



줄기세포 Trend Watch No.4 (2019. 11. 1 ~ 12. 31)

학정협력위원회(정형민 위원장, 박한진 위원, 김무웅 위원)

[Contents]

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

- <u>일본, 인간-동물 하이브리드 배아 실험 허용</u>	2p
-----------------------------------	----

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

- <u>2019년 11월 성과</u>	4p
-----------------------	----

- <u>2019년 12월 성과</u>	7p
-----------------------	----

동향 및 뉴스 : 줄기세포 동향자료와 뉴스에 관한 정보 제공

- <u>줄기세포 동향</u>	9p
------------------	----

- <u>줄기세포 뉴스</u>	9p
------------------	----

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

- <u>글로벌 세포 및 유전자치료제 시장현황 및 전망</u>	11p
------------------------------------	-----

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

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

[No.54]
BioInglobal

일본, 인간-동물 하이브리드 배아 실험 허용

작성자 : 최인성 박사(한국생명공학연구원 명예연구원)

출처: Nature, 2019.07.

※ 본 원고는 원본 원고의 내용을 중개하여 각색한 내용을 포함하고 있습니다.

(원제 : Japan approves first human-animal embryo experiments)

<https://www.nature.com/news>

<개요>

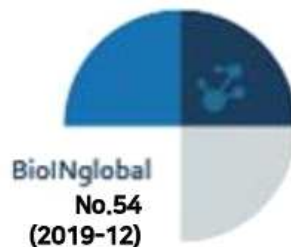
- 일본 정부는 세계 최초로 인간 세포를 가지고 있는 동물 배아를 만든 후 이 하이브리드 배아를 대리모 역할을 하는 동물에 이식하는 실험을 진행하도록 승인하고 연구비를 지원할 예정임
- 이 연구는 장기이식이 필요한 환자들이 절실하게 필요로 하는 이식용 장기의 새로운 공급원 개발로 이어질 가능성이 높음. 그러나 윤리적 및 기술적 장벽을 극복하는 것이 우선되어야 함

기사 내용

- 일본은 지난 4월 인간-동물 하이브리드 배아와 관련된 규제를 개정함
- 일본 교육과학성은 인간-동물 하이브리드 배아를 만들어 대리모에 이식한 후 출산할 때까지 배양할 수 있도록 지침을 바꿈
- 동경대학과 스탠포드대학의 연구팀을 이끄는 Hiromitsu Nakauchi는 쥐와 생쥐의 배아에서 인간 세포를 배양한 후 대리모에 이식하는 연구를 계획하고 있음. 연구팀의 최종 목표는 인간에게 이식할 수 있는 인간세포에서 유래한 이식용 장기를 동물에서 생산하는 것임
- 미국의 경우 규정에 따르면 인간-동물 하이브리드 배아를 만들어 14일까지 배양할 수 있도록 되어 있으나, 2015년부터 미국 국립보건원은 이런 종류의 연구에 연구비를 지원하지 않고 있음
- 연구팀은 연구과제와 관련된 대중들의 관심과 우려를 고려해 생쥐, 쥐, 돼지를 기반으로 하는 하이브리드 배아를 순차적으로 만들어 신중하게 실험을 진행시킬 계획이며, 돼지 하이브리드의 경우 최장 70일까지 대리모의 자궁에서 배양할 계획임

윤리적 우려

- 일부 생물윤리학자들은 목표로 하는 장기를 벗어난 인간 세포가 우연히 대상 동물의 뇌에 도달해 실험동물이 인간의 인식 능력을 일부라도 갖게 되는 경우를 우려하고 있음
- 연구팀은 윤리적 우려를 불식하기 위해 특정장기를 형성하는데 필요한 유전자를 제거한 동물 배아에 인간의 induced pluripotent stem(iPS) 세포를 주입하는 방식을 채택함으로써, 제거된 유전자로 인해 동물 배아가 성장하는 과정에서 스스로 만들 수 없게 된 세포 대신 인간 세포를 사용하도록 할 예정임
- 2017년 Nakauchi와 동료들은 쥐의 배아를 활용해 배양한 생쥐의 췌장을 당뇨병을 앓고 있는 유전자변형 생쥐에 이식해 GM생쥐의 당뇨병을 효율적으로 치료하는데 성공함
- 그러나 진화과정 상 인간과 근연관계가 아닌 동물의 배아에서 출산 때까지 인간 iPS 세포를 배양하는 기술은 이 과정에 대한 보다 깊은 분자학적 이해와 새로운 전략적 사고 등 아직 해결해야 할 문제점들이 많음
- Nakauchi 연구팀은 동물배아에서 인간세포를 배양하는데 장애가 되는 요인들을 확인하는 연구를 계획하고 있음



- ◇ BioNglobal은 해외의 다양한 분석 보고, 언론 기사 등을 참고하여 전문가의 시각에서 작성되었으며, 생명공학정책연구센터의 공식 견해는 아닙니다.
- ◇ 본 자료는 생명공학정책연구센터 바이오인사이트(<http://www.bioin.or.kr>)에서 다운로드 가능하며, 자료의 내용을 인용할 경우에 출처를 명시하여 주시기 바랍니다.

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. 11월>

□ 해외 주요 연구성과

○ 미국의 주요 연구성과

- 영장류 '장배 형성(gastrulation)*' 과정 최초 관찰(미국 소크 연구소 유전자 발현 실험실 후안 카를로스 이스피수아 벨몬테 교수, 중국 쿤밍(昆明) 과학기술대 영장류 중개 의학 연구소 지 웨이즈 교수, '19.11.4)

* 배아 줄기세포의 분화 방향이 결정되는 초기 배아 발달의 핵심 단계

※ Science 게재

- 우주에서 hiPSC*를 분화시킨 심근세포 관찰, 심근세포의 기능 변화 사실 발견 (미국 스탠퍼드대 의대 연구팀, '19.11.7)

* 체세포에 유전자를 도입해 역분화, 다른 조직 분화능을 갖게 만든 줄기세포

※ Stem Cell Report 게재

- 다른 동물의 줄기세포로 이뤄진 폐를 생쥐에 생기게 하는 줄기세포 분화 기술 개발(미국 컬럼비아대 의대 연구진, '19.11.11)

※ Nature Medicine 게재

- 노화 도파민 뉴런* 특정 화학물질 분비해 주변 뉴런 노화 상태 유도 발견 (미국 록펠러대 연구진, '19.11.12)

* 도파민 호르몬을 생성하는 뉴런, 인간 줄기세포를 도파민 뉴런으로 배양

※ Cell Stem Cell 게재

- 암 줄기세포에서 새로운 생물표지* 발견(미국 휴스턴대 약대 고미카 우두가 마수리야 의료 화학 부교수팀, '19.11.15)

* 플렉틴(plectin), 체내에서 비정상적인 일이 벌어지고 있음을 알리는 분자

※ Nature Scientific Reports 게재

○ 기타 국가의 주요 연구성과

- 암 줄기세포에서 췌장암 관련 단백질* 발견(영국 생명의학 연구센터 프란시스 크릭 연구소 빅토리아 왕 박사, '19.11.15)
 - * CD9 단백질, 줄기세포의 악성 성장에 중요한 역할
- iPS세포 유전자 안정화시켜 암화 억제 메커니즘* 발견(일본 도쿄공대 연구팀, '19.11.21)
 - * DNA 회복, 세포주기 체크포인트, 아포토시스 관련 유전자가 일반세포보다 활성화

□ 국내 주요 연구성과

○ 줄기세포 관련 기초·기전연구

- 결핵에 효과적인 약물 선별 기법* 개발(질병관리본부 국립보건연구원 김정현 보건연구관 연구팀, '19.11.1)
 - * 분화능줄기세포 활용해 마크로파지 대량 생산 기술
 - ※ Stem Cell Report 게재
- 콜라겐·세포 바이오잉크* 기반 근섬유다발 제작(성균관대학교 김근형 교수, 전남대학교 의과대학 장철호 교수 공동 연구팀, '19.11.27)
 - * 한 방향 배열된 금 나노와이어를 따라 지방줄기세포의 근육세포 분화 유도
 - ※ Nano Letters 게재

