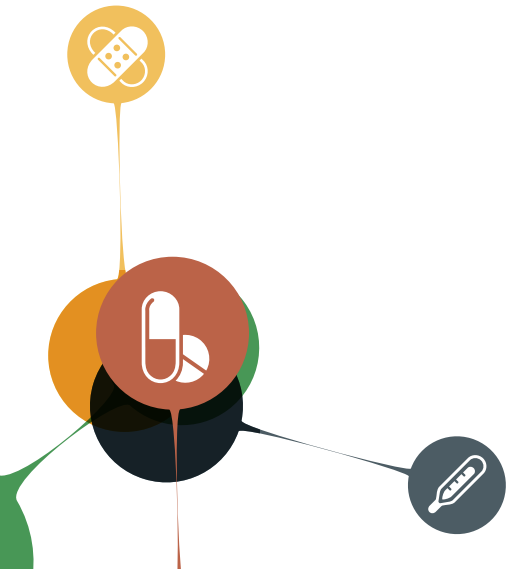




2018

첨단바이오횰약품

산업 백서



보건복지부



과학기술정보통신부

KHIDI

한국보건산업진흥원
Korea Health Industry Development Institute



한국연구재단
National Research Foundation of Korea

Contents

1

바이오의약품 현황

제1절 바이오의약품 개념	3
1. 바이오의약품 정의	3
제2절 바이오의약품 현황	5
1. 세계 현황	5
2. 국내 현황	14

2

첨단바이오의약품 현황

제1절 세포 및 유전자치료제의 정의	25
1. 세포치료제 정의	25
2. 줄기세포치료제 정의	27
3. 유전자치료제 정의	28
제2절 줄기세포 및 유전자치료제의 종류	29
1. 줄기세포치료제 종류	29
2. 유전자치료제 종류	31
제3절 세포 및 유전자치료제의 시장·투자 동향	36
1. 세포치료제의 시장동향	36
2. 줄기세포치료제의 시장동향	39
3. 유전자치료제의 시장동향	50
4. 줄기세포 및 유전자 치료제의 투자동향	55
제4절 줄기세포 및 유전자치료제의 주요기술 및 특허·논문 동향	66
1. 줄기세포 및 유전자치료제의 주요기술	66
2. 줄기세포 및 유전자치료제의 특허동향	70
3. 줄기세포 및 유전자치료제의 논문동향	96

3

국내외 줄기세포 및 유전자치료제 관련 지원 육성 및 정책 비교

제1절 국가별 줄기세포 및 유전자치료제 관련 인허가 지원 정책 비교	105
1. 국가별 줄기세포치료제 인허가 지원 정책	105
2. 국가별 유전자치료제 인허가 지원 정책	111
3. 국내 줄기세포 및 유전자치료제 관련 지원 정책	120
제2절 국가별 줄기세포 및 유전자치료제 관련 R&D 지원 정책 비교	128
1. 줄기세포치료제 R&D 지원 정책	128
2. 유전자치료제 R&D 지원 정책	140

4

국내외 임상·인허가 성공사례 및 성공·저해 요인 분석

제1절 국내외 임상 시험 현황	145
1. 줄기세포치료제 임상 시험 현황	145
2. 유전자치료제 임상 시험 현황	152
제2절 국내외 임상 시험에 관한 규정 및 절차	158
1. 줄기세포치료제 및 유전자치료제의 인허가 및 임상시험에 관한 규정 및 절차	158
제3절 국내외 임상·인허가 성공 사례	179
1. 국내 허가 사례 분석	179
2. 미국 허가 사례 분석	188
3. 유럽 허가 사례 분석	191
4. 일본 허가 사례 분석	195
5. 사례별 허가심사 리뷰의견	196
제4절 국내 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석	201
1. 첨단바이오의약품 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석	201
2. 줄기세포치료제 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석	204
3. 유전자치료제 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석	205

5

국내외 관련 업체 및 연구개발 현황(줄기세포 및 유전자치료제)

제1절 국내외 관련 업체 현황	211
1. 줄기세포치료제 및 유전자치료제 개발 업체 현황	211
제2절 국내 업체 인력 및 창업 현황	225
1. 산업별 산업기술인력 수급 현황	225
2. 바이오산업 인력 현황	226
3. 첨단바이오의약품 개발 실태조사 회신기업의 연구인력 규모	230
4. 국내 바이오 벤처 창업 현황	231
제3절 국내 연구개발 현황	236
1. 실태조사 개요	236
2. 조사결과 분석	238

6

종합고찰

제6장 종합고찰	277
-----------------	------------

표 목차

표 1-1	세계 바이오의약품 시장 현황 및 전망	5
표 1-2	2016년 세계 상위 10대 의약품 현황	6
표 1-3	세계의 지역별 바이오의약품 시장규모 및 연평균 성장률	6
표 1-4	글로벌 바이오제약기업의 현재와 미래 성장률	8
표 1-5	주요 바이오의약품 특허만료 현황	9
표 1-6	국내 바이오의약품 시장 규모	14
표 1-7	바이오의약품 제제별 생산실적	14
표 1-8	바이오의약품의 분야별 국내 현황	15
표 1-9	국가별 바이오의약품 생산규모	15
표 1-10	혁신형 제약기업의 R&D파이프라인 현황	16
표 1-11	제제별 임상시험 승인 현황	16
표 1-12	국내 세포치료제 임상승인 현황	17
표 1-13	국내 줄기세포치료제 임상승인 현황	17
표 1-14	국내 유전자치료제 임상승인 현황	17
표 2-1	세포치료제 및 세부내용	25
표 2-2	주요 세포-유전자치료제 개발 현황	26
표 2-3	자가 및 동종 세포치료제 장점 및 단점	38
표 2-4	자금 확보 관련 주요 추세	39
표 2-5	최근 주요 줄기세포 기업의 경영 전략	40
표 2-6	글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망	41
표 2-7	지역(Region)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망	42
표 2-8	제품(Product)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망	43
표 2-9	기술(Technology)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망	44
표 2-10	응용(Application)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망	45
표 2-11	글로벌 유전자치료제 시장 규모 전망	50
표 2-12	북아메리카 지역 유전자치료제 시장 규모 전망	51
표 2-13	유럽 지역 유전자치료제 시장 규모 전망	52
표 2-14	아시아·태평양 지역 유전자치료제 시장 규모 전망	53
표 2-15	2016년 이후 상장된 재생의학 관련 바이오 기업 리스트	56
표 2-16	최근 상장한 유전자치료제, 세포치료제 관련 기업들의 기업가치	57
표 2-17	최근 상장한 유전자치료제, 세포치료제 관련 기업 제휴 현황	58
표 2-18	주요 국가별 총 R&D 대비 재생의료분야 투자 비중	59
표 2-19	줄기세포/재생의료 R&D 투자 현황	60
표 2-20	국가별 촉진 기관 현황	61
표 2-21	창업투자조합 업종별 투자 현황	63

표 2-22	국내 세포치료제 및 유전자치료제 개발기업의 상장 현황	65
표 2-23	특허검색 데이터베이스 및 검색 범위	71
표 2-24	기술 분류	71
표 2-25	검색식 및 유효건수	72
표 2-26	분석구간 및 범위	96
표 2-27	검색식 및 유효건수	96
표 3-1	EU 줄기세포치료제 규제 체계	108
표 3-2	일본의 현행 줄기세포치료제 규제 체계	111
표 3-3	일본의 재생의료 규제 체계	111
표 3-4	미국의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황	113
표 3-5	유럽의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황	116
표 3-6	일본의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황	119
표 3-7	NIH의 줄기세포 연구 지원금 추이	128
표 3-8	CIRM 2.0 연구비 투자 계획	129
표 3-9	CIRM 1기 사업과 2기 사업 비교	130
표 3-10	미국 연방 정부의 재생의료 연구 기관 및 연구비 현황	131
표 3-11	UKRMP 5 Hubs 리스트	132
표 3-12	The Cell and Gene Therapy Catapult Turnover & Capital funding	133
표 3-13	Stem Cell Network statement of revenue and expenditures	135
표 3-14	AMED 주요 프로젝트별 연구비 현황	136
표 3-15	부처별 줄기세포 R&D 투자 현황	139
표 4-1	줄기세포치료제 국가별 임상연구 수행 현황	146
표 4-2	줄기세포치료제 2016년 국가별 신규 임상연구 현황	147
표 4-3	유전질환의 질환별 임상연구 현황	153
표 4-4	유전자치료제 투여방법별 임상연구 현황	156
표 4-5	미국 FDA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황	189
표 4-6	유럽 EMA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황	191
표 4-7	비임상(1차 효력시험) 관련 제출자료(Provenge, 유럽)	192
표 4-8	임상시험 관련 제출자료(Provenge, 유럽)	193
표 4-19	추가 임상자료(Provenge)	194
표 4-10	제조판매승인 신청자료	195
표 5-1	주요 기업간 인수·합병·협력 현황	214
표 5-2	안과 영역에 중점을 둔 기업	215
표 5-3	신경질환 영역에 중점을 둔 기업	215
표 5-4	CAR T 및 TCR 세포 관련 면역 요법에 중점을 둔 기업	216

표 목차

표 5-5	바이러스 벡터 개발에 중점을 둔 기업	218
표 5-6	기타 응용 분야에 중점을 둔 기업	218
표 5-7	바이로메드의 임상 동향	221
표 5-8	안트로젠의 임상 동향	223
표 5-9	코아스텀의 임상 동향	224
표 5-10	코로나생명과학의 임상 동향	224
표 5-11	산업별 산업기술인력 현황(2016년)	226
표 5-12	2016년 바이오산업 분야별 종사자 인력 분포	227
표 5-13	2016년 바이오산업 분야별 학위별 인력 분포	229
표 5-14	바이오의약 산업 인력수요 전망	230
표 5-15	기업유형별 총종업원 및 연구인력, 전담인력 규모	230
표 5-16	바이오 중소·벤처기업의 분야별 현황	232
표 5-17	바이오 중소·벤처기업의 지역별 현황	232
표 5-18	바이오 중소·벤처기업의 기업공개 현황	233
표 5-19	응답기업 유형(국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 연구개발 및 사업화추진 정책 수립을 위한 실태조사)	238
표 5-20	핵심 R&D주력분야(현재, 향후)	239
표 5-21	총괄 R&D파이프라인 현황	240
표 5-22	줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	242
표 5-23	줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황(세부)	243
표 5-24	기업별 줄기세포치료제 파이프라인 현황(총괄)	245
표 5-25	기업별 줄기세포치료제 파이프라인 현황(세부)	245
표 5-26	유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	248
표 5-27	유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황(세부)	249
표 5-28	기업별 유전자치료제 파이프라인 현황(총괄)	251
표 5-29	기업별 유전자치료제 파이프라인 현황(세부)	251
표 5-30	첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 파이프라인 연구개발투자비 현황	254
표 5-31	첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 정부부처별 지원 현황	256
표 5-32	개발성공 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황	256
표 5-33	첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 기술수출 현황	257
표 5-34	첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 수출 현황	258
표 5-35	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 기술협력 현황	259
표 5-36	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 연구단계별 국내 기술협력 총괄 현황	260
표 5-37	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 향후 기관유형별 국내 기술협력 수요 응답률	261
표 5-38	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황	262

표 5-39	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 해외 기술협력 현황	264
표 5-40	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 연구단계별 해외 기술협력 총괄 현황	265
표 5-41	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 향후 기관유형별 해외 기술협력 수요 응답률	266
표 5-42	첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목별 개발단계별 현황	267
표 5-43	첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 국가 현황	268
표 5-44	R&D파이프라인 연구개발을 중단하는 주요 원인 우선순위	269
표 5-45	첨단바이오의약품분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제 분야별 우선순위 현황	270
표 5-46	첨단바이오의약품분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제 우선순위 현황	271
표 5-47	줄기세포치료제 정부 지원 중점 기술분야 우선순위 현황	272
표 5-48	줄기세포치료제 정부 지원 중점 세부 기술	272
표 5-49	유전자치료제 정부 지원 중점 기술분야 우선순위 현황	273
표 5-50	유전자치료제 정부 지원 중점 세부 기술	273

그림 목차

그림 1-1	의약품 시장 흐름	3
그림 1-2	합성의약품과 바이오의약품 비교	4
그림 1-3	타산업과 주요 경제지표 비교	4
그림 1-4	미래의 성장 질환	7
그림 1-5	향후 합성신약 vs 바이오신약의 질환별 중점 분야	7
그림 1-6	개방형 혁신과 폐쇄형과의 임상시험 단계 등 성공률 비교	8
그림 1-7	글로벌 기업의 M&A 등 전략적 제휴	9
그림 1-8	세계 20대 제약기업의 전략 방향	10
그림 1-9	다보스포럼('16년)에서의 향후 4차 산업혁명의 트렌드	10
그림 1-10	4차 산업혁명의 개념	11
그림 1-11	4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 중요한 키워드	11
그림 1-12	4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 핵심 분야	12
그림 1-13	4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 응용 분야	12
그림 1-14	일본 AMED R&D 정부지원 통합기구	13
그림 1-15	정부의 의료 보장성 강화 대책	18
그림 1-16	정부의 국정 5개년 계획 중 제약 · 바이오산업육성	19
그림 1-17	제3차 생명공학육성기본계획의 전략 및 중점과제	20
그림 1-18	제약산업 5개년 중합계획 수립	21
그림 2-1	세포치료제의 발전 방향	26
그림 2-2	줄기세포 분류 및 생성 과정	27
그림 2-3	유전자치료의 방법에 따른 분류	28
그림 2-4	줄기세포치료제 종류	29
그림 2-5	성체줄기세포치료제 종류	30
그림 2-6	In vivo 유전자 치료법과 Ex vivo 유전자 치료법 비교	32
그림 2-7	글로벌 세포치료제 시장 현황 및 전망 및 지역별 시장 점유율	36
그림 2-8	세포치료제의 패러다임 전환	37
그림 2-9	자가 및 동종 세포치료제의 전체 임상시험 vs. 진행 중인 임상시험	38
그림 2-10	주요 기업별 줄기세포 시장 점유율	40
그림 2-11	글로벌 성체줄기세포 시장 현황 및 전망	43
그림 2-12	PEST 분석	48
그림 2-13	5가지 세력분석(Porter's 5 Forces Analysis)	49
그림 2-14	유전자치료제 산업의 주요 성장요인 및 저해요인	55
그림 2-15	재생의료 각 분야별 투자금액	55
그림 2-16	재생의료분야 자금의 특성별 투자동향	58
그림 2-17	국내외 재생의료분야 국가 R&D 투자 규모	59

그림 2-18	국내 바이오 중소·벤처 설립 추이	62
그림 2-19	바이오기업의 분야별, 업력별 투자비중	63
그림 2-20	줄기세포치료제 핵심기술	66
그림 2-21	특허출원 국가별 점유율 및 전체 특허의 연도별 출원 동향	74
그림 2-22	한국 특허의 연도별 출원 동향	75
그림 2-23	일본 특허의 연도별 출원 동향	75
그림 2-24	미국 특허의 연도별 출원 동향	76
그림 2-25	유럽 특허의 연도별 출원 동향	76
그림 2-26	국제 특허의 연도별 출원 동향	77
그림 2-27	주요 출원인 TOP 10	78
그림 2-28	국가별 주요 출원인	79
그림 2-29	포트폴리오 분석	80
그림 2-30	첨단바이오의약품 특허분포도	81
그림 2-31	기술분야별 출원동향 및 점유율	82
그림 2-32	한국의 기술분야별 출원동향 및 점유율	83
그림 2-33	일본의 기술분야별 출원동향 및 점유율	83
그림 2-34	미국의 기술분야별 출원동향 및 점유율	84
그림 2-35	유럽의 기술분야별 출원동향 및 점유율	85
그림 2-36	국제 특허의 기술분야별 출원동향 및 점유율	85
그림 2-37	특허증가율과 점유율로 보는 세부기술별 발전가능성	86
그림 2-38	한국의 기술분야별 주요 출원인	87
그림 2-39	일본의 기술분야별 주요 출원인	87
그림 2-40	미국의 기술분야별 주요 출원인	88
그림 2-41	유럽의 기술분야별 주요 출원인	89
그림 2-42	국제 특허 기술분야별 주요 출원인	90
그림 2-43	줄기세포치료제 특허분포도	91
그림 2-44	유전자치료제 특허분포도	92
그림 2-45	기술별 출원국가별 특허활동 지수(AI)	93
그림 2-46	기술별 기술 순환 주기 및 연구개발 방향	94
그림 2-47	연도별 논문 발행 동향	97
그림 2-48	국가별 논문 동향	97
그림 2-49	주요 논문 저자	98
그림 2-50	줄기세포치료제 연도별 논문 동향	99
그림 2-51	줄기세포치료제의 논문의 국가별 비율	99
그림 2-52	국가별 줄기세포치료제 논문 동향	100

그림 목차

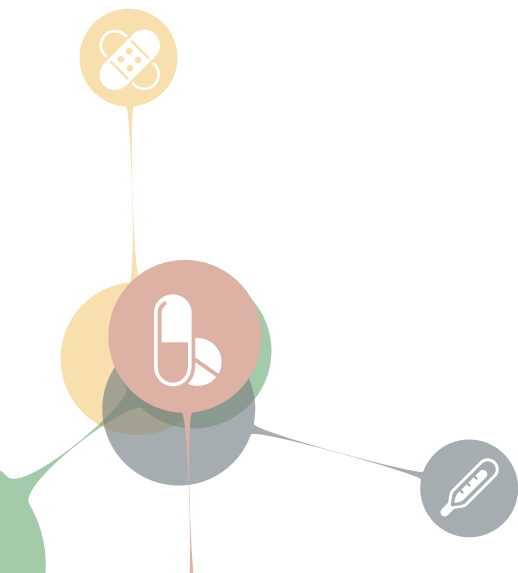
그림 2-53	유전자치료제 연도별 논문 동향	100
그림 2-54	유전자치료제의 논문의 국가별 비율	101
그림 2-55	국가별 유전자치료제 논문 동향	101
그림 3-1	유전자치료제 관련 국내외 가이드라인 모식도	112
그림 3-2	연도별 줄기세포 국가 R&D 투자 동향	139
그림 4-1	줄기세포치료제 연도별 임상연구 개발 추이	145
그림 4-2	줄기세포치료제 2016년 국가별 임상연구 수행 현황	146
그림 4-3	줄기세포치료제 2016년 국가별 신규 임상연구 현황	147
그림 4-4	줄기세포치료제 기간별 임상 점유율 변화	148
그림 4-5	줄기세포치료제 세포기원별 임상개발 현황	149
그림 4-6	줄기세포치료제 세포 종류별 임상개발 현황	150
그림 4-7	줄기세포치료제 세포의 기원 조직별 임상개발 현황	151
그림 4-8	유전자치료제 연도별 임상연구 현황	152
그림 4-9	유전자치료제 주요 질환별 임상연구 현황	153
그림 4-10	유전자치료제 주요 국가별 임상연구 현황	154
그림 4-11	유전자치료제 임상 단계별 임상연구 현황	154
그림 4-12	유전자치료제 벡터 타입별 임상연구 현황	155
그림 4-13	유전자치료제 제품 형태별 임상연구 현황	156
그림 4-14	유전자치료제 작용 기전별 임상연구 현황	157
그림 5-1	글로벌 시장에 출시된 주요 세포치료제의 질환별 분포 현황	212
그림 5-2	세포치료제의 개발단계별/질환별 현황	213
그림 5-3	국내 줄기세포 분야 주요기업 현황	220
그림 5-4	국내 줄기세포 시장 영향요인 분석	221
그림 5-5	2016년 바이오산업 종사자 인력 분포	227
그림 5-6	2016년 바이오산업 분야별 종사자 인력 구성비	228
그림 5-7	2016년 바이오산업 종사자 학위 분포	228
그림 5-8	국내 바이오 중소·벤처기업의 연도별 창업 추이	231
그림 5-9	바이오 중소·벤처기업의 분야별 현황	232
그림 5-10	바이오 중소·벤처기업의 기업공개 현황	233
그림 5-11	바이오 중소·벤처기업의 기업공개 소요 기간	234
그림 5-12	바이오 벤처기업의 기업공개 현황	235
그림 5-13	바이오 벤처기업의 기업공개 소요 기간	235
그림 5-14	응답기업 유형(국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 연구개발 및 사업화추진 정책 수립을 위한 실태조사)	238
그림 5-15	핵심 R&D주력분야(현재, 향후)	239

그림 5-16	총괄 R&D파이프라인 현황	240
그림 5-17	최근 3년 간 총괄 R&D파이프라인 현황	241
그림 5-18	줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	242
그림 5-19	최근 3년 간 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	247
그림 5-20	유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	248
그림 5-21	최근 3년 간 유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황	253
그림 5-22	첨단바이오의약품 파이프라인 연구개발투자비 현황	255
그림 5-23	첨단바이오의약품 파이프라인에 대한 1개 품목당 평균 연구개발투자비 현황	255
그림 5-24	첨단바이오의약품 정부부처별 지원 현황	256
그림 5-25	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 협력기관 분포 현황	259
그림 5-26	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 협력유형별 현황	259
그림 5-27	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 기술협력 현황	260
그림 5-28	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 연구단계별 국내 기술협력 총괄 현황	261
그림 5-29	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 향후 기관유형별 국내 기술협력 수요 응답률	262
그림 5-30	첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황	263
그림 5-31	최근 3년 간 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황	263
그림 5-32	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 해외 기술협력 현황	264
그림 5-33	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 연구단계별 해외 기술협력 총괄 현황	265
그림 5-34	첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 향후 기관유형별 해외 기술협력 수요 응답률	266
그림 5-35	첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목별 개발단계별 현황	267
그림 5-36	첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 국가 현황	268



제1장

바이오의약품 현황



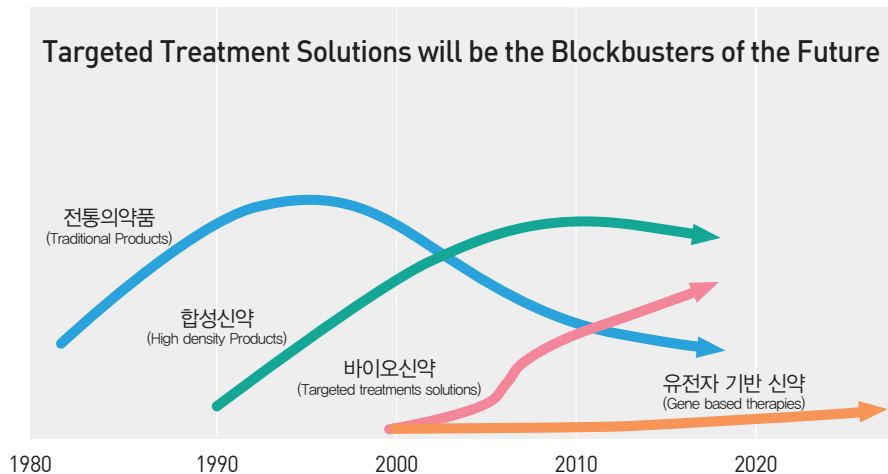
제1절 바이오의약품 개념

1. 바이오의약품 정의

- “바이오의약품”은 식약처의 정의에 따르면 “생물의약품”으로 규정하고 있고, 생물학적제제 등의 품목허가심사 규정(식약처 제2015-104호)에 따르면 “생물의약품”이란 사람이나 다른 생물체에서 유래된 것을 원료 또는 재료로 하여 제조한 의약품으로서 보건위생상 특별한 주의가 필요한 의약품을 의미함
 - 생물학적제제, 유전자재조합의약품, 세포배양의약품, 세포치료제, 유전자치료제, 기타 식품의약품안전처장이 인정하는 제제를 포함함
- 바이오의약품은 역사적으로 전통의약품, 합성의약품, 바이오신약, 유전자 기반 신약 등으로 의약품 시장 흐름을 보이고 있음

그림 1-1

의약품 시장 흐름



출처: IBM Pharma 2010: The Threshold of Innovation

- 바이오의약품은 합성의약품과 비교해 제조과정이 복잡하고 생물유래 물질을 응용함

그림 1-2

합성의약품과 바이오의약품 비교

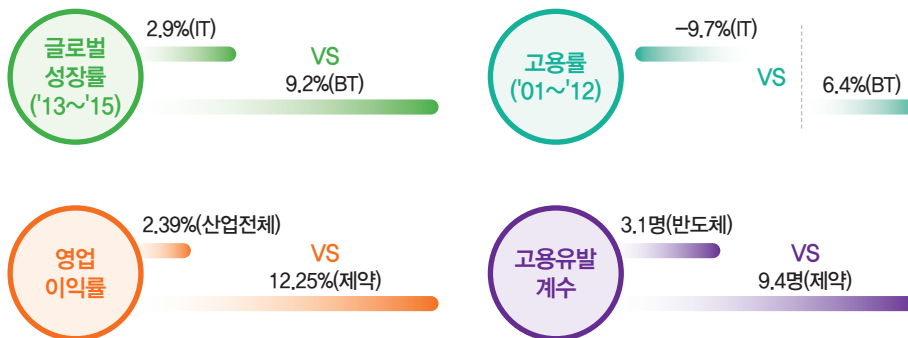
〈합성의약품 vs 바이오의약품〉			
합성의약품	구분		바이오의약품
			
• 화학원료를 화학적인 합성으로 제조	제조 방식		• 생물유래 물질(항체, 세포 등)을 배양하여 제조
• 주로 정제(Tablet)	형태		• 주로 주사제
• 표준화된 제조방식으로 대량생산하여 낮은 단가	제조 단가		• 복잡한 바이오생산시설이 별도 필요하며 높은 단가
• 일상적 질환, 표준치료에 높은 효능	특징		• 희귀·난치질환 등 치료효과 높음

출처: 바이오미래전략 I, 미래창조과학부('15.3)

- 바이오의약품은 수익성과 고용창출효과가 높아 저성장과 높은 실업상황에서 우리나라 산업의 중추 역할을 해 왔던 IT이러 차세대 성장동력 산업으로 주목을 받고 있음

그림 1-3

타산업과 주요 경제지표 비교



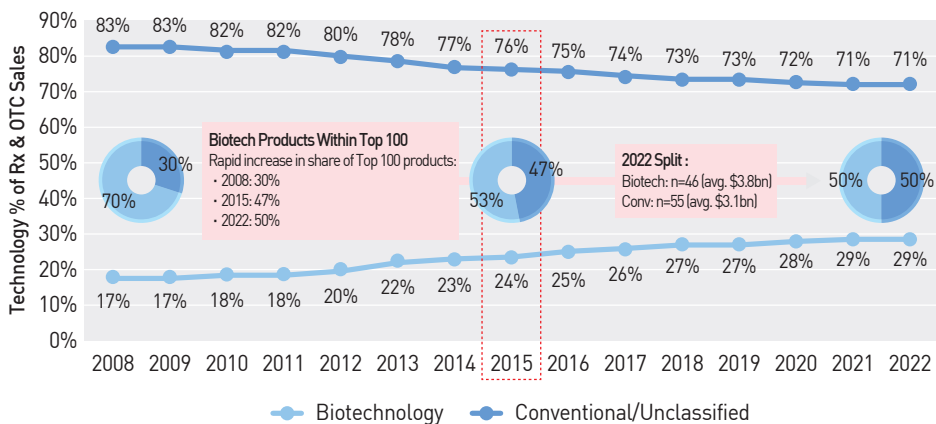
출처: 바이오미래전략 I, 미래창조과학부('15.3)

제2절 바이오의약품 현황

1. 세계 현황

- (글로벌 시장) 바이오의약품 시장은 1,840억 달러('15) 규모, 세계 의약품 시장에서 17%('08) → 18%('11) → 24%('15)이고 향후에도 지속적으로 성장 전망
- 2022년 바이오의약품에 대한 전 세계 시장은 약 3,370억불로 예측되고 전체 의약품 시장의 약 29%를 점유할 것으로 예측
- 전 세계 100대 의약품중 바이오의약품은 2008년에 30%, 2015년에 47%, 2022년에는 약 50%를 점유할 것으로 예측

표 1-1 세계 바이오의약품 시장 현황 및 전망('16.8)



Technology	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Biotechnology	17%	17%	18%	18%	20%	22%	23%	24%	25%	26%	27%	27%	28%	29%	29%
Conventional/Unclassified	83%	83%	82%	82%	80%	78%	77%	76%	75%	74%	73%	73%	72%	71%	71%
Total Prescription & OTC Sales	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%

Technology	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Biotechnology	117	119	128	141	152	165	178	184	200	220	242	266	290	315	337
Conventional	423	433	442	463	440	431	442	433	440	453	473	497	526	556	582
Other Unclassified Sales	151	145	151	162	161	166	168	159	171	185	196	207	220	232	245
Total Prescription & OTC Sales	691	697	720	766	754	762	788	776	812	858	911	970	1037	1102	1164

출처: Evaluate Pharma, World preview 2017, Outlook to 2022

- 100대 의약품 중 바이오의약품이 52%(‘20)점유 예상)
 - 100대중 바이오의약품(Evaluate Pharma ‘14): 21%(‘06) → 45%(‘13) → 52%(‘20)
 - 세계 10대 의약품: 1개(‘00) → 7개(‘13): 휴미라(1위, 93억 달러), 레미케이드(2위, 82억 달러) 등

표 1-2 2016년 세계 상위 10대 의약품 현황

(단위 : 억 달러, %)

순위	2000년			2012년(GEN 2013년 4월)			2016년(GEN 2017년 3월)		
	제품	분류	매출액	제품	분류	매출액	제품	분류	매출액
1	Losec/Prilosec	합성	63	Humira	바이오	93	Humira	바이오	161
2	Zocor	합성	53	Remicade	바이오	82	Harvoni	합성	91
3	Lipitor	합성	52	Enbrel	바이오	80	Enbrel	바이오	89
4	Epogen/Procrit	바이오	47	Seretide	합성	73	Rituxan	바이오	86
5	Norvasc	합성	34	Rituxan	바이오	73	Remicade	바이오	78
6	Pravachol	합성	29	Lantus	바이오	66	Revlimid	바이오	70
7	Prozac	합성	26	Herceptin	바이오	64	Avastin	바이오	67
8	Zyprexa	합성	24	Crestor	바이오	63	Herceptin	바이오	67
9	Seroxat/Paxi IP	합성	23	Avastin	바이오	63	Lantus	바이오	60
10	Claritin	합성	22	Cymbalta	바이오	50	Prevnar	바이오	57

출처: Evaluate Pharma, World Preview 2018, Genetic Engineering & Biotechnology News 재구성

- 지역별로 향후 5년간(2016~2020년) 미국이 가장 높은 연평균 성장률(14.3%)이 예측되고, 미국은 1,274억 불(2015년 기준)의 시장규모로 전망

표 1-3 세계의 지역별 바이오의약품 시장규모 및 연평균 성장률

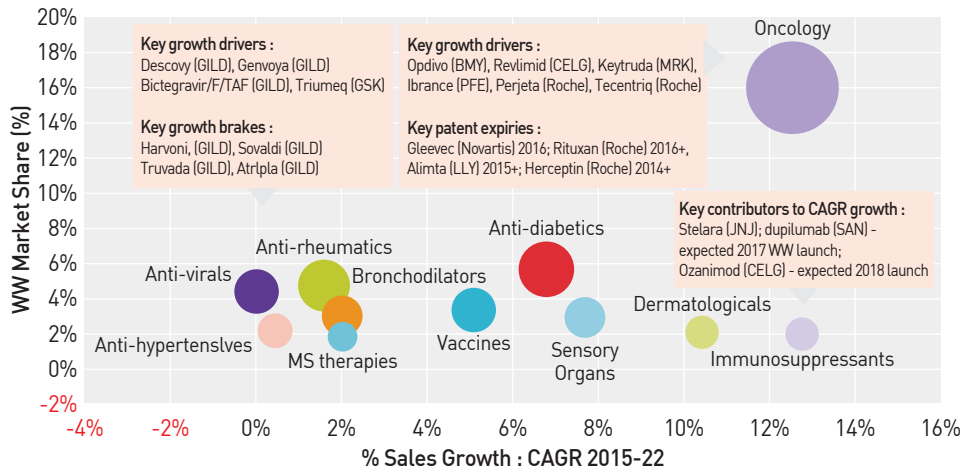
(단위: US 10억 달러, %)

구분	2015년 총 매출액	연평균 성장률 (2016~2020)
미국	127.4	14.3
독일	12.8	4.7
일본	12.6	2.1
프랑스	8.3	2.1
영국	6.9	7.8
캐나다	6.0	3.2
이탈리아	4.8	7.1
스페인	4.1	△0.3
한국	1.6	5.8

출처: IMS Health, 바이오헬스 시장 동향

- 바이오의약품과 희귀의약품 등 Specialty 의약품 시장이 지속적으로 확대될 것으로 전망
 - 고혈압 등 다빈도 질환(Primary Care)이 아닌, 암 등 특수질환(Secondary Care)
 - Specialty 의약품 비중(MIDAS) : 563억불(14%, '02) → 1,969억불(23%, '12)

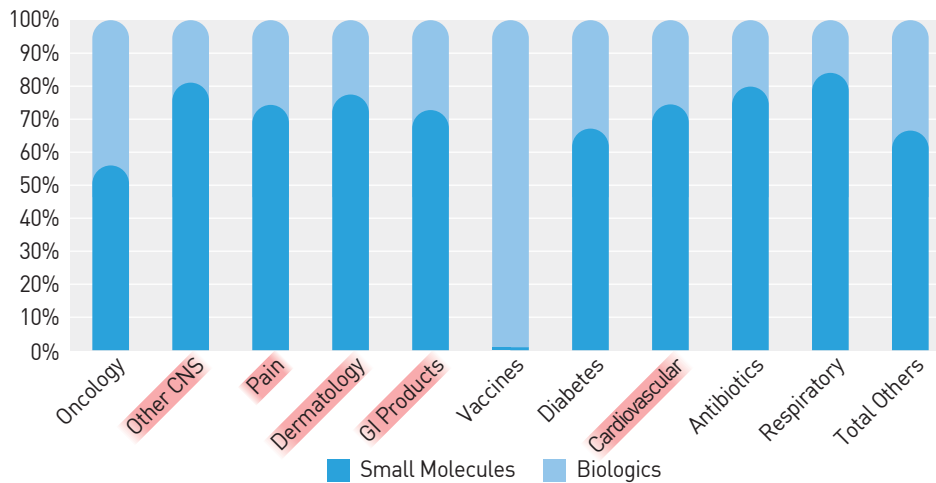
그림 1-4 미래의 성장 질환



출처: Evaluate Pharma, World preview 2017, Outlook to 2022

- 향후에 바이오신약의 파이프라인은 합성신약과 비교해 항암제, 당뇨 등에 두각을 나타날 것으로 예측

그림 1-5 향후 합성신약 vs 바이오신약의 질환별 중점 분야



출처: IMS R&D Focus Dec 2015 (Phase II-Registered)

- (글로벌 기업) 글로벌 제약사의 블록버스터 특허만료 직면으로 Open Innovation 기반 새로운 신약개발 패러다임을 통해 선점 경쟁 심화

- 2022년까지 세계 10대 바이오의약품 제약회사중 1위는 Roche이고, 2위는 Sanofi 등이 상승하고 특히 BMS가 가장 높은 성장을 통해 급부상 예측

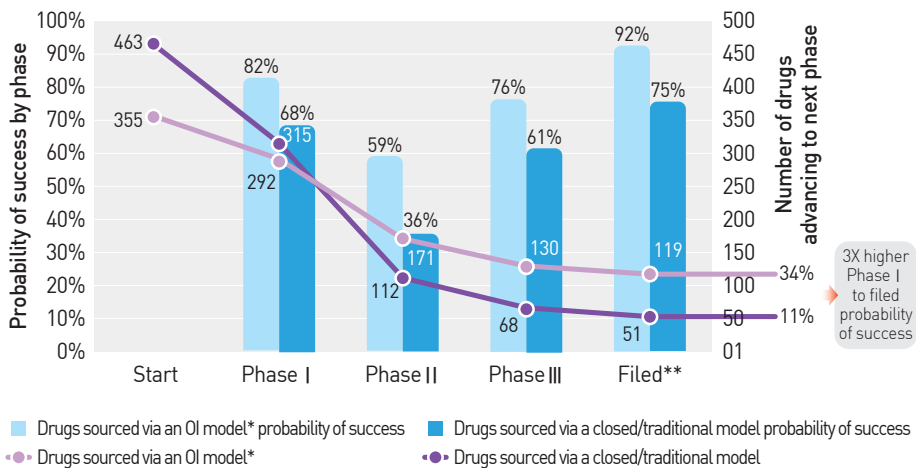
표 1-4 글로벌 바이오제약기업의 현재와 미래 성장률

Rank	Company	WW Sales(\$ bn)			WW Market Share			Rank Chg.
		2015	2022	% CAGR 15-22	2015	2022	Chg. (+/-)	
1.	Roche	31.1	43.6	+5%	16.9%	12.9%	-4.0pp	+0
2.	Sanofi	14.9	25.3	+8%	8.1%	7.5%	-0.6pp	+2
3.	Novo Nordisk	15.1	24.4	+7%	8.2%	7.2%	-1.0pp	+0
4.	Amgen	18.8	23.2	+3%	10.2%	6.9%	-3.3pp	-2
5.	Bristol-Myers Squibb	4.5	18.2	+22%	2.5%	5.4%	+2.9pp	+6
6.	Johnson & Johnson	10.9	17.7	+7%	5.9%	5.2%	-0.7pp	+1
7.	Abbvie	14.8	15.5	+1%	8.0%	4.6%	-3.4pp	-2
8.	Eli Lilly	6.6	15.4	+13%	3.6%	4.6%	+1.0pp	+1
9.	Pfizer	11.9	14.8	+3%	6.5%	4.4%	-2.1pp	-3
10.	Merck & Co	7.9	13.0	+7%	4.3%	3.9%	-0.4pp	-2

출처: Evaluate Pharma, World preview 2017, Outlook to 2022

- 기업의 전통적인 모델 또는 폐쇄형과 비교해 개방형 혁신(Open innovation)을 통해 임상 중심의 개발 성공률이 높아짐

그림 1-6 개방형 혁신과 폐쇄형과의 임상시험 단계 등 성공률 비교



출처: Deloitte Recap LLC database; Deloitte Consulting LLP analysis

- 글로벌 기업의 블록버스터 특허만료로 바이오시밀러 신시장이 급성장 → 다국적기업의 순위 변동, 일부 매출 하향
 - ‘10~’17년간 오리지널의약품 특허 만료(1500억불 규모), 화이자의 경우 리피토(‘08), 비아그라(‘12), 엔브렐(‘12) 특허만료로 실적 감소

표 1-5

주요 바이오의약품 특허만료 현황

(단위: 억 달러)

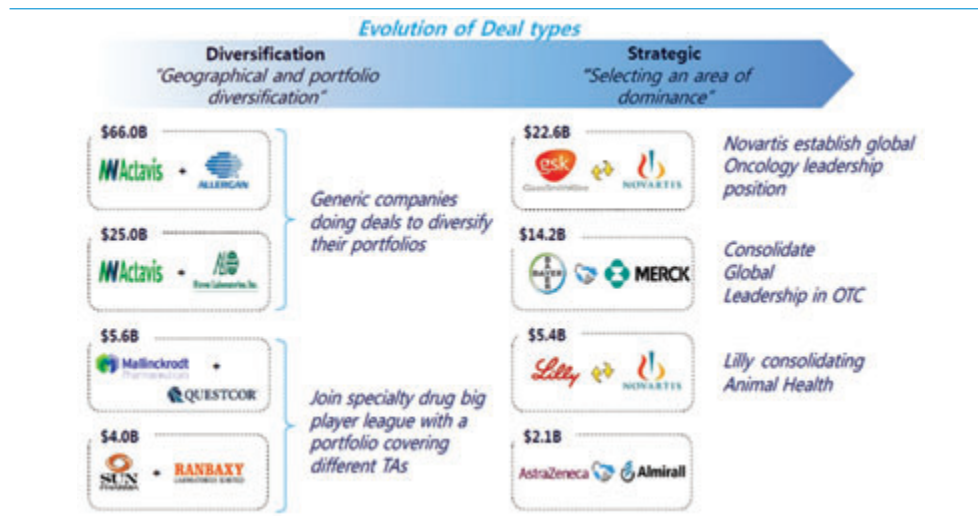
약품명	생물제제	기업	특허만료 (EU/미국)	매출액	
				2013	2014
Humira	adalimumab	AbbVie	2018/2016	10.7	12.5
Remicade	infliximab	Johnson&Johnson	2015/2018	6.7	9.2
Rituxan/MabThera	rituximab	Roche/Biogen Idec	2013/2018	7.7	8.7
Enbrel	etanercept	Amgen/Pfizer	2015/2029	8.4	8.5
Lantus	insulin glargine	Sanofi	2015/2015	7.6	7.3
Avastin	bevacizumab	Genentech	2022/2019	7.2	7.2
Herceptin	trastuzumab	Genentech	2014/2019	6.8	6.8
Neulasta	pegfilgrastim	Amgen	2015/2015	4.4	5.9
NovoLog/NovoRapid	insulin aspart	Novo Nordisk	2011/2014	4.7	5
Epogen/Procrit/Eporex	epoetin alfa	Amgen/Janssen	만료/2015	3.3	3.1
상위 10개 합계				67.5	74.2

출처: 보건산업진흥원, 보건산업브리프 vol. 197(2015.10.)

- 글로벌 제약기업을 중심으로 사업영역을 다각화하거나 전략적 제휴 또는 기업간 인수 합병(M&A)을 통해 혁신을 모색함

그림 1-7

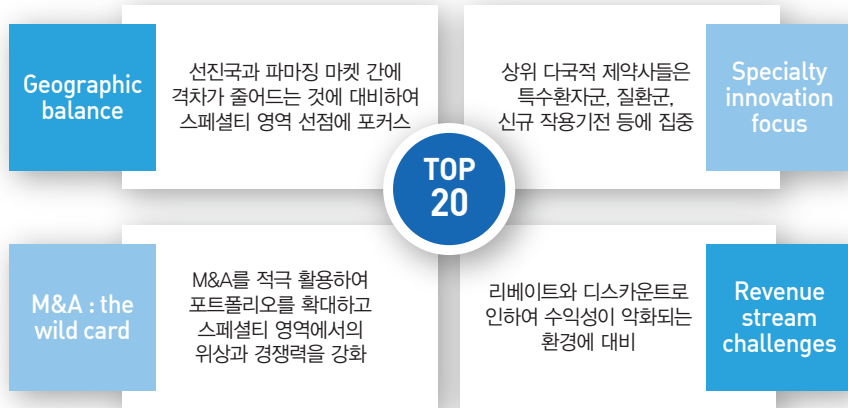
글로벌 기업의 M&A 등 전략적 제휴



출처: IMS Health

- 글로벌 20대 제약회사의 주요전략으로 항암제 등 특수질환(Speciality)을 중심으로 집중하고 이를 기반으로 신흥국과의 격차 대비와 기타 마케팅과 M&A를 활용함

그림 1-8 세계 20대 제약기업의 전략 방향

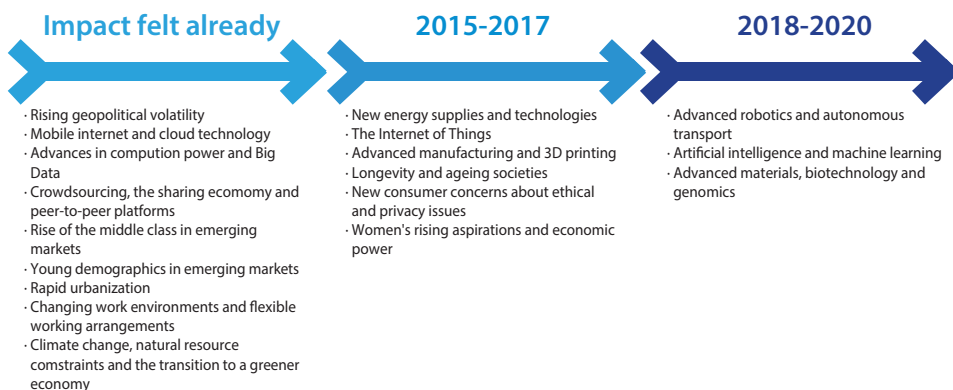


출처: IMS Health

- (기술) 4차 산업혁명 기반 기술의 바이오헬스 분야로 확산 및 융합

- ‘16년 다보스 포럼을 계기로 4차 산업혁명에 따른 혁신모델이 바이오헬스 전분야로 확산

그림 1-9 다보스포럼(‘16년)에서의 향후 4차 산업혁명의 트렌드



출처: Future of Jobs Survey, World Economic Forum(January 2016)

- 4차 산업혁명(the Forth Industry Revolution)은 3차 산업혁명을 기반으로 디지털 기술과 바이오산업과 물리학 등의 경계를 허무는 융합의 기술혁명

그림 1-10

4차 산업혁명의 개념



출처: 보건복지부, LG화학, 유진투자증권

- 4차 산업혁명이 도래함에 따라 바이오 헬스케어 산업에 있어 기술융합, 지능형 시스템, 소비자 맞춤형 제품과 서비스 중요한 키워드(Key Word)로 부각

그림 1-11

4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 중요한 키워드



Big data / Industrial Internet / Sensor /
Customization / AI / Self-driving cars /
Smart City / Sharing economy / Data Science /
Machine learning / Ubiquitous / Robotics /
Open source / On demand / RFID /
Wearable / Cloud computing / GPS / Cyber
Physical System / Virtual Reality / Bio /
Algorithm / Soft wave / Moore's law

출처: 보건복지부, 2017.4. 바이오헬스케어 산업발전전략

- 바이오 헬스케어산업의 4차 산업혁명은 기술의 융합, 지능형 시스템, 소비자 맞춤형 제품과 서비스의 중요성이 부각됨에 따라 이와 관련된 준비와 대응 필요

그림 1-12 4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 핵심 분야



출처: 보건복지부, 2017.4. 바이오헬스케어 산업발전전략

- 4차 산업혁명은 초연결(Hyperconnectivity), 초지능(Superintelligence)을 통해 바이오 헬스케어 기술 환경에 다양한 분야에 적용 및 확산될 것으로 예측

그림 1-13 4차 산업혁명에서의 바이오헬스케어의 응용 분야

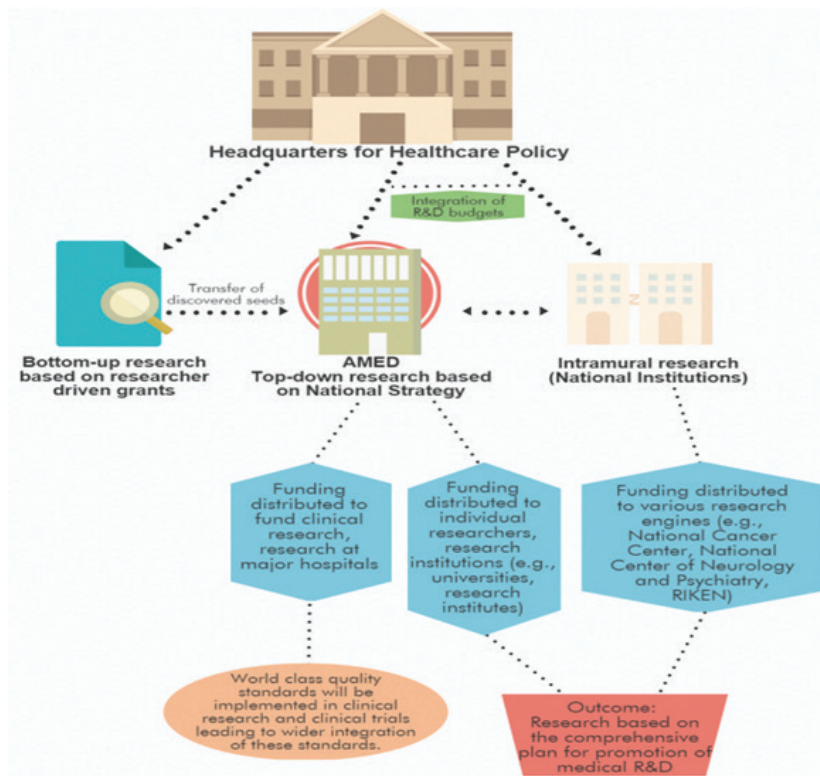


출처: 보건복지부, 2017.4. 바이오헬스케어 산업발전전략

- (글로벌 정책) 주요 선진국들을 중심으로 바이오의약품을 미래 성장 동력으로 확보하고 기술 선점을 위한 정부 차원의 육성 전략 수립 추진
- (미국) '국가 바이오경제 청사진'(12년)을 통해 바이오 연구개발 투자와 중개연구 등에 대한 지원 등 전략 목표 제시

- 건축 재정에도 미국과학재단(NSF)은 전년대비 13% 예산 증액(생물학적 인프라 (14.8%), 분자생물학(6.4%) 분야 예산 증액) 및 NIH에 전년대비(0.7%) 증가된 295억 달러 배분('15년 예산안)
- (EU) 바이오산업을 중점 투자 분야로 채택하고 향후 건강 및 의료분야 투자 확대(약 14.3조원)를 위한 'Europe 2020 전략' 제시
 - 7차 Framework Program('07~'13)상의 테마형 연구지원 프로그램 10대 분야 중 '건강'에 6.82억 유로(17.5%) 배정
- (일본) 생명공학 분야의 전략적 육성 추진을 위해 '5개년 과학기술기본계획('11.8)' 중 '라이프 이노베이션 전략발표' 및 AMED의 R&D통합기구 출범 등 글로벌 신약개발 지원 체계 수립
 - 재생의료 분야에 대한 범부처 연구개발, 뇌과학연구의 단계적 추진, 기관 간 통합 데이터베이스 센터 구축 등
 - AMED(Japan Agency for Medical Research and Development(2015.4))의 R&D 통합기구를 통해 글로벌 신약개발 지원 추진 마련

그림 1-14 일본 AMED R&D 정부지원 통합기구



- (중국) '12차 5개년 계획('11~'15)'의 일환으로 국가 전략적 7대 신흥산업 중 바이오산업을 채택하여 4백억 위안(약 7조원) 투자 추진
 - 7개 신흥산업: 차세대 정보기술, 바이오, 첨단장비제조, 신재생에너지, 신소재, 에너지 절약 및 환경보호, 신에너지 자동차
 - 전략적 신흥산업의 GDP대비 비중목표: 4%미만('10) → 2015년 8%('15) → 15%('20)

2. 국내 현황

- (국내 시장) 2016년 바이오의약품 시장 규모는 약 1조 8,308억 원으로 시장규모가 2015년 대비 11.6% 성장률을 보였으며, 무역수지에 있어서는 최근 5년간 가장 많은 흑자를 기록하였음

표 1-6 국내 바이오의약품 시장 규모

(단위: 억 원)

구 분	시장규모 (전년대비 성장률)	생 산	수 출	수 입	무역수지
2012	19,832(22.6%)	17,314	4,229	6,747	△2,518
2013	22,283(12.4%)	18,654	4,432	8,061	△3,629
2014	19,849(△10.9%)	16,818	6,203	9,234	△3,031
2015	16,406(△17.3%)	17,209	9,156	8,353	803
2016	18,308(11.6%)	20,079	12,346	10,576	1,770

* 시장규모 = 생산 + 수입 - 수출

* 수출·입 금액은 한국은행 경제통계시스템(ECOS) 연도별 평균환율(증가)을 적용해 원화로 환산한 금액('16년: 1,160.41원, '15년: 1,131.49원, '14년: 1,053.22원, '13년: 1,095.54원, '12년: 1,126.76원)

* 출처: 식품의약품안전처, 2017.7. 보도자료

- 바이오의약품 제제별 생산실적 중 1위는 램시마원액 등 유전자재조합의약품, 퀴박셈 주가 2위로 주로 수출용으로 국내 생산

표 1-7 바이오의약품 제제별 생산실적

순위	제제구분	생산액			전년대비 증감률(%)
		2015	2016	비중(%)	
1	유전자재조합의약품	5,624	7,331	36.5	30.3
2	백신제제	4,323	5,244	26.1	21.3
3	혈장분획제제	3,789	3,756	18.7	△0.9
4	혈액제제	2,333	2,198	11.0	△5.8
5	독소/항독소	800	1,185	5.9	48.1
6	세포치료제	340	365	1.8	7.4
합계		17,209	20,079	100	16.7

출처: 식품의약품안전처, 2017.7. 보도자료

- (국내 기업) 대기업 진출과 투자확대를 통해 규모의 경제 및 다국적 제약기업과의 전략적 제휴 등 글로벌 시장 진출 가시화

- 유전자재조합 단백질, 세포치료제 등 관련기업들이 특화하여 분야별로 집중

표 1-8 바이오의약품의 분야별 국내 현황

구분	유전자재조합 단백질	세포치료제	유전자 치료제	생물학적 제제	
				혈액제제	백신
유효성분	유전자조작 기술을 이용하여 제조하는 펩타이드, 또는 단백질	체외에서 배양·증식·선별·조작한 살아있는 세포	질병치료를 목적으로 하는 유전물질	혈액을 원료로 하는 혈액성분 제제와 혈액 분획제제	감염병 일반질환의 예방을 목적으로 하는 단백질 또는 미생물체
국내시장규모 (비중)	5,516억원 (30.1%)	107억원 (0.1%)	—	4,576억원 (25.7%)	7,110억원 (39.9%)
종류	성장호르몬, 인슐린, 항암제, 자가면역 질환 치료제	체세포치료제, 줄기세포치료제	DNA백신	적혈구, 혈소판, 혈장, 알부민 등	인플루엔자백신, 폐렴구균백신
관련기업	녹십자, 셀트리온, 삼성바이오에피스	메디포스트, 코오롱생명과학, 파미셀 등	바이로메드, 제넥신	녹십자, SK케미칼	녹십자, SK케미칼, LG생명과학, 일양약품

출처: 한국바이오의약품 협회, 식약처, 산업은행 재작성

- 삼성바이로직스 제2공장 포함 시 세계 2위의 생산 능력을 가질 것으로 예상되 글로벌 바이오의약품 생산기지로 도약 예상

표 1-9 국가별 바이오의약품 생산규모

순위	국가	생산능력(리터)	순위	국가	생산능력(리터)
1	미국	1,791,326	5	아일랜드	190,000
2	한국	338,850	6	스위스	137,225
3	독일	268,850	7	프랑스	128,100
4	싱가포르	193,200	세 계		3,708,561

자료: 보건복지부

- 복지부가 지정한 36개 혁신형 제약기업 대상 조사 결과, 전체 R&D파이프라인이 1,175건 중에 바이오 신약·바이오시밀러(베터) 개발 과제는 총 169건으로 나타남

표 1-10 혁신형 제약기업의 R&D파이프라인 현황

(단위 : 건)

기업 유형 (매출액 기준)	약품유형별								총합
	합성 신약	개량 신약	제네릭	바이오 신약	바이오 시밀러 (베터)	백신	천연물	기타	
1,000억 이상 (24개)	242 (26.8%)	266 (29.5%)	107 (11.9%)	88 (9.8%)	36 (4.0%)	33 (3.7%)	64 (7.1%)	66 (7.3%)	902 (100%)
1,000억 미만 (7개)	22 (12.4%)	84 (47.5%)	32 (18.1%)	11 (6.2%)	1 (0.6%)	-	13 (7.3%)	14 (7.9%)	177 (100%)
바이오벤처 (5개)	36 (37.5%)	4 (4.2%)	-	32 (33.3%)	1 (1.0%)	-	1 (1.0%)	22 (22.9%)	96 (100%)
총합계	300	354	139	131	38	33	78	102	1,175 (100%)

자료: 보건복지부

- (국내 기술) 세계 최초 줄기세포치료제 개발, 세계 최초 바이오시밀러 허가 및 유럽허가 등 바이오의약품 글로벌 역량 확보
- 제제별 임상시험 승인 현황은 2016년 기준으로 합성의약품이 387건(64%), 바이오의약품 226건(36%) 순으로 지속적으로 바이오의약품이 확대됨
 - 바이오의약품의 경우 유전자재조합의약품(151건), 세포·유전자치료제(42건), 생물학적제제(33건) 순으로 높음

표 1-11 제제별 임상시험 승인 현황

종 류	합성 의약품	바이오의약품					생약 (한약) 제제
		계	유전자 재조합	생물학적 제제	세포 치료제	유전자 치료제 등	
2014년	465	170 (26.0%)	110	29	24	7	18
2015년	451	202 (30.0%)	158	14	25	5	21
2016년	387	226 (36.0%)	151	33	33	9	15

자료: 식품의약품안전처 보도자료(17.3)

- (항체치료제) 차세대 항체치료제의 경쟁력 확보를 위해 부작용을 최소화하고 치료 효과를 극대화 시키는 항체치료제 기술 개발
 - ADC: 레고캠(녹십자에 원천기술 이전, 전임상 '12), 한화케미칼, 알테오젠, ANRT 등은 후보물질 발굴 초기단계에 새로운 약물과 항체의 접합 기술개발
 - 이중표적항체: 기초연구개발 및 전임상 초기단계로 파맵신, 한화케미칼, ANRT연구

- (세포치료제) 세계 최초 줄기세포치료제 개발로 상업화 가능성의 확대에 따른 기존 신약의 한계를 극복하기 위한 다양한 분야에 응용
 - 줄기세포: 상용화된 줄기세포치료제 총 4건(하티셀그램-AMI(파미셀, '11) 등)이며 주로 성체줄기세포로 1, 2상을 진행하고 있으며, 최근 배아줄기세포 유래의 망막색소 상피세포(차바이오앤디오스텍)를 이용한 1상 진행

표 1-12 국내 세포치료제 임상승인 현황('16.4.30. 기준)

(단위 : 건)

승인수	업체수	세포종류				진행여부	
		줄기세포	면역세포	체세포	이종세포	종료	진행중
119	32	66	29	23	1	70	49

출처: 식품의약품안전처

표 1-13 국내 줄기세포치료제 임상승인 현황('16.4.30. 기준)

(단위 : 건)

전체	업체수	세포기원		세포유래				진행여부	
		자가	동종	골수유래	제대혈 탯줄 태반	지방유래	배아줄기 유래	종료	진행 중
66	10	22	44	15	20	26	5	31	35

출처: 식품의약품안전처

- (유전자치료제) 국내 상용화 유전자치료제는 1건(인보사(코오롱생명과학))이며 유망한 벤처기업을 중심으로 15개 품목이 임상시험 진행

표 1-14 국내 유전자치료제 임상승인 현황('16.4.30. 기준)

(단위 : 건)

전체	업체수	유전자운반체						진행여부	
		플라 스미드	아데노 바이러스	플라 스미드 + 아데노 바이러스	유전자 변형 세포	백시니아	mRNA 제제	종료	진행중
48	22	20	11	1	6	8	2	29	15

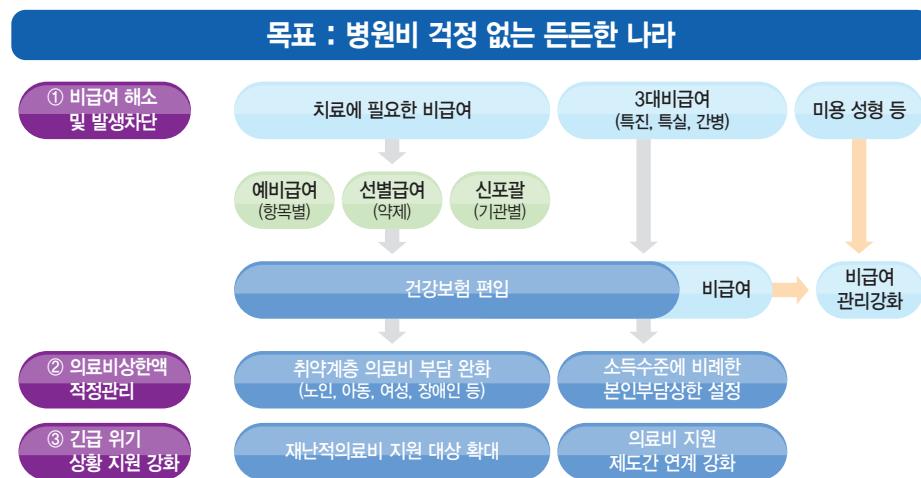
출처: 식품의약품안전처

- (바이오시밀러·베터) 블록버스터 바이오의약품의 만료됨에 따라 바이오시밀러 개발 및 시설확충과 개량된 바이오베터 개발 확대
 - 국내 기업이 6개 품목이 허가되었고 12개 품목의 임상시험이 진행('09년 ~ '16년 기준)
 - * '12년 세계 최초 항체 바이오시밀러인 '램시마주100mg(셀트리온)' 허가를 시작으로 전체 6개 품목이 허가 획득

- (정책) 정부는 불평등이 심화되고 있는 현실을 바로잡고 복지 국가 체제 강화를 위해 '모두가 누리는 포용적 복지국가'를 국정목표 전략으로 채택 (문재인정부 국정운영 5개년 계획, 2017.07)

- 보편적 의료보장 및 의료의 공공성 강화를 통해 소득·지역에 관계없이 양질의 의료서비스를 누구나 이용할 수 있도록 하여 건강한 삶 유지를 지원
 - (건강보험 보장 강화) 선별급여 적용항목 확대 및 신포괄수가 확대 등의 추진으로 비급여 풍선효과 해소
 - (예방적 건강관리) 40대 이상 진단 바우처 도입 등 건강검진 사후관리 강화, 초·중·고생 독감 예방접종 국가 지원 확대

그림 1-15 정부의 의료 보장성 강화 대책



출처: 보건복지부, 보장성강화 발표(2017.8)

- 은퇴 세대를 위한 적절한 공적연금 및 일자리 지원, 치매 국가책임제, 여가·사회활동 지원으로 건강하고 품위 있는 노후를 보장하여, 누구나 요람에서 무덤까지 공동체의 보살핌을 받는 복지국가 근본정신 실현
 - (치매 국가책임제) '17년부터 전국 252개 치매안심센터 확충 및 치매 안심병원 확충 추진, '18년부터 중증치매 환자 본인부담률 인하 및 고비용 진단검사 급여화, 장기요양 치매수급자 본인부담 경감 확대
- 정부도 100대 국정과제를 발표하면서 4차 산업혁명을 주도할 수 있도록 스타트업지원, 금융, M&A제도 개선, 규제혁신 등을 통해 역동적 창업 및 벤처 생태계를 조성
 - 이를 위해 34번 국정과제인 고부가가치 창출 미래형 신산업을 발굴 및 육성을 위해 제약·바이오 등 생태계를 구축을 위한 정책목표를 수립 및 확대

그림 1-16 정부의 국정 5개년 계획 중 제약·바이오산업육성

국가기간 전략 분야별 추진전략		
5대 국정목표	20대 국정전략	100대 국정과제 (487개 실천과제)
국민이 주인인 정부	1 국민안전의 조력민주주의 실현 2 소통으로 통합하는 광복문 대통령 3 투명하고 융통한 정부 4 관료기관의 민주적 개혁	15개 과제 (71개 실천과제)
	5 소득 주도 성장을 위한 일자리경제 6 활력이 넘치는 공정경제 7 시민과 중심을 위한 민생경제 8 과학기술 발전이 선도하는 4차 산업혁명 9 중소기업이 주도하는 창업과 혁신성장	26개 과제 (129개 실천과제)
더불어 잘사는 경제	1 모두가 누리는 포용적 복지국가 2 국가가 책임지는 보육과 교육 3 국민 안전과 생명을 지키는 안심사회 4 노동존중·성평등을 포함한 자립 있는 공정사회 5 자유와 창의를 넘치는 문화사회	32개 과제 (163개 실천과제)
	6 풀뿌리 민주주의를 실현하는 자치분권 7 골고루 잘사는 균형발전 8 사람이 들어오는 농산어촌	11개 과제 (53개 실천과제)
평화와 번영의 한반도	1 강한 안보와 책임국강 2 남북 간 화해협력과 한반도 비핵화 3 국제협력을 주도하는 당당한 외교	16개 과제 (71개 실천과제)

출처: 정부의 국정운영 5개년 계획(2017)

- 제3차 생명공학육성기본계획(바이오경제 혁신전략 2025) (2017-2026)
 - 바이오 기술에 대한 사회적 수요가 높아지고 새로운 경제 패러다임으로 바이오경제 시대의 도래가 예상되는 상황에서 연구개발(R&D) 승자가 시장을 독식하는 과학·기술집약적 산업인 바이오를 국가 차원에서 전략적으로 육성하여 바이오경제 시대를 주도하는 글로벌 강국으로 도약하고자 함
 - * 바이오경제 : 바이오기술이 인류의 ①복지와 ②경제성장을 동시에 달성하는 새로운 경제 패러다임 (OECD는 2030년 바이오경제 시대가 올 것으로 예측, '09)① 바이오는 건강, 식량, 환경, 에너지 문제를 모두 해결 가능② 글로벌 바이오시장은 반도체, 자동차, 화학제품 등 3대 산업 함께 규모를 뛰어 넘어 ('15) 1.6조불 → ('30) 4.4조불로 급성장 전망
- 글로벌 바이오 강국 실현을 위해 우리나라의 글로벌 바이오 시장 점유율을 현재 1.7% (생산 기준 27조원) 수준에서 2025년 5% (생산 기준 152조원) 까지 달성하겠다는 도전적 목표를 수립
 - ① 국산 신약 개발 ② 일자리 창출 ③ 글로벌 기술이전성과 제고 ④ 사회문제 해결 기여 등 국민 생활에 직결되는 4대 세부 목표를 제시
 - 목표 달성을 위해 ① 바이오 R&D 혁신 ② 바이오경제(Discovery to Market) 창출 ③ 국가생태계 기반 조성 등 3대 전략 9대 중점과제를 추진

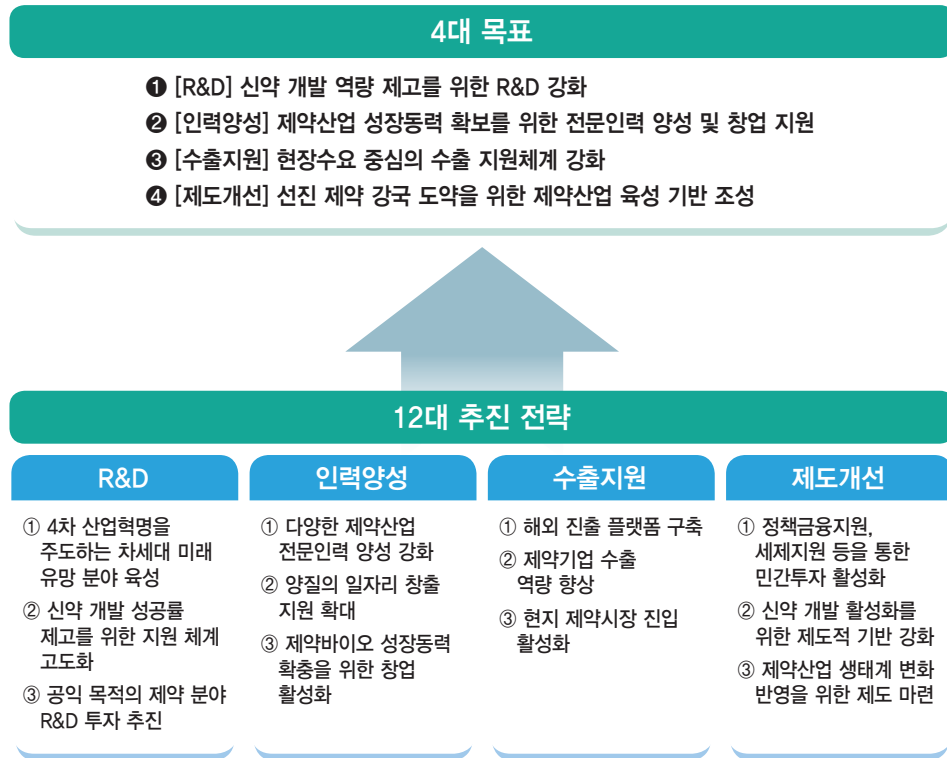


출처: 관계부처 합동, 제3차 생명공학육성기본계획(바이오경제 혁신전략 2025), 2017.09

- 제2차 제약산업 육성 · 지원 5개년 종합계획(2018-2022)
 - 제약산업 일자리와 글로벌 신약 성과 확대를 통한 제약 강국으로의 도약을 위한
 - 신약개발 역량 제고를 위한 R&D 강화 방안, 제약산업 성장동력 확보를 위한 전문인력 양성 및 창업 지원 방안, 현장 수요 중심의 수출지원체계 강화 방안, 선진 제약 강국 도약을 위한 제약산업 기반조성 사업 방안 등을 계획하여 실행
 - R&D, 인력양성, 수출지원, 제도개선의 4대 목표 달성을 위해 12대 추진 전략과 37대 실천과제를 제시

그림 1-18

제약산업 5개년 종합계획 수립

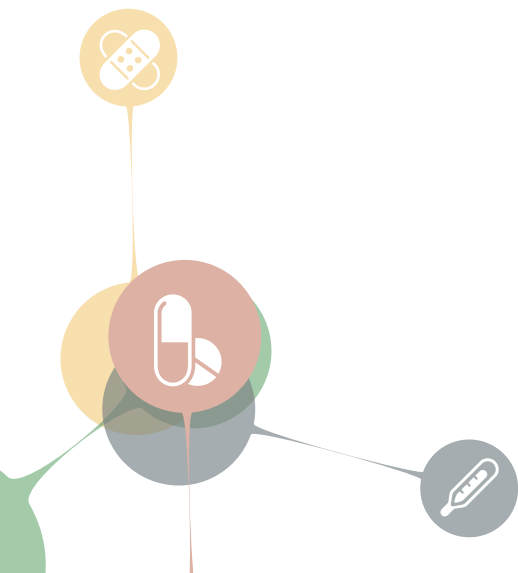


출처: 관계부처 합동, 제2차 제약산업 육성·지원 5개년 종합계획(2017)



제2장

첨단바이오횰약품 현황



제1절 세포 및 유전자치료제의 정의

1. 세포치료제 정의

- (정의) 세포치료제는 “살아있는 자가, 동종, 이종 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품”
 - 다만, 의료기관 내에서 의사가 자가 또는 동종세포를 당해 수술이나 처치 과정에서 안전성에 문제가 없는 최소한의 조작(생물학적 특성이 유지되는 범위 내에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등)만을 하는 경우는 제외
 - * 식약처 고시: 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정
- (범위) 세포치료제는 줄기세포치료제, 조직공학제제, 면역세포치료제, 체세포 치료로 구분

표 2-1

세포치료제 및 세부내용

분야	세부 내용
줄기세포치료제	반복적 분열로서 자가 재생산 할 수 있고, 특정세포로 분화할 수 있는 능력을 갖는 세포인 줄기세포를 치료 목적으로 개발한 바이오헬스
조직공학제제	인체/동물 유래의 세포나 조직을 배양·증식하거나 또는 세포분비물, 생체재료, 지지체 등과 결합·배양·증식과정을 통해 조직으로 제조하여 인체조직을 재생, 수복, 대체하거나 그 기능을 대체하기 위해 사용하는 의약품
면역세포치료제	감염 세포의 제거, 면역계 균형 유지 기능을 담당하는 면역세포를 체외 배양을 통한 증식, 분화, 유전 형질 도입 등을 통해 그 본래 기능을 증강하여 이용하는 바이오헬스
체세포치료제	이미 분화가 완료된 조직세포를 이용하는 치료제로 피부, 연골, 각막, 혈도, 신경 등에서 분리·배양한 세포를 이용하여 조직 재생 등의 목적으로 사용하는 의약품

- 향후 세포치료제는 유전자치료제, 저분자 화합물 및 바이오헬스와의 융합을 통해 병용치료제 및 병용치료기술 형태로 발전할 전망
- 전통적 세포치료제 시장은 세포 기반 면역치료제, 줄기세포치료제, 면역세포-유전자치료제, 줄기세포-유전자치료제 등의 새로운 시장 형성

그림 2-1 세포치료제의 발전 방향



출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

- 말기 암 환자를 치료하기 위해 세포-유전자치료제를 사용한 임상시험이 매우 성공적으로 확인되어 치료 가능성을 제시
 - Lentivirus 또는 CRISPR을 사용하는 임상 성공에 따라 세포-유전자치료제 분야의 기술 발전은 향후 1~5년 사이 큰 성장을 예상

표 2-2 주요 세포-유전자치료제 개발 현황

제약회사	제품명	단계	특징	질병
Novartis	CTL019	BLA	선도적 CAR-T-세포-유전자 제품	난치성 B세포 급성 림프성 백혈병, 림프종
Juno Therapeutics	JCAR015	Phase 2	2018년 내 출시 예정인 CAR-T-세포-유전자 제품	재발 또는 내화성 B세포 급성 림프구성 백혈병
Kite Pharmaceutical	KTE-C19	Phase 2	중증의 난치성 림프종 치료	급성 림프구성 백혈병, 림프종

출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

2. 줄기세포치료제 정의

- 줄기세포(Stem cell)란 조직분화 과정에서 볼 수 있는 ‘미분화 세포’로, 인체를 구성하는 다양한 조직으로 분화 가능한 세포

- 줄기세포는 분화능력(Differentiation), 자가복제능력(Self-renewal), 호밍효과(Homing effect) 등의 고유한 특성*을 지님

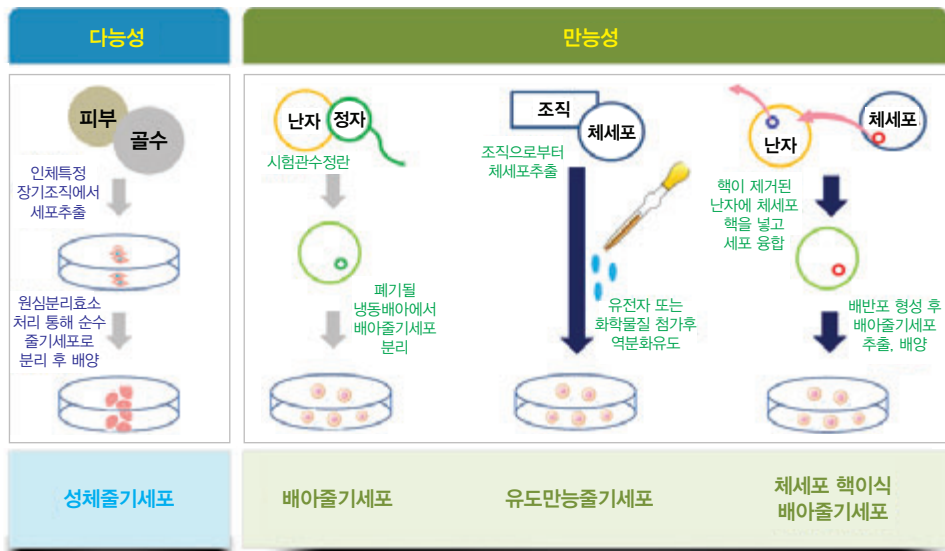
* 줄기세포는 이론적으로 모든 종류의 기능세포로 분화가 가능하며(Differentiation), 스스로 자기와 동일한 형태 및 능력을 가진 세포로 복제할 수 있으며(Self-renewal), 정맥 내 투여시 손상된 부위를 스스로 찾아갈 수 있음(Homing effect)

- 분화 가능성을 기준으로 210여개 모든 인체세포로 분화 가능한 ‘만능성 줄기세포’와 3 ~ 5개 특정 세포로만 분화 가능한 ‘다능성 줄기세포’로 구분 가능

- 줄기세포를 분리하는 세포원 및 생성 방식에 따라 ‘성체줄기세포’, ‘배아줄기세포*’, ‘유도만능줄기세포(iPSC)’로 구분 가능

* 배아줄기세포는 ‘배아 유래’와 ‘체세포 핵이식’을 통해 생성 가능

그림 2-2 줄기세포 분류 및 생성 과정

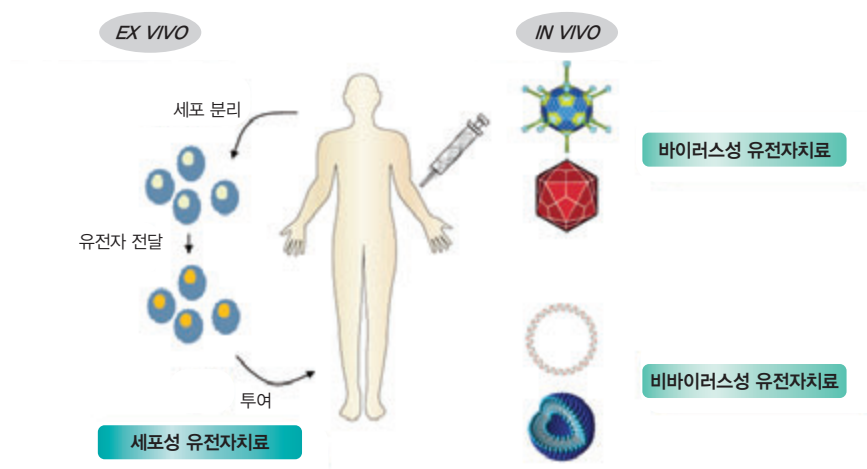


출처: 생명공학정책연구센터, 바이오인더스트리(No.90) 줄기세포 시장현황 및 전망, 2015-2

3. 유전자치료제 정의

- (정의) 질병치료 등을 목적으로 인체에 투입하는 유전물질 또는 유전물질을 포함하고 있는 의약품
 - * 식약처 고시: 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정
- (범위) 유전자치료제는 치료방법과 전달방법에 따라 범위가 나누어 짐
 - (치료방법) 유전 물질을 직접 환자에게 투여하는 In vivo 유전자치료와 체외에서 먼저 목적 세포에 치료유전자를 도입한 후 유전 물질 이입된 세포를 환자에게 주입하는 Ex vivo 유전자치료가 있음
 - (전달방법) 바이러스를 사용하는 유전자치료, DNA와 RNA 등 핵산을 사용하는 비바이러스성 유전자치료, 유전자가 도입된 세포를 사용하는 세포성 유전자치료가 있음

그림 2-3 유전자치료의 방법에 따른 분류



출처: 바이오파마 2020 비전과 로드맵 수립, 보건산업진흥원(2014)

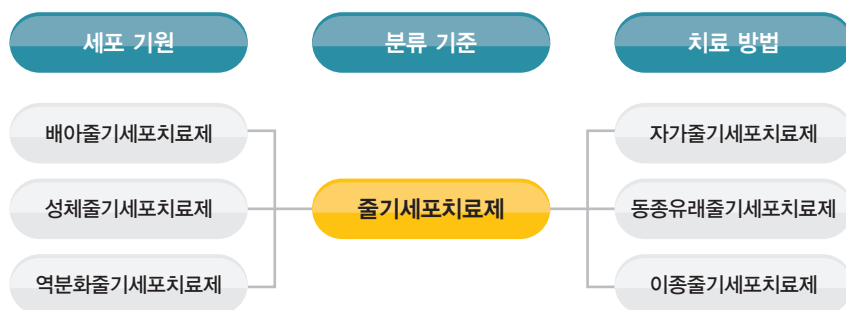
제2절 줄기세포 및 유전자치료제의 종류

1. 줄기세포치료제 종류

- 줄기세포치료제는 세포의 기원과 치료방법에 따라 구분
 - 세포기원에 따라 배아의 초기 발달 단계에서 만들어 지는 배아줄기세포(Embryonic stem cell) 치료제, 성인의 다양한 조직에 제한적으로 존재하는 성체 줄기세포(Adult stem cell)치료제, 일반 체세포를 역분화시켜 초기 미분화 상태로 유도한 역분화줄기세포(Induced pluri potent stem cell) 치료제 등으로 구분
 - 치료 방법에 따라 환자 자신의 줄기세포를 이식하는 자가줄기세포치료제, 타인의 줄기세포를 이식하는 동종유래줄기세포치료제, 동물의 줄기세포를 이용하는 이종줄기세포 치료제 등으로 분류됨

그림 2-4

줄기세포치료제 종류



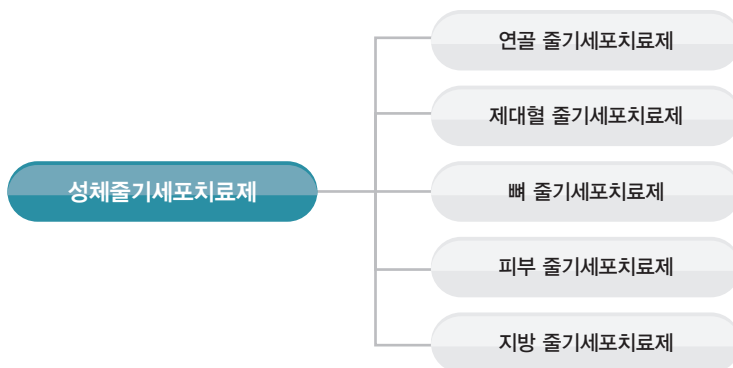
가. 세포 기원에 따른 분류

- 배아줄기세포는 정자와 난자가 수정된 이후 얻어진 배아의 초기 발생단계 중 하나인 포배단계에 존재하는 내부세포괴(Inner cell mass)에서 추출한 줄기세포로서 분화를 유도하는 인자에 따라 신체의 모든 다양한 세포로 분화될 수 있기 때문에 전능세포 혹은 만능세포라고도 함
 - 포배단계는 수정 후 4~5일 정도된 상태로 50~150여개의 세포들을 가지고 있으며 이 세포들은 더 많은 줄기세포로 분열할 수 있음

- 배아줄기세포를 얻을 수 있는 방법은 신선배아를 이용하는 방법, 폐기 처분될 냉동 잔여배아를 이용하는 방법, 체세포 유래 핵을 탈핵 난자에 이식하는 동종간 또는 이종간 핵이식 수술법 등 4가지 방법이 있음

- 성체줄기세포는 제대혈이나 성인의 골수(Bone marrow)와 혈액 등 분화가 끝난 인체 조직이나 기관 곳곳에 존재하고 있는 미분화된 어린 세포로, 상처나 사고로 조직과 세포가 손상되었거나 노화가 된 경우 근육, 뼈, 지방, 신경 등의 세포로 분화되어 손상된 부위를 복구시킬 수 있는 세포임
- 뼈와 간, 혈액 등 구체적 장기의 세포로 분화되기 직전의 원시세포로서 조혈모 세포(Hematopoietic stem cell)와 중간엽 줄기세포(Mesenchymal stem cell), 신경줄기세포(Neural stem cell) 등이 있음
- 성체줄기세포는 전 세계 줄기세포치료제 시장의 대부분을 차지하고 있을 정도로 산업화가 상당히 진척되어 있는 분야임
- 인체조직을 재생하는 세포의 피드백 메커니즘을 활용한 성체줄기세포치료제로는 자신의 건강한 연골을 분리·배양한 후 손상된 연골부위에 이식하여 연골의 재생을 유도하는 연골 줄기세포치료제
- 여러 가지 난치성 질환의 치료에 대비하여 조혈모 세포가 풍부한 제대혈을 분리·보관해 두었다가 백혈병, 혈액질환, 선천성 면역질환 및 대사질환 발생 시 냉동 보관된 제대혈을 치료에 사용하는 제대혈 줄기세포치료제, 자신의 건강한 뼈세포를 분리·배양 후 골 괴사와 같은 뼈 손상 시 뼈 손상 부위에 다시 이식하여 뼈의 재생을 유도하는 뼈 줄기세포치료제
- 피부세포를 이용하여 상처, 화상, 외상 등의 피부손상 부위에 이식하여 피부의 재생을 유도하는 피부 줄기세포치료제 및 지방세포를 순수지방으로 분리하여 주름, 가슴 성형 등 미용 및 성형이 필요한 곳에 주입하는 지방줄기세포치료제

그림 2-5 성체줄기세포치료제 종류



- 역분화줄기세포는 이미 분화가 끝난 세포들을 인위적으로 역분화 과정을 통해 만능분화능(Pluripotent)을 가지도록 줄기세포화 시킨 세포로, 생체 내 모든 조직으로 분화시킬 수 있고 배아의 희생 없이 면역거부반응을 해결할 수 있는 가능성이 있어 노화로 인한 질병과 세포 손상으로 인한 알츠하이머, 심근경색, 뇌경색 등의 퇴행성 질병에 대한 원인규명과 치료 방법의 상용 가능성을 가시화 시키고 있음
- 역분화줄기세포는 배아줄기세포와 유전자 발현 양상 및 분화 효율이 다른 것으로 알려져 있으나, 세포형태, 자가증식, 분화능력 면에서 유사하여 역분화줄기세포 또한 미분화 세포에 의한 암 발생 가능성이 존재한다는 문제점이 있고 현재 바이러스를 이용해 유전자를 변형시켜 만들기 때문에 안전성에 대한 우려가 있는 바, 아직 초기 연구개발 단계로 상업화까지는 상당기간이 소요될 것으로 보임

나. 치료 방법에 따른 분류

- 자가줄기세포치료제는 환자 자신의 줄기세포를 분리한 후 분화, 발달 시키거나 필요한 조작을 가하여 세포의 형질을 변화시켜 증식시킨 세포를 환자 자신의 손상조직에 이식하는 치료제임
- 동종유래줄기세포치료제는 다른 사람의 줄기세포를 분리하여 분화, 발달 시키거나 특정한 기능을 부여하기 위하여 필요한 조작을 가하여 세포의 형질을 변화시켜 증식시킨 세포를 다른 환자에게 적용하는 치료제로 면역거부반응의 문제점이 있음
- 이종줄기세포치료제는 다른 사람의 줄기세포를 이용하는 것이 아니라 사람이 아닌 동물의 줄기세포를 이용하는 세포치료제로 윤리성에 대한 논란이 있음

2. 유전자치료제 종류

가. 유전자 치료법의 종류

- 유전자치료제는 전달 기술에 의한 분류, 제조 공정에 의한 분류 등으로 다양하게 구분될 수 있으나, 일반적인 큰 개념의 분류는 ex vivo와 in vivo로 유전자치료제를 구분함

(1) Ex vivo 유전자 치료법

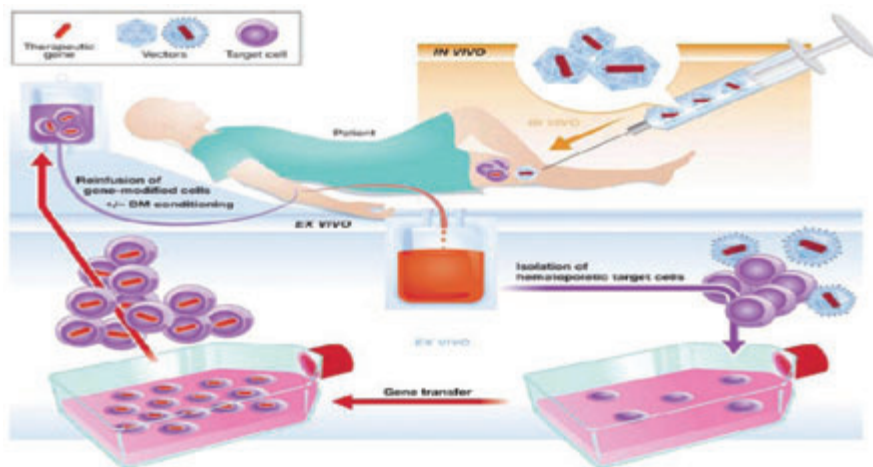
- Ex vivo 유전자 치료법은 환자의 몸에서 유전자를 전달하고자 하는 세포를 채취한 후, 이 세포에 치료 유전자를 전달한 다음, 다시 세포를 환자의 몸 속으로 넣어줌으로써 치료 효과를 얻게 되는 방법임

- 장점은 In vivo 유전자 치료의 단점인 ‘오프-타겟 효과’ 및 바이러스 전달체에 의해 유발될 수 있는 면역반응을 최대한 줄일 수 있음. 또한 체외에서 유전자를 전달한 후 환자에게 다시 주입하기 전에, 형질 전환된 세포에 대해서 선별, 증식, 품질 평가를 수행할 수 있으므로, 추가적인 안전성 및 효능을 확보하는 것이 가능함
- 레트로바이러스(Retrovirus) 벡터 또는 렌티 바이러스(Lentivirus) 벡터를 이용하는 경우 주로 사용됨

(2) In vivo 유전자 치료법

- In vivo 유전자 치료법은 치료 유전자를 포함하고 있는 유전자 전달 벡터를 환자의 몸에 직접 주입하면, 주입된 유전자 전달 벡터가 타겟 세포로 들어가서 치료 유전자가 활성화됨으로써, 치료 효과를 얻게 되는 방법임
- 장점으로는 Ex vivo 유전자 치료에서처럼 환자의 세포를 채취하고, 유전자가 도입된 세포를 다시 몸속으로 넣어주는 번거로운 과정이 필요 없음
- 하지만, 이 방법의 경우 원하는 타겟 이외의 조직이나 장기에서 치료유전자가 발현되는 ‘오프 타겟효과(Off-Target Effect)’가 일어날 수 있음
- 단점으로는 면역 반응에 의해서 유전자전달체가 타겟 세포에 도달하기 전에 제거됨으로써 효과가 감소할 수 있음
- 이러한 유전자 치료법은 아데노바이러스(Adenovirus) 벡터, 아데노부속바이러스(Adeno-Associated Virus, AAV) 벡터 등을 이용하는 경우 주로 사용되는 방식임

그림 2-6 In vivo 유전자 치료법과 Ex vivo 유전자 치료법 비교



출처: "Gene therapy on the move", EMBO Molecular Medicine, 2013년

나. 유전자 전달체의 종류

- 유전자 치료의 핵심은 질병의 치료를 위해서 유전자(gene)를 약물(medicine)로 사용하는 것이며, 이러한 유전자를 정확한 위치로 전달하기 위해서 다양한 형태의 전달체들이 이용되고 있음
- 가장 많이 이용되고 있는 유전자 전달체는 바이러스 벡터로 전체 유전자 치료 연구의 68.5%에서 사용되고 있으며, 그 다음이 플라스미드 DNA(17.8%), 그리고 리포솜(Liposome)을 이용한 리포펙션(Lipofection, 5.4%)이 그 다음으로 사용되고 있음. 바이러스 벡터 중에서는 아데노바이러스 벡터가 22.3%로 가장 많이 이용되고 있으며, 레트로바이러스(19.6%), 백시니아 바이러스(5.7%), 그리고 아데노부속바이러스(Adeno-Associated Virus, AAV, 5.6%)가 그 다음으로 사용되고 있음

(1) 바이러스 전달체

- 바이러스는 자신의 유전자를 사람 등 다른 숙주로 전달하여, 복제 및 증식이 가능하도록 진화해 왔음. 이러한 바이러스의 유전자 전달 특성은 그대로 두고, 바이러스가 가지고 있는 병원성을 제거한 후 유전자 치료에 사용하고 있는 것이 바이러스 전달체임

(가) 아데노바이러스(Adenovirus) 벡터

- 아데노바이러스는 사람에게서 주로 호흡기(감기), 소화기, 그리고 눈에 감염을 일으키는 바이러스로써 서브그룹 C형인 Ad2와 Ad5가 가장 많이 사용되고 있음
- 아데노바이러스 벡터는 분열하는 세포나 분열하지 않는 세포 모두 감염될 수 있으며, 감염된 세포의 염색체에 삽입되지 않고, 핵 내에서 에피솜 인자(Episomal element)로 존재하게 됨
- 단점으로는 종종 원치 않는 면역 반응을 유발할 수 있으나 최근에는 아데노바이러스가 가지고 있는 이러한 단점을 오히려 역으로 이용하여, 암 조직 내에 아데노바이러스를 투여함으로써, 숙주의 면역계가 아데노바이러스를 공격하는 과정에서 암세포가 효과적으로 사멸할 수 있도록 이용하기도 함
- 아데노바이러스가 가지고 있는 또 다른 단점은 대부분의 사람들이 아데노바이러스에 대한 항체를 이미 가지고 있기 때문에 충분한 효능을 얻기 위해 반복투여를 하는 것이 어렵다는 것임. 하지만, 최근에는 아데노바이러스 유전자 중에서 면역 반응에 관여하는 유전자(예를 들어 E2B)를 제거함으로써, 숙주 면역계의 공격을 덜 받는 벡터가 개발되고 있음

(나) 레트로바이러스(Retrovirus)/렌티바이러스(Lentivirus) 벡터

- 유전자 치료에 최초로 이용된 바이러스 벡터로써 치료 유전자를 숙주의 지놈 내에 안정적으로 삽입시킴으로써, 치료 유전자가 자손 세포로 지속적으로 전달할 수 있기 때문에 유전 질환을 치료하기 위한 유전자 치료에 적합한 장점을 가지고 있음
- 하지만 레트로바이러스 벡터는 분열하는 세포에만 감염되며, 숙주 세포의 지놈 상에 무작위적으로 삽입되기 때문에, 종양 억제 유전자를 불활성화 시키거나, 종양 유전자를 활성화시킴으로써, 형질 전환된 세포가 암세포화 될 수 있다는 것이 단점임
- 레트로바이러스의 일종인 렌티바이러스 벡터는 대표적으로 HIV(Human Immunodeficiency Virus)를 기원으로 하여 제작되었으며, 기존의 레트로바이러스 벡터와는 달리 분열하는 세포 뿐 아니라, 분열하지 않는 세포에도 감염할 수 있다는 특성이 있음

