



줄기세포 Trend Watch No.3 (2019. 9. 1 ~ 10. 30)

학정협력위원회(정형민 위원장, 박한진 위원, 김무웅 위원)

[Contents]

이슈 브리프 : 줄기세포 관련 기술, 정책, 산업, 규제 등 주요 이슈 요약

- 미국 FDA에서 허가한 유전자치료제 졸겐스마의 데이터 조작 이슈	2p
- 첨단재생바이오법으로 임상연구 활성화 및 안전관리 강화 기대	4p
- 일본, iPS 세포로 만든 각막 이식 성공	8p

국내외 성과 : 언론 등에 보도된 줄기세포 분야의 국내외 주요 R&D 성과 정리

- 2019년 9월 성과	10p
- 2019년 10월 성과	11p

동향 및 뉴스 : 줄기세포 동향자료와 뉴스에 관한 정보 제공

- 줄기세포 동향(방광 질환의 줄기세포 치료 등)	13p
- 줄기세포 뉴스	13p

분석 리포트 : 줄기세포 R&D 투자, 산업, 규제, 허가 등 심층정보 분석

- 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망	14p
- 재생의료 규제동향	26p

이슈 브리프 : 줄기세포 관련 기술, 정책, 산업, 규제 등 주요 이슈를 정리

- * 바이오인 홈페이지(www.bioin.or.kr) 내 BioINwatch로 발간되는 자료 중 줄기세포 관련 정보를 제공

<BioINwatch(BioIN+Issue+Watch): 19-62>

생명공학정책연구센터('19. 9. 5)

미국 FDA에서 허가한 유전자치료제 졸겐스마의 데이터 조작 이슈

- ◇ 2019년 5월 미국 FDA가 허가한 소아 척수성 근위축증(SMA) 유전자치료제 '졸겐스마(Zolgensma)'의 신약승인 신청서에 조작된 데이터가 있었음이 밝혀짐. FDA는 데이터 조작이 있었으나, 이는 제품의 효능과 안전성에 영향을 주지 않은 부분으로 졸겐스마의 판매는 지속되어야 한다고 발표. 그러나 데이터의 무결성은 중요한 문제로 지속적으로 평가할 계획이며, 개발사인 아벡시스(AveXis)가 해당사실을 알고도 승인이 될 때까지 규제당국에 알리지 않은 점에 대해 민·형사상 처벌 등의 조치를 취할 것으로 전망
 - ▶ 주요 출처 : FDA, Statement on data accuracy issues with recently approved gene therapy, 2019.8.6.; 바이오스펙티어FDA, 노바티스 '졸겐스마' "BLA 데이터조작" 파장, 2019.8.7
- 세계 최고가 약으로 이슈가 되었던 유전자치료제 졸겐스마(Zolgensma)의 승인과정에서 동물실험 데이터 조식이 있었던 것으로 조사
 - 노바티스의 졸겐스마는 2세 이하 소아 척수성 근위축증(SMA, Spinal muscular atrophy)을 치료하는 최초의 유전자치료제로 지난 5월 미국 FDA의 판매 승인을 획득(2019.5.24.)
 - 1회성 치료제인 졸겐스마의 1회 치료비용은 212.5만 달러(약 25.6억원)로 책정, 단일 의약품으로 세계 최고가
 - ※ 2세 이하 소아에게 나타나는 척수성 근위축증은 유전적 원인으로 발생하는 가장 중증의 척수성 근위축증으로, 소아 환자들이 사망하는 주요한 원인
 - 2018년 노바티스는 유전자치료제 개발회사인 아벡시스(AveXis)를 87억 달러 (약 10.4조원)에 인수하면서 SMA 치료 후보물질인 AVXS-101를 확보(2018.4)
 - 개발사인 아벡시스는 승인 한 달 후인 6월 28일, FDA에 제출한 바이오 신약 승인 신청서(BLA, Biologics license application)에 조작된 데이터가 포함되었다고 밝힘
 - 동물에서 수행된 제품 테스트의 특정 데이터(마우스를 대상으로 한 in vivo 효능 데이터)가 직원에 의해 조작
 - FDA는 노바티스가 조작된 데이터가 포함된 BLA를 제출했으며, 신약 허가를 받은 후 한 달이 지난 시점까지 이와 같은 사실을 규제당국에 알리지 않았다고 설명

- FDA는 개발사가 해당사실을 인지하고 있었으나, 제품이 승인될 때까지 알리지 않은 것으로 판단
 - 아벡시스는 규제당국이 졸겐스마에 대해 신약 허가를 내리기 2달 전인 2019년 3월 14일경 데이터 조작 문제를 알고 있었다고 추정
 - ※ 데이터 조작사실을 FDA가 신약 허가 전에 알았더라면 승인결정을 지연하고 조사에 들어갔을 것으로 보이기 때문
- 하지만 FDA는 데이터 조작이 졸겐스마의 효능 및 안전성에 영향이 없는 것으로 판단하고 판매를 계속 허용할 것이라고 밝힘
- FDA는 성명서를 통해 이 상황을 주의깊게 평가하고 있으며, 졸겐스마가 시장에서 지속적으로 판매되어야 한다고 표명
 - 제출된 많은 양은 데이터 중에서 현재 FDA의 관심사는 임상시험 프로세스 중 제품 테스트 데이터의 일부(마우스를 대상으로 한 in vivo 효능 데이터)로 제한되어 있으며, 이러한 데이터는 인간 대상의 임상시험에서 얻은 긍정적인 평가를 변경하지 않았을 것으로 판단
 - 전반적으로 긍정적인 이익-위험 프로파일(benefit-risk profile)을 제시하는 등 강력한 증거를 제시하고 있기 때문에, FDA는 졸겐스마의 안전성, 품질 및 효능에 여전히 확신한다고 말함
 - ※ 노바티스는 "이번에 문제가 된 효능평가는 초기 제품 테스트에만 사용되었고, 현재 상업화된 제품에는 적용되지 않았다"며 "FDA가 언급한 것과 같이 이는 전체 데이터의 작은 부분에 불과하며, 더 이상 사용하지 않는 과정"이라고 설명
- 그러나 제품개발 및 제조과정에서 사용된 제품 테스트 데이터의 무결성(integrity)은 계속해서 평가하고 진지하게 다룰 중대한 문제
 - 신약승인 신청서 데이터의 진실성, 완전성 및 정확성을 보장하는 것은 생물학적 제품의 안전성, 순도 및 효능을 보여주기 위해 노력해야 하는 산업계 책임의 중요한 구성 요소로,
 - 진실되고 완전하며 정확한 데이터를 제출하는 것은 FDA가 공중보건을 보호하는데 중요하며, 법에서도 요구
- FDA는 아벡시스가 제품을 승인하기 전에 BLA에 데이터 조작이 있음을 알게 되었지만 제품이 승인될 때까지 알리지 않았으며,
 - 민사 또는 형사처벌을 포함한 적절한 모든 조치를 취할 것임을 시사

첨단재생바이오법으로 임상연구 활성화 및 안전관리 강화 기대

- ◇ 2019년 8월 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률(이하 첨단재생바이오법)」이 공포되고 1년 후부터 시행될 예정. 이 법을 통해 재생의료 임상연구 제도를 마련함으로써 희귀난치질환 환자에게 치료기회를 확대하고, 첨단재생의료 분야의 전주기 안전관리 및 지원체계 구축 기대

* 주요 출처 : 복지부/식품의약품안전처, 희귀·난치환자에 새로운 치료 기회 열린다, 2019.8.2.; 메디칼타임즈, 임상법 준비하는 복지부 "재생의료·바이오 1조원 투입, 2019.8.8

■ 첨단재생의료 분야 치료기술 및 첨단바이오의약품의 특성을 반영하고 재생의료 서비스의 안전관리체계 강화를 위한 법률 제정 필요

- 손상된 조직과 장기를 치료, 대체 또는 재생시켜 인체기능을 복원함으로써 완치를 목표로 하는 첨단재생의료의 특수성*을 반영하는데 현행 관리체계(現, 약사법 및 의료법)로는 한계
 - * 인체세포 등을 활용한 첨단재생의료 기술은 동물실험으로는 임상적 유효성과 안전성을 입증하기 어렵고, 이를 상용화한 첨단바이오의약품의 경우도 종전의 합성물질 기반 의약품과는 다른 다양한 고려사항이 존재
 - 약사법으로는 장기추적조사, 조직·세포 등의 안전관리체계 등 관련 규제가 미비하며,
 - 또한 의료법으로는 중·고 위험(최소조작 범위 외)의 임상연구 불가 등 기존 의약품 임상시험과는 구분되는 재생의료 임상연구 제도 필요
 - 특히, 해외원정 시술과 효과가 입증되지 않은 재생의료 시술로 문제점 발생
 - ※ 오사카 줄기세포 병원에서 치료받은 환자 중 90%가 한국인(조선일보, 2018)
- 이에 지난 2016년부터 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품에 관한 법률 제정을 위해 노력

