

# 바이오의약품 기술 및 산업 동향

## 〈목 차〉

- I. 바이오의약품 개요
- II. 분야별 바이오의약품 기술 및 시장현황
- III. 시사점

## I 바이오의약품 개요

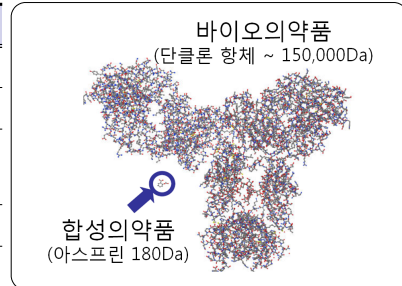
### ▶ 생물체 유래의 바이오의약품

- 생물체 기반의 의약품으로 안전성과 유효성이 높음
  - 바이오의약품은 사람이나 다른 생물체에서 유래된 단백질, 유전자, 세포 등을 원료 또는 재료로 하여 만들어진 의약품임
  - 바이오의약품은 생물유래 물질이며, 합성의약품처럼 체내에서 발생하는 대사 산물이 없어 독성이 낮고, 질환의 발병기전에 선택적으로 작용하여 난치성 및 만성질환 치료효과가 큼

\* 본고는 당행 기술평가부 바이오·화학팀에서 집필하였으며, 본고의 내용은 집필자의 견해로 당행의 공식입장이 아님

바이오/합성의약품의 비교

구 분	바이오횜약품	합성의약품
생산방법	살아있는 세포배양	화학적 합성
투여형태	비경구투여(주사제)	경구투여
분자크기	고분자의 복잡한 구조(>10kDa)	저분자의 단순한 구조(0.1-1kDa)
약가/제조비용	높음	낮음
진입장벽	높음	낮음



자료 : NICE, FDA, 생명공학정책연구센터, 산업은행 제작성

- 바이오의약품은 유효성분에 따라 유전자재조합 단백질, 세포치료제, 유전자치료제, 혈액제제, 백신 등으로 구분

바이오의약품의 분류

구 분	유전자재조합 단백질	세포치료제	유전자 치료제	생물학적 제제	
				혈액제제	백 신
유효성분	유전자조작 기술을 이용하여 제조하는 펩타이드, 또는 단백질	체외에서 배양·증식·선별·조작한 살아 있는 세포	질병치료를 목적으로 하는 유전 물질	혈액을 원료로 하는 혈액성분 제제와 혈액 분획제제	감염병·일반질환의 예방 등을 목적으로 하는 단백질 또는 미생물체
국내시장 규모(비중)	5,516억원 (30.1%)	107억원 (0.1%)	-	4,576억원 (25.7%)	7,110억원 (39.9%)
종 류	성장호르몬, 인슐린, 항암제, 자가면역 질환 치료제	체세포치료제, 줄기세포 치료제	DNA백신	적혈구, 혈소판, 혈장, 알부민 등	인플루엔자백신, 폐렴구균백신
관련기업	녹십자, 셀트리온, 삼성바이오에피스, 한화케미칼 등	메디포스트, 코오롱 생명 과학, 파미셀 등	바이로메드, 제넥신	녹십자, SK케미칼	녹십자, SK케미칼, LG생명과학, 일양약품

자료 : 한국바이오의약품 협회, 식약처, 산업은행 제작성

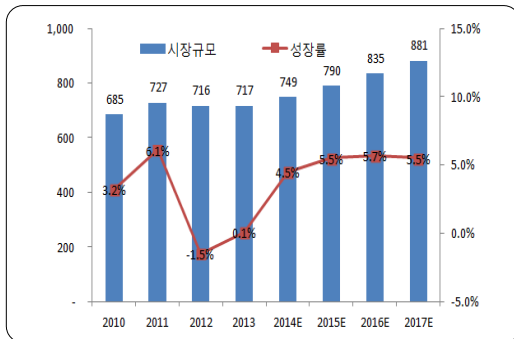
- 바이오의약품은 생산조건에 민감한 생물체를 이용하여 생산하고, 제조공정이 복잡하여, 생산시설 구축과 생산기술 확보 등의 진입장벽이 높음

▶ 세계 의약품 시장을 견인

- 바이오의약품 비중이 확대되고 있음
  - 세계 의약품 시장은 고령화에 따른 만성 질환자 수의 증가, 소득 수준 향상에 따른 파머징국가<sup>1)</sup>들의 의료비 지출증가 등으로 '17년까지 연평균 5.5% 이상의 성장이 예상됨
  - 합성의약품은 블록버스터 품목의 특허만료, 제네릭시장 확대, R&D 생산성 저하 등으로 시장비중이 축소되고 있는 반면, 바이오의약품은 높은 유효성과 안전성, 난치성 질병 치료제 개발 등으로 비중이 확대되고 있음

세계의약품 시장규모 및 성장률 추이

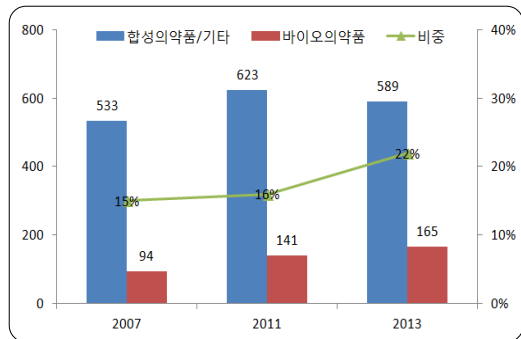
(단위 : 십억달러)



자료 : Evaluate Pharma, 산업은행 제작성

기술유형별 세계시장규모 및 바이오의약품 비중

(단위 : 십억달러)



자료 : Evaluate Pharma, 산업은행 제작성

- 제약사들의 바이오의약품에 대한 투자 증가
  - 국내·외 제약사들은 바이오의약품 파이프라인을 확대하기 위해 자체개발, 기술이전, M&A 등 중소·대형 제약사간 전략적 파트너링 채택
  - 또한, 대형 제약사를 위주로 블록버스터 바이오의약품의 특허만료가 본격화됨에 따라 바이오시밀러 연구개발을 가속화하고 있음

1) 파머징(Pharmerging) 국가 : 의약품 시장의 성장이 급격하게 이루어지고 있는 중국, 인도, 중남미 등의 제약 신흥 국가를 이룸

▶ 바이오의약품에 대한 정책적 지원

- 정부는 '20년까지 세계 7대 바이오의약품 강국 도약을 위한 전략 수립
  - 바이오의약품 산업의 종합적·체계적 육성을 위해 “바이오의약품 산업의 미래비전 및 발전전략(Bio-Pharma 2020)” 수립('14년)
  - 5대 핵심기술분야를 선정하고 R&D투자확대, 인프라 조성, 제도 예측가능성 확대, 글로벌 사업화 촉진 등에 대한 분야별로 과제선정

Bio-Pharma2020 핵심과제		Bio-Pharma2020 분야별 세부과제		
핵심기술 고도화 (R&D)	① 파이프라인 확대 및 원천기술 확보	항체 의약품	① 원천기술 기반 파이프라인 확보	
	② 상업화를 위한 핵심 생산기술 개발		② 선진국 수준 임상/비임상 시스템 구축	
	③ 전략적 R&D 투자확대	세포 치료제	① 혁신적인 차세대 세포치료제 개발	
산업생태계 인프라 조성 및 활성화 (인프라)	④ 비임상·임상 인프라(CRO) 육성		② 저비용 대량생산기술	
	⑤ 생산 인프라(CMO) 고도화		③ 세포치료제 기반 신사업분야 창출	
제도 예측가능성	⑥ 바이오의약품 특화 인력양성 및 협력 네트워크 강화	유전자 치료제	① 관련법규 현실화 및 규제개혁	
	제도 예측가능성		⑦ 바이오의약품 약가	② 글로벌 임상시험 지원 및 전문가 육성
			⑧ 바이오의약품 세제지원	③ 원천기술 기반 파이프라인 확보
		⑨ 바이오의약품 규제개혁	바이오 시밀러/베터	① CMO중개 협력 지원시스템 구축
글로벌 진출 촉진 (수출·마케팅)	⑩ 바이오의약품에 대한 허가절차 합리화국제화	② 국제생산 기술 표준화 및 표준품 지원		
	글로벌 진출 촉진 (수출·마케팅)	⑪ 바이오의약품 기술이전		③ 기술/특허/인허가 정보 시스템 구축
글로벌 진출 촉진 (수출·마케팅)		글로벌 진출 촉진 (수출·마케팅)	신기술 바이오 기반 제품	① 규제정책 선진화
				② 진단, 치료 및 연구 분석, 통계데이터 융합시스템 구축
	③ 글로벌 진출			