(다) 아데노 부속 바이러스(Adeno-Associated Virus, AAV) 벡터

- 아데노 부속 바이러스는 파보 바이러스과(Parvoviridae)에 속하며, 아데노바이러스(Adenovirus), 백신시아 바이러스(Vaccinia virus), 또는 헤르페스바이러스(Herpesvirus)와 같은 보조바이러스(helper virus)의 도움이 없이는 스스로 복제하는 것이 불가능한 바이러스임
- 아데노 부속 바이러스는 분열하는 세포와 분열하지 않는 세포 모두 감염할 수 있는 장점을 가지고 있지만, 바이러스 전체 지놈의 크기가 작아서 원하는 치료 유전자를 삽입하는데 한계가 있다는 것이 단점임
- 또한 벡터를 생산하는 과정이 매우 복잡하고, 시간이 많이 소요되는 것도 향후 상업화를 하는데 있어서 허들이 되고 있지만, 최근 이러한 단점이 극복되고 있으며, 다양한 임상 시험에서 그 사용이 증가하고 있는 추세임
- 특히 AAV의 경우 서브타입에 따라서 감염되는 조직이 다르기 때문에, 신경계, 간, 그리고 근육 등에 특이적인 AAV 벡터가 개발되고 있음

(라) 기타 바이러스 벡터

- 위에서 언급된 레트로바이러스/렌티바이러스, 아데노바이러스, 그리고 아데노 부속 바이러스 이외에, 최근 들어서 천연두 예방 백신으로 이용되어 왔던 백신시아 바이러스(Vaccinia Virus)를 이용하여 종양 살상 바이러스 벡터(Oncolytic Virus Vector)를 개발하거나, 중추신경계에 선택적으로 감염되는 헤르페스 심플렉스 바이러스 벡터(Herpes Simplex Virus vector)를 이용하여 파킨슨병(Parkinson's disease)이나 알츠하이머 질환(Alzheimer's disease)과 같은 신경성 질환을 치료하려는 연구가 진행되고 있음

(2) 비바이러스 전달법

- 비바이러스 유전자 전달법은 바이러스 전달체에 비해서 훨씬 단순하기 때문에 안전성 측면에서 바이러스 전달체 보다 우수함. 또한 바이러스 전달체와 달리 면역반응을 유발하거나 자기 복제를 하지 않으며, 바이러스 전달체에 비해서 제조가 용이함
- 하지만, 바이러스 전달체에 비해 전달 효율이 떨어지며, 일시적인 유전자 발현만 가능하기 때문에, 임상에서도 일시적인 발현이 필요한 경우에만 유용하게 사용할 수 있음

(가) 네이키드 DNA/플라스미드(Naked DNA/Plasmid)

- 바이러스를 이용하지 않는 유전자 전달 방법 가운데 가장 많이 이용되고 있는 방법은 네이키드 DNA 또는 플라스미드를 그대로 주사하는 것임. 이 방법은 특정한 전달체의 도움을 받지 않고도 투여한 주변 조직에서 성공적으로 치료 유전자를 발현할 수 있는 것이 확인되었으며, 이미 다양한 임상에서 이용되고 있음
- 치료 유전자의 발현에만 필요한 최소한의 유전 인자들만 있으면 되기 때문에, 가장 안전한 유전자 전달법이지만, 바이러스 벡터에 비해서 치료 유전자 발현율이 현저히 낮으며, 근육 등 투여가 용이한 부위를 제외하고는 적용하기 어려운 것이 단점임
- 전달 효율이 현저히 낮은 네이키드 DNA 또는 플라스미드의 전달 효율을 증대시키기 위한 연구가 진행되어 왔으며, 이를 통해서 전기 천공법(electroporation), 초음파 천공법(sonoporation), 그리고 금 입자(gold particle)에 DNA를 코팅한 후 진 건(gene gun)을 이용하여 전달하는 방법들이 개발되었음
- 이러한 방법들은 유전자 전달효율을 상당히 개선시킬 수 있었지만, in vivo 환경에서 적용 부위에 한계가 있고, 금 입자와 같은 나노입자를 이용하는 경우, 아직까지 밝혀지지 않은 세포 내 독성이 있을 수 있다는 단점을 가지고 있음

(나) 리포솜(Liposome)

- 리포솜을 이용한 리포펙션(Lipofection)은 바이러스 전달체가 가지고 있는 효율과 플라스미드 DNA가 가지고 있는 안전성을 적절히 혼합한 방법임. 리포솜-DNA 복합체는 양(+) 전하를 띠고 있기 때문에, 음(-) 전하를 띠고 있는 세포 표면에 잘 결합하며, 엔도시토시스(endocytosis)에 의해 타겟 세포로 들어가게 됨

제3절 세포 및 유전자치료제의 시장 · 투자 동향

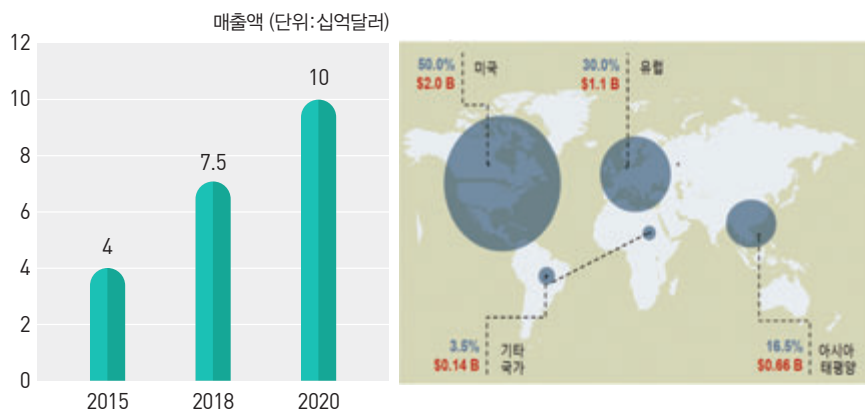
1. 세포치료제의 시장동향

가. 세포치료제 시장현황 및 전망

- 글로벌 세포치료제 시장은 2015년 40억달러에서 연평균 20.1%로 성장하여 2020년 100억달러 규모로 성장할 전망
- 전 세계적으로 활동하는 500개 기업 중 절반 이상이 미국에 있으며, 이로 인해 미국 시장의 잠재력이 가장 크지만 일본과 한국의 주도로 아시아 시장도 빠르게 성장
 - 미국 50%, 유럽 30%, 아시아 16.5% 순으로 세포치료제 글로벌 시장 점유

그림 2-7

글로벌 세포치료제 시장 현황 및 전망(2015~2020년, 좌) 및 지역별 시장 점유율(2015년, 우)

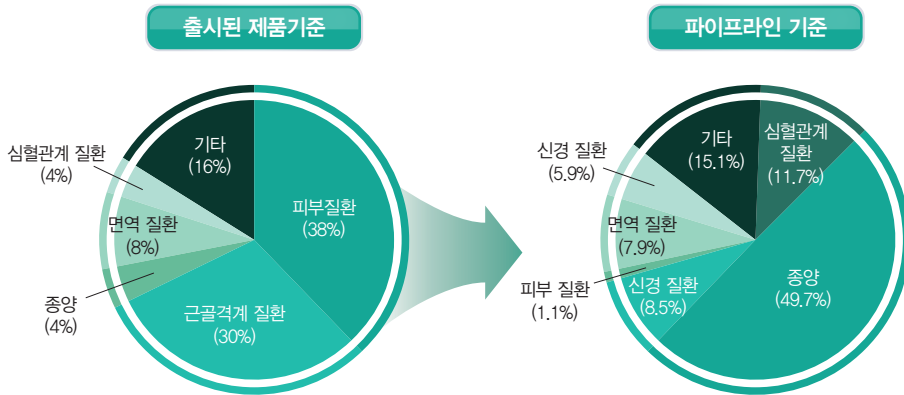


출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

- 현재 판매 중인 세포치료제는 피부 및 근골격계 관련 제품의 비중이 높으나, 개발 단계의 파이프라인은 종양 및 심혈관계 관련 질환이 주를 형성
- 2015년 기준 출시된 세포치료제의 질환군별 분포는 피부질환과 근골격계 질환이 68%로 대부분을 차지하고 있으나,
 - 개발 중인 파이프라인은 종양 49.7%, 심혈관계 질환이 11.7%로 세포치료제 패러다임 전환

그림 2-8

세포치료제의 패러다임 전환(2015년)

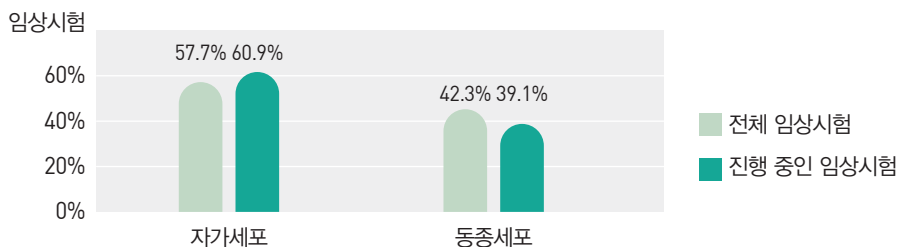


출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

나. 세포치료제 시장 성장 요인

- (R&D) 최근 높은 안전성과 효능을 보이는 세포치료제 기반의 새로운 병용 치료제 및 치료기술 개발이 현저히 증가하고 있는 추세
 - 세포치료제 중 줄기세포치료제 분야는 심혈관계 질환(20.2%), 종양(18.7%), 신경 질환(17.2%) 순으로 많은 파이프라인을 보유
 - 면역 질환에서는 줄기세포치료제 보다 유전자 변형 CAR-T 세포 관련 치료제 개발이 활발하고 후기 단계의 연구개발 진행 중
- (제조) 현재 자가세포치료제와 동종세포치료제의 비중은 거의 유사하나, 향후 동종세포를 이용한 연구개발이 증가할 것으로 예상
 - 높은 제조원가의 자가 세포치료제 연구에서 범용성이 높은 동종 세포치료제 연구가 활발할 것으로 예측되지만,
 - 2015년 기준 전체 임상시험에서의 자가세포와 동종세포 비중은 57.7 : 42.3이고, 진행 중인 임상시험의 자가세포와 동종세포 비중은 60.9 : 39.1로 큰 비중 변화가 없는 것으로 조사
 - 제조를 위한 장애물에는 대규모 제조 역량, 공정 공학 능력, 자동화 시스템, 물류 및 판매 비용 절감과 관련된 것들이 존재

그림 2-9 자가 및 동종 세포치료제의 전체 임상시험 vs. 진행 중인 임상시험(2015년)



- (규제) 미국은 엄격한 규제에도 불구하고 줄기세포에 대한 민간의 임상연구가 활발하여 줄기세포 연구를 주도
 - 미국은 수요와 시장 잠재력으로 인해 줄기세포 연구가 가장 활발하지만, FDA의 규정은 매우 엄격한 임상시험 결과를 요구
 - 유럽은 보수적인 바이오의약품 정책으로 세포치료제 시장이 뒤처지고 있는 상황
 - 영국을 제외한 EU 국가들은 인간배아줄기세포 관련 연구 제한
 - 일본은 줄기세포치료와 관련하여 타 국가와의 파트너십을 장려하고 안전성이 입증된 제품을 조건부로 우선 승인하여 시장에 출시하는 전략 추진
 - 중국은 국제적 비판 여론 이후로, 줄기세포 연구에 대한 윤리적 지침의 엄격한 통제와 감독 · 집행 개시

표 2-3 자가 및 동종 세포치료제 장점 및 단점

자가		동종	
장점	단점	장점	단점
맞춤형 치료제	물류에 대한 지리적 제한	처방전 없이 구매 가능	세포은행 및 기증자에 따라 다름
좋은 효능을 나타내는 신 병용요법, 특히 조혈암에 대한 치료	높은 제조원가	자가세포치료제 보다 저렴한 제조 비용	대용량 저장 기능 필요
면역원성의 위험 없음	고비용(수십만달러)	-	개인 맞춤형 아님

- (자금) 벤처에 대한 투자가 증가하고 있으나, 초기 신생기업의 투자 확보는 여전히 어려운 상황
 - 세포치료제 분야의 빠른 성장과 제약사의 관심 증가로 인해 지속적인 자금 확보가 향상 될 것으로 기대

표 2-4

자금 확보 관련 주요 추세

트렌드	내용
빠르게 성장하는 벤처 투자	- 2014년과 2015년은 벤처 투자가 가장 많았으며, 2015년 2분기에는 21억 달러 초과
초기 단계 제품에 대한 투자 확대	- PIPE*는 중소기업의 초기 단계 제품에 대한 투자의 좋은 방법으로, 2015년 상장기업에 약 4억달러 투자 * PIPE(Private investment in public equity) : 상장기업 집중 투자
신생 기업의 정체	- 연간 25~ 30개 기업으로 정체
벤처 파이낸싱 생명 주기	- 벤처기업은 약 4년 이내에 지속 가능성에 도달 필요
신생 벤처의 어려운 자금 확보	- 대부분의 자금 조달은 후속 또는 후반 단계 거래에서 볼 수 있으므로 시장에 새로 진입하는 회사는 자금 확보에 어려움

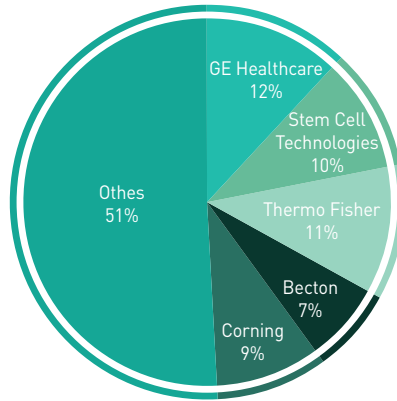
출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

2. 줄기세포치료제의 시장동향

가. 줄기세포치료제 시장현황 및 전망

- 줄기세포의 다양한 응용 영역에 따라 바이오의약품 개발 기업뿐 아니라 연구 기반기술을 지원하는 생명공학 기업이 줄기세포 시장에서 큰 비중 차지
- 줄기세포가 재생치료법과 더불어 세포 분화, 생체 기전을 이해하는 연구도구로 활용되면서 줄기세포 연구를 위한 시약, 배양액, 세포 이미징 등의 기반연구를 지원하는 생명공학 기업이 시장 점유율 상위 순위를 차지
 - 2016년 줄기세포 시장 점유율 상위 5개 기업은 GE Healthcare, Thermo Fisher, Stem Cell Technologies, Becton, Corning으로, 줄기세포 시장 규모의 절반 비중을 차지
 - * 가장 큰 비중을 차지하고 있는 GE Healthcare는 의료 이미징, 소프트웨어 및 정보기술, 의료 진단, 환자 모니터링 시스템, 신약개발 및 생물약제 제조기술 등을 제공하는 의료기술 및 관련 서비스 선두 제공 업체 중 하나로, 줄기세포주 생산, 자동화 제조 등의 기술 개발 추진
 - 줄기세포 치료 가능성과 활용범위가 넓어지면서 줄기세포 시장 장악을 위한 기업의 사업영역 확장 및 전략적 M&A 활발
 - * 2016년 11월, Thermo Fischer Scientific Pvt Ltd.는 줄기세포 회사인 MTI-Global Stem Ltd.를 미공개 금액으로 인수

그림 2-10 주요 기업별 줄기세포 시장 점유율(2016년)



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4)

표 2-5 최근 주요 줄기세포 기업의 경영 전략

연도	기업	전략	주요 내용
2017	Takara Holdings Inc.	인수	• Takara Holdings Inc는 7,500만달러를 지불하여 미국 생명공학기업 Rubicon Genomics 인수
	Hitachi	인수	• Hitachi는 요코하마시(Yokohama city)에 재생 의료용 세포 제조시설을 건립하기 위해 20억엔 투자 계약 추진 • Hitachi는 Caladrius Biosciences의 자회사인 미국 재생의료용 세포업체 PCT 인수
	CELGENE CORPORATION	승인	• 유럽연합집행위원회(European Commission)는 줄기세포 이식을 받은 다발성 골수종 환자의 치료를 위한 Revlimidis의 단독요법 승인
	Austrian center of industrial biotechnology (ACIB)	협력	• 오스트리아 산업생명공학센터(ACIB)와 GE Health care는 바이오의약품 제조사의 생산성을 높이기 위한 세포주 연구 협력 진행 • 3년 간의 협력 목표는 중국 햄스터 난소 세포주의 기능 수정 · 최적화를 위한 신규 기술 개발로 선정
	STEM CELL Technologies	확장	• STEM CELL Technologies는 전 세계적으로 세포 치료, 재생의학뿐 아니라 암 및 기타 질병 연구를 지원하는 전문 시약 및 도구를 제공하는 전문 기업으로, 2017년 영국 캠브리지에 확장 개소 • 캠브리지는 줄기세포 연구를 위한 세계적인 선도 허브로, 이러한 확장은 영국과 유럽의 STEM CELL 고객과의 근접성과 연계되는 최적의 위치 제공 효과 기대
2016	Thermo Fisher	인수	• Thermo Fisher는 줄기세포 연구 응용, 세포 형질주입, 신경생물학 등의 연구용 시약 개발 기업인 Global stem cell 인수
	Veiricel corporation	승인	• Veiricel corporation에서는 성인 환자에서 무릎의 증상성 전체두께 연골 결함을 수복시켜주는 마시 (MACI, 돼지 콜라겐 막에 자가 배양된 연골세포)를 미국 FDA로부터 승인
2015	FUJIFILM	인수	• 일본 후지필름홀딩스는 iPSC 개발 및 제조를 담당하는 미국 Cellular dynamics를 인수

출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

1) 전체 시장 현황 및 전망

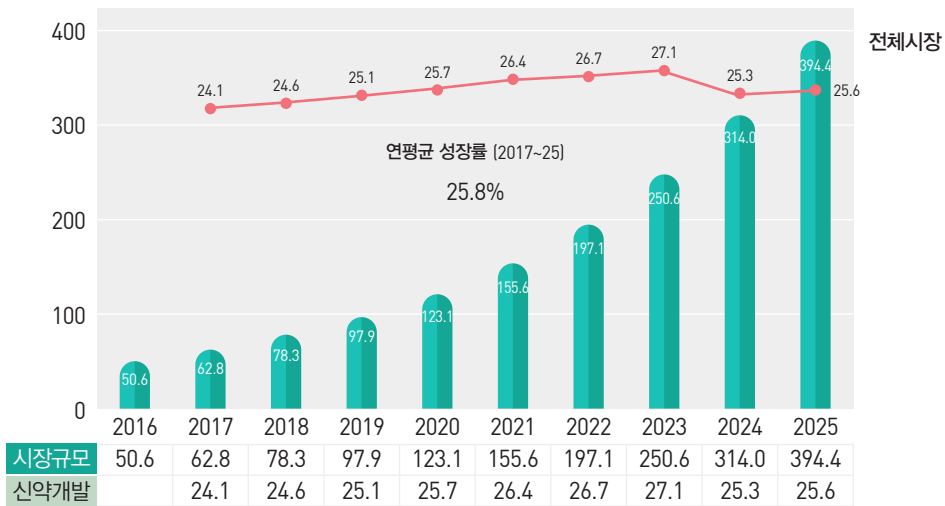
- 글로벌 줄기세포 시장은 2017년 628억 달러 규모를 형성, 향후 빠르게 성장하여 2025년 3,944억달러 규모로 성장할 전망

- 줄기세포치료제 및 치료기술 관련 임상시험의 증가와 줄기세포 기반의 신약개발 활성화* 추세 등에 따라 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 성장률 25.8%('17~'25)로 꾸준히 확대될 전망

* 심부전, 당뇨병 등 환자로부터 제작한 iPSC를 이용해 신약 후보물질 효능 조사 등 신약개발을 위한 줄기세포 활용 연구 활발지

표 2-6

글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망(2016~2025)



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

줄기세포 시장의 범위와 영역

- ◆ 줄기세포 시장은 품목허가 받은 줄기세포치료제를 포함하여 의료기술 등의 재생의약 산업과 기초연구 및 신약개발에 활용되는 줄기세포 기반 질환모델, 오가노이드 등의 융합산업과 줄기세포 배양 및 생산에 필요한 기기, 소모품 등의 플랫폼산업을 포함

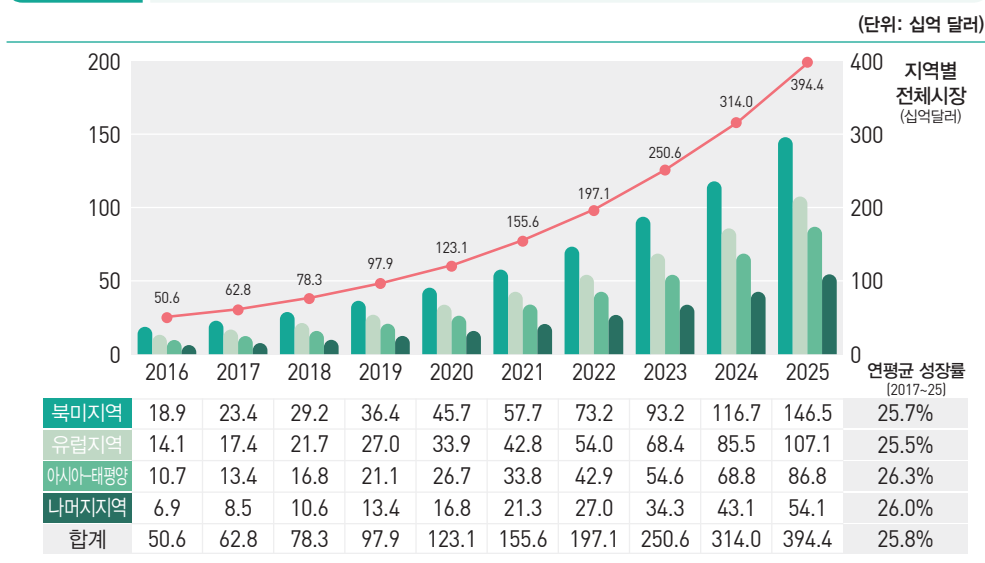
2) 지역별 시장 현황 및 전망

- 전 세계 지역별 줄기세포 시장은 북미 지역이 37.3%(2017년 234억 달러)로 가장 큰 비중을 차지
- 그 다음으로 유럽 27.8%(174억 달러), 아시아-태평양 21.3%(134억 달러), 나머지 지역 13.6%(85억 달러) 순으로 시장규모 형성
 - 향후 2025년까지 연평균 성장률이 가장 높은 지역은 아시아-태평양 지역으로, 2025년 전체시장에서의 비중은 22%로 확대될 전망

* 특히 아시아-태평양 지역에서는 의료관광, 신경질환 등의 만성질환 환자의 증가추세, 아웃소싱 위탁 증가 등의 요인에 따라 연평균 성장률(2017~2025년) 26.3%로 가장 빠른 성장 전망(북미 지역 25.7%, 유럽지역 25.5%)

- 2016년 줄기세포 시장의 약 1/3의 점유율로 가장 큰 시장을 형성하고 있는 북미 지역은 향후 암 발생 증가를 주요 요인으로 지속적인 시장 성장 전망
 - 유럽은 줄기세포 시장에서 활동하는 기업들의 적극적 투자가 이루어지고 있으며 북미와 유사하게 암 및 심혈관 질환의 증가가 시장성장의 주요 요인으로 작용
 - 아시아 지역 개발도상국의 경제 발전 및 소득 개선, 저렴한 치료비용에 따른 의료 관광 및 의료 분야 투자 증가로 향후 아시아 줄기세포 시장 성장이 전 세계적으로 가장 빠르게 진행될 전망

표 2-7 지역(Region)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017~2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

3) 제품(Product)별 시장 현황 및 전망

- 글로벌 줄기세포 제품별 시장은 성체줄기세포 시장이 가장 큰 비중을 차지하고 있지만, 성장 추세에서는 iPSC가 가장 높은 성장률을 보일 것으로 전망

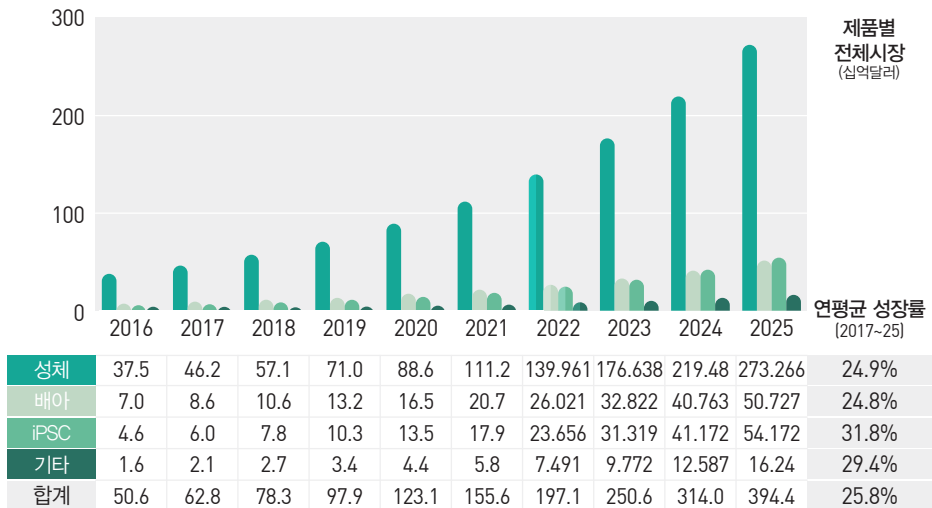
- 줄기세포 제품별 시장은 2017년 628억 달러에서 연평균('17-'25년) 25.8%로 성장하여 2025년 3,944억 달러까지 증가할 전망
 - 성체줄기세포 제품이 2016년 375억 달러로 가장 큰 규모를 차지하였으며 연평균('17-'25년) 25%로 성장하여 2025년에는 2,732억 달러 규모 시장 형성 예상
 - iPSC 관련 줄기세포 제품이 연평균('17-'25년) 31.8%로 가장 빠른 시장 성장을 보일 것으로 기대

- 성체줄기세포 시장이, 지역별로 북아메리카 시장이 가장 크게 형성
- 성체줄기세포 제품이 2016년 375억 달러로 가장 큰 규모를 차지하였으며 연평균(17~25년) 25%로 성장하여 2025년에는 2,732억 달러 규모 시장 예상
 - 성체줄기세포 제품 중 제대혈줄기세포 관련 제품이 증가 추세

표 2-8

제품(Product)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망(2016~2025)

(단위: 십억 달러)

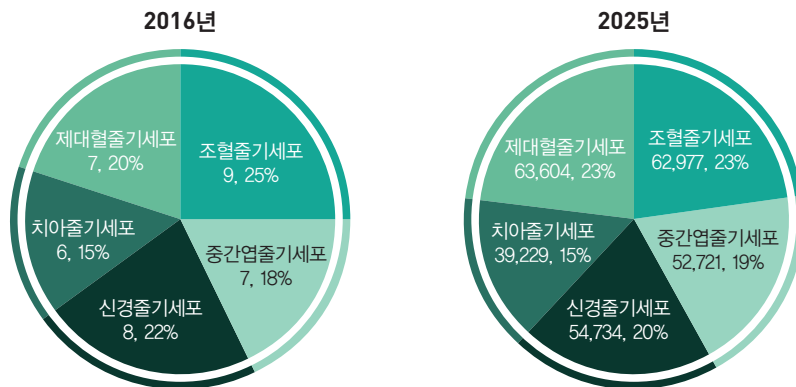


출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017~2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

그림 2-11

글로벌 성체줄기세포 시장 현황 및 전망

(단위: 백만 달러)



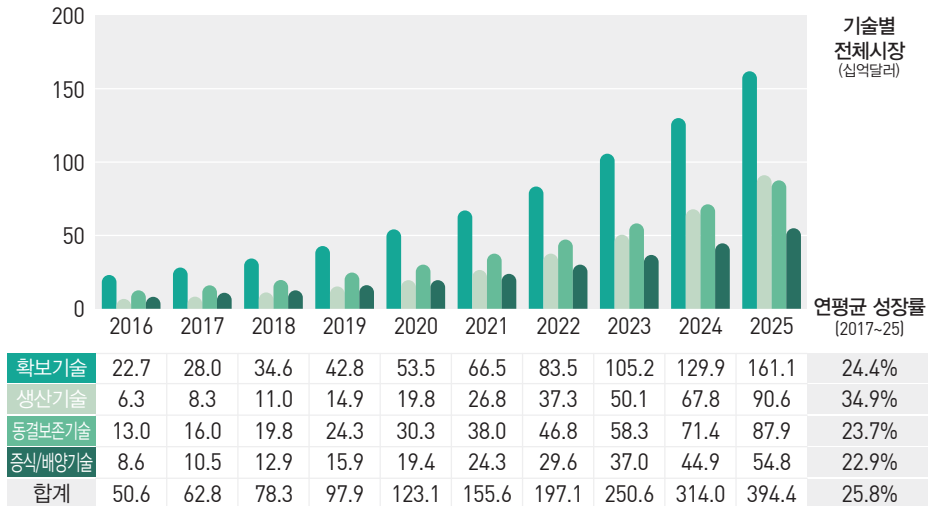
출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017~2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

4) 기술별 시장 현황 및 전망

- 글로벌 줄기세포 기술별 시장은 확보기술이 가장 큰 비중을 차지하고 있지만, 성장 추세에서는 생산기술이 가장 빠른 성장률을 보일 것으로 전망

표 2-9 기술(Technology)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망

(단위: 십억 달러)



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

- 줄기세포 기술별 시장은 2017년 506달러에서 연평균('17-'25년) 25.8%로 성장하여 2025년 3,944억 달러까지 증가할 전망
 - 확보기술이 2016년 45%(227억 원)로 가장 큰 비중을 차지하였으며 연평균('17-'25년) 24.4%로 성장하여 2025년에는 1,299억 달러 규모 시장 형성
 - 생산기술이 연평균('17-'25년) 34.9%로 가장 빠른 시장 성장을 보일 것으로 기대

5) 응용별 시장 현황 및 전망

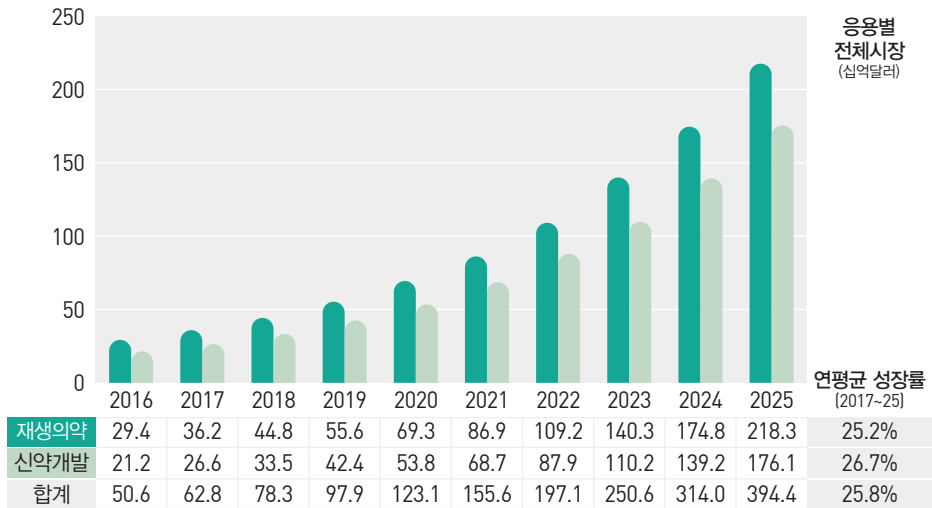
- 글로벌 줄기세포 응용별 시장은 빠르게 성장하는 시장 분야로 재생의약과 신약개발이 핵심 분야
- 줄기세포 응용별 시장은 2017년 628억 달러에서 연평균('17-'25년) 25.8%로 성장하여 2025년 3,944억 달러까지 증가할 전망
 - 2016년 줄기세포 관련 재생의약과 신약개발 시장은 각 58%(294억 원)와 42%(212억 원)으로 재생의약 시장의 규모가 약간 크게 형성
 - 줄기세포 신약개발 분야가 연평균('17-'25년) 26.7%로 성장하여 2025년에는 45%(176억 원)으로 규모 확장 기대

- 재생의약은 노화 및 심혈관, 신경, 정형외과 및 자가면역 질환의 치료에 사용되고 있으며 줄기세포기술이 이 분야에 지속적 확대 예상
 - 바이오의약 회사들은 후기 단계 약물 후보의 높은 마멸률을 줄이기 위해 신약개발 프로세스에 줄기세포 활용

표 2-10

응용(Application)별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망

(단위: 십억 달러)



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017~2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

나. 줄기세포치료제 시장의 성장요인과 저해요인

(1) 성장요인

■ 줄기세포치료제의 효과적인 치료 효능으로 인한 긍정적 인식 증가

- 줄기세포치료제는 질병 관리뿐만 아니라 암, 림프구 관련 질환, 혈관 질환과 같은 질병에 효과적인 효능을 보여 최근 재생 의학 분야에서 주목 받고 있음
 - 줄기세포의 치료 효능과 관련하여 업계에서의 인식이 증대되어 전 세계적으로 6,768건의 줄기세포 기반 임상시험이 진행 중에 있음 (NIH 등록 기준)
 - 이러한 임상 시험은 시장에서 줄기세포치료제에 대한 선호도가 높다는 것을 증명하며 지속적인 줄기세포치료제 시장의 성장이 촉진될 것 보여짐

■ 진보된 세포 분석 기술 개발

- 생명 과학, 생명 공학 및 유전체학 분야의 연구가 증가함에 따라 PCR, DNA 시퀀싱, 유동 세포 계측법 및 크로마토 그래피와 같은 진보된 세포 분석 도구 및 기술이 개발되었음

- 세포 분석 기술은 유도된 다능성 줄기세포(iPSCs)와 같은 표적 줄기세포주의 정확한 유전자 변형을 분석하여 줄기세포치료제의 초기 개발에 큰 도움이 됨
- 이러한 세포 분석 기술의 진보는 줄기세포치료제 시장의 성장에 긍정적인 영향을 미칠 것으로 예상됨

■ 줄기세포치료제 개발을 위한 정부 및 민간 투자 확대

- 질병 관리에서 줄기 세포의 치료 효능에 대한 인식이 높아지면서 전 세계의 다양한 공공 및 민간 단체가 줄기세포치료제 개발에 투자를 늘리고 있음
- R&D에 대한 공공 및 민간 투자의 가용성이 증가함에 따라 줄기세포치료제 시장 수요는 점차 증가 할 것으로 예상됨

■ 줄기세포은행 및 프로세스 관련 인프라 시설 발전

- 2004년에 영국에서 처음으로 줄기세포은행이 설립되었으며 2005년에는 미국에서 National Stem Cell Bank(NSCB)를 설립하여 20개의 인간 배아 줄기세포주를 보유하고 있음
- 줄기세포은행은 높은 품질과 표준화된 연구가 용이하도록 관리되고 있으며 이는 주요 국가에서 인프라를 개발할 경우 줄기세포치료제 연구에 대한 수요가 증가할 것으로 예상됨

(2) 저해요인

■ 줄기세포치료제의 개발 및 상업화를 위한 규제가 명확하지 않음

- 전 세계적으로 줄기세포치료제에 대한 정책 및 규제는 약물 기반 치료제에 비해 명확하지 않음
- 중국, 인도, 멕시코의 경우 줄기세포치료제에 대한 특정 규제 및 법률이 없음
 - 제품화 전 오염 테스트, 독성 테스트, cGMP, 표준 및 통제의 이행, 전임상 연구 및 임상 연구를 통해 해당 제품의 안전성과 효능을 확인하고 입증해야함
- EU에서의 줄기세포치료제는 ATMP(Advanced Therapy Medicinal Products) 범주에 속함
 - 2007년에 통과된 ATMP 규정은 2008년 12월에 발효되었으며 이를 통과한 줄기세포 치료제는 하나임

- 미국의 경우 FDA의 한 부서인 CBER에서 줄기세포치료제에 대한 승인이 이루어짐
 - 따라서 줄기세포치료제 제품 출시는 FDA의 승인보다 cGMP의 지침을 따르므로 미국 내에서 줄기세포치료제는 상업화가 제한적으로 이루어짐
 - 줄기세포치료제의 문화적 견해 차이로 인해 국가별로 사회 윤리적 및 도덕적 문제가 연관되어있어 전 세계적으로 단일 글로벌 정책이나 법률을 제정하는 것은 어려운 실정임. 결과적으로 전 세계적으로 줄기세포치료제의 상업화를 위한 규제 체계가 명확하지 않은 점이 줄기세포치료제 시장의 성장 저해 요인으로 작용하고 있음
- 사회 윤리적 문제
- 전 세계적으로 장기 이식 수요를 충족시키기 위해 조직 및 장기 재생을 위한 재생 약 개발이 각광 받고 있으나 인체 내부에서 줄기 세포를 사용하는 것은 생물 안전성 문제와 관련이 있으며 종교적 문화 차이에 의해 어떠한 국가에서는 인체가 더러워지는 것을 받아들이고 있지 않음
 - 줄기 세포의 사용과 관련된 윤리적 문제로는 인간 배아를 파괴함으로써 파생된 것과 관련이 있음
 - 인간 배아는 잠재적인 생명으로 간주되며 인간의 배아는 치료제로서의 목적이더라도 비윤리적인 것으로 간주됨
 - 줄기세포치료제 개발을 위한 배아줄기세포의 사용과 관련된 사회 윤리적 문제는 전 세계적으로 줄기세포치료제 시장 성장을 억제하는 주요 요인임

그림 2-12

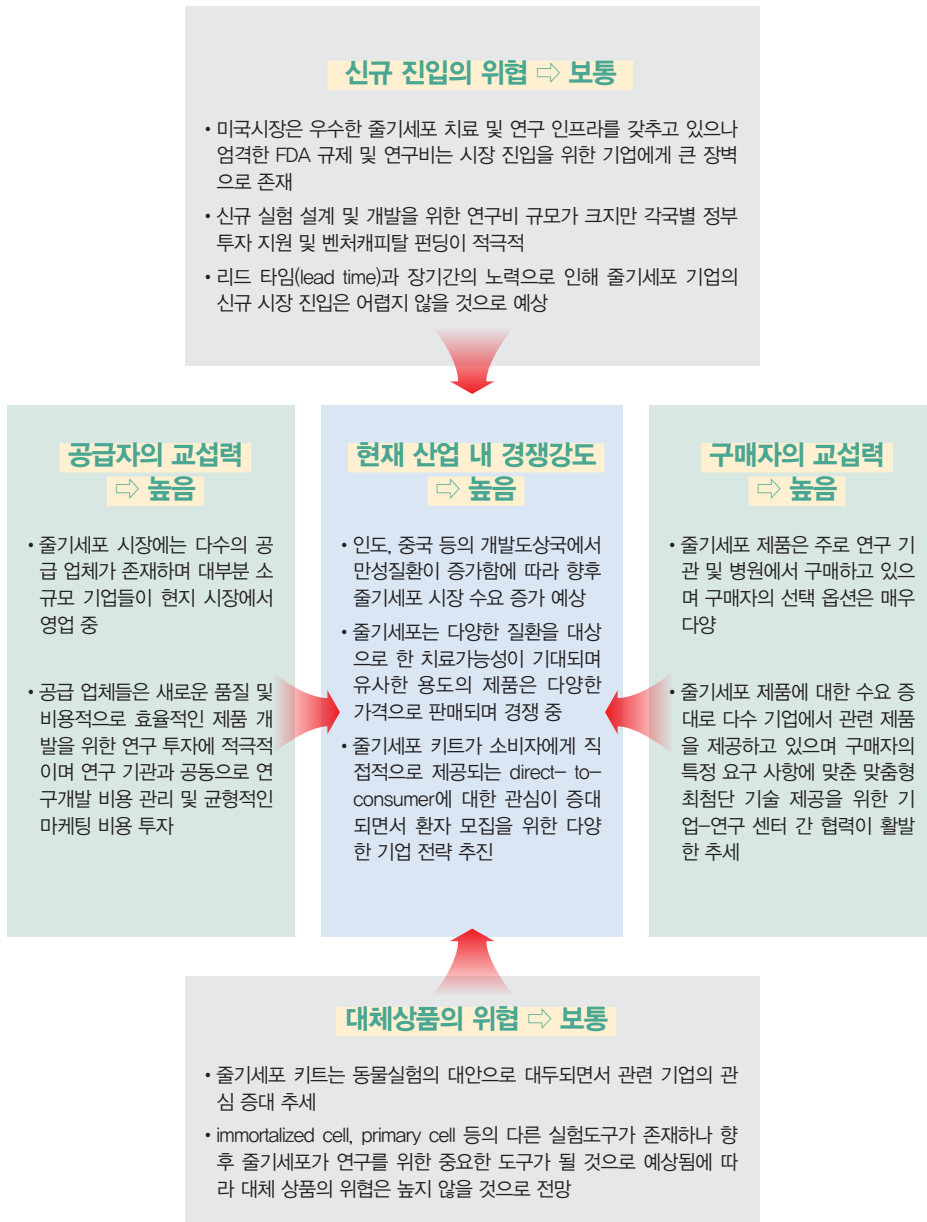
PEST 분석

POLITICAL(정치)	ECONOMICAL(경제)
• 세계 각국은 생명공학을 신흥 산업으로 지정 하고 적극 지원하는 반면, 바이오의약품에 대한 규제는 엄격히 추진 • 생명공학 기술의 발전과 개인맞춤 의약품에 대한 수요 증가로 헬스케어 시장이 성장하는 추세에 따라 정부의 의약품 가격 검토 및 안전성 강화를 위한 규제 노력 강화 • 특히 치료용 생명공학 제품의 임상, 제조, 판매하기 위해서 다양한 규제 기관에 의해 수립된 필수 절차 및 안전성, 유효성 조건을 충족시켜야 하며 이러한 규제가 시장 진입의 장벽이 될 가능성 존재 • 반면, 조건을 충족하는 기업의 경우 세금감면 혜택 등을 주는 바이오기업 지원 정책을 통해 시장 성장이 촉진 장려	• 미국의 의료 지출은 2017년까지 4.3조 달러에 달할 것으로 예측되는 등 향후 건강 관리에 대한 지출은 증가할 것으로 예측 • 미국은 메디케이드(medicaid, 65세 미만의 저소득자, 신체 장애인 의료 보조 제도)가 미국 의료 지출의 최대 17%를 차지(2017년) • 생명과학 분야에서의 엄격한 정부 규제에 대응하여 관련 기업에서는 R&D뿐 아니라 세금 위험 관리, 비즈니스 모델 최적화, 세무 데이터 관리 · 분석 등에 전문화된 기획 추진 • 또한 주요 성장 전략으로 기업 간 M&A와 전략적 제휴 추진 활발
SOCIAL(사회)	TECHNOLOGICAL(기술)
• 인구 고령화, 만성질환의 증가, 소비자 자산 증가 및 기타 인구 통계학적 변화로 인해 2016년 이 후 건강관리 지출 및 생명과학 제품 수요는 증가할 것으로 예상 • 인구 고령화는 서유럽과 일본뿐만 아니라 태국, 중국, 아르헨티나와 같은 국가에서도 장기적 성장 동력이 될 것이며, 인구 고령화와 늘어난 평균 수명의 조합으로 건강수명 연장에 대한 관심 확대 • 비만, 심혈관 질환, 고혈압 및 당뇨병은 이제 지속적으로 발생하는 흔한 건강 문제로, 이로 인해 의약품과 치료에 대한 수요 증가를 초래하고 공공보건시스템의 개혁을 요구	• IT 기반 데이터 분석기술 및 클라우드 기반 시스템의 발달은 임상시험 데이터 관리 효율화, 건강 관리 관련 데이터 공유, 환자 모니터링 신속화 및 규제 요구사항 대응 신속화 등의 이점 창출 • 이러한 기술을 줄기세포 시장 성장에 응용하기 위해서는 향후 데이터 복잡성, 보안 문제 및 개인정보 보호 제한 등의 장벽 해소 및 관련 정보를 다루는 의료인, 정보 활용자, 일반 대중 등을 대상으로 한 전문 교육 요구

출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

그림 2-13

5가지 세력분석(Porter's 5 Forces Analysis)



출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

3. 유전자치료제의 시장동향

가. 글로벌 유전자치료제 시장현황 및 전망

- 글로벌 유전자치료제 시장 규모는 2017년에 7억 8,406만 달러로 평가되었으며, 2017년부터 2023년까지 33.3%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 44억 194만 달러까지 성장할 것으로 예측됨
- 2016년 북아메리카 지역에서 유전자치료제 시장 규모는 3억 275만 달러로 세계 시장의 51.8%에 달하는 점유율을 보였으며 32.8%의 연평균 성장률로 2023년에는 22억 2,386만 달러에 달할 것으로 추정됨
- 가장 높은 연평균 성장률을 보인 지역은 아시아 지역(34.8%)으로 2023년에 4억 3,579만 달러까지 성장할 것으로 예측됨
- 북아메리카와 유럽의 유전자치료제 시장은 2016년 총 유전자 치료 시장의 약 83.2%를 차지했으며 특히 북아메리카 지역은 51.80%의 점유율을 차지하였음

표 2-11 글로벌 유전자치료제 시장 규모 전망

(단위 : 백만 달러)

지역	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	CAGR% 2017~2023
북아메리카	302.75	404.71	540.02	719.28	956.33	1,269.24	1,681.54	2,223.86	32.8
유럽	183.52	246.5	330.48	442.3	590.9	788.02	1,049.04	1,394.09	33.5
아시아	53.48	72.58	98.32	132.92	179.37	241.59	324.78	435.79	34.8
LAMEA	44.71	60.27	81.1	108.93	146.04	195.45	261.1	348.19	34
합계	584.46	784.06	1,049.92	1,403.43	1,872.63	2,494.29	3,316.46	4,401.94	33.3

출처: Gene Therapy Market 2017-2023, Allied Market Research 2018

(1) 북아메리카

- 2017년 8월, Pfizer는 North Carolina, Sanford에 있는 유전자치료제 연구 및 생산 공장을 확장시키기 위해 약 1억 달러를 투자한다고 발표함
- 다양한 질병 치료를 위한 유전자치료제 수요가 증가함에 따라 북미 지역에 여러 회사가 진입하였음
 - 2017년 10월, Merck는 유전자치료제 공장을 설립하여 생산량을 두 배까지 늘림

- 2016년 북아메리카 지역에서 유전자치료제 시장 규모는 3억 275만 달러로 32.8%의 연평균 성장률을 보였으며 2023년에는 22억 2,386만 달러에 달할 것으로 추정됨
 - 2016년 미국의 유전자치료제 시장 규모는 2억 7,675만 달러로 2023년까지 32.8%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 20억 2,549만 달러의 시장 규모에 달할 것으로 추정됨
 - 멕시코는 북아메리카 지역에서 가장 높은 연평균 성장률(34.2%)을 보임
 - 미국과 캐나다는 북아메리카 지역 유전자치료제 시장의 97.52%를 차지하며 전 세계적으로는 91.41%의 점유율을 차지하여 상당한 비중을 보임

표 2-12

북아메리카 지역 유전자치료제 시장 규모 전망

(단위 : 백만 달러)

지역	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	CAGR% 2017~2023
미국	276.75	369.75	493.12	656.47	872.37	1,157.22	1,532.34	2,025.49	32.8
캐나다	18.5	24.81	33.23	44.41	59.25	78.91	104.90	139.21	33.3
멕시코	7.51	10.14	13.67	18.39	24.7	33.11	44.3	59.15	34.2
합계	302.75	404.71	540.02	719.28	956.33	1,269.24	1,681.54	2,223.86	32.8

출처: Gene Therapy Market 2017–2023, Allied Market Research 2018

(2) 유럽

- 유럽은 유전자치료제 세계 시장에서 두 번째로 큰 시장을 형성함
 - 유럽에서는 UniQure의 Glybera와 GlaxoSmithKline의 Strimvelis를 유럽시장 판매 승인하여 글로벌 선진 시장에서 유전자치료제의 출시가 본격화 된 것에 기반하고 있음
 - 2017년 6월, 스웨덴에서는 유전자 치료 센터 설립을 위해 Vinnova Vetenskapsradet 으로부터 약 550만 달러를 지원 받았음
 - 영국 정부는 Cell and Gene Therapy (CGT) Catapult 제조 센터의 현재 생산 능력을 두 배로 늘리기 위해 약 1,570만 달러를 지원할 계획임
- 2016년 유럽 지역에서 유전자치료제 시장 규모는 1억 8,352만 달러로 33.5%의 연평균 성장률을 보였으며 2023년에는 13억 9,409만 달러에 달할 것으로 추정됨
 - 2016년 독일의 유전자치료제 시장 규모는 3,606만 달러로 2023년까지 33.4%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 2억 7,338만 달러의 시장 규모에 달할 것으로 추정됨
 - 기타 지역은 유럽에서 가장 높은 연평균 성장률(34.2%)을 보임
 - 독일과 기타 지역은 유럽 유전자치료제 시장의 58.96%를 차지함

표 2-13 유럽 지역 유전자치료제 시장 규모 전망

(단위 : 백만 달러)

지역	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	CAGR% 2017~2023
독일	36.06	48.42	64.9	86.84	115.98	154.62	205.78	273.38	33.4
프랑스	27.6	36.88	49.2	65.5	87.05	115.48	152.92	202.14	32.8
영국	20.76	27.9	37.44	50.16	67.07	89.52	119.28	158.65	33.6
이탈리아	15.98	21.21	28.1	37.14	49	64.53	84.81	111.25	31.8
스페인	10.97	14.63	19.46	25.84	34.26	45.32	59.86	78.91	32.4
기타	72.14	97.45	131.39	176.83	237.55	318.55	426.41	569.77	34.2
합계	183.52	246.5	330.48	442.30	590.90	788.02	1,049.04	1,394.09	33.5

출처: Gene Therapy Market 2017-2023, Allied Market Research 2018

(3) 아시아 · 태평양

- 아시아 · 태평양 유전자치료제 시장은 연평균 성장률이 가장 높은 지역으로 특히 인구가 많은 인도와 중국에서 암, 유전 질환의 유병률이 높아지고 있어 유전자치료제 연구 업체들의 주요 관심 지역으로 각광받고 있음
 - 일본은 유전자치료제 시장의 규모가 가장 큰 반면, 중국이 가장 큰 연평균 성장률을 보임
 - 중국에서는 Shenzhen SiBiono GeneTech의 Gendicine와 Sunway Biotech의 Oncorine을 중국시장 판매 승인 하였음
 - TissueGene, Inc.의 Invossa-K Inj 는 세계 최초의 퇴행성 관절염 유전자치료제로 2017년 7월 아시아에서 마케팅 승인을 받았음
- 아시아 · 태평양 지역의 유전자치료제 임상 시험은 전 세계 유전자치료제 임상 시험의 6%를 차지함
- 2016년 아시아 · 태평양 지역에서 유전자치료제 시장 규모는 5,348만 달러로 34.8%의 연평균 성장률을 보였으며 2023년에는 4억 3,579만 달러에 달할 것으로 추정됨
 - 2016년 일본의 유전자치료제 시장 규모는 1,934만 달러로 2023년까지 32.9%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 1억 4,268만 달러의 시장 규모에 달할 것으로 추정됨
 - 중국과 인도는 아시아 · 태평양 지역에서 가장 높은 연평균 성장률(37.1% / 36.1%)을 보임
 - 일본과 중국은 아시아 · 태평양 지역 유전자치료제 시장의 66.59%를 차지함

표 2-14

아시아·태평양 지역 유전자치료제 시장 규모 전망

(단위 : 백만 달러)

지역	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	CAGR% 2017~2023
일본	19.34	25.89	34.59	46.12	61.36	81.46	107.92	142.68	32.9
중국	16.27	22.48	30.97	42.59	58.43	79.99	109.27	148.95	37.1
인도	3.61	4.95	6.77	9.24	12.59	17.12	23.23	31.46	36.1
한국	3.3	4.45	5.98	8.04	10.77	14.41	19.23	25.62	33.9
기타	10.96	14.82	20	26.95	36.23	48.62	48.62	87.07	34.3
합계	53.48	72.58	98.32	132.92	179.37	241.59	324.78	435.79	34.8

출처: Gene Therapy Market 2017-2023, Allied Market Research 2018

나. 유전자치료제 시장의 성장요인과 저해요인

(1) 성장요인

■ 유전자치료제 R&D에 대한 높은 투자

- 경제적, 정치적 환경의 변화는 암 관련 연구에 대한 투자에 영향을 미침. 최근 많은 기업, 기관들이 유전자치료제에 대한 관심도가 높아지고 있어 유전자치료제에 대한 지원이 증가하였음.
 - NightstaRx는 X 염색체에 링크된 유전성 망막 이영양증 및 색소성 망막염과 같은 유전성 망막 질환에 대한 임상 시험을 위해 2017년 7월 4,500만 달러를 지원받았음.
 - Exonics Therapeutics는 유전자 편집 기술인 CRISPR-Cas9를 사용하여 Duchenne 치료법을 발전시키기 위해 2017년 11월 4,000만 달러를 지원 받았음

■ 암 발병률 증가

- 세계 보건기구 (WHO)의 통계에 따르면, 암은 2015년 전 세계적으로 약 880만 명의 사망자를 발생시켰으며 같은 해에 전 세계적으로 사망 원인 중 2위를 차지하였음.
 - 간염과 사람 유두종 바이러스와 같은 발암성 바이러스는 저소득 및 중간 소득 지역의 암 발병 사례의 25%를 차지하는 원인균으로 저소득 국가 중 35% 만이 2015년 공공 부문에서 병리 서비스를 이용할 수 있다고 보고됨. 고소득 국가는 90% 이상이 적절한 암 치료 서비스를 제공하는 반면, 저소득 국가는 고소득 국가에 비해 30% 이하로 암 치료 서비스를 제공할 수 있음

- 시장 성장의 원인 중 하나인 암 환자 수의 증가로 인해 암 치료비가 향후 증가 할 것으로 예상됨
 - 미국 암 협회(American Cancer Society)의 통계에 따르면 미국의 암 치료를 위한 국가 예산은 2010년 약 1,250억 달러였고 2020년까지 약 1,570억 달러로 증가 할 것으로 예상됨

■ 유전자치료제에 대한 인식률 증가

- 유전자치료제는 합병증 문제를 해결함으로써 임상 성공률이 증가되어 유전자치료제에 대한 인식이 높아졌음
 - 일반적으로는 유전자치료제에 대한 이해도가 높지 않았지만 최근 다양한 학회와 단체에서 정기적인 과학 심포지엄을 통해 유전자치료제에 대한 지식과 이해를 증진시키고 매체를 통해서도 인식을 증진시키고 있음
 - University of California의 Davis는 2014년 유전자치료제에 대한 심포지엄을 개최 하였음

(2) 저해요인

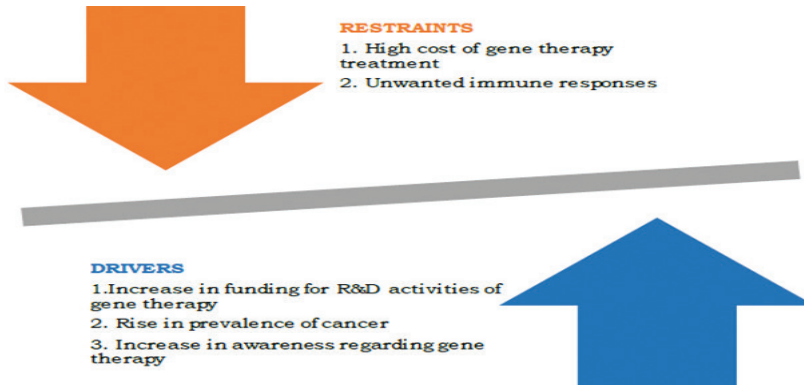
■ 유전자치료제 개발 비용

- 유전자치료제는 일반적인 치료제와 달리 특정 환자 군에 맞춰지기 때문에 비용이 비싸다는 단점이 있음
 - 최근 승인 된 Novartis의 Kymriah는 약 475,000 달러임
 - 또한 실명 예방을 위한 치료제는 향후 환자 당 약 900,000 달러의 비용이 발생할 것으로 예상됨
 - 따라서 높은 비용의 유전자치료제는 시장 성장을 저해 할 수 있음

■ 예상치 못한 면역 반응

- 유전자치료제는 효과가 활동적이고 안정적이어야 하므로 치료제의 효과가 짧은 경우 장기간에 걸친 효과를 기대할 수 없으며 여러 차례의 치료가 필요함
- 또한 바이러스 벡터는 환자의 문제, 독성 위험 및 염증 반응을 타겟으로 할 수 있기 때문에 국가별 엄격한 규제도 하나의 원인이 되어 전 글로벌 유전자치료제 시장 성장이 저해되고 있음

그림 2-14 유전자치료제 산업의 주요 성장요인 및 저해요인



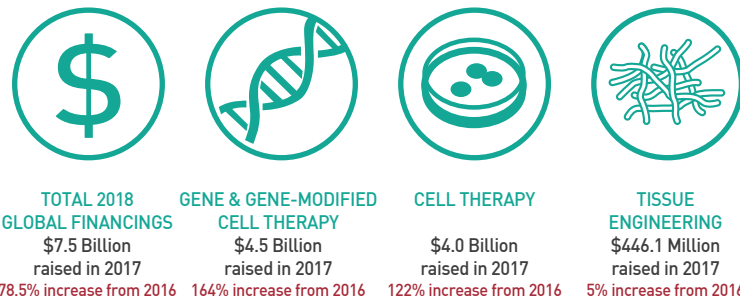
출처: Gene Therapy Market 2017–2023, Allied Market Research 2018

4. 줄기세포 및 유전자치료제의 투자동향

가. 글로벌 줄기세포 및 유전자치료제 투자동향

- 글로벌 세포치료제 및 유전자치료제의 시장은 지속적으로 성장하고 있고, 그에 따라 해당 분야에 대한 투자도 크게 성장하고 있음
- 오랜 기간 이 분야에 대한 다양한 투자들이 진행되어 왔으나 최근 해당 분야에서의 가능성 있는 결과들이 나오고 임상에서 성공하는 케이스가 나오는 등 발전이 있어서 투자가 지속적으로 이루어지고 있음
- 이 분야는 크게는 재생의료의 한 부분으로도 이해되고 있으며, 재생의료 중 대부분의 시장 규모를 차지하고 있고 투자에서도 마찬가지로

그림 2-15 재생의료 각 분야별 투자금액(2017년)



출처: 2017 Annual Report, Alliance for Regenerative Medicine

* 각 분야별 투자금액, 몇몇 회사들이 하나 이상의 기술을 사업화하므로 전체 금액과 각각의 금액 합산은 상이함.

- 2016년에 이어 2017, 2018년에도 재생의학 분야에서 신규 상장 외에 산업간 혹은 산업-대학간에 두드러진 전략적 제휴와 투자 등이 나오고 있음
- 2016년부터 현재(2018년 7월 11일)까지 재생의학 관련 바이오 기업들 36개사가 상장하였음
- 2016년에 상장한 기업들은 대부분이 CRISPR cas9과 관련된 기술을 개발하고 있거나 그들로부터 기술 이전하여 신약개발을 진행하고 있는 회사들임. 때문에 수년 전부터 불거져온 관련 소송에 지대한 관심을 가지고 있음

표 2-15 2016년 이후 상장된 재생의학 관련 바이오 기업 리스트

상장기업	공모금액	일시
Magenta Therapeutics Inc.	\$93mm	2018년 6월
MeiraGTX Holdings PLC	\$80.2mm	2018년 6월
Autolus Ltd.	\$139.5mm	2018년 6월
AVROBIO Inc.	\$106.6mm	2018년 6월
Neon Therapeutics Inc.	\$93mm	2018년 6월
Homology Medicines Inc.	\$154mm	2018년 3월
Unum Therapeutics Inc.	\$66.8mm	2018년 3월
Solid Biosciences Inc.	\$133.7mm	2018년 1월
Nightstar Therapeutics Ltd.	\$80.3mm	2017년 9월
Krystal Biotech Inc.	\$42.4mm	2017년 9월
Tocagen Inc.	\$90.9mm	2017년 4월
TiGenix NV	\$31.6mm	2016년 12월
CRISPR Therapeutics AG	\$42mm	2016년 10월
CollPlant Ltd.	\$25mm	2016년 10월
Fulgent Genetics Inc.	\$40.4mm	2016년 9월
Audentes Therapeutics Inc.	\$69.7mm	2016년 7월
GenSight Biologics SA	€40mm	2016년 7월
Selecta Biosciences Inc.	\$65.1mm	2016년 6월
Intellia Therapeutics Inc.	\$115.5mm	2016년 5월
Editas Medicine Inc.	\$101mm	2016년 2월
AveXis Inc.	\$98.2mm	2016년 2월
Voyager Therapeutics Inc.	\$74.9mm	2015년 12월
Mesoblast Ltd.	\$55.6mm	2015년 12월

상장기업	공모금액	일시
Wave Life Sciences Ltd.	\$94.9mm	2015년 12월
Dimension Therapeutics Inc	\$66.5mm	2015년 10월
REGENXBIO Inc.	\$148mm	2015년 9월
Benitec Biopharma Ltd.	\$12.8mm	2015년 8월
NantKwest Inc.	\$222mm	2015년 6월
Kiadis Pharma Netherlands BV	€33mm	2015년 6월
Celyad SA	\$93.1mm	2015년 6월
Corestem Inc.	\$36.2mm	2015년 6월
Adaptimmune Therapeutics PLC	\$178mm	2015년 5월
SanBio Co. Ltd.	\$67mm	2015년 4월
Collectis SA	\$212.3mm	2015년 3월
Bone Therapeutics SA	\$32.2mm	2015년 2월
Spark Therapeutics Inc.	\$172mm	2015년 1월

- 기업의 업력이 길지 않은 것에 비하면 성공적인 상장을 이루어냈고 기업가치도 상당히 높아 많은 투자들과 관련자들이 이 분야가 향후 미래 먹거리로 자리매김 할 것이라고 기대하고 있다는 것을 방증함.

표 2-16 최근 상장한 유전자치료제, 세포치료제 관련 기업들의 기업가치

상장기업	상장 일시	상장시점 시가총액	현재 시가총액 (18년 7월 11일 기준)
Tocagen Inc.	2017년 4월	\$230.35mm	\$191.36mm
TiGenix NV	2016년 12월	\$118.35mm	\$636mm
CRISPR Therapeutics AG	2016년 10월	\$554.59mm	\$2.9B
CollPlant Ltd.	2016년 10월	\$36.79mm	\$18.83mm
Fulgent Genetics Inc.	2016년 9월	\$156.48mm	\$73.35mm
Audentes Therapeutics Inc.	2016년 7월	\$318.04mm	\$1.43B
Selecta Biosciences Inc.	2016년 6월	\$250.59mm	\$303.73mm
Intellia Therapeutics Inc.	2016년 5월	\$775.63mm	\$1.32B
Editas Medicine Inc.	2016년 2월	\$649.73mm	\$1.78B
AveXis Inc.	2016년 2월	약 \$665.99mm	\$8.02B

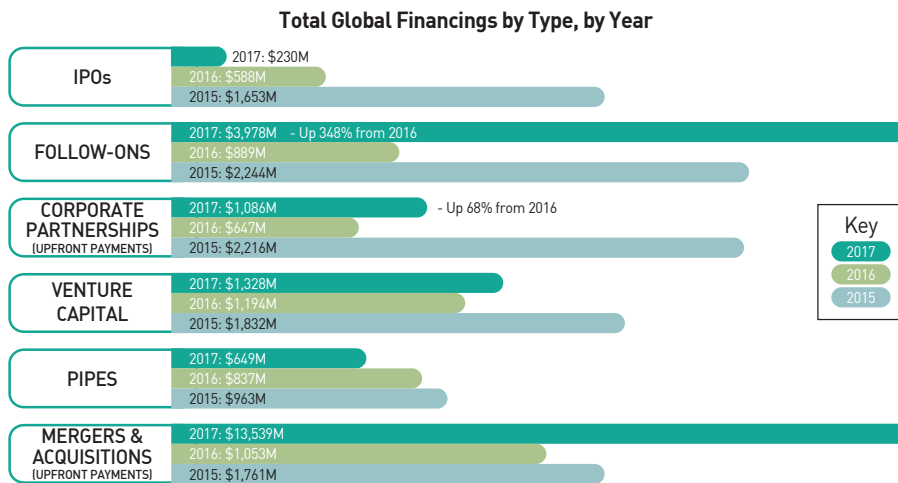
- 또한, 많은 혁신적인 기술을 보유한 대학과 기업 간 혹은 초기 단계 기업과 글로벌 기업 간의 제휴와 인수 및 투자들이 이루어지고 있음

표 2-17 최근 상장한 유전자치료제, 세포치료제 관련 기업 제휴 현황

제휴 현황	일시
Sangamo Therapeutics signs \$545mm hemophilia A gene therapy collaboration with Pfizer, including \$70mm upfront	May 10, 2017
Janssen Biotech signs \$350mm agreement with Legend Biotech USA & Legend Biotech Ireland	Dec21, 2017
Kite Pharma signs \$250mm Agreement with daiichi snakyo, including \$50mm upfront	Jan 9, 2017
Oxford BioMedica signs \$100mm agreement with Novartis, including \$10mm upfront	Jul 6, 2017
Takeda sings \$100mm agreement with GammaDelta Therapeutics	May 9, 2017
Histogenics signs \$97mm agreement with MEDINET for NeoCart, including \$10mm upfront	Dec 21, 2017
Sangamo Therapeutics signs \$3.01B Gene Editing Technology in Allogeneic and Autologous Cell Therapy Programs in Oncology collaboration with Kite, Including \$150mm upfront	Feb 22, 2018
Voyager Therapeutics signs \$895mm CNS gene therapy collaboration with Abbvie, including \$69mm upfront	Feb 20, 2018
Sigilon Therapeutics signs \$410mm Encapsulated Cell Therapies collaboration with Lilly, including \$63mm upfront	Apr 04, 2018

출처: 2017 Annual Report, Alliance for Regenerative Medicine, Strategic Transaction, Informa

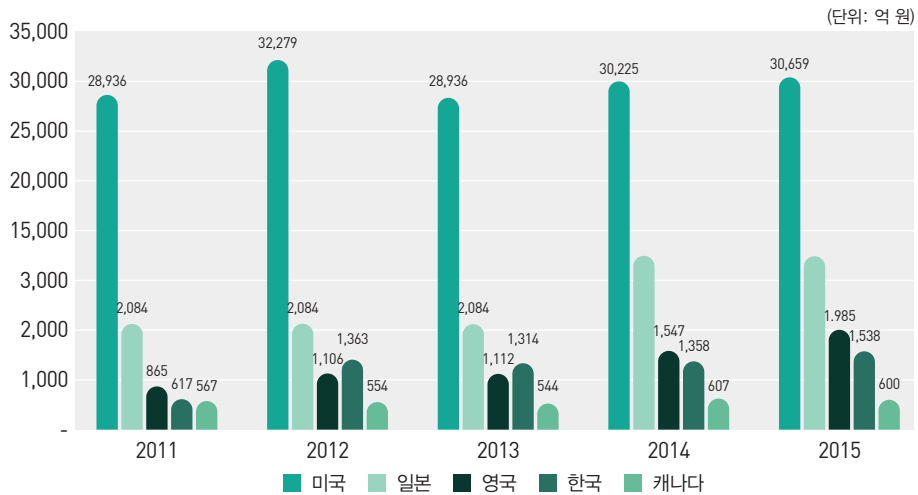
그림 2-16 재생의료분야 자금의 특성별 투자동향



출처: 2017 Annual Report, Alliance for Regenerative Medicine

- 세계적으로 줄기세포 · 재생의료 분야의 정부 R&D 투자를 확대하고 있으며, 특히 각 국가들은 줄기세포/재생의료산업을 육성하기 위해 연구단계별 특성을 고려한 투자를 강화하고 있음
- 2015년 기준 미국에서는 총 3조 659억 원 투자되고 있는 반면, 국내는 약 1,538억 원 투자 규모로 나타나며 미국이 국내 투자 대비 약 20배, 일본의 경우 국내투자 대비 약 3배 이상 투자되고 있음

그림 2-17 국내외 재생의료분야 국가 R&D 투자 규모(2011-2015)



출처: GSRAC report, 국내외 재생의료분야 국가 R&D 투자 현황

- 국가별 총 국가 R&D 대비 재생의료 투자 규모를 비교한 결과, 미국에서는 총 R&D 대비 약 2%를 재생의료에 투자하고 있으며, 영국이 재생의료 R&D 투자가 국가 총 R&D 투자의 1.0%를 보여주고 있으며, 국내 투자 비율이 약 0.7%로 나타남

표 2-18 주요 국가별 총 R&D 대비 재생의료분야 투자 비중(2011-2015)

국가	구분	2011년	2012년	2013년	2014년	2015년
미국	재생의료투자규모(A)	28,936	32,279	28,618	30,225	30,659
	국가총R&D규모(B)	1,533,321	1,492,713	1,452,778	1,434,454	1,379,172
	비율(A/B,%)	1.89%	2.16%	1.97%	2.11%	2.22%
일본	재생의료투자규모(A)	2,084	2,084	2,084	3,619	3,858
	국가총R&D규모(B)	277,804	292,685	325,128	311,730	298,736
	비율(A/B,%)	0.75%	0.71%	0.64%	1.16%	1.29%
영국	재생의료투자규모(A)	865	1,106	1,112	1,547	1,985
	국가총R&D규모(B)	134,740	125,930	138,136	143,052	147,811
	비율(A/B,%)	0.64%	0.88%	0.81%	1.08%	1.34%
국내	재생의료투자규모(A)	617	1,363	1,314	1,358	1,538
	국가총R&D규모(B)	165,882	176,505	178,112	191,833	200,386
	비율(A/B,%)	0.37%	0.77%	0.74%	0.71%	0.77%
캐나다	재생의료투자규모(A)	567	554	544	607	600
	국가총R&D규모(B)	99,680	102,768	103,392	101,682	-
	비율(A/B,%)	0.57%	0.54%	0.53%	0.60%	-

출처: GSRAC report, 국내외 재생의료분야 국가 R&D 투자 현황

재생의료 투자 규모 : 각국의 정부 발표 자료 및 정부 웹사이트

국가 총 R&D 규모 : OECD GENR 기준(<http://stats.oecd.org/2017.08> 기준)

(각국 재생의료 분야 R&D 투자규모 비교가 원활하도록 2017.08 각국 환율 기준 원화로 변환하여 제시함)

- 최근 주요국에서는 기초 연구지원 방안 수립 등 초기 투자에서 벗어나 산업 활성화를 위한 적극적인 R&D 투자 및 정책변화를 확산시키고 있으며, 정부 투자의 범위가 기초 연구 지원에서 중개, 임상 연구 단계로 이동하고 있음

표 2-19 줄기세포/재생의료 R&D 투자 현황

국가명	정부 지원	지원 규모
미국	• 연방정부 차원에서 줄기세포 연구의 R&D 투자를 적극 지원하고 있음 - 미국 NIH에서는 '10년 재생의학센터를 설립하여 연간 \$52mil.를 지원하였으나 이 사업은 '14년 4월 종료되었음 - NIH는 재생의료 분야에 전 세계적으로 가장 큰 규모 투자를 보여주며, 2016년 기준 Gene therapy \$297 million(약 3,389억 원), 줄기세포 분야에 \$1,516 million(약 17,298억 원), 그 외 기타 재생의료부분에 \$886 million(약 10,109억 원) 투자	2016년 기준 약 27억 달러 (약 3조원)
영국	• 영국은 UK Stem Cell Initiative를 통해 '06~'15년 동안 최대 1조 2천억 원에 대한 줄기세포 분야 투자계획을 수립하였으며, '15년 기준 최대 £100.8mil.의 예산 투자 - '15년 7월, 재생의료 및 세포치료 분야에 프로젝트 개발과 상업화 목적으로 £8mil. 지원 발표 - 상업화 촉진을 위한 CTC '15년 운영 예산은 총 £15.4mil.	2017년 기준 약 9,480만 파운드 (약 1,412억원)
캐나다	• '16년 줄기세포 전략 발표 통해 향후 필요한 예산/전략 수립 - 연방정부는 '16년 3월 줄기세포 연구개발을 위해 혁신적 네트워크와 클러스터를 지원하기 위해 \$800mil. 지원 발표	2016년 기준 약 8억 달러 (약 8,857억원)
일본	• 연구개발 예산을 일원화하여 관리, 기초연구에서 제품화까지 지속적으로 지원하고자 하는 목적으로 '15년 4월 Japan Agency for Medical Research and Development 설립 - 연구개발에 관련된 문무과학성, 후생노동성, 경제산업성의 예산을 통합하여 연구자 및 기업에 배분함 - 2015년 예산: 1,248억엔이며, 그중에서 재생의료 실현화 하이웨이 구상 프로젝트에 총 ¥148억 지원	2017년 기준 168억 엔 (약 1,768억원)
중국	• '15년 11월 국가과학정보시스템 플랫폼 구축 • '16년에 15개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.5bil. 위안 투입 • '17년에 17개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 1.6bil. 위안 투입 예정 • 제13차 5개년 국가 기술혁신 계획을 통해 줄기세포 및 재생의료 분야 개발 계획 발표(2016년 7월)	2016년 기준 0.5bil. 위안 (약 826억원)
한국	• 2005년 이후 정부차원의 지원 계획으로 줄기세포 연구비 투자가 증가하기 시작하였으며, 2012년 국가차원의 줄기세포 연구전략 마련 및 정책기획 강화로 줄기세포 R&D 투자 확대 - '15년 줄기세포 분야에 대해 정부 투자 금액은 총 1,162억원	2015년 기준 약 1,162억원

출처: GSRAC report, 국내외 재생의료분야 국가 R&D 투자 현황, GSRAC 재가공
https://report.nih.gov/categorical_spending.aspx, GSRAC 재가공
 09년~13년 : The table shows historical data for FY 2009 through FY 2012
 14년~17년 : The table shows historical data for FY 2013 through FY 2016

- 국가별 줄기세포/재생의료 산업화 촉진기관 설립의 증가 및 역할이 증대되고 있음
 - 재생의료 촉진 전문기관 설립 및 운영을 통해 연구비 뿐 아니라 산업화를 위한 전문인력, 산업화, 제조시설 설립 등을 국가적 차원에서 적극적으로 지원하고 있으며
 - 최근 세포대량생산 및 제조혁신을 위한 산업인프라 구축에 투자가 증가하고 있음

표 2-20

국가별 촉진 기관 현황

국가	미국	영국	캐나다
기관명	CIRM 2.0 (California Institute for Regenerative Medicine)	The Cell and Gene Therapy Catapult	Center for Commercialization of Regenerative Medicine
목적	캘리포니아주 내 줄기세포 관련 연구기반시설에 대한 투자부터 최근 중개 임상연구까지 지원	영국을 세포치료제 분야에 있어서 제조부터 상업화까지 총괄하여 글로벌 리더로 육성	지식과 최첨단의 과학적 발견 들을 시장출시를 위한 상업화 제품으로 전환하기 위함
설립	2015년	2012년	2011년
지원규모	2020년까지 \$890mil.	2018년 3월까지 £ 70mil. 확보	2011년~2017년 동안 \$15mil. 투자
연구/산업화 추진 및 지원	Accelerating Center, Translating Center 설립 예정 2000년대 초반 기초연구 중심에서 임상연구에 대한 비중이 높아짐	공동 연구기관: UK Stem Cell Initiative, Medical Research Council, Biotechnology and Biological Sciences Research Council	45개 회사와 산업 컨소시엄 구축
기타사항	[제조 인프라 구축] 조지아 연구연합과 조지아 공대는 산학관이 연계된 국 가세포제조컨소시엄을 출범, '세포제조국가로드맵' 발표 [관련 법/제도] 21 st CuresAct(2015.07) US REGROW Act (2016. 03. 16 발의) [민간 산업체 협력 네트워크] Alliance for Regenerative Medicine	[제조 인프라 구축] Cell and Gene Manufacturing 센터 건립 (2017년)에 £55mil. 투자	[제조 인프라 구축] Manufacturing 센터 건립 에 \$20mil. 투자

나. 국내 바이오분야 투자동향

- (R&D 투자) 정부의 적극적 투자를 바탕으로, 정부·민간투자의 양적 성과를 확보하였으나 글로벌 경쟁력 확보 및 전략적·효율적 투자 추진 필요
- (정부투자 규모) 바이오 R&D 혁신의 발판을 제공한 정부투자가 최근 둔화하는 상황이며, 여전히 선진국 대비 투자비중도 낮음
 - * 최근 5년 바이오 정부투자 연평균 성장률 감소 : ('06~'10) 15.6% → ('11~'15) 6.4%
 - * '15년 총 정부투자 중 바이오 비중 : (미국) 23.4% vs (한국) 17.5%
- (소규모·단기 과제) 바이오 R&D 특성 상 중대형·장기간 연구가 요구되나, 평균연구비(1.8억)·기간(3.3년)은 미흡
 - * '15년 바이오 연구과제 71%가 2~5년의 단기과제/연구비는 전체평균(3.5억)의 1/2 수준

- (단계별·부처별 투자) 기초/응용/개발 연구단계별 부처 간 역할 명확화 및 연계 강화를 통한 중복 및 비효율 방지 필요

* '15년 부처별 기초/응용/개발/기타 연구비 비중(%) : (과기정통부)66/14/12/18, (농식품부)25/17/19/39, (산업부)5/8/72/15, (복지부)28/21/29/22

- (민간투자 규모) 타분야 대비 민간투자가 낮은 편이나, 최근 민간투자 활성화 추세로, 민간수요를 고려한 민·관 R&D 협력 필요

* '15년 민간/정부투자 비율 : BT(0.82) vs IT(5.4) vs NT(9.9)

* 민간투자 증대(민간/정부) : ('14) 1조 8,367억(0.62) → ('15) 2조 6,927억원(0.82)

- (민간투자) 바이오벤처 창업이 주춤한 상황이나, 바이오·의료 분야의 벤처캐피털 투자는 빠르게 증가

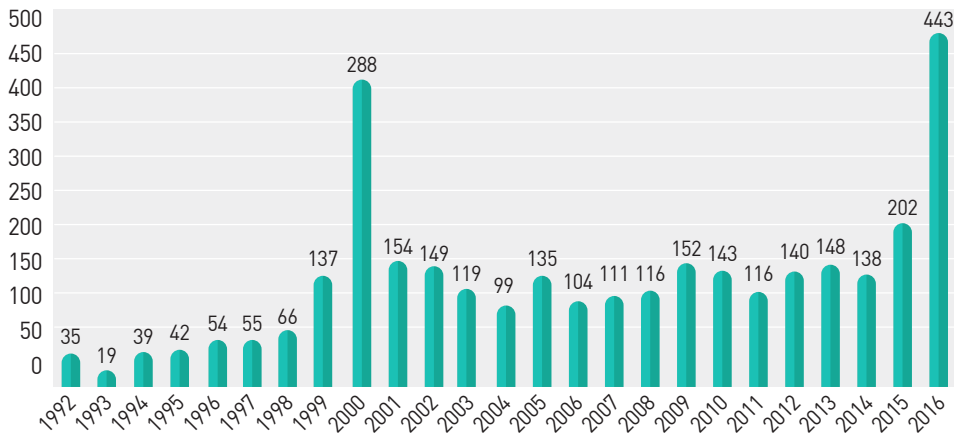
- 한국 최초의 바이오벤처라 할 수 있는 바이오니아(社) 설립 이후 '00년 한 해에 280개 이상으로 1차 벤처 붐 이후, '16년 신생 중소·벤처기업의 크게 증가

- 반면, 바이오·의료 분야에 대한 벤처투자가 매우 활발해지는 추세

* (연평균 성장률) ICT서비스 35.1%, 바이오/의료 27.7%, 유통/서비스 19.1% 순

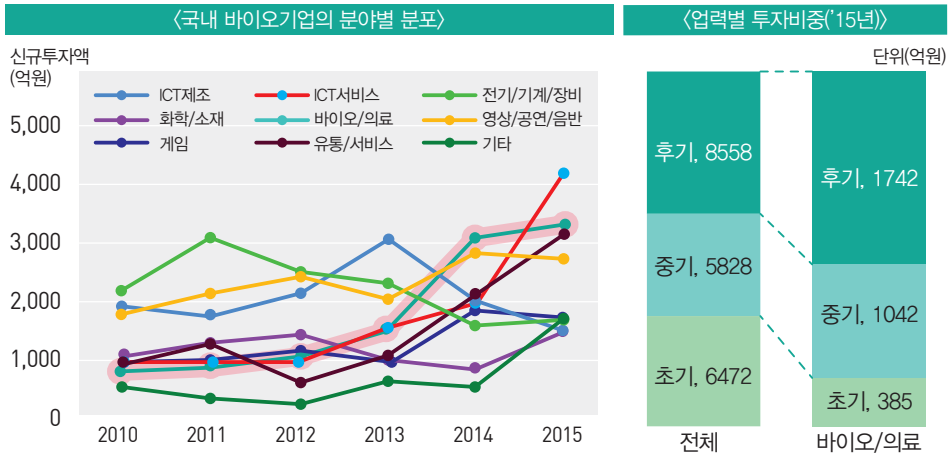
* (투자 규모) ICT서비스 4,019억 원(19.3%), 바이오/의료 3,170억 원(15.2%), 유통/서비스 3,043억 원(14.6%) 순

그림 2-18 국내 바이오 중소·벤처 설립 추이



출처: 생명공학정책연구센터, 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계, 2016

그림 2-19 바이오기업의 분야별, 업력별 투자비중



출처: 생명공학정책연구센터(바이오 벤처기업), 중기청(전체 벤처기업)

- 최근에는 가시적인 성과를 보이는 바이오기업들이 많이 생겨나고 한미약품 등 신약개발하는 제약사들이 대형기술을 이전하는 확실한 성과를 보이고, 임상 1, 2상 및 3상의 후기 임상 단계의 결과에서 우수한 실적을 보이는 바이오벤처들이 나타나자 이 분야에 투자가 집중됨
- 바이오분야에 대한 투자는 2000년에서 2010년까지는 전체 벤처 투자금액의 2~8% 수준의 투자실적을 보였는데, 2013년부터 10%를 넘기더니 2014, 15년에는 16~17% 수준, 2016년에는 5월까지의 결과로 전체 벤처투자펀드의 18%로 1위를 차지함

표 2-21 창업투자조합 업종별 투자 현황

(단위: 억 원)

분야	2011	2012	2013	2014	2015	2016.05
ICT제조	1754	2099	2955	1951	1463	351
ICT서비스	892	918	1553	1913	4019	1266
전기/기계/장비	2066	2433	2297	1560	1620	728
화학/소재	1266	1395	989	827	1486	600
바이오/의료	933	1052	1463	2928	3170	1352
영상/공연/음반	2083	2360	1963	2790	2706	840
게임	1017	1126	940	1762	1683	485
유통서비스	1270	608	1092	2046	3043	995
기타	427	342	593	616	1668	401
합계	12608	12333	13845	16393	20858	7018

출처: 더벨(the bell), 기사자료 인용

- 펀드 규모의 대형화를 통해 2000년대 초반 중반까지 50~200억대의 소형 규모 펀드가 주었으나 최근에는 300~500억 규모 또는 1천억대 규모까지 펀드가 커졌음
 - 상장사까지도 투자할 수 있으며, 50~100억대의 투자도 가능
- 펀드 대형화에 따른 공동투자에서 나홀로 투자로의 변화
 - 2000년대에는 작은 규모의 펀드로 대부분 기술개발 초기 단계의 바이오기업들에게 투자하다보니, 공동 투자가 대부분
 - 최근에는 개별 투자회사나 펀드가 30~100억 단위의 투자가 가능하여 우수한 기술과 사업계획이라면 단독 투자나 2~3개의 컨소시엄으로 투자가 진행되고 있음
- 기술전문 투자인력의 양성이 확대되고 있는데 2천년대 초중반부터 바이오분야에 투자했던 전문인력들이 바이오투자전문 분야에 양성되어 있음
 - * 한국투자파트너스, 스틱인베스트먼트, 인터베스트, LB인베스트먼트, KB인베스트먼트, KTB네트웍, HB인베스트먼트, SV인베스트먼트, SBI인베스트, 에이티넘인베스트먼트 등 대부분의 대형 창투와 바이오분야 특화된 펀드를 구축한 창투사들은 바이오에 전문성을 가지고 경험이 있는 심사 인력을 확보
- 초기투자 부재에 대한 해결책으로 구축된 초기투자 전문 신기술 펀드로 초기기업 및 다양한 형태의 기업에 대한 투자
 - NRDO(No Research & Development Only)방식의 투자로 대학, 국책연구소, 초기벤처기업 등의 우량기술을 사업화하는 시스템이 구축되었고 이에 대한 적극적인 바이오전문 펀드의 투자가 이어짐
 - NRDO또는 CND(Connect & Development)방식의 사업을 전개하는 기업들은 상장사로는 지트리비엔티, 큐리언트 등이 비상장사로서는 란드바이오, 브릿지바이오 등의 바이오벤처 회사가 있으며, 이들은 연구단계 또는 초기 임상 단계에 있는 아이템을 소싱하여 다음단계의 개발을 진행할 계획을 가지고 그에 필요한 자금을 투자받아 사업화를 진행함
- 오랜 경험을 가진 전문 인력들이 참여에 따라 사업화 이해 및 평가능력 향상
 - 바이오사업분야에 약 20년 이상의 경험을 가진 전문인력들이 우량한 기술을 보는 안목과 사업화로 이끄는 안목이 결부됨에 따라 투자자들의 투자경험과 기술과 사업화에 대한 이해 및 평가능력 회사에 대한 가이드 능력도 향상됨
- (줄기세포 및 유전자치료제 분야) 국내 줄기세포 및 유전자치료제 분야에 대한 투자는 2005년 메디포스트 및 바이로메드의 코스닥 상장 이후 지속적인 정부의 지원정책과 바이오 시장의 활황에 힘입어 성장
- 2015년 줄기세포치료제 개발사인 코아스템과 강스템바이오텍 및 2016년 안트로젠, 녹십자랩셀에 이어 유전자치료제 개발사인 신라젠의 상장, 2017년 말에는 코오롱생명과학

학이 한국 최초의 유전자치료제를 승인 받고 자회사 티슈진이 상장하면서 대규모 공모 자금이 유입되어 동 분야에 대한 자본시장에서의 관심이 증가하였으며 정부의 정책적인 지원과 더불어 동 기술의 사업화가 가속화 되고 있음

- 국내 30대 대기업 그룹인 코오롱은 미국의 유전자기반 세포치료제 개발 중인 기업에 투자하며 기업을 재구성하여 벤처기업 코오롱 생명과학을 설립하고 API와 화학베이스의 친환경 소재사업을 캐시카우로 하고 그것으로부터 창출된 현금으로 신약개발을 지원하였음
- 코오롱 생명과학은 2006년에 설립되어 2009년에 상장되었으며 상장시 기업가치에 비해 최근 10배 이상의 가치를 형성하고 있고 최근에는 대형 기술이전도 성공하였으며, 국내에서는 시판허가를 위한 생산시설 확충을 진행 중임
- 2015년 이후 기술성 평가 통한 신규 상장 기업들 외에 기존 상장사들인 제넥신(2016년 800억 원 규모 자금유치), 바이로메드(2016년 1,392억 원 규모 자금유치), 코오롱생명과학(중국 China Life사에 중국 하이난성 지역에 향후 5년간 2,300억원 규모의 인보사 제품을 공급 수출계약 체결(2018.7월))등 줄기세포 및 유전자치료제 개발사들이 신규 자금유치, 해외 기술수출, 의약품공급 수출계약 등을 통해 연구개발자금을 확보하거나 기술의 글로벌 수준의 상업화 성공 가능성을 높이고 있음

표 2-22

국내 세포치료제 및 유전자치료제 개발기업의 상장현황(2015~2017년)

회사	개발분야	상장시기
코아스템	줄기세포치료제	2015년 6월 26일
강스템바이오텍	줄기세포치료제	2015년 12월 21일
안트로젠	줄기세포치료제	2016년 2월 15일
녹십자랩셀	줄기세포치료제	2016년 6월 23일
신라젠	유전자치료제	2016년 12월 6일
코오롱티슈진	유전자치료제	2017년 11월 6일

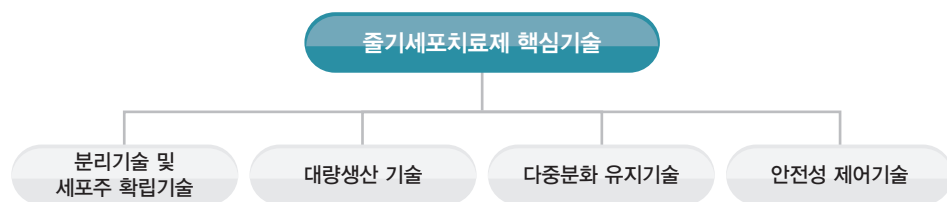
제4절 줄기세포 및 유전자치료제의 주요기술 및 특허 · 논문 동향

1. 줄기세포 및 유전자치료제의 주요기술

가. 줄기세포치료제의 주요기술

- 줄기세포치료제 핵심기술은 원하는 특정 줄기세포를 확보 하기 위한 ①분리 기술 및 세포주 확립 기술, 용도 및 목적에 따라 필요한 양의 줄기세포를 생산할 수 있는 ②대량생산 기술, 다양한 모든 종류의 세포로 분화시킬 수 있는 ③다중분화 유지기술, 임상 적용 시 부작용을 최소화 할 수 있는 ④안전성 제어기술 등이 있음

그림 2-20 줄기세포치료제 핵심기술



(1) 분리기술 및 세포주 확립기술

- 치료 목적의 줄기세포를 분리 및 배양하여 다중 분화능 줄기세포주를 확립하는 줄기세포치료제 개발을 위한 기초기술임
 - 줄기세포를 치료 목적으로 사용하기 위해서는 특정 다중 분화능 줄기세포를 선택적 · 고수율로 분리하고 반복 배양을 통해 확립된 세포주가 고유한 특성을 유지하는 것이 중요함
 - 배반포에서 배아줄기세포를 분리 · 확립하는 기술, 체세포의 핵을 난자의 핵과 교체하는 핵 이식기술, 인체 조직 내 존재하는 성체줄기세포 순수 분리기술, 줄기세포 특성규명 및 표식인자 개발기술 등 포함

(2) 대량생산 기술

- 극소수로 존재하는 줄기세포의 양을 임상적용 또는 연구에 필요한 만큼 증식시키는 기술로 줄기세포치료제 사업화를 위해 필수적인 제품화기술임

- 줄기세포는 일반 체세포에 비해 상당히 느린 세포주기(Cell cycle, 성장~분열)를 가지고 있어 줄기세포의 특성을 유지하며 장기간 배양할 수 있는 기술의 확보가 중요함
- 느린 세포주기를 개선하여 단축시키는 기술, 세포 주기를 거듭하면서 발생하는 세포 사멸을 억제하는 기술, 줄기세포의 배양에 특화된 배양액 및 배양방법을 개발하는 기술, 배양시스템 최적화 기술 등 포함

(3) 다중분화 유지기술

- 줄기세포를 특정 조직세포로 분화 유도·유지시켜 손상된 조직, 장기를 대체함으로써 줄기세포치료제를 상용화하기 위한 응용기술임
- 줄기세포에서 분화 유도된 세포는 100% 순도로 분화되지 않으며, 원치 않는 세포와 혼합된 형태로 분화되는 바, 원하는 특정 세포를 순수 분리·정제하여 고순도로 분화를 유도·유지시키는 것이 중요함
- 특정 세포 유도 분화에 유효한 분화인자 및 특이 유전자 발굴 분석기술, 분화유도 기술 및 분화된 줄기세포의 생체 이용기술, 분화세포 분리기술, 줄기세포 분화 검증시스템 관련 기술 등 포함

(4) 안전성 제어기술

- 줄기세포를 질환 등의 치료목적으로 이식하는 경우 목적 하였던 효과 이외에 종양 발생과 같이 원하지 않은 질병이나 이상 반응이 유발되지 않도록 하는 줄기세포치료제 제품화를 위한 기반기술임
- 줄기세포는 장기배양, 유전자 조작 등 다양한 요인에 의해 고유의 특성이 변형될 수 있고, 체내 이식 시 면역거부반응 등의 부작용을 나타낼 수 있는 가능성이 있어 의약품으로 인체에 적용되기 위해서는 치료효과 뿐만 아니라 안전성 확보가 중요함
- 종양형성 억제기술, 종양형성 평가기술, 이식세포의 부작용 평가기술, 이식세포의 감염성 평가기술, 면역거부반응 극복기술 등 포함

나. 유전자치료제의 주요기술

(1) 유전자 최적화 발현기술

- 질병의 치료와 교정에 필요한 유전자를 체내에서 유효농도로 안정하게 발현하기 위한 유전자 조작기술임
- 유전자가 전달되는 특정세포 특이적인 mRNA 전사용 프로모터를 이용하거나, 조직특이적 질병 특이적으로 유전자의 발현을 조절하는 유전자 표적화 기술을 이용할 수 있음
- 또한 유전자의 과발현을 유도하기 위한 서열들(Kozak sequence, leader sequence)의 삽입, 코돈 최적화, RNA 구조 최적화 등의 방법을 이용할 수 있음

(2) 체내 전달기술

- 질병의 치료와 교정에 필요한 유전자를 체내에 고효율로 전달하는 기술임. Naked DNA 전달에 필요한 체내 전달기술은 전기천공기술, 고분자 복합체기술, Gene gun 기술, Hydrodynamic 기술 등이 포함되어있는데 주로 치료 및 투여부위가 지정된 경우임
- 바이러스 유전자치료의 경우, 치료부위와 투여부위가 동일한 국소부위로 지정된 경우에는 바이러스 자체의 성질을 개선하여 전달률을 높이는 기술이 있고, 투여 부위와 치료 부위가 다른 경우에는 투여된 바이러스에 대한 중화항체의 공격을 회피하는 기술과 치료 부위로 투여된 바이러스가 이동하는 표적지향 기술이 있음
- 세포 이용 유전자치료의 경우, 투여 시의 세포의 생존율을 높이는 기술과 암이나 염증 부위로 이동할 수 있는 세포 자체의 특성을 강화하는 기술이 있음

