

재생의료 산업 및 임상 동향 -첨단바이오횰약품을 중심으로

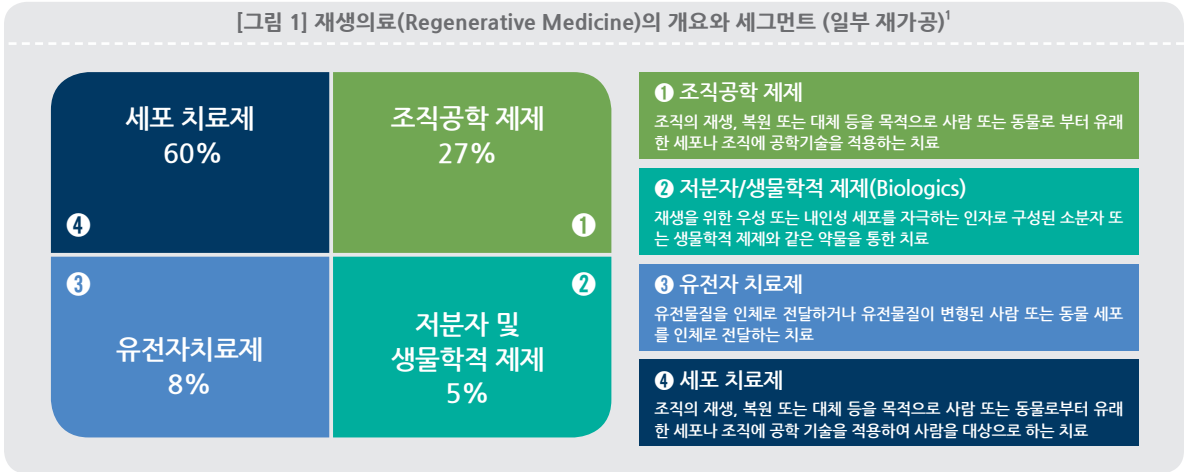
김지윤 연구원 한국바이오협회 바이오경제연구센터
유지민 실장 (주)차바이오텍

재생의료(Regenerative medicine)란 손상된 세포와 조직, 장기 등을 대체하거나 원래의 기능을 할 수 있도록 복원시키는 의학분야로서, 알츠하이머, 척추손상, 당뇨 등 적절한 치료방법이 없는 난치성 질환의 근본적 치료대안으로 부각되고 있다. 최근 재생의료 산업은 기존 세포, 조직을 기반으로 하는 '재생의료' 개념에서 혁신적 치료기술을 융합하는 '첨단재생의료'라는 새로운 패러다임으로 전환되고 있으며, 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 및 융복합 치료 등을 포함하고 있다.

재생의료연합(Alliance for Regenerative Medicine) 2021년 기준 최근 자료에 따르면, 전 세계적으로 1,171건의 임상시험이 이루어지고 있으며, 이 중 142건이 임상 3상 진행 중에 있다. 특히, 미국식품의약국(FDA)과 유럽의약품청(EMA)에 따르면 2025년까지 각 기관별 연 10~20건의 세포 및 유전자 치료제가 승인 받을 것으로 예상되어, 재생의료 시장 규모는 2021년 기준 147억 달러에서 향후 2027년까지 504억 달러로 크게 성장하며 확대 될 것으로 보인다.

이처럼 재생의료 시장의 성장 가능성이 높은 이유는 미국, 유럽 등 선진국 규제기관에서 신속허가 절차 지원 '패스트트랙' 제도 활성화를 통해 제품의 파이프라인 개발을 뒷받침하고 있기 때문이다. 국내에서도 치료법이 없는 난치질환 환자들을 위해 첨단바이오횰약품의 합리적 허가심사 체계를 마련함에 따라 신속허가 제도를 활성화 할 전망이다. 본 브리프에서는 첨단바이오횰약품을 중심으로 한 재생의료 산업 및 임상 동향에 대해 살펴본다.

