

글로벌 세포·유전자 치료제 시장 현황 및 전망

KEY POINTS

- 글로벌 세포·유전자 치료제 시장은 미충족 의료수요의 증가, 질환의 근본적 치료에 대한 수요 증가, 규제환경의 변화 등으로 인해 큰 폭으로 성장하여 '28년 117조원('21년부터 CAGR 45.7%)의 시장을 형성할 것으로 전망
- 모달리티(Modality)별로 보면, '21년 기준 DNA 및 RNA 치료제가 가장 큰 비중(51.2%)을 차지하고 있으나 '28년까지 유전자변형 세포치료제(주로 CAR-T 항암제, 27.4%)와 유전자치료제(주로 희귀질환치료제, 23.9%) 시장도 눈에 띄게 확대될 것으로 전망
- 치료영역별로 보면, '21년 현재 스피라자(Spinraza)와 졸겐스마(Zolgensma)로 인해 신경계 질환치료제(47.2%)가 절반을 차지하고 있으나 '28년에는 항암제가 가장 큰 비중(34.03%)을 차지할 것으로 전망
- 글로벌 빅파마 노바티스는 김리아(Kymriah), 졸겐스마, 렉비오(Leqvio)의 매출 성장세로 인해 '28년 세포·유전자 치료제 분야 매출 1위(약 60억 달러)를 유지할 것으로 전망되고, J&J의 CAR-T 치료제인 카빅티는 '28년 기준 매출 1위 품목(약 30억 달러)으로 전망됨
- 세포·유전자 치료제 파이프라인 확보를 위한 글로벌 빅파마의 오픈이노베이션은 활발히 진행되고 있어 '22년 기준 76%의 파이프라인을 L/I 및 M&A를 통해 확보하고 있는 것으로 나타남
- 국내의 경우 '21년 현재 15건의 세포치료제가 허가되었고, 유전자 치료제는 노바티스의 김리아주, 졸겐스마주, 렉스터나주 3건의 수입허가만 되어 있는 상황임
- 국내 CGT분야 경쟁력 확보를 위해서는 정부차원의 규제 및 CMC 관련 정책지원, 전문 인력 양성이 필요하고 민간차원에서는 적극적인 오픈이노베이션 활성화가 필요함

세포·유전자 치료제는 미충족 의료 수요, 질환의 근본적 치료, 규제 환경의 변화 등으로 인해 시장이 급격히 성장하고 있고¹⁾, 다수의 글로벌 빅파마가 시장을 이미 선점하고 있다. 특히, 난치성 질환에 대한 미충족 의료 수요와 효과적이고 부작용이 적은 항암제에 대한 수요가 세포·유전자 치료제 시장 성장의 주요인으로 작용하는데, 이는 세포·유전자 치료제가 질병의 원인을 세포·유전자 차원에서 해석하여 근본적 치료를 가능하게하기 때문이다. 글로벌 합성약품 중심 기업들도 이미 기술도입 및 기업인수 등 오픈 이노베이션을 통해 비용 대비 성장 가능성이 높은 초기 단계 CGT 파이프라인 비중을 적극적으로 늘려가고 있다. 한편, 본 보고서에서는 세포·유전자 치료제로 분류하지 않았지만²⁾, 코로나19 팬데믹에서 mRNA 백신의 신속허가가 전 세계적으로 RNA 치료제 규제 환경에 변화를 주면서 세포·유전자 치료제 분야의 발전을 가속시키는 계기가 되었다.

본 보고서에서는 세포치료제, 유전자 변형 세포치료제, 유전자치료제, DNA&RNA 치료제를 포함한 전체 세포·유전자 치료제의 글로벌 시장 현황 및 전망에 대하여 정리하고, 국내 제약바이오기업의 경쟁력 확보 방안에 관해 서술하였다.

1) KHIDI(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향

2) 본 보고서에서는 Evaluate Pharma의 기술 분류 유형에 따라 세포치료제, 유전자 변형 세포치료제, 유전자치료제, DNA&RNA치료제, 유전체 편집, 항암바이러스를 '세포·유전자치료제'로 분류하였으며, mRNA 백신이 포함된 백신은 분석에서 제외되었다.

"세포·유전자치료제 정의, 분류 및 승인 현황"

식품의약품안전처에 따르면, 세포치료제는 '살아있는 자가, 동종, 이종 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품', 유전자치료제는 '질병치료 등을 목적으로 인체에 투입하는 유전물질 또는 유전물질을 포함하고 있는 의약품'을 뜻한다. 이러한 세포·유전자 치료제는 질병을 세포·유전자 차원에서 공략하여 근본적인 치료가 가능하기 때문에 미충족 의료 수요를 충족시켜줄 수 있는 특징을 가지고 있다.