(3) 고품질 제품생산 기술

- 유전자치료 물질인 Naked DNA나 바이러스는 고분자 물질이고, 세포는 조직공학물질임. 일반적으로 고분자물질을 대량 생산하기 위해서 바이오공정이 필요하고, 숙주세포의 대량배양 및 유전자치료 물질의 고순도 고농도 정제공정이 필요함
- 물론 항체치료제와 같은 고비용의 장치산업은 아니지만, 단백질 의약품과 유사한 바이오 공정 확립기술이 필요하고 국제규격cGMP의 공정개발이 있어야 함. 또한, 고순도 제품을 확보하기 위해 품질평가법 개발 기술도 필요함
- 세포와 같은 조직공학물질을 생산하는 것은 고분자 물질보다 더 어렵기 때문에 많은 기술적 요소가 필요하지만, 아직까지 더 많은 세분화된 기술들의 개발이 필요한 상태임
- 우선, 치료에 이용되는 균일화된 세포를 확보하는 기술이 필요하고, 생체외에서 일관성 있게 대량배양할 수 있는 기술이 있어야 함
- 대량배양 세포에 유전자를 고효율로 삽입하는 기술이 필요하고, 유전자가 삽입되지 않는 세포를 분리해내는 기술이 필요함
- 또한, 체내투여 전까지 우수한 생존율로 안정하게 보관하는 기술과 투여기술이 필요함

(4) 유전자 가위를 이용한 유전체 교정 기술

- 유전체 교정 치료(genome editing therapy)는 유전체 교정 기술이 이루어지는 위치에 따라 체내 유전체 교정 치료(in vivo genome editing therapy)와 체외 유전체 교정 치료(ex vivo genome editing therapy) 두 가지로 크게 구분할 수 있음. 체내 유전체 교

정 치료는 체내에 바이러스나 지나노파티클(lipidnanoparticle, LNP) 등을 이용해서 전신적 또는 국소적으로 유전자 가위를 전달함으로써 체내에서 유전자 교정이 일어나게 하는 방법이며, 체외 유전체 교정 치료는 체외에서 배양을 하여 다시 체내에 전달이 가능한 세포들을 대상으로 체외 배양중인 세포에 전기천공(electroporation), 바이러스, 지질 나노파티클 등의 방법을 통해 유전자 가위를 전달하여 체외에서 유전자 교정이 일어나게 하는 방법임

- 현재까지 개발된 조작 가능한 핵산분해효소에는 meganuclease, zinc finger nuclease (ZFN; 1세대), transcription activator-like effector nuclease (TALEN; 2세대), CRISPR-associated Cas9 nuclease(3세대)가 있음. 현재 개발된 4가지 핵산분해효소는 다양한 세포 및 개체 수준에서 효율적인 유전체 교정의 가능성을 보여주고 있음
 - 1, 2세대 유전자 가위 기술과 3세대 유전자 가위 기술의 가장 큰 차이점은 유전자를 인식(gene targeting)하는 구성요소의 차이임. 1, 2세대 유전자 가위 기술의 경우 편집할 핵산 서열을 단백질이 인식하는 반면, 3세대 CRISPR/cas system의 경우 RNA가 인식하는 모듈을 가지고 있음. 이론적으로 단백질의 3차 구조를 예측하고 변형시키는 기술에 비해 RNA 서열을 변형시키는 기술이 훨씬 간단하며 큰 비용을 들이지 않고도 합성이 가능하므로 CRISPR/cas system은 생명공학 분야에서 PCR을 뛰어넘는 Tool Kit이 될 것으로 예측되고 있음

(5) 차세대 CAR-T 세포(Chimeric Antigen Receptor-T Cell) 기술

- CAR-T 세포란 T 세포에 암세포를 항원으로 인식하는 수용체 유전자를 도입하여 암세포를 파괴할 수 있도록 유전자가 재조합된 T 세포
 - 암 환자 혈액에서 T 세포를 추출한 뒤 바이러스 벡터를 이용하여 암 세포 특이적 키메라 수용체(Chimeric Antigen Receptor, CAR)를 발현하도록 한 뒤 환자에 재주입하는 방식
 - 기존 CAR-T 세포의 한계점 및 부작용 극복을 위한 기술이 지속적으로 개발되어 현재 3세대 기술*에 대한 연구개발 진행 중
- * 3세대 CAR-T 세포는 보조 자극신호 역할을 하는 신호 도메인 2개와 인공 수용체도 추가되어 항원 인식 능력의 높아져 부작용 최소화

2. 줄기세포 및 유전자치료제의 특허동향

가. 분석 배경 및 목적

- 유전자치료제와 줄기세포치료제의 글로벌 첨단바이오의약품 산업의 국제적인 연구개발 동향 및 정책적 동향을 파악하는 것은 개발 전략을 수립하는 데에 중요한 자료가 될 뿐만 아니라, 국가적 차원에서도 지원 및 규제방향을 설정하기 위한 기초자료가 되므로 특허 동향의 파악을 통한 연구 방향 설정 지원
- 유전자치료제는 현존하는 난치성 질환을 분자 수준에서 근본적으로 치료하는 차세대 첨단기술로 상당한 부가가치를 창출할 수 있는 기술로 인정을 받아 많은 연구개발이 수행되고 있음
 - 일부 국가에서 유전자치료제로 제품이 허가되었지만, 2012년에 유럽에서 ‘글리베라(Glybera)’가 선진국 최초로 품목 승인을 받았고 이어서 2015년 10월에 미국에서 oncolytic virus를 이용한 악성흑색종(melanoma) 치료제인 ‘임리직(Imlygic)’과 2016년 5월에 유럽에서 아데노신 결합 중증복합면역결핍증치료제인 ‘스트림벨리스(Strimvelis)’와 2016년 8월 유럽에서 고위험 혈액암 환자의 줄기세포 이식을 돕는 몰메드의 세포기반 치료제인 ‘잘목시스(Zalmoxis)’가 허가를 받음
 - 활발한 연구에 비하여 유전자치료제로 제품화가 이루어지지 못한 것은 극복하여야 할 여러 난제가 아직 남아 있다는 것을 보여주고 있음
- 줄기세포치료제는 기존의 의학과 차별화된 작용기전을 바탕으로, 기존의 의학적 치료법으로는 그 동안 해결될 수 없었던 영역에서 치료 가능성을 제시함으로써 생명을 위협하거나 삶의 질을 현저하게 저하시키는 난치성 질환 환자들에게 새로운 치료적 기회가 될 수 있을 뿐만 아니라, 그를 통한 고부가가치 창출의 기대로 국제 사회에서의 경쟁이 치열하게 진행되고 있음
 - 우리나라에서 승인된 4개의 제품을 포함하여 국제적으로 총 6종의 줄기세포를 이용한 치료제가 시판허가를 취득한 데에 이어, 2015년 일본에서 조건부 승인제도를 본격 시행함에 따라 ‘신재생의료등 제품’으로 2품목이 시판 허가됨

나. 분석 범위

- 본 분석에서는 연구성과의 파급효과 및 연구의 필요성을 고려하여 선택된 2개의 연구 기획 기술 분야를 특허분석대상으로 하였으며, 2018.4.30까지 출원 공개된 한국, 일본, 미국공개, 유럽 및 국제특허와 2018.4.30까지 출원 등록된 미국등록특허를 분석 대상으로 함

- 분석대상 특허 검색 DB¹⁾ 및 검색범위²⁾

표 2-23 특허검색 데이터베이스 및 검색 범위

자료 구분	국가	검색DB	분석 구간	검색 범위
공개특허 등록특허	한국(KR)	KIWEE	~ 2018.04.30. (발행일 기준)	특허공개 및 등록, 일본 공표
	일본(JP)			특허공개, 특허공개(공표), 특허공개(재공표)
	미국(US)			EP-A, EP-B
	유럽(EP)			
	국제(WO)			특허공개

다. 분석 기준

- 대분류로서 “첨단바이오의약품 치료제”와 관련된 “줄기세포치료제” 분야와 “유전자치료제” 분야에 대하여 특허분석을 수행하였음

표 2-24 기술 분류

대분류	중분류	검색개요 (기술범위)
첨단바이오의약품	줄기세포치료제	줄기세포를 이용한 약
	유전자치료제	결핍 및 결함된 유전자를 교정, 교체 및 증폭시켜 질병의 근본적인 문제를 치료하는 치료제

1) KIWEE: 한국특허정보원 특허정보진흥센터에서 자체구축한 전문가용 통합검색 시스템

2) 출원일 기준으로 분석하며, 일반적으로 특허출원 후 18개월이 경과된 때에 출원 관련정보를 대중에게 공개하고 있음. 따라서 아직 미공개 상태의 데이터가 존재하는 2013~2015년 출원된 특허는 그 정량적 의미가 유효하지 않을 수 있음

■ 검색식

표 2-25 검색식 및 유�효건수

구분	검색식	국가별 검색건수					
		KR	US	JP	EP	WO	계
1	줄기 세포 치료제	3,155	9,192	4,544	2,072	8,265	27,228
2	유전자 치료제	253	2,409	2,137	1,120	2,620	8,539
계		3,408	11,601	6,681	3,192	10,885	35,767

■ 분석방법

• 정량분석 방법

- 특허를 출원연도별, 국가별, 기술별 및 출원인별로 분류하여 각 부문별 특허건수, 점유율 및 증가율 등으로 구분하여 분석을 수행함
- 이를 통해 세계의 특허동향과 우리의 수준을 비교하고, 첨단바이오의약품 분야에서 세부 기술 분야별 연구개발 현황과 주요 기업을 살펴봄으로써 국가차원의 연구개발 및 국제협력의 필요성 등에 대한 기초자료를 제시함

■ 분석 지표

• 특허건수

- 출원건수는 발명활동의 대략적인 지수를 제공하여 특허활동력을 반영함

• 특허활동지수(Activity Index)

- 상대적 집중도를 살펴보기 위한 지표로서, 그 값이 1보다 큰 경우에는 상대적 특허활동이 활발함을 나타내며 구하는 방법은 아래와 같음

$$A.I.= \frac{\frac{\text{특정기술 분야의 특정출원인 건수}}{\text{특정기술분야 전체 건수}}}{\frac{\text{특정 출원인 총건수}}{\text{전체 총건수}}}$$

- 인용도 지수(CPP, Cites Per Patent)
 - 특정 특허권자의 특허들이 이후 등록되는 특허들에 의해 인용되는 회수의 평균값으로, 이 값이 클수록 주요특허 또는 원천특허를 많이 가지고 있다는 것을 의미하며 많이 인용되는 특허를 가진 특허권자는 경쟁에서 유리한 위치를 점할 수 있음
- 평균패밀리수(Patent Family Size)
 - 한 발명에 대해 각 국가마다 출원된 특허를 Family patent라 지칭함. 해당국가에서 상업적인 이익 또는 기술경쟁 관계에 있을 때에만 해외에 특허를 출원하므로 Family Patent 수가 많을 때에는 특허를 통한 시장성이 크다고 판단되어 이를 시장확보력의 지표로 사용함

$$PFS= \frac{\text{해당출원인(소유권자)평균 PatentFamily수}}{\text{전체평균 PatentFamily수}}$$

- 비특허 문헌 점수 (Non-Patent Reference Score)
 - 특허에서 인용된 비특허 선행기술의 개수임. 비특허문헌 점수가 높을수록 첨단기술 과학과의 연관이 더 밀접한 기술임을 반영함

$$NPR= \frac{\text{인용한 비특허 문헌수}}{\text{특허건수}}$$

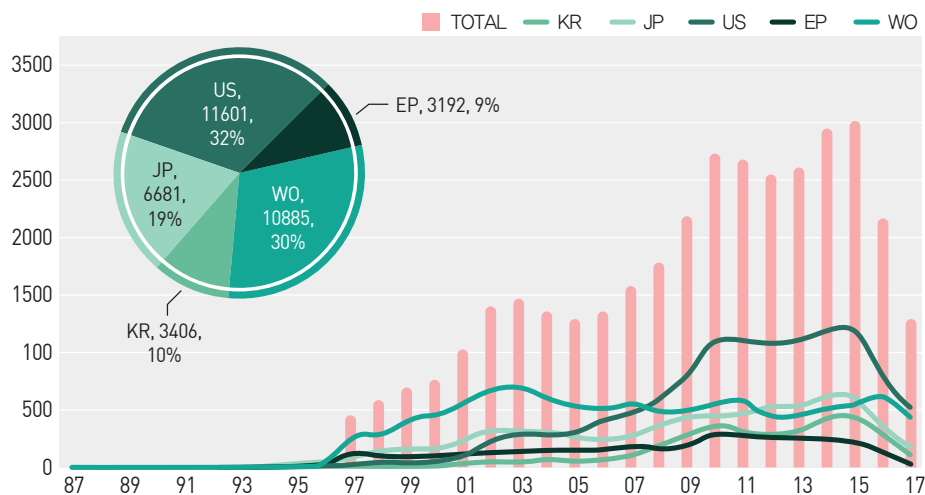
- 기술자립도(TI, Technology Independence)
 - 주요 경쟁사간의 기술흐름 및 기술자립도를 통하여 기술의 원천성과 파급효과를 나타내는 분석방법으로, 특정연구주체가 출원한 특허를 그 특정 연구주체에서 어느 정도 인용하였는지를 살펴보는 지표로서 특허권자 자신의 기술을 특허권자 자신의 특허출원에 많이 인용할수록 그 수치가 높음

라. 전체 특허 동향

(1) 연도별 출원동향 및 점유율

- “첨단바이오의약품” 분야에서 미국특허 11,601건(32%), 국제특허 10,885건(30%), 일본특허 6,681건(19%), 한국특허 3,406건(10%), 유럽특허 3,192건(9%)의 점유율을 보임
- “첨단바이오의약품” 기술 분야는 1987년 이후로 출원이 나타나며, 1995년 이후로 출원량이 급증하기 시작함. 국제특허는 1990년대 중순부터 출원이 지속적으로 이루어지는 것으로 나타남

그림 2-21 특허출원 국가별 점유율 및 전체 특허의 연도별 출원 동향



(2) 국가별 출원동향

- 첨단바이오의약품 분야의 출원국가별 연도별 출원동향을 살펴보면, 한, 미, 일, 유럽 모두 2000년 이후 증가하여 대부분의 국가에서 2015년 최다 출원건수를 기록한 것으로 나타남
 - 한국특허는 1999년부터 특허출원이 지속적으로 증가하여 2015년 가장 많은 출원량을 기록함
 - 일본특허의 연도별 출원동향을 살펴보면, '90년대 중반부터 꾸준히 증가하기 시작하여 2015년에 가장 많은 출원이 이루어진 것으로 나타남
 - 미국특허의 연도별 출원동향을 살펴보면, 2001년 이후부터 매년 지속적으로 증가하여, 2007년부터는 가파르게 출원건수가 증가하는 것으로 나타났으며, 2015년에 1,189건이 출원되어 최다 출원 건수를 기록한 것으로 나타남
 - 유럽특허의 연도별 출원동향은 2010년에 최다 출원 건수를 기록한 후 점차 감소하다가, 2015년 이후 급감하고 있는 것으로 나타남
 - 국제특허(WO)는 '94년~2003년까지 첨단바이오의약품 분야의 특허 출원이 급증한 후 최대 700여건의 출원량을 보였으며, 최근 10년 동안 매년 500건 내외의 출원량을 보임

그림 2-22

한국 특허의 연도별 출원 동향

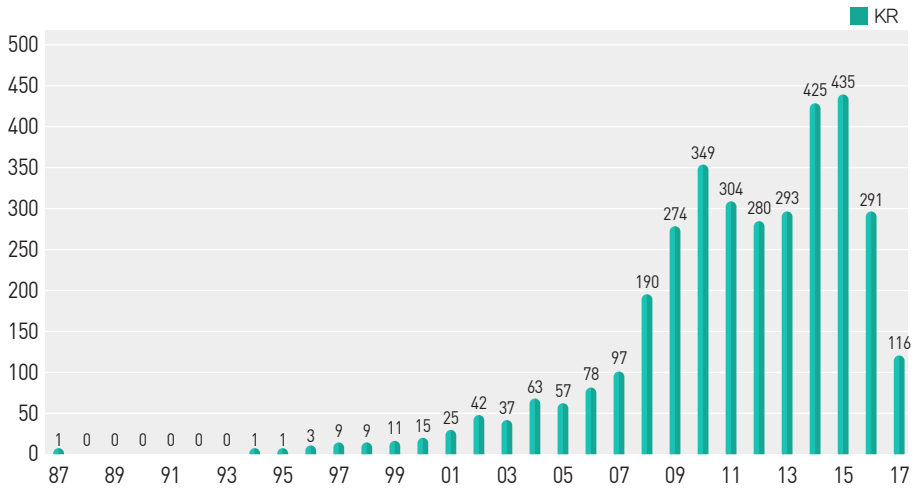


그림 2-23

일본 특허의 연도별 출원 동향

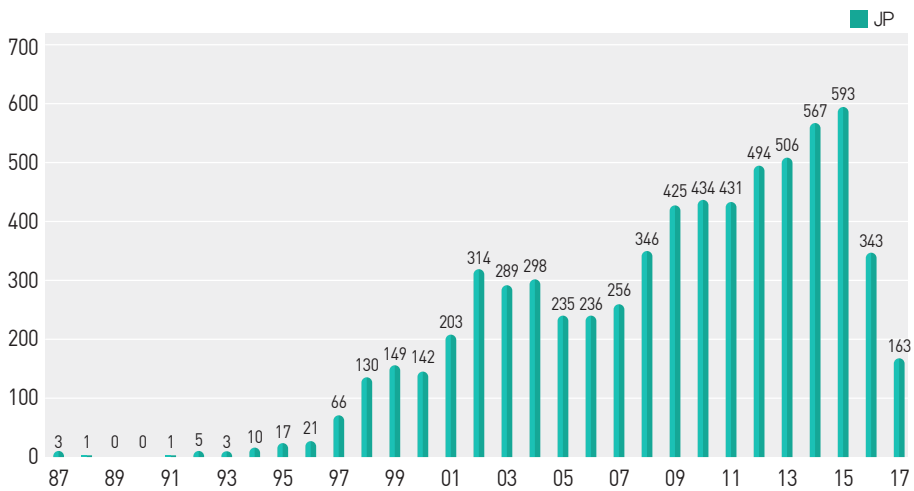


그림 2-24 미국 특허의 연도별 출원 동향

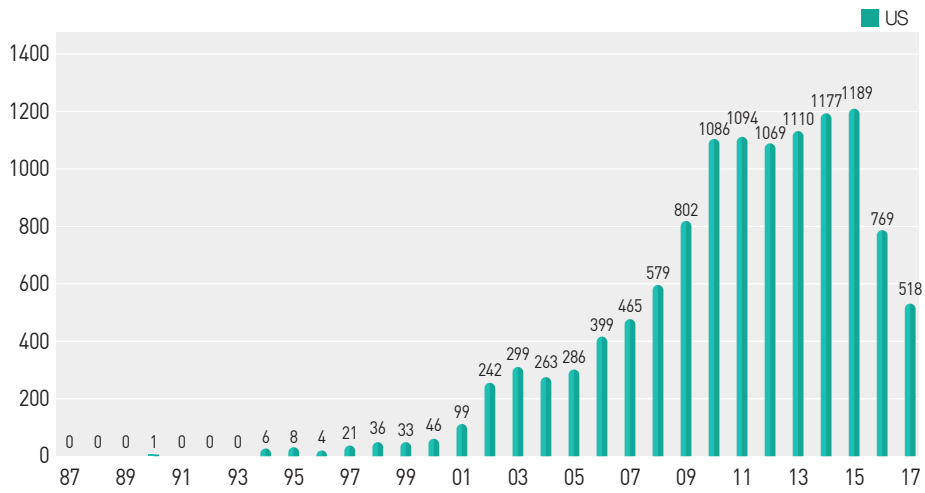


그림 2-25 유럽 특허의 연도별 출원 동향

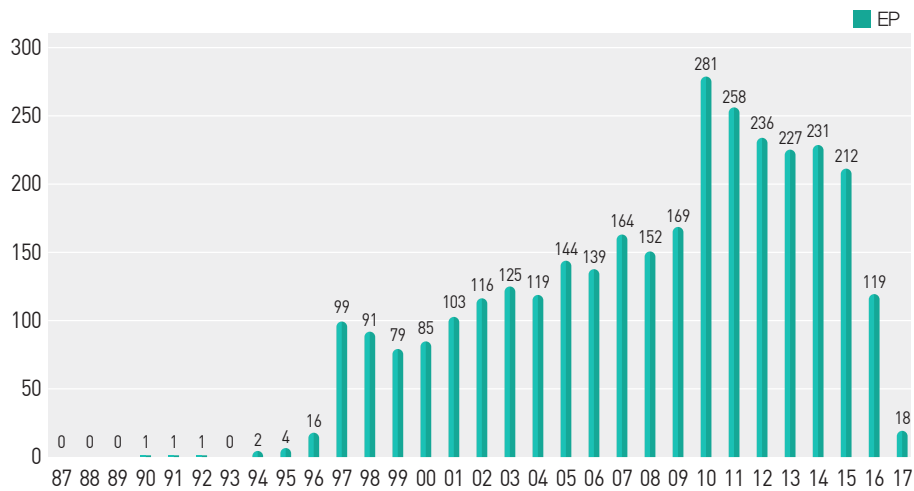
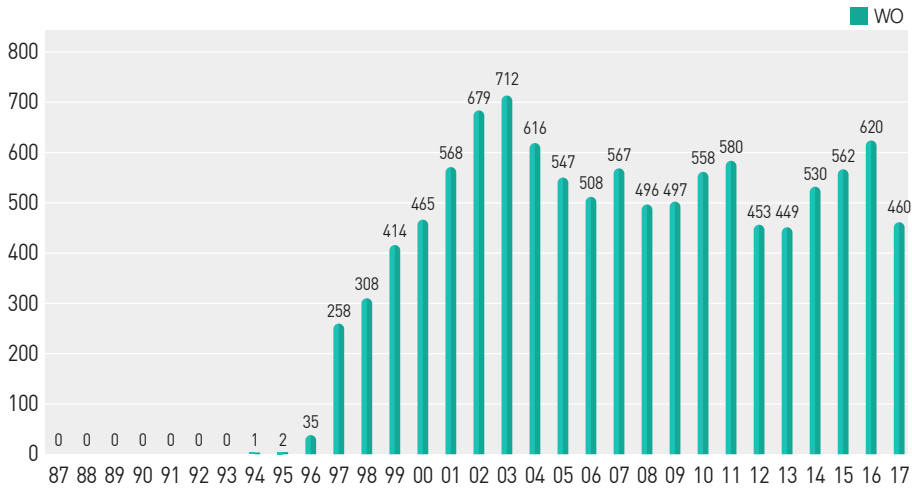


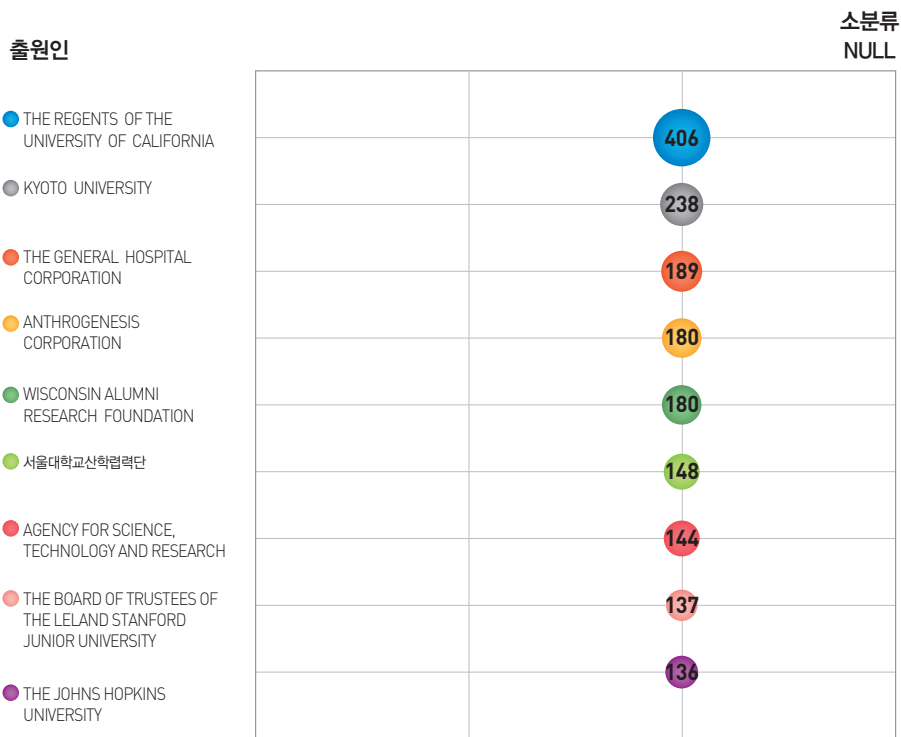
그림 2-26 국제 특허의 연도별 출원 동향



(3) 주요 출원인 TOP 10국가별 출원동향

- 전체 출원인 TOP 10을 살펴보면, 4개 대학이 10위 안에 포함되어 있어 현재 첨단 바이오의약품의 특허활동은 학계의 비중이 높은 것으로 보이며, 그 중 THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA(US)는 406건 1위, KYOTO UNIVERSITY 238건, THE GENERAL HOSPITAL CORPORATION의 189건, 서울대학교 148건을 차지한 것으로 나타남
 - TOP 10 중 대부분이 미국의 대학 또는 기업인데 반하여, KYOTO UNIVERSITY, 서울대학교, AGENCY FOR SCIENCE TECHNOLOGY AND RESEARCH(싱가포르)이 TOP 10안에 포함되어, 아시아권의 첨단바이오의약품 분야의 리더로 나타남
 - TOP 10 내의 미국의 출원인은 기업과 대학이 골고루 분포되어 있으며, 대학으로는 THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA, WISCONSIN ALUMNI RESEARCH FOUNDATION, THE JOHNS HOPKINS UNIVERSITY 등이, 기업으로는 ANTHROGENESIS CORPORATION이 랭크된 것으로 나타남

그림 2-27 주요 출원인 TOP 10



(4) 국가별 주요 출원인

- 출원국가별 주요 출원인을 살펴보면, 한국특허는 서울대학교, 일본특허는 교토대학교, 일본 메나도 화장품회사, 미국특허는 THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA, 유럽특허는 ANTHROGENESIS CORPORATION가 가장 많은 특허를 출원함
 - 한국특허에서는 다출원인 TOP 10내에 서울대학교를 비롯하여, 가톨릭대학교, 연세대학교, 건국대학교, 고려대학교 등 대학이 다수 포함되어 있는 걸로 나타나 학계가 주도적인 역할을 하고 있는 것으로 나타남
 - 일본특허에서는 교토대학교가 가장 많은 특허를 출원하였으며, 그 다음으로 메나도 화장품회사, 오사카 대학교, 나고야대학교 등이 그 뒤를 따르고 있는 것으로 나타남
 - 미국특허는 기업과 대학이 골고루 TOP 10에 올라와 있는데, 대학의 경우, THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA, WISCONSIN ALUMIN RESEARCH FOUNDATION이, 기업으로는 ANTHROGENESIS가 다수의 출원을 한 것으로 나타남
 - 유럽특허의 경우 한 · 미 · 일과는 차이가 있는데, 대학보다는 기업이 다출원하고 있는 것으로 보이며, ANTHROGENESIS, Jossen Biotech, TRANSGENE SA 등이 주요 다출원인임

- ANTHOGENESIS CORPORATION는 한·미·일·유럽에 모두 TOP10 안에 들었으며, KYOTO UNIVERSITY는 미·일·유럽특허에서 TOP10 안에 포함되어 있는 것으로 나타남

그림 2-28

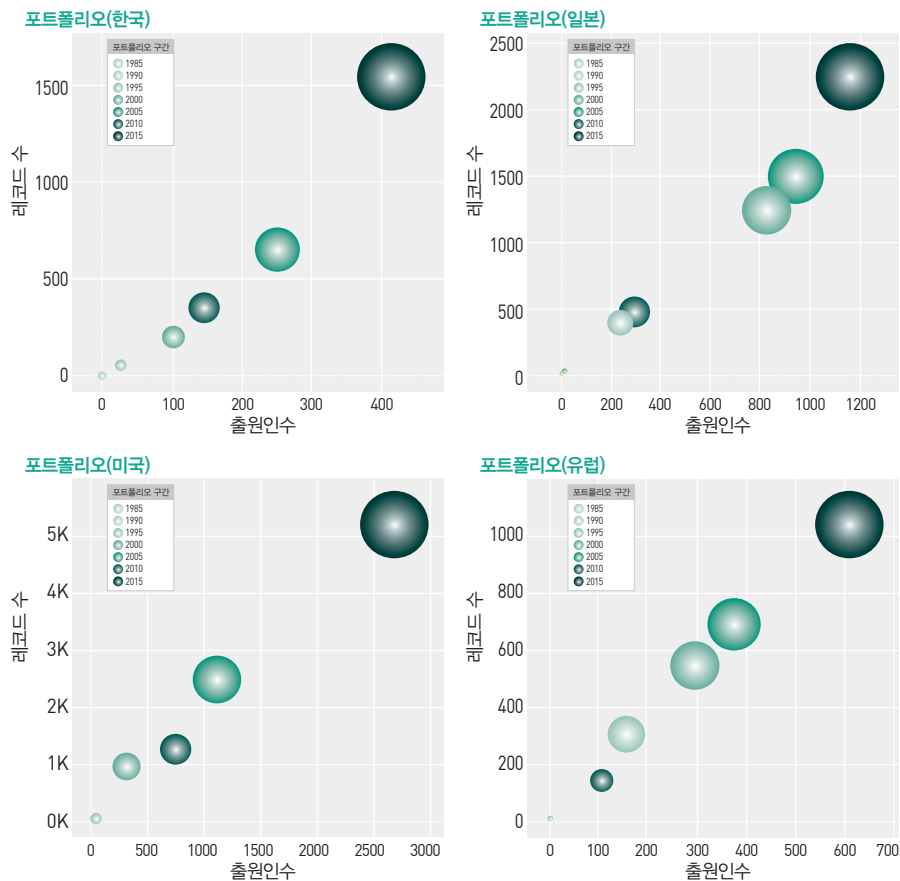
국가별 주요 출원인

KR		US		EP		JP	
발행국 출원인		발행국 출원인		발행국 출원인		발행국 출원인	
KR		US		EP		JP	
서울대학교 신학협력단	148	THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA	180	ANTHOGENESIS CORPORATION	59	국립대학 법인 교토대학	86
가톨릭대학교 신학협력단	112	WISCONSIN ALLIUM RESEARCH FOUNDATION	97	KYOTO UNIVERSITY	58	일본메나도 화장품주식회사	83
연세대학교 신학협력단	98	KYOTO UNIVERSITY	82	JANSEN BIOTECH, INC.	41	국립대학 법인 도쿄대학	57
차의과학대학교 신학협력단	88	THE GENERAL HOSPITAL CORPORATION	82	GENZYME CORPORATION	39	국립대학 법인 오사카 대학	43
한국생명 공학연구원	70	THE BOARD OF TRUSTEES OF THE LELAND STANFORD JUNIOR CORPORATION	76	TRANSGENE, S.A.	39	국립대학 법인 나고야 대학	37
고려대학교 신학협력단	67	ANTHOGENESIS CORPORATION	68	OSIRIS THERAPEUTICS, INC.	34	안센, 바이오테크, 인코포레이티드	36
건국대학교 신학협력단	60	AGENCY FOR SCIENCE, TECHNOLOGY AND RESEARCH	54	AGENCY FOR SCIENCE, TECHNOLOGY AND RESEARCH	31	국립대학 법인 교토대학	33
안센 바이오테크 인코포레이티드	58	VICYLE, INC.	53	SMITHKLINE BEECHAM PLC	27	토란제뉴, 소시에테, 무명씨	32
사회복지법인 삼성생명공익재단	54	THE TRUSTEES OF THE UNIVERSITY OF PENNSYLVANIA	50	OSAKA UNIVERSITY	26	학교 법인경우의수	30
인트로제네시스 코포레이션	48	JANSEN BIOTECH, INC.	47	CELLULAR DYNAMICS INTERNATIONAL, INC.	23	법률러 다이내믹스 인터네셔널, 인코어퍼레이티드	29

(5) 포트폴리오로 본 기술 시장 성장 단계

- 첨단바이오의약품 분야에 있어 출원인수와 출원건수로 나타난 포트폴리오를 분석하면, 한국, 일본, 미국은 출원인수와 출원건수가 최근 감소하는 성숙기로 보이며, 전체특허를 기준으로 보았을 때 역시 성숙기인 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야는 전 세계적으로 R&D가 급격히 증가하고 있으며, 경쟁이 격화되고 있는 상태인 것으로 판단되며, 추후 발전 가능성이 높은 것으로 판단됨

그림 2-29 포트폴리오 분석



1. X축: 출원인수, Y축: 출원건수
2. 태동기: 신기술의 출현, 특허와 특허출원인의 소폭 증가
 성장기: R&D 급격한 증가 및 경쟁의 격화, 특허와 특허출원인의 급증
 성숙기: 지속적인 연구개발 활동, 일부 업체 도태, 특허수 정체, 출원인 정체 또는 감소
 쇠퇴기: 대체 기술 출현, 기술발전의 불연속점 발생, 특허수의 감소, 특허 출원인 정체 또는 감소
 회복기: 기술의 유용성 재발견, 대체기술의 쇠퇴, 특허와 출원인수가 재증가 추세

(6) 전체 특허분포도(Themescape)

- 특허분포도란 특허분석 tool인 Aureka를 이용한 분석결과로서, 전체 세부기술분야(키워드 기반)별 특허의 분포도를 한눈에 조망하는 의미가 있음. 고도 등고선 이미지에서 고도는 문헌의 고밀도 범위(개수)를 의미하고 선의 근접성은 관련성 정도를 나타냄
- 첨단 바이오의약품의 키워드를 살펴보면, gene therapy, vector gene therapy, Medium culture, culture medium, stemcell 등이 연구가 집중되고 있는 분야로 나타남

그림 2-30

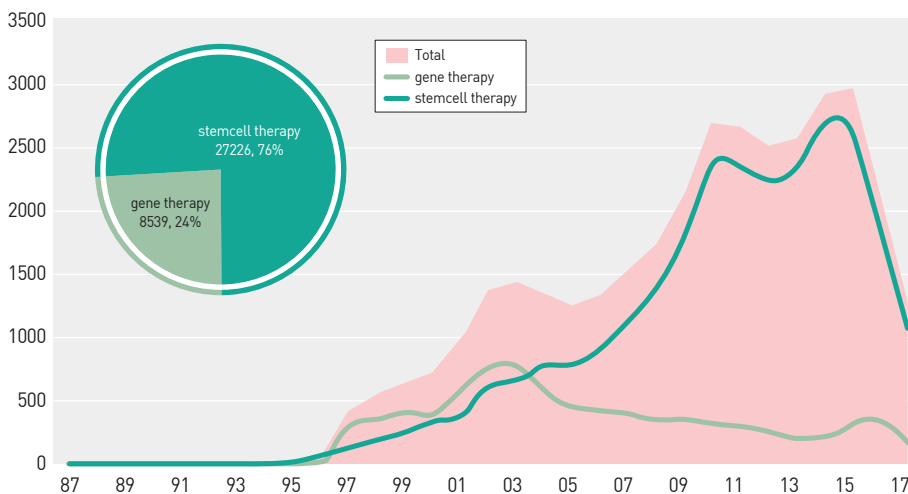
첨단바이오의약품 특허분포도



마. 기술 분야별 특허동향

- 전체특허에서 기술분야별 점유율을 살펴보면 줄기세포치료제가 전체의 76%(27,226건)을 차지하고 있어, 유전자치료제(24%)의 두 배가 넘는 점유율을 나타내고 있는 것으로 나타남
- 기술 분야별 연도별 동향을 살펴보면, 유전자치료제는 2003년까지 지속적으로 증가한 후, 감소하기 시작한 반면, 줄기세포치료제는 2004년부터 유전자치료제의 특허출원건수를 추월하였으며, 그 이후 연간 1000~2000여건의 출원량이 유지되고 있는 것으로 나타남

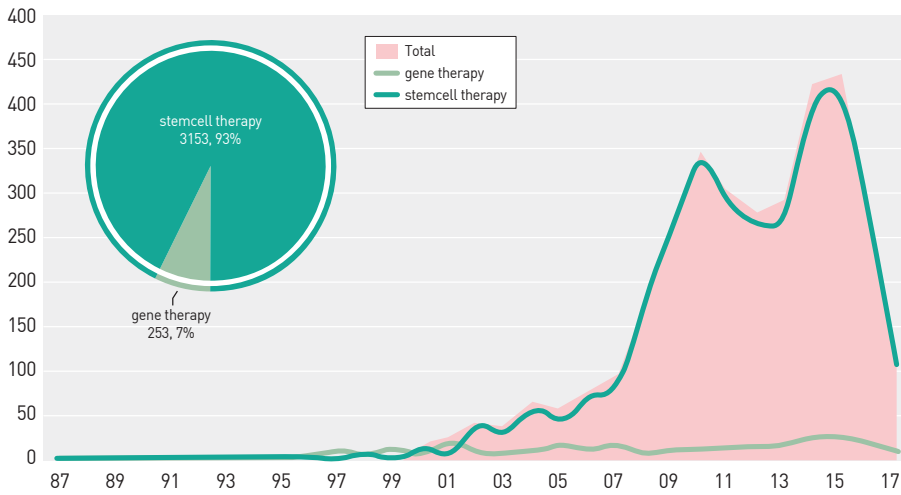
그림 2-31 기술분야별 출원동향 및 점유율



(1) 한국 특허의 기술분야별 점유율

- 한국특허에서 기술분야별 점유율을 살펴보면, 첨단바이오의약품 전체의 93%를 줄기세포치료제가 차지하고 있으며, 유전자치료제 관련 출원은 7%에 불과한 것으로 나타남
- 연도별 출원동향을 살펴보면, 줄기세포치료제는 2000년 이전에는 미미한 수준이었으나, 2002년부터 증가하기 시작하여, 2015년에 가장 많은 출원이 이루어진 것으로 나타남

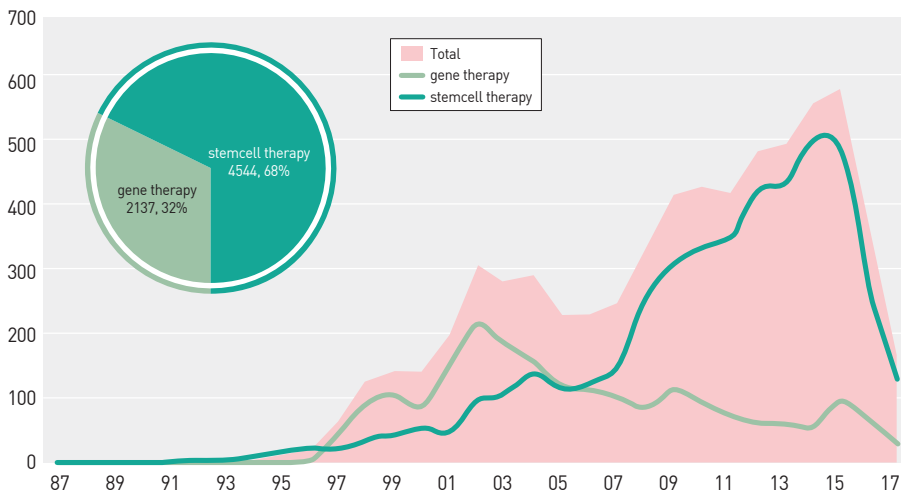
그림 2-32 한국의 기술분야별 출원동향 및 점유율



(2) 일본 특허의 기술분야별 점유율

- 일본특허에서 기술분야별 점유율과 연도별 출원동향을 살펴보면, 줄기세포치료제가 전체의 68%를 점유하고 있으며, 2007년부터 출원건수가 급격히 증가하여, 2015년에 가장 많은 출원이 이루어진 것으로 나타남으로써 일본 내 첨단바이오의약품은 줄기세포 치료제가 주도하고 있는 것으로 나타남

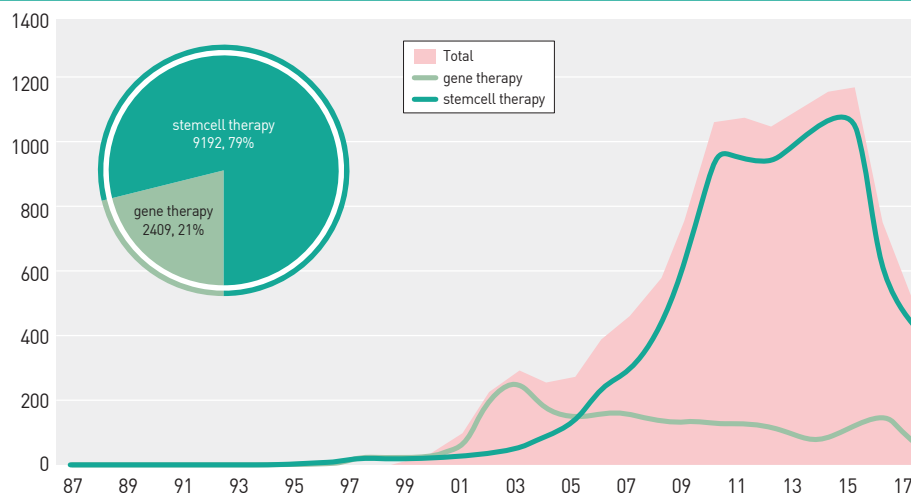
그림 2-33 일본의 기술분야별 출원동향 및 점유율



(3) 미국 특허의 기술분야별 점유율

- 미국특허에서 기술분야별 점유율을 살펴보면, 줄기세포치료제가 전체의 79%(9,192건)를 점유하고 있으며, 유전자치료제는 줄기세포치료제의 1/4 수준인 21%(2,409건)를 차지하고 있는 것으로 나타남
- 기술분야별 연도별 동향을 살펴보면, 유전자치료제는 2003년 이후에는 지속적으로 감소하였으나, 줄기세포 치료는 2005년 이후부터 출원건수가 급격히 증가하여, 2010년 이후에는 연간 900건을 초과하는 출원이 이루어진 것으로 나타나 가장 출원활동이 활발한 기간으로 보임

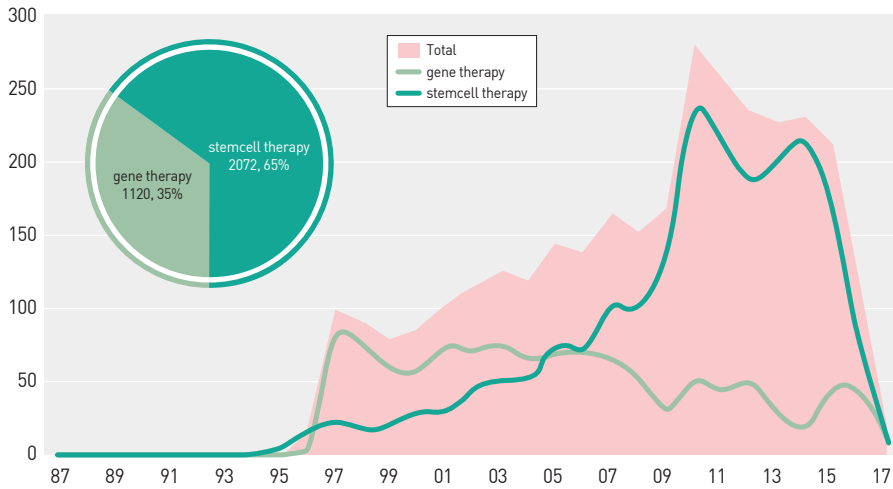
그림 2-34 미국의 기술분야별 출원동향 및 점유율



(4) 유럽 특허의 기술분야별 점유율

- 유럽특허에서 기술분야별 점유율을 살펴보면, 줄기세포치료제가 전체의 65%, 유전자 치료제가 35%를 점유하고 있는 것으로 나타나 한·미·일에 비하여 상대적으로 유전자치료제의 점유율이 높은 것으로 나타남
- 기술분야별 연도별 동향을 살펴보면, 1990년대에는 유전자치료제 관련 특허가 다수 출원되었으며 2000년대 들어서 지속적으로 감소하고 있으나, 줄기세포치료제의 경우, 1990년대 말부터 출원량이 꾸준히 증가하다가 2010년에 급증한 것으로 나타남

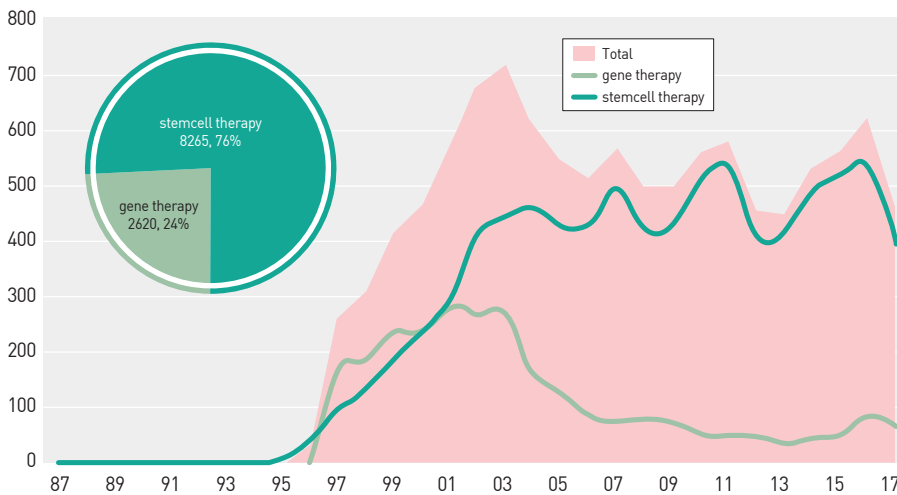
그림 2-35 유럽의 기술분야별 출원동향 및 점유율



(5) PCT 특허의 기술분야별 점유율

- PCT 특허에서 기술분야별 점유율을 살펴보면, 유전자치료제가 24%(2,620건), 줄기세포 치료제가 76%(8,265건)의 점유율을 보임
- 연도별 출원동향을 살펴보면, 유전자치료제는 2001년에 다수가 출원되었으며, 줄기세포 치료제는 2011에 가장 많은 특허가 출원된 것으로 나타남

그림 2-36 국제 특허의 기술분야별 출원동향 및 점유율



바. 기술 분야별 발전가능성

- 줄기세포치료제 분야는 한국, 유럽, 국제특허에서는 4사분면에 위치하여, 점유율은 높으나 최근 특허출원이 감소하는 시기로 보이며, 일본과 미국에서 줄기세포치료제 분야는 점유율과 특허증가율이 모두 평균을 상회하며, 지속적으로 발전하고 있는 것으로 나타남
- 유전자치료제 분야는 한국, 일본, 유럽, 국제특허(WO)에서는 2사분면에 위치하여, 최근에 특허출원이 활발할 것으로 나타났으나, 미국에서는 3사분면에 위치하여 줄기세포치료제에 비하여, 최근 출원증가율과 점유율이 낮은 것으로 나타남

그림 2-37 특허증가율과 점유율로 보는 세부기술별 발전가능성

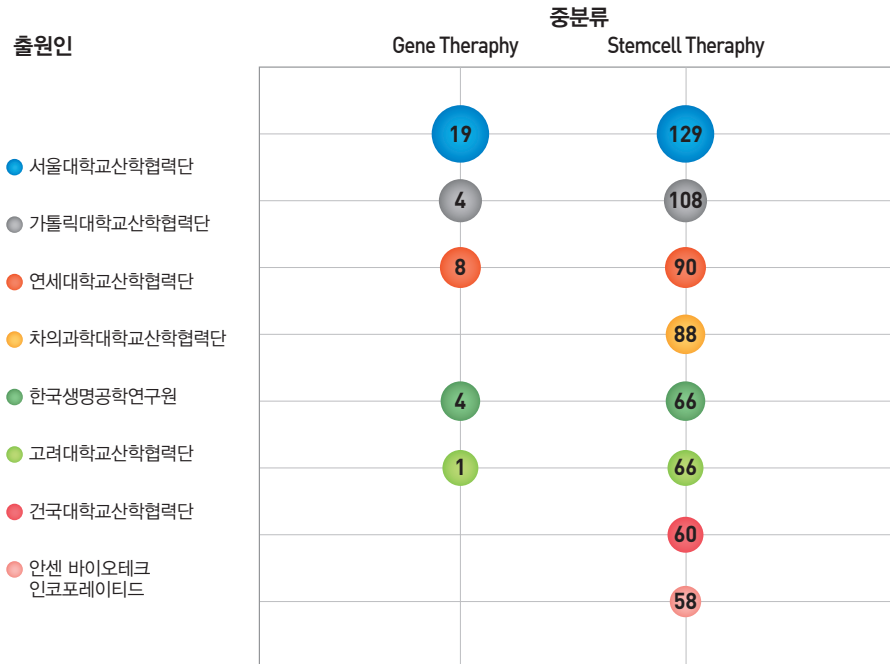


1. X축: 100%/기술분야 개수, Y축: 분석구간의 연평균 증가율의 기하평균값
2. 분석의미: 1사분면- 지속적으로 특허출원이 활발, 2사분면-최근 특허출원이 활발
3사분면-초창기(도입기) 기술, 4사분면-최근 특허출원이 감소 추세

사. 주요 출원인의 기술분야별 출원현황

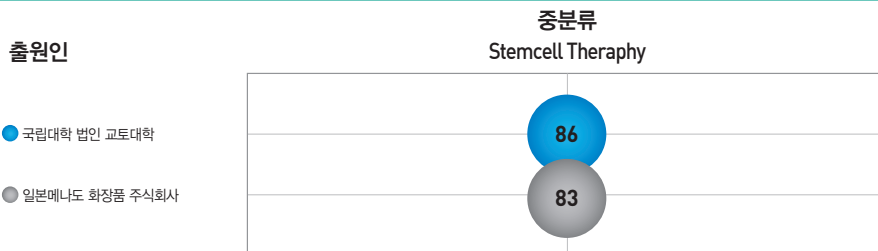
- 한국특허에서 주요 출원인의 세부기술별 출원현황을 살펴보면, 주요 출원인 모두 줄기세포치료제에 특허출원을 집중하고 있는 것으로 나타났으며, 유전자치료제 분야의 특허출원인이 미미한 것으로 보아, 현재 국내 첨단바이오의약품 분야의 주요 출원인은 줄기세포치료제 관련 기술 개발이 활발한 것으로 판단됨

그림 2-38 한국의 기술분야별 주요 출원인



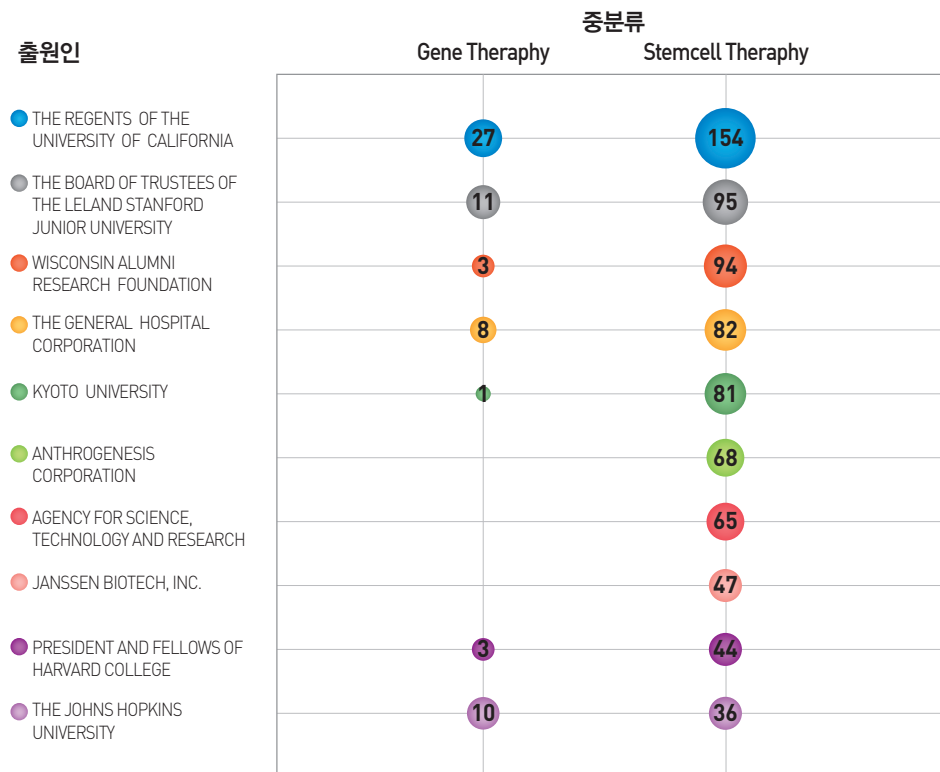
- 일본특허에서 주요 출원인의 세부기술별 출원 현황을 살펴보면, 교토대학, 일본 메나도 화장품주식회사의 주요 출원인은 줄기세포치료제 관련 기술에 특허를 집중적으로 출원하고 있는 것으로 나타남

그림 2-39 일본의 기술분야별 주요 출원인



- 미국특허도 한국, 일본특허와 유사하게, THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA를 비롯한 대다수의 주요 출원인이 유전자치료제 분야보다는 줄기세포치료제 분야에 더 많은 특허를 출원하고 있는 것으로 나타남

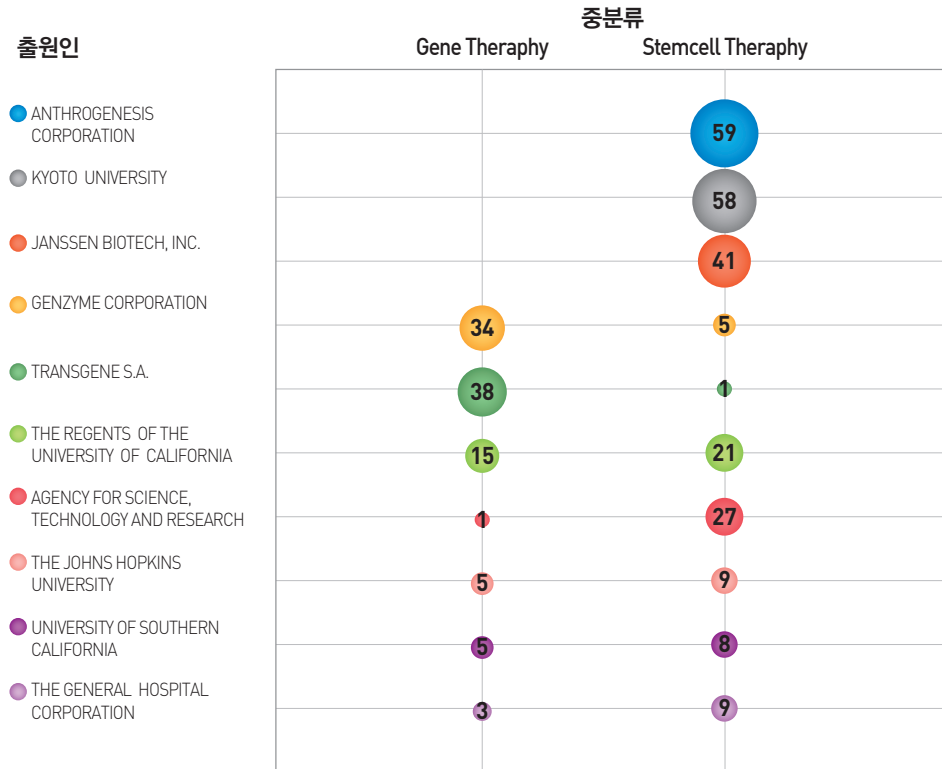
그림 2-40 미국의 기술분야별 주요 출원인



- 유럽특허에서 주요 출원인의 세부기술별 출원현황을 살펴보면, ANTHROGENESIS CORPORATION, KYOTO UNIVERSITY, JANSSEN BIOTECH INC 등은 줄기세포 치료제에, TRANSGENE SA, GENZYME CORPORATION, TRANSGENE SA 등은 유전자치료제 분야에 특허를 집중적으로 출원하고 있는 것으로 나타남

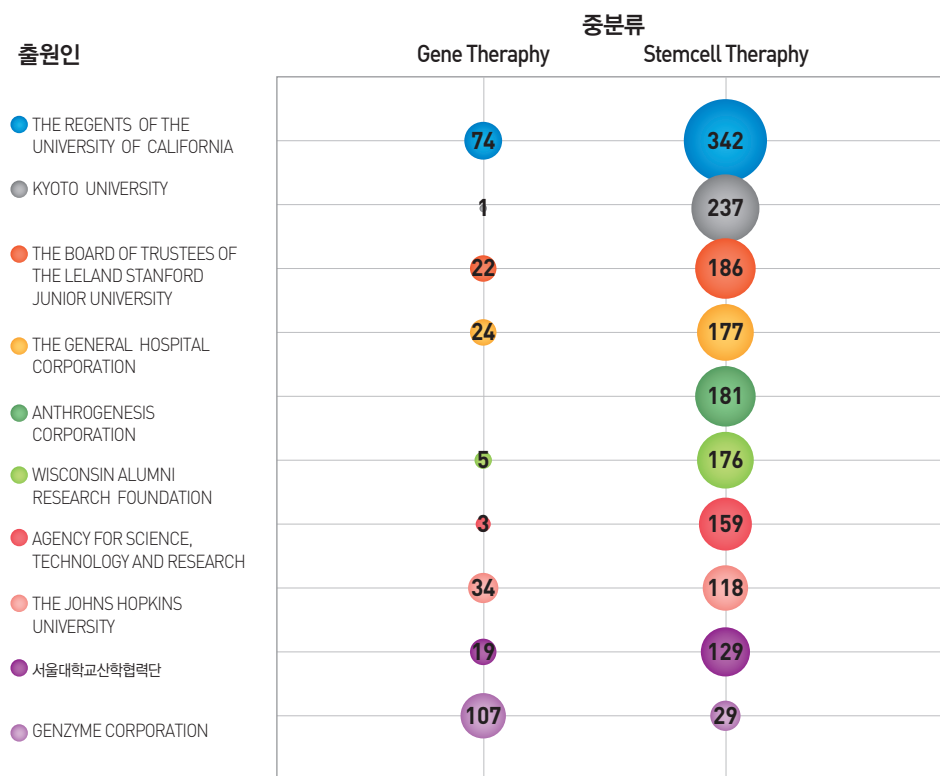
그림 2-41

유럽의 기술분야별 주요 출원인



- 전체특허에서 주요 출원인의 세부기술별 출원동향을 살펴보면, THE REGENTS OF THE UNIVERSITY CALIFORNIA, THE GENERAL HOSPITAL COPORATION, KYOTO UNIVESITY, ANTHROGENESIS CORP, WISCONSIN ALUMNI RESEARCH, 서울대학교 등은 줄기세포치료제에 특허출원을 집중하고 있으며, 주요 출원인 중 GENZYME CORPORATION 등이 유전자치료제에 기술력을 집중하고 있는 것으로 나타남

그림 2-42 국제 특허 기술분야별 주요 출원인



아. 세부기술별 특허분포도

- 특허분포도란 특허분석 tool인 Aureka를 이용한 분석결과로서, 전체 세부기술분야(키워드 기반)별 특허의 분포도를 한눈에 조망하는 의미가 있음. 고도 등고선 이미지에서 고도는 문헌의 고밀도 범위(개수)를 의미하고 선의 근접성은 관련성 정도를 나타냄
- 줄기세포치료제의 키워드를 살펴보면 Hematopoietic stemcell, Neuron, Antigen Receptor 등의 키워드를 가진 분야의 연구가 집중되는 것으로 나타남

그림 2-43

줄기세포치료제 특허분포도



- 유전자치료제의 키워드를 살펴보면, cancer treat, cationic cationique, virus recombination 등의 키워드를 가진 분야의 연구가 집중되는 것으로 나타남

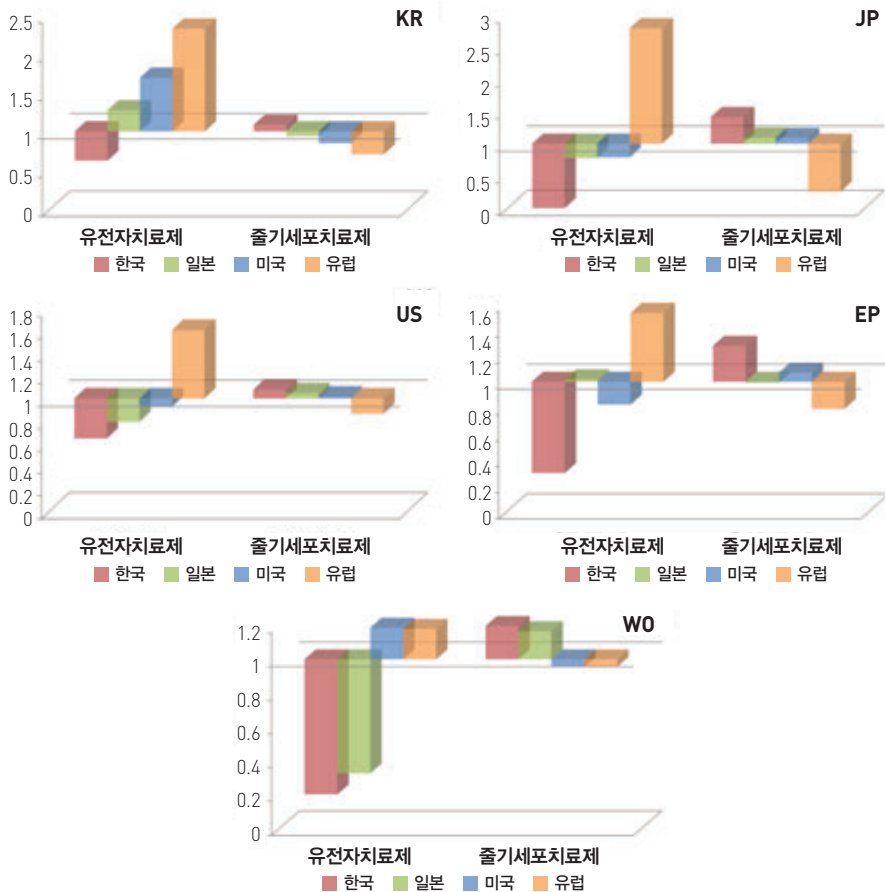
유전자치료제 특허분포도



자. 기술별 출원국가별 특허 활동

- 미국, 유럽, PCT 특허(WO)에서도 유사한 경향이 나타나는데 유럽출원인은 유전자치료제 분야의 상대적인 특허활동도(AI)가 높은 것으로 나타났으며, 그 외의 국가, 미국, 한국, 일본 국적의 출원인은 줄기세포치료제에 특허활동도(AI)가 1을 초과하여 상대적인 집중도가 높은 것으로 나타남

그림 2-45 기술별 출원국가별 특허활동 지수(AI)

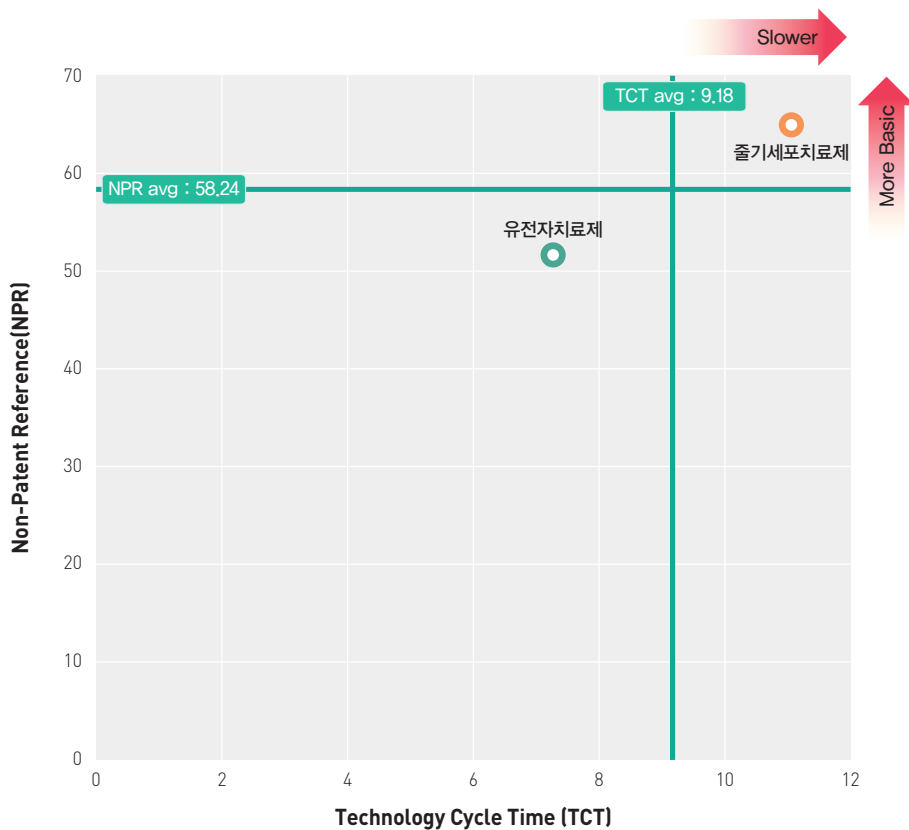


1. 분석구간: 한국, 미국, 일본, 유럽, 국제 - ~2016년(출원년도)
2. 1 이상일 경우 상대적인 특허활동이 활발한 것으로 판단

차. 기술별 기술 순환 주기 및 연구개발 방향

- 미국등록특허를 이용하여 살펴본 기술분야별 순환주기 및 연구개발 방향을 살펴보면, 줄기세포치료제는 유전자치료제에 비하여 상대적으로 기초과학(논문)에 더 의존하고 있는 것으로 나타났으며, 비교적 오래된 문헌을 기초로 한 특허출원이 이루어진 것으로 보아 기술순환주기(TCT) 다소 긴 것으로 나타남

그림 2-46 기술별 기술 순환 주기 및 연구개발 방향



카. 결론

- 유전자치료제와 줄기세포치료제의 글로벌 첨단바이오의약품 산업의 국제적인 연구개발 동향 파악을 통한 연구방향 설정을 지원하기 위한 특허분석 결과 미국특허 11,601건 (32%), 국제특허 10,885건(30%), 일본특허 6,681건(19%), 한국특허 3,406건(10%), 유럽특허 3,192건(9%)의 점유율을 보임
- “첨단바이오의약품” 기술 분야는 1987년 이후로 출원이 나타나며, 1995년 이후로 출원량이 급증하기 시작함. 국제특허는 1990년대 초부터 출원이 지속적으로 이루어지는 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야의 출원국가별 연도별 출원동향을 살펴보면, 한, 미, 일, 유럽 모두 2000년 이후 증가하여 대부분의 국가에서 2015년 최다 출원건수를 기록한 것으로 나타남

- 한국특허는 1999년부터 특허출원이 지속적으로 증가하여 2015년 가장 많은 출원량을 기록함
- 일본특허의 연도별 출원동향을 살펴보면, '90년대 중반부터 꾸준히 증가하기 시작하여 2015년에 가장 많은 출원이 이루어진 것으로 나타남
- 미국특허의 연도별 출원동향을 살펴보면, 2001년 이후부터 매년 지속적으로 증가하여, 2007년부터는 가파르게 출원건수가 증가하는 것으로 나타났으며, 2015년에 1,189건이 출원되어 최다 출원 건수를 기록한 것으로 나타남
- 유럽특허의 연도별 출원동향은 2010년 이후 소폭 감소하고 있는 것으로 나타남
- 국제특허(WO)는 '94년~2003년까지 첨단바이오의약품 분야의 특허 출원이 급증한 후 감소하다 2007년 이후 증가하여 최근(2016년) 출원량이 많이 늘어난 것으로 나타남
- 전체 출원인 TOP 10을 살펴보면, 4개 대학이 10위 안에 포함되어 있어 현재 첨단 바이오의약품의 특허활동은 학계의 비중이 높은 것으로 보이며, 그 중 THE REGENTS OF THE UNIVERSITY OF CALIFORNIA(US)는 406건 1위, KYOTO UNIVERSITY 238건, THE GENERAL HOSPITAL CORPORATION의 189건, 서울대학교 148건을 차지한 것으로 나타남
- TOP 10 중 대부분이 미국의 대학 또는 기업인데 반하여, KYOTO UNIVERSITY, 서울대학교, AGENCY FOR SCIENCE TECHNOLOGY AND RESEARCH(싱가포르)이 TOP 10 안에 포함되어 있고 이 들이 아시아권의 첨단바이오의약품 분야의 리더로 나타남
- 미국등록특허를 이용하여 살펴본 기술분야별 순환주기 및 연구개발 방향을 살펴보면, 줄기세포치료제는 유전자치료제에 비하여 상대적으로 기초과학(논문)에 더 의존하고 있는 것으로 나타났으며, 비교적 오래된 문헌을 기초로 한 특허출원이 이루어진 것으로 보아 기술순환주기(TCT) 다소 긴 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야에 있어 출원인수와 출원건수로 나타낸 포트폴리오를 분석하면, 한국, 일본, 미국은 출원인수와 출원건수가 최근 감소하는 성숙기로 보이며, 전체특허를 기준으로 보았을 때 역시 성숙기인 것으로 나타남
- 따라서 첨단바이오의약품 분야는 여전히 전 세계적으로 R&D가 급격히 증가하고 있으며, 경쟁의 격화되고 있는 상태인 것으로 판단되며, 추후 발전 가능성이 높은 것으로 판단됨

3. 줄기세포 및 유전자치료제의 논문동향

가. 분석 범위

- 본 분석에서는 연구성과의 파급효과 및 연구의 필요성을 고려하여 선택된 2개의 연구기획 기술 분야를 논문분석대상으로 하였으며, 1997년 1월부터 2018년 4월까지 발표된 논문을 분석대상으로 하여 Web of Science를 활용하여 검색하였음

표 2-26 분석구간 및 범위

조사범위	논문
사용 DB	WEB of Science
사용 DB	1997. 01. 01.~ 2018. 04.(검색일 기준)

나. 검색식

- 줄기세포치료제와 유전자치료제로 구성된 첨단바이오의약품 논문 도출을 위한 최종 검색식은 아래와 같음

표 2-27 검색식 및 유�효건수

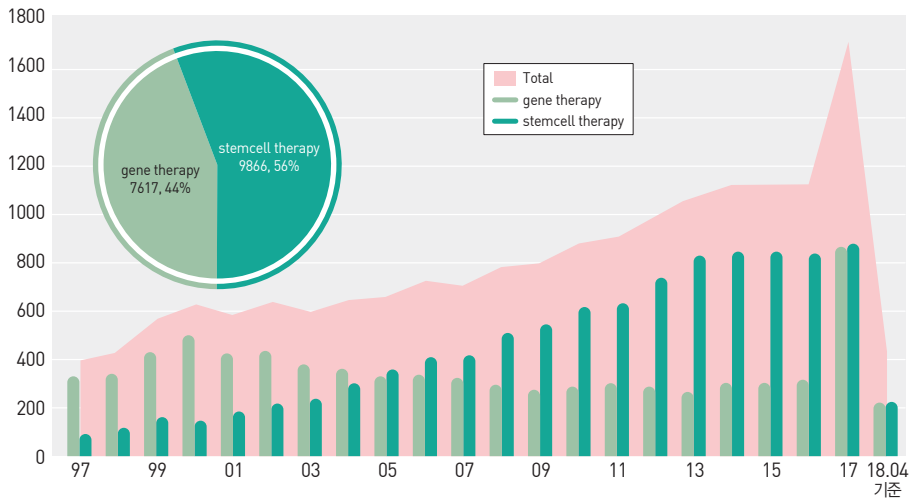
구분	검색식	건수
1 줄기세포치료제	tl=(stem adj cell*, stemcell*) and (therapy*, drug*, medicine*)	9,867
2 유전자치료제	tl="gene therapy"	7,627

다. 전체 첨단바이오의약품 논문동향분석

(1) 첨단바이오의약품 연도별 논문 동향 및 점유율

- 첨단바이오의약품 분야에서 줄기세포치료제는 9,867건(56%), 세포치료제는 7,627건(44%)의 점유율을 보임
 - 첨단바이오의약품 기술 분야는 1997년 이후로 지속적으로 발표하고 있는 것으로 나타남
 - 전반적으로 줄기세포치료제의 논문이 많은 것으로 나타남. 유전자치료제의 경우 2000년 이후 발표 논문이 소폭 감소하고 있으나, 줄기세포치료제에 대한 발표(연구)가 지속적으로 증가하고 있는 것으로 나타남

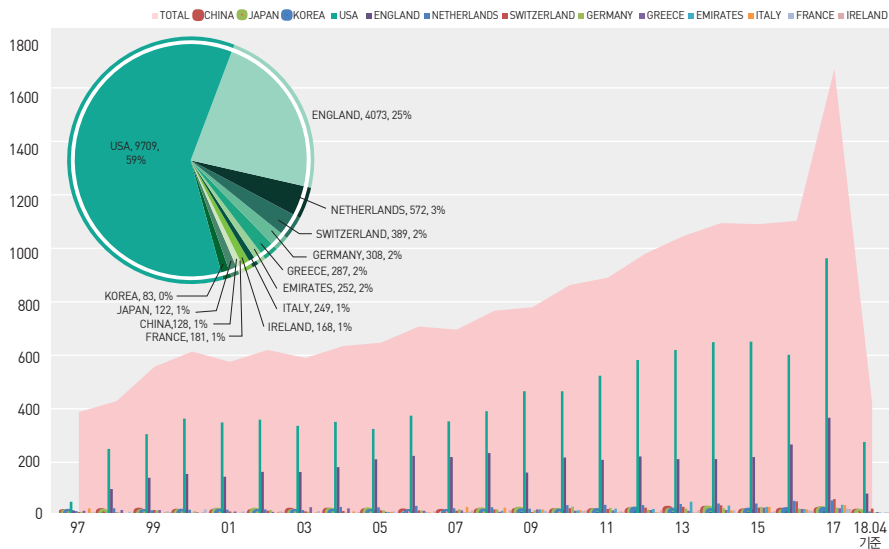
그림 2-47 연도별 논문 발행 동향



(2) 첨단바이오의약품 국가별 논문 동향

- 첨단바이오의약품 분야에서 국가별 논문 동향을 살펴보면 미국이 9,709건(59%)로 가장 많은 논문을 발표하고 있는 것으로 나타났으며, 영국이 4,073건(25%)으로 그 뒤를 잇는 것으로 나타남

그림 2-48 국가별 논문 동향



- 발행국별 주요 저자를 살펴보면, 한국에서는 Lee, JH 미국에서는 Aiuti, A 유럽에서는 Liu, Y 일본에서는 Mori, T가 가장 많은 논문을 발표하는 것으로 나타남

그림 2-49 주요 논문 저자

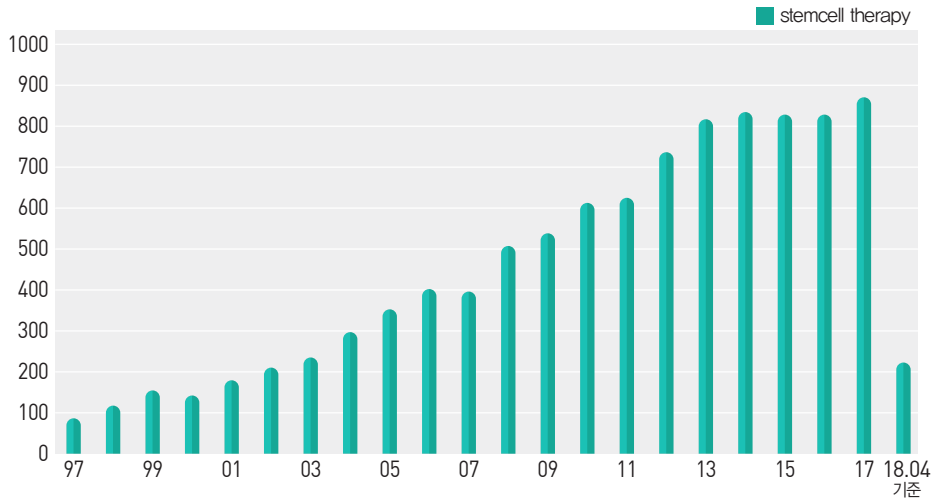
KR	US	EP	JP
발명자 출원인	발명자 출원인	발명자 출원인	발명자 출원인
KOR., Lee, JH 3	USA, Aiuti, A 15	EP, Liu, Y 7	JAP., Mori, T 3
Bang, OY 2	Zhang, Y 11	Re, A 7	Adachi, N 2
Daliri, Karim 2	Carlier, N 10	Amano, S 6	Ikegami, S 2
Jung, SC 2	Gaspar, HB 10	Baron, F 6	Morishita, R 2
Kim, HJ 2	Kumar, S 10	Candoni, A 6	Takada, I 2
Kim, SH 2	Cross, Ryan 9	Fischer, A 6	Takayama, K 2
Oh, IH 2	Otsu, M 9	Griesenbach, U 6	Takenaka, K 2
Park, KI 2	Fischer, A 8	Ilic, D 6	Uchibori, R 2
Suh, W 2	Freytag, SO 8	Moreau, P 6	Abe, A 1
Ahn, SY 1	Re, A 8	Abbott, A 5	Alasaka, S 1

라. 첨단바이오횰약품 세부 기술별 논문 동향 분석

(1) 줄기세포치료제 연도별 논문 동향 및 점유율

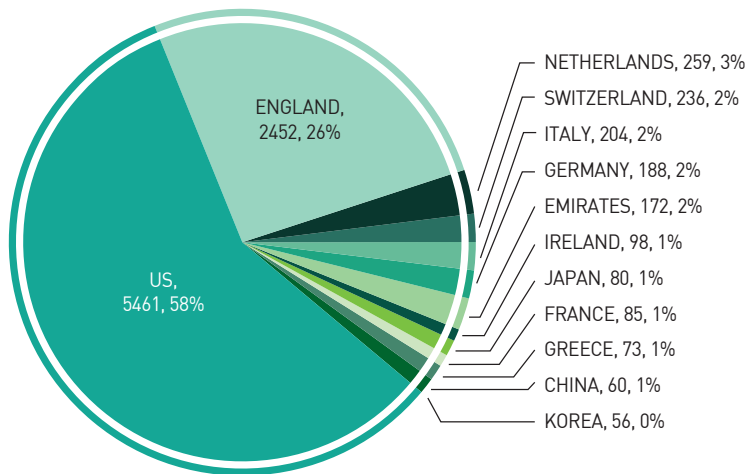
- 줄기세포치료제의 연도별 논문 동향을 살펴보면, 분석을 시작한 97년 이후 지속적으로 증가하고 있는 것으로 나타남

그림 2-50 줄기세포치료제 연도별 논문 동향



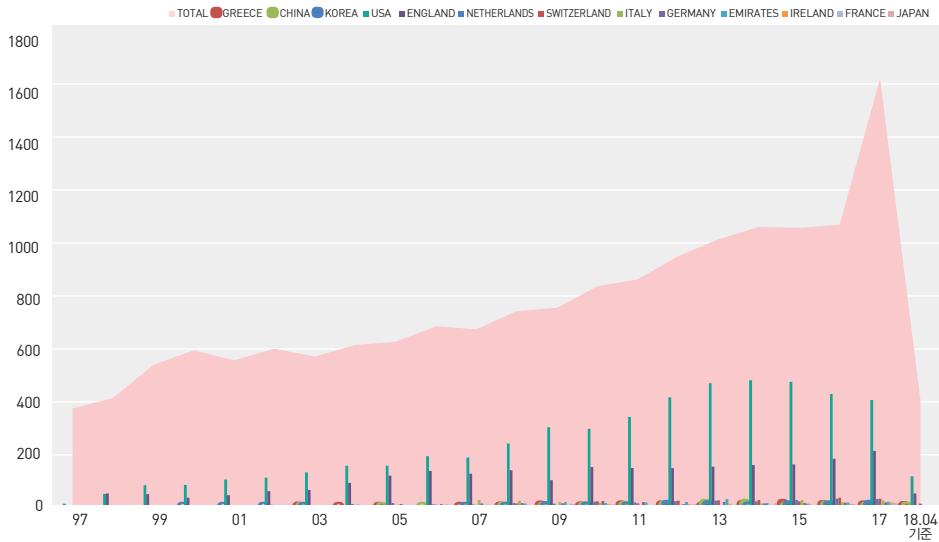
- 줄기세포치료제의 국가별 비율을 살펴보면 미국이 5,461건(58%)로 가장 높았으며, 영국이 2,452건(26%)로 그 뒤를 잇는 것으로 나타남

그림 2-51 줄기세포치료제의 논문의 국가별 비율



- 연도별 국가 동향을 살펴보면 미국의 동향이 전체 동향에 가장 큰 영향에 영향을 준 것으로 나타남

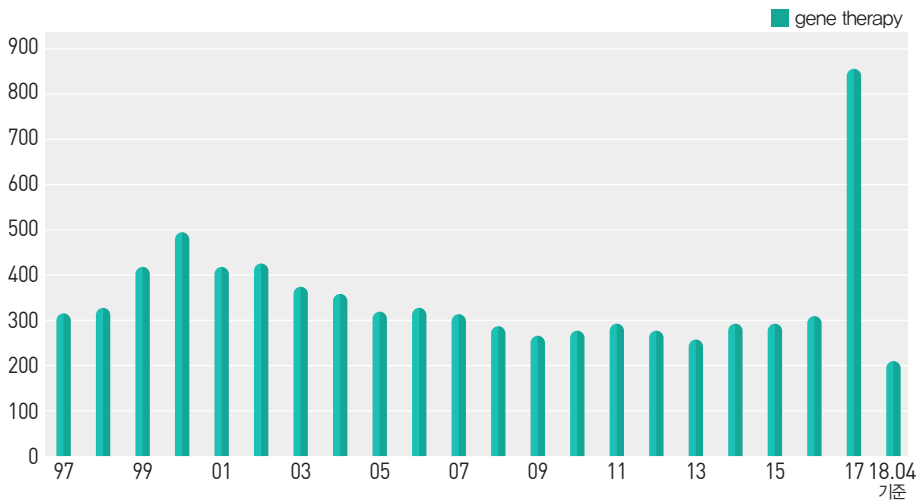
그림 2-52 국가별 줄기세포치료제 논문 동향



(2) 유전자치료제 연도별 논문 동향 및 점유율

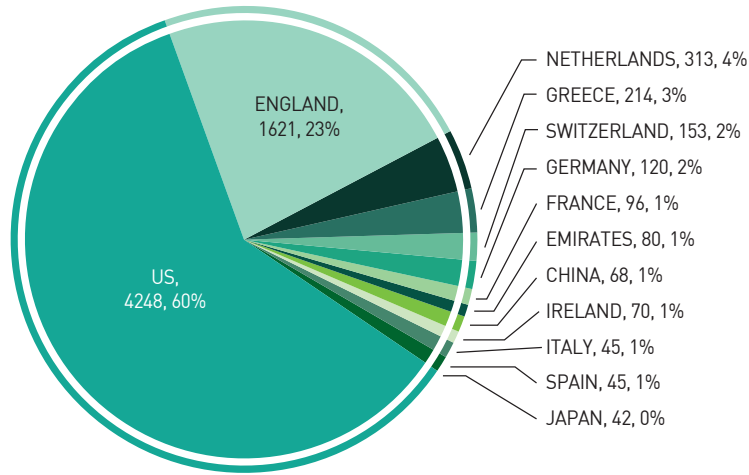
- 유전자치료제의 연도별 논문 동향을 살펴보면, 지속적으로 많은 수의 논문이 발표되고 있는 것으로 나타났으며, 2017년에 가장 많은 논문이 발표된 것으로 나타남

그림 2-53 유전자치료제 연도별 논문 동향



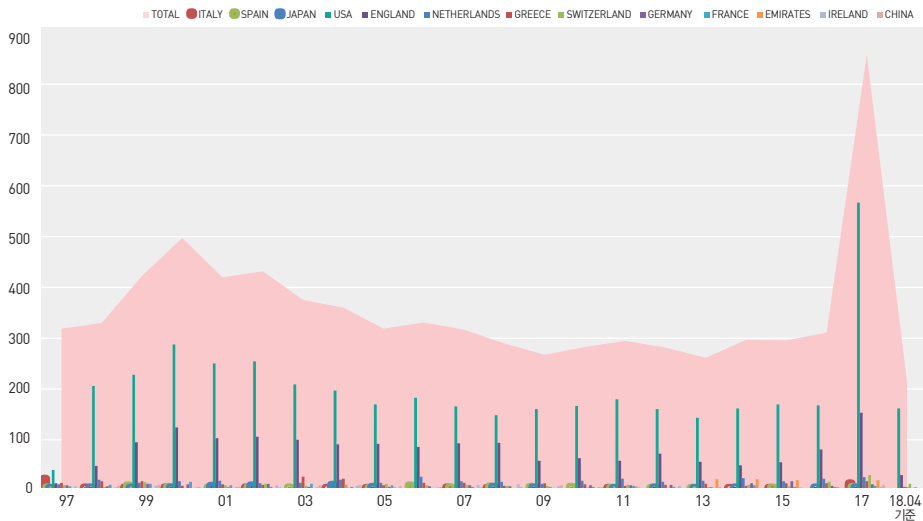
- 유전자치료제의 발표 국가별 비율을 살펴보면 미국이 4,248건(60%)로 가장 높았으며, 영국이 1,621건(23%)로 그 뒤를 잇는 것으로 나타남

그림 2-54 유전자치료제의 논문의 국가별 비율



- 연도별 국가 동향을 살펴보면 미국의 경우 2017년도에 가장 많은 논문이 발표된 것으로 나타남

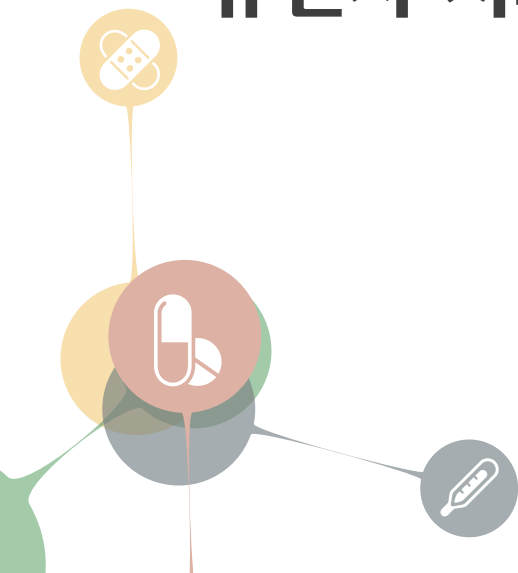
그림 2-55 국가별 유전자치료제 논문 동향





제3장

국내외 줄기세포 및 유전자 치료제 관련 지원 육성 및 정책 비교



제1절 국가별 줄기세포 및 유전자치료제 관련 인허가 지원 정책 비교

1. 국가별 줄기세포치료제 인허가 지원 정책

- 해외 각국 정부는 줄기세포 등을 이용한 첨단제제의 의학적 가능성과 고부가가치의 시장성 등을 전망하며 기초연구부터 제품개발에 이르기까지 다각도로 지원정책을 제ان

가. 북아메리카의 줄기세포치료제 인허가 정책

(1) 미국

- 의약품 전반에 대하여 의학적 필요도에 따라 개발과 심사 및 허가 지원을 실시하고 있으며, 첨단제제에 대해 최근 21세기 치료법(21st Century Cures Act 법)을 통해 지원 정책 확대하고 있음
 - 2016년 12월 13일, 미국은 (1)고위험, 고부가가치 연구, 신규연구자를 위한 연구 등 각종 생물의학 연구 지원, (2)생물의학연구를 위한 체계적 전략을 수립하고 시행, (3) 해당 법안에 명시된 사항을 수행하기 위한 NIH and Cures Innovation Fund 설립을 골자로 하는 21세기 Cures법(21st Century Cures Act 법)을 발효
 - 21세기 Cures법은 미국 국립보건원(NIH), 식품의약품청(FDA), 질병관리본부(CDC)를 주축으로 하여 연구에서 제품의 개발 및 승인에 이르기까지 국민 보건 향상을 위한 대대적인 개혁을 목표로 하고 있음
- 줄기세포치료제에 대한 FDA 규정은 크게 두 가지 법률에 포함됨
 - 21 CFR 600/601 – 생물학적 제품 및 라이선싱
 - 21 CFR 1270/1271 – 인간 세포 및 조직
- 미국에서 줄기세포치료제의 사용은 IND규정(21 CFR 312)과 생물학적 제제 규정(21 CFR 600), cGMP(21 CFR 211)와 같은 특정 조항에 포함된 규정에 의거함
- 줄기세포치료제에 대한 미국 규정은 공중보건서비스법(PHSA)의 section 361, 351로 나뉘어져 있음
 - Section 361 : 혈액 및 골수선조세포 이식을 위한 조직
 - Section 351 : 치료용 세포 또는 조직

- 2005년 인간 세포, 조직, 조직기반 제품에 대한 규정(CFR 1271)이 발표되었으며, 2009년 FDA는 HCT/P 제조업체의 자격 요건과 cGTP에 대한 업계 지침을 발표하였음
- 라이선스 승인을 위한 FDA 규정
 - 세포 기반 치료제는 FDA의 승인을 필요로 하지 않으며, 약물이나 장치와 결합되지 않은 동종 용도의 개념으로 최소한으로 분류됨
 - 반면, 구조적으로 조작된 자가 세포는 체세포 치료 제품의 정의를 충족시키고 IND 면제 또는 FDA 라이선스 승인이 필요함
- IND 신청을 위한 FDA 규정
 - 간엽줄기세포 (MSCs)를 이용한 임상 연구는 IND 메커니즘의 기초가 되며 임상 계획에 대한 상세한 연구 프로토콜(제품 테스트 준비 등)을 작성하여 제출해야 함
 - 2012년 7월, 미국 지방 법원은 FDA가 줄기세포치료법을 규제 할 권한이 있다고 판결하였고 줄기세포가 최소한으로만 조작했을 경우 합법적으로 약물로서 취급 될 수 있다고 규정하였음
 - 하지만 FDA에서는 줄기세포를 일종의 마약으로 간주하여 줄기세포치료제 상업화에 대해 애로가 있음

(2) 캐나다

- 캐나다 보건 연구원(CIHR)은 2002년 3월에 인간의 다능성 줄기세포 연구에 대한 지침을 발표하였음
 - 캐나다에서는 인체 조직, 생물학적 체액, 태아 및 태아를 포함한 연구를 관장하는 윤리 원칙인 Tri-Council Policy Statement에 의해 규정됨
 - 2010년 6월, 인간 다능성 줄기세포 연구에 관한 가이드라인이 개정됨
- 캐나다 법률은 인간 배아와 관련된 개발 연구를 제한하지만 예외적으로 체외 수정을 통해 얻은 버려진 배아는 연구에 사용할 수 있고 체외 수정을 통해 얻은 배아는 다음 기준을 준수해야함
 - 생식을 목적으로, 충분한 정보 제공과 자의의지에 기반하여 배아를 제공한 사람들의 동의서가 있어야 하고, 상업적인 거래를 통해 배아, 난소 및 정자를 획득하지 않아야 함

나. 유럽의 줄기세포치료제 인허가 정책

(1) 유럽 연합(EU)

- 첨단제제의 인허가를 염두에 둔 개발 및 신속개발 지원제도(PRIME, PRIOrity Medicine)가 2017년 3월 신설되어 운영되고 있고, 이를 바탕으로 PRIME 제도를 통한 EMA의 주요 지원 사항은 아래와 같음