◎ 추진경과 : 첨단재생의료법(안)(김승희의원 '16.6 발의, 전해숙의원 16.11 발의) ⇒ 첨단바이오의약품법(안)(정춘숙의원 '17.8 발의) ⇒ 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품에 관한 법률(안)(이명수의원 '18.8 발의) ⇒ 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률(안)(보건복지위원장 대안 '19.7) ⇒ 국회 본회의 통과('19.8.2) ⇒ 첨생재생바이오법 공포('19.8.27)

■ **선진국들은 이미 첨단재생의료의 환자 적용 신속화와 첨단약품의 신속허가 등을 위한 규제 및 제도 마련**

- ※ 2019년 1/4분기 세포 및 유전자치료제의 임상시험 건수는 1,060건이며(Parexel, 2019), 2020년까지 매년 200개 이상의 임상승인신청서가 접수될 것으로 예상(FDA, 2019)
- (미국) 「21세기 치유법(The 21st Century Cures Act. H.R. 6)」 제정(2016.12)으로 첨단재생치료법의 환자 적용 신속화
 - 21세기 치료법에 따른 RMAT(Regenerative Medicine Advanced Therapy) 지정 시, FDA의 신속 승인에 대한 운영방침 발표(2019.2)
- (유럽) 첨단약품(ATMP)의 특성을 고려한 특별법 「Regulation 1394/2007/EC」를 제정(2007.11)
 - ATMP(Advanced Therapy Medicine Product)에 대한 시판허가 승인은 유럽의약청(EMA)이 담당하며, 허가받지 않은 ATMP 시술은 병원 면제 제도(Hospital Exemption)를 적용
 - 첨단바이오약품의 신속한 개발 지원을 위해 규제기관이 지원하는 PRIME(PRIority MEdicine) 제도를 적용 (2016.3)
- (일본) 「재생의료를 등 안정성 확보 등에 관한 법률」 제정과 더불어 「의약품 및 의료기기 법」으로 약사법을 개정 (2013.11)
 - 무분별한 줄기세포 등의 시술을 제도권 범위 내에서 관리·감독 추진 중
 - 재생의료제품 개발 경쟁력을 높이기 위한 신속허가 지정제도인 'SAKIGAKE designation'를 시행

< 해외 재생의료 관련 법/제도 >

구분	미국	유럽	일본
법률명	21세기 치유법	첨단의료제품법	<ul style="list-style-type: none"> • 재생의료 등 안전성 확보에 관한 법률 • 개정약사법
제정시기	2016.12	2007.11	2013.11
주요 내용	<ul style="list-style-type: none"> • 첨단재생의료치료제 정의 및 조건 설정 • 임상연구 확대를 통한 첨단치료법 환자 적용 신속화 • RMAT 지정 시, 우선심사, 신속승인 등 혜택 	<ul style="list-style-type: none"> • 첨단치료제의 범주 신설 • ATMP시술에 대한 병원 면제 제도(Hospital Exemption) 적용 • 신속심사 적용대상으로 선정 가능 	<ul style="list-style-type: none"> • 위험도에 따른 재생의료 기준 신설 • 재생의료등의 제공기관 및 세포배양시설에 관한 기준 마련 • 첨단재생의료 제품에 대한 조건기한부 허가제도 운영

출처 : 한국바이오협회, 바이오헬스 산업규제 패러다임 전환방안 연구, 2018. 생명공학정책연구센터 수정

■ 국내 첨단재생바이오법은 희귀·난치환자에 첨단재생의료 접근성을 높이기 위해 임상연구는 심의위원회의 심사와 재생의료 실시기관 및 안전관리기관 지정을 통해 허용

- 임상연구의 목적 및 내용 등이 포함된 동의서(첨단재생바이오법 제11조)를 받은 환자에 대한 첨단재생의료 연구계획은 첨단재생의료 및 첨단바이오 의약품 심의위원회의 심의를 받아야함(동법 제12,13조)
 - 고위험 수준의 임상연구는 위원회 심의 후 식약처 승인까지 필요
 - * (국가 소속) 심의위원회 심의를 받은 경우 기관생명윤리위원회(IRB) 심의를 받은 것으로 간주
 - * 환자에 대한 임상연구 비용청구는 금지
- 임상연구를 하려는 의료기관(「의료법」 제3조에 따른)은 보건복지부로부터 지정을 받아야하며(동법 제10조), '첨단재생의료 안전관리기관'은 이상반응 보고, 장기추적조사 등을 통한 환자에 대한 안전관리와 재생의료 실시기관에 대한 관리·감독 수행(동법 제19~21조)
 - * 보건복지부 소속의 질병관리본부
- 국내 원천기술 개발을 위해 임상연구는 국내 업체와 의료기관만 가능

< 첨단재생의료 업무 흐름 >



출처: 국회예산정책처, 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품에 관한 법률안 비용추계서, 2018. 생명공학정책연구센터 수정

▶ **첨단바이오의약품에 대해서는 연구개발부터 사후관리까지 전주기 안전관리체계 구축과 합리적 허가·심사체계 마련**

- 인체세포 등 관리업 허가제도를 신설하고(통법 제15~29조), 시판허가 후 장기간 추적관리를 의무화(통법 제30조)
 - 세포의 동질성 확보' 등 허가·생산 관리기준 강화
 - 유전학적 계통검사(Short Tandem Repeat, STR) 의무화
- 대체치료제가 없고 생명을 위협하는 질환에 대한 치료 목적으로 개발 중인 첨단바이오의약품을 신속처리 대상으로 지정하여 맞춤형 심사, 우선 심사, 조건부 허가'를 할 수 있도록 허용(통법 제36,37조)
 - 암 등 중대한 질환과 희귀질환에 사용되는 경우에 한하여 3상 임상시험을 시판 후 수행할 조건으로 2상 임상 자료로 허가

< 첨단바이오의약품 신속허가 >

<일반 절차> 12~15년 소요



<신속처리제도 적용> 8.5~10.5년 소요 (통37조)

① 맞춤형심사(9.5~12.5년): 합의된 일정에 따라 자료제출 및 사전심사로 개발(비임상/임상)기간 단축



② 우선심사(12~15년): 허가기간 단축(115일 → 100일)



③ 조건부허가(10~12년): 임상적 유의성 예측 가능한 임상(2상)결과 제출시 시판허가(3상 제출 조건)



① ② ③ 모두 적용(8.5~10.5년)



출처: 메디컬업저버, 3년만에 빛 보는 첨단바이오법, 재생의료 치료 발전 기대, 2019, 생명공학정책연구센터 수정

일본, iPSC로 만든 각막이식 성공

◇ 일본 오사카대학 연구팀은 iPSC(유도만능줄기세포)를 이용해 만든 각막 세포를 환자의 눈에 이식하는 수술을 세계 최초로 실시. '각막상피 줄기세포 피폐증'을 가진 환자의 왼쪽 눈은 거의 보이지 않는 상태 였으나, 임상연구 수술 후 시력이 크게 회복되었다고 발표. 연구팀은 향후 5년 이내 총 4명의 각막이식 임상시험을 실시하여, 이식 치료법의 안전성과 유효성을 확인할 계획

출처 : Nature, Woman is first to receive cornea made from 'reprogrammed' stem cells. 2019.9.2. 毎日新聞(Mainichi), iPS細胞 移植、角膜でも 拡大、視力改善 世界3例目. 2019.8.30

■ 일본에서 iPSC(유도만능줄기세포) 유래 각막세포를 환자의 눈에 이식하는 임상연구를 세계 최초로 실시

○ 일본 오사카대학 안과 의사 Kohji Nishida 연구팀은 '각막상피 줄기세포 피폐증'으로 왼쪽 눈의 시력을 거의 상실한 40대 여성 환자를 대상으로 iPSC에서 만든 각막세포를 이식하는 수술을 실시했다고 발표(2019.8.29.)

* 눈을 덮고 보호하는 투명한 층인 각막을 회복시키는 줄기세포가 상실된 질병으로, 각막이 불투명해지고 실명 우려가 있음

- Nishida 박사 연구팀은 치료를 위해 iPSC(induced pluripotent stem cells)에서 각막세포 시트(sheets of corneal cells)를 만들

- iPSC는 공여자의 피부세포를 배아 유사상태로 재프로그래밍(reprogramming)한 후 각막세포와 같은 다른 조직으로 변형시킴

- 거부반응 발생 가능성이 낮은 원형의 투명한 시트(두께 0.05mm) 형태 각막 세포시트를 환자의 손상된 각막을 제거한 후 이식하는 임상연구를 실시

< iPS 세포를 이용한 각막 이식 >



출처 : 毎日新聞(마이니치 신문)