○ 줄기세포 관련 실용화 기반기술 성과

- 인체 이식한 줄기세포 추적하는 표지 및 영상화 기술* 개발(한국과학기술연구원(KIST) 테라그노시스연구단 김광명 박사팀, 김동익 동국대학교 일산병원 신경과 박사팀, 19.11.7)
 - * 산화철 기반 복합조영제 나노입자 개발해 고감도 복합영상 획득 성공
 - ※ ACS NANO 게재
- 계란 껍질 이용해 의료용 소재로 활용할 수 있는 생체소재* 개발(전남대학교 지역·바이오시스템공학과 김장호 교수 연구팀, '19.11.19)
 - * 그래핀 코팅된 난간막으로 줄기세포 부착, 증식, 분화 기능 향상, 다양한 치료제 활용
 - ※ Applied bio materials 게재

- 인간 줄기세포 배양 특화된 자동화 바이옱터 시스템* 개발(강원대학교 바이오 산업공학부 임기택 교수, '19.11.21)
- * 정밀온도 조절 배양챔버, 전단응력, 저 산소 생체역학 신호를 유도 제어 프로그래밍
- ※ Biochemical Engineering Journal 게재

○ 줄기세포 관련 특허 성과

- 역분화 희소돌기아교전구세포 관련 호주 특허* 취득(스텝랩, '19.11.15)
 - * Oct4가 도입된 인간 체세포로부터 직접적 리프로그래밍을 통한 희소돌기 아교전구세포를 유도하는 방법
- 중간엽줄기세포 유래 엑소좀 배양·제조 관련 특허* 취득(안트로젠, '19.11.18)
 - * 중간엽줄기세포 유래 고순도·고농도 엑소좀을 포함하는 배양액 및 이의 제조방법
- 암줄기세포 관련 기술 유럽 특허* 등록(나이백, '19.11.26)
 - * 암세포 정밀 타겟이 가능한 펩타이드 기술
- 유도만능줄기세포 제작 관련 유도인자 유럽 특허* 취득(셀리버리, '19.11.26)
 - * 유도만능줄기세포 제작을 위한 세포투과성 역분화 유도인자

<2019. 12월>

□ 해외 주요 연구성과

○ 미국의 주요 연구성과

- 무릎 슬개골 힘줄에서 반흔조직 세포와 함께 새로운 줄기세포를 발견(미국 카네기 과학연구소(Carnegie Institution for Science)의 타일러 하비 박사 연구팀, '19.12.2)

※ Nature Cell Biology 게재

- 자가 복제능이 있는 조혈모세포 배양을 통해 백혈병 치료 가능성 발견(미국의 캘리포니아대학 로스앤젤레스캠퍼스(University of California, Los Angeles, UCLA) 연구팀, '19.12.2)

※ Nature 게재

- 조직 재생 과정 촉진하는 새로운 바이오프린터 개발(미국 앨라배마대학 버밍햄캠퍼스(UAB) 생학 연구팀, '19.12.16)

○ 일본의 주요 연구성과

- 심기능의 회복을 촉진하는 줄기세포를 심부전환자의 심장에 직접 뿌리는 새로운 치료법 개발(일본 오사카대 심장혈관외과 연구팀, '19.12.2)
- iPS세포로 수혈시 거부반응 없는 혈소판 제작(일본 교토대 iPS세포연구소 연구팀, '19.12.31)

※ Stem Cell Reports 게재

○ 기타 국가의 주요 연구성과

- 배아의 배엽 분화 결정하는 메커니즘 규명(독일 프라이부르크대 의대의 제바스티안 아르놀트 교수와 엘레나 토지크 교수, '19.12.4)

※ Nature Cell Biology 게재

- 돼지-원숭이 합친 '키메라 돼지' 개발(중국 베이징 줄기세포 및 생식생물학연구소, '19.12.7)

<2019. 12월>

□ 국내 주요 연구성과

○ 줄기세포 관련 기초·기전연구

- 생체 내 체장 내부의 유체 미세환경을 모사하여 체외에서 체도 미세 조직의 장기간 배양이 가능한 3차원 세포 배양 기술 개발(고려대학교 보건과학대학 바이오의공학부 및 KU-KIST융합대학원 故이상훈 교수, 공과대학 기계공학부 및 KU-KIST융합대학원 정석 교수, 미국 소아당뇨센터의 Maiké Sander 교수 및 전예슬 박사 연구팀이 벤처기업 (주)넥스트앤바이오 (Next&Bio)의 연구진, '19.12.13)

○ 줄기세포 관련 실용화 기반기술 성과

- 만성콩팥병 기반 심혈관질환 타깃 기능강화 혈관줄기세포 치료제 개발(순천향대 이상훈 교수 연구팀, '19.12.16)
- * 멜라토닌을 이용한 만성콩팥병과 심혈관질환 치료용 줄기세포 치료제 개발 기술을 확립. 호르몬의 일종인 멜라토닌은 세포내 정상 프리온 단백질의 발현을 증가시켜 손상된 콩팥의 보호효과를 높이고, 혈관 재생 능력을 향상. 관련 특허 등록 완료

○ 줄기세포 관련 특허 성과

- 세계 최초로 인간의 몸 안에서 혈관을 재생할 수 있는 줄기세포치료제를 개발(유스바이오글로벌, 19.12.1)
- * 중증 허혈성 심혈관질환의 치료를 목표로 4종류의 기능강화 인자를 발굴하고, 이를 기반으로 무이종 기능강화 혈관줄기세포 치료제 개발에 성공해 특허 취득
- '진세노사이드 Rg3를 유효성분으로 포함하는 차세대 수지상세포로의 성숙화 유도용 조성물 및 이를 이용한 차세대 수지상세포 제조방법에 대한 특허를 취득(파미셀, '19.12.2)
- 고대 멸종 생물 사체 또는 화석으로부터 세포를 분리·배양하는 방법과 관련해 국내 특허 획득(박세필 제주대학교 줄기세포연구센터 연구팀과 미래셀바이오(공동대표 김은영·정형민) 공동 연구팀, '19.12.9)

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)		
메신저 RNA에 m6A를 쓰고, 지우고, 읽기를 통한 교모세포종 줄기세포에서의 유전자 발현 조절 연구 동향	BRIC	2019.11.26
뉴스(국내외 언론사에서 보도된 관련 뉴스와 기사)		
유스바이오클로벨, 세계 처음으로 혈관 줄기세포치료제 개발	메트로서울	2019.12.1
심부전환자 세포스프레이법 임상 실시	메디파나뉴스	2019.12.2
파미셀, 차세대 수지상세포 특허 취득.."상업화 박차"	뉴스핌	2019.12.2
새로운 줄기 세포 기술, 백혈병 치료의 새 지표	메디컬투데이	2019.12.3
메디포스트 '카티스템', 적응증 확대 위한 임상 3상 돌입	이코노믹리뷰	2019.12.3
네이처셀, 세계 최초 퇴행성관절염 자가 줄기세포 치료제 '조인트스템' 치료 기전 규명	이투데이	2019.12.4
배아의 배엽 분화 결정하는 메커니즘 규명	연합뉴스	2019.12.4
iPS세포로 돼지 몸 속에서 사람 췌장 제작 나선다	의학신문	2019.12.6
방광암으로 발전하는 '암 줄기세포' 병리기전 규명 [와우! 과학] 돼지-원숭이 합친 '키메라 돼지', 세계 최초 중서 탄생	보건뉴스 메디컬투데이	2019.12.6 2019.12.9
메디포스트, '카티스템' 日 임상2상 승인	메디컬투데이	2019.12.9