## II 분야별 바이오의약품 기술 및 시장현황

### 1. 유전자재조합 단백질/바이오시밀러

#### ▶ 개요

- 유전자재조합 단백질은 유전자재조합, 세포배양, 단백질공학 기술 등을 기반으로 미생물, 동물세포를 이용하여 대량 생산이 가능한 바이오의약품임
  - 유전자재조합 단백질은 치료용단백질, 항체의약품, 바이오시밀러, 바이오베타로 구분됨

유전자재조합 단백질의 분류

구분	치료용단백질	항체의약품	바이오시밀러	바이오베타
개요	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 인체 천연 단백질과 유사한 구조와 기능을 보유</li> <li>- 체내 부족한 유용 단백질 보충</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 안정한 구조를 가진 항체</li> <li>- 발병기전에 작용 하는 인자가 표적</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 특허가 만료된 의약품과의 비교 동등성이 입증된 복제약</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- 기존 의약품 단백질의 효능, 안전성, 환자편 의성 등을 개선한 신약</li> </ul>

- 바이오시밀러는 특허만료된 바이오의약품과의 동등성이 입증된 복제약임
  - 바이오시밀러는 생물체를 이용하기 때문에 완벽한 동일제품 생산이 불가능하여 비교동등성 입증을 위해 합성의약품 복제약 대비 폭넓은 자료제출이 필요함

- 임상시험 일부 면제, 오리지널 적응증의 추가인정<sup>2)</sup> 등으로 개발비용의 감소와 개발기간의 단축 등이 가능하여 R&D 생산성이 높음
- 바이오베터는 효능 및 안전성 등을 개선한 신약임
  - 오리지널 특허회피, 높은 약가책정, 경쟁회피, 시장 신규창출(미충족 수요 만족) 등이 가능

▶ 기술동향

- 선진국을 중심으로 특허만료 단백질의약품에 대한 바이오시밀러 개발이 활발
  - 임상단계인 세계 바이오시밀러 파이프라인이 130개<sup>3)</sup>로, 약 49% 선진국에 집중
  - 치료용 단백질 바이오시밀러는 '06년 유럽 최초 출시, 유럽시장에 5개 성분<sup>4)</sup>, 19개 제품<sup>5)</sup> 시판 중
  - 항체의약품 바이오시밀러는 블록버스터 제품 위주로 개발 중이며, 유럽시장에 1개 제품(셀트리온의 램시마('13. 6)) 시판 중

2) 적응증 외삽(Indication Extrapolation) : 바이오신약의 경우 개별 적응증 획득을 목적으로 임상시험을 실시해야 하나, 바이오시밀러는 오리지널과의 비교동등성이 입증되면 작용기전이 일치하는 적응증에 대하여 전부인정 가능

바이오신약과 시밀러의 적응증 인정 비교예시

바이오신약 (임상시험 4회실시)				바이오시밀러 (임상시험 2회실시)			
작용기전(가)		작용기전(나)		작용기전(가)		작용기전(나)	
적응증A	적응증B	적응증C	적응증D	적응증A	적응증B	적응증C	적응증D
임상시험①	임상시험②	임상시험③	임상시험④	비교동등성 임상①			비교동등성임상②

⇒ 바이오시밀러의 경우 1회의 비교동등성 임상시험을 통해 작용기전이 일치하는 적응증 A, B, C 전부에 대하여 사용가능

3) '14.7 기준(BioPharma-Reporter)

4) 인성장호르몬(hGH), 과립구집락자극인자(G-CSF), 적혈구 생성인자(EPO), 난포자극호르몬, Insulin

5) '15.1월 기준(삼성증권 '15. 3)

항체의약품 특허만료 및 바이오시밀러 개발현황

(단위 : 억달러)

국가별 바이오시밀러 개발현황

제품명	주요 적응증	'13년 매출	특허만료시기		개발 개수	가장빠른 개발단계	국 가 ('14. 7기준)	임상단계 파이프라인
			유럽	미국				
Humira	류마티스관절염	110	'18. 4	'16.12	5	임상3상	유럽	35
Enbrel	류마티스관절염	88	'15. 2	'29. 4	9	시판허가	미국	19
Remicade	류마티스관절염	84	'15. 2	'18. 9	5	시판허가	인도	19
Rituxan	비호지킨림프종 등	75	'13.12	'15.12	17	임상3상	한국	9
Avastin	대장암	65	'18. 4	'19. 7	1	임상3상	호주	8
Herceptin	유방암	66	'14. 7	'19. 6	2	시판허가	멕시코	8
							일본	7

자료 : 각사 Annual Report, FiercePharma, IMS, 산업은행 제작성

자료 : BioPharma-Reporter, 산업은행 제작성

- 다국적 제약사들은 바이오베터를 중심으로 개발
  - 치료용 단백질의 체내안정성을 개선한 서방형 바이오베터가 개발 및 시판 중
    - Amgen-Aranesp(서방형 EPO), Sanofi-Aventis(서방형 인슐린), Roche-Pegasys(서방형 IFNa)
  - ADC 기술 적용 항체의약품 바이오베터가 활발히 개발 중이며 Roche의 Kadcyla(허셉틴 바이오베터)가 유일한 허가품목('13년 미FDA 허가)
  - 약물전달기술을 이용하여 투약 편의성 개선하는 비주사제 품목의 개발

바이오베터 개발기술

구분	적용의약품	기술 내용
당쇄부가 (Glycosylation)	Aranesp	▶ 단백질의약품의 당쇄화를 조절하는 기술 ▶ 체내 안정성, 반감기 등을 개선하여 지속형으로 개량 ▶ 효능증대 및 독성(면역원성) 감소
PEGylation	Neulasta, Pegasys	▶ 단백질의약품에 PEG(Polyethylene Glycol)이라는 고분자 물질을 결합 ▶ 체내 안정성, 반감기 등을 개선하여 지속형으로 개량
단백질 융합	Enbrel	▶ 알부민 등과 단백질의약품을 결합하는 기술 ▶ 체내 안정성, 반감기 등을 개선하여 지속형으로 개량
아미노산 치환	Lantus	▶ 단백질의약품의 아미노산 일부를 치환하는 기술
Fc 엔지니어링	Enbrel	▶ 아미노산 치환 등의 방법을 이용하여 항체의 Fc조각의 구조를 변경 ▶ 안정성, 반감기 등을 개선하여 지속형으로 개량
Affinity Maturation	Synagis	▶ 기존의 항체를 기반으로 항원에 대한 친화력을 개선 ▶ 효능을 증대시키는 효과
항체 절편	Lucentis	▶ 항체에서 항원과 결합하는 부분(Fab)만을 분리하여 이용하는 기술 ▶ 효과적인 의약품전달, 효능증대, 독성(면역원성) 감소
Antibody-Drug Conjugate(ADC)	Kadcyla	▶ 항체나 항체조각을 다른 합성의약품, 독소, 방사능 물질 등과 접합 ▶ 의약품을 원하는 부위에 전달하여 효능 및 안전성 향상
이중표적 항체	-	▶ 서로 다른 항원을 동시에 인식하는 항체를 제작하는 기술 ▶ 치료효과 향상