- Nishida 박사는 8월 29일 실시한 기자회견에서 각막세포 이식수술을 받은 환자는 각막이 깨끗해지고 시력을 회복하여 퇴원했다고 밝힘
 - 해당 환자는 2019년 7월 25일 각막세포 이식수술을 받았으며, 이후 경과를 지속적으로 관찰 받다가 8월 23일 퇴원
 - Nishida 박사에게 따르면 이식수술 1달이 경과한 후, 환자의 각막은 투명한 상태를 유지하고 있으며 시력을 회복했다고 설명
 - 이식 수술의 성공으로 각막질환으로 인해 고통 받고 있는 많은 환자들의 시력 회복에 기여할 것으로 기대
 - ※ 현재 각막 손상 또는 질병이 있는 환자들은 사망한 기증자의 조직을 이용하여 치료받고 있었으나, 대기환자들이 많은 상황. 또한 수술 후 거부반응으로 이식받은 각막이 분리되어 1년 내에 재발하는 경우가 많음
- Nishida 연구팀은 향후 5년 안에 치료의 안전성과 효능을 확인하기 위해 총 4명에게 임상시험을 실시할 계획으로, 올해 말 두 번째 수술 예정
 - 이번 임상시험은 iPSC를 이용해 각막질환을 치료하는 세계 최초의 임상 시험으로 4명의 환자를 대상으로 치료하고, 치료의 안전성과 효능을 확인하기 위해 1년 동안 모니터링 할 계획
 - 연구팀은 올해 말 두 번째 수술을 계획하고 있으며, 5년 후 iPSC에서 유래한 각막상피세포 이식이 실용화되기를 기대
 - ※ 일본 후생노동성은 iPSC를 이용해 각막질환 환자를 치료하는 세계 최초의 임상 시험을 조건부로 승인(2019.3.)
- **재생의학 분야의 선도국으로 자리매김한 일본은 세계 최초로 iPSC를 이용한 망막질환, 파킨슨병 등 치료를 위한 임상시험을 허가**
- 일본은 Shinya Yamanaka 교수의 2012년 노벨상 수상을 계기로 iPSC의 임상적 사용을 승인
 - 일본 규제당국은 2014년 세계 최초로 타인의 iPSC를 이용한 황반변성 환자의 치료를 위한 임상시험을 허가하였으며,
 - 이후 파킨슨병(2018), 심장병(2018), 척수손상(2019), 각막질환(2019) 치료를 위한 임상시험을 승인
 - ※ 재생불량성 빈혈, 중증심부전, 백혈병, 관절질환 등에도 iPSC를 이용한 임상연구도 추진 중

국내외 성과 : 언론 등에 보도된 줄기세포 분야의 국내외 주요 R&D 성과 정리

* 바이오인 줄기세포콘서트 홈페이지(www.bioin.or.kr/konscrt) 내 KoNSCRT 지식에 매월말 게시되는 국내외 주요성과 정보를 제공

<2019. 9월>

□ 해외 주요 연구성과

○ 일본의 주요 연구성과

- iPSC를 이용해 복수의 장기* 동시제작 성공(도쿄의과치과대 다케베 다카노리 교수팀, '19.9.26)

* 간, 췌장, 담관

※ Nature 게재

□ 국내 주요 연구성과

○ 줄기세포 관련 실용화 기반기술 성과

- 암 줄기세포를 구분하는 형광물질 개발(기초과학연구원 복잡계 자기조립 연구단, '19.9.5)

※ Journal of the American Chemical Society 게재

- 신개념 하이드로젤 티슈 테이프* 제작(연세대 조승우 교수, 신지수 박사, 연세의료원 최동훈 교수 공동연구팀, '19.9.18)

* 줄기세포나 약물을 조직 표면에 간편히 붙여 전달하는 패치

※ Advanced Functional Materials 게재

○ 줄기세포 관련 특허 성과

- 만능줄기세포(nEPS)*를 이용해 간세포로 분화하는 방법 관련 EU 특허 등록(줄기세포치료연구원, '19.9.23)

* newly Elicited pluripotent stem cells without side effects by natural compound

- 줄기세포를 이용한 치료 관련 특허* 획득(연세사랑병원, '19.9.29)

* 강글리오사이드 GM3를 유효성분으로 함유하는, 중간엽 줄기세포로부터 연골세포로의 분화 유도방법, 연골 질환 치료, 예방 또는 개선용 약제학적 조성물 및 건강기능식품 조성물에 관한 발명

- 태반 유래 중간엽 줄기세포의 제조방법 관련 미국특허* 취득(차바이오텍, '19.9.30)

* 향상된 산후 부착형 세포 및 그의 제조방법(태반 양막에서 분리한 줄기세포를 고순도로 대량 배양할 수 있는 기술)

<2019. 10월>

□ 해외 주요 연구성과

○ 미국의 주요 연구성과

- 실제 배아와 유사*하게 배양이 가능한 배양시스템 개발(미국 라이스대 생명과학과 아리에 웍플래시 조교수팀, '19.10.18)

* 배아줄기세포 군의 기하학적 구조

※ Development 게재

- iPSC를 활용한 미숙아 수준의 미니 뇌* 개발(미국 캘리포니아대학교 생물학자 앨리슨 무오토리 연구진, '19.10.22)

* 조직, 구조, 전기 신호 등 인간 뇌 조직과 유사하게 작동, 다만 '사고와 의식' 불가

※ Cell stem cell 게재

- 줄기세포를 이용한 실험실 배양육* 제작(미국 캘리포니아대학교 생물학자 앨리슨 무오토리 연구진, '19.10.22)

* 근섬유를 재현한 소·토끼 고기 제작

※ Nature 게재

○ 기타 국가의 주요 연구성과

- 줄기세포 활성화를 통한 다발성 경화증 쥐의 치료 방법* 발견(영국 케임브리지대학 의과대학 로빈 프랭클린 줄기세포의학 교수팀, '19.10.7)

* 메트포르민 약물이 줄기세포 일종인 희소돌기아교세포 전구세포를 활성화시켜 다발성 경화증의 원인인 뇌 신경세포의 미엘린 수초(희소돌기아교세포 전구세포에 의해 생성)를 회복

※ Cell Stem Cell 게재

- 초기 배아 생성에 관여하는 줄기세포* 생산 방법 발견(예루살렘 히브리대학 발달생물학 및 암 연구소 요제프 부가님 박사 연구진, '19.10.2)

* 배아, 배아 외 조직, 태반 줄기세포

□ 국내 주요 연구성과

○ 줄기세포 관련 기초·기전연구

- 인체 지방유래 줄기세포 배양액 내 포함된 엑소좀의 재생효과* 최초 규명 (프로스테믹스, '19.10.15)

* 모발 밀도가 20% 가까이 증가하여 탈모 치료 가능성 발견

※ Experimental Dermatology 게재

- 소변유래세포 기반 유도 자가 신경줄기세포 역분화 성공(고려대 생명공학부 유승권 교수 연구진, '19.10.16)

※ Cells 게재

○ 줄기세포 관련 실용화 기반기술 성과

- 중간엽 줄기세포 기반 마이크로 수화젤*의 심장조직 재생 기능 규명 (GIST 신소재공학부 이재영 교수·생명과학부 다린 윌리엄스 교수 공동연구팀, '19.10.8)

* 수상 환경에 용해되지 않는 고분자 물질

※ Biomaterials 게재

- 줄기세포 기능을 향상*시키는 생체소재 부품 기술 개발(전남대 김장호 교수, UNIST 정훈의 교수 연구팀, '19.10.14)

* 줄기세포 성장인자 분비를 촉진시켜 특정 세포로의 분화 향상

※ ACS NANO 게재

○ 줄기세포 관련 특허 성과

- HAR-NDS 유래 줄기세포 관련 미국 특허* 취득(유틸렉스, '19.10.2)

* HAR-NDS 유래 줄기세포 분리방법 및 용도와 관련

- 체세포 복제 배아줄기세포 제조 및 보관방법 관련 국내 특허* 취득 (차바이오텍 대표이사 오상훈, '19.10.16)

* NT세포의 보관방법 및 बैं킹 시스템

- 중간엽 줄기세포 CDV 적용 만성폐쇄성폐질환 치료제 관련 국내 특허 취득 (엠티큐 대표이사 배신규, '19.10.24)

- 세포크기에 따른 간엽줄기세포 배양방법 관련 중국 특허* 취득(메디포스트, '19.10.24)

* 세포 크기와 배양 환경을 조절해 치료 효능이 높은 간엽줄기세포를 배양하는 기술

동향 및 뉴스 : 줄기세포 동향자료와 뉴스에 관한 정보 제공

- * 바이오인 줄기세포콘서트 홈페이지(www.bioin.or.kr/konscrt) 내 줄기세포뉴스와 동향 메뉴에 게시되는 정보를 제공
- * 제목에 링크가 연결되어 있으니 클릭하여 자세한 내용을 확인하시기 바랍니다.