<u>위험한 줄기세포 제품들 판매사들 FDA 강력 경고</u>	메디컬투데이	2019.12.10
<u>조직 재생 과정 촉진하는 새로운 바이오프린터, 장기 이식의 해결사될까</u>	리서치페이퍼	2019.12.16
<u>순천향대 "만성콩팥병·심혈관질환 줄기세포 치료제 개발"</u>	UPI뉴스	2019.12.16
<u>iPS세포 이용 신경성 난치병 연구프로젝트 실시</u>	메디파나뉴스	2019.12.17
<u>강스템바이오텍, 줄기세포 배양방법 관련 미국 특허권 취득</u>	이투데이	2019.12.17
<u>iPS세포로 수혈시 거부반응 없는 혈소판 제작</u>	의학신문	2019.12.31
<u>첨단재생의료·바이오의약품법안, '기본계획'에 담길 내용은?</u>	메디파나뉴스	2019.12.31

분석 리포트 : 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장현황 및 전망

* 생명공학정책연구센터가 Mordor Intelligence에서 발간한 보고서를 기반으로 작성하였으며, 바이오인 홈페이지(www.bioin.or.kr) 내 BioINdustry(No.142 2019-10)로 발간

1. 개요

□ 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장범위는 세포 및 유전자치료제 승인 제품을 바탕으로 규모를 추산

○ 본 보고서의 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장범위는 승인을 받아 상용화된 제품들을 기반으로 시장규모를 추산했으며, 세계 지역별로 세포 및 유전자치료제 시장을 살펴봄

[표 1] 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장 분류(제품별, 세계지역별)

제품별 시장분류		세계지역별 시장분류
Yescarta	CAR-T세포 치료제	북아메리카
Provenge	수지상세포치료제	
Luxturna	희귀망막질환유전자치료제	
Kymriah	CAR-T 세포치료제	유럽
Imlygic	종양세포붕괴성 바이러스 치료제	
Gintuit	동종 유래 세포 치료제	
MACI	자가조직세포치료제	아시아-태평양
Laviv	안면 주름 대상성유아세포치료제	
Gendicine	후두부암 유전자 치료제	
Oncorine	두경부암유전자치료제	라틴아메리카
Neovasculgen	말초동맥질환 유전자 치료제	
Strimvelis	ADA-SCID 관련 유전자 치료제	
Invossa*	무릎 골관절염 세포 유전자 치료제	기타 국가 (중동 및 아프리카)
Other Drugs	CARTIGROW, OSSGROW, Temcell HS, KeraHeal-Allo, Chondrocytes-T-Ortho-ACI, HOLOCLAR, ZALMOXIS, NEURONATA-R, Cupistem, Cellgram, CureSkin 등 포함	

* 코로닝생명과학(주)의 인보사케이주(Invossa-K)는 성분 허위 보고로 승인이 취소되어 현재 시장에서 판매가 중단되었으나, 2018년 판매실적을 포함하여 시장규모 추산

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

□ 최근 CAR-T 치료제와 같이 유전자가 엔지니어링 된 세포치료제 개발이 활발해짐에 따라 세포치료제와 유전자치료제의 융합이 빠르게 진전

○ 세포치료제는 손상되었거나 질병이 있는 세포/조직을 회복시키기 위해 살아있는 세포를 사용해 재생을 유도하는 의약품으로,

- 식품의약품안전처고시에 따르면 세포치료제란 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 점위 내에서의 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등)만을 하는 경우는 제외

○ 유전자치료제는 결핍 및 결함 유전자가 교정되도록 하여 질병을 치료하는 치료제로,

- 식품의약품안전처고시에 따르면 유전자치료제란 '유전물질 발현에 영향을 주기 위하여 투여하는 유전물질' 또는 '유전물질이 변형되거나 도입된 세포', 둘 중 어느 하나를 함유한 의약품

※ 생물학적제제 등의 품목허가심사 규정시행 2019.9.9. [식품의약품안전처고시 제2019-77호 2019.9.9., 일부개정]

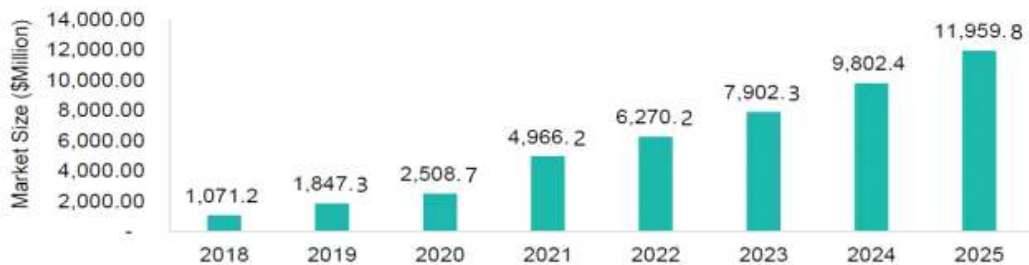
2. 전체 시장 분석

1) 글로벌 시장현황 및 전망

□ 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 10.7억달러(약 1.2조원) 규모를 형성, 연평균('18~'25) 41.2%로 성장하여 2025년에는 119.6억달러(약 13.9조원) 규모로 확대될 전망

- 전 세계적으로 세포 및 유전자치료제 시장이 가장 큰 지역은 북아메리카로, 2018년 기준 58%(6.2억달러)의 점유율 차지
 - 뒤이어, 2018년 기준 유럽이 23%(2.5억달러), 아시아-태평양이 19%(2억달러) 순으로 점유하고 있는 반면, 라틴아메리카 및 기타 국가(중동 및 아프리카)는 2019년부터 시장 형성
- 라틴아메리카 및 기타 국가는 타 지역에 비해 세포 및 유전자치료제 시장 규모가 매우 작은 편이나 연평균 성장률은 각각 57.4%, 51.7%로 매우 빠른 시장 성장이 기대
- 아시아-태평양 지역은 북아메리카 및 유럽에 비해 시장 규모가 작지만, 아시아-태평양 지역의 세포 및 유전자치료제 시장을 주도하는 한국과 중국이 시장의 주요 업체들을 운영하고 있어 향후 북아메리카 및 유럽 대비 더 빠르게 성장할 전망

[그림 2] 글로벌 세포 및 유전자치료제 시장현황 및 전망(2018년-2025년) (단위:백만달러)



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

[표 2] 세계 지역별 시장현황 및 전망(2018년-2025년) (단위:백만달러)

지역	북아메리카	유럽	아시아-태평양	라틴아메리카	기타 국가*	합계
2018	621.3	246.4	203.5	-	-	1,071.2
2019	1,050.1	428.7	357.0	5.5	5.9	1,847.3
2020	1,397.8	591.4	498.4	8.7	12.4	2,508.7
2021	2,712.1	1,189.3	1,014.1	19.8	30.9	4,966.2
2022	3,356.2	1,525.4	1,316.2	28.7	43.7	6,270.2
2023	4,145.8	1,952.8	1,705.1	41.7	56.8	7,902.3
2024	5,040.6	2,460.7	2,174.2	59.6	67.4	9,802.4
2025	6,027.7	3,049.7	2,726.8	83.7	71.8	11,959.8
CAGR	38.3%	43.2%	44.9%	57.4%	51.7%	41.2%

* 기타 국가는 중동 및 아프리카로 구성

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

2) 성장요인

□ 세포 및 유전자치료제는 기존 암 치료법에 비해 표적 정확성이 높아 암 발병률 증가와 함께 암 치료를 위한 세포 및 유전자치료제의 사용이 증가

○ WHO에 따르면 암은 세계적으로 사망의 주요 원인 중 하나로, 2018년에는 약 960만명의 사망자가 발생하였으며 향후 지속적으로 증가할 전망

- 세포 및 유전자치료는 암 치료 분야와 관련하여 광범위하게 연구되어 왔으며, 단세포 항체와 같은 기존의 암 치료법에 비해 선택성 및 안정성이 높은 표적 정확성을 제공하여 암 치료 분야에서 사용이 증가