- 우선순위 의약품이 첨단제제인 경우, 시판허가 신청 전에 지속적인 지원과 사전 이해를 돕기 위해 EMA의 CHMP 또는 첨단치료제위원회(CAT) 소속의 담당자(rapporteur)가 지정
 - 지정된 담당자는 EMA 과학위원회 및 실무진 소속 전문가로 이루어진 다학제 그룹과 함께 개시회의(kick-off meeting)를 조직하고, 전반적인 개발 계획 및 규제관련 전략에 관한 안내 제공
 - 보건기술평가와 같은 추가적인 관련 부분들을 함께 연계하여 핵심적인 개발단계에서 과학적 조언 제공
 - 시판승인을 위한 신청 시점에서 신속 심사의 가능성을 보장
- EU는 줄기세포치료제에 대하여 기존의 규제를 적용할 때 나타나는 문제점을 해결하기 위하여, 줄기세포치료제를 비롯하여 같은 규제적 어려움을 공유하는 새롭게 등장한 형태의 치료제들에 대하여 기존의 지침(directive)들이 아닌 새로운 규정(regulation)을 도입하여 규율하고 있음
 - 생명공학분야에서 세포생물학, 유전학 등의 발전으로 인하여 치료제의 재료로 살아 있는 세포나 조직이 쓰이게 되었는데, 이러한 치료제들은 의약품보다는 외과적 수술에 더 가까워 보였으며, 재생의료의 발전으로 의료제품(medicinal product)이나 의료기기(medical device)의 분류가 쉽지 않은 한계영역에 해당하는 제제들이 늘어나자 새로운 규제를 도입하기로 한 것임
 - 줄기세포치료제를 비롯한 세포치료제와 유전자치료제, 조직공학제제를 통칭하는 '첨단의료제품(Advanced Therapy Medicinal Products, 이하 ATMPs)'이라는 개념을 새롭게 도입하고, 이를 규율대상으로 하는 EU 규정에서 이들을 '제품(products)'으로 정의하고 있음
 - 특별히 이전에 의약품 허가제도를 규율하던 지침의 특별법 형태로 제정된 것으로 보아, 줄기세포치료제를 의료행위가 아닌 '의약품'의 예에 따라 규제하고 있다는 것을 알 수 있음. 따라서 기본적으로 제품의 품질, 안전성, 유효성을 과학적으로 검증하는 것이 줄기세포치료제와 관련하여 중요한 규제의 내용이 되고 있음
 - 세포치료제의 세포에 자가유래 세포가 포함된다고 하고 있으므로, 자가유래 줄기세포를 이용한 치료의 경우에도 의료행위로 규율하는 것이 아니라 이 규정의 적용을 받게 됨
 - EU는 의료제품(medical products)에 대하여 의료기기, 의료제품, 이식(transplantation) 3가지 기본 영역에 대하여 각기 다른 지침을 통해 규율하고 있었음. 그러나 3가지 규제대상에 관한 정의규정으로 판단하기 어려운 의료제품들이 등장하면서 유럽연합의 의회는 이들을 규율하기 위하여 특별법에 해당하는 「Regulation (EC) No 1394/2007」(이하 ATMPs 규정)62)을 2007년 제정하였음

- EU가 ATMPs 규정을 통하여 유전자, 세포, 조직을 하나의 규제로 통합한 이유는 이들 제품이 주로 중소기업이나 대학 등 소규모 업체나 연구소에서 개발되고 있고, 유전자치료제와 세포치료제, 조직공학제제를 각각의 제품의 분류 또한 명확히 하는 것이 어렵다고 판단하였기 때문임
- 또한 첨단 생명공학분야의 규제를 위한 과학적 전문성이 공유될 필요성이 있음에도 EU 회원국들 간 서로 다른 의료 체계를 가지고 있으므로, 공동체 내에서 제품의 안전성과 사후 추적조사를 효율적으로 관리하고, 규제 시스템을 개발할 필요성이 있다는 점에서 중앙허가제를 도입하였음
- 이 규정은 기존의 의료제품과 관련한 지침들에 대한 특별법으로서 ATMPs가 유럽공동체 전역에서 제조되고 유통되면서 사용될 경우에 나타날 공중보건 문제를 고려하여 제정하게 됨. 따라서 대량으로 유통할 수 있도록 상업적 공정을 통하여 제조되거나, 유럽 공동체 전부를 대상으로 판매를 목적으로 제조된 ATMPs를 규제대상으로 정하고 있으며, 각 회원국 내 개별병원에서 전문의사의 책임아래 이루어지는 소규모의 제조 및 사용에 관하여는 그 회원국에서 개별적으로 규율할 수 있도록 예외적인 병원면제제도를 두고 있음

표 3-1 EU 줄기세포치료제 규제 체계

ATMPs 아닌 경우	Dir. 2004/23/EC Dir. 2001/83/EC Dir. 93/42/EEC, Dir. 90/285/EEC
ATMPs 해당 :Reg. 1394/2007	1. 원칙: 중앙허가제도 - 규제기관: EMA - 자문기관: CAT(위험기반평가법에 의한 자문) 2. 예외: 병원면제제도 - 규제기관: 각 회원국 관할 관청 - 자문기관: CAT - 병원면제요건 - GMP, 이력추적, 약물 감시, 후속조치

(2) 영국

- 영국은 줄기세포 연구를 위한 포괄적이고 잘 정립된 규제가 구축되어 있음
- 영국의 줄기세포치료제는 Human Fertilization and Embryology Authority(HFEA)에서 허가를 받음
- 인간 배아줄기세포 추출을 위한 배아 파괴는 아래와 같은 상황에서만 허용함
 - 배아 개발에 대한 지식을 극대화하기 위해
 - 알츠하이머 병이나 파킨슨 병과 같은 희귀 질병에 대한 지식을 늘리기 위해
 - 기존의 치료법으로는 치료할 수 없는 심각한 질병에 대한 치료법 개발을 위해

(3) 프랑스

- 프랑스에서는 성체 줄기세포와 배아 줄기세포를 포함한 모든 줄기세포 연구에 대해 강력한 규제가 있음
 - 연구 및 재생용으로 배아 복제를 금지하고 있음
 - 하지만 2009년 이후 정부에서 잉여 배아에 한해서만 연구용으로 사용할 수 있도록 허용하였음
 - 프랑스 생물의학진흥원(Agence de la Biomedicine)에서 프랑스의 모든 줄기 세포 프로젝트를 허가하고 모니터링 함

(4) 독일

- 독일에서는 1991년 설립된 Embryo Protection Act에 의해 관리되며 연구 목적으로만 배아 사용이 허용됨
- 연구용 줄기 세포주를 수입하기 위해서는 Central Ethics Commission for Stem Cell Research의 승인을 받아야 함
- 2008년 독일 의회에서 인간 배아 줄기 세포주는 앞으로도 생성과 사용이 금지된다는 법안을 통과시켰음
 - 하지만 법안 통과일 이전에 수확한 세포주에 한해서는 해외에서 수입이 가능함

다. 아시아·태평양의 줄기세포치료제 인허가 정책

(1) 인도

- 2006년 Indian Council of Medical Research(ICMR)는 “인간 대상 생물의학 연구윤리지침”을 발표하였고 인도의 줄기세포 연구에 대해서는 허용, 제한 및 금지에 대해 세 가지 영역으로 분류되어 있음
 - 허용 : 줄기 세포를 이용한 임상 시험, ICMR의 생물의학 연구윤리지침, 인도 정부의 GCP 지침, Institutional Committee for Stem Cell Research and Therapy(IC-SCRT) 등. 또한 줄기세포 임상시험은 National Apex Committee for Stem Cell Research and Therapy(NAC-SCRT)에 등록되어야 함
 - 제한 : 해외에서 수입된 줄기 세포 제품, NAC-SCRT 및 Health Ministry's Screening Committee(HMSC)의 승인이 필요한 다국적 기업이 후원하는 임상 시험
 - 금지 : 배아 줄기세포와 관련된 임상 시험 금지법
- 2007년 11월, ICMR과 Department of Biotechnology(DBT)는 “줄기세포연구 및 치료 지침”을 마련함
 - 이 가이드라인은 인간 줄기세포분야의 연구 및 치료에 대한 검토 및 모니터링 메커니즘을 강조하고 있으며 NAC-SCRT 및 IC-SCRT의 규정을 준수해야함

- 2012년 4월, 인도 정부에서는 Cell Biology Based Therapeutic Drug Evaluation Committee(CBBTDEC)을 설립하여 줄기세포기반 치료제 개발과 관련된 임상 시험에 대한 규제 경로에 대한 자문을 제공함
- 또한 줄기세포를 사용하는 모든 CT 장비는 Clinical Trials Registry India(CTRI)에 등록되어야 함
 - 실질적으로 줄기세포를 조작하는 연구를 진행하기 위해 CT 장비를 사용하려면 IC-SCR, IEC 등으로부터 허가를 얻은 후 Drug Controller General of India(DCGI)의 승인을 받아야 함

(2) 중국

- 2003년, 인간 배아 줄기세포연구에 관한 윤리 지침은 중국 과학계 연구를 위한 규칙 아래 제정되었음
 - 배아줄기세포는 자발적 기증 또는 유도 유산에서 태어난 태아 세포, 체세포 핵 이식에 의해 생성된 태아로부터의 잉여 세포만 사용이 가능하지만 중국에서 줄기세포 치료연구는 안전성과 윤리적인 문제로 인해 임상 시험은 불가함

(3) 일본

- 기초단계의 연구를 제품개발에 활용하기 쉽도록 하는 일련의 조치들을 마련
 - 일본의 허가심사당국인 PMDA는 2013년 9월 재생의료 관련 주요기관이 밀집해 있는 간사이(오사카) 지방에 관서지부를 신설하고, 다양한 단계에서 재생의료 제품의 제품화를 지원할 수 있도록 ‘약사 전략 상담’ 업무 및 GMP 실사 업무를 본격적으로 시작
 - PMDA 관서지부를 신설하면서 새롭게 도입한 ‘약사 전략 상담’ 제도를 통해 기존의 ‘임상 치험 상담’에 추가하여 혁신적인 의약품 및 의료기기의 실용화를 위하여 개발 초기부터 품질, 비임상시험, 임상치험에 관련된 지도와 조언을 본부와 연계하여 제공
- 2001년, 인간 배아줄기세포의 도출 및 이용에 관한 지침에 따라 14일 미만의 배아를 기증자의 동의를 통해 기증 받은 경우 예비 IVF 배아에서만 배아줄기세포를 추출할 수 있음
 - 연구 중심 체세포 핵 이식 연구는 허용되었으나 인간 체세포 핵 이식 연구 개발은 제한되었음
 - 이 후 일본은 규제 정책을 완화하여 2013년 6월, 전 세계에서 처음으로 황반변성 치료제를 위한 세계 최초의 iPS 기반 줄기세포치료제 임상 시험을 승인하였음

표 3-2 일본의 현행 줄기세포치료제 규제 체계

구분	제도	규제내용
연구개발	임상연구(학술목적) 치험(임상시험)	인간줄기세포 임상연구지침 (IRB 심의, GMP 요건)
의약품	승인제도	약사법상 의약품허가제도
의료행위	선진의료	신의료기술평가제도
	자유진료	-

- 일본은 줄기세포치료제의 실용화를 앞당기고 정책적으로 지원할 수 있도록 재생의료라는 개념을 새롭게 법으로 정의하고, 재생医료를 규율대상으로 하는 규제 체계를 정비함. 재생의료기술을 중심으로 한 지원법과 안전성 확보 법안을 제정하고, 제품으로 이용하는 경우에는 새로운 승인제도를 도입하려 한 것임

표 3-3 일본의 재생의료 규제 체계

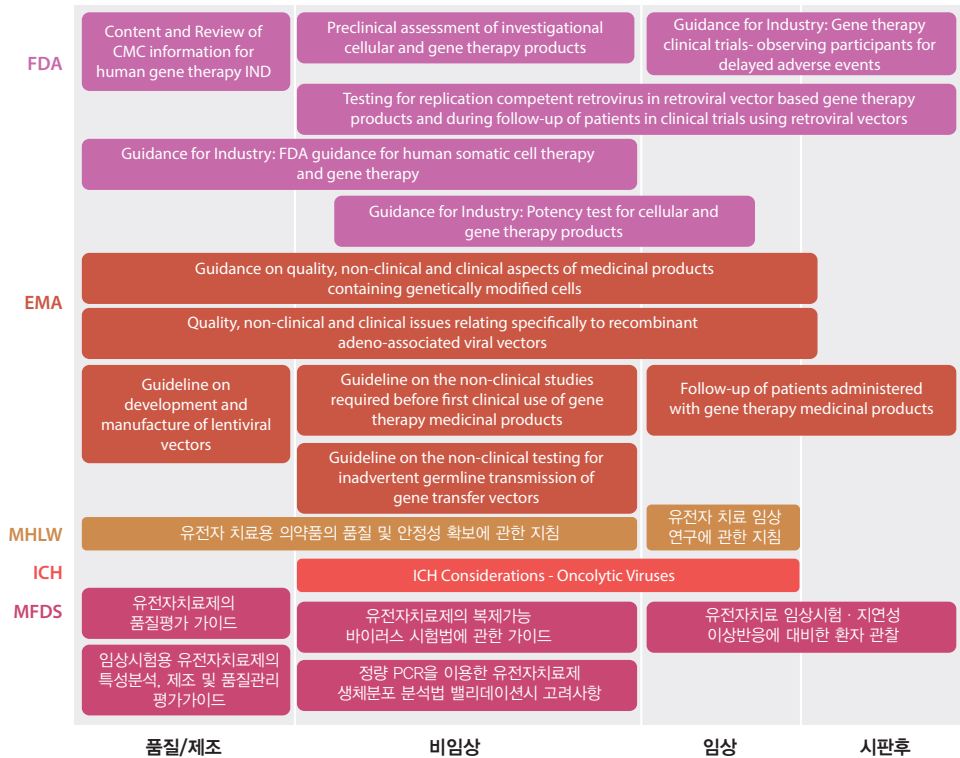
법/법안	규제내용
재생의료추진법	1. 재생의료 연구개발 촉진 2. 재생의료제품 조기승인제도 추진 3. 안전성 생명윤리 확보 노력
재생의료안전법안	1. 재생의료기술에 대한 규제 : 위험성에 따라 3절차로 분류 2. 재생의료등위원회 : 재생의료기술에 대한 절차별 규제기관 3. 시설기준, 품질관리기준, 안전성확보조치
약사법 개정안	규제당국: PMDA 조건부승인제도 도입 : 시판 후 임상시험을 조건으로 한 승인제도

2. 국가별 유전자치료제 인허가 지원 정책

- 유전자치료제 개발에는 다양한 벡터와 이에 적용되는 첨단기술이 접목되어 있어, 관련 국가의 가이드라인이 적용되는 범주 또한 해당국의 기술 개발 여건 등이 반영되어 각 국가별로 다름

- 품질, 비임상, 임상, 시판후의 사후관리와 관련하여 국내외 유전자치료제 관련 가이드라인의 현황을 보여주는 가이드라인 모식도는 아래와 같음

그림 3-1 유전자치료제 관련 국내외 가이드라인 모식도



출처 : 유전자치료제 연구개발 및 규제동향 2015, 2015.12, 식품의약품안전처

가. 미국의 유전자치료제 인허가 정책

- 미국 FDA에서는 유전자치료제에 관련하여 유전자치료제의 생산, 품질 관리, 유전자 치료용 재조합 벡터의 투여, 비임상 시험에 관한 지침을 마련(1998년)하고 이를 개정하여 적용
 - 임상 연구시의 지연성 이상반응 (2006년), Retrovirus 벡터를 사용한 유전자 치료에서 복제 가능 Retrovirus 시험에 관한 가이드라인 (2006년), 임상승인 신청용 유전자치료제의 품질평가에 관한 가이드라인 (2008년), 효력 시험 (2011년), 비임상 시험 (2013년)에 대한 보다 세부적인 가이드라인을 만들었음
 - 유전자치료제에 사용되는 개별적인 바이러스 벡터에 관련된 것으로는 2006년의 Retrovirus 벡터에 관한 것이 유일하며, 현재 임상 연구가 활발한 Adenovirus나

AAV 벡터에 대한 별도의 가이드라인은 아직 없음. 또한 유전자를 이입한 세포를 사용하는 유전자치료제에 선택적인 가이드라인이 없는 실정임

- 미국 FDA의 비임상 및 임상 연구 단계의 유전자치료제와 관련된 가이드라인은 아래와 같음

표 3-4 미국의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황

제목	발간연도
Guidance for Industry: FDA Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy	1998
Guidance for Industry: Gene Therapy Clinical Trials—Observing Participants for Delayed Adverse Events	2006
Guidance for Industry: Supplemental Guidance on Testing for Replication Competent Retrovirus in Retroviral Vector Based Gene Therapy Products and During Follow-Up of Patients in Clinical Trials using Retroviral Vectors	2006
Guidance for FDA Reviewers and Sponsors: Content and Review of Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Gene Therapy Investigational New Drug Applications (INDs)	2008
Guidance for Industry: Potency Test for Cellular and Gene Therapy Products	2011
Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products	2013

출처: 유전자치료제 연구개발 및 규제동향 2015, 2015.12, 식품의약품안전처

(1) Guidance for Industry: FDA Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy (1998년)

- 이 가이드라인은 1991년 ‘Points to Consider (PTC) in Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy’를 대체하는 것으로, 그 동안 유전자치료제 분야의 발달과 더불어 제조자들에게 유전자치료제의 생산 및 특성 확인(벡터 생산 시스템, 마스터 바이러스 बैं크 등), 유전자 치료용 재조합 벡터의 투여, 비임상 시험(동물 모델 선택 등) 등에 대하여 새로운 정보를 제공할 필요성에 기반하여 1998년에 새로 만들어졌음
- 체세포 치료와 유전자 치료에 대한 정의를 다음과 같이 정하고 있음

* 체세포 치료 (somatic cell therapy)란 치료, 진단, 또는 예방의 목적으로 생식 세포가 아닌 자가 세포, 동종세포, 또는 이종세포를 인체에 투여하는 것을 의미함. 체세포 치료에 사용되는 자가 세포, 동종세포, 또는 이종세포는 1) 체외에서 조작, 증식, 선별의 과정을 거치는 것, 2) 세포에 약물 처리를 한 것, 3) 생물학적 특징을 변화시킨 것을 포함함

* 유전자 치료 (gene therapy)란 치료나 예방 목적으로 세포를 유전적으로 조작하는 것을 의미하며, 이때 세포는 체외에서 유전적으로 조작될 수도 있으며, 외부에서 직접 유전자를 체내로 투여할 수도 있음. 세포를 체외에서 유전적으로 조작하여 투여하는 경우, 이는 체세포 치료에도 속하게 됨

(2) Guidance for Industry: Gene Therapy Clinical Trials—Observing Participants for Delayed Adverse Events (2006년)

- 본 가이드라인은 2006년 11월에 발표된 Retrovirus 벡터를 이용한 유전자치료제에 대한 가이드라인에 대하여 추가적인 사항들을 포함하고 있음. 그 이후 FDA에서는 개발자들이 Retrovirus 벡터가 아닌 유전자치료제의 경우에도 치료 후 장기적으로 환자들에서의 부작용이 발생 여부를 추적 조사하는 계획을 세우도록 권고하였음
 - 유전자 치료를 위해서 생물학적 활성이 장기간 유지되는 것이 필요하지만, 이러한 장기간의 생물학적 활성 발현은 수개월 또는 수년 후에 환자들에게 부작용을 유발할 가능성이 있음
 - 이상반응이 지연되어 발현하는 원인으로는 바이러스성 벡터의 장기적인 체내 체류, 인체 chromosome내로 유전자의 삽입, 도입된 유전자의 장기적인 발현, 투여된 생체에서 다른 유전자의 발현 변화 등을 들 수 있음
 - 또한, 벡터의 체내 분포 및 체류를 평가하는 비임상 시험 설계시의 고려사항과 유전자 삽입 및 재활성화와 지연성 이상반응에 관한 정보 및 임상시험의 장기추적 조사에 관한 세부 정보를 포함하고 있음

(3) Guidance for Industry: Supplemental Guidance on Testing for Replication Competent Retrovirus in Retroviral Vector Based Gene Therapy Products and During Follow-Up of Patients in Clinical Trials using Retroviral Vectors (2006년)

- 본 가이드라인은 Retrovirus 벡터를 이용한 유전자치료제의 제조 및 투여받은 환자의 추적조사에 요구되는 복제 가능 Retrovirus(Replication Competent Retrovirus, RCR) 시험법에 관한 가이드라인임
 - 유전자치료제 제조과정 중 세포은행 단계 및 벡터 함유 배양액 등에서의 RCR 측정에 관한 내용과 투여 환자의 RCR 측정 시기와 사용되는 PCR법 등을 소개하고 있음

(4) Guidance for FDA Reviewers and Sponsors: Content and Review of Chemistry, Manufacturing, and Control (CMC) Information for Human Gene Therapy Investigational New Drug Applications (INDs) (2008년)

- 본 가이드라인은 임상승인 신청 자료에 필요한 유전자치료제의 품질 관리에 관한 내용을 포함하고 있음
 - 유전자치료제의 제조에 사용되는 벡터, 세포, 시약, 부형제 등에 대하여 작성해야 할 정보, 유전자치료제에 적용될 품질시험은 미생물 시험, 확인 시험, 순도 시험, 효력 시험의 4가지의 항목으로 크게 구분함

(5) Guidance for Industry: Potency Test for Cellular and Gene Therapy Products (2011년)

- 본 가이드라인은 세포 및 유전자치료제는 그 복잡성으로 인하여 효력 시험을 확립하는데 어려움이 있어, 효력 시험의 설계시에 고려사항을 포함하고 있음

- 효력이란 의약품의 치료 활성을 의미하는 것으로 시험 결과나 임상 데이터로서 입증됨. 효력 시험은 in vitro 또는 in vivo 시험으로 구성되며 모든 생물학적 제품에 적용함

(6) Preclinical Assessment of Investigational Cellular and Gene Therapy Products (2013년)

- 본 가이드라인은 1998년 'Guidance for Industry: Guidance for Human Somatic Cell Therapy and Gene Therapy'를 개정한 것으로 세포치료제 및 유전자치료제의 비임상 평가에 대한 규제 사항을 다루고 있음
 - 기존의 화학 의약품에 일률적으로 적용되어 오던 비임상 단계의 안전성, 유효성 평가와 달리 획일적이고 표준화된 시험이 어려운 경우가 많으며, 유전자치료제에는 제품의 개별적인 작용기전이나 특징을 고려하여 합리적으로 유연하게 적용해야 할 필요성이 있기 때문임
 - 여기에서 유전자치료제는 범주를 아래와 같이 정의함
 - * 바이러스성 벡터를 사용하지 않는 플라스미드 기반의 치료제, 비 증식성 바이러스 벡터를 사용하는 치료제, Oncolytic virus를 사용하는 치료제, 미생물 벡터를 사용하는 치료제(예, Listeria, Salmonella, E. coli, bacteriophage 등), Ex vivo에서 유전자 도입된 세포

나. 유럽의 유전자치료제 인허가 정책

- 유럽연합 집행위원회(European Commission)는 ATMP(Advanced Therapy Medicinal Product)라는 용어를 사용하고 있으며, ATMP에 대해 Regulation (EC) No 1394/2007를 2007년 11월 13일 제정하였으며, 유럽연합 회원국 모두에 공통적으로 2008년 12월 30일부터 효력이 발생되어 이를 통상적으로 'ATMP법'을 운영
 - EMA(European Medicines Agency)는 과학적인 평가를 수행하기 위하여 7개 위원회를 두고 있는데, ATMP와 관련하여 「첨단치료 위원회」(Committee for Advanced Therapies, CAT)와 「인체용 의약품 위원회」(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)가 핵심이며, 이중에 CAT은 전문분야와 관련 과학적 쟁점들에 대해 과학적 평가 또는 과학적 가이드선 문서의 초안 작성과 개정과 관련한 업무를 위임받아 수행
- 유전자치료제(Genetic Therapy Medicinal Products, GTMP), 체세포 치료제(Somatic Cell Therapy Medicinal Products, SCTMP), 조직공학제품(Tissue Engineered Products, TEP) 및 이들 제품의 핵심 부분으로서 한 개 이상의 의로기기를 결합시킨 제품(Combined Advanced Therapy Medicinal Products, Combined ATMP)등 4가지 종류가 있음
 - EMA에서는 유전자치료제 관련하여서 미국과 달리 바이러스 벡터 중 하나인 Lentivieus 벡터에 초점을 맞춘 세부적인 가이드라인이 2005년도에 가장 먼저 만들

어졌으며, 유전자 전달 벡터의 germline transmission에 대한 평가를 위한 비임상 시험 가이드라인 (2006년), 임상시험 이전에 요구되는 비임상 시험에 대한 가이드라인 (2008년), 유전자치료제 투여 환자의 추적 조사 (2010년)에 대한 가이드라인이 발간되어 유전자치료제 연구개발의 흐름에 따라 가이드라인이 시기 적절하게 제시되어 온 것으로 보임

- 2010년에 AAV 벡터를 사용한 Glybera의 허가과 발맞추어 재조합 AAV를 사용한 유전자치료제의 품질, 비임상, 임상에 대한 가이드라인이 별도로 만들어졌음. 또한, 유전자 이입한 세포를 사용하는 유전자치료제에 대하여서도 품질, 비임상, 임상에 대한 가이드라인이 2012년에 제시되었음
- 유전자치료제에 oncolytic virus vector가 사용되는 경우, ICH에서 2009년에 발간한 oncolytic virus vector에 관한 가이드라인을 적용하고 있음

- EMA에서 비임상 및 임상 연구 단계의 유전자치료제 관련 가이드라인은 아래와 같음

표 3-5 유럽의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황

제목	발간연도
Guideline on Development and Manufacture of Lentiviral Vectors	2005
Guideline on Non-Clinical Testing for Inadvertent Germline Transmission of Gene Transfer Vectors	2006
Guideline on the Non-Clinical Studies Required before First Clinical Use of Gene Therapy Medicinal Products	2008
ICH Consideration – Oncolytic viruses	2009
Follow-Up of Patients Administered with Gene Therapy Medicinal Products	2010
Quality, Non-Clinical and Clinical Issues Relating Specifically to Recombinant Adeno-Associated Viral Vectors	2010
Guideline on Quality, Non-Clinical and Clinical Aspects of Medicinal Products Containing Genetically Modified Cells	2012

출처: 유전자치료제 연구개발 및 규제동향 2015, 2015.12, 식품의약품안전처

(1) Guideline on Development and Manufacture of Lentiviral Vectors (2005년)

- 본 가이드라인은 체외에서 세포를 유전자 조작하는 경우뿐만 아니라 생체 내로 유전자를 직접 전달하는 경우에도 활용되는 Lentivirus를 이용한 유전자치료제 개발시의 고려사항을 포함하고 있음
- 그 내용은 벡터의 제조, 벡터의 유전자 전달능 및 바이러스 입자 정량 등의 바이러스 시험, 종양원성 평가 등에 관한 정보를 담고 있음

(2) Guideline on Non-Clinical Testing for Inadvertent Germline Transmission of Gene Transfer Vectors (2006년)

- 본 가이드라인은 유전자치료제 투여 환자에서 유전자치료제의 germline transmission는 윤리적 및 안전성 면에서 문제를 일으킬 수 있음. 유전자 전달 벡터의 germline transmission 가능성에 대하여 비임상 시험 단계에서 정확하게 평가하는 중요함
 - 이에 germline transmission에 관하여 유전자치료제로 개발되고 있는 바이러스성 벡터에 대한, 위험도 판정에 영향을 미치는 인자, 판정방법, 연구 설계 방법과 데이터 해석 등에 관한 정보를 포함하고 있음

(3) Guideline on the Non-Clinical Studies Required before First Clinical Use of Gene Therapy Medicinal Products (2008년)

- 본 가이드라인은 예방이나 치료 목적으로 인체에 투여되는 플라스미드 DNA, 바이러스성 벡터, 비 바이러스성 벡터, 유전자 이입된 바이러스 및 유전자 조작된 세포를 이용한 유전자치료제에 적용함
 - 유전자치료제에 대한 일반적인 가이드라인은 ‘Note for Guidance on the Quality, Preclinical and Clinical Aspects of Gene Transfer Medicinal Products (CPMP/BWP/3088/99)’에서 제공되었으나, 인체에 최초로 유전자치료제를 투여할 때 필요한 연구가 무엇인지 상세히 다루지는 않고 있음. ICH 자료인 ‘ICH M3 (M) Note for Guidance on Non-Clinical Safety Studies for the Conduct of Human Trials for Pharmaceuticals Specifies Studies Needed before First Clinical Use of a Medicinal Product’의 경우 기존의 화학 의약품에 적용되는 것으로 유전자치료제에 적용하기에는 한계가 있어, 본 가이드라인에서는 임상시험에 최초로 들어가기 전에 수행하는 비임상 시험에 초점을 맞추고 있음
 - 임상 진입 전에 필요한 최소한의 비임상 시험 자료의 범주로 약효 시험, 분포 시험, 투여 용량 설정 근거 자료, 독성 시험, 생식세포 유전자 전이, 종양원성, 환경 위생성/바이러스 확산 등을 포함하고 있음
 - 바이러스성 벡터를 사용시 증식, 유전자 삽입, 잠복 및 재활성화, 면역원성, 병원성 (virulence)에 대한 추가적인 평가 필요성을 언급하고 있다. 또한, 비 바이러스성 벡터의 경우에는 벡터 자체에 대한 독성평가에 대한 필요성도 언급하고 있음

(4) ICH Consideration - Oncolytic viruses (2009년)

- Oncolytic virus는 종양세포에서 선택적으로 증식하여 분해(lysis)하는 특징을 가진 바이러스나 약독화시킨 strain을 유전적으로 조작한 Adenovirus, Measles virus, Herpes Simplex virus, Sendai virus 등이 있음
 - 여기에는 oncolytic virus의 특성 확인, 비임상 및 임상 시험에 대한 내용으로 크게 구성되어 있음
 - 특성 확인에서는 종양 선택성에 대한 분자 생물학적 특징, 분자 변이종, 위해 인자 시

험, 비임상 시험에서 동물 모델 선정, 효능 검증, 분포, viral shedding에 대하여 다루고 있음. 임상 시험에서는 약물동력학 및 생물학적 활성, 면역반응, 생물안전에 대한 사항을 언급하고 있음

(5) Guideline on Follow-up of Patients Administered with Gene Therapy Medicinal Products (2010년)

- 본 가이드라인은 임상시험 진행 중이거나 승인받은 유전자치료제를 투여받는 환자에서 투여 초기에 나타나는 이상반응이나 지연성 이상반응(delayed adverse events)에 대한 임상적인 모니터링 등 추적조사에 관한 것임
 - 유전자치료제의 종류에 따라 환자의 추적 조사 방법이 달라질 수 있으므로, 본 가이드라인에서는 벡터의 종류에 따른 추적 조사의 필요성에 대하여 언급하고 있음

(6) Quality, Non-Clinical and Clinical Issues Relating Specifically to Recombinant Adeno-Associated Viral Vectors (2010년)

- 이 가이드라인은 AAV를 이용한 유전자치료제 개발에 있어서 품질, 비임상 및 임상 관련 이슈에 대한 고려사항을 다루고 있음
 - 재조합 AAV 생산시의 Adenovirus와 같은 helper virus 등을 이용한 제조방법, 제조공정시의 세포은행 및 시드 로트 시스템 도입 등에 관한 사항, 품질에 필요한 바이러스 역가(titer), 순도시험, AAV-2와 같은 참조 표준품의 사용에 관한 사항을 기술하였음
 - 비임상시험을 위한 동물종 선택시 고려사항, germline transmission 등을 포함하는 생체분포, 환경위해 평가 등에 관한 사항, 임상시험시의 생체분포, 면역원성, 장기 추적 조사 등에 관한 내용을 다루고 있음

(7) Guideline on Quality, Non-Clinical and Clinical Aspects of Medicinal Products Containing Genetically Modified Cells (2012년)

- 본 가이드라인은 유전자 조작 세포를 포함하는 유전자치료제에 관한 것으로 유전자 조작 세포의 품질, 비임상, 임상 시험을 다루고 있음
 - 유전적으로 조작된 세포(genetically modified cells)은 유전자치료제로 개발되거나 세포 치료제 또는 조직 공학 제품의 제조에 사용됨
 - 유전자 조작된 세포를 함유한 제품의 예는 아래와 같이 제시하고 있음
 - * 단일 유전 질환의 치료에 사용되는 유전자 조작 세포, 종양 면역 치료용 유전자 조작 수지상 세포 또는 세포살상 림프구(Cytotoxic Lymphocyte), 관절 재생용 유전자 조작 자가 연골세포(Autologous Chondrocytes), 심혈관 질환 치료용 유전자 조작 전구세포(Progenitor Cells), 뼈 손상 회복을 위한 유전자 조작 골형성 세포(Osteogenic Cells)
 - 품질에 대하여 세포를 유전적으로 조작하는데 요구되는 원료 물질에 대한 사항 및 비임상 시험에 대하여 관찰되는 효능이 도입된 유전자에 의한 것인지에 대한 사항, 임상 투여 용량에 최대한의 정보를 제공할 수 있는 비임상 시험에 관한 사항, 임상시험

에서는 세포 및 도입된 유전자에 의한 약물학적 특징을 규명하고, 안전성 및 시판후의 추적 조사에 관한 사항을 다루고 있음

다. 일본의 유전자치료제 인허가 정책

- 일본의 유전자치료제 가이드라인은 품질 및 안전성 확보에 관한 지침이 1995년에 발간되어 국제적으로도 미국보다도 빠른 가이드라인이 만들어진 반면, 유전자치료 임상연구에 관한 지침이 2002년에 발간된 이래로 유전자치료제 개발 시 비임상, 효능, 각각의 바이러스 벡터 등에 대해서는 아직 별도의 지침들이 만들어지지 않음
 - 일본의 유전자치료제 가이드라인은 품질 및 안전성 확보에 관한 지침이 1995년에 발간되어 국제적으로도 미국보다도 빠른 가이드라인이 만들어진 반면, 유전자치료 임상연구에 관한 지침이 2002년에 발간된 이래로 유전자치료제 개발시의 비임상, 효능, 각각의 바이러스 벡터 등에 대해서는 아직 별도의 지침들이 만들어지지 않은 실정임
 - 그러나, 유전자치료제의 품질 및 안전성 확보에 관한 지침에서는 바이러스성 벡터 외에도 비 바이러스성 벡터를 이용하는 경우에 대한 지침이 선제적으로 제시되어 있음
- 일본의 유전자치료제의 임상연구에 관한 지침은 임상 연구에 참여하는 환자들의 개인 정보 보호에 대한 사항에 대한 지침을 제공하는 것이 주목됨
- 일본의 후생노동성(Ministry of Health, Labour, and Welfare)에서 비임상 및 임상 연구 단계의 유전자치료제 관련 가이드라인은 아래와 같음

표 3-6 일본의 유전자치료제 관련 가이드라인 현황

제목	발간연도
Guideline for Assuring the Quality and Safety of the Gene Therapy Products	1995 (2002/2004 개정)
Guideline for Gene Therapy Clinical Research	2002 (2004 개정)

출처: 유전자치료제 연구개발 및 규제동향 2015, 2015.12, 식품의약품안전처

(1) Guideline for Assuring the Quality and Safety of the Gene Therapy Products (1995년)

- 본 가이드라인은 유전자치료제의 품질 및 안전성 확보에 관한 지침으로서, 유전자 치료의 목적으로 사용되는 의약품의 안전성 및 품질 확보를 위해 필요한 기본적인 요구 사항을 정하는 것으로, 1995년에 발간되었으며, 2002년에 전부 개정, 2004년에 일부 개정되었음
 - 여기에는 유전자치료제 개발에 사용되는 유전자 도입 방법에 따른 제조 방법에 대한 고려사항 및 제조시설·설비 요건, 규격 및 시험방법 설정, 비임상 독성시험 및 효력 시험 등을 포함하고 있음

(2) Guideline for Gene Therapy Clinical Research (2004년)

- 본 가이드라인은 유전자 치료 임상연구에 관한 지침으로 2002년에 발간되었으며, 2004년에 전부 개정되었고, 품질, 안전성 및 유효성에 관한 내용을 포함하고는 있지만, 환자 보호 등 윤리적인 문제 및 개인정보 보호에 관한 조치에 중점을 두고 있으며, 임상 연구의 수행과 관련된 심사 등 절차에 관한 내용을 주로 다루고 있음
 - 여기에서는 유전자 치료에 대하여 질병 치료를 목적으로 유전자 또는 유전자를 도입한 세포를 사람의 체내에 투여하는 것과 표지된 유전자를 포함함
 - ‘유전자 표지’라 함은 질병의 치료법 개발을 목적으로 표지가 되는 유전자 또는 표지가 되는 유전자를 도입한 세포를 사람의 체내에 투여하는 것을 말함
 - 그 대상으로 유전자치료 임상연구는 다음의 모든 요건에 적합하여야 한다고 기술하였음
 - * 심각한 유전 질환, 암, 후천성 면역결핍증후군 기타 생명을 위협하는 질병 또는 신체의 기능을 현저하게 떨어뜨리는 질환, 유전자 치료 임상 연구에 의한 치료 효과가 현재 가능한 다른 방법에 비해 우수한 효과를 나타낼 것으로 충분히 예상되는 질환, 피험자에게 유전자 치료 임상 연구를 통해 얻을 수 있는 이익이 불이익을 상회하는 것으로 예측되는 질환

3. 국내 줄기세포 및 유전자치료제 관련 지원 정책

가. 첨단재생의료관련 법률안 발의

- 추진경과
 - 김승희 의원(10인, 2016년 5월 발의), 전해숙 의원(12인, 2016년 11월 발의) 두 국회의원이 유사한 법안으로 제정입법으로 국회 발의
 - 첨단재생의료의 지원 및 관리에 관한 법률안(김승희 의원 대표발의(의안번호 제 227호))
 - 첨단재생의료의 지원 및 안전관리에 관한 법률안(전혜숙 의원 대표발의(의안번호 제 3424호))
 - 2016년 10월 국회 보건복지위원회 법안 소위 상정 후 검토보고서 및 계류 중
- 입법목적 및 구성
 - 김승희 의원(법 제1조): 국민이 안전하고 신속한 첨단재생의료를 적용받을 수 있도록 기술 혁신과 실용화 방안 및 안전성 확보체계를 마련함으로써 첨단재생의료 발전을 통한 국민 건강 및 삶의 질 향상에 이바지함을 목적으로 함

제1장 총칙 제1조(목적) 제2조(정의) 제3조(다른 법률과의 관계) 제4조(국가의 책무)	제4장 첨단재생의료의 관리 제17조(첨단재생의료관리기관) 제18조(안전성 모니터링과 이상반응 보고) 제19조(장기추적조사) 제20조(지도·감독 등) 제21조(회수·폐기 명령 등) 제22조(시정명령) 제23조(허가취소 등) 제24조(청문) 제25조(폐업 등의 신고 및 자료이관)
제2장 기본계획의 수립 등 제5조(기본계획의 수립 등) 제6조(시행계획의 수립 등) 제7조(첨단재생의료정책심의위원회)	
제3장 첨단재생의료의 실시 및 진흥	제5장 보칙 제26조(권한의 위임·위탁) 제27조(유사 명칭의 사용 금지) 제28조(거짓·과대 광고의 금지) 제29조(비밀 누설 등의 금지)
제1절(첨단재생의료실시) 제8조(첨단재생의료실시기관) 제9조(첨단재생의료실시의 동의) 제10조(첨단재생의료실시에 대한 심의 및 승인) 제11조(첨단재생의료심의위원회) 제12조(첨단재생의료세포처리시설) 제13조(줄기세포 등의 채취)	제6장 벌칙 제30조(벌칙) 제31조(자격정지의 병과) 제32조(양벌규정) 제33조(과태료)
제2절 첨단재생의료의 진흥 제14조(첨단재생의료의 기술개발 및 산업진흥) 제15조(첨단재생의료 연구개발 투자확대 등) 제16조(첨단재생의료진흥원의 설립)	부칙

- 전해숙 의원(법 제1조): 첨단재생의료의 치료 효과를 높이고, 국민이 안전하게 적용받을 수 있도록 안전성 확보체계 및 기술 혁신과 실용화 방안을 마련함으로써 첨단재생의료 발전을 통한 국민 건강 및 삶의 질 향상에 이바지함을 목적으로 함

제1장 총칙 제1조(목적) 제2조(정의) 제3조(다른 법률과의 관계) 제4조(국가의 책무)	제4장 첨단재생의료의 안전관리 제18조(첨단재생의료안전관리기관) 제19조(안전성 모니터링과 이상반응 보고) 제20조(장기추적조사) 제21조(지도·감독 등) 제22조(회수·폐기 명령 등) 제23조(시정명령) 제24조(허가취소 등) 제25조(청문) 제26조(폐업 등의 신고 및 자료이관)
제2장 첨단재생의료의 지원 제5조(기본계획의 수립 등) 제6조(시행계획의 수립 등) 제7조(첨단재생의료정책위원회) 제8조(기술개발 및 산업진흥) 제9조(연구개발 투자확대 등) 제10조(첨단재생의료지원기관의 지정)	제5장 보칙 제27조(권한의 위임·위탁) 제28조(거짓·과대 광고의 금지) 제29조(비밀 누설 등의 금지)
제3장 첨단재생의료의 실시 제11조(첨단재생의료실시기관) 제12조(첨단재생의료실시의 동의) 제13조(첨단재생의료실시에 대한 심의 및 승인) 제14조(첨단재생의료심의위원회의 구성) 제15조(의료심의위원회의 운영) 제16조(첨단재생의료세포처리시설) 제17조(줄기세포등의 채취)	제6장 벌칙 제30조(벌칙) 제31조(자격정지의 병과) 제32조(양벌규정) 제33조(과태료)
	부칙

■ 두 법안의 주요 차이점

- 두 법안의 차이는 큰 차이점을 보이고 있지 않고, 첨단재생의료의 적용 확대를 통해 산업을 육성하고, 국민의 안전성을 확보하기 위한 체계를 마련

	김승희 의원(안)	전혜숙 의원(안)	비고
법안	첨단재생의료의 지원 및 관리에 관한 법률안	첨단재생의료의 지원 및 안전관리에 관한 법률안	
목적 (1조)	국민이 안전하고 신속한 첨단재생의료를 적용받을 수 있도록 기술 혁신과 실용화 방안 및 안전성 확보체계를 마련함으로써 첨단재생의료 발전을 통한 국민 건강 및 삶의 질 향상에 이바지	첨단재생의료의 치료 효과를 높이고, 국민이 안전하게 적용받을 수 있도록 안전성 확보체계 및 기술 혁신과 실용화 방안을 마련함으로써 첨단재생의료 발전을 통한 국민 건강 및 삶의 질 향상에 이바지함을 목적	
구성	제1장(총칙) 제2장(기본계획수립 등) 제3장(첨단재생의료의 실시 및 진흥) 제4장(첨단재생의료의 관리) 제5장(보칙) 제6장(벌칙)	제1장(총칙) 제2장(첨단재생의료의 지원) 제3장(첨단재생의료의 실시) 제4장(첨단재생의료의 안전관리) 제5장(보칙) 제6장(벌칙)	
산업 지원	제2장 기본계획의 수립 등 제5조(기본계획의 수립 등) 제6조(시행계획의 수립 등) 제7조(첨단재생의료정책심의위원회) 제3장 첨단재생의료의 실시 및 진흥 제2절 첨단재생의료의 진흥 제14조(첨단재생의료의 기술개발 및 산업진흥) 제15조(첨단재생의료 연구개발 투자확대 등) 제16조(첨단재생의료진흥원의 설립)	제2장 첨단재생의료의 지원 제5조(기본계획의 수립 등) 제6조(시행계획의 수립 등) 제7조(첨단재생의료정책위원회) 제8조(기술개발 및 산업진흥) 제9조(연구개발 투자확대 등)	제16조

- 세부적으로 두 법률안은 첨단재생의료에 관한 지원 및 관리체계를 마련하자는 기본 취지와 내용은 유사하나, 제명, 산업 진흥·지원 조직, 첨단재생의료심의위원회의 심의 및 운영체계 등 일부 내용에서 차이가 있음

주요 내용	김승희 의원(안)	전혜숙 의원(안)
첨단재생의료심 의위원회	위원 100명 이내 전문위원제도 운영	위원 20명 이내 분야별 전문위원회 설치·운영
심의 및 승인 절차	원칙: 위원회 심의 및 장관 승인 예외적으로 위험이 매우 낮은 경우 심의 또는 승인 생략	위험도(3단계)에 따라 차등심의 • 기본절차: 위원회 심의 • 저위험: 위원회 심의 생략 • 고위험: 위원회 심의 및 장관 승인
환자 등의 동의 절차	동의 철회, 법정대리인의 동의에 관 한 규정 없음	동의서에 동의 철회에 관한 사항 등 추가 법정 대리인의 동의 절차 마련
(안전)관리기관	보건복지부 소속기관 중 지정	보건복지부 별도 소속기관 설치
장기추적조사	정책위원회의 심의를 거쳐 고위험인 경우 실시 가능	의료심의위원회 심의를 거쳐 고위험인 경우 실시 의무화
첨단재생의료 진흥사업 추진	첨단재생의료진흥원 설립	첨단재생의료 진흥 사업 수행을 위한 지원 기관 지정

출처: 보건복지위원회(국회) 검토보고서(2016.12)

■ 법 제정 필요성의 찬반의견

- 재생의료에 관해서는 치료 또는 임상적용을 위한 기존의 절차와 다른 특별한 관리체계가 필요하다는 견해가 있는 반면, 현행 규제의 틀을 유지하면서 신중하게 접근할 필요
 - 법 제정에 찬성하는 견해로 재생의료는 합성의약품 등과는 달리 살아있는 세포를 대상으로 하는 의료기술(행위)이 수반되는 분야로 외국에서도 새로운 규제관리체계를 구축하여 우리나라의 첨단재생의료 기술이 세계적 수준에 이르렀음에도 불구하고 이에 대한 육성 및 지원방안에 관한 법률 제정이 늦어짐에 따라 국제적 경쟁에서 뒤쳐질 우려가 있다는 현실을 감안할 필요(한국조직재생학회, 대한의사협회 등)
 - 법 제정에 반대 또는 신중할 필요성으로 줄기세포 등을 이용한 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등은 안전성과 효과가 충분히 검증되지 않은 치료법임에도 불구하고 미지의 사항을 국민에게 적용하는 것은 국민 건강을 심각하게 위협하는 것이고, 산업 진흥을 내세우는 논리는 의료분야에서 국민의 안전을 위협하는 것이라는 점과 약사법이나 의료기기법 등 기존의 규제를 보완하는 방안도 고려할 수 있다는 점 등을 근거로 제시(건강권 실현을 위한 보건의료단체연합(이하 ‘보건의료단체연합’), 한국가톨릭생명연구소, 한국줄기세포학회, 인도주의실천의사협의회, 한국유전자세포치료학회, (주)코아시스템 등)

■ 법 제정의 국회 수석 전문의원 검토의견

- 의료기술의 안전성과 유효성에 대한 검증은 지속적인 연구와 임상적용, 치료 과정 등을 통하여 이루어질 수 있는 것일 텐데, 현재의 규제 체계에서는 재생의료분야가 그 가능성을 실현하기 매우 어렵기 때문에 일정한 조건 하에 임상적용과 치료과정을 진행할 수 있도록 하여 환자에게는 치료기회를 제공하고 기술 발전도 함께 도모하려는 것이 제정안의 취지라고 이해되고, 의료기술의 안전성 못지않게 기술 발전 또한 중요한 가치라는 점에서 긍정적
- 그러나 줄기세포 등을 이용한 치료에 대해서는 아직 알려지지 않은 위험이나 부작용의 초래 가능성이 불식되지 않고 있다는 점도 충분히 고려되어야 할 것
- 첨단재생의료실시 결과 치명적인 이상반응이나 부작용이 발생하게 될 경우에는 법률안의 제정 취지와 달리 오히려 재생의료분야 전반이 크게 위축될 가능성도 배제할 수 없으므로 실제 제도 운영과정에서는 신중한 사전 검토와 철저한 사후관리가 필요
- 재생의료에 관하여 별도의 특별법을 제정하지 않고 기존의 「약사법」 등을 개정하여 제정안의 취지를 달성할 수 있는 방법은 없는지에 대해서도 살펴볼 필요

나. 첨단바이오의약품법안 발의 안

■ 추진경과

- 정춘숙 의원(11인, 2017.8) 국회 발의
 - 첨단바이오의약품법안(정춘숙 의원 대표발의(의안번호 제8812호))
- 2017년 11월 국회 보건복지위원회 법안 소위 상정 후 검토보고서 및 계류 중

■ 입법 목적 및 구성

- 정춘숙 의원(법 제1조): 첨단바이오의약품의 품질과 안전성 및 유효성을 확보하고 제품화를 촉진 및 지원하기 위하여 필요한 사항을 규정함으로써 국민보건 향상에 이바지함을 목적

제1장 총 칙 제1조(목적) 제2조(정의) 제3조(다른 법률과의 관계)	제4장 첨단바이오의약품의 허가 지원 등 제31조(기본계획의 수립 등) 제32조(시행계획의 수립 등) 제33조(첨단바이오의약품 정책심의위원회) 제34조(첨단바이오기술 적용 품목의 분류) 제35조(첨단바이오의약품 평가에 관한 자문) 제36조(신속처리대상 지정) 제37조(신속처리) 제38조(신속처리대상 지정 등의 취소)
제2장 첨단바이오의약품의 허가 제4조(첨단바이오의약품의 제조업 허가 등) 제5조(첨단바이오의약품의 품목허가 갱신) 제6조(첨단바이오의약품의 재심사) 제7조(첨단바이오의약품의 재평가) 제8조(임상시험의 계획 승인 등) 제9조(첨단바이오의약품의 품목허가 등의 사전 검토) 제10조(첨단바이오의약품의 제조관리자) 제11조(첨단바이오의약품의 제조관리의무 등) 제12조(첨단바이오의약품의 시판 후 안전관리) 제13조(첨단바이오의약품의 생산 관리의무 및 보고) 제14조(폐업 등의 신고) 제15조(첨단바이오의약품의 수입허가 등)	제5장 감 독 제39조(보고와 검사 등) 제40조(해외제조소에 대한 현지 실사) 제41조(허가취소와 업무정지 등) 제42조(청문) 제43조(허가 등의 갱신) 제44조(과징금처분) 제45조(수수료)
제3장 첨단바이오의약품의 안전관리 제16조(인체유래세포등 관리업의 허가 등) 제17조(인체유래세포등의 채취) 제18조(인체유래세포등 관리업무의 위탁) 제19조(인체유래세포등 관리업자의 준수사항) 제20조(장기추적조사 및 투여내역 등록) 제21조(첨단바이오의약품 용기의 기재사항) 제22조(외부 포장 기재사항) 제23조(첨부 문서 기재사항) 제24조(기재상의 주의) 제25조(기재금지사항) 제26조(조직) 제27조(첨단바이오의약품 규제과학센터의 설립) 제28조(센터의 사업) 제29조(자료제공의 요청) 제30조(센터의 지도·감독 등)	제6장 보 칙 제46조(다른 법률의 준용) 제47조(권한의 위임 및 위탁) 제48조(국가비상 상황 등의 경우 예방·치료 첨단바이오의약품에 관한 특례) 제49조(유사명칭의 사용 금지) 제50조(제출된 자료의 보호) 제51조(제조업자 등의 지위 승계 등) 제52조(행정제재처분 효과의 승계)
	제7장 벌 칙 제53조(벌칙) 제54조(양벌규정) 제55조(과태료)
	부 칙

■ 제정안의 주요 내용

구 분	주 요 내 용
목 적	• 첨단바이오의약품의 품질과 안전성 및 유효성을 확보하고 제품화를 촉진 및 지원하기 위하여 필요한 사항을 규정
첨단바이오의약품 정의	• 약사법에 따른 의약품으로서 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학제제, 첨단 바이오융복합제제 또는 그 밖에 식약처장이 정하여 고시하는 의약품에 해당하는 의약품
다른 법률과의 관계	• 첨단바이오의약품의 허가 및 안전관리에 관하여 약사법의 특별법 - 의료기기법의 일부 규정 배제
첨단바이오의약품 허가	• 제조업허가, 위탁제조판매업 신고, 품목허가 및 갱신, 재심사, 재평가, 임상시험계획승인, 제조관리자, 시판 후 안전관리, 첨단바이오의약품 품목허가 등의 사전 검토 등에 관한 사항 규정
첨단바이오의약품 안전관리	• 인체유래세포 등 관리업 신설, 인체유래세포 등 채취 시 준수사항, 인체유래 세포 등 관리업자의 준수사항 등 규정 • 특정 첨단바이오의약품에 대한 장기추적조사 대상 지정 • 첨단바이오의약품 용기 및 포장 기재사항 등 • 첨단바이오의약품 규제과학센터의 설립 및 지도감독 등
첨단바이오의약품 관리체계	• 첨단바이오의약품 기본계획 및 시행계획의 수립 시행 • 첨단바이오의약품정책심의위원회 설치: 15명 이내 위원 • 첨단바이오기술 적용 품목 분류 신청 • 첨단바이오의약품의 전문적·기술적 평가를 위한 자문단 운영
첨단바이오의약품 허가지원	• 첨단바이오의약품 신속처리대상 지정, 맞춤형심사 또는 우선심사 지원, 조건부 허가 실시 등에 관한 사항 규정
감 독	• 보고와 검사, 해외제조사 현지조사 등에 관한 규정 • 허가취소와 업무정지, 과징금처분 등
보 칙	• 이 법에 규정하지 아니한 사항에 대하여 약사법 준용 • 권한의 위임 또는 위탁, 제출된 자료의 보호 등

출처: 보건복지위원회(국회) 검토보고서(2017.11)

■ 법 제정의 국회 수석 전문의원 검토의견

- 현행 「약사법」상 바이오의약품은 의약품과 동일한 관리체계를 적용받고 있기 때문에 바이오의약품의 특수성이 충분히 반영되지 않아 연구·개발에 어려움이 따르고, 첨단 융합기술이 적용된 바이오의약품 등 품목의 경계가 불분명한 제품에 대한 규제 여부가 모호하다는 지적이 제기
- “첨단바이오의약품”의 범주를 법률에 명확히 정의하고, 첨단바이오의약품의 특성을 반영하여 「약사법」에 우선 적용되는 별도의 허가 및 안전관리체계를 구축함으로써 과학기

술 발전속도에 신속·유연하게 대응하고 의약품의 안전관리 및 상용화를 지원하기 위한 것으로, 입법의 필요성이 인정

- 제정안의 내용 중 일부가 현행 「약사법」의 규범체계와 일치하여 중복규정이 있고, 허가 및 안전관리부분을 제외하고는 첨단바이오의약품이라 하더라도 현행 「약사법」을 따라야 한다는 점에서 법 적용상의 혼란이 발생할 소지가 있으므로 수범자의 불편을 최소화하기 위한 방안을 강구할 필요
- 현재 우리 위원회에는 세포치료, 유전자치료 등 첨단재생의료 기술의 사용에 관한 제도적 장치를 마련하려는 내용의 「첨단재생의료의 지원 및 관리에 관한 법률안(이하 “첨단재생의료법안”) 2건이 계류 중으로 양 법률안에서 규정한 안전관리체계가 일부 유사한 측면이 있다는 점 등을 고려할 때, 양 법률안의 내용을 면밀하게 검토하여 양 법률안간의 관계를 정비할 필요

제2절 국가별 줄기세포 및 유전자치료제 관련 R&D 지원 정책 비교

1. 줄기세포치료제 R&D 지원 정책

가. 줄기세포/재생의료 각국 R&D 투자현황

(1) 미국

- 미국의 줄기세포 연구지원은 크게 벤처캐피탈, 미국 국립보건원(NIH) 및 캘리포니아 재생의학연구지원재단(CIRM)의 연방지원 투자로 구분할 수 있음

(가) NIH

- NIH 산하 27개 단체 중 NIBIB, NIDCR, NIAMS, NIDDK, NHLBI 등을 중심으로 줄기세포연구 지원금을 보유하며 관련 연구 추진 중
 - ‘10년 재생의학센터 (Center for Regenerative Medicine, NIH-CRM)를 설립하여 연간 \$52 million(약 591억 원)를 지원 함(2014. 04 종료)
 - NIH-CRM는 유도만능줄기세포의 임상 적용을 위한 연구에 집중 투자 함
 - ‘17년 줄기세포 분야 예산은 약 \$1,570 million(약 1.76조 원)
 - ‘18년 줄기세포 분야의 예산 추정치는 \$1,660 million(약 1.86조 원)으로 지속적으로 예산 증가 추세

표 3-7 NIH의 줄기세포 연구 지원금 추이

(단위 : million \$)

Year	Human Stem Cell		Non-Human Stem Cell		Total
	Embryonic	Non-Embryonic	Embryonic	Non-Embryonic	
2014년	\$166	\$443	\$150	\$627	\$1,386
2015년	\$180	\$445	\$159	\$632	\$1,416
2016년	\$206	\$457	\$146	\$652	\$1,461
2017년	\$252	\$484	\$129	\$704	\$1,569
2018년(추정)	\$266	\$516	\$136	\$745	\$1,663

출처: NIH 웹페이지(<https://report.nih.gov/>)

(나) CIRM(California Institute for Regenerative Medicine)

- 줄기세포 치료의 가능성과 인간배아줄기세포에 대한 연방자금 지원을 기반으로 한 법안*에 근거하여 캘리포니아주에서 2004년 설립

* California Stem Cell Research and Cures Act, Proposition 71, 2004년 11월 통과

- CIRM 1.0 (2004~2014)
 - 1기 사업 총 예산은 \$3 billion(약 3,3조 원)이며, 초기단계에서는 주로 전분화능 줄기세포(배아줄기세포 등) 기초 연구에 투자
 - 2012년 이후 치료제 개발을 위한 임상연구에 집중 투자(연간 약 3,300억 원 지원)
- Alpha Stem Cell Clinic : 2013년 시작되었으며, 환자에게 안전하고, 효과적으로 접근 가능한 치료기회 제공 및 치료법을 확립하기 위한 통합 임상연구 인프라 및 지원 역할 수행(현재 20개가 넘는 임상시험 수행)
- CIRM 2.0 (2015~2020)
 - ‘15년부터 ‘20년까지 줄기세포치료제의 임상적용 및 산업화 목표로 2기 사업 추진
- 1기 사업 추진 중 진행된 프로젝트들 중에서 실패한 프로젝트의 연구비를 환수 받아 운영예산 확보 함
 - 총 \$890 million(약 9,870억 원) 예산을 줄기세포 연구에 투자 예정이며, 이중 약 50%를 임상시험에 투자 예정
 - 2016년 7월, 스크립스 연구소(Scripps Research Institute) 및 스크립스 클리닉(Scripps Clinic)은 파킨슨병 치료제 연구를 위해 California Institute for Regenerative Medicine(CIRM)으로부터 약 \$240 million을 지원을 받았음

표 3-8 CIRM 2.0 연구비 투자 계획(2015~2020년)

(단위 : million \$)

Program	2016년	2017년	2018년	2019년	2020년	Total (비율)
Education(교육)	10	10	10	10	10	50(5.6%)
Discovery(기초연구)	15	50	50	35	20	170(19.1%)
Translation(중개연구)	30	45	45	40	20	180(20.2%)
Clinical(임상시험)	90	100	100	100	50	440(49.4%)
Infrastructure(인프라)	15	15	20	0	0	50(5.6%)
Total(합계)	160	220	225	185	100	890

출처 : CIRM, CIRM Strategic Plan 2016 & Beyond, 2015.11

- 줄기세포 촉진센터(a stem cell Accelerating Center)* 건립 발표(2016. 06)
 - * 줄기세포 촉진센터(a stem cell Accelerating Center): 연구자들에게 임상시험의 성공 확률을 높이기 위한 규제 및 관리 지원과 데이터 관리 및 분석 서비스 지원
 - 키타일즈 트랜스내셔널(Quintiles Transnational Inc*)과 파트너십 체결을 통해 \$15 million(약 171억 원)을 투자받기로 승인
 - * 키타일즈 트랜스내셔널 : 미국 CRO 업체, 치료제 개발 후 임상단계를 촉진하기 위하여 CIRM 2.0에 투자를 결정
- 줄기세포 중개센터(a stem cell Translating Center)* 건립 발표(2016. 10)
 - * 줄기세포 중개센터(a stem cell Translating Center): 제조, 안전성 테스트, 및 기타 활동을 통하여 FDA의 승인을 받아 줄기세포의 임상 시험을 원활하게 실시할 수 있도록 서비스 제공
 - 키타일즈 IMS(Quintiles IMS*)과 파트너십 체결하였고, CIRM에서는 중개 센터에 \$15 million(약 171억 원)을 투자 예정
 - * Quintiles IMS Holdings, Inc.: 2016년 10월, IMS Holdings, Inc.와 Quintiles Transnational Holdings Inc의 합병으로 명칭 변경
- 줄기세포 촉진센터(a stem cell Accelerating Center)와 줄기세포 중개센터(a stem cell Translating Center)간 업무 교류 및 협력. 두 센터는 CIRM의 “Pitching Machine”으로의 역할을 하고 있음
- 줄기세포 촉진센터(a stem cell Accelerating Center)와 줄기세포 중개센터(a stem cell Translating Center)의 협력을 통하여 캘리포니아의 인프라 구축과 임상시험 (clinical trials)로의 신속한 진입을 목적으로 함

표 3-9 CIRM 1기 사업과 2기 사업 비교

	CIRM 1기 사업	CIRM 2기 사업
미션	희귀 난치성 질환자에 대한 줄기세포 치료의 촉진 (To accelerate stem cell treatments to patients with unmet medical needs)	
운영기간	2004~2014	2015~2020
운영 예산	\$ 3 billion (약 3조 4,128억 원)	\$ 890 million (약 1조 124억 원)
예산 출처	funding from state-issued bonds	설립 당시 조성된 연구자금 (\$ 3 billion) 중 잔여 예산 활용
기간	10년	5년
특이사항	- Alpha Stem Cell Clinic (줄기세포 연구, 생산, 임상, 치료)	- Accelerating Center 설립 (2016.06) - translating Center 설립 (2016.10)

출처: CIRM 홈페이지, CIRM Strategic Plan 2016 & Beyond, 2015. 11

(다) NYSCF(New York Stem Cell Foundation)

- 2005년 설립된 미국의 줄기 세포관련 비영리 연구재단
 - 줄기세포를 이용한 인류의 난치성 질환 치료 목적으로 설립
- NYSCF에서는 총 \$150 million(약 1,705억 원) 투자 진행
 - 자체 연구소 및 협력 연구기관에서 수행되는 줄기세포 연구지원 및 기초에서 임상으로 이어지는 중개연구 지원
 - 특히 차세대 연구자(postdoctoral fellow)를 대상으로 교육 지원 및 매년 성과물을 평가하여 수상(award) 지급

(라) (기타) 미국의 재생의료 관련 연구기관 및 연구비 현황

표 3-10 미국 연방 정부의 재생의료 연구 기관 및 연구비 현황(2012~2014년)

(단위 : million \$)

미국 정부 기관	재생의료 연구 수행 내용	2012년~2014년 예산
국방부 (Department of Defense)	현역 군인에 대한 사지 재생, 외상성 뇌손상, 전투 중 부상 등에 대하여 연구, 지원	252.63 (약 2,867억원)
재향군인회 (Department of Veterans Affairs)	퇴직 군인을 대상으로 사지 재생, 외상성 뇌손상, 전투 중 부상 뿐만 아니라 뇌졸중, 녹내장 등 나이가 들면서 나타나는 외상 후유증 등에 대한 연구 및 지원	40.95 (약 465억원)
국립과학재단 (National Science Foundation)	과학적 지식을 확산시키기 위한 기초 연구 진행	40.23 (약 457억원)
식품의약국 (Food and Drug Administration)	재생의료 제품 규제 및 표준 개발을 위한 안전성, 유효성 연구 수행	8.63 (약 98억원)
에너지부 핵안보실 (National Nuclear Security Administration)	새로운 장비, 기술 컨셉, 과학적 아이디어 구상 및 실현을 위한 R&D 수행	4.81 (약 55억원)
미국표준기술연구소 (National Institute of Standards and Technology)	재생의료 제품의 상업화가 가능하도록 기본 물질, 표준 기법 등을 측정 및 개발	2.39 (약 27억원)

출처 : US GAO-15-553, Regenerative Medicine, 2015. 06.

(2) 영국

(가) 재생의료 분야의 영국의 전략 강화 보고서(Building on our own potential: a UK pathway for regenerative medicine, 2015. 03, RMEG*) 발표

* RMEG(Regenerative Medicine Expert Group): 2013년 영국 상원 과학기술위원회가 재생의료 관련 전략 및 실행계획 수립을 위해 설립한 의사, 제약회사, 학계, 정부 관료로 구성된 전문가 그룹

- 재생의료 공급전략 실행을 위한 제언, 건강보건 분야의 혁신적 방안의 채택, 확산을 위한 추가적 조치, 영국을 재생의료 분야 선두 전략 제시 등

(나) Innovate UK : 영국기술전략위원회

- ‘15년 7월, 재생의료 및 세포 치료 분야에 프로젝트 개발과 상업화 목적으로 £8 million 지원을 발표
 - Innovate UK는 인체 세포 · 조직 · 장기의 정상 기능 복구를 대체하거나 재생시키기 위한 혁신적 의학 치료 지원
- 임상과 상업화가 가능한 치료제 개발 및 제조와 관련된 프로젝트(2년~3년)를 선정하여 예산 지원

(다) UK Regenerative Medicine Platform(UKRMP) : 영국 재생의료 플랫폼

- 2013년 설립된 UKRMP는 BBSRC(Biotechnology and Biological Sciences Research Council), EPSRC(Engineering and Physical Science Research Council), MRC(Medical Research Council)의 후원을 통해 £25 million 를 투자하여 협력, 중개연구 및 융합 프로그램을 구성/운영
 - 제품 개발을 통해 궁극적으로 환자에게 도움이 될 수 있는 연구자 지원 전략을 수립함
- 총 5개의 Hub와 5개의 질병 특화된 프로젝트에 지원
 - 5개의 허브는 기초 과학 발견과 치료제 개발을 통한 시장 진입 및 재생의료 분야의 새로운 기술 발전을 촉진하고자 하는 목적을 가짐

표 3-11

UKRMP 5 Hubs 리스트

5 Hubs	내용
Theme 1	Cell behaviour, differentiation and manufacturing Hub
Theme 2	Engineering and exploiting the stem cell niche Hub
Theme 3	Safety and efficacy, focussing on imaging technologies Hub
Theme 4	Acellular approaches for therapeutic delivery Hub
Theme 5	Immunomodulation Hub

출처 : UKRMP Annual Report 2016

- 5개의 질병 특화된 프로젝트는 2014년부터 5개의 허브를 지원하기 위한 목표로 중개 연구를 통한 임상 개발 단계에서 수행되고 있음
 - 연구되고 있는 질환은 파킨슨병, 건성 황반변성, 간 질환, 연골 결손, 퇴행성 관절염, 뼈 골절 치료를 위한 뼈 재생 연구임

(라) Cell & Gene Therapy Catapult

- 기초연구와 상업화를 연결함으로써 영국의 세포/유전자치료제 산업 성장 촉진을 목적으로 2012년 5월에 설립

- 최근 Cell & Gene Therapy Catapult는 Cell and Gene GMP Manufacturing 센터를 공식적으로 개장하였고 이를 통해 영국을 기반으로 하는 세계 최초의 첨단치료진료센터(Advanced Therapies Treatment Center, ATTC)로 구성된 네트워크를 제공할 예정이다('18. 04)

표 3-12

The Cell and Gene Therapy Catapult Turnover & Capital funding ('18. 03 기준)

(단위 : £'000)

Turnover	2018년	2017년
Innovate UK core revenue grant funding	12,580	14,116
Collaborative research and development and other grant income	4,825	2,336
Commercial income	3,660	1,573
Capital funding	2018년	2017년
Innovate UK capital grant funding	5,851	24,931

출처 : Cell Therapy Catapult Annual Review 2018, 2018. 03

- 최근 Cell Therapy Catapult에서는 유전자 연구에 대한 중요성을 파악하고 '16년 2월 명칭(Gene 추가 :Cell and Gene Therapy Catapult)을 변경
- 2014년 런던에 1,200m² 규모의 실험실 및 사무실 공간인 Guys Hospital을 건립하여 임상 및 프로세스 개발뿐만 아니라 의료 경제학까지 다루는 120명 이상의 연구원이 근무하고 있음
- 2017년 Stevenage에 £55 million(약 820억 원) 투자하여 7,200m² 규모의 Cell and Gene GMP Manufacturing 센터를 건립하였음
 - 지리적으로 국제공항과도 가까운 지역에 위치해 있어 개발 시설로부터 세포의 국제적인 운송 가능

(마) 민간

- 2014년 6월, 영국 DefiniGEN Ltd.는 줄기세포치료제 사업 확장을 위해 Providence Investment Company, Cambridge Capital Group, Wren Capital 및 Ranworth Capital으로부터 380만 달러를 지원 받았음

(3) 캐나다

(가) 캐나다 정부, 줄기세포 연구에 \$9 million(약 106억 원) 지원 (2016. 11.)

- 캐나다 정부는 줄기세포 관련 프로젝트와 임상시험을 위하여 2016년에 배정된 예산 \$12 million(약 141억 원) 외에 추가로 \$9 million(약 106억 원)을 지원함

- 2016년 1월 캐나다 정부는 2,000만 달러를 지원하여 캐나다 토론토에 줄기세포치료제 개발 시설을 설립하였음

(나) CCRM(Center for Commercialization of Regenerative Medicine)

- 캐나다의 재생의료분야에 대해 연구에서 상업화에 이르는 시간을 단축시키기 위한 기술 개발, 기업 창업 및 임상지원 등 상업화 연계 지원 역할 수행
 - 2011년 6월 설립된 기관으로, 2010년 캐나다 NCE(Networks of Centres of Excellence)에서 \$15 million(약 170억 원, 2011-2017) 지원받음

- 토론토 대학교 (University of Toronto)의 'Medicine by Design'* 프로그램에 상업화 파트너로서 참여 중('15. 07)

* Medicine by Design 프로그램 : 환자치료를 위한 재생의료 영향력을 가속화하고 연구 결과물들을 경제적 이익으로 연결하고, CCRM과의 파트너십을 통하여 최첨단 기술을 글로벌 시장에 진입시킬 수 있는 줄기세포연구 허브 구축을 위해 총 \$114million(1,262억) 투자 진행

- '15년 재생의료분야 45개의 기업이 포함된 산업 컨소시엄을 구축
 - 컨소시엄 내에는 캐나다의 STEMCELL Technologies사와 그 외 다국적 기업인 GE Healthcare, Pfizer, Lonza들을 포함
 - 각 산업체들과 12건의 공동개발 파트너십 체결
 - 최근 '16년 01월 \$20 million(약 227억 원)을 AMF(Advanced Manufacturing Fund*)에 의해 지원받아 2018년 12월까지 Manufacturing 센터 건립 예정
 - * AMF (Advanced Manufacturing Fund) : Canadian Centre for Advanced Therapeutic Cell Technologies 프로젝트의 일환으로 전체 예산은 약 \$ 43.8million(약 498억 원) 임

- GE Healthcare 및 Invetech 등 다른 산업계 파트너들과 재생의료 기술의 상용화를 위한 manufacturing 관련 협력 진행

(다) SCN(Stem Cell Network)

- 캐나다 연방정부의 지원을 받으며 2001년 설립하여 2017년 말까지 200여개의 기술이전, \$100 million의 연구비, 18개의 임상연구, 2,500여명의 전문가 양성 교육 등을 지원하고 있음
 - 2017년에는 \$29 million을 투자하여 25건의 연구프로젝트와 6건의 임상시험 지원을 완료하였음

표 3-13

Stem Cell Network statement of revenue and expenditures

(단위 : \$)

Revenue	2018년	2017년
Innovation, Science and Economic Development Canada Grant	6,135,878	5,777,118
Networks of Centres of Excellence Grant	—	696,163
Annual conference sponsorship and registration	279,048	147,950
Contributed services in-kind	71,342	66,000
Interest	8,105	15,392
Expenditures	2018년	2017년
Administration and general support	467,380	651,669
Amortization	4,532	2,712
Annual conference	582,393	399,294
Business development	13,743	45,823
Communication and outreach	410,028	388,554
Research	4,560,386	5,000,024
SCN board and committees	45,698	39,406
Training program	120,342	71,139
Workshops	76,493	58,777

출처 : SCN Annual Report 2017/18

(라) 기타

- 2013년 11월 캐나다 국립 연구위원회 (National Research Council of Canada)는 캐나다 산업연구 지원 프로그램(NRC-IRAP)의 일환으로 줄기세포 분리기술 개발을 위해 STEM CELL Technologies Inc.에 150만 달러를 지원하여 HIV 및 기타 전염병 치료제 연구에 기여하였음

(4) 일본

(가) 일본의 정책적 변화

- 교토대학교 야마나가 신야 교수의 iPSC 노벨의학상 수상과 함께 재생의료 산업의 리더십 확보 및 재생의료의 실용화에 대응 전략 수립
- 재생의료 등 안전성 확보법('14년 11월 시행) 제정 및 약사법 개정('14년 11월 시행)
 - 재생의료의 연구개발부터 실용화까지 종합적 정책을 추진 및 실용화를 추진하기 위해 관련 제도 정비
 - 재생의료 등 제품의 특성에 따라 조기승인제도, 시판후 안전 대책에 대한 기준 및 재생의료 등의 제공기관 및 세포배양 가공시설에 대한 기준 신설 등

(나) AMED(Japan Agency for Medical Research and Development), 일본의료연구개발기구

- 재생의료를 포함한 일본 생명과학 분야의 예산을 통합하여 운영 및 집행하기 위해 ‘15년 4월 신설

* AMED : 의료분야 연구개발의 기초부터 실용화까지 단계를 일관되게 추진하기 위해 연구개발 성과의 실용화 및 의료분야 환경 정비를 체계적이고 효과적으로 실시하기 위한 종합적 R&D 전략 지원 기관

- ‘15년 총 예산은 ¥1,431억(약 1조 5,541억 원)이며, 의료분야 총 9개 프로젝트 운영
 - 연구개발에 관련된 문무과학성, 후생노동성, 경제산업성의 예산을 통합하여 연구자 및 기업에 배분
 - 예산통합을 통해 부처 간 설비 및 인력을 공유함으로써 효율적이고 집중적인 재정지원 및 관리 가능
- 줄기세포 · 재생의료 분야에도 집중 투자
 - 재생의료 실현화 하이웨이 구상 프로젝트에 총 ¥148억(약 1,607억 원)을 투자
 - 바이오 뱅크 구축, 유전체, 게놈 의료 실현을 위한 임상연구 추진 및 실용화 추진 등 다양한 부분에서 R&D 추진 중

표 3-14 AMED 주요 프로젝트별 연구비 현황

(단위 : 억 ¥)

프로젝트		AMED 대상 경비	In House 연구기관 경비	총비용	개요
의약품 · 의료 기기 분야	의약품 창출	245	52	298	• 신약창출을 위한 지원기능 강화 도모 및 혁신적 의약품 등의 개발 추진
	의료기기 개발	180	0	180	• 의료 니즈 대응 의료기기 • 개발 및 그 지원체제 정비
임상연구 · 시험	* 혁신적 의료기술 창출 거점 프로젝트	133	0	133	• 기초연구단계부터 실용화까지 지속적 으로 실시할 수 있는 거점 마련 • 혁신적 의료기술의 실용화 촉진
세계 최첨단 의료 실현을 위한 시책	* 재생의료 실현화 하이웨이 구상	148	0	148	• 임상연구단계로의 이행 및 재생의료 제품개발 촉진
	게놈의료 실현 화 프로젝트	73	20	93	• 임상응용 증대 및 바이오뱅크 · 재팬과 • 국립 고도전문의료 연구센터 등 과 공 동연구 추진
질병영역별 시책 등	* Cancer, 뇌, 신종 감염병, 난치 질환 등	410	17	427	• 각 질환별 극복 전략 수립 등

*재생의료 관련 프로젝트 ※출처 : 일본 정부의 2015년 바이오분야 예산 현황, BiolNwatch, 2015. 11. 생명공학정책연구센터

(다) 기타 일본의 정부 투자 현황

- 교토대를 중심으로 유도만능줄기세포(iPSc)연구를 활성화하기 위해 ‘4대 연구거점’ 기관 선정
 - 4대 거점기관에 총 ¥439억(약 4,829억 원)을 투자하여 iPS분야에서 성과 기대
- 그 밖에 일본정부는 ‘17년 재생의료 개발센터 설립 계획 발표(‘15. 06)
 - 재생의료 사업화 TF를 구성하여 일본과 해외의 10개 기업*중심으로 가와사키시에 설립 진행 중
 - * 해당 기업 : Fujifilm, Astellas Pharma, Janssen Pharma, Regience, Rohto Pharmaceutical, Cell Seed, Wako Pure Chemical, Takara Bio, Tella, MediNet
 - 재생의료 연구개발과 상업화를 이끌기 위해 해외 바이오기업을 유치해 전문지식을 확장하고 세포 배양과 생산·제조 관리의 국제 표준화 추진 예정
- 문무과학성, iPSc 신약 개발 본격화
 - 2017년부터 6년간 약 ¥60억(약 607억 원)을 투자(2016. 12.)
 - 연구 거점 1건마다 ¥ 수천만~¥ 1억 투자 및 구체적인 연구 과제도 1건당 ¥ 수천만 지원 예정
 - 기존 사업이 고품질의 안전한 iPSc를 “만드는” 기술 개발이었다면, 이번 지원을 통하여 iPSc를 “사용” 하는 것에 초점을 맞추었음
 - 제약회사가 신약 개발시 기초가 될 수 있는 연구를 적극 지원할 계획

(5) 중국

(가) 중국의 줄기세포 임상 시험의 규제 현황

- ‘11년 12월 26일, 중국 내 모든 줄기세포 임상 연구가 중단되었음
- 줄기세포의 임상 연구 방안(Stem Cell Clinical Research Regulation) 제정
 - ‘12년부터 ‘15년까지 수차례의 협의를 거쳐 수정 작업을 진행하였음
 - ‘15년 7월 20일 발표되었으며, 2015년 8월 21일 언론(CCTV)에 공개됨
- 줄기세포치료제 품질 관리 및 전임상 연구 가이드라인(Stem Cell Product Quality Control and Pre-clinical Research guideline)
 - ‘12년부터 ‘15년까지 많은 개정 작업을 거침
 - ‘15년 8월 21일 중국 국가식품의약품감독관리총국(China Food and Drug Administration, cFDA)에서 가이드라인을 공식 배포함
- 2016년 줄기세포 정책의 흐름
 - 4월, 국가 법규, 윤리, 기술 위원회(National Regulation/Ethical/Scientific Committee)가 설립
 - 5월, 중국 내 30개 병원이 전임상 연구 수행을 허가받음
 - 7월, 중국 국가식품의약품감독관리총국(cFDA)에서 줄기세포 임상연구 교육 세션을 개최하였음

(나) 중국 정부의 R&D 지원 현황

- ‘15년 11월 국가과학정보시스템 플랫폼(National Science and Technology Information System, Public Service Platform)을 구축
 - 모든 임상연구 데이터 및 결과를 정부에서 관리하는 목적을 가짐
- ‘16년에는 15개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.5 billion 圓(약 826억 원)을 투입함
- ‘17년에는 17개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.6 billion 圓(약 991억 원)을 투입할 예정
 - 또한 다음의 항목에 대하여 중점적으로 지원한다고 발표(2016년 8월)
 - pluripotent stem cell의 확립과 유지
 - tissue stem cell의 확보, 기능과 규제
 - 줄기세포의 분화
 - 줄기세포의 이식 후 생체 기능의 설정 및 조정
 - 조직의 기능적 재설정
 - 동물 모델을 사용한 줄기세포의 전 임상 단계 평가
 - 줄기세포 임상 연구
- 제13차 5개년 국가 기술혁신 계획(The 13th Five-year National technology Innovation Plan) 발표(2016년 7월)
 - 제13차 5개년 국가 기술혁신 계획의 주요 분야는 유전자 편집, 면역치료, 세포 치료, 줄기세포 및 재생의료, 3D 바이오 프린팅 분야로 구분됨

나. 국내 정부 R&D 투자현황

(1) 미래핵심기술 및 차세대 성장 동력으로서 중요성이 부각됨

- 줄기세포 · 재생의료 및 유전자치료 분야는 미래 핵심기술 및 차세대 성장 동력으로서 중요성이 부각되며 지속적으로 정부의 R&D 투자가 이루어지고 있음

그림 3-2 연도별 줄기세포 국가 R&D 투자 동향(2005~2015, 단위: 억원)

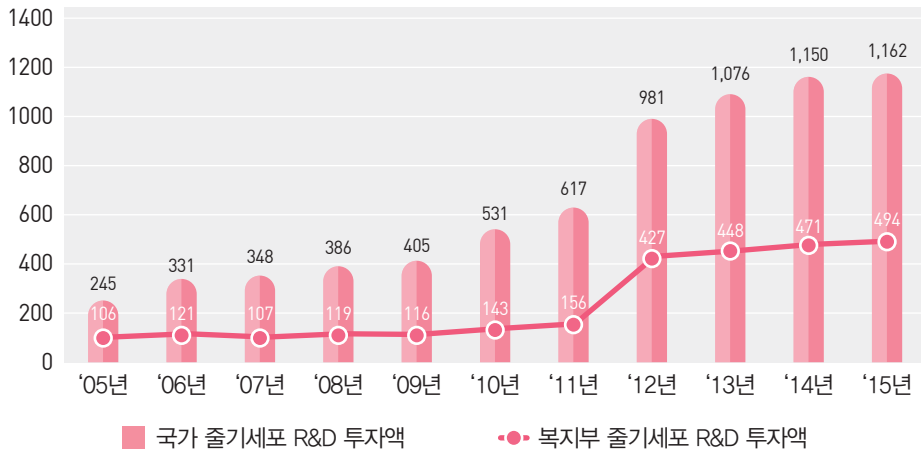


표 3-15 부처별 줄기세포 R&D 투자 현황(2005~2015)

(단위: 억 원)

부처	05년	06년	07년	08년	09년	10년	11년	12년	13년	14년	15년	총계
미래창조과학부								426	457	450	489	1,822
교과부*	110	185	218	218	223	327	399	59	76	90	79	1,983
복지부	106	121	107	119	116	143	156	427	448	471	494	2,708
식약처									22	21	24	67
농림부	4	6	17	26	28	33	35	55	57	64	51	376
지경부**	25	19	6	23	38	28	28	14	16	11	24	232
합계	245	331	348	386	405	531	617	991	1,076	1,150	1,162	7,121

* '12년 이후 교육부

** '12년 이후 산업통상자원부

출처: 각 연도별 줄기세포 시행계획(2006~2015)

- 국내 줄기세포분야 R&D 투자는 2000년부터 시작되었으며, 2012년 전년대비 37% (364억 ↑) 증가하며 투자확대 이후 '12년~'15년까지 일정한 투자 금액 유지

(2) 2000년대 정부 투자 동향

- 2002년 프론티어사업(세포응용사업단), 2004년 기능성세포치료제센터(성체 줄기세포 연구)를 시작으로 정부 중심의 줄기세포분야 연구 초기단계 지원
- 2005년 서울대 황우석 교수의 논문사건으로 국내 배아줄기세포 연구에 큰 영향을 미쳤지만 정부지원은 지속

- 이후 줄기세포 분야의 R&D 투자 효율화를 위한 관계부처 간의 협력 촉구
 - 2006년 범부처적 종합계획 수립 계획 및 줄기세포연구시행계획(~2015년)을 발표
 - 2006년 5월 줄기세포연구 종합추진계획('07~'15) 수립
 - 2009년 7월 줄기세포 연구 활성화 방안(33) 마련(국가과학기술위원회)

(3) 2010년 이후 정부 투자 동향

- 2011년 하티셀그램-AMI의 출시 이후 기술경쟁력 확보를 위한 정부 예산 증액
 - 2011년 601억 원 → 2012년 1,004억 원으로 67.1% 증가
 - 2011년 세계 최초 식약처 인허가를 득한 줄기세포치료제 출시로 인해 과학기술이 아닌 '산업'으로 육성하기 위한 정부 의지 강화
 - 또한 주요 선진국의 전략적 대규모 R&D 투자 및 정책지원으로 인해 국내와의 기술격차 심화 우려로 인한 투자 강화
 - 줄기세포연구 종합추진계획('07~'15), 3단계('12~'15)예산 증액 반영
 - 2012년 1월 줄기세포 R&D 투자효율화 방안 수립(국가과학기술위원회)
- '15년 줄기세포 분야에 대해 정부 투자 금액은 총 1,162억 원 임
 - 복지부(약 494억 원, 42.6%), 미래부(약 489억 원, 42.1%) 순으로 나타나고 있음
- '16년, 줄기세포연구 종합추진계획('06~'15) 종료에 따라 급변하는 글로벌 환경변화에 따른 새로운 줄기세포 활성화 전략 필요
 - 미래 먹거리 산업으로서 글로벌 경쟁에 대비할 수 있는 정책 및 제도적 지원 시급
 - 글로벌 줄기세포 · 재생의료 분야 투자 패러다임 전환에 따른 투자인식 전환 필요

2. 유전자치료제 R&D 지원 정책

- 1999년 미국 펜실베이니아 대학에서 아데노바이러스를 이용한 유전자치료 임상시험 자원이 치료받은 도중 사망사고가 발생함에 따라 이후 미국을 비롯한 주요국 정부 차원의 지원은 단절됨
- 이에 따라 유전자치료제 연구개발에 대한 주요국 정책은 찾아내기 힘든 상황이었으나, 최근 유전자 가위기술의 등장으로 인해 유전자치료제의 연구개발이 다시 살아나면서 정부 보다는 민간 차원에서 연구개발에 대한 투자가 활발해지는 분야로 판단됨

가. 정부 지원 정책

- 미국 NIH는 2013년 유전자치료 분야에 2.4억 달러(약 2,800억 원)의 연구비를 투자하고 있으며, 이는 전체 NIH의 연구사업 규모의 ~1.5%를 차지

- 미국 NIH 산하 국립안연구소(National Eye Institute) 지원을 받은 연구를 통해 유전자치료로 후기 색소성 망막염을 가진 개의 시력을 보존
- 펜실베이니아 대학과 플로리다 대학의 공동연구팀은 눈에서 상당한 정도로 세포가 소실된 후*에도 유전자치료가 적용 가능하다는 점을 최초로 규명

* 지금까지의 동물실험에 따르면 이러한 안과질환의 유전자치료는 질환의 초기 단계에서만 효과가 있는 것으로 알려짐

- 일본 정부, 독자적인 유전자가위 기술 개발에 향후 5년간 총 85억 엔(약 900억 원) 투입 계획(~2020년)
 - 그러나 유전자치료제 개발을 위한 유전자 가위기술 보다는 그간 축적된 연구성과를 기반으로 식물이나 미생물의 유전자 조작으로 의약품이나 향료의 원료 등을 효율적으로 대량 생산할 수 있는 게놈 편집기술을 개발할 예정
- 국내 정부의 유전자치료제 연구개발 투자는 2014년 기준 59억 원으로 조사(2014년, NTIS 과제 대상 조사)
 - 부처별 : 복지부 30억, 미래부 19억, 교육부 5억 등
 - 연구사업별 : 복지부 첨단의료기술개발사업 16억, 미래부 바이오·의료기술개발사업 9억, 복지부 질환극복기술개발사업 8억 등
- 국내에서는 지난 2015년 3월 '바이오헬스 미래 新산업 육성 전략 - 바이오 미래전략 I(바이오의약품)'을 통해 유전자치료제 중점 육성에 대해서 발표
 - 유전체 분석-진단 위주의 기존 사업과 치료제품 개발 목적의 부처협력 사업을 연계하여 글로벌 출시 가능한 유전자치료제 기술개발 지원
- 국내 연구진의 유전자 가위기술 경쟁력 확보
 - 유전자 가위는 1996년 1세대 징크핑거뉴클레이스(ZFN), 2011년 2세대 탈렌(TALEN)을 거쳐 2013년 크리스퍼로 발전 중이며, 서울대 김진수 교수는 1994년 ZFN 연구에 합류한 후 지금까지 유전자 가위 연구를 통해 우수성과 발표
 - ※ 네이처 바이오테크놀로지(Nature Biotechnology) 등 글로벌 빅 저널에 연구성과 발표

나. 민간 지원 정책

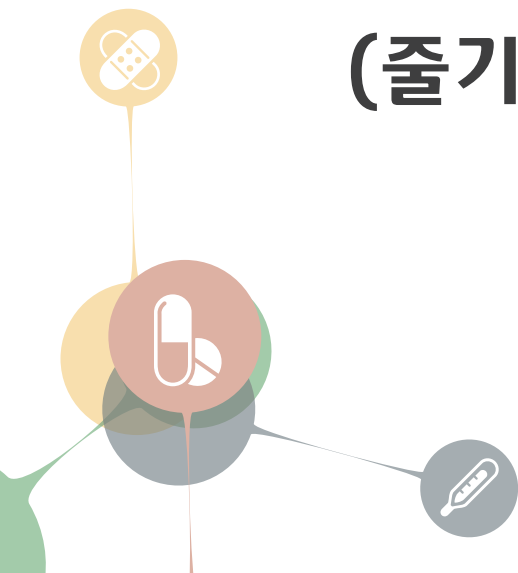
- 화이자는 유전자치료제 개발에 관심을 보이며, 관련 제품 개발을 위한 투자를 시작
 - 화이자는 영국 전문가들이 이끄는 유전자치료 플랫폼을 설립했으며, 미국의 스파크 테라퓨틱스와 혈우병 치료제 개발 계약을 체결
 - 스파크 테라퓨틱스는 2015년 상반기 B형 혈우병에 대한 초기 임상시험을 시작할 예정
 - 스파크 테라퓨틱스는 1상 및 2상 임상시험을 담당하고, 화이자는 후기 임상시험과 치료제 승인 및 상업화를 담당할 예정

- 화이자는 스파크 테라퓨틱스에 2,000만 달러의 계약금을 지불했으며, 향후 성공에 따라 2억 6,000만 달러를 추가로 지급할 계획
- 아울러, 스파크 테라퓨틱스는 유전성 망막질환 환자 대상으로 유전자 치료를 실시하여 시력이 개선되는 효과를 보았음. 이외에도 안과 질환에서 유전자치료제가 효과를 보인 사례 다수 있음
- 노바티스(Novartis)는 신약개발 임상시험에 사용하기 위해 CRISPR-Cas 유전자 가위 기술 개발 업체에 1,500만 달러 투자
 - 계약한 업체는 CRISPR-Cas 기술을 개발 중인 인텔리아 테라퓨틱스(Intellia Therapeutics)
 - CRISPR-Cas는 높은 효율성과 정확성의 유전자 편집기술로써 결함이 있는 특정 유전자 편집 및 교체 가능
 - 노바티스는 CRISPR-Cas 기술 투자로 유전자치료제 개발이 가속화될 것으로 전망
 - 환자의 세포를 얻어 질병원인 유전자를 교정한 뒤 환자에게 재주입하는 방식 집중
 - 향후 혈액질환 약물, 의약품 단백질 생산, CAR-T 세포, 체크포인트 저해제 등 개발 계획
- 빌 게이츠와 깊은 연관이 있는 비앤지오(BngO)사는 구글 벤처스 등 13개 업체와 공동으로 미국 에디타스 메디슨(Editas Medicines)에 1.2억 달러(약 1,400억 원)를 투자하기로 결정
 - 2013년 11월 설립된 에디타스 메디슨은 CRISPR-Cas9 크리스퍼 유전자 가위기술을 보유한 벤처기업
- 항암 면역치료제 개발업체인 주노 테라퓨틱스 (Juno Therapeutics)는 에디타스 메디슨과 협력을 체결
 - 2,000만 달러(약 220억원)를 선지원하고 향후 5년간 연구개발 비용으로 2,200만 달러(약 250억 원)를 추가 지원할 예정
- 셀젠(Celgene)을 포함한 투자자들은 크리스퍼 테라퓨틱스(CRISPR Therapeutics)에 2015년 4월 6,400만 달러(약 670억 원)를 투자
- 국내기업의 유전자치료제 개발은 활발한 편이며, 미국 NIH에 등록된 임상시험 기준으로 총 139건의 유전자치료제 임상 시험이 완료되었거나 진행 중임
 - 바이로메드, 신라젠, 제넥신, 코오롱생명과학 등에서 종양, 심혈관질환, 퇴행성질환 등 다양한 질환을 표적으로 치료제 개발 진행 중



제4장

국내외 임상·인허가 성공사례 및 성공·저해 요인 분석 (줄기세포 및 유전자치료제)



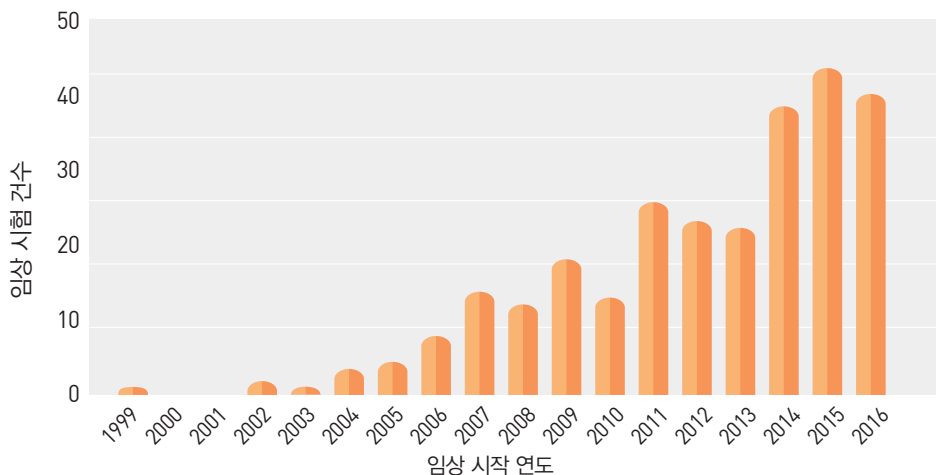
제1절 국내외 임상 시험 현황

1. 줄기세포치료제 임상 시험 현황

가. 국제적 상업 임상연구 추이

- 1999년 최초로 기업체 주도의 임상연구가 시작된 이래, 2016년에 새롭게 등록된 47건의 임상을 포함하여, 2016년 12월 31일까지 총 314건의 상업적 임상연구가 진행되었거나, 진행 중이거나, 수행이 예정되어 있는 것으로 확인되었음
- 연도별로 상업적 임상연구 건수를 분석한 결과, 2006년부터 연간 신규 임상이 10여건 내외로 본격적인 상업적 임상연구가 시작되었으며 2011년까지 꾸준한 증가를 보였음
- 2011년에 정점을 이룬 이후 2012년~2013년에 걸쳐서 다소 둔화된 양상을 보였으나, 2014년 한 해 동안 45건, 2015년 한 해 동안 51건이 새롭게 등록된 데에 이어, 2016년에도 47건의 임상이 새롭게 등록된 것으로 나타남

그림 4-1 줄기세포치료제 연도별 임상연구 개발 추이



출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19

나. 국가별 임상연구 현황

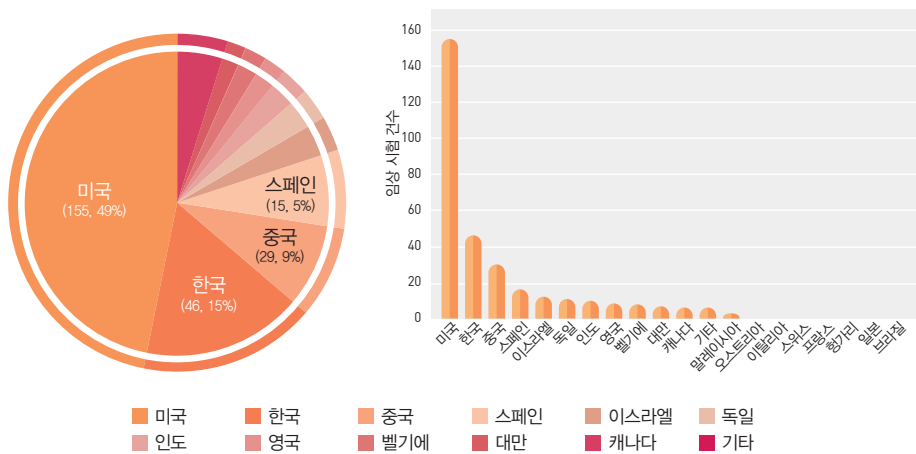
- 1999년부터 2016년 사이에 수행된 총 분석대상 임상 314건 중 한국은 총 46건을 등록하여, 155건을 등록한 미국에 이어 세계 2번째로 많은 임상을 실시한 것으로 확인되었음
- 1999년부터 2016년까지 실시된 314건 중 미국은 49%로 가장 높은 비중을 차지하였으며, 한국이 15%, 중국이 9%로 나타남

표 4-1 줄기세포치료제 국가별 임상연구 수행 현황(1999~2016년, 누계)

개발국 (건수)	미국	한국	중국	스페인	이스라엘	독일	인도	벨기에	영국	대만	기타
	155	46	29	15	11	10	9	7	7	6	16

출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19.

