신일 (첨단바이오)	제조 /수입	비고
1	국내	셀론텍	콘드론	알엠에스자가 연골유래연골 세포	무릎 연골결손	근골격계	01.01.30.	21.08.26.	제조	세포
2	국내	테고 사이언스	홀로덤	자가유래피부 각질세포	화상	피부계	02.12.10.	21.08.27.	제조	세포
3	국내	테고 사이언스	칼로덤	사람유래피부 각질세포	화상/당뇨성 족부궤양	피부계	05.03.21.	21.08.27.	제조	세포
4	국내	바이오 솔루션	케라힐	바솔자가피부 유래각질세포	2도/3도 화상	피부계	06.05.03.	21.08.25.	제조	세포
5	국내	지씨셀	이문셀 엘씨주	엘씨자가혈액 유래티림프구	간세포암	(소화기계)	07.08.06.	21.08.27.	제조	세포
6	국내	셀론텍	알엠에스 오스론	알엠에스자가 골수유래뼈세포	국소 골형성 촉진	근골격계	09.08.26.	21.08.06.	제조	세포
7	국내	안트로젠	퀵셀	자가지방조직 유래 최소조직 지방세포	피하지방 결손부위 개선	내분비계	10.03.26.	21.06.09.	제조	세포
8	국내	에스바이오 메딕스	큐어 스킨주	자가유래피부 섬유아세포	여드름 흉터	피부계	10.05.11.	21.07.29.	제조	세포
9	국내	파미셀	하티셀 그램- 에이엠 아이	자가골수유래 중간엽줄기세포	급성 심근경색	순환기계	11.07.01.	21.08.26.	제조	세포
10	국내	메디포스트	카티스템	동종제대혈유래 중간엽줄기세포	퇴행성 관절염	근골격계	12.01.18.	21.08.19.	제조	세포
11	국내	안트로젠	큐피스템 주	자가지방유래 중간엽줄기세포	크론병	내분비계	12.01.18.	21.08.24.	제조	세포 (희귀)

7) 보건복지부 보도자료, “첨단재생의료, 임상연구로 기반 쌓아 치료로 이어간다”, 2024.4.30.
2021년 5월부터 2024년 3월까지 총 125건의 임상연구과제가 신청됐고, 이 중 약 44%(42건/96건)가 ‘임상연구 적합’으로 심의되었음

12	국내	코아시스템	뉴로나타-알주	자가골수유래 중간엽줄기세포	근위축성 측삭경화증	근골격계	14.07.30.	21.08.27.	제조	세포 (희귀)
13	국내	바이오솔루션	케라힐-알로	바솔동종피부 유래 각질세포	심부2도 화상	피부계	15.10.16.	21.08.25.	제조	세포
14	국내	테고사이언스	로스미르	테고자가피부 유래 섬유아세포	비협골 고랑 개선	피부계	17.12.27.	21.08.24.	제조	세포
15	국내	바이오솔루션	카티라이프	바솔자가연골 유래 연골세포	무릎 연골결손	근골격계	19.04.24.	21.07.22.	제조	세포
16	외자	한국노바티스	김리아주	티사젠 렉류셀	B세포 급성 림프성 백혈병	암 (면역계)	21.03.05.	최초 허가일과 동일	수입	유전자 (희귀 신약)
17	외자	한국노바티스	줄겐스마주	오나센노진 아베파르보벡	척수성 근위축증	신경계	21.05.28.	최초 허가일과 동일	수입	유전자 (희귀 신약)
18	외자	한국노바티스	럭스티나주	보레티진 네파보벡	유전성 망막질환	안과계	21.09.09.	최초 허가일과 동일	수입	유전자 (희귀)
19	외자	한국안센	카빅티주	실타캅타젠 오토류셀	다발골수종	암 (면역계)	23.03.16.	최초 허가일과 동일	수입	유전자 (희귀)

출처: 범부처재생의료기술개발사업단(KFRM) 제공(2023.3)