본 보고서에서는 Evaluate Pharma에 따라, 세포치료제를 세부 분류하여 세포치료제(Cell therapy), 유전자 변형 세포치료제(Gene-modified cell therapy), 유전자치료제를 세부 분류하여 유전자치료제(Gene therapy), DNA&RNA 치료제(DNA&RNA therapy), 유전체 편집(Genome editing), 항암바이러스(Oncolytic virus)로 구분하였다<표1>.

<표1. 세포·유전자 치료제의 분류 및 설명>

분 류	설 명
세포 치료제	살아있는 자가, 동종, 이종세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품
유전자 변형 세포치료제	세포를 채취한 후 치료 타겟 유전자를 세포 내 도입 후 증식하여 유전자 도입 세포를 다시 환자의 체내에 투입하는 방법
유전자치료제	외부에서 정상유전자 또는 치료유전자를 환자의 세포 안으로 도입하여 결함 유전자를 보완하거나 또는 세포에 새로운 기능을 제공함으로써 질병을 치료 및 예방할 수 있는 기술을 총칭
DNA&RNA 치료제	표적 유전자로부터 질병을 유도하는 단백질 생성 과정을 억제하면서 약의 효능을 나타내는 새로운 플랫폼
유전체 편집	생물의 DNA를 변화시키는 여러 기술의 한 그룹을 의미. 이러한 기술들은 유전 물질들의 추가, 제거, 유전체 내 특정 위치에서의 변화를 진행
항암 바이러스	감염력을 가진 살아있는 바이러스로, 야생형 혹은 약독화 된 바이러스를 그대로 사용하거나 치료 유전자를 탑재해 암 치료에 사용하는 바이러스

(출처 : BRIC View 동향리포트, Gene/cell therapy 개발 현황 및 동향
BRIC View 동향리포트, 유전자 치료 방법 및 연구 동향 등)

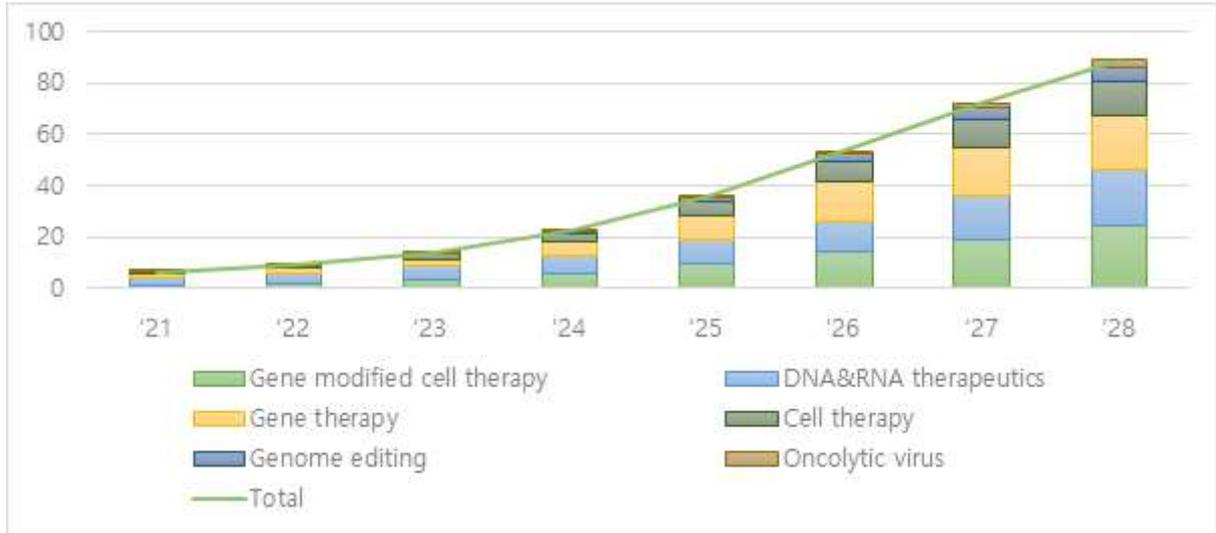
'22년 7월 현재까지 CAR-T 세포치료제 킴리아(노바티스), 유전자치료제인 임리직(암젠) 등을 비롯하여 총 50개 세포·유전자 치료제가 FDA 허가되었다. 전체 허가 치료제는 기술 별로 세포 치료제 27개, DNA&RNA 치료제 14개, 유전자 변형 세포 치료제 6개, 유전자치료제 2개, 항암 바이러스 1개이다.