자료 : 글로벌 바이오베터 개발현황과 전략, 산업은행 재작성

▶ 시장규모 및 전망

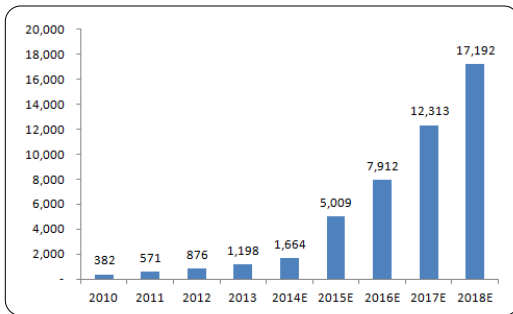
- 바이오시밀러의 세계 시장규모는 '13년 기준 12억달러, '18년 172억달러 전망
  - 특허료, 의료비 지출절감 요구증대, 주요 선진국의 허가규정 완비, 미국시장 개방 등으로 증가 예상
  - 미국, 유럽, 일본 등 허가규정 및 가이드라인 확립으로 바이오시밀러의 개발기간 단축이 가능



- 다국적 제약사들이 세계 바이오시밀러 시장 선도
  - 글로벌 제네릭 제약사인 Sandoz<sup>6)</sup>, Hospira, Stada, Teva 등 뿐만 아니라, Pfizer, Merck(Biogen Idec), Amgen(Actavis), Boehringer Ingelhiem 등 오리지널 보유 제약사들도 항체의약품 바이오시밀러 개발 참여

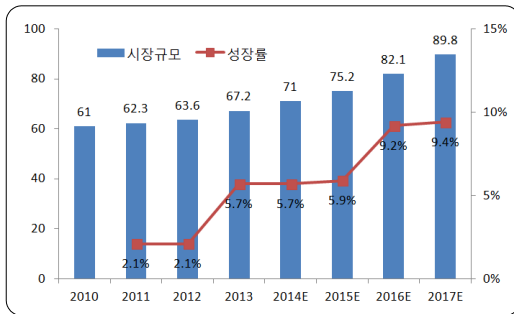
세계 바이오시밀러 시장규모

(단위 : 백만달러)



국내 바이오시밀러 시장규모 및 성장률

(단위 : 백만달러)



자료 : Frost&Sullivan

- 국내 바이오시밀러 시장규모는 '13년 기준 약 700억원, '17년 약 940억원 전망
  - 셀트리온, 삼성바이오로직스, 한화케미칼의 대규모 생산시설 구축<sup>7)</sup>, 특허 만료 본격화, 바이오시밀러의 시판허가로 시장 확대 예상

국내 항체의약품 생산시설 현황

업 체 명	생산능력 (동물세포)	비 고
삼성바이오로직스	180,000L	15만L 증설분 포함 ('16년 완공)
셀트리온	140,000L	
한화케미칼	5,000L	GMP 미승인
바이넥스	4,500L	

자료 : 현대증권, 산업은행 제작성

6) Sandoz는 다국적 제약사인 Novartis의 제네릭 전문 자회사

7) '12년 기준 바이오의약품 생산능력은 연산 2,800,000L로서 국내 M/S는 약 6.4%(삼성 증설분 제외) (ContractPharma, 현대증권)

- 국내업체들이 항체의약품 바이오시밀러를 개발하여 세계시장을 선도
  - 셀트리온(렘시마, 허주마), 한화케미칼(다빅트렐) 국내허가 득, 삼성바이오에피스 유럽 허가신청, LG생명과학, 에이프로젠 등 개발 중
  - 이외의 업체들은 기술난이도가 낮은 치료용 단백질에 대한 바이오시밀러 또는 바이오베터 개발
- 소수의 업체들이 바이오베터 원천기술을 보유하고 있으나, 아직 허가 제품 없음
  - 알테오젠(ADC), 제넥신(Fc 엔지니어링), 파맵신(이중표적 항체) 등 원천기술 보유

### ▶ 기회와 우려

- 고령화, 블록버스터 의약품의 특허만료 본격화, 의료비 지출절감 요구 증대, 관련규정 확립 등으로 수요 확대 전망
  - 세계적인 고령화 현상 심화로 만성질환자수 증가와 특허만료가 바이오시밀러 의약품의 기회(550억달러 규모 바이오의약품이 '12년~'19년 중 특허만료<sup>8)</sup>)
  - 바이오시밀러 가격은 오리지널 대비 약 70% 정도로, 각국의 의료비 지출 절감에 대한 요구<sup>9)</sup>에 부합
- 대체처방에 대한 부정적인 입장으로 시장침투율이 낮고, 경쟁심화 예상
  - 바이오시밀러의 대체처방에 대해 부정적인 법안채택<sup>10)</sup>과 의사들의 안전성 우려 등으로 기시판 제품들의 시장침투율이 낮음<sup>11)</sup>

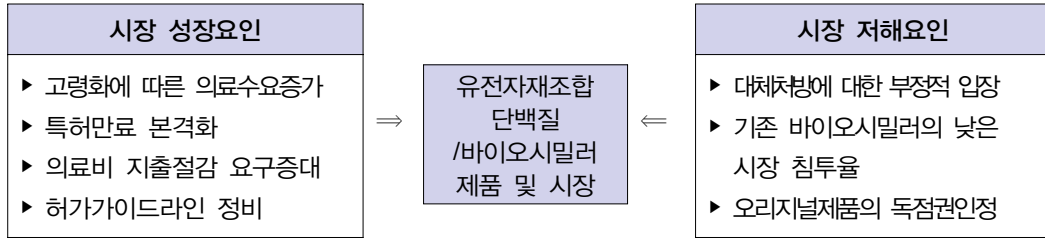
8) Frost&Sullivan

9) '13~'22년 미국 의료비 지출증가율은 연평균 6.2%로 GFP 증가율 상회(Centers for Medicare & Medicaid Services)할 것으로 예상되며, '14~'24년 바이오시밀러 사용으로 미국 의료비 지출액 2,500억 달러 감소가능(IMS Health)

10) 독일, 영국, 프랑스 등의 유럽 국가들은 자동적인 대체처방은 허용하지 않으며, 미국은 8개주만이 대체처방 가능성을 인정하는 법안 제정('14.12월 기준). 또한, WHO는 바이오시밀러에 대한 충분한 사용경험이 쌓이기 전까지는 대체조제에 주의해야한다는 의견 제시

11) 바이오시밀러의 유럽 시장침투율 : 인성장호르몬 8%, EPO 21%

- 바이오시밀러 개발이 일부 블록버스터에 집중되어 경쟁심화가 예상되며, 각국에서 오리지널 제품에 대한 자료 및 시장독점권을 인정해주고 있어 바이오시밀러의 시장출시 지연



## 2. 줄기세포 치료제

### ▶ 개요

- 줄기세포 치료제는 환자 또는 타인에서 채취한 줄기세포<sup>12)</sup>를 체외 조작, 배양하여 환자에게 주입함으로써 특정 질환을 치료하는 의약품임
- 줄기세포 치료제는 환자에게 직접 세포를 주입, 손상된 세포의 기능 또는 조직을 복구하는 근본적인 치료법으로 활용 가능함

### ▶ 기술 동향

- 줄기세포 치료제는 세포기원에 따라 배아, 성체, 역분화 줄기세포 치료제로 구분
  - 골수, 제대혈<sup>13)</sup>, 태반, 지방조직 등 성체 줄기세포 치료제가 가장 활발하게 제품화되고 있음
- 미국을 중심으로 심장, 신경계, 정형외과 질환 등의 적응증에 대한 개발이 진행 중임
  - 국내는 소화기계 질환에 대한 개발 비중이 가장 높으며, 신경계, 암, 정형외과 질환에 대한 치료제 개발이 활발함

12) 줄기세포는 조직 성장단계 중 아직 분화가 진행되지 않은 미분화 세포로, 다양한 종류의 세포 및 조직으로 분화할 수 있는 '다분화성 세포'

13) 제대혈은 산모의 분만 후 탯줄 또는 태반에서 추출한 혈액으로, 조혈모세포와 간엽 줄기세포가 풍부하게 존재하는 것으로 알려짐

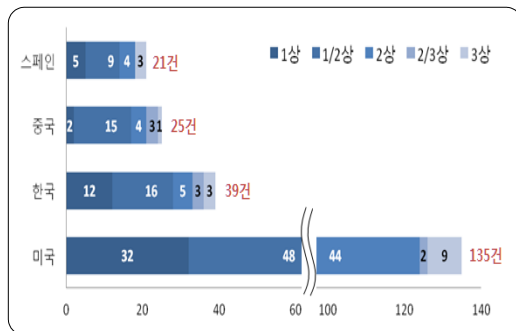
적응증, 임상단계 별 개발 현황

구분	주요 적응증	임상건 비율	임상단계 별 비율				주요국
			20%	40%	60%	80%	
심장 질환	심근경색, 심부전, 협심증	18%					美
신경계 질환	루게릭병, 치매, 알츠하이머	17%					美
정형외과 질환	골관절염, 퇴행성 추간판	11%					美, 西
소화기계 질환	크론병, 치루, 간경변	9%					美