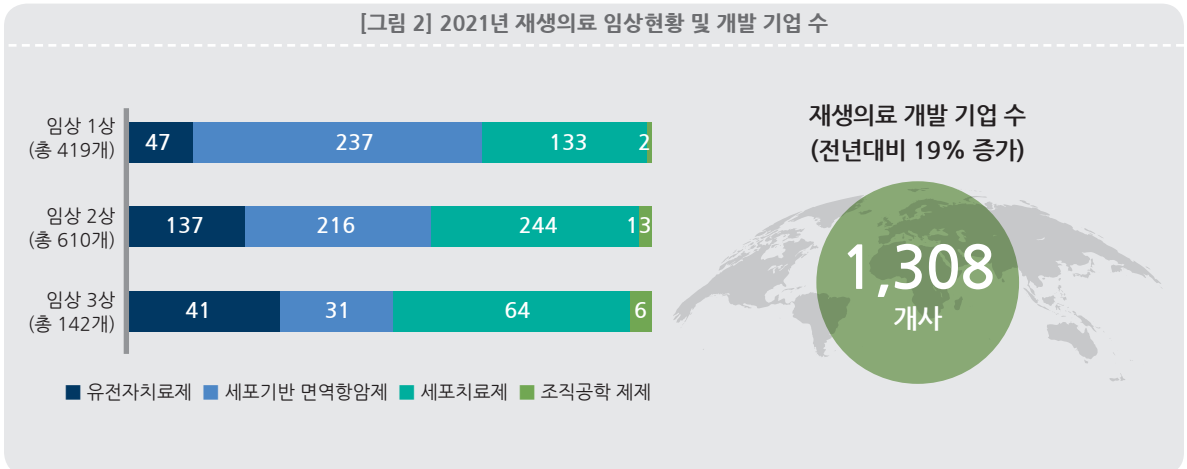
[그림 1] 재생의료(Regenerative Medicine)의 개요와 세그먼트 (일부 재가공)¹



🏥 글로벌 재생의료 임상 현황²

글로벌 재생의료 개발 기업 수는 유전자, 세포 및 조직 기반 치료제 기업을 모두 포함하여 2021년 기준 총 1,308개사로 파악된다. 현재 전세계적으로 1,171건의 임상이 이루어지고 있으며, 그 중 142건(12%)이 임상 3상 진행중에 있다. 치료제 기전별로 살펴보면, 유전자 치료제 225건, 세포기반 면역항암제 484건, 세포 치료제 441건, 조직 공학제제 21건이다. 전체적으로, 세포기반 면역항암제(Cell-based immuno-oncology)의 비중이 41%로 가장 큰 비중을 차지하는 것으로 나타났다. 이는 항암 면역 치료 요법으로 불리며, 최근 면역 관문 억제제(checkpoint inhibitor), CAR-T 세포 치료 등 몇몇 항암 면역치료 요법이 임상적으로 큰 효과가 있음이 알려지게 되었고, 기존 화학 요법이나 방사선 치료요법으로는 치료할 수 없는 암에도 적용가능하다는 큰 장점이 있어서 주목을 받게 되었다.

[그림 2] 2021년 재생의료 임상현황 및 개발 기업 수



글로벌 재생의료 신약개발 승인 현황²

2021년 기준 미국, 유럽, 중국 전역에서 6개의 재생의료 관련 신약이 승인되었으며, 2022년 2월에는 Legend Biotech & Janssen의 다발성 골수종 대상 CAR-T 치료제인 CARVYKTI™ (ciltacabtagene autoleucl)가 승인되었다. CAR-T 치료제 분야에서 2021년 기준으로는 Abecma, Breyanzi와 Carteyva 등 3개가 승인되었다.

[표 1] 글로벌 기업 재생의료 신약개발 승인 현황 (2021-2022년)

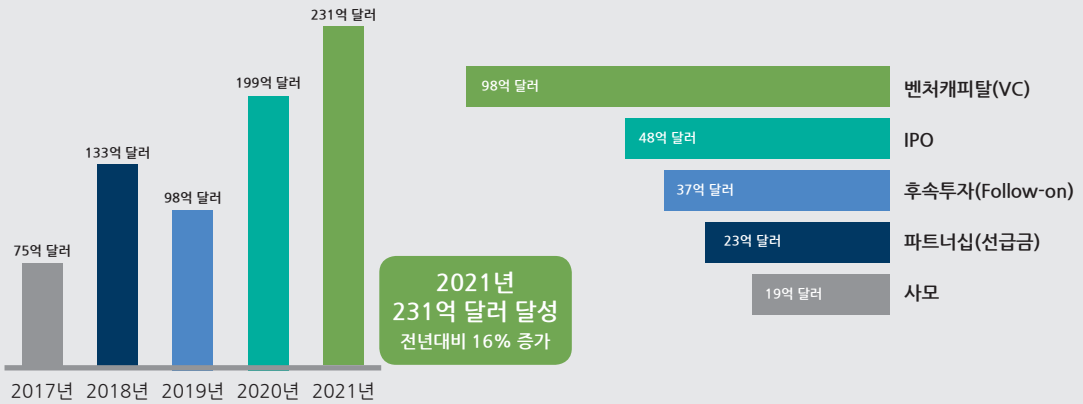
기업명(로고 변경)	명칭	기전별 분류	승인시기 및 승인국가
 Bristol Myers Squibb™	Breyanzi	CAR-T 치료제	2021.02 미국/2021.03 일본
 Bristol Myers Squibb™ bluebirdbio made for life	Abecma	CAR-T 치료제	2021.03 미국/2021.05 캐나다 2021.08 EU/ 2022.02 일본
 FOSUNKite — 复星凯特生物 — Kite A GILEAD Company	Stratagraft	조직공학 치료제	2021.03 미국 / 2021.06 중국
 药明巨诺 JW Therapeutics	Carteyva	CAR-T 치료제	2021.09 중국
 bluebirdbio made for life	Skysona	유전자 치료제	2021.06 EU
 ENZYVANT	Rethymic	조직공학 치료제	2021.10 미국
 LEGEND BIOTECH janssen	Carvykti	CAR-T 치료제	2022.02 미국

