

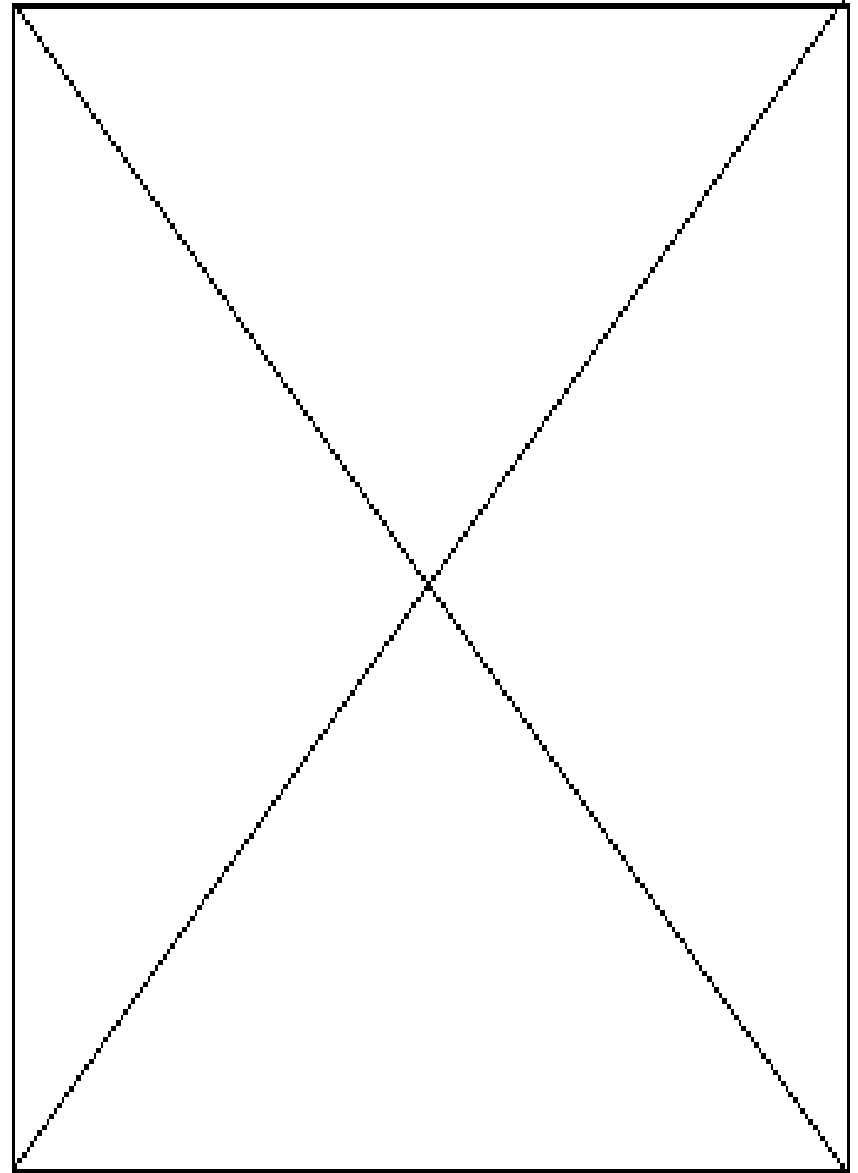
2018-01

# 줄기세포·재생의료 원천기술개발 예타기획연구

연구기관 : 과학기술전략연구소  
연구책임자 : 유 경 만

2019. 04. 15

과학기술정보통신부



# 목 차

## 제1장. 사업 개요

<b>제1절. 배경 및 필요성</b> .....	<b>1</b>
1. 사업추진 배경 .....	1
2. 사업추진의 필요성 .....	3
3. 사업추진의 시급성 .....	5
4. 국고지원의 적절성 .....	7
<b>제2절. 사업 추진현황 및 근거</b> .....	<b>8</b>
1. 사업 추진현황 .....	8
2. 사업 추진근거 .....	8
<b>제3절. 기획 추진 체계 및 경과</b> .....	<b>11</b>
1. 사업기획 추진체계 .....	11
2. 사업기획 추진경과 .....	16
3. 사업기획 추진절차 .....	18

## 제2장. 사업 개념 및 대내외 환경변화

<b>제1절. 정의 및 범위</b> .....	<b>19</b>
1. 줄기세포 관련 용어의 정의 .....	21
2. 사업의 정의 및 범위 .....	22
<b>제2절. 대내외 환경변화</b> .....	<b>23</b>
1. 메가트렌드 분석 .....	23
2. 정책적 환경분석 .....	29
3. 경제적 환경분석 .....	52
4. 사회적 환경분석 .....	77
5. 기술적 환경분석 .....	85
6. 법제도적 환경분석 .....	99
7. PESTL 분석 .....	109

<b>제3절. 국내 R&amp;D 역량분석</b> .....	<b>112</b>
1. R&D 투자현황 .....	112
2. 논문/특허 동향 분석 .....	147
3. 기술역량 분석 .....	151
4. R&D 인프라 현황 .....	152
5. 시사점 분석 .....	153

## 제3장. 기존 사업의 성과분석

<b>제1절. 기존 사업 현황 및 추진경과</b> .....	<b>159</b>
1. 기존 사업 현황 .....	159
2. 기존 사업 추진경과 .....	159
3. 그간의 전체 투자 현황 .....	161
<b>제2절. 기존 사업 성과분석</b> .....	<b>168</b>
1. 대표적 성과분석 .....	168
2. 종합적 성과분석 .....	169
3. 과학적 성과분석 .....	170
4. 기술적 성과분석 .....	171

## 제4장. 사업설계를 위한 조사분석

<b>제1절. 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 관련 사전조사</b> ..	
1. 설문조사 .....	175
2. 기술수요 조사 .....	184
<b>제2절. 관련 사업 추진현황 및 중복성 검토</b> .....	<b>189</b>
1. 유사사업 현황 및 중복성 검토 .....	189
2. 과제단위 중복성 검토 .....	194
3. 민간기술과의 연계방안 .....	196

제5장. 사업 추진계획(안)

**제1절. 사업 추진방향 및 추진과제** ..... 199

1. 사업 추진방향 도출 방법 ..... 199

2. 종합분석(SWOT) ..... 200

3. SWOT 분석을 통한 사업의 추진방향 도출 ..... 204

4. 사업의 중점 추진분야 도출 ..... 205

5. 중점 추진분야 선정 및 추진과제 도출 ..... 206

**제2절. 사업 비전 및 목표** ..... 213

1. 비전 체계도 ..... 213

2. 기본방향 ..... 214

3. 사업비전 ..... 217

4. 사업전략 및 성과목표 ..... 217

5. 논리모형 ..... 221

**제3절. 줄기세포·조직재생 원천기술별 상세내용** ..... 222

1. 줄기세포 치료기술 ..... 223

2. 줄기세포 활용기술 ..... 323

**제4절. 기대 및 파급효과** ..... 474

1. 과학기술적 파급효과 ..... 475

2. 경제사회적 파급효과 ..... 476

제6장. 사업운영계획 및 소요예산

**제1절. 사업추진체계 및 역할분담** ..... 481

1. 전체사업 추진체계 ..... 481

2. 사업관리 방안 ..... 482

3. 성과활용 방안 ..... 497

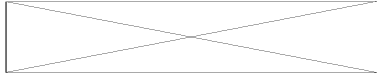
**제2절. 과제 소요예산 및 자원조달 방안** ..... 498

1. 전체 과제 및 사업비 ..... 498

2. 사업예산의 적정성 검토 ..... 500

3. 자원조달 방안 ..... 500

4. 소요인력 ..... 501



## 제1장

# 사업 개요

제1절 배경 및 필요성

제2절 사업 추진 현황 및 근거

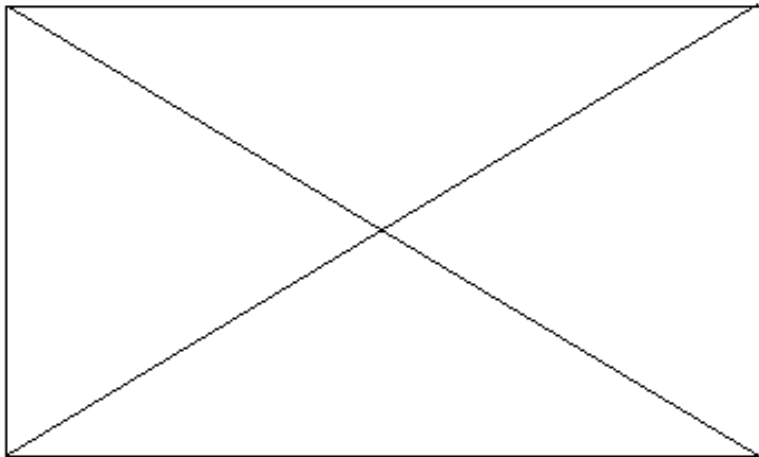
제3절 기획 추진 체계 및 경과

# 제1절 배경 및 필요성

## 1. 사업 추진배경

- 전 세계적으로 진행되는 사회적 양상의 변화에 따라 건강한 삶에 대한 국민의 요구 증가 및 과학기술에 대한 기대치 상승
- 오래도록 건강하게 살고자 하는 '건강수명' 니즈와 이에 필요한 의료기술·서비스 향상에 대한 요구는 지속적으로 증가
- 의료기술 발전과 더불어 국민의 기대수명의 증가로, 증상 완화 등 한시적·일시적인 치료 방법의 한계를 극복할 수 있는 기술수요 증가
- ※ (국내 기대수명) '14년 기준 약 85.2세로 OECD 국가 중 5위 차지(OECD Health Statistic, '17)

[그림] 2014년 기준 OECD 주요국 기대수명



\* 출처 : 통계청, OECD

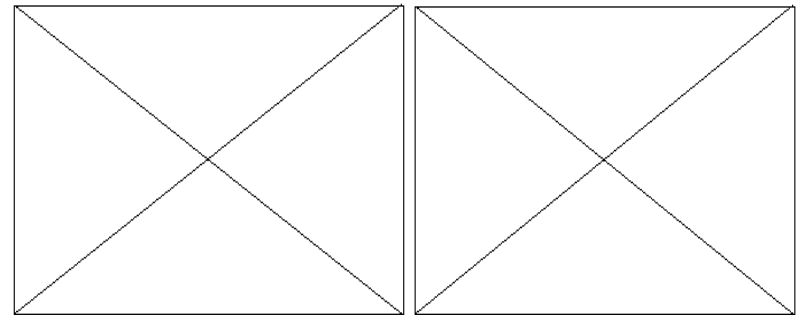
- 국내 보건의료 체계의 지속가능성을 담보할 수 있는 의료비 절감 기술개발에 대한 수요 증가
- 전 세계의 많은 국가들은 급속도로 고령화 사회 진입이 예상되며, 노인 의료비 증가에 따른 국가의 재정적 부담에 대비가 필요한 상황
- 글로벌 추세와 마찬가지로, 국내 역시 고령화의 급속한 진행이 예상됨에 따라, 노년 인구 증가에 비례하는 사회·경제적 비용(보험료, 의료비 등)이 국

가 재정의 상당부분을 차지할 것으로 전망

- '14년 경상의료비 지출액은 전년 대비 7.7조 증가한 105조원(GDP 대비 7.1%수준)으로 추정되며, 의료서비스(입원·외래, 67.2%)와 의약품(20.6%)이 전체 비용의 상당부분 비중을 차지
- \* 보건의료재화 및 보건의료서비스의 소비를 위하여 국민 전체가 1년간 지출한 총액

[그림] 재원별 경상의료비 추이

[그림] 기능별 경상의료비 구성비 추이



\* 출처 : 2016 보건복지통계연보 제 62호(보건복지부, '16.11)

- '15년 기준 노년부양비\*는 17.9명, 인구의 노령화 지수\*\*는 94.1명으로, '17년에 고령인구가 유소년인구를 초과할 것으로 예상되며, 노인진료비는 '14년 19조원(경상의료비의 18%)에서 '60년 최소 271조원으로 지속 증가할 전망
- \* (노년부양비) 총 인구 중 생산가능 연령(15~64세) 인구에 대한 노년인구(65세 이상)의 백분비
- \*\* (노령화지수) 15세 미만의 유소년 인구에 대한 65세 이상의 노령인구의 비율

[표] 노년부양비와 노령화 지수

(단위 : 명)

구분	1980	1990	2005	2010	2015	2017	2020	2030	2040
노년부양비 (생산가능 인구 백명당)	6.1	7.4	12.6	15.2	17.9	19.2	22.1	38.6	57.2
노령화지수 (유소년인구 백명당)	11.2	20.0	47.3	68.4	94.1	104.1	119.1	193.0	228.6

\* 출처 : 2011 장래인구추계, 통계청

\* 출처 : 2016 보건복지통계연보 제 62호(보건복지부, '16.11)

## 2. 사업추진의 필요성

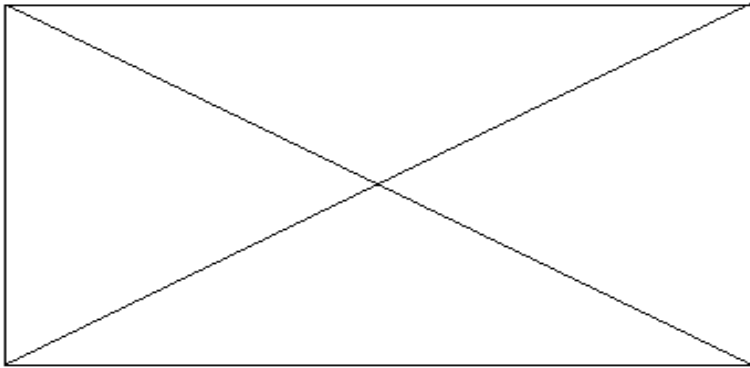
- 줄기세포치료제는 기존 약물과 수술에 의한 보존치료 중심을 치료개념을 대체할 수 있는 재생의료를 현실화하여 미래 의료기술 패러다임 변화를 이끌어가는 분야로 이에 대한 필요성이 더욱 증대되는 추세
  - 기존에 치료 불가능하였던 희귀질환, 퇴행성 뇌질환, 당뇨 등의 난치병에 대한 새로운 치료 대안으로 기대되어 전 세계적으로 핵심 원천기술 개발 활발
    - 현재 치료법이 없는 만성 난치질환은 환자의 고통 뿐 아니라 가족의 삶의 질 저하, 막대한 사회적 의료 부담 등이 동반되어 근본적 신 의료기술 개발에 대한 니즈가 매우 높음
  - 환자맞춤형 차세대 줄기세포치료제 개발은 향후 고성장이 전망되는 고부가가치 유망산업으로 실용화 촉진 및 글로벌 시장 진입을 위한 전략적 연구 필요
    - 줄기세포치료제 개발을 위한 기초·원천기술과 함께 임상적용 및 실용화를 위한 응용기술의 발전이 급속히 진행 중으로, 지속적인 글로벌 연구트렌드 분석 및 원천기술 확보 시급
- 줄기세포 산업은 신약개발 효율화, 동물대체시험법 요구 등 글로벌 트렌드와 맞물려 줄기세포 기반의 융복합 연구개발을 통해 다양한 활용기술 개발 및 산업영역으로의 확장 가능한 산업
  - 줄기세포 산업에서 치료시장 외 비치료영역에서의 줄기세포 활용시장이 상당한 비중을 차지하고 있으며, 아직 활용시장을 선점한 국가는 없기 때문에 기술개발(질환모사, 오가노이드 등)\*에 따라 시장 선도 가능성 충분
    - \* 의약품, 의료기술 등 임상에 적용되는 최종산물까지 개발하여 수익을 창출하는 모델이 아닌 최종산물 개발과정에 필요한 플랫폼기술과 연구재료를 제공하는 방식으로 실용화가 용이하며, 빅파마와 같은 독점적 기업은 없는 상황
  - 줄기세포 기반의 질환모사기술\*을 활용하여 기존의 동물모델\*\* 수준의 연구에서 인간모델 수준으로 생명현상 연구 구현 가능
    - \* 줄기세포로부터 유전자 가위기술을 이용하여 파킨슨병 질환모델 제작('11년 미국 MIT), 노화와 연관된 질환모델링('13, 미국 슬로언케터링연구소)
    - \*\* EU는 2013년 3월부터 화장품 동물실험 전면금지(동물실험금지법), 유럽화장품협회(Cosmetics Europe)에서는 동물실험 대체방법론을 개발하는 컨소시엄 '장기과학전략(Long Range Science Strategy : LRSS)' 출범('15.3)
    - 국내 또한 EU, 호주, 브라질 등과 함께 동물실험을 실시한 화장품이나 화장품 원료를 사용하여 제조하거나 수입한 화장품의 유통·판매를 금지('17.2)한 후 식약처에서 화장품 동물대체시험법 신규 가이드라인 마련('17.9)

- 최근 오가노이드 기술을 활용하여 기존의 세포/2D 수준의 연구에서 향후 장기/3D 수준의 연구로 패러다임 전환
  - \* 3D 프린팅 기술을 이용하여 인간 배아줄기세포 복사('13년, 영국 헤리엇-와트대), 지방세포에서 추출한 줄기세포를 3D 프린팅하여 쥐 갑상선 제작('15년, 러시아 3D바이오프린팅솔루션)
  - \* 최근 국내에서도 혈관용 바이오잉크 소재 및 인공혈관 프린팅 기술개발에 착수(티엔알바이오랩, 산업부 '18~'21년 55억원 지원)
- 신약개발 생산성 악화문제를 해결할 수 있는 대안중 하나로 줄기세포 기반의 후보물질 유효성 평가기술 개발에 관심
  - 신약개발을 위해 제약사들은 많은 R&D 이용을 더 많이 투자하고 있지만, 새롭게 인허가 받는 약의 수는 감소
  - 신약개발 실패원인이 과거 PK생체를 이용한 단계였던 반면에 최근에는 유효성과 안전성 단계에서 다빈도 탈락, 동물실험 단계에서 문제가 없어도 인간 대상 임상시험에서 안정성 및 유효성 문제로 탈락하는 것으로 판단
- 글로벌 줄기세포 기술 주도권 확보를 위한 각국의 신기술 발굴 경쟁 심화로 차세대 줄기세포치료제 개발 원천기술에 대한 정부의 지원 필요성 증대
  - 세계 주요국은 국가별 적극적 정책 추진 및 국가차원에서의 투자지원을 통해 우수 연구 성과 창출을 기반으로 파급적인 기술개발 연계를 가속화하는 추세로, 국내에서도 파급력 높은 줄기세포 원천기술 확보를 위한 전략적 정책 지원 필요한 상황
    - (미국)NIH 산하 27개 단체 중 NIBIB, NIDCR, NIAMS, NIDDK, NHLBI 등을 중심으로 줄기세포연구 지원금을 보유하며 관련 연구 추진 중이며, '15년 줄기세포 분야 예산은 약 \$1,400 million(약 1.5조 원) 수준
    - (일본)기술선진국 중 하나로 2014년부터 iPS세포를 이용한 치료에 착수하고 관련 절차와 기준에 대한 방안 마련중이며, 교토대를 중심으로 유도만능줄기세포(iPSc)연구를 활성화하기 위해 '4대 연구거점' 기관을 선정하고 총 ¥439억(약 4,829억 원)을 투자
    - (중국)'16년에는 15개의 대형 프로젝트와 10개의 소형 프로젝트에 0.5 billion 圓(약 826억 원)을 투입하였으며, pluripotent stem cell의 확립과 유지, tissue stem cell의 확보, 기능과 규제, 줄기세포의 분화, 줄기세포의 이식 후 생체 기능의 설정 및 조정, 조직의 기능적 재설정 등에 대하여 중점적으로 지원

### 3. 사업추진의 시급성

- 국내 줄기세포치료제는 세계 최초, 최다 품목 허가 성과를 보유하고 있어 산업화 선도 유지와 글로벌 리더십 확보를 위한 고도화 기술개발이 시급한 상황
- 전 세계적으로 허가된 6개 줄기세포치료제 중 4개 품목\*이 국내 줄기세포 치료제로 가장 빠른 줄기세포 산업화를 선도
  - \* 하티셀그램-AMI('11.7), 카티스텀('12.1), 큐피스텀('12.1), 뉴로나타-알주('14.7)

[그림] 허가받은 줄기세포 치료제 현황

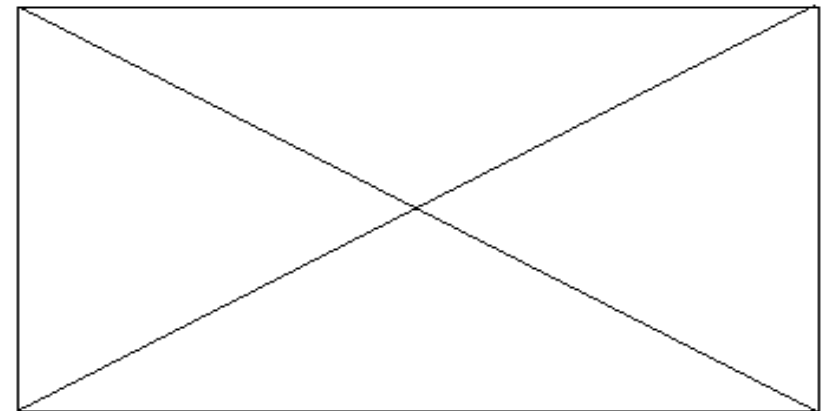


- 간접적인 효능에 의존하는 줄기세포치료제를 탈피하기 위해서 작용기전 등에 대한 명확한 연구가 필요하며, 이러한 연구가 뒷받침 될 경우 치료제 부문에서 주도권 확보가 가능
  - 현재까지 허가된 줄기세포치료제의 경우 직접적이기 보다는 간접적 효능에 의존하며, 이러한 문제점을 해결하기 위해서는 작용기전 등의 치료제 고도화를 위한 연구가 필요
  - 줄기세포 치료제의 전세계 허가 현황을 살펴보면 파미셀, 메디포스트 등 국내 기업의 제품들이 다수 포진해있으나, 미주나 유럽에서 승인된 줄기세포치료제는 거의 없기 때문에 작용기전 등에 연구를 통해 확실한 주도권 확보가 필요한 상황
- 지속적인 줄기세포치료제 고도화 전략 개발을 통한 선도 기술력 유지 및 글로벌 시장 진출을 통한 글로벌 리더십 확보가 시급한 상황
  - 현재 줄기세포치료제 개발 기술력을 기반으로 다양한 적용 질환범위 확대,

효능 및 가격 측면에서 실용성을 증대시킨 줄기세포치료제 개발을 통해 시장 진출범위 확대 전략 필요

- 안정적 임상 진입을 위한 글로벌 수준의 중개/임상 연구 기술 확보 및 원활한 산업화 촉진을 위한 대량생산, 자동화 공정 기술 개발 등 고효율·저비용 줄기세포치료제 생산 플랫폼 환경조성 시급
- 적극적인 정부지원 정책 및 투자에 힘입어 기술경쟁력이 빠르게 향상되었으나, 세계 최고기술 확보를 위한 전략적 R&D투자가 필요한 시점
- 국내 줄기세포 분야 기술수준은 상승하는 추세이나, 최근 기술격차가 더 크게 발생
  - \* 최고기술보유국(미국) 대비 기술수준, 줄기세포기술(치료) 기술수준 및 격차 : 86.9%, 3.4년('16년), 줄기세포기술(분화·배양) 기술수준 및 격차: 84.0%, 2.5년('16년) (KISTEP, 기술수준 평가, 2016)

[그림] 10대 분야별 우리나라 기술수준 차(%) 및 기술격차(년) 변동화살 선도(2014-2016)



- 급변하는 줄기세포 기술발전에 따라 줄기세포 R&D 패러다임이 전환되는 추세에서 줄기세포 R&D를 선도하기 위한 전략적 투자 요구
  - \* '14년 줄기세포 시장에서 비치료 영역(뱅크, 연구재료 등)이 차지하는 비중은 52%로, 치료 영역(치료제, 치료기술) 보다 큰 시장 형성
- 차세대 줄기세포 제작기술 확보 등 국내 우수 연구역량을 기반으로 전략적 정부투자가 뒷받침된다면 새롭게 전개되는 줄기세포 산업의 글로벌 무대에서 주인공 역할을 할 수 있을 것으로 기대

\* 성인 남성의 피부 체세포와 난자를 결합시켜 세계에서 2번째로 체세포복제배아줄기세포주 확립('14.4, 국내 차병원)

#### 4. 국고지원의 적절성

- 기초·원천기술개발 분야는 공공연구사업의 특성을 지니며, 일반적으로 공공연구사업은 시장실패를 해결하고 사회적 목표를 완수하며, 지속적인 경제성장을 위해 기술개발을 선도하여 공공재를 제공할 수 있을 때 타당성을 인정받음
- (불확실성) 신약분야의 기초·원천기술연구는 응용·개발연구와 다음단계로 진입할 확률이 2~5%에 불과하여, R&D의 불확실성과 위험성이 높으므로 많은 비용을 투입해도 큰 수익이 보장되지 않을 뿐만 아니라 현상 유지조차 어려울 수 있음
- (비축적성의 성격)바이오기술은 한 기술 개발의 실패가 다른 기술개발에 기여하는 정도가 상대적으로 미약함. 따라서 혁신과정은 all or nothing 또는 사막에서 우물파기의 성격을 가짐

[표] 신약개발 단계별 소요기간 및 비용 현황

단계	후보물질발굴		IND	임상실험			NDA	시장 4상
	탐색연구	동물실험		1상	2상	3상		
목표 및 대상	후보물질 개발/실험실 Test	동물 대상의 안전성 및 유효성 확인	인체 실험 개시 신청	안전성 및 투약량 측정, 20~30명의 정상인 지원대상	약효와 부작용 확인, 1~3백명의 환자 지원자 대상	약효 재확인 및 장기적 안정성 확인, 1~5천명의 환자 지원자 대상	최종 승인 신청	시판 후 새로운 부작용 등에 대한 조사
소요 기간 (약12년)	5년	3년	1개월	1.5년	2년	3년	0.5년	4~6년
다음단계 진행확률	5%	2%	85%	71%	44%	69%	80%	
최종 성공률	0.02%	0.3%	15%	17%	24%	55%	80%	
비용 (총8.8억 달러)	- 탐색연구(5.3억) : 표적확인(1.65억), 표정검증(2.05억), 후보물질스크린(0.4억), 후보물질최적화(1.2억) - 비임상(0.9억) - 임상(2.6억)							

\* 출처 : 생명공학정책연구센터, 국내 신약개발 R&D 활성화를 위한 신약개발 현황 및 신약개발비 분석, 2010에서 재인용

- (장기성) 대부분의 R&D는 편익 발생 전 순수지출만 존재하는 회임기간이 5년으로 추정되나, 신약 관련 분야의 경우 단계별 소요기간이 길어, 회임기간도 장기간이므로 민간이 담당하기에는 위험성이 크고 수익 보장력이 취약함
- 이러한 포괄성, 불확실성, 장기성 등의 특성 때문에 결국 수익성에 반응하는



민간의 자발적 참여를 제한하므로, 공공연구사업의 역할이 매우 중요함

## 제2절 사업 추진현황 및 근거

### 1. 사업 추진현황

#### □ 사업개요

- (추진배경) 기존사업('05~18)의 수행 성과를 바탕으로 줄기세포 분야의 지속성장을 유도하고, R&D 지원 체계의 연속성 확보 및 기초·원천 부분의 성과를 효율적이고, 체계적으로 창출하기 위한
- (기본개념) 줄기세포는 세포치료제 및 신약개발 효율화, 조직공학 및 바이오 장기 개발 등 다양한 분야에서 활용하며, 세포치료제(다양한 만성 난치질환 영역에서의 줄기세포치료제), 신약개발 효율화(신약개발 전임상 단계에서 동물을 활용한 독성·유효성 평가시험을 질환맞춤형 줄기세포로 대체하는 등 신약 개발 과정에서 활용), 생체조직/바이오장기(훼손된 조직/장기 기능을 재생하기 위한 줄기세포 기반 바이오장기·장기유사체(Organoid)) 등을 개발하는 연구 사업
- (비전 및 목표) 줄기세포·조직재생의 융복합 원천기술 개발 및 실용화 플랫폼 구현으로 글로벌 미래 바이오의학 선도
- (기술개발 분야) 줄기세포 개발기술, 줄기세포 활용기술의 '2대 전략분야와 우선 확보해야할 중점 기술개발 과제 및 핵심기술로 구성

### 2. 사업 추진근거

#### 1) 추진 근거

□ 본 사업은 「과학기술기본법법」, 「생명공학육성법」 등의 법적근거를 두고 추진

[표] 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업의 지원근거

근거 법률	내용	소관부처
「과학기술기본법」	○ 제11조(국가연구개발사업의 추진) 제1항 - 과학기술기본법은 국가연구개발사업 추진 시 정부가 국가연구개발사업 추진에 필요한 시책을 강구하도록 의무 부과 * 민간부문의 역할 분담 등 국가연구개발사업의 효율성을 제고할 수 있는 방안, 기술·학문·산업 간 융합 및 창의적·도전적 연구개발 활성화 방안 등	과학기술정보통신부(과학기술정책과)

근거 법률	내용	소관부처
「생명공학육성법」	○ 제10조(공동연구의 추진) - 정부는 생명공학연구 및 기술개발의 효율적 육성을 위해 학계·연구기관 및 산업계 간 공동연구를 촉진 ○ 제11조(생명공학의 산업적 응용촉진에 대한 지원) - 정부는 생명공학 연구개발을 활성화하고 그 결과를 활용한 산업적 응용을 촉진하기 위한 지원 시책 강구 * 생명공학 연구결과의 산업적 응용을 촉진하기 위한 연구개발 및 지역거점 구축에 관한 사항 등 지원시책 강구 ○ 제13조(생명공학육성시책 강구 등) - 정부는 생명공학의 효율적인 육성을 위하여 생명공학의 기초연구 및 산업적 응용연구에 관한 시책 강구 * 과학기술정보통신부장관은 생명공학 관련 기초기술 및 첨단기술의 개발지원을 위한 시책을 강구	과학기술정보통신부(생명기술과)

#### 2) 그간의 국정과제 및 주요 시책

□ 문재인 정부 100대 국정과제('17.07)

- (제약·바이오 등) 핵심기술 개발, 인력양성, 사업화 및 해외진출 지원 등을 통해 제약·바이오·마이크로의료로봇 등 의료기기 산업 성장 생태계 구축

□ 바이오헬스 미래 신산업 육성전략('15.3)

- 바이오 미래전략의 후속조치로서, 줄기세포치료제, 유전자치료제 등 바이오 의약품에 대한 미래성장동력 육성 전략 마련
- 시장중심의 R&D 추진, 글로벌 임상 지원강화, 수요맞춤형 취업 확대, 기업 해외 진출 종합지원 등 중기세포·유전자치료제 분야에 대한 종합 지원 전략 수립

□ 바이오 미래전략('14.7)

- 국가과학기술자문회의에서 2020년 7대 강국 도약 및 바이오 산업 활성화를 위해 바이오 의약품, 바이오 의료기기, 바이오 서비스 분야에 대한 국가 전략인 '바이오 미래전략'을 보고
- 세포치료, 유전자치료 등 바이오 태동기 시장을 선점하기 위한 국가 전략을 수립하고, 의료기기, 서비스 분야까지 확대하여 바이오산업 육성을 위한 전략 마련 계획

□ 국가중점과학기술 전략 로드맵('14)

- 정부 R&D 투자효율성 제고를 위한 주요 전략으로 특정세포 분화기술 등을 요소기술로 선정
- 확보된 세포치료제의 대량생산과 유통라인 구축 및 줄기세포 치료제 전임상 및 임상시험 지원제도 마련을 주요 전략으로 제시
- (줄기세포) 건강장수시대 구현을 위한 재생의료 산업의 글로벌 리더십 확보를 목표로 중점기술중 줄기세포기술 선정