▶ 정책 동향

- 우리나라는 2019년 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」(이하, 첨단재생바이오법)을 제정하여 2020년 8월부터 시행
- 2024년 2월, 첨단재생바이오법이 개정되어 임상연구 등을 통해 안전성 및 유효성 관련 근거가 축적된 첨단재생의료 기술의 경우, 내년 2월부터 심의위원회의 첨단재생의료 치료계획 심의를 거쳐 지속적으로 환자에게 첨단재생의료 치료를 제공할 수 있게 됨
- 또한, 임상연구 대상을 확대하고 중대·희귀·난치병 환자 대상 세포·유전자치료와 비용 청구가 가능해질 예정
 - 지금까지는 사전 승인된 규모의 연구 대상자에 한해 비용 청구 없이 임상연구만 가능하였으나 법 개정에 따라 국내에서도 줄기세포 치료 등 첨단재생의료 치료를 받을 수 있게 됨
 - 해외 원정이나 국내 음성화된 치료 등의 문제가 해결될 뿐만 아니라, 첨단재생의료 임상연구를 활성화해 첨단재생의료 기술발전을 촉진하고 연구·산업 생태계가 확대될 것으로 기대
- 정부는 사회적 난제해결 및 새로운 기술·산업 창출 등 파급효과가 큰 미래혁신 분야로 세포·유전자치료 기술이 포함된 첨단바이오를 선정하고 육성 정책을 추진

<표 6> 첨단바이오 주요 정책 현황

정책	목표 및 주요 내용
12대 국가전략기술 선정 ⁸⁾ (2022.10)	· 미래를 바꿀 대표적인 게임체인저 기술로 국가 차원에서 투자와 정책역량을 집중해야 할 12대 국가전략기술 중 첨단바이오 선정
전략로드맵 수립 ⁹⁾ (2023.10)	· 2030년까지 달성해야 할 국가임무와 이를 위한 핵심 기술목표 및 투자정책 방향을 제시한 첨단바이오 전략로드맵 수립 · 디지털바이오 융합을 통한 난제해결에 초점 · 바이오제조 과정의 효율을 최대 10배 혁신하는 합성생물학 고도화 · 한국인 바이오 빅데이터 구축, 난치병 치료를 위한 유전물질 전달기술 확보 목표

민생토론회 개최 ¹⁰⁾ (2024.3)	<ul style="list-style-type: none"> · 첨단바이오 분야를 반도체에 이은 차세대 주력산업으로 육성 · R&D 투자를 확대해 2035년까지 국내 바이오 산업생산 규모 확대(200조 원) · 충북 오송 'K-바이오 스퀘어' 조성 및 첨단재생바이오 글로벌 혁신특구 규제 특례 지원을 통해 첨단재생의료에 대한 맞춤형 신속 심사절차 특례 부여
첨단바이오 이니셔티브 ¹¹⁾ (2024.4)	<ul style="list-style-type: none"> · 첨단바이오 강국 도약을 위한 '첨단바이오 이니셔티브' 발표 · 의료분야 세계 최초로 새로운 혁신을 이끌 파괴적, 창의적 연구에 도전 지원 · 유전자 조절·편집 기술, 신개념 약물전달 기술, 세포 추적·제어 기술, 신개념 재생의료 및 역노화 기술 지원 · 개인맞춤형 정밀의료 실현을 위해 CAR-T세포 한계를 극복한 CAR-NK, CIK (사이토카인 유도 살해 세포) 등 신규 CAR-세포 개발 및 체내발현 유도기술 지원

출처: 관계부처 제공(2022-2024)