○ 노인 인구 증가에 따른 만성질환 증가 또한 세포 및 유전자치료 시장 성장에 기여하는 요인으로, 지역에 관계없이 만성질환 유행은 지속되고 있으며 꾸준히 증가할 전망

- 유전적 요인 및 스트레스, 음식, 흡연 등 환경적 요인에 의해 신경퇴행성, 심혈관 등 만성 질환이 발병할 수 있으며 갈수록 젊은 성인들에서도 만성질환이 많이 발병

- 만성질환 중 당뇨병은 당뇨성 망막증과 같은 다른 합병증으로 이어질 가능성이 있으며, 당뇨성 망막증은 특히 세포 및 유전자치료 시장의 주요 응용 분야로 형성

□ 첨단약품(ATMP*)에 대한 지속적인 투자지원으로 2015년 486건이었던 첨단 의약품 임상시험이 2018년 1,028건으로 2배 이상 급증

* Advanced therapy medicinal products

○ 기존 임상시험의 대부분은 세포치료 분야에서 진행되었으나 2018년 3분기 처음으로 유전자 치료 및 유전자변형세포치료 분야 임상시험 건수가 증가, 특히 CAR-T 치료제는 세포 및 유전자치료 파이프라인 내에서 빠르게 성장하는 시장

□ 세포 및 유전자치료 관련 기업들의 활발한 M&A 활동으로 시장성장 촉진

○ 2017년 8월, 미국 FDA가 Novartis의 CAR-T 치료제 Kymriah를 승인한 이후 세포 및 유전자치료제 시장에서의 M&A 활동 촉발

- 2017년 10월, Gilead Science는 120억달러에 CAR-T 개발업체인 Kite pharmaceuticals 인수

- 2018년 3월, Celgene은 세포 기반 암 면역요법 개발 회사인 Juno Therapeutics를 90억 달러에 인수했으며, 2019년 1월에 Bristol-Myers Squibb이 Celgene을 740억달러에 인수하기로 최종 합병계약 체결

- 2018년 5월, Novartis는 희귀신경유전질환 치료법을 개발하는 AveXis를 87억달러에 인수

□ 세포 및 유전자치료법에 대한 필요성 및 임상환자 희소성으로 인한 규제 환경의 유리한 방향으로의 변화

○ 세포 및 유전자치료법에 대한 절실한 수요와 함께 임상실험에 이용 가능한 환자의 수가 적어 규제당국의 변화 유도

- 미국은 2016년 12월 「21세기 치유법(The 21st Century Cures Act, H.R. 6)」 제정으로 첨단재생치료법의 환자 적용 신속화

- 21세기 치료법에 따라 재생의약 첨단치료제(RMAT*) 지정 시, FDA의 신속 승인에 대한 운영방침 발표(2019.2)
 - * Regenerative Medicine Advanced Therapy
- 유럽은 2016년 3월 첨단바이오횰약품의 신속한 개발 지원을 위해 규제기관이 지원하는 PRIME* 제도를 적용하여 규제기관과의 상호작용이 강화되고 승인과정 또한 가속화
 - * Priority Medicine

[표 3] 성장요인별 영향 분석

성장요인	1-2년	3-5년	6-10년
암 및 만성질환 발생률 증가	높음	높음	중간
임상시험 건수 증가	높음	중간	중간
세포 및 유전자치료 시장의 꾸준한 M&A 활동	높음	중간	중간
유리한 규제 환경	높음	중간	중간

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

3) 저해요인

- 유전자치료제 개발에 이용되는 신뢰도 높은 벡터에 대한 수요 증가로 관련 벡터 생산 확보의 어려움
 - 모든 유전자 치료의 핵심은 벡터(vector)로, 특히 재조합 아데노-부속 바이러스*는 인간에게 안전하다고 증명되었고 다양한 조직에 효율적으로 DNA를 전달할 수 있어 현대의 여러 유전자 치료법에 활용
 - * recombinant adeno-associated viruses(rAAVs)
 - 적어도 17개 업체에서 재조합 아데노-부속 바이러스를 기반으로 한 유전자치료제 관련 임상시험을 수행 중이며, 그 중 3개의 프로그램이 임상3상을 수행할 정도로 수요가 높은 상황
 - 재조합 아데노-부속 바이러스에 대한 관심이 급증하면서 임상 준비를 위한 수요 붐이 일어났고 많은 기업에서 관련 벡터 생산을 확보하기 위해 노력
 - 재조합 아데노-부속 바이러스의 생산 부족으로 여러 기업들이 유전자치료제 생산에 차질이 생기고 아울러 기존 치료제에 대한 환자의 접근성도 감소되며, 새로운 유전자치료제 개발 계획이 중단되어 시장성장에 저해

[표 4] 저해요인 영향 분석

저해요인	1-2년	3-5년	6-10년
세포 및 유전자 치료를 위한 안정적인 벡터 생산 부족	높음	높음	중간

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

4) 기회요인

- 지난 10년('08~'18) 동안 다수의 세포 및 유전자치료제 관련 임상시험계획 승인 신청(IND*)이 제출되면서 세계적으로 세포 및 유전자치료제 승인이 크게 증가
 - * Investigational New Drug Application, IND
- 미국 FDA에 따르면 세포 및 유전자치료제 관련 IND 건수가 크게 증가하면서 초기 개발 단계의 제품들 또한 급증
 - 임상시험 증가와 함께 과학적 진보 및 혁신적 임상시험 수행으로 세포 및 유전자치료제 제품 승인 건수가 향후 지속적으로 증가할 전망
- 2019년 1월 기준, FDA에 제출된 총 800건 이상의 활성세포 기반 치료제 또는 직접 투여되는 유전자치료제 관련 IND를 기반으로, 미국 FDA는 2020년까지 매년 200건 이상의 IND를 받을 것으로 예상
 - 또한 현재의 파이프라인에 대한 평가와 제품 임상시험 성공률에 근거하여 2025년까지 연간 10~20개의 세포 및 유전자치료제가 승인될 것으로 기대

[표 5] 기회요인 영향 분석

기회요인	1-2년	3-5년	6-10년
세포 및 유전자치료제의 의약품 승인 및 강력한 파이프라인	높음	높음	중간

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

5) 도전요인

- 세포 및 유전자치료제는 맞춤형 특성을 지니고 있어 높은 가격으로 책정
 - 저분자의약품은 생산량이 증가함에 따라 단위 당 생산 비용이 감소하는 반면, 세포 및 유전자치료제는 각 환자마다 개별적으로 개발
 - 따라서 세포 및 유전자치료제는 저분자의약품과 다르게 단위 당 생산 비용이 일정하므로 치료제 가격이 높게 책정되어 시장에 상당한 도전요인으로 작용
- 유전자 전달 벡터 및 세포치료제 테스트와 관련하여 치료제 특성에 부합하는 확립된 분석방법 부재
 - 기존 생물제제에 사용되는 분석법은 세포 및 유전자치료제 테스트에 적합하지 않기 때문에 세포 및 유전자치료제 특성에 맞는 안전성 및 효능성 평가 방법을 정립하는 것이 가장 큰 과제

[표 6] 도전요인별 영향 분석

도전요인	1-2년	3-5년	6-10년
높은 치료비용	높음	중간	낮음
치료제 특성에 부합하는 분석법의 부재	중간	중간	낮음

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

3. 세계 지역별 시장 현황 및 전망

1) 북아메리카

□ 북아메리카의 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 6.2억달러 규모를 형성, 연평균('18~'25) 38.3%로 성장하여 2025년에는 60.2억달러 규모로 확대될 전망

○ 암은 미국에서 2번째로 흔한 사망원인으로, 표적암 치료법의 새로운 대안인 세포 및 유전자치료법이 관심을 받으며 북아메리카의 세포 및 유전자치료제 시장 성장 촉진

- 2019년 미국암학회(the American Cancer Society) 보고서에 따르면, 2019년에는 170만 명 이상의 새로운 암 환자가 발생할 것이며, 약 61만 명의 미국인이 암으로 사망할 것으로 전망

