

---

**미래부 신약개발 분야 효율적인 R&D  
추진방안 연구**

---

**[요약본]**

## I 추진 배경

- 보건산업을 미래 新성장동력으로 육성하는 국정목표 제시
  - 세계경제위기 및 주변 국가의 정치/경제적 위협요소 증가로 국가 경쟁력은 지속 하락
  - 국가 주력산업인 IT, 자동차, 조선, 철강, 및 석유화학산업은 고용 없는 低성장국면에 돌입 새로운 먹거리 창출필요
  
- 제약산업 육성을 통한 국가 보건의료 분야 선진화
  - 다국적사의 국내 보건의료시장 잠식 대응위한 강력한 신약개발 정책 도입으로 영세한 제약산업의 연구환경 개선 필요
    - \* 국내사 세계경쟁력은 25위로 고용비중 0.3%, 수출비중 11%, 세계시장 점유율도 1.9% 불과, 타 주력산업분야에 비해 매우 영세
  - 신약연구는 다학제 융합, 대규모 장기투자 필요한 고위험도 산업이지만 성공 시 높은 부가가치로 경제적 파급효과 지대
  
- 신약개발은 고학력 신규 일자리창출 및 산업파급효과 큼
  - 제약산업은 다른 산업에서 기대가 어려운 지속성장과 청년일자리 창출이 동시에 가능, 적극적인 육성과 지원 필요
    - \* 선진제약사 전체고용의 1/5-1/9가 연구인력
    - \* 제약산업 10조 매출 증가시 30조 경제적 파급효과, 13만개의 일자리 창출 (2011.7, Battelle report)
  - 신성장동력 창출 위해 제한된 연구역량을 범국가적으로 결집/지원하는 독특한 한국스타일의 신약개발 기반구축 가능

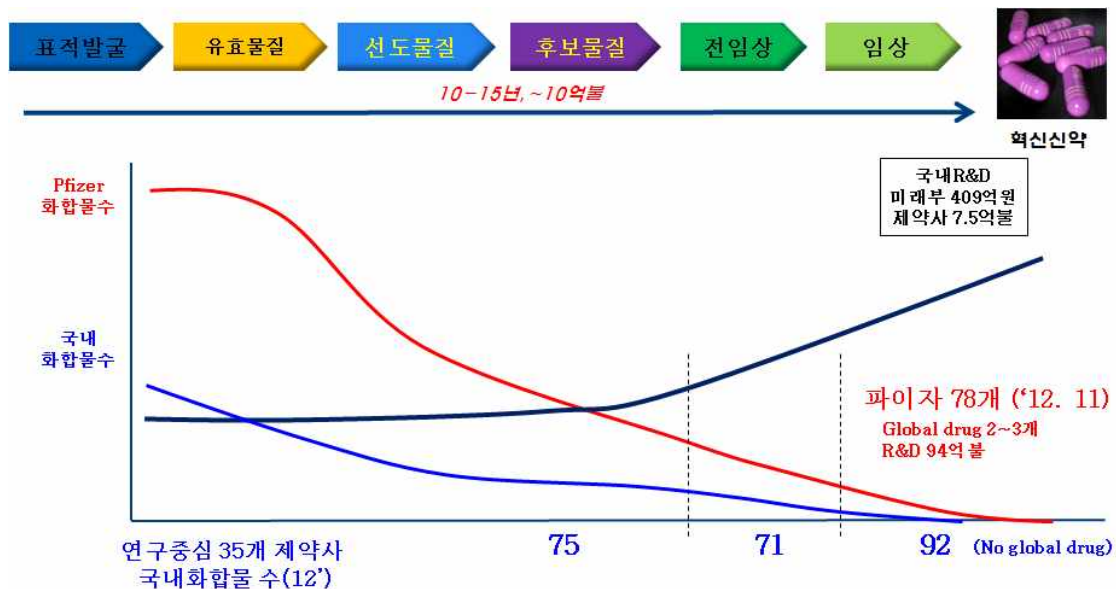
## II 현황 및 문제점

□ 국내 제약산업은 매출액, 투자연구비, 연구인력, 인프라 등 매우 취약

구분	매출액	R&D	R&D/매출	인력	R&D인력
국내31개 제약사	82억불	7.5억불	8-9%	2.6만명	≈3,000
세계 1위 화이자	680억불	94억불	13.9%	12만명	1.5만명
일본 1위 다케다	142억불	32억불	23%	2만명	≈2,000명
한국 1위 동아제약	6.3억불	0.65억불	10%	2,300명	240명

\* 동아제약 실제 신약개발 투입 인력 40-50명

□ R&D 투자규모는 선진국 대비 매우 낮고 특히 초기단계 투입이 저조해 후보물질 지속 창출의 저해요소



○ 제약사의 R&D투입은 8,000억이지만 대부분 임상연구, 제너릭, 제제, 개량신약개발에 집중, 초기단계 후보물질발굴이 차지하는 부분 미미함

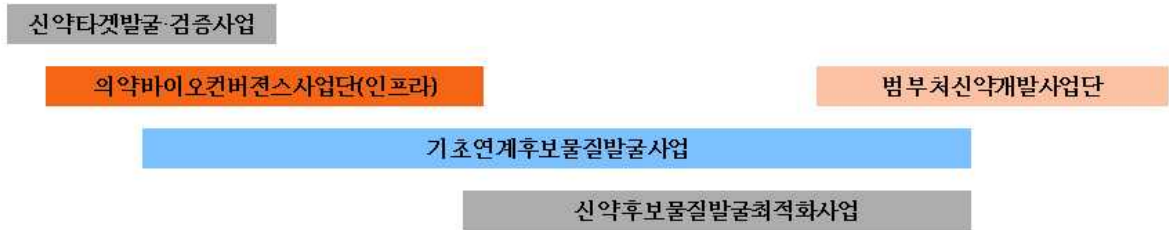
○ 미래부 신약개발 R&D는 409억원 (2010년, 인프라 및 범부처사업 제외)으로 국내 후보물질 창출에 가장 핵심적으로 기여

\* 국가과학기술위원회 2012. 4월 보고서

□ 검증된 혁신타겟의 우수후보물질이 지속 발굴/공급위한 신약 개발 전단계의 연계성 부족 심각



**R&D 사업**



- 글로벌신약개발은 혁신타겟 및 시드물질 확보능력에 좌우, 기초연구 결과가 신약개발로 연계되지 않는 bottleneck 존재
  - \* 타겟발굴 연구비 영세 (1억 미만, 47%)하여 우수 타겟발굴 가능성 낮고 발굴된 타겟도 검증 부실로 신약개발 연계가 낮음
  - \* 혁신신약연구 출발점은 first in class 타겟 및 시드물질임
  - \* 국내 신약후보물질 중 first in class 혁신신약 (5-10%)
- 이러한 초기 단계의 효율적 연계 부족은 국내 후보물질 고갈의 원인, 이는 후기 임상에 집중하는 범부처사업단, 항암사업단의 과제 선정 어려움 야기
- 상존하는 핵심 bottleneck을 제거하는 중장기적인 신약개발 R&D 투자효율화로 국내 신약개발 패러다임의 전환 모색 필요

### Ⅲ 비전 및 중점 추진과제

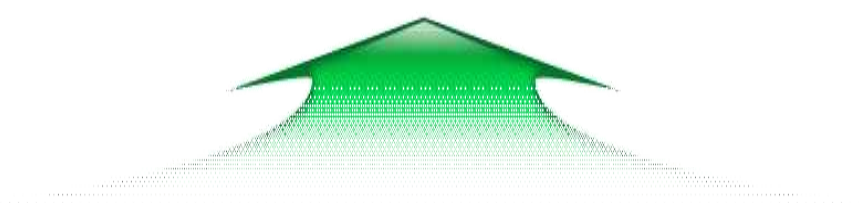
#### 비전

- ◆ **창조경제 구현 통한 신약연구 활성화로 제약산업 新성장동력 육성**

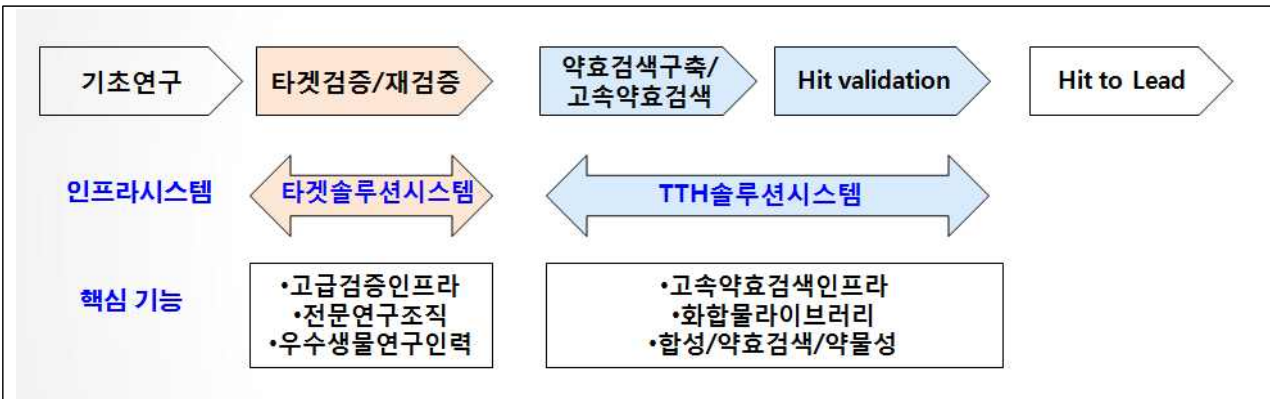
#### 목표

- 미래부 신약개발 R&D 효율화 방안 도출로 한국형 신약개발 모델 정립  
⇒ 신약관련 과제 및 인프라 분석을 통한 효율화 방안 제시로 신약개발연구의 bottleneck을 제거, 전주기적 연계 시스템 확립
- 국내 제약산업 글로벌화 기여로 국가경쟁력을 강화하고 일자리 창출 주도

#### 주요 추진과제

- 
1. 솔루션시스템 구축
  2. 신약창출 다변화 전략 수립
  3. 기초연계신약개발가속화사업
  4. 신약개발 R&D 투자 효율화 방안 제시
- 첨부 : 국내 신약연구 생태계 변화방안

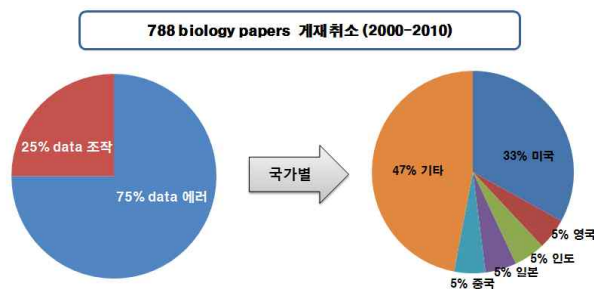
# 1 솔루션시스템 구축



- 국내 혁신 신약연구의 최대 bottleneck은
  - 1) 타겟 검증/재검증 단계
  - 2) 약효검색법구축/고속약효검색/양질의 유효물질 도출 단계임
- 신약개발의 시작물질인 검증된 유효물질(Hit)의 대량 확보 및 국내 연구자 공급 여부는 국내 혁신신약연구의 사활이 담보
- 각 단계의 기능과 조직 구성은 매우 상이해 각각 독립된 인프라 시스템인 타겟솔루션시스템과 TTH솔루션시스템의 가동이 필요함