■ 결론 및 제언

○ 글로벌 기술 경쟁을 위한 대책 마련 시급

- 선진국들은 첨단재생의료 글로벌 시장이 빠르게 성장할 것으로 예상하고 첨단바이오 분야 기술 및 시장 선점을 위해 정책, 제도 지원전략을 경쟁적으로 마련하고 있음
- 우리 정부도 첨단재생바이오법 제정(2019년), 개정(2024년)은 물론 최근에는 첨단바이오 이니셔티브를 발표하며 대응하고 있으나 국내 재생의료 생태계는 여전히 혁신기술 발굴, 투자유치, 인프라, 인허가 규제장벽 등의 문제를 안고 있어 세계시장 및 기술개발 발전 속도를 따라가지 못하고 있음
- 특히, 최근 국내 많은 벤처, 중소기업들은 국내 시장에서의 투자유치 및 임상시험 인허가의 현실적인 어려움으로 국외 기술이전 및 전략적 제휴 등을 통한 국외 진출을 모색하고 있음. 이는 국내 우수 핵심 기술이 싼값으로 해외로 유출될 가능성이 있으며, 향후 기술 종속국이 될 수 있어 대책 마련이 시급함

○ 범정부 차원의 파트너십 구축 및 지원전략 수립

- 혁신기술을 개발하고 상용화에 성공하기 위해서는 분산된 역량을 집약할 수 있는 국가 차원의 산·학·연·관 파트너십 구축이 필요. 우수한 과학기술역량, 병원인프라, 산업화 경험, 정부의 지원의지, 민간 투자자본 등을 연결할 수 있는 종합적인 체계가 구축되어야 함
- 세포유전자 치료제 등 첨단바이오분야는 혁신 도전적인 과제 발굴과 추진을 위해 범정부 차원의 지원이 필요함. 국가 예산 배정은 물론 과제 기획과 선정, 관리는 빠르게 변화하는 글로벌 연구 환경을 반영할 수 있도록 유연하게 적용할 필요가 있음

8) 관계부처 합동, “기술주권 확보를 통한 과학기술 G5 도약, 국가전략기술 육성 방안(안)”, 2022.10.28.

9) 관계부처 합동, “국가전략기술 임무중심 전략로드맵(안), II.미래혁신분야 인공지능, 첨단바이오”, 2023.10.31.

10) 과학기술정보통신부 보도자료, “첨단바이오의 중심에 서다, 충북(국민과 함께하는 민생토론회)”, 2024.3.26.

11) 관계부처 합동, “첨단바이오 이니셔티브(안): 2035년 글로벌 강국 도약”, 2024.4.25.

○ 임상연구 지원 방안 마련

- 첨단재생의료 임상연구는 상용화의 첫 단추로써 중요한 역할을 하기 때문에 개정된 법에 따라 환자의 치료기회 확대 및 치료기술 개발이 활성화될 수 있는 세부적인 방안이 적극 마련되어야 함. 특히 임상연구(Investigator Initiated Trial, IIT) 결과가 임상시험(Sponsor Initiated Trial, SIT) 진입에 용이하도록 연계 방안을 강구

○ 규제개선 및 지원체계 재정비

- 전술한 바와 같이 2020년 이후 국내에서 세포·유전자치료제는 해외에서 개발된 4건의 제품만 품목허가를 받았을 뿐 국내 제품은 한 건도 새로 품목허가를 받은 제품이 없음
- 줄기세포 등 인체에서 유래한 세포나 유전자를 이용하는 새로운 혁신기술을 기반으로 개발한 치료제가 품목허가를 받기 위해서는 다른 의약품과 마찬가지로 다수의 대상자를 상대로 임상시험을 거쳐야 하는데 안정성 등 엄격한 요건으로 상품화까지 진행되기가 쉽지 않은 구조
- 따라서 세포·유전자치료제의 인허가는 미국, 유럽, 일본 등 선진국의 급증하는 품목허가 성공 사례를 분석하여, 첨단재생의료 신기술의 빠른 확산을 위해 적합한 신속심사제도 마련, 규제 허들을 넘을 수 있는 밀착지원 컨설팅 등 규제 및 지원체계를 조속히 재정비할 필요가 있음
- 또한, 첨단재생바이오법이 개정되었으나 법 개정은 원론적인 내용인 만큼 국내 세포·유전자 치료제 개발이 가속화되기 위해서는 시행령에 구체적인 내용이 담겨야 하며, 합리적인 규제 기준 마련이 필요