- 세포 및 유전자치료는 저분자억제제 및 단세포 항체 등 표적암 치료법의 새로운 대안으로 관심을 끌고 있으며, 이로 인해 관련 업체 및 학회의 활발한 연구와 더불어 시장 성장을 촉진

○ 북아메리카 시장은 주로 미국과 캐나다 시장으로 구성되어 있으며, 특히 미국은 표적치료제 공동개발에 대한 상당한 자금 지원, 바이오의약품 R&D 증가, 세포 및 유전자치료제 파이프라인 증가 등으로 지배적인 시장 구성

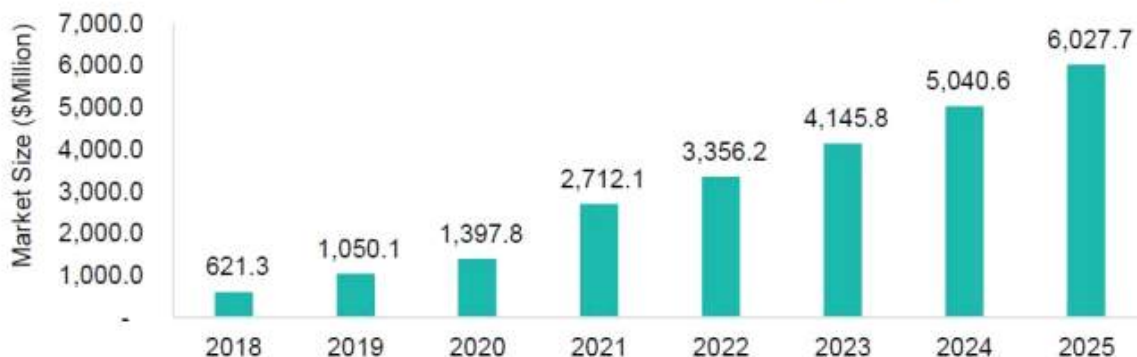
○ 또한 북아메리카에서는 실력을 갖춘 세포 및 유전자치료제 개발자들이 향상된 치료제들을 시장에 선보이기 위해 주력

- 대기업과 중소기업들은 시장점유율 확보를 위해 R&D에 집중투자하거나 기업 인수를 통해 기술을 확보하는 양상

- 한 사례로, 2019년 5월 미국 제약사인 Catalent는 선도적인 바이러스 벡터 개발 및 유전자 치료제 제조 파트너인 Paragon Bioservices를 12억달러에 인수

- 2018년 9월에는 미국 바이오 제약사인 Amicus Therapeutics가 국립어린이병원에서 개발하는 10개의 유전자치료제 프로그램 확보를 위해 국립어린이병원에서 파생된 기업인 Celenex를 인수

[그림 3] 북아메리카 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

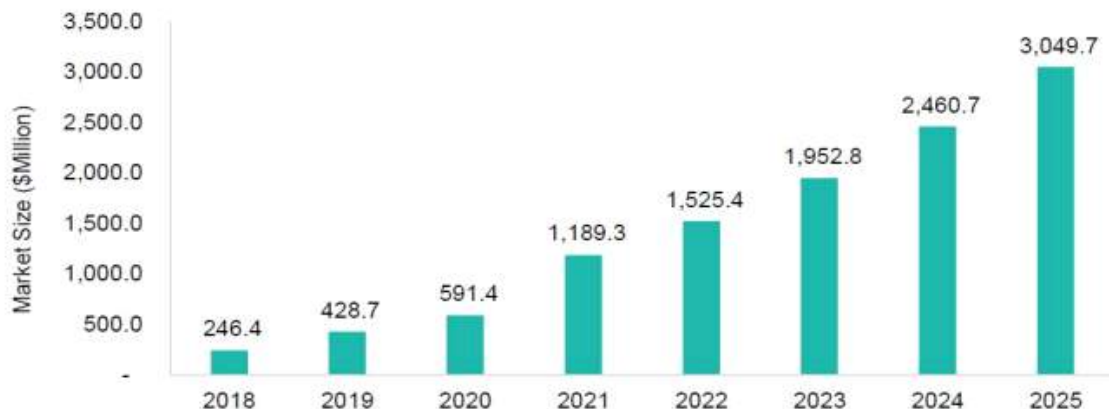
2) 유럽

□ 유럽의 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 2.5억달러 규모를 형성, 연평균('18~'25) 43.2%로 성장하여 2025년에는 30.5억달러 규모로 확대될 전망

- 제약 R&D 지출의 증가, 노인 인구 증가에 따른 질병 확산 및 희귀병 근절을 위한 노력 등이 유럽의 세포 및 유전자치료제 시장 성장을 촉진
 - 표적 치료를 이용해 다양한 응용치료가 가능하도록 세포 및 유전자 치료 개발을 위한 협력적 R&D의 집중적 증가
 - 노인 인구 증가에 따라 신경퇴행성질환, 대사 장애 및 만성질환이 확산되고 이로 인한 의료 비용 증가를 해결하기 위한 정부 이니셔티브 확대 등이 시장 성장 요인으로 작용
- 또한 유럽유전자세포치료학회*에서 세포 및 유전자치료 관련 기관에 전문적 가이드와 교육을 제공하고 데이터 거래 및 기술혁신을 장려하여 임상 연구 활성화에 기여

* European Society of Gene and Cell Therapy(ESGCT)

[그림 4] 유럽 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)



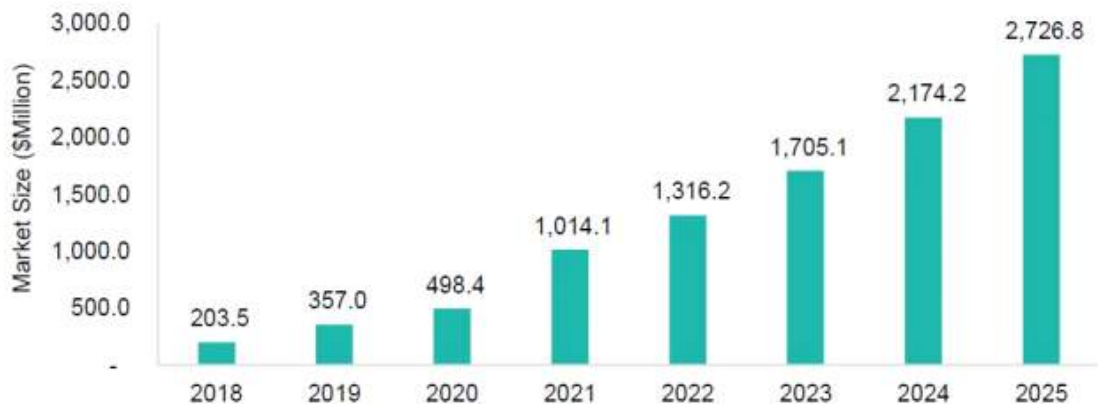
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

3) 아시아-태평양

□ 아시아-태평양의 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 2억달러 규모를 형성, 연평균('18~'25) 44.9%로 성장하여 2025년에는 27.3억달러 규모로 확대될 전망

- 한국, 중국, 일본, 인도, 싱가포르, 호주 등 다양한 국가들로 구성된 아시아-태평양 지역은 세포 및 유전자 치료법 연구에 전념하는 상황
 - 아시아-태평양 지역은 재생의학 연구에 집중하고 있으며, 특히 세포치료, 유전자치료 및 조직공학 연구에 적극적이므로 새로운 치료법 개발의 가능성 기대
- 아시아-태평양 지역의 세포 및 유전자치료 관련 규제 정책은 매우 다양한 양상으로, 일관된 규제 정책의 발전과 표준화된 임상제도 확립을 통해 기술개발 촉진 가능

[그림 5] 아시아-태평양 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)