그림 4-2 줄기세포치료제 2016년 국가별 임상연구 수행 현황(1999~2016년, 누계)



출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19

- 1999년부터 2016년 사이에 수행된 총 분석대상 임상 314건 중 2016년 한 해 동안 47건의 임상이 새롭게 등록되었음
- 2016년에 미국은 23건으로 가장 많은 신규 임상을 등록하였으며, 중국은 8건, 한국은 5건을 신규로 등록하였음
- 미국, 한국, 중국에 이어 대만이 3건의 임상을 신규로 등록하며 급부상 하였음

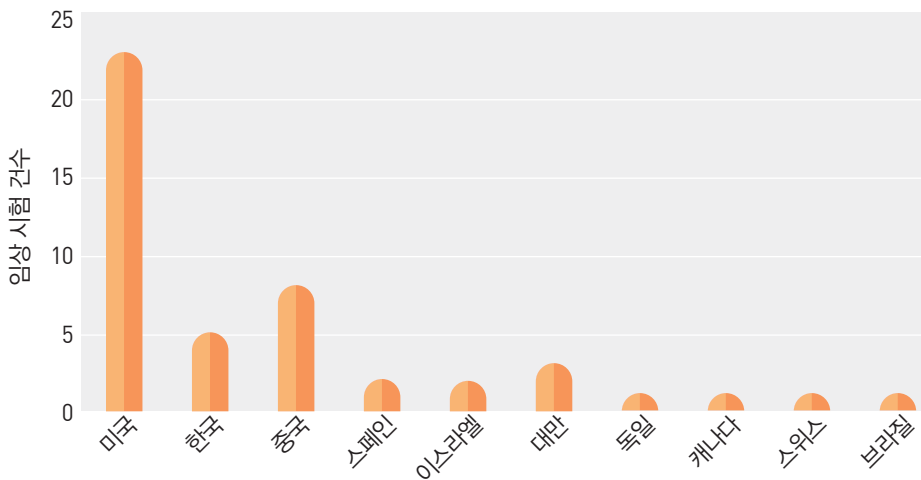
- 스페인과 이스라엘도 각각 2건의 임상을 추가하면서, 중국에 이어 세계 4번째와 5번째로 가장 많은 상업적 임상연구를 실시한 국가로서의 위치를 유지하였음

표 4-2 줄기세포치료제 2016년 국가별 신규 임상연구 현황

개발국 (건수)	미국	한국	중국	스페인	이스라엘	대만	독일	캐나다	스위스	브라질
	23	5	8	2	2	3	1	1	1	1

출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19.

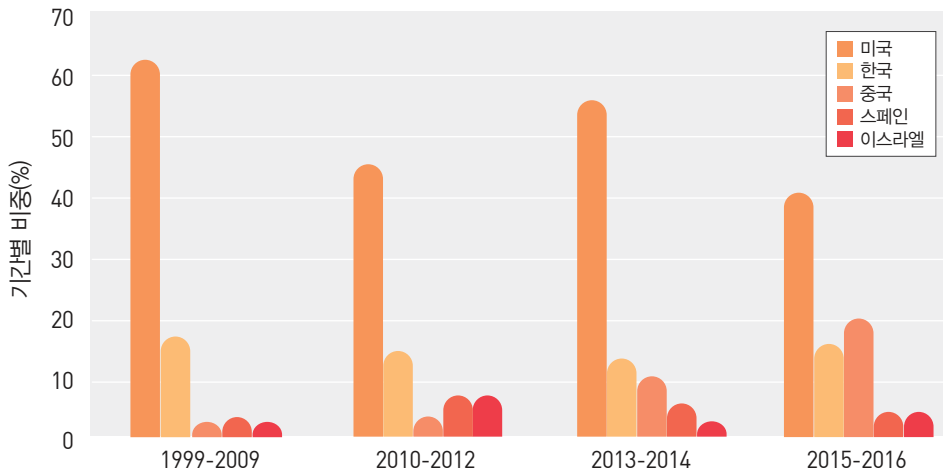
그림 4-3 줄기세포치료제 2016년 국가별 신규 임상연구 현황



출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19

- 2016년에는 스위스와 브라질이 최초로 상업용 임상연구를 1건씩 추가하면서 상업 임상 개발국에 진입하였음
- 1999년부터 2016년까지 임상개발 시기를 총 4개 기간으로 구분하고, 각 기간별 상위 4대 임상 개발국가의 비중 변화를 분석하였음
 - 미국은 임상 연구 초창기에는 전체 임상의 60% 이상을 차지하고 있었으나 최근 2년간 신규로 등록된 임상연구들 중 비율은 40%까지 낮아졌음
 - 한국은 2007년도부터 꾸준히 임상연구를 증가시켜온 결과 전 기간에 걸쳐서 15%를 전후하는 비중을 지속적으로 유지하고 있는 것으로 확인되었음

그림 4-4 줄기세포치료제 기간별 임상 점유율 변화



출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19

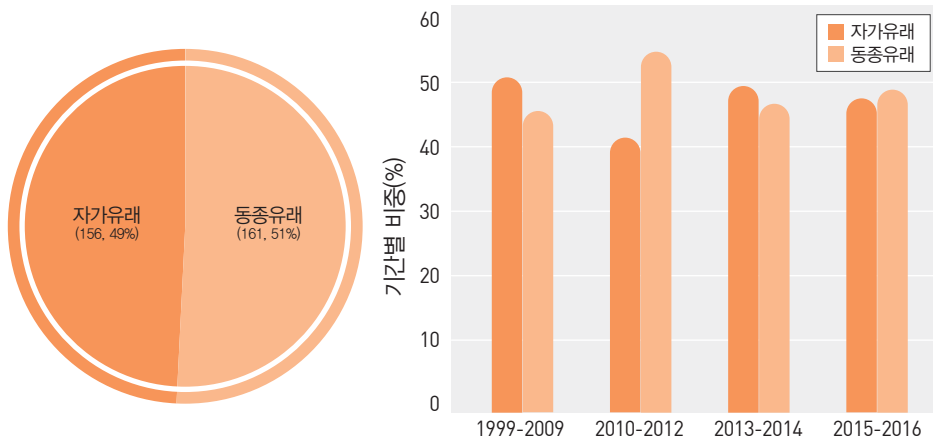
- 중국은 2009년부터 상업적 임상개발을 시작하여 지속적으로 늘려온 결과 최근 2년간 신규 등록 임상연구의 비율은 약 20%로 한국을 앞지른 것으로 나타났음
- 스페인과 이스라엘은 2010~2012년 사이 급격히 증가한 이후 매년 비슷한 수의 임상연구를 추가하여 5% 전후의 비율을 유지하고 있음
- 상업임상 개발초기에는 미국이 절대 우위에 있었으나, 한국과 중국의 지속적인 증가세와 기타 국가들의 꾸준한 증가로 인하여 미국의 임상점유율은 개발 초기에 비해 절반 수준까지 감소하였음
- 다만, 본 자료의 분석에 있어서 분석 대상 임상연구가 허가당국으로부터 제품개발용 임상시험계획(IND) 승인을 받았는지 여부를 확인할 수 없는 상태이기 때문에, 한국을 제외한 다른 나라의 경우 실제로 적법하게 허가당국의 승인을 받고 진행하는 임상연구의 수는 본 보고서에 분석된 것보다 더 적을 가능성이 높음. 미국의 경우 FDA에서 높은 수준의 제도를 운용하고 있기는 하지만, 별도의 자료 조사 및 문헌 조사에 따르면 FDA의 승인을 받지 않고 임상 또는 시판까지 하는 사례가 상당한 것으로 확인되고 있음. 뿐만 아니라 중국의 경우에도 관계 당국의 비공식 확인에 따르면 허가당국 승인을 받은 임상시험은 실제로 10개를 넘지 못하는 것으로 전해지고 있어, 분석에 포함된 모든 임상이 식약처 승인을 받은 한국은 실제 국제 경쟁력에 있어서 분석에서 나타난 것보다 더 높은 가능성이 있음

다. 세포기원·종류·원료별 임상연구 현황

- 세포 공여자를 기준으로 자가유래(autologous)와 동종유래(allogenic)로 구분하여 분석을 실시하였음

그림 4-5

줄기세포치료제 세포기원별 임상개발 현황

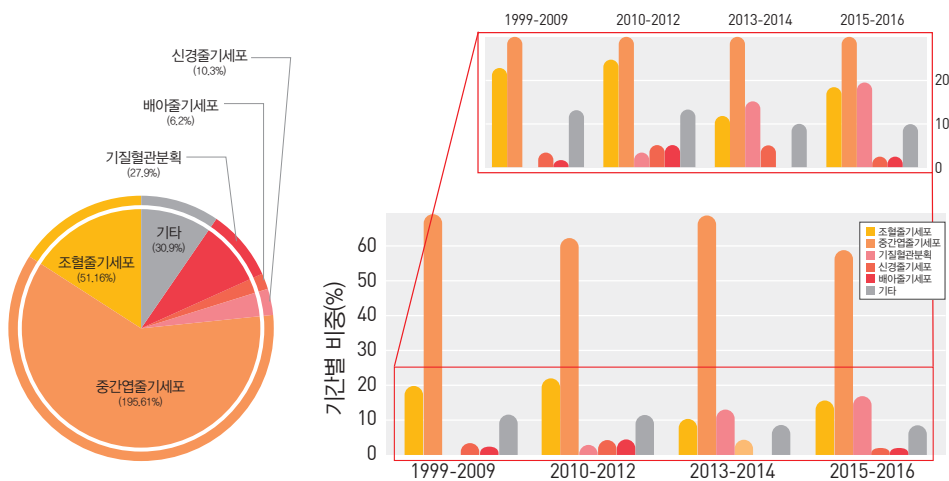


출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19

- 전 기간에 걸친 누적 분석에서는 동종유래 세포가 51%(161건), 자가유래 세포가 49%(156건)로 비슷한 수준을 보이고 있음
 - 기간별로 분석해 본 결과, 임상연구가 급증하기 시작한 2010년 이전으로는 자가유래가 우세하였다가 그 이후로는 동종유래의 비율이 크게 증가하였으며, 최근 4년 동안에는 자가유래 세포의 비율이 다시 증가한 것으로 나타남
 - 상업화를 위한 대량생산에는 자가유래 줄기세포보다는 동종유래 줄기세포를 이용하는 것이 더 유리하다는 것에 기인한 것으로 기업주도형 임상연구에서는 동종유래 줄기세포가 증가하였으나, 최근 자가유래 기질혈관분획(SVF)을 이용한 임상이 미국 등에서 대거 추가됨으로써, 자가유래 세포를 이용한 임상이 증가된 결과로 분석되었다고 추정됨
- 줄기세포의 종류를 중간엽줄기세포(Mesenchymal Stem/Stromal Cells, MSC), 조혈줄기세포(Hematopoietic Stem Cells, HSC), 기질혈관분획(Stromal Vascular Fraction, SVF), 신경줄기세포(Neural Stem Cells, NSC), 배아유래줄기세포(Embryonic Stem Cell (ESC)-derived), 기타 등으로 구분하여 임상연구 비율을 분석하였음

- 분석 전 기간에 걸쳐서 보았을 때에는, 중간엽줄기세포가 62%(195건)로 전체 임상연구에서 가장 높은 비율을 차지하였고, 조혈줄기세포가 16%(51건)를 차지하였음
- 2014년부터 2016년까지 급격한 증가를 보인 SVF는 전 기간에 걸쳐 9%(30건)으로 중간엽줄기세포와 조혈줄기세포에 이어 세 번째로 높은 비중을 차지하였으며, 신경줄기세포가 3%(10건), 배아줄기세포가 2%(6건)으로 나타남
- 기타로 분류된 종류들로는 각종 근모세포류, 배양과정에서 특이적 양상을 보이거나 특정 표지자를 발현하는 세포 등이 포함되었음
- 임상연구 기간별로 나누어서 분석한 결과, 중간엽줄기세포는 전기간에 걸쳐 60% 내외의 점유율을 유지한 반면, 조혈줄기세포의 비율은 다소 감소하였음
- 가장 유의한 변화는 2013년부터 2016년까지 기질혈관분획(SVF)을 이용한 임상연구의 비율이 유의하게 증가한 것으로 확인되고 있음

그림 4-6 줄기세포치료제 세포 종류별 임상개발 현황



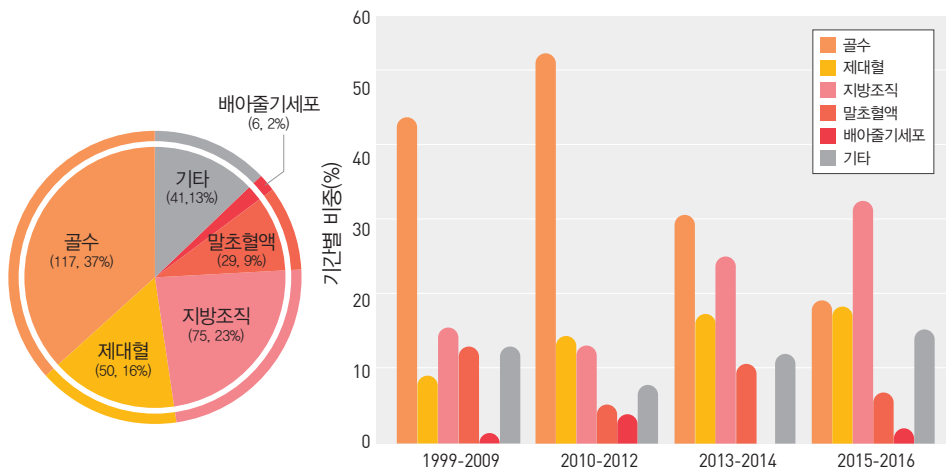
출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19.

- 줄기세포의 기원 조직을 골수, 지방조직, 제대혈 등으로 구분하여 임상연구 현황을 분석하였음
- 분석 전 기간 동안 골수유래 줄기세포가 37%로 가장 높은 비중을 차지하였고, 지방조직과 제대혈이 각각 24%와 16%로 나타남

- 세포 종류와 마찬가지로 줄기세포의 기원조직도 통상적인 구분에 따라 분류되지 않는 경우가 전체의 13%에 달하였으며, 태반, 척수, 뇌조직 등 특정 조직 부위인 경우로 유산된 태아에서 유래된 경우를 포함하여, 해당 조직에서 직접 줄기세포를 채취하는 경우도 상당부분을 차지하였음
- 임상개발 초기단계에서는 가동화 말초 혈액과 함께 골수가 주요 세포원료로 활용되었으나, 임상이 본격화되는 2010년 이후부터 비중이 낮아졌음
- 골수유래 줄기세포는 중반기인 2010년에서 2012년 사이 55%까지 비중이 높아졌다가, 2013년 이후 최근 4년간은 전체의 20~30% 정도로 현저히 감소한 것으로 나타났음
- 지방조직과 제대혈은 임상개발 중기 이후 최근까지 꾸준한 증가추세를 이어오고 있으며, 특히 최근 2년 동안 추가된 임상 중 지방조직과 제대혈을 이용한 경우는 각각 35%와 19%까지 증가하였음
- 배아줄기세포를 이용한 임상은 2010년~2012년 사이 4건의 임상이 이루어진 데에 이어 2015년 2건의 임상이 추가되는 데에 그쳐, 배아줄기세포를 이용한 임상연구가 다소 주춤한 것으로 나타났음
- 이러한 분석 결과는 원료 획득의 용이성 및 줄기세포 분리 효율 등을 고려하여 전체적으로 지방조직이나 제대혈 등이 줄기세포 원료로 많이 사용되고 있는 추세임을 보여주는 것으로 사료됨

그림 4-7

줄기세포치료제 세포의 기원 조직별 임상개발 현황



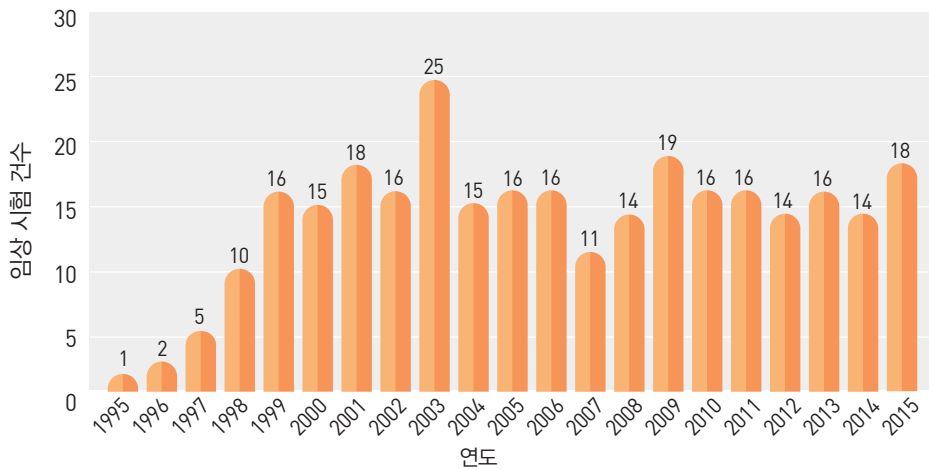
출처: 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.4.19.

2. 유전자치료제 임상 시험 현황

가. 연도별 현황

- 유전자치료제의 임상연구와 관련하여 발표된 학술문헌은 1995년 이후 1999년에 16건으로 확대되면서 매년 16~18편이 발표되어 총 293편이 발표되었고, 2003년에 가장 많은 25편이 발표됨.

그림 4-8 유전자치료제 연도별 임상연구 현황

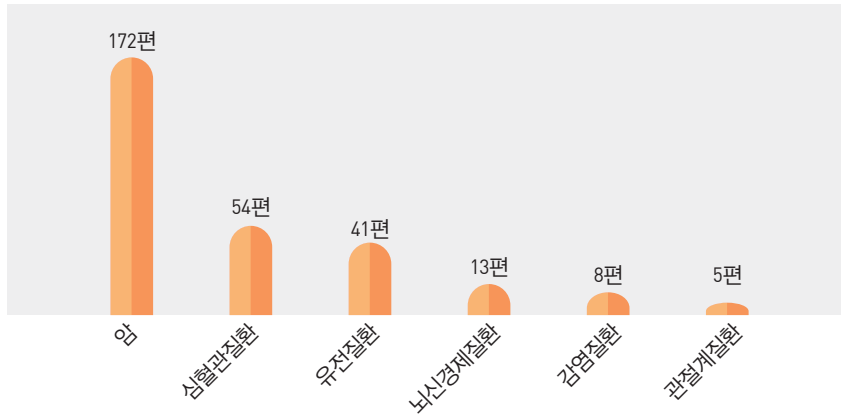


출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

나. 질환별 현황

- 대상 질환별로 분석하면 암(172편)이 가장 많은 비중을 차지하였으며, 심혈관계질환(54편)과 유전질환(41편)이 그 뒤를 이었고, 뇌신경계질환(13편), 감염질환(8편), 관절계질환(5편)의 순서로 나타남

그림 4-9 유전자치료제 주요 질환별 임상연구 현황



출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

- 유전질환의 경우 안질환, 근육질환 등 다양한 조직의 질환을 포함하고 있으나, 개별적으로는 수가 적고 선천성 유전자 이상에 의한 질환으로 하나의 그룹으로 분류하여 분석함

표 4-3 유전질환의 질환별 임상연구 현황

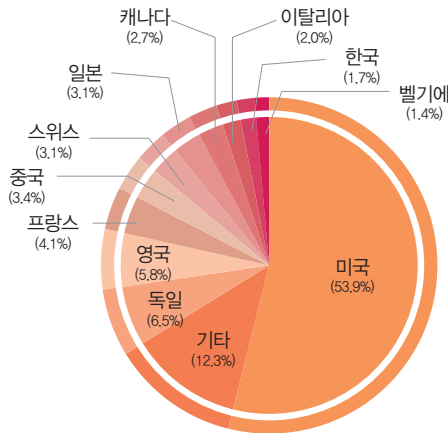
대상 질환	세부 질환	합계
유전질환 (41편)	낭포성 섬유증	6
	지단백지질분해효소결핍증	5
	레버씨 선천성 흑암시	7
	ADA 결핍장애	4
	AAT 결핍증	3
	X-linked 만성육아증	3
	지대근이영양증	1
	베커근이영양증	1
	X-linked 중증 합병성 면역 결핍장애	2
	레버씨 유전성 시신경병	2
	맥락막결손	1
	혈우병	1
	부신백질이영양증	1
	포피병	1
	이영양성 수포성 표피박리증	1
	라이소솜 축적질환	1
	점액성 다당류증	1

출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

다. 국가별 현황

- 국가별로 분석한 결과, 미국이 159편으로 가장 많이 발표되었으며, 그 다음으로는 독일 19편, 영국 18편 순으로 나타남. 한국에서는 5편의 문헌이 발표됨

그림 4-10 유전자치료제 주요 국가별 임상연구 현황



국가	논문 편수
미국	159
독일	19
영국	18
프랑스	12
중국	10
스위스	9
일본	9
캐나다	8
이탈리아	6
한국	5
벨기에	4
기타	36
합계	295

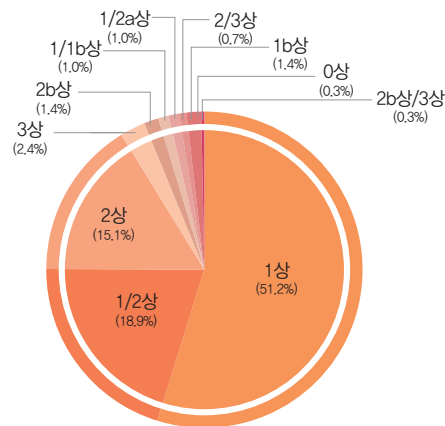
레버씨 선천성 흑암시 : 공동교신저자(미국, 이탈리아)
X-linked 만성육아종 논문:공동교신저자(미국, 독일)

출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

라. 임상 단계별 현황

- 유전자치료제 임상연구 문헌 293편을 임상단계별로 분류해보면 1상이 가장 많은 150편과 1/2상 56편, 2상 44편이 발간되고 3상이 7편으로 유전자치료제는 전반적으로 개발 초기 단계가 많은 것으로 파악

그림 4-11 유전자치료제 임상 단계별 임상연구 현황



임상 단계	논문 편수
Pilot Study	8
0상	1
1상	150
1b상	4
1/1b상	3
1/2상	56
1/2a상	3
2상	44
2a상	1
2b상	4
2/3상	2
2b/3상	1
3상	7
long-term follow up	1
unknown	8
합계	293

출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

마. 제품의 특성별 현황

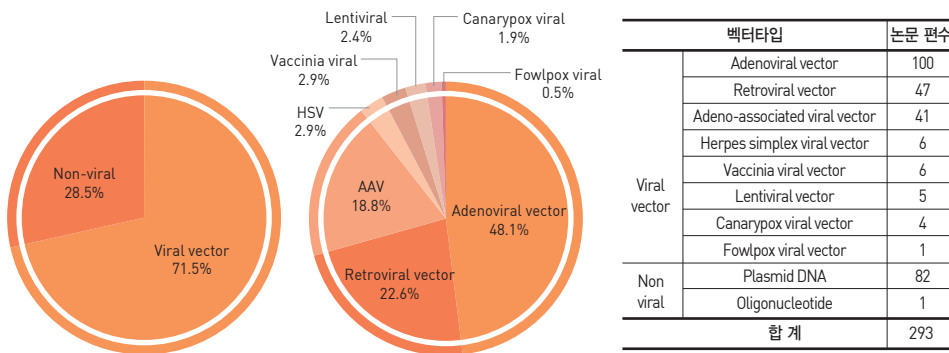
- 치료제 개발에 적용된 기술별 현황 조사는 유전자 전달체로 사용된 벡터, 최종 제품형태, 투여방법, 작용기전으로 구분하여 조사·분석함

• 벡터 타입별 현황

- 유전자치료제를 벡터 타입별로 분석한 결과, 바이러스 벡터가 71.5%(210편), 비바이러스성 벡터가 28.5%(83편)로 조사됨. 바이러스벡터에서는 아데노바이러스 48.1%로 가장 많이 이용되었으며, 그 다음으로는 레트로바이러스 22.6%, 아데노부속바이러스 18.8% 이다. 비바이러스성 벡터로는 플라스미드DNA가 가장 많이 개발되고 있음

그림 4-12

유전자치료제 벡터 타입별 임상연구 현황

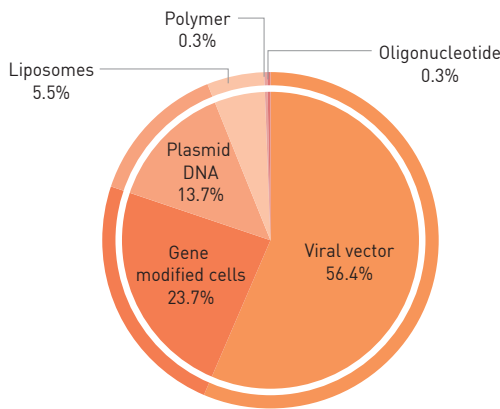


출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

• 최종 제품 형태별 현황

- 최종제품 형태별로 분류한 결과, 바이러스 벡터 형태가 56.4%, naked plasmid DNA가 13.7%, liposomes 형태가 5.5%, 그리고 유전자를 세포에 도입한형태가 23.7%로 분석되어짐. 유전자치료제의 세포내 전달 효율이 중요하기 때문에 효율이 높은 바이러스 벡터가 가장 많이 사용되고 있으나, 바이러스 사용에 따른 안전성문제로 인해 다른 형태의 전달 방법도 많이 시도되고 있음
- 특히 세포를 전달체로 이용하는 방법은 유전자의 발현 양상을 조절할 수 있고, 장시간 발현이 가능하다는 점과 세포 자체의 치료 효능을 부가할 수 있다는 점에서 많이 사용되고 있는 것으로 보여짐

그림 4-13 유전자치료제 제품 형태별 임상연구 현황



제품 형태	논문 편수
Adenoviral vector	99
Adeno-associated viral vector	41
Retroviral vector	8
Herpes simplex viral vector	6
Vaccinia viral vector	6
Canarypox viral vector	4
Lentiviral vector	1
Fowlpox viral vector	1
Gene modified cells	69
Plasmid DNA (naked)	40
Liposomes	16
Polymers	1
Oligonucleotide (naked)	1
합 계	293

출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

• 투여 방법별 현황

- 유전자치료제의 투여 방법은 크게 전신 주입(systemic injection)과 국소 주입(local injection) 방법으로 나눌 수 있음. 질환의 대상 조직에 국소로 주입하는 방법이 주로 사용되었으나, 혈액암의 경우 혈관으로 직접 주입하는 방법을 사용하였고, 심혈관계질환, 유전질환, 감염질환 등에서도 혈관 또는 신경막으로 주입하는 경우가 있었음. 또한, 4건의 경우에는 투여 부위로 2곳이 사용되어짐

표 4-4 유전자치료제 투여방법별 임상연구 현황

	피하	근육	혈관	종양 조직	복강 (난소암)	뇌조직	횡경막	망막/ 황반/ 유리체	기도/ 비강/ 상악동	관절강	합계
암*	39	5	22	98	12						176
심혈관 질환		38	16								54
유전질환	2	10	12				1	10	6		41
뇌신경계 질환	1	2				10					13
감염질환		2	5								8
관절계 질환										5	5
합계	42	58	55	98	12	10	1	10	6	5	297

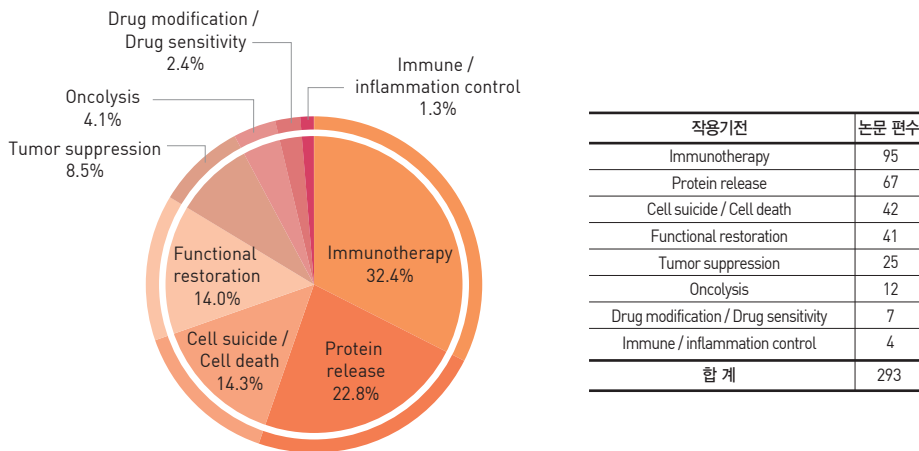
* 4건(중복): 피부암 2건(정맥+진피내), 폐암 1건(종양조직+기관지동맥), 방광암 1건(방광+근육)

출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

• 작용기전별 현황

- 임상연구에 사용된 유전자치료제를 작용기전에 따라 분석한 결과, 항암백신과 같이 면역반응을 이용한 치료제가 32.6%로 가장 많았고, 다음으로 약리 단백질을 발현하여 분비하는 치료제(protein release)가 25.8%, 세포사멸(cell suicide/cell death)에 의한 종양치료제가 14.4%, 선천성 유전질환의 기능 복원(functional restoration)에 대한 문헌이 10.7%를 차지함.
- 이 외에 종양의 증식 억제(tumor suppression) 기전과, 바이러스에 의한 세포 용해(lysis), prodrug의 활성화 및 염증/면역반응 조절 기전 등이 조사되어짐

그림 4-14 유전자치료제 작용 기전별 임상연구 현황



출처: 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.5.31.

제2절 국내외 임상 시험에 관한 규정 및 절차

1. 줄기세포치료제 및 유전자치료제의 인허가 및 임상시험에 관한 규정 및 절차

가. 한국

■ 인허가 및 임상시험 관련 규정

▶ 줄기세포치료제 및 유전자치료제의 국내 인허가 및 임상시험계획 승인을 위해 다음의
관련 규정을 따름

• 약사법

- 제31조 (제조업 허가 등)
- 제34조 (임상시험 등의 계획 승인 등)
- 제35조의 2 (의약품등의 품목허가 등의 사전 검토)
- 제42조 (의약품등의 수입허가 등)

• 의약품 등의 안전에 관한 규칙

- 제4조 (제조판매 · 수입품목의 허가신청)
- 제9조 (안전성 · 유효성에 관한 자료)
- 제10조 (기준 및 시험방법에 관한 자료)
- 제11조 (의약품등 제조판매 · 수입 품목허가 또는 품목신고의 제한대상)
- 제24조 (임상시험계획의 승인 등)
- 제30조 (임상시험의 실시기준 등)
- 제48조 (제조업자등의 준수사항)

- 식품의약품안전처 고시
 - 생물학적제제 등의 품목허가 · 심사 규정
 - 의약품 등의 품목허가 · 신고 · 심사 규정
 - 생물학적제제 기준 및 시험방법
 - 의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정
 - 의약품등의 사전검토에 관한 규정
 - 의약품등의 독성시험기준
 - 의약품등의 약리시험기준
 - 의약품등의 안정성시험기준
- 가이드라인, 지침, 해설서 등
 - 생물학적 제제 등의 품목허가 · 심사 규정 해설서
 - 생물 의약품 비임상시험 가이드라인
 - 생물 의약품 안정성시험 가이드라인
 - 생물 의약품 제조공정 밸리데이션 가이드라인
 - 임상시험용 생물 의약품 품질평가 가이드라인
 - 줄기세포치료제 평가 가이드라인
 - 줄기세포치료제 체내분포 평가 가이드라인
 - 줄기세포치료제 중양원성 평가 가이드라인
 - 세포 · 유전자치료제의 초기 임상시험 디자인 가이드라인
 - 세포치료제 제조 및 품질관리기준 가이드라인
 - 세포치료제 품질관리 시험항목 설정 가이드라인

■ 인허가 및 임상시험계획승인을 위한 신청서류

• 인허가시 신청서류_줄기세포치료제

제출 자료 목록	1. 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료	
	2. 구조결정, 물리화학적 성질에 관한 자료 가. 원료의약품에 관한 자료 1) 구조 또는 구성성분 등에 관한 자료 2) 물리화학적 성질에 관한 자료 3) 제조방법에 관한 자료 4) 기준및시험방법 및 설정근거자료 5) 시험성적에 관한 자료 6) 용기 및 포장에 관한 자료 나. 완제의약품에 관한 자료 1) 원료약품 및 그 분량에 관한 자료 2) 제조방법에 관한 자료 3) 기준 및 시험방법 4) 기준 및 시험방법에 관한 근거자료 5) 시험성적에 관한 자료 6) 용기 및 포장에 관한 자료	■ 세포특성 분석 자료로서 – 형태, 세포성장, 표면항원, 유전학적 안정성, 분화능 – 세포기능(작용기전) : 유전자/단백질 발현 등 ■ 다음의 항목으로 설정되어야 한다. a. 성상 b. 확인시험: 해당세포 확인을 위한 형태학적, 면역학적, 생물학적 특성 중 하나 이상 설정 c. 순도시험: 제품 또는 공정관련 불순물 관리 d. 외래성 바이러스 부정시험 (EP등) – in vivo, in vitro, 종 특이적 바이러스 (PCR) e. 무균시험(KP, EP, USP, 자사 설정가능) – 사용기간이 짧은 경우에는 + 최종세포수집 48-72시간 전 무균시험 + 완제품 시험(신속법과 무균시험) f. 마이코플라스마부정시험 – 원칙적으로 직접법 – 사용기간이 짧은 경우 신속법 (핵산증폭검사법) g. 엔도톡신(KP, EP, USP 설정가능) – 주사, 주입, 외과적 이식 등의 경로로 투여하는 경우 설정 h. 총세포수 시험 i. 세포생존율시험 j. 역가 – 제품의 기능측정을 통한 치료적 활성 측정 – 임상적 유효성 대변할 수 있는 시험 – 생물활성을 확인할 수 있는 시험법 (정량법)

제출 자료 목록	3. 안정성에 관한 자료 가. 원료의약품에 관한 자료 1) 장기보존시험/가혹시험자료 나. 완제의약품에 관한 자료 1) 장기보존시험/가혹시험자료	■ 원료의약품, 완제의약품, 세포은행, 해동 후 환자적용시의 안정성자료 필요함 ■ 자가세포치료제와 같이 제도가 제한적인 경우에는 시험항목과 측정시기 조정가능함
	4. 독성에 관한 자료 가. 단회투여독성시험자료 나. 반복투여독성시험자료 다. 유전독성시험자료 라. 발암성시험자료(종양원성) 마. 생식발생독성시험 바. 기타 독성시험 (1) 면역독성시험 (2) 국소독성시험	■ 1종 적절한 동물 가능함 ■ 1종 적절한 동물 가능, 임상투여기간 근거로 투여기간 설정이 필요함 ■ DNA 또는 염색체 성분과 직접 작용가능성 없는 경우 수행하지 않아도 됨 ■ 종양형성 가능성이 있어 요구됨. 면역결핍 동물 등을 이용해 종양형성 여부 관찰 (6개월-12개월 관찰)하는 시험으로 수행할 수 있음 ■ 음성/양성(유사 줄기세포 유래 종양형성 세포주로 고려될 수 있음) 대조군 설정 필요함 ■ 투여세포가 생식선 및 생식기관에 분화 또는 생착되지 않고, 생식선/생식기관에 이상이 확인되지 않는 경우 수행하지 않아도 됨 ■ 세포 등에 의해 면역반응의 가능성 있는 경우 필요하며, 다만 단회 또는 반복투여 독성에서 확인한 경우 같음 가능함 ■ 국소투여인 경우 투여부위의 상세임상, 병리학적 평가 등을 실시한 국소내성시험 필요하며, 다만 단회 또는 반복투여독성에서 확인한 경우 같음 가능함
	5. 약리작용에 관한 자료 가. 효력시험자료 나. 안전성약리시험 또는 일반약리시험자료 다. 흡수, 분포, 대사 및 배설시험자료	■ 약리활성이 나타나는 적절한 동물종으로 in vitro/in vivo 효력시험 필요함. ■ 세포 등이 중추신경계, 호흡기계, 심혈관계에 바람직하지 않은 잠재적 약력학적 영향이 예측되면 필요할 수 있음 ■ 체내분포시험으로서 적절한(약리활성을 나타내거나 생착가능한) 동물종을 선택하여 세포조직내 분포, 지속성을 확인함
	6. 임상시험성적에 관한 자료 가. 임상시험자료집	■ 자가연골세포치료제/자가피부세포치료제의 경우 3상(치료적 확증)임상시험은 시판 후 제출할 수 있음 ■ 자가세포치료제의 경우 연구자 임상시험 또는 전문학회지 게재 자료로서 안전성이 입증된 경우 초기 안전성 임상자료로 같음 가능함
	7. 국내·외에서의 사용 및 허가 현황 등에 관한 자료	
	8. 기타 해당 의약품의 특성에 관한 자료	
	9. 완제의약품 제조원에 대한 GMP 자료	

제1장
바이오의약품 현황제2장
첨단바이오의약품 현황제3장
국외 줄기세포 및 유전자 치료제 관련
지원 정책 및 정책 비교제4장
국내외 임상·연구가 성공사례
및 성공·실패 요인 분석제5장
국내외 관련 업체 및
연구개발 현황제6장
종합고찰

• 인허가시 신청서류_유전자치료제

제출 자료 목록	1. 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료	
	2. 구조결정, 물리화학적 성질에 관한 자료 가. 원료의약품에 관한 자료 1) 구조 또는 구성성분 등에 관한 자료 2) 물리화학적 성질에 관한 자료 3. 제조방법에 관한 자료 4. 기준및시험방법 및 설정근거자료 5. 시험성적에 관한 자료 6. 용기 및 포장에 관한 자료 나. 완제의약품에 관한 자료 1) 원료약품 및 그 분량에 관한 자료 2) 제조방법에 관한 자료 3) 기준 및 시험방법	■ 유전물질 특성분석 자료로서 - 물리화학적 특성 : 제한효소지도, 염기서열, 바이러스입자구조 및 세포형태 - 생물학적 특성 : 도입유전자 발현, 작용기전(세포기반/동물사용 생물학적 분석) ■ 다음의 항목으로 설정되어야 한다. - 성상 - 확인시험: 해당세포 확인을 위한 형태학적, 면역학적, 생물학적 특성 중 하나 이상 설정 - 순도시험: 제품 또는 공정관련 불순물 관리 - 외래성 바이러스 부정시험 (EP등) - in vivo, in vitro, 종 특이적 바이러스 (PCR) - 무균시험(KP, EP, USP, 자사 설정가능) - 사용기간이 짧은 경우에는 + 최종세포수집 48-72시간 전 무균시험 + 완제품 시험(신속법과 무균시험) - 마이코플라스마부정시험 - 원칙적으로 직접법 - 사용기간이 짧은 경우 신속법(핵산증폭검사법) - 엔도톡신(KP, EP, USP 설정가능) - 주사, 주입, 외과적 이식등의 경로로 투여하는 경우 설정 - 총세포수 시험(세포를 이용하는 경우에 해당) - 세포생존율시험(세포를 이용하는 경우에 해당) - 복제가능 바이러스 부정시험(벡터를 이용하는 경우에 해당) - 이상독성 부정시험(벡터를 이용하는 경우에 해당)

제출 자료 목록	4) 기준 및 시험방법에 관한 근거자료 5) 시험성적에 관한 자료 6) 용기 및 포장에 관한 자료	Ⅰ. 역가 - 제품의 기능측정을 통한 치료적 활성 측정 - 임상적 유효성 대변할 수 있는 시험법 - 생물활성을 확인할 수 있는 시험법(정량법)
	3. 안정성에 관한 자료 가. 원료의약품에 관한 자료 1) 장기보존시험/가혹시험자료 나. 완제의약품에 관한 자료 1) 장기보존시험/가혹시험자료	
	4. 독성에 관한 자료 가. 단회투여독성시험자료 나. 반복투여독성시험자료 다. 유전독성시험자료 라. 발암성시험자료(종양원성) 마. 생식발생독성시험 바. 기타 독성시험 (1) 면역독성시험	■ 1종 적절한 동물 가능함(임상적용경로) ■ 1종 적절한 동물 가능, 임상투여기간 근거로 투여기간 설정이 필요함(임상적용경로) ■ 일반적으로 유전자치료제에서는 요구되지 않으나 필요한 경우 투여유전자 염색체 삽입여부, 표적조직/외에서의 발현지속 여부, 숙주세포형태·기능·성장의 분석이 요구됨 ■ 일반적으로 유전자치료제에서는 요구되지 않으나, 성장인자, 성장인자 수용체의 장기적 발현 또는 면역조절제와 같은 경우엔 필요할 수 있음 ■ 생식선 및 생식기관에서의 발현 및 발현지속에 관한 자료로서, 생식선 및 생식기관에서 발현되지 않은 경우 수태능 및 일반생식독성시험 필요하지 않을 수 있으며 생식선 및 생식기관의 조직병리학적 자료(반복투여독성에서 실시된 경우)로 대체가능함 ■ 다만, 생식선 및 생식기관에서 발현되지 않은 경우 수태능 및 일반생식독성시험 필요, 임부 및 가임여성에게 사용되어 임신유지 또는 태아발생에 위해한 영향을 미칠 가능성이 있는 경우 배태자 발생 및 출생전후 발생시험 필요함 ■ 도입유전자의 발현산물 및 벡터에 함유되는 단백질 등에 의해 항원성 유발 및 그 외의 바람직하지 않은 면역반응을 일으킬 가능성에 관한 자료 요구됨 ■ 세포 공여자와 수여자간의 항원적 차이점, 이식된 세포에 대한 면역 또는 알레르기 반응 및 이 반응이 치료의 안전성에 미치는 영향 평가, 자가면역 및 이식세포와 숙주세포 간 반응 자료 요구됨. 다만 단회, 반복에서 확인되는 경우 실시하지 않아도 됨

제출 자료 목록	(2) 국소독성시험	■ 국소투여인 경우 투여부위의 상세임상, 병리학적 평가 등을 실시한 국소내성시험 필요하며, 다만 단회 또는 반복투여독성에서 확인한 경우 같음 가능함
	5. 약리작용에 관한 자료 가. 효력시험자료	■ 유전자 도입 배양세포를 이용한 시험자료 실험계획 개요, 배양세포의 유전자도입효율과 도입유전자 구조와 안정성, 배양세포에서의 도입된 유전자의 기능적 분석 및 실험의 전체적 평가 ■ 실험동물을 이용한 시험자료 실험계획 개요, 실험동물로의 유전자도입효율과 도입유전자 구조와 안정성, 실험동물에 도입된 유전자의 기능적 분석 및 실험동물에 대한 유전자 도입 실험결과에 대한 평가
	나. 안전성약리시험 또는 일반약리시험자료	■ 중추신경계, 호흡기계, 심혈관계에 바람직하지 않은 잠재적 약력학적 영향이 예측되면 필요할 수 있음
	다. 흡수, 분포, 대사 및 배설시험자료	■ 유전자치료제의 흡수분포 등 체내동태에 대한 실험결과와 유전자도입세포의 생존기간을 기술한 실험자료 ■ Ex-vivo의 유전자치료제가 어떤 특정조직에 도달할 필요가 있을 경우 생체내 목적 부위에 분포됨을 기술한 자료
	6. 임상시험성적에 관한 자료 가. 임상시험자료집	
	7. 국내 · 외에서의 사용 및 허가 현황 등에 관한 자료	
	8. 기타 해당 의약품의 특성에 관한 자료	
	9. 완제의약품 제조원에 대한 GMP 자료	

• 임상시험계획승인시 신청서류

제출 자료 목록	1. 신청서	
	2. 임상시험계획서	■ 임상시험계획서 ■ 임상시험피해보상규약 ■ 동의서 서식
제출 자료 목록	3. 개발계획/서론	■ 전반적 제품개발계획 ■ 임상시험실시에 대한 근거 ■ 임상시험대상적응증, 임상평가방법 ■ 임상시험용의약품의 예측되는 중대한 위험성 ■ 계획중인 임상시험의 형태, 예상시험 대상자수 등에 대한 개략적 정보
	4. 서론	
	5. 구조결정 물리화학적 성질에 관한 자료 (위약포함) - 원료의약품규격 - 안정성자료 - 제조방법 - 임상시험용의약품의 기준및시험방법 및 품질관리결과등	(보완사항) - 원료물질에 관한 자료 - 세포공여자 선택기준 - 임상시험의약품의 제조방법(공정시간 포함) - 동결보존제 잔류성 시험결과 등
	6. 약리작용에 관한 자료 가. 효력시험자료 다. 흡수분포대사배설시험자료	■ in-vivo 효력시험 - 단회 피하투여후 효력시험 ■ 흡수분포대사배설 시험자료 - 단회 피하투여후 4주간 분포시험 - (보완사항) 분포시험에 대한 타당성 자료 추가제출
	7. 독성에 관한 자료 가. 단회투여독성시험자료 나. 반복투여독성시험자료 라. 발암성시험자료(종양원성) 바. 기타 독성시험 (1) 면역독성시험	■ 피하 주사, 단회투여, 13주 관찰기간 ■ 정맥내 투여, 단회투여, 13주 관찰기간 ■ 피하투여 ■ 단회 & 반복 피하투여, 26주 관찰 ■ (보완사항) 단회 피하투여로 실시한 면역독성시험 추가제출
	8. 임상시험자자료집	

제1장
바이오의약품 현황

제2장
첨단바이오의약품 현황

제3장
국외 출제제표 및 양적 치료제 관련
지원 육성 및 정책 비교

제4장
국내의 임상·연구기 성숙단계
및 성공·실패 요인 분석

제5장
국내의 관련 업체 및
연구개발 현황

제6장
종합고찰

- 임상시험계획승인에 관한 규정 제4조[별표 1]

별표 1

임상시험계획승인에 관한 규정 제4조

구분	제출자료	개발 계획	임상 시험 자료집	임상 시험용 의약품 관련 제조 및 품질에 관련 자료	비임상시험성적에 관한 자료								삭제 〈2017. 04.11〉	삭제 〈2017. 04.11〉
					약리작용에 관련 자료			독성에 관련 자료						
					효력 시험 자료	일반 약리 시험 자료 또는 안전성 약리 시험 자료	흡수 분포 대사 배설에 관련 자료	단회 독성	반복 독성	유전 독성	생식 발생 독성	발암성		
1. 개발 중인 신약	○	○	○	○	○	○	○	○	○	○	△	△		
2. 새로운 염(이성체)을 유효성분으로 함유한 의약품	○	○	○	△	△	△	△	×	△	×	×	△		
3. 신조성 의약품	○	○	○	△	△	△	△	△	×	×	×	△		
4. 신투여경로 의 약품	○	○	○	○	△	○	△	△	△	△	△	△		
5. 신효능 의약품	○	○	△	○	×	△	×	×	×	×	×	×		
6. 신용범용량 의약품	○	○	△	△	×	△	×	×	×	×	×	△		
7. 생물학적제제, 유전자재조합 의약품, 세포 배양약품, 유전자치료제, 세포치료제 및 식약처장이 임상이 필요 하다고 인정 하는 의약품	○	○	○	제출자료의 범위는 개개 의약품의 특성에 따라 판단한다.										

- 생물학적제제 등의 품목허가 · 심사규정 세포치료제 [별표 2]

별표 2

세포치료제의 제출자료 (제6조, 제23조 제1항, 제27조 관련)

자료번호	1	2 ²⁾								3 ³⁾						4 ^{4), 5), 6)}					5) ^{4), 6), 8)}			6) ^{7), 8), 9)}		7	8																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																						
		가				나				가			나			가	나	다	라	마	바	가	나	다	라			가	나																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																				
		(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)	(7)	(8)	(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)															(7)	(1)	(2)	(3)	(1)	(2)	(3)																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																													
		(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)	(7)	(8)	(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)															(7)	(1)	(2)	(3)	(1)	(2)	(3)																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																													
구분																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																	</

○ : 자료를 제출하여야 하는 것

△ : 개개 의약품에 따라 판단하여 제출하는 것이 무의미하거나 불가능하여 면제할 수 있는 것

× : 자료가 면제되는 것

주 : 1. 자료번호 1부터 8까지는 제6조 제1호부터 제8호까지의 자료를 말한다.

2. 구조결정, 물리화학적 성질에 관한 자료

원료의약품을 별도로 설정하지 아니할 경우 자료번호 2의 가, (3)부터 (8)까지의 자료 제출을 면제한다.

3. 안정성에 관한 자료

원료의약품을 별도로 설정하지 아니할 경우 자료번호 3의 가, (1)과 (3)의 자료 제출을 면제한다.

4. 자료번호 4, 5에 대한 일반사항

가. 제출자료 목록은 자가 · 동종세포치료제에 해당하는 사항으로, 이종세포치료제는 적용되지 않는다.

나. 일반적인 독성시험기준을 준수하여 독성시험을 실시하는 것이 적합하지 않을 수 있으며 각 제품의 특성을 반영하여 시험목적에 따라 타당한 시험방법으로 독성시험을 실시할 수 있다.

다. 약리학적 활성 등을 나타낼 수 있는 적절한 동물종으로 비임상시험이 수행되어야 한다. 환자에게 투여되는 인간세포로 비임상시험을 수행하는 경우 면역이 결핍된 동물 또는 인간화된 동물 등이 필요할 수 있다. 동물에서 생체내 활동 등을 예측하기 위해 인간세포가 적절하지 않은 경우 그 특성이 유사한 동물세포를 이용할 수 있다.

라. 독성시험은 비임상시험관리기준을 준수하여 실시하여야 한다. 다만, 세포치료제는 효력시험, 안전성 약리시험 등을 독성시험과 함께 수행할 수 있다. 이러한 경우 시험방법 및 평가기준 등이 과학적 · 합리적으로 타당성이 인정되어야 하며 비임상시험 관리기준에 적합하지 않은 부분을 명확히 기재하여야 한다.

5. 독성에 관한 자료

가. 단회투여독성시험

임상에서 단회 투여되는 경우에는 단회투여독성시험을 수행해야하며 반복투여독성시험에서의 평가항목 및 관찰기간을 적용해서 독성시험을 실시할 수 있다. 타당한 경우 적절한 동물종 1종에 대해서 실시할 수 있다.

나. 반복투여독성시험

임상에서 반복 투여되는 경우에는 반복투여독성시험을 수행해야하며 투여기간 및 관찰기간은 환자에게 투여되는 방법과 투여된 세포의 조직에서의 생착, 분포, 지속성 등을 종합적으로 고려하여 설정하여야 한다. 타당한 경우 적절한 동물종 1종에 대해서 실시할 수 있다.

다. 유전독성시험

DNA 또는 염색체 성분과 직접 작용할 가능성이 없다면 수행하지 않을 수 있다.

라. 발암성시험(종양원성시험)

줄기세포, 핵형분석시험 결과 이상이 확인된 세포 등 종양형성 가능성이 있는 세포인 경우 실시하여야 한다. 면역이 결핍된 동물 등 적절한 동물을 이용하여 종양형성 여부를 충분히 관찰할 수 있는 기간(예; 6개월 정도)으로 수행하여야 한다.

마. 생식발생독성시험

투여된 세포가 생식선 및 생식기관에 분포(생착, 분화 등)되지 않으며 생식선 및 생식기관에서 이상이 확인되지 않은 경우, 생식발생독성시험을 수행하지 않을 수 있다.

바. 기타 독성시험

(1) 면역독성시험

세포(예, 동종세포) 등에 의해 면역반응을 일으킬 가능성이 있는 경우 면역독성시험이 필요할 수 있으며 단회 또는 반복투여독성시험 등의 일부분으로 수행할 수 있다.

(2) 국소내성시험

적절한 동물종을 이용하여 주사부위의 상세한 임상, 병리학적 평가 등을 실시하는 국소내성시험이 필요할 수 있으며 단회 또는 반복투여독성시험 등의 부분으로 수행할 수 있다.

6. 약리작용에 관한 자료

가. 효력시험

적절한 동물종으로 질환동물모델을 이용한 효력시험이 필요하며 원칙적으로 시험관내 효력시험과 시험동물을 이용한 효력시험이 요구된다.

나. 안전성 약리시험

세포 또는 세포에서 분비된 활성물질이 중추신경계, 심혈관계, 호흡기계 등에 바람직하지 않은 잠재적인 약력학적 영향이 예측되는 경우 안전성약리시험이 필요할 수 있다.

다. 흡수·분포·대사·배설시험 자료

적절한 동물종을 이용하여 투여된 세포의 조직내 분포, 지속성 등을 확인할 수 있는 시험을 수행하여야 한다. 시험방법 및 평가기준 등은 과학적·합리적으로 타당성이 인정되어야 한다.

7. "피하지방결손부위의 개선"을 목적으로 지방세포를 최소한의 조직으로 제조한 자가세포치료제의 경우 제6조제2호, 제3호의 자료로서 제6조의 자료를 갈음할 수 있다.
8. 이미 허가된 품목과 유효성분 및 투여경로는 동일하나 제조방법을 개선한 경우, 허가된 품목과의 비교시험 등을 통해 동등이상임을 입증할 수 있는 자료로 자료번호 4부터 6의 자료를 갈음할 수 있다.
9. 임상시험성적에 관한 자료
 - 가. 자가세포치료제의 경우 자료번호 6, 나.의 자료를 면제한다.
 - 나. 자가면역세포치료제 및 자가피부세포치료제의 경우, 임상시험성적에 관한 자료 중 치료적확증임상시험성적에 관한 자료는 시판 후 제출하도록 할 수 있으며, 이 경우 이미 허가된 품목(치료적확증임상시험 실시에 대한 허가조건이 삭제된 경우)과 동일하거나 이미 허가된 적응증과 발생원인, 과정, 결과가 유사한 적응증을 효능·효과에 추가하고자 하는 경우에는 임상약리 시험 및 치료적확증임상시험 성적에 관한 자료를 제출하지 아니하도록 할 수 있다.

• 생물학적제제 등의 품목허가·심사규정 유전자치료제 [별표 3]

별표 3 유전자치료제의 제출자료 (제6조, 제23조 제1항, 제27조 관련)

자료번호 ¹⁾	2																3						4 ³⁾					5)				6)		7	8																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																	
	가								나								가			나			가	나	다	라	마	바	가 ⁴⁾	나 ⁴⁾	다	라	가			나																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																
	(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)	(7)	(8)	(1)	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)	(7)	(1)	(2)	(3)	(1)	(2)	(3)																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																															
구분																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																				

주 : 1. 자료번호 1부터 8까지는 제6조제1항 제1호부터 제8호까지의 자료를 말한다.

2. 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료

제7조제1호 및 적용할 대상질환에 대한 간략한 소개, 신청한 의약품을 선택한 이론적 근거 및 현재 치료가능 한 방법에 대해서 기술한 자료

3. 독성시험에 관한 자료

가. 단회투여 독성시험

원칙적으로 임상적용 경로의 단회투여독성시험을 실시하여야 한다. 전신노출이 최대화 될 경우의 독성을 조사하기 위하여, 임상적용경로 외에 비경구 투여경로를 이용한 단회투여독성시험을 실시하여야 한다. 다만, 전신으로 순환되지 않고 국소적으로 잔류한다고 판단되면 비경구 단회투여 독성시험을 생략할 수 있다. 적절한 동물종 1종에 대해서 실시할 수 있으며, 중대한 독성이 발현되거나 필요하다고 판단될 경우 추가종에 대해 실시할 수 있다.

나. 반복투여 독성시험

반복투여 독성시험은 환자에게 반복 투여되는 경우에 실시하여야 하며, 투여경로, 투여방법, 투여빈도 및 투여기간 등은 임상의 경우와 동일 또는 유사하여야 한다. 임상투여기간이 장기간일 경우 일반적으로 6개월 반복투여독성시험을 실시하여야 한다. 회복군의 기간은 유전자치료제의 발현과 잔류기간에 근거하여 설정되어야 한다. 벡터, 도입된 핵산과 발현되는 유전자와의 상관성을 보기 위하여 동일한 시험 내에서 약물동태학적지표 또는 조직분포지표를 조사하는 것이 바람직하다. 적절한 동물 종 1종에 대해서 실시할 수 있으며, 중대한 독성이 발현되거나 필요하다고 판단될 경우 추가종에 대해 실시할 수 있다.

다. 유전독성시험

일반적인 유전독성시험은 유전자치료제에는 적용되지 않는다. 그러나 특정 불순물이나 유전자 전달계의 구성성분에 관하여 새로운 개념의 유전독성시험이 요구된다. 투여한 유전자의 숙주 염색체로의 삽입여부, 표적조직이나 장기 외에서의 검출, 발현, 발현의 지속여부를 확인해야 한다. 투여 유전자의 숙주염색체로의 삽입돌연변이 여부는 세포의 형태적, 기능적, 성장에 있어서의 변화를 통해 알 수 있으며 이를 위한 다양한 세포주를 사용한 생체외시험이 포함된다. 골수 또는 말초혈액에서의 세포유전학적 시험을 이용한 유전자의 분포와 이상발현지속에 관한 자료도 요구된다.

라. 발암성시험

일반적인 발암성시험을 실시할 필요는 없으나, 성장인자, 성장인자 수용체의 장기적인 발현 또는 면역조절제와 같은 경우에는 발암성시험이 고려되어야 한다.

마. 생식·발생 독성시험

생식선 및 생식기관에서의 발현 및 발현지속에 관한 자료가 요구된다. 생식선 및 생식기관에서 발현되지 않는다면 수태능 및 일반생식독성시험이 필요하지 않을 수 있으며 생식선과 생식기관의 조직병리학적 자료(예 : 반복투여독성시험 자료)로서 대체할 수 있다. 유전자치료제가 생식선 및 생식기관에서 발현되는 경우에는 수태능 및 일반생식독성시험을 실시하여야 하며, 임부 및 가임여성에게 사용되어 임신의 유지나 태아발생 등에 위해한 영향을 미칠 가능성이 있을 경우에는 배·태자 발생 및 출생 전·후 발생시험을 실시하여야 한다.

바. 기타독성시험

1) 면역독성시험

도입유전자의 발현산물 및 벡터에 함유되는 단백질 등에 의한 항원성 유발 및 그 외의 바람직하지 않은 면역반응을 일으

킬 가능성에 관한 자료가 요구된다. 또한 적당한 동물모델이 가능한 경우에는 세포의 공여자와 수여자 간의 항원적 차이 점과, 이식된 세포에 대한 면역 또는 알레르기 반응 및 이 반응이 치료의 안전성에 미치는 영향평가, 자가면역반응 및 이식세포와 숙주세포간 반응에 관한 자료가 요구된다.

2) 국소반응성시험

적절한 동물종을 이용하여 주사부위의 상세한 임상, 병리학적 평가등을 실시하는 국소반응성 시험이 필요할 수 있다.

그러나, 임상에 적용되는 제품의 조성 및 투여경로를 이용한 전임상 시험이 이미 수행되었다면 별도의 국소반응성 시험은 생략할 수 있다.

4. 효력시험 자료

가. 유전자도입 배양세포를 이용한 시험자료 :

- 1) 실험계획의 개요
- 2) 배양세포의 유전자도입효율과 도입유전자의 구조와 안정성
- 3) 배양세포에서의 도입된 유전자의 기능적 분석 및 실험의 전체적인 평가

나. 실험동물을 이용한 시험자료:

- 1) 실험 계획의 개요
- 2) 실험동물로의 유전자 도입의 효율과 도입유전자의 구조와 안정성
- 3) 실험동물에 도입된 유전자의 기능적 분석 및 실험동물에 대한 유전자 도입 실험결과에 대한 평가

5. 흡수·분포·대사·배설시험 자료

유전자치료제의 흡수, 분포 등 체내동태에 관한 실험결과와 유전자 도입세포의 생존기간을 기술한 시험자료, 또한 생체 외(ex-vivo)의 유전자치료제가 어떤 특정조직(세포)에 도달할 필요가 있을 경우에는 생체 내 목적하는 부위에 분포됨을 기술한 시험자료

나. 유럽

■ 인허가 및 임상시험 관련 규정

- ▶ 2001년 11월에 발효된 Directive 2001/83/EC는 EU에서 모든 의약품의 규정에 대한 법적체제로 유전자치료제와 세포치료제는 Directive 2001/83/EC를 개정한 Directive 2003/63/EC를 통해 최초로 EU 법안(EU legislation)에 도입되었고 지침에는 유전자 치료제와 세포치료제의 정의 이외에, 이러한 치료제에 대해 요구되는 특수한 품질, 비임상 및 임상 자료에 대한 전반적인 요약이 포함되고 개정된 Directive 2001/83/EC의 별첨 I의 파트 IV에는 유전자치료제와 세포치료제가 다음과 같이 정의됨 :

• 유전자치료 의약품 (GTMPs)은 다음과 같은 의약품을 말함 :

- 벡터(vector)를 바로 사용할 수 있고 그러한 벡터가 숙주세포로 운반하기 전에 저장되는 동종 (다른 사람으로부터 얻은) 또는 이종 (동물로부터 얻은) 세포 기반 의약품
- 주성분이 바로 사용할 수 있는 벡터의 배치에 해당되고 자가세포로 운반되기 전에 저장되는 자가 (동일인으로부터 얻은) 인간세포 기반 의약품
- 수여자(recipients)에게 직접 주사되는 바로 사용할 수 있는 벡터 기반 의약품

• 세포치료 의약품 (CTMPs)은 다음과 같은 의약품을 말함 :

- 환자 자신으로부터 (자가) 또는 다른 사람 (동종) 또는 동물 (이종)로부터 유래된 신체 유래 세포 기반 의약품. 대사, 약리학적, 면역학적 작용을 통해 치료, 진단 또는 예방적 효과를 얻기 위해 이러한 세포의 생물학적 특성은 실질적으로 변하는데 예를 들어, 항암면역요법 (cancer immunotherapy)은 일반적으로 환자에게서 면역세포 (킬

러 T 세포)를 제거함. 이러한 면역세포는 종양을 공격하기 위해 환자에게 재도입하기 전에 생체의 환경에서 변형됨. 최종 의약품에는 일반적으로 다음이 포함됨 :

* 완제 의약품을 얻기 위해 가공하기 전에 보관, 염색, 조작 절차를 거친 세포 (인간 유래 또는 이종).

* 조작 후 비세포 구성요소 (예: 의료기기)와 조합된 세포,

* 특수한 배양 조건 하에서 시험관내 조건에서 발현되는 자가 세포 유도체

* 이전에 발현되지 않은 상동성 또는 비상동성 기능적 특성을 발생시키기 위해 (예: 유전자 염기 서열 결실로 인해 이전에 생성이 불가능하였던 효소 생성하기 위해) 유전자 변형을 하거나 달리 조작된 세포

▶ EU에서 규정 1394/2007 (2007년에 채택됨)이 도입된 후, 유전자치료제와 세포치료제는 이제 첨단의학품 (ATMPs; Advanced Therapy Medicinal Products)으로 불리고 있고, 이 규정은 조직공학 의학품(tissue-engineered medicinal products) (TEPs)에 대해 최초로 정의하였음. TEPs는 다음과 같은 의학품을 말함 :

- 인체 조직을 수복, 재생, 대체하기 위해 사용이 가능하도록 변형시킨 공학처리된 (인간 또는 동물 유래) 세포 또는 조직이 포함되거나 이러한 세포 또는 조직으로 구성되어 있음

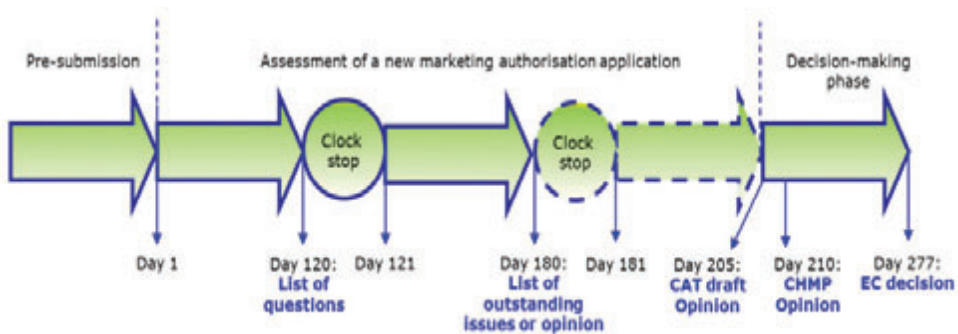
▶ 규정 1394/2007에 따른 결과로, EU에서 ATPs 등록에 대해 통합허가절차(Centralised Procedure)가 필수적으로 요구되는데 통합허가절차를 통해 신청인은 EU에서 유효한 시판허가(MA)를 획득할 수 있음.³ 통합허가절차를 통해 제출된 신청서는 인체의약품위원회(CHMP)에서 평가하며, CHMP는 신청서에 대해 긍정적 또는 부정적 의견을 제시되고 유럽위원회(EC)에서 허가가 부여되었으면, 통합시판허가는 전체 EU에서 유효함

▶ 규정 1394/2007은 유럽의약품청 (EMA)에 새로운 첨단의학품위원회 (CAT; Committee for Advanced Therapies)를 구성하였음. 다학제 위원회인 CAT는 ATMPs 분야의 전문지식을 보유한 구성원, EU 임상 의사 대표, 환자 협회 대표로 구성되어 있는데 CAT는 EU에서 ATMPs의 품질, 안전성 및 유효성의 평가를 담당하고 이 평가 결과는 채택을 위해 CHMP와 공유되고 규정 1397/2007은 다음을 도입하였음 :

• 병원내 신속적용제도(Hospital Exemptions) - 해당 의약품이 병원에서 그리고 임상 의사의 전문적인 책임 하에 사용되는 경우라면, 시판허가가 없을 때 비정기적으로 조제된 주문제작형(custom-made) ATMPs의 사용을 허가할 수 있는 권한을 개별 EU 회원국에 부여함

- ATMPs 분류에 대한 과학적 권고사항 (제17조) - 유전자, 세포 또는 조직 기반 의약품이 ATMP의 정의에 해당되는지 여부를 파악할 수 있도록 CAT에 과학적 권고사항을 요청할 수 있는 기회를 신청인에게 제공함. 분류에 대한 CAT 권고사항의 결과는 EMA 웹사이트에 발표됨

- 품질 및 비임상 자료 인증 (제18조) - CAT의 과학적 평가와 인증을 위해 모든 관련 품질 및 비임상 자료를 제출할 수 있는 기회를 중소기업 (SME)에 제공함. 이 인증은 법적 구속력은 없지만 임상시험 또는 MAs의 향후 신청을 평가할 때 유용함
 - 수수료 감면(Fee reduction) (제19조) - 해당 의약품에 대한 공중의 요구가 있음을 증명할 수 있고 신청인이 병원 또는 SME인 경우 수수료가 50% 감면될 수 있음. 이러한 수수료 감면은 ATMP 허가 후 최대 1년 동안 연장됨
- 유전자치료제와 세포치료제의 EU 규제당국 허가절차
- ▶ 규정 1394/2007/EC에 따라, EU에서 ATMPs의 시판허가는 통합허가절차의 필수 범주에 해당됨. 통합허가절차를 통해 제출된 신청서는 CHMP가 평가하는데 CHMP는 MAA에 대해 부정적 또는 긍정적 의견을 제시함. 유럽위원회 (EC)에서 허가가 부여되었으면, 통합시판허가는 전체 EU에서 유효함. EU에서 ATMPs의 평가는 CAT에 의해 실시되고 CAT는 CHMP로부터 최종 승인을 얻기 위해 각각의 제품의 품질, 안전성 및 유효성에 대한 의견서 초안을 작성해야 함
 - ▶ ATMP에 대한 신청서 평가는 아래의 그림에 제시된 바와 같이 최대 210일의 평가기간 (active)이 소요됨. 이러한 평가 시간은 1회 이상의 '평가기간 중단(clock-stop)'에 의해 중단되며, 이러한 평가기간 중단 시 신청인은 CAT의 질문에 대해 답변서를 작성함. CAT가 신청인이 설명해야 하는 120일째 질의 목록(Day 120 List of Questions) 또는 미해결 문제 목록(List of Outstanding Issues)을 채택한 경우, 평가기간 중단은 각각 120일째 이후 및 180일째 이후 발생될 수 있음. 이후, CAT 권고사항은 부정적 또는 긍정적 의견 채택을 위해 CHMP에게 전달됨



■ 유전자치료제와 세포치료제에 대한 품질, 비임상, 및 임상적 요구사항

- ▶ EU에서, ATMPs는 상용화 전에 시판허가 (MA) 부여가 요구되는 의약품으로 분류되고 이러한 의약품 등록에 대한 법적 근거는 개정된 Directive 2001/83/EC 8조 3항 (새로운 주성분)이 적용되는데 이 지침은 다음과 같이 구성된 공통기술문서 (CTD) 형식으로 작성한 완전한 신청서류 (모듈 1-5)를 EMA에 제출하도록 요구함: 행정적 정보, 신청인 고유의 시험 및 연구 그리고/또는 참고문헌에 근거한 전체 품질, 비임상 및 임상 자료
- ▶ EMA는 GTMPs와 CTMPs에 대해 예상되는 품질, 비임상 및 임상 자료 요건이 기술된 가이드라인을 발간하였는데 이와 같은 가이드라인에는 GTMPs 및 CTMPs에 고유한 다음과 같은 데이터 요건이 기술되어 있음 :
 - 품질 자료 - GTMPs 및 CTMPs의 개발 및 제조에 대한 특수한 요구사항
 - 비임상 자료 - 적합한 동물모델을 사용하여 개념증명, 임상시험에서 용량선정, 독성 시험 데이터를 뒷받침해주는 정보를 얻는데 필요한 비임상 시험
 - 임상 자료 - GTMP 또는 CTMP 제품의 유효성과 안전성을 확인하기 위해 필요한 임상시험
- ▶ 유전자치료제와 세포치료제에 대한 품질, 비임상 및 임상 자료 요구사항에 대한 개요가 아래에 제공되어 있음

(1) 품질자료

- 일반적으로, GTMPs 및 CTMPs의 제조는 Directive 2003/94/EC에 기술되어 있고 CTD 문서의 모듈 3에 문서화되어 있듯이 의약품제조품질관리기준(GMP)의 원칙과 지침을 준수해야 함
- 다른 의약품과 마찬가지로, GTMPs 및 CTMPs에 대한 제조공정의 주요 3개 영역은 다음과 같음 :
 - 출발물질(starting materials):예를 들어, 관심 대상의 유전자, 발현 플라스미드, 세포은행 또는 비바이러스 매개체 등 주성분 제조의 근거가 되는 물질
 - 주성분(active substance):예를 들어, 재조합 매개체, 바이러스, 플라스미드 또는 바이러스 생성 세포
 - 완제약품(finished medicinal product) - 계획된 의학적 용도를 위해 최종 직접 용기에 조제된 주성분

- 플라스미드 또는 바이러스 매개체에 근거한 TMPs의 제조공정 개발은 생명공학 기반 의약품과 비슷하며 관련 EMA 품질 지침을 따라야 하고 GTMPs를 위해 가장 빈번하게 사용되는 매개체는 아데노바이러스 관련 바이러스 (AAV; Adeno-associated virus)에서 준비한 바이러스 매개체임. AAVs는 다음과 같은 바이러스 매개체 선택 시 고려되어야 하는 다수의 요인들을 충족시킴 :
 - 적세포에 부착되어 진입할 수 있는 능력
 - 형질도입(transduction) 효율성 (핵에 유전물질을 성공적으로 전달)
 - 지속적인 기간 동안 핵에 발현될 수 있는 능력
 - 병원성 부재
- GTMP 또는 CTMP가 유전자변형물질 (GMO)로 간주되는 경우, 신청인은 Directive 2001/18/EC의 요건도 준수해야 하는데 이와 같은 지침은 GMOs 방출과 관련된 환경적 위해성을 평가하고 시장에 출시된 후 GMOs를 모니터링할 수 있는 시스템의 도입을 규정하고 있음

(가) 출발물질 및 원료

- GTMPs와 CTMPs는 종종 동물유래 물질에서 유도되거나 동물유래 물질을 사용하여 제조되고, 항체 및 효소 등 기타 동물유래 원료도 정제/ 제품 수거 및 가공에 사용될 수 있고, 제조 중 사용하기 위해 출발물질과 원료를 조달하는 과정에서 외래성 물질의 전파 위험 (예: 전염성 해면상뇌병증 (TSE))을 피하는 것은 중요한 고려사항이며 신청인은 이러한 위험을 완화시키기 위해 실시한 접근법을 입증해야 함
- 이종성 세포 (동물에서 얻음) 기반 GTMPs와 CTMPs의 경우, 동물 조달, 동물 사육 및 관리, 공여 동물에서 감염 예방 및 모니터를 위한 조치 관련 정보와 감염성 물질에 대한 시험 상세정보가 제공되어야 함
- 바이러스 또는 세균 매개체 기반 GTMPs의 경우, 모(parental) 바이러스 또는 세균의 유래 및 생물학적 특성에 관한 전체 문서를 제공해야 함

(나) 주성분 및 최종 제품의 제조와 품질 관리

- 제조공정은 적절하게 관리되어야 하며 허용되는 품질을 갖는 재현 가능한 제품을 생산할 수 있어야 하고 GTMPs와 CTMPs의 경우, 비슷한 제조공정을 적용하여도 불순물 및 제품 특성에 차이가 있을 수 있으며, 그에 따라 약리학적 및 독성학적 프로파일에 차이가 있을 수 있고 일관된 제품이 제조될 수 있도록 주요 공정 단계 및 품질관리 파라미터 파악을 위해 위험기반 접근법이 권장됨
- CTMPs 제조는 환자에서 얻을 수 있는 물질의 양이 제한적이므로 (특히, 자가세포를 사용하는 제품의 경우) 어려울 수 있으므로 GTMPs의 제조공정은 GMP 요건을 손상시키

지 않으면서 제한된 물질을 대부분 사용할 수 있도록 설계되어야 함. CTMPs의 경우, 출하시험에는 동일성, 순도, 역가, 불순물, 세포 생존성, 세포 수/용량, 도입된 세포 비율 (생체의 접근법의 경우)이 포함되어야 함

- 복제 결함 통합 매개체를 형질도입한 세포의 경우, 복제가능 매개체 (RCV; replication competent vector)가 없음이 임상환경에 적용 전에 입증되어야 하고, 사용기한(shelf-life)으로 인해 전체 출하시험 프로그램을 실시할 수 없는 경우 약식 출하시험이 실시될 수 있음

- 마지막으로, 제품이 계속해서 사용하기에 안전하며 지정된 사용기한 종료 시 의도된 기능을 수행할 수 있음을 보장할 수 있도록 GTMPs 및 CTMPs의 안정성과 사용기한이 확립되어야 함

(2) 비임상자료

• 일반적으로, GTMPs 및 CTMPs와 관련된 비임상 시험의 목적은 (1) 의약품의 이론증명 (proof of principle)을 입증하고, (2) 인간에게 외삽이 가능한 약리학적 및 독성학적 효과를 정의하는 것으로, 이러한 시험들은 비임상시험 관리기준 (GLP)의 원칙에 적합하게 실시되어야 함

- 유전자 및 세포치료 의약품의 경우, 고유한 특성으로 인해 비임상시험에 대해 모듈 4에 제시된 요구사항이 항상 적절하지 못할 수 있음. 그러므로, 그러한 요구사항에서의 이탈에 대한 이론적 근거가 모듈 2에 적절하게 기술되어야 함

(가) 동물 모델 선택

• 적합한 동물 모델을 선택하는 것은 GTMPs 및 CTMPs에 대한 비임상시험을 설계하고자 할 때 쉽지 않을 수 있음

- 인간에게 나타나는 질병 또는 상태를 유사하게 구현하기 위해 필요한 기본적인 특성이 선택한 동물모델에서 차이가 있거나 없을 수 있음

- 특정 동물 모델을 선택할 때 사용되는 기준은 모듈 2에 기술되어야 하고 이상적으로, 동물모델은 물리적, 기계적, 화학적 및 생물학적 구성 측면에서 인간과 비슷한 특성을 나타내야 함

- 어떤 제품의 경우 특히, 면역학적 작용기전을 기반으로 하거나 면역학적 적응증과 관련된 제품의 경우, 약리학 또는 독성학의 특정 측면을 설명하기 위해 관련된 동물 모델을 사용할 수 없거나 개발이 불가능할 수 있고 이러한 경우, 시험관내 시험이 동물 시험을 대체할 수 있음

- 유전자변형 세포의 장기 효과와 지속성을 확립하기 위해, 일반 의약품과 비교하여 비임상시험의 기간을 보다 연장할 수 있고, 모니터링 시점을 보다 빈번하게 유연하게 구성할 수 있음

(나) 독성학

- GTMPs와 CTMPs의 경우, 잠재적인 위험요인을 파악하기 위해 완제품을 사용하여 독성시험을 실시해야 하는데 제품의 임상적 사용에 따라, 단회투여 및 반복투여 독성시험이 요구될 수 있음
 - PK 시험 및 독성시험에서 동일한 동물모델을 사용하도록 권장됨. 이러한 시험에서 투여경로 및 용량은 유의미한 외삽이 가능하도록 계획된 임상적 사용을 반영해야 하고, 이러한 시험에서 관찰기간도 기존의 독성시험과 비교하여 훨씬 더 연장시킬 수 있음
 - 바이러스 매개체 기반 GTMPs의 독성을 평가할 때 고려되어야 하는 요인은 모 바이러스의 독성, 매개체가 통합하거나 잠복 및 재활성화 가능한 능력, 복제 능력
- CTMPs의 경우, 케모카인 배설(excretion) 변화 또는 특수한 분화, 제품의 상동적 사용, 제품 제조 중 사용되거나 의약품의 구조적 성분의 일부인 구성성분과의 상호작용 및/또는 원치않는 양으로 또는 원치않는 위치에 적용된 세포 증식 등 제조공정 중 발생하는 알려지지 않은 세포 변화와 같은 다양한 요인들로 인해 발생할 수 있음

(3) 임상자료

- EU에서, ATMPs의 임상개발 과정에는 ICH E8, 임상시험 지침(Clinical Directive) 2001/20/EC, 의약품임상시험관리기준 (GCP)의 원칙 및 치료해야 하는 상태에 사용 가능한 특수한 가이드스에 따라 약력학 (PD) 시험, 약동학 (PK) 시험, 작용기전 시험, 용량범위 확인시험 및 무작위배정 임상시험이 포함되어야 함
 - GTMPs 및 CTMPs의 고유한 특성으로 인해, 이러한 의약품의 임상개발은 탐색적 및 확증적 시험 측면에서 제품의 개별 특성에 맞게 수정되어야 하고 일반적으로, 제품의 안전성과 유효성을 입증해주는 데이터를 모듈 5에 제공해야 하며 가이드스에서의 일탈은 모듈 2에 근거가 제시되어야 하는데 EMA는 ATMPs를 개발하는 신청인에게 이러한 제품의 임상개발을 시작하기 전에 조언을 구하고, 이러한 치료제의 특이성을 설명하고 현행 지침에서의 잠재적인 일탈에 대해 논의하도록 강력하게 권고하고 있음

(가) 탐색적 임상시험

- GTMPs 및 CTMPs를 사용하여 실시되는 탐색적 임상시험의 목적은 (1) 목표 적응증에서 약력학 및 생체내 분포를 시험하고, (2) 안전성을 평가하며, (3) 후속 시험에 대한 최적의 유효 용량 관련 정보를 제공하고, (4) 확증적 시험에 대한 근거를 제공하는 것임
- 건강한 지원자를 대상으로 하는 시험은 타당하지 않을 수 있으며 임상시험에서 용량 설정 및 역학(kinetics)을 결정하는 것은 어려울 것임
 - 제품 전달에 사용되는 절차의 침습성도 건강한 시험대상자를 대상으로 이러한 시험을 수행하지 않는 것에 대한 또 다른 이유로 인간대상 최초시험 (FIH)은 일반적으로

제한된 수의 환자를 대상으로 실시되는 통합 1/2상 시험임. 제품의 안전성은 1차 평가변수 가운데 하나임

- 1/2상 시험을 통합하는 것에 대한 이론적 근거는 잠재적 치료의 개념증명 (PoC)를 뒷받침해주는 예비 데이터를 제공하는 것으로 비임상 시험에서 얻은 데이터에 의해서도 뒷받침됨

(나) 환자군

- 임상개발의 모든 단계는 일반적으로 목표 환자군에 대해 실시됨. 그 이유는 주로 그러한 새로운 치료제의 알려지지 않은 위험에 기인하며 이와 동일한 접근법은 종양 분야 등 다른 의약품에서도 확인이 가능함

(다) 용량

- 용량 선택은 품질 및 비임상시험에서 얻은 결과에 근거해야 함. 어떤 경우, 용량범위 확인 시험이 항상 타당하지 않을 수 있음.
 - 예를 들어 시험을 위해 사용 가능한 세포 수가 제한적일 수 있으며 그러한 시험에서 환자를 배제하기에 매우 희귀한 질환인 경우를 들 수 있고 이러한 상황에서, 모듈 2에는 사용한 접근법에 대한 적절한 이론적 근거가 포함되어야 함

(라) 확증적 시험

- 다른 의약품과 마찬가지로, 제품의 유효성을 확인할 수 있도록 설계된 핵심 임상시험 (3상)은 시판허가신청 (MAA)을 뒷받침하기 위해 GTMPs 및 CTMPs에 대해 요구되는 것이 일반적임.
 - 임상적 유효성 평가변수는 목표 질병 또는 치료에 대해 고유한 가이드스에 근거하여 정의되어야 하고 이러한 치료제와 관련된 유효성 시험에서 주요 과제는 제품의 임상적 유효성 결정을 위해 소수의 환자에 대해 통계분석을 사용하는 것임. CTMPs의 경우, 생화학, 형태학, 구조 및 기능적 파라미터 등 목표 치료 효과와 관련이 있는 추가적인 세포 및 조직 고유의 평가변수가 요구될 수 있음.
 - 이러한 평가변수는 공동 1차 또는 2차 변수로 사용이 가능하며 임상적 1차 유효성 변수를 뒷받침해줄 것으로 예상됨. 장기 유효성이 예상되는 경우, 평가변수는 반응 기간에도 초점을 맞춰야 함

(마) 안전성

- GTMPs와 CTMPs는 제품에 대한 면역반응에서 발생될 수 있는 안전성 문제를 관찰할 수 있도록 주의하여 모니터링되어야 함. 환자는 잠재적인 감염 발생에 대해 모니터링되어야 하며, 이러한 감시는 보건의료 종사자를 포함하여 환자와의 긴밀한 접촉으로 확대될 수 있음

- 감염원에 의한 오염 위험을 완전히 제거하는 것이 불가능하기는 하지만, 이러한 위험은 제품을 제조하는 과정에서 적절한 조치가 실시될 경우 완화가 가능함
- 마지막으로, 신청인은 환자의 임상 및 검사실 데이터, 새로운 역학 자료, 해당되는 경우 공여자와 수여자의 조직 검체 보관소에서 얻은 데이터를 포괄하는 상세한 위해성관리 계획을 제공하고 그러한 시스템은 의약품의 추적성과 이상사례의 의심되는 패턴에 대한 빠른 대응을 보장하기 위해 필요함

다. 일본

■ 임상시험 관련 규정 및 절차

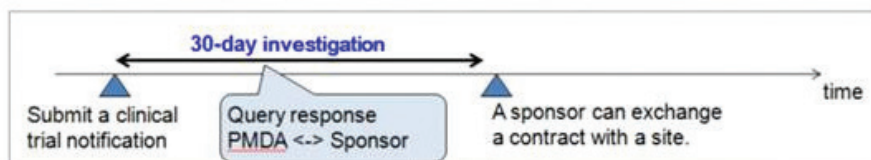
▶ 일본 PMDA의 임상시험계획승인시 제출되어야 하는 자료 및 절차는 다음과 같음

- 임상시험계획승인시 제출되어야 하는 자료
 - ▶ PMDA는 줄기세포치료제의 경우 quality, nonclinical safety and clinical protocol에 대한 R&D전략에 대해 PMDA와 상담을 받기를 강력하게 권하고 있음
 - ▶ PMDA와의 상담에서는 가이드라인 “the guideline for allogenic somatic stem cell products_2016”에 따라 요약자료를 준비하여야 함
- Raw materials related to the manufacturing including the compliance of biological raw materials with the Standard of Biological Raw Materials in Japan
- Manufacturing process for drug substance and drug product
- Quality control of the final product
- Stability of the products/ MCB, WCB and final product
- nonclinical studies
- nonclinical pharmacology/ efficacy studies
- nonclinical Biodistribution studies
- design of clinical studies
- 임상시험 진행 절차
 - ▶ 한국이 임상시험승인제도인 반면 일본은 미국과 동일하게 clinical trial notification 제도이므로 먼저 PMDA와 pre-consulting을 진행한 후 CTA를 하게 되면 30일동안 PMDA리뷰가 진행되고 이후 PMDA로부터 별다른 보완을 받지 않으면 임상을 진행할 수 있음

Clinical trial notification

◆ Timing of submission

- ✓ **First time** to administer an investigational drug to humans in Japan:
at least 31 days before contract execution with clinical sites



*Purpose of 30-day investigation:
To prevent from jeopardizing public health and hygiene*

- ✓ **Second time or later:**
at least 14 days before contract execution with clinical sites

제3절 국내외 임상·인허가 성공 사례

1. 국내 허가 사례 분석

가. (주)안트로젠 큐피스템®주 (Cupistem® injection)

(1) 제품 사진



(2) 연구 개발 기간 : 2006년 ~ 2012년 (6년)

(3) 총 연구개발투자 금액

(단위 : 천원)

구분	정부	민간	계
투자 금액	1,940,000	3,950,000	5,890,000

(4) 적응증 : 크론성 누공

(5) 국내 허가 일자 : 2012년 1월 18일

(6) 연구개발 필요성

- 크론병은 만성적이고 재발을 잘하는 대표적인 염증성 장 질환으로, 희귀 질환으로 분류되어 있음
- 크론병으로 인한 염증질환은 입부터 항문까지 우리 몸의 소화관 어디에나 생길 수 있는 난치성 염증질환(Inflammatory Bowel Disease, IBD)으로 주로 소장과 대장에 만성적인 염증을 일으켜서 복통, 설사 등의 증상을 일으키며, 염증의 진행 정도에 따라 고통을 동반하는 합병증을 유발하는 질환임

- 크론병은 주로 10~20대의 젊은 연령에서 유발하며, 크론병으로 인한 합병증으로는 장관 폐색, 천공, 누공, 농양 및 항문 주위 누공, 치열 등이 있으며, 이중, 항문 주위에서 발병하는 합병증으로서 항문 주위의 농양이 터지면서 직장이나 항문관 안쪽부터 항문 주변 피부까지 길게 구멍이 뚫린 것을 누공(또는 치루)이라고 함
- 현재 누공에 대한 효과적인 치료제는 없으며, 재발률이 50%를 넘음
- 크론병을 치료하는 약물로 개발된 항생제, 면역억제제, TNF-alpha 차단제 등이 사용되고 있으나 누공에 대한 치료효과가 50%를 넘지 못하고 약의 사용을 중단할 경우 바로 재발되는 등 대중적 치료 방법에 불과하며 약물의 장기간 사용으로 인한 부작용의 문제가 있음
- 이러한 특성으로 인해 크론성 누공은 희귀질환으로 지정되었음
- 최근 우리나라를 포함한 선진국에서는 크론병과 같은 염증성 장질환의 발병률이 꾸준한 증가추세에 있으므로 치료제 개발의 필요성이 부각되고 있음

(7) 연구개발 전략 및 추진체계 등

- (주)안트로젠은 개발단계 초기부터 제품 특성에 맞는 시험법 및 제조방법을 최적화 하여 개발부터 허가까지 단기간에 이루어질 수 있도록 식품의약품안전처와 함께 논의함으로써 시행착오를 줄이고자 노력하였음
- 임상시험은 국내 최고의 의료진을 보유한 서울대학교병원, 아산병원, 삼성서울병원 및 세브란스병원 등 국내 주요 대학병원의 우수한 의료진을 통해 임상시험을 실시하였으며, 제품의 우수성 및 희귀질환 치료에 대한 필요성을 인정받아 보건복지부 등을 통해 임상시험 비용 지원 등을 통한 제품화 지원을 받을 수 있었음
- 이러한 민-관-의료계의 적극적인 지원과 논의가 제품개발부터 제품화하는데 까지 개발 기간을 획기적으로 줄일 수 있었음

(8) 연구개발 과정

연구개발단계	년도	핵심개발 기술내용
의약품 후보물질 도출	2006 ~ 2008	고기능성 출기세포치료제 개발
비임상	2008 ~ 2009	전임상 독성시험
연구	2008	희귀의약품 지정
임상 1상	2008 ~ 2010	임상 1상
임상 2상	2010 ~ 2011	임상 2상
품목 허가	2012	품목허가

(9) 우수성 및 특징점

- “큐피시스템®주”는 단 1~2회의 투약만으로 누공치료효과를 볼 수 있는 우수한 효능을 보임. 피험자 81.8% 에서 누공이 완전히 (100%) 막히는 효능을 보였음
- 큐피시스템은 환자 자신의 지방조직에서 분리한 지방유래줄기세포를 이용하는 맞춤형 의약품으로서 임상 및 판매기간 동안 큐피시스템으로 인한 이상반응 보고는 없었음
- 기존 치료방법은 재발율이 높으나 큐피시스템은 크론성 누공의 원인인 비정상적인 면역 시스템을 정상화하여 염증을 완화시키고 상처조직 재생을 통해 누공 막힘 효과가 장기적으로 지속되는 효과를 나타냄
- 큐피시스템은 자가유래 지방줄기세포치료제로서 다른 성체줄기세포에 비하여 세포를 얻기 비교적 쉬우며, 소량의 조직에서 추출된 줄기세포를 이용하여 대량생산이 가능한 제조방법을 개발함으로써 환자의 치료비용을 절감할 수 있음
- 크론성 누공 환자는 사회적 활동이 어려워 사회적 손실이 클 뿐만 아니라 사회가 부담해야 할 경제적 부담이 크게 증가되는데 완전한 치료가 이뤄져 사회에 복귀하여 경제 활동에 참여함으로써 창출되는 경제적 파생효과가 매우 큼
- 또한 세포치료제로서 국내 최초로 보험약가를 받음으로 환자의 의료비를 절감 할 수 있도록 하였음

(10) 핵심성공 요소

- 큐피시스템은 세계 최초의 지방유래 줄기세포치료제로서 타제품의 개발 사례가 존재하지 않았으며, 식약처의 규정도 명문화되지 않은 상황이었음
- 이러한 문제를 해결하기 위해 개발 초기부터 정부 관계부처 (보건복지부 및 식품의약품안전처)와 적극적인 논의를 통해 임상시험부터 품목허가까지 많은 지원을 받을 수 있었음
- 이로 인해 정부 지원이 제품의 상업화를 앞당기는데 핵심적 요인이 되었음

(11) 연구개발 및 후속단계에서의 애로사항

- 크론병과 같은 희귀질환은 환자 수가 매우 제한적이라 임상시험을 위한 환자모집에서 상당한 애로사항을 겪고 있으며 적절한 치료법이 없어 생명의 위협을 받거나 최소 경제 활동이 불가능한 상태가 대부분임

- 이러한 희귀 질환을 대상으로 한 제품의 품목허가는 제도적 정비가 잘 이루어져 fast track을 통해 허가 받을 수 있도록 되어 있음
- 하지만 허가 후 보험약가 승인 과정이 매우 길고 복잡하여 많은 어려움이 있어 세포치료제와 같은 맞춤형 첨단 의약품은 개발에서 승인까지 긴 시간이 걸리며, 막대한 투자비가 들지만 제한적인 환자수로 인하여 개발에 어려움이 있다는 것을 고려하여 약가 정책에 반영되어야 할 것으로 생각됨

나. 코아스템(주) 뉴로나타-알® (NEURONATA-R®)

(1) 제품 사진



(2) 연구 개발 기간 : 2003년 ~ 2014년 (11년)

(3) 총 연구개발투자 금액

(단위 : 천원)

구분	정부	민간	계
투자 금액	2,463,533	5,361,393	7,824,925

(4) 적응증 : 루게릭병 (근위축성측삭경화증)

(5) 국내 허가 일자 : 2014년 7월 30일

(6) 연구개발 필요성

- 루게릭병은 1994년에 리루졸이 품목허가 됐으나, 3상 임상시험에서 생존기간 2~3개월 연장만으로 허가를 받았음
- 따라서, 루게릭병 환자에게 실질적인 치료 효과를 줄 수 있는 치료제 수요(needs)가 있었고, 코아스템에서 환자 맞춤형 줄기세포치료제 연구개발을 시작함

(7) 연구개발 전략 및 추진체계 등

- 줄기세포치료제를 개발할 때 미충족 수요(unmet needs)가 있으면서 경쟁이 없는 영역에 대한 개발 착수, MoA 극대화를 위한 제조공정의 확립, 희귀질환에 적합한 임상 개발을 통한 초기 시장 선점 전략을 추구하고 있음

(8) 연구개발 과정

연구개발단계	년도	핵심개발 기술내용
기초탐색	2003년	근위축성측삭경화증에 대한 자가골수유래 중간엽줄기세포 효능효과 연구
전임상	2006년	연구자임상 & 응급임상 진행
임상 1상	2010년	1/2상 임상시험 승인, 1단계 개시
임상 2상	2011년	1/2상 임상시험 승인, 2단계 개시
임상 3상	2014년	3상 임상시험 프로토콜 승인, 2018년 하반기 개시 예정
품목 허가	2014년	뉴로나타-알® 희귀의약품 품목허가 승인

(9) 우수성 및 특징점

- 효능 측면
 - 근위축성측삭경화증 질환의 진행속도 완화
- 안전성 측면
 - 임상시험을 통하여 심각한 이상반응 없음을 확인
 - 환자 맞춤형 치료제로, 면역 거부 반응 없음
- 투약편의성 측면
 - 시술 환자의 골수를 채취하여 의약품 투여
- 생산 경제성 측면
 - 세계 최초 근위축성측삭경화증 대상 상용화된 줄기세포치료제로, 해외 기술이전을 통한 이익극대화 추진

(10) 핵심성공 요소

- 뉴로나타-알®에 대한 특허를 보유하고 있고, 허가-특허 연계제도를 위한 특허목록 등재 심사를 통과하여, 허가 후 일정 기간 동안(2026년까지) 신약 및 희귀의약품으로서의 독점적 지위를 가질 수 있었음
- 2014년 품목허가를 받은 후, 2015년 1월말부터 국내 최대의 루게릭병 환자가 등록되어 있는 병원에서 실제 환자에게 처방이 되고 있음

(11) 연구개발 및 후속단계에서의 애로사항

- 오랜 기간에 걸쳐 국내 자체 기술로 개발된 첨단바이오의약품인 줄기세포치료제의 경우 임상적 유효성과 안전성을 인정받아 식약처로부터 허가되었으나, 기존 의약품에 맞춰진 약가 트랙에 적용하기 쉽지 않아 보험약가를 받기 매우 어려워 시장 진입에 한계가 있음. 첨단바이오의약품의 특성과 가치에 기반한 약가 결정 트랙이 필요함

다. 코오롱생명과학(주) 인보사®-케이주 (INVOSSA®-K inj.)