### 3) 상위계획

- 제4차 과학기술기본계획('18~'22)
  - '과학기술로 모두가 행복한 삶 구현'이라는 4대 전략에서 '의료혁신을 위한 정밀의료 실현'이라는 추진과제를 선정
  - 난치성 질환의 진단·치료를 위한 원리 규명, 줄기세포, 유전자가위 등을 활용한 난치성 질환에 대한 혁신적 치료제 개발, 정밀의료 실현을 위한 기술 개발 및 기반 구축 등에 대한 내용을 추진
- 보건의료 관련 기술개발의 경우, '과학기술기본계획'과 '과학기술미래비전 2040'을 국가 과학기술 총괄계획으로 하여, '생명공학육성기본계획'과 '보건의료기술육성기본계획'을 생명-보건의료 분야의 국가 중장기 종합계획으로 두고 추진하고 있음
- '과학기술미래비전 2040'의 건강한 세상 구현을 위한 미래핵심기술 부분의 신개념 의약기술 분야에 정책적 부합성을 지님
- 본 사업의 '생명공학육성기본계획'의 보건의료분야의 전략적 R&D지원 분야에 정책적 부합성을 지니고 있음
- '보건의료육성기본계획'의 건강 R&D 투자 확대, 글로벌 수준의 기술개발 및 성과 창출, 연구생태계 조성 및 제도 개선 분야에 정책적 부합성을 가지고 있음
- 본 사업의 기술개발 분야는 세부적으로 '줄기세포연구종합추진계획'의 중점 추진 분야 대부분에 정책적 부합성을 지니고 있음

## 제3절 기획 추진 체계 및 경과

### 1. 사업기획 추진체계

- 거시적·종합적 내용 검토 및 조정을 위한 총괄기획위원회와 구축 분야별 전문가로 구성된 분과위원회를 구성·운영
  - (과학기술정보통신부) 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업에 대한 상세 기획 총괄
    - 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 추진계획(안) 수립 및 총괄 운영
    - 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 추진계획(안) 및 총괄기획위원회 조정의 건 등을 종합·검토하고 추진계획의 적합 여부를 확인하여 과기정통부에 통보
  - (총괄기획위원회) 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업에 대해 거시적 관점에서 기획 방향을 제시하고, 세부계획 결과(안) 검토·조정 및 종합계획 수립
    - 분야별 전문가 10인 내외로 구성하여 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업에 대해 기술적, 정책적 및 경제적 타당성의 핵심 예타항목 중심으로 거시적 기획방향 제시
    - 기획 분과위원회가 도출한 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업에 대한 조정의견 제시 및 최종 결과 도출
  - (자문위원회) 산·학·연 등 국내 줄기세포·조직재생 관련 분야 전문가를 중심으로 과제 기획, 추진전략의 타당성 등을 검토
    - 총괄기획위원회 및 기획 분과위원회 회의 시 참석하여 자문 수행
    - 사업의 객관성 확보, 사업 성과물의 확산 시 문제점·이슈사항 등 논의
  - (실무위원회) 과학기술정보통신부, 한국연구재단, 생명공학정책연구센터 및 과학기술전략연구소를 중심으로 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 상세 기획에 대하여 위원추천, 추진사항 점검 및 추진방향에 대한 논의 등 기획 전반의 실무에 대한 의사결정
    - 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 상세기획의 원활한 추진을 위하여 기획참여 주체간 역할 분담, 기획업무의 진도관리, 총괄위원회 및 분과위원 추천, 추진방향의 논의 및 신속한 의사결정 지원 등 사업기획 실무에 대한 관리·조정
  - (한국연구재단) 한국연구재단은 생명공학정책연구센터와 위탁기관인 과학기술전략연구소를 활용하여 기획 분과위원회 운영, 사업 상세기획 등 과업





전략분야	중점 기술개발 과제	중점 핵심기술명	구성기술
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-

## 2. 사업기획 추진경과

기획착수

- '줄기세포·조직재생 원천기술개발사업' 기획 착수보고회 개최
  - 줄기세포R&D 발전방향 논의 및 기획중인 R&D 수정 보완

총괄위원회 운영

날짜	회의명	내용

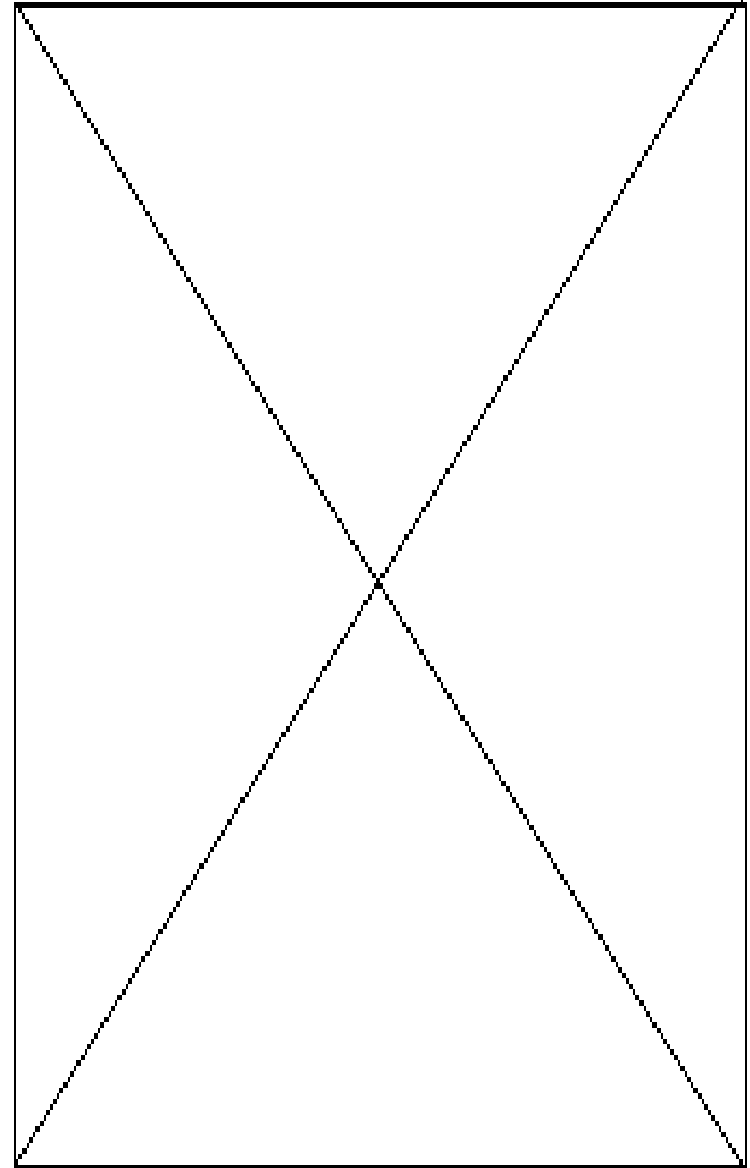
분과 기획위원회 운영

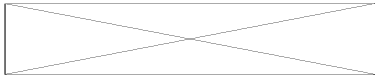
날짜	회의명	내용
'18.05.31	1차 분과위원회	각 분과별 보고서 작성방법 안내 및 워딩, 세부기술 확정 논의
'18.07.16	2차 분과위원회	프로그램 및 예산안배 논의

□ 실무위원회

날짜	회의명	내용
'18.04.12	1차 실무위원회	줄기세포 원천기술개발사업 예타 기획 연구의 실무직 지원 조직 구성 논의
'18.04.23	2차 실무위원회	목차구성(안), 추진체계, 추진일정, 기획프레임 워크 논의

3. 사업기획 추진절차





## 제2장 사업 개념 및 대내외 환경 변화

제1절 정의 및 범위

제2절 대내외 환경변화

제3절 국내 R&D 역량분석

# 제1절 정의 및 범위

## 1. 줄기세포 관련 용어의 정의

### □ 줄기세포(細胞, Stem Cell)

- 배아 또는 성체에 있는 여러 종류의 세포로 분화할 수 있는 미분화 세포 (네이버사전)
- 여러 종류의 신체조직으로 분화할 수 있는 능력을 가진 ‘미분화세포’이다. 이러한 미분화 상태에서 적절한 조건을 맞춰주면 다양한 조직세포로 분화할 수 있으므로 손상된 조직을 재생하는 등의 치료에 응용하기 위한 연구가 진행되고 있음(두산백과사전)
- 한 개의 세포가 여러 종류의 다른 세포를 생산할 수 있는 다중 분화능을 가진 세포로서, 손상받은 신체 부위의 세포들을 재생할 수 있다. 줄기세포(stem cell)는 기원한다는 뜻의 ‘stem’에서 유래하며, 일본에서는 원기세포 또는 뿌리에서 나오는 줄기라 하여 간세포라고도 한다. (줄기세포치료의 모든 것, 한국보건 의료연구원)

### □ 조직(組織, Tissue)

- 동일한 기능과 구조를 가진 세포의 집단, 동물에서는 상피조직, 결합조직, 근육조직, 신경조직 따위가 있으며 식물에서는 분열조직, 영구조직 따위가 있음(네이버사전)

### □ 재생(再生, Regeneration)

- 생물체의 일부가 상실되었을 때, 그 부분을 보충하는 현상을 말하는데, 이 능력은 체제가 간단하고, 계통적으로 진화의 정도가 낮은 것일수록 강함(두산백과)

### □ 원천기술(源泉技術, Original Technology)

- ①제품생산의 핵심기술, ②다른 기술에 의존하지 않는 독창성, ③다수의 응용 기술을 생산할 수 있는 파급성
- 정확히 표현하기는 어렵지만 막연히 “중요하고 없어서는 안될 가치있는 기술”의 의미로 많이 사용된다. “최초로 제시된 신개념 기술로 그로부터 많은 기술들이 샘물처럼 지속적으로 파생하여 나올 수 있는 기술”이라고 정의할 수 있다.(기초·원천기술 확보를 통한 과학기반산업 육성 방안, step1)

- 원천(源泉)이란 ‘물이 흘러나오는 근원’ 또는 ‘사물의 근원’이다. (네이버사전)
- 기술(技術, Technology)이란 ‘과학이론을 실제로 적용하여 사물을 인간 생활에 유용하도록 가공하는 수단’또는 ‘사물을 잘 다룰 수 있는 방법이나 능력’이다.(네이버사전)

## 2. 사업의 정의 및 범위

### □ 줄기세포·조직재생 기술의 정의

- 살아있는 줄기세포 또는 세포유래 물질을 주성분으로 하여 난치 및 희귀질환을 치료할 목적으로 개발하기 위한 기술과 세포 및 비세포성 치료기술 외에 바이오 의약분야에서 적용할 수 있는 다양한 활용기술

### □ 줄기세포·조직재생 기술의 범위

- 줄기세포·조직재생 기술의 범위는 줄기세포 치료 및 활용기술로 크게 구분
  - (줄기세포 치료기술) 줄기세포 생산을 위한 배양·분화·유지 기술, 치료기전 규명 및 효능 고도화 기술, 체내 동태 평가 및 안전성 확보 기술, 융복합 세포 치료제 및 비세포성 치료제 개발기술, 체내재생기술, 줄기세포 생산의 대량화 및 자동화 기술 등의 관련 기술 포함
  - (줄기세포 활용기술) 오가노이드, 질환모사 기술, 신약기술과 관련 기술 포함
    - (오가노이드)발달생물학과 질환모사, 약물의 유효성 및 독성 평가 등의 활용 기술 포함
    - (질환모사 기술) 유전자 교정 기술등을 통한 유전질환 모사와 비유전성 질환 모사 세포 구축을 통해 병리학적 세포특성을 모사하는 인간 세포 모델을 통해, 세포 표현형 중심의 신약 유효성/독성 검증 등 활용기술 포함
    - (신약 개발) 기존의 종양세포 또는 단백질을 대상으로 하는 약물 탐색법의 한계를 극복하고, 질환 모사 세포의 병리학적 세포 특성을 대상으로 하는 세포 표현형 중심의 신약 후보 물질의 탐색 및 유효성 평가 기술 등을 포함(동물 모델의 한계를 극복, 인간 정상 세포 유래 중기세포를 바탕으로 약물의 대사·흡수의 확인뿐만 아니라, 심근독성, 신독성, 간독성등 독성 평가의 기준 수립 기술을 포함)



## 제2절 대내외 환경변화

### 1. 메가트렌드 분석

- '2016 OECD 과학기술혁신 미래전망 보고서'의 8대 글로벌 메가트렌드
  - 향후 2010~2015년간 전 세계적으로 중대한 영향을 미칠 8대 글로벌 메가트렌드의 건강, 불평등 및 삶의 질 선정
    - 보건 및 의료부문 연구 혁신으로 수명 연장 및 삶의 질 개선

<표> 2016 OECD 과학기술혁신 미래전망 보고서의 8대 글로벌 메가트렌드

메가트렌드	주요내용

\* 출처: OECD, science, Technology and Innovation Outlook 2016

- `18년 다보스포럼
  - '분절된 세계에서 공유의 미래 창조'라는 주제 하에, 세계 공동의 번영과 대응 방안 마련을 위한 6대 아젠다 및 14대 이니셔티브가 제시되었으며, 400여개의 세션을 통해 다양한 현안을 논의
    - 고령화 등 인구 구조에 변화에 대응하는 헬스케어 시스템이 필요

<표> 다보스포럼 14대 이니셔티브

이니셔티브	주요내용

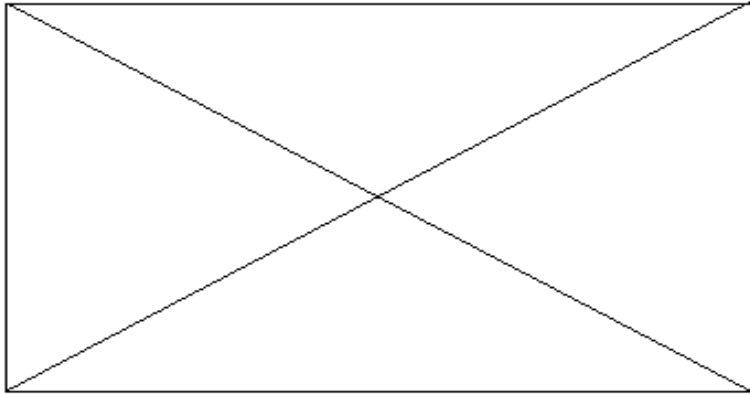

\* 출처: KDB, 2018 다보스 포럼의 주요 의제 및 이슈

- 미래유망기술로서 줄기세포분야 부상
  - 국내외에서 향후 경제적·기술적으로 파급효과가 클 것으로 예상되는 10대 미래유망기술로 줄기세포 기술 선정

주요 기관	미국 MIT('10)	Frost&Sullivan 헬스케어 분야('12)	세계경제포럼 바이오 분야('13)	MIT('15)

- 바이오 미래유망 후보기술
  - 바이오기술은 고령화 대비, 질병 극복 등 건강한 삶을 유지하고, 풍요롭고 안전한 먹거리와 쾌적한 환경을 제공하여 인류의 복지와 경제성장을 동시에 달성할 것으로 전망
    - 향후 글로벌 바이오시장은 반도체, 자동차, 화학제품 등 주요 3대 수출산업을 뛰어넘어 시장 확대를 지속할 것으로 전망되며 이에 따라 바이오기술에 대한 수요가 증가할 것으로 예상

[그림] 글로벌 바이오 시장의 급속한 성장



- 제 3차 생명공학육성기본계획\*의 바이오 분야별 분과와 연계, 코어바이오, 레드바이오, 그린바이오, 화이트바이오로 구분하여 후보기술을 각각 도출
- \* 생명공학육성법에 의거하여 관련 부처의 생명공학 육성계획을 총괄한 최상위 법정 계획('17~'26)으로, 기본계획의 분과는 생명과학, Red바이오, Green바이오, White 바이오, 산업화(융합 신산업), 규제/인문 분야로 구분

<표> 2018 바이오 미래유망 후보기술 주요내용

구분	기술	주요내용


- \* (코어바이오, core bio) 기초·기반, 플랫폼 생명과학, (레드바이오, Red Bio) 의약품 등 보건, (그린바이오, Green Bio) 농림수축산·식품 및 바이오농업, (화이트바이오, White Bio) 산업공정/환경·해양 및 에너지, 소재 등 바이오화학
- \* 출처: 2018 바이오 미래유망기술, 생명공학정책연구원
  - 줄기세포를 이용한 합성배아 기술은 기초·기반 연구에 해당하는 코어바이오로 선정됨
  - 투약결과를 모니터링 하고, 체내 추적이 가능한 물질을 함께 프린팅 하는 기술, 오가노이드 기반 생체모사기술, 신약 관련 빅데이터를 신약개발에 활용하는 오픈소스 신약발굴 기술은 레드바이오에 선정됨

□ MIT 선정 2018년 10대 혁신기술

--	--	--

1		
2		
3		
4		
5		
6		
7		
8		
9		
10		

\* 출처: KISTI MIT 선정 10대 유망기술

## 2. 정책적 환경 분석

글로벌 줄기세포 분야 정책수립 현황

주요국	정책 방향 및 주요 전략

□ 미국

- 'National Bioeconomy Blueprint('12)'를 통해 iPSC 연구를 중점과제로 지정하여 세포원별 차별화된 전략의 줄기세포 연구 지원
  - \* (성체)효능강화에 중점을 둔 중개·임상연구 강화, (배아/iPSC)기초·원천연구 중심으로 기술 성숙도 향상에 중점
- 국립보건원(NIH)과 캘리포니아 재생의료기구(CIRM) 등 주요 연구기관을 중심으로 세계에서 가장 많은 줄기세포 연구비 지원
  - \* NIH의 '15년 예산은 약 14억달러(계획치, 약 1.5조원)으로 산하 27개 단체 중 NIBIB, NIDCR, NIAMS, NIDDK, NHLBI 등을 중심으로 줄기세포 연구 지원금 보유
  - \* 캘리포니아 재생의료기구(CIRM)는 '17년까지 30억달러(약 3.3조원)의 예산을 줄기세포 연구에 투자, '16년에는 50억달러(약 5.5조원)의 자금 마련 계획 중
- 캘리포니아 줄기세포 기관(California Stem Cell Agency)은 줄기세포 치료제 개발 촉진을 위해 줄기세포 치료연구 관련 자금구조 개선
  - \* 줄기세포 치료연구를 위한 신속한 자금지원을 위해 CIRM 2.0을 발표 ('15.1.1부터 시행), 자금 신청을 위해 기존 22개월이 소요되었으나 120일로 축소 시행(신청 승인 후에는 45일 이내에 프로젝트 착수 필수)
  - \* CIRM 2.0의 첫 단계는 임상단계 프로그램을 대상으로 하고 있으며 '15년 2분기동안 0.5억달러(약 581.5억원) 투자를 계획으로 향후 기초연구 및 중개연구 단계 등 초기 단계 프로젝트까지 지원을 확장할 계획

□ 유럽

- EU는 '제7차 프레임워크 프로그램(EP7, '07~'13)'을 통해 대규모 연구 개발을 지원해왔으며 '14년부터는 'Horizon 2020'으로 통합되어 줄기세포·재생의료 연구 지원
  - \* 7년간 55개 줄기세포 관련 연구 프로젝트에 3.4억달러(약 3,500억원) 연구비 투자
  - \*\* '14~'20년까지 7년간 약 800억유로(약 99조원) 예산이 투입될 EU 연구혁신 프로그램
  - ※ 유럽 시민단체 및 종교계는 줄기세포 연구지원을 반대하고 있으나 EU 집행위원회는 줄기세포 연구에 지속적 지원 의사를 밝히고 기존 정책을 유지할 계획
- 'StemBANCC project('12.6)'를 통해 산·학 제휴 형태의 신약평가 및 독성예측을 위한 생물 검정용 줄기세포주 개발 지원
  - \* '12년 10월부터 착수하여 5년간 5,560만유로(약 727억원) 투자

- \* 본 프로젝트는 질환 연구 및 신약의 안전성·유효성 검사를 위해 1500개 인간 iPSC주를 만드는 것을 목표로, 말초 신경계 장애, 치매, 두통, 자폐 저인분열증, 양극성 장애, 당뇨에 초점을 맞출 계획
- \* Roche 총괄, Abbott, Boehringer Ingelheim, Lilly, J&J, Merck社, Novo Nordisk, Janssen, Orion, Pfizer, Sanofi 등 10개 제약사와 영국 옥스퍼드 대학 등 23개 학계 연구소 참여
- 영국은 '과학기술혁신전략'(14.12)을 발표하여 우선적 투자를 위해 선정한 8가지 강점 과학기술 분야\* 내 재생의학(손상된 신체 장기의 치료와 이식)을 포함시켜 전략적 투자 지원
  - \* 1)빅데이터와 에너지 효율적 컴퓨팅, 2)위성과 우주개발의 상업적 활용, 3)로봇과 자동화 시스템, 4)합성생물학, 5)재생의학, 6)농업과학, 7)신소재 및 나노기술, 8)에너지 저장기술
- 영국기술전략위원회(Innovate UK)는 최근 재생의료 및 세포치료 개발과 상업화를 위한 프로젝트 선정 및 지원 계획 발표('15.7)
  - \* 인체 세포·조직·장기의 정상 기능 복구를 대체하거나 재생시키기 위한 혁신적인 의학 치료 지원을 목표로 임상치료와 상업 제품으로서 재생의료와 세포 치료를 발전시킬 프로젝트를 선정할 계획(800만 파운드(약 142억원) 투자 계획)
  - \* 본 프로젝트를 통해 새로운 치료법의 임상적 발전과 제품의 안전성이나 제조상의 어려움을 해결할 도구 및 기술 플랫폼의 발전을 모두 도모할 예정
  - \* 총 800만 파운드(약 142억원)를 투자할 계획으로 2~3년 간 총 50만~2,500만 파운드 비용이 소요되는 프로젝트를 기대

□ 일본

- 최첨단 의료 연구개발 사령탑으로 '일본의료연구개발기구(AMED)'를 발족('15.4)하여 '20년까지 iPSC 기술을 활용한 새로운 치료제에 대한 임상 연구를 시작할 계획
  - \* AMED(Japan Agency for Medical Research and Development) : 문부과학성, 후생노동성, 경제산업성이 분할 관리하던 예산을 통합해 의료분야 R&D의 효율적인 재정 지원, 관리가 가능해졌으며 전문 지식을 가진 직원 약 300명 체제로 암치료, 재생의료, 신약개발 등 9개 프로젝트를 추진
- '제4기 국가과학기술기본계획('11~'15)'을 통해 재생의료 제품개발을 촉진하기 위한 '재생의료 실현화 하이웨이' 전략 지원('15년 178억엔 (약 1,670억원) 투자)
  - \* '15년 말까지 연구과제의 임상 연구단계 전환을 추진하여 재생의료 등 제품 개발 촉진
  - \* 기초에서 임상단계까지 일관된 지원을 수행, 재생의료와 관련된 사업기반 정비 및 창업지원 수단으로서 iPSC 등의 활용을 위한 지원 추진

○ 교토대 iPSC세포연구소를 중핵거점으로 둔 '재생의료실현거점네트워크 프로그램'에 '15년 90억엔(약 846억원) 지원 예정

\* 임상응용을 충분히 고려한 안전성·표준화 연구 및 재생의료용 iPSC 구축과 동시에 질환·조직별 재생의료 실현을 목표로 거점 정비, 거점 간 연계체제 구축 등 추진

○ 재생의료 사업화 TF\*는 일본 및 해외의 10개 기업\*\*을 모아 '17년 가와사키시에 재생의료 개발센터 설립 계획을 발표

\* Regenerative Medicine Industrialization Task Force(RMIT) : 일본의 재생의료 R&D 지원을 위한 조직인 FIRM(Forum for Innovative Regenerative Medicine, '11.6.17 설립) 내에서 구축된 팀

\*\* Fujifilm, Astellas Pharma, Janssen Pharma, Regience, Rohto Pharmaceutical, Cell Seed, Wako Pure Chemical, Takara Bio, Tella, MediNet

\* 해외 바이오기업을 유치해 재생의료 개발 및 사업화 유인을 위한 전문지식을 확장하고 세포 배양 및 질적 관리의 국제표준 수립을 추진할 예정

#### □ 중국

○ 과기부 장관을 위원장으로 하는 '줄기세포연구 국가지도조율위원회'를 설립 ('11.10)하여 줄기세포 연구를 위한 컨트롤타워 역할 수행

\* 줄기세포 분야 연구사업의 총괄적 기획, 연구비 효율성 제고, 국제협력 등 컨트롤타워 역할 수행

\* 참여기관 : 과기부, 과학원, 자연과학기금위원회, 교육부, 위생부 등 줄기세포 관련 부처

○ '제12차 5개년 계획('11~'15)' 동안의 '줄기세포 국가 중대과학 연구계획'을 수립하여 줄기세포 분야 R&D 강화

\* 중국 줄기세포 연구의 본격화 및 임상 능력 촉진을 목표로 공격적인 투자 지원 및 조기 실용화를 위한 임상연구 집중

\* 6대 연구분야 선정 : △세포 리프로그래밍 연구, △다능성 유지 메커니즘 연구, △줄기세포 정향 유도분화 및 제어 메커니즘 연구, △줄기세포와 마이크로 환경의 상호작용 연구, △줄기세포의 임상전 연구, △식물세포의 전능성 및 기관형성 연구

\* 동 기간 동안 중국과기부, 국가자연과학기금위원회 등의 부처에서 최소 30억 위안(약 5,200억원)을 투입하여 지난 계획 대비 줄기세포 연구의 정부 지원 강화('제11차 5개년 계획('06~'10) 동안 중국과기부가 2.9억달러(약 3,190억원), 중국과학원이 0.2억달러(약 219억원) 투입)

#### □ 캐나다

○ Canada First Research Excellence Fund\*의 일환으로 캐나다 정부는 토론토 대학의 'Medicine by Design\*\*\*' 이니셔티브(세포, 조직, 장기를 생성할 재생의료 연구)에 대규모 투자를 발표('15.7)

\* '14년 12월에 착수해 캐나다 장기적 경제 성장을 목표로 대학 핵심 역량을 세계 최고 수준으로 키우도록 하는 경쟁 프로그램(7년간 15억달러(약 1.7조원) 예정)

\*\* 'Medicine by Design'은 △안전하고 효과적인 치료를 위한 세포 제작, △연구용, 신약개발 및 손상된 조직 대체 등에 활용하기 위한 조직 제작, △체외에서 장기 생성/복구 및 안전한 이식을 위한 연구 등 3가지 분야에 집중하여 연구를 수행할 계획(1.14억달러(약 1,327억원)의 연방투자 계획)

\* 토론토 대학은 'Medicine by Design' 이니셔티브를 통해 줄기세포를 이용한 만성 퇴행성 질환 치료 분야의 리더로 자리매김할 것으로 기대

□ 국내 줄기세포 관련 정책 추진 및 정부 R&D투자 현황

- 줄기세포 3.0 시대로의 패러다임 전환에 따라 '맞춤의료 실현화 플랫폼' 기술개발을 위한 중장기 전략 수립 필요


- 정부는 줄기세포연구를 미래성장동력으로 인식하고 국가적 차원의 적극적인 육성정책을 추진하고 있음

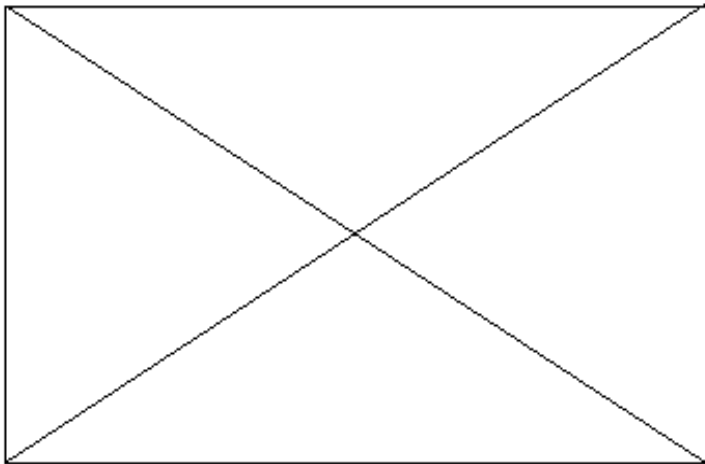
- 국내 줄기세포 연구는 '83년 '생명공학육성법' 이래 생명공학분야 정책을 통해 꾸준히 추진되어 왔으며, '06년 '줄기세포연구 종합추진계획'( '07~'15) 수립 이후 본격적으로 체계적인 연구지원이 강화됨

- 대한민국 정부는 줄기세포 분야를 미래 성장 동력으로 인식하고 종합계획 수립 및 투자확대 등 적극적 진흥정책 추진

- 국내 줄기세포 연구는 범부처 차원의 '줄기세포종합추진계획'( '06~'15) 수립, 연차별 시행계획을 마련하여 체계적으로 지원 시작

\* 체계적이고 효율적인 범부처적 추진 시스템 확보 및 운영, 국내 줄기세포 연구 경쟁력 향상을 통한 국제적 기술경쟁력 확보를 중점 추진방향으로 선정

[그림] 줄기세포연구 종합추진계획 상 중점 추진분야 체계도



※ 출처 : 관계부처(2006), 줄기세포연구 종합추진계획

- 관계부처 합동의 '바이오헬스 미래 新산업 육성전략'( '15.3) 수립을 통해 줄기세포 산업화 육성 의지 표명

※ '줄기세포연구 활성화 방안'( '09.7), '줄기세포 R&D 투자효율화 방안'( '12.1), '줄기세포 기술개발 투자전략(안)'( '12.11.) 등 상시적 정책 수립

※ 최근 관계부처 합동의 '바이오헬스 미래 新산업 육성전략'( '15.3.)' 수립을 통해 줄기세포치료제 산업화 육성 의지 표명

※ 출처: 줄기세포 국내외 동향, 생명공학정책센터

- '줄기세포 연구 활성화 방안'은 줄기세포 분야 글로벌 Top5 진입을 목표로 국내 연구역량 및 기술경쟁력을 제고하기 위해 기획재정부, 교육과학기술부(현 교육부 및 과학기술정보통신부), 지식경제부(현 산업통상자원부), 보건복지가족부(현 보건복지부), 식품의약품안전청등에서 '09년에 수립

※ ① 줄기세포 R&D 투자확대 및 국제협력을 통한 기술경쟁력 제고, ② 세계 수준 연구팀 집중 육성, ③ 줄기세포연구 임상 및 산업화 기반 구축, ④ 생명윤리 제도 선진화 및 사회·문화적 기반 확충 등 4대 추진방안 제시

- 교육과학기술부는 줄기세포 기초·원천기술 연구개발, 보건복지가족부는 실용화 연구개발, 지식경제부는 줄기세포 치료제 산업화·대중화, 농림수산식품부는 축산·수의용 동물 줄기세포 원천기술 및 응용연구, 동물 줄기세포 활용 전임상 플랫폼 연구 등 부처별 미션을 제시

※ 출처: KISTEP 기술동향브리프 줄기세포(2018-07)

- 추진계획( '06) 및 범부처 활성화 방안 수립( '09)은 범정부 차원에서 줄기세포 연구육성을 하고자 하는 강력한 의지를 보여주었고 있음

- '06년 5월 줄기세포연구 종합추진계획( '07~'15) 수립

- '09년 7월 줄기세포 연구 활성화 방안 마련(국과위)

- '10년 이후 기술경쟁력 확보를 위한 투자 예산 증액\*

\* 2014년도 줄기세포시행계획, 2014. 04

- 세계 최초 식약처 인허가를 득한 줄기세포 치료제 출시\*로 인해 과학기술이 아닌 '산업'으로 육성하기 위한 정부의 의지 확대

\* 파미셀 '하티셀그램-AMI'(심근경색)