"전 세계 세포·유전자 치료제 시장 연 평균 45.7% 성장하여 '28년 117조 원 달성³⁾"

Evaluate Pharma는 전 세계 세포·유전자 치료제 시장이 '21년 약 65억 달러(약 8.5조 원)에서 '28년 약 890억 달러(약 117조 원)으로 연 평균 45.7% 성장할 것으로 전망하였다<그림1>. 같은 기간 동안 저분자 합성의약품이 5.5%, 항체의약품이 7.3% 성장률을 보이는 것을 감안하였을 때, 세포·유전자 치료제 시장은 매우 가파르게 성장하고 있음을 알 수 있다.

3) Evaluate Pharma DB(2022.08.)

<그림1. 전 세계 세포·유전자 치료제 연간 시장규모>



(단위 : \$B)

(출처 : Evaluate Pharma)

세포·유전자 치료제 시장을 기술 별로 나누어 보았을 때 모든 유형에서 시장의 규모가 성장할 것으로 전망된다<그림2>.

'21년 기준, 규모가 가장 큰 DNA&RNA 치료제 시장<그림2>은 Antisense oligonucleotide 치료제인 바이오젠의 스피라자(척수성 근위축증 치료제), 사렙타의 엑손디스 51(듀시엔형 근이영양증 치료제)와 RNAi 치료제인 앨라일람의 온파트로(아밀로이드증 치료제)가 매출을 견인하고 있다. 향후 만성질환으로 분류되는 고지혈증 치료제인 노바티스의 렉비오('21년 FDA 승인)가 시장을 지속 성장시킬 것으로 기대된다.

한편, 유전자 변형 세포치료제 시장이 크게 성장하여(CAGR=56.6%), '28년에는 유전자 변형 세포치료제의 시장 규모가 가장 클 것으로 예상된다. 이는 특정 암세포만 특이적으로 공격하여 단 한 번의 투약으로 완치까지도 가능한 혁신적인 치료법인 CAR-T 세포 치료제의 FDA 승인('17년 이후) 및 매출 상승에서 비롯된 예측이다. 실제로, '28년 유전자 변형 세포치료제 매출 상위 3개 치료제(카빅티, 예스카타, 브레얀지) 모두 CAR-T 세포 치료제로, 향후 CAR-T 세포 치료제가 세포·유전자 치료제 시장을 견인할 것으로 예상된다.

<그림2. Modality 별 '21년 및 '28년 세포·유전자 치료제 시장 규모>

(단위 : \$M)

Modality	'21년	'22년	'23년	'24년	'25년	'26년	'27년	'28년	CAGR
Cell therapy	0.52	1.04	1.98	3.21	5.23	7.82	11.17	13.56	+59.1%
Gene modified cell therapy	1.13	1.97	3.48	6.14	9.90	14.16	19.36	24.44	+56.6%
Gene therapy	1.43	1.70	2.71	5.44	9.63	14.98	18.61	21.22	+47.1%
DNA&RNA therapeutics	3.31	4.13	5.25	6.65	8.86	12.13	16.93	21.69	+31.0%
Genome editing	-	-	0.01	0.60	1.78	3.28	4.48	5.35	-
Oncolytic virus	0.07	0.13	0.22	0.38	0.69	1.23	1.86	2.68	+69.3%
Total	6.46	8.97	13.65	22.42	36.09	53.60	72.41	88.94	+45.7%

(출처 : Evaluate Pharma)

"항암제 분야에서 CGT 시장 급격히 확대"

치료영역별 시장 규모를 살펴보면, '21년 기준 신경계(Neurology)가 전체 시장의 절반을 차지하고 있다 <그림3>. 이는 신경계를 적응증으로 하는 스피라자와 졸겐스마(척수성 근위축증 치료제)가 전체 CGT 시장의 47.2%를 차지하고 있기 때문이다. 그러나, 다른 적응증의 시장 규모도 증가하며 '28년에는 특히 항암제(Cancer)가 가장 큰 시장을 차지할 전망이다. 이는 앞서 언급한 CAR-T 세포 치료제로 특징되는 유전자 변형 세포치료제의 성장과도 연관된다.