## 1-1 국내외 타겟연구의 문제점

### 1 낮은 재현성으로 기초연구 불신 확산



J Med Ethics doi:10.1136/jme.2010.036125: PubMed 분석

- 게재취소논문 지속 증가로 BT 분야 기초연구 결과에 대한 불신이 커지고 있어 해결 방안 지속 모색 중
- 논문의 수준에 무관하게 재현성 문제가 나타나고 있으며 특히

## 높은 수준(High IF)의 논문이 재현성이 더 낮음

논문명	IF	Retraction Index*
NEJM	53	3.7
Nature	36	2.2
Cell	32	2.8
Science	31	3.3
J Exp Med	13	1.3
PNAS	9.6	0.8
EMBO J	9.2	0.8

### ○ Bayer, Amgen사의 사례

- ▶ Bayer의 논문 추출 타겟검증연구가 낮은 재현성으로 2/3 중단, 재현성 있는 논문 중 타겟가능성이 있는 것은 전체의 단지 7%

논문수	재현성 있음	재현성 없음	부분 재현
67	14 (21%)	45 (68%)	8 (11%)

*Nature Rev. Drug Discov. 2011, 10, 712*

- ▶ Amgen은 癌관련 유명논문 53편 검증, 6개만 재현, high IF 및 후속연구 논문 數 過多 여부와 재현성과 상관관계 낮음

IF (Impact factor)	논문수	재현성 있는 논문 평균 인용횟수	재현성 없는 논문 평균 인용횟수
>20	21	231	248
5-19	32	13	169

### ▶ Reproducibility Initiative 운용

70%이상의 논문 재현성 없음은 충격 (New York Times 2012, 05. 12; Wall Street Journal, 2011, 12. 02), 개선하기 위해 거대 잡지사 PLOS, Science Exchange와 공동으로 유료재검증 프로그램인 “Reproducibility Initiative”를 운영하여 검증된 연구는 공지되고 논문 게재시 우대

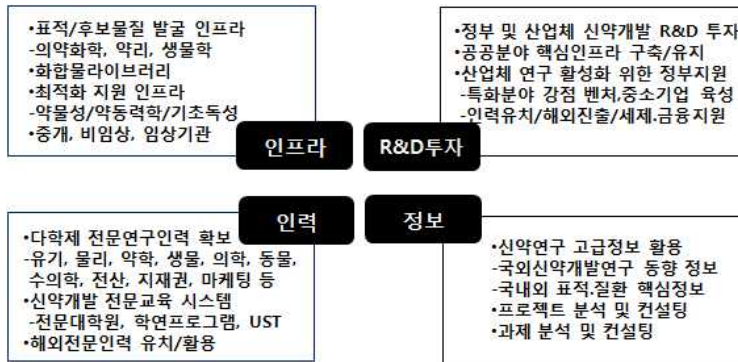
## 1-2

## 국내 타겟 확보의 중요성 및 핵심기능분석

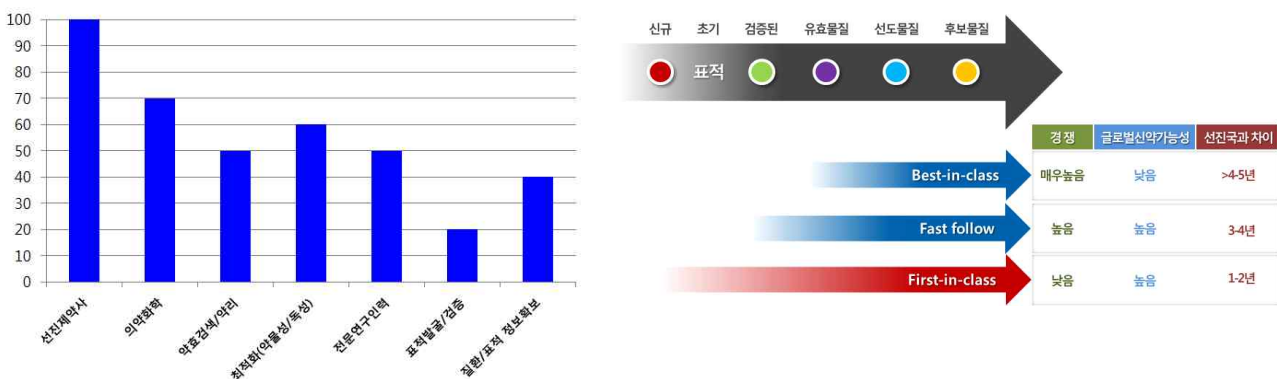
- ① 2010년대는 신약개발에 제약사의 사활을 담보하는 전환기임, 이를 위해 핵심기능 확보 위한 시스템 구축 방안 필요

1990년대	2000년대	2010년대
신약연구 태동기 (단순모방, 제너릭, 경험미숙)	신약연구 초기 (기반구축, 시행착오, 경험축적)	신약연구 몰입기 (핵심기능 확보, 신약개발 가능성 높음)

- ② 신약개발은 인프라, R&D 투자, 오랜 연구경험 및 고급정보를 확보한 다학제 전문인력의 협력을 통해 가능



- ③ 핵심기능별 수준은 선진제약사와 비교 낮으며 특히 타겟발굴/검증, 해외타겟정보 확보능력은 선진제약사의 20-40% 수준



※ 국내 산학연전문가 논의를 통해 신약개발 핵심기능의 선진국대배 수준 추정

- 글로벌신약개발의 핵심은 unmet needs 높은 질환의 first in class 타겟선정 및 물질도출이며 이는 선두그룹과 차이를 1~2년으로 최소화하여 경쟁력 확보 가능



#### ④ 국내 타겟연구 문제점

##### □ 표적검증 및 물질 연계위한 조직적 연구시스템 미비

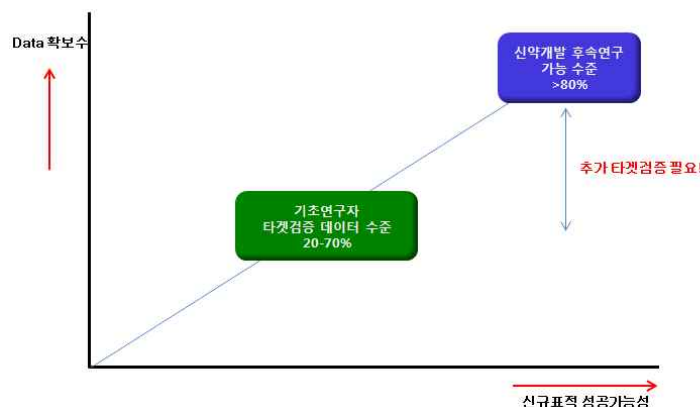
- 논문 및 특허 전략 미흡으로 표적 관련 고급 정보가 연구자 개인에 한정되어 신약개발연구자 활용 불가
- 기초연구자는 신약개발위한 완성도 높은 데이터 확보위한 노력 부족하고 후속연구 위한 연구협력 체계 구축 의지 낮음
- 우수 기초연구성과 개발 지속성을 위한 사업 부재: 연구 주체 간의 연구단절 및 연결고리를 형성하기위한 기술 지원 사업 부재

##### □ 국내 타겟 가치 제고위한 검증 및 정보공유 시스템 부족

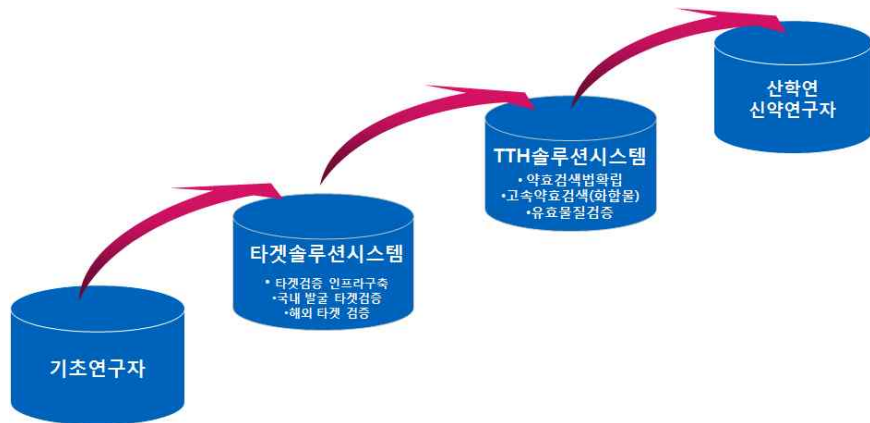
- 질환별 표적검증지표(Critical Success Factor; CSF) 표준화 미비로 인한 약물성 검증연구의 어려움
- 리스크 높은 타겟검증, 시드 도출 및 신약연구자 공급 등의 가교연구를 전문적으로 진행하는 국내기반 취약
- 신약연구자간 정보공유를 위한 질환/타겟연구 DB 부재

### 1-3 타겟솔루션시스템 (target solution system) 구축

#### 1 필요성



- (기초연구 신약개발 연계 효율화) 미래부 R&D >50%가 기초연구 (기전 및 타겟연구)에 투자되지만 연구결과의 완성도 (20-70%)는 낮아 신약개발 후속연구 장애요소
- 검증부재는 잠재성 우수 타겟의 사장과 부실 타겟의 연구지속 및 후속연구 진행으로 연구자원의 낭비를 초래



- 산업체에서 진행 어려운 기초연계연구를 솔루션시스템의 가교연구(gap bridging)로 리스크세어링 후 산업체 이전 활성화 필요
- 미국은 학계 스스로 "Reproducibility Initiative"의 운용으로 논문 검증을 강화하고 있어 국내도 타겟솔루션시스템 (한국형 RI 시스템) 구축으로 기초연구의 체질 변화 필요

## 2 타겟솔루션시스템의 핵심기능 및 역할

### 1 핵심검증 요소기술

- RNAi, TG 동물 (kock-down, kock-out 등) 실험과 NGS (next generation sequencer) 활용 유전자-질환 관련성 검증 연구