- 문재인정부의 바이오분야 주요 정책 및 과학기술 관련 계획과 정합성 재고

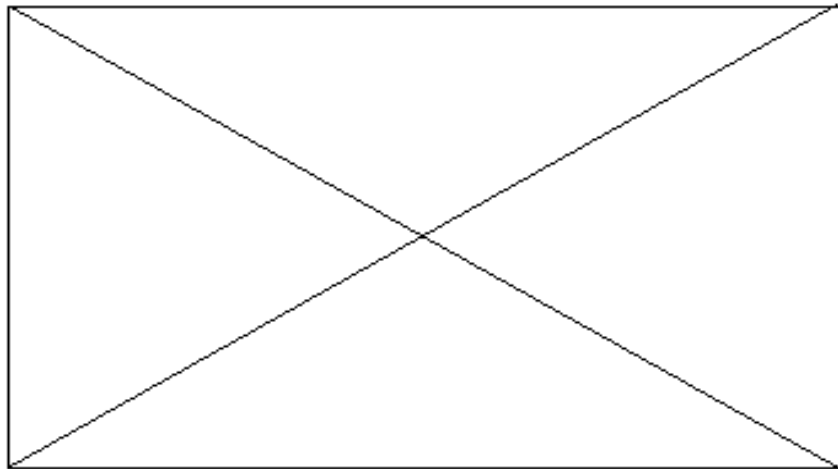
- 과학기술 및 바이오분야 국정과제 이행을 위한 세부사항 반영

< 문재인정부 100대 국정과제 中 관련 과제 >

34. 고부가가치 창출 미래형 신산업 발굴·육성

- 34-3. 제약·바이오·의료기기 산업 육성

- 제조 경쟁력과 ICT, 서비스 등 융합을 통해 미래형 신산업 육성
- (제약·바이오 등) 핵심기술 개발, 인력양성, 사업화 및 해외진출 지원 등을 통해 제약·바이오·마이크로의료로봇 등 의료기기 산업 성장 생태계 구축하여 핵심 원천기술 확보 및 시장 선점
- \* 출처: 문재인정부 국정운영 5개년 계획
- '줄기세포연구 종합추진계획('06~'15)'의 종료와 급변하는 환경을 반영한 '줄기세포 연구·산업 활성화 계획' 수립 필요
- 상위계획인 '생명공학육성기본계획'의 중점분야 중 하나인 줄기세포분야 계획으로서, '바이오 미래전략 I'과 연계된 줄기세포 연구·산업 육성을 위한 종합계획
- \* 국내 기술역량 및 잠재력이 높은 태동기 유망 품목(줄기세포치료제, 유전자 치료제 등)에 대한 집중 투자전략 발표('15.3)



- 관계부처에서는 '줄기세포 R&D 투자 효율화 방안('12)'을 통해 줄기세포 연구개발 투자의 개념적 토대를 제시하고, 상세기획을 통해 이후의 중점추진방향을 제시
- \* 주요내용은 ① 줄기세포 R&D 투자 포트폴리오의 전략적 안배, 부처별 역할분담 및 상호 연계성 강화, 사업 추진체계 개편 등이며 이후 상세기획을 통해 '줄기세포 기술개발 투자전략(안)'을 수립
- (정부투자) 10년간 6,998억원 투입, 계획(6,490억원) 대비 7.8% 초과 달성
- \* (연도별) '06년 333억원 → '15년 1,162억원(연평균 15%↑)
- \* (부처별) 미래부(44%)와 복지부(35%)가 약 80% 차지, 그 뒤로 농림부 9%, 교육부 6%, 산업부 4% 순('12~'14년)
- \* (세포원별) 성체줄기세포 50% 이상, (분야별) 기초/기전연구 및 줄기세포치료제 개

- 발연구에 약 70%의 투자 집중('12~'14년)
- 주요 선진국은 줄기세포를 국가 전략기술 분야로 육성하기 위해 대규모 R&D 투자와 정책지원을 서두르고 있어 기술격차 심화 우려로 인한 대한민국의 정부의 투자 강화
- 줄기세포연구 종합추진계획('07~'15)을 통해, 3단계('12~'15)예산 증액 반영
- '12년 1월 줄기세포 R&D 투자효율화 방안 수립(국과위)
- 추진계획에서는 특히 줄기세포 주요 기반 기술(세포기준) 및 기술역량을 축적하고자 하였으며, 활성화 방안 수립에서는 인프라 및 산업화기반 구축을 위한 전략을 수립하고자 함

<표> 줄기세포분야 정부 R&D 정책 동향

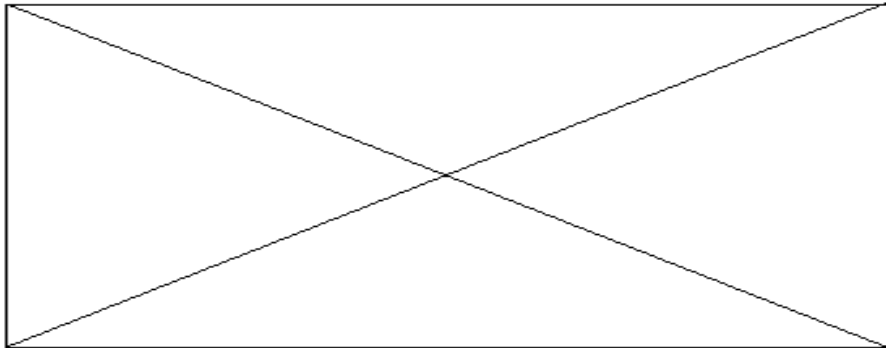

- 1) 줄기세포연구 종합추진계획 수립을 위한 기획연구, 과학기술부, 2006. 02
- 2) 교육과학기술부, '줄기세포연구 활성화 방안', 2009. 07
- 3) 2014년도 줄기세포시행계획, 2014. 04
- 4) 2012년 연구개발예산편성(안) 분석과 과제, 한국과학기술단체총연합회, 2011

5) 파미셀 '하티셀그램-AMI'(심근경색),

- 국내외 줄기세포분야 국가 R&D 투자 비교 결과, '15년 정부 투자비는 약 1,200억원으로 미국의 1/20, 일본의 1/3 수준

[그림] 국내외 줄기세포 국가 R&D 투자 규모(2011-2015)

(단위 : 천)



<표> 국내외 줄기세포 국가 R&D 투자 규모(2011-2015)

(단위: 억원)

	2011		2012		2013		2014		2015	
	국내	외국	국내	외국	국내	외국	국내	외국	국내	외국

- 국가별 총 R&D 투자 규모 대비 줄기세포 투자 비중 비교 결과, 미국이 약 2%이며 일본과 영국이 1%, 캐나다 0.7%, 한국의 경우 0.68%로 나타남

※ 국가 총 R&D 투자 규모는 OECD( GENR data)를 현재 시점('17.08) 기준 환율로 환산하여 비교한 결과임

○ '05년 이후 연구주도권 확보를 위한 투자 확대

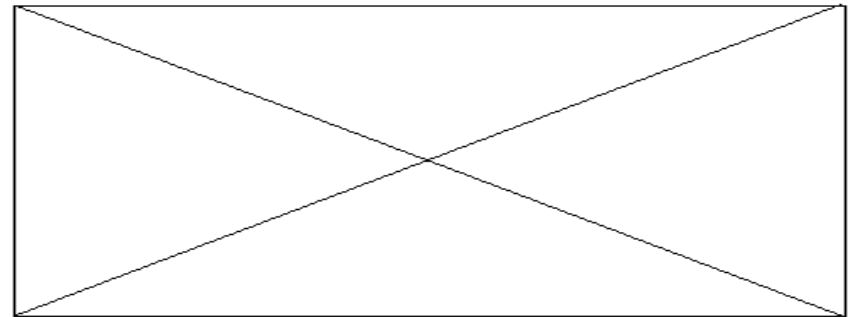
- 줄기세포는 미래 핵심 유망기술로 전 세계가 주목하고 있으며, 이에 국내에서도 줄기세포연구 종합 추진계획 발표

\* 줄기세포종합추진계획, 2006.05

- 우리나라는 일찍이 줄기세포기술의 중요성을 인식하고, 정부차원에서 선제적으로 투자 개시
- 정부의 줄기세포 산업육성을 위한 강력한 의지로 국내 줄기세포 R&D 투자 규모는 지속적 상승 추세
- 줄기세포분야에 대한 '11년~'15년 투자 현황을 부처별로 살펴보면, 보건복지부 (37.9%)와 과학기술정보통신부(43.9%)가 전체 투자규모의 대부분 비중을 차지하며 총 5년간 약 5,572억원 투자

[그림] 연도별 줄기세포 국가 R&D 투자 동향(2011-2015)

(단위 : 억원)



<표> 부처별 줄기세포 R&D 투자 현황(2011-2015)

(단위: 억원)

	2011		2012		2013		2014		2015	
	보건복지부	과학기술정보통신부	보건복지부	과학기술정보통신부	보건복지부	과학기술정보통신부	보건복지부	과학기술정보통신부	보건복지부	과학기술정보통신부

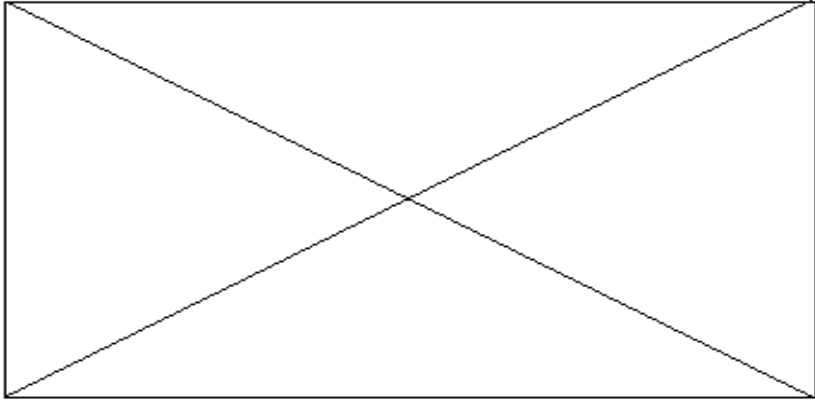
※ 출처 : NTIS data 검색을 통한 과제 규모 추산(2011~2015)

※ '17년 명칭 개편 : 미래창조과학부 → 과학기술정보통신부, '12년 이후 교육부, '12년



- 이후 산업통상 자원부
- 국내 줄기세포 관련 주요 정책 수립 및 시책의 운용을 통해 줄기세포 분야에 대한 지원 활성화 기조 유지
  - 「줄기세포연구 종합추진계획(’07년~’15년)」을 바탕으로, 줄기세포 연구의 연차별 시행계획을 수립 및 추진
    - (종합추진계획) 4대 전략\* 추진을 통한 줄기세포 분야 글로벌 Top3 진입을 목표로 범정부 차원의 종합추진계획을 수립(’06.05)
      - \* (4대 전략) 원천기술 확보, 체계적인 임상연구, 인프라 구축, 생명윤리 정착
    - (시행계획) 관계부처는 종합추진계획에 따라 줄기세포의 연차별 시행계획을 수립하고 이를 시행(’07년~’15년)
  - 국내 줄기세포연구 역량 제고 및 기술경쟁력 확보를 위한 「줄기세포 R&D 투자효율화 방안」 마련(’09.07)
    - (주요내용) 줄기세포분야 ’15년 글로벌 Top 3 진입을 위해 중점 추진전략을 바탕으로 줄기세포 연구 활성화 방안을 제시
    - (중점추진전략) R&D투자 확대 및 국제 기술협력, 세계 수준 연구팀 집중 육성, 임상 및 산업화 기반 구축, 생명윤리 제도 개선 및 사회·문화적 기반 확충
      - ※ 출처 : 줄기세포 연구 활성화 방안(국가과학기술위원회, ’09.07)
  - 줄기세포 R&D의 전략적인 투자를 위한 「줄기세포 R&D 투자효율화 방안」 수립(’12.01)
    - (주요내용) 민간과의 역할분담, 단계·분야별 특성을 고려한 장·단기 전략적 투자, R&D 투자포트폴리오 구성을 통해 제한된 자원의 효과적 활용 전략 마련
    - (추진전략) 시장 수요를 고려한 줄기세포 핵심·원천기술 개발, 실용화 지원 및 인프라 확충, 부처별 역할분담 및 협력체계 강화
      - ※ 출처 : 줄기세포 R&D 투자효율화 방안(국가과학기술위원회, ’12.01)
  - 주요 이슈 대응형 R&D 투자확대, BT 분야 실용화 지원 강화, BT R&D 투자 효율화를 위한 추진체계 마련 등을 주요내용으로 하는 「창조경제 실현을 위한 BT 분야 투자전략」 수립(’13.11)
    - ※ 출처 : 바이오 기반 창조경제 실현을 위한 BT분야 투자전략 발표(생명공학정책연구센터, ’13.11)
  - (주요내용) BT 주요 5대 세부분야\*에 대한 정부의 지속 지원을 통해 국민이 공감할 수 있는 성과창출 중심의 R&D 투자 추진
    - \* 신약개발, 줄기세포, 뇌연구, 유전체, 차세대 의료기반
  - 기 개발된 성체줄기세포 치료제 효능강화 지원, 희귀난치질환 세포치료제/

- 세포유전자치료제 개발지원, 신기술분야 중장기 원천기술 확보를 위한 선도연구팀 육성 등 추진
    - 기초·원천연구에서 사업화에 이르기까지 향후 10년 간의 기술개발전략을 제시한 범부처 차원의 「국가중점과학기술 전략 로드맵」 수립(’14.04)
      - (주요내용) 핵심·요소기술의 단계적 확보전략과 함께 인프라, 상용화·실용화 전략, 법·제도적 지원방안 등 전방위적 대응전략 제시
      - (줄기세포) 건강장수시대 구현을 위한 재생의료 산업의 글로벌 리더십 확보를 목표로 중점기술 중 줄기세포기술 선정
        - ※ (핵심기술) 혁신적 세포전환·선별·배양기술 외 13개, (요소기술) 특정세포 분화 기술 외 13개
        - ※ 출처 : 국가중점과학기술 전략로드맵(국가과학기술심의회, ’14.04)
  - 주요 각국은 줄기세포 분야를 중점 육성하기 위해 국가차원의 R&D 투자를 강화
    - 영국, 일본, 미국, 캐나다 등 생명공학과 줄기세포 연구에 강점을 지닌 국가들은 국가차원의 R&D·사업화 프로젝트를 적극적으로 추진
    - 다수의 정부부처가 관련되므로 투자 및 관리, 규제와 승인 체제에 대한 분석을 실시해 보다 종합적이고 체계적인 집행을 지향
    - 복합적인 성격과 제약의료기구에 대한 강한 규제는 상업화를 어렵게 하므로, 절차 간소화와 임상실험을 위한 조건부 승인 방식 등 제도의 변화를 적극 추진
    - 특히 일본은 법령 개정과 관리체제 정비 등을 통해 국제적 수준 및 표준 선점을 위해 해외 기업의 유치와 협력에도 적극적으로 나섬
- [그림] 주요 국가별 총 R&D 투자 대비 줄기세포 분야 R&D 투자 비중(2011-2015)  
(단위 : 전)



- 미국에서 줄기세포에 대한 R&D 투자는 NIH에서 약 80% 이상, CIRM에서 약 10% 투자 되고 있으며, 그 외 국방부, NSF(National Science Foundation, 국립과학재단), NYSCF(New York Stem Cell Foundation) 등에서 약 10% 투자
  - ※ 단, 기관별 데이터 확보의 어려움으로 인해 투자 규모를 확보 가능한 NIH와 CIRM 투자 규모를 토대로 줄기세포 분야 투자 현황을 살펴 봄(미국 전체 재생의료 투자 규모의 약 90%로 추산 됨)
- 미국에서는 2012년을 기점으로 전년대비 약 10% 투자가 확대 되었으며, 지속적으로 투자 규모 증대(연평균 투자 증가율 : 3.1% 추정)
- '11년~'17년 현재까지 약 7년간 \$ 19,311 million(약 22조 435억원)이 줄기세포·재생의료 R&D에 투자

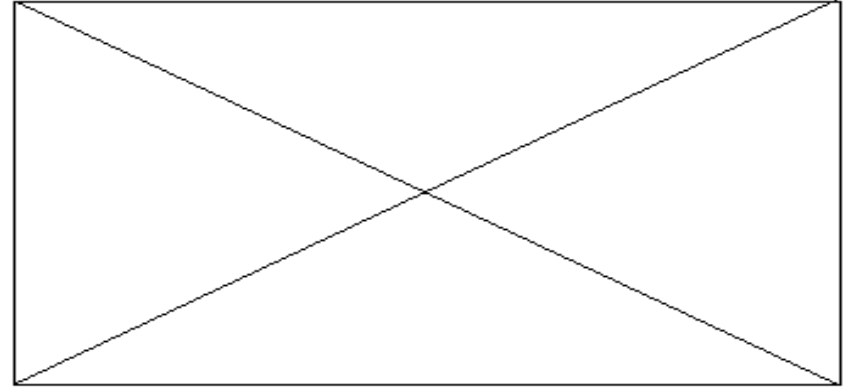
<표> 미국 줄기세포·재생의료 분야 R&D 투자 규모(2011-2017)

(단위 : million \$)



[그림] 미국 줄기세포 분야 R&D 투자 규모(2011-2017)

(단위 : million \$, %)



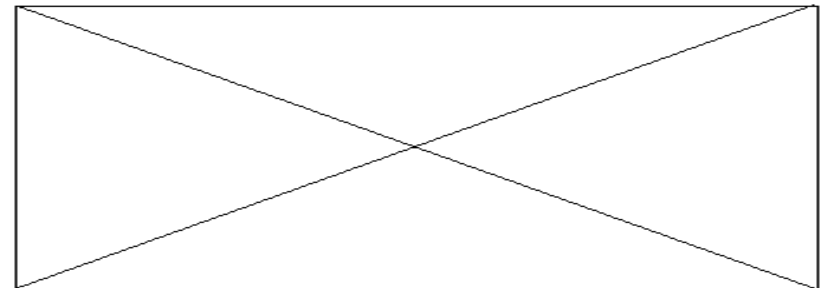
<표> NIH 줄기세포 분야 R&D 투자 비중(2010-2017)

(단위 : million \$)



[그림] NIH 줄기세포 분야 R&D 투자 비중(2010-2017)

(단위 : %)



- 연방 지원을 통해 설립된 CIRM(California Institute for Regenerative

Medicine)은 줄기세포의 치료 가능성과 인간배아줄기세포 연구를 집중 수행

- 임상시험의 성공 확률을 높이기 위해 규제·관리 지원 및 데이터 관리·분석 서비스를 제공하는 줄기세포 촉진센터(a Stem Cell Accelerating Center) 건립 발표('16.06)

- CIRM(California Institute for Regenerative Medicine)

- 줄기세포 치료의 가능성과 인간배아줄기세포에 대한 연방자금 지원을 기반으로 한 법안\*에 근거하여 캘리포니아주에서 2004년 설립
  - \* California Stem Cell Research and Cures Act, Proposition 71, 2004년 11월 통과
- CIRM 1.0 (2004~2014) : 1기 사업 총 예산은 \$3 billion(약 3.3조 원)이며, 초기단계에서는 주로 전분화능 줄기세포(배아줄기세포 등) 기초 연구에 투자하였으며, 2012년 이후 치료제 개발을 위한 임상연구에 집중 투자
  - \* Alpha Stem Cell Clinic(<https://www.cirm.ca.gov/>) : 2013년 시작되었으며, 환자에게 안전하고, 효과적으로 접근가능한 치료기회 제공 및 치료법을 확립하기 위한 통합 임상연구 인프라 및 지원 역할 수행(현재 20개가 넘는 임상시험 수행)
- CIRM 2.0\*(2015~2020) : '15년부터 '20년까지 줄기세포치료제의 임상적용 및 산업화 목표로 2기 사업 추진
  - \* 1기 사업 추진 중 진행된 프로젝트들 중에서 실패한 프로젝트의 연구비를 환수받아 총 \$ 890 million(약 9,870억원) 예산을 줄기세포 연구에 투자 예정이며, 이중 약 50%를 임상시험에 투자 예정
  - \* Beyond CIRM 2.0 stratigic Plan 2016 & Beyond(15. 11. 21)

<표> CIRM 1기 사업과 2기 사업 비교



\* 출처 : CIRM 홈페이지, CIRM Strategic Plan 2016 & Beyond, 2015.11, GSRAC 재

가공

<표> CIRM 줄기세포 분야 R&D 투자 규모(2011~2017)

(단위: million \$)



\* 출처 : CIRM ANNUAL report 2011~2016, <https://www.cirm.ca.gov>, GSRAC 재가공

\* 최근 줄기세포 촉진센터(a Stem Cell Accelerating Center)\* 건립 발표(2016. 06)

\* 줄기세포 촉진센터((a Stem Cell Accelerating Center): 연구자들에게 임상시험의 성공 확률을 높이기 위한 규제 및 관리 지원과 데이터 관리 및 분석 서비스 지원 예정

\* 출처 : <https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/newsroom/press-releases/06152016/cirm-creates-first-its-kind-center-accelerate-stem-cell>

- 미국 연방정부의 줄기세포 관련 추진 현황

\* 각국의 줄기세포 추진 동향, KISTEP 글로벌 과학기술정책정보서비스, 2015. 09

- ('00년) 백악관 과학기술정책실은 조직공학과 줄기세포 관련 이슈에 관한 정보 교환과 협력을 위한 기관 간 포럼인 조직공학 다기관 워킹그룹\*을 설립
  - \* Multi-Agency Tissue Engineering Sciences Interagency Working Group (MATES)

- ('05년) 보건복지부(HHS)는 줄기세포 발전을 위해 연방정부의 직접적 역할을 권고하는 「2020 새로운 비전: 줄기세포의 미래」 보고서 발간

- ('07년) MATES는 연방기관이 줄기세포 분야를 발전시키도록 하는 다기관 전략 계획\*을 발표

\* Advancing Tissue Science and Engineering: A Foundation for the Future and A Multi-Agency Strategic Plan

\* (전략계획의 주요 내용) 주요 분석 결과, 최근 줄기세포에 투자한 연방기관 현황과 지원 방식, 기관 간 정보 공유를 위해 연방기관이 수행한 활동, 재생의료 분야 발전에 있어 연방기관과 관련 이해관계자들의 도전과제와 해결 방안 등

- 일본 정부는 줄기세포 연구개발 혁신과 실용화를 가속하기 위하여 부처 간 협력강화, 연구 프로젝트 및 예산 등의 연계 및 집중화를 도모

- '14년 6월 「과학기술 이노베이션 종합 전략 2014」를 수립하여 일본 경제 재생울 실현하기 위해 노력

- 줄기세포 등 안전성 확보법('14년 11월 시행) 제정 및 약사법 개정('14년 11월 시행) 및 줄기세포의 연구개발부터 실용화까지 종합적 정책을 추진 및 실용화를 추진하기 위해 관련 제도 정비
- 줄기세포 등 제품의 특성에 따라 조기승인제도, 시판후 안전 대책에 대한 기준 및 재생의료 등의 제공기관 및 세포배양 가공시설에 대한 기준 신설\* 등
- \* 줄기세포등 안전성 확보법(2013년 11월 20일 제정, 2014년 11월 25일 시행)
- 야마나카 신야 교수가 환자로부터 채취한 체세포에서 전분화능(Pluripotency) 특성을 가진 유도만능줄기세포를 확보하는데 성공하면서, 일본정부의 육성정책 본격화
- 특히 '12년 노벨상 수상을 기점으로 유도만능줄기세포 연구 투자에 집중하고 있으며, '15년 일본의료연구개발기구(AMED)\*를 설립하여 적극적인 지원을 시작
- \* AMED(Japan Agency for Medical Research and Development, 일본의료연구개발기구) 의료분야 연구개발의 기초부터 실용화까지 단계를 일관되게 추진하기 위해 연구개발 성과의 실용화 및 의료분야 환경 정비를 체계적이고 효과적으로 실시하기 위한 종합적 R&D 전략 지원 기관으로 '15년 4월 설립
- 총 예산 : ¥1,215억 (2014년) → ¥1,248억 (2015년) → ¥1,265억 (2016년)
- 2014년 문부과학성 ¥570억, 후생노동성 ¥476억, 경제산업성 ¥169억
- 2015년 문부과학성 ¥598억, 후생노동성 ¥474억, 경제산업성 ¥177억
- 2016년 문부과학성 ¥599억, 후생노동성 ¥478억, 경제산업성 ¥185억
- 의료 분야의 R&D 예산관리 및 기초연구에서 실용화 지원, 규제 등도 이 기관에서 single point of contact이 가능(iPSC 등 재생의료 실현목적 등) 하도록 하며, 총 9개 프로젝트 운영
- 연구개발에 관련된 문부과학성, 후생노동성, 경제산업성의 예산을 통합하여 연구자 및 기업에 배분
- 예산통합을 통해 부처 간 설비 및 인력을 공유함으로써 효율적이고 집중적인 재정지원 및 관리 가능

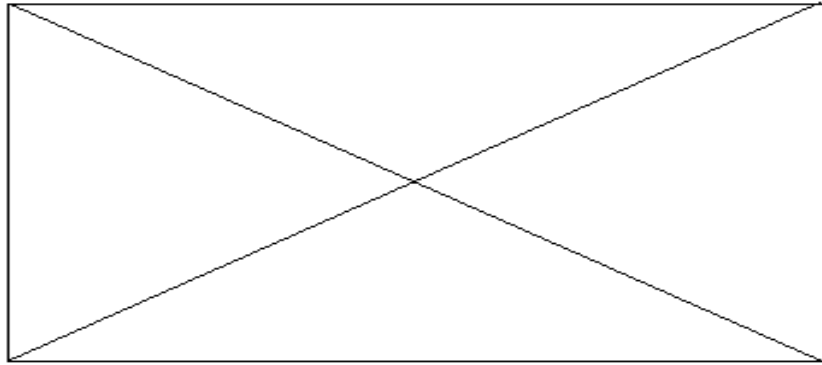
<표> 일본 '15년 의료분야 연구개발



- iPSC 연구를 지원하기 위한 예산을 약 \$1 billion을 보유\*하고 있으며, 교토대를 중심으로 유도만능줄기세포(iPSC)연구를 활성화하기 위해 4대 연구거점\*\* 기관을 선정하고 총 ¥439억(약 4,829억원)을 투자
- \* [http://scienceadvice.ca/uploads/eng/assessmentspublicationsnewsreleases/regenmed/regenmed\\_fullreport\\_en.pdf](http://scienceadvice.ca/uploads/eng/assessmentspublicationsnewsreleases/regenmed/regenmed_fullreport_en.pdf)
- \*\* <http://www.asahi.com/articles/ASJDB2JH3JDBUBQU005.html>
- 교토대를 중심으로 유도만능줄기세포(iPSC)연구를 활성화하기 위해 '4대 연구거점\*\*기관을 선정
- \* 4대 연구거점 : 교토대(핵심 거점기관), 게이오대, RIKEN(이화학연구소), 오사카대(한국연구재단, 2015.1127 접속 기준.)
- 문부과학성, iPSC 신약 개발 본격화하기 위해 '17년부터 6년간 약 ¥ 60억(약 607억원)을 투자 발표('16. 12.)
- 일본의 줄기세포 분야 R&D 투자는 '11년~'17년 약 7년 동안 약 ¥ 2,134억(약 2조 2000억원) 투자 된 것으로 추정
- 일본은 줄기세포기술 개발 및 상용화를 위해 의료 R&D 전담 관리기관 운용
- 일본 의료연구개발기구(AMED) 설립을 통해 의료분야 R&D의 효율적·안정적인 재정지원, 관리화 도모('15.04)
- ※ 문부과학성, 후생노동성, 경제산업성 등 예산의 통합관리를 통한 R&D 관리의 효율화

[그림] 일본의 줄기세포 R&D 투자 규모(2011-2017)

(단위 : 억 ¥)



<표> 일본의 줄기세포 R&D 투자 규모(2011-2017)

(단위: 억 원)

연도	2011	2012	2013	2014	2015	2016	2017
AMED							
iPSC							
합계							

\* 2011-2013 R&D 투자 규모 : iPSC 및 4대 연구 거점 사업 등, 일본 성장 전략 제 1탄, 2013 '14년 이후 AMED 예산 통합된 것으로 추정 됨/더 많은 투자가 있었을 것으로 판단되나, 정확한 근거가 없어 보도자료 기준으로 추정 함

\*\* 2014-2017 R&D 투자 규모 : AMED 줄기세포 및 iPSC 관련 예산, <http://www.amed.go.jp/>

\*\*\* <http://news.mynavi.jp/news/2013/07/04/020/>

○ (영국) 다양한 연구 프로그램 운용을 통해 연구 지원금을 확대 투자함으로써 줄기세포 기술개발 및 제품 상용화 추진

- 영국은 2015년 세포치료의 개발과 상업화에 8백만 파운드 투자계획을 발표('15.7.8)1)

- 최근 당뇨병, 간 질환, 혈액 질환에 이미 치료법의 발전이 입증되고 있으며, 세포 기반 암 면역치료의 소규모 임상 실험에 상업적 투자 확대를 장려
- 규모에 상관없이 최소 하나 이상의 파트너와 협업하는 기업을 대상으로 경쟁

프로젝트 도입

- ※ 소기업은 비용의 70%까지, 중기업은 60%까지, 대기업은 50%까지 수령 가능하며, 2~3년 간 총 50만-2,500만 파운드 비용이 소요되는 프로젝트를 기대
- ※ 경쟁 프로젝트를 통해 새로운 치료법의 임상적 발전과 제품의 안전성이나 제조상의 어려움을 해결할 도구 및 기술 플랫폼의 발전을 모두 도모할 예정

- 영국기술전략위원회(Innovate UK)는 치료 분야에 프로젝트 개발과 상업화 목적으로 £ 8million(한화 약 119억원) 지원을 발표('15.07)

※ Innovate UK는 인체 세포·조직·장기의 정상 기능 복구를 대체하거나 재생시키기 위한 혁신적 의학 치료 지원

※ 임상과 상업화가 가능한 치료제 개발 및 제조와 관련된 프로젝트(2년~3년)를 선정하여 예산 지원

• 최근, Innovate UK 20-21년까지 최대 £4.7 billion을 R&D에 투자 발표('17. 07. 25)하였으며, 그 중 £ 150 million(약 2,221억)을 CGTC에 투자

※ 출처 : 보건부 (2015.3.24) / 인체조직청 (2015.3.24) / 기술전략위원회 (2015.7.8.)