<그림3. 치료영역 별 '21년 및 '28년 세포·유전자 치료제 시장 규모>

(단위 : \$M)

치료영역	'21년	'22년	'23년	'24년	'25	'26	'27	'28	CAGR
Cancer	1.19	2.08	3.78	6.58	10.83	16.26	23.21	30.27	+59.9%
Miscellaneous	0.66	1.09	1.77	3.00	5.00	7.21	9.37	11.43	+50.2%
Neurology	3.27	3.21	3.29	3.61	4.76	6.31	8.55	10.20	+17.6%
Cardiovascular	0	0.47	1.12	1.96	3.66	6.39	8.23	9.91	+161.4%
Musculoskeletal	0.84	1.27	1.75	2.78	4.09	5.48	6.72	7.49	+36.6%
Blood	0	0.06	0.55	1.85	3.12	4.78	6.42	7.39	+164.6%
Sensory organs	0.1	0.09	0.28	0.73	1.37	2.18	2.90	3.63	+73.5%
Skin	0.3	0.39	0.52	0.80	1.17	1.58	2.02	2.36	+32.7%
기타	0.14	0.34	0.54	1.09	2.1	3.41	4.98	6.22	+84.7%
Total	6.46	8.97	13.65	22.42	36.09	53.60	72.41	88.94	+45.7%

(출처 : Evaluate Pharma)

"글로벌 빅파마, 성장 가능성 높은 CGT 시장 선점"

다수의 글로벌 제약사는 이미 성장성 높은 CGT 시장을 선점하고 있는 상황이다<표2>.

<표2. 전 세계 세포·유전자 치료제 연간 매출 상위 10개 기업>

순위	'21년	'22년	'23년	'24년	'25	'26	'27	'28
1	Biogen	Novartis	Novartis	Novartis	Novartis	Novartis	Novartis	Novartis
2	Novartis	Biogen	Alnylam	Alnylam	Alnylam	Alnylam	Alnylam	Alnylam
3	Gilead	Gilead	Biogen	Gilead	Sarepta	Sarepta	Sarepta	Sarepta
4	Alnylam	Alnylam	Gilead	BMS	BMS	BMS	BMS	BMS
5	Sarepta	Sarepta	BMS	Sarepta	Gilead	Rocket	J&J	J&J
6	Organogenesis Holdings	BMS	Sarepta	Biogen	J&J	Gilead	Gilead	CRISPR Thera
7	BMS	Organogenesis Holding	J&J	J&J	Biogen	J&J	CRISPR Thera	Gilead
8	Vericel	Vericel	Athersys	Athersys	Mesoblast	CRISPR Thera	Mesoblast	Mesoblast
9	Nippon Shinyaku	Nippon Shinyaku	Organogenesis Holding	Mesoblast	Rocket Pharma	Mesoblast	Rocket Pharma	Fate Thera
10	Roche	Athersys	BioMarin Pharma	BioMarin Pharma	CRISPR Thera	Athersys	Athersys	Intellia Thera

(출처 : Evaluate Pharma)

'22년 현재 전 세계 CGT 시장 매출 1위 기업인 노바티스는 김리아, 졸겐스마, 렉비오 등 주요 제품의 매출 성장으로 '28년까지 부동의 1위를 유지할 것으로 보인다. 또한, 26개의 CGT 파이프라인에 대한 투자도 성과로 이어질 전망이다.

'21년 매출액 기준 글로벌 탑 1위 제약사인 J&J의 CAR-T 세포치료제인 카빅티는 '28년 전체 CGT 중 가장 큰 매출이 기대되는 제품으로, 카빅티의 영향으로 J&J이 '28년 CGT 시장 매출 5위까지 올라설 것으로 기대된다. BMS도 마찬가지로 CAR-T 세포치료제인 아베크마와 브레얀지로 '28년 CGT 시장 매출액 기준 상위 5에 분포할 것으로 보인다.

반면, 바이오젠과 길리어드사이언스는 매출 순위가 다소 하락할 것으로 전망된다. 바이오젠은 스피라자로 '21년 CGT 시장 매출 1위를 기록하였으나, 척수성 근위축증 '원샷 치료제(1회 투여로 완치가 가능한 치료제)인 노바티스의 졸겐스마의 등장으로 인해 '22년부터 매출 순위가 매년 하락할 것으로 예상된다. 그러나, 최초의 근위축성측삭경화증(일명 루게릭병) 표적치료제인 토퍼센(DNA&RNA 치료제)이 FDA 신속심사 승인을 받으면서, FDA 승인이 될 경우, 점차 시장 점유율을 높여갈 것으로 보인다.

길리어드사이언스는 비호지킨 림프종을 적응증으로하는 CAR-T 세포치료제 에스카타로 높은 매출 순위를 유지하였으나 카빅티, 렉비오와 같은 제품의 급격한 매출 상승으로 순위가 하락할 것으로 예상된다.