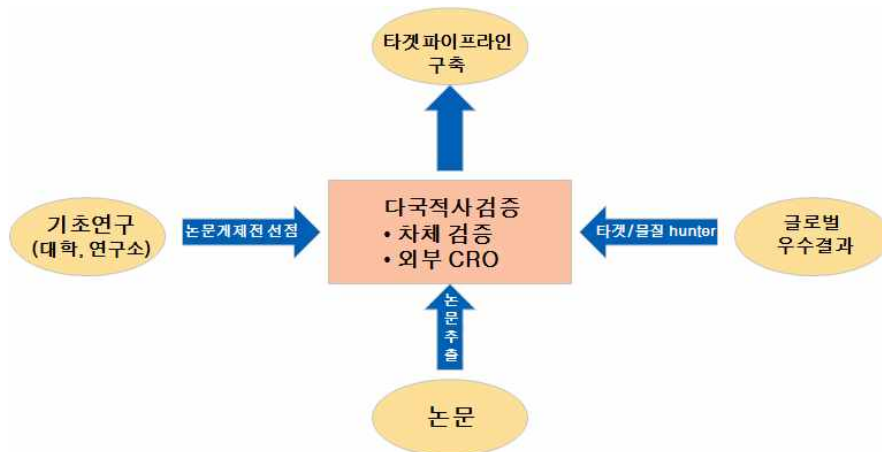
- ▶ RNAi: gene silencing으로 유전자의 기능 규명 기술
- ▶ TG 동물: siRNA, 단백질, chemical 등 modulator를 처리하여 유전자의 발현과 질병의 치료효과를 확인
- ▶ NGS : 신속하고 저비용으로 유전자 및 단백질의 기능 규명

## ② 역량 미확보 연구자 지원

- ▶ RNAi 및 TG animal 활용 검증 데이터 확보는 후속연구 위해 최소한의 필요 요건, 하지만 데이터 미비한 경우가 많아 시스템적인 지원을 통한 타겟검증의 완성도를 향상 필요
- ▶ 기존 타겟검증사업들과 연계하여 동물실험을 지원하는 독립된 인프라를 구축하여 효율적이고 신뢰성있는 타겟검증 수행

## ③ 해외 우수 타겟 추출/검증

### □ 다국적사 타겟검증연구를 통한 신규타겟확보에 사활



- 논문게제 전 타겟선점, 공지논문추출, 해외 헌터 활용 타겟 수집 후 자체 전문연구팀 및 외부 CRO 활용 검증

### □ 국내 타겟연구 저변취약 잠재적 타겟 數 절대부족

- 2012년 타겟 관련과제는 교과부 46개, 보복부 5개로 과제 수나 연구비 규모면에서 취약, 또한 대부분 초기연구에 집중

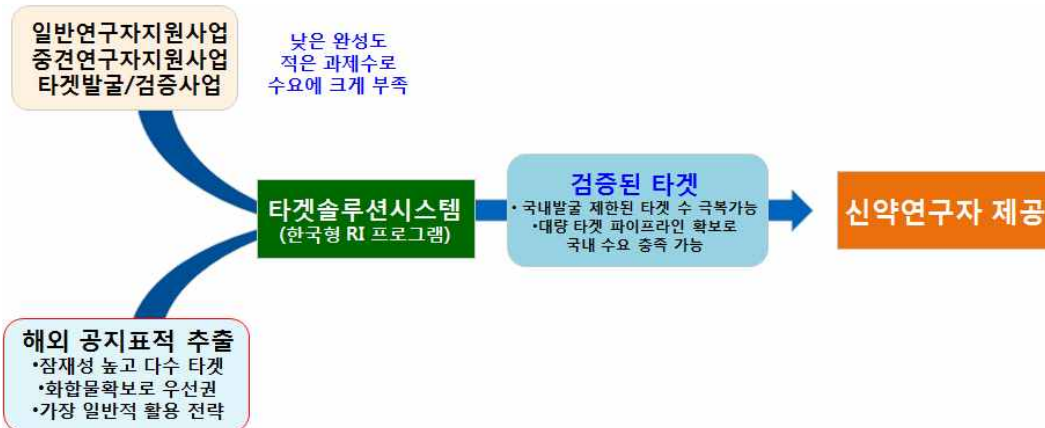
○ 2010년 타겟연구 과제는 74개, 그러나 해외통계 적용, 15개만 재현성을 보이고 그중 약 5개 정도만 타겟으로서 가치 예상

\* 해외사례와 비교 국내 75개 과제 중에는 순수 기초연구가 많아 실제 국내 신규타겟은 많지 않을 것으로 예상

□ 국내 타겟수요 급증, 검증된 타겟 공급 전략 필요

○ 혁신형제약기업(43개사)의 R&D 15% 투자 의무화는 신약연구 활성화를 유도, 신규타겟 및 물질 수요 급증 예상

○ 타겟솔루션시스템은 국내 발굴 타겟 외 해외 논문으로부터 우수타겟을 추출 검증함으로써 제한된 국내 타겟 數 극복가능



**3 타겟솔루션시스템의 추진체계**



○ 추진체계는 우선 핵심기능을 확보한 기존 연구기관간의 인프라 및 인력 네트워킹 구축을 통해 역량 확보가 필요

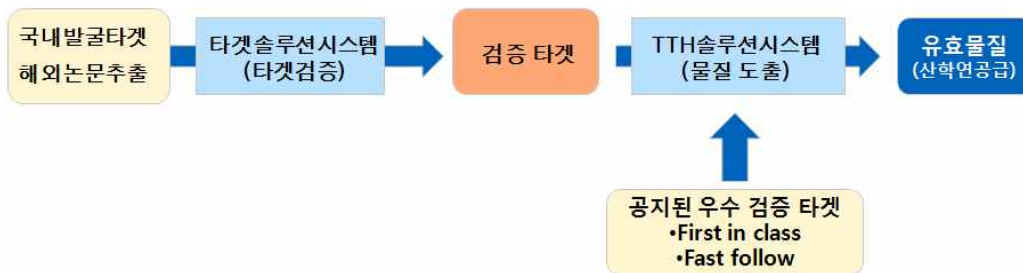
○ 산학연 연구자로 구성된 타겟선정위원회를 통해 신약개발연구자의 니즈를 반영한 검증대상 타겟/질환 선정필요

1-4

TTH (target to hit) 솔루션시스템 구축

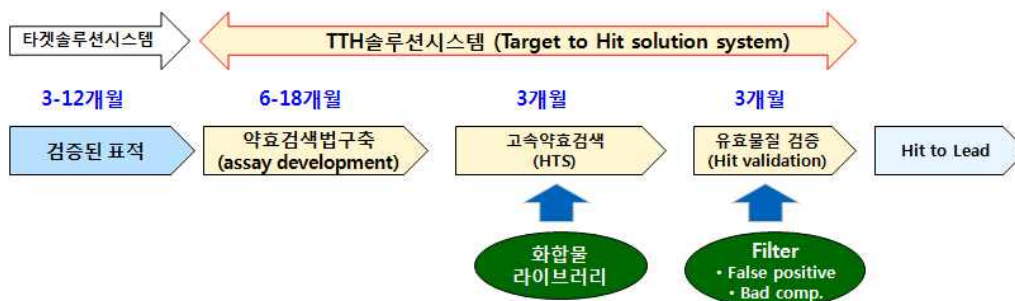
1 TTH 솔루션시스템의 필요성

- (TTH과정은 신약연구의 시점) 타겟솔루션시스템은 기초연구의 연장이지만 TTH(타겟→유효물질) 과정은 신약연구의 씨앗인 유효물질 도출의 핵심과정



- (타겟솔루션시스템의 한계극복) 타겟솔루션시스템의 한계는 검증과정을 통과하는 국내발굴 타겟數가 국내 수요에 부족 예상, 이를 극복하는 전략필요
- (공지된 우수 검증타겟의 활용 필요) 현재 first in class 및 fast follow 단계의 검증된 많은 우수 타겟이 공지되어 있음, 이들로부터 유효물질을 신속 도출하는 조직적 시스템 필요

\* 검증은 되었지만 여러 이유로 화합물 도출이 어려운 많은 우수 타겟이 공지되어 있어 글로벌제약사들은 경쟁적으로 후보물질 도출 위해 노력중



- (Target to Hit 일관화) 타겟→약효검색법확립/검색→유효물질검증은 신약연구의 씨앗을 잉태하는 핵심적인 과정으로 기존 인프라를 최대한 활용하는 一貫化된 인프라 연계조직 필요

## 2 HTT의 핵심 요소기술

### ① 약효검색시스템 구축

- (약효검색법 확립이 타겟검증의 완성) 타겟검증 후 재현성 있는 약효검색법 확립을 통해 타겟검증이 실질적으로 완성
- 약효검색시스템 요소 기술
  - ▶ Assay development
    - Enzyme, receptor-binding, radioimmuno, cell-based assay
  - ▶ HTS optimization
    - Assay optimization, miniaturization, automation, standardization, statistical analysis
- 타겟에 따라 검색법구축 실패 사례 많음, 안정적 검색법 확립에 6-18개월 전문적인 추가연구필요, TTH솔루션시스템의 조직적인 지원은 이 단계의 효율 극대화가능

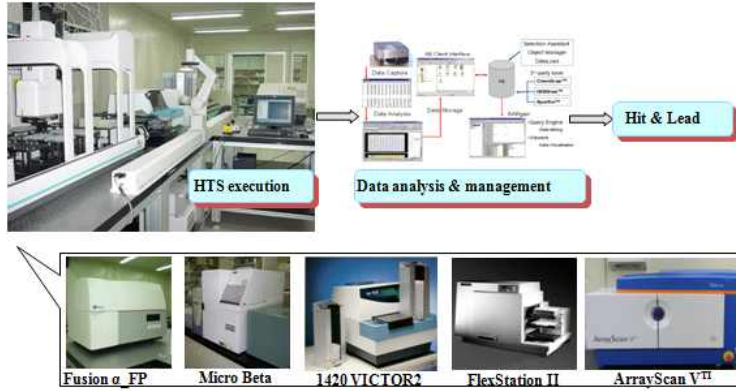
### ② 고속약효검색을 통한 유효물질 도출

- (고유 화합물 확보는 차별화 관건) 다양성과 차별성이 확보된 화합물 확보는 글로벌제약사와 경쟁가능한 차별화 포인트 임
- 화합물라이브러리 확보 기관

한국화합물은행 (2012) 22만개	경기바이오텍 (약20만개)	제약사/대학교
<ul style="list-style-type: none"><li>·국내 임상 고유한 화합물 기탁</li><li>·정부과제 도출 화합물 의무 기탁(대통령령)</li><li>·42건/년 고속약효검색</li><li>·3건의 first in class 물질 발굴 이전</li><li>·제약사 무상 사용</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>·외국 구매화합물 20만개 구축</li><li>·외국 라이브러리와 차별성 없음</li><li>·고속약효검색 제약사 지원</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>·각 제약사 자체 임상/구매 화합물 확보</li><li>·대학교 조합화학 연구자 자체 구축</li></ul>