<https://www.gov.uk/government/publications/regenerative-medicine-a-uk-pathway>

<https://www.hta.gov.uk/news/hta-responds-governments-regenerative-medicine-report>

[http://www.eversheds.com/global/en/what/articles/index.page?ArticleID=en/Healthcare/Lifesciences\\_\\_regenerative\\_medicine\\_July2015](http://www.eversheds.com/global/en/what/articles/index.page?ArticleID=en/Healthcare/Lifesciences__regenerative_medicine_July2015)

<https://www.gov.uk/government/news/regenerative-medicine-apply-for-8-million-business-funding>

- (舊)Cell Therapy Catapult (新)Cell & Gene Therapy Catapult

• 기초연구와 상업화를 연결함으로써 영국의 세포/유전자 치료제 산업 성장 촉진을 목적으로 2012년 5월에 설립(Innovate UK 지원)

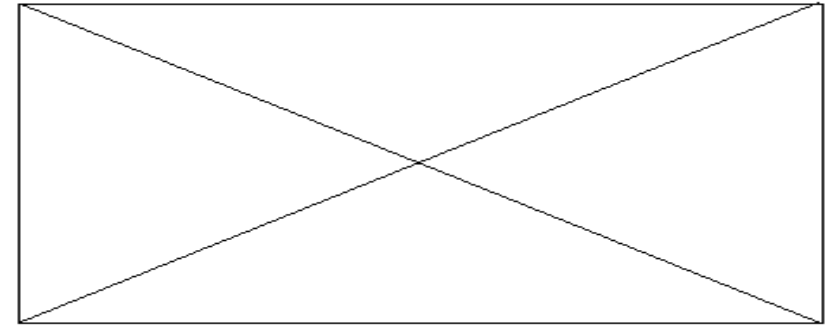
• £10 billion(약 18조 6천억원) 이상의 대규모 세포치료 산업 창출을 목표로 2017년까지 £70 million(약 1천 3백억원)을 지원받고 있음



부에서는 육성정책과 인센티브를 제공함으로써 많은 투자자들이 캐나다의 줄기세포에 투자

- 캐나다는 다양한 줄기세포 분야의 협동 네트워크 및 기반 시설\*을 보유
  - \* Stem Cell Network(SCN), Centre for Commercialization of Regenerative Medicine (CCRM), Regenerative Medicine and Cell Therapy Network(CellCAN), Cell and Tissue Therapy Network (TheCell)m Ontario Institute for Regenerative Medicine(OIRM), Canadian Institutes of Health Research (CIHR), Centre for Drug Research and Development (CDRD), Canadian Blood Services Cord Blood Bank, Canadian National Transplant Research Program, Centre for Commercialization of Cancer Immunotherapy 등 다수의 줄기세포 관련 프로그램 및 기관 운영
- 캐나다 정부는 지난 2006년부터 2010년까지 총 \$5 년간('06.07~'10.11) 줄기 세포 및 재생 의료 연구에 \$ 275 million(약 3,140억원) 투자
  - \* <https://www.ic.gc.ca/eic/site/lsg-pdsv.nsf/eng/hn01746.html#fundingStem>
- 과학, 기술 및 혁신위원회 (STIC)는 캐나다 정부가 과학, 기술 및 혁신 (STI) 정책 문제에 대한 기밀 조언을 제공하도록 요구하는 독립적 자문 기관/과학기술 투자 우선 순위 제공 기관으로서 줄기세포분야를 투자 우선 순위로 선정
  - \* 2011-2014년 발표된 자료\*에 따르면, 3년간 총 \$ 158 million(약 1,821억원) 투자
    - <http://www.cirb-ccri.gc.ca/eic/site/stic-csti.nsf/eng/00099.html>
- 캐나다의 세포 치료 네트워크인 CELLCAN(Regenerative Medicine and Cell Therapy Network)에서는 '14~'18년 동안 \$ 1.6 million(약 18 억원) 투자
- CCRM은 2011년 6월 설립된 기관으로, 2010년 캐나다 NCE(Networks of Centres of Excellence)에서 \$15 million(약 170억원, 2011-2017)을 지원 받음
- 캐나다의 줄기세포 분야 국가 R&D 투자 규모를 추산한 결과, '11년~'17년까지 총 7년간 약 \$ 354 million(약 4,036 억원) 투자 한 것으로 추정
- 캐나다 정부는 생명을 구하는 세포, 조직, 장기를 생성할 줄기세포 연구에 대규모 투자(Legacy Investment)를 발표('15.07)
- Canada First Research Excellence Fund\*의 일환으로 토론토 대학의 세계 최고 수준 의학 연구 프로그램을 지원
  - \* 캐나다 장기적 경제 성장을 위해 대학 핵심 역량을 세계 최고 수준으로 키우도록 하는 경쟁 프로그램으로 7년 간 15억 달러를 투자할 예정

[그림] 캐나다 줄기세포 R&D 투자 규모(2011-2017)



※ 단, 이 추산 규모는 연방정부에서 발표한 자료, 신문기사, 각 기관의 연례보고서를 취합하여 추산하였으며 캐나다의 정확한 재생의료 분야 R&D 투자 규모를 추정하기에는 어려움이 있으나, 캐나다 정부에서 공식 발표한 투자 규모[그림 5]와 비교할 때 추정된 정부 R&D 투자규모[그림 6]는 합리적인 수치로 판단 됨  
 \* <http://www.cirb-ccri.gc.ca/eic/site/stic-csti.nsf/eng/00099.html> 추정치

<표> 캐나다 기관별 줄기세포 R&D 투자 규모(2011-2017)

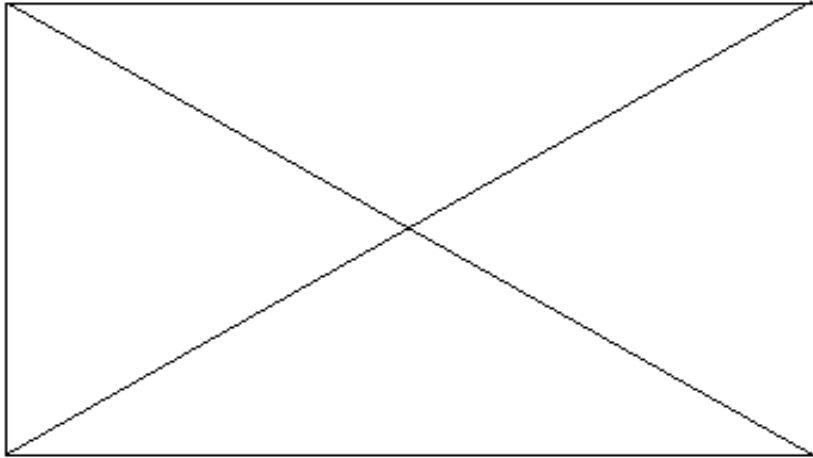
(단위: million \$)


※ (Founding Source) STIC: TheScience,TechnologyandInnovationCouncil/ CELLCAN : Canadian network in the field of regenerative medicine and cell therapy that promotes clinical research and development/ CCRM : Centre for Commercialization of Regenerative Medicine/ SCN : Stem Cell Network  
 - 캐나다에서 최근 R&D 투자 동향에 대해 공식적으로 발간한 문건은 찾을 수 없으나, 각 기관별 발표자료, 보도자료, 연례 보고서 등을 통해 투자 규모 파악

### 3. 경제적 환경 분석

- 글로벌 줄기세포 시장은 2017년 628억달러 규모 형성, 빠르게 성장하여 2025년 3,944억달러 규모로 성장할 전망
- 전 세계 지역별 줄기세포 시장은 북미 지역이 37.3%('17년 234억 달러)로 가장 큰 비중을 차지하고, 유럽 27.8%(174억 달러), 아시아·태평양 21.3%(134억 달러), 그 외 지역 13.6%(85억 달러) 순으로 시장규모 형성

[그림] 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망(2016-2025년)

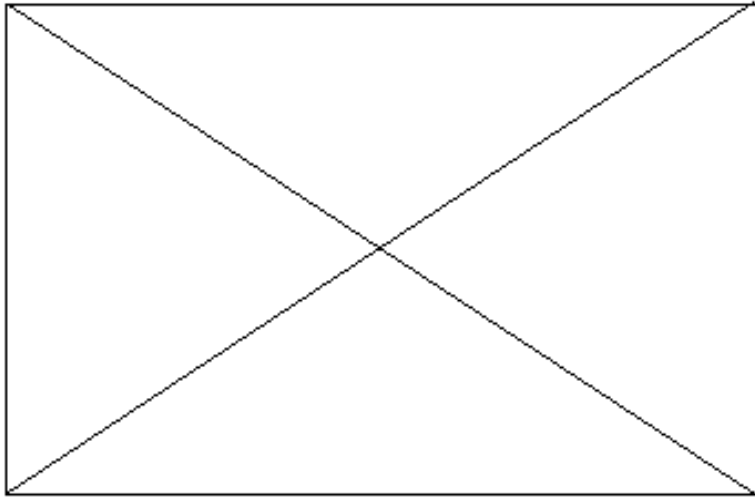


※ 출처: Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

- 줄기세포 치료제 및 기술 관련 임상시험 증가, 줄기세포 기반 신약개발 활성화 등의 추세로 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 25.8%('17~`25)로 꾸준히 확대될 전망
  - 향후 2025년까지 연평균 성장률이 가장 높은 지역은 아시아·태평양 지역으로, 2025년 전체 시장에서의 비중은 22%로 확대될 전망
- 분야별로는 성체줄기세포, 확보기술, 재생의약 분야가 성장과 수익성 측면에서 전체 줄기세포 분야의 성장을 견인
  - 줄기세포 제품별로 성체줄기세포 시장이, 기술별로 줄기세포 확보기술 시장이 가장 큰 비중을 차지하고 있으나 향후 iPSC와 줄기세포 생산기술 시장이 빠르게 확대될 전망



[그림] 줄기세포 분야 성장과 수익 기회 매트릭스



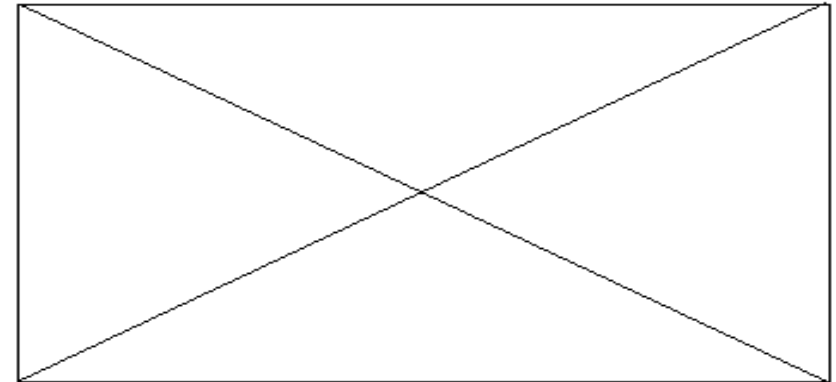
※ 출처: 한국과학기술기획평가원(2018), 줄기세포 재인용; Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025)

- (북미지역) 2016년 줄기세포 시장의 약 1/3의 점유율로 가장 큰 시장을 형성하고 있는 북미지역은 향후 암 발생 증가를 주요 요인으로 지속적인 시장 성장 전망
- 미국의 줄기세포 시장은 2016년 138억 달러 규모를 형성하여 글로벌 시장에서 가장 큰 시장 점유율을 차지하고 있으며, 향후 2017~2025년의 예측기간 동안 연평균 26.45%로 성장하여 2025년까지 1,124억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 암을 비롯한 만성 질환 환자수가 미국에서 지속적으로 증가하고 있음에 따라 줄기세포 연구 및 치료제 개발 연구가 활발하고 관련된 투자도 증가하는 추세
  - 또한 미국은 제약·생명공학 분야에서 약 11,500여개의 R&D센터가 운영되는 등 진보된 의료 인프라를 구축하고 있으며 제약 및 건강관리 시장이 잘 정립되어 있어 향후 글로벌 줄기세포 시장을 지속적으로 견인할 전망
  - 반면, 줄기세포 치료에 대한 높은 비용과 줄기세포 치료와 관련된 엄격한 규제가 미국 줄기세포 시장 성장 저해 예상

- 캐나다의 줄기세포 시장은 2016년 51억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 23.62%로 성장하여 340억 달러 규모로 확대될 것으로 전망.45%로 성장하여 2025년까지 1,124억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 캐나다 정부는 건강관리 및 의약 분야에 대한 연구개발 활동을 장려하는 보조금 지원을 적극적으로 추진하고 있어 향후 줄기세포 시장 성장에 긍정적 영향을 끼칠 것으로 예상
  - 캐나다는 미국과 같이 다수의 제약 수출업체 핵심 허브이며 재정적 지위 상승, 인구 고령화, 만성질환 발병률 증가 등의 요인도 캐나다 시장 활성화 요인으로 작용

[그림] 북미 지역 줄기세포 시장 현황 및 전망

(단위: 억달러)



※ 출처 : Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

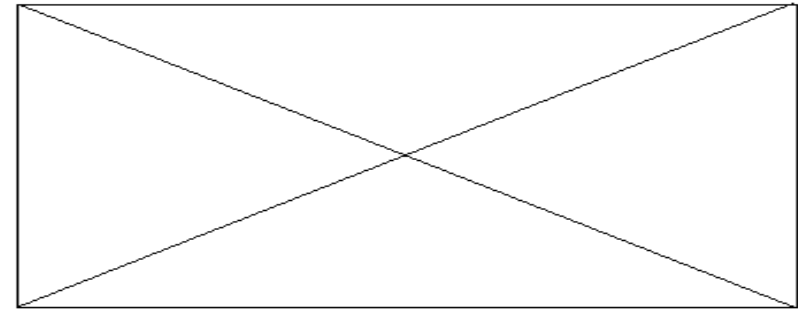
- 유럽은 줄기세포 시장에서 활동하는 기업들의 적극적인 투자가 이루어지고 있으며 북미와 유사하게 암 및 심혈관 질환의 증가가 시장성장의 주요 요인으로 작용
- 영국의 줄기세포 시장은 2016년 27억달러 규모로, 유럽시장 내 가장 큰 비중을 차지하고 있으며 2025년까지 연평균 24.31%로 성장하여 190억 달러 규모로 확대 될 예정
  - 영국은 정부가 운영하는 세계적 수준의 국민건강시스템(NHS)과 최신 건강관리 서비스를 제공하는 다양한 개인 의료센터로 유명하며 만성질환 발병률 증가와 함께 줄기세포 연구 투자가 증가하면서 관련 시장 성장 기대

- 영국에서는 암, 심혈관 질환, 심장마비, 뇌졸중과 같은 만성질환의 발병이 급증하고 있으며 특히 심혈관 질환으로 인해 4명 중 1명이 사망하는 것으로 추산
- 프랑스의 줄기세포 시장은 2016년 26억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 24.61%로 성장하여 189억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 유럽 최대 경제국인 프랑스는 헬스케어 인프라가 잘 갖추어져 있으며 의료 서비스 분야의 투자 및 지출이 크기 때문에 줄기세포 시장 성장을 뒷받침
  - 프랑스는 GDP의 약 12%를 건강관리에 지출하고 있으며 2013년 기준 1인당 4,228달러를 의료 서비스에 지출
  - 또한 2017년 5월 줄기세포 연구를 위한 마일스톤을 수립하는 등 관련 분야의 체계적 R&D 투자 지원 계획
  - 그러나 세계 최고 헬스케어 시스템 보유국 중 하나인 프랑스는 만성질환에 의한 사망률이 가장 낮아 줄기세포 치료적용 기회가 적을 수 있다는 점은 시장 급성장에 부정적 요소가 될 가능성 존재
- 독일의 줄기세포 시장은 2016년 26억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 25.94%로 성장하여 211억 달러 규모로 확대, 유럽 시장 내 가장 큰 비중을 차지할 전망
  - 2015년 인구의 약 22%가 65세 이상으로 조사되는 등 고령화 인구가 많은 국가 중 하나로, 노인의 만성질환 사례 증가가 독일 줄기세포 시장 성장에 주요한 영향 요인으로 작용
  - 미국과 유사하게 줄기세포 치료비용 부담 및 정부의 엄격한 규제가 시장성장 저해 예상
- 스페인의 줄기세포 시장은 2016년 18억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 26.39%로 성장하여 151억달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 스페인은 고품질의 혁신적 의료시스템을 제공하는 유망국가중 하나로, 줄기세포 시장 성장에 좋은 환경이 조성되어 있으며 유럽국가 중 가장 높은 성장률로 빠른 시장 확대 전망
  - 스페인의 모든 시민은 국민건강시스템(NHS)의 적용을 받고 있으며 다른 유럽 국가와 비교해 의료비용이 저렴하여 의료 관광지로 주목되어 줄기세포 시장 성장에 긍정적 영향 기대

- 이탈리아의 줄기세포 시장은 2016년 20억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 26.36%로 성장하여 162억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 이탈리아도 다른 국가들과 같이 고령 인구 및 만성질환의 증가, 줄기세포 연구 투자 증가 등이 줄기세포 시장 성장의 주요 요인으로 작용하나, 특별한 치료 및 의학적 상태 개선의 목적이 아니라면 배아를 사용한 연구에 대한 엄격한 규제가 적용되어 관련 시장 성장 저해

[그림] 유럽 지역 줄기세포 시장 현황 및 전망

(단위: 억달러)



※ 출처 : Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

- 아시아 지역 개발도상국의 경제 발전 및 소득 개선, 저렴한 치료비용에 따른 의료 관광 및 의료분야 투자 증가로 향후 아시아 줄기세포 시장 성장이 세계적으로 가장 빠르게 진행될 전망
- 중국의 줄기세포 시장은 2016년 33억 달러 규모로, 아시아 지역 시장 내 가장 큰 비중을 차지하고 있으며 2025년까지 연평균 24.21%로 성장하여 235억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 중국은 오랫동안 인구 증가 문제에 직면해 왔으며, 건강에 해로운 습관과 다양한 질환의 발생에 따라 줄기세포 시장의 수요가 증가하는 추세
  - 2015년 줄기세포에 관한 정부 정책을 발표하는 등 중국 내 줄기세포 연구를 적극 장려하고 있으며 미국에서 허용되지 않는 줄기세포 치료법을 받기 위한 중국 의료관광이 각광받으며 관련 시장 활성화
  - 중국에서는 매년 60만명 가량의 관광객이 줄기세포 치료에 최소 2만 달러를 지출하는 것으로 추산

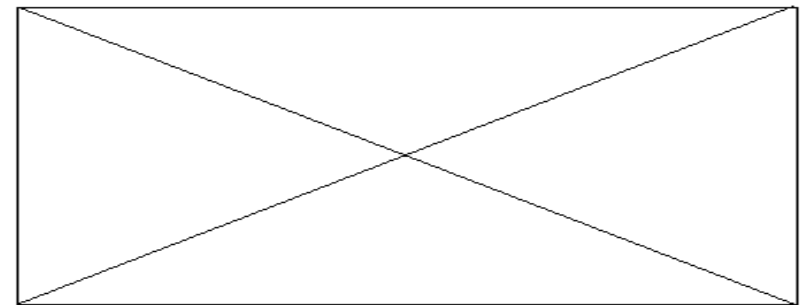
- 인도의 줄기세포 시장은 2016년 26억 달러 규모를 형성하였으며, 2025년까지 연평균 27.50%로 성장하여 235억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 줄기세포 연구에 대한 업계의 관심 증대와 줄기세포 은행에 대한 인식 제고를 위해 정부와 다양한 민간 단체의 투자가 증가함에 따라 줄기세포 시장의 성장 예상
  - 인도의 줄기세포 시장은 주로 줄기세포 은행 시설을 제공하는 회사에 집중되어 있으며 아직까지 줄기세포 기반 제품의 상업화는 저조
  - 인도는 타 국가 대비 상대적으로 성체줄기세포 기업에게 자율적인 규제 환경을 조성하여 상업 활성화를 도모하고 있으며 현재 인도에서 다양한 기관들의 참여로 성체줄기세포 임상시험이 활발히 실시되는 추세
  - 인도의학연구협의회(ICMR)에 따르면 현재 인도에서는 최소 60건의 성체줄기세포 임상시험이 인도의약품관리청(DCGI)에서 승인되어 진행중
- 일본의 줄기세포 시장은 2016년 17억 달러 규모를 형성하였으며 2025년까지 연평균 28.04%로 성장하여 162억 달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - 일본 정부는 경제 성장을 주도하는 핵심 전략으로 재생의학 및 세포요법을 적극 지원하는 등 재생의학 연구의 중심지로서의 입지를 가속화하면서 아시아 국가 중 가장 높은 성장률로 빠른 시장 확대 전망
  - 인구의 감소와 함께 그 중 25% 이상이 65세 이상인 일본은 국민의 건강한 삶을 연장하기 위한 비전달성을 위해 줄기세포를 응용한 손상된 장기 대체, 바이오 의료기기 개발 등에 집중
  - 일본 교육부는 향후 10년간 1,100억엔을 다기능 줄기세포 연구에 투자할 계획이며 일본 의회는 승인 절차의 속도를 높이고 안정성을 보장하는 법안을 논의하는 중
  - 특히 일본은 iPSC 기술 및 치료법에 대한 투자와 관련하여 글로벌 리더에 위치해 있으며 2013년 세계 최초로 iPSC 임상 시험을 추진하는 등 iPSC 치료제/서비스 개발에 진보적
- 선진국 투자확대, 줄기세포 기술수준 향상, 기술융합을 통한 산업영역 확대 등으로 글로벌 줄기세포 시장은 지속적 성장 추세
- 줄기세포치료제·치료기술 보급 확대에 따라 치료 영역 시장은 점진적으로 성장, 비치료 영역도 बैं킹, 융합, 플랫폼 기술 등의 다양한 수요 발생에 따라 지속적으로 성장할 전망
  - ※ '14년 줄기세포 시장에서 비치료 영역(뱅크, 연구재료 등)이 차지하는 비중은 52%

로, 치료 영역(치료제, 치료기술) 보다 큰 시장 형성

- 글로벌 줄기세포 응용별 시장은 재생의약 분야와 신약개발 활용 시장으로 구분할 수 있으며, 재생의약 시장이 규모는 크지만 신약개발 활용 시장의 성장률이 더 높을 것으로 전망
- 줄기세포는 노화 및 심혈관, 신경, 정형외과 및 자가면역 질환 치료, 3D 오가노이드, 신약개발 등에 사용되고 있으며 지속적 줄기세포 응용 시장 확대 예상
  - 재생의약 분야는 2016년 294억달러에서 연평균('17-'25년) 25.2%로 성장하여 2025년에는 2,182억달러 시장 규모 예상
  - 신약개발 분야가 2016년 212억달러에서 연평균('17-'25년) 26.7%로 성장하여 2025년에는 1,761억달러 시장 규모 예상
- 줄기세포 관련 재생의약 및 신약개발 시장은 모든 지역에서 고른 연평균 성장률을 나타내고 있으며 빠른 성장이 전망
  - 지역별 줄기세포 관련 재생의약 시장의 연평균 성장률('17-'25)은 북미 25.1%, 유럽 24.8%, 아시아-태평양 25.6%, 기타 25.3%
  - 지역별 줄기세포 관련 신약개발 시장의 연평균 성장률('17-'25)은 북미 26.6%, 유럽 26.3%, 아시아-태평양 27.1%, 기타 26.8%

[그림] 응용별 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망

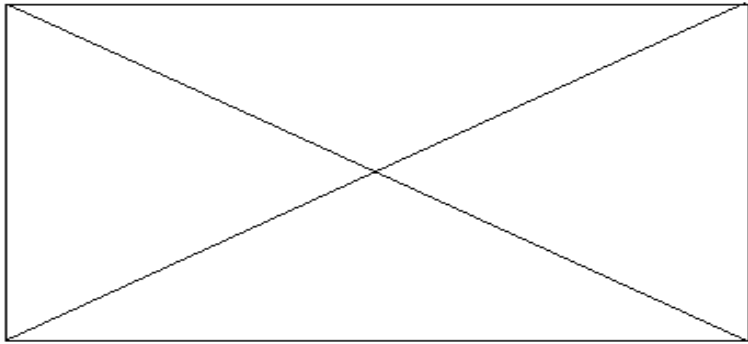
(단위: 십억달러)



※출처 : Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4)

[그림] 아시아 지역 줄기세포 시장 현황 및 전망

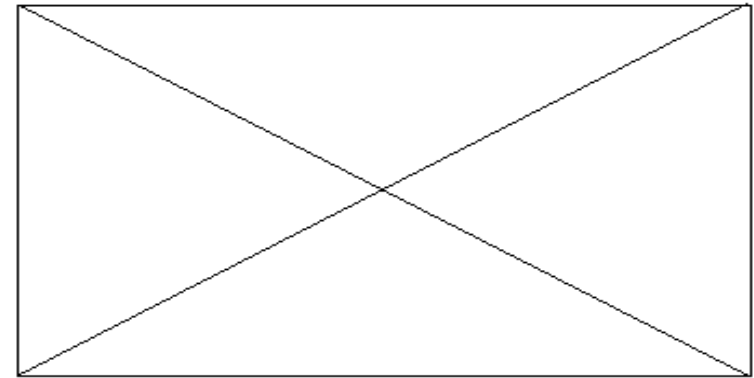
(단위: 억달러)



※ 출처 : Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4), 생명공학정책연구센터 재가공

- 줄기세포의 다양한 응용 영역에 따라 바이오의약품 개발기업뿐 아니라 연구 기반기술을 지원하는 생명공학 기업이 줄기세포 시장에서 큰 비중 차지
- 줄기세포가 재생치료법과 더불어 세포 분화, 생체 기전을 이해하는 연구도구로 활용되면서 줄기세포 연구를 위한 시약, 배양액, 세포 이미징 등의 기반연구를 지원하는 생명공학 기업이 시장 점유율 상위 순위를 차지
  - 2016년 줄기세포 시장 점유율 상위 5개 기업은 GE Healthcare, Thermo Fisher, Stem Cell Technologies, Becton, Corning으로, 줄기세포 시장 규모의 절반 비중을 차지
  - 가장 큰 비중을 차지하고 있는 GE Healthcare는 의료 이미징, 소프트웨어 및 정보기술, 의료 진단, 환자 모니터링 시스템, 신약개발 및 생물약제 제조기술 등을 제공하는 의료기술 및 관련 서비스 선두 제공 업체 중 하나로, 줄기세포주 생산, 자동화 제조 등의 기술 개발 추진
  - 줄기세포 치료 가능성과 활용범위가 넓어지면서 줄기세포 시장 장악을 위한 기업의 사업영역 확장 및 전략적 M&A 활발
  - 2016년 11월, Thermo Fischer Science Pvt Ltd.는 줄기세포 회사인 MTI-Global Stem Ltd.를 미공개 금액으로 인수

[그림] 주요 기업별 줄기세포 시장 점유율(2016년)



- ※ 출처 : Inkwood Research, Global Stem Cell Market Forecast: 2017-2025(2017.4)

- 성체줄기세포 중심의 치료산업이 가장 활발하며 줄기세포 기술수준의 향상으로 차세대 줄기세포치료제 개발도 가시화되는 추세
- 분리·조작이 용이한 성체줄기세포는 비교적 빠른 실용화가 가능하여 민간 기업을 중심으로 한 치료제 개발 활성화
  - ※ 세포원별로 성체줄기세포 시장규모가 80%의 비중을 차지('13), 전 세계적으로 줄기세포치료제로 품목 허가된 6개 제품도 모두 성체줄기세포치료제
- iPSC, 인간배아줄기세포를 이용한 환자 맞춤형 줄기세포치료제 임상 시험이 실시되는 등 차세대 줄기세포 치료제도 개발 단계로 진입
  - ※ 세계 최초로 iPSC를 이용한 노인성 황반변성 임상연구 실시('14.9, 일본 RIKEN)
  - ※ 배아줄기세포를 이용한 스카르트병과 노인성 황반변성 임상시험 첫 성공 ('14.10, 미국 ACT사/한국 차바이오텍 공동개발)
- 유전자치료기술과의 융합, 신약개발 후보물질 스크리닝, 3D 프린팅기술을 활용한 장기제작 등 융복합 기술을 통한 산업 영역 확대
- 약물 유효성 및 독성 평가기술 등 줄기세포를 활용하는 신약개발 응용시장은 연평균 50% 이상의 고성장 전망
  - ※ 줄기세포 기반 신약개발 응용시장 전망 : '15년 1.6억달러 → '20년 9.2달러(연평균 52.5% 증가)(출처 : Kalorama information, '08.1)
- 인공피부, 골 대체제 등 조직공학 기술이 줄기세포, 3D 세포 프린팅 기술과 융합되면서 관련 시장 범위 및 규모 확대
  - ※ 글로벌 3D 세포배양 시장전망 : '14년 6억달러 → '19년 22억달러(연평균





※ 출처 : 국내외 줄기세포치료제 제품현황(BRIC, '16.04)

<표> 줄기세포기반기술 관련 시약·기기 국내생산 및 해외수입 현황('15년)

	국내생산			해외수입		
	수량	금액	종류	수량	금액	종류

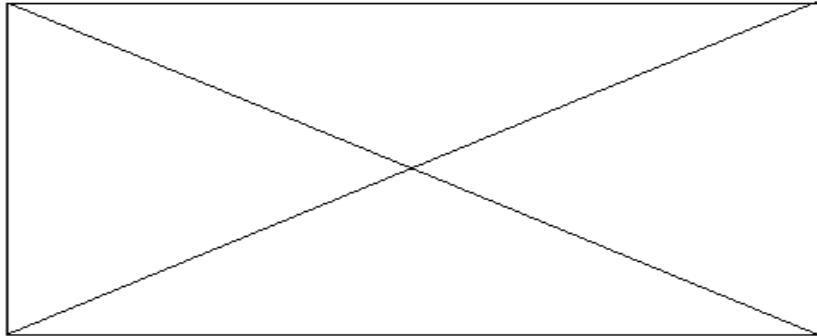
※ 출처 : '15년 의료기기 생산 및 수출·입 실적 통계자료(식품의약품안전처, '16년 7월), STSI 재가공

□ 글로벌 바이오뱅크 시장 규모

- BioInformant Worldwide는 지난 5년 및 향후 글로벌 줄기세포은행 시장 규모를 추정하여 2020년까지 연평균 7.9%로 성장하고, 2016년에 41.62억 달러 시장 규모를 형성할 것으로 전망함

[그림] 글로벌 줄기세포은행 시장 규모(2011-2020)

(단위 : 십억 달러)



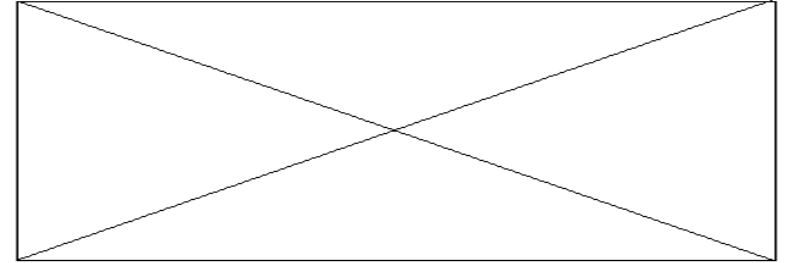
※ 출처 :The Market for Stem Cell Biobanking and Storage - Size, Segments & Trends(2015), GSRAC 재가공

- 연구용 줄기세포은행 시장은 2013년에 45억 2천 달러(바이오뱅크 시장의 45.02%)로 추정되며, 2024년에는 87억 3천 달러(바이오뱅크 시장의 33.27%)로 시장 확대가 예상됨

- 최근 11년간 연평균성장률은 6.17%을 보이며, 바이오뱅크 시장 내에서의 차지하는 비중은 줄어들 것으로 전망함

[그림] 연구용 줄기세포은행 시장 규모(2013-2024)

(단위 : 십억 달러)



※ 출처 : Biobanking for Medicine Technology, Industry and Market 2014-2024, GSRAC 재가공

- Biobanking for Medicine 시장보고서에 의하며, 2018년 글로벌 바이오뱅크 시장 규모는 22억 달러, 2023년 시장 규모는 37억 달러로 예측되어지며, 높은 성장률이 지속될 전망
- 2013년 기준 전 세계 바이오뱅크의 시장 규모(지원금, 자원 및 서비스에 의해 창출된 매출 포함)는 129억 달러이며, 연구를 목적으로 한 인체자원은 행이 대부분을 차지함
- 연구를 목적으로 한 바이오뱅크는 약 100억 달러의 규모이며, 전체의 77.83%를 차지함
- 특히 연구목적으로 보관된 시료는 점차적으로 신약 발굴 및 개발에 사용되고 있으며, 기존의 동물모델을 통한 전임상연구보다 수요가 증가할 것으로 예상됨