<표3. 글로벌 빅파마 세포·유전자 치료제 주요 제품 및 Deals>

기관명	설명
노바티스	<ul style="list-style-type: none"> • 김리아, 졸겐스마, 렉비오가 CGT 주요 제품으로 노바티스의 CGT 시장 매출 1위를 견인 • 26개의 CGT 파이프라인 중 유전자 변형 세포 치료제가 11개로 가장 많은 비중을 차지 (대부분 비임상 및 임상 1상 단계) • 최근 세포 및 유전자 치료제 중심의 위탁생산 (CMO) 분야로의 확대를 위해 미국 바이오텍과 세포치료제 생산 계약을 체결 ('22.3.)⁴⁾
J&J	<ul style="list-style-type: none"> • '28년 전 세계 CGT 제품 매출 1위가 예상되는 CAR-T 세포 치료제인 카빅티가 대표 제품 • 13개의 CGT 파이프라인 모두 유전자치료제로 유전자치료제에 큰 비중
바이오젠	<ul style="list-style-type: none"> • 척수성근위축증 치료제인 스피라자가 최근 몇 년간 CGT 시장 매출 1위를 달성한 블록버스터 제품 • 12개의 CGT 파이프라인 중 3개의 유전체 편집 치료제의 파이프라인(비임상 단계)을 보유 • 근위축성측삭경화증 표적치료제인 토퍼센 FDA 신속심사 승인 ('22.7.)⁵⁾
길리어드사이언스	<ul style="list-style-type: none"> • CAR-T 세포 치료제인 에스카타와 테카터스가 CGT 주요 제품 • 10개의 CGT 파이프라인 중 8개가 유전자 변형 세포 치료제로 대부분 CAR-T 세포 치료제(비임상 및 임상 1상 단계) • 기초연구 단계에서 L/I 한 tHPV-16 E7 TCR(유전자 변형 세포 치료제)이 현재 임상 2상 단계에 있음

(출처 : Evaluate Pharma 및 보도자료)

"개발 초기 단계의 CGT 파이프라인, 높은 성장 가능성"

이러한 글로벌 빅파마를 비롯한 전 세계 CGT 분야 파이프라인의 공통점은 대부분 비임상 및 임상 초기 단계에 있다는 것이다<표4>. 세포치료제, DNA&RNA 치료제 및 유전자치료제의 임상 개발 단계 비중은 2상 > 1상 > 3상 순으로, 유전자 변형 세포치료제, 유전체 편집 및 항암 바이러스는 1상 > 2상 > 3상 순

4) MEDI:GATE NEWS, 노바티스, 세포치료제 등 CMO 사업 강화...美카리스마와 CAR-M 생산 계약 체결 (<https://www.medigatenews.com/news/616995390>)

5) 청년의사, 바이오젠 '토퍼센', 루게릭병 최초의 표적치료제 되나 (<https://www.docdocdoc.co.kr/news/articleView.html?idxno=2025537>)

로 임상 개발 단계 비중이 높다.

상대적으로 최근에 개발이 시작된 유전자 변형 세포치료제는 파이프라인이 비임상 및 임상1상에 집중되어 있으나 파이프라인 수는 CGT 전체 파이프라인의 25%에 육박하는 수치로, 앞으로의 발전이 가장 큰 기술이다. 모든 CGT 기술의 개발 단계가 비임상 파이프라인이 가장 많고, 임상 초기 단계에 머물고 있다. 이것은 아직 전 세계적으로 개발 초기 단계라고 할 수 있는 CGT 분야의 향후 높은 성장 가능성을 보여준다.

<표4. 현재('22.8. CGT 파이프라인 현황>

개발 단계	Cell	DNA&RNA	Gene	Gene-modified cell	Genome editing	Oncolytic virus	계
Pre-clinical	650	488	586	513	90	113	2,440
Phase 1	238	109	76	335	10	46	814
Phase 2	296	168	196	185	7	36	888
Phase 3	83	52	48	23	2	1	226
총합계	1,267	817	906	1,056	109	213	4,368

(출처 : Evaluate Pharma)

노바티스, BMS, J&J, 타케다, 바이엘 등 CGT 파이프라인을 다수 보유하고 있는 기업의 기술 별 파이프라인을 살펴보면, 노바티스, BMS, J&J는 전체 파이프라인(비임상 및 임상) 중 CGT 비중이 10%를 넘고, 타케다와 바이엘은 25%(주로 비임상 단계)에 육박한다.