제목	출처	등록일
동향(국내외 전문기관 및 학회에서 발간한 관련 보고서와 자료)		
줄기세포 배양 '나노바늘구조 지지체' 개발	과학기술정보통신부	2019.10.16
뉴스(국내외 언론사에서 보도된 관련 뉴스와 기사)		
암 줄기세포만 꼭 집어 형광 표시한다	대덕넷	2019.9.6
패치 붙이면 줄기세포 스며든다...주사 대체 기술 개발	연합뉴스	2019.9.19
차바이오텍, 미국서 '태반 유래 중간엽 줄기세포 제조방법' 특허 받아	매일경제	2019.10.1
유틸렉스, HAR-NDS 유래 줄기세포 분리방법 미국 특허 취득	메디파나뉴스	2019.10.7
줄기세포 항반변성 치료제 내년초 임상 돌입	매일경제	2019.10.14
국내 연구진, 줄기세포 배양 '나노바늘구조 지지체' 개발	이데일리	2019.10.14
소변유래세포 활용 '유도 자가 신경줄기세포' 역분화 성공	약업닷컴	2019.10.16
차바이오텍, 체세포 복제 배아줄기세포 기술 국내 특허	한국경제	2019.10.16
홍남기 "범부처 바이오TF 가동"...줄기세포연구 규제 사라지나	동아닷컴	2019.10.21
'글로벌 재생의료' 급성장...2024년 768억 달러	메디팜스투데이	2019.10.28

분석 리포트 : 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망

* 생명공학정책연구센터가 Mordor Intelligence에서 발간한 보고서를 기반으로 작성하였으며, 바이오인 홈페이지(www.bioin.or.kr) 내 BioIndustry(No.141 2019-9)로 발간

1. 재생의료 시장 정의 및 범위

- 재생의료(Regenerative medicine)은 인간의 세포와 조직, 장기를 대체하거나 재생시켜서 원래의 기능을 할 수 있도록 복원시키는 의학 분야로, 치매, 척수손상, 당뇨 등 적절한 치료 방법이 없는 난치성 질환의 근본적 치료 대안으로 부각
 - 미국 국립보건원(NIH)은 재생医료를 '생물학, 의학학, 공학이 융합되어 조직과 기관의 기능을 유지, 회복, 증진시킴으로써 건강과 삶의 질을 개선하는 방법에 대한 혁신을 일으킬 새로운 분야'라고 정의
- 본 보고서의 재생의료 시장 범위는 크게 줄기세포치료제(Stem Cell therapy), 바이오소재(Biomaterial), 조직공학(Tissue engineering), 그 외 기타기술 분야로 분류
 - (줄기세포치료제) 줄기세포치료제는 세포치료제에 속하며 특정 세포 또는 조직 유형을 재생하기 위해 다양한 출처의 줄기세포를 이용
 - (바이오소재) 의료 목적으로 생물학적 시스템과 상호작용하도록 설계된 모든 물질을 포함하며 콜라겐에서 파생되거나 중합체, 단백질 또는 합성물을 포함한 다양한 원료에서 합성, 환자 자신의 세포를 통한 치유를 촉진하고 흉터를 최소화하기 위해 이식
 - (조직공학) 세포, 생물학적으로 활동적인 분자를 기능적인 조직으로 결합한 바이오장기를 사용하여 손상된 조직 또는 장기를 회복·유지·향상. 바이오소재 분야로부터 파생된 분야
 - (기타) 면역세포치료제, 유전자치료제, 유전자변형요법 등이 이에 포함
- 또한 응용분야(Application)별로는 뼈 이식 대체물, 골관절 질환, 피부과, 심혈관, 중추 신경계 등 6가지로 분류하였으며, 세계 지역(Geography)별로는 북아메리카, 유럽, 아시아-태평양 등 5곳으로 나누어 시장을 전망

<참고> 치료기술별 재생의료 시장 현황 및 전망(2014-2021년, 단위 : 억달러)

치료분야	2014년	2015년	2016년	2021년	연평균성장률 (2016-2021년)	2016년	2021년
세포치료	57.5	71.2	88.2	256.5	23.8%	88	257
유전자치료	24.6	30.3	37.4	106.9	23.4%	37	107
면역치료	16.9	21.1	26.2	78.7	24.6%	26	79
조직공학	12.5	15.3	18.8	51.9	22.5%	19	52
총 합계	111.5	137.9	170.6	494.1	23.7%		

출처 : Markets and Markets, Regenerative medicines market - Global forecast to 2021(2016.7), 생명공학정책연구센터 재가공(바이오인더스트리, 글로벌 재생의료시장 현황 및 전망, 2016.11)

※ 생명공학정책연구센터에서 발표한 글로벌 재생의료 시장 현황 및 전망(2016.11) 보고서에서는 전체 재생의료 시장을 크게 세포치료, 유전자치료, 면역치료, 조직공학으로 분류하였으나, 본 보고서에서는 줄기세포치료제를 제외한 세포치료제, 유전자치료제 등을 기타에 포함하여 분류

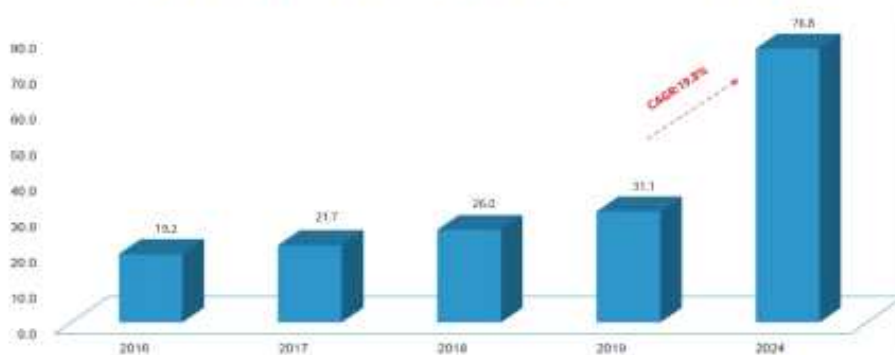
2. 글로벌 재생의료 시장 현황 및 전망

1) 기술별·응용분야별 재생의료 시장 전망

□ 글로벌 재생의료 시장은 2024년까지 768억 달러 규모로 확대될 것으로 전망

- (전체 시장) 글로벌 재생의료 시장은 2018년 260억 달러 규모를 형성하였으며 이후 6년간('19~'24년) 연평균 성장률(CAGR) 19.8%로 빠르게 성장하여 2024년에는 768억 달러 규모로 확대될 전망

[그림 2] 글로벌 재생의료 시장 규모 및 전망(2016년-2024년) (단위:십억달러)

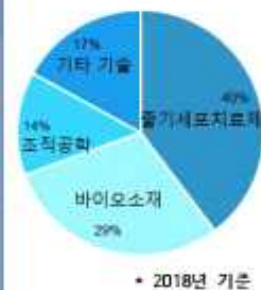


출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- (기술별 시장) 재생의료 기술별 시장 현황은 줄기세포치료제 시장규모가 2018년 40%(103억 달러)의 비중을 차지하며 2024년까지 가장 큰 비중을 유지할 전망
 - 그 다음으로 바이오소재 시장 29%(77억 달러), 조직공학 시장 14%(36억 달러), 기타 기술 시장 17%(44억 달러) 순으로 시장 형성('18년 기준)
 - 재생의료 시장은 다양한 질병과 장애에 대한 광범위한 적용으로 수요가 증가하고 있으나, 규제 가이드라인 등 각 지역의 여러 도전 요인에 직면할 것으로 예상
 - 조직공학은 인간 질병 모델링, 신약 스크리닝, 바이오마커 발굴 등 바이오의약 분야에서 적용 가능성 등 확대 예상

[표 1] 기술별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

기술 유형	2017년	2018년	2019년	2024년	CAGR (%)
줄기세포 치료제	8.6	10.3	12.4	30.6	19.8
바이오소재	6.4	7.7	9.2	22.7	19.8
조직공학	3.0	3.6	4.2	10.5	19.9
기타	3.7	4.4	5.3	13.0	19.7
총합	21.7	26.0	31.1	76.8	19.8



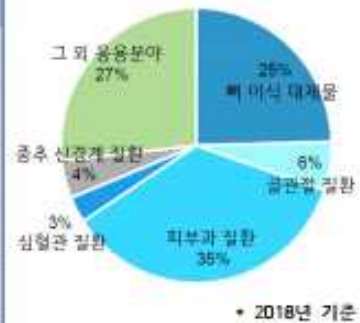
출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

○ (응용분야별 시장) 재생의료 기술이 활용되는 응용분야별 시장은 피부질환 분야가 35%(92억 달러, 2018년 기준)로 가장 높은 비중을 차지

- 만성 상처 치료에 대한 수요는 전 세계적으로 증가하고 있으며 조직공학적 피부대체물 활용 예상
- 뼈 이식 대체물은 골 치료를 촉진하는데 사용되는 물질로 전 세계적으로 매년 약 22억 건의 이식이 이루어짐. 향후 3D 바이오 프린팅 발전으로 조직공학과 밀접한 관련을 보임
- 골관절 질환은 골격과 관절 재건을 위한 생물제품을 개발하며, 관절질환이 미국, 캐나다 등의 만성통증의 주요 원인으로 조사
- 그 외 재생의료 응용분야로 종양학, 안과 등이 있으며, 면역세포 치료제 등으로 암치료에 획기적인 치료법 제공. 또한 안과 분야는 조직공학과 줄기세포를 활용함으로써 급성장 전망

[표 2] 응용분야별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망(2017~2024년, 단위 : 십억달러)

응용분야	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
뼈 이식 대체물	5.3	6.4	7.6	18.9	19.9
골관절 질환	1.2	1.5	1.8	4.3	19.5
피부 질환	7.7	9.2	11.0	27.3	19.9
심혈관 질환	0.7	0.8	0.9	2.2	18.8
중추 신경계 질환	1.0	1.2	1.4	3.4	19.6
그 외 응용분야	5.8	7.0	8.3	20.7	19.9