[그림] 바이오뱅크 시장 규모 현황 및 예측











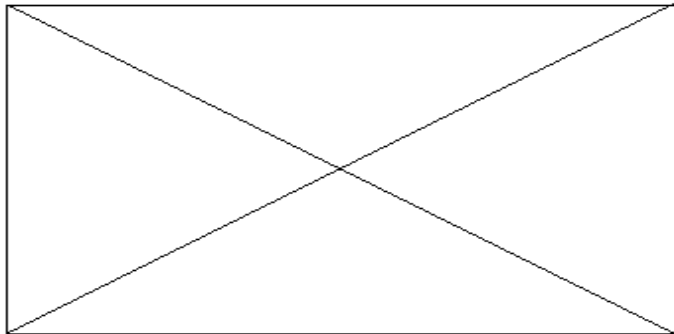
등이 활성화되면서 줄기세포 시장진출 증가 추세

- GlaxoSmithKline, Pfizer, Novartis, Novo Nordisk, Teva Pharmaceuticals, Roche 등과 같은 글로벌 제약사에서는 줄기세포치료제 연구개발 전문 기업과의 전략적 파트너십 구축을 통한 협력 추진
- \* 아직 많은 제약사들이 줄기세포치료제 시장 진입에 소극적인 입장을 취하고 있으나 향후 임상시험 결과 및 의료정책 변화 등에 따라 시장 진출을 본격화할 전망

□ 한국의 줄기세포기업 현황

- 한국의 줄기세포 치료제 개발 기업과 줄기세포 은행의 시장 침투력은 매우 높은 수준
  - (치료제 개발기업) 한국은 세계 최초로 줄기세포치료제를 품목허가 하는 등 식약처를 비롯한 정부의 적극적 지원이 강한 시장성장 영향력 요인 중 하나
  - (줄기세포은행) 줄기세포 연구 활성화 및 시장성장 추세에 따라 고품질 줄기세포주 확보와연구 인프라 강화, 건강한 삶을 위한 줄기세포 보관·관리서비스 등 बैं킹사업 활발

[그림] 국내 줄기세포 분야 주요기업 현황



※ 출처 : Frost&Sullivan, Analysis of the Global Stem Cell Market(2014) 참조, 생명공학정책연구센터 재가공

- 세계 최초·최다 줄기세포치료제 허가 등 신속한 산업화 성과 창출 및 글로벌 시장진출 기반조성
- (품목허가) 세계 최초 줄기세포치료제 허가 등 신속한 산업화 성과 창출 및 글로벌 시장진출 기반조성
  - 품목허가 후 기술 건수\*와 판매량\*\*도 지속적으로 증가

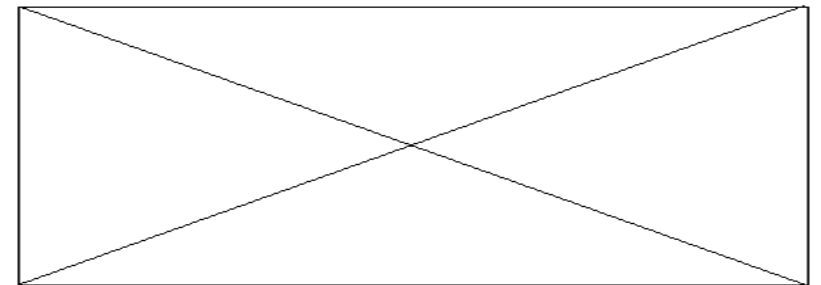
\*파미셀의 '하티셀그램-AMI'기술건수는 '13년 189건→'14년 225건으로 증가  
 \*\*메디포스트의 '카티스팀'판매량은 '12년 336건→'15년 1,836건으로 증가

- (상업임상) 전 세계에서 2번째로 상업적 임상시험이 활발하여 줄기세포 치료제 글로벌 진출의 기반 구축
- \* 줄기세포 치료제 상업적 임상연구는 1위 미국(146건(46%), 2위 한국 46건(15%)('98~'15년 누계, 식약처), 국내기업 글로벌 임상 3건('15.2월 기준)
- (시장규모) 국내 줄기세포 시장은 '13년 10억달러(약 1.2조원)에서 연평균 25.4%로 빠르게 성장하여 '18년 33억달러(약4조원) 전망
- \* 국내시장은 글로벌 시장 대비 협소하나, 비교적 빠른 성장률로 성장하여 '13년 점유율 2.5%→'18년 2.8% 확대 예상
  - 줄기세포 치료제 및 은행서비스 기업을 중심으로, 기술력을 보유한 다수의 강소기업이 활발히 활동

<표> 3차원 오가노이드 배양 관련 시장


- 국내시장 규모는 세계 시장 규모의 2%로 추산
- \* 출처 : 3D cell culture market, 2016, markets and markets
  - 인체유래조직 기반 약물 스크리닝 시장은 미국과 유럽을 중심으로 확대 중
  - 4차원 세포배양의 논문 출판이 매년 높은 성장률을 보이며 증가하는 추세
  - 고속 다량 스크리닝 세계시장은 약 20조원에 달함

[그림] 약물 효능 평가 시장 규모 비교와 고속 3차원 세포배양 관련 논문 출판 추이

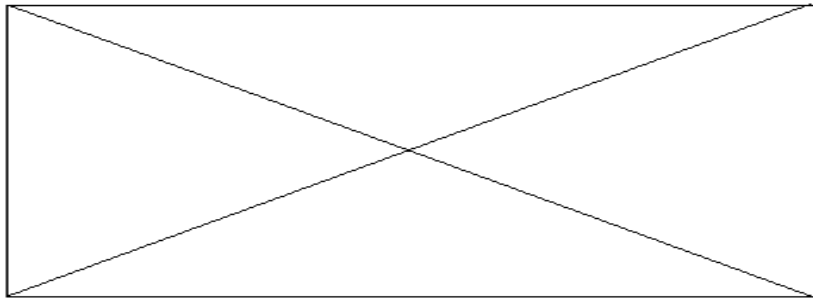


※ 출처 : Global Market For Drug Discovery Technologies And Products To Reach \$79 Billion In 2017, 2012, BCC Research

#### 4. 사회적 환경 분석

- 전 세계 공통적으로 발생하는 인구구조의 고령화 추세는 주요 각국의 재정적 부담을 증가시킬 것으로 전망
- 전 세계적인 고령인구의 급속한 증가로 인한 의료비 규모 확산
  - UN의 '세계인구전망(World Population Prospects: the 2015 Revision)'은 향후 수십 년간 전 세계적으로 60세 이상 노년층의 증가 속도가 가속화될 것으로 전망
  - '15년 9억 100만 명이었던 60세 이상 인구는 '30년 약 14억 명(56% 증가)으로 증가될 것이며, '50년에는 약 2배 수준인 21억 명에 이를 것으로 추정

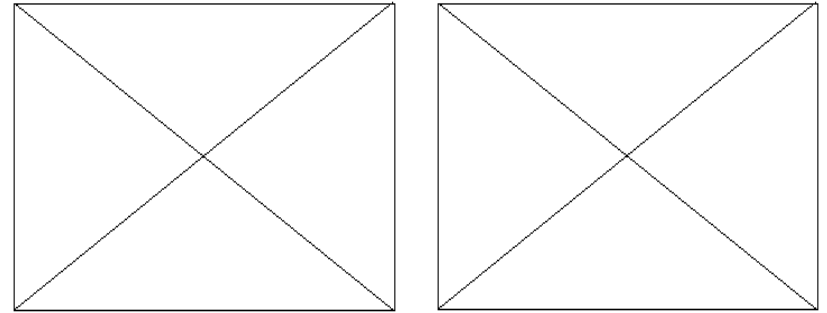
[그림] 연도별 60~79세, 80세 이상 노년층 비율  
(단위 : 백만 명, 년도)



- ※ 출처 : 글로벌 사회정책 브리프(한국보건사회연구원, '16.09)
- 고령화와 더불어 노인성 질환, 만성질환, 재발된 질병 등을 치료하기 위해 발생하는 1인당 의료비 규모의 증가는 세계 각국의 재정적 부담요인으로 작용
- 1인당 의료비는 미국이 '13년 기준으로 8천 달러(한화 약 900만원), 일본이 '14년 기준 3천 달러(한화 약 340만원)를 상회
- ※ 출처 : 글로벌 보건산업 동향 (한국보건산업진흥원, '16.05)
- 우리나라 역시 고령화 사회로의 급속한 진입이 예상되며, 노인 의료비 증가에 따른 국가의 재정적 부담에 대비할 필요 존재
- 글로벌 추세와 마찬가지로, 국내 역시 고령화의 급속한 진행이 예상됨에 따라, 노년 인구 증가에 비례하는 사회·경제적 비용(보험료, 의료비 등)이 국가 재정의 상당부분을 차지할 것으로 전망
- '14년 경상의료비\* 지출액은 전년 대비 7.7조 증가한 105조원(GDP 대비

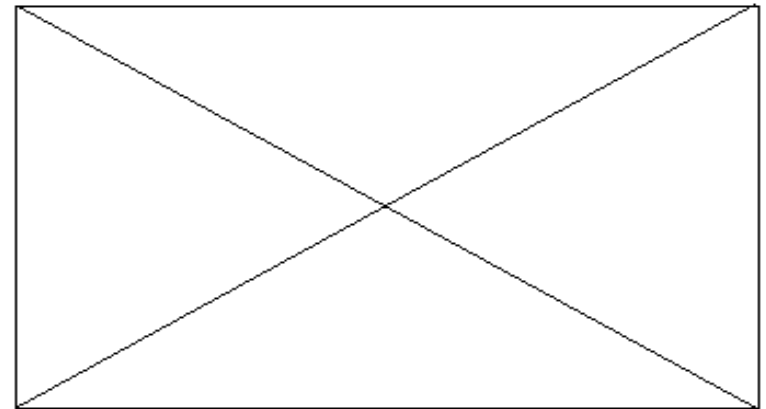
7.1%수준)으로 추정되며, 의료서비스(입원·외래, 67.2%)와 의약품(20.6%)이 전체 비용의 상당부분 비중을 차지  
\* 보건의료재화 및 보건의료서비스의 소비를 위하여 국민 전체가 1년간 지출한 총액

[그림] 재원별 경상의료비 추이      [그림] 기능별 경상의료비 구성비 추이



- ※ 출처 : 2016 보건복지통계연보 제 62호(보건복지부, '16.11)
- '15년 기준 노년부양비\*는 17.9명, 인구의 노령화 지수\*\*는 94.1명으로, '17년에 고령인구가 유소년인구를 초과할 것으로 예상되며, 노인진료비는 '14년 19조원(경상의료비의 18%)에서 '60년 최소 271조원으로 지속 증가할 전망
- \* (노년부양비) 총 인구 중 생산가능 연령(15~64세) 인구에 대한 노년인구(65세 이상)의 백분비
- \*\* (노령화지수) 15세 미만의 유소년 인구에 대한 65세 이상의 노령인구의 비율

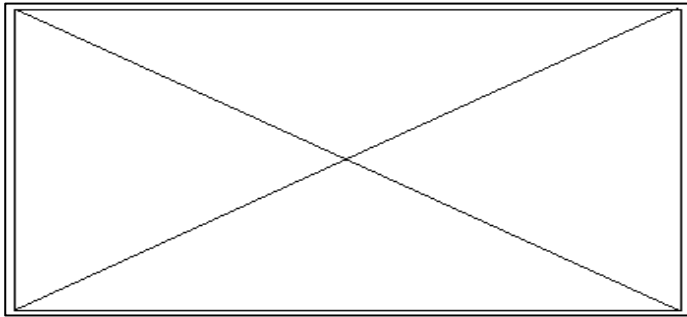
[그림] 노년부양비와 노령화 지수



※ 출처 : 2016 보건복지통계연보 제 62호(보건복지부, '16.11), 65세 이상 노인 진료비 지출 중장기 추계연구(국민건강보험 정책연구원, '15.12)

- 장기간에 걸쳐 일상 활동에 제약을 주는 장애의 치료방법 부재로, 경제활동인구 감소 및 의료비 증가로 지속적인 사회적 비용 발생
- 선천적 후천적 장애를 가진 인구 비율이 증감상태를 반복
  - '15년 기준 국내 등록 장애인 수는 2,490,406명으로 총인구(51,529,338명) 대비 약 4.8% 비중을 차지

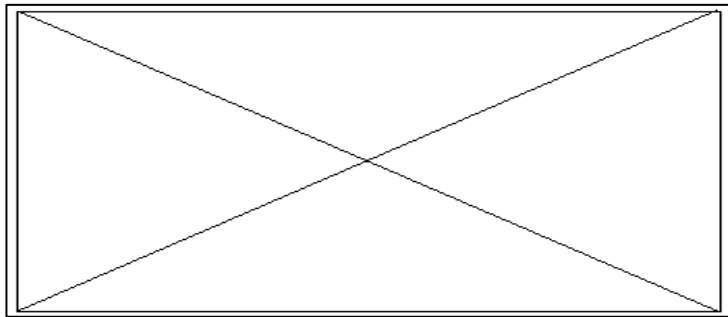
[그림] 총인구 대비 장애인구 비율-연도별



※ 출처 : 2016 장애인통계(한국장애인고용공단 고용개발원, '16.12.)

- 장애인 수의 증가에 비례하여 진료비, 노동생산성 상실비용, 공적 장애급여 등 사회적 비용이 증가 예상
- 장애의 사회경제적 총 비용은 '11년 기준으로 전년대비 약 7천억원 증가한 11조 1,366억 규모에 달하며, 최근 3년간 지속적으로 증가하는 추세

[그림] '08~'11 장애의 사회경제적 비용



※ 출처 : 장애의 사회경제적 비용 추계 및 재활의료서비스의 비용(국립재활원, '15.04), STSI 재가공

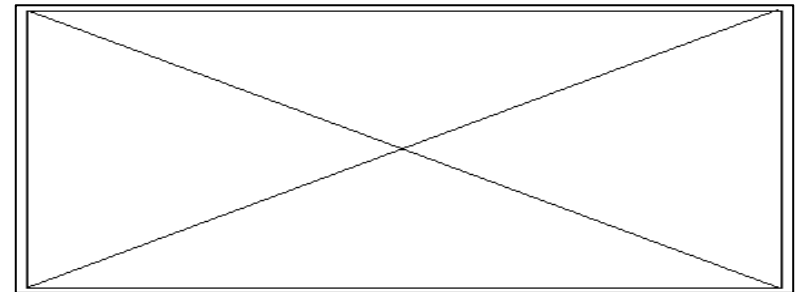
- 희귀·난치성 질환 극복 등 기대 증가로 줄기세포치료에 대한 수요는 증가하는 반면, 배아줄기세포 일부 영역에서 윤리적 문제 내포
- 희귀질환의 진단 및 치료를 위해서는 고가의 검사, 치료재료 및 의약품 등이 필요하나 낮은 수익성으로 진단 및 치료제의 연구개발에 제한 존재
  - 희귀질환의 종류는 약 6,000~8,000여종으로 알려져 있으며, 전체 인구의 약 5~6%, 세계적으로 3억 5,000만명이 질환으로 고통 받고 있는 것으로 추산

<표> 희귀·난치질환의 국가별 정의


- ※ 출처 : 희귀의약품(Orphan Drug) 시장현황 및 전망(생명공학정책연구센터, '14.09)
- 국내 희귀질환자는 '14년 기준 전년대비 약 5만명 증가한 69만4,695명으로 최근 5년간('10년~'14년) 지속적으로 증가 추세

[그림] 국내 희귀질환자 수('10~'14)

(단위 : 명)

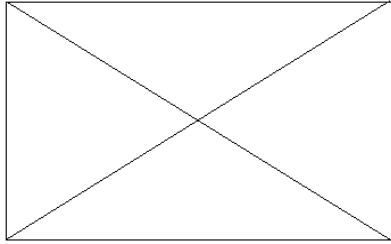


- ※ 출처 : '희귀난치성질환 70만명...사회적 관심필요'(쿠키뉴스, '16.02), STSI 재가공
- 희귀·난치성질환 전문 의사 및 임상 연구진이 부족하고, 개발된 희귀의약품은 200여 개에 불과('14년 기준)하여, 대다수의 환자들이 적절한 치료를 받지 못하는 상황
- ※ 출처 : 희귀의약품(Orphan Drug) 시장현황 및 전망(생명공학정책연구센터, '14.09)

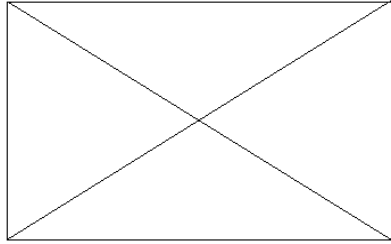
○ 희귀·난치성 질환 극복, 수명 연장 등 삶의 질 향상에 대한 기대 증가로 줄기세포·재생의료 확산에 대한 국민의 수요 증가

- 20세 이상 성인 남녀 1,000명을 대상으로 수행한 '줄기세포에 대한 대국민인식조사'를 수행한 바에 따르면, 조사 참여자 중 80% 이상이 미래 건강과, 국민의 치료 관점에서 줄기세포기술이 '필요하다'라고 응답

[그림] 본인의 미래 건강·질병치료 관점에서 줄기세포의 필요성



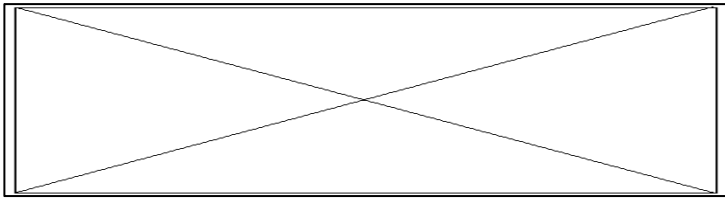
[그림] 국민의 질병치료 관점에서 줄기세포의 필요성



※ 출처 : 줄기세포 재생의료 대국민인식조사 보고서(GSRAC, '14.06)

- 줄기세포치료를 통해 가장 기대되는 효과는 '질병의 완치(정상회복)'로 나타났으며, 다음으로 '질병의 개선', '장애극복', '질병 악화 방지' 등 순으로 응답

[그림] 가장 기대하는 줄기세포 치료 효과



※ 출처 : 줄기세포 줄기세포 대국민인식조사 보고서(GSRAC, '14.06)

- 사회 각계에서 인간 생명을 경시하고 생명을 도구화한다는 비판이 제기됨

○ 사회적으로는 각종 난치병에 대한 줄기세포의 실용화 요구가 증가하는 반면, 관련 치료제의 임상적용 효과와 타당성 검증에는 장기간의 연구기간이 소요

- 검증되지 않은 무허가 줄기세포 불법기술이 난립하고, 특히 해외원정 치료 등 불법기술의 피해 발생 및 환자의 인권이 보장받지 못하는 사태 야기

※ 국내 복제 배아로부터 줄기세포를 수립하는데 성공했다는 연구 논문 조작('04년), 일본 이화학연구소의 자극 야기성 다기능성 획득세포(STAP)에 관한 연구 논문 조작('14년) 등 줄기세포 연구에 대한 부정적 인식 존재 우려

※ 알앤엘바이오는 식약청의 허가를 받지 않고 '07년부터 '10년 간 8천 명의 환자에게 1인당 약 3천만원을 받고 환자로부터 줄기세포를 채취 및 배양한 뒤 중국과 일본에서 시술

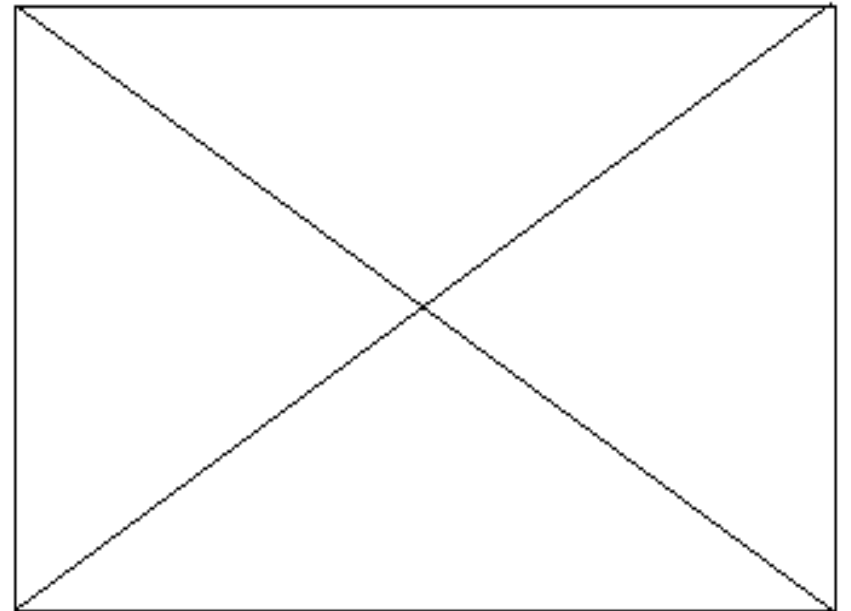
□ 인구고령화, 만성질환 증가, 헬스케어 혁신 등으로 바이오산업 급성장

○ 인구 고령화, 만성질환의 증가, 소비자 자산 증가 및 기타 인구 통계학적 변화로 인해 2016년 이후 건강관리 지출 및 생명과학 제품수요는 증가할 것으로 예상

○ 인구 고령화는 서유럽과 일본뿐만 아니라 태국, 중국, 아르헨티나와 같은 국가에서도 장기적 성장 동력이 될 것이며, 인구 고령화와 늘어난 평균 수명의 조합으로 건강수명 연장에 대한 관심 확대

○ 비만, 심혈관 질환, 고혈압 및 당뇨병은 이제 지속적으로 발생하는 흔한 건강 문제로, 이로 인해 의약품과 치료에 대한 수요 증가를 초래하고 공공보건시스템의 개혁을 요구

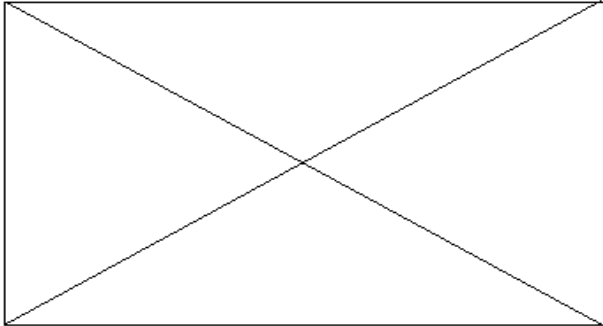
[그림] 줄기세포 미래 시나리오




□ 실험동물의 대체방안 모색 필요성 대두

- 최근 유럽 등 선진국을 중심으로 동물실험 규제가 확대되고 있으며 실험동물을 대체하고 실험실 내에서 인체와 유사한 환경을 모사할 수 있는 연구에 대한 필요성 증가
- 국내에서는 2013년부터 실시된 ‘동물보호법’과 ‘실험동물에 관한 법률’을 통해 실험동물에 대한 인도적인 동물실험이 시행될 수 있도록 법·제도적으로 보호하고 있으나 꾸준히 증가하는 실험동물의 수로 인해 동물윤리 문제 대두

[그림] 동물실험 사용 동물 수



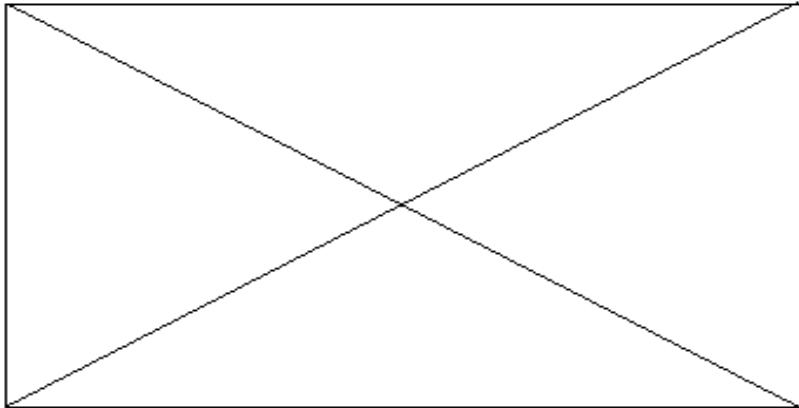
- ※ 출처: 공감신문(2018.04.11.), 작년 동물실험 308만 마리로 ‘사상 최대’...205만 마리는 극심한 고통 받아; 농림축산검역본부(2018), 2017년 동물실험 및 실험동물 사용 실태 가공자료
- 식품의약품안전처 및 국립독성연구원에서 동물실험대처법 가이드라인 제공 및 안정성평가를 대대적으로 수정하는 등 선진국 수준으로 동물복지를 개선할 뿐만 아니라 동물실험 대신 세포실험 등으로 표준화를 실시하는 추세
- 동물모델은 인체와 유사한 반응을 나타낼 수 있으나, 인체와 생리활성 및 유전적 특성이 다르기 때문에 약물 효능 시험 결과에 대한 신뢰성에 한계 존재



## 5. 기술적 환경 분석

- 건강한 삶을 영위하고, 의료비 절감이라는 시장의 요구에 대응하기 위해, 질병의 근원적 치료를 도모할 수 있는 의료기술의 패러다임 전환 필요
- 유도만능줄기세포(iPSC), 직접전환기술, 체세포복제 배아줄기세포, 3D 오가노이드 등 혁신적 성과에 따라 줄기세포 R&D 환경이 변화
- 바이오기술의 발달로 인체에 작용하는 호르몬, 효소 등을 체외에서 투입하는 것이 가능해지면서 이전까지 치료할 수 없었던 당뇨병, 빈혈, 혈우병, 성장지연 등의 질환 치료가 가능
  - 치료가 어려웠던 질환에 단백질·항체치료제가 개발되고 있으며, 맞춤의학, 재생의학으로 확대되면서 질환 치료 및 환자의 증상 개선에 대한 긍정적인 전망 제시

[그림] 미래의료 패러다임의 전환



※ 출처 : 줄기세포 현황 및 미래의료 대응전략(GSRAC, '14.06.27)

- 줄기세포를 활용한 세포치료와 유전자치료는 의료기술 활성화에 시너지효과를 내고 있음
    - 줄기세포와 세포에 도입한 유전자는 후천적인 질환뿐만 아니라 선천적 질환, 희귀·난치성 질환 치료까지 범위 확대
    - 최근 몇 년간 줄기세포기술은 기하급수적으로 성장하고 있으며, 나노 기술, 바이오 기술, 바이오 메디컬 공학 등 시너지 효과의 확산은 줄기세포제품 및 기술 도입을 가속화시킬 것으로 전망
- ※ 출처 : '재생의학 연구에 공공 및 민간 투자가 활발히 이어져'(Frost&Sulivan,

- '16.08.03.)
- 현대의 자동화, 데이터 교류 및 제조 기술을 포함하는 제4차 산업혁명은 의료 기술의 트렌드 변화를 가져올 것으로 예상
  - 산업의 플랫폼화, 기반기술과의 높은 상호보완성을 특징으로 하는 4차 산업혁명은 강력한 영향력을 행사하며, 역사적으로 큰 의미를 가질 것으로 전망
    - 주요국들은 자국이 경쟁 우위에 있는 분야를 중심으로 플랫폼을 구축하여 타 산업을 종속 시키고 글로벌 표준을 선점하는 것을 목표로 4차 산업혁명을 대비
      - (미국) 사물인터넷, 사이버물리시스템, 빅데이터의 최적 연계를 통한 클라우드 서비스를 주축으로 하여 전세계에 서비스를 제공, 미국 주도의 산업 플랫폼과 표준화를 실현
      - (독일) 3D 프린팅, 사물인터넷, 센서 기술, 인공지능 등을 제조업 생태계에 도입하여 공장, 소비자, 연구·개발자를 최적으로 연결하여 근본적인 혁신을 구현
      - (일본) 경제활동인구 감소 등 일본이 직면한 문제를 해결하고 4차 산업혁명에 대처하기 위한 리얼 데이터 활용을 중심으로 하는 전략을 수립 중
        - ※ 산업구조심의회에 '신산업구조부회'를 출범('15.08.)하여 관계 부처와 함께 '새로운 산업 구조 비전' 수립을 위한 검토를 진행 중
      - (중국) 제조 2025를 수립하여 제조업 고도화와 소프트 인프라(인터넷 플랫폼, 유통물류)를 통해 인터넷 플러스 개념
    - 우리나라는 4차 산업혁명 시대의 9대 혁신 기술로 빅데이터, 자동화 로봇, 시뮬레이션, 수평·수직적 소프트웨어 통합, 산업 인터넷, 사이버 보안, 클라우드, 3D 프린팅, 증강현실 등이 논의 중
  - 세계경제포럼('15년)에서 4차 산업혁명의 티핑포인트\*가 될 기술과 예상년도를 제시하였으며, 다수의 기술이 보건의료 분야와 관련성 존재
    - \* 말콤 글레드웰이 만든 새로운 용어로 균형을 유지하던 상태에서 균형을 깨고, 한순간에 전파되는 극적인 순간을 의미

<표> 4차 산업혁명의 티핑포인트



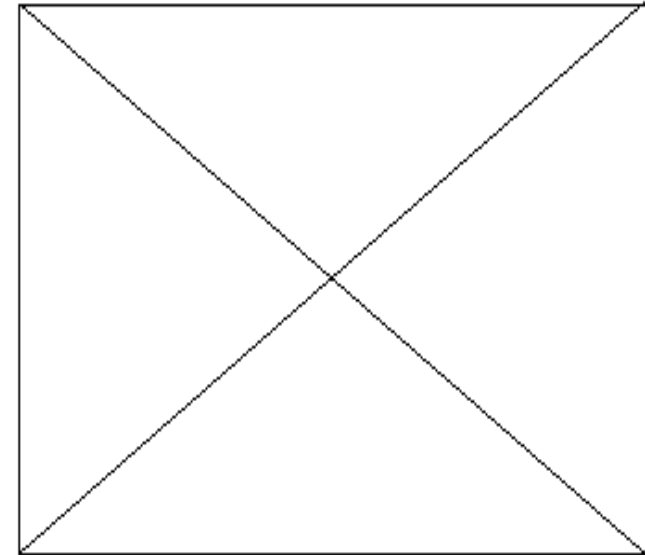
세포로 분화 유도, 분화된 세포의 분리, 세포 대량증식, 암 발생 억제, 면역 거부 반응 억제, 이식된 세포의 장기적인 생존 등 수많은 기술적 장벽 존재

□ 줄기세포 기술은 생체조직공학 및 바이오 인공장기 등의 분야로 활용 범위 확장

○ 환자의 줄기세포를 배양하여 실제 장기의 구조와 기능을 모사하는 오가노이드 기술\*이 새로운 방법론으로서 각광받기 시작

\* 실제 장기의 조직 또는 기관의 형태와 기능을 재현할 수 있는 작은 배양체로, 줄기 세포나 장기 특이적 기원세포로부터 분리한 세포를 3차원 배양법으로 응집하거나 재조합시켜 만든 세포 집합체

[그림 ] 오가노이드 형성과정과 활용분야



※ 출처 : Kanaster and knoblich, S.(2014), "Organogenesis in a dish: Modeling development and disease using organoid technologies".