한편, 글로벌 빅파마 외에도 유전자치료제 개발 기업인 아이오니스, 사렙타, 엘라일람, 리젠엑스바이오와 세포치료제 개발 기업인 Cellular Biomedicine Group(CBMG), 상가모, 차바이오텍, Innovation Cellular Therapeutics (ICT)가 다수의 CGT 파이프라인을 확보하고 있음을 확인할 수 있다<표5>.

<표5. CGT 개발 기업 파이프라인 현황>

기관명	Cell therapy	DNA&RNA therapeutics	Gene therapy	Gene-Modified Cell Therapy	Genome Editing	CGT 전체	전체 파이프라인 중 비중
Global Pharma							
Novartis	2	2	9	11	1	26	13%
BMS	5	1		20		28	14%
J&J		6	5	2		13	11%
Takeda	3	8	10	9	1	32	24%
Bayer	3	2	18	2		25	24%
Biotechs							
Ionis Pharmaceuticals		58				58	-
Sarepta Therapeutics		12	20			32	
Alnylam Pharmaceuticals		21				21	
REGENXBIO			21			21	
Cellular Biomedicine	6			13		19	
Sangamo Therapeutics	1		4	5	8	18	
CHA Bio & Diostech	13			5		18	
Innovative Cellular Therapeutics	9			8		17	

*Oncolytic Virus 파이프라인 포함 (Novartis 1건, BMS 2건, Takeda 1건)

(출처 : Evaluate Pharma)

"파이프라인 확보를 위한 오픈 이노베이션 활발"

대부분 초기 개발단계에 집중된 바이오기업 특성이 저비용 고효율 파이프라인을 확보하려는 제약기업의

니즈(Needs)와 부합함에 따라, CGT 영역에서의 기술거래(Licensing In/Out) 및 인수합병(M&A)이 활발하다. 특히, 글로벌 제약기업에서 CGT 파이프라인 확보를 위한 기업인수 및 기술도입과 같은 오픈 이노베이션에 적극적이었는데, 외부에서 파이프라인을 확보한 비중(76%)이 In-house 개발 비중(24%)보다 확연히 높게 나타났다. 반면에, 그 외 기업들은 원천기술 개발 비율이 76%로 극명한 경향성을 보였다<표6>.

<표6. CGT 파이프라인 확보 수단>

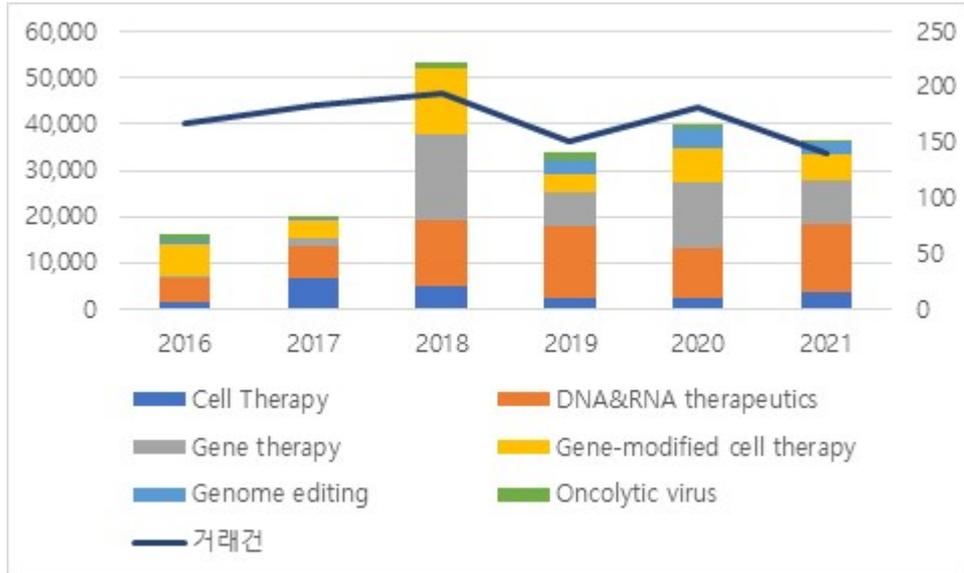
Global majors		Cell therapy	DNA&RNA therapeutics	Gene therapy	Gene-Modified Cell Therapy	Oncolytic Virus	총합계
	Organic	10	18	29	17	4	78 (24%)
	Company acquisition	21	15	35	27	3	101 (31%)
	In-licensed	22	55	28	30	7	142 (43%)
	Joint venture	1	2	3			6 (2%)
총합계	54	90	95	74	14	327	