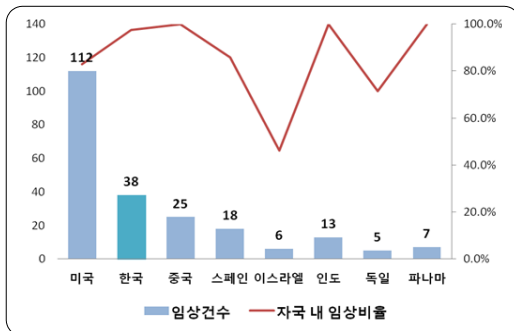
주 : : 임상 초기(1상 이하), : 임상 후기(2/3상 이상) / 美 : 미국, 西 : 스페인  
 자료 : 생명공학정책연구센터, 산업은행 제작성

- 줄기세포 치료제의 상업적 임상이 총 277건 진행 중<sup>14)</sup>임
  - 국가별 임상건수는 미국, 한국, 중국, 스페인 등의 순으로, 대부분의 자국내에서 2상 이하의 초기임상을 진행 중

주요 국가, 단계별 임상 건수



주요국가 자국 내 임상현황



자료 : 식품의약품안전처, 산업은행 제작성

14) 美 국립보건연구원의 임상연구 정보(www.clinicaltrials.gov)를 토대로, 줄기세포 치료제를 이용하여 기업체가 주도하거나 협력하여 '98년부터 현재까지 진행 중인 상업적 임상연구를 대상으로 조사('줄기세포 개발 및 규제동향 2014', 식품의약품안전처, '15.4)

- 국내 줄기세포 치료제는 '12년 이후 상업 임상에 증가하는 추세<sup>15)</sup>로, 2상 이상의 임상은 총 9건이 진행 중이며, 해외에서의 연구 및 상업 임상은 3건<sup>16)</sup>이 등록
- 국내외 품목허가 줄기세포 치료제는 6건이며, 국내 승인제품은 4건임
  - '11년부터 줄기세포 상용화 촉진을 위한 정부정책 등으로 인해 국내 승인 제품이 다수 존재함

전세계 줄기세포 치료제 승인 현황

구 분	국내 품목허가				해외 품목허가	
	하티셀그람AMI	카티스템	큐피스템	뉴로타나알주	프로키말	홀로클라
허가년월	2011.7	2012.1	2012.1	2014.7	2012.5	2015.2
제품사진						
제조사	파미셀	메디포스트	안트로젠	코아스템	(美)오시리스 테라퓨틱스	(伊)키에시 파르마슈티치
원재료 세포	자가 골수 줄기세포	동종 제대혈 줄기세포	자가 지방 줄기세포	자가 골수 줄기세포	동종 골수 줄기세포	자가 각막상피 줄기세포
적응증	급성심근경색	무릎연골결손	크론성 누공	루게릭병	급성 이식편대 숙주병, 크론병	각막 윤부 줄기세포 결핍증
희귀약	X	X	○	○	○	○

자료 : 생명공학정책연구센터, 산업은행 제작성

15) 국내 임상승인건수는 '12년 7건 → '13년 9건 → '14년 이후 11건으로, 임상시험 진입건수가 점차 증가하는 추세

16) 국내 줄기세포 치료제의 해외 임상시험 현황

업 체	제품명	임상 기간	대상 질환	임상단계	임상국
메디포스트	CARTISTEM	'15.4 ~	골관절염, 퇴행성 질환 외상성 손상, 무릎 질환	Phase 1/2a (진행 중)	미국
	PNEUMOSTEM	'15.3 ~	기관지폐 이형성증	Phase 1/2 (진행 중)	미국
케이스스템셀	JOINTSTEM	'14.3 ~	퇴행성 관절염	Phase 2 (임상승인)	미국

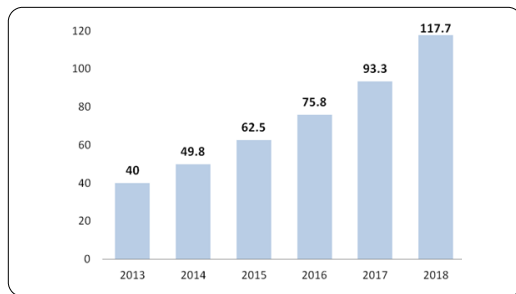
자료 : 생명공학정책연구센터, ClinicalTrials.gov, 산업은행 제작성

▶ 시장규모 및 전망

- 세계 줄기세포 치료제 시장규모는 '13년 약 400억달러로, '18년 1,177억달러 전망
- 국내 줄기세포 치료제 시장규모는 '14년 약 47억원(기승인제품 매출합)으로, '17년 126억원 전망

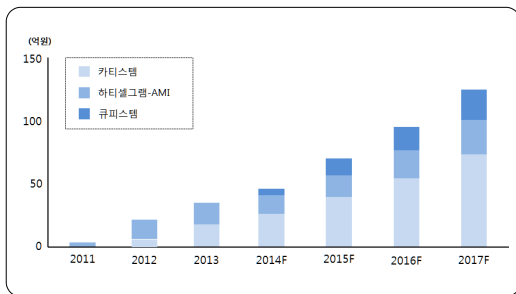
세계 줄기세포 치료제 시장전망

(단위 : 십억달러)



국내 승인제품 매출전망

(단위 : 억원)



자료 : Frost&Sullivan, 생명공학정책연구센터, 신한금융투자 재인용

- 이미 품목승인을 득한 업체 주도의 신제품 연구개발이 증가할 것으로 예측됨
  - 업체별 축적된 줄기세포 치료제 제조기술<sup>17)</sup>, GMP 설비 운용<sup>18)</sup> 및 임상진행 노하우 등을 바탕으로 줄기세포 치료제 파이프라인이 구축될 것으로 예상됨

줄기세포 치료제 개발 주요 파이프라인

제조사	제품명	세포 종류	적응증	진행상황
메디포스트	뉴모스템	제대혈유래 간엽 줄기세포	미숙아 기관지폐 이형성증	임상 2상 ('12.9~)
파미셀	리버셀그램	골수유래 중간엽 줄기세포	간경변	임상 2상 ('12.11~)
안트로젠	ALLO-ASC-TI	지방유래 줄기세포	외측상과염 (힘줄 손상 등)	임상 2상 ('14.6~)

자료 : 식품의약품안전처, 산업은행 제작성

17) 줄기세포 치료제 생산을 위한 핵심기술은 줄기세포 분리 및 세포주 확립기술, 다중분화 유지기술, 대량배양 기술, 제품 안전성 제어기술 등임

18) 세포치료제 GMP는 제품 품목승인뿐만 아니라, 임상시험계획 승인(IND)을 위해서도 반드시 해당 기준에 맞게 사전 준비가 완료되어야 하는 필수 요건임

- 국내외 제약사는 줄기세포 치료제 개발업체 및 연구소에 대한 투자 및 제휴를 점차 확대할 것으로 전망됨
  - 대형 제약업체는 중소 개발업체, 연구소와의 제휴 또는 인수합병 등을 통해 사업다각화, 임상설계 등 줄기세포 치료제 개발을 위한 플랫폼을 확보 중임

국내외 줄기세포 치료제 관련 인수, 제휴현황(요약)