글로벌 재생의료 투자의 급증³

재생의료연합 보고서에 따르면, 투자자들은 재생의료의 초기 성공(Early success)에 주목하고 있다. 2021년 전체 투자 금액은 231억 달러를 기록하였으며, 이는 2020년 199억 달러와 비교했을 때 16% 증가한 수치이다. 이 중에서도, 민간 벤처투자금액(VC)이 전년대비 73%가 증가한 98억 달러를 기록하며, 투자분야 중 가장 높은 수치를 기록했으며, 다음으로 IPO가 48억 달러를 기록했다.

치료 분야별로 살펴보면, 유전자 치료제 기업들의 투자 증가 비율은, 전체 투자의 1/3 비율로 증가하는 추세이다. 특히, 2021년 기준 유전자 치료제의 45%는 기업으로, 이는 제약바이오 산업 구조가 합성약품에서 바이오약품으로 개편되고, 글로벌 기업들의 바이오약품 연구개발(R&D)에 참여가 늘고 있다는 것으로 판단되어 진다.

[그림 3] 글로벌 재생의료 분야별 투자 현황



📦 국내 첨단바이오의약품 개발 현황⁴

이러한 글로벌 재생의료 시장 동향을 반영하여, 국내에서는 유전자치료제, 세포치료제 등 첨단바이오의약품 개발이 활성화 되고 있으며, 약 50% 이상 아웃소싱 위주의 첨단바이오의약품의 산업 성장과 함께 관련 생산수요에 대응하기 위해 국내 기업들은 CDMO 시장으로도 적극적으로 뛰어 들고 있다.

식품의약품안전처에 따르면, 국내에서 허가받은 첨단바이오의약품은 총 18개 품목으로, 대부분이 세포 치료제 분야에 해당된다. 녹십자셀, 메디포스트 등 15개 품목이 국내 제약바이오 기업이 개발한 제품이며, '20년 8월 첨단재생바이오법 시행에 따라 '21년 8월 15개의 세포치료제 품목이 첨단바이오의약품으로서 재허가를 받았다. 또한, '21년도에 신규허가된 유전자치료제는 3개 품목으로, 모두 국내 기업이 아닌 스위스 노바티스에서 개발한 제품이다.

첨단바이오의약품은 인체 세포·조직을 이용해 합성의약품에 비해서 부작용이 적고, 효과가 우수하다는 점에서 주목받고 있지만, 비용적 부담과 신약허가 이후 급여 등재 기간이 지연되는 등 규제적 측면에서의 개선점이 요구된다. 노바티스의 CAR-T 항암 치료제 '김리아'의 경우가 대표적인 예로, 급여 기준이 설정되긴 했지만, 아직 급여등재 결정을 위한 후속절차가 남아있는 실정이다.