Others		Cell therapy	DNA&RNA therapeutics	Gene therapy	Gene-Modified Cell Therapy	Oncolytic Virus	총합계
	Organic	1283	753	753	908	172	3869 (76%)
	Company acquisition	115	68	109	84	7	383 (8%)
	In-licensed	165	196	162	147	36	706 (14%)
	Joint venture	30	37	11	21	10	109 (2%)
총합계	1593	1054	1035	1160	225	5067	

(출처 : Evaluate Pharma)

이에 따라 기술거래 건수는 연도 별로 증감이 있으나 거래액은 '18년을 기점으로 급증하면서, 매년 300억 달러 이상의 규모의 기술거래가 꾸준히 이루어지고 있다<그림4>. '18년부터 기술거래 규모가 급증한 것은 글로벌 제약기업들의 CGT 기술도입 투자가 급증하였기 때문이다¹⁾. 기술 유형별 기술거래 규모는 DNA&RNA 치료제 영역이 '16년을 제외한 '17년부터 '21년까지 가장 높게 나타났다.

<그림4. 연도별 CGT 기술 유형별 기술거래 규모 및 건수>



(단위: \$M, 건)

(출처 : Evaluate Pharma)

"국내 제약바이오산업의 경쟁력 확보를 위해 오픈 이노베이션은 필수"

식약처⁶⁾에 따르면, 세포치료제 15건과 유전자치료제 3건(수입허가)이 첨단바이오의약품으로 허가된 상황이다. 특히, 세계 최초로 허가된 파미셀의 '하티셀그램'을 비롯하여 전 세계 판매 허가된 줄기세포치료제 9개 중 5개가 국내 기업에서 개발되는 등 기술적으로 우위를 보였다. 그러나 이들 세포치료제 시장의 성장은 미미하여, 전체 국내바이오의약품 시장의 약 5% 이하의 시장 점유율을 보이고 있다<표7>.

<표7. 국내 바이오의약품 제제별 '20년 및 '21년 생산 시장 규모>

순위	제제구분	생산액			전년 대비 증감률(%)
		2020	2021	비중(%)	
1	유전자재 조합의약품	19,961	18,845	39.8	-5.6
2	백신	7,301	15,848	33.4	117.1
3	혈장분획제제	4,653	4,403	9.3	-5.4
4	혈액제제	4,278	4,359	9.2	1.9
5	독소 항독소	2,325	3,108	6.6	33.7
6	세포·유전자치료제	783	835	1.8	6.7
총 생산실적		39,300	47,398	100	19.2

(단위: 억원, %)

(출처 : 식품의약품안전처 의약품관리과)

한편, 유전자치료제 시장에서 김리아(노바티스)가 '21년 국내 허가 취득 후 '22년 보험급여인정을 받고, 약 2백만 달러 SMA(Spinal Muscular Atrophy) 치료제인 줄겐스마(노바티스)가 본인 부담 비용 580만 원으로 결정되어 획기적인 보험 급여 인정을 받는 등 글로벌 제약사의 CGT 치료제의 국내 시장 진입이 활발한 상황에서 국내 기업의 유전자치료제, CAR-T 세포치료제 등 혁신적 치료제 개발 경험은 전무 한 상황이다<표8>.

6) 2021년 의약품 허가보고서('22년 4월)

<표8. 세포 및 유전자 치료제 허가 목록('01년~'21년)>

연번	세포/유전자	제조/수입	제품명	업체명	비고
1	세포	제조	콘드론	셀론택(주)	
2	세포	제조	홀로덤	테고사이언스(주)	
3	세포	제조	칼로덤	테고사이언스(주)	
4	세포	제조	케라힐	(주)바이오솔루션	
5	세포	제조	이문셀엠씨주	주식회사 지씨셀	
6	세포	제조	알엠에스오스론	셀론택(주)	
7	세포	제조	퀵셀	(주)안트로젠	
8	세포	제조	큐어스킨주	(주)에스바이오메딕스	
9	세포	제조	하티셀그램-에이엠아이	파미셀 주식회사	줄기세포
10	세포	제조	카티스템	메디포스트(주)	줄기세포
11	세포	제조	큐피스템주	(주)안트로젠	희귀 줄기세포
12	세포	제조	뉴로나타-알주	코아스템(주)	희귀 줄기세포
13	세포	제조	케라힐-알로	(주)바이오솔루션	
14	세포	제조	테고자가피부유래 섬유아세포	테고사이언스(주)	
15	세포	제조	바솔자가연골 유래연골세포	(주)바이오솔루션	
16	유전자	수입	김리아주*	한국노바티스(주)	희귀
17	유전자	수입	졸겐스마주	한국노바티스(주)	희귀
18	유전자	수입	렉스터나주	한국노바티스(주)	희귀