구분	제약사	대상 업체(기관)	년월	세부 내용
해외	Fuji Film(일)	CellularDynamics(미)	'15. 3	· 유도 만능줄기세포(iPS) 신약개발사업 인수
	Bayer(독)	교토대(일)	'14. 9	· 2년간 역분화 줄기세포(iPS) 연구 지원
	Novartis(스)	GamidaCell (이스라엘)	'14. 8	· 'NiCord' 개발 관련 3,500만 달러 지분투자
국내	대웅제약	강스템바이오텍	'15. 1	· '퓨어스템' 국내외 독점 판매, 공동개발 계약
	JW중외제약	파미셀	'13. 7	· '하티셀그램-AMI' 공급계약 및 임상 중 제품에 대한 독점 판매 계약
	동아에스티	메디포스트	'10.12	· '카티스템' 국내 판권 양수도 계약

자료 : 각사 공시 및 보도자료 등, 산업은행 제작성

## ▶ 기대와 우려

- 기승인 제품의 시술건수 증가에 따른 신뢰도 증가, 국가의 정책적 지원 등으로 전반적인 시장 확대에 중요한 요소로 작용할 것임
  - 카티스템, 하티셀그램-AMI의 시술건수가 '14년 기준 전년대비 각 45%(660건 → 960건), 19%(189건 → 225건) 증가
  - 연구자 임상 및 임상 1상 간 동등성 인정, 희귀의약품 지정에 의한 조건부 품목허가 등 식약처 규정개정에 기인한 제품화 기간의 단축 가능성이 존재함

줄기세포 치료제 임상면제 관련 주요규정

구분	명시규정	주요 내용	비고
연구자 임상 및 임상 1상 간 동등성 인정	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정(2014-158호)</li> <li>• 세포치료제 연구자 임상시험 가이드라인('14.12.30)</li> <li>• 보도자료('14.09.24)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 자가 유래 줄기세포치료제는 연구자 임상 승인을 위한 자료를 개발단계 임상과 동일 수준으로 제출하는 것으로 규정됨</li> <li>• 연구자 임상에서 안전성이 확보된 경우, 임상 1상 자료를 동 자료로 갈음할 수 있음</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 품목허가를 위한 연구자 임상시험에만 적용</li> <li>• 동종 유래 줄기세포로 적용범위 확장 추진</li> </ul>
희귀 의약품 <sup>19)</sup> 지정 (조건부 승인)	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 희귀의약품 지정에 관한 규정(2015-11호)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 희귀의약품 지정된 줄기세포 치료제에 대해, 승인 후 3상 자료(확증 임상시험) 제출을 조건으로, 2상 자료(탐색 임상 시험)로 품목승인 신청 가능</li> </ul>	희귀 난치질환자 대상 줄기세포 치료제 이용 치료기회 확대 추진
	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 보도자료('14.07.30)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 뉴로타나-알주(코아스템社)는 '14년 승인 이후 7년간 3상자료 제출 필요('15년 4월 3상 실험 승인)</li> </ul>	

자료 : 식품의약품안전처

- 줄기세포 치료제는 장기적인 유효성에 대한 검증 부족, 높은 약가에 대한 부담, 대량생산 기술의 부재 등의 문제점이 공존함
  - 조건부 승인을 통해 제품화 기간이 단축된 사례가 있으나, 대상 환자수 및 3상 자료의 부족으로 제품 유효성에 대한 처방의사의 우려 존재
  - 식약처는 줄기세포 치료제의 시판 후 전수조사 의무화를 추진 중에 있어, 기승인 제품도 충분한 시술건수 등의 미확보 시 품목허가가 취소되는 사례 발생 가능함

19) 희귀의약품은 국내 유병인구가 2만 명 이하이거나, 연간생산(수입)실적이 15억 원 이하인 의약품으로, 적절한 치료방법과 의약품이 개발되지 않는 질환에 사용하거나 기존 대체의약품보다 현저히 안전성 또는 유효성이 개선된 의약품을 대상으로 지정됨

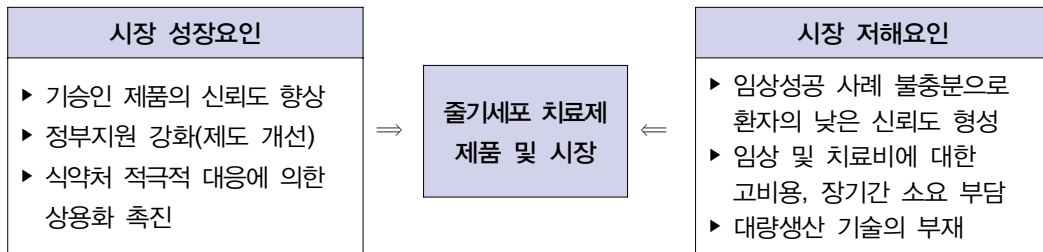


줄기세포 치료제 전수보고 조사 주요내용

구 분	세부 내용
대 상	줄기세포 치료제 재심사 부여 품목
	신규 품목 시판 개시일로부터 시판 초기 2년
	기 허가 품목 조사계획서 변경 이후 최초 공급일자 기준으로 2년
필요성	줄기세포 치료제는 국내외 사용경험이 비교적 적어 시판 이후 가능한 많은 안전성, 유효성 정보 수집 및 평가가 중요
목적	새로운 줄기세포 치료제 사용정보의 수집, 분석 및 결과를 사용자에게 제공, 안전사용 기반 마련
조사범위	해당 의약품을 사용하는 전체 의료기관을 조사기관으로, 초기 2년간 허가된 효능효과와 관계없이 전체 사용사례 조사

자료 : 식품의약품안전처

- 줄기세포 치료제는 복잡한 제조과정, 높은 연구개발비가 반영된 고가약품으로 적정한 건강보험료 산정 및 급여항목 지정에 어려움<sup>20)</sup>이 존재, 환자 접근성이 낮음
- 국내는 줄기세포의 대량 생산 및 유통에 관한 기술을 보유한 회사가 전무한 상황<sup>21)</sup>으로, 관련 기술의 미확보로 제품 단가 하락요인이 제한적인 상황임



20) 조사일 현재 국내 1개 제품에만 급여항목 지정 중으로, 줄기세포 치료제에 대한 건강보험 지원은 제한적인 상황

제조사	제품명	규격	의약품 구분	보험 상한가
안트로젠	큐피시스템	1ml	전문, 희귀의약품	13,490,000원

21) Mesoblast(호주), Neuralstem(미), Cytori Therapeutics(미) 등 외국업체만이 대량생산 및 유통기술을 보유한 것으로 알려져 있음(바이오-파마 코리아 2020 컨퍼런스 자료 재인용)

### 3. 백신

#### ▶ 개요

- 백신은 질병에 대한 면역성을 높이기 위해 면역체계에 인위적으로 자극을 주어 선택적으로 질병을 예방하거나 치료하는 물질임
  - 목적에 따라 예방용과 치료용, 항원의 수에 따라 1가 백신 및 다가 백신 등으로 구분
- 백신은 공공재적 성격이 강해 정부가 수요처가 되며, 생물학적제제로 제조 및 품질관리가 어려움

백신과 Chemical Drug 비교

구분	백신	Chemical Drug
주 고객	건강한 사람(예방목적), 정부관계기관(소아백신)	환자(치료목적), 의사, 약사
수익구조	정해진 가격정책에 따라 낮지만 안정적인 이익구조	특허만료전 블록버스터 의약품의 높은 매출과 고마진
특징	허가와 제조방법(생물학적제제)이 까다로움	Chemical 합성이 상대적으로 쉬움
	공급 Chain 복잡 (냉동창고 필요, -4℃ 이하 보관 必)	공급 Chain 상대적으로 덜 복잡 (상온 보관)
	특히 상대적으로 덜 중요	특허로 보호, 특허만료 후 제네릭 경쟁
	임상범위 5,000 ~ 10,000명	임상범위 2,000 ~ 3,000명

자료 : 하나대투증권 백신산업 리포트('14.8), 백신분야 외국규제 당국초청 워크샵(Rodney Carbis, '13.7)

#### ▶ 기술동향

- 백신은 형태에 따라 (약독화)생백신, 불활성화, 변성독소, 유전자재조합, 다당 백신 등으로 구분, 생산방식에 따라 유정란, 세포배양으로 구분 가능
  - 세포배양방식은 닭의 유정란 대신 동물세포를 사용해 백신을 생산