(1) 제품 사진



(2) 연구 개발 기간 : 1999년 ~ 2017년 (18년)

(3) 총 연구개발투자 금액

(단위 : 천원)

구분	정부	민간	계
투자 금액	8,210,000	7,230,000	15,440,000

(4) 적응증 : 골관절염

(5) 국내 허가 일자 : 2017년 7월 12일

(6) 연구개발 필요성

(가) 사회경제적 측면

- “인보사”는 글로벌 판매가 이루어지는 2023년에 1억 2천만 불의 이익을 기점으로 2027년에는 50억 불의 경제적 이익이 창출 될 것으로 예상
 - 국내 퇴행성관절염 환자 수는 약 250만 명, 전 세계적으로는 약 1억 5천만 명 수준이며, 고령화 가속화로 퇴행성관절염의 환자 수 및 관심도는 지속적으로 증가 추세에 있음
 - 세계 퇴행성 관절염 치료제 시장은 꾸준한 성장이 기대되어 2011년 45억 2,100만 달러였던 시장 규모가 연평균 3.7% 성장하여 2019년에는 60억 6,100만 달러에 달할 전망 (Global data사 자료)

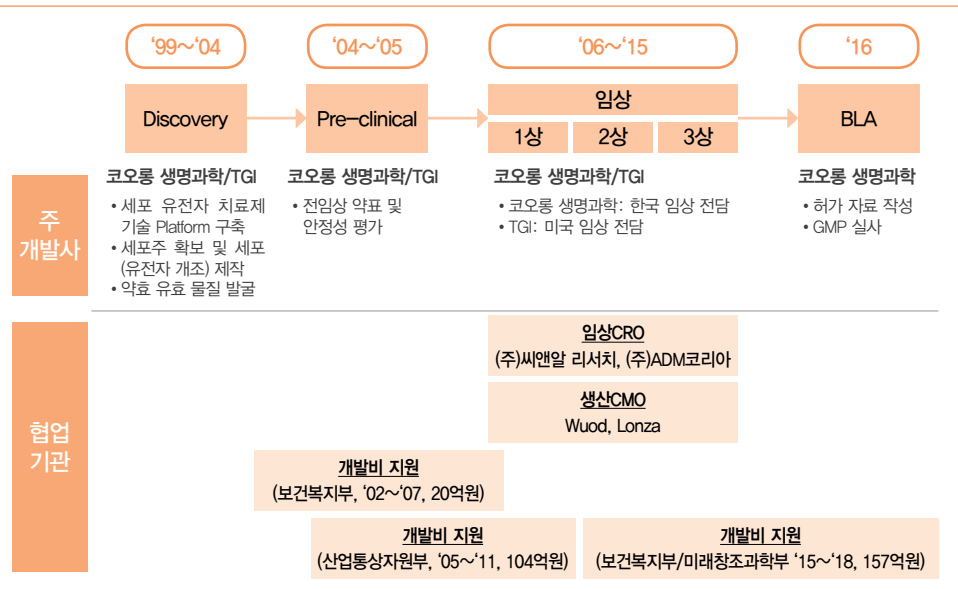
- 기존 치료제 (NSAIDs나 HA 주사제 등)의 한계를 극복한 혁신적 치료제인 류마티스 관절염 근본적 치료제(DMARD) 시판 고려할 경우, 20조원 대의 신시장 창출이 가능할 것임

- 글로벌 개발 동향 고려시, “인보사”는 시판 후 최소 5~10년의 독점적 시장 지위 유지 예상

(나) 기술적 측면

- “인보사”는 퇴행성관절염으로 인한 증상(통증 등) 및 기능성을 개선하는 혁신적 치료제로서, 세계 최초 유전자치료제임
- 한국은 3상에서 1년, 미국은 2상에서 2년 간의 통증 경감 효능을 입증했으며, 바이오마커 분석을 통해 잠재적인 구조 퇴행 억제 효과의 가능성을 확인함
- 현재 개발 중인 치료제의 경우 연골재생을 목표로 하는 “연골재생치료제”가 다수 있으나, 인보사와 같은 골관절염의 근본적인 증상을 타깃으로 하는 치료제는 없음
- 2017년 7월 12일 국산 신약 29번째로 국내 시판 허가를 받았으며, 국내 출시 후 2023년부터 미국, 일본 등 순차적으로 세계 시장에 성공적으로 진입할 예정임
- 2023년 미국 품목승인 후, 최대 판매 기준 4조이상의 매출을 달성하는 글로벌 블록버스터 신약으로 성장 예상함
- 향후, 전 세계 수요에 대응하기 위한 준비를 추진 중임
- 대량 생산 공정 개발 및 신규 공장 건설 추진 : 글로벌 상업화 후 대규모 수요 대응을 목표로 연 10만 도즈 이상의 제품 생산이 가능하도록 추진 중임

(7) 연구개발 전략 및 추진체계 등



(8) 연구개발 과정

연구개발단계	년도	핵심개발 기술내용
기초탐색	1999년	개발 착수
임상1상	2006년	한국, 미국 임상 1상
임상2상	2009년	한국 임상2a 착수
	2010년	미국 임상2상 착수
	2011년	한국 임상2b 착수
임상3상	2013년	한국 임상3상 착수
허가	2016년	한국 BLA 신청
	2017년	한국 시판 허가

(9) 우수성 및 특징점

- “인보사”는 세계 최초 동종 세포 유전자치료제로 퇴행성 관절염 시장의 Unmet needs 인 근본적 치료 효과를 보유한 혁신적 치료제이며, 기존 약물로 효과를 보이지 않고 수술 치료를 시행하기 어려운 초/중기 환자에게 새로운 치료 옵션을 제공함. 또한 약물 치료 중심(경구 투여제, 주사제)의 환자와 수술 치료 환자 사이의 Treatment Gap을 커버하여 질병 진행을 지연시키는 효과를 제공할 수 있음

(가) 효능 측면

- 기존제품(진통소염제, 히알우론산, 스테로이드) : 근본적 치료 불가(통증 완화효과만 보유)
- 본제품(인보사) : 근본적 치료 가능(통증 개선 및 관절의 활동성/기능성 개선), 기존 치료에 반응하지 않는 환자에서 80% 이상의 반응률 확인

(나) 안전성 측면

- 기존제품(진통소염제, 히알우론산, 스테로이드) : 경구 투여제의 경우 장기 복용 시 다양한 부작용 발생. 수술법의 경우 마취 부담 및 재수술 등
- 본제품(인보사) : 일반적 수준의 미미한 부작용만 관측

(다) 투약 편의성 측면

- 기존제품(진통소염제, 히알우론산, 스테로이드) : 경구제의 경우 반복 투여, 수술법의 경우 수술 필요
- 본제품(인보사) : 단회 투여로 1년 이상 통증 완화 및 활동성 개선

(라) 생산 경제성 측면

- 기존제품(진통소염제, 히알우론산, 스테로이드) : 제제별 특성 상이
- 본제품(인보사) : 세포 배양 등 공정 특이성으로 제조 원가는 높으나, 개선 진행 중

(10) 핵심성공 요소

- 기술적 파급 효과
 - 기존의 관절염 치료제 시장은 경증 환자를 위한 약물치료와 중증환자를 위한 수술치
료로 양분되는데, “인보사”는 수술적 치료를 동반하지 않고 간편하게 주사제로 치료
가능한 혁신적 신약으로 평가됨
 - 현재 개발되었거나 개발 중인 세포치료제 다수가 자가세포를 이용한 치료로 제조 및
공정기술과 보관, 운반 등의 측면에서 어려움 존재하지만, “인보사”는 대량 배양 및
생산, 보관이 가능한 바 상업적 측면에서 성공적 개발 가능성이 높을 것으로 기대함
 - “인보사” 개발을 통해 구축한 세포 유전자 치료 기술 Platform을 활용하여, 향후 다
양한 난치성 치료제 개발 성공 가능성을 높이고, 지속적인 신약 출시가 가능할 것으
로 기대함
- 국민 보건 향상에의 기여도
 - 대표적인 난치성 질환 중 하나인 퇴행성 관절염 환자의 삶의 질을 개선하여 국민 보
건 향상에 기여함

(11) 연구개발 및 후속단계에서의 애로사항

(가) 규제내용 : 유전자치료기관의 신고 및 유전자치료의 서면동의 필요

- 관련법령 : 「생명윤리 및 안전에 관한 법률」 제48조, 「생명윤리 및 안전에 관한 법률 시
행규칙」 제43, 44, 45조

(나) 현황 및 문제점

- 현황 : 유전자치료를 하고자 하는 의료기관은 보건복지부장관에게 신고하여야 하며, 신
고한 의료기관(유전자치료기관)은 유전자치료를 하고자 하는 환자에 대하여 서
면동의를 받아야 함
- 문제점 : 허가받은 유전자치료제에 대해서도 유전자치료기관 신고 및 유전자치료의 환
자서면 동의가 법적으로 요구되는 사항인지에 대해 모호한 상황임.
 - 현재 법 상으로 유전자치료를 하는 경우는 유전자치료기관 신고와 환자 서면동의를
반도록 되어있음
 - 하지만 동법이 “연구”단계에 적용되는 것을 목적으로 작성된 취지를 고려했을 때, 식약
처 허가를 받은 상업화된 제품까지 이를 적용하는 것은 과도한 규제인 것으로 판단됨

- 실제로 시판 후에 적용할 경우, 일반 의원까지 유전자치료기관을 모두 신고하여야 하며, 향후 변경사항이 발생할 경우(유전자치료기관의 소재지, 기관장, 기관의 명칭, 유전자치료 대상 질환 또는 치료 항목) 30일 이내에 변경 신고해야 하므로 이러한 의원급 병원까지 적용하는데 어려움이 있음. 또한 상업화된 제품에 대해서 환자들에게서 서면 동의를 받는 것은 전 세계적으로 유래를 찾을 수 없음

- 개선방안
 - 허가받은 유전자치료제에 한하여 유전자치료기관 신고 및 유전자치료 서면동의 면제 조치
 - 「생명윤리 및 안전에 관한 법률 시행규칙」제43, 45조 신규 조항 추가 (하기 표 참고)

제도개선 요청	주요 내용
■ 제 43조 (유전자치료기관의 신고) ④항 신설	■ ①, ②, ③항에 대하여 현행과 같음. ■ <신설> ④항 다만, 품목허가를 받은 유전자치료제에 한하여 유전자치료기관 신고를 면제할 수 있다.
■ 제 45조 (유전자치료를의 서면동의) ③항 신설	■ ①, ②항에 대하여 현행과 같음. ■ <신설> ③항 다만, 품목허가를 받은 유전자치료제에 한하여 유전자치료를의 서면동의를 면제할 수 있다.

2. 미국 허가 사례 분석

- 미국 FDA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황
 - 미국에서는 FDA의 조직인 OTAT (Office of Tissues and Advanced Therapies)가 유전자 및 세포 치료제의 허가를 규제하고 있고 18개의 제품이 승인(2018년 5월 17일 기준) 되었음

표 4-5

미국 FDA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황

Brand	Description	Indication
Allocord™, Clevecord™, Hemacord™, Ducord™ and three more which do not have a trade name	HPC Cord Blood	Transplantation of donor hematopoietic progenitor cells(HPC) for patients in need of hematopoietic and immunologic reconstruction
None yet	Cord Blood Collection Unit	Bags for collecting umbilical cord blood during childbirth
Laviv™	Autologous Fibroblast (azficel-T)	Treatment of nasolabial fold wrinkles to improve appearance
Maci®	Autologous Cultured Chondrocytes	Repair of cartilage defects of the knee
Gintuit™	Allogeneic Cultured Keratinocytes and Fibroblasts	For application on top of a surgically created vascular wound beds in the treatment of mucogingival conditions
Imlygic®	Talimogene laherparepvec	For treatment of melanoma on the skin or in the lymph glands
Kymriah™	CAR T cells (tisagenlecleucel)	T cell therapy for the treatment of B cell precursor acute lymphocytic leukemia
Luxturna™	Voretigene neparvovec-rzyl	Gene therapy to treat patients with a biallelic RPE65 mutation which causes retinal dystrophy
Provenge®	T cell therapy (sipuleucel-T)	For treatment of metastatic castrate resistant prostate cancer
Yescarta™	CAR T cells (Axicabtagene ciloleucel)	Autologous T cell immunotherapy for treatment of large B cell lymphoma
Andexxa®	Coagulation factor Xa (recombinant), inactivated-zhzo	For patients treated with rivaroxaban and apixaban, when reversal of anticoagulation is needed due to life-threatening or uncontrolled bleeding
Plasma Cryoprecipitate	Plasma Cryoprecipitate (For Further Manufacturing Use)	Not available

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

- 미국에서 허가받은 유전자치료제 중 IMLYGIC(Amgen)을 사례로, 허가 시 제출자료는 품질, 비임상, 임상 자료로 구분

- 품질 자료로는 설정된 기준 및 시험방법 항목과 안정성시험 자료 요구
 - 기준 및 시험방법 항목으로는 확인시험(선명도, 색, 육안관찰 포함), 역가시험, 순도 시험, pH, 삼투압, 용량, 불용성 미립자시험, 무균시험, 엔도톡신 등의 자료가 제출되었음
 - 안정성시험 자료로는 차광 및 보관조건(-80℃ ± 10℃)하에 48개월 안정함을 입증하는 자료 제출되었음
- 비임상 자료로는 생체 내 분포시험, 독성시험자료 요구
 - 생체 내 분포시험으로는 OncoVEXGM-CSF를 피하 및 정맥투여하였을 때 바이러스 생체분포확인을 위하여 OncoVEXGM-CSF 1.6x10⁸ PFU/mL(피하 또는 정맥 주사)을 시험물질로 하여 암수 55마리의 BALB/c 마우스에 시험되었음

– 독성시험은 7가지 항목으로 자료 제출

- 1) 단회 피하투여후 30일 관찰기간 및 5회 피하반복투여후 56일 관찰기간 후 OncoVEXGM-CSF의 안전성 및 생체내분포 평가를 위한 ncoVEXGM-CSF 2x108PFU/mL의 암수 81마리 Balb.c 마우스 대상 시험
- 2) 5회 피하 반복투여 후 56일 관찰기간동안 OncoVEXGM-CSF 의 안전성 및 생체내 분포 평가를 위한 OncoVEXGM-CSF 2x108PFU/mL의 암수 69마리 BALB/c 마우스 대상 시험
- 3) 12회(독성평가) 또는 5회(생체분포) 피하 반복투여에 따른 OncoVEXGM-CSF 의 안전성 및 생체내분포평가를 위한 OncoVEXGM-CSF 2x108PFU/mL의 암수 204 마리 대상LB/c 마우스 대상 시험
- 4) 제조공정 중의 OncoVEXmouseGM-CSF와 OncoVEXGM-CSF의 피하반복투여 의 안전성을 비교를 위한 OncoVEXGM-CSF 1x109PFU/mg, OncoVEXGM-CSF 6x108PFU/mg, OncoVEXmouseGM-CSF 3.7x108PFU/mg, OncoVEXmouseGM-CSF 4.5x108PFU/mg 투여 시험
- 5) 비글견 전립선내에 OncoVEXGM-CSF를 bolus투여하여 독성 및 생체내분포평가를 위한OncoVEXGM-CSF의 6마리 수컷 비글견 대상 시험
- 6) Talimogene Laherparepvec(OncoVEXGM-CSF) 의 잠재적인 배태자발생독성 평가를 위한 OncoVEXGM-CSF 108PFU/mL의 197마리의 임신하지 않은 암컷 BALB/c 마우스 대상 시험
- 7) 시험물질을 랫트의 간동맥으로 투여하였을 때 독성평가를 위한 OncoVEXGM-CSF 107 PFU/mL 투여 시험자료가 제출되었음

• 임상 자료는 2상 및 3상 시험자료

– 임상 2상

- 1) 절제불가능한 stageⅢC,Ⅳ 흑색종에 대한 전체 반응률, 종양반응까지 시간, 질병 진행까지의 시간, 전체 생존기간을 50명 환자 대상으로 47주간 시험,
- 2) 임상 2상의 연장으로, 같은 적응증에 대하여 전체 반응률, 전체 생존기간을 3명 환자 대상으로 추가 24회 투여 또는 12개월까지 관찰한 시험자료 제출

– 임상 3상

- 1) 같은 병변에 대하여 지속적인 반응률, 전체생존기간, 가장 우수한 전반적인 반응 및 기타 유발가능한 질병, 반응시작, 치료실패까지 걸리는 시간, 반응지속, 반응간격을 ITT 투여 436명, talimogene laherparepvec투여 295명, GM-CSF 투여 141명 대상으로 12개월(또는 임상적 혜택을 받는 환자는 18개월) 시험
- 2) 같은 병변에 대하여 전체 반응률, 지속적인 반응률을 talimogene laherparepvec 투여 27명, GM-CSF 투여 3명 등 총 30명 환자 대상으로 추가 12개월(환자가 임상적 혜택을 받을 경우, 질병진행동안)까지 관찰한 시험자료가 제출되었음

3. 유럽 허가 사례 분석

■ 유럽 EMA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황

- 유럽에서는 EMA의 조직인 CAT (Committee of Advanced Therapies)가 유전자 및 세포 치료제의 허가를 규제하고 있고 9개의 제품이 승인되었으나 4개의 제품이 일시 중지 및 철회, 중단되어 총 5개의 제품만이 사용 가능함(2018년 5월 3일 기준)

표 4-6

유럽 EMA 허가 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황

Brand	Description	Status	Type	Indication
Chondrosphere (Spherox®)	Autologous Three-dimensional chondrocyte spheroids	Approved	TEP	For patients suffering from cartilage knee lesions
Zalmoxis®	Genetically modified allogeneic T cells	Approved	CTMP	Given after haematopoietic stem cell transplantation (HSCT) of patients with high-risk haematological malignancies to increase transplantation success and minimize risk of infection
Strimvelis®	Autologous CD34+ transduced to express Human Adenosine Deaminase (ADA)	Approved	GTMP	For patients lacking sufficient amount ADA leading to immunodeficiency
Imlygic®	Talimogene laherparepvec	Approved	GTMP	For treatment of melanoma on the skin or in the lymph glands
Holoclar®	Autologous corneal epithelial cells containing stem cells	Approved	TEP	Treatment for limbal stem-cell deficiency caused by burns to the eyes
Provenge®	Autologous Cellular Immunotherapy(sipuleucel-T)	Withdrawn	CTMP	For treatment of metastatic castrate resistant prostate cancer
Maci®	Autologous Cultured Chondrocytes	Suspended	TEP	Repair of cartilage defects of the knee
Glybera®	Alipogene tiparvovec	Discontinued	GTMP	For patients with familial lipoprotein lipase deficiency(LPLD) and suffering from pancreatitis attacks despite fat restricted diet.
Chondrocelect™	Autologous cartilage cells	Withdrawn	TEP	Repair of cartilage defect of the femoral condyle of the knee

출처 : Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

- 유럽에서 허가받은 세포치료제 중 Provenge(Dendreon)을 사례로, 허가 시 EMA 제출 자료는 품질, 비임상, 임상 자료로 구분

- 품질 자료로는 기준 및 시험방법에 관한 자료, 안정성시험자료, 동등성시험자료 요구

- 기준 및 시험방법에 관한 자료는 완제품에 대해 함량시험, 역가시험, 세포생존율 시험, 미생물안전성 시험(엔도톡신시험, 미생물 오염, 무균시험, 마이코플라스마 부정 시험)의 항목이 설정되어 관련 근거자료가 제출되었음
- 안정성시험자료는 “저장방법 및 사용기한에 대하여 실온에서 3시간”에 대한 안정성 자료가 제출되었음
- 동등성시험자료는 최종 완제품 공정에서 제조된 제품(EU site)과 임상3상에서 사용된 약물이 달라 서로간의 동등성을 입증하는 근거자료(4가지):
 - 1) 건강한 자원자의 세포는 전립선 암환자가 Sipuleucel-T를 생산하는데 적합한 모델임
 - 2) TNC와 CD54+수득률은 EU와 미국간 다양한 제조소 간 동등하며, 미국의 건강한 지원자의 시험결과는 EU의 건강한 지원자의 시험결과와 동등함
 - 3) TNC와 CD54+세포 수치에 대한 동등성 한계는 충분히 적절함을 보여줌
 - 4) Pharmacell에서 제조된 배치는 PAP-특이적 T세포가 융합된 항원을 나타낸다는 자료임
- 비임상 자료로는 1차 효력시험, 2차 효력시험 자료가 요구되었으며, 안전성약리시험, 일반적 독성, 유전독성, 생식독성, 돌연변이발생, 발암성 시험 등은 제출되지 않았음
 - 비임상 자료 중 1차 효력시험은 개념검증, 특성분석, 면역병리에 대하여 요구된 내용에 대하여 아래와 같이 유형별로 정리하였으며, 2차 효력시험은 정상세포와 종양 세포에서의 PAP의 발현 비교하는 시험을 실시하였음

표 4-7 비임상(1차 효력시험) 관련 제출자료(Provenge, 유럽)

유형	목적	시험약	투여 방법	시험동물 /계통
개념검증	사람 또는 랫트 유래 재조합 PAP에 대한 랫트의 면역반응을 평가	hPAP, rPAP, rPAP+hPAP, Ovalbumin, hPAP · mGM-CSF, rPAP · mGM-CSF	피하, 발바닥, 복강	랫트/ Copenhagen 또는 Wistar
개념검증	hPAP 면역반응의 강화에 대한 hPAP와 mGM-CSF의 융합의 영향의 확인	hPAP · mGM-CSF, hPAP	복강, 정맥	마우스/ DBA/2
개념검증 특성분석	PAP 특이적, HLA-DR1 제한적 murine T세포 융합의 확인, 그들이 반응하는 PAP 에피토프 (epitope)의 확인	hPAP · hGM-CSF	피하	마우스/ C57BL/6, B10.M/J [TG] Dr1N3
개념검증, 면역병리	전립선 특이적 염증을 유발하는 면역조건을 정의, 전립선을 제한하는 염증의 정도를 확인	hPAP, rPAP, rPAP · rGM-CSF, Ovalbumin, rPAP · rGM-CSF loaded spleen derived APCs, Ovalbumin loaded spleen derived APCs	복강, 피하, 정맥	랫트/ Copenhagen 또는 Wistar
개념검증	PAP발현 종양에 대한 hPAP · rGM-CSF loaded APCs의 면역반응으로 인한 보호역할의 확인	hPAP · hGM-CSF loaded spleen derived mouse APCs 2.5 x 10 ⁵ cells/mouse	복강	마우스/ C57BL/6

* 출처 : EMA 웹사이트, Provenge EPAR(EMA/H/C/002513/0000)

- 임상 자료로는 임상 1/2상, 2상, 3상에 대한 임상 자료가 요구되었으며, <표 20>에 시
험별 자료를 정리하였음

표 4-8 임상시험 관련 제출자료(Provenge, 유럽)

유형	목적	시험약	대상 질환	환자수	투여군 용량
임상 1/2상 (ACT9610)	• 안전성 • 면역반응 • 종양반응	Sipuleucel-T	전이성 전립선암	12	0, 4, 8, 24주에 주입 임상1상: $0.2 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$ $0.6 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$ $1.2 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$ 임상2상: $1.2 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$
			비전이성 전립선암	19	
임상2상 (ACT 9702)	• 안전성 • 면역반응 • 종양반응	Sipuleucel-T	전이성 전립선암	13	0, 4, 8, 12, 16주 항원피하주사 투여시 APC8015용량 : MMD ~ $1.2 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$
			전이성 전립선암	21	0, 2, 4, 8, 12주 항원피하주사 투여시 APC8015용량 : MMD ~ $1.2 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$
임상1상 (D9801)	• 안전성 • 면역반응	APC8026	무증후성 전이성 전립선암	15	0, 2, 4, 16주 용량군 : $1.0 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$ $2.5 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$ $4.0 \times 10^9 \text{ cells/m}^2$
임상3상 (D9901)	• 안전성 • 생존율(OS) • TTP • TDRP • 반응속도/ 반응기간 • 면역반응	Sipuleucel-T /위약	무증후성 전이성 전립선암	127 (82:45)	Sipuleucel-T(APC8015) 또는 위약 3번 정맥투여 (0-2-4주) 투여시 APC8015의 용량 : MMD 최소용량 : $3 \times 10^6 \text{ CD54+cells}$
임상3상 (D9902A)	• 안전성 • 생존율(OS) • TTP • TDRP • 반응속도/ 반응기간	Sipuleucel-T /위약	무증후성 최소증상 전이성 전립선암	98 (65:33)	Sipuleucel-T(APC8015) 또는 위약 3번 정맥투여 (0-2-4주) 투여시 APC8015의 용량 : MMD 최소용량 : $3 \times 10^6 \text{ CD54+cells}$
임상3상 (pivotal) (D9902B)	• 안전성 • 생존율(OS) • TTP	Sipuleucel-T/ 위약		512 (341:171)	- PA2024항원이 있는 APCs를 포함하는 자가유래 PBMC, Sipuleucel-T : 0,2,4주 3회 투여 - PA2024항원이 없는 자가유래 휴지상태의 APCs : 0,2,4주 3회 투여

출처: EMA 웹사이트, Provenge EPAR(EMA/H/C/002513/0000)

• 안전성 평가를 위하여 추가로 요구된 자료는 아래와 같음

표 4-9 추가 임상자료(Provenge)

유형	목적	시험약	대상질환	환자수	투여군 용량
임상3상 (P-11)	무작위배정(2:1) 이중맹검 위약-대조군, 다 기관	Sipuleucel- T : 위약 =113:59	근치전립선절제 술(radical pros- tatectomy)이후 PSA 진행형 비전 이성 ADPC	175	3회 정맥투여 (0-2-4주) 용량 : 3×10^6 CD54+cells (2003년12월이전) 20×10^6 CD54+cells (2003년12월이후)
임상2상 (D9905)	공개, 비-대조 시험	Sipuleucel- T:19	최종 투여 후, PSA 진행성 비전 이성 전립선암	19	Sipuleucel-T(APC8015) 4회 정맥투여 (0-2-4주) 용량 : MMD($\sim 1.2 \times 10^9$ cells/m ²)
임상1상 (D9906)	공개, 비-대조 시험	Sipuleucel- T:18	mCRPC 일본 남성환자	18	Sipuleucel-T(APC8015) 3회 정맥투여 (0-2-4주)
임상1/2 (ACT9702)	공개, 비-대조, 용량증가 시험	Sipuleucel- T:34	진행성 mCRPC	34 (임상1상: 13명, 임상2상: 21명)	임상1상: 2회 정맥투여 (0-4주) 투여시 APC8015용량: MMD($\sim 1.2 \times 10^9$ cells/m ²) PA2024 항원을 3회 정맥주사 8-12-16주 PA2024 용량군 : 0.3, 0.6, 1 mg 임상2상: 2회 정맥투여(0-2주) 투여시 APC8015용량: MMD($\sim 1.2 \times 10^9$ cells/m ²) PA2024 항원을 3회 정맥주사 4-8-12주 PA2024 용량 : 1mg
임상2상 (P09-1)	공개형, 비통제적 다기관	Sipuleucel- T:98	진행성 mCRPC	98	3회 정맥투여 0-2-4 주 투여시 APC8015 용량 : MMD 최소용량 : 20×10^6 CD54+cells
임상2상 (P07-1)	공개형, 비통제적 다기관	Sipuleucel- T:15	근치전립선절제 술(radical pros- tatectomy) 이전에 조직학적으로 국소 전립선암이 확인	15	3회 정맥 투여 0-2-4주 투여시 APC8015 용량 : MMD 최소용량: 20×10^6 CD54+cells
임상1상 (D9801)	공개형, 비통제적	APC8026:15	진행성 CRPC	15	4회 정맥주사 0-2-4-16주 1×10^9 cells/m ² 2.5×10^9 cells/m ² , 4×10^9 cells/m ²
임상2상 (P07-2)	무작위배정 (1:1:1), 단일맹검, 비통제적, 용량증가시험, 다기관	-Sipuleucel- T:23 -그 외:47 (PA2024 5 μ g/mL, 2 μ g/mL)	무증후성 또는 최소 증상 전이성 안드로겐 독립적 전립선암	71	3회 정맥투여 0-2-4주 투여시 APC8015 용량 : MMD 최소용량: 20×10^6 CD54+ cells 다른 PA2024 항원 농도(10, 5, 2 μ g/mL)
임상2상 (PB01)	구조요법시험 (Salvage study), 공개형, 비통제 적 다기관	APC8015F:109	D9902B시험의 위약대조군 가운 데 객관적인 질병 진행을 진단받은 mCRPC환자	113	0-2-4주 3회 정맥투여 최소용량: 3×10^6 CD54+ cells
임상2상 (D9903)	구조요법시험 (Salvage study), 공개형, 비통제 적 다기관	APC8015F:56	D9902A시험의 위약대조군 가운 데 객관적인 질병 진행을 진단받은 mCRPC환자	56	0-2-4주 3회 정맥투여 최소용량: 3×10^6 CD54+ cells

출처: EMA 웹사이트, Provenge EPAR(EMA/H/C/002513/0000)

4. 일본 허가 사례 분석

- 일본에서 허가받은 신재생의료제품은 Temcell HS주(JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.)가 있으며, 제조판매승인을 위한 신청 자료

표 4-10

제조판매승인 신청자료

승인신청 시 첨부자료 및 항목			신재생의료제품 요구 문서
1	기원 또는 발견경위 및 외국에서의 사용현황 등에 관한 자료	ア 기원 또는 발견의 경위에 관한 자료	●
		イ 외국에서 사용상황	●
		ウ 유사한 다른 치료법과의 비교검토 등	●
2	제조방법, 규격 및 시험방법 등에 관한 자료	ア 제품의 구조, 구성세포, 도입유전자	●
		イ 사용하는 원료, 재료 또는 그 원재료	●
		ウ 제조방법	●
		エ 규격 및 시험방법	●
3	안정성에 관한 자료	운송, 보조조건, 유효기간의 근거	●
4	효능, 효과 또는 성능에 관한 자료	효력 또는 성능을 뒷받침하는 시험	●
5	제품의 체내동태에 관한 자료	ア 생체내 분포	●
		イ 기타 체내동태	▲
6	비임상안전성에 관한 자료	ア 일반독성	●
		イ 기타 안전성	●
7	임상시험 등의 시험성적에 관한 자료	임상시험 등의 시험성적	●
8	리스크분석에 관한 자료	ア 리스크대책계획	●
		イ 제조판매 후 사용성적조사계획	●
		ウ 실시예정 임상시험계획	▲
9	법 제65조의 3 제1항에 규정하는 첨부문서 등 기재사항에 관한 자료	ア 첨부문서안	●
		イ 효능, 효과 또는 성능, 용법 및 용량 또는 사용방법, 사용상의 주의(안) 및 설정근거	●

* ●는 첨부, ▲는 개별 제품에 따라 판단, ◎은 신청자가 제출

- 기원 또는 발견 경위에 관한 자료에서는 신청품에 대한 개요(성분 및 치료 목적, 작용기전)와 개발 경위가 상세하게 설명되어 있는데, 특히 개발경위에 미국 및 유럽에서 희소 질병용의약품 지정, 스위스에서 우선심사대상으로 지정받은 내용이 포함되어 있음
- 제조방법, 규격 및 시험방법 등에 관한 자료는 구성세포, 제품, 표준물질에 대하여 구분하여 자료를 요구:
 - 구성세포의 1) 제조방법(제조공정, 공정 내 관리시험), 2) 외래성 감염성 물질의 안전성 평가(사람 골수액 공여자의 정보, 사람골수액 이외의 생물유래원료 정보 등) 항목과 3) 제조공정의 개발경위, 4) 특성분석, 5) 제조공정의 평가, 6) 구성세포의 관리 항목이 포함

- 제품에 대하여 1) 제품, 처방과 제품설계, 2) 제조방법, 3) 제품의 제조공정 개발의 경위(동등성/동질성), 4) 특성분석, 5) 제품의 관리에 대하여 설명하도록 되어 있으며, 표준물질에 대해서는 설정되어 있지 않음

- 안전성에 관한 자료에는 1) 제품의 안정성, 2) 투여액의 안정성 자료를 요구하고 있으며, 효능, 효과 또는 성능에 관한 자료를 뒷받침하는 시험을 하도록 되어 있고, 면역억제작용, 세포유주능, 면역원성에 관한 인자 분석시험이 제출되었고, 제품의 체내동태에 관한 자료는 51Cr로 방사성 표식된 본 품(51Cr-JR-031)을 마우스에 투여하여 평가한 자료 제출
- 비임상 안전성에 관한 자료로는 반복투여독성시험의 시험성적이 제출되었으며, 기타 참고자료로써 ACI 랫트유래 MSC(rMSC)를 이용한 단회투여독성시험, 반복투여독성시험 및 기타 시험의 시험성적이 제출
- 임상시험 등의 시험성적에 관한 자료로 부신피질스테로이드제에 의한 치료에 저항성을 보이는 급성 GVHD환자를 대상으로 한 국내 제 I / II 상 시험(JR-031-201시험) 및 그 계속시험(JR-031-202 시험), 국내 제 II / III 상 시험(JR-031-301시험)의 성적을 제출
- 참고자료로 Osiris사가 Prochymal을 이용해서 실시한 급성 GVHD환자를 대상으로 하는 해외 제 III 상 시험(280시험), Expanded Access Program(임상시험용 신약이용 범위확대제도)에 의한 특례사용성적(275시험) 및 Emergency-Use Protocols(긴급사용 프로토콜)(208, 215, 216, 220, 222, 224, 225, 227, 230, 231, 270E, 8/271시험)의 성적 제출
- 리스크 분석에 관한 자료로는 신청자의 제조판매 후의 사용성적조사 계획에 대하여 제출하였으며, 기타 첨부문서 등 기재사항에 관한 자료는 제출되지 않았음

5. 사례별 허가심사 리뷰의견

- (한국 세포치료제) 생물학적제제 등의 품목허가 · 심사 규정의 별표 2(세포치료제의 제출 자료)를 참고하여 인허가 자료제출 범위 준비 필요
- (물리화학적 성질에 관한 자료) 세포특성 분석 자료로서 형태, 세포성장, 표면항원, 유전학적 안정성, 분화능 및 유전자/단백질 발현 등의 세포기능(작용기전)에 대한 자료가 요구되고, 유전자치료제의 경우에는 제판효소지도, 염기서열, 바이러스 입자구조 및 세포형태와 도입유전자 발현, 작용기전 등의 생물학적 특성에 관한 자료도 요구

- (완제의약품의 기준 및 시험방법) 성상, 확인시험, 순도시험, 외래성 바이러스 부정시험, 무균시험, 마이코플라즈마 부정시험, 엔도톡신, 총세포수 시험, 세포생존율시험, 역가시험이 요구되며, 벡터를 이용하는 경우의 유전자치료제는 추가적으로 복제가능 바이러스 부정시험, 이상 독성 부정시험자료 요구
 - (독성 및 약리작용에 관한 자료) 자가·동종세포치료제에만 해당되며, 환자에게 투여되는 인간세포로 비임상시험을 수행하는 경우에는 면역결핍 동물모델 또는 인간화된 동물 등을 사용할 수 있음
 - 세부 조건으로, GLP를 준수해야 하며, 효력시험, 안전성 약리시험 등을 독성시험과 함께 수행할 수 있음
 - (임상시험자 자료집) “피하지방결손부위의 개선”을 목적으로 하여 지방세포를 최소한의 조작으로 제조한 자가세포치료제의 경우에는 품질자료와 안정성자료를 임상시험성적에 관한 자료로 활용할 수 있음.
 - 자가연골세포치료제 및 자가피부세포치료제의 경우에는 임상시험성적에 관한 자료 중 치료적 확증임상시험성적에 관한 자료에 대하여 시판 후 제출할 수 있도록 하며, 자가세포치료제의 경우에는 임상시험성적 자료의 가교자료 제출이 면제될 수 있음
 - 이미 허가된 품목(치료적확증임상시험 실시에 대한 허가조건이 삭제된 경우)과 동일하거나 이미 허가된 적응증과 발생원인, 과정, 결과가 유사한 적응증을 효능·효과에 추가하고자 하는 경우에는 임상약리시험 및 치료적 탐색임상시험성적에 관한 자료를 제출하지 않을 수 있고, 자가세포치료제의 경우 해당 품목으로 수행한 연구자 임상시험 자료 또는 전문학회지에 게재된 자료로서 안전성이 확보된 경우는 초기 안전성 임상시험 자료로 갈음할 수 있음
- (한국 유전자치료제) 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정의 별표 3(유전자치료제의 제출자료)를 참고하여 인허가 자료제출 범위 준비 필요
- 유전자치료제는 유전질환, 암, 후천성면역결핍증 및 기타 생명을 위협하거나 심각한 장애를 초래하는 질환의 치료제 및 질환으로의 진행을 억제하는 치료제 또는 현재 이용 가능한 치료법이 없거나, 유전자치료제가 현재 이용 가능한 다른 치료법과 비교하여 안전성, 유효성이 명백하게 개선된 경우에는 허가가 가능하지만, 사람 생식세포의 유전적 변형을 통하여 치료하는 등 윤리적 문제가 우려되는 경우에는 허가되지 않음
 - (독성시험자료) 반복투여 독성시험을 수행하도록 하는데, 벡터, 도입된 핵산과 발현되는 유전자와의 상관성을 보기 위하여 동일한 시험 내에서 약물동태학적지표 또는 조직 분포지표를 조사하는 것이 바람직하고, 유전독성시험 시에 일반적인 유전독성시험은 적용되지 않음

- 적용 예) 투여한 유전자의 숙주 염색체로의 삽입여부, 표적조직이나 장기 외에서의 검출, 발현, 발현의 지속여부/골수 또는 말초혈액에서의 세포유전학적 시험을 이용한 유전자의 분포와 이상발현지속에 관한 자료
- 유전자치료제의 발암성시험에는 성장인자, 성장인자 수용체의 장기적인 발현 또는 면역조절제와 같은 경우에 고려되어야 하고, 생식·발생 독성시험으로 생식선 및 생식기관에서의 발현 및 발현지속에 관한 자료가 요구됨.
- 발현되지 않을 시에는 수태능 및 일반생식독성시험이 필요하지 않을 수 있으며, 생식선과 생식기관의 조직병리학적 자료(예) 반복투여독성시험자료)로 대체할 수 있고, 기타 독성시험으로 면역독성, 국소반응성, 효력시험, ADME 시험 등이 포함될 수 있음

■ (미국, IMLYGIC 사례) 미국 FDA에서 품질, 비임상, 임상자료로 구분하여 자료를 제출하였으며 작용기전, 임상 1상 등에서 리뷰 의견 제시

- 작용기전 관련하여, 임상 자료에 사람에서의 전신 면역 생물학적 반응에 대한 정보가 제출되지 않았으며, 작용기전에 대한 명확한 이해와 전신 효과에 대한 평가를 위한 추가 연구가 요구됨
- 임상 1상의 시험약물 관련하여, talimogene laherparepvec(An oncolytic virus being studied for the treatment of melanoma and other cancers)은 병변내 주입하도록 하기 때문에, 피하로 주입되는 GM-CSF는 이상적인 대조군이 될 수 없으며, 피하 GM-CSF주사는 작은 병변을 제거할 수 있는 병변내 주입에 대한 역학적인 효과에 대한 조절이 되지 않는 것으로 고려됨
- 임상 1상 관련하여, 시험약은 24주 간 처리하도록 되어있기는 하나, 완전한 반응이 일어나고, 주입 가능한 부위가 소멸되는 경우, 독성 한계치인 경우, 치료방법을 바꾸는데 가장 적합하다고 여기는 경우 또는 피험자가 합의를 철회하는 경우에는 24주 이내에도 중단할 수 있도록 하고, 이러한 조기 중단은 연구 결과의 해석에 어려움을 초래할 수 있는 것을 고려해야 하고, 면역결핍 환자 관련해서는 면역 매개의 부작용이 발견된 환자의 경우에는 talimogene laherparepvec 치료가 중단되어야 하는 것으로 리뷰 의견을 받았음
- 임신한 여성, 면역결핍 피험자, 신생아(모유수유 유아)에 대한 talimogene laherparepvec의 노출 또는 사용에 대한 자료가 없어 BLA 제출에 대하여 쥐 모델에 대한 제한적인 비임상자료만 제출되었고, 폐쇄된 가족과 의료진에 의한 확산 자료가 완전하지 않다. 초기 시험적 확산 연구에 대한 유효한 분석이 부족하고, Amgen의 임상연구(20120324)가 진행중에 있기 때문에 위험성, 폐쇄 접촉, 의료진에 대하여 계획된 시판 후 시험 등을 통하여 현재의 확산 연구를 완료해야 한다는 리뷰의견을 받았음

- 의뢰자가 제안한 talimogene laherparepvec의 작용기전은 종양의 파괴가 일어나거나, 새로운 폐전이를 유발하는 것을 감소시키는 전신 항종양 면역 반응에 대한 가능성을 포함하고는 있으나, 정확한 작용기전에 대해서는 이해하기가 어렵다는 리뷰의견을 받았다. 이밖에도 실험 결과의 분석에 대한 리뷰의견도 받은 바 있음
- (유럽, 첨단바이오의약품 사례) EMA(CAT/CHMP)에서 허가 진행한 5개 첨단바이오의약품 제품들에 대하여 품질/비임상/임상시험 제출자료 중 리뷰의견
 - Cerepro(Adenovirus-mediated herpes simplex virus, 영국 Ark사(Ark Therapeutics)): 유전자 기반 뇌종양 신약
 - 품질에 대하여 부산물의 병원성, 면역원성, 알레르기 유발성에 대하여 언급하지 않았으며, 완제품 배치에서 주기적으로 검출되는 복제가능한 아데노바이러스(RCA)가 적절하게 규명되지 않았음.
 - 비임상 관련 시험이 GLP하에 수행되지 않았고, 대조군 벡터에서 관찰된 항 종양성 활동이 Advexin 탐색되지 않았으며, 치료효과에 대한 RCA의 기여가 명확하지 않고, 반복독성시험이 제출서류상 적절하게 언급되지 않았다 것.
 - 임상시험에 대하여, 시험대상의 이질성과 관련된 예후인자 치우침은 생존 데이터의 일관적 해석을 불가능하게 하고, 종양진행 데이터는 관찰된 생존 이점(survival benefit)과 불일치하는 등, 품질과 시험결과의 일관성이 부족
 - Advexin(contusogene, 미국 INTORGEN사)두경부암 유전자치료제
 - 품질에 대하여, 개발단계에서 각기 다른 제조소에서 완제 의약품이 생산되는 점, 완제품 배치의 충전 사이트가 GMP를 준수하지 않은 점
 - 비임상 자료에 대하여 작용기전 및 효능이 적절한 신경교종 동물 모델에서 성립되지 않았다고 의견을 받았으며, 임상 시험에 대하여, 생체분포(bio-distribution), 유출(shedding), 전이(transmission)가 유효한 정도로 고려되지 않았고, 종양에서의 p53 발현과 치료적 임상 증상의 상관성이 나타나지 않은 것
 - Contusogene Ladenovec Gendux(contusogene ladenovec, 미국 INTORGEN사)두경부암 유전자치료제
 - 품질 관점에서 Contusogene ladenovec Gendux는 Advexin과 동일한 의약품으로 간주하고, 비임상 관련하여 Advexin에서 고려된 사항과 유사하고, 임상 관련하여 투여 후 수일동안 의약품이 체액 내 잔존하는지 추적 및 조사되지 않았으며, 종양에서의 p53 발현과 치료적 임상 증상의 상관성이 나타나지 않은 것
 - Glybera(alipogene tiparvovec, 네델란드 UniQure사)지단백 리파제 결핍증 유전자치료제

- 품질 관련하여, 역가시험의 기준에서 설정된 저용량은 주성분 배치에서 관찰된 역가를 반영하지 못하고, 불순물 검출 한계가 너무 높게 설정되어 있으며, 배치별 복제 가능한 AAV(RCA)에 대하여 시험되지 않았고, 면역원성 바이러스 벡터에 대한 분석시험이 없는 점
- 비임상 관련하여 생식선 전이에 대한 시험이 수행되지 않았고, 임상 관련하여 췌장염 감소율을 뒷받침하는 근거가 불충분하며, 제한된 자료로 인하여 면역원성에 대한 Glybera의 안전성이 해결되지 않은 것
- Provenge(캐나다 Valeant)항암 세포치료제
 - 품질 관련하여, 위약의 제조 및 출고 자료가 제공되지 않았고, 미생물 안전과 관련된 마이코플라스마시험이 수행되지 않았으며, 시판의약품과 임상시험용의약품 간 동등성자료가 없는 것에 대하여 리뷰의견을 받았으며, 비임상 관련하여 POC시험이 GLP를 준수하지 않은 것

제4절 국내 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석

1. 첨단바이오의약품 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석

■ 첨단바이오의약품 육성을 위한 법적 체계 마련

- (현황) 첨단바이오의약품산업은 미래 핵심 메가트렌드의 신수요를 선점하기 위한 경쟁이 치열해지고 있는 추세로 국가차원의 전략적 투자 필요
 - 일본, 싱가포르 등 바이오의약품산업 육성에 먼저 착수한 국가들은 국가 차원의 전폭적 지원 하에 세계시장 선점을 위한 경쟁체제 돌입
 - 우리도 내수 활성화를 기반으로 미래 글로벌 시장을 겨냥한 국가 차원의 바이오산업 육성이 필요한 시점
- (문제점) 첨단바이오의약품산업의 육성을 종합적·체계적으로 뒷받침하기 위한 투자 혁신 환경 조성 미흡
 - R&D, 제품개발, 기업활동 촉진, 글로벌 시장진출 등 바이오산업의 종합적 육성·지원을 위한 국가차원의 제도적 지원체계 부족
 - 정책방향 등 환경 변화에 따른 기존 법 테두리 내의 한계를 보완하고, 국가 바이오산업의 전략적 육성·지원을 위한 별도의 지원체계 구축 마련 필요
- (개선방안) 첨단바이오산업의 육성·지원을 종합적·체계적으로 뒷받침하기 위한 “첨단바이오의약품” 제정법
 - ※ 첨단바이오의약품법안(정춘숙 의원 대표발의(의안번호 제8812호)의 조속한 입법호

■ 유전자검사제도 개선방안

- (현황) ‘유전체(Genome) 기술’은 맞춤형의료(Personalized medicine)의 기반이 되는 미래 핵심 분야로, 전 세계가 적극적인 육성정책 추진 중
 - * 오바마 대통령 국정연설(‘15.1.20) : 개개인에 최적화된 의료정보와 기술을 활용하여 암, 당뇨병 등 질병을 치료하는 정밀의학(Precision Medicine)에 ‘16년에만 2.1억 불을 투자하고, 100만 명의 유전정보 확보 계획 발표
- 최근 기술발전으로 개인 유전체 분석에 소요되는 비용·시간*이 획기적으로 감소, 5~10년 내 본격적인 실용화 시대 도래 예상
 - * (‘90) 30억 불, 15년 → (‘13) 1천 불, 1일

- (문제점)유전체 분석을 기반으로 한 새로운 서비스가 개발·보급되면서 기술도입의 속도와 범위, 규제 방향 등에 대한 사회적 논쟁 발생
 - 산업계는 기술발전 속도를 따라잡지 못하는 법적·제도적 장벽으로 맞춤형료 확산 및 연관 산업 발전이 지연된다고 주장
 - * 생명윤리법, 의료기기법 등 규제로 외국에서는 널리 사용되는 NGS(차세대염기서열분석) 장비 도입 및 이를 활용한 분석서비스 제공에 애로
 - 윤리학계, 시민단체 등은 근거가 부족한 유전자(체) 검사 남용, 개인정보 보호 장치 미흡 등 부작용 발생에 대한 대책 마련이 병행되어야 한다는 입장
 - (개선방안)유전자 검사항목 규제방식 개선 및 유전자 검사기관 관리체계를 정비하고 새로운 유전자검사 방법 신속 도입을 위한 지원 강화를 위한 유전자검사 관련 인프라 강화
- 원천 기술 기반 유망 첨단바이오의약품 발굴을 위한 전략적 R&D투자
- (현황 및 문제점) 자금력이 부족한 바이오벤처의 한계에 따라 글로벌 경쟁력을 확보하기 위해서는 균형있는 정부 R&D 지원 필요
 - 일부 바이오의약품(줄기세포치료제, 바이오시밀러)을 제외하고 정부 지원 부족 등 정부 R&D 투자의 불균형
 - * 줄기세포치료제(정부 R&D가 연간 1,000억 원 수준)비해 유전자치료제는 바이오 기술 분야 중 최고 기술 보유국(미국 기술수준의 74.3)임에도 정부 지원 부족(국가기술위원회, '10년)
 - (개선방향) 첨단바이오의약품 제제별 육성지원 및 균형지원 체계마련
 - (유전자예) 유전성 질환을 대상으로 전주기에 걸친 '유전체 분석-기능연구-진단-임상연구-유전자치료제 개발' 연계사업 지원
- 첨단바이오의약품 전문인력 양성
- (현황) 바이오헬스 등 보건산업 세계시장 규모는 8천조 원(12년 기준)으로 정보통신기술(3.8천조 원) 및 자동차(1.8천조 원)를 합한 것 보다 큰 규모
 - 국내 시장은 약 93조원으로 GDP의 7.2%, 세계시장의 1.1% 수준
 - 고용집약 산업으로 취업 유발계수가 높은 일자리 창출의 보고
 - * 보건의료서비스 20.8명 > 제조업 9.4명(2013 보건산업통계집, 진흥원)
 - 첨단바이오의약품 분야는 국가 新성장동력 산업으로서, 의료서비스· 제약·의료기기산업에 IT-BT-NT가 융복합되어 건강관리, U-health, 유전체 분석 등 새로운 영역으로 범주 확대추세로 신규 융복합 영역*을 선도할 융합형 인재의 양성 및 해당분야를 교육할 수 있는 전문교육기관 필요
 - * 유전자재조합, 생물정보학, 바이오 제조, 나노-바이오 융합, u-Health산업 등

- (문제점) 신규 융복합분야 시장 선점을 위한 전문인력 양성이 시급하나, 기존의 커리큘럼 및 교육기관으로는 역할에 한계
 - (커리큘럼 부재) 기존 보건분야 대학원은 학제간 융합 및 다학제적 커리큘럼 부재로 산업현장이 요구하고 있는 융복합적 인재양성 한계
 - (인프라 부족) 첨단 실험장비, 실험실습실 등 인프라 부족으로 현장 중심의 실용적 교육프로그램 운영 한계
 - (단기교육 한계) 보건복지인력개발원 등에서 글로벌헬스케어, 제약, 의료기기 등 재직자 중심교육이 이루어지고 있으나, 단기 교육으로는 미래 환경변화에 근본적 대응 한계
- (개선방안) 첨단바이오의약품 분야의 융복합 인재를 양성할 수 있는 전문인력 양성기관 설립 필요

■ 바이오의약품 비임상/임상 인프라(CRO) 육성

- (현황 및 문제점) 국내 바이오의약품 비임상·임상 인프라 취약으로 다국적 CRO에 위탁함에 따라 국부 유출 및 개발 지연 초래
 - * 의약품 R&D 비용 중 2/3가 임상에 소요, 해외 임상 CRO 업체 이용시 국내 CRO 비용의 약 5~10배 이상의 고비용, 비임상은 품질평가 역량미흡, 임상은 모니터링 위주로 제한적 서비스
- (개선방안) 국내 CRO의 바이오의약품 관련 비임상·임상시험 역량 제고
 - ‘바이오의약품 임상시험을 위한 국내 CRO 육성기반 구축’(09-14, 산업통상자원부, 5년) 사업의 지속 확대 필요
 - 글로벌 임상시험 유치와 노하우 습득을 위한 다국적 CRO와의 공동협력 강화
 - * 정부 지원 신약개발 글로벌 프로젝트 수행 시 다국적 CRO·국내 CRO 컨소시엄 구성 의무화 또는 우대(가산점) 반영
 - * CRO 육성·지원을 위한 국내·다국적 CRO간의 상시적 협력체계 마련
 - * 예) 일본) JCROA(Japan CRO Association) 운영: 1994년 설립, 28개사 활동 중
 - 오송 첨단의료복합단지의 신약개발지원센터 등과 같은 국가기관과 국내 CRO의 공동 프로젝트 지원
 - * 바이오의약품 신약개발 국내 CRO의 Platform 기술 중 글로벌급 시험법 개발 프로젝트 공동 수행 추진

■ 신의료기술평가 제도 개선

- (현황 및 문제점) 식약처의 허가를 받은 세포치료제/유전자치료제의 보험약가 산정 시, 신의료기술 평가를 별도로 받도록 하고 있어, 출시 지연과 환자가 신약에 접근하는데 많은 어려움이 있음

- (개선방안)세포치료제/유전자치료제의 경우에도 합성의약품과 동일하게 신의료기술 평가 없이 보험약가 등재가 가능하도록 현행 체제 정비 필요함

2. 줄기세포치료제 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석

■ 줄기세포치료제의 병원 내 신속 적용 제도 도입

- (현황) 줄기세포치료제는 선진국에 근접한 기술수준을 확보하고 있어 상당한 경쟁력이 있는 것으로 평가
 - 세계최초로 줄기세포치료제 상용화('11년), 전 세계 품목허가 줄기세포치료제 6개중 4개가 한국 제품

* 줄기세포 임상시험의 경우 미국에 이어 세계 2위('14년말, 상업임상기준)

- (문제점) 줄기세포 등을 활용한 재생의료제품은 전통적 의약품·의료기기와 구분되는 특성을 지니고 있음에도 불구하고 동일한 규제의 틀로 관리되고 있어 신속한 제품 개발 및 환자 적용에 한계

- 일반의약품 수준의 인허가 요건(안전성·유효성 입증 등) 충족에 많은 비용과 시간이 소요되어 기술 개발 의욕을 위축시키고,
- 개발 제품의 시장 진입 시기도 늦어져 실제 필요한 수요자(환자)가 적기에 첨단재생 의료의 혜택을 받는데 어려움

- (개선방안) 특정조건을 갖춘 병원에서의 첨단재생의료제품 시술·적용 허용

- 의약품 품목허가 이전이라도 첨단재생 치료를 희망하는 환자에 대해서는 안전과 품질기준이 확보된 재생의료제품을 의사책임 하에 Small Sale로 우선 시술·적용할 수 있도록 허용
- 시술의 신뢰성 확보와 사후관리를 위해 일정수준 이상의 인프라 및 전문역량을 갖춘 병원으로 실시기관 한정하여 안전관리 체계 지원

■ 줄기세포치료제의 의료보험적용 확대

- (현황 및 문제점) 고비용 치료제임에도 불구하고 일부 세포치료제만 의료보험이 적용되어 환자부담 가중 및 시장 확대 한계

- 시판허가를 받은 4건의 줄기세포치료제 중 1건 (큐피시스템)만 보험등재
- 자가세포치료제인 홀로덤 및 케라힐의 경우 산재보험 적용을 받지만 건강보험 약제 급여목록에 등재된 품목은 세원셀론텍의 '콘드론'과 태고사이언스의 '칼로덤' 단 2품목에 불과

- 세포치료제 약가 산정시 보험급여 신청을 위한 약제결정신청서 제출 시 국내개발 신약 개발원가 산출서식에 따라 희망 약가 계산됨
- 그러나 현재 적용되는 국내개발 신약 개발원가 산출 서식은 기존의 대량 생산 약품의 적합하게 구성되어 세포치료제의 상황과의 불일치로 인한 약가 산정이 매우 어려움
- (개선방안) 줄기세포치료제의 특성에 합당한 개발원가 산출 서식 적용을 통해 새로운 방법으로 급여를 정해야 할 필요성 대두
 - 기존 치료제와 다른 치료에 대한 접근성을 보장해 달라는 환자의 요구, 건강보험 재정 안정성이 확보되어야 하는 보험자의 입장, 제조회가 및 개발비가 보전될 수 있는 적정 약가를 유지해야 하는 공급자의 입장을 모두 고려
 - 약가 비급여인 경우 진료비는 급여 책정을 통해 약가를 비급여로 인정되는 경우에도 약가 이외 수술 및 입원비 등은 급여가 진행할 수 있도록 규정 개정 검토 필요하고 필요시, 현행 건별 심사가 아닌 적정 예산제 운영 검토
- 줄기세포치료제 개발시 비동결난자 연구사용 허용
 - (현황 및 문제점)연구에 이용할 수 있는 잔여난자 범위를 동결 난자로만 한정
 - * 미·일·영은 기증자 자발적동의를 전제로 비동결난자 연구사용 가능
 - (개선방안) 비동결·정상 난자를 기증자 동의가 있을 경우 연구용으로 허용

3. 유전자치료제 임상·인허가 성공 및 저해 요인 분석

- 유전자치료 연구범위 제한 완화
 - (현황) 글로벌 경쟁력을 확보하기 위해 “생명윤리 및 안전에 관한 법률”의 개정을 통해 미국 등 해외에서는 심혈관질환, 안질환, 감염성 질환 등의 다양한 질환에 대해 유전자 치료 허용필요
 - * 미국 : 대상질환을 제한하지 않음. ‘14년 4월 이후 임상시험을 신청하면 NIH의 RAC (Recombinant DNA Advisory Committee)에서 안전성 및 유효성에 대해 심의 절차 생략 단, 완전히 새로운 벡터의 사용 등으로 불확실성이 큰 경우에만 RAC을 거치도록 함
 - * 유럽 : 품목허가를 제한하지 않고 “Risk-based Approach”에 관한 가이드라인을 바탕으로 충분한 안전성 평가와 유연한 접근방법을 권고
 - (개선방안) “생명윤리 및 안전에 관한 법률” 개정을 통해 제 47조의 ‘배아, 난자, 정자 및 태아’를 제외한 유전자치료를 실시허용
 - 제 48조의 약사법에 따라 품목허가를 받은 제품에 대해서는 유전자치료 기관 신고 및 별도 환자동의서 확보가 필요 적용이 면제될 수 있도록 변경

■ 지능형 바이러스를 활용한 난치/불치성 질환 유전자치료제 원천기술 개발지원

- (현황 및 문제점) 임상 개발로 최근 성공사례가 급증하고 있으며(23년간 900여건 이상) 특히 AAV(adeno-associated virus)를 이용한 유전병/난치병 치료, 종양 살상 바이러스를 이용한 암 치료 등에서 성공 사례가 보고되고 있음
 - 유전자 치료 개념은 원래 바이러스에서 출발하고 있으며 종양살상 백시니아 바이러스 분야의 원천 기술을 보유하고 있으며 간암 임상 2상에서도 우수한 효과를 보인 성공 사례 있음 (신라젠)
 - AAV, 아데노바이러스, 렌티바이러스 등에서도 기반기술 확보한 연구자들이 있으나 전임상 개발, 임상 개발이 한계 요인으로 작용하고 있음
- (개선방안) 유전성/난치성 질환의 유전자치료제에 대한 집중 지원을 통한 글로벌 성과 창출을 위한 글로벌 유전자치료제 R&D과제 지원
 - (유전성질환) ‘유전자분석-진단-치료제 개발 연계사업(가칭 유전성질환 중개연구 사업)’ 추진 필요
 - (기타 난치/불치성 질환) 원천기술 확보 능력을 갖춘 연구진을 발굴하여 전임상 유효성 연구 집중 지원

■ 유전자치료제 생산 시설 양성

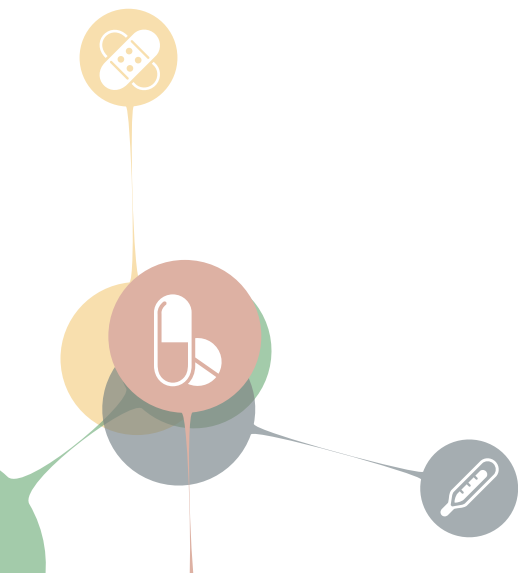
- (현황 및 문제점) 국내 유전자치료제 생산 가능 시설 2곳에 불과하여 유전자치료제 생산시설 부족
 - 유전자치료제 전문 KGMP 제조소 1개소, 생산시설 1개소 존재
 - * SCT (충북 오송 소재) : 임상 1, 2상 의약품 제조용 시설·장비·인력 구비, 일부 바이러스성 전달체 생산 가능. 중소기업이라 사업적으로 매우 영세
 - * 전라남도 생물의학연구센터 (전남 화순 소재) : KGMP 생산설비 구비, 유전자치료제 생산 기술 및 인력 없이 이용자가 직접 생산
 - 연구자들이 임상시험약 생산을 위탁할 수 있는 위탁생산시설이 없어 후보 약품 확보 이후 임상 단계로 진입하는 데 어려움을 겪고 있음
 - 유전자치료제 개발기업 중 국내 생산설비 보유 회사 1곳에 불과하여 품목허가에 차질 예상
 - 임상시험용 의약품은 해외 CMO에서 생산한 의약품을 사용 할 수 있으나 품목허가/시판에는 국내 생산이 필수
 - * 국내 제조의약품허가를 받기 위해서는 국내 제조소가 있어야함 (약사법 제31조)

- (개선방안) 대학, 연구소 등에 미국의 National Gene Vector Laboratories (NGVL)과 같은 특정 유전자전달체 특화 생산시설 육성
 - * NGVL : 미국의 경우 NIH 주도로 일부 대학 및 연구소를 지정하여 유전자치료제 생산시설 설립 지원 및 연구자들에게 무상 공급
- (해외 CMO 활용 방안) 유전자치료제 의약품의 해외 제조 및 수입 판매가 가능하도록 법규 개정(해외 CMO를 의약품 제조 수탁자로 인정하도록 법규 개정)



제5장

국내외 관련 업체 및 연구개발 현황



제1절 국내외 관련 업체 현황

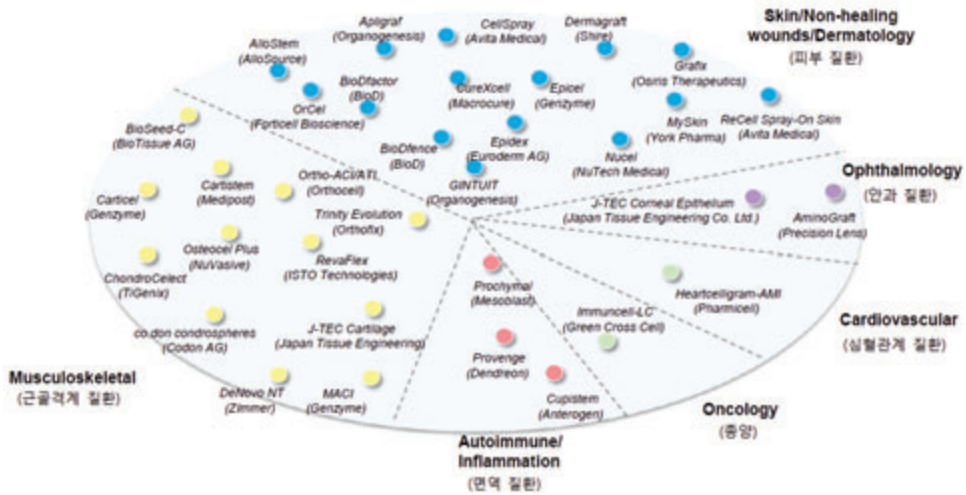
1. 줄기세포치료제 및 유전자치료제 개발 업체 현황

가. 세포치료제 시장 출시 현황

- 시장에 출시된 세포치료제는 피부 질환(38%)과 근골격계 질환(30%)을 주요 적응증으로 개발
 - 그 뒤로 면역 질환(8%), 종양(4%)과 심혈관계 질환(4%), 기타(16%) 순이나, 현재 개발이 진행 중인 파이프라인 상의 질환별 분포는 매우 상이
 - 종양(50%), 심혈관계 질환(12%), 신경계 질환(9%), 면역 질환(8%) 등으로 종양을 타겟으로 하는 세포치료제 개발 활발
 - 시장에 출시된 세포치료제 중 국내 업체에서 개발한 제품은 근골격계 질환, 면역 질환, 종양, 심혈관계 질환에 분포
 - 메디포스트의 카티스템(근골격계 질환), 안트로젠의 큐피스템(면역질환), 녹십자셀의 이문셀-LC(종양), 파미셀의 하티셀그램-AMI(심혈관계 질환)로 줄기세포치료제 중심의 제품이 시장에 출시
 - 피부 질환에 대한 세포치료제 개발 주요 업체는 AlloSource, Avita가, 근골격계 질환에 대해서는 Mesoblast, ISTO, TiGenix가 활동
 - 특정 질환에 중점 두지 않고 다양한 질환에 대한 세포치료제를 개발하는 업체로 Organogenesis, Osiris, Genzyme, Shire 등이 활동

그림 5-1

글로벌 시장에 출시된 주요 세포치료제의 질환별 분포 현황(2015년)

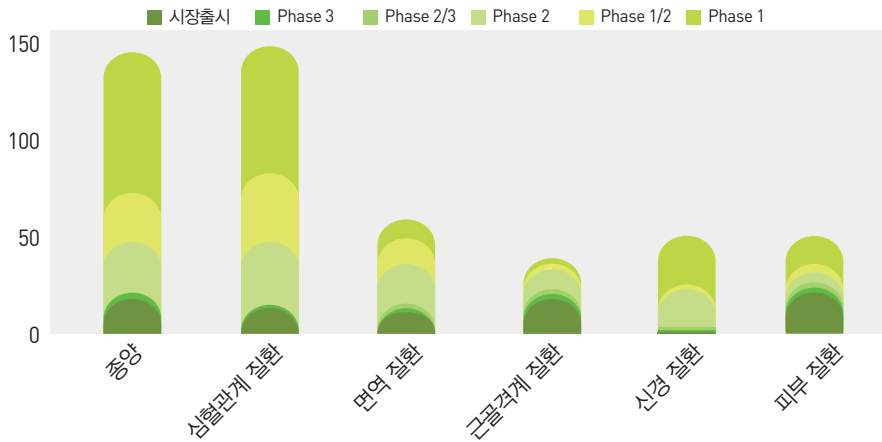


출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5)

나. 세포치료제 파이프라인 현황

- 향후 2~3년 내에 종양과 심혈관계 질환 치료를 위한 세포치료제의 시장 출시가 활발할 것으로 전망
 - 현재 개발 단계인 세포치료제는 종양(127개)과 심혈관계 질환(131개)에 집중되어 있으며, 파이프라인에서 비교적 후기임상(3상) 단계의 제품 다수 분포
 - 또한 종양과 심혈관계 질환에 대해서는 임상 1상과 2상 단계의 후보 세포치료제도 풍부한 상태로, 지속적으로 관련 세포치료제의 시장 출시 기대
 - 신경 질환에 대한 세포치료제는 현재 시장에 출시된 제품은 없지만, 임상 1상과 2상 단계에서 개발되는 후보 세포치료제가 비교적 많음에 따라 향후 제품 출시가 있을 것으로 기대

그림 5-2 세포치료제의 개발단계별/질환별 현황(2015년)



단계	중양	심혈관계	면역	근골격계	신경	피부	합계
시장출시	1	1	3	12	0	15	32
Phase 3	13	10	4	3	2	3	35
Phase 2/3	2	1	3	2	1	2	11
Phase 2	25	32	20	12	18	6	113
Phase 1/2	22	28	12	2	2	4	70
Phase 1	65	60	10	3	20	12	170
합계	128	132	52	34	43	42	431

출처: Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market(2016.5), 생명공학정책연구센터 재가공

다. 줄기세포 관련 주요 기업들의 인수합병 현황

- 줄기세포 시장 성장에 따라 관련 기업들은 적극적 인수합병 및 협력연구를 추진하여 연구역량, 지식재산권, 상업화, 생산능력 등에서 시너지 효과 창출 기대

표 5-1 주요 기업간 인수·합병·협력 현황(미국기업 중심으로)

기업명	협약 형태	주요 내용	협약일	시장 영향요인
Stem Cell Therapeutics Corp. (SCT)/ Trillium Therapeutics Inc.(TTI)	합병	암 치료를 위해 치료제를 개발하고 있는 면역-종양 기업인 SCT가 자회사인 TTI를 합병, 합병 기업의 상호는 'Trillium'로 결정	2013. 2.	SCT가 암 줄기세포치료제 개발 영역에 서의 입지를 확고히 할 것을 기대
BioTime Inc./ Geron Corporation	인수	BioTime과 자회사인 BioTime Acquisition Corporation(BAC)은 Geron과 특허나, hESC 프로그램과 같은 다른 자산을 취득하기 위하여 최종 자산공헌 계약을 체결	2013. 1.	BioTime은 Geron의 4가지 보류된 세포주(OPC1, VAC1, 관절염 및 심장질환 대상 전임상 후 보물질 등)에 대한 재연구 추진
Living Cell Technologies Limited(LCT)/ Otsuka Pharmaceutical Factory Inc.(OPF)	협력	LCT는 OPF와 함께 파킨슨병을 포함한 신경계 질환 치료를 위한 NTCELL를 공동 개발하는 계약 체결	2012. 12.	LCT는 본 협력을 통해 NTCELL의 임상 1상 추진을 위한 자금 확보, OPF는 NTCELL의 공동개발 및 상용화에 대한 독점권을 획득
Smith & Nephew plc/ Healthpoint Biotherapeutics	인수	Smith & Nephew가 생물작용 상처치료제 업체인 Healthpoint를 7.82억달러에 인수	2012. 11.	Smith & Nephew는 본 인수를 통해 상처 치료 시장의 글로벌 입지 강화 노력 추진
AxoGen Inc./ PDL BioPharma Inc.	구조적 금융계약	PDL은 말초신경의 수술적 치료에 대한 연구 및 상용화를 진행하기 위해 AxoGen에 2,080만달러 승인	2012. 10.	AxoGen의 신규 파이프 라인 기회 모색, 판매 및 마케팅 강화에 기여
Kensey Nash/ Royal DSM	인수합병	DSM은 재생의료 중점적 의료 기기 기업인 Kensey Nash를 자회사로 합병한 후 일반 주식을 현금 공개 매수를 통해 모두 인수	2012. 5.	DSM의 3가지 중점 사업 중 하나인 바이오메디컬 사업 보완·강화 예상
Shire plc/ Pervasis Therapeutics	인수	Shire는 Pervasis Therapeutics의 모든 자산을 인수, Shire의 임상활동, 규제 및 판매 목표를 기반의 예상 비용을 선불로 제공	2012. 4.	Shire는 재생의료 제품에 대한 신기술 플랫폼 및 임상 2상 제품후보군 구축 추진
Cytomedix Inc./ Aldagen	인수	Cytomedix는 북 캘리포니아에 위치한 기업인 주가 4천만달러의 Aldagen를 인수	2012. 2.	Cytomedix는 Aldagen의 독점적 세포 셀렉션 기술과 파이프라인을 포함해 혁신적 재생치료에 대한 포트폴리오 확대

출처: Frost&Sullivan, Analysis of the Global Stem Cell Market(2014), 생명공학정책연구센터 재가공

라. 해외 주요 줄기세포 및 유전자치료제 개발 기업 현황

- 해외 줄기세포 및 유전자치료제를 연구 중인 기업들을 안과, 신경질환, CAR 및 TCR 세포 관련 면역 요법, 바이러스 벡터, 기타 등 응용 분야별로 구분한 결과 기업 현황은 아래와 같음

표 5-2 안과 영역에 중점을 둔 기업

기업명	중점 영역	분야	제품명
AGTC (the U.S.)	Gene therapies for orphan patients suffering with impaired vision from Achromatopsia and X-linked Retinoschisis.	Gene	CNGB3 (Phase I) Achromatopsia XLRS (Phase I) X-Linked Retinoschisis
Horama (France)	Developer of gene therapies to treat rare ophthalmic inherited diseases	Gene	HORA-RPE65 (Phase I/II) RPE65 Retinitis pigemntosa HORA-PDE6B (Phase I/II) PDE6B Retinitis pigemntosa HORA-RLBP1 (Preclinical) RLBP1 Retinal dystrophy
Nightstar Therapeutics (the U.S)	Focus is on developing and commercializing novel, one-time treatments for patients suffering from rare inherited retinal diseases that would otherwise progress to blindness.	Gene	NSR-REP1 (Phase III) Choroideremia NSR-RPGR (Phase I/II) X-linked Retinitis Pigmentosa
Quethera (the U.K.)	Dedicated to improve the future treatment of common blinding eye diseases.	Gene	—

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

표 5-3 신경질환 영역에 중점을 둔 기업

기업명	중점 영역	분야	제품명
Agilis Bio (The U.S.)	Target rare monogenic diseases that affect the central nervous system	Gene	AGIL-AADC (Phase I/II) AADC Deficiency
AveXis (the U.S.)	Developing gene therapies for rare neurological genetic diseases	Gene	AVXS-101 (Phase III) Spinal muscular atrophy(SMA) Type 1 AVXS-101 (Phase I) SMA Type 2
CombiGene (Sweden)	Developer of gene therapies using viral vectors and NPY-receptors to treat patients suffering from epilepsy and other neurological diseases.	Gene	CG01 (Phase I/II) Epilepsy
Lysogene (France, the U.S.)	Developers of gene therapies to treat neurodegenerative disorders.	Gene and viruses	LYS-SAF302 (Phase II) Sanfilippo A LYS-GM101 (Preclinical) Gangliosidose
Voyager Therapeutics (the U.S.)	Focus is on severe neurological diseases.	Gene	VY-AADC (Phase I) Advanced Parkinson's Disease

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

표 5-4

CAR T 및 TCR 세포 관련 면역 요법에 중점을 둔 기업

기업명	중점 영역	분야	제품명
Bluebird Bio (the U.S.)	Developing both gene therapies and cancer immunotherapies (CAR T program).	Gene & cell	bb-2121 (CAR T) (Phase I/II) Multiple Myeloma cancer Lenti-DTM (Phase II/III) Adrenoleukodystrophy BB305/LentiGlobinR (Phase II/III) Transfusion-dependent b-thalassemia, severe sickle cell disease
Collectis (France)	Designing next-generation immunotherapies by gene editing CAR T cells.	Gene & cell	UCART19 (Phase I) Acute lymphoma leukemia UCART123 (Phase I) Acute myeloid leukemia, blastic plasmacytoid dendritic cell neoplasm UCART22 (Preclinical) B-acute lymphocytic leukemia
Cell Medica (Europe, the U.S.)	Developing of CAR T cell and TCR immunotherapies.	Gene & cell	CMD-003 (Phase II) Hodgin lymphoma CMD-602 (Phase I) Acute lymphoma leukemia, non small cell lung cancer CMD-501 (Phase I/II) Neuroblastoma, small cell lung cancer
Celyad (Belgium, the U.S.)	Developing CAR T cell-based immunotherapy against cancers.	Gene & cell	CYAD-01 (Phase I/II) Different cancer forms
Dynavax (Europe, the U.S.)	Developing immunotherapies based on Toll-Like Receptor (TLR) biology.	Gene & cell	SD-101 + Anti IL-10 (Phase I) Multiple Malignancies AZD1419 (Phase II) Asthma SD-101 + Anti PD-1 (Phase I/II) Melanoma / Head and Neck Squamous Cell Carcinoma
GenSight Biologics (France)	Developing novel therapies for patients with severe retinal neurodegenerative diseases.	Gene	GS010 (Phase III) Lhon GS030 (Preclinical) Retinitis pigmentosa
Juno Therapeutics (Germany, the U.S.)	Developing autologous cellular biologics by engineering T cell to treat cancer and other severe diseases.	Gene	JCAR017 (Phase I) Non-Hodgkin Lymphoma JTCR016 (Phase I/II) Acute lymphoma leukemia JTCR016 (Phase I/II) Non-Small Cell Lung Cancer, Mesothelioma

MediGene AG (Germany)	Developing of immunotherapies with TCR technology to treat various cancer forms.	Gene & cell	DC Vaccine (Phase II) Acute myeloid leukemia MDG1011 (Preclinical) Acute myeloid leukemia, myelodysplastic syndrome
MultiVir (the U.S.)	Developing transforming immune gene therapies that target cancers' most fundamental molecular defects.	Gene	—
Poseida Therapeutics (the U.S.)	The initial applications of Poseida's technologies will be in gene therapy and CAR-T product candidates for liver disorders and cancer, respectively.	Gene & cell	P-BCMA-101 (Clinical POC) Multiple Myeloma, CAR-T Therapy
Tmunity Therapeutics (the U.S.)	Developing immunotherapies for cancer, infectious disease and autoimmune disease.	Cell	1 Solid Tumour CAR-T Program in Clinical Development 1 Solid Tumour TCR Program in Clinical Development
Tocagen (the U.S.)	Have developed a versatile gene therapy platform that represents a new approach in cancer immunotherapy.	Gene & cell	Toca 5 (Phase III) Recurrent high-grade glioma Toca 6 (Phase I) Metastatic solid tumours (CRC, RCC, Melanoma, Pancreatic, Lung and Breast) Toca 7 (Phase I) Newly diagnosed high-grade glioma
Transgene (France)	Developing immune-targeted therapies for the treatment of cancers and infectious diseases.	Gene & cell	TG4010 (Phase I/II) Therapeutic vaccine, non-small cell lung cancer TG4001 (Phase II) HPV positive cancers (therapeutic vaccine) Pexa-Vec (Phase III) Hepatocellular carcinoma – 1st line (PHOCUS) (oncolytic viruses)

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

제1장
바이오의약품 현황

제2장
첨단바이오의약품 현황

제3장
국내 줄기세포 및 유전자 치료제 관련
지원 정책 및 정책 비교

제4장
국내의 임상·임허가 성공사례
및 성공·실패 요인 분석

제5장
국내의 관련 업체 및
연구개발 현황

제6장
중합고찰

표 5-5 바이러스 벡터 개발에 중점을 둔 기업

기업명	중점 영역
Askbio (the U.S.)	Owns and operates a cell line manufacturing process and an extensive capsid library. They generate third generation gene vectors
FinVector (Finland)	Research and development of viral-based gene therapy products
Lentigen Corporation (Europe, the U.S.)	Manufacturer of custom lentiviral vectors for pre-clinical and clinical applications
Vector BioLabs (the U.S.)	Suppliers of AAV and adenoviral products
Virovek (the U.S.)	Suppliers of AAV products
Sirion Biotech (Germany)	Viral vector engineering and production; AAV, lentivirus, adenovirus
StrideBio (the U.S.)	Focusing on creating and developing novel adeno-associated viral (AAV) vector technologies

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

표 5-6 기타 응용 분야에 중점을 둔 기업

기업명	중점 영역	분야	제품명
Abeona Therapeutics (the U.S.)	Diseases in dermatology, metabolic and hematology.	Gene	EB-101 (Phase III) Epidermolysis Bullosa Dystrophica ABO-101 (Phase I/II) Sanfilippo Syndrome Type A ABO-102 (Phase I/II) Sanfilippo Syndrome Type B
Apceth Biopharma (Germany)	Uses mesenchymal stem cells (MSC) and their genetic modification to for example promote tissue regeneration of diseased and damaged tissues. They have no products in clinical Phase.	Gene & cell	apcethTM- 201 (Preclinical) Graft-vs-Host Disease (GvHD), inflammatory bowel disease, diabetes type I, vasculitis or chronic lung disease apcethTM- 301 (Preclinical) Glioblastoma multiforme, other solid tumours.
Audentes Therapeutics (the U.S.)	Strives to develop gene therapies for life-threatening diseases.	Gene	AT132 (Phase I/II) X-Linked Myotubular Myopathy AT342 (Phase I/II) Crigler-Najjar Syndrome
Avrobio (the U.S.)	Developers of lentiviral-based gene therapies in Fabry, Gaucher and Pompe diseases and Cystinosis.	Gene	AVR-RD-01 (Phase I/II) Fabry disease

BlueRock Therapeutics (the U.S.)	Develop allogeneic cell therapies that aim to replace dead, damaged, or dysfunctional cells in patients with degenerative disease.	Cell	Parkinson's disease (Preclinical) Developing dopaminergic neurons that can replace the dopamine-secreting cells. Cardiac Diseases (Preclinical) With help from stem cells they want to replace heart muscle cells in patients who lost muscle cells after heart attacks.
Calimmune (the U.S.)	Clinical-stage company, main development area are novel outpatient ex vivo gene therapies for hematologic diseases.	Gene	CAL-1 (Phase I/II) HIV/AIDS CAL-H (Preclinical) Hemoglobinopathies
Errant Gene Therapeutics (Europe, the U.S.)	Developer of gene therapy drugs against rare diseases and disorders.	Gene	Thalagen (Preclinical) Thalassemia JW-1521 (Preclinical) Refractory prostate cancer MSKCC product (Preclinical) Sickle cell anemia
Freeline Therapeutics (The U.K.)	Developer of gene therapy products against bleeding disorders like Haemophilia B.	Gene	—
GenVec, Inc. (the U.S.)	Clinical-stage company using their AdenoVerse™ gene delivery platform to develop therapeutics and vaccines.	Gene	CGF166 (Phase I) Hearing loss and vestibular dysfunction
Krystal Biotech (the U.S.)	Developing gene therapies to treat rare orphan dermatological disorders with their Skin TARgeted Delivery platform, or STAR-D platform.	Gene	KB103 (Phase I/II) Dystrophic EB KB105 (Research) TGM-1 Deficient ARCI KB106 (Research) Wound healing
LogicBio Therapeutics (the U.S.)	Developer of GeneRide™ which is used when integrating therapeutic transgenes while gene editing.	Viral vector & gene	—
NanoCor Therapeutics (the U.S.)	Gene therapy for Cardiovascular Disease.	Gene	Carfostin (Research)
Orchard Therapeutics (the U.K.)	Focus is on primary immune deficiencies and inherited metabolic disorders.	Gene	Strimvelis (commercialized) OTL-102 (Clinical POC) X-linked chronic granulomatous disease (X-CDG) OTL-300 (Clinical POC) Beta-thalassemia

제1장
바이오의약품 현황

제2장
첨단바이오의약품 현황

제3장
국내 줄기세포 및 유전자 치료제 관련
지원 정책 및 정책 비교

제4장
국내의 임상·임상/가성률·안전
및 성공·지혜 요인 분석

제5장
국내의 관련 업체 및
연구개발 현황

제6장
종합고찰

Renova Therapeutics (the U.S.)	Developing definite treatments for congestive heart failure and type 2 diabetes.	Gene & peptide	RT-100 (Phase II/III) Congestive heart failure(gene therapy) RT-400 (Phase II) Acute decompensated heart failure (peptide therapy)
Solid Biosciences (the U.S.)	Focusing on solving Duchenne muscular dystrophy.	Gene	SGT-001 (Clinical) Microdystrophin Gene Transfer
Spark Therapeutics (the U.S.)	Initial focus is on treating orphan diseases.	Gene	LuxturnaTM (FDA approved)

출처: Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development (2018)

마. 주요 국내 줄기세포치료제 및 유전자치료제 개발 기업 동향

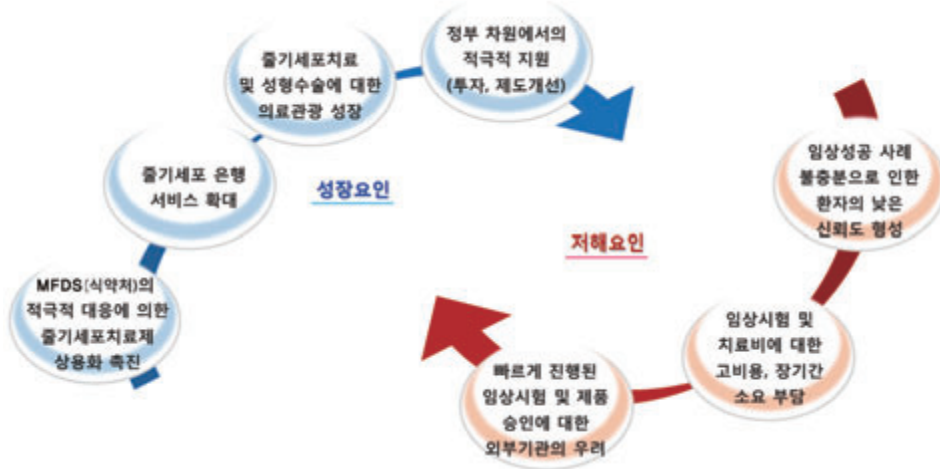
- 한국의 줄기세포치료제 개발 기업과 줄기세포 은행의 시장 침투력은 매우 높은 수준
- (치료제 개발기업) 한국은 세계 최초로 줄기세포치료제를 품목허가 하는 등 식약처를 비롯한 정부의 적극적 지원이 강한 시장성장 영향력 요인 중 하나
- (줄기세포은행) 줄기세포 연구 활성화 및 시장성장 추세에 따라 고품질 줄기세포주 확보와 연구 인프라 강화, 건강한 삶을 위한 줄기세포 보관·관리서비스 등 बैं킹사업 활발

그림 5-3 국내 줄기세포 분야 주요기업 현황



출처: Frost&Sullivan, Analysis of the Global Stem Cell Market(2014) 참조, 생명공학정책연구센터 재가공

그림 5-4 국내 줄기세포 시장 영향요인 분석



출처: Frost&Sullivan, Analysis of the Global Stem Cell Market(2014), 생명공학정책연구센터 재가공

■ 바이로메드 : 한국의 바이오 기업으로 1996년 설립

- 당뇨병성 신경병증, 허혈성 지체질환, 근위축성 측삭경화증, 협심증, 급성심근경색, 심근경색, 유방암, 혈소판 감소증 등 바이오의약품 및 천연물의약품 개발에 집중하고 있음

표 5-7 바이로메드의 임상 동향

연도	내용
2018	VM202, 미국 FDA 첨단재생의약 치료제(RMAT; Regenerative Medicine Advanced Therapy) 지정
2017	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 중국 FDA 임상 3상 승인 당뇨병성 신경병증 치료제(VM202-DPN) 미국 FDA 임상 3상(2nd) 승인
2016	근위축성 측삭경화증 치료제(VM202-ALS) 미국 FDA 임상 2상 승인 허혈성 심장질환 치료제(VM202-CAD) 국내 임상 2상 승인 근위축성 측삭경화증 치료제(VM202-ALS) 미 FDA, FAST TRACK 지정승인
2015	당뇨병성 신경병증 치료제(VM202-DPN) 미국 FDA 임상 3상 승인 허당뇨병성 · 허혈성 만성 발궤양 (non-Healing foot ulcer, NHU) 미국 FDA 임상 3상 승인
2014	근위축성 측삭경화증 치료제(VM202-ALS) 미국 FDA, 희귀의약품 지정승인

2013	근위축성 측삭경화증(루게릭병) 치료제(VM202-ALS) 미국 FDA 임상 1/2상 승인
2012	당뇨병성 신경병증 치료제(VM202-DPN) 한국 임상 2상 승인
	혈소판 감소증 치료제(VM501) 중국 임상 3상 승인
	국내 제7호 천연물신약, 관절염치료제(PG201) 품목허가
2011	당뇨병성 신경병증 치료제(VM202-DPN) 미국 FDA 임상 2상 승인
	퇴행성 관절염 치료제(PG201) 한국 품목허가 신청
	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 중국 FDA 임상 2상 승인
	유방암 치료백신(VM206RY) 국내 임상 1상 승인
2010	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 국내 임상 2상 승인
2009	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 중국 임상 1상 성공
	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 미국 FDA 임상 2상 승인
	허혈성 심장질환 치료제(VM202-CAD) 미국 FDA 임상시험 1상/2상 승인
	당뇨병성 신경병증 치료제(VM202-DPN) 미국 FDA 임상시험 1상/2상 승인
2008	허혈성 지체질환질환 치료제(VM202-PAD) 중국 FDA 임상 1상 승인
2007	만성육아종 질환 치료제 Retro-CGD(VM106) 국내 임상 1/2상 승인
2006	허혈성 지체질환 치료제(VM202-PAD) 미국 FDA 임상 1상 승인
	허혈성 관상동맥질환 치료제(VM202RY) 국내 임상 1상 승인
2004	허혈성 족부궤양에 대한 유전자치료제(VMDA-3601), 국내 첫 임상 2상 KFDA 허가
2003	허혈성 유전자치료제(VMDA-3601) 국내 임상 1상 승인

출처: 바이로메드 홈페이지(<http://viomed.co.kr>)

- 안트로젠 : 한국의 바이오 기업으로 성체줄기세포를 이용한 세포치료제 및 희귀의약품
을 전문적으로 연구 개발하기 위해 2000년 설립
- 지방줄기세포치료제, 함몰흉터 치료제, 피하지방결손 치료제, 크론성 누공 치료제 등
의 신약개발에 집중하고 있음