○ 글로벌 협력을 통한 융복합 기술 확보

- 현재 글로벌 시장에서는 AI, 빅데이터 등의 디지털 기술과 유전자편집기술 등을 접목한 새로운 혁신 융·복합 세포치료제기술을 확보하여 재생의료기술의 한계를 극복하기 위해 치열한 경쟁과 동시에 다양한 협력이 전개되고 있음
- 국내 산·학·연 연구자들도 융·복합형 유망 혁신기술로 파이프라인을 다양화해야 하며, 미국, EU (Horizon Europe)등 첨단바이오 선도국 및 선도연구기관과 국가 간 기술우위 비교를 기반으로 협력파트너십 확대, 공동연구, 인력교류 등 다양한 글로벌 협력프로그램을 추진해야 함

○ 첨단재생의료 경쟁력 강화를 위한 생태계 육성

- 성장 잠재력이 높으나 자금확보에 어려움이 있는 유망 스타트업 및 벤처기업의 혁신기술을 활용한 신제품개발 지원, 지식재산권 판매 등 다양한 사업모델 발굴 등 첨단재생의료 분야 기업의 안정적인 성장 생태계 구축을 위한 적극적인 국부펀드 조성 및 활성화 필요
- 또한, 재생의료 시장에서의 경쟁력을 확보하기 위해 연구자의 제품 안정성 확보 및 품질관리 노력이 중요하며 cell bank, 생산·제조 공정기술, CRO, CMO, CDMO 등 제조·서비스산업 육성 전략 마련도 필요함

○ 이해관계자 간 소통 활성화

- 재생의료기술의 특성상 국민의 이해 제고를 위해 기술개발 초기 단계부터 환자, 환자의 보호자, 연구자 및 정부 간의 다방향 소통 시스템을 운용하는 것이 중요함
- 임상적 유효성과 안전성 확보를 위해 규제기관과 긴밀히 연계해야 하며, 재생의료 연구성과에 대한 대국민 소통과 홍보를 위한 다양한 노력이 요구됨

※ 본 리포트의 내용은 한국제약바이오협회의 공식적인 의견이 아닌 집필자의 견해이며 동 내용을 인용 시 출처를 밝혀야 합니다.

글로벌 주요 동향

◆ 영국, 백신 예방접종 가치 개선 촉구

- 영국 보건경제연구소(OHE)는 백신 예방접종에 대한 과소평가 가능성을 언급하며 비용-편익(cost-benefit) 분석을 통해 백신 접종자와 보호자의 생산성, 사회 형평성, 항생제 내성 예방 등을 포함한 전체 가치가 백신 예방접종 초기 투자비용의 최대 19배가량 사회적 혜택이 있다고 밝힘
- OHE는 정부와 다른 보건 당국들이 예방 우선적 사고방식을 갖추고 백신 접종 프로그램의 자금 확대를 주장

Pink Sheet, "Value of Vaccines 'Underestimated' By Policymakers, Economic Researchers Find", 2024.5.14.

◆ FDA, 제네릭의약품 부족 해결을 위한 경제성 강조

- 미국 식품의약국(FDA)의 Robert Califf 국장은 하원 청문회에서 제네릭의약품 부족 원인을 FDA 권한 밖의 경제적 요인으로 지적하고, 이를 해결하기 위해 시장 경제성 회복을 언급
- 고품질 의약품이 적절한 경제적 보상을 받을 수 있도록 가격을 높이고, 신뢰할 수 있는 의약품 공급원의 필요성 강조

Pink Sheet, "Brand Drug Shortages Complicate US FDA Messaging To Congress", 2024.5.17.

◆ 필리핀, 의약품 및 API 허가 규정 변경 논의

- 필리핀 식품의약국(Philippine FDA)은 인체용 의약품 및 원료의약품(API)의 허가에 관한 규칙 및 규정 변경 관련 협의를 진행 중
- 신규 지침을 통해 의약품 규제기술과 규제환경 변화에 신속 대응하고, 규제 신뢰(Regulatory Reliance)를 제도화하여 타국에서 엄격한 규제를 통과한 의약품의 중복 검토 방지 추진

RAPS, "Asia-Pacific Roundup: Philippine FDA consults on changes to drug product and API rules", 2024.5.20.