주요 백신의 종류			백신 생산방식에 따른 분류	
형 태	설 명	예 시	유정란 방식	세포 배양
약독화 생백신	질병 유발 미생물을 약화시켜 몸 안에 주입하는 백신	홍역, 볼거리, 풍진, 수두 등	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 저비용</li> <li>• 긴 준비기간</li> <li>• 유정란 사용                             <ul style="list-style-type: none"> <li>- 조류 인플루엔자 발생 시 공급불가</li> <li>- 투여 대상 선별</li> </ul> </li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 고비용                             <ul style="list-style-type: none"> <li>- 초기투자비용 多</li> </ul> </li> <li>• 긴급대응 가능</li> <li>• 대량생산</li> <li>• Cell Line 사용                             <ul style="list-style-type: none"> <li>- 계란 알려지 보유자도 투여가능</li> </ul> </li> </ul>
불활성화 백신	질병 유발 미생물을 화학제 또는 열처리 하여 불활성화한 백신	A형간염, 인플루엔자 등		
유전자 재조합백신	질병 유발 미생물로부터 항원 유전자를 분리 후 원하는 항원만을 생산	B형간염 등		
변성독소 백신	질병 유발 미생물이 생산하는 독소에 대해 대항하는 항체를 유도하는 백신	파상풍, 디프테리아 등		
다당백신	질병 유발 미생물의 세포벽 주성분인 다당을 추출하여 제조	폐렴구균, 수막염 등		

자료 : WHO, 식약처, 하나대투증권 백신산업 리포트('14.8)      자료 : BioIndustry-No.56('12.8), 생명공학정책연구센터

- 백신기술은 수율 증대와 품질향상, 면역보강제 개발, 접종법 개선, 개선백신 개발 등의 방향으로 연구개발될 것임<sup>22)</sup>
  - 백신 개발은 소아용 복합기초백신의 제형개발, 다가백신의 균주 커버리지 확대, 미개발 및 효력개선 백신 개발, 만성질환치료를 위한 치료용 백신 개발이 예상<sup>23)</sup>
  - 국내 백신 개발은 콤보백신(두가지 이상 백신 혼합) 형태의 소아기초백신, 프리미엄급 소아 및 성인용 백신, 4가 및 세포배양 독감백신 등이 개발 중
    - 국내업체는 수입백신 대체를 위한 제네릭 형태의 백신개발에 주력

22) 백신 자급화 및 세계화를 위한 제품화 지원 기획연구('14.11.27), 가톨릭대학교 산학협력단

23) 한국바이오협회 전문가 인터뷰 「백신산업의 향후 전망('14.12)」, 윤진원(CJ헬스케어)

국내 백신 제조 현황('14년 6월 기준)

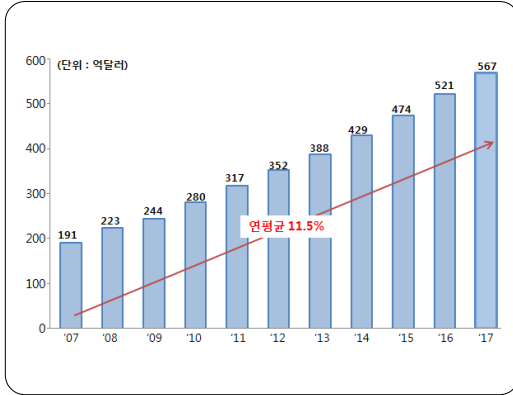
제조사	상용화 생산 백신	개발 중인 백신	개발 후보 백신
녹십자	계절독감, 수두, 일본뇌염사, 한타 바이러스	Td(소아3상 완료, 성인3상 중), Tdap(동물실험완료), DTaP, BCG(설비중), 4가 계절 독감 (세포배양 포함)	대상포진(subunit), 로타장염, NTHi
LG생명과학	B형간염, Hib, DTap-HBV(수출전용), DTwP-HBV-Hib(수출전용)	DTwP-HBV-Hib-IPV	DTaP-IPV, DTaP-HBV-Hib, DTaP-HBV-Hib-IPV
보령바이오	일본뇌염사(세포배양포함), 장티푸스	Td	DTaP-IPV, DTaP-Hib-IPV
SK케미칼		PCV13(성인임상완료, 소아3상), 대상포진, 세포배양 3가 독감 (3상 완료), 세포배양 4가	로타장염, HPV
일양약품	3가 계절 독감 백	4가 계절 독감	RSV
CJ		Small pox, 수족구병	RSV
종근당		HPV	LPL Plat Form Plant를 통한 다양한 LPL 백신

자료 : 백신 자급화 및 세계화를 위한 제품화 지원 기획연구('14.11.27), 가톨릭대학교 산학협력단

### ▶ 시장규모 및 전망

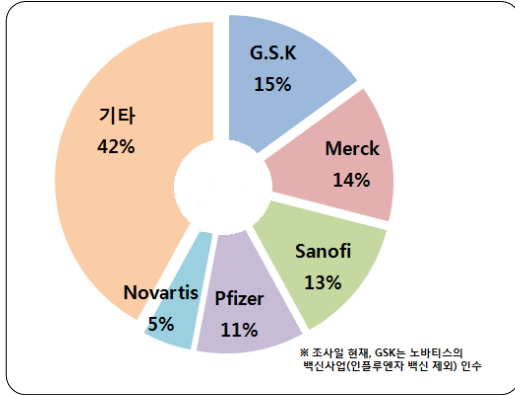
- 세계 백신 시장은 '12년 기준약 352억달러 규모, '17년 567억달러로 전망
  - 세계 백신 시장은 상위 5개 백신 제조사의 독점체제('13년 약60%)로 유지
  - 글로벌 백신 기업은 M&A를 통해 과점 체제 강화
    - GSK의 Novartis 백신사업(인플루엔자 백신 제외) 인수

세계 백신시장 규모



자료 : GBI Research, 식약처('14.9.4) 보도자료

세계 백신 시장 MS('13년 기준)

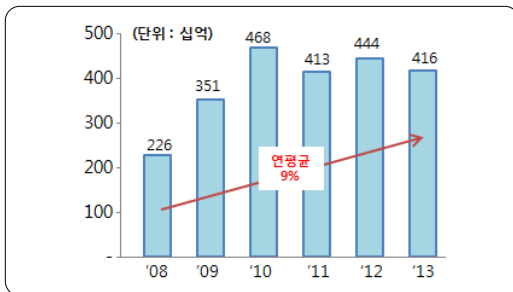


자료 : 하나대투증권 백신산업('14.8.18) 리포트

● 국내 백신 시장규모는 '13년 약 4,100억원(생산단가 기준)으로, 최근 6년간 연평균 9% 성장

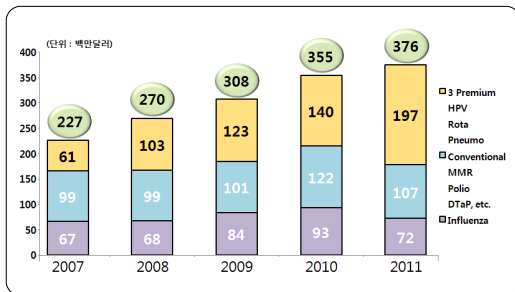
- 프리미엄백신(자궁경부암, 로타바이러스, 폐렴구균)이 백신 시장의 성장을 주도
- 국내 백신업체는 녹십자, LG생명과학, 보령, CJ, 한국백신, 동아, 한독, SK케미칼, 일양약품 등의 국내업체와, GSK, Sanofi, Novartis, Merck, Crucell 등의 다국적 기업, Biken, Kaketsuken 등의 일본업체, Chengdu, Changchun 등의 중국업체로 구성