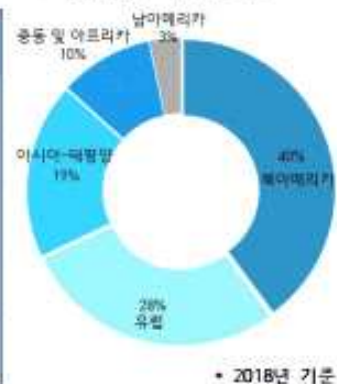
출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

2) 주요 국가별 재생의료 시장 현황 및 전망

□ 지역별 재생의료 시장은 북아메리카 지역이 104억(40%, 2018년)로 가장 높은 비중을 차지하였으나, 연평균 성장률은 아시아-태평양 지역이 23.8%로 급격한 성장 예상

[표 3] 지역별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
북아메리카	8.7	10.4	12.4	29.9	19.3
유럽	6.1	7.3	8.7	20.6	18.9
아시아-태평양	3.9	4.9	6.0	17.5	23.8
중동 및 아프리카	2.2	2.6	3.1	7.0	18.0
남아메리카	0.7	0.9	1.0	1.8	12.6

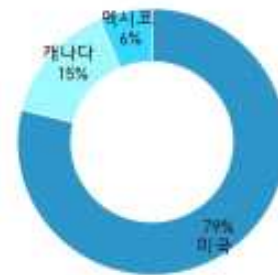


출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- (북아메리카) 미국의 재생의료 시장이 북미에서 79%(2018년 기준)로 가장 큰 비중을 차지하고 있으며, 2024년까지 236억 달러로 성장 예상
 - 미국은 가장 큰 줄기세포 시장 중 하나로, 정부-민간의 높은 줄기세포 연구 투자와 줄기세포 치료제의 높은 구매도가 시장 성장의 가장 큰 원동력.
 - * 2004년에 설립된 미국 국립재생의학센터(NCRM, National Center for Regenerative Medicine)는 재생의료 연구를 전문으로 하며, 다른 관련 기관의 조정기구 역할을 하는 핵심적인 기관
 - 캐나다는 재생의료상용화센터(CCRM, Commercialization of Regenerative Medicine)를 통해 재생의료 산업화의 주요 문제점인 초기 자본 부족과 중앙집중식 연구 인프라 접근성 문제 극복 노력. 캐나다의 재생의료 시장은 2024년 44억 달러로 성장 예상
 - 멕시코는 타 국가 대비 낮은 치료비용으로 인한 국제협력 빈도 증가와 북미에서 멕시코로 유입되는 환자 수의 증가가 멕시코 재생의료의 성장 요인으로 작용

[표 4] 북아메리카 지역 주요 국가별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
미국	6.9	8.2	9.8	23.6	19.3
캐나다	1.3	1.5	1.8	4.4	19.1
멕시코	0.6	0.7	0.8	2.0	20.1



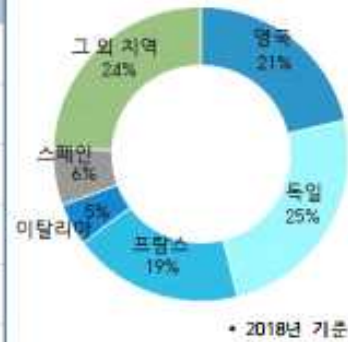
• 2018년 기준

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- (유럽) 주요 국가들은 재생의료 연구개발을 위한 국가적 인프라 구축 및 투자 등을 진행하고 있으며, 유럽 전체 재생의료 시장은 독일이 25%로 가장 높은 비중을 차지
 - 영국은 국립보건연구소(NIHR, National Institute for Health Research) 및 바이오메디컬연구센터 등은 재생의료 임상연구를 위한 세계적 수준의 환경을 제공하며, 연구 활동에 대한 일관성 있는 체계 구축에 노력
 - 독일의 암연구센터(DKFZ, German Cancer Research Center)와 HI-STEM(The Heidelberg Institute for Stem Cell Technology and Experimental Medicine)은 인간 혈구세포를 신경줄기세포로의 직접 교차분화에 성공(2018년)하는 등 독일은 기술 역량과 자금 면에서 좋은 인프라 보유
 - 프랑스의 생명과학 클러스터인 메디센(Medicen Paris Region)은 유럽 재생의료 프로젝트의 핵심역할을 하며, IRMB(Institute for Regenerative Medicine & Biotherapy) 연구소는 면역치료제 등 재생의료에 대한 과학자와 의학적 전문지식을 수집하여 재생医료를 촉진하는 역할
 - 이탈리아 IRM(Italian Regenerative Medicine Infrastructure)는 재생의료 연구개발을 위한 인프라 구축을 목적으로 하고 있으며, 재생의학센터(CMR, Center for Regenerative Medicine)의 활동은 상파줄기세포의 기초적, 중개 연구에 초점을 맞추고 세포와 유전자 치료에서 임상적 응용을 목적으로 연구
 - 스페인은 2003년 「New Assisted Reproduction Act」의 승인 후, 냉동 인간 배아에서 추출한 줄기세포 연구가 가능하며 2004년 줄기세포 연구센터 설립 후 재생의료 연구 촉진

[표 5] 유럽지역 주요 국가별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
영국	1.3	1.6	1.8	4.4	19.0
독일	1.5	1.8	2.2	5.1	18.9
프랑스	1.1	1.4	1.6	3.8	18.8
이탈리아	0.3	0.3	0.4	0.9	17.1
스페인	0.4	0.5	0.6	1.3	18.8
그 외 지역	1.5	1.8	2.1	5.1	19.4



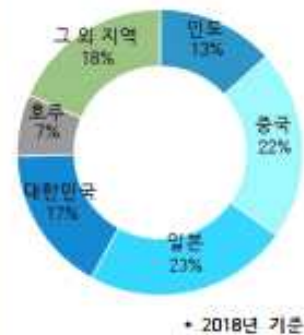
출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

○ (아시아-태평양) 일본이 23%로 가장 큰 비중을 차지하고 있으며, 이 지역의 국가들은 연평균 성장률이 23%를 넘는 급격한 성장 예상

- 인도는 재생의료 연구개발을 대대적으로 추진하여 전국 40개 이상의 산학연병이 연구에 참여하고 있으며, 이는 인도 시장을 더욱 활성화 시킬 것으로 기대
- 중국은 CRMI(China Regenerative Medicine International Limited)와 CBMRT(China Bio-Med Regenerative Technology Limited)의 설립을 통해 국가적으로 재생의료 제품의 연구개발, 생산, 판매를 촉진
- 일본은 법률 제정 등을 통해 재생의료 연구를 촉진하였으며, 미국, 영국 등의 선진국과의 활발한 공동연구는 일본 재생의료 시장의 성장을 더욱 증대시킴
- 한국은 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률안」 법 제정으로 (2019년) 출기세포 치료제 개발을 보다 효율적으로 진행할 것으로 예상
- 호주는 세계에서 가장 큰 재생의학 연구 허브 중 하나인 ARMI(Australian Regenerative Medicine Institute)를 통해 암, 관절염, 노화 등 다양한 협업 연구를 촉진

[표 6] 아시아-태평양지역 주요 국가별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
인도	0.5	0.7	0.8	2.3	23.4
중국	0.9	1.1	1.3	3.7	23.6
일본	0.9	1.1	1.4	4.1	24.1
대한민국	0.7	0.8	1.0	2.9	23.8
호주	0.3	0.3	0.4	1.2	23.3
그 외 지역	0.7	0.9	1.1	3.3	24.0



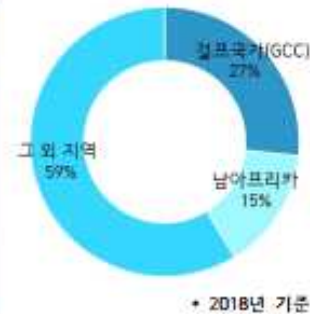
출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

○ (중동 및 아프리카) 전 세계 시장의 10%(2018년 기준) 비중을 차지하고 있으며, 2024년까지 17.8%의 연평균 성장률을 보일 것으로 전망

- 걸프국가에서 인간배아줄기세포를 포함한 줄기세포 연구는 이슬람 샤리아법(Sharia law)에 의해서 허용되고 있으며, 과학기술 인프라 구축 등이 재생의학 성장에 긍정적 요인으로 작용
- 남아프리카는 재생의학 시장 발달 초기 단계에 있으며 아프리카과학아카데미(AAS, Africa Academy of Sciences)와 Stellenbosch 고등연구소(STIAS, Stellenbosch Institute for Advanced Study)가 대표적인 재생의료 연구개발의 중심
- 이스라엘, 터키, 이란 등을 포함한 사하라 이남 아프리카 지역은 재정지원, 기반시설 등의 문제가 재생의료 시장 성장을 둔화시키나, 재생의료를 위한 다양한 프로그램의 개발과 만성 질환의 증가로 18.1%의 연평균 성장률을 보이며 성장할 것으로 예상

[표 7] 중동 및 아프리카 지역 주요 국가별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
걸프국가(GCC)	0.6	0.7	0.8	1.8	17.8
남아프리카	0.3	0.4	0.4	1.0	17.6
그 외 지역	1.3	1.5	1.8	4.1	18.1