◆ 중국·유럽, 공동협력 중요성 재확인

- 지난 5월 중국에서 실시한 연례 약물정보학회(Drug Information Association, DIA)에서 중국과 유럽 규제당국의 전·현직 관계자들은 제약산업 생태계 혁신과 규제 조율, 의약품 접근성 향상 및 공급망 확보를 위해 상호 신뢰에 기반한 정보 공유와 협력 증진을 강조

Pink Sheet, "China, EU Regulators Highlight Innovation, Access And Collaboration As Key Policy Aims", 2024.5.22.

◆ WHO, 우수규제기관목록 33개 추가 등재

- 세계보건기구(WHO)는 '23년 10월 대한민국 식품의약품안전처, 싱가포르 보건과학청(HSA), 스위스 의약품청(Swissmedic)의 우수규제기관목록(WHO-Listed Authorities, WLA) 등재 발표에 이어, 미국 FDA, 유럽의약품청(EMA) 등 33개 규제기관을 추가 등재
- '24년 5월 13일 기준 WLA에 등재된 총 36개 국가* 규제기관에서 승인한 의약품·백신은 품질, 안전성 및 효능에 대해 최고 수준의 규제 기준 충족을 보장함

* 대한민국, 싱가포르, 스위스, 미국, 유럽의약품청(EMA), 유럽의약규제네트워크(EMRN), 오스트리아, 벨기에, 불가리아, 크로아티아, 사이프러스, 체코, 덴마크, 에스토니아, 핀란드, 프랑스, 독일, 그리스, 헝가리, 아이슬란드, 아일랜드, 이탈리아, 라트비아, 리히텐슈타인, 리투아니아, 룩셈부르크, 몰타, 네덜란드, 노르웨이, 폴란드, 포르투갈, 루마니아, 슬로바키아, 슬로베니아, 스페인, 스웨덴

Pink Sheet, "Major Boost For WHO-Listed Authority Scheme As US & EU Regulators Designated", 2024.5.22.

WHO, "List of WHO-Listed Authorities (WLA) as of May 2024", 2024.5.13.

◆ ICH, 약물상호작용 및 RWD활용 가이드라인 공개

- 국제의약품규제조화위원회(ICH)는 약물상호작용(Drug-Drug Interaction, DDI) 임상 연구와 효소 또는 수송 단백질 매개 체외(in vitro) 실험에 대해 표준화 방식을 장려하기 위한 ICH M12 최종 가이드라인을 제공
- 또한, 약물 평가에 실사용데이터(RWD)를 활용하는 약물역학 연구의 계획, 설계 및 분석 원칙에 대한 ICH M14 가이드라인 초안을 공개

RAPS, "ICH adopts M12 guideline on drug interaction studies, release draft M14 guidance on RWD", 2024.5.28.

ICH, "Drug Interaction Studies M12 Final version", 2024.5.21.

ICH, "General Principles on Plan, Design and Analysis of Pharmacoepidemiological Studies That Utilize Real-World Data for Safety Assessment of Medicines M14 Draft version", 2024.5.21.

◆ 일본, 의료기반법 개정을 통한 개인정보 활용 촉진

- 일본 정부는 올해 4월 차세대 의료기반법 개정을 통해 익명 데이터 외에 가명화된 데이터 및 정부 인증의 여러 클라우드 플랫폼 사용 허가 등 보건의료 개인정보 활용 정책 시행 중
- 병원, 지방자치단체 등 광범위한 기관으로부터 개인 의료기록 수집, 데이터 가명화를 통한 의료 데이터베이스 확장 등 개정 법안의 이점을 바탕으로 RWD 활용 향상 및 국가 신약개발 역량 강화 기대

Pink Sheet, "Japan Aims To Broaden RWD Use By Allowing Pseudonymised Data", 2024.6.3.