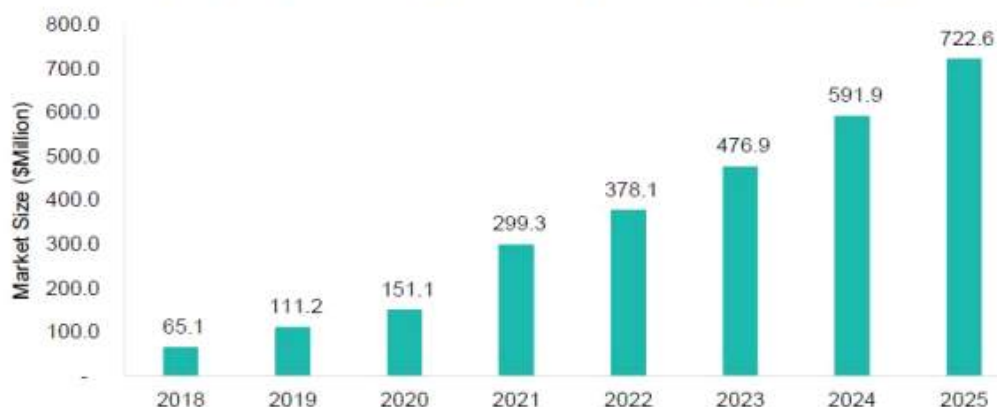


출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

한국의 세포 및 유전자치료제 시장

- 한국의 세포 및 유전자치료제 시장은 2018년 6,510만달러 규모를 형성, 연평균('18~'25) 41%로 성장하여 2025년에는 7.2억달러 규모로 확대될 전망
- 2018년 기준 아시아-태평양 세포 및 유전자치료제 시장 중 한국 시장이 32%로 가장 많은 점유율 차지
 - ※ 뒤이어 중국 27%(5,500만달러), 일본 17%(3,460만달러), 인도 14%(2,850만달러), 호주 9%(1,830만달러), 기타 국가 1%(200만달러) 순으로 점유율 차지
- 세포·유전자 치료 시장 활성화를 위한 정부의 연구 지원 정책이 활발하며, 특히 기초연구의 임상연계를 위해 세포 및 유전자 치료에 대한 임상개발 지원을 지속적으로 확대하는 추세

[그림 6] 한국 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

[표 7] 제품 승인 현황

치료제 분류	제품명	기업	시판허가 일자
세포치료제	로스미르(Rosmir)	테고사이언스(주)	2018.1
세포치료제	케라힐-알로 (KeraHeal-Allo)	(주)바이오솔루션	2015.10.16
세포치료제	뉴로나타알주 (NEURONATA-R)	코아스템(주)	2014.7.30
세포치료제	큐피스템주(Cupistem)	(주)안트로젠	2012.1.18
세포치료제	카티스템(CARTISTEM)	메디포스트(주)	2012.1.18
세포치료제	셀그램-에이엠아이 (Cellgram-AMI)	파미셀(주)	2011.7.1
세포치료제	큐어스킨주(CureSkin)	(주)에스바이오메딕스	2010.5.11
세포치료제	퀸셀(Queencell)	(주)안트로젠	2010.3.26
조직공학 제품	칼로덤(Kaloderm)	테고사이언스(주)	2010.6.24.(당뇨성 발 궤양) 2005.3.21.(2도 화상)
세포치료제	알엠에스 오스론 (RMS OssronTM)	세원셀론텍(주)	2009.8.26
세포치료제	이문셀엘씨주 (Immuncell-LC)	(주)녹십자셀	2007.8.6
세포치료제	크레아박스-알씨씨주 (CreaVax-RCC)	제이더블유크레아젠(주)	2007.5.15
세포치료제	케라힐(KeraHeal)	(주)바이오솔루션	2006.5.3
조직공학 제품	홀로덤(Holoderm)	테고사이언스(주)	2002.12.10
세포치료제	콘드론(ChondronTM)	세원셀론텍(주)	2001.1.30

* 2017년 7월 시판허가를 받은 코오롱생명과학(주)의 골관절염 유전자치료제 ‘인보사케이주 (Invossa-K)’는 2019년 7월에 승인 취소됨

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

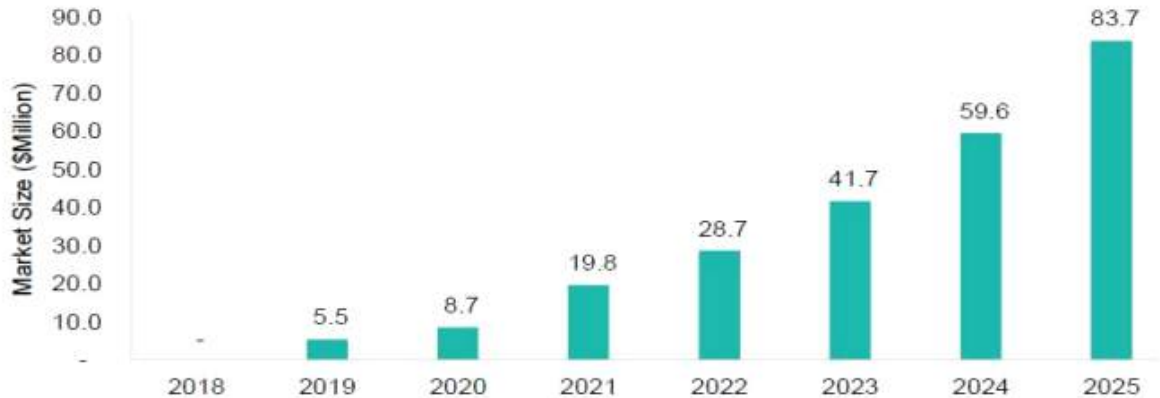
4) 라틴아메리카

□ 라틴아메리카의 세포 및 유전자치료제 시장은 2019년 550만달러 규모를 형성, 연평균('19~'25) 57.4%로 성장하여 2025년에는 8,370만달러 규모로 확대될 전망

○ 브라질, 멕시코, 아르헨티나가 라틴아메리카 지역 의약품 판매량의 약 2/3를 차지하고 있어 다국적 생명공학 기업들에게 주요 유망지역으로 관심 집중

- 또한 이들 국가는 세포 및 유전자치료법을 포함한 유전체 연구 강화를 위해 노력 중이며, 정밀 의학 치료를 의료기술의 표준으로 채택한 이후 시장이 빠르게 성장
- 라틴아메리카의 세포 및 유전자치료제 시장이 현재로서는 타 지역에 비해 뒤처져 있으나 가장 빠른 연평균 성장률로 향후 유전의학 분야에서 급속한 성장 기대

[그림 7] 라틴아메리카 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)



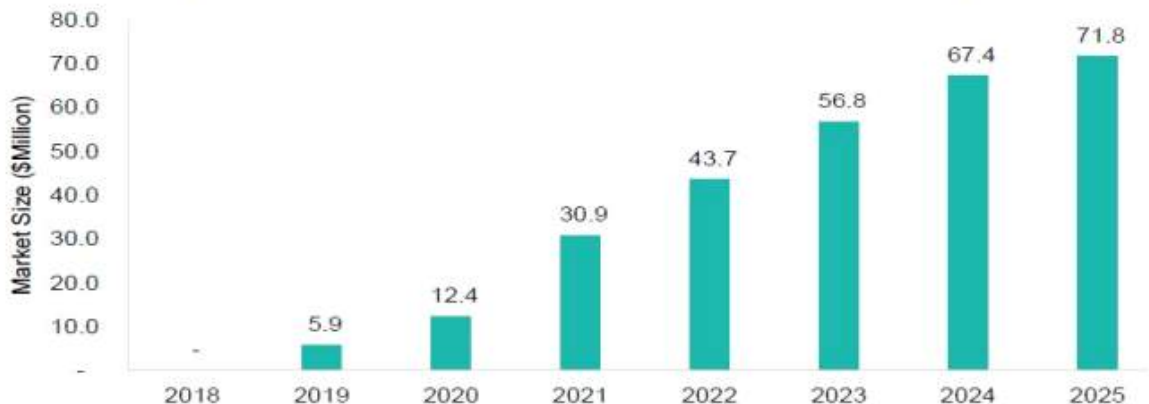
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