- 자동화된 고속약효검색(HTS) 시스템은 약 20만개의 화합물을 3개월 내 검색 완료 가능, 국내 다수 産研에서 이 기능을 확보

\* 확보기관:한국화학연구원, 한국생명공학연구원, KIST, 파스퇴르, LG, 동아 등

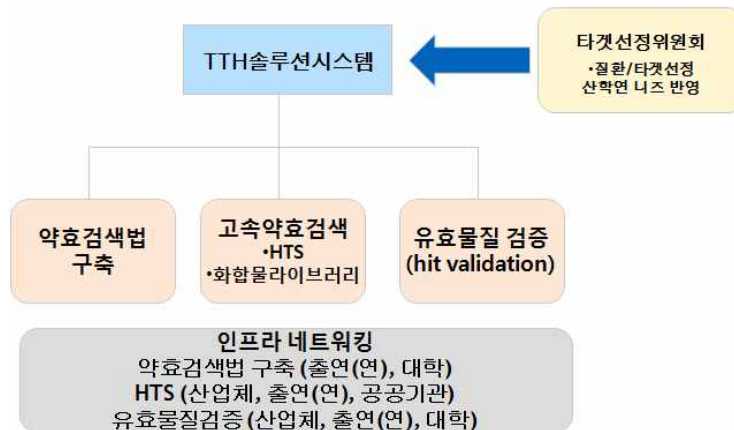


### ③ 유효물질 검증 (Hit validation)

- 신약개발의 물질확보 시점, 양질의 유효물질만이 우수 후보물질로 연결 가능, 잘못된 물질의 조기제거는 후속연구의 낭비요소 방지
- Hit validation 요소 연구 내용
  - ▶ 도출된 유효물질의 2차 약효검증 (IC<sub>50</sub>, EC<sub>50</sub>)
  - ▶ 유효물질의 구조 검증; NMR, MS, 재합성을 통한 구조 확인
  - ▶ 약물 구조의 다양성, 합성의 편의성 그리고 IP 분석

## 3 HTT솔루션시스템 추진 체계

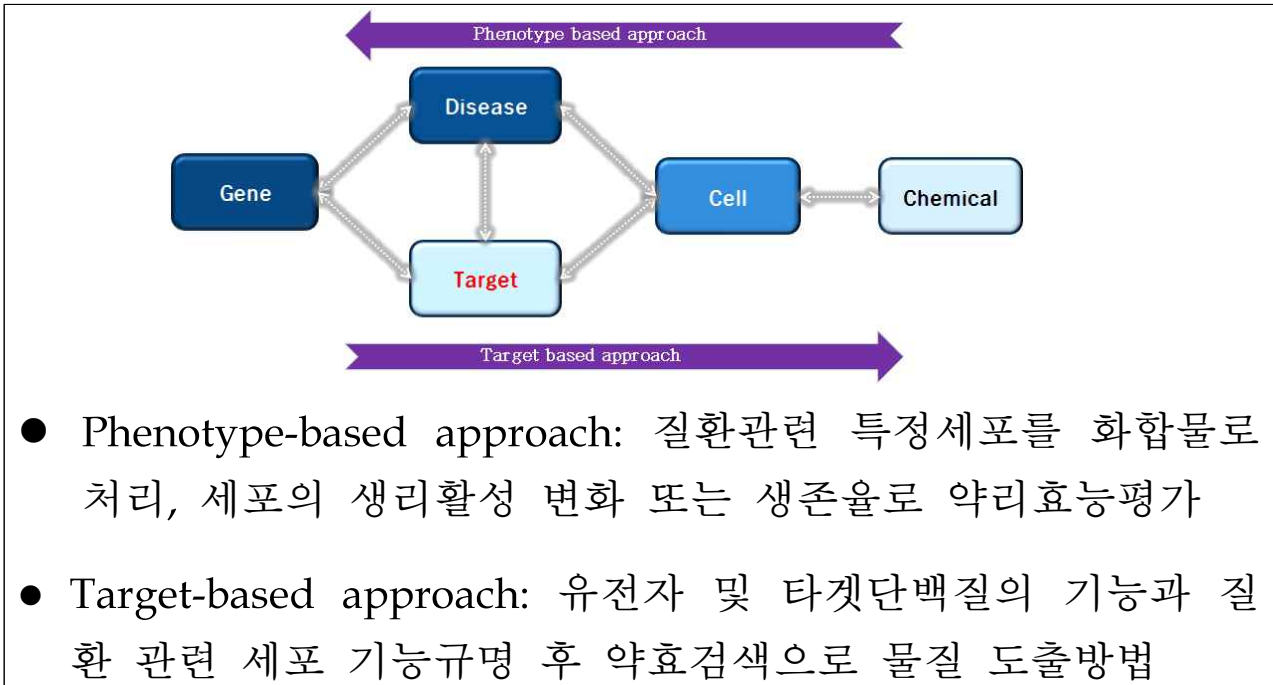
- 추진체계는 우선 핵심기능을 확보한 기존 연구기관간의 인프라 네트워킹 구축을 통해 기존역량의 효율화, 조직화 필요



- 화합물라이브러리의 활용성 강화위해 기 구축 라이브러리의 상호 공유 및 산학연 니즈를 반영한 운영시스템 전환 필요

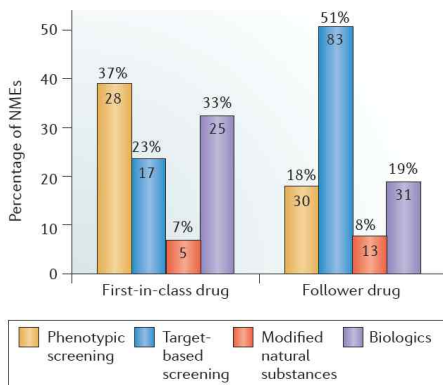
## 2 신약창출 가속화 전략수립

### 2-1 Phenotype 신약개발 연구 활성화



#### 1 Phenotype 연구의 중요성

- 지난 20년 동안 target-based 전략이 주류, 하지만 고비용 저생산성의 주범으로 인식 phenotype approach가 재조명



Target	Target-based	Phenotype-based	Clinic
Receptor binding assay	Receptor binding assay	Patient	Clinic
Functional <i>in vitro</i> assay	Functional <i>in vitro</i> assay	Disease model	
<i>Ex vivo</i> model	<i>Ex vivo</i> model	Side-effect model	
Disease model	Disease model	<i>Ex vivo</i> model	
Side-effect model	Side-effect model	Functional <i>in vitro</i> assay	
Patient	Patient	Receptor binding assay	
Clinic			Target

약효검색 임상 환경과 차이      약효검색 임상 환경과 유사

- Target-based approach는 약효검색과정이 임상환경과 달라 임상 실패확률이 큼, 하지만 phenotype은 환자의 질병모델을 약효검색에 활용, 임상 2상 성공률이 높음

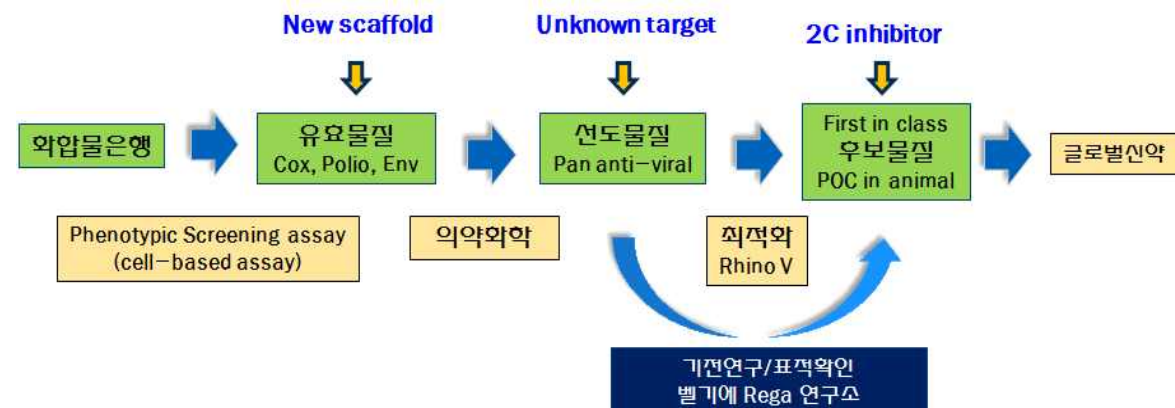


## ② Phenotype 연구의 필요성

- 국내 기초연구가 target-based 위주로 진행되지만 잠재적인 신규 타겟이 될 가능성과 후보물질로 연계에는 많은 걸림돌이 있음
- Phenotype approach는 초기 물질 도출이 용이하여 후속 후보 물질발굴이 신속하게 진행 가능, 국내는 여러 기관(화연, 생명, 대학, IPK 등)이 연구능력 확보되어 관련 연구과제 발굴 필요

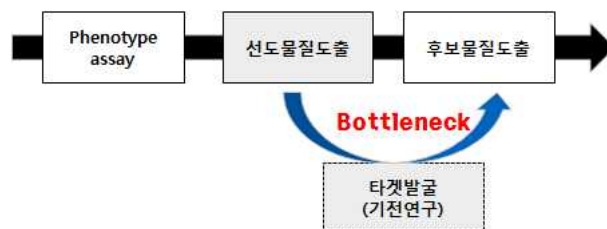
### Phenotype approach의 국내 성공사례 (한국화학연구원)

한국화학물은행 라이브러리를 다양한 바이러스 감염 세포 약효검색과 최적화로 새로운 골격의 pan-antiviral 선도물질 도출과 동시에 벨기에 Rega 연구소와 국제협력으로 타겟 규명 기전연구를 진행하여 타겟 2C를 확인, 최적화 과정에서 unmet needs가 높은 Rhino virus에 매우 우수한 효능의 first in class 2C 저해제를 발굴, 현재 글로벌 신약 가능성이 매우 높아 후속연구 및 기술이전 진행중

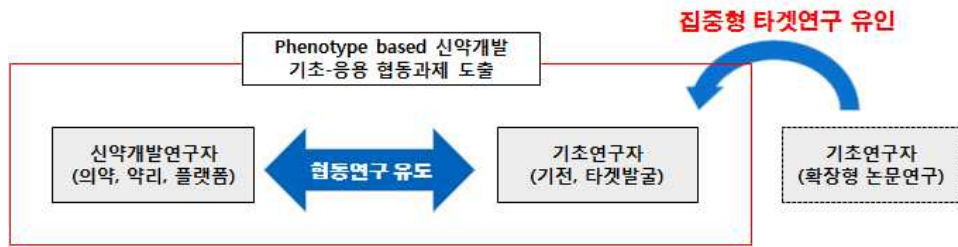


## ③ Phenotype 연구의 활성화 방안

- Phenotype 연구의 가장 큰 bottleneck은 cell에 약효를 보이는 약물의 기전연구를 통한 타겟발굴 과정임



- 신약개발연구자와 기초연구자의 기전연구가 결합하는 협동과제 도출하여 기초연구가 타겟발굴의 목적성연구로 유도 필요



## 2-2 유전체 연구의 신약개발 연계 활성화

① 유전체연구는 조기진단, 질병예측 및 새로운 바이오마커, 신규타겟 확보를 목표

- 고지혈증, 치매, 당뇨, 암, 희귀질환 등의 유전자변이 규명으로 발견된 바이오마커 및 타겟은 신약개발 가능성 매우 높음
- 미래부 포함 6개 부처의 포스트게놈 신산업육성 위한 '다부처 유전체 사업'의 추진은 유전체 분야 정부 R&D 투자가 본격화