* CAR-T의 경우 본 보고서에서는 유전자변형 세포치료제로 분류하였으나, 식약처에서는 유전자치료제로 분류

국내 제약바이오기업의 경쟁력 확보를 위하여 국내 한 전문가는 규제 및 CMC 영역에서의 정책 지원, 전문 인력 양성, 그리고 오픈 이노베이션의 활성화가 필요하다고 제안하였다.

구체적으로는 첫째, 규제 가이드라인 제정에 산업계 의견 반영을 최대화하고, 세포·유전자 치료제에 특화된 규제기관의 전문 인력도 확충되어야 한다. 특히, 국내와 해외(미국, 유럽 및 일본)의 규제 가이드라인을 맞추는 시스템을 초기에 도입하는 등 국내 기업들의 효율적인 해외 진출을 위한 제도적 장치 기반 구축이 필요하다. CMC 영역에 있어서는 기존 항체 위주의 바이오의약품 개발에 적용되어 왔던 CMC 기준을 바탕으로 세포·유전자 치료제 개발 생산 가이드라인에 적용하는 추세이지만, 이를 뒷받침하기 위한 여러 전방위 산업 요소(배지, 성장인자 등)가 아직 미성숙하여 많은 기업들의 애로 사항이 있다. 이러한 점을 감안하여 규제기관과 기업의 유동적인 협력이 요구된다. 또한, 세포·유전자 치료제 R&D 단계에서 필수적인 기업과 병원 간의 생산제조 협력을 위하여 정부의 정책 지원이 필요하다. 일본의 경우, 재생의료안전법이 '14년에 시행되어 재생의료 등의 제공기관 및 세포배양 가공시설에 대한 기준을 신설하고, 세포치료제의 실용화를 위한 제도를 정비하였는데, 이를 통해 세포배양 가공에 대하여 병원으로부터 기업에 대한 외부 위탁이 가능해졌다.

둘째, 세포·유전자 치료제 기술집약적인 산업 특성 상, 핵심 기술 인력의 확보가 필수적이다. 기존 항체 치료제 시장에서 학습된 off-the-shelf 제품의 대량 생산을 통한 제조 원가 절감 및 가격 경쟁력 확보의 제조업 모델 재현은 어렵기 때문에 환자 및 질환 별 상업화 할 수 있는 기술의 우월성 확보가 필요하며, 이에 핵심 기술 인력 확보의 중요성이 보다 강조된다. 특히, 대기업의 거대한 시설 투자가 주요 원동력의 기반으로 발전된 국내 바이오 시장에서, 핵심 기술 기반의 세포·유전자 치료제를 개발 중인 바이오벤처들이

전문 인력을 유지하기 위한 정부의 정책적 인센티브가 필요하다.

마지막으로, 오픈 이노베이션을 통해 혁신을 창출해내고 있는 글로벌 세포·유전자치료제 시장에서 국내 개별 기업의 역량만으로 경쟁력을 갖추기란 쉽지 않다. 따라서 국내외 산·학·연·병·정 간의 오픈 이노베이션을 통한 경쟁력 확보가 시급하다. 또한, **정부 차원에서의 한국 제약바이오의 오픈 이노베이션에 적극적으로 지원할 필요가 있다.**

구체적으로는 병원 및 산업계간의 적극적인 오픈 이노베이션을 위한 정책적 뒷받침이 필요하다. 특히, 핵심 원천기술 확보를 위하여, 개발 초기의 기술을 규정하고 특허로서 보호받을 수 있는 전략 시스템이 구축되어야 하며, 산업화에 필요한 소부장 기술 확보를 위한 플랫폼 구축이 선행되어야 한다. 더욱이 규제 및 시장 환경이 불안정한 세포·유전자 치료제 시장을 감안하였을 때, 개발 뿐 아니라 투자에서도 벤처캐피탈 위주의 민적인 투자 외에도 정부 주도의 과감한 투자를 통해 해당 산업계의 안정성을 보다 강화할 필요가 있다. 이를 통해 많은 국내 기업들이 재무적 불안정성으로 인한 개발 초기 단계에서의 해외 기술 수출에 따른 기술 유출의 리스크를 완화하고, 핵심 플랫폼을 강화할 수 있을 것이다.