5) 기타 국가

□ 기타 국가의 세포 및 유전자치료제 시장은 2019년 590만달러 규모를 형성, 연평균 ('18~'25) 51.7%로 성장하여 2025년에는 7,180만달러 규모로 확대될 전망

- 기타 국가는 중동 및 아프리카로 구성되어 있으며 승인된 세포 및 유전자치료제가 없음에도 불구하고 일부 병원 및 클리닉에서 재생 치료법에 관심
 - 한 사례로 2018년 아랍에미리트의 Emirates Specialty Hospital에서 지역 최초로 재생 의학 부서를 생성
- 중동과 아프리카는 다양한 유전적 역사를 가진 독특한 인구로 구성되어 있으므로 활발한 국제협력 및 파트너십 프로그램이 필요
 - 협력을 통해 관련 국가들 간 시너지 효과 및 수출국들과의 관계에 긍정적인 영향을 미칠 것으로 기대

[그림 8] 기타 국가 세포 및 유전자치료제 시장, 2018-2025년(단위:백만달러)




출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

4. 주요 기업 현황

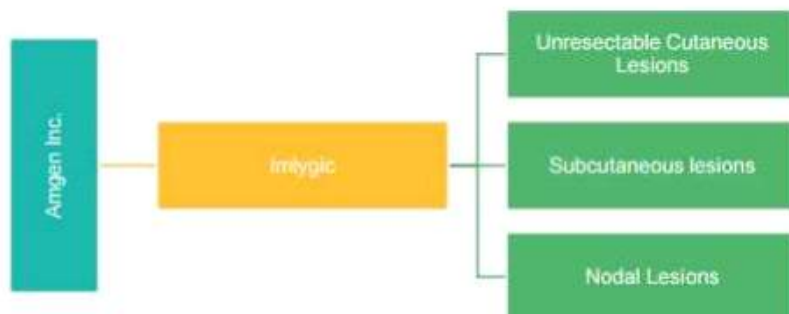
- Amgen, bluebird bio, Kite Pharma, Novartis AG, Orchard Therapeutics, Spark Therapeutics, 헬릭스미스(前 바이로메드) 등이 세포 및 유전자치료제 시장에서 주요하게 활동
- (Amgen) 소세포폐암, 유방암, 직장암 등 치료를 위한 CAR-T 후보물질 'AMG 119'와 'AMG-678'을 포함하는 파이프라인을 보유하고 있으며, 현재 임상시험 진행 중

[표 8] Amgen 기업 개요

	본사	미국	수익	225억 3천만 달러(2018년 기준)
	설립년도	1980	직원 수	28,109명(2018년 기준)

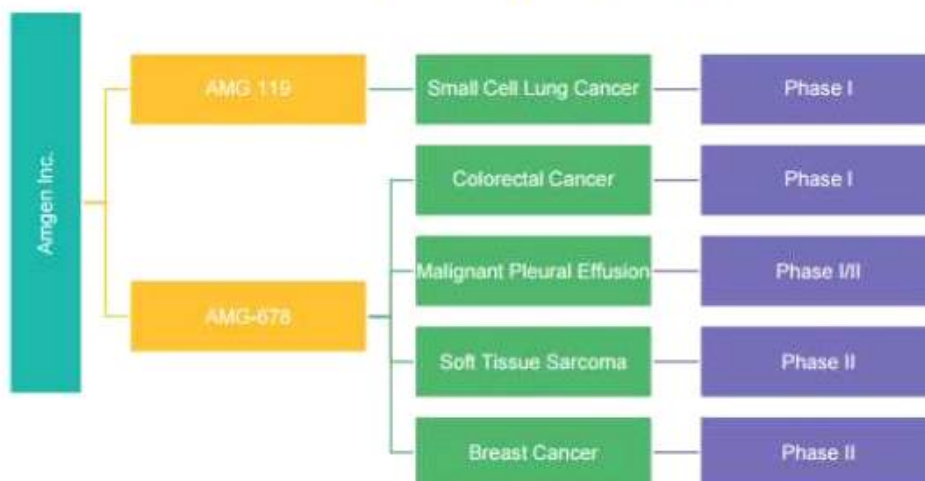
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

[그림 9] Amgen 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7


[그림 10] Amgen 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

- (bluebird bio) 심각한 유전질환 및 암 치료를 위한 변형 유전자치료제를 집중적으로 개발 중인 임상단계의 생명공학 기업

[표 9] bluebird bio 기업 개요

	본사	미국	수익	5,230만 달러(2018년 기준)
	설립년도	1992	직원 수	972명(2018년 기준)

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공


[그림 11] bluebird bio 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

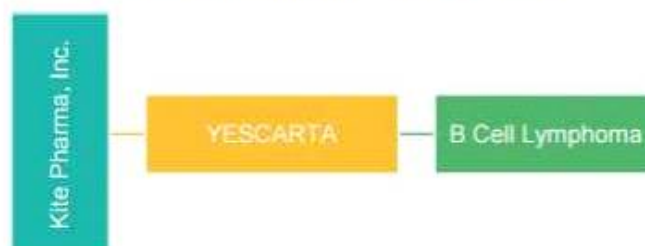
- (Kite Pharma) Gilead Sciences의 자회사인 Kite Pharma는 CAR-T를 다루는 세포치료제 제공업체로, B세포 림프종 치료를 위한 '에스카타(Yescarta)'를 출시하며 주목

[표 10] Kite Pharma 기업 개요

	본사	미국	수익	216억 8천만 달러(2018년 기준)
	설립년도	2009	직원 수	대략 501~1,000명

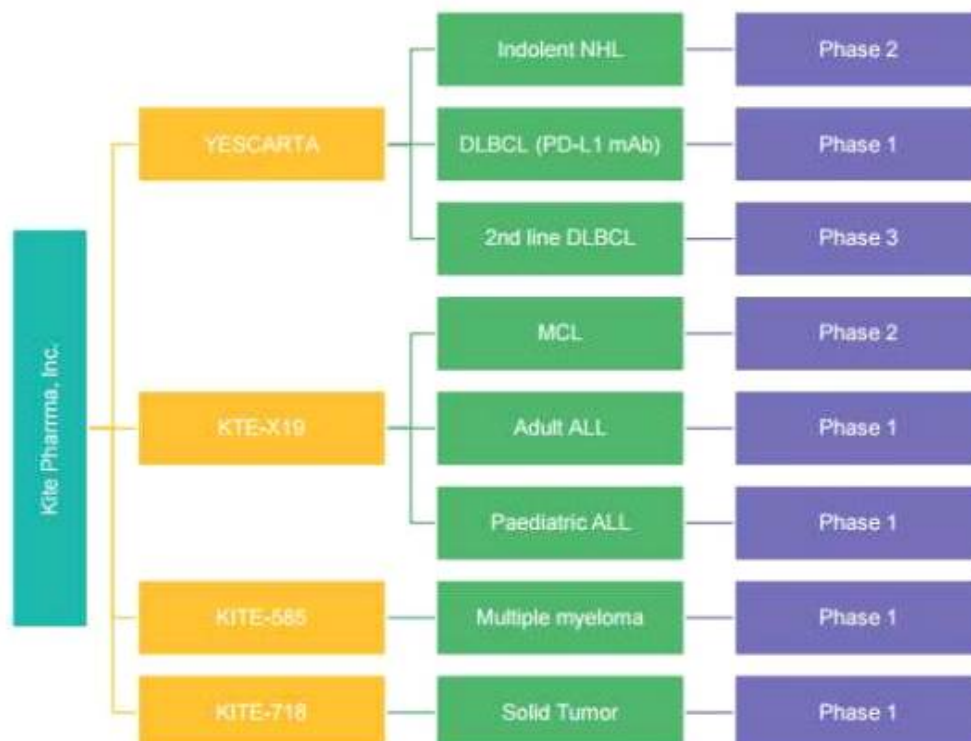
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