\* 하지만 2000년 이후 유전체 관련 대형 과제가 6개로 중복성 문제 심각

② 유전체 사업의 낮은 신약개발 연계 의식은 자원의 낭비

- '다부처 유전체 사업'의 시행은 우수한 연구결과의 도출가능성이 큼, 하지만 이를 화합물로의 연계부재는 새로운 bottleneck

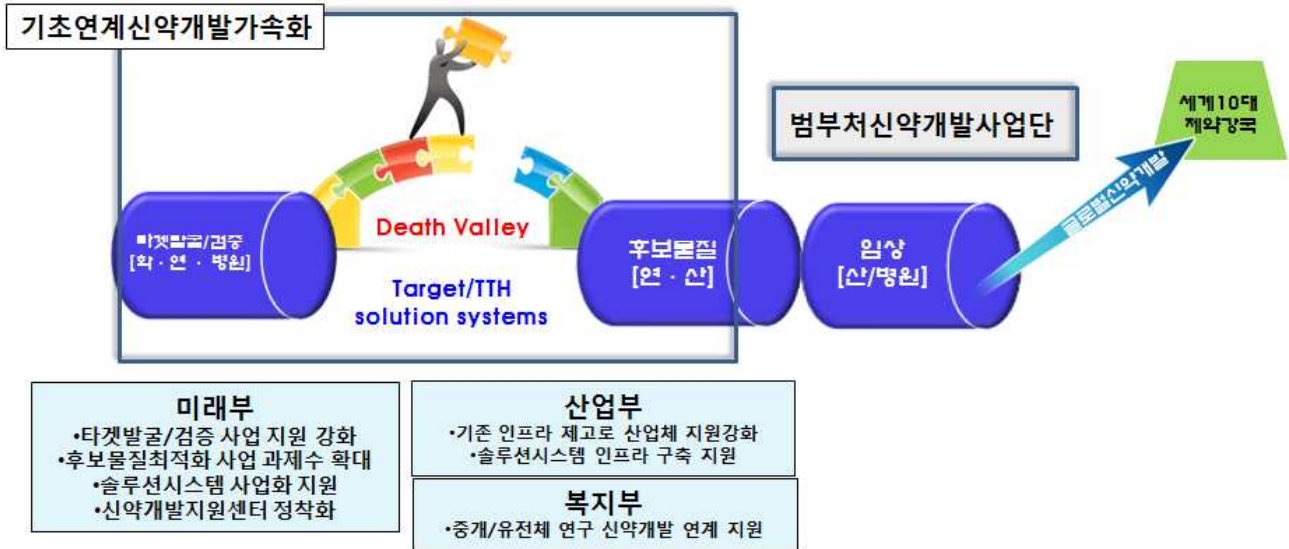


- (미래부 신약개발연계 집중필요) 미래부는 타부처와 달리 유전체정보로 확보한 바이오마커, 신규타겟의 치료제 개발연계에 초점을 맞추어 신규과제 적극 도출 필요

\* (임상병원 유전체 정보 공개 의무화) 임상병원은 다국적사와 진행한 질병 유전체정보의 국내 공개를 제한하여 국내사 정보활용 제약, 이에 대한 해결 방안 필요

### 3 기초연계신약개발가속화사업

#### 1 필요성



- (후보물질공급 동맥경화) 기존 후보물질 과제 數 부족 및 R&D 투자 영세성으로 후보물질의 범부처사업단 공급에 동맥경화 현상 발생, 사업단의 효율적 운영 어려움 직면
  - (솔루션시스템은 연계사업의 전주기적 완성) 솔루션시스템은 범부처사업단과 효율적 연계로 실질적인 신약개발사업의 전주기적 완성 가능하여 동맥경화 해소 및 국내 신약연구 가속화
  - (부처 기능 연계 프로그램 강화) 각 부처는 인프라, R&D 등에서 기초연구-신약개발 연계위한 다양한 사업을 범부처적인 조직적 협력을 통해 신약개발 연구 가속화의 시너지 창출가능
- \* 후단 범부처사업과 앞단 기초연계가속화사업을 조화롭게 운영함으로써 신약개발 전주기의 bottleneck 제거 가능

## 2 후보물질발굴사업이 파이프라인 공급의 핵심

- (TTH 가동은 후보물질발굴사업에 시너지) TTH 시스템의 가동은 후보물질 파이프라인 공급의 가장 핵심 사업인 “후보물질발굴최적화사업”의 효율화시너지 창출 가능



- TTH솔루션시스템으로 도출된 대량의 유효물질을 신약개발 후속 연구로 가속화위해 최적화사업의 과제數를 획기적으로 증가하는 흡수 대책 필요
- (신약개발지원센터 정착) 최적화사업에서 신약개발지원센터는 중추적인 기능 수행 요구되어 센터 역할 조기 정착화 가능

## 3 타부처의 미래부 사업 지원을 통한 시너지 창출

- (산업부 인프라 고도화 지원) 산업부는 양 솔루션시스템의 인프라 구축을 지원하여 침복단지 기능 정착화 및 고도화 완성
- (복지부 중개연구 신약개발연계 지원) 유전체/임상정보의 신약개발 연계를 지원하여 잠재성 높은 신규타겟 확보 노력강화
- (부처 인프라/R&D사업의 칸막이 제거) 부처간 基보유 인프라 및 R&D 사업간 칸막이 제거만으로 효율화시너지 창출 가능

## 4 신약개발 R&D 효율화 방안

### 4-1 화합물라이브리리의 고도화

① 화합물라이브리리는 First in class 신물질 파이프라인 구축 위한 가장 핵심적인 인프라

- 한국화합물은행은 현재 약 22만개 국내외 화합물 보유하고 있지만 활성화된 국내 신약연구의 효율적 지원위해 선진국 대비 화합물 數 및 다양성 강화 절실히 필요



- 이를 개선위해 한국화학연구원은 자체 블록펀딩(40억/년)을 확보 고도화 사업을 진행중, 향 후 50만개 화합물 확보시 활용 빈도 상승에 대응 가능

② 화합물 기탁 강제화 필요성

- 한국화합물은행은 정부 지정 유일 화합물 기탁기관으로 선진국과 차별성 강화위해 정부투자 신약개발 과제로 도출된 화합물은 자동 기탁 강제할 제도 필요함 (평가 반영 등)

#### 국가연구개발사업의 관리 등에 관한 규정

[시행 2012.7.1] [대통령령 제23788호, 2012.5.14, 일부개정]

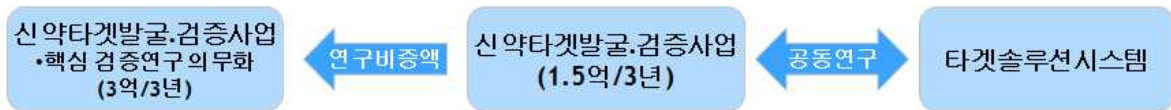
제25조(연구개발정보의 관리)

- ⑬ 주관연구기관의 장 또는 전문기관의 장은 연구성과를 논문, 특허, 연구시설·장비 등 연구성과 분야별로 효율적으로 관리하고 유통하기 위하여 **국가과학기술위원회가 지정한 기관에 등록하거나 기탁하여야 한다.**

## 4-2 타겟 검증 과제의 효율화

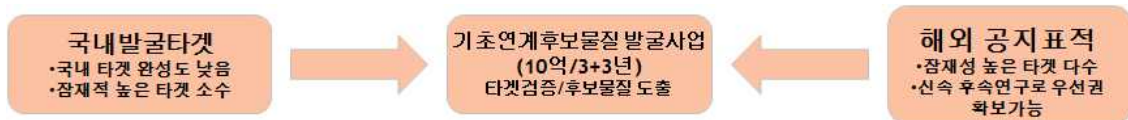
### 1 신약타겟발굴·검증사업

- 과제가 영세하여 실질적인 검증이 이루어지지 못한 상태에서 종료되는 경우 많아 후속 후보물질과제로 연계 어려운 현실
- 이를 개선 위해 개별 사업의 연구비를 증액하여 핵심검증데이터 확보를 의무화하거나 타겟솔루션시스템이 공동연구로 핵심데이터 확보를 지원함



### 2 기초연계후보물질발굴사업

- 국내타겟의 검증 및 후보물질발굴의 도전적인 연구과제, 현재 제안된 신규타겟 數가 적고, 데이터 완성도 또한 낮아 우수 타겟확보가 어려운 상황 (제안 과제중 핵심 검증 수행은 30%)

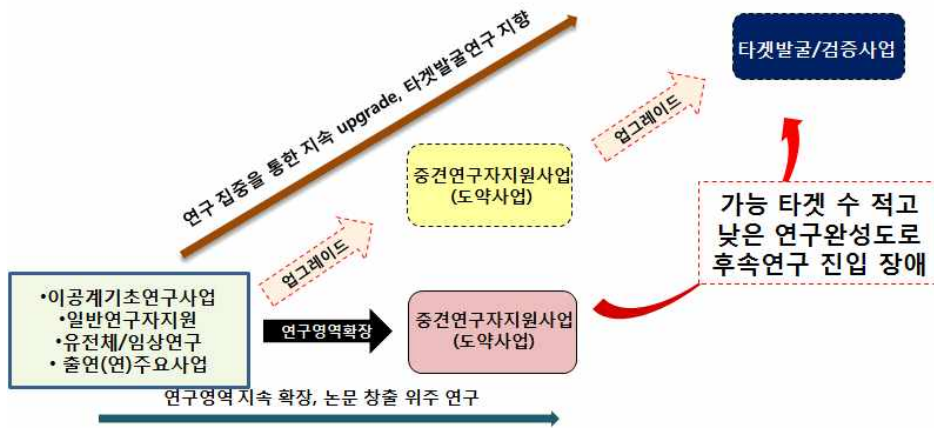


- (국내외 타겟확보로 사업영역 확장) 사업목적을 국내 발굴 타겟에서 잠재성 및 완성도 높은 해외 공지 타겟으로 사업 영역확장하여 생산성 향상 유도필요
  - \* 과제를 제안한 국내 연구자 (기초 및 임상)들은 이미 논문을 게재한 상태이기 때문에 국내외 구분은 무의미, 최대한 빨리 물질화 시도가 최선
- (타겟발굴/검증사업과 연계강화) 현재 진행중인 타겟발굴·검증사업과 긴밀한 협력을 통해 지원을 강화하고 그 결과를 기초연계사업으로 연계하는 방안 필요