국내 백신시장 규모



자료 : 한국바이오의약품협회, 식약처('14.9.4) 보도자료

국내 제품군별 백신시장



자료 : 「바이오의약품 도전과 기회('12.3)」 세미나 자료, 식약처

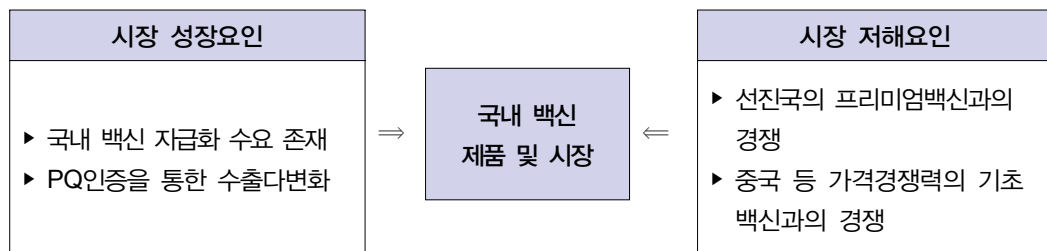
▶ 기대와 우려

- 국내 백신 자급화 필요, PQ인증을 통한 수출시장 다변화
  - 자체 생산 백신 규모가 40%수준<sup>24)</sup>, 국내 바이오산업 수입제품 중 수입액 1위<sup>25)</sup>
    - 국내업체는 국내 사용 중인 28종의 백신 중 9종만 제조 가능
  - 녹십자 범미보건기구(PAHO)로부터 약 2,900만 달러 수주(약 320억원, '15년)
    - '14년 12월 기준, 국내 3개 제약사 14개 품목 PQ인증 득
- 프리미엄백신의 선진국과 가격경쟁력의 개발도상국 사이에 위치
  - 국내 백신은 제네릭 위주로 개발되어 왔으며, 프리미엄백신(폐렴구균, 자궁경부암, 대상포진 등)은 거의 생산하지 못하는 실정
  - WHO PQ인증 현황 : 총 22개국(선진국 13(한국 포함), 개발도상국 9), 29개 업체, 230개 품목

WHO 인증 현황('14.12월)

구 분	국 가 명
선진국(13)	호주, 벨기에, 캐나다, 덴마크, 프랑스, 네덜란드, 독일, 이탈리아, 일본, 한국, 스웨덴, 영국, 미국
개발도상국(9)	인도, 브라질, 불가리아, 쿠바, 인도네시아, 러시아, 세네갈, 태국, 중국

출처 : 식약처('15.1) 보도자료



24) 하나대투증권 백신산업 리포트('14.8), 질병관리본부(수입백신 비중 : '09년 57.1% '10년 54.6% '11년 58.4%)  
 25) 2013년 기준 국내 바이오산업 실태조사('15.2), 산업통상자원부, 한국바이오협회

## 4. 유전자치료제

### ▶ 개요

- 유전자치료제는 질병 치료 등을 목적으로 결핍 및 결함된 유전자를 대체, 수정, 보강 및 증폭시켜 인체에 투입하는 의약품임
  - 유전자치료제는 치료용 유전자와 유전자전달체(벡터)로 구성



자료 : Bio-Pharma Korea 2020('14.12)

자료 : 바이오인더스트리 71호-유전자 치료제 개발 동향('13.4), 생명공학정책연구센터

- 유전자전달체는 유전자를 세포 내로 전달하는 물질로, 바이러스가 주로 이용됨

### 유전자전달체(벡터)의 종류 및 특징

구분	바이러스성 벡터	비바이러스성 벡터
개요	바이러스의 자신의 유전자를 다른 숙주로 전달하는 성질을 이용(병원성 제거 후 사용)	바이러스 외 전달체(Plasmid DNA 등) 이용
종류	레트로바이러스 / 렌티바이러스 (RetroVirus / Lentivirus,) 아데노 부속 바이러스(Adeno-Associated Virus, AAV) 아데노바이러스(Adenovirus) 등	Plasmid DNA, 리포솜(Liposome) 등
장점	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 유전자 전달 효능이 우수</li> <li>• 바이러스의 고유 특성인 증식기전으로 인하여 세포질 또는 세포핵으로 유전자를 전달</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 바이러스의 유전물질이 인체세포 안으로 유입될 소지가 없음</li> <li>• 도입할 유전자 크기의 제한이 없음</li> <li>• 부작용이 낮음</li> <li>• 면역반응을 자극하거나 염증반응을 유발할만한 단백질을 포함하고 있지 않아 상대적으로 안전함</li> </ul>
단점	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 기원이 병원성 바이러스이므로 안정성 등 다양한 문제점을 함께 전달할 위험성 존재</li> <li>• 유전자 크기에 제한</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 세포 안으로 도입되는 효율이 바이러스성 벡터에 비해 1/1,000 ~ 1/100,000 수준으로 낮음</li> <li>• 도입된 유전자의 발현이 지속되지 않고 일시적임</li> </ul>

자료 : 바이오인더스트리 71호-유전자 치료제 개발 동향('13.4), 생명공학정책연구센터

▶ 기술동향

- 유전자 치료는 전달 방식에 따라 ex vivo, in vivo로 구분

유전자치료제 전달 방식

in vivo(체내)	ex vivo(체외)
<ul style="list-style-type: none"> <li>• 대상세포 및 조직에 치료 유전자를 직접 주입</li> <li>• ex vivo 방식에 비해 실용성 및 적용성 면에서 유리</li> <li>• 치료 유전자를 대상세포에만 전달시켜야하는 주의 필요</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 체외에서 세포를 치료유전자로 형질 전환시켜 선별적으로 증식시킨 후 대상조직에 삽입</li> <li>• 유전자 전달 효율성이 높음</li> <li>• 선별마커 유전자를 가진 벡터의 경우 변환된 세포를 강화</li> </ul>

자료 : 바이오인더스트리 89호-유전자치료제 시장전망 및 임상시험 동향('15.1), 생명공학정책연구센터

- 유전자치료제는 미국, 유럽을 중심으로 임상시험(주요타겟 : 암치료) 중이며, 최근 유전성 안질환 분야가 새로운 희귀 난치성 질환 분야로 떠오르는 중
  - Spark Therapeutics社 유전성 망막이상증에 대한 임상 3상 진행, IPO 성공

임상 3상 진행 중인 주요 유전자치료제 현황('15.2 기준)

회사명	제품명	적응증	개발국	회사명	제품명	적응증	개발국
Cold Genesys	CG0070	방광암	미국	Spark Therapeutics	SPK-RPE65	유전성 망막이상증	미국
NewLink Gentic	HyperAcute®-Pancreas	췌장암	미국	AnGes	Collategene	족부궤양	미국
Advantagene	ProstAtakTM	전립선암	미국	Astellas Pharma (Vical 공동)	ASP0113 (TransVaxTM)	조혈모세포이식후 CMV억제치료백신	다국가
Molmed	TK008	급성백혈병	다국가	Tazus Cardium Pharmaceuticals	Generx	관상동맥질환	러시아
Sarepta Therapeutics	Eteplirsen	듀시엔형 근이영양증	미국	NextGen Company Limited	Neovasculgen®	악안면수술 중 뼈조직 재생	러시아

자료 : 바이오인 '15년 전문가리포트 9호 「유전자치료제 연구동향 및 전망('15.2)」, 생명공학정책연구 센터

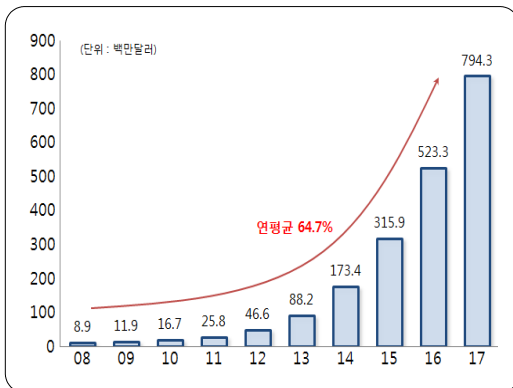


- 국내 상업화된 유전자 치료제는 전무한 상황으로, 산업발전을 위해서는 글로벌 수준의 치료제 개발을 위한 원천 기술 확보, 변화된 연구개발 현실에 맞는 규제 완화, 유전자 치료제 신약개발과정 전반에 걸친 인프라 보강 등이 필요<sup>26)</sup>

▶ 시장규모 및 전망

- 세계 유전자치료제 시장은 '12년 약 46백만달러에서 연평균 64.7%로 성장하여 '17년 약 8억달러 규모 전망(현재, Gendicine, Glybera 등 전세계적으로 5개 품목만 허가)