[그림 12] Kite Pharma 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7


[그림 13] Kite Pharma 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

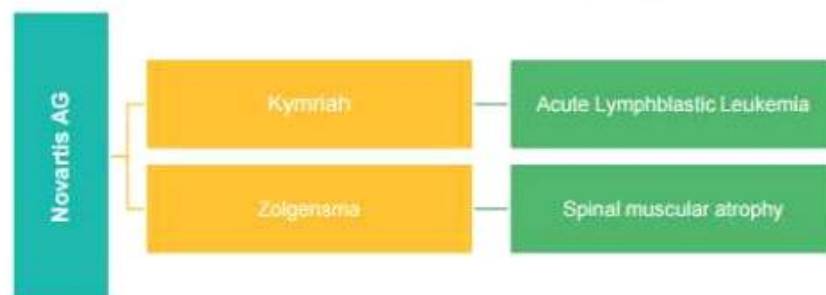
- (Novartis AG) CAR-T 치료제 ‘김리아(Kymriah)’, 유전자치료제 ‘졸겐스마(Zolgensma)’와 같은 상용제품 보유

[표 11] Novartis AG 기업 개요

	본사	미국	수익	7억 7,260만 달러(2018년 기준)
	설립년도	1895	직원 수	2,400명(2018년 기준)

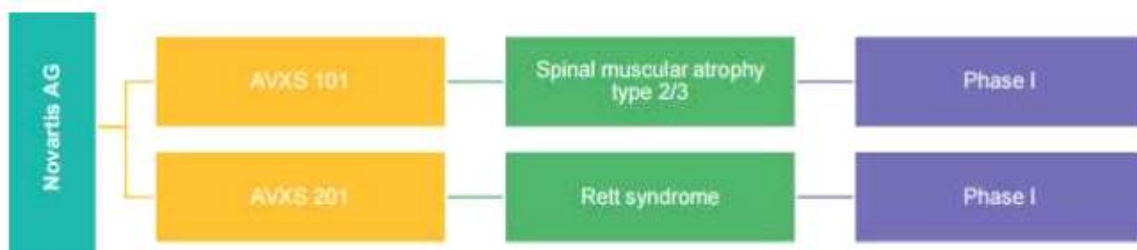
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

[그림 14] Novartis AG 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7


[그림 15] Novartis AG 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

- (Orchard Therapeutics) GSK에서 개발한 유전자치료제 ‘스트림벨리스(Strimvelis)’를 2018년에 이전받아 제공하고 있으며 다양한 임상개발 제품 보유

[표 12] Orchard Therapeutics 기업 개요

	본사	영국	수익	7억 7,260만 달러(2018년 기준)
	설립년도	2015	직원 수	2,400명(2018년 기준)

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공


[그림 16] Orchard Therapeutics 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

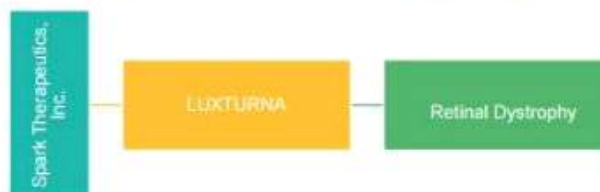
- (Spark Therapeutics) 유전자치료제 개발에 중점을 두고 있으며 희귀 유전성 망막질환 치료를 위한 '렉스터나(Luxturna)' 상용제품 보유

[표 13] Spark Therapeutics 기업 개요

	본사	미국	수익	1,210만 달러(2017년 기준)
	설립년도	1997	직원 수	315명(2017년 기준)

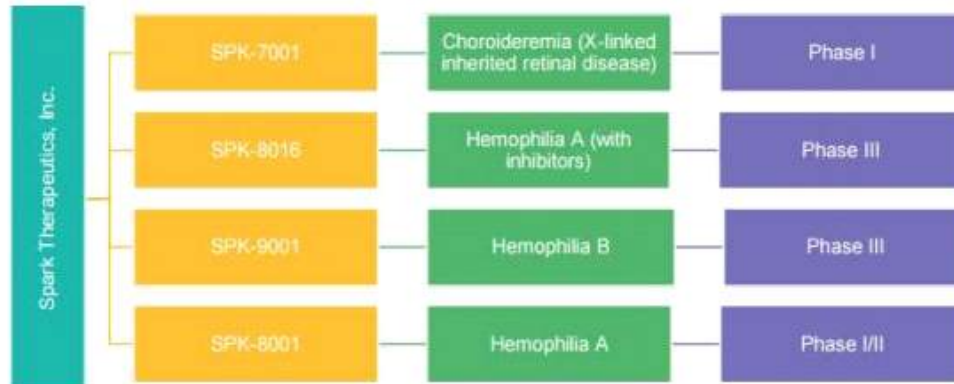
출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

[그림 17] Spark Therapeutics 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

[그림 18] Spark Therapeutics 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7

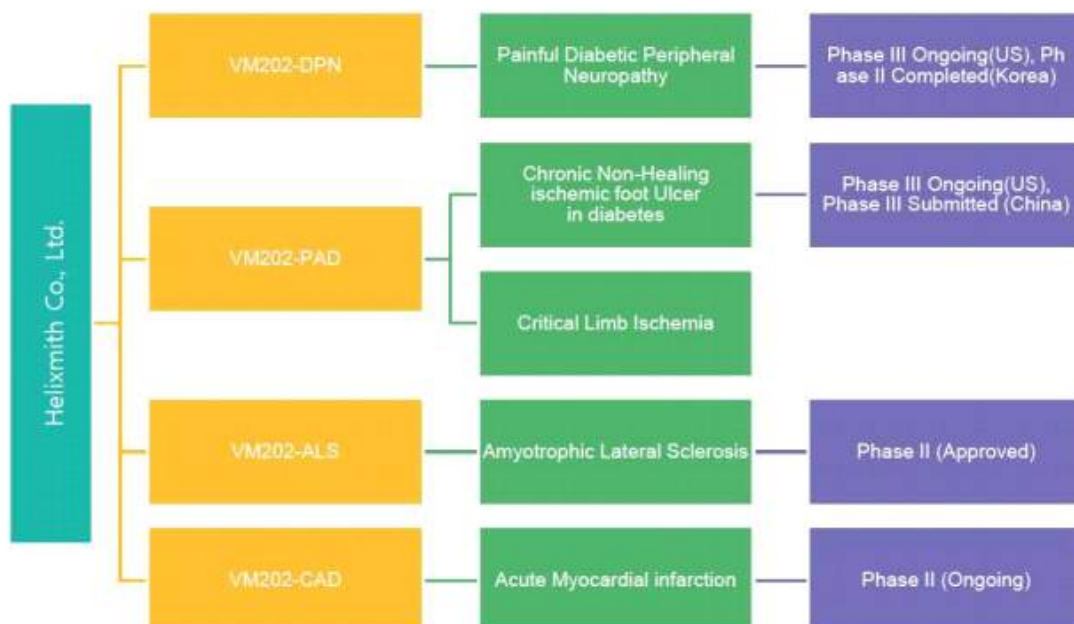
- (헬릭스미스, 前 바이로메드) DNA 및 세포 등을 기반으로 한 약물을 개발 중이며, 심혈관 및 신경질환 치료를 위한 DNA 기반 약물 VM202 개발에 주력

[표 14] 헬릭스미스(前 바이로메드) 기업 개요

HELIxMITH	본사	한국	수익	620만 달러(2018년 기준)
	설립년도	1996	직원 수	대략 51~200명

출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7, 생명공학정책연구센터 재가공

[그림 19] 헬릭스미스(前 바이로메드) 파이프라인 제품 포트폴리오



출처 : BIS Research, Global Cell and Gene Therapy Market, 2019.7