### 1 미래부 대표 BT 기초연구자 지원 사업 현황

- ▶ **중견연구자지원사업(도약사업):** 다양한 BT분야 기초, 기전, 임상연구의 우수성과 연구자를 지원, 우수성과 창출을 유도하는 bottom-up 방식으로 지원 (2013년 1,032억원)
- ▶ **일반연구자지원사업:** 이공학분야 기초연구 활성화 및 연구저변 확대를 통해 국가의 기초연구 역량 제고 (신진, 여성, 지역 대학우수과학자 등 특정그룹과 일반 연구자 지원)  
-2012년 4,270억 (8,259개 과제)
- ▶ **리더연구자지원사업(창의적):** 창의적 아이디어 및 지식을 지닌 연구자를 발굴하여 세계수준의 우수 연구리더로 집중 육성  
-2012'년 485억 (59개 과제); 업적: 논문 418, 특허 117건 (2011)
- ▶ **선도연구센터지원사업:** 생명현상과 질병기전을 규명하는 기초의과학 연구위한 의·치·한의대 거점연구조직을 육성, 생명공학 지식창출 및 인력 양성 (2013년 298억원; 31개 센터 지원)
- ▶ **21세기 프론티어사업(종료):** 프로테오믹스, 인간유전체, 생체기능조절물질, 뇌질환 등 기초연구와 신약후보물질 연구가 진행
- ▶ **글로벌프론티어 (의약바이오컨버전스):** 타겟발굴검증 및 약물검색 연구가 중점인 인프라과제, 2010년부터 10년동안 국내 타겟발굴과제의 핵심역할 수행 (2012년 200억원)
- ▶ **출연(연) 주요사업(생명, 화학, KIST):** 생명연은 기초 및 암분야 타겟발굴, KIST는 뇌질환 기초연구, 화학(연)은 다양한 질환 타겟검증 연구로 특성화

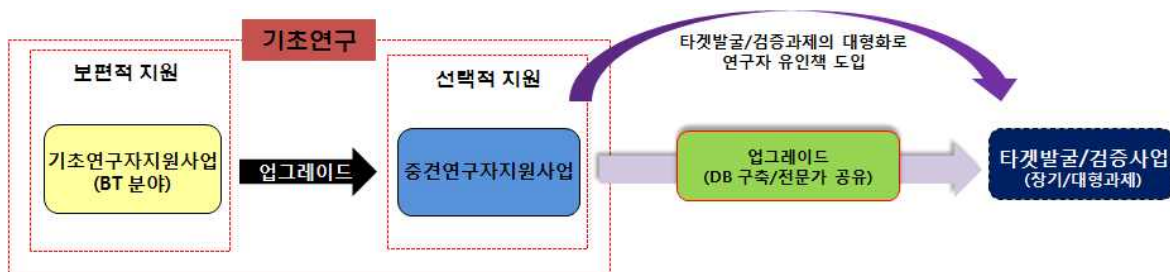
## ② 기초연구 타겟발굴/검증과제로의 연계의 문제점



- 기초연구는 지속 업그레이드를 통해 타겟발굴/검증사업으로 연계 필요하지만 대부분 기초연구의 연장으로 도약사업을 인식
- 도약사업은 기초연구를 확장하는 논문창출위주로 운영, 낮은 연구완성도로 후속 타겟사업으로 연계되는 과제수는 매우 적음

## ③ 개선방안

- (타겟 집중형연구 유인책 도입) “일반연구자지원사업”은 보편적 지원의 기초연구 저변확대를 목적, “중견연구자지원사업”은 우수 기초연구의 후속연구로 선택적지원 목적, 양 사업을 단순 논문 위주의 확장형 연구에서 타겟관련 집중형 연구로 유도 위해 장기/대형 타겟발굴 후속연구사업을 도출하는 유인책 필요



- (타겟연구성과 선별 DB 관리) 기초연구자지원사업 성과를 DB구축으로 종합관리 후 산학연 신약연구자 공유, 가능성 높은 타겟을 수요자 관점에서 선별, 후속 타겟발굴/검증 사업 연계

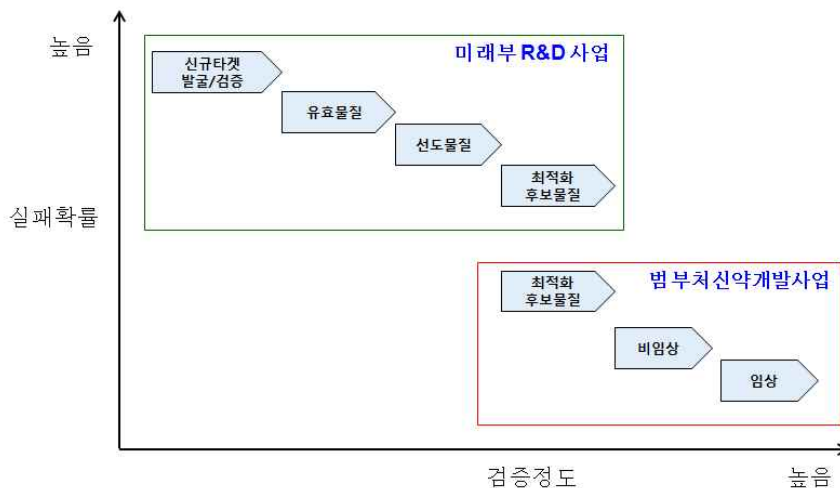


#### 4-4

### 사업간 차별성 확보 방안 (범부처사업과의 중복성)

#### ① 미래부 신약개발 R&D 사업의 성격

- 미래부의 “타겟발굴/검증, 기초연계, 그리고 후보물질발굴최적화사업”이 타겟→유효→선도→최적화 연계로 진행 중, 최근 국내 신약연구의 활성화로 이들 사업들의 연계의 중요성 부각



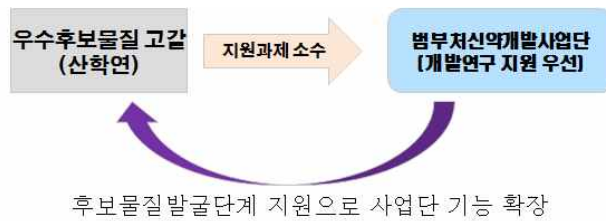
- 사업의 주목적은 proof of concept(POC)이 부족하여 잠재성은 높지만 리스크가 커 중도 탈락가능성이 높은 과제위주로 지원
- 미래부는 리스크에 민감한 산업체나 목표지향적인 범부처사업단의 참여가 어려운 초기 연계사업을 주도해야하는 당위성 존재

#### ② 범부처전주기신약개발사업단의 성격

목표	2020년까지 글로벌 신약 10개 이상 개발(해외 기술이전 포함)
	글로벌 신약(>2,000억) 가능성이 높은 검증된 과제 위주 선별 지원

- 2020년까지 10개의 글로벌신약개발 목표 달성위해 검증된, 잠재성 높은, 그리고 성과의 조기도출 가능성 높은 후기 개발과제 위주 지원

- 최근 후보물질 고갈에 의한 사업단의 과제선정 어려움을 극복하고자 초기 단계로 지원을 확장하여 후보물질 확보 타개노력



### 3 범부처신약개발사업단의 고민

- Forbes (2012.09.15)는 “신약개발 성공률은 지속하락, 글로벌 신약 1개 출시위해 약 30개의 비임상 후보물질 필요” 보고

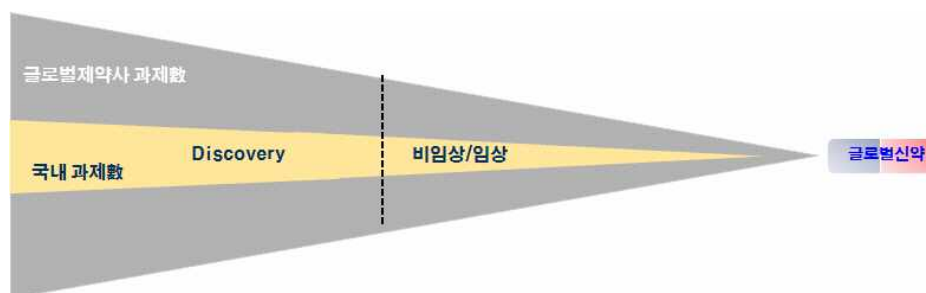
기간	비임상 후보물질 數/글로벌신약 1개
2007-2011	30개
2005-2009	24개
2003-2007	12개

(<http://www.forbes.com/sites/edsilverman/2012/09/15/are-drug-pipelines-really-improving/>)

- Forbes 기준, 글로벌신약 10개 목표달성에 200-300개의 비임상 물질, >500개의 최적화 과제 필요, 국내는 1/5 수준에도 미치지 못함

후보물질 최적화 화합물 수	비임상 후보물질 수	목표 글로벌신약개발 수
>500	200-300개	10개

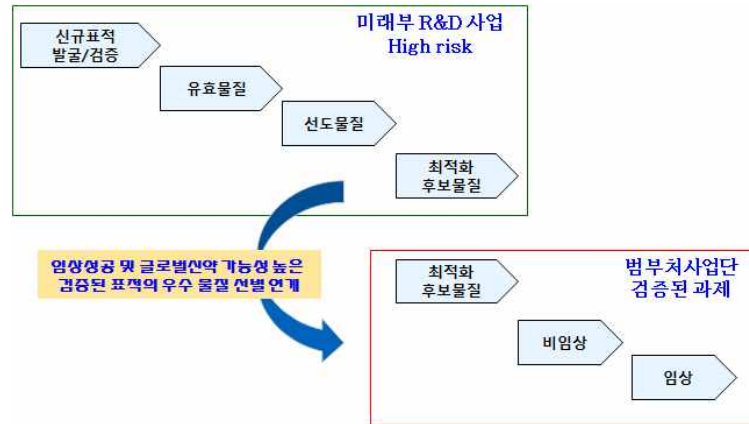
- 글로벌제약사는 초기단계에 집중투자를 통해 다수 과제를 운영하는 삼각형 구도로, 지속적 후보물질 대량 발굴 시도



- 하지만 국내 초기단계의 과제數 및 연구비 투입은 적정규모에 미달한 슬림형, 사업단의 목표달성위한 새로운 전략모색 필요

#### 4 사업간의 차별성

- 미래부 “후보물질발굴최적화사업”과 범부처사업단의 후보물질 최적화 지원은 지향하는 목적과 선정과제의 특성 차이가 큼



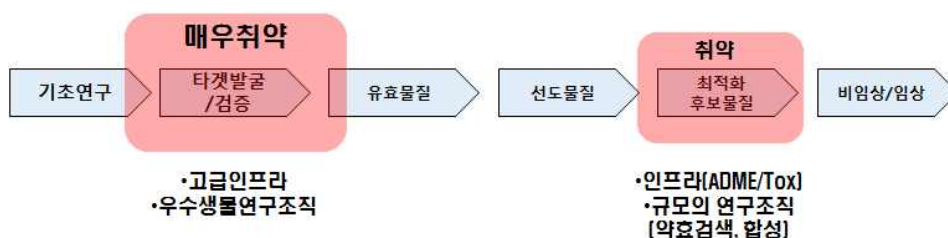
- 범부처사업단은 시장성, unmet needs, 타겟 POC정도 외 초기 해외기술이전과 임상성공가능성에 최대 주안점을 두고 선정
- 미래부 과제는 진행중에 POC 검증 제고 및 물질 가치 상승 시, 글로벌 경쟁력을 고려 개발단계와 무관하게 범부처사업단으로 연계하여 사업단 활성화의 시너지 창출 도모

범부처사업단은 목표달성 위해 임상 성공가능성이 높은 검증된과제 위주로 선별 지원, 위험도가 높은 과제는 미래부의 R&D 지원 필수, 중복성보다는 역할분담을 통한 시너지 창출로 인식필요