표 5-8

안트로젠의 임상 동향

연도	내용
2015	시트형 화상치료제(ALLO-ASC-BI) 국내 임상 2상 승인
	시트형 수포성 표피박리증 치료제(ALLO-ASC-EB) 국내 임상 1상 승인
	시트형 당뇨병족부궤양 치료제(ALLO-ASC-DFU) 국내 임상 2상 승인
	크론성누공 치료제(ALLO-ASC-CF) 국내 임상 2상 승인
	시트형 화상치료제(ALLO-ASC-BI) 국내 임상 1상 승인
2014	크론병치료제(ALLO-ASC-CD) 국내 임상 1상 승인
	당뇨성 족부궤양 치료제(ALLO-ASC-DFU) 국내 임상 1상 승인
2013	힘줄손상 치료제(ALLO-ASC-TI) 국내 임상 1/2a상 승인
	크론성 치루 치료제(ALLO-ASC) 국내 임상 1/2상 승인
2012	크론성 누공 치료제(ANTG-ASC / 큐피시스템®주) 국내 임상 3상 승인
	크론성 누공 치료제(ANTG-ASC / 큐피시스템®주) 국내 시판 허가
2011	크론성 치루 치료제(ALLO-ASC) 국내 임상 1상 승인
2010	복잡치루 치료제(ANTG-ASC) 국내 임상 2상 승인
	자가지방조직유래 최초 조작지방세포 치료제(퀵셀®) 국내 품목 허가
2009	크론성 누공 치료제(ANTG-ASC) 국내 임상 2상 승인
	변실금 치료제(ANTG-SM) 국내 임상 2상 승인
	동종유래 분화된 지방세포(리페어셀) 국내 임상 1상 승인
2008	크론성 누공 치료제(ANTG-ASC) 국내 임상 1상 승인
2007	연부조직함몰흉터 치료제(아디포셀®) 국내 품목 허가
2003	연부조직함몰흉터 치료제(아디포셀®) 국내 임상 2/3상 승인

출처: 안트로젠 홈페이지(<http://anterogen.com>)

- 코아스템 : 한국의 바이오 기업으로 난치성 질환분야에 대한 줄기세포치료제를 개발하기 위해 2003년 설립

- 루게릭병 치료제 외 루푸스, 다계통위축증, 골관절염 등 다양한 질환의 신약개발에 집중하고 있음

표 5-9 코아스템의 임상 동향

연도	내용
2018	다계통위축증 치료제(CS10BR05) 국내 임상 1상 시험 개시
2017	루푸스 치료제(CS20AT04) 국내 임상 1상 시험 개시
2016	다계통위축증 치료제(CS10BR05) 국내 임상 1상 승인
2015	루푸스 치료제(CS20AT04) 국내 임상 1상 승인
2014	루게릭병 치료제(HYNR-CS주 / 뉴로나타-알 [®] 주) 국내 품목허가 승인
2013	루게릭병 치료제(HYNR-CS주 / 뉴로나타-알 [®] 주) 국내 1/2상 2단계 임상시험 종료
2011	루게릭병 치료제(HYNR-CS주) 국내 1/2상 1단계 임상시험 종료, 2단계 임상개시
2010	루게릭병 치료제(HYNR-CS주) 국내 1/2상 임상시험 승인
2006	루게릭병 치료제 국내 임상 시험 승인

출처: 코아스템 홈페이지(<http://corestem.com>)

■ 코오롱생명과학 : 한국의 바이오 전문업체로 2000년 설립

- 퇴행성 관절염, 암 백신, 항암제 등 바이오 신약개발에 집중하고 있음

표 5-10 코오롱생명과학의 임상 동향

연도	내용
2017	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C / 인보시 [®] -케이주) 국내 시판 허가
2015	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 미국 FDA 임상 3상 승인
2013	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 국내 임상 3상 승인
2010	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 국내 임상 2b상 승인
2009	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 국내 임상 2상 승인
2006	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 국내 임상 1상 승인
	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 미국 FDA 임상 1상 승인
2005	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 국내 IND 신청
	퇴행성 관절염 치료제(티슈진-C) 미국 FDA IND 신청

출처: 코오롱생명과학 홈페이지(<http://www.kolonls.co.kr>)

제2절 국내 업체 인력 및 창업 현황

1. 산업별 산업기술인력 수급 현황

- 12대 주력산업* 산업기술인력은 1,074,567명으로 전체 산업기술인력의 66.5%를 차지
* 12대 주력산업 : 기계, 디스플레이, 바이오·헬스, 반도체, 섬유, 자동차, 전자, 조선, 철강, 화학, 소프트웨어(SW), IT 비즈니스
 - 분야별로는 전자, 자동차, 화학, 기계, 소프트웨어, 반도체 순으로 인력 규모가 큼
 - 12대 주력산업 중 반도체산업이 전체 근로자 수 대비 산업기술인력 비중이 가장 높고 (59.5%), 그 다음으로 디스플레이(58.4%), 조선(54.2%) 순
 - 12대 주력산업 산업기술인력은 전체 12대 주력산업 전체 근로자의 42.7%를 차지
- 12대 주력산업 산업기술인력 부족인원은 26,290명으로 전체 부족인원의 72.5%를 차지
 - 산업기술인력이 많은 12대 주력산업 중 부족률은 소프트웨어(4.0%)가 가장 높고, 뒤를 이어 바이오·헬스 분야가 3.5%로 나타남

표 5-11

산업별 산업기술인력 현황(2016년)

구분			사업체 근로자수 (A)	산업기술			
				현원 (B)	비중 (B/A)	부족인원 (C)	부족률 (C/(B+C))
12 대 주 력 산 업	제조 부문	기계	292,582	151,368	51.7	4,156	2.7
		디스플레이	87,751	51,210	58.4	273	0.5
		반도체	145,478	86,525	59.5	1,355	1.5
		바이오·헬스	87,293	28,426	32.6	1,023	3.5
		섬유	140,345	36,453	26.0	849	2.3
		자동차	358,873	118,720	33.1	2,326	1.9
		전자	423,887	191,027	45.1	4,383	2.2
		조선	120,248	65,121	54.2	583	0.9
		철강	133,923	68,410	51.1	1,170	1.7
		화학	351,170	124,934	35.6	4,483	3.5
	서비스 부문	소프트웨어	253,118	130,265	51.5	5,410	4.0
		IT 비즈니스	122,190	22,108	18.1	280	1.3
	소 계		2,516,857	1,074,567	42.7	26,290	2.4

출처: 2017년 산업기술인력 수급통계 조사 결과 공표, 산업통상자원부, 한국산업기술진흥원

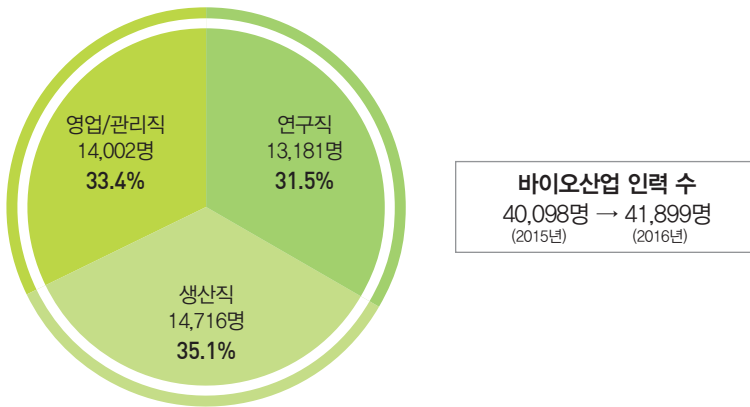
2. 바이오산업 인력 현황

■ 바이오산업 분야별 인력 현황

- 2016년 기준 국내 바이오산업체 980개 기업에 종사하는 인력 수는 41,899명으로 2015년 대비 1,601명 증가했으며, 업체별로는 평균 42.8명이 근무하고 있는 것으로 조사됨
- 바이오산업부문 인력은 연구인력 13,181명(31.5%), 생산인력 14,716명 (35.1%), 영업/관리인력 14,002명(33.4%)으로 구성됨

그림 5-5

2016년 바이오산업 종사자 인력 분포



출처: 2016년 기준 국내바이오산업실태조사 보고서, 산업통상자원부, 한국바이오협회

표 5-12

2016년 바이오산업 분야별 종사자 인력 분포

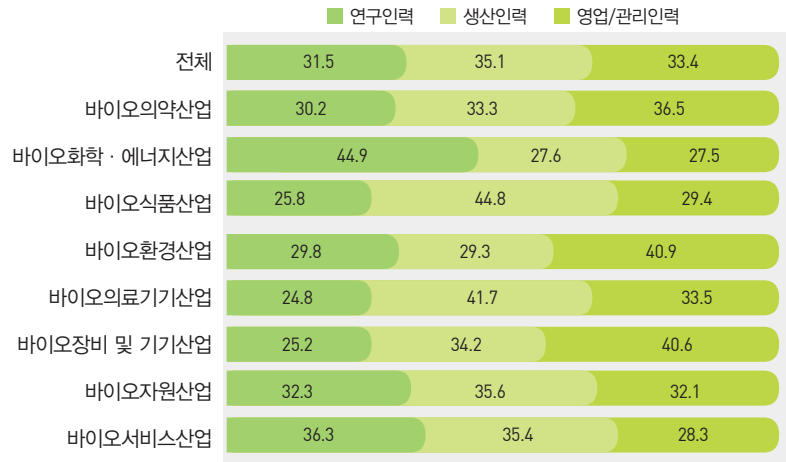
(단위 : 개, 명, %)

구분		업체수	연구인력	생산인력	영업/관리	계	산업별 구성비
전체	인력	980	13,181	14,716	14,002	41,899	100.0
	비율	100.0	31.5	35.1	33.4	100.0	
바이오의약품		315	5,902	6,495	7,121	19,518	46.6
바이오화학·에너지산업		210	2,283	1,400	1,397	5,080	12.1
바이오식품산업		194	1,622	2,814	1,850	6,286	15.0
바이오환경산업		70	356	350	488	1,194	2.8
바이오의료기기산업		56	815	1,368	1,101	3,284	7.8
바이오장비 및 기기산업		62	324	439	522	1,285	3.1
바이오자원산업		17	322	333	312	967	2.3
바이오서비스산업		56	1,557	1,517	1,211	4,285	10.2

출처: 2016년 기준 국내바이오산업실태조사 보고서, 산업통상자원부, 한국바이오협회

그림 5-6 2016년 바이오산업 분야별 종사자 인력 구성비

(단위 : 명, %)

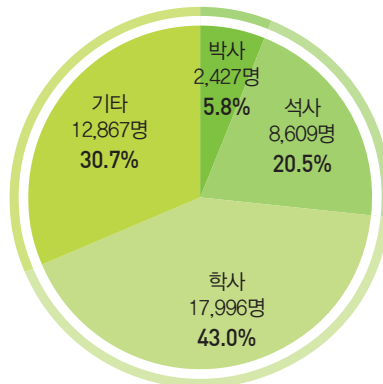


출처: 2016년 기준 국내바이오산업실태조사 보고서, 산업통상자원부, 한국바이오협회

■ 바이오산업 학위별 인력 현황

- 2016년 기준 바이오산업체 종사자 중 학사 졸업자가 17,996명(43.0%)으로 가장 많았으며, 다음으로는 석사 8,609명(20.5%), 박사 2,427명(5.8%) 순으로 나타남

그림 5-7 2016년 바이오산업 종사자 학위 분포



출처: 2016년 기준 국내바이오산업실태조사 보고서, 산업통상자원부, 한국바이오협회

표 5-13

2016년 바이오산업 분야별 학위별 인력 분포

(단위 : 명, %)

구분		박사	석사	학사	기타	계	산업별 구성비
전체	인력	2,427	8,609	17,996	12,867	41,899	100.0
	비율	5.8	20.5	43.0	30.7	100.0	
바이오의약산업		1,212	4,034	8,256	6,016	19,518	46.6
바이오화학·에너지산업		346	1,347	2,228	1,159	5,080	12.1
바이오식품산업		327	1,146	2,472	2,341	6,286	15.0
바이오환경산업		43	167	728	256	1,194	2.8
바이오의료기기산업		154	554	1230	1346	3,284	7.8
바이오장비 및 기기산업		65	307	496	417	1,285	3.1
바이오자원산업		56	145	337	429	967	2.3
바이오서비스산업		224	909	2249	903	4,285	10.2

출처: 2016년 기준 국내바이오산업실태조사 보고서, 산업통상자원부, 한국바이오협회

■ 바이오의약 산업의 정의 및 범위

- (정의) 바이오기술 기반으로 생물체의 기능 및 정보를 활용하여 질병치료 등에 활용되는 의약품을 개발·생산하는 바이오산업 대표 분야
- (범위) 유전자치료제, 항체 및 단백질 치료제, 세포 치료제, 천연물 의약품, 혈액 제제, 저분자 의약품 및 중간체 포함
 - 대상 질환 기준으로 B형간염 백신, 항암제, 관절염치료제 등을 포함
 - 표준산업분류 내 관련 산업
 - * 의약품 화합물 및 향생물질 제조업(21101), 생물학적 제제 제조업(21102), 완제 의약품 제조업(21210), 의학 및 약학 연구개발업(70113)

■ 바이오의약 산업의 인력수요 전망

- 바이오 의약 산업 인력수요는 2015년 1만4천여명에서 2020년에 1만9천여명으로 향후 5년간 1.3배로 증대될 전망
 - 고용계수가 다소 하락하지만, 불변생산액의 성장세로 인해 인력수요가 연평균 5.9% 증가할 것으로 예상
 - 매년 신규인력도 연간 8백여명에서 1천여명으로 확대

표 5-14 바이오의약 산업 인력수요 전망

구분	2015	2016	2017	2018	2019	2020	CAGR
불변생산액(10억원)	4,081	4,398	4,738	5,104	5,497	5,920	7.7%
고용계수(명/10억원)	3.6	3.5	3.5	3.4	3.4	3.3	-1.7%
인력수요(명)	14,666	15,542	16,465	17,439	18,468	19,555	5.9%

출처: 미래 유망 신산업의 시장 및 인력수요 전망 2016, 산업연구원, 한국산업기술진흥원

3. 첨단바이오의약품 개발 실태조사 회신기업의 연구인력 규모

- 회신기업의 보유 연구인력 규모를 살펴보면, 전체 고용인원(4,141명) 가운데 연구인력이 차지하는 비중은 754명으로 18.2%를 차지하는 것으로 나타남
- 연구인력에 대한 세부 현황을 살펴보면, 전체 연구인력 754명 중 첨단바이오의약품의 전담연구인력이 367명으로 나타나 48.7%를 차지하고 있는 것으로 분석됨
- 연구인력에 대한 기업 유형별로 접근해 보면, 중견기업이 기업당 평균 67.0명으로 가장 높았으며, 뒤를 이어 대기업 평균 38.0명, 중소기업 평균 37.6명, 벤처기업 평균 26.8명 순으로 나타남
- 전담연구인력에 대한 기업 유형별로 접근해 보면, 중소기업이 기업당 평균 27.9명으로 가장 높았으며, 뒤를 이어 벤처기업 평균 16.0명, 대기업 평균 15.0명, 중견기업 평균 4.7명 순으로 나타남

표 5-15 기업유형별 총종업원 및 연구인력, 전담인력 규모

(단위 : 명, %)

기업유형	총 종업원		연구인력		전담연구인력 ¹⁾		연구인력 비중(%)	연구인력 대비 전담연구인력 비중(%)
	합계	기업 평균	합계	기업 평균	합계	기업 평균		
대기업	478	239.0	76	38.0	30	15.0	15.9	39.5
중견기업	2,432	810.7	201	67.0	14	4.7	8.3	7.0
중소기업	806	115.1	263	37.6	195	27.9	32.6	74.1
벤처기업	425	53.1	214	26.8	128	16.0	50.4	59.8
총합계	4,141	207.1	754	37.7	367	18.4	18.2	48.7

주 : 1) 전담연구인력은 줄기세포 및 유전자치료제 분야 연구인력으로 정의

출처: 미래 유망 신산업의 시장 및 인력수요 전망 2016, 산업연구원, 한국산업기술진흥원

4. 국내 바이오 벤처 창업 현황

■ 설립 추이

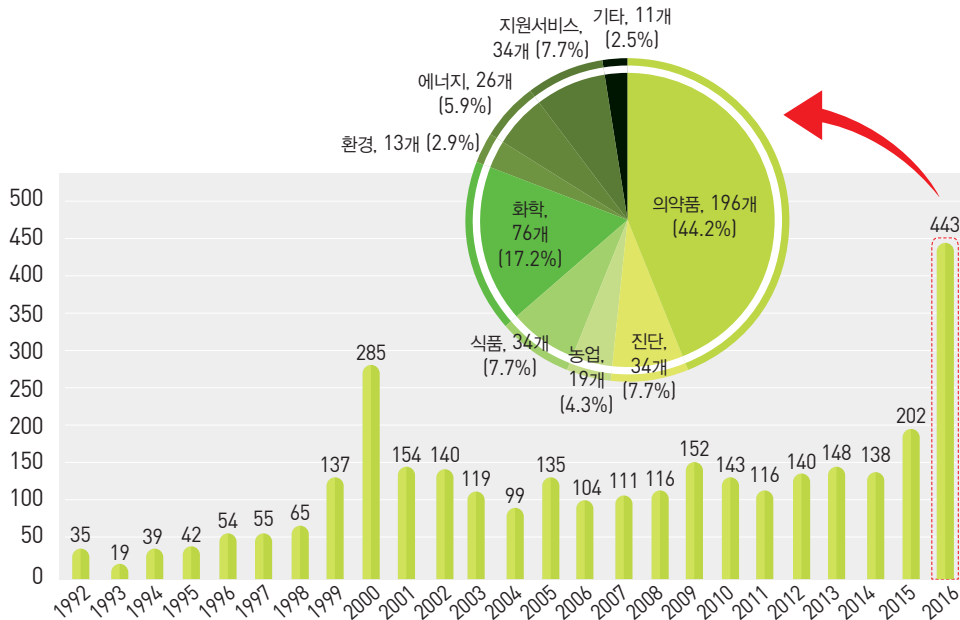
- 2016년 한국생명공학연구원 생명공학정책연구센터의 조사에 따르면, 1992년부터 현재까지 창업된 우리나라의 바이오 분야 중소·벤처기업*은 2,077개이며, 이 중 1,665개가 생존해 있고, 412개는 폐업되었음

* 본 조사에서 '벤처기업'은 정부의 벤처 인증을 받은 기업이고 그 외는 중소기업으로 분류

- 연도별로는 2000년 288개로 창업의 정점을 찍은 후 창업이 소강 상태를 지속하다가 2016년 급격히 증가하여 443개의 창업이 이루어짐

그림 5-8

국내 바이오 중소·벤처기업의 연도별 창업 추이



출처: 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

■ 분야별 현황

- 분야별로는 레드 바이오가 542개로 가장 많았고, 그 다음 그린 바이오가 521개, 화이트 바이오가 325개, 플랫폼 분야가 277개 순으로 나타남
 - 중분류로 세분해서 보면 식품 분야가 358개로 가장 많았고, 그 다음 의약품(329개), 화학(232개), 진단(213개) 순으로 나타남

그림 5-9 바이오 중소·벤처기업의 분야별 현황

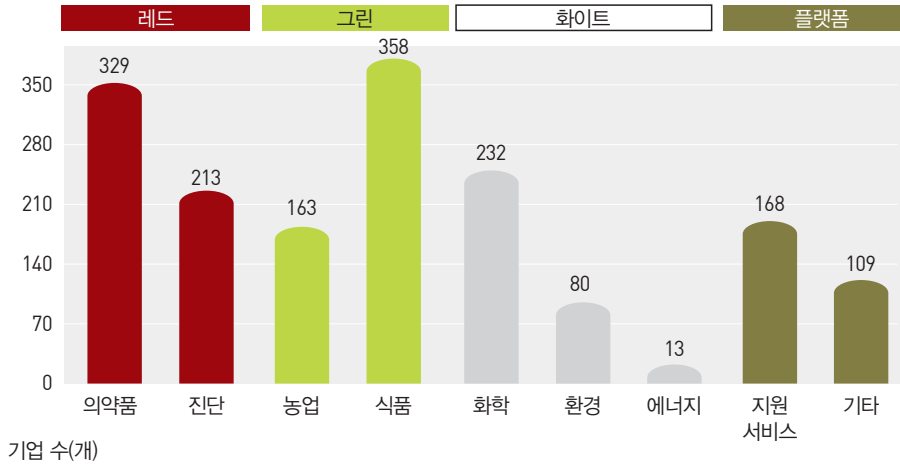


표 5-16 바이오 중소·벤처기업의 분야별 현황

대분류	레드		그린		화이트			플랫폼	
중분류	의약품	진단	농업	식품	화학	환경	에너지	지원서비스	기타
개수	329	213	163	358	232	80	13	168	109
합계	542		521		325			277	

주 : 생존기업 대상 조사

출처 : 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

■ 지역별 현황

- 지역별로는 경기도 445개, 서울 307개, 대전 119개 순으로 나타남

표 5-17 바이오 중소·벤처기업의 지역별 현황

지역	경기	서울	대전	강원	충북	경북
개수	445	307	119	117	110	95
지역	충남	전남	전북	경남	부산	대구
개수	80	68	62	52	43	43
지역	인천	제주	광주	세종	울산	합계
개수	38	39	29	9	9	1,665

주 : 생존기업 대상 조사

출처 : 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

■ 기업공개 현황

- 생존기업 1,665개 중 기업공개 경험이 있는 기업은 110개로 나타남
 - 공개시장별로는 코스닥 74개, 코넥스 31개, 유가증권시장 1개, 비상장 4개는 상장폐지
 - 분야별로는 의약품 52개, 지원서비스 20개, 진단 12개, 기타 8개 순으로 나타남
 - 110개 기업이 창업 후 기업공개까지 걸린 기간은 평균 9.0년
 - 식품 분야가 상대적으로 기업공개까지 오래 걸리고 의약품과 진단 분야는 더 빠른 것으로 나타남

그림 5-10 바이오 중소·벤처기업의 기업공개 현황

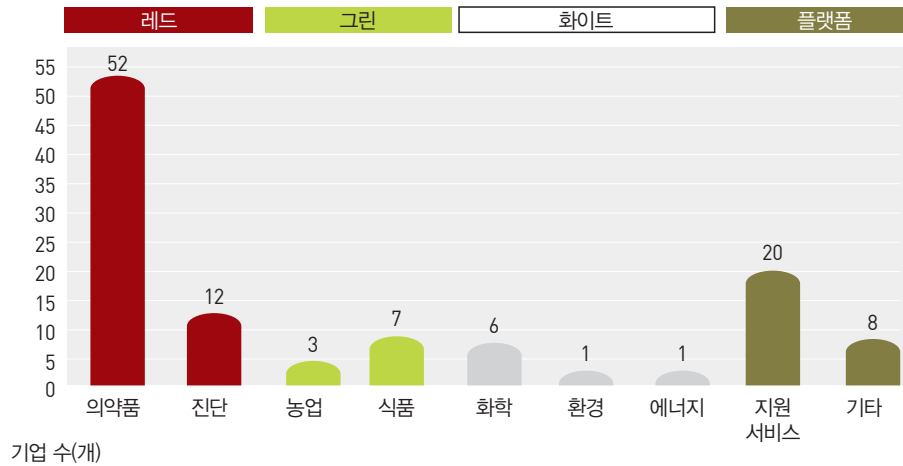


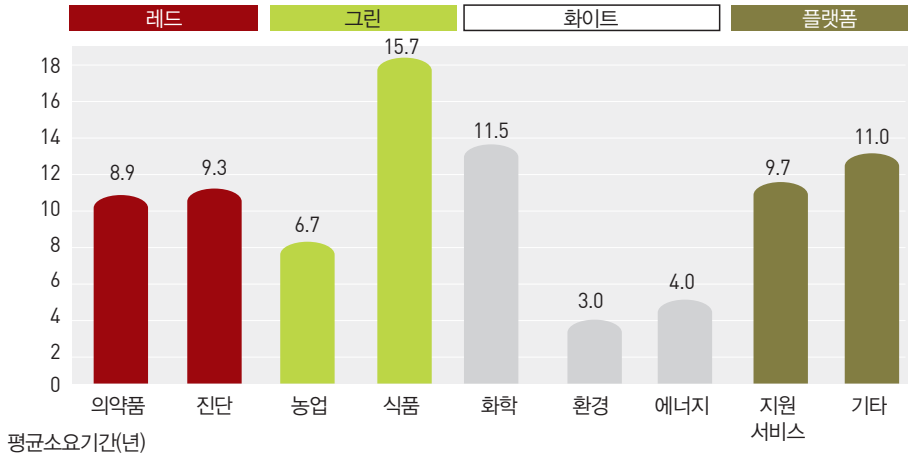
표 5-18 바이오 중소·벤처기업의 기업공개 현황

분야		기업공개구분				
		유가증권	코넥스	코스닥	현재 비상장	소계
레드	의약품	1	8	41	2	52
	진단	—	4	8	—	12
그린	농업	—	2	1	—	3
	식품	—	3	4	—	7
화이트	화학	—	1	5	—	6
	환경	—	—	—	1	1
	에너지	—	—	1	—	1
플랫폼	지원서비스	—	11	8	1	20
	기타	—	2	6	—	8
합계		1	31	74	4	110

주 : 생존기업 대상 조사

출처 : 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

그림 5-11 바이오 중소·벤처기업의 기업공개 소요 기간



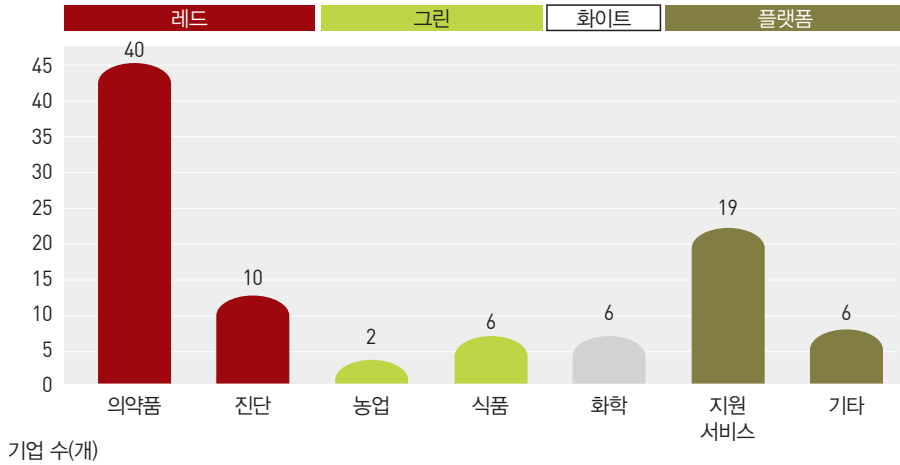
주1) 생존기업 대상

주2) 기업공개 소요기간 = 기업공개년도 - 설립년도

출처: 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

- 벤처기업 인증을 받은 기업 1,015개로 모집단 범위를 좁히면, 이 중 기업공개 경험이 있는 기업은 89개로 나타남
 - 공개시장별로는 코스닥 58개, 코넥스 31개
 - 분야별로는 의약품 40개, 지원서비스 19개, 진단 10개 순으로 나타남
 - 89개 기업이 창업 후 기업공개까지 걸린 기간은 평균 10.4년
 - 식품 분야가 상대적으로 오래 걸리는 점은 위의 중소·벤처기업과 유사하나, 다른 분야들이 고르게 9~10년 걸리는 것이 위의 중소·벤처기업과는 다른 모습으로 나타남

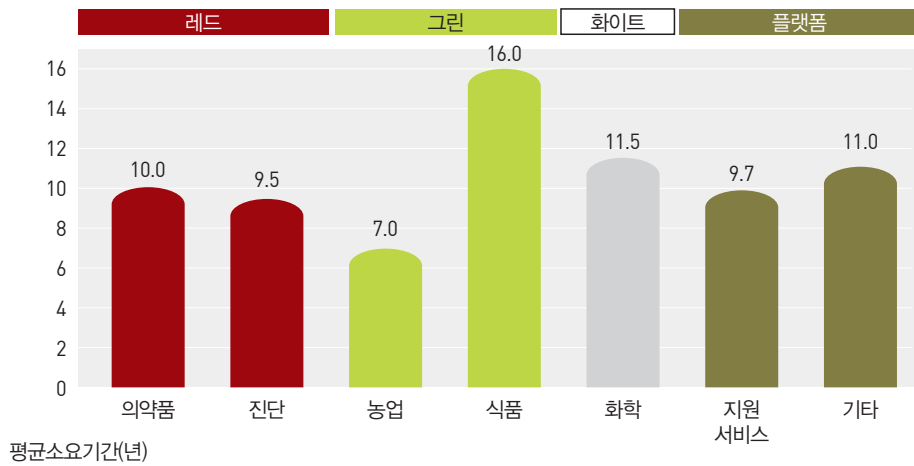
그림 5-12 바이오 벤처기업의 기업공개 현황



주) 벤처인증 경험이 있는 기업 대상

출처: 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

그림 5-13 바이오 벤처기업의 기업공개 소요 기간



주1) 생존기업 대상

주2) 기업공개 소요기간 = 기업공개년도 - 설립년도

출처: 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계(2017. 11), 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원

제3절 국내 연구개발 현황

1. 실태조사 개요

국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 연구개발 및 사업화 촉진 정책 수립을 위한 실태조사 결과 분석

가. 조사대상 범위

- 조사대상은 국내 제약기업 및 바이오테크기업 중 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자 치료제)을 연구개발 중인 기업으로 설정하였으며, 이를 위해 다음과 같은 기준을 두고 조사대상 기업의 범위를 확정하였음
 - 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 연구개발을 위한 기업부설연구소 또는 연구개발전담부서를 보유한 기업
 - 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 연구개발을 위한 국가연구개발사업 수행 경험이 있는 기업
- 조사 과정 중 응답기업 현황은 다음과 같음

구분	전체	기업			
		대기업	중견기업	중소기업	벤처기업
응답기업 수	25	0	5	9	11

No.	기업명	No.	기업명	No.	기업명
1	강스템바이오텍	2	메디포스트	3	바이로메드
4	바이오솔루션	5	삼양바이오팜	6	셀레브레인
7	셀리드	8	셀인셀즈	9	신라젠
10	씨드모젠	11	아이씨엠	12	안트로젠
13	에스바이오메딕스	14	이도바이오	15	제넥신
16	제이앤티	17	제일약품	18	캠트로스
19	코오롱생명과학	20	큐라티스	21	한국줄기세포연구원
22	한국콜마	23	한스바이오메드	24	GC녹십자랩셀
25	SCM생명과학				

- 또한 국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 연구개발 추이를 분석하기 위해 3년 간 응답한 기업을 대상으로 시계열 분석을 실시하였음
- 3년 간 응답한 기업 현황은 다음과 같음

No.	기업명	No.	기업명	No.	기업명
1	강스템바이오텍	2	메디포스트	3	바이로메드
4	바이오솔루션	5	신라젠	6	아이씨엠
7	제넥신	8	제이애플	9	제일약품
10	코오롱생명과학				

나. 조사내용

- Part I. 회신기관 일반현황
- Part II. 연구개발 성과 및 현황
- Part III. 국내외 기술협력 현황
- Part IV. 첨단바이오의약품 분야 제도개선/지원정책 등에 관한 기업의견

다. 조사방법

- 조사방법 : E-mail 조사 (전화 보완조사 병행)
- 조사기간 : 2018. 4. 4. ~ 2018. 5. 25.
- 자료처리 : 조사된 자료는 Coding, Editing 과정을 거쳤으며, 최종 확인과 검증을 거친 자료에 대해 사회과학 조사 통계프로그램인 SPSS를 이용하여 빈도분석, 교차분석, 평균값 등의 통계분석을 실시하여 보고서를 작성함

라. 조사결과의 기대효과

- 첨단바이오의약품 분야 투자 현황 및 규제개선 등 연구 및 사업화 애로사항 해결 정책 제언을 위한 기초자료로 활용
- 국내외 줄기세포 및 유전자치료제 관련 연구개발 동향, 인허가, 투자, 개발 정보 등을 포함한 전반적인 산업 백서 발간을 통해 관련 연구 기업에게 정보 제공을 위한 핵심 근거 자료로 활용

2. 조사결과 분석

가. 응답기업의 일반현황

(1) 응답기업의 유형

- 총 응답기업은 25개사이며, 이 중 중견기업은 5개사(20.0%), 중소기업은 9개사(36.0%), 벤처기업은 11개사(44.0%)로 나타남

표 5-19

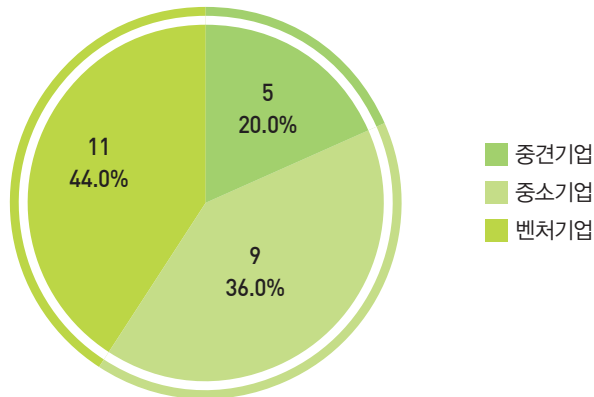
응답기업 유형(국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야
연구개발 및 사업화추진 정책 수립을 위한 실태조사)

(단위 : 개사)

기업유형	합계
대기업	0
중견기업	5
중소기업	9
벤처기업	11
총합계	25

그림 5-14

응답기업 유형(국내 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야
연구개발 및 사업화추진 정책 수립을 위한 실태조사)



(2) 응답기업의 주력 연구개발 분야

- 응답기업의 주력 R&D분야(바이오의약품, 화합물의약품, 천연물의약품, 원료의약품, 헬스케어제품 등)에 대한 조사 결과 현재 주력하고 있는 연구개발 분야는 줄기세포치료제(60.0%)로 가장 높은 것으로 나타남
- 향후 핵심 R&D주력분야로는 줄기세포치료제와 유전자치료제가 각각 52.0%로 가장 높은 것으로 나타나 줄기세포치료제와 유전자치료제 연구개발에 대한 집중도가 높아질 것으로 전망됨

표 5-20

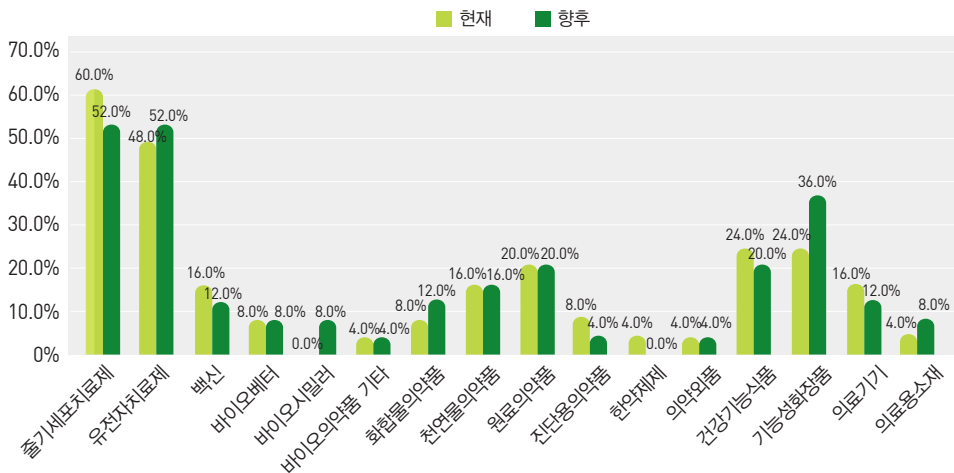
핵심 R&D주력분야(현재, 향후)

(단위 : 개사, %)

핵심 R&D주력분야			현재	향후
의약품	바이오의약품	줄기세포치료제	15 (60.0%)	13 (52.0%)
		유전자치료제	12 (48.0%)	13 (52.0%)
		백신	4 (16.0%)	3 (12.0%)
		바이오베터	2 (8.0%)	2 (8.0%)
		바이오시밀러	0 (0.0%)	2 (8.0%)
		기타	1 (4.0%)	1 (4.0%)
		바이오의약품 전체 합계	23 (92.0%)	22 (88.0%)
	화합물의약품(신규구조 화합물)		2 (8.0%)	3 (12.0%)
	천연물의약품(신규 천연물 조성성분)		4 (16.0%)	4 (16.0%)
	의약품 전체 합계		22 (88.0%)	23 (92.0%)
기타	원료의약품 등	원료의약품	5 (20.0%)	5 (20.0%)
		진단용의약품	2 (8.0%)	1 (4.0%)
		한약제제	1 (4.0%)	0 (0.0%)
	헬스케어제품	의약외품	1 (4.0%)	1 (4.0%)
		건강기능식품	6 (24.0%)	5 (20.0%)
		기능성화장품	6 (24.0%)	9 (36.0%)
		의료기기	4 (16.0%)	3 (12.0%)
		의료용소재	1 (4.0%)	2 (8.0%)
	기타 전체 합계		13 (52.0%)	13 (52.0%)

그림 5-15

핵심 R&D주력분야(현재, 향후)



나. 연구개발 성과 및 현황

(1) 총괄 R&D파이프라인 현황

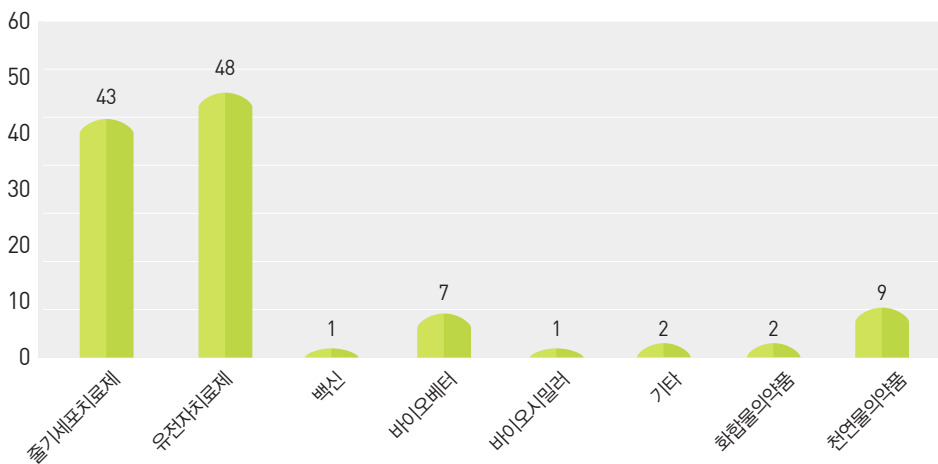
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 25개사가 연구개발 중인 파이프라인은 총 113개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 4.5개의 파이프라인을 보유중인 것으로 분석되었음
- 이중 줄기세포치료제는 13개 기업이 총 43개의 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타나 전체 파이프라인 중 38.1%를 차지하고 있는 것으로 나타남
- 유전자치료제는 13개 기업이 총 48개의 파이프라인을 보유중인 것으로 나타나 전체 파이프라인 중 42.5%를 차지하고 있는 것으로 나타남

표 5-21 총괄 R&D파이프라인 현황

(단위 : 개, %)

R&D분야		품목수	비중(%)	기업수
의약품	줄기세포치료제	43	38.1	13
	유전자치료제	48	42.5	13
	백신	1	0.9	1
	바이오베터	7	6.2	3
	바이오시밀러	1	0.9	1
	기타	2	1.8	2
	소계	102	90.3	23
	화합물약품(신규구조 화합물)	2	1.8	1
	천연물약품(신규 천연물 조성성분) ※ 한약제제 제외	9	8.0	3
총합계		113	100	24

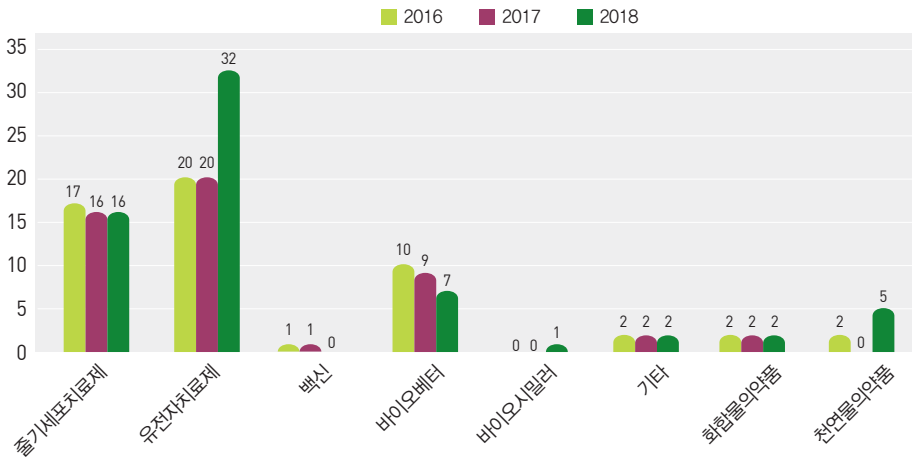
그림 5-16 총괄 R&D파이프라인 현황



■ 최근 3년간 총괄 R&D파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 3년간 응답한 주요 10개사가 연구개발 중인 파이프라인 현황을 분석한 결과 유전자치료제와 천연물의약품의 파이프라인은 2018년 급격히 증가하여 관심도가 높아진 것으로 분석됨
- 반면 바이오베터의 파이프라인은 점차 감소한 것으로 보이며 줄기세포치료제, 백신, 바이오시밀러, 화합물의약품, 기타 파이프라인은 비슷한 것으로 나타남

그림 5-17 최근 3년 간 총괄 R&D파이프라인 현황



(2) 줄기세포치료제 R&D파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 13개사가 연구개발 중인 줄기세포치료제 파이프라인은 총 43개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 3.3개의 줄기세포치료제 파이프라인을 보유중인 것으로 분석됨
- 총 43건의 줄기세포치료제 파이프라인 가운데 허가신청이 완료된 파이프라인은 1건 (2.3%)이며 임상시험단계(임상 1~3상) 파이프라인은 14건(32.6%), 전임상단계(IND, 전임상) 파이프라인은 19건(44.2%)으로 나타나 보편적인 개발단계(전임상, 임상) 약물이 전체 파이프라인 가운데 76.8%(33건)가 본격 실용화단계에 접어든 것으로 분석됨
- 다만 연구개발 초기단계인 선도물질도출단계와 후보물질도출단계 줄기세포치료제 파이프라인들이 각각 1건, 8건 정도에 머물고 있다는 점과 특히 전임상직전 단계인 후보물질도출단계 파이프라인 규모(8개)가 전임상단계 파이프라인 규모(14개)에 미치지 않고

있다는 점은 조만간 줄기세포치료제 파이프라인 고갈이라는 심각한 위기가 도래할 수 있음을 시사하고 있음

- 이에 따라 향후 정부와 민간 공조를 통한 줄기세포치료제 파이프라인 고갈위기 대책이 서둘러 마련되어야 하며, 정부는 물론 산업계, 학계, 연구계 등 줄기세포치료제 연구개발관련 모든 주체들간 산업수요에 기반한 우수 줄기세포치료제 파이프라인의 지속도출과 확대책 마련을 위한 국가적인 R&D로드맵 및 투자계획수립, 산학연 R&D역할분담 등 구체적인 방안 마련을 서둘러야 할 것으로 보임

표 5-22 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

(단위 : 개, %)

개발단계		품목수	비중(%)	기업수
NDA완료		1	2.3	1
임상	3상	2	4.7	2
	2상	8	18.6	4
	1상	4	9.3	3
	소계	14	32.6	9
IND		5	11.6	3
전임상		14	32.6	8
후보물질도출		8	18.6	4
선도물질도출		1	2.3	1
계		43	100.0	13

그림 5-18 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

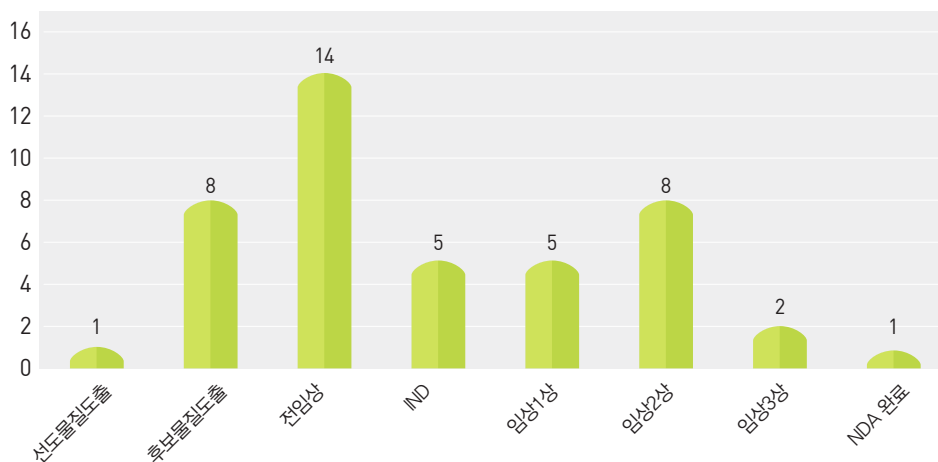


표 5-23

줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황(세부)

R&D단계	테마명	적응증	기업명	R&D권역
NDA 완료	카티스템	퇴행성관절염 또는 반복적인 외상으로 인한 골관절염 환자 의 무릎연골결손 치료	메디포스트	한국
임상3	FURESTEM-AD Inj.	아토피피부염	강스템바이오텍	한국, 유럽
	ALLO-ASC-1	당뇨병성 족부궤양	안트로젠	한국, 미국
임상2	뉴모스템	기관지폐이형성증	메디포스트	한국, 미국
	FURESTEM-RA Inj.	류마티스관절염	강스템바이오텍	한국
	ALLO-ASC-3	심재성 2도 화상	안트로젠	한국
	ALLO-ASC-4	크론성 누공	안트로젠	한국
	ALLO-ASC-6	만성 힘줄 손상	안트로젠	한국
	A	면역	SCM생명과학	한국
	B	면역	SCM생명과학	한국
	D	소화기	SCM생명과학	한국
임상1	뉴로스템	알츠하이머병	메디포스트	한국, 미국
	FURESTEM-CD Inj.	크론병	강스템바이오텍	한국
	ALLO-ASC-2	이영양성 수포성 표피 박리증	안트로젠	한국, 미국, 일본
	ALLO-ASC-5	크론병	안트로젠	한국
IND	배아줄기세포유래 PSA-NCAM 발현 신경전구세포 제조	척수손상	에스바이오메딕스	한국
	중간엽 줄기세포 3D 배양을 통한 혈관세포분화	하지허형	에스바이오메딕스	한국
	배아줄기세포유래 세포치료제	파킨슨병	제일약품	한국
	C	면역	SCM생명과학	일본
	E	면역	SCM생명과학	한국
전임상	A	퇴행성 관절염	메디포스트	한국
	B	당뇨병성신증	메디포스트	한국
	C	탈모	메디포스트	한국
	피부재생치료제	피부주름개선	셀인셀즈	한국
	배아줄기세포유래중 뇌도파민신경세포 제조	파킨슨병	에스바이오메딕스	한국
	염증 조절용 태반유래 중간엽줄기세포 생산	폐기종	에스바이오메딕스	한국
	A	당뇨	한스바이오메드	한국
	B	골재생	한스바이오메드	한국

전임상	FURESTEM-OA Inj.	골관절염	강스템바이오텍	한국
	A	뇌질환	한국줄기세포연구원	한국
	B	피부질환	한국줄기세포연구원	한국
	C	내장질환	한국줄기세포연구원	한국
	배아줄기세포 유래 세포치료제	망막변성질환	제일약품	한국
	A	당뇨병	이도바이오	한국
후보물질 도출	연골결손 및 골관절재생치료제	연골결손	셀인셀즈	한국
	희귀질환치료제	선상경피증	셀인셀즈	한국
	치매치료제	AD	제이애피	한국, 미국
	파킨슨병	PD	제이애피	한국
	발모제	피부	제이애피	미국, 스위스
	A	미정	바이오솔루션	한국
	항염증 줄기세포치료제	장, 폐, 피부염증	GC녹십자랩셀	한국
	편도유래 줄기세포치료제	부갑상선기능저하증	GC녹십자랩셀	한국
선도물질 도출	C	뇌질환	한스바이오메드	한국

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 13개사에서 연구개발중인 43개 줄기세포치료제 파이프라인에 대한 기업별 보유 현황을 분석한 결과 최소 1개에서 최대 6개의 줄기세포치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타났음
- 이들 기업 가운데 줄기세포치료제 파이프라인 최다 보유 기업은 메디포스트와 안트로젠으로 각각 6개 파이프라인을 보유하고 있는 것으로 나타났고, 뒤를 이어 SCM생명과학이 5개의 줄기세포치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타남
- 임상시험단계(임상 1~3상) 줄기세포치료제 파이프라인 최다 보유 기업은 안트로젠으로 임상 3상 단계 1개 테마, 임상 2상 단계 3개 테마, 임상 1상 단계 1개 테마 등 총 6개에 이르는 임상시험단계 줄기세포치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타났고, 다음으로 강스템바이오텍과 메디포스트, SCM생명과학이 각각 3개씩 보유하고 있는 것으로 분석됨
- 전임상시험단계(IND, 전임상) 줄기세포치료제 파이프라인의 경우 에스바이오메디クス가 4개의 파이프라인을 보유하고 있고 다음으로 메디포스트와 한국줄기세포연구원이 각각 3개씩 보유하고 있는 것으로 나타남

표 5-24 기업별 줄기세포치료제 파이프라인 현황(총괄)

기업명	NDA 완료	임상3상	임상2상	임상1상	IND	전임상	후보물질 도출	선도물질 도출	합계
강스템바이오텍	0	1	1	1	0	1	0	0	4
메디포스트	1	0	1	1	0	3	0	0	6
바이오솔루션	0	0	0	0	0	0	1	0	1
셀인셀즈	0	0	0	0	0	1	2	0	3
안트로젠	0	1	3	2	0	0	0	0	6
에스바이오메딕스	0	0	0	0	2	2	0	0	4
이도바이오	0	0	0	0	0	1	0	0	1
제이앤피	0	0	0	0	0	0	3	0	3
제일약품	0	0	0	0	1	1	0	0	2
한국줄기세포연구원	0	0	0	0	0	3	0	0	3
한스바이오메드	0	0	0	0	0	2	0	1	3
GC녹십자랩셀	0	0	0	0	0	0	2	0	2
SCM생명과학	0	0	3	0	2	0	0	0	5
총합계	1	2	8	4	5	14	8	1	43

표 5-25 기업별 줄기세포치료제 파이프라인 현황(세부)

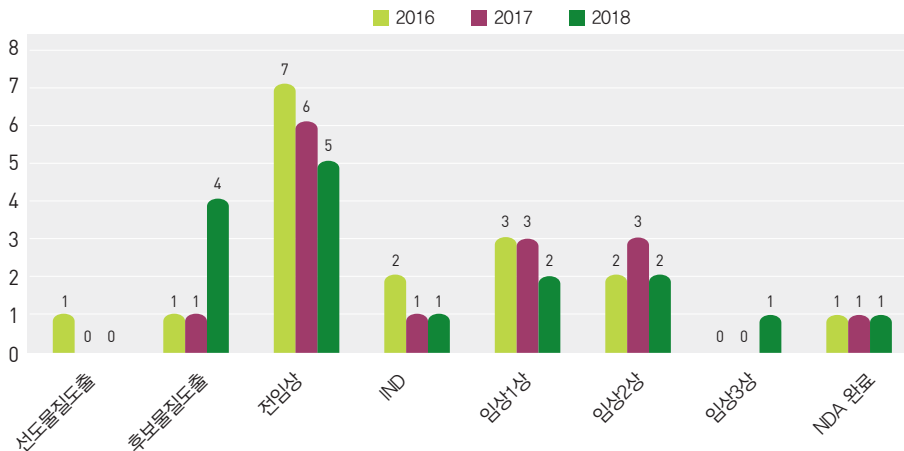
기업명	테마명	적응증	R&D단계	R&D권역
강스템바이오텍	FURESTEM-AD Inj.	아토피피부염	임상3	한국, 유럽
	FURESTEM-RA Inj.	류마티스관절염	임상2	한국
	FURESTEM-CD Inj.	크론병	임상1	한국
	FURESTEM-OA Inj.	골관절염	전임상	한국
메디포스트	카티스템	퇴행성관절염 또는 반복적인 외상으로 인한 골관절염 환자 의 무릎연골결손 치료	NDA완료	한국
	뉴모스템	기관지폐이형성증	임상2	한국, 미국
	뉴로스템	알츠하이머병	임상1	한국, 미국
	A	퇴행성 관절염	전임상	한국
	B	당뇨병성신증	전임상	한국
	C	탈모	전임상	한국
바이오솔루션	A	미정	후보물질도출	한국
셀인셀즈	피부재생치료제	피부주름개선	전임상	한국
	연골결손 및 골관절재생치료제	연골결손	후보물질도출	한국
	희귀질환치료제	선상경피증	후보물질도출	한국

안트로젠	ALLO-ASC-1	당뇨병성 족부궤양	임상3	한국, 미국
	ALLO-ASC-3	심재성 2도 화상	임상2	한국
	ALLO-ASC-4	크론성 누공	임상2	한국
	ALLO-ASC-6	만성 힘줄 손상	임상2	한국
	ALLO-ASC-2	이영양성 수포성 표피 박리증	임상1	한국, 미국, 일본
	ALLO-ASC-5	크론병	임상1	한국
에스바이오메딕스	배아줄기세포유래 PSA-NCAM 발현 신경전구세포 제조	척수손상	IND	한국
	중간엽 줄기세포 3D 배양을 통한 혈관세포분화	하지허형	IND	한국
	배아줄기세포유래 중뇌도파민신경세포 제조	파킨슨병	전임상	한국
	염증 조절용 태반유래 중간엽줄기세포 생산	폐기종	전임상	한국
이도바이오	A	당뇨병	전임상	한국
제이애피	치매치료제	AD	후보물질도출	한국, 미국
	파킨슨병	PD	후보물질도출	한국
	발모제	피부	후보물질도출	미국, 스위스
제일약품	배아줄기세포 유래 세포치료제	파킨슨병	IND	한국
	배아줄기세포 유래 세포치료제	망막변성질환	전임상	한국
한국 줄기세포 연구원	A	뇌질환	전임상	한국
	B	피부질환	전임상	한국
	C	내장질환	전임상	한국
한스바이오메드	A	당뇨	전임상	한국
	B	골재생	전임상	한국
	C	뇌질환	선도물질도출	한국
GC녹십자랩셀	항염증 줄기세포치료 제	장, 폐, 피부염증	후보물질도출	한국
	편도유래 줄기세포치료제	부갑상선기능저하증	후보물질도출	한국
SCM생명과학	A	면역	임상2	한국
	B	면역	임상2	한국
	D	소화기	임상2	한국
	C	면역	IND	일본
	E	면역	IND	한국

■ 최근 3년간 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 3년간 응답한 주요 10개사 중 줄기세포치료제를 연구개발 중인 5개사의 R&D단계별 파이프라인 현황을 분석한 결과 2018년 후보물질도출단계의 파이프라인이 급격히 증가한 것으로 나타남
- 반면 전임상단계의 파이프라인은 매년 서서히 감소하는 것으로 나타나며 IND단계도 2016년에 비해 줄어든 것으로 보여짐
- 2017년도의 임상2상단계의 파이프라인이 2018년도에서 줄어든 대신 임상3상단계의 파이프라인이 증가한 것으로 보아 임상2상단계에 있던 파이프라인이 임상3상으로 진입한 것으로 보여짐

그림 5-19 최근 3년 간 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황



(3) 유전자치료제 R&D파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 13개사가 연구개발 중인 유전자치료제 파이프라인은 총 48개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 3.7개의 유전자치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 분석됨
- 연구개발 중인 48개의 유전자치료제 파이프라인을 R&D단계별로 분석한 결과 허가완료단계인 파이프라인은 1건(2.1%), 임상시험단계(임상 1~3상)인 파이프라인은 12건(25.0%), 전임상시험단계(전임상)인 파이프라인은 10건(20.8%)으로 나타나 총 23건의 유전자치료제 파이프라인이 개발완료 중이거나 개발 단계에 진입하여 실용화 연구가 진행 중인 것으로 나타남

표 5-26

유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

(단위 : 개, %)

개발단계		품목수	비중(%)	기업수
NDA완료		1	2.1	1
임상	3상	4	8.3	2
	2상	4	8.3	3
	1상	4	8.3	3
	소계	12	25.0	8
전임상		10	20.8	7
후보물질도출		14	29.2	7
선도물질도출		11	22.9	4
계		48	100.0	13

그림 5-20

유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

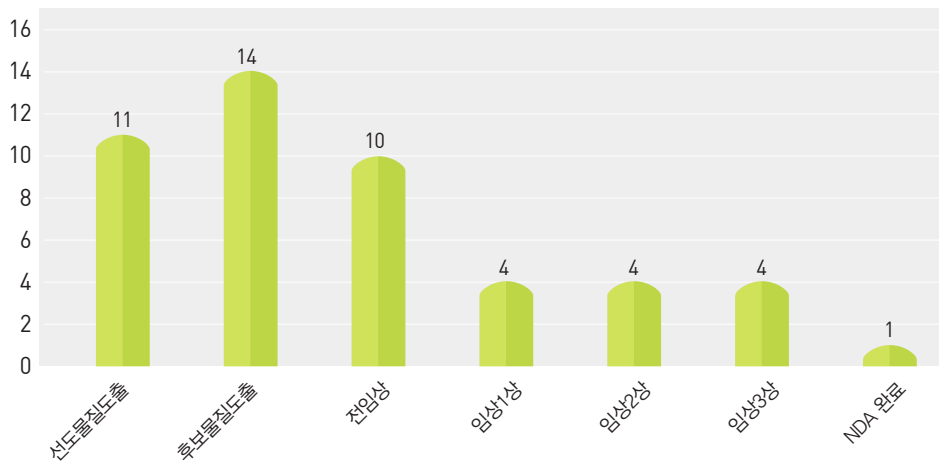


표 5-27

유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황(세부)

R&D단계	테마명	적응증	기업명	R&D권역
NDA 완료	Invossa	퇴행성관절염	코오롱생명과학	한국, 미국
임상3	VM202	당뇨병성 신경병증	바이로메드	미국
	VM202	족부궤양	바이로메드	미국
	VM501	혈소판 감소증	바이로메드	중국
	펙사백	간암	신라젠	미국
임상2	VM202	심근경색	바이로메드	한국
	VM202	루게릭질환	바이로메드	미국
	BVAC-C	자궁경부암, 두경부암, 항문암, 성기암 등	셀리드	한국
	GX-188E	Cervical Intraepithelial Neoplasia 2/3	제넥신	유럽
임상1	VM206	유방암	바이로메드	한국
	BVAC-B	위암, 유방암, 췌장암, 폐암, 난소암 등	셀리드	한국
	펙사백	신장암	신라젠	미국
	펙사백	대장암	신라젠	미국
전임상	A	만성염증질환	강스템바이오텍	한국
	B	신경계질환	강스템바이오텍	한국
	HBV치료제	만성B형감염	바이로메드	한국
	B	골관절염	바이오솔루션	한국
	BVAC-P	전립선암, 뇌종양 등	셀리드	한국
	BVAC-M	흑색종, 폐암, 대장암, 췌장암 등	셀리드	한국
	A	췌장암	신라젠	한국, 미국
	B	고형암	신라젠	한국
	A	관절염	아이씨엠	한국, 미국, 프랑스
	KLS-2030	신경병증성통증	코오롱생명과학	한국
후보물질 도출	VM801	고형암	바이로메드	미국
	VM507	신부전	바이로메드	한국
	P2-1	허혈성 질환	바이로메드	한국
	SiRNA전달체	고형암	삼양바이오팜	한국
	pDNA+전달체	고형암	삼양바이오팜	한국
	mRNA+전달체	고형암	삼양바이오팜	한국
	CeliVax-Neo	neo-antigen이 발굴된 모든 암종	셀리드	한국
	A	-	씨드모젠	한국

제1장
바이오헬스
현황제2장
첨단바이오헬스
현황제3장
국내 중개소 및 유전자 치료제 관련
지원 육성 및 정책 비교제4장
국내의 임상·임허가 성공사례
및 성공·지해 요인 분석제5장
국내의 관련 업체 및
연구개발 현황제6장
종합고찰

후보물질 도출	B	황반변성	아이씨엠	한국, 미국
	KLS-1010	백신	코오롱생명과학	한국
	KLS-3020	종양	코오롱생명과학	한국
	A	고형암	GC녹십자랩셀	한국, 프랑스
	C	혈액암, 고형암	GC녹십자랩셀	한국, 영국
	D	혈액암, 고형암	GC녹십자랩셀	한국, 영국
선도물질 도출	VM802	혈액암	바이로메드	한국
	VM803	고형암	바이로메드	한국
	VM804	고형암	바이로메드	한국
	P2-2	근육 질환	바이로메드	한국
	P2-3	루게릭질환	바이로메드	한국
	유전자이입 중간엽줄기세포	뇌졸중	셀레브레인	미국, 영국
	진단/치료	간	제이앤피	한국
	치료	HCC	제이앤피	한국
	B	고형암	GC녹십자랩셀	한국
	E	혈액암, 고형암	GC녹십자랩셀	한국, 캐나다
	F	혈액암, 고형암	GC녹십자랩셀	한국, 캐나다

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 13개사에서 연구개발 중인 48개 유전자치료제 파이프라인에 대한 기업별 보유 현황을 분석한 결과 최소 1개에서 최대 15개의 유전자치료제 파이프라인을 보유중인 것으로 나타났음
- 이들 기업 가운데 유전자치료제 파이프라인 최다 보유 기업은 바이로메드로 총 15개 파이프라인을 보유하고 있는 것으로 나타났고, 뒤를 이어 GC녹십자가 6개, 셀리드, 신라젠이 각각 5개의 유전자치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타남
- 임상시험단계(임상 1~3상) 유전자치료제 파이프라인 최다 보유 기업은 바이로메드로 임상 3상 단계 3개 테마, 임상 2상 단계 2개 테마, 임상 1상 단계 1개 테마 등 총 6개에 이르는 임상시험단계 유전자치료제 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타났고, 다음으로 신라젠이 3개, 셀리드가 2개를 보유하고 있는 것으로 분석됨
- 전임상시험단계(전임상) 유전자치료제 파이프라인의 경우 강스템바이오텍, 셀리드, 신라젠이 2개로 가장 많은 것으로 나타났고, 뒤를 이어 바이로메드, 바이오솔루션, 아이씨엠, 코오롱생명과학이 각각 1개씩 보유하고 있는 것으로 나타남

표 5-28 기업별 유전자치료제 파이프라인 현황(총괄)

기업명	NDA 완료	임상3상	임상2상	임상1상	전임상	후보물질 도출	선도물질 도출	합계
강스탬바이오텍	0	0	0	0	2	0	0	2
바이로메드	0	3	2	1	1	3	5	15
바이오솔루션	0	0	0	0	1	0	0	1
삼양바이오팜	0	0	0	0	0	3	0	3
셀레브레인	0	0	0	0	0	0	1	1
셀리드	0	0	1	1	2	1	0	5
신라젠	0	1	0	2	2	0	0	5
씨드모젠	0	0	0	0	0	1	0	1
아이씨엠	0	0	0	0	1	1	0	2
제넥신	0	0	1	0	0	0	0	1
제이애플	0	0	0	0	0	0	2	2
코오롱생명과학	1	0	0	0	1	2	0	4
GC녹십자랩셀	0	0	0	0	0	3	3	6
총합계	1	4	4	4	10	14	11	48

표 5-29 기업별 유전자치료제 파이프라인 현황(세부)

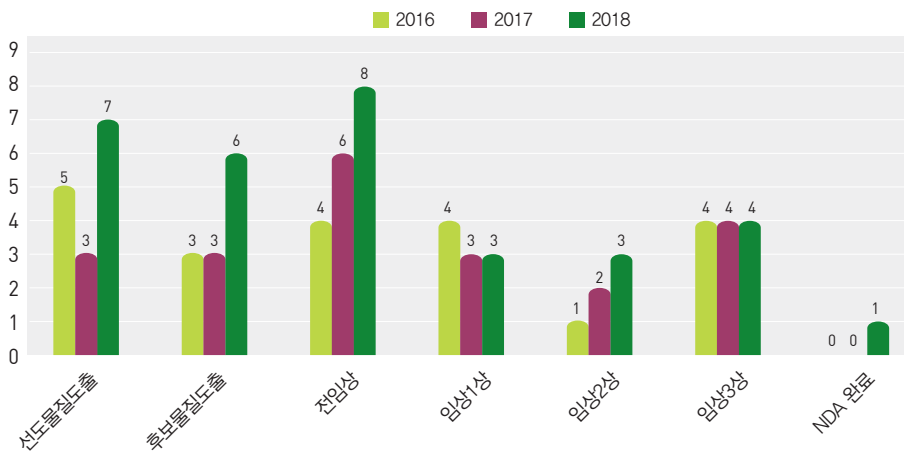
기업명	테마명	적응증	R&D단계	R&D권역
강스탬바이오텍	A	만성염증질환	전임상	한국
	B	신경계질환	전임상	한국
바이로메드	VM202	당뇨병성 신경병증	임상3	미국
	VM202	족부궤양	임상3	미국
	VM501	혈소판 감소증	임상3	중국
	VM202	심근경색	임상2	한국
	VM202	루게릭질환	임상2	미국
	VM206	유방암	임상1	한국
	HBV치료제	만성B형감염	전임상	한국
	VM801	고형암	후보물질도출	미국
	VM507	신부전	후보물질도출	한국
	P2-1	허혈성 질환	후보물질도출	한국
	VM802	혈액암	선도물질도출	한국
	VM803	고형암	선도물질도출	한국
	VM804	고형암	선도물질도출	한국

바이로메드	P2-2	근육 질환	선도물질도출	한국
	P2-3	루게릭질환	선도물질도출	한국
바이오솔루션	B	골관절염	전임상	한국
삼양바이오팜	SiRNA전달체	고형암	후보물질도출	한국
	pDNA+전달체	고형암	후보물질도출	한국
	mRNA+전달체	고형암	후보물질도출	한국
셀레브레인	유전자이입 중간엽줄기세포	뇌졸중	선도물질도출	미국, 영국
셀리드	BVAC-C	자궁경부암, 두경부암, 항문암, 성기암 등	임상2	한국
	BVAC-B	위암, 유방암, 췌장암, 폐암, 난소암 등	임상1	한국
	BVAC-P	전립선암, 뇌종양 등	전임상	한국
	BVAC-M	흑색종, 폐암, 대장암, 췌장암 등	전임상	한국
	CeliVax-Neo	neo-antigen이 발굴된 모든 암종	후보물질도출	한국
신라젠	펙사벡	간암	임상3	미국
	펙사벡	신장암	임상1	미국
	펙사벡	대장암	임상1	미국
	A	췌장암	전임상	한국, 미국
	B	고형암	전임상	한국
씨드모젠	A		후보물질도출	한국
아이씨엠	A	관절염	전임상	한국, 미국, 프랑스
	B	황반변성	후보물질도출	한국, 미국
제넥신	GX-188E	Cervical Intraepithelial Neoplasia 2/3	임상2	유럽
제이애플	진단/치료	간	선도물질도출	한국
	치료	HCC	선도물질도출	한국
코오롱생명과학	Invossa	퇴행성관절염	NDA완료	한국, 미국
	KLS-2030	신경병증성통증	전임상	한국
	KLS-1010	백신	후보물질도출	한국
	KLS-3020	종양	후보물질도출	한국
GC녹십자랩셀	A	고형암	후보물질도출	한국, 프랑스
	C	혈액암, 고형암	후보물질도출	한국, 영국
	D	혈액암, 고형암	후보물질도출	한국, 영국
	B	고형암	선도물질도출	한국
	E	혈액암, 고형암	선도물질도출	한국, 캐나다
	F	혈액암, 고형암	선도물질도출	한국, 캐나다

■ 최근 3년간 유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 3년간 응답한 주요 10개사 중 유전자치료제를 연구개발 중인 8개사의 R&D단계별 파이프라인 현황을 분석한 결과 전반적으로 각 단계별 파이프라인이 증가한 것으로 나타남
- 임상1상단계의 파이프라인이 2016년도에 비해 2017년도에는 1건 줄어들었지만 임상2상단계의 파이프라인은 매년 서서히 증가한 것으로 나타남
- 특히 2018년에 NDA완료단계의 파이프라인이 1건 발생하여 조만간 품목출시가 예상되고 있음

그림 5-21 최근 3년 간 유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황



(4) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 파이프라인 연구개발투자 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 22개사에서 연구개발 중인 91개 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 파이프라인 가운데 72개 테마에 대한 연구개발투자 현황을 분석한 결과 현 연구개발단계 까지 총 1,553억원이 투자되어 테마당 평균 21.6억원이 투자된 것으로 분석되었음
- 연구개발 중인 첨단바이오의약품 파이프라인의 투자 비중을 살펴보면 줄기세포치료제 파이프라인에 현재까지 총 715.4억원이 투자되어 46.1%를 차지하였고, 유전자치료제 파이프라인에 837.6억원(53.9%)을 투자한 것으로 나타남

- 연구개발이 진행 중인 첨단바이오의약품 파이프라인에 대한 기업과 정부의 연구개발투자비를 분석한 결과, 기업 투자비가 전체의 28.7%(446.3억 원)를 차지하고 있고 정부 지원은 71.3%(1,106.7억 원)로 나타나 기업 투자비 비중은 상대적으로 낮은 것으로 나타남
- 현재 연구개발이 진행 중인 첨단바이오의약품 파이프라인에 대해 현 단계까지의 기업 연구개발투자비는 1개 테마당 평균 8.9억 원으로 나타났고, 정부의 연구개발투자비는 1개 테마당 평균 23.1억 원으로 나타남
- 연구개발이 진행 중인 첨단바이오의약품 파이프라인에 대해 현 단계까지의 민간 평균 투자비를 분석한 결과 줄기세포치료제 파이프라인의 경우 물질 1개당 평균 7.4억 원이 투자되었으며, 유전자치료제 파이프라인의 경우 물질 1개 테마당 평균 11.0억 원이 투자된 것으로 분석되었음
- 연구개발이 진행 중인 첨단바이오의약품 파이프라인에 대해 현 단계까지의 정부의 평균 연구개발투자비를 분석한 결과 줄기세포치료제 파이프라인의 경우 물질 1개당 평균 22.7억 원이 투자되었으며, 유전자치료제 파이프라인의 경우 물질 1개 테마당 평균 23.3억 원이 투자된 것으로 분석되었음

표 5-30

첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 파이프라인 연구개발투자비 현황

(단위 : 억원, %)

구분	기업 투자비				정부 투자비				총합계	비중(%)
	금액	테마수	평균	비중(%)	금액	테마수	평균	비중(%)		
줄기세포치료제	215.5	29	7.4	48.3	499.9	22	22.7	45.2	715.4	46.1
유전자치료제	230.8	21	11.0	51.7	606.8	26	23.3	54.8	837.6	53.9
총합계	446.3	50	8.9	100	1,106.7	48	23.1	100	1,553.0	100

그림 5-22

첨단바이오의약품 파이프라인 연구개발투자비 현황

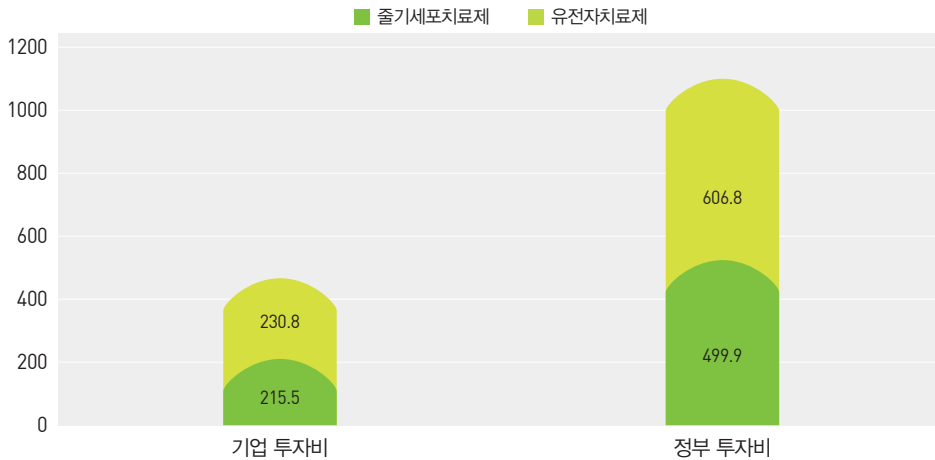
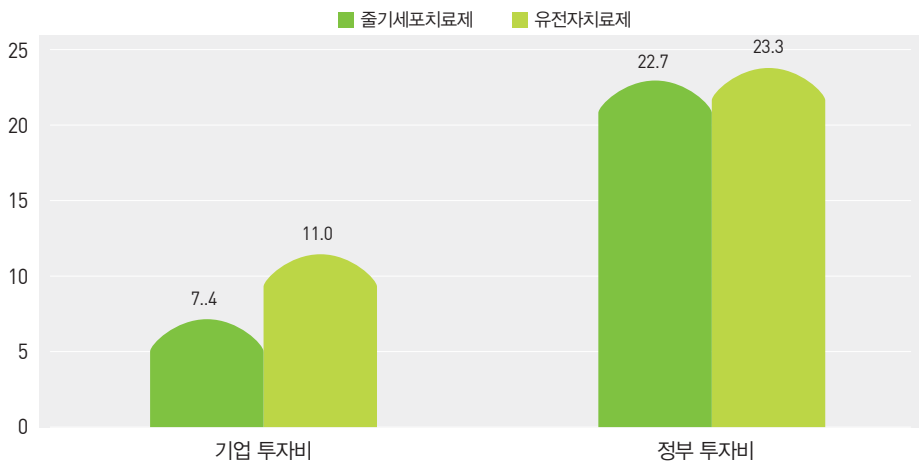


그림 5-23

첨단바이오의약품 파이프라인에 대한 1개 품목당 평균 연구개발투자비 현황



(5) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 파이프라인에 대한 정부지원 현황

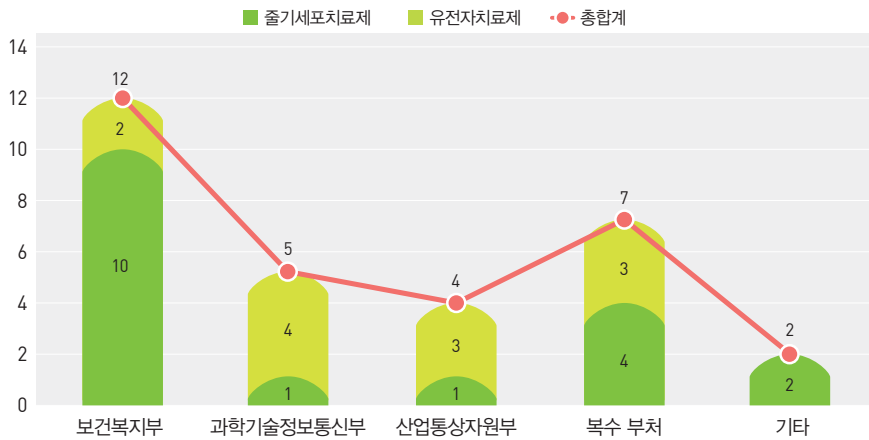
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 첨단바이오의약품 파이프라인에 대한 정부지원 현황을 분석한 결과 전체 91개 첨단바이오의약품 파이프라인 가운데 30개(33.0%)가 현재 정부자금을 지원 받고 있거나 과거에 받은 적이 있는 것으로 분석되었음
- 정부부처별 지원 현황을 분석한 결과 전체 30개 정부지원 첨단바이오의약품 파이프라인 가운데 12개 파이프라인(40.0%)이 보건복지부로부터 지원을 받았으며, 7개 파이프라인(23.3%)은 복수 부처에서 지원 받은 것으로 나타나 보건복지부의 지원이 높은 비중을 차지하고 있는 것으로 나타나고 있음

표 5-31 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 정부부처별 지원 현황

(단위 : 개, %)

구분	보건 복지부	과학기술 정보통신부	산업통상 자원부	복수 부처	기타	지원 현황 종합	
						총합계	비중(%)
줄기세포치료제	10	1	1	4	2	18	60.0
유전자치료제	2	4	3	3	0	12	40.0
총합계	12	5	4	7	2	30	100

그림 5-24 첨단바이오의약품 정부부처별 지원 현황



(6) 개발성공 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 보유 현황

- 2011년도부터 줄기세포 및 유전자치료제 상용화 촉진을 위한 정부정책 등으로 인해 국내 승인 제품이 나타남. 조사 결과 4개의 줄기세포치료제 제품과 1개의 유전자치료제 제품이 개발에 성공한 것으로 조사됨
- 6개 제품의 개발기간은 6년에서 18년까지 소요된 것으로 나타남

표 5-32 개발성공 줄기세포치료제 및 유전자치료제 현황

(단위 : 억원)

구분	허가 일자	기업명	제품명	허가 기관	적응증/ 약효	지원 부처명	개발 기간	지원 현황 종합		
								기업	정부	합계
줄기	2011	파미셀*	하티셀그램	MFDS	심근경색	-	9년	342	0	342
줄기	2012	메디포스트	카티스템	MFDS	퇴행성 관절염	산업부	11년	-	66	-
줄기	2012	안트로젠	큐피스템	MFDS	크론성 누공	복지부	6년	39.5	19.4	58.9
줄기	2014	코아스템*	뉴로타나	MFDS	루게릭병	-	-	-	-	-
유전자	2017	코오롱 생명과학	Invossa-K	MFDS	퇴행성 관절염	기타	18년	72.3	82.1	154.4

* 파미셀과 코아스템 제품은 문헌조사를 통해 기재함

(7) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 기술수출 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업의 해외 기술수출 성공실적을 분석한 결과 지난 2004년 이후로 2016년까지 총 7개사가 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 연구개발과정에서 도출된 첨단기술 등 연구개발성과를 해외에 16건 기술수출한 것으로 조사됨
- 대상 국가는 일본이 5건으로 가장 많았던 것으로 나타났고, 뒤를 이어 중국이 4건, 미국과 홍콩이 각각 2건, 인도, 프랑스, 호주가 각각 1건으로 나타남
- 기업별로는 메디포스트가 총 5건을 홍콩, 호주, 인도, 중국, 일본 등지로 기술수출에 성공하여 가장 많았고, 뒤를 이어 안트로젠이 4건, 바이로메드, 신라젠이 각각 2건, 셀리드, 제넥신, 코오롱생명과학이 각각 1건으로 나타남

표 5-33 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 기술수출 현황

연도	기술수출기업	구분	대상업체 (국적)	기술수출내용	계약조건 및 기술료
2004	바이로메드	유전자 치료제	Beijing Northland Biotech (중국)	VM202	—
2009	신라젠	유전자 치료제	Lee's Pharma (중국)	펙사백 간암	—
2010	신라젠	유전자 치료제	Transgene (프랑스)	펙사백 간암/대장암	—
2010	안트로젠	줄기세포 치료제	니혼파마 (일본)	자가유래 지방줄기세포를 이용한 크론병성 누공치료제 개발기술	— Upfront : 1,000,000US\$ — Milestone : 4,000,000US\$
2012	메디포스트	줄기세포 치료제	Eton Corporation (홍콩)	카티스팀	—
2013	메디포스트	줄기세포 치료제	Cell Therapies (호주)	카티스팀	—
2013	메디포스트	줄기세포 치료제	Alkem (인도)	카티스팀	—
2013	안트로젠	줄기세포 치료제	프로스탐셀 (홍콩)	줄기세포배양액	— Upfront : 25,000 US\$ — 기타 : 25,000US\$
2014	메디포스트	줄기세포 치료제	太安源生生物科技有限公司 (중국)	카티스팀	—
2014	제넥신	유전자 치료제	B사 (중국)	자궁경부전암 치료 백신 GX-188E	— \$5M, 경상기술료 있음 — GX-188E 중국판권
2015	바이로메드	유전자 치료제	Bluebird Bio, Inc. (미국)	VM801	— Upfront : 1,000,000US\$ — Milestone : 48,000,000US\$ (질환별)
2015	안트로젠	줄기세포 치료제	이신파마 (일본)	시트형 조직재생치료제	— Upfront : 500,000 US\$ — Milestone : 4,000,000US\$
2015	셀리드	유전자 치료제	네오이문텍 (미국)	BVAC-C	—
2016	메디포스트	줄기세포 치료제	EVASTEM (일본)	카티스팀	—
2016	안트로젠	줄기세포 치료제	이신파마 (일본)	시트형 조직재생치료제	— Upfront : 1,000,000 US\$ — Milestone : 75,000,000US\$
2016	코오롱생명과학*	유전자 치료제	미쓰비시 타나베제약 (일본)	인보사	— Upfront : 25억엔 — Milestone : 432억엔(단계별) — Running Royalty : 연 매출에 따라 연 매출의 5~15% — 실시허여권역 : 일본

(8) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 수출 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업의 첨단바이오의약품에 대한 해외 진출 현황을 분석한 결과, 1개 기업이 홍콩에 수출한 것으로 나타남. 첨단바이오의약품의 경우 연구개발 중인 제품이 대다수를 차지하고 있고, 발매허가를 받은 제품이 미미하여 해외 수출실적이 크지 않는 것으로 조사됨
- 1개 제품에 대한 해외 수출규모가 3년 평균 280만 달러로 분석됨

표 5-34

첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 수출 현황

(단위 : 만 달러)

기업명	구분	국가	품목수	2015년	2016년	2017년
메디포스트	줄기세포치료제	홍콩	1	122.5	406.0	311.5

다. 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제)의 국내외 기술 협력 현황

(1) 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 기술협력 현황

- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 협력기관과의 기술협력 분포를 분석한 결과 대학이 전체 115건 가운데 80건(69.6%)으로 나타나 가장 높은 빈도를 나타내고 있어 대학과의 협력 비중이 가장 높은 것으로 나타남
- 연구기관과의 협력비중(17건, 14.8%)이 두 번째 큰 비중을 차지하고 있으며, 다음으로 기업(13건, 11.3%), 벤처(5건, 4.3%)순으로 조사됨
- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 외부기관과의 연구개발 협력유형을 분석한 결과 공동연구가 총 107건(93.0%)을 차지하면서 가장 큰 비중을 차지하고 있었으며, 라이선싱/기술이전(8건, 7.0%) 순으로 조사됨
- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 협력유형별 협력기관 현황을 분석한 결과 공동연구의 경우 대학의 비중이 매우 높았고, 연구기관과의 협력 비중도 높은 것으로 나타남. 라이선싱/기술이전의 경우 주로 대학과의 협력 비중이 높은 것으로 나타남

표 5-35

첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 기술협력 현황

(단위 : 건, %)

구분	공동연구	라이선싱/ 기술이전	M&A	기술투자	총합계	
					건수	비중(%)
기업	11	2	0	0	13	11.3
대학	75	5	0	0	80	69.6
연구기관	16	1	0	0	17	14.8
벤처	5	0	0	0	5	4.3
합계	107	8	0	0	115	100.0

그림 5-25

첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 협력기관 분포 현황

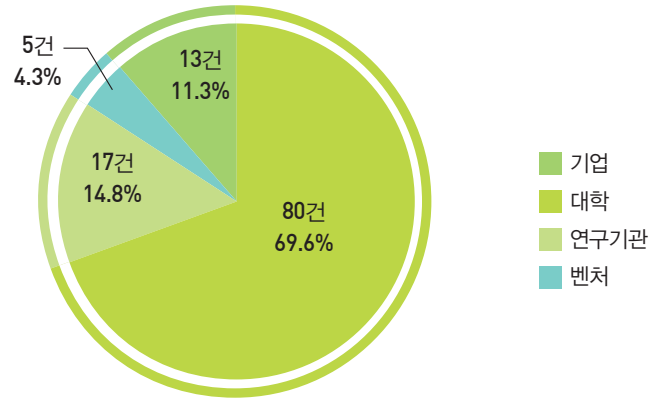


그림 5-26

첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 협력유형별 현황

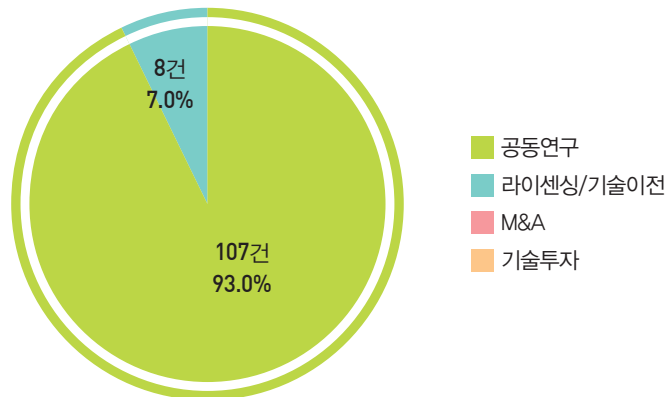
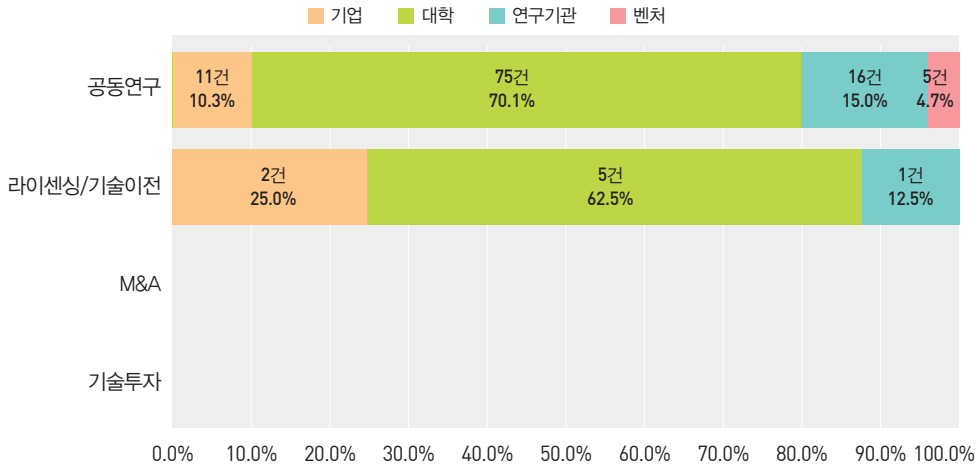


그림 5-27 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국내 기술협력 현황



- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 연구단계별 국내 기술협력현황을 분석한 결과 전임상 단계에서의 협력 비중이 각각 32.0%로 가장 높았으며, 다음으로 선도물질탐색단계와 임상단계가 각각 18.4%의 비중을 차지하고 후보물질탐색단계는 16.8%의 비중을 차지하고 있었음. 반면, 원천기술개발단계에서의 협력은 14.4%로 나타나 가장 낮은 비중을 차지하고 있는 것으로 분석됨
- 대학 간의 협력일 경우 전임상단계와 후보물질탐색단계에서 협력비중이 높게 나타남
- 연구기관 간의 협력일 경우 전임상단계와 선도물질탐색단계에서 협력비중이 높게 나타남
- 동종기업 간의 협력일 경우 전임상단계에서의 협력비중이 높게 나타남

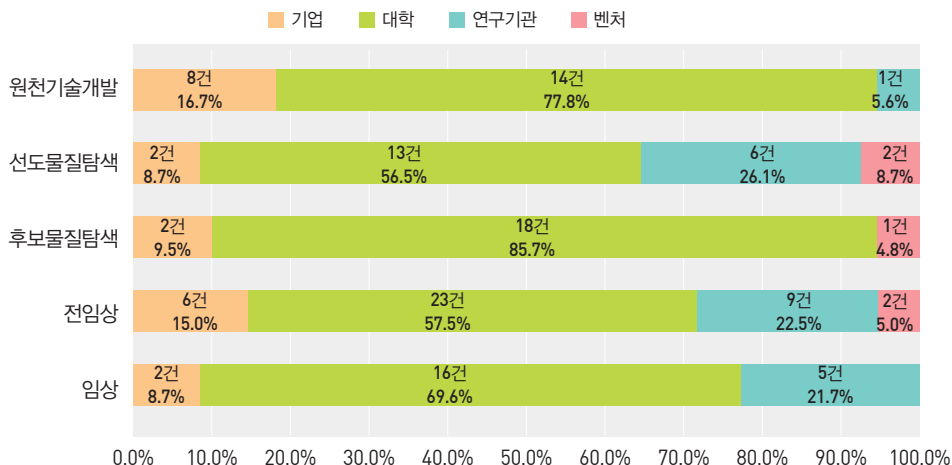
표 5-36 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 연구단계별 국내 기술협력 총괄 현황

(단위 : 건, %)

구분	원천기술개발	선도물질탐색	후보물질탐색	전임상	임상	총합계	
						건수	비중(%)
기업	3	2	2	6	2	15	12.0
대학	14	13	18	23	16	84	67.2
연구기관	1	6	0	9	5	21	16.8
벤처	0	2	1	2	0	5	4.0
합계	18	23	21	40	23	125	100.0

그림 5-28

첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 연구단계별 국내 기술협력 총괄 현황



- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업들이 향후 희망하는 국내 기술협력유형을 분석한 결과 여러 협력유형 가운데 공동연구와 위탁연구, 라이선싱/기술이전에 대해 높은 협력수요를 보인 것으로 나타남
- 공동연구의 경우 주로 대학과의 기술협력 수요가 높았으며, 위탁연구의 경우 대학, 연구기관과의 기술협력 수요가 높고 라이선싱/기술이전의 경우 동종기업, 대학 등 기관유형에 관계없이 파트너십을 희망하고 있는 것으로 나타남
- 그 외에 동종기업과의 M&A, 생산, 마케팅 제휴, 조인트 벤처설립에 관한 협력수요도 비교적 높게 나타남

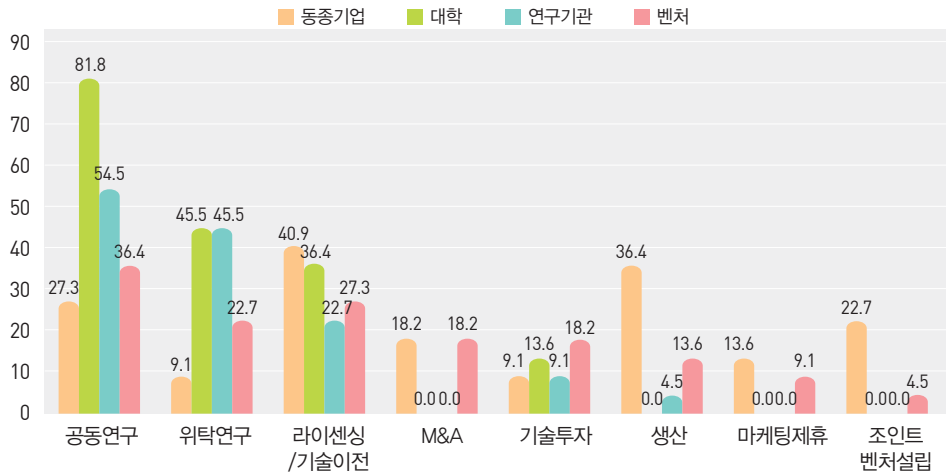
표 5-37

첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 향후 기관유형별 국내 기술협력 수요 응답률

(단위 : %)

구분	공동연구	위탁연구	라이선싱/기술이전	M&A	기술투자	생산	마케팅 제휴	조인트 벤처설립
기업	27.3	9.1	40.9	18.2	9.1	36.4	13.6	22.7
대학	81.8	45.5	36.4	0.0	13.6	0.0	0.0	0.0
연구기관	54.5	45.5	22.7	0.0	9.1	4.5	0.0	0.0
합계	36.4	22.7	27.3	18.2	18.2	13.6	9.1	4.5

그림 5-29 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 향후 기관유형별 국내 기술협력 수요 응답률



(2) 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 해외 기술협력 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 25개사의 최근 3년간의 해외 기술협력 현황을 분석한 결과 해외 10개국 기업, 대학, 연구기관 등과 총 68건의 협력 활동을 전개 한 것으로 나타남
- 국가별 협력 분포현황을 분석한 결과 미국 50건(73.5%)으로 압도적으로 많은 것으로 나타났고, 뒤를 이어 영국, 일본, 캐나다가 각각 3건(4.4%)으로 분석되어 주로 미국을 중심으로 영국, 일본, 캐나다와의 협력활동이 주를 이루고 있는 것으로 나타남

표 5-38 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황

(단위 : 건)

구분	독일	미국	영국	인도	일본	중국	캐나다	프랑스	호주	홍콩	총합계
기업	1	3	3	1	3	1	1	2	1	1	17
대학	0	16	0	0	0	1	1	0	1	0	19
연구기관	0	31	0	0	0	0	1	0	0	0	32
합계	1	50	3	1	3	2	3	2	2	1	68