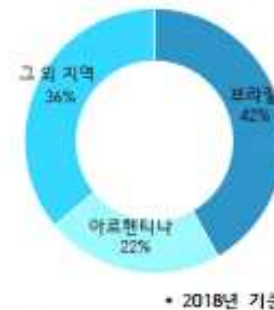
출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

○ (남미) 전 세계 시장의 3%(2018년 기준)의 가장 적은 비중을 차지하고 있으며, 브라질이 남미 지역에 가장 큰 시장(4억 달러, 2018년 기준)을 형성

- 브라질은 2008년 다양한 재생의료 이니셔티브와 국립 줄기세포 치료 네트워크를 구축하였으며, 이는 52개의 연구소와 8개의 세포 테크놀로지 센터로 구성되어 재생의료 연구개발 주도
- 아르헨티나는 2010년에 수립한 10년간의 과학육성 계획인 「혁신 아르헨티나 2020」에 재생의료 연구를 선정하는 등 국가정책의 뒷받침이 재생의료 시장 성장에 긍정적 효과로 작용

[표 8] 남미 지역 주요 국가별 글로벌 재생의료 시장현황 및 전망 (2017~2024년, 단위 : 십억달러)

지역	2017	2018	2019	2024	CAGR (%)
브라질	0.3	0.4	0.4	0.8	12.7
아르헨티나	0.2	0.2	0.2	0.4	12.8
그 외 지역	0.3	0.3	0.4	0.6	12.4



출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

3. 시장 영향 요인 및 환경 분석

1) The Porter's five forces 분석

- 글로벌 재생의료 시장은 신규자 진입도가 높으며 시장 형성 초기 단계로, 구매자의 교섭력과 대체품의 위협이 낮은 특성을 지님
- 글로벌 재생의료 시장은 시장형성 초기 단계로, 시장 선도자의 구분이 명확하지 않으며, 제약회사들의 라이선싱-인 전략으로 신규자 진입도와 시장 경쟁력이 높은 특징
 - 하지만, 상용화된 제품의 수가 적고 재생의료 치료제를 대체할 치료법이 적어 구매자의 교섭력과 대체품의 위협이 낮은 것으로 분석

[표 9] 글로벌 재생의료 시장의 The Porter's five forces 분석결과

구분	분석	세부 분석 내용
신규자 진입 (NEW ENTRANTS)	높음	- 시장형성은 아직 초기 단계이며, 시장 선도자의 구분이 명확하지 않음 - 제약회사들은 자체에서 임상실험을 하기 보다는 생명공학회사와 라이선싱 인(in-license) 하여 제휴하는 것을 선호
구매자의 교섭력 (POWER OF BUYER)	낮음	- 상용 제품의 수가 적기 때문에 구매자를 위한 옵션은 제한적 - 재생의료 기반 치료법을 찾는 환자가 소수에 불과하고 기존의 모든 제품은 고비용이며, 복잡한 보상 절차를 따름
공급자의 교섭력 (POWER OF SUPPLIERS)	낮거나 보통	- 재생의료 기반 치료제 제조업체는 그 자체로 재생의료 기반 시작 제품을 공급. 재생의료 제조업체와 재생의료 기반 제품의 공급자는 사실상 구별되지 않음 - 장기 이식 및 조직 배양 배지와 같은 제품의 경우, 전문 생명공학 회사가 원료를 공급
대체품의 위협 (SUBSTITUTE PRODUCTS/SERVICES)	낮음	- 재생의료 기반 제품 자체가 기존 의약품 치료 모델의 대체품 - 기존 제품보다 재생의료 제품이 더 나은 치료법을 제공하기 때문에 대체하려는 구매자의 교섭력 감소
시장에서의 경쟁력 (COMPETITIVE RIVALRY)	보통 보다 높음	- 연구 관심 분야는 다양하지만 기존 플레이어들 간의 광범위한 연구개발(R&D) 경쟁 중 - 의료 및 생명공학 회사와 제휴하고 인수하기 위한 대형제약사 간의 치열한 경쟁 중

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

2) 성장 및 저해 요인

- 재생의료는 줄기세포 기술 및 신기술과의 융합 등으로 다양한 응용범위와 치료 잠재력을 가지며, 이는 활발한 정부와 민간의 투자를 유인하여 성장 요소로 작용
- 재생의료는 흔한 질병에서부터 희귀한 질병까지 치료할 수 있는 높은 잠재력을 가지며 최근 3D 바이오프린팅의 발달로 기존보다 쉽고 저렴하게 조직 구조 제작 가능
 - 조직공학, 유전자치료 등 복합적인 학문을 다루는 줄기세포 기술은 기존의 치료가 어려웠던 백혈병 외에도 심장 및 피부, 안과 등 다양한 분야에서 치료법 제공
 - ※ 미국 National Marrow Donor Program에 따르면 혈액 줄기세포 이식으로 치료할 수 있는 질병으로 급성/만성 골수성 백혈병, 급성 림프성 백혈병 등이 있음
 - ※ 유럽에서 매년 26,000명 이상의 환자가 혈액 줄기세포로 치료 중이며(EuroStemCell), 미국에서 약 2만 건의 성체줄기세포 이식이 실시(Charlotte lozier Institute)
 - 또한 3D 바이오프린팅 기술의 발달로 시제품 제작과 생산에 활용되어 신장, 피부 조직, 혈관, 뼈 등과 같은 조직 구조 형성으로 새로운 질병 치료 가능성 제공
- 미국 등 선진국에서 재생의료 관련 정부 및 민간 투자 증가가 재생의료산업의 성장요인으로 작용
 - 미국 NIH의 2018년 줄기세포 및 재생의료 관련 연구과제 수는 각각 4,779개, 2,629개이며, 연구비는 총 약 21억 달러(약 2.5조원) 규모로 정부 투자 활발
 - 캐나다는 2016년 줄기세포 전략 발표를 통해 향후 필요한 예산 및 전략 수립
 - ※ 캐나다 연방정부는 줄기세포 연구개발을 위해 혁신적 네트워크와 클러스터 지원에 약 8,900억 원 지원 발표(2016.3)
 - 중소기업들은 연구와 치료 목적의 조직 모델을 개발하기 위하여 대기업과 합병 중이며, 재생의료 관련 기업의 벤처캐피탈 투자 급증
 - ※ 재생의료 관련 기업의 벤처캐피탈이 2011년 2억 9,600만 달러에서 2016년 8억 7,200만 달러로 약 34% 증가(Goldman Sachs)
- 재생의료 제품의 허가·승인과 관련된 엄격한 규제 및 배아줄기세포 사용의 윤리적 이슈 논쟁과 고가의 치료제 가격은 재생의료시장 성장의 저해 요인으로 작용
- 배아줄기세포 연구는 인간 배아 또는 난자 사용으로 인한 윤리적 논란으로 줄기세포치료제의 상용화와 특허를 위해서는 당국이 부과한 여러 단계의 규제가 수반
 - 배아줄기세포가 질병과 부상 치료에 도움이 되더라도 인간 배아의 파괴에 대한 정당성에 대한 이슈 제기로 엄격한 윤리적인 규정 제정
 - ※ 영국은 줄기세포 생성과 사용 전에 연구 제안서를 정부 기관인 HFEA(Human Fertilization Embryology Authority)와 HTA(Human Tissue Authority)에 제출하고 줄기세포 사용의 적절성을 확인 후, 승인이 되면 영국 줄기세포 은행에 저장 필요. 이는 줄기세포의 품질을 유지하는 등 장점은 존재 하나, 줄기세포 연구의 진보와 혁신의 범위를 제한하고 시장의 성장을 제한

- 또한 재생의료 시장에 진출하는 기업들은 제품의 허가·승인을 위해 규제 기관과 협상이 필요하며, 이는 시장의 성장을 방해하는 요인으로 작용
- 줄기세포치료제는 높은 R&D 비용 및 제조비용으로 인해 가장 값비싼 치료법 중의 하나로, 이는 다양한 국가에 걸친 연구 및 시장 성장을 저해
 - 승인된 대부분의 세포/유전자 치료제 비용은 고가이며, 줄기세포 저장 인프라 장비에도 상당한 자본 투자 필요
 - ※ 미국 대부분의 줄기세포치료 클리닉은 1회당 약 1만 달러를 청구하며, 미국 외 국가는 더 비싼 2만에서 10만 달러까지 지불. 무릎 관절 연골 결함 치료 제품인 스페록스(Spherox)는 치료 당 12,000달러의 가격을 책정(유럽 EMA)
 - 줄기세포치료제 관련 고비용은 개발도상국이나 저개발 국가들에서의 재생의료 연구 및 시장 발달의 걸림돌로 작용