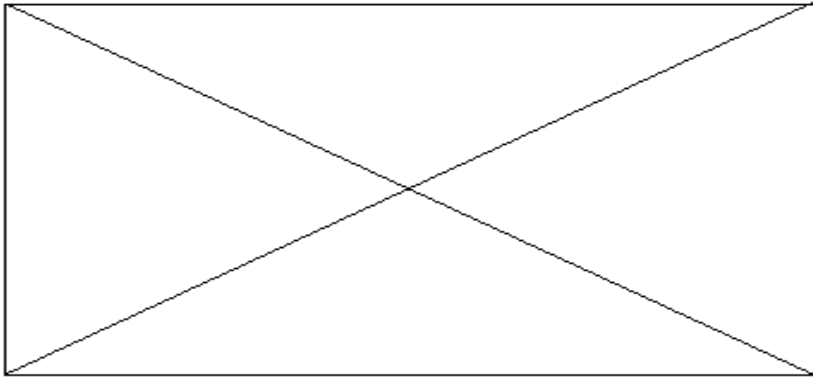
○ 오가노이드 기술은 인간의 발생과정 및 질병 발병 기전에 대한 심층적 이해, 신약개발 시 약물의 효능·효과성, 안전성 검증을 위한 플랫폼 구축, 손상된 장기의 치료·재생을 위한 인공장기 개발 등에 활용 가능

- 조직 이식 시에 주변 기관 및 환경과의 상호작용, 약물에 의한 영향 등의 연구에서 생체 보다 간단하면서도 기존의 2차원 또는 3차원 배양법보다 훨씬 생체와 유사하여 정확한 결과를 도출 가능

- 특히, 암환자로부터 얻은 줄기세포로 형성한 오가노이드를 활용하여 개인의 유전적 차이를 반영한 항암제 약물 효과검사 가능

- 체외에서 배양한 줄기세포를 이용하여 각막, 연골, 피부, 혈관, 간, 심장 등 인간 생체의 장기와 같은 기능을 갖는 인공 조직이나 장기를 만들어 이식하는 기술인 생체조직공학, 바이오 인공장기 등은 줄기세포를 활용한 궁극적인 치료 방법 중 하나로 기대

[그림] 만능 줄기세포에서 형성된 여러 오가노이드



※ 출처 : Clevers.(2016), "Modeling development and disease with organoids"

- 장기유사체 기술의 발달로 이를 활용한 재생치료에 대한 기대감이 증가하고 있으나, 효능에 대한 안전성이 확보되지 않아 기술적 진보가 필요함
  - 장기유사체를 효과적으로 활용할만한 분야로는 질환모델로써, 신약개발 단계에서 체외평가 분야임
  - 신약개발에서 생체 내 효능과 대사안전성, 흡수도, 독성등의 평가는 주로 설치류를 활용하였으나, 평가 시 종 간 차이에 따른 한계점으로 지적되고 있음
  - 최근 장기유사체 기술은 종 간 차이의 한계를 극복할 수 있는 대안으로 주목받고 있음
- 장기유사체를 활용한 체외평가를 위해서 인체를 모사하는 생체모사 배양 시스템을 개발하여 약물 대사 및 독성평가에 활용하고자 하는 시도가 국내외적으로 진행되고 있음
- 최근 줄기세포 기반의 개인 맞춤형 질환 모델링을 신약개발에 활용하는 연구가 확대되는 추세임
  - 질환 모델링 연구는 미국 중심에서 유럽, 일본 등의 추격, 중국의 약진으로 전 세계적으로 경쟁이 심화되고 있음

- 오가노이드 제작 원천 기술이 발달하여 신경, 간, 망막 등 주요 장기를 구성하는 세포 유도 성공에 따른 개인 맞춤형 질환이 가능해질 전망이다

<표> 오가노이드 관련 국외 연구동향

연도	연구동향

- 차세대 줄기세포 치료제, 질환모델링, 3D장기 등 재생의료, 융합·플랫폼산업 원천기술 개발이 줄기세포 산업 선도화의 관건
- (차세대 줄기세포치료) 줄기세포 제작치료 기술 진보로 환자 맞춤형 치료 및 만성 희귀난치질환 치료 가시화
  - iPSC 제작기술 발달, 체세포복제 배아줄기세포의 잇따른 제작 성공으로 맞춤형 줄기세포치료를 위한 R&D 기반 조성
    - ※ iPSC 제작은 초기기술의 단점(암유발, 저효율 등)을 극복할 수 있는 신규 기술 개발이 추진 중이며 현재 임상 가능한 수준으로 도약('14.9, 일본 최초 임상 추진)
    - ※ 성인 남성의 피부 체세포와 난자를 결합시켜 세계에서 2번째로 체세포복제 배아 줄기세포주 확립('14.4, 국내 차병원)
  - 직접전환기술, 체내 줄기세포 재생 등 신기술을 활용한 차세대 줄기세포 치료기술개발 연구도 활발
    - ※ 직접전환기술을 통해 인간의 체세포를 간세포, 신경세포 등 다양한 세포로 직접 전환시키는 연구 활발('15.5, 미국스탠포드의대, 인간피부세포를 신경세포로 바로분화)
    - ※ 이식을 통한 외부 줄기세포 주입 방식에서 내인성 줄기세포 자체의 체내 재생을 통한 질병 치료 및 건강관리 기술개발 관심 증대
- (질환모델링) 줄기세포는 인체모사 가능성을 보유한 혁신적 연구재료로써 질환기전 규명, 신약 후보물질 스크리닝 등에 활용 확대
  - 줄기세포 기반의 질환모델링 기술을 활용하여 기존의 동물모델수준에서 인간모델 수준으로 생명현상 연구 가능
    - ※ 줄기세포에 유전자 가위기술을 적용하여 파킨슨병 질환모델 제작('11, 미국 MIT)





- 기존 기술과는 차별화되는 신규 줄기세포 제작기술, 특정 세포로의 직접전환, 체세포 복제 만능줄기세포 확립 등 차세대 줄기세포 원천기술 확보 경쟁 심화
  - \* 7개 저분자 화합물 조합을 통해 유전자 삽입 없이 오로지 화합물만을 사용한 mouse iPSC 제작 성공(베이징대, 2013)
  - \* 인간 피부세포를 iPSC로 되돌리지 않고 직접전환 기술을 이용해 내배엽 세포로 만든 후 성숙한 간세포로 분화(글래드스톤연구소, 2014)
  - \* 세계 최초 체세포 복제 기술을 통한 인간만능줄기세포 확립(오리곤대, 2013)
  - \* 확장심장근육병 환자 유래 iPSC에서 심장세포 개발 및 이를 활용한 환자 맞춤형 치료법 개발(스탠퍼드 심혈관연구소, 2015)
- 줄기세포 분야 단일 기술에서 생체재료 혼합이식, 유전자 교정 줄기세포 치료, 나노기술 등과의 융합연구를 통한 신규 치료기술 연구 확대 추세
  - \* 다공성 하이드로겔에 중간배엽줄기세포를 고정시킨 후 이식하여 뼈 재생력 증진(하버드대, 2015)
  - \* CRISPR/Cas9 유전자 가위를 이용한 형질전환 인간 전분화능 줄기세포 제작(위스콘신대, 2015)
  - \* 나노섬유 스캐폴드를 이용한 줄기세포 후성유전체 특성 조절 및 역분화 효율 증진(캘리포니아대, 2013)
  - \* 유전자 재조합 기술 기반 수용성 TGF-beta receptor 분비 간엽줄기세포로 방사선에 손상에 의한 폐 섬유화 치료 유효성 확인(서천 대학교, 2012)
  - \* 간엽줄기세포 분비 단백질 (TSG-6) 치료를 통한 상처 치유 증진 및 섬유화 억제 효과 확인(Ulm 대학교, 2014)

□ 줄기세포치료제 산업화 생산 시스템 개발 증가

- 줄기세포치료제 임상 시험 및 품목 허가 증대 등 산업화 촉진에 따라 생산 공정의 대량화 및 자동화 기술개발 활발
  - \* 줄기세포 관련 기술의 발전에 따라 Bio-reactor 등과 같은 3차원 대량증식 시스템 및 기술 요구 증대 예상
  - \* 임상에서 규제 당국의 기준에 적합한 환자 자가세포치료제의 효율적인 생산·관리를 위해 특화된 자동화/closed 생산 시스템 구축(미국 Vericel사)
  - \* 국제줄기세포학회에서 산업체의 세포배양 자동화 시스템 제품 발표 증가 추세(2015 ISSCR)
- 유전자치료제, 단백질, 항체 등 타 바이오 의약품 생산 인프라를 이용한 생산 플랜트, 세포 बैं킹, 생산 및 품질 분석 용역 서비스 활용 증대 추세

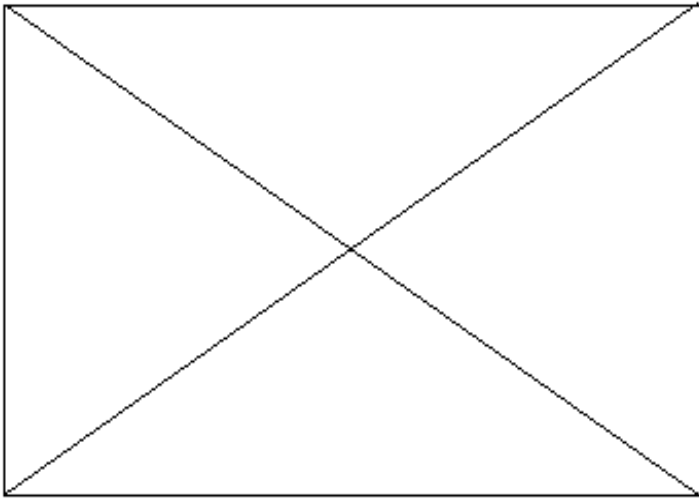
□ 제품화 가능 수준에 다다른 성체줄기세포 중심의 치료기술 연구가 가장 활발하며 배아줄기세포, iPSC를 이용한 치료기술 연구 증가 추세

- 제대혈줄기세포, 중간엽줄기세포, 지방줄기세포, 신경줄기세포 등을 이용한 줄기세포치료제 치료 유효성 연구 및 적용 질환 확대 연구 추진 중
  - \* 무릎 연골 손상과 기관지폐이형성증 줄기세포치료제 미국 상업용 임상 2건 진행 중, 알츠하이머 줄기세포치료제 국내 임상 1/2a상 진행 중(메디포스트, 2014)
  - \* 알코올성 간경변, 중증하지허혈과 발기부전 환자의 줄기세포치료제 국내 임상 1상(파미셀)
  - \* 크론성 치루로 인한 누공에 자가 지방줄기세포치료제 주입 결과 치료 효과 확인(서울아산병원 유창식 교수팀, 2015.4)
- 배아줄기세포 및 iPSC를 이용한 차세대 줄기세포치료제 연구 성과 창출
  - \* 성인 체세포를 이용한 인간 체세포 복제 배아줄기세포 확립 성공 및 효율 향상(차병원, 2015.10)
  - \* 배아줄기세포 유래 망막치료제 임상 중간 결과, 황반변성 환자 시력 개선 확인(차바이오텍, 분당차병원 송원경 교수 공동연구팀, 2015.5)
  - \* ‘취약X증후군’ 환자의 iPSC를 기반으로 치료 가능성 발견(연세대 의대 김동욱 교수팀, 2015.10)
- 우리나라는 세계 최초 줄기세포치료제를 출시하는 등 가시적 성과를 도출하였으나, 기술력 격차의 심화로 선진국에 점차 뒤처지고 있는 실정
- '11년 파미셀이 ‘하티셀그램-AMI’를 세계 최초 출시한 이래로 국내 상용화 제품이 전 세계 줄기세포치료제의 약 57%(총 7건 중 4건 : '16.04 기준) 비중을 차지

## 6. 법제도적 환경 분석

- 세계 주요국은 신기술 유망분야인 줄기세포 주도권을 확보하기 위해 법·제도 정비에 속도

[그림] 주요 국가 줄기세포 연구를 위한 법·제도 현황



### □ 미국

- 줄기세포 산업화 촉진 및 치료기술의 신속한 보급을 위한 규제완화 등 법·제도 개선
- 인간 배아줄기세포 연구비 지원에 대한 연방정부의 규제 폐지('09), 인간 배아줄기세포를 이용한 임상시험 최초 승인('10.10) 등 안정적인 인간 배아줄기세포 연구 활성화를 위해 규제 완화
- 의약품 허가 지원제도 및 관련 법률의 입법을 통해 조직재생기술을 활용한 제품의 조기 상용화를 지원
  - 줄기세포 관련 치료제를 포함한 의약품 전반에 대하여, 의학적 필요도에 따라 개발·심사·허가를 지원하는 프로그램 운용
  - '16년 대안적 치료방법이 없고 심각하거나 생명을 위협하는 질병에 대해 예외적인 허가절차를 통해 임상승인 절차를 단축하는 조건부 승인제도 적용을 포함하는 '복지증진을 위한 재생의료선택의 신뢰 가능하고 효과적인 성장

(REGROW Act, Reliable and Effective Growth for Regenerative Health Options that Improve Wellness Act)' 법안 발의

<표> 미국의 의약품 허가 지원제도


- ※ 출처 : 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016(식품의약품안전처, '17.04.19)
- 1) Irreversible Morbidity or Mortality
  - 2) Acute Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy : 급성 염증성 탈수초성 다발성 신경병증(길랭-바레 증후군, 회귀 난치질환의 일종)
  - 3) Priority review voucher : FD&C Act section 524(a)(3) 및 (a)(4)에 정의된 특정 열대질환의 치료·예방을 위한 의약품, FD&C
  - 4) Rolling review 허가에 필요한 서류가 모두 구비되기 이전에도 준비된 항목부터 순차 접수 가능
- 국립보건원(NIH), 식품의약품청(FDA), 질병관리본부(CDC)를 주축으로, 줄기세포치료제 분야의 제품개발·승인 규제 개혁을 주요내용으로 하는 21세기 Cures 법안 발효('16.12)
    - \* (주요내용) ① 고위험, 고부가가치 연구, 신규연구자를 위한 연구 등 각종 생물학 연구 지원, ② 생물의학연구를 위한 체계적 전략을 수립·시행, ③ 해당 법안에 명시된 사항을 수행하기 위한 NIH and Cures Innovation Fund 설립



□ 유럽

- 줄기세포치료제 등 세포치료제와 유전자치료제, 조직공학체제를 첨단의료제품 (Advanced Therapy Medicinal Products)라는 개념의 제품(Product)으로 정의
  - 줄기세포치료제를 이용한 치료를 ‘의료행위’가 아닌 ‘제품’으로 보고 품질, 안전성, 유효성 등을 검증하는 방향으로 검증
- 희귀·난치성 질환에 대한 의학적 수요를 해결하기 위하여, 다양한 지원 프로그램을 운용함으로써 첨단제제 및 의약품의 신속한 상용화를 도모
  - 미 충족 의학적 수요에 대응하고, 관련 의약품 개발을 활성화하기 위해 첨단제제의 개발 및 신속개발 지원제도(PRIME, PRiority MEDicine)를 신설 운영

<표> PRIME 제도의 주요 내용


※ 출처 : 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016(식품의약품안전처, '17.04.19)

- 기존 치료법으로 충족되지 않는 의학적 수요 등에 대해서는 다양한 의약품 허가 지원제도 존재
  - 첨단제제의 인허가 신속 심사 지원제도(PRIME, PRiority Medicine)이나 신속심사 (Accelerated Assessment), 조건부승인(Conditional marketing approval), 동정적 사용(Compassionate use) 등을 도입함

<표> 유럽의 의약품 허가 지원제도


※ 출처 : 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016(식품의약품안전처, '17.04.19)

- PRIME제도, 신속심사, 조건부승인, 동정적 사용 등 허가 지원제도를 통하여 희귀·난치질환 의약품의 조기 상용화 실현을 지원
- 세포치료제, 조직공학체 등에 대해 ATMP(Advanced Therapy Medicinal Product, 첨단치료제제)로 구분하여 기본의 의료법·약사법에서 분리
  - ‘Regulation 1394/2007/EC’를 제정하여 첨단치료제제를 정의하고 허가 및 사용에 대하여 규율
  - 첨단치료제제는 EMA의 심사를 받도록 하는 중앙집중적 허가제 시행
    - ※시판허가와 사용허가 : Directive 2001/83/EC의 Article 5를 통한 ‘Specials’& Regulation 1394/2007/EC에서 규정된 ‘Hospital exemption(병원내 신속적용제도)’를 통해 첨단의료품을 개발하는 병원 및 중소기업을 지원

- 다만, 대체 치료법이 없으면서 생명을 위협하는 질환 등에 대해 승인 받지 않은 첨단제제라도 동정적 사용의 형태로 투여가 가능하도록 하는 병원면제 제도를 허용
  - 이를 통해 치료방법이 없는 환자에 대해 EMA의 중앙허가절차 없이 환자 개인이 줄기세포치료를 이용할 수 있는 치료 접근권을 보장

□ 일본

- 재생의료안전확보법 시행을 통해 줄기세포를 포함한 첨단의료제제의 신속한 시장진입을 촉진
  - 일본의 '재생의료 안전성 확보에 관한 법률'은 국내에서 발의된 '첨단재생의료의 지원 및 안전관리에 관한 법률안'에 많은 부분에서 영향 제공
- '의약품, 의료기기 등의 품질, 유효성 및 안전성 확보 등에 관한 법률(구 약사법)' 시행을 통해 재생의료 등 제품 정의와 조기승인 시스템 도입
  - 약사법에 의약품, 의료기기 외에 '재생의료 등 제품'을 신설하여 재생의료에 대한 조기승인 제도 도입('13.11)
  - 재생의료 제품은 승인조건과 기한이 명시되어 있으며, 조기 승인 및 시판후 지속적인 안전성과 유효성을 모니터링 한 후, 승인지속/승인취소를 결정
- 민간 의료기관 출시제품을 이용한 의료행위 3단계 심사를 거쳐 지방 후생국 신청 의무화
- 일본은 줄기세포기술 개발 및 상용화를 위해 여타 선진국에 앞서 제도적·법률적 지원 기반을 마련
  - ※ 문부과학성, 후생노동성, 경제산업성 등 예산의 통합관리를 통한 R&D 관리의 효율화
  - 줄기세포 연구 활성화의 지원 기반을 마련하기 위한 관련 법률을 지속적으로 정비

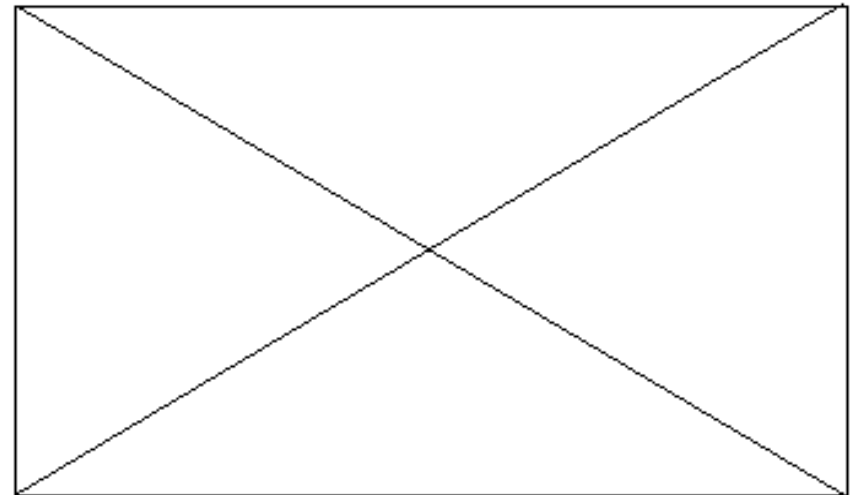
<표> 일본의 줄기세포 관련 법률 정비 현황



※ 출처 : 줄기세포치료제 국외 규제 정보집(식품의약품안전처, '16.06

- 기존 약사법 상 줄기세포치료제는 의약품으로 분류하고 있으나, 조건부 승인 제도를 통해 병·의원에서 허가받지 않은 줄기세포치료제라도 의사 책임 하에 시술 허용
  - 줄기세포치료가능병원을 지정 운영하고, 의사 판단하에 임상 없이 환자의 동의를 얻어 줄기세포치료를 시행할 수 있으며 보험처리도 가능
  - 일정 정도의 안전성이 있다고 판단될 경우 승인을 받아 판매가능하고 이후 유효성 확인

[그림] 일본의 재생의료 규제 구조의 비교



※ 출처: 김장환(2016), 해외 줄기세포 관련 규제, 줄기세포 등 첨단 재생의료분야 최신 연구동향 및 최신기술, 한국생명공학연구원

- '재생의료 안전성 확보에 관한 법률('15. 11 시행)'에 따라 인체에 대한 3단계 위험도 수준에 따라 첨단재생의료심의위원회 심의 또는 복지부 장관 승인을 선택적으로 받도록 제한

- 동 입법의 목적은 안전성 확보와 규제 강화에 있으며, 해당 법률을 통해 승인한 줄기세포 치료제만 시술할 수 있도록 제한하여 한국의 '생명윤리 및 안전에 관한 법률'에 비해 안전성에 대한 검증이 엄격\*

\* 후생노동성이 '17년 6월에 동 법률에 따라 '주식회사 생명과학연구소'의 시설에 대한 현장검사를 실시한 결과 특정세포가공물의 제조 허가를 받지 않고 제조를 실시하여 법률을 위반한 것으로 파악되어 제조의 일시정지를 명하고 환자의 건강피해 발생상황 보고를 요구하는 등 조치를 취함

- 다만, 후생노동성의 안전성 및 유효성 기준을 통과할 경우 7년 이내에서 조건기한부 승인으로 임상 3상 이전에 치료가 가능

□ 중국

○ 중국은 중국 식품약품감독관리총국(CFDA)에서 시판용 줄기세포치료제의 심사와 허가, 국가보건가족계획부(NHFPC)에서 시술로 이루어지는 치료에 대한 관리 감독을 담당

- 중국은 기존에 국가규제를 준수하지 않고 입증되지 않은 무허가 제제 및 시술로 인한 환자의 안전에 대한 우려 제기
- 명확한 규제도 부족하여 임상시험이 무분별하게 시행된 측면이 있으나 역설적으로 규제에 따른 제약을 피해 다양한 연구개발이 가능
- 2015년에 CFDA와 NHFPC가 발표한 법안에서 입증되지 않은 줄기세포제제의 활용 범위 및 임상 실시기관의 요건을 명확히 하는 법안 발표

○ 줄기세포의 임상 사용을 위한 지침을 담은 '줄기세포 임상시험 연구 관리방법', '줄기세포 임상시험 연구기지 관리방법'과 '줄기세포 제제 품질관리 및 전임상 연구 지도원칙' 등을 발표

- 이에 따라, 줄기세포를 임상적용하려는 병원은 정부가 승인한 배아줄기세포 주만 이용 가능하며, 병원 내 심의 절차를 통과 필요

□ 우리나라는 관련 법규의 준비를 위한 노력을 기울이고 있는 상황

○ 황우석 교수의 논문 조작 사건 이후, 윤리적 논란이 적은 성체줄기세포 분야 연구에 집중해왔으나, 배아줄기세포를 이용한 연구는 난자 사용에 대한 규제(생명 윤리 및 안전에 관한 법률)로 인해 윤리성은 강화되었으나 연구에 제약을 받고 있는 실정

- 줄기세포와 관련된 배아 및 줄기세포 연구에 관한 입법으로서 '생명윤리 및 안전에 관한 법률' 제정 및 시행('05.01)

- 줄기세포와 관련된 연구와 관련된 안전성 및 윤리성을 담보하기 위해 '생명윤리 및 안전에 관한 법률'의 지속적인 개정 실시

※ '생명윤리 및 안전에 관한 법률'은 인간과 인체유래물 등을 연구하거나, 배아나 유전자 등을 취급할 때 인간의 존엄과 가치를 침해하거나 인체에 위해(危害)를 끼치는 것을 방지하는 것이 목적

<표> 생명윤리법 주요 개정내용


※ 출처 : 식품의약품안전처('17.04.19), 줄기세포치료제 개발 및 규제 동향 2016

○ 한편, 논문 조작 이후 중단되었던 체세포 복제 배아 연구가 재개될 여지 존재

- 국내 줄기세포 연구에 대한 규제로 인해 완화된 규제환경과 정부차원의 적극적 지원을 받고자 국외에서 연구를 수행하는 사례가 발생

※ '05년 차병원원 미국 LA에 줄기세포연구소를 설립, '07년 차병원 미국 재생의학 연구소(CHA-RMI)는 줄기세포 연구비를 확보(약 24억원)하기 위해 캘리포니아주에서 배아줄기세포연구를 수행

- 최근 국가생명윤리심의위원회는 차의과학대학교에서 제출한 체세포 복제 배아 연구계획을 조건부 승인('16.05)

※ 연구용 난자만 사용해야 한다는 조건 하에서 시신경 손상, 뇌졸중 등 환자를 치료할 수 있는 체세포 복제 방식의 배아 줄기세포 연구를 허용

- 2017년부터 과기정통부와 복지부를 중심으로 22개 난치성 유전질환 중심으로 한정된 배아줄기세포 연구 대상 질환 제한을 없애고 신의료기술의 경우 선 인증 후 3~5년 뒤 진료 데이터로 재평가하는 방안 등 생명윤리법 개정을 통한 규제 완화 추진 중

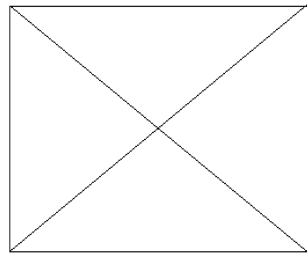
○ 줄기세포 분야의 연구 활성화를 도모하기 위해 관련 규제 완화 및 신규 입법 등 법·제도적 개선을 시도

- 자가줄기세포의 인허가 규제 완화를 위해 '줄기세포 등의 관리 및 이식에 관한 법률안'을 발의('12.08)
- 개인의 유전적 특성에 적합한 치료 활성화를 위해 '유전체를 활용한 맞춤 의료기술개발 촉진법안'을 발의('13.05)
- 규제장관회의를 통해 세포치료제와 유전자 치료제와 같은 첨단 의료제도에 대한 인허가 규제 개선 방안을 발표('15.11)
  - 유전자치료제의 대상 질환을 확대시키는 등 일부 규제 완화('15.12)
- '첨단재생의료의 지원 및 관리에 관한 법률안'을 발의하여 현재 국회에 상정되어 발의 중('17.01 기준)
  - (주요내용) 줄기세포 등을 이용하여 첨단재생의료를 실시할 수 있는 근거 명확화, 의학적 안전성·적정성이 담보되는 범위 내에서 환자 치료에 활용될 수 있도록 지원·관리 체계 구축 등

□ 줄기세포 연구 개발의 제도적 장치의 문제점

- 국내에서는 대부분 대학을 기반으로 한 벤처 기업들이 주를 이루고 있음
    - ※ 최근 3년('12~'14년) 동안 전체 바이오 분야에서 대학의 연구참여비중은 41%이나 줄기세포 분야에서는 70%로 대학에서의 연구활동이 활발
- [그림] 국내 줄기세포 분야 수행주체별 정부투자 현황('12~'14, 단위 : 억원)

연도	수행주체별 정부투자 현황 (억원)			
	대학	벤처기업	중소기업	대기업
'12				
'13				
'14				



※ 줄기세포 국내외 동향, 한국생명연구원

- 줄기세포의 실용화를 위해 국내외적으로 일부 세포치료제의 임상시도가 이루어지고 있으나, 안정성과 기술적 측면에서 극복해야 할 어려움이 존재함

- 생명윤리법, 제대혈관리법, 약사법 등 다양한 법률 존재로 인해 연구자의 혼란 야기

- 규제 및 처벌 위주의 법률로 인해 연구자의 이탈 및 연구발전의 저해요인으로 작용

□ 줄기세포치료제의 품목허가와 제품화 지원을 위하여 식약처에서 줄기세포에 관련한 가이드라인을 발간

- 품목허가제도가 없어 기존의 일반적인 의약품과 동일한 수준의 절차를 거쳐 품목허가 실시 중이나, 줄기세포를 포함한 첨단바이오제제의 성격과 규제방향이 일치하지 않음
  - ① 식약청장의 승인을 받은 치료목적, ②응급임상으로 임상시험 이전에 사용 가능하며, ③회귀의약품으로 지정된 경우 의 경우 2상 이후 3상을 실시를 조건 등으로 예외적으로 품목허가전 사용가능

□ 바이오산업의 육성과 글로벌 경쟁력 향상을 위한 첨단바이오의약품 제정 계획

- 첨단바이오법의 핵심은 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학체제, 첨단바이오융복합제제를 첨단바이오의약품으로 분류하고 해당제품 특성에 맞게 안전관리와 허가 지원을 할 수 있도록 함
  - 첨단바이오의약품 안전관리는 원료단계에서 첨단바이오의약품 제조시 원료로 사용되는 조직·세포 취급에 대한 안전성과 윤리성을 확보하고 사용단계에서 투여한 세포, 유전자가 인체에 미치는 영향에 대해 장기추적 조사를 실시하는 내용 등이 포함

※ 출처: 첨단바이오의약품법 국회서 쿨쿨, 바이오산업 국제경쟁력 뒤편, <http://yaku.p.com/news/index.html?mode=view&nid=220702>

## 7. PESTL 분석

핵심이슈 도출

--	--

### 제3절 국내 R&D 역량분석

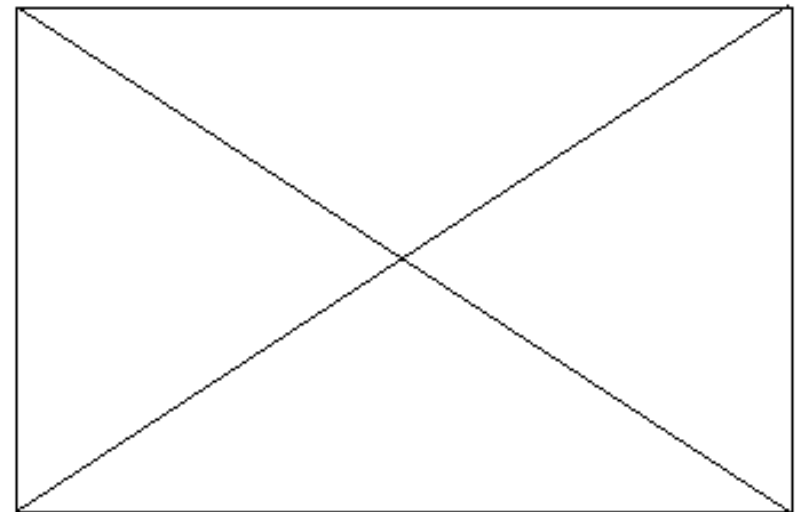
#### 1. R&D 투자현황

##### 1) 줄기세포·조직재생 기술개발사업 총괄 투자 현황

- '09년에서 '15년까지의 전체 R&D 연구비 총 합계는 110조 2,845억원으로, 그 중 바이오분야 총 연구비는 20조 347억원, 줄기세포분야의 총 연구비는 7,024억원으로 조사됨
- 7개년 동안의 R&D 전체에 대한 총 연구비는 '09년부터 '15년까지 꾸준히 증가하였으며, 바이오분야의 연구비 역시 '15년까지 꾸준히 증가세를 유지함
  - 줄기세포분야의 연구비도 바이오분야의 추이와 같았으며, 특히 '12년에 큰 폭으로 증가
- 7개년 동안의 R&D 전체에 대한 총 과제 수는 32만 9,177건으로, '09년부터 '15년까지 매년 꾸준히 증가하였음
  - 그 중에서 바이오 전체 총 과제 수는 10만 6,677건(32.4%), 줄기세포분야 총 과제 수는 4,535건(1.4%)으로 나타남

[그림] 연도별 투자비 추이('09~'15)

(단위: 억원)



[표] 바이오 및 줄기세포분야 총괄 투자현황('09~'15)