[표 2] 국내 첨단바이오의약품 승인 현황

성공요인	내용	내용	사례	내용
세포치료제	콘드론	알엠에스자가연골유래연골세포	셀론텍(주)	01-01-30(21-08-26)
	홀로덤	자기유래 피부각질세포	테고사이언스(주)	02-12-10(21-08-27)
	칼로덤	사람유래 피부각질세포	테고사이언스(주)	05-03-21(21-08-27)
	케라힐	바솔자가피부유래각질세포	(주)바이오솔루션	06-05-03(21-08-25)
	이문셀엘씨주	엘씨자가혈액유래티림프구	주식회사 지씨셀	07-08-06(21-08-27)
	알엠에스오스론	알엠에서자가골수유래뼈세포	셀론텍(주)	09-08-26(21-08-26)
	퀸셀	자가지방조직유래 최소조직 지방세포	(주)안트로젠	10-03-26(21-06-09)
	큐어스킨주	자가유래피부섬유아세포	(주)에스바이오메딕스	10-05-11(21-07-29)
	하티셀그램-에이엠아이	자가골수유래중간엽줄기세포	파미셀 주식회사	11-07-01(21-08-26)
	카티스템	동종제대혈유래 중간엽줄기세포	메디포스트(주)	12-01-18(21-08-19)
	큐피스템주	자가지방유래 중간엽줄기세포	(주)안트로젠	12-01-18(21-08-24)
	뉴로나타-알주	자가골수유래 중간엽줄기세포	코아스템(주)	12-01-18(21-08-24)
	케라힐-알로	비숄동종피부 유래각질세포	(주)바이오솔루션	15-10-16(21-08-25)
	로스미르	테고자가피부유래섬유아세포	테고사이언스(주)	17-12-27(21-08-24)
	카티라이프	바솔자가연골유래연골세포	(주)바이오솔루션	19-04-24(21-07-22)
유전자치료제	김리아주	티사젠렉류셀	한국노바티스(주)	21-03-05
	졸겐스마주	오나셈노진아베파르보백		21-05-28
	렉스터나주	갈카네주암, 유전자재조합 보레티진네파보백		21-09-09

 **맺음말**

전세계적으로 초고령사회로 진입함에 따라 퇴행성 난치성 만성질환이 급속도로 증가하고 있어 사회적 경제적 부담이 가중되고 있다. 특히 생활수준이 높아지고 건강한 삶에 대한 관심과 고품질 의료기술에 대한 요구가 증가되면서 난치병 치료제 대한 첨단 의료기술 니즈가 증대되고 있다. 희귀 난치질환은 현 의료기술로는 치료가 어려우며 대체 치료법이 없는 환자들은 치료 받을 권리를 박탈당하는 안타까운 경우도 발생한다.

첨단재생의료치료제 경우 초기 임상연구와 안전성 및 효능검증을 위한 장기적 관찰이 임상 연구에서 필요하기 때문에 미국, 유럽 등의 선진국에서는 임상연구와 상업용 인허가를 2트랙(Two track)으로 분리하여 제도를 운영하여 첨단재생의료 치료법의 환자 적용을 효율화 하였다. 국내의 경우, 다소 제한적인 부분이 존재하기는 하나, 희귀·난치 질환으로 고통받는 환자들을 위해, 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품과 관련된 첨단바이오법을 본격적으로 시

행하여 질환의 극복에 힘쓰고 있다.

그러나, 아직까지 첨단바이오의약품의 특성상 높은 단가로 인해 가격 경쟁력이 낮고, 신약에 대한 인허가 절차 부분에서 분명한 어려움이 존재한다. 이러한 어려움의 해소를 위해, 정부가 '20년 8월 첨단재생바이오법을 시행한 이후, 첨단재생의료 임상연구 승인이 잇따르고 있다.

제도적 한계에도 불구하고, 재생의료 및 첨단바이오의약품은 시장에서 합성 의약품을 대체하거나 미충족 의료를 해결할 수 있는 큰 기회가 될 것으로 전망된다. 단계적 절차를 통해 재생의료 치료제에 대한 임상연구의 안전성과 유효성, 그리고 급여등재까지 보장된다면, 향후 의약품의 새로운 시장영역을 창출할 수 있는 산업으로 자리매김 할 수 있을 것이다.

< 참고자료 >

1. Frost&Sullivan, Growth and Expansion of Regenerative Medicine Market, 2016.06
2. Alliance for Regenerative Medicine, Regenerative medicine : disrupting the statue Quo, 2021
3. Cell&gene therapy insights, Regenerative medicine:new paradigms, 2022.02
4. 식품의약품안전처, 2021 의약품 허가 현황, 2022.04

Writer

김지운 한국바이오협회 바이오경제연구센터, 연구원

Reviewer

유지민 (주)차바이오텍, 실장

BIO ECONOMY BRIEF

발행 : 2022년 5월 | 발행인 : 고한승 | 발행처 : 한국바이오협회 한국바이오경제연구센터
 13488 경기도 성남시 분당구 대왕판교로 700 (삼평동, 코리아바이오파크) C동 1층, www.koreabio.or.kr
 * 관련 문의 : 한국바이오협회 한국바이오경제연구센터 e-mail : Koreabio1@koreabio.org



Innovating Data Into Strategy & Business