3) 기획 및 도전 요인

- 장기이식의 수요 증가로 인한 장기 부족 현상은 줄기세포치료제를 활용한 재생의료 시장의 기획요인이 될 것으로 전망
 - 글로벌 장기이식의 수요는 급속도로 증가하는 반면에, 장기 기증자의 수는 공급을 따라가지 못하는 상황이며, 또한 장기이식 거부반응에 대한 문제 존재
 - 세계보건기구에 따르면 장기이식은 전 세계 공공 수요의 10% 미만으로 장기 부족 문제 심각
 - ※ 매년 약 28,000명의 장기이식이 진행되며, 약 12만 명이 장기이식의 대기자로 포함. 대기자의 대부분은 장기이식을 받기 전 사망하는 문제점 발생
 - 이러한 장기 부족 현상을 줄기세포 연구로 대체하여 해결하는 방안이 재생의료 시장의 기획요인으로 작용할 것으로 예상
 - 최근 일본에서 iPSC를 이용해 만든 각막이식에 성공(2019.8)하는 등 임상시험을 진행
 - ※ 일본은 세계 최초로 iPSC를 이용한 망막질환(2014), 파킨슨병(2018), 심장병(2018), 척수손상(2019) 등 치료를 위한 임상시험을 허가
- 재생의료의 주요 타겟인 만성질환, 외상관련 치료는 개발도상국 등에 수요가 많으나 제품 및 연구개발의 고비용 등으로 현지에 상용화가 어려운 실정
 - 만성질환과 외상치료의 수요가 높은 개발도상국에서, 연구개발에 필요한 숙련된 인력, 고급 의료 인프라가 필요하나, 이에 대한 재정 및 투자가 부족한 상황
 - ※ 전 세계 만성질환 사망자의 약 80%, 부상과 외상으로 인한 사망자의 약 90%가 개발도상국에서 발생
 - 개발도상국들은 정부 및 민간의 자금 지원과 연구 인프라 조성 등의 문제점을 해결하는 것이 재생의료 시장의 도전 요인으로 작용
 - ※ 브라질은 세계 최대 규모의 심장병 관련 줄기세포 임상시험을 실시하고 있지만, 정부의 투자, 재료 수입의 문제, 중개연구를 위한 산학연병의 부족한 연계성 등의 문제를 보유

4. 주요 기업 현황

- Allergan, Baxter, ThermoFisher Scientific, Becton Dickinson and Company, Sigma Aldrich 등이 글로벌 재생의료 시장에서 주요하게 활동 중
- Allergan는 100여 개국에 40개의 제조시설, 27개의 글로벌 R&D 센터를 가지고 있으며 오픈 사이언스를 R&D 모델로 구축하는 등 최근 다양한 합병에 중점을 둠
 - 주요 제품 포트폴리오는 증추신경계, 안과, 의학미학 및 피부과 등 카테고리 제품들로 구성


[표 10] Allergan 기업 개요 및 SWOT 분석

Allergan	분류	기업 SWOT분석
 Founded in 2013 Dublin, Ireland Operations: Worldwide ~ 17,800 Employees Revenue (2017) USD 15,940 million +1 (862) 261-7000 www.allergan.com	강점	<ul style="list-style-type: none"> • 보톡스 제조 업계 선두업체 • 고도로 숙련된 직원들로 구성 • 강력한 제품 파이프라인 • 높은 R&D 투자
	약점	<ul style="list-style-type: none"> • 대부분의 수익은 미국 기반 운영에서 발생 • 낮은 신흥 시장에서의 진출 • 공급업체 의존도가 높음
	기회	<ul style="list-style-type: none"> • 공급업체 및 고객에 대한 제어 개선 • 전 세계 비만 인구가 지속적으로 증가하고 있음 • 미국에서 신경 장애를 가진 노인 인구가 증가
	위험	<ul style="list-style-type: none"> • 주요 특허 만료 • 글로벌 경기 둔화 • 대형 경쟁사

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- Baxter는 전 세계적으로 약 50개의 제조시설, 100개 이상의 유통시설을 보유하고 있으며, 약 105억 달러(2017년 기준) 매출을 달성
 - 신장 치료 및 약물전달 치료 장치가 주요 매출품이며, 향후 급성 또는 만성질환을 치료하는 의료 제품으로 포트폴리오를 다양화하고 확대하는 중









[표 11] Baxter 기업 개요 및 SWOT 분석

Baxter	분류	기업 SWOT분석
 Founded in 1931 Deerfield, Illinois, USA Operations: Europe, Asia-Pacific, North America, and Rest of World ~47000 Employees Net Sales (2017) - 10,561 USD million www.baxter.com	강점	<ul style="list-style-type: none"> • 20개국에서 제품을 생산해 약 100개국에서 판매 • 전략적 인수를 통한 상호적 사업으로 다양화됨
	약점	<ul style="list-style-type: none"> • 여러 기관 내 고객들의 항의로 최근 자사 제품을 환기시킴 • 자발적 제품 리콜로 인한 이미지 손상이 우려
	기회	<ul style="list-style-type: none"> • 전략적 기획으로 일반적인 주입이 가능한 의약품 포트폴리오 확장 • 신제품 출시로 인한 매출 성장
	위험	<ul style="list-style-type: none"> • 변동환율의 영향 • 치열한 경쟁에 의한 시장 점유율 잠식 • 미국의 의료개혁

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- Thermo Fisher Scientific는 Thermo Fisher는 유전자 검사 및 정밀 검사 장비 시장 진입을 목표로 Life Technologies Corp.를 136억 달러에 인수(2014년)
- 실험실 제품과 서비스에 대한 매출이 약 36%를 차지하고 있으며, 미국이 주요 타겟시장으로 전체 매출의 51%를 차지



[표 12] ThermoFisher Scientific 기업 개요 및 SWOT 분석

       	분류	기업 SWOT분석
	강점	<ul style="list-style-type: none"> • Orbitrap Mass Spectrometry Platform의 도입으로 매출 증대 기대 • 과학 분석 장비, 소모품, 시약 및 소프트웨어를 포함하는 광범위한 포트폴리오
	약점	<ul style="list-style-type: none"> • 상당한 부채로 운영에 부정적인 영향 • 제약 및 생명공학 기관에 대한 높은 의존도
	기회	<ul style="list-style-type: none"> • 인도, 중국, 남아프리카와 같은 신흥국으로부터의 수익 증가 • 전략적 인수와 같은 장기 성장 투자 • 기술, 소프트웨어 및 서비스의 기능 깊이와 고객의 새로운 요구를 해결할 수 있는 광범위한 글로벌 채널
	위험	<ul style="list-style-type: none"> • 다양한 연방, 주 및 외국 기관에 의해 다양한 법률과 규정 준수 • 치열한 시장 경쟁

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

- Becton Dickinson and Company는 의료기기, 주요 시스템 및 시약 제조 판매하는 미국 소재 의료 기술 기업으로 2017년 기준 120달러 매출 달성
- 의약품 관리 절차 부문에서 매출의 대부분을 창출하며, 그 다음으로는 의약품 경영 절차 부문이며 미국이 주요 활동 시장임

[표 13] Becton Dickinson and Company 기업 개요 및 SWOT 분석









       	분류	기업 SWOT분석
	강점	<ul style="list-style-type: none"> • 매년 최소 25년 동안 배당금을 인상 • 2016 회계연도에 대한 회사의 수익 및 수익 지침이 상향 조정됨
	약점	<ul style="list-style-type: none"> • 새로운 의료기기세로 내년에 4,500만 달러를 지출할 것으로 예상 • 전년 동기 대비 총 이익 및 영업 이익이 소폭 하락
	기회	<ul style="list-style-type: none"> • 신흥시장에서 운영매출이 약 25%를 차지 • 의료 안전 및 오류 방지 분야에서 새로운 비즈니스 라인이 열림
	위험	<ul style="list-style-type: none"> • 제품 승인이나 규정은 운영과 수익성에 위협이 될 수 있음 • 지리적으로 다양한 기반은 환율 리스크를 가져옴

출처 : Mordor Intelligence, 'Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

○ Sigma Aldrich는 독일에 본사를 둔 Merck KGaA의 자회사로 화학, 제약, 생명과학 분야에 중점

- 헬스케어 부분 매출이 점유율(50%)에 기여하고 있으며, 아시아-태평양 지역(32%) 및 유럽 지역(31%)에서 주요 수익을 창출

[표 14] Sigma Aldrich 기업 개요 및 SWOT 분석

  Founded in 1668  Damstadt, Germany  Operations: Worldwide  ~ 69,000 Employees (As of December 2017)  Revenue (2017) 15,327 EUR million  0049 6151 72-0  www.merckgroup.com	분류	기업 SWOT분석
	강점	<ul style="list-style-type: none"> • 우수한 재무 성과 • 강력한 연구개발 능력 • 글로벌 풋프린트
	약점	<ul style="list-style-type: none"> • 견고한 제약 파이프라인 부족 • 대부분의 의약품이 개발 초기 단계에 있음
	기회	<ul style="list-style-type: none"> • 신제품 및 기술 출시 • 새로운 제조 및 R&D 시설
	위협	<ul style="list-style-type: none"> • 부정적인 정치 및 거시경제 발전 • 의료비용 억제 조치 • 비용 및 시간 소모적인 개발 프로세스

출처 : Mordor Intelligence, "Global Regenerative Medicine Market, (2018.12) 생명공학정책연구센터 재가공

분석 리포트 : 재생의료 규제동향

* 자료 제공 : 첨단 세포조직공학제제 평가기반 연구단(ACTER, 18172MFDS182)

1. 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률(2019년 8월 27일 제정)

[제정 배경] 첨단재생의료/첨단바이오의약품의 기존약품과의 특수성을 고려할 필요 존재

- 생명공학의 발달과 더불어 첨단재생의료는 난치성 질환 극복을 위한 미래기술로 주목받고 있음.
- 그러나, 첨단재생의료/첨단바이오의약품은 기존의 치료기술/의약품과는 다른 특수성이 존재하여, 이와 같은 특수성을 고려하여 안전성 및 유효성을 보아야 할 필요가 있음.
- 이에 임상연구에서 제품화에 이르는 폭넓은 제품화 주기에 걸쳐 안전관리 및 지원체계를 마련함으로써 타당한 수준의 안전성과 유효성을 확보하고 연구의 활성화 및 신속한 제품개발 지원을 통해 국민보건 향상에 이바지하고자 동 법률을 제정함.