세계 유전자치료제 시장현황 및 전망



자료 : Global Industry Analysts, Gene Therapy, 2012, 바이오인더스트리 89호- 유전자치료제 시장 및 임상동향('15.1), 생명공학정책연구센터

유전자치료제 허가품목

연도	국가	제품명	회사명	대상질환
'03	중국	Gendicine	Shenzhen Sibiono GeneTech	두경부암
'05	중국	Oncorine	Shanghai Sunway	두경부암
'07	필리핀	Rexin-G	Epius Biotechnologies	전이성 악성종양
'11	러시아	Neovasculgen	Human Stem Cell Institute	중증하지허혈
'12	유럽	Glybera	Uniqure	지단백지질 분해 효소결핍증

자료 : Bio-Pharma Korea 2020 「유전자 치료제 산업 발전 방안('14.12)」

- 국내 유전자치료제는 산업의 도입기로, 상용화된 유전자치료제는 전무하며, 코오롱 생명과학, 바이로메드 등이 임상시험을 진행 중임

26) Bio-Pharma Korea 2020, 「유전자 치료제 산업 발전 방안('14.12)」, 코오롱생명과학 김수정 소장

주요 국내업체 유전자치료제 임상 진행 현황

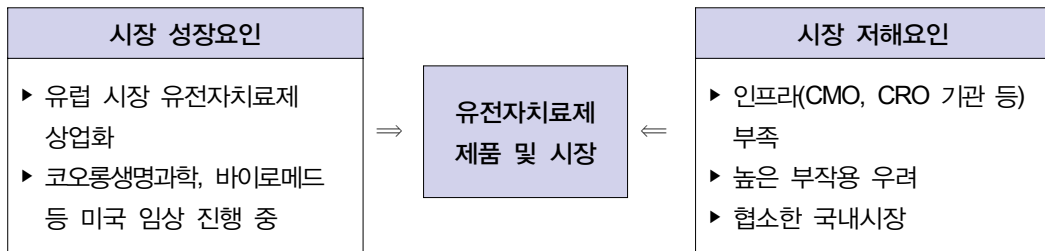
회사명	제품명	적응증	국내임상단계	해외임상단계
코오롱생명과학	티슈잔C 주사법	퇴행성관절염	3상 진행 중	3상 신청(미국)
바이로메드	VM202-PAD	허혈성지체질환	2상 완료	2상 완료(미국), 2상 진행 중(중국)
	VM202-DPN	당뇨병성신경병증	2상 완료	2상 완료(미국)
	VM202-CAD	협심증, 심근경색	1상 완료	
	VM202-ALS	근위축성 측삭경화증	-	환자 투약완료, 추적관찰중(미국)
제넥신	HB-110E	만성B형간염치료 백신	2a상 진행 중	
	GX-188E	HPV CIN3	2상 진행 중	유럽 임상2상 시험 승인
	GX-051	두경부암	1상 진행 중	
신라젠 (녹십자공동개발)	JX-594	소라페닙치료이력이 없는 진행성간세포암	2a상 완료	3상 준비 중(글로벌)

자료 : 바이오인 '15년 전문가리포트 9호 「유전자치료제 연구동향 및 전망(15.2)」, 생명공학정책연구센터, 각사 홈페이지

▶ 기대와 우려

- 세계적으로 유전자치료제의 개발 성과가 가시화(Glybera, '12년 유럽 판매승인) 되면서 관련 시장의 성장이 전망
  - Glybera는 네덜란드 유니큐어사가 개발한 희귀질환인 지질분해효소결핍증에 대한 유전자치료제로, 유럽 최초허가 후 독일 판매허가('14.11), 현재 FDA 승인 신청 중
  - 코오롱생명과학(미국 3상 신청), 바이로메드(미국 2상 완료) 등 상업화 진행 중
- 국내 유전자치료제는 상업화 실적이 전무한 상황으로, 인프라 부족, 높은 부작용 우려, 적은 타겟환자(희귀질환) 규모 등의 문제점 존재

- 유전자치료 사망 사건 존재('99년 Jesse Gelsinger사망, '00년 백혈병 발병 및 사망)<sup>27)</sup>
- Glybera는 희귀질환인 만큼 유럽에 필요환자는 150~200명으로 알려져 있음
- cGMP급 유전자치료제 제조소 및 연구용 CMO 부족, CRO 기관 부재
  - 자체 생산설비 갖춘 유전자치료제 개발사 1곳에 불과, 품목허가 시 차질 우려
  - 비임상/임상시험용 의약품 위탁 제조할 수 있는 CMO 부족(해외 CMO에서 생산 중)
  - 생산한 유전자치료제 품질을 분석·평가할 수 있는 전문 기관 부재 (해외의존)



### III 시사점

- 바이오의약품은 제약시장을 견인할 성장동력으로, 국내외 제약사들의 투자 증가
  - 세계 의약품 시장은 고령화에 따른 만성질환자 수의 증가, 소득수준 증가에 따른 의료비 지출증가 등으로 연평균 5.5% 이상의 성장률이 기대되고 있음

27) '99년 미국 펜실바니아 대학은 유전질환인 스카바밀리아제 결핍증(신체에 암모니아를 증가시키는 질병, 식이요법으로 생명 유지 가능)을 앓고 있는 당시 18세 남자환자 제시 겔싱어에게 유전자치료 임상시험을 진행하던 중 호흡곤란으로 환자 사망  
 '00년 유럽에서 진행된 중증면역결핍증을 치료하기 위한 유전자치료 임상시험 중, 환자 5명에게서 백혈병 발병, 이 중 1명 사망

- 바이오의약품은 생물체에서 유래된 것으로 독성이 낮고, 선택적 작용이 가능하여 난치성 및 만성 질환에 대한 치료효과가 커서 시장비중이 확대되고 있음
- 제약사들은 합성의약품의 특허만료에 따른 가격인하, 합성신약의 낮은 R&D 생산성 등을 극복하고 고가의 바이오의약품을 통한 매출확대를 위해 투자 방향을 재편하고 있음
- 바이오의약품에 대한 대규모 투자에도 불구하고, 시장안착에 대한 불확실성 상존
  - 바이오의약품 업체들은 제품 개발 및 생산시설 구축에 대규모 자금을 투자하였으며, 파이프라인 확대, 공정기술 개선, GMP 인증 등을 위한 추가투자를 지속 중
  - 그러나, 바이오의약품은 의사와 환자들의 유효성 및 안전성에 대한 우려, 처방을 위한 근거법안 및 가이드라인의 미비, 불필요한 규제 등으로 시장 여건 미조성
- 바이오의약품에 대한 소비자 신뢰 확보가 필요
  - 바이오의약품의 유효성과 안전성에 대한 의사와 환자의 우려불식을 위해 시판허가 이후에도 추가적인 다기관·다국가 임상시험 실시, 신뢰도 높은 개발·마케팅 파트너의 확보 등 필요
  - 신뢰확보는 시장여건 조성 뿐 아니라 바이오의약품의 경쟁심화시 제품간 차별화 요소로 작용할 것으로 예상됨
- 바이오의약품 산업생태계 인프라 조성을 위한 정부의 제도 지원 필요
  - 바이오의약품에 대한 규제완화로 개발비용을 줄이고, 건강보험 적용 확대로 환자부담을 경감시키는 등 바이오의약품 상용화를 촉진하는 방향으로 제도개선 필요
  - 중소벤처 바이오기업의 효율적인 연구개발 및 바이오의약품 생산을 위해 전문 CRO, CMO 육성을 제도적으로 지원

- 중소·대형 제약사간의 전략적 파트너링이 필요하며, 협력 네트워크 기업에 대한 연계투자가 요구됨
  - 바이오의약품은 대규모 투자비가 요구되는 산업으로서, 바이오제약사의 성공을 위해서 파트너링을 통해 핵심기술 확보, 파이프라인 확대, 글로벌 진출 촉진 등의 전략이 필요
  - 바이오의약품 Value Chain에서 핵심물질개발기업, 임상전문기업, 제조전문기업 등의 전문화기업과 상하 Value Chain간 협력관계가 우수한 기업에 대한 발굴과 지원이 필요