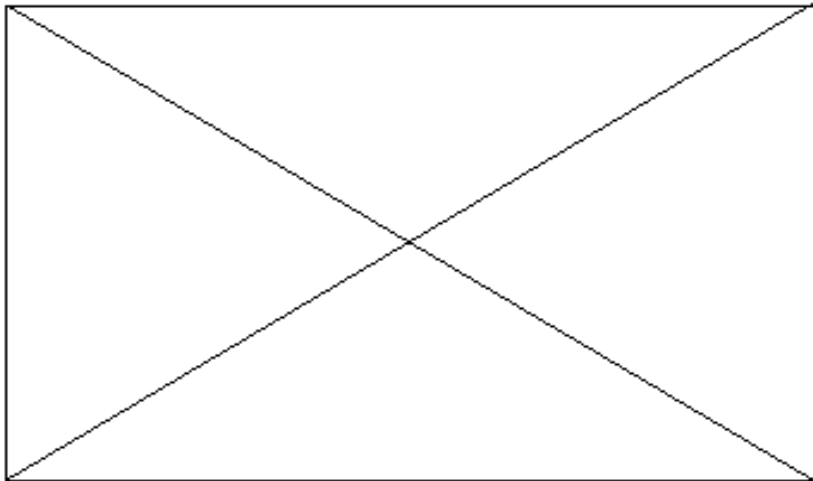
(단위: 억원, 개, %)



- 최근 4년간 정부부처별 줄기세포분야 투자는 과학기술정보통신부가 44.5% (2,265억원)을 투자하여 11개 부처 중 가장 높았음
- 다음으로 보건복지부가 38.8%(1,972억원)이 차지하였으며, 과학기술정보통신부와 보건복지부가 전체 줄기세포분야 투자비의 83.3%(4,237억원)를 차지함

[그림] 줄기세포분야 정부부처별 투자현황

(단위: 억원)



[표] 줄기세포분야 정부부처별 투자현황

(단위: 억원, %)



※ 정부부처별 투자현황은 부처개편에 따라 최근 4년간('12년~'15년) 투자비를 기준으로 작성

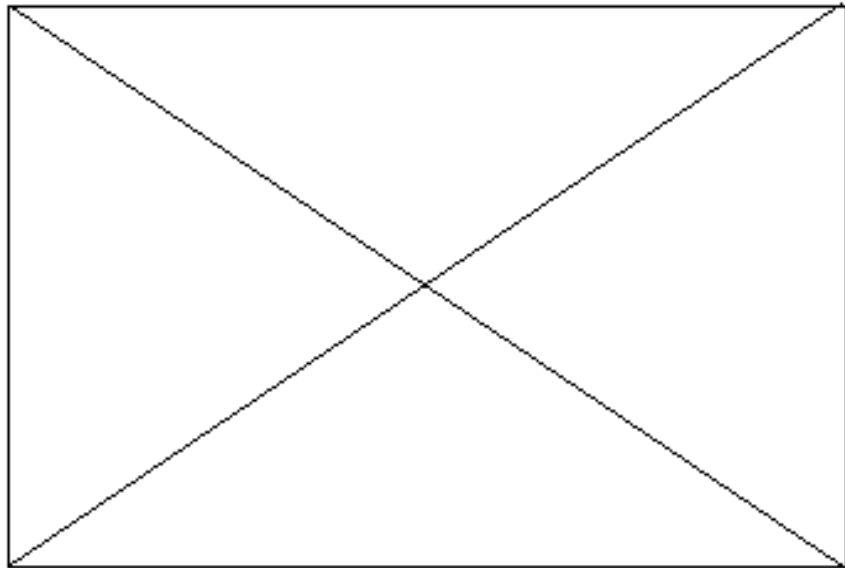
2) 줄기세포분야 분석항목별 투자현황

□ 연도별 투자현황

- 7개년 동안의 바이오분야 총 연구비 합계는 20조 347억원으로 집계되었으며, '09년 대비 '15년 연구비는 65.6% 증가함
- 줄기세포분야의 연구비는 바이오분야 연구비 대비 '09년에 7.1% 수준에서 '12년 17.9%까지 상승하였다가, '13년을 기점으로 유지하는 경향을 보였음

[그림] 연도별 투자추이('09~'15)

(단위: 억원)



[표] 연도별 투자추이('09~'15)

(단위: 억원, %)

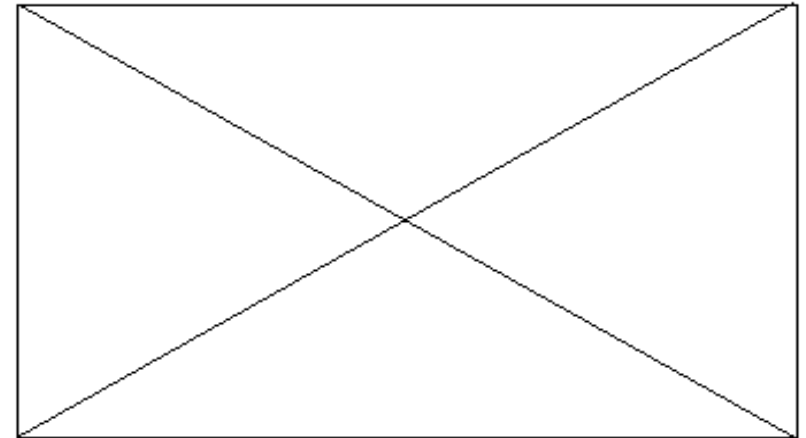


□ 연구단계별 투자현황

- 바이오 전체에 대한 연구비의 경우, 기초연구에 대한 연구비가 7조 1,719억 원(35.8%)으로 가장 많이 차지하고 있으며, 다음으로 개발연구에 의한 연구비 4조 8,618억 원(24.3%), 다음으로 응용연구에 의한 연구비 3조 4,152억 원(17.0%)로 순으로 나타남
- 줄기세포분야에서는 기초연구에 대한 연구비가 3,580억 원(51.0%)로 전체 연구비의 절반을 차지하며, 다음으로 응용연구 1,550억 원(22.1%), 개발연구 1,508억 원(21.5%) 순으로 나타남

[그림] 연구개발단계별 투자현황

(단위: %)



[표] 연구개발단계별 투자현황

(단위: 억원, %)

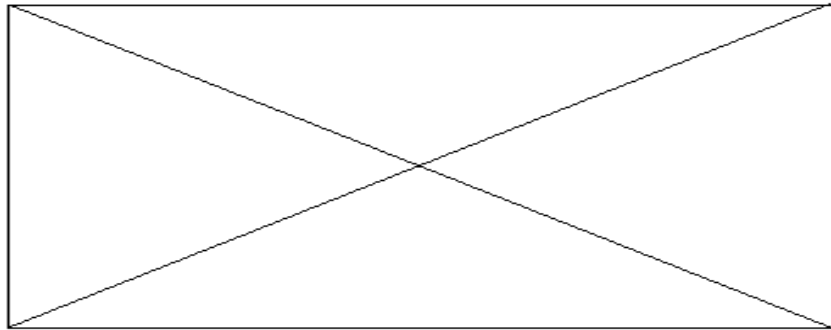


□ 연구수행주체별 투자현황

- 바이오분야는 대학이 7조 7,339억원(38.6%)으로 가장 많은 연구비를 차지하였으며, 다음으로 국공립연구소가 4조 3,670억원(21.8%), 출연연구소 3조 9,095억원(19.5%), 그리고 중소기업 2조 1,534억원(10.7%) 순으로 나타났으며, 마지막으로 대기업, 정부부처는 3천억 수준으로 나타남
- 반면, 줄기세포분야는 대학이 4,878억원(69.4%)으로 가장 많이 차지하였고, 다음으로 출연연구소가 715억원(10.2%), 중소기업이 708억원(10.1%)으로 나타남
  - 바이오분야 대비 대학이 차지하는 비율이 30.5% 높았으며, 출연연구소의 연구비가 두 번째로 많은 연구비가 투입됨

[그림] 연구수행주체별 투자현황

(단위: %)



[표] 연구수행주체별 투자현황

(단위: 억원, %)

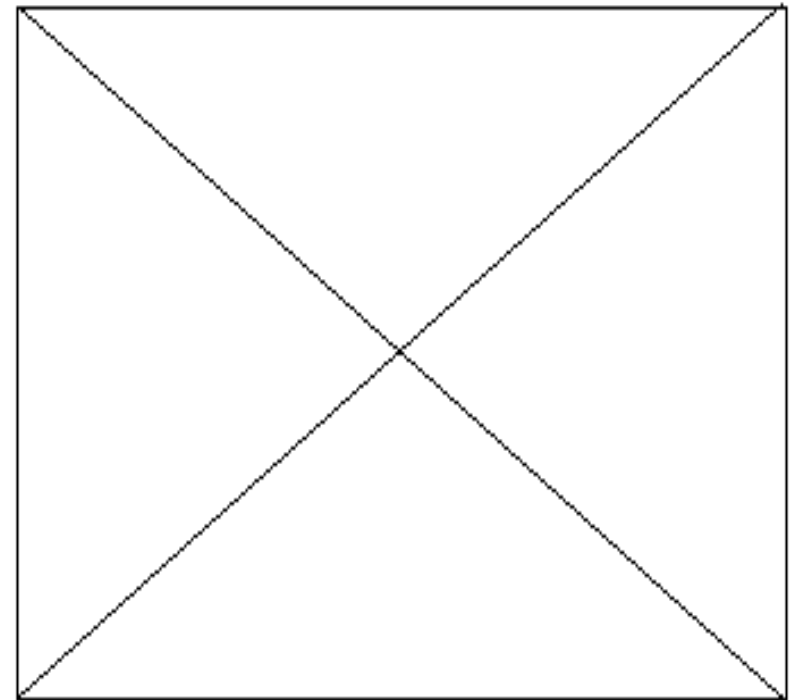


□ 지역별 투자현황

- 바이오 전체에 대한 지역별 투자현황으로 서울, 인천, 경기지역을 포함한 수도권 일대가 전체의 절반(51.2%)을 차지함
  - 다음으로 광역시별로는 대전(11.3%), 부산(4.8%), 대구(3.0%), 광주(2.2%), 울산(0.7%) 순으로 나타남
  - 각 도별에 대한 바이오 전체에 대한 지역별 투자현황으로는 충북이 5.3%로 가장 높은 가운데 강원도(4.3%), 전북(4.0%), 경북(2.7%) 순으로 나타남
- 줄기세포분야에 대한 지역별 투자현황으로 서울, 인천, 경기지역을 포함한 수도권 일대가 64.9%로 바이오분야 대비 연구비의 집중이 더 높음
  - 다음으로 광역시별로는 대전(11.0%), 부산(3.8%), 강원(2.8%) 순으로 높음

[그림] 지역별 투자현황

(단위: %)







[표] 경제사회목적별 투자현황

(단위: 억원, %)



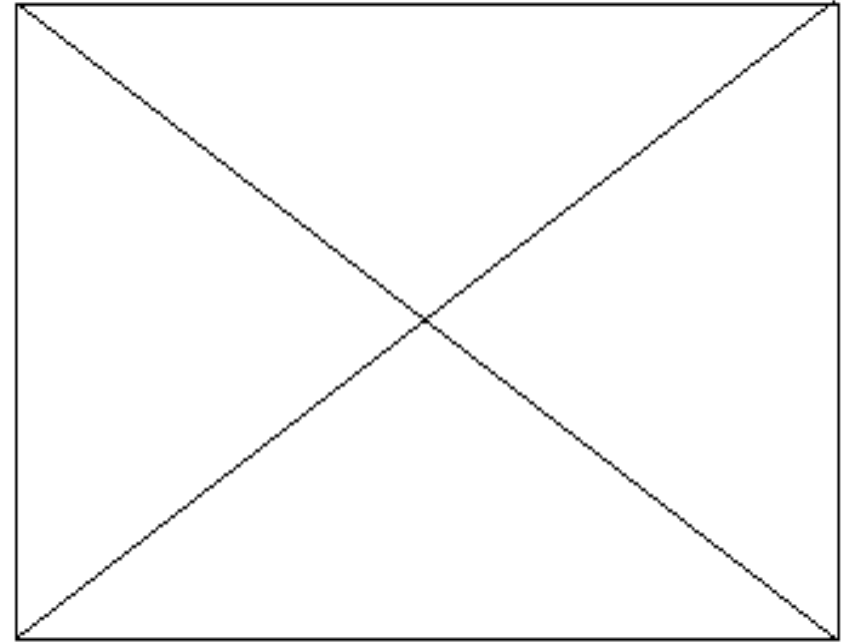
□ 공동연구협력유형별 투자현황

- 공공연구협력유형별 투자현황으로 바이오 전체와 줄기세포분야에 관한 연구비와 비율은 다음과 같이 정리할 수 있음
  - 바이오 전체에 대한 공공연구협력유형별 현황을 보면, 산학이 2조 4,885억원(12.4%)으로 가장 높으며, 학연이 1조 251억원(5.1%) 순으로 높음
  - 줄기세포분야에 의한 공공연구협력유형별 현황은 바이오분야와 마찬가지로 산학 협력이 가장 높았으며, 학학 286억원(4.1%), 학연 264억원(3.8%) 순

임

[그림] 공동연구협력유형별 투자현황

(단위: %)



[표] 공동연구협력유형별 투자현황

(단위: 억원, %)



3) 줄기세포분야 이차원 교차 분석

[그림] 연구수행주체별 지역별 투자현황

(단위: 억원)

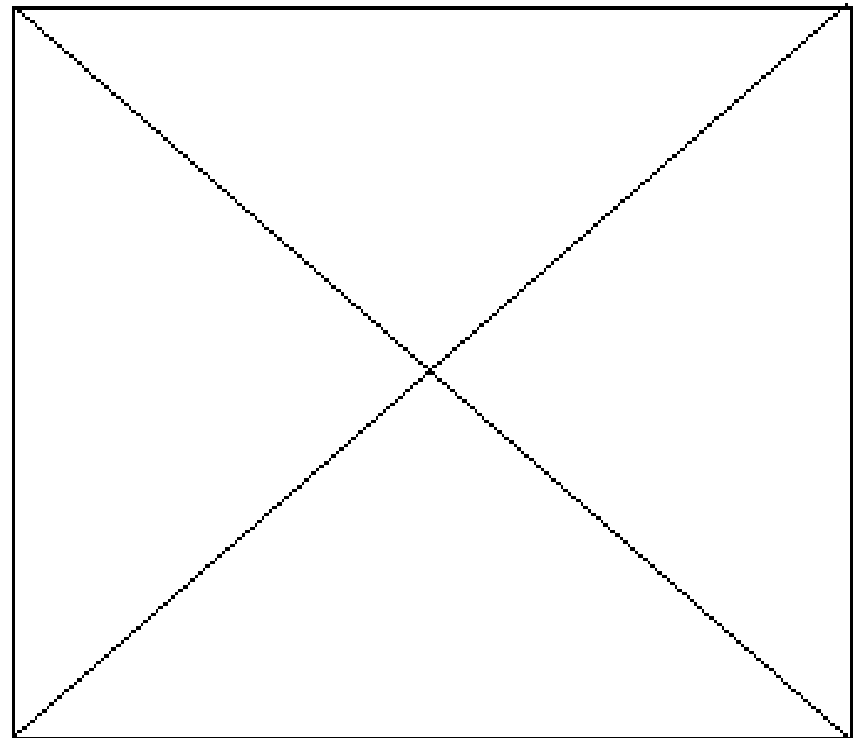
□ 연구수행주체별 연구개발단계별 투자현황

- 최근 7년간 줄기세포분야의 연구수행주체별 지역별 투자현황으로 서울, 인천, 경기지역을 중심으로 한 수도권이 3,931억원(71.3%)으로 가장 높게 나타남
  - 줄기세포분야의 연구비가 가장 많이 투입된 대학은 서울에 2,795억원(81.4%)의 연구비가 투입되어 가장 높았으며, 출연연구소는 대전에 500억 원(76.3%), 국공립연구소는 충북에 314억원(85.4%)으로 가장 많았음
  - 기업체는 모두 서울에 줄기세포분야 연구비 투입이 가장 많았으며, 특히 중소기업은 서울에 347억원(49.0%), 경기도에 197억원(27.8%)으로 가장 높았음

[표] 연구수행주체별 지역별 투자현황

(단위: 억원, %)

연구수행주체	지역																
	서울	경기	충청	전라	경상	호남	제주	인천	대구	부산	광주	대전	충북	충남	전북	전남	제주
대학																	
출연연구소																	
국공립연구소																	
기업체																	
중소기업																	
대기업																	
합계																	



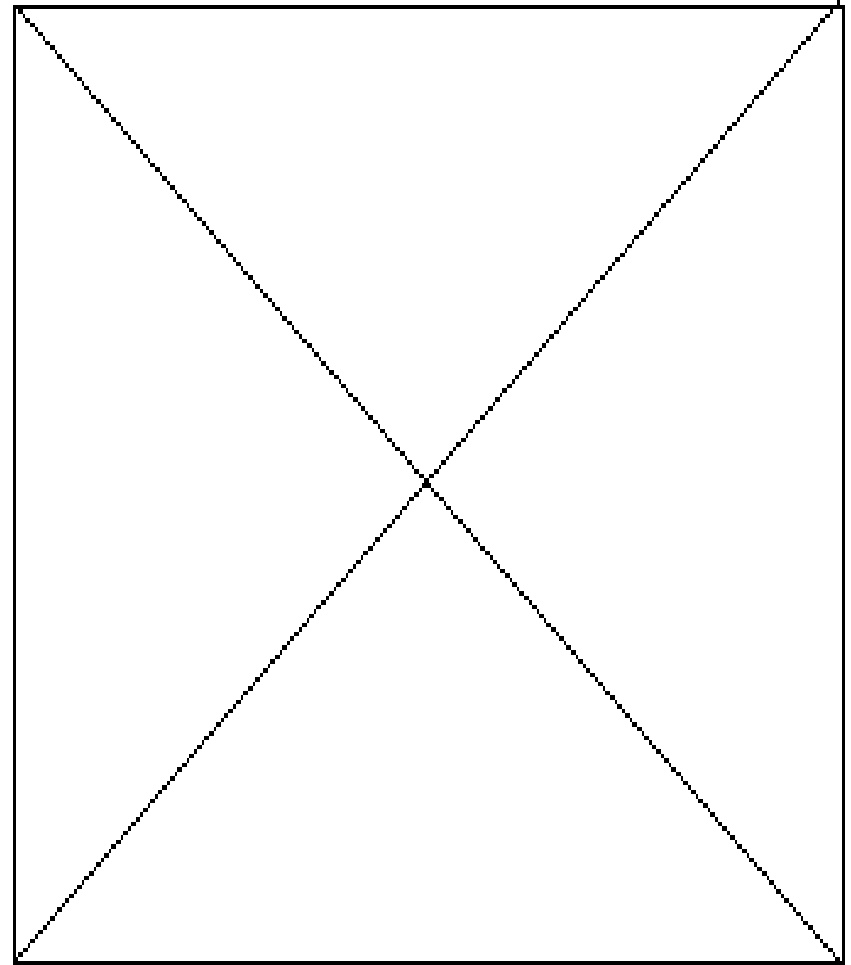
□ 연구수행주체별 적용분야별 투자현황

- 최근 7년간 줄기세포분야의 연구수행주체별 적용분야별 투자현황을 보면, 공공분야에서는 건강이 71.0%, 산업분야에서는 제조업(의료용물질 및 의약품)이 12.6%로 가장 높음
  - 기관유형별로 보면, 대학은 건강이 76.4%(3,729억원)으로 가장 높았으며, 제조업(의료용물질 및 의약품)이 8.6%(420억원), 지식의 진보(비목적 연구)가 7.5%(365억원) 순임
  - 출연연구소도 역시 건강이 80.7%(578억원)으로 연구비가 가장 많이 투입되었으며, 제조업(의료용물질 및 의약품)이 0.3%(1억원), 지식의 진보(비목적 연구)가 5.5%(20억원) 순임

- 국공립연구소는 건강이 80.3%(293억원)로 정부부처 다음으로 건강에 대한 연구비 비율이 가장 높았으며, 기타 공공목적이 11.8%(43억원) 순임
- 중견기업, 중소기업은 제조업(의료용물질 및 의약품)에 각각 44.4%, 40.8%로 적용분야 중 가장 많은 연구비가 투입되어 학교, 연구소와 차이를 보임

[그림] 연구수행주체별 적용분야별 투자현황

(단위: 억원)













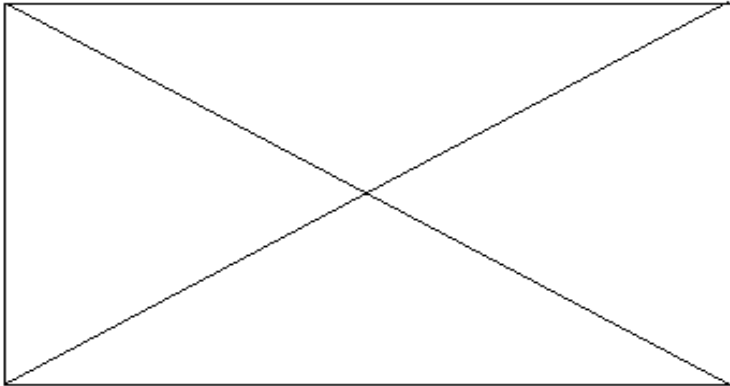
#### 4) 재생의료기술별 투자현황

##### □ 연도별 투자현황

- 최근 7년간 재생의료분야의 연구비는 '12년까지 증가 추세를 보이다, '13년부터 '15년까지 유지함
- 최근 7년간 연구비는 세포치료기술이 82.2%로 대부분을 차지하고 있으며, 줄기세포치료기술이 11.1%, 재생의료치료기술이 6.8% 순임
- 최근 7년간 추이로는 재생의료기반기술만 7년간 연구비가 계속 증가하였으며, 나머지 2개 분류는 '13년에 소폭 감소 후 증가세를 보임
- 재생의료기반기술은 '09년~'11년에 연구비가 3개 분류 중 가장 적었으나, '12년부터 연구비가 크게 증가하여 세포치료기술에 이어 두 번째로 높음

[그림] 연도별 투자비 추이

(단위: 억원, %)



[표] 연도별 투자비 추이

(단위: 억원, %)

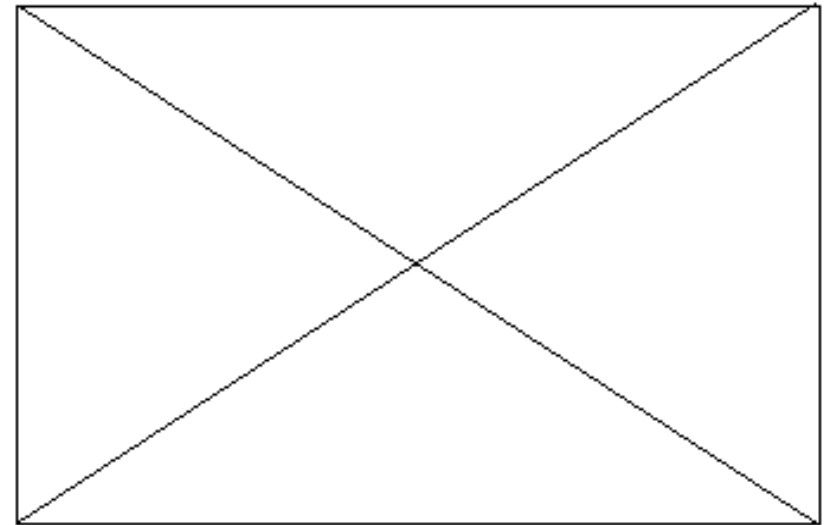


##### □ 연구개발단계별 투자현황

- 4개 분류 모두 기초연구의 연구비 비율이 가장 높았으며, 특히 줄기세포치료기술이 55.3%(401억원)로 가장 높음
- 응용연구 연구비 비율은 재생의료기반기술이 30.1%(314억원)으로 가장 높았으며, 개발연구 연구비 비율은 줄기세포치료기술이 22.3%(162억원)으로 높음

[그림] 연구개발단계별 투자현황

(단위: %)



[표] 연구개발단계별 투자현황

(단위: 억원, %)

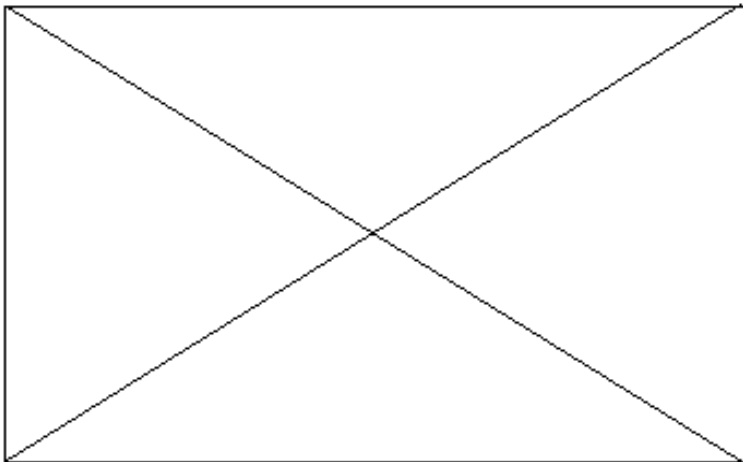
(단위: 억원, %)

□ 연구수행주체별 투자현황

- 4개 분류 모두 대학의 연구비 비율이 60%를 상회하여 가장 높았으며, 특히 줄기세포치료기술이 84.4%로 가장 높은 비율을 차지함
- 연구비 비율을 기준으로 보면, 대학은 줄기세포치료기술에, 국공립연구소는 재생의료기반기술에, 출연연구소는 조직공학치료기술에, 중견기업은 재생의료기반기술에, 중소기업은 재생의료기반기술에 상대적으로 연구비 비율이 높음

[그림] 연구수행주체별 투자현황

(단위: %)



[그림 3-21] 연구수행주체별 투자현황

(단위: 억원, %)







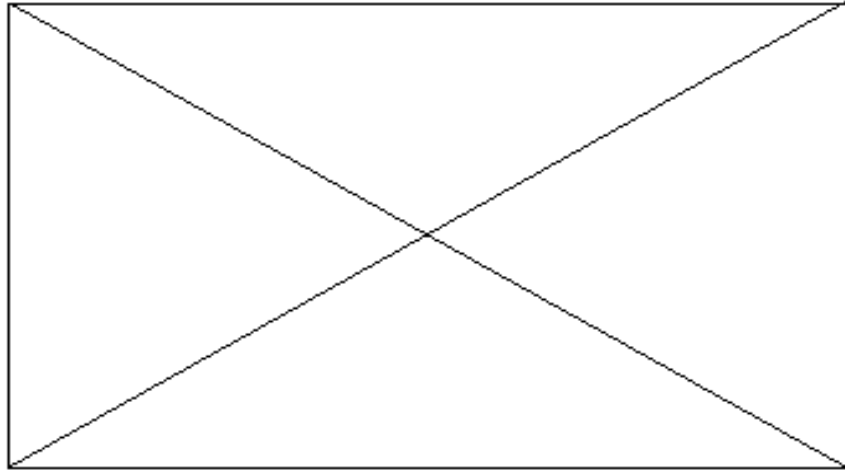


□ 미래유망 신기술(6T)별 투자현황

- 4개 분류 모두 BT분야의 연구비 비율이 96% 이상으로 대부분을 차지함
  - 재생의료기반기술은 NT분야에 3.5%, 줄기세포치료기술은 NT분야에 1.6%로 두 번째로 높음

[그림] 미래유망 신기술(6T)별 투자현황

(단위



[표] 미래유망 신기술(6T)별 투자현황

(단위: 억원, %)



2. 논문/특허 동향 분석

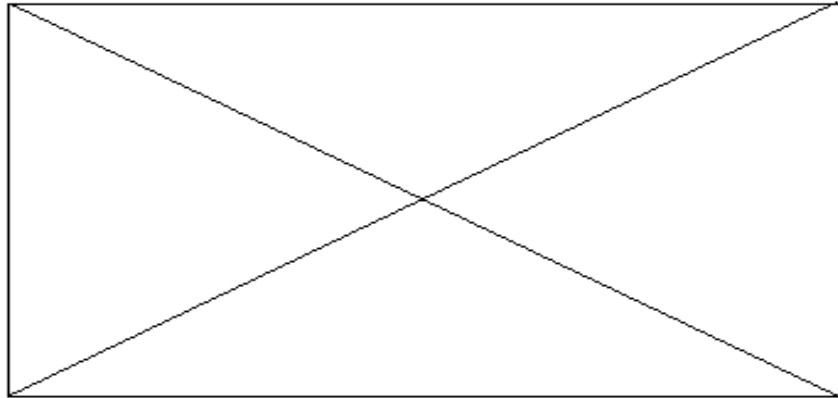
□ 논문검색 분류 및 키워드

- 국내외 줄기세포·조직재생과 관련된 논문 현황을 분석하기 위하여 소분류별(C1~C5\*) 키워드를 기반으로 SCOPUS 논문 검색 사이트를 활용하여 조사 실시
  - \* C1 : 줄기세포 한계극복, C2 : 차세대 줄기세포 치료 원천 기술, C3 : 비임상 세포 모델, C4 : 신약개발, C5 : 오가노이드
- 논문분석 대상 기간은 2000년부터 2018년 8월까지 공개된 논문을 기준으로 논문종류는 SCOPUS 문서 유형이 'article' 인 경우만을 대상

[표] 줄기세포 관련 논문 검색 키워드



[그림] 연도별 분류별 줄기세포·조직재생 원천기술 관련 특허출원 추이



○ '줄기세포 한계극복기술(C1)'이 전체 특허 중 53.4%를 차지하고 있으며, '오가노이드(C5)'이 21.8%, '신약개발(C4)' 20.1%, '차세대 줄기세포 치료원천기술(C2)' 3.4% '비임상 세포 모델(C3)' 1.3% 순

[표] 분류별 줄기세포·조직재생 원천기술 관련 특허출원 현황

(단위 : 건)

분류	특허출원건수	비율	비고
줄기세포 한계극복기술(C1)			
오가노이드(C5)			
신약개발(C4)			
차세대 줄기세포 치료원천기술(C2)			
비임상 세포 모델(C3)			

### 3. 기술역량 분석

#### □ 우리나라의 줄기세포 경쟁력 확보를 위한 인프라를 구축

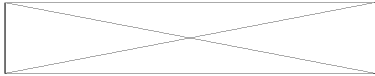
- 바이오헬스 미래 신산업 육성전략('15)에서 투자생산성 확보 및 실용화 촉진을 위한 인프라 (줄기세포주 은행 등 공동활용 인프라) 구축 제시
- 고령화 시대에 건강장수시대 구현을 위해 국가중점과학기술전략로드맵('14)에서 줄기세포 실용화를 위한 핵심인프라로 줄기세포은행 제시
- 복지부는 재생의료 경쟁력 확보를 위한 성과 선순환 인프라로 질병관리 본부내 줄기세포재생센터 건립 ('16 완공).
  - 세포치료제 의약품 생산 시설 (GMP) 및 의약품 품질평가 기반기술 구축
    - ※ 규모 : 총 사업비 189.3억, 연면적 5,181㎡ (대지면적 9,918㎡) / 지하1층, 지상 5층, 3개 독립 제조소, 저장소, 품질시험실 구비.
  - 복지부 1단계 사업 성과로 발굴된 첨단재생의료 중개연구의 임상연구 및 사업화 촉진 가교 역할
  - GMP 시설 공공인프라 지원으로 전임상-임상상 연구자의 초기단계 투자 허들 완화
  - 임상등급 줄기세포주 분양을 통한 세포치료제 초기물질 리스크 저감 및 개발비용 절감 효과
    - ※ 줄기세포은행 구축을 통해 세포주개발을 위한 시간 및 비용 단축효과: 임상 건수당 4~9억원 절감(일본 Riken), 환자당 약 6개월 기간 단축(Lonza), 제품개발회사의 투자기간·비용 절감효과 추산
- 정부투자자 기술경쟁력은 빠르게 성장하였으나, 최고기술국과의 기술격차가 여전히 존재하여 미래지향적 투자전략 수립 요구
  - 성체줄기세포치료제 위주의 투자로, 차세대줄기세포치료, 신약개발 응용, 바이오장기/조직 등 미래유망분야 투자 미흡
    - ※ (세포원별) 성체줄기세포 53% > 배아줄기세포 20% > iPSC 10%
    - ※ (분야별) 줄기세포치료제 개발 33% > 바이오장기/조직공학 11% > 신약개발 응용 8% > 공통기반기술 3%(기초/기전연구 제외)
  - 정부투자자에 힘입어 연구·기술수준이 양적·질적으로 빠르게 성장하였지만, 최고기술국과의 상당한 기술격차 존재
    - ※ (논문) NSC지 논문 비중 : 미국 2.0% vs 일본 0.5% vs 한국 0.03%
    - ※ (특허) 최고기술국인 미국 대비 특허 기술력지수 격차 : 35.4배