[주요 내용] 동 법의 제정이유와 법령 제목에서 기술된 바와 같이, 첨단제제의 특성을 반영하여 환자의 안전을 보장하고 관련 연구 및 개발을 활성화하기 위한 법적 근거를 제시

□ 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품의 특성 반영

- ‘첨단재생의료’와 ‘첨단바이오의약품’의 규정적 정의(제2조): 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학제제, 첨단바이오융복합제제 등 향후 기술 개발까지 염두에 둔 규정적 정의를 통해 기존의 의약품과 별개로 관리할 수 있는 근거 마련
- 장기추적조사(제21조 및 제30조): 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품은 기존의 약물과 달리 장기간 체내 잔존하거나, 작용기전 상 장기적인 영향을 미칠 가능성이 있어 그 안전성 및 유효성에 대한 장기추적조사가 요구됨. 동 법에서는 이와 같은 특성을 반영하여 장기추적조사에 대한 실시 여부를 사전에 고려하고, 각각 안전관리센터와 규제과학센터를 통해 체계적으로 장기추적조사가 이루어질 수 있도록 하였으며, 특히 첨단재생의료 임상연구의 경우에는 장기추적조사에 정부가 경비를 지원할 수 있도록 함.
- 이력추적(제16조 3항, 제29조 제1항 제3호): 생존 기증자로부터 얻은 세포를 원료로 하는 경우에는 전염성 질환의 전파 위험이 있으므로, 기증자에서부터 투여받은 환자에 이르기까지 지속적으로 건강 정보를 모니터링하고 문제가 발견되었을 때 상호 추적이 가능해야 추가적인 위험을 방지할 수 있음. 이와 같은 이력추적이 가능하도록 기증자로부터는 동의를 받도록 하고, 인체세포등 관리업자는 제조업자에게 기증자를 추적할 수 있는 정보를 제공하도록 함.
- 제조시설 및 실시기관에 대한 별도의 관리감독(제10조 및 제15조): 첨단재생의료 임상연구의 경우, 첨단재생의료 임상연구에 적합한 요건을 갖춘 기관을 ‘첨단재생의료실시기관’으로,

세포처리업무를 수행하기에 적절한 요건을 갖춘 기관을 ‘첨단재생의료세포처리시설’로 별도로 지정 및 관리하도록 함.

- 위험도에 기반한 규제 적용(제2조 제3호, 제12조): 첨단재생의료 임상연구의 경우 승인 요건을 일괄적으로 정하지 않고 인체에 미칠 수 있는 영향력이 알려져 있는 정도와 그에 따라 예측되는 위험도에 근거하여, 승인을 위한 규제 절차에 차이를 둬으로써 첨단재생의료의 특성에 따른 규제가 이루어질 수 있도록 하고 부당한 위험에 환자가 노출될 가능성을 최소화함.

□ 환자의 인권 및 안전성 보장

- 첨단재생의료 연구 과정에서 환자에게 비용 청구를 금지(제10조 제5호)함으로써 아직 안전성과 유효성이 완전히 입증되지 않은 요법에 대하여 환자에게 부당한 부담이 가지 않도록 함.
- 환자가 연구에 참여 결정을 내리기 전, 연구 대상 요법에 대한 충분한 설명이 이루어진 상태에서 동의(제11조)를 받도록 함으로써, 환자가 정보에 기반한 결정을 내릴 수 있도록 함.
- 첨단재생의료 임상연구에 있어 대부분의 안전관리 역할을 담당하는 첨단재생의료안전관리기관은 보건복지부 소속기관 중에서 지정(제19조)하도록 함으로써, 안전관리는 정부 기관의 책임으로 실시함.
- 재생의료기관 뿐만 아니라 연구대상자도 직접 재생의료기관 또는 안전관리기관의 장에게 이상반응을 보고(제20조)할 수 있도록 하고, 국가 지정기관인 안전관리기관이 그에 대한 조사를 실시하도록 함으로써 체계적인 안전성 모니터링 및 이상반응 보고에 따른 후속조치가 이루어질 수 있도록 함.
- 시행부처인 보건복지부장관 및 식품의약품안전처장에게는 국민보건에 위해를 주었거나 줄 염려가 있는 상황에 대해 다양한 수준의 지시 및 처분 등 감독에 필요한 권한을 부여(제36조~제46조)함으로써 안전관리 체계가 유지될 수 있도록 함.
- 연구에 참여하는 연구대상자의 보호를 위해 재생의료기관은 보험에 가입하고 피해 발생 시 정해진 기준에 따라 보상이 이루어지도록 규정(제11조, 제4항)함.
- 기증자 및 연구참여자가 부당한 유인이나 피해를 입지 않도록 거짓, 과대 광고 금지(제48조), 인체세포 등의 매매 금지(제49조), 정보 누설 등의 금지(제50조) 등의 사항을 규정하고 있음.

□ 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 지원 활성화

- 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 지원 및 관리에 관한 시행계획을 5년마다 수립하고 추진하도록 함(제5조 및 제6조).
- 첨단재생의료 지원기관(제9조)과 규제과학센터(제32조)를 설립 또는 지정하고 일부 필요 경비를 예산의 범위에서 보조할 수 있도록 함(제9조 및 제32조)으로써, 연구 및 개발 진흥을 위한 사업을 체계적으로 추진하도록 함.

- 대체치료제가 없고 생명을 위협하는 등 중대 질환의 치료를 목적으로 하는 등의 경우에는 신속한 제품 개발을 위해 맞춤형 심사, 우선 심사, 조건부 허가 등 다양한 규제 방안 제시(제36조 및 제37조).

2. 유럽연합의 첨단제제용 임상시험관리규정(GCP) 제정

□ 제정배경

- 유럽연합에서는 2007년 제정한 유럽연합 법률에 근거한 첨단제제(advanced therapy medicinal products, ATMP)가 가지고 있는 복잡하고 혁신적인 특성들을 반영하여 임상시험이 이루어질 수 있도록, 지난 2019년 10월 16일 첨단제제용 임상시험관리규정을 제정함[Guidelines on Good Clinical Practice specific to Advanced Therapy Medicinal Products].

□ 지침 범위

- 첨단제제와 관련하여, 임상시험 설계, 비임상 시험, 임상시험용 첨단제제의 품질, 안전한 임상시험 실시, 시험대상자에게 중재를 실시하기 이전 단계 및 투여 절차, 이력추적, 검체 보관, 임상시험 대상자의 보호, 안전성 보고, 모니터링에 대한 사항들을 다룸

□ 주요 내용

- 임상시험에서 위약대조군의 사용: 첨단제제 투여, 또는 세포나 조직 채취 및 추출에 침습적 절차가 요구되고 해당 절차가 최소한의 위험 및 최소한의 부담을 상회할 경우에는, 위약을 투여 받는 대조군이 절차를 받도록 해서는 안되며, 해당 절차에 따른 위험이 임상시험 계획서에 충분히 설명되어야 함.
- 미지의 장기적 영향(long-term effect)의 가능성: 해당 첨단제제의 생물학적 활성 유지기간을 고려하여 시험대상자를 추적관찰 해야 하지만, 지연성 이상반응의 위험이 낮은 경우에는 필요하지 않을 수도 있음.
- 이상반응 수집: 첨단제제의 임상시험 중 이상반응 수집에는, 적절한 경우, 첨단제제의 각 성분(예: 복합제제인 경우 세포 성분 부분과 의리기기 부분), 투여 과정, 경우에 따라 요구되는 병용 요법에 대한 인과관계의 개별적 평가를 반영할 수 있도록 보고양식과 데이터 수집 시스템(중대한 이상반응 보고서식, 이상반응 기록을 위한 증례기록서)을 변형해야 함.
- 이력추적(traceability): 시험기관에서의 임상시험용 의약품 수령부터 시험대상자 투여에 이르기까지, 그리고 사람유래 세포나 조직을 함유하는 첨단제제의 경우에는 기증자에서부터 시험대상자에까지 이르는 이력추적이 이루어져야 하며, 이 경우에는 양방향(즉, 기증자로부터 시험대상자, 시험대상자로부터 기증자) 이력추적이 가능해야 하고 임상시험 승인 시 특별히 더 장기간이 요구되지 않는 한 해당 제품의 유통기한 후 30년간 자료를 보관해야 함.