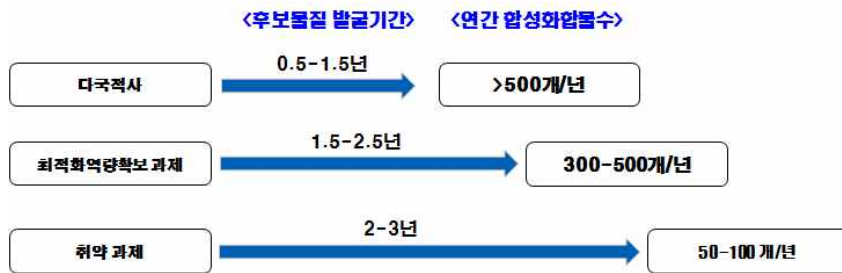
#### 4-5 신약개발지원센터의 조기 정착

##### 1 최적화연구가 후보물질 성공적 발굴 좌우

- 유효물질→선도물질→최적화과정에서 최적화능력 확보가 우수 후보물질 도출의 핵심 (2012 Kalorama Information)



- 최적화는 합성, 약효, 약동력, 독성 인프라의 지속 협력을 통한 반복연구 필요하지만 적정규모의 연구조직 구축에 한계 존재
- 최적화를 위해 연간 500개 이상 화합물 합성 필요하지만 취약 과제는 100개미만 합성 예상되어 취약과제 지원 시스템 필요

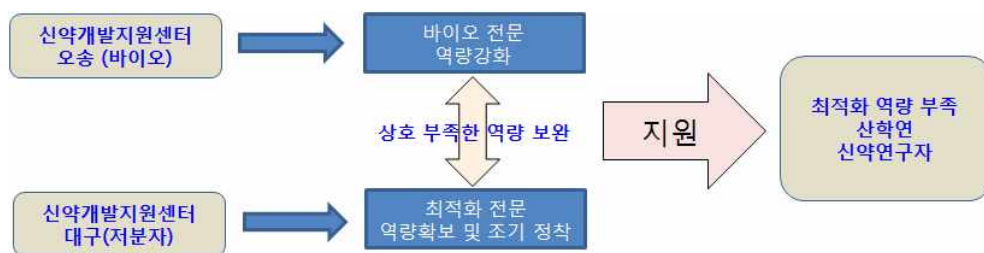


\* 합성의 중요성 사례

- 2010년 화학연-Lilly 공동, first in class 항암타겟의 유효물질도출 연구를 진행한 1.5년간 700여개 화합물 합성(10명 인력)하여 성공적으로 Lilly사에 기술이전
- 후보물질발굴 최적화사업의 DGAT1과제는 2년간 1,700개의 화합물 합성(10명 합성인력), 후보물질도출 후 한독약품 기술이전

## 2 신약개발지원센터 역할 정립

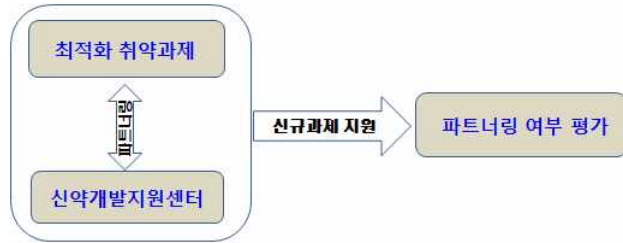
- 최적화 과정의 취약은 최상의 후보물질 도출이 어렵고 이는 임상 실패로 귀결, 이러한 문제점은 집중연구가 가능한 신약개발 지원센터의 활성화로 해결가능



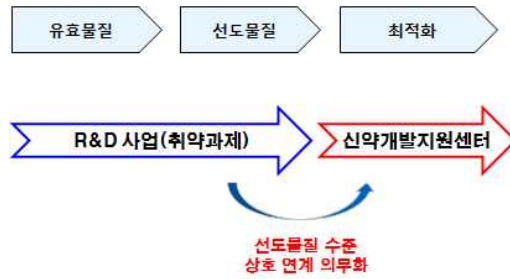
- 양 지원센터는 각각 바이오 및 최적화 전문기관으로 역량확보 하고 상호 취약분야는 긴밀한 교류로 보완하여 조기 정착노력

## 3 신약개발지원센터 최적화 지원 체계

- 최적화 취약과제는 센터와 협력 여부가 신규과제 선정평가에 반영하여 과제의 효율을 높이고 센터의 최적화 저변 확장기여



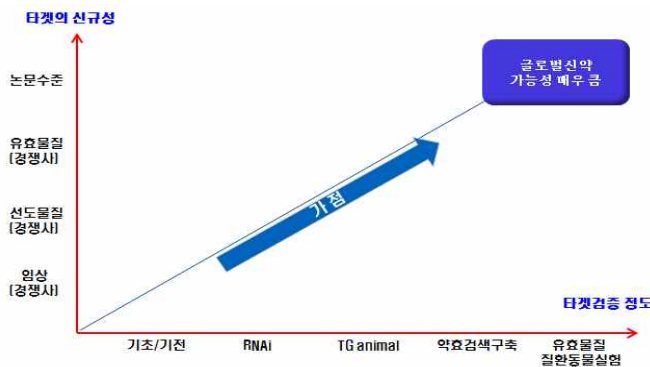
- 또한 취약과제는 선도물질 수준에서 최적화과정을 센터와 연계 의무화로 센터의 활용도 증가 및 기능의 고도화를 유도함



## 4-6 과제 평가 개선 방안

### 1 선정평가 기준 강화

- 신규, 초기타겟의 후보물질 과제 선정을 유도하기 위해 unmet needs 정도, 타겟의 신규성과 검증정도에 따라 가점 부가



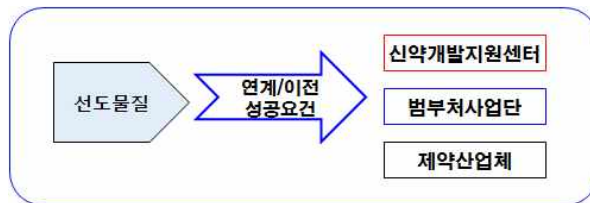
- (多學制 협력 추진체계 구성) 다학제 전문 연구자간 협력 체계구성 의무화로 연구 내실을 강화하여 참여연구자 각자 신약 연구 전문가로 성장하여 향 후 신약개발 저변을 확대기여
- (수요자 위주 평가위원 선정) 과제 기획 및 평가에 신약 수요자 니즈반영위해 산업체 연구자가 우선 포함 필요, 기초연구

자 위주 평가단 구성은 신약개발 가능성평가에 취약

## ② 사업의 성과지표 제고

### 1) 선도물질 후속사업 연계 시 성공인정

- 선도물질 수준에서 신약개발지원센터, 제약산업체, 범부처사업단의 연계/이전 시 성공요건으로 인정, 상호 역할분담 강화



### 2) 조기기술이전 성공인정

- 최근 제약산업체의 신약연구 활성화로 신규타겟, 약효검색법, 및 유효/선도물질수준에서 조기기술이전에 적극적, 조기 기술이전도 성공요건으로 간주 필요



- 조기 기술이전 시 과제는 조기 종료 않고 기존연구기간까지 후속연구 또는 신규타겟 선정 후 자동진행 보장

## IV 기대 효과

- 미래부 R&D의 효율적인 투자를 통해 국내 신약개발연구의 취약점을 제거하여 산학연의 도전적 혁신신약연구 몰입 가능
- 우수 기초연구결과의 신약개발로 연계 가능한 물질도출 위한 양 솔루션시스템 구축 및 활성화는 産·學·研 간 실질적인 협동연구의 韓國形 모델 정립 가능하여 신약연구 활성화 기대

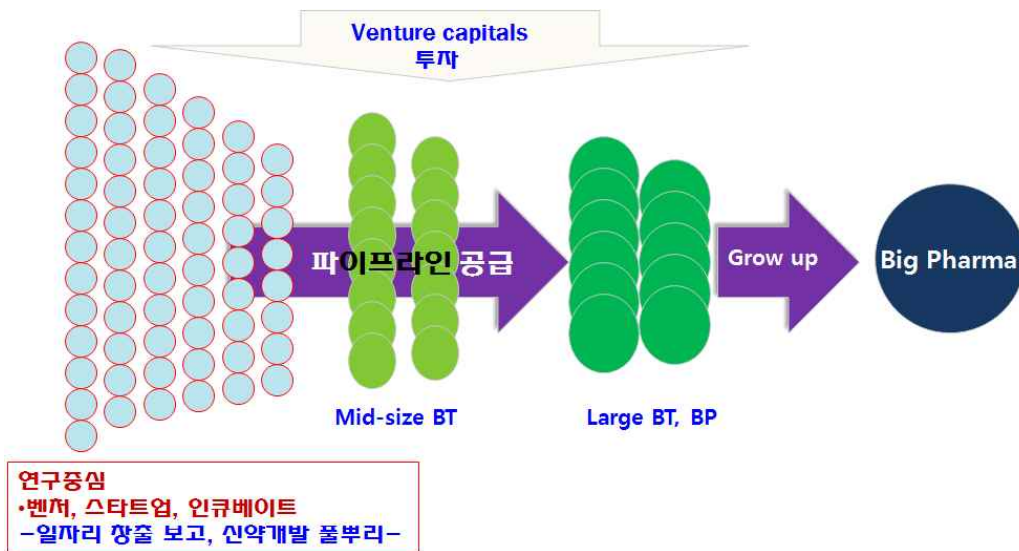
- 기존 사업의 취약점을 개선함으로써 신약개발 과제간의 연계를 강화하여 R&D 투자의 낭비요소 제거
- 신약개발을 통한 국내 제약산업체의 성장은 시장 지배력을 키우는 다국적사에 대응 가능해 의료보험재정 건전성 향상 기여
- 신약개발 역량 강화는 제약산업이 미래 신성장동력으로 육성 위한 밑거름이 되며 이 과정동안 큰 경제적 파급효과 발생
- 현재 16조원 규모의 제약산업이 3배로 성장하면 2020년에 2만개의 신규 연구직 일자리와 20만개의 직간접 신규고용창출효과 예상, 다학제 기초학문이 동시에 성장하여 이공계학문 경시하는 왜곡된 교육시스템 변화 기회



# 첨부. 국내 신약연구 생태계 변화방안

## 1 선진국 신약연구 생태계

- 선진국의 연구중심 벤처, 스타트업(start-up), 인큐베이트(incubator)는 끊임없이 만들어지고 신약 파이프라인을 지속적으로 상위 바이오팜, 바이오텍으로 공급하는 풀뿌리 역할을 수행



- 다국적사의 오픈이노베이션 활성화로 퇴직 연구원들이 주축으로 만들어진 소규모 벤처는 주로 10-50명 규모로 신규 일자리 창출의 보고로 자리매김, 특화된 연구영역으로 2-4년 내에 차별화된 파이프라인을 확보 공급하고 있음