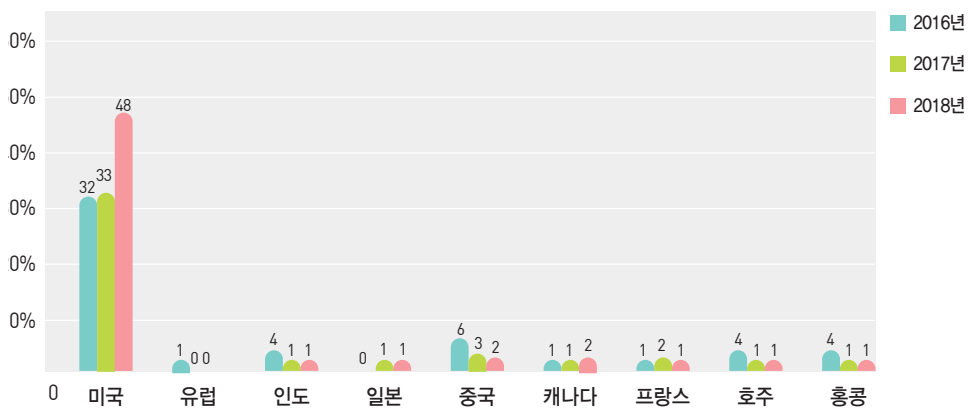
그림 5-30 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황



■ 최근 3년 간 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 3년간 응답한 주요 10개사의 국가별 협력 현황을 분석한 결과 2018년도에 미국과의 기술협력이 급격히 증가하는 반면 대부분 타 국가(유럽, 인도, 중국, 호주, 홍콩)와의 기술협력은 줄어든 것으로 나타남
- 따라서 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업들은 타 국가 기업/기관과의 기술협력보다 미국 기업/기관과의 기술협력을 더 선호하는 것으로 보여짐

그림 5-31 최근 3년 간 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 국가별 협력 현황



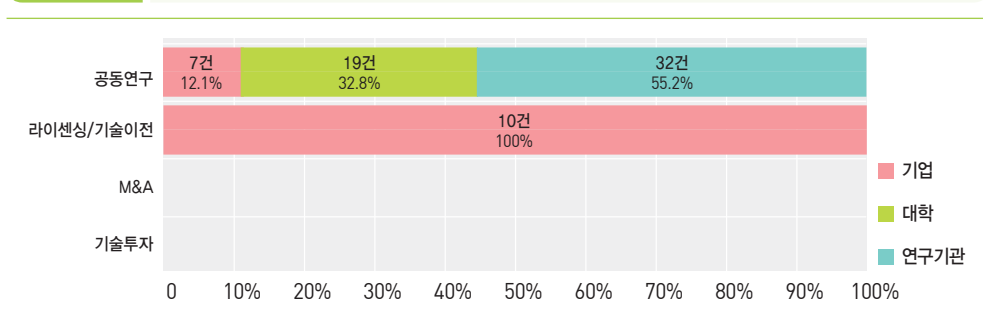
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 25개사의 최근 3년간 해외 협력기관과의 기술협력 분포를 분석한 결과 연구기관이 전체 68건 가운데 32건(47.1%)으로 나타나 가장 높은 빈도를 나타내고 있어 연구기관과의 협력 비중이 가장 높은 것으로 나타남
- 대학과의 협력비중(19건, 27.9%)이 두 번째 큰 비중을 차지하고 있으며, 다음으로 기업(17건, 25.0%) 순으로 조사됨
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 25개사의 최근 3년간 해외 외부기관과의 연구개발 협력유형을 분석한 결과 공동연구가 총 58건(85.3%)을 차지하면서 가장 큰 비중을 차지하고 있었으며, 라이선싱/기술이전(10건, 14.7%) 순으로 조사됨
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 25개사의 최근 3년간 해외 협력유형별 협력기관 현황을 분석한 결과 공동연구의 경우 연구기관과의 비중이 매우 높았고, 대학과의 협력 비중도 높은 것으로 나타남. 라이선싱/기술이전의 경우 주로 기업과의 협력 비중이 높은 것으로 나타남

표 5-39 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 해외 기술협력 현황

(단위 : 건, %)

구분	공동연구	라이선싱 /기술이전	M&A	기술투자	총합계	
					건수	비중(%)
기업	7	10	0	0	17	25.0
대학	19	0	0	0	19	27.9
연구기관	32	0	0	0	32	47.1
합계	58	10	0	0	68	100.0

그림 5-32 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 해외 기술협력 현황



- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 25개사의 최근 3년간 연구단계별 해외 기술협력현황을 분석한 결과 임상단계에서 연구기관과의 협력비중이 큰 것으로 나타남

- 전체적으로는 임상 단계에서의 협력 비중이 35.0%로 가장 높았으며, 다음으로 선도물질탐색단계는 27.5%의 비중을 차지하고 전임상단계는 25.0%, 후보물질탐색단계는 10.0%의 비중을 차지하고 있었음. 반면, 원천기술개발단계에서의 협력은 2.5%로 나타나 국내와 마찬가지로 가장 낮은 비중을 차지하고 있는 것으로 분석됨

- 대학 간의 협력일 경우 임상단계에서 협력비중이 매우 높게 나타남
- 동종기업 간의 협력일 경우 전임상단계와 선도물질탐색단계에서 협력비중이 높게 나타남
- 연구기관 간의 협력일 경우 전임상단계와 선도물질탐색단계에서 협력비중이 높게 나타남

표 5-40

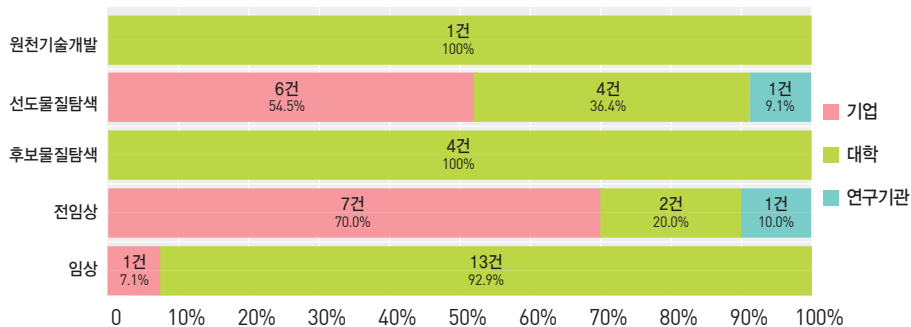
첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 연구단계별 해외 기술협력 총괄 현황

(단위 : 건, %)

구분	원천기술개발	선도물질탐색	후보물질탐색	전임상	임상	총합계	
						건수	비중(%)
기업	0	6	0	7	1	14	35.0
대학	1	4	4	2	13	24	60.0
연구기관	0	1	0	1	0	2	5.0
합계	1	11	4	10	14	40	100

그림 5-33

첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 연구단계별 해외 기술협력 총괄 현황



- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 향후 희망하는 해외 기술협력유형을 분석한 결과 여러 협력유형 가운데 공동연구와 라이선싱/기술이전에 대해 높은 협력 수요를 보인 것으로 나타남
- 공동연구의 경우 동종기업, 대학, 벤처 등의 기술협력 수요가 골고루 높았으며, 라이선싱/기술이전의 경우 동종기업과의 수요가 높은 것으로 나타남

- 또한 위탁연구의 경우 연구기관, 대학과의 파트너십을 희망하고 있는 것으로 나타남
- 그 외에 동종기업과의 생산과 마케팅 제휴, 조인트 벤처설립에 관한 협력수요도 비교적 높게 나타났고, 벤처에 대한 생산, 마케팅제휴, 조인트 벤처설립 수요도 높은 것으로 나타남

표 5-41

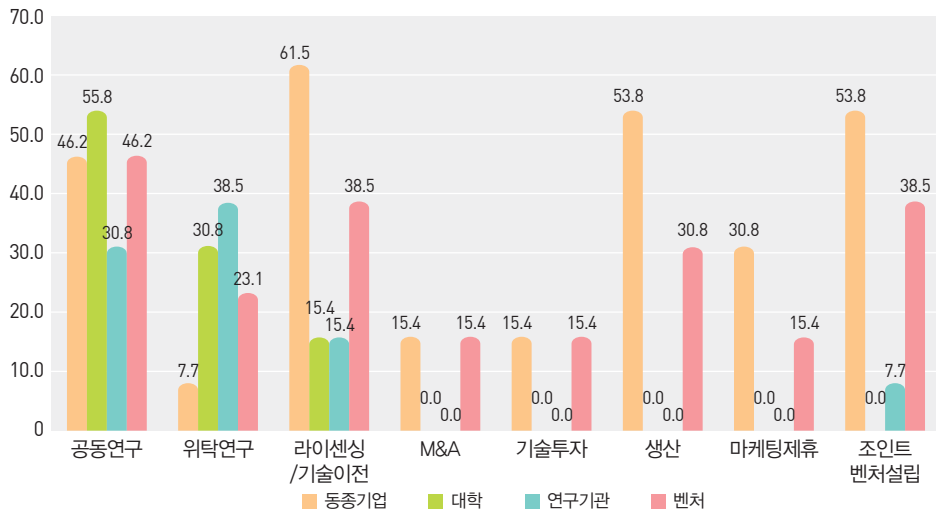
첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 향후 기관유형별 해외 기술협력 수요 응답률

(단위 : %)

구분	공동연구	위탁연구	라이선싱 /기술이전	M&A	기술투자	생산	마케팅 제휴	조인트 벤처설립
동종기업	46.2	7.7	61.5	15.4	15.4	53.8	30.8	53.8
대학	53.8	30.8	15.4	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0
연구기관	30.8	38.5	15.4	0.0	0.0	0.0	0.0	7.7
벤처	46.2	23.1	38.5	15.4	15.4	30.8	15.4	38.5

그림 5-34

첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 향후 기관유형별 해외 기술협력 수요 응답률



(3) 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업의 혁신성과(줄기세포 및 유전자치료제) 해외 라이선싱-아웃 수요 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 보유하고 있는 줄기세포 및 유전자치료제의 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목을 분석한 결과 25개 혁신기업 가운데 총 15개사가 74개 품목(기업당 평균 4.9개)에 대해 라이선싱-아웃을 희망하고 있는 것으로 나타남

- 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목 가운데 줄기세포치료제가 총 38건으로 51.4%를 차지하였고, 유전자치료제는 36건으로 48.6%를 차지하는 것으로 나타남
- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 보유하고 있는 줄기세포 및 유전자치료제의 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목을 개발단계별로 분석한 결과 전임상 단계(전임상, IND)이 33개(44.6%)로 가장 많은 비중을 차지하였으며, 이어서 임상시험단계 품목이 32개(43.2%), 허가완료 및 제품출시된 품목이 9개(12.2%) 순으로 나타남

표 5-42

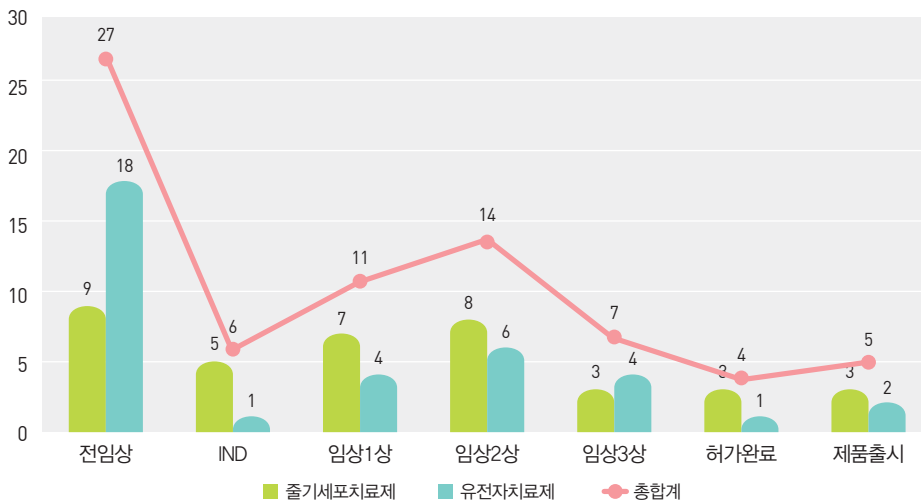
첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목별 개발단계별 현황

(단위 : 건, %)

구분	전임상	IND	임상1상	임상2상	임상3상	허가 완료	제품 출시	총합계	
								건수	비중(%)
줄기세포치료제	9	5	7	8	3	3	3	38	51.4
유전자치료제	18	1	4	6	4	1	2	36	48.6
총합계	27	6	11	14	7	4	5	74	100

그림 5-35

첨단바이오의약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목별 개발단계별 현황



- 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 보유하고 있는 첨단바이오의약품 의 라이선싱-아웃 희망 대상 국가별 선호도를 분석한 결과 미국(70개), 유럽(51개), 일본(18개), 중국(14개), 중남미(6개), 인도(4개), 호주(4개) 순으로 나타나 대부분 선진국(미국, 유럽) 시장과 동아시아(일본, 중국), 중남미 지역을 선호하는 것으로 분석됨

표 5-43

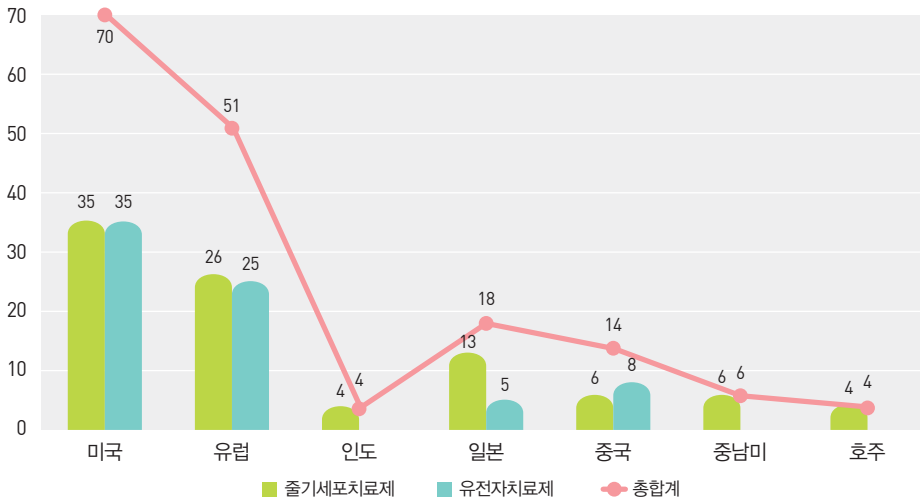
첨단바이오횰약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 국가 현황

(단위 : 건, %)

구분	미국	유럽	인도	일본	중국	중남미	호주	총합계
줄기세포치료제	35	26	4	13	6	6	4	94
유전자치료제	35	25	0	5	8	0	0	73
합계	70	51	4	18	14	6	4	167

그림 5-36

첨단바이오횰약품 글로벌 라이선싱-아웃 희망 국가 현황



라. 첨단바이오횰약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 제도개선/지원정책 등에 관한 기업의견

(1) 첨단바이오횰약품(줄기세포 및 유전자치료제) R&D파이프라인 연구개발을 중단하는 주요 원인 우선순위

- 주요 첨단바이오횰약품 연구개발중심 기업들 대상으로 첨단바이오횰약품의 R&D파이프라인 연구개발시 중단해야 하는 상황이 발생하는 경우를 가정하여 연구중단에 대한 주요원인을 조사한 결과, 효능성 부족(합산점수 104점, 27.7%)이 가장 큰 원인으로 조사됨
- 뒤를 이어 재원 부족(합산점수 78점, 20.8%), 안전성 부족(합산점수 70점, 18.7%), 시장/차별성 부족(합산점수 68점, 18.1%) 순으로 나타났으며, 정부 규제의 경우 상대적으로 우선순위가 낮은 것으로 분석되었음

표 5-44

R&D파이프라인 연구개발을 중단하는 주요 원인 우선순위

(단위 : 점, %)

구분	계	산업별 구성비
효능성 부족	104	27.7
재원 부족	78	20.8
안전성 부족	70	18.7
시장/차별성 부족	68	18.1
정부 규제	55	14.7
총합계	375	100

※ 환산점수 산정 방식 : 1순위 - 5점, 2순위 - 4점, 3순위 - 3점, 4순위 - 2점, 5순위 - 1점

※ 25개사 회신기업 기준

(2) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 제도개선 및 지원정책 우선순위

- 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들의 첨단바이오의약품 분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제를 분야별로 살펴보면, 기존 연구성과 활용 및 전략적 R&D지원 분야가 합산 375점으로 지원이 가장 시급한 분야인 것으로 나타남
- 뒤를 이어, 인허가 제도 개선 분야(270점), 세제 및 자본시장 제도 개선 분야(217점), 건강보험 급여 적용 개선 분야(184점) 순으로 나타남
 - 1순위 : 기존 연구성과 활용 및 전략적 R&D지원 분야
 - 2순위 : 인허가 제도 개선 분야
 - 3순위 : 세제 및 자본시장 제도 개선 분야
 - 4순위 : 건강보험 급여 적용 개선 분야
 - 5순위 : 생명윤리 및 임상 관련 규제 개선 분야
 - 6순위 : 기타 분야
 - 7순위 : 인프라 및 전문가 활용 분야

표 5-45

첨단바이오의약품분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제 분야별 우선순위 현황

분야	개선과제	합산점수
기존 연구성과 활용 및 전략적 R&D 지원	1) 유전체 기초연구성과를 기반으로 한 실용화 기술 개발	375
	2) 타 기술 융합을 통한 줄기세포 핵심기술 개발 지원	
	3) 초기 신약개발 Risk Taking(위험부담) 지원으로 Hit discovery 연구지원	
	4) 글로벌 3상 임상비용 정부과제 통합 지원	
인허가 제도 개선	5) 제3국 시장 조기 진출을 위한 '국내 시판허가 요건' 완화	270
	6) 재생의료 제품의 조건부 품목허가 확대	
	7) GMP 적용 균일화 제도 개선	
세제 및 자본 시장 제도 개선	8) 첨단바이오의약품 임상시험 관련 위탁연구개발비의 세액공제 대상 추가	217
	9) 신성장동력분야 바이오의약품 대상기술에 배아세포 유래 세포치료제 추가 - 조세지원	
	10) 기술이전에 대한 세액공제 범위 확대 - 조세지원	
	11) 기술성 상장 심사제도 개선	
	12) 임상시험에 대한 부가세 부과정책	
건강보험 급여 적용 개선	13) 첨단 치료제 관련 시술비용의 급여적용	184
	14) 국내개발 신약 약가정책 제도개선	
생명윤리 및 임상 관련 규제 개선	15) 배아줄기세포 연구 활성화 지원	145
	16) 줄기세포 치료 임상규제 개선	
기타	17) 전문의약품 광고규제 완화	136
	18) 치료제 원료(세포, 조직 등) 공급에 관한 법률 정비	
	19) 첨단바이오의약품 안전성 관리 통합 시스템 구축-전수조사제도 개선	
	20) 기타	
인프라 및 전문가 활용	21) 바이오헬스 R&D 플랫폼으로서 연구중심병원의 역할 강화	48
	22) 바이오헬스 제품화 인프라로서 첨복단지 기능 활성화	

※ 환산점수 산정 방식 : 1순위 - 10점, 2순위 - 9점, 3순위 - 8점, ..., 9순위 - 2점, 10순위 - 1점

- 첨단바이오의약품 분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제를 세부별로 살펴보면, 글로벌 3상 임상비용 정부과제 통합 지원이 128점으로 지원이 가장 시급한 개선과제인 것으로 나타남
- 뒤를 이어, 타 기술 융합을 통한 줄기세포 핵심기술 개발 지원(108점), 초기 신약개발 Risk Taking(위험부담) 지원으로 Hit discovery 연구지원(107점), 제3국 시장 조기 진출을 위한 '국내 시판허가 요건' 완화(96점) 순으로 나타남
- 기타로는 생명윤리 및 안전에 관한 법률-대상질환 범위 제한 해제와 배아줄기세포주 영리목적 사용/개발 허용에 대한 의견이 조사됨

표 5-46

첨단바이오의약품분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제 우선순위 현황

순위	개선과제	점수	응답기업수
1	글로벌 3상 임상비용 정부과제 통합 지원	128	18
2	타 기술 융합을 통한 줄기세포 핵심기술 개발 지원	108	14
3	초기 신약개발 Risk Taking(위험부담) 지원으로 Hit discovery 연구지원	107	14
4	제3국 시장 조기 진출을 위한 '국내 시판허가 요건' 완화	96	16
5	첨단 치료제 관련 시술비용의 급여적용	94	15
6	재생의료 제품의 조건부 품목허가 확대	92	14
7	줄기세포 치료 임상규제 개선	90	14
8	국내개발 신약 약가정책 제도개선	90	16
9	GMP 적용 균일화 제도 개선	82	16
10	치료제 원료(세포, 조직 등) 공급에 관한 법률 정비	69	15
11	첨단바이오의약품 임상시험 관련 위탁연구개발비의 세액공제 대상 추가	63	13
12	배이줄기세포 연구 활성화 지원	55	6
13	기술이전에 대한 세액공제 범위 확대 - 조세지원	50	16
14	임상시험에 대한 부가세 부과정책	45	12
15	첨단바이오의약품 안전성 관리 통합 시스템 구축-전수조사제도 개선	45	14
16	바이오헬스 R&D 플랫폼으로서 연구중심병원의 역할 강화	36	7
17	유전체 기초연구성과를 기반으로 한 실용화 기술 개발	32	7
18	신성장동력분야 바이오의약품 대상기술에 배아세포 유래 세포치료제 추가 - 조세지원	32	6
19	기술성 상장 심사제도 개선	27	8
20	기타	18	2
21	바이오헬스 제품화 인프라로서 첨복단지 기능 활성화	12	5
22	전문의약품 광고규제 완화	4	2

※ 환산점수 산정 방식 : 1순위 - 10점, 2순위 - 9점, 3순위 - 8점, ..., 9순위 - 2점, 10순위 - 1점

(3) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 정부 지원 중점 기술분야 우선순위

- 줄기세포치료제에 대한 정부 지원이 필요한 중점 기술분야에 대해 조사한 결과 기능 조절 물질 발굴 및 최적화기술이 93점으로 가장 높게 나타남. 뒤를 이어 제조기술(85점), 효능 및 안전성평가(82점), 타겟발굴(75점), 분리기술(61점), 이식기술(42점), 모니터링기술(38점) 순으로 조사됨

표 5-47 줄기세포치료제 정부 지원 중점 기술분야 우선순위 현황

순위	기술 분야	점수
1	기능 조절 물질 발굴 및 최적화기술	93
2	제조기술	85
3	효능 및 안전성평가	82
4	타겟발굴	75
5	분리기술	61
6	이식기술	42
7	모니터링기술	38

※ 환산점수 산정 방식 : 1순위 - 7점, 2순위 - 6점, 3순위 - 5점, ..., 6순위 - 2점, 7순위 - 1점

표 5-48 줄기세포치료제 정부 지원 중점 세부 기술

순위	기술 분야	세부기술
1	기능 조절 물질 발굴 및 최적화기술	· 특정 인자 · 정확성 · 세포 균일성 확보를 위한 초기 세포선별법 혹은 클로닝 기술 개발 · 고효율/고순도 줄기세포 분화기술 개발 · 치료 효능 강화 조절 기술 · 치료용 세포치료제의 개발 및 상업화로 상용될 배지 제조 기술
2	제조기술	· 임상시험용의약품 위탁생산 서비스 제공 · Chemical약품과 다른 특성을 고려한 GMP · 자가세포를 활용 기준 및 시험방법 설정에 기준 대한 조건완화 · 세포치료제의 효능 및 사업성을 증진시킬 수 있는 기업 고유의 제조기술 개발 · 줄기세포 대량배양/분화기술 · 줄기세포치료제 동결 기술 · Xeno-free 줄기세포 배양 기술 · 조직공학 접목 · 생산 자동화 장비 기술 개발 · 균일한 줄기세포 생산 및 제조기술 · 3D Bioreactor 시스템을 활용한 치료제 대량 제조기술
3	효능 및 안전성평가	· 전임상/임상에 진입하는 기술에 대한 지원 확대 · 조건부허가에 대한 구체적인 기준 마련 · 다양한 질환에 대한 표준화된 in vivo, in vitro 효력평가가 가능한 시스템 구축 · In-vitro and in-vivo 효능 모델 개발 · 효능 평가를 위한 다양한 in-vitro / in-vivo 질환모델 구축
4	타겟발굴	· 산업화수요가 가장 높은 적응증 · 미충족 의료수요가 높은 줄기세포치료제에 최적화된 적응증 발굴 및 적용 기술 개발 · Medical unmet needs 높은 타겟 질환 발굴
5	분리기술	· 정제기반시설 · 고순도 분리 기술 · 고순도 줄기세포 분리 기술 표준화 · 기원 조직별 고순도 줄기세포 선별 및 분리 기술
6	이식기술	· 임상 네트워크 · 세포를 원하는 특정 부위에 정확하게 전달할 수 있는 첨단 장비 개발 · 임상적용 가능한 줄기세포 투여/이식 기술 개발 · 생체 적합 전달체/부형제 개발 · 안전한 타겟 장기 주입 기술
7	모니터링기술	· 바이오이미징 기술 · mri 기술 · 투여된 세포치료제의 실제 분포 및 사멸 평가 방법 개발 · 생체내 이식 줄기세포 모니터링 기술 · Nano particle 등 융합기술을 접목한 줄기세포 추적 기술

- 유전자치료제에 대한 정부 지원이 필요한 중점 기술분야에 대해 조사한 결과 치료유전자발굴 및 최적화기술이 83점으로 가장 높게 나타남. 뒤를 이어 전달물질/백터 제작기술(67점), 타겟발굴(63점), 제조기술(55점), 효능 및 안전성평가(54점), 생체전달 모니터링기술(32점) 순으로 조사됨

표 5-49 유전자치료제 정부 지원 중점 기술분야 우선순위 현황

순위	기술 분야	점수
1	치료유전자발굴 및 최적화기술	83
2	전달물질/백터 제작기술	67
3	타겟발굴	63
4	제조기술	55
5	효능 및 안전성평가	54
6	생체전달 모니터링기술	32

※ 환산점수 산정 방식 : 1순위 - 6점, 2순위 - 5점, 3순위 - 4점, ..., 6순위 - 1점

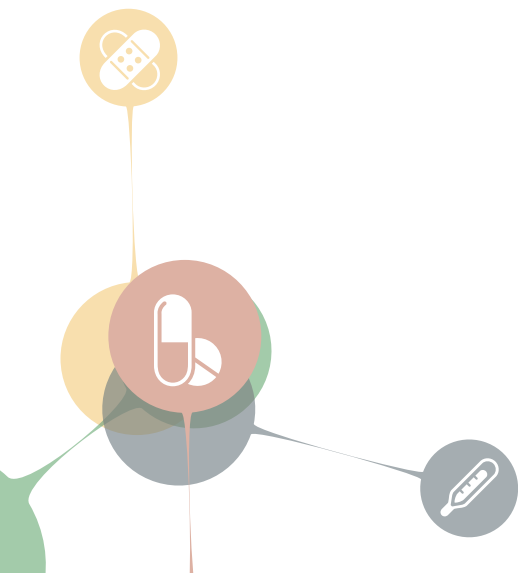
표 5-50 유전자치료제 정부 지원 중점 세부 기술

순위	기술 분야	세부기술
1	치료유전자발굴 및 최적화기술	· 고효율과 최적 표적인자 기술 · 치료용 타겟 항원에 대한 특이성 높은 항체 개발 기술
2	전달물질/백터 제작기술	· DDS · 인체친화적 전달 기술 · GMP 수준의 전달물질/백터 제작기술 확립 지원 · 유전자 전달 효율이 낮은 세포를 위한 맞춤형 전달 기술 · 백터 제작 기술 · screening system
3	타겟발굴	· 적응증 · 암 특이적 세포 표면 항원 스크리닝 기술 · 의료, 학술정보 분석 · 전문가 집단 pool
4	효능 및 안전성평가	· 동물 및 인체적합 중대 동물 · 효능 및 안전성평가 지원을 통한 치료기술 실용화 촉진 · 세포 치료제 효능 시험에 활용도가 높은 글로벌 기준의 다양한 동물 모델 사전 구축 및 효능 시험 서비스 · 침단의약품(AAV 유전자치료제) 분석 기술 · 유효성평가 가능한 동물 모델 · 효능평가 모델 셋업 · biomarker 발굴 및 검증
5	제조기술	· 유전자치료제 제작기술 확립 지원 · 균일한 품질의 세포치료제를 대량 생산 할 수 있는 맞춤형 배양 기술 · 경쟁력 강화를 위한 배양 자동화 기술 · 세포치료제 맞춤형 chemical defined medium 제작 기술 · 침단의약품(AAV 유전자치료제) 생산 · 제조공정개발 · QC assay 개발
6	생체전달 모니터링기술	· 이미징 추적 기술 · 생체 내 주입한 세포치료제를 장기간 추적 관찰할 수 있는 표지 물질 및 이를 감지할 수 있는 기술 · biopharmaceutics human PK study 모델 · microdosing phase I 기간 육성



제6장

종합 고찰



OECD에 의하면 4차 산업혁명과 더불어 인류 난제를 해결하고 경제 성장을 이끌 새로운 경제 패러다임으로 2030년 바이오경제 시대가 도래 할 것으로 예상하고 있음. 이와 같이 제약·바이오산업은 전 세계 인구고령화 및 의료개혁에 따라 타 산업에 비해 시장규모가 크고 성장세가 높으며 향후에도 지속적으로 중요한 산업으로 인식될 것으로 보고 있고, 이중 가장 주목을 받고 있는 분야가 첨단바이오의약품일 것임

바이오의약품 시장은 1,840억 달러('15) 규모, 세계 의약품 시장에서 17%('08) → 18%('11) → 24%('15)이고 향후에도 지속적으로 성장 전망할 것으로 예측되고 있으며, 특히 전 세계 100대 의약품중 바이오의약품은 2008년에 30%, 2015년에 47%, 2022년에는 약 50%를 점유할 것으로 예측되고 있음. 이와 같은 성장세에 따라 글로벌 20대 제약회사의 주요전략으로 항암제 등 특수질환(Speciality)을 중심으로 집중하고 이를 기반으로 신흥국과의 격차 대비와 기타 마케팅과 M&A를 활용하거나 주요 선진국들을 중심으로 바이오의약품을 미래 성장 동력으로 확보하고 기술 선점을 위한 정부 차원의 육성 전략 수립 추진을 통해 선제적인 대응을 하고 있음

전통적 세포치료제 시장은 세포 기반 면역치료제, 줄기세포치료제, 면역세포-유전자치료제, 줄기세포-유전자치료제 등의 새로운 시장 형성과 함께 향후 세포치료제는 유전자치료제, 저분자 화합물 및 바이오의약품과의 융합을 통해 병용치료제 및 병용치료기술 형태로 발전할 전망이 예상되고 있음

글로벌 줄기세포 시장은 2017년 628억 달러 규모를 형성, 향후 빠르게 성장하여 2025년 3,944억 달러 규모로 성장할 전망이 예상되고 전 세계적으로 활동하는 500개 기업 중 절반 이상이 미국에 있으며, 이로 인해 미국 시장의 잠재력이 가장 크지만 일본과 한국의 주도로 아시아 시장도 빠르게 성장하고 있으며 현재 판매 중인 세포치료제는 피부 및 근골격계 관련 제품의 비중이 높으나, 개발 단계의 파이프라인은 종양 및 심혈관계 관련 질환이 주를 형성하고 있음

글로벌 유전자치료제 시장 규모는 2017년에 7억 8,406만 달러로 평가되었으며, 2017년부터 2023년까지 33.3%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 44억 194만 달러까지 성장할 것으로 예측되고 있으며 경제적 및 정치적 환경의 변화는 암 관련 연구에 대한 투자에 영향을 미치고 있고 최근 많은 기업, 기관들이 유전자치료제에 대한 관심도가 높아지고 있어 유전자치료제에 대한 지원이 증가하고 있음

줄기세포치료제와 유전자치료제가 재생의료 중 거의 대부분의 시장 규모를 차지하고 있고 그에 가능성이 높아짐에 따라 투자가 글로벌 시장에서 투자가 확대되어 가고 있는데 주요한 특징으로 신규 상장 외에 산업간 혹은 산업-대학 간에 두드러진 전략적 제휴와 투자가 확대되어 가고 있음. 우리나라의 경우 바이오벤처 창업이 주춤한 상황이나, 바이오·의료 분야의 벤

채캐피털 투자는 빠르게 증가펀드 규모의 대형화와 초기투자 전문 신기술 펀드가 구축 등으로 새로운 활로를 개척하고 있음

첨단바이오횰약품 분야에 있어 특허 출원인수와 출원건수로 나타난 포트폴리오를 분석하면, 한국, 일본, 미국은 출원인수와 출원건수가 최근 감소하는 성숙기로 보이고 있는 반면 전 세계적으로 R&D가 급격히 증가하고 있으며, 경쟁의 격화되고 있는 상태인 것으로 판단되며, 추후 발전 가능성이 높은 것이고 Gene therapy, Vector gene therapy, Medium culture, culture medium, Stem cell 등이 연구가 집중되는 것으로 파악되었음

최근 논문 검색 시 첨단바이오횰약품 분야에서 줄기세포치료제는 9,867건(56%), 세포치료제는 7,627건(44%)의 점유율과 첨단바이오횰약품 기술 분야는 1997년 이후로 지속적 확대되어 가고 있음. 특히 첨단바이오횰약품 분야에서 미국이 9,709건(59%)로 가장 많은 논문을 발표하고 있는 것으로 나타났으며, 영국이 4,073건(25%)이 높은 비중을 차지하고 있어 선진국 중심의 선제적인 연구가 진행되고 있음이 파악되었음

해외 각국 정부는 줄기세포 등을 이용한 첨단제제의 의학적 가능성과 고부가가치의 시장성 등을 전망하며 기초연구부터 제품개발에 이르기까지 다각도로 지원정책을 제안하고 있으며 미국의 첨단제제에 대해 최근 21세기 치료법(21st Century Cures Act 법)을 통해 지원정책 확대, 유럽의 첨단제제의 인허가를 염두에 둔 개발 및 신속개발 지원제도(PRIME, PRiority MEdicine)가 2017년 3월 신설되어 운영 등과 유전자치료제 개발에는 다양한 벡터와 이에 적용되는 첨단기술이 접목되어 있어, 관련 국가의 가이드라인이 적용되는 범주 또한 해당국의 기술 개발 여건 등이 반영되어 각 국가별로 다소 상이한 차이를 보이고 있어 해외 진출 시 국가별로 전략적 접근이 필요할 것으로 판단됨

우리나라에서 첨단바이오횰약품 육성 및 지원을 위한 주요한 정책으로 두 종의 중요한 법안이 국회에 계류 중에 있는데 두 종의 첨단재생의료관련 법률안과 첨단바이오횰약품법안임. 첨단재생의료관련 법률안은 2016년 10월 국회 보건복지위원회 상정 이후 법제정 필요성에 대한 찬반의견이 양립되어 보다 신중한 검토가 필요함이 국회 전문위원회 지적하고 있으며 첨단바이오횰약품법안은 2017년 11월 국회 보건복지위원회 법안 소위 상정을 통해 논의되었는데 법제정의 필요성은 인정되나 현행 「약사법」상의 관계와 기존 첨단재생의료법안과의 관계 정비의 필요성이 제기된 상황임

현재 각 국가들은 줄기세포 등 재생의료산업을 육성하기 위한 투자포트폴리오의 전략적 배분 및 연구단계 · 분야별 특성을 고려한 R&D 지원을 강화하고 있음. 국내의 경우 2015년도 줄기세포 분야에 총 1,162억원 가량을 투자한 것으로 나타났고, 부처별로 과기부, 교육부, 농식품부는 원천기술 확보에 집중, 산업부, 복지부, 식약처는 체계적 임상연구에 집중적으로 지원한 것으로 나타남. 유전자치료제의 경우 최근 유전자 가위기술의 등장으로 인해 유전자치료제의

연구개발이 다시 살아나면서 정부 보다는 민간 차원에서 연구개발에 대한 투자가 활발해지는 분야로 나타남

우리나라의 줄기세포 및 유전자치료제의 인허가 규정중 임상시험계획승인(IND)는 임상시험 계획승인에 관한 규정 제4조[별표 1]과 허가 신청규정은 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정 세포치료제[별표 2], 유전자치료제[별표 3]을 참고하여 자료를 준비해야 함. 미국에서는 FDA의 조직인 OTAT (Office of Tissues and Advanced Therapies)가 유전자 및 세포 치료제의 허가를 규제하고 있고 18개의 제품이 승인(2018년 5월 17일 기준) 되었고 미국에서 허가받은 유전자치료제 중 IMLYGIC(Amgen)을 사례와 유럽에서 허가받은 세포치료제 중 Provenge(Dendreon)을 사례를 통해 제출자료 및 추가적인 리뷰의견을 바탕으로 우리 기업들이 미국과 유럽에 진출 시에 철저한 준비가 필요해 보임

우리나라의 첨단바이오의약품 규제 개선과 관련하여 1) 첨단바이오의약품 육성을 위한 법적 체계 마련, 2) 유전자검사제도 개선방안, 3) 원천 기술 기반 유망 첨단바이오의약품 발굴을 위한 전략적 R&D투자, 4) 첨단바이오의약품 전문인력 양성, 5) 바이오의약품 비임상/임상 인프라(CRO) 육성, 6) 신의료기술평가 제도 개선을 제안하였고, 줄기세포 분야는 1) 줄기세포 치료제의 병원 내 신속 적용 제도 도입, 2) 줄기세포치료제의 의료보험적용 확대, 3) 줄기세포치료제 개발 시 비동결난자 연구사용 허용 3가지와 유전자치료제는 1) 유전자치료 연구범위 제한 완화, 2) 지능형 바이러스를 활용한 난치/불치성 질환 유전자치료제 원천기술 개발 지원, 3) 유전자치료제 생산 시설 양성 등 3가지 총 12가지를 제안하였음. 이는 규제 개선을 통해 보다 합리적이고 능동적으로 글로벌 수준에 첨단바이오의약품 개발을 위한 중요한 제도 개선 사항으로 판단됨

우리나라 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) 분야 연구개발 및 사업화 촉진 정책 수립을 위한 실태조사 분석 결과(25개 기업), 연구개발 중인 파이프라인은 총 113개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 4.5개의 파이프라인을 보유중인 것으로 분석되었고 주요한 제도개선 및 정책지원 등에 있어 기존 연구성과 활용 및 전략적 R&D지원 분야, 인허가 제도 개선 분야, 세제 및 자본시장 제도 개선 분야, 건강보험 급여 적용 개선 분야, 생명윤리 및 임상 관련 규제 개선 분야 등의 순서로 지원의 시급성과 중요성을 제시하고 있음

이상과 같이 줄기세포와 유전자치료제 등 첨단바이오의약품은 선진국을 중심으로 인허가, 정책지원 등을 통해 기업들이 첨단바이오의약품에 집중적인 투자와 연구개발 역량을 강화하고 있어 우리나라에서도 첨단바이오의약품 분야에 연구개발 투자와 정책 및 제도개선과 함께 이를 총체적으로 지원될 수 있는 법안제정의 중요할 것으로 판단되었음

1. 바이오의약품 현황

- “바이오의약품”은 식약처의 정의에 따르면 “생물의약품”으로 규정하고 있고, 생물학적제제 등의 품목허가심사 규정(식약처 제2015-104호)에 따르면 “생물의약품”이란 사람이나 다른 생물체에서 유래된 것을 원료 또는 재료로 하여 제조한 의약품으로서 보건위생상 특별한 주의가 필요한 의약품을 의미함
 - 생물학적제제, 유전자재조합의약품, 세포배양의약품, 세포치료제, 유전자치료제, 기타 식품의약품안전처장이 인정하는 제제를 포함됨
- 바이오의약품은 수익성과 고용창출효과가 높아 저성장과 높은 실업상황에서 우리나라 산업의 중추 역할을 해 왔던 IT이후 차세대 성장동력 산업으로 주목을 받고 있음.
- (글로벌 시장) 바이오의약품 시장은 1,840억 달러('15) 규모, 세계 의약품 시장에서 17%('08) → 18%('11) → 24%('15)이고 향후에도 지속적으로 성장 전망
 - 2022년 바이오의약품에 대한 전 세계 시장은 약 3,370억불로 예측되고 전체 의약품 시장의 약 29%를 점유할 것으로 예측
 - 전 세계 100대 의약품중 바이오의약품은 2008년에 30%, 2015년에 47%, 2022년에는 약 50%를 점유할 것으로 예측
 - 바이오의약품과 희귀의약품 등 Specialty 의약품 시장이 지속적으로 확대될 것으로 전망
 - 고혈압 등 다빈도 질환(Primary Care)이 아닌, 암 등 특수질환(Secondary Care)
 - Specialty 의약품 비중(MIDAS) : 563억불(14%, '02) → 1,969억불(23%, '12)
- (글로벌 기업) 글로벌 제약사의 블록버스터 특허만료 직면으로 Open Innovation 기반 새로운 신약개발 패러다임을 통해 선점 경쟁 심화
 - 글로벌 20대 제약회사의 주요전략으로 항암제 등 특수질환(Speciality)을 중심으로 집중하고 이를 기반으로 신흥국과의 격차 대비와 기타 마케팅과 M&A를 활용함.
- (기술) 4차 산업혁명 기반기술의 바이오헬스 분야로 확산 및 융합
 - '16년 다보스 포럼을 계기로 4차 산업혁명에 따른 혁신모델의 바이오헬스 전분야로 확산
 - 4차 산업혁명이 도래함에 따라 바이오 헬스케어 산업에 있어 기술융합, 지능형 시스템, 소비자 맞춤형 제품과 서비스 중요한 키워드(Key Word)로 부각

- (글로벌 정책) 주요 선진국들을 중심으로 바이오의약품을 미래 성장 동력으로 확보하고 기술 선점을 위한 정부 차원의 육성 전략 수립 추진
 - (미국) ‘국가 바이오경제 청사진’(12년)을 통해 바이오 연구개발 투자와 중개연구 등에 대한 지원 등 전략 목표 제시
 - (EU) 바이오산업을 중점 투자 분야로 채택하고 향후 건강 및 의료분야 투자 확대(약 14.3조원)를 위한 ‘Europe 2020 전략’ 제시
 - (일본) 생명공학 분야의 전략적 육성 추진을 위해 ‘5개년 과학기술기본계획(11,8)’중 ‘라이프 이노베이션 전략발표’ 및 AMED의 R&D통합기구 출범 등 글로벌 신약개발 지원 체계 수립
 - (중국) ‘12차 5개년 계획(11~15)’의 일환으로 국가 전략적 7대 신흥산업 중 바이오산업을 채택하여 4백억 위안(약 7조원) 투자 추진
- (국내 시장) 2016년 바이오의약품 시장 규모는 약 1조 8,308억원으로 시장규모가 2015년 대비 11.6% 성장률을 보였으며, 무역수지에 있어서는 최근 5년간 가장 많은 흑자를 기록하였음
 - 바이오의약품 제제별 생산실적증 1위는 램시마원액 등 유전자재조합의약품, 컨박셈 주가 2위로 주로 수출용으로 국내 생산
- (국내 기업) 대기업 진출과 투자확대를 통해 규모의 경제 및 다국적 제약기업과의 전략적 제휴 등 글로벌 시장 진출 가시화
 - 유전자재조합 단백질, 세포치료제 등 관련기업들이 특화하여 분야별로 집중
 - 삼성바이오로직스 제2공장 포함 시 세계 2위의 생산 능력을 가질 것으로 예상되 글로벌 바이오의약품 생산기지로 도약 예상
- (정책) 정부는 불평등이 심화되고 있는 현실을 바로잡고 복지 국가 체제 강화를 위해 ‘모두가 누리는 포용적 복지국가’를 국정목표 전략으로 채택 (문재인정부 국정운영 5개년 계획, 2017.07)
 - 보편적 의료보장 및 의료의 공공성 강화를 통해 소득·지역에 관계없이 양질의 의료서비스를 누구나 이용할 수 있도록 하여 건강한 삶 유지를 지원
 - 제3차 생명공학육성기본계획(바이오경제 혁신전략 2025) (2017-2026)
 - 제2차 제약산업 육성·지원 5개년 종합계획(2018-2022)

2. 첨단바이오헬의약품의 정의

(1) 세포치료제

- (정의) 세포치료제는 “살아있는 자가, 동종, 이종 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품”
- (범위) 세포치료제는 줄기세포치료제, 조직공학제제, 면역세포치료제, 체세포 치료로 구분

(2) 줄기세포치료제

- 줄기세포는 조직분화 과정에서 볼 수 있는 ‘미분화 세포’로, 인체를 구성하는 다양한 조직으로 분화 가능한 세포
 - 줄기세포는 분화능력(Differentiation), 자가복제능력(Self-renewal), 호밍효과(Homing effect) 등의 고유한 특성*을 지님
 - 분화 가능성을 기준으로 210여개 모든 인체세포로 분화 가능한 ‘만능성 줄기세포’와 3 ~ 5개 특정 세포로만 분화 가능한 ‘다능성 줄기세포’로 구분 가능
 - 줄기세포를 분리하는 세포원 및 생성 방식에 따라 ‘성체줄기세포’, ‘배아줄기세포*’, ‘유도만능줄기세포(iPSC)로 구분 가능

(3) 유전자치료제

- (정의) 질병치료 등을 목적으로 인체에 투입하는 유전물질 또는 유전물질을 포함하고 있는 의약품
- (범위) 유전자치료제는 치료방법과 전달방법에 따라 범위가 나누어 짐
 - (치료방법) 유전 물질을 직접 환자에게 투여하는 In vivo 유전자치료와 체외에서 먼저 목적 세포에 치료유전자를 도입한 후 유전 물질 이입된 세포를 환자에게 주입하는 Ex vivo 유전자치료가 있음
 - (전달방법) 바이러스를 사용하는 유전자치료, DNA와 RNA 등 핵산을 사용하는 비바이러스성 유전자치료, 유전자가 도입된 세포를 사용하는 세포성 유전자치료가 있음

3. 글로벌 첨단바이오헬의약품 시장 현황

(1) 세포치료제

- 글로벌 세포치료제 시장은 2015년 40억 달러에서 연평균 20.1%로 성장하여 2020년 100억 달러 규모로 성장할 전망이다

- 전 세계적으로 활동하는 500개 기업 중 절반 이상이 미국에 있으며, 이로 인해 미국 시장의 잠재력이 가장 크지만 일본과 한국의 주도로 아시아 시장도 빠르게 성장

(2) 줄기세포치료제

- 글로벌 줄기세포 시장은 2017년 628억 달러 규모를 형성, 향후 빠르게 성장하여 2025년 3,944억달러 규모로 성장할 전망이다

- 줄기세포치료제 및 치료기술 관련 임상시험의 증가와 줄기세포 기반의 신약개발 활성화 추세 등에 따라 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 성장률 25.8%('17~'25)로 꾸준히 확대될 전망

(3) 유전자치료제

- 글로벌 유전자치료제 시장 규모는 2017년에 7억 8,406만 달러로 평가되었으며, 2017년부터 2023년까지 33.3%의 연평균 성장률을 보여 2023년에는 44억 194만 달러까지 성장할 것으로 예측됨

- 2016년 북아메리카 지역에서 유전자치료제 시장 규모는 3억 275만 달러로 세계 시장의 51.8%에 달하는 점유율을 보였으며 32.8%의 연평균 성장률로 2023년에는 22억 2,386만 달러에 달할 것으로 추정됨

4. 글로벌 첨단바이오의약품 투자 현황

(1) 글로벌 첨단바이오의약품 투자동향

- 글로벌 세포치료제 및 유전자치료제의 시장은 지속적으로 성장함에 따라 해당 분야에 대한 투자도 크게 성장하고 있음

- 오랜 기간 이 분야에 대한 다양한 투자들이 진행되어 왔으나 최근 해당 분야에서의 가능성 있는 결과들이 나오고 임상에서 성공하는 케이스가 나오는 등 발전이 있어서 투자가 지속적으로 이루어지고 있음

- 재생의학 분야에서 신규 상장 외에 산업간 혹은 산업-대학간에 두드러진 전략적 제휴와 투자 등이 나오고 있음

- 많은 혁신적인 기술을 보유한 대학과 기업 간 혹은 초기 단계 기업과 글로벌 기업 간의 제휴와 인수 및 투자들이 이루어지고 있음

- 세계적으로 줄기세포·재생의료 분야의 정부 R&D 투자를 확대하고 있으며, 특히 각 국가들은 줄기세포/재생의료산업을 육성하기 위해 연구단계별 특성을 고려한 투자를 강화하고 있음

- 2015년 기준 미국이 총 3조 659억 원 투자되고 있는 반면, 국내는 약 1,538억 원 투자 규모로 나타나며 미국이 국내 투자 대비 약 20배, 일본의 경우 국내투자 대비 약 3배 이상 투자
- 최근 주요국에서는 기초 연구지원 방안 수립 등 초기 투자에서 벗어나 산업 활성화를 위한적극적인 R&D 투자 및 정책변화를 확산시키고 있으며, 정부 투자의 범위가 기초연구 지원에서 중개, 임상 연구 단계로 이동하고 있음

(2) 국내 바이오분야 투자동향

- (R&D 투자) 정부의 적극적 투자를 바탕으로, 정부·민간투자의 양적 성과를 확보하였으나 글로벌 경쟁력 확보 및 전략적·효율적 투자 추진 필요
- (정부투자 규모) 바이오 R&D 혁신의 발판을 제공한 정부투자가 최근 둔화하는 상황이며, 여전히 선진국 대비 투자비중도 낮음
- (민간투자) 바이오벤처 창업이 주춤한 상황이나, 바이오·의료 분야의 벤처캐피털 투자는 빠르게 증가
- 한국 최초의 바이오벤처라 할 수 있는 바이오니아(社) 설립 이후 '00년 한 해에 280개 이상으로 1차 벤처 붐 이후, '16년 신생 중소·벤처기업의 크게 증가
- 최근에는 가시적인 성과를 보이는 바이오기업들이 많이 생겨나고 한미약품 등 신약개발하는 제약사들이 대형기술을 이전하는 확실한 성과를 보이고, 임상 1, 2상 및 3상의 후기 임상 단계의 결과에서 우수한 실적을 보이는 바이오벤처들이 나타나자 이 분야에 투자가 집중됨
- 바이오분야에 대한 투자는 2000년에서 2010년까지는 전체 벤처 투자금액의 2~8% 수준의 투자실적을 보였는데, 2013년부터 10%를 넘기더니 2014,15년에는 16~17% 수준, 2016년에는 5월까지의 결과로 전체 벤처투자펀드의 18%로 1위를 차지함

5. 글로벌 첨단바이오의약품 특허 및 논문 동향

- “첨단바이오의약품” 분야에서 미국특허 11,601건(32%), 국제특허 10,885건(30%), 일본특허 6,681건(19%), 한국특허 3,406건(10%), 유럽특허 3,192건(9%)의 점유율을 보임

- “첨단바이오의약품” 기술 분야는 1987년 이후로 출원이 나타나며, 1995년 이후로 출원량이 급증하기 시작함. 국제특허는 1990년대 중순부터 출원이 지속적으로 이루어지는 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야의 출원국가별 연도별 출원동향을 살펴보면, 한, 미, 일, 유럽 모두 2000년 이후 증가하여 대부분의 국가에서 2015년 최다 출원건수를 기록한 것으로 나타남
 - 첨단바이오의약품 분야는 전 세계적으로 R&D가 급격히 증가하고 있으며, 경쟁의 격화되고 있는 상태인 것으로 판단되며, 추후 발전 가능성이 높은 것으로 판단됨
 - 첨단바이오의약품의 키워드를 살펴보면, gene therapy, vector gene therapy, Medium culture, culture medium, stemcell 등이 연구가 집중되고 있는 분야로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야에서 줄기세포치료제는 9,867건(56%), 세포치료제는 7,627건(44%)의 점유율을 보임
 - 첨단바이오의약품 기술 분야는 1997년 이후로 지속적으로 발표하고 있는 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야에서 국가별 논문 동향을 살펴보면 미국이 9,709건(59%)로 가장 많은 논문을 발표하고 있는 것으로 나타났으며, 영국이 4,073건(25%)으로 그 뒤를 잇는 것으로 나타남

6. 줄기세포 및 유전자치료제 인허가 지원 정책

(1) 줄기세포치료제

- 해외 각국 정부는 줄기세포 등을 이용한 첨단제제의 의학적 가능성과 고부가가치의 시장성 등을 전망하며 기초연구부터 제품개발에 이르기까지 다각도로 지원정책을 제안
 - (미국) 의약품 전반에 대하여 의학적 필요도에 따라 개발과 심사 및 허가 지원을 실시하고 있으며, 첨단제제에 대해 최근 21세기 치료법(21st Century Cures Act 법)을 통해 지원정책 확대하고 있음
 - 2016년 12월 13일, 미국은 (1)고위험, 고부가가치 연구, 신규연구자를 위한 연구 등 각종 생물의학 연구 지원, (2)생물의학연구를 위한 체계적 전략을 수립하고 시행, (3)해당 법안에 명시된 사항을 수행하기 위한 NIH and Cures Innovation Fund 설립을 골자로 하는 21세기 Cures법(21st Century Cures Act 법)을 발효

- 21세기 Cures법은 미국 국립보건원(NIH), 식품의약품청(FDA), 질병관리본부(CDC)를 주축으로 하여 연구에서 제품의 개발 및 승인에 이르기까지 국민 보건 향상을 위한 대대적인 개혁을 목표로 하고 있음

- (유럽) 첨단제제의 인허가를 염두에 둔 개발 및 신속개발 지원제도(PRIME, PRiority MEdicine)가 2017년 3월 신설되어 운영되고 있고, 이를 바탕으로 PRIME 제도를 통한 EMA의 주요 지원 사항은 아래와 같음
 - 우선순위 의약품이 첨단제제인 경우, 시판허가 신청 전에 지속적인 지원과 사전 이해를 돕기 위해 EMA의 CHMP 또는 첨단치료제위원회(CAT) 소속의 담당자(rapporteur)가 지정
 - 지정된 담당자는 EMA 과학위원회 및 실무진 소속 전문가로 이루어진 다학제 그룹과 함께 개시회의(kick-off meeting)를 조직하고, 전반적인 개발 계획 및 규제관련 전략에 관한 안내 제공
 - 보건기술평가와 같은 추가적인 관련 부분들을 함께 연계하여 핵심적인 개발단계에서 과학적 조언 제공
 - 시판승인을 위한 신청 시점에서 신속 심사의 가능성을 보장
- (일본) 기초단계의 연구를 제품개발에 활용하기 쉽도록 하는 일련의 조치들을 마련
 - 일본의 허가심사당국인 PMDA는 2013년 9월 재생의료 관련 주요기관이 밀집해 있는 간사이(오사카) 지방에 관서지부를 신설하고, 다양한 단계에서 재생의료 제품의 제품화를 지원할 수 있도록 ‘약사 전략 상담’ 업무 및 GMP 실사 업무를 본격적으로 시작
 - PMDA 관서지부를 신설하면서 새롭게 도입한 ‘약사 전략 상담’ 제도를 통해 기존의 ‘임상 치험 상담’에 추가하여 혁신적인 의약품 및 의료기기의 실용화를 위하여 개발 초기부터 품질, 비임상시험, 임상치험에 관련된 지도와 조언을 본부와 연계하여 제공

(2) 유전자치료제

- 유전자치료제 개발에는 다양한 벡터와 이에 적용되는 첨단기술이 접목되어 있어, 관련 국가의 가이드라인이 적용되는 범주 또한 해당국의 기술 개발 여건 등이 반영되어 각 국가별로 다름
- (미국) FDA에서는 유전자치료제에 관련하여 유전자치료제의 생산, 품질 관리, 유전자 치료용 재조합 벡터의 투여, 비임상 시험에 관한 지침 마련(1998년)하고 이를 개정하여 적용
 - 임상 연구시의 지연성 이상반응 (2006년), Retrovirus 벡터를 사용한 유전자 치료에서 복제 가능 Retrovirus 시험에 관한 가이드라인 (2006년), 임상승인 신청용 유전자치료제의 품질평가에 관한 가이드라인 (2008년), 효력 시험 (2011년), 비임상 시험 (2013년)에 대한 보다 세부적인 가이드라인이 만들었음

- 유전자치료제에 사용되는 개별적인 바이러스 벡터에 관련된 것으로는 2006년의 Retrovirus 벡터에 관한 것이 유일하며, 현재 임상 연구가 활발한 Adenovirus나 AAV 벡터에 대한 별도의 가이드라인은 아직 없음. 또한 유전자를 이입한 세포를 사용하는 유전자치료제에 선택적인 가이드라인이 없는 실정임
- (유럽) 연합 집행위원회(European Commission)는 ATMP(Advanced Therapy Medicinal Product)라는 용어를 사용하고 있으며, ATMP에 대해 Regulation (EC) No 1394/2007를 2007년 11월 13일 제정하였으며, 유럽연합 회원국 모두에 공통적으로 2008년 12월 30일부터 효력이 발생되어 이를 통상적으로 'ATMP법'을 운영
 - EMA(European Medicines Agency)는 과학적인 평가를 수행하기 위하여 7개 위원회를 두고 있는데, ATMP와 관련하여 「첨단치료 위원회」(Committee for Advanced Therapies, CAT)와 「인체용 의료제품 위원회」(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP)가 핵심이며, 이중에 CAT은 전문분야와 관련 과학적 쟁점들에 대해 과학적 평가 또는 과학적 가이드선 문서의 초안 작성과 개정과 관련한 업무를 위임받아 수행
- (일본) 유전자치료제 가이드라인은 품질 및 안전성 확보에 관한 지침이 1995년에 발간되어 국제적으로도 미국보다도 빠른 가이드라인이 만들어진 반면, 유전자치료 임상연구에 관한 지침이 2002년에 발간된 이래로 유전자치료제 개발시 비임상, 효능, 각각의 바이러스 벡터 등에 대해서는 아직 별도의 지침들이 만들어지지 않음
 - 일본의 유전자치료제 가이드라인은 품질 및 안전성 확보에 관한 지침이 1995년에 발간되어 국제적으로도 미국보다도 빠른 가이드라인이 만들어진 반면, 유전자치료 임상연구에 관한 지침이 2002년에 발간된 이래로 유전자치료제 개발시의 비임상, 효능, 각각의 바이러스 벡터 등에 대해서는 아직 별도의 지침들이 만들어지지 않은 실정임
 - 유전자치료제의 품질 및 안전성 확보에 관한 지침에서는 바이러스성 벡터외에도 비바이러스성 벡터를 이용하는 경우에 대한 지침이 선제적으로 제시되어 있음
- (한국) 첨단재생의료관련 법률안, 첨단바이오의약품 법안 발의
 - 첨단재생의료관련 법안으로 김승희의원(10인, 2016.5), 전해숙의원(12인, 2016년 11월발의) 두 국회의원이 유사한 법안으로 제정입법으로 수석전문위원 검토결과재생의료에 관해서는 치료 또는 임상적용을 위한 기존의 절차와 다른 특별한 관리체계가 필요하다는 견해가 있는 반면, 현행 규제의 틀을 유지하면서 신중하게 접근할 필요
 - 첨단바이오의약품 법안으로 정춘숙의원(11인, 2017.8)국회 발의되어 국회 수석전문위원 검토결과 현행 「약사법」상 바이오의약품은 의약품과 동일한 관리체계를 적용받고 있기 때문에 바이오의약품의 특수성이 충분히 반영되지 않아 연구·개발에 어려움이 따르고, 첨단·융합기술이 적용된 바이오의약품 등 품목의 경계가 불분명한 제품에 대한 규제 여부가 모호하다는 지적이 제기

7. 줄기세포 및 유전자치료제 R&D 지원 정책

(1) 줄기세포치료제

- 해외 각국 정부는 줄기세포 등을 이용한 첨단제제의 의학적 가능성과 고부가가치의 시장성 등을 전망하며 기초연구부터 제품개발에 이르기까지 다각도로 지원정책을 제안
 - (미국) 미국의 줄기세포 연구지원은 크게 벤처캐피탈, 미국 국립보건원(NIH) 및 캘리포니아 재생의학연구지원재단(CIRM)의 연방지원 투자로 구분
 - NIH 산하 27개 단체 중 NIBIB, NIDCR, NIAMS, NIDDK, NHLBI 등을 중심으로 줄기세포연구 지원금을 보유하며 관련 연구 추진 중
 - CIRM는 줄기세포 치료의 가능성과 인간배아줄기세포에 대한 연방자금 지원을 기반으로 한 법안*에 근거하여 캘리포니아주에서 2004년 설립하여 연구지원
 - (영국) Innovate UK, UK Regenerative Medicine Platform(UKRMP), Cell & Gene Therapy Catapult 등 다양한 기관에서 줄기세포치료제 개발에 대한 지원을 하고 있으며, 특히 Cell & Gene Therapy Catapult 에서는 GMP Manufacturing 센터를 개장하여 영국을 기반으로 하는 세계 최초의 첨단치료진료센터(Advanced Therapies Treatment Center, ATTC)로 구성된 네트워크를 제공할 예정임
 - (중국) ‘15년 11월 국가과학정보시스템 플랫폼(National Science and Technology Information System, Public Service Platform)을 구축
 - ‘16년에는 15개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.5 billion 圓(약 826억원)을 투입함
 - ‘17년에는 17개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.6 billion 圓(약 991억원)을 투입할 예정
 - (한국) 정부에서 2015년도 줄기세포 분야에 총 1,162억원을 투자함
 - 국내 줄기세포분야 R&D 투자는 2000년부터 시작되었으며, 2012년 전년대비 37%(364억 ↑) 증가하며 투자확대 이후 ‘12년~‘15년까지 일정한 투자 금액 유지
 - 부처별로 과학기술정보통신부, 교육부, 농림축산식품부는 원천기술 확보에 집중, 산업통상자원부, 보건복지부, 식품의약품안전처는 체계적 임상연구에 집중적으로 지원

(2) 유전자치료제

- 유전자치료제 연구개발에 대한 주요국 정책은 찾아내기 힘든 상황이었으나, 최근 유전자 가위기술의 등장으로 인해 유전자치료제의 연구개발이 다시 살아나면서 정부 보다는 민간 차원에서 연구개발에 대한 투자가 활발해지는 분야

- (미국) NIH는 2013년 유전자치료 분야에 2.4억달러(약 2,800억원)의 연구비를 투자하고 있으며, 이는 전체 NIH의 연구사업 규모의 ~1.5%를 차지
 - 미국 NIH 산하 국립안연구소(National Eye Institute) 지원을 받은 연구를 통해 유전자치료로 후기 색소성 망막염을 가진 개의 시력을 보존
 - 펜실베이니아 대학과 플로리다 대학의 공동연구팀은 눈에서 상당한 정도로 세포가 소실된 후에도 유전자치료가 적용 가능하다는 점을 최초로 규명
- (일본) 독자적인 유전자가위 기술 개발에 향후 5년간 총 85억 엔(약 900억원) 투입 계획(~2020년)
 - 유전자치료제 개발을 위한 유전자 가위기술 보다는 그간 축적된 연구성과를 기반으로 식물이나 미생물의 유전자 조작으로 의약품이나 향료의 원료 등을 효율적으로 대량 생산할 수 있는 게놈 편집기술을 개발할 예정
- (한국) 정부의 유전자치료제 연구개발 투자는 2014년 기준 59억 원으로 조사(2014년, NTIS 과제 대상 조사)
 - 국내에서는 지난 2015년 3월 '바이오헬스 미래 新산업 육성 전략 - 바이오 미래전략 I(바이오의약품)'을 통해 유전자치료제 중점 육성에 대해서 발표
 - 유전체 분석-진단 위주의 기존 사업과 치료제품 개발 목적의 부처협력 사업을 연계하여 글로벌 출시 가능한 유전자치료제 기술개발 지원

8. 줄기세포 및 유전자치료제 임상 시험 현황

(1) 줄기세포치료제

- 1999년 최초로 기업체 주도의 임상연구가 시작된 이래, 2016년에 새롭게 등록된 47건의 임상을 포함하여, 2016년 12월 31일까지 총 314건의 상업적 임상연구가 진행되었거나, 진행 중이거나, 수행이 예정되어 있는 것으로 확인되었음
- 연도별로 상업적 임상연구 건수를 분석한 결과, 2006년부터 연간 신규 임상이 10여건 내외로 본격적인 상업적 임상연구가 시작되었으며 2011년까지 꾸준한 증가를 보였음
- 2011년에 정점을 이룬 이후 2012년~2013년에 걸쳐서 다소 둔화된 양상을 보였으나, 2014년 한 해 동안 45건, 2015년 한 해 동안 51건이 새롭게 등록된 데에 이어, 2016년에도 47건의 임상이 새롭게 등록된 것으로 나타남

(2) 유전자치료제

- 유전자치료제의 임상연구와 관련하여 발표된 학술문헌은 1995년이후 1999년에 16건으로 확대되면서 매년 16~18편이 발표되어 총 293편이 발표되었고, 2003년에 가장 많은 25편이 발표됨

- 대질환별로 분석하면 암(172편)이 가장 많은 비중을 차지하였으며, 심혈관계질환(54편)과 유전질환(41편)이 그 뒤를 이었고, 뇌신경계질환(13편), 감염질환(8편), 관절계질환(5편)의 순서로 나타남
- 국가별로 분석한 결과, 미국이 159편으로 가장 많이 발표되었으며, 그 다음으로는 독일 19편, 영국 18편 순으로 나타남. 한국에서는 5편의 문헌이 발표됨
- 유전자치료제 임상연구 문헌 293편을 임상단계별로 분류해보면 1상이 가장 많은 150편과 1/2상 56편, 2상 44편이 발간되고 3상이 7편으로 유전자치료제는 전반적으로 개발 초기 단계가 많은 것으로 파악

9. 국내 임상 · 인허가 성공 사례

(1) (주)안트로젠 큐피스템®주 (Cupistem® injection)

- 연구 개발 기간은 총 6년(2006~2012)이 소요되었으며 총 5,890,000천원(정부 : 1,940,000천원 / 민간 : 3,950,000천원)의 투자로 2012년 1월 18일 국내 허가가 승인되었음
- 핵심 성공 요소로는 아래와 같음
 - 큐피스템은 세계 최초의 지방유래 줄기세포치료제로서 타제품의 개발 사례가 존재하지 않았으며, 식약처의 규정도 명문화되지 않은 상황이었음
 - 이러한 문제를 해결하기 위해 개발 초기부터 정부 관계부처 (보건복지부 및 식품의약품안전처)와 적극적인 논의를 통해 임상시험부터 품목허가까지 많은 지원을 받을 수 있었음
 - 이로 인해 정부 지원이 제품의 상업화를 앞당기는데 핵심적 요인이 되었음

(2) 코아스템(주) 뉴로나타-알® (NEURONATA-R®)

- 연구 개발 기간은 총 11년(2003~2014)이 소요되었으며 총 7,824,925천원(정부 : 2,463,533천원 / 민간 : 5,361,393천원)의 투자로 2014년 7월 30일 국내 허가가 승인되었음
- 핵심 성공 요소로는 아래와 같음
 - 뉴로나타-알®에 대한 특허를 보유하고 있고, 허가-특허 연계제도를 위한 특허목록 등재 심사를 통과하여, 허가 후 일정 기간 동안(2026년까지) 신약 및 희귀의약품으로서의 독점적 지위를 가질 수 있었음
 - 2014년 품목허가를 받은 후, 2015년 1월말부터 국내 최대의 루게릭병 환자가 등록되어 있는 병원에서 실제 환자에게 처방이 되고 있음

(3) 코오롱생명과학(주) 인보사®-케이주 (INVOSSA®-K inj.)

- 연구 개발 기간은 총 18년(1999~2017)이 소요되었으며 총 15,440,000천원(정부 : 8,210,000천원 / 민간 : 7,230,000천원)의 투자로 2017년 7월 12일 국내 허가가 승인되었음

- 핵심 성공 요소로는 아래와 같음

- 기술적 파급 효과
 - 기존의 관절염 치료제 시장은 경증 환자를 위한 약물치료와 중증환자를 위한 수술치
료로 양분되는데, “인보사”는 수술적 치료를 동반하지 않고 간편하게 주사제로 치료
가능한 혁신적 신약으로 평가됨
 - 현재 개발되었거나 개발 중인 세포치료제 다수가 자가세포를 이용한 치료로 제조 및
공정기술과 보관, 운반 등의 측면에서 어려움 존재하지만, “인보사”는 대량 배양 및
생산, 보관이 가능한 바 상업적 측면에서 성공적 개발 가능성이 높을 것으로 기대함
 - “인보사” 개발을 통해 구축한 세포 유전자 치료 기술 Platform을 활용하여, 향후 다
양한 난치성 치료제 개발 성공 가능성을 높이고, 지속적인 신약 출시가 가능할 것으
로 기대함
- 국민 보건 향상에의 기여도
 - 대표적인 난치성 질환 중 하나인 퇴행성 관절염 환자의 삶의 질을 개선하여 국민 보
건 향상에 기여함

10. 줄기세포 및 유전자치료제 임상·인허가 성공 및 지해 요인

(1) 첨단바이오의약품 분야

- 첨단바이오의약품 육성을 위한 법적 체계 마련

- (현황) 첨단바이오의약품산업은 미래 핵심 메가트렌드의 신수요를 선점하기 위한 경쟁
이 치열해지고 있는 추세로 국가차원의 전략적 투자 필요
- (문제점) 첨단바이오의약품산업의 육성을 종합적·체계적으로 뒷받침하기 위한 투자
혁신 환경 조성 미흡
- (개선방안) 첨단바이오산업의 육성·지원을 종합적·체계적으로 뒷받침하기 위한
“첨단바이오의약품” 제정법

- 유전자검사제도 개선방안

- (현황) ‘유전체(Genome) 기술’은 맞춤의료(Personalized medicine)의 기반이 되는 미
래 핵심 분야로, 전 세계가 적극적인 육성정책 추진 중

- (문제점) 유전체 분석을 기반으로 한 새로운 서비스가 개발·보급되면서 기술도입의 속도와 범위, 규제 방향 등에 대한 사회적 논쟁 발생
- (개선방안) 유전자 검사항목 규제방식 개선 및 유전자 검사기관 관리체계를 정비하고 새로운 유전자검사 방법 신속 도입을 위한 지원 강화를 위한 유전자검사 관련 인프라 강화

■ 원천 기술 기반 유망 첨단바이오의약품 발굴을 위한 전략적 R&D투자

- (현황 및 문제점) 자금력이 부족한 바이오벤처의 한계에 따라 글로벌 경쟁력을 확보하기 위해서는 균형있는 정부 R&D 지원 필요
- (개선방향) 첨단바이오의약품 제제별 육성지원 및 균형지원 체계마련

■ 첨단바이오의약품 전문인력 양성

- (현황) 바이오헬스 등 보건산업 세계시장 규모는 8천조원(12년 기준)으로 정보통신기술(3.8천조원) 및 자동차(1.8천조원)를 합한 것 보다 큰 규모
 - 첨단바이오의약품 분야는 국가 新성장동력 산업으로서, 의료서비스·제약·의료기기산업에 IT-BT-NT가 융복합되어 건강관리, U-health, 유전체 분석 등 새로운 영역으로 범주 확대추세로 신규 융복합 영역*을 선도할 융합형 인재의 양성 및 해당 분야를 교육할 수 있는 전문교육기관 필요
- (문제점) 신규 융복합분야 시장 선점을 위한 전문인력 양성이 시급하나, 기존의 커리큘럼 및 교육기관으로는 역할에 한계
- (개선방안) 첨단바이오의약품 분야의 융복합 인재를 양성할 수 있는 전문인력 양성기관 설립 필요

■ 바이오의약품 비임상/임상 인프라(CRO) 육성

- (현황 및 문제점) 국내 바이오의약품 비임상·임상 인프라 취약으로 다국적 CRO에 위탁함에 따라 국부 유출 및 개발 지연 초래
- (개선방안) 국내 CRO의 바이오의약품 관련 비임상·임상시험 역량 제고
 - 오송 첨단의료복합단지의 신약개발지원센터 등과 같은 국가기관과 국내 CRO의 공동 프로젝트 지원

■ 신의료기술평가 제도 개선

- (현황 및 문제점) 식약처의 허가를 받은 세포치료제/유전자치료제의 보험약가 산정 시, 신의료기술 평가를 별도로 받도록 하고 있어, 출시 지연과 환자가 신약에 접근하는데 많은 어려움이 있음

- (개선방안)세포치료제/유전자치료제의 경우에도 합성의약품과 동일하게 신의료기술 평가 없이 보험약가 등재가 가능하도록 현행 체제 정비 필요함

(2) 줄기세포치료제

■ 줄기세포치료제의 병원 내 신속 적용 제도 도입

- (현황) 줄기세포치료제는 선진국에 근접한 기술수준을 확보하고 있어 상당한 경쟁력이 있는 것으로 평가
- (문제점) 줄기세포 등을 활용한 재생의료제품은 전통적 의약품·의료기기와 구분되는 특성을 지니고 있음에도 불구하고 동일한 규제의 틀로 관리되고 있어 신속한 제품 개발 및 환자 적용에 한계
- (개선방안) 특정조건을 갖춘 병원에서의 첨단재생의료제품 시술·적용 허용

■ 줄기세포치료제의 의료보험적용 확대

- (현황 및 문제점) 고비용 치료제임에도 불구하고 일부 세포치료제만 의료보험이 적용되어 환자부담 가중 및 시장 확대 한계
- (개선방안) 줄기세포치료제의 특성에 합당한 개발원가 산출 서식 적용을 통해 새로운 방법으로 급여를 정해야 할 필요성 대두
 - 기존 치료제와 다른 치료에 대한 접근성을 보장해 달라는 환자의 요구, 건강보험 재정 안정성이 확보되어야 하는 보험자의 입장, 제조원가 및 개발비가 보전될 수 있는 적정 약가를 유지해야 하는 공급자의 입장을 모두 고려

■ 줄기세포치료제 개발시 비동결난자 연구사용 허용

- (현황 및 문제점) 연구에 이용할 수 있는 잔여난자 범위를 동결 난자로만 한정
 - 미·일·영은 기증자 자발적동의를 전제로 비동결난자 연구사용 가능
- (개선방안) 비동결·정상 난자를 기증자 동의가 있을 경우 연구용으로 허용

(3) 유전자치료제

■ 유전자치료 연구범위 제한 완화

- (현황 및 문제점) 글로벌 경쟁력을 확보하기 위해 “생명윤리 및 안전에 관한 법률”의 개정을 통해 미국 등 해외에서는 심혈관질환, 안질환, 감염성 질환 등의 다양한 질환에 대해 유전자치료 허용필요
- (개선방안) “생명윤리 및 안전에 관한 법률” 개정을 통해 제 47조의 ‘배아, 난자, 정자 및 태아’를 제외한 유전자치료를 실시허용

- 제 48조의 약사법에 따라 품목허가를 받은 제품에 대해서는 유전자치료 기관 신고 및 별도 환자동의서 확보가 필요 적용이 면제될 수 있도록 변경

- 지능형 바이러스를 활용한 난치/불치성 질환 유전자치료제 원천기술 개발지원
 - (현황 및 문제점) 임상 개발로 최근 성공사례가 급증하고 있으며(23년간 900여건 이상) 특히 AAV(adeno-associated virus)를 이용한 유전병/난치병 치료, 종양 살상 바이러스를 이용한 암 치료 등에서 성공 사례가 보고되고 있음
 - (개선방안) 유전성/난치성 질환의 유전자치료제에 대한 집중 지원을 통한 글로벌 성과 창출을 위한 글로벌 유전자치료제 R&D과제 지원
- 유전자치료제 생산 시설 양성
 - (현황 및 문제점) 국내 유전자치료제 생산 가능 시설 2곳에 불과하여 유전자치료제 생산시설 부족
 - 유전자치료제 전문 KGMP 제조소 1개소, 생산시설 1개소 존재
 - (개선방안) 대학, 연구소 등에 미국의 National Gene Vector Laboratories (NGVL)과 같은 특정 유전자전달체 특화 생산시설 육성
 - (해외 CMO 활용 방안) 유전자치료제 의약품의 해외 제조 및 수입 판매가 가능하도록 법규 개정(해외 CMO를 의약품 제조 수탁자로 인정하도록 법규 개정)

11. 첨단바이오의약품 국내 업체 인력 현황

(1) 바이오산업 인력 현황

- 바이오산업 분야별 인력 현황
 - 2016년 기준 국내 바이오산업체 980개 기업에 종사하는 인력 수는 41,899명으로 2015년 대비 1,601명 증가했으며, 업체별로는 평균 42.8명이 근무하고 있는 것으로 조사됨
 - 바이오산업부문 인력은 연구인력 13,181명(31.5%), 생산인력 14,716명 (35.1%), 영업/관리인력 14,002명(33.4%)으로 구성됨
- 바이오의약 산업의 인력수요 전망
 - 바이오 의약 산업 인력수요는 2015년 1만4천여명에서 2020년에 1만9천여명으로 향후 5년간 1.3배로 증대될 전망
 - 고용계수가 다소 하락하지만, 불변생산액의 성장세로 인해 인력수요가 연평균 5.9% 증가할 것으로 예상
 - 매년 신규인력도 연간 8백여 명에서 1천여 명으로 확대

(2) 첨단바이오산업 연구인력 현황

- 실태조사를 통해 혁신기업의 보유 연구인력 규모를 살펴보면, 전체 고용인원(4,141명) 가운데 연구인력이 차지하는 비중은 754명으로 18.2%를 차지하는 것으로 나타남
- 연구인력에 대한 세부 현황을 살펴보면, 전체 연구인력 754명 중 첨단바이오의약품의 전담연구인력이 367명으로 나타나 48.7%를 차지하고 있는 것으로 분석됨
- 연구인력에 대한 기업 유형별로 접근해 보면, 중견기업이 기업당 평균 67.0명으로 가장 높았으며, 뒤를 이어 대기업 평균 38.0명, 중소기업 평균 37.6명, 벤처기업 평균 26.8명 순으로 나타남
- 전담연구인력에 대한 기업 유형별로 접근해 보면, 중소기업이 기업당 평균 27.9명으로 가장 높았으며, 뒤를 이어 벤처기업 평균 16.0명, 대기업 평균 15.0명, 중견기업 평균 4.7명 순으로 나타남

12. 첨단바이오의약품 국내 연구개발 현황

(1) 줄기세포치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 25개사가 연구개발 중인 파이프라인은 총 113개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 4.5개의 파이프라인을 보유중인 것으로 분석
- 이중 줄기세포치료제는 13개 기업이 총 43개의 파이프라인을 보유 중인 것으로 나타나 전체 파이프라인 중 38.1%를 차지하고 있는 것으로 나타남
- 유전자치료제는 13개 기업이 총 48개의 파이프라인을 보유중인 것으로 나타나 전체 파이프라인 중 42.5%를 차지하고 있는 것으로 나타남
- 총 43건의 줄기세포치료제 파이프라인 가운데 허가신청이 완료된 파이프라인은 1건(2.3%)이며 임상시험단계(임상 1~3상) 파이프라인은 14건(32.6%), 전임상단계(IND, 전임상) 파이프라인은 19건(44.2%)으로 나타나 보편적인 개발단계(전임상, 임상) 약물이 전체 파이프라인 가운데 76.8%(33건)가 본격 실용화단계에 접어든 것으로 분석됨

(2) 유전자치료제 R&D단계별 파이프라인 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 주요 13개사가 연구개발 중인 유전자치료제 파이프라인은 총 48개에 이르고 있으며, 이를 업체당 평균으로 환산할 경우 업체당 3.7개의 유전자치료제 파이프라인을 보유중인 것으로 분석됨

- 연구개발 중인 48개의 유전자치료제 파이프라인을 R&D단계별로 분석한 결과 허가완료단계인 파이프라인은 1건(2.1%), 임상시험단계(임상 1~3상)인 파이프라인은 12건(25.0%), 전임상시험단계(전임상)인 파이프라인은 10건(20.8%)으로 나타나 총 23건의 유전자치료제 파이프라인이 개발완료 중이거나 개발 단계에 진입하여 실용화 연구가 진행 중인 것으로 나타남

(3) 국내 기술협력 현황

- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 협력기관과의 기술협력 분포를 분석한 결과 대학이 전체 115건 가운데 80건(69.6%)으로 나타나 가장 높은 빈도를 나타내고 있어 대학과의 협력 비중이 가장 높은 것으로 나타남
- 연구기관과의 협력비중(17건, 14.8%)이 두 번째 큰 비중을 차지하고 있으며, 다음으로 기업(13건, 11.3%), 벤처(5건, 4.3%)순으로 조사됨
- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 외부기관과의 연구개발 협력유형을 분석한 결과 공동연구가 총 107건(93.0%)을 차지하면서 가장 큰 비중을 차지하고 있었으며, 라이선싱/기술이전(8건, 7.0%) 순으로 조사됨
- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 국내 협력유형별 협력기관 현황을 분석한 결과 공동연구의 경우 대학의 비중이 매우 높았고, 연구기관과의 협력 비중도 높은 것으로 나타남. 라이선싱/기술이전의 경우 주로 대학과의 협력 비중이 높은 것으로 나타남

(4) 연구단계별 국내 기술협력 총괄 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업 25개사의 최근 3년간 연구단계별 국내 기술협력현황을 분석한 결과 전임상 단계에서의 협력 비중이 각각 32.0%로 가장 높았으며, 다음으로 선도물질탐색단계와 임상단계가 각각 18.4%의 비중을 차지하고 후보물질탐색단계는 16.8%의 비중을 차지하고 있었음. 반면, 원천기술개발단계에서의 협력은 14.4%로 나타나 가장 낮은 비중을 차지하고 있는 것으로 분석됨

(5) 향후 기관유형별 국내 기술협력 수요 현황

- 국내 첨단바이오의약품 연구개발중심 주요기업들이 향후 희망하는 국내 기술협력유형을 분석한 결과 여러 협력유형 가운데 공동연구와 위탁연구, 라이선싱/기술이전에 대해 높은 협력수요를 보인 것으로 나타남
- 공동연구의 경우 주로 대학과의 기술협력 수요가 높았으며, 위탁연구의 경우 대학, 연구기관과의 기술협력 수요가 높고 라이선싱/기술이전의 경우 동종기업, 대학 등 기관유형에 관계없이 파트너십을 희망하고 있는 것으로 나타남

(6) 국가별 협력 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 25개사의 최근 3년간의 해외 기술협력 현황을 분석한 결과 해외 10개국 기업, 대학, 연구기관 등과 총 68건의 협력 활동을 전개 한 것으로 나타남

- 국가별 협력 분포현황을 분석한 결과 미국 50건(73.5%)으로 압도적으로 많은 것으로 나타났고, 뒤를 이어 영국, 일본, 캐나다가 각각 3건(4.4%)으로 분석되어 주로 미국을 중심으로 영국, 일본, 캐나다와의 협력활동이 주를 이루고 있는 것으로 나타남

(7) 해외 기술협력 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 가운데 25개사의 최근 3년간 해외 협력 기관과의 기술협력 분포를 분석한 결과 연구기관이 전체 68건 가운데 32건(47.1%)으로 나타나 가장 높은 빈도를 나타내고 있어 연구기관과의 협력 비중이 가장 높은 것으로 나타남

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 25개사의 최근 3년간 해외 외부기관과의 연구개발 협력유형을 분석한 결과 공동연구가 총 58건(85.3%)을 차지하면서 가장 큰 비중을 차지하고 있었으며, 라이선싱/기술이전(10건, 14.7%) 순으로 조사됨

(8) 연구단계별 해외 기술협력 총괄 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업 25개사의 최근 3년간 연구단계별 해외 기술협력현황을 분석한 결과 임상단계에서 연구기관과의 협력비중이 큰 것으로 나타남

- 전체적으로는 임상 단계에서의 협력 비중이 35.0%로 가장 높았으며, 다음으로 선도 물질탐색단계는 27.5%의 비중을 차지하고 전임상단계는 25.0%, 후보물질탐색단계는 10.0%의 비중을 차지하고 있었음. 반면, 원천기술개발단계에서의 협력은 2.5%로 나타나 국내와 마찬가지로 가장 낮은 비중을 차지하고 있는 것으로 분석됨

(9) 향후 기관유형별 해외 기술협력 수요 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 향후 희망하는 해외 기술협력유형을 분석한 결과 여러 협력유형 가운데 공동연구와 라이선싱/기술이전에 대해 높은 협력 수요를 보인 것으로 나타남

- 공동연구의 경우 동종기업, 대학, 벤처 등의 기술협력 수요가 골고루 높았으며, 라이선싱/기술이전의 경우 동종기업과의 수요가 높은 것으로 나타남
- 위탁연구의 경우 연구기관, 대학과의 파트너십을 희망하고 있는 것으로 나타남

(10) 라이선싱-아웃 희망 품목별 개발단계별 현황

- 국내 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 보유하고 있는 줄기세포 및 유전자 치료제의 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목을 분석한 결과 25개 회신기업 가운데 총 15개사가 74개 품목(기업당 평균 4.9개)에 대해 라이선싱-아웃을 희망하고 있는 것으로 나타남
- 글로벌 라이선싱-아웃 희망 품목 가운데 줄기세포치료제가 총 38건으로 51.4%를 차지하였고, 유전자치료제는 36건으로 48.6%를 차지하는 것으로 나타남

(11) 라이선싱-아웃 희망 국가 현황

- 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들이 보유하고 있는 첨단바이오의약품 의 라이선싱-아웃 희망 대상 국가별 선호도를 분석한 결과 미국(70개), 유럽(51개), 일본(18개), 중국(14개), 중남미(6개), 인도(4개), 호주(4개) 순으로 나타나 대부분 선진국(미국, 유럽) 시장과 동아시아(일본, 중국), 중남미 지역을 선호하는 것으로 분석됨

(12) 첨단바이오의약품(줄기세포 및 유전자치료제) R&D파이프라인 연구개발을 중단하는 주요 원인 우선순위

- 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들 대상으로 첨단바이오의약품의 R&D파이프라인 연구개발시 중단해야 하는 상황이 발생하는 경우를 가정하여 연구중단에 대한 주요 원인을 조사한 결과, 효능성 부족(합산점수 104점, 27.7%)이 가장 큰 원인으로 조사됨

(13) 첨단바이오의약품 분야 제도개선 및 지원정책 우선순위

- 주요 첨단바이오의약품 연구개발중심 기업들의 첨단바이오의약품 분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제를 분야별로 살펴보면, 기존 연구성과 활용 및 전략적 R&D지원 분야가 합산 375점으로 지원이 가장 시급한 분야인 것으로 나타남
- 첨단바이오의약품 분야 제도개선 및 R&D투자 관련 개선과제를 세부별로 살펴보면, 글로벌 3상 임상비용 정부과제 통합 지원이 128점으로 지원이 가장 시급한 개선과제인 것으로 나타남. 뒤를 이어, 타 기술 융합을 통한 줄기세포 핵심기술 개발 지원(108점), 초기 신약개발 Risk Taking(위험부담) 지원으로 Hit discovery 연구지원(107점), 제3국 시장 조기 진출을 위한 ‘국내 시판허가 요건’ 완화(96점) 순으로 나타남

(14) 첨단바이오의약품 정부 지원 중점 기술분야 우선순위

- 줄기세포치료제에 대한 정부 지원이 필요한 중점 기술분야에 대해 조사한 결과 기능 조절 물질 발굴 및 최적화기술이 93점으로 가장 높게 나타남. 뒤를 이어 제조기술(85점), 효능 및 안전성평가(82점), 타겟발굴(75점), 분리기술(61점), 이식기술(42점), 모니터링 기술(38점) 순으로 조사됨

- 유전자치료제에 대한 정부 지원이 필요한 중점 기술분야에 대해 조사한 결과 치료유전자발굴 및 최적화기술이 83점으로 가장 높게 나타남. 뒤를 이어 전달물질/벡터 제작기술(67점), 타겟발굴(63점), 제조기술(55점), 효능 및 안전성평가(54점), 생체전달 모니터링기술(32점) 순으로 조사됨

참 고 문 헌

1. 관계부처 합동, 제2차 제약산업 육성·지원 5개년 종합계획, 2017.
2. 관계부처 합동, 제3차 생명공학육성기본계획(바이오경제 혁신전략 2025), 2017.09
3. 글로벌 줄기세포/재생의료 연구개발촉진센터, GSRAC REPROT Vol.01 - 줄기세포·재생의료 분야 국내외 R&D 투자 동향, 2016
4. 더벨(the bell), 기사자료 인용
5. 미래창조과학부, 바이오미래전략 I, 2015.03.
6. 바이로메드 홈페이지(<http://viromed.co.kr>)
7. 보건복지부 홈페이지(<http://www.mohw.go.kr>)
8. 보건복지부, 바이오헬스케어 산업발전전략, 2017.04.
9. 보건복지부, 보장성강화 발표, 2017.08.
10. 보건복지위원회(국회) 검토보고서, 2016.12.
11. 보건복지위원회(국회) 검토보고서, 2017.11.
12. 산업연구원, 한국산업기술진흥원, 미래 유망 신산업의 시장 및 인력수요 전망 2016
13. 산업통상자원부, 한국바이오협회, 2016년 기준 국내 바이오산업 실태조사 결과 보고서, 2017.12.
14. 산업통상자원부, 한국산업기술진흥원, 2017년 산업기술인력 수급통계 조사 결과 공표, 2017.12.
15. 생명공학정책연구센터 재가공, Frost&Sullivan, Analysis of the Global Stem Cell Market, 2014.
16. 생명공학정책연구센터 재가공, Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market, 2016.05.
17. 생명공학정책연구센터 재가공, Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025, 2017.04.
18. 생명공학정책연구센터 홈페이지(<http://www.bioin.or.kr>)
19. 생명공학정책연구센터, 과학기술정책연구원, 2016년 국내 바이오 중소·벤처기업 현황 통계, 2017.11.
20. 생명공학정책연구센터, 바이오인더스트리(No.90) 줄기세포 시장현황 및 전망, 2015.02.
21. 생명공학정책연구센터, 일본 정부의 2015년 바이오분야 예산 현황, BioINwatch, 2015.11.
22. 식품의약품안전처 보도자료, 2017.03.

23. 식품의약품안전처 보도자료, 2017.07.
24. 식품의약품안전처 홈페이지(<http://www.mfds.go.kr>)
25. 식품의약품안전처, 유전자치료제 연구개발 및 규제동향 2015, 2015.12.
26. 식품의약품안전처, 유전자치료제 임상연구 동향보고서, 2016.05.
27. 식품의약품안전처, 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016, 2017.04.
28. 안트로젠 홈페이지(<http://anterogen.com>)
29. 정부의 국정운영 5개년 계획, 2017.
30. 중소기업창업진흥부 홈페이지(<https://www.smba.go.kr>)
31. 코아스템 홈페이지(<http://corestem.com>)
32. 코오롱생명과학 홈페이지(<http://www.kolonls.co.kr>)
33. 한국과학기술기획평가원, KISTEP 기술동향브리프, 2018.07.
34. 한국보건산업진흥원, 바이오파마 2020 비전과 로드맵 수립, 2014.
35. 한국보건산업진흥원, 보건산업브리프 vol. 197, 2015.10.
36. Alliance for Regenerative Medicine, 2017 Annual Report
37. Allied Market Research, Gene Therapy Market 2017–2023, 2018.02.
38. BCC Research, The Global market for Stem cells, 2017.
39. Cell Therapy Catapult, Annual Review 2018, 2018.03.
40. CIRM 홈페이지(<http://www.cirm.org>), CIRM Strategic Plan 2016 & Beyond, 2015.11.
41. Datamonitor Healthcare, Trends in Gene Therapy, 2016.07.
42. Deloitte Recap LLC database; Deloitte Consulting LLP analysis
43. EMA 웹사이트(<http://www.ema.europa.eu/ema>), Provenge EPAR(EMEA/H/C/002513/0000)
44. EMBO Molecular Medicine, Gene therapy on the move, 2013.
45. Evaluate Pharma, World preview 2017, Outlook to 2022, 2017.06.
46. Frost&Sullivan, Future of Cell Therapy in the Regenerative Medicine Market, 2016.05.
47. Future of Jobs Survey, World Economic Forum, 2016.01.
48. Genetic Engineering & Biotechnology News 재구성, Evaluate Pharma, World Preview 2018, Outlook to 2024, 2018.06.
49. IBM Pharma 2010: The Threshold of Innovation
50. Immunoassay Applications in Gene and Cell Therapy: A Market Analysis of Companies Conducting Gene and Cell Therapy Product Development, 2018.

51. IMS Health, 바이오헬스 시장 동향
52. IMS, R&D Focus(Phase II-Registered), 2015.12.
53. Markets and Markets, Regenerative Medicine Market Global forecast to 2021, 2016
54. Markets and Markets, Stem cell assay market Global forecast to 2023, 2018
55. Markets and Markets, Stem cell therapy market Global forecast to 2021, 2017
56. NIH 웹사이트(<https://report.nih.gov/>)
57. Stem Cell Network, Annual Report 2017/18
58. UKRMP Annual Report 2016, 2016.09.
59. US GAO-15-553, Regenerative Medicine, 2015.06.

1. 이 보고서는 보건복지부와 과학기술정보통신부에서 시행한 글로벌 첨단바이오의약품 기술개발 사업으로 수행한 보고서입니다.
2. 이 보고서의 내용을 대외적으로 발표 및 인용할 때에는 반드시 보건복지부와 과학기술정보통신부에서 글로벌 첨단바이오의약품 기술개발사업으로 수행한 것임을 밝혀야 합니다.



2018

첨단바이오횰약품 산업 백서

발행처 / 한국보건산업진흥원

발행인 / 이 영 찬

발행일 / 2018년 8월

KOREA HEALTH INDUSTRY

DEVELOPMENT INSTITUTE

www.khidi.or.kr



2018

첨단바이오횰약품 산업 백서



한국신약개발연구조합
Korea Drug Research Association