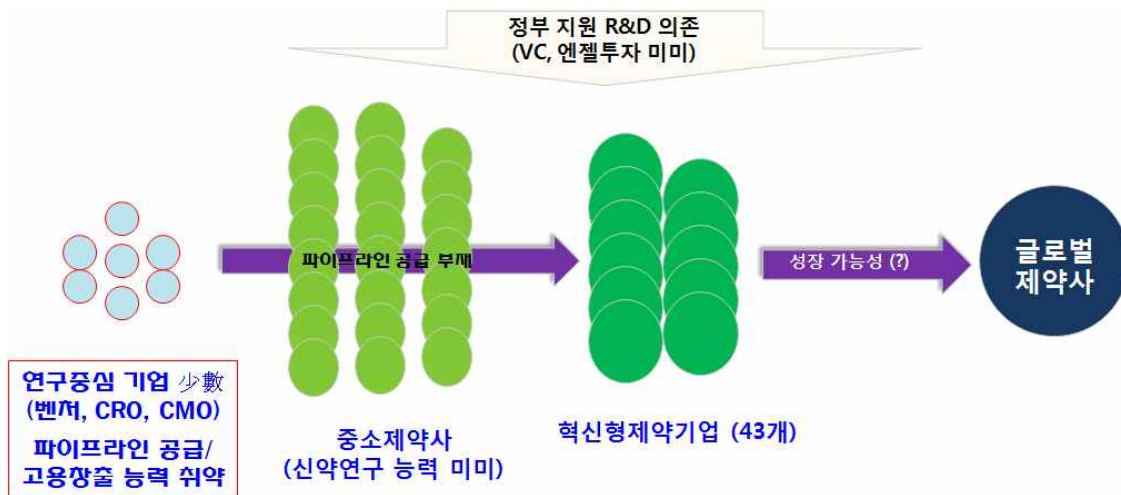
	보스톤 지역	샌프란시스코
스타트업, 인큐베이트, 바이오텍, 제약사 수	195개	240개
회사의 특성	신약개발 위주	전반적 BT (신약, 의료기기, 진단)
개발중인 신약 수	897	699 (California 전체)
고용창출	50,000명 (제약분야 28,000명)	50,000명 (제약 15,000명)
평균 연봉	\$97,000	\$76,000



- 미국의 대표적인 BT 연구 cluster는 보스톤과 샌프란시스코 지역이며 특히 보스톤 지역에서 개발중인 신약수는 897개 (전세계의 8%)에 달할 정도로 BT 연구가 활성화 되어있고 한국 전체 BT 종사자를 능가하는 연구인력을 흡수
- 보스톤 주변 Harvard, MIT, Boston college, Boston Uni. 등 대학과 Harvard Medical School 등 우수 병원 그리고 다양한 벤처 연구자들이 상호 협업연구와 교류를 통해 기초연구의 신약개발 중개연구의 중심지 역할을 수행

## 2 국내 신약연구 생태계

- 상위 제약사를 제외하고 국내 300개 이상의 중소제약사가 있지만 신약연구 능력은 매우 미미한 상태로 파이프라인 공급자 역할을 전여 수행하지 못함

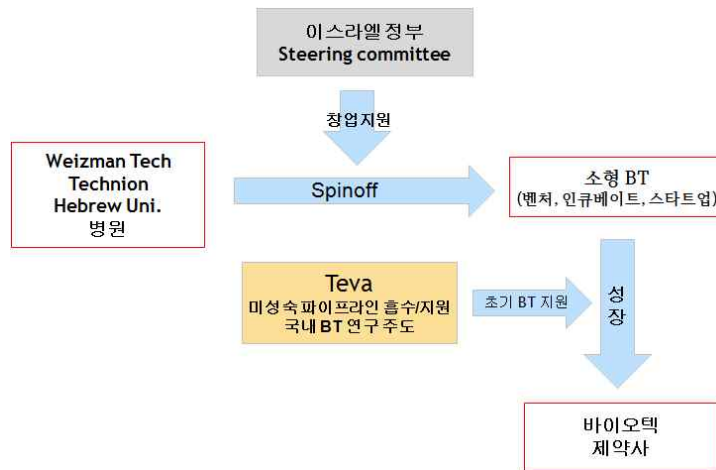


- 또한 연구중심 소규모 벤처의 수가 매우 적어 선진국과 같은 혁신적인 연구를 통한 파이프라인 공급처 역할을 못하고 있어 전체적인 신약개발 생태계가 매우 낙후
- 연구능력이 확보된 상위제약사의 신약연구 R&D도 정부에 의존하고 있어 투입인력, 연구역량을 고려할 때 글로벌제약사로 성장가능성은 매우 낮음

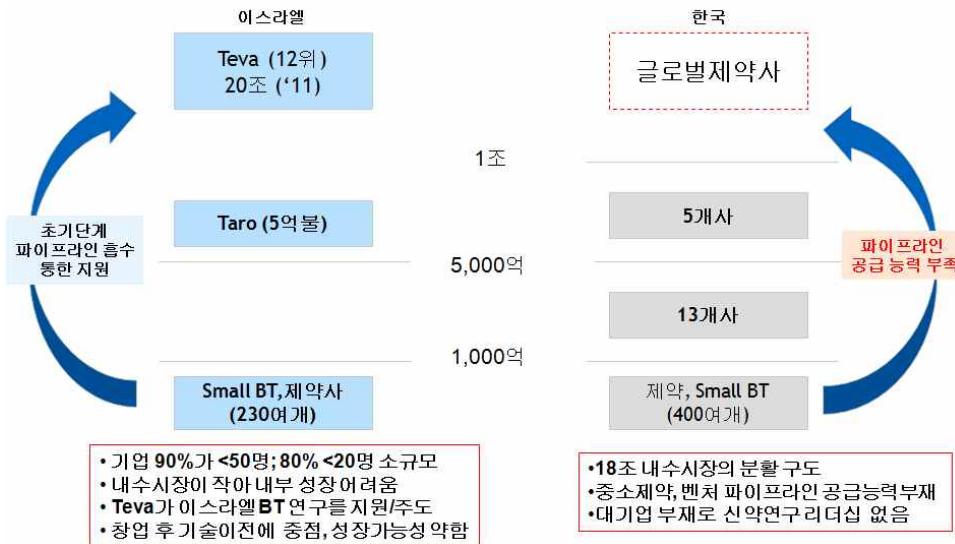
### 3 신약연구 생태계 활성화 방안

#### <이스라엘 활성화 사례 분석>

○ 이스라엘의 대부분 벤처, 스타트업, 인큐베이트는 대학, 공공연구기관, 병원등에서 spinoff되었음, 정부는 Steering committee가 구성 초기 단계를 적극 지원

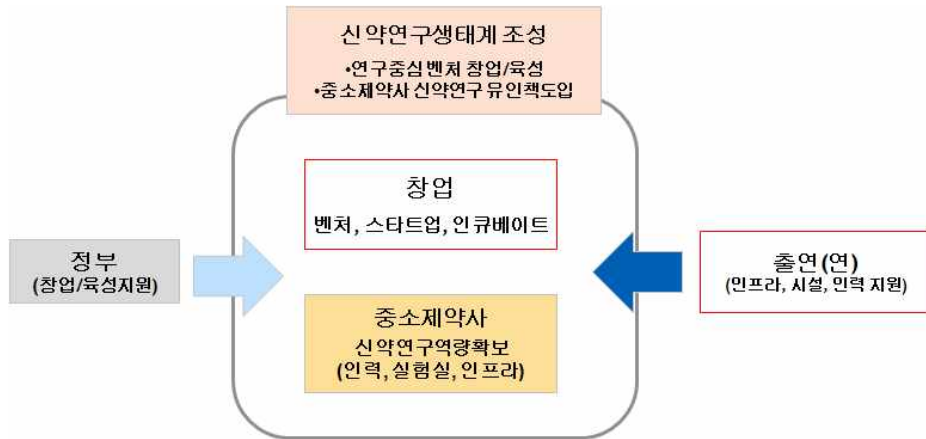


○ 이스라엘 800여 Life science 기업중 의료기기(54%) 관련기업은 이미 세계 top의 경쟁력을 확보, BT와 제약사는 230여개로 90%는 50명이 하, 80%는 20명이하의 소규모임



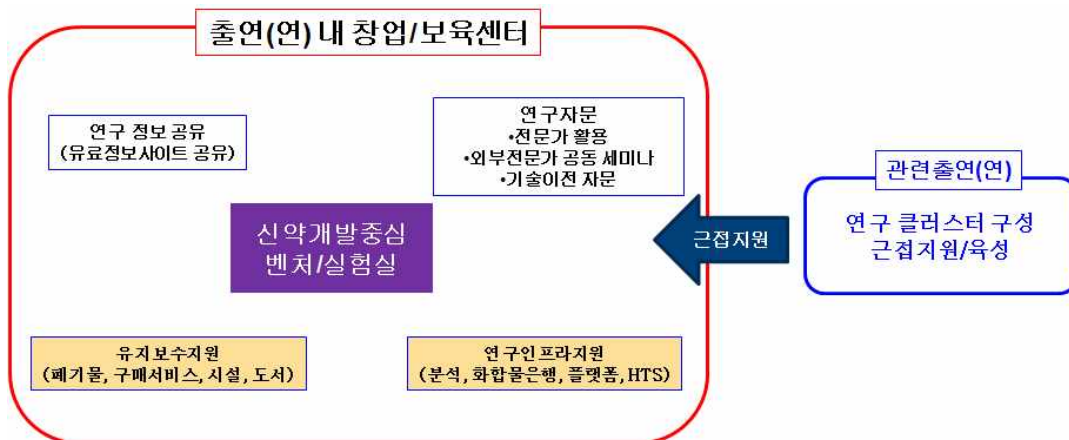
○ 세계12위의 Teva는 초기파이프라인을 흡수하여 BT기업의 성장과 안정화를 지원, Teva는 이스라엘 BT 연구를 자신의 영향력 아래서 주도하여 글로벌 제약사로 성장했음(총매출 5조원 규모 글로벌신약이 자국내 BT기업을 통해 Teva로 기술이전)

- 리베이트 근절, 약가인하는 국내 제약생태계가 내수에 안주해서는 생존하기 어려워 상위제약사 위주로 적극적 신약연구 몰입중



- 특히 이들 정책에 가장 취약한 중소제약사는 생존전략 확보에 고심 중, 이들을 신약연구로 끌어들이는 유인 정책을 도입하여 고학력 고용창출 및 신규파이프라인 공급의 핵심주체 가능

\* 국내 대부분 중소제약사는 기본적인 연구역량(인력, 실험실, 인프라) 미확보



- 위험물을 취급하는 신약연구의 특성상, 벤처/중소제약사의 연구 인프라 구축에 환경적 制弱 존재, 인프라가 완벽한 출연(연) 내 창업 및 위성실험실 구축은 유지보수, 실험장비, 정보, 자문 등 기구축 자원을 활용할 수 있어 R&D 비용 1/3 감축가능

- 비록 Teva 같은 토종 다국적사의 부재는 국내 BT연구의 리더 역할을 통한 지원을 이끌어 낼 수 없지만 연구역량이 우수한 출연(연)의 지원 역할을 강화하는 한국형모델 정립 필요