#### 4. R&D인프라 현황

- 국가줄기세포은행이 설립되어 줄기세포의 자원 및 연구정보를 관리·운영중 ('12년 10월 개소)
- 줄기세포주 등록제(생명윤리법)가 시행되어 국내에서 수립되거나 수입된 줄기세포주에 대한 효율적 관리가 진행중이나 실제 활용은 미비
  - ※ 국내수립세포주 87주, 해외수입세포주 22주('15년7월)가 등록되어 있으며, 해외의 주요 줄기세포은행에 비하여서는 그 수가 부족
- 총19개의 줄기세포주를 관리하고 있으나, 실제 분양가능한 세포주는 4개 (hESC 2주, iPSC 2주)에 불과
  - 표준화된 줄기세포주의 수집, 특성분석, 맞춤형 분양을 실시를 목표로 하고 있으나 당초의 기대에 못 미치고 있는 실정
    - ※ 2개주는 QC검사로 일시적으로 분양중지('15.11월)
- 줄기세포의 국가적 연구인프라 시설로 '국립 줄기세포·재생센터'가 설립예정 ('15년 연말)으로, 줄기세포 연구, 중개·임상 연구를 지원 예정
- 센터는 줄기세포 연구지원을 위한 GMP 시설운영 및 줄기세포연구 활용기술 개발을 지원할 예정
  - 국내외 줄기세포·재생의료 연구자들의 정보와 자원을 공유하는 중개자 역할을 할 것으로 기대

#### 5. 시사점 분석





## 제3장

# 기존 사업의 성과 분석

제1절 기존 사업 현황 및 추진경과

제2절 기존 사업 성과분석

제3절 주요 시사점

## 제1절 기존 사업 현황 및 추진경과

### 1. 기존 사업 현황

- 사업명 : 줄기세포·조직재생 기술개발 사업\*
- (사업 목적) 줄기세포 원천기술개발 및 선진화 기반확충
- (사업 개요) 13년간의 연속사업('05~'17)으로 정부 국고 100% 지원

[표] 줄기세포·조직재생 기술개발 사업 개요



### 2. 기존 사업 추진경과

2008-2010년	2011년	2012
•	•	•
•	•	•
•		•
		•
		•

2013-2016년
•
•
•
•
•
•

2017년
•
•
•
•
•
•
•

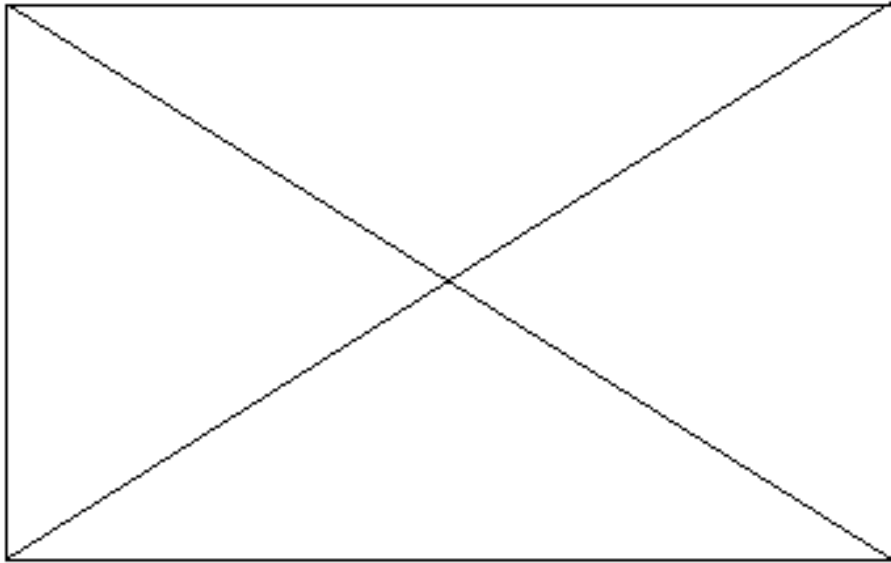
|

### 3. 그간의 전체 투자 현황

- 지난 13년간(`05~`17) 총 2,711억원(연 209억원) 투자, 539개(연 41.5개)과제 수행
- `12년 350억원으로 크게 증가한 이후 최근 6년간(`12~`17) 평균 346억원 유지
- 과제당 투자규모 평균은 5.2억원

[그림] 연도별 줄기세포 분야 과제수 및 예산

(단위: 억원, 개)



[표] 연도별 줄기세포 분야 과제수 및 예산

(단위: 억원, 개)






2) 세부사업 단위의 분석

\*세부사업 단위로 추진분야를 구분하여 분석

- 줄기세포 치료기술 `05년부터 `17년까지 255억원, 38개 과제 수행, 전체 줄기세포 분야에서 10% 차지
- 줄기세포 활용기술은 `07년부터 `17년까지 350억원, 17개 과제 수행, 전체 줄기세포 분야에서 13.5% 차지
- 공통기술 분야는 줄기세포 치료기술, 활용기술, 미래혁신기술 중 2개 이상의 분야를 지원하는 사업으로, `06년부터 `17년까지 1,958억원, 478개 과제 수행, 전체 줄기세포 분야에서 75.7% 차지

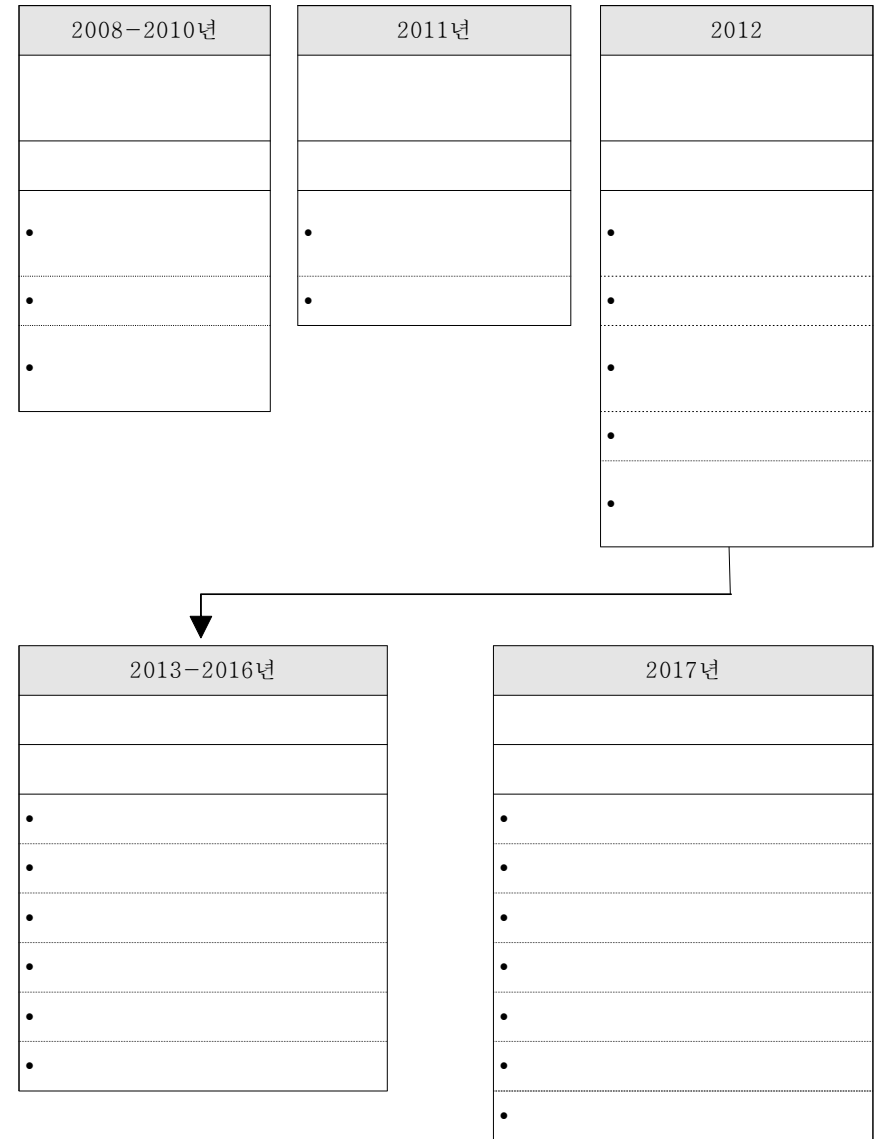
[표] 줄기세포 분야별 사업 현황

(단위: 억원, 개, %)



- 1) 줄기세포 치료, 활용, 미래혁신 분야 중 2개 이상의 분야를 지원하는 사업(줄기세포 연구사업, 줄기세포 선도연구팀 육성사업, 조직재생 기술개발사업)
- 2) 줄기세포원천기술확보촉진지원사업

3. 내역 사업 개편 이력



#### 4. 사업비 현황

- 본 사업은 '05년~'17년까지 13년 동안 약 2,711억원이 투입되었으며, '12년 350억원으로 증가한 이후 최근 6년간 ('12년~'17년) 평균 348억원 유지

##### 1) 부처별 사업 현황

- 부처별 줄기세포 R&D 지원 현황
  - 과기정통부-복지부-산업부-연계를 통해 사업을 추진하는 것으로 부처간 역할 정립
    - \* 차세대 줄기세포 치료제 제품 개발과 관련하여 유망 제품군(4대 중증질환 등)에 대한 범부처 Fast Track 운영으로 줄기세포 연계 실용화 지원을 “바이오헬스 미래 新 산업 육성전략”에 반영(국가과학기술심의회 운영위, '15.3.24)
  - 과기부는 TRL1~5에 속하는 응용 및 개발단계 R&D를 지원
    - \* TRL : Technology Readiness Level (기술성숙도)

##### 2) 과학기술정보통신부 사업현황

- 줄기세포 실용화 분야 R&D 지원현황
  - '08년부터 치료기능 줄기세포 특화기술 개발(R&D)로 지원, '12년부터 줄기세포·재생의료 실용화(R&D)로 변경하여 규모 확대
- 국내 줄기세포는 과학·기술 경쟁력이 우수한 강점 분야로 조사·평가
  - (논문·특허) 지난 10년간 발표된 국내 줄기세포 분야 논문·특허는 양적·질적으로 빠른 성장
    - \* 논문 연평균 성장률('06~'14): 글로벌 11.2% vs 국내 19.4%/ 특허('06~'13): 글로벌 2.1% vs 국내 18.0%
    - \* 글로벌 선도국인 미국 대비 논문 피인용도 격차: ('06~'08) 4.9배 →('13~'15년) 1.8배/ 특허 기술력지수 격차: ('06~'08년) 106.3배→('13~'15년) 35.4배
  - (기술수준) 국내 줄기세포 기술수준은 글로벌 기술수준과 비교하여 기술수준이 높고 기술격차가 작은 선도그룹에 해당
    - \* 최고기술보유국(미국) 대비수준: 84.7%, 2.7년('14년 기술수준평가)
    - \* 국내 줄기세포 분야 기술수준은 빠르게 상승: ('08) 77.1% 5.0년→('10) 80.8%, 3.5년→('12) 86.5%→2.8년→('14) 84.7%, 2.7년

- 국내 성체줄기세포치료제는 시판 허가 수준\*의 기술력 보유, 배아줄기 세포도 임상 가능 수준\*\*의 기술력 보유

\*국내 성체줄기 치료제 연구는 품목허가 4건, 임상시험 진행 중 품목 22건('14.4 기준)으로 시판 허가 수준의 연구개발 활발

\*\*성인의 체세포를 이용한 인간 체세포 복제 배아줄기세포 확립 성공('14.4), 배아 줄기세포치료제의 환자 대상 임상시험 첫 성공(한국 차바이오텍-미국 ACT사 공동개발, '14.10)



### 3. 과학적 성과

과학적 성과분석

- 본 사업을 통해 12년간(2006~2017) 국내외 학술지에 게재한 SCI(E)급논문은 총 2,490편으로, 국가연구개발사업과 비교했을 때
- SCI(E) 논문의 논문피인용지수(Impact Factor)는 평균 3.35이었고, 2014년 5.82, 2015년 5.22, 2017년 5.29로 높은 성과를 보임
- SCI(E) 논문의 표준화된 순위보정영향력지수(mrnIF)는 평균 67.21이었고, 2014년 71.87에서 2017년까지 높은 수준을 유지함

[표] 연도별 SCI(E)의 순위보정영향력지수

연도	SCI(E)의 순위보정영향력지수		
	평균	최대	최소
2006			
2007			
2008			
2009			
2010			
2011			
2012			
2013			
2014	71.87		
2015	5.22		
2016			
2017	5.29		

- SCI(E) 논문의 질적 우수성 분석을 위해 동일분야 내 게재된 학술지가 차지하는 위상을 분석한 결과, 본 사업의 mrnIF는 67.21로 국가 전체 R&D사업의 59.66보다 높고, 정부 R&D사업의 63.54보다 높아 SCI(E) 논문의 상대적인 우수성한 것으로 분석됨

[표] SCI(E) 논문의 표준화된 순위보정영향력지수(mrnIIF) 비교

대상	순위보정영향력지수(mrnIIF)
본 사업	67.21
국가 전체 R&D사업	59.66
정부 R&D사업	63.54

\* 출처: 한국연구재단(2017.12.) 2017년 과학기술정보통신부 성과분석보고서, 한국과학기술기획평가원(2018.2) 2016년도 국가연구개발사업 성과분석 보고서

### 4. 기술적 성과

기술적 성과분석

- 2006~2017년 동안, 특허 1,180건을 출원하고 34건이 등록됨

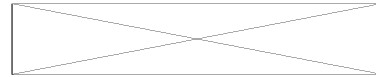
[표] 전체 특허성과 수

연도	전체 특허성과 수		
	출원	등록	취소
2006			
2007			
2008			
2009			
2010			
2011			
2012			
2013			
2014			
2015			
2016			
2017			

- 2006~2017년 동안, 기술이전 4건, 기술지도 51건이 발생하여 관련 기술의 시장 형성 가능성을 시사하였음

[표] 연도별 기술이전 성과

연도	연도별 기술이전 성과	
	기술이전	기술지도
2006		
2007		
2008		
2009		
2010		
2011		
2012		
2013		
2014		
2015		
2016		
2017		



## 제4장

## 사업설계를 위한 조사분석

**제1절** 줄기세포·조직재생 원천기술개발  
사업 관련 사전조사

**제2절** 관련 사업 추진현황 및 중복성 검토

## 제1절 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 관련 사전조사

### 1. 설문조사

설문조사 결과

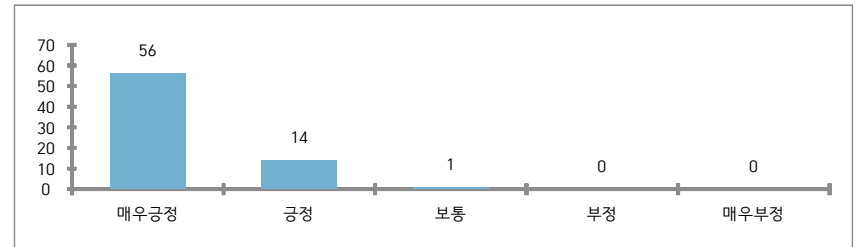
○ (회신 인원) 1차 48명, 2차 23명 총 71명 회신

줄기세포개발 분야 투자

1. 대한민국이 줄기세포개발 분야 개발 및 투자하는 것에 대하여 어떻게 생각하십니까?

① 매우긍정      ② 긍정      ③ 보통      ④ 부정      ⑤ 매우부정

(단위 : 명)

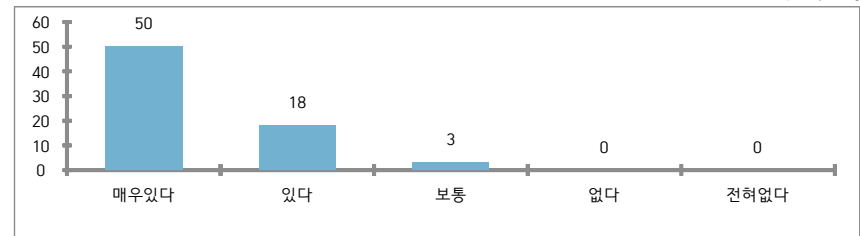


○ 5점 척도로 구성된 조사에서 매우긍정의 응답은 56명(78.9%), 긍정의 응답은 14명(19.7%), 보통이라고 응답한 응답자는 1명(1.4%)임

2. 대한민국이 줄기세포개발 분야에 투자한다면, 세계적인 경쟁력을 갖출 수 있는 가능성이 있다고 생각하십니까?

① 매우있다      ② 있다      ③ 보통      ④ 없다      ⑤ 전혀없다

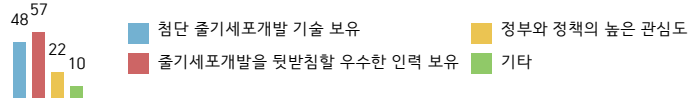
(단위 : 명)



3. (2번 문항에 대하여) 2번과 같이 판단하신 이유는 무엇입니까? (중복체크 가능)

- ① 첨단 신약개발 기술 보유
- ② 신약개발기술을 뒷받침할 우수한 인력 보유
- ③ 정부와 정책의 높은 관심도
- ④ 기타 (사유 기재 : )

(단위 : 명)



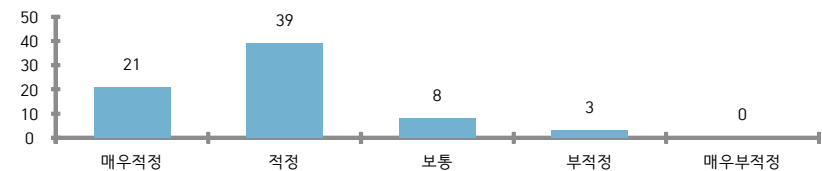
- 응답자의 대부분이 줄기세포개발 분야에서 세계적인 경쟁력을 갖출 수 있을 가능성이 있다고 답변한 가운데, 이렇게 판단한 이유는 줄기세포개발을 뒷받침할 우수한 인력 보유가 57명(41.6%)으로 가장 높았음
- 첨단 줄기세포개발 기술 보유라고 응답한 응답자는 48명(35.04%), 정부와 정책의 높은 관심도 22명(16.1%) 순으로 경쟁력이 있다고 조사되었음
- 기타 의견으로는 기술은 아직 초반 상태이지만 기술이 충분히 세계적인 경쟁력을 갖출 가능성이 있음(1명), 광역지자체에서도 높은 관심을 갖고 사전 준비를 함(1명), 전 국민의 높은 관심도가 있음(1명), 세계연구개발 분야에 가장 유망한 분야중 하나이므로, 선진국과의 기술격차가 크지 않음(1명)의 의견이 있었음

□ 줄기세포·조직재생 원천기술 전략 분야 구성(안)의 적절성

4. 줄기세포·조직재생 원천기술의 전략분야 구성(안)에 대하여 적절하다고 생각하십니까?

- ① 줄기세포개발기술, ② 줄기세포활용기술, ③ 줄기세포미래기술

(단위 : 명)



- 5점 척도로 구성된 조사에서 설문결과 매우 적절하다는 응답자는 21명(29.6%), 적절 39명(54.9%), 보통 8명(11.3%), 부적절 3명(4.2%) 순으로 응답함

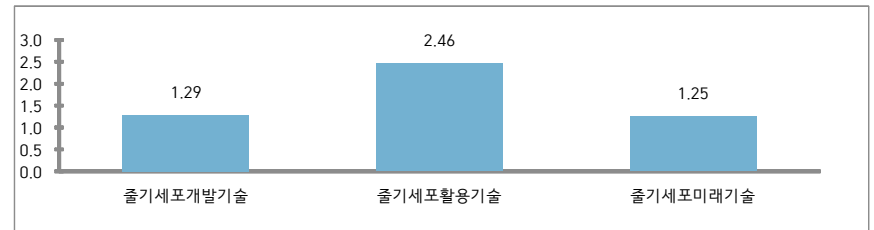
5. (4번 문항에 대하여) 부정적, 매우부적정을 체크하셨다면, 생각하시는 적절한 전략분야의 구성과 그 사유를 기재하여 주십시오.

- 줄기세포개발 및 활용은 괜찮으나, 미래기술은 개발과 활용 안에 포함될 수 있으므로 적절하지 않음
- 세분야로 나눈 것은 적절하나 줄기세포뿐 아니라 요즘 중요한 항암분야인 면역세포치료제분야(예:CAR-T)가 명시되었으면 함
- 줄기세포 기초연구에 대한 정부차원의 지원이 선행되어야만 세계적인 경쟁력이 있다고 생각함
- 기존 줄기세포를 이용한 신약개발 스크리닝 관련 대형 프로젝트를 반복지원 하였으나, 성공하지 못했던 것을 감안하면 특징, 기능 및 정확한 검증기술이 없는 상태에서 임상적으로 활용하기에 많은 제한점이 있는 오가노이드 등과 같은 연구지원은 제고할 필요가 있다고 생각함

6. 줄기세포·조직재생 원천기술의 전략분야별로 생각하시는 투자 우선순위와 비중을 기재하여 주십시오.

- ① 줄기세포개발기술, ② 줄기세포활용기술, ③ 줄기세포미래기술

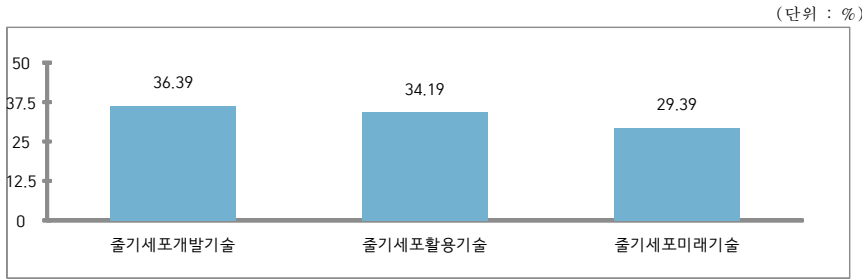
○ (투자우선순위)



(※산출방식: 1순위를 3점, 2순위를 2점, 3순위를 1점으로 환산하여 평균으로 계산)



○ (투자비중)

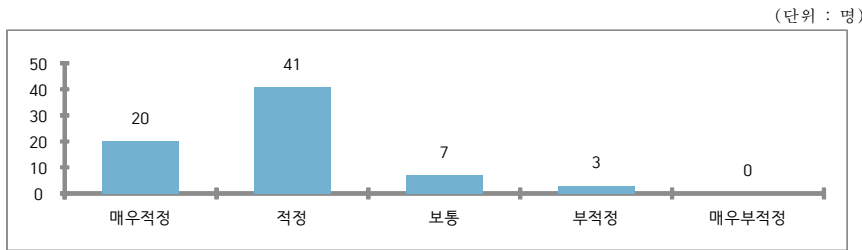


□ 줄기세포·조직재생 원천기술의 중점과제 구성(안)의 적절성

7. 줄기세포·조직재생 원천기술의 중점과제 구성(안)에 대하여 적절하다고 생각하십니까?

- ① 줄기세포개발기술(한계극복기술, 융복합기술, 차세대 치료기술)
- ② 줄기세포활용기술(오가노이드, 질환모사, 신약개발)
- ③ 줄기세포미래기술(인공장비확보기술, 신개념줄기세포원개발, 줄기세포신용합활용기술, In vivo 접근기술)

① 매우 적정    ② 적정    ③ 보통    ④ 부적정    ⑤ 매우 부적정



○ 5점 척도로 구성된 조사에서 설문결과 매우 적정은 20명(28.2%), 적정 41명(57.8%), 보통 7명(9.9%), 부적정 3명(4.2%)임

○ 줄기세포·조직재생 원천기술의 중점과제(안)이 적정하다고 응답한 긍정적인 답변이 61명(88.9%)임

8. (7번 문항에 대하여) 부적정, 매우부적정을 체크하였다면, 적절한 중점과제의 구성과 그 사유를 기재하여 주십시오.

○ 활용기술 중 오가노이드, 질환모사 모델 개발은 '신용합활용기술'의 개념이 모호하기 때문에 미래기술에 포함되어도 될 것 같음

○ 오가노이드의 개발은 이와 연계된 새로운 기법이 나올것이므로 bottom up을 늘릴 필요가 있음

○ 간엽줄기세포와 같이 미래성이 부족한 줄기세포 연구투자는 제한 될 필요가 있음

○ 줄기세포 기초연구분야 지원과 관련된 중점 과제가 추가되어야 함

○ 중점과제 구성(안)에서 항목간 융합적 기술에 대한 구성이 필요하고, 오가노이드의 개념을 확장 할 필요가 있음

9. 줄기세포·조직재생 원천기술의 중점과제별 핵심기술(안)에 대하여 추가하거나 보완이 필요한 기술이 있다면 기술의 제안과 그 사유를 기재하여 주십시오.

순번	제안	사유
1	AI(융합) 적용을 위한 big data 수집 부분	AI 기술을 적용하고자하는 경우 기초 자료 축적이 필요한데 협력연구, 융합연구, data 수집 연구가 필요함
2	"미래기술"과 "활용기술"의 개념정의를 확실히 해야함	현재 줄기세포기술의 활용이 넓게 이루어지지 않기 때문에 활용기술이 포함된 내용도 필요함
3	오픈형 자유공모 과제를 미래기술에 활용하여 많은 독창적인 아이디어가 제한없이 과제로 승화되었으면 함	기존 타국의 원천특허를 일부 개방하는 개방 특허가 아닌 진정한 줄기세포원천기술, 원천특허를 선점하기 위해서는 특허 분석을 기반으로 한 연구개발 초기부터의 방향성 제시 및 아이디어 도출이 필수라고 생각함
4	임상허가 표준화 기술	글로벌 임상허가를 위한 국제표준의 임상허가 모델구축 및 표준화 기술이 필요함
5	면역세포 치료기술 및 유전자 조작 또는 유전자 도입 면역세포 치료기술	항암치료에 적용가능성이 높음(최근 면역반응 유도에 의한 치료의 POC가 확보되었음. CAR-T, immune check point inhibitor 등)
6	줄기세포 활용기술	유전자 조작을 이용한 줄기세포 기능 개선
7	관절, 간, 췌장 등의 장기로 확대 필요	우리나라가 태아, 태반 기술에 대해 강점이 있는지, 다른 장기도 연구에 포함되어야 함
8	줄기세포 임상 활용기술	줄기세포 연구는 세포치료제 개발을 목적으로 하기 때문에, 임상적으로 효과적인 이식경로 및 이식 기술 개발, 추적 기술 및 안정성 평가등이 우선 개발되어야 함

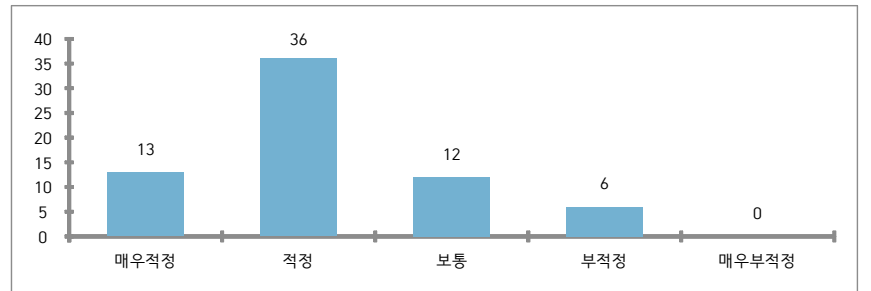
순번	제안	사유
9	기초발생학 연구 및 모델동물 등에서의 줄기세포 기초연구, 줄기세포 자체의 분자세포생리학 연구	현재 항목은 모두 실용화를 염두에 둔 것으로 보이는데, 실용화가 직접적인 목적이 아닌 기초연구도 반드시 필요함
10	종양원성의 극복기술, 면역원성 조절 기술의 삭제 또는 수정	종양원성 극복 기술과 면역원성 조절 기술은 서로 중복되는 연구주제일 뿐 아니라 오래전부터 꾸준히 수행되어져 국내외에서 이미 충분한 기초연구가 완성되어 있기 때문에, 본 사업의 취지와 맞지않는 경향이 있음. 후속 연구로 식약처 또는 보건복지부에서 추진하는 사업에 더 적합한 것으로 사료됨
11	줄기세포 연구기반 구축 분야가 더 포함되면 좋겠음	현재 제안된 안건들을 기반으로 판단한다면, 줄기세포를 활용한 세포치료제 개발 및 활용에 초점이 맞추어져 있음. 실제로 줄기세포 은행을 만든다거나, 범 국가적 특수 줄기세포/오가노이드 분양 시스템을 구축하거나 하는 사업들이 개별 연구집단을 지원하는 기술과제 보다 더 impact 있다고 생각함
12	줄기세포 미래기술의 줄기세포 신융합활용기술의 제시 내용에 '기타 줄기세포 융복합 기술의 활용' 문구를 넣는 것이 좋을 것으로 판단됨	현재 공고된 제시 내용이 너무 구체적이고 제한적이므로, 다른 융복합 기술의 진입을 막을 가능성이 높음.
13	줄기세포 source별 potential (stemness, differentiation) 평가기술, 줄기세포로부터 특정 precursor를 효율적으로 유도하고 분리하는 기술, Precursor 대량배양기술 및 잠재능 측정기술, 분화세포의 성능을 정량화하는 기술, Stemness를 정량화하고 유지하는 기술, 분화 가속화 및 품질 평가기술	줄기세포의 다양한 능력에도 불구하고 타가세포로 다양한 문제를 해결하기에는 한계가 있음. 줄기세포 활용을 극대화하기 위해서는 결국 자가세포를 활용하는 것이 효율적임. 그러기 위해서는 가장 효율적이고 쉽게 접근이 가능한 줄기세포 source를 선별하고 빠른 시간에 원하는 potential을 가진 precursor로 증식시킨 후 품질을 검증한 후 직접 사용하는 것이 가장 이상적임. 본 과제를 통해 이러한 일들을 가능하게 하는 기술들이 연구되고 확보되어야 함
14	줄기세포 조절기술 물질(인자) 표준/실용화 연구	기존 줄기세포의 기능(이동, 부착, 분화 등)을 조절하는 물질들이 개발 되고 있으나 연구자/팀마다 조건, 특징이 다르기 때문에 이를 표준화 및 실용화 하는 작업이 진행되어야 줄기세포 치료, 응용 연구가 활성화 될 것임

순번	제안	사유
15	줄기세포 및 집합체 능력 최적/최대화 및 조절 기술 기반 인공물질 개입이 없는 거대 생체모사 조직 제작 기술을 플랫폼화 하여, 본 기술의 unmet need 인, 한계극복기술, 융복합기술, 차세대 치료기술, 줄기세포신융합활용 등에 적용	현재 오가노이드 기술은 그 범위가 제한적임. scaffold 등 인공물질 개입이 당연시 되며, 미개입시 재현성의 문제가 남아있음. 오가노이드는 줄기세포 자체를 치료제화 노력의 한계를 극복할 수 있는 상대적으로 신개념임

10. 줄기세포·조직재생 원천기술의 프로그램 구성(안)에 대해 적절하다고 생각하십니까?

1기초강화원천 프로그램(TRL 1~2, 1~5억원/년)  
 2기술강화원천 프로그램(TRL 3~5, 5~10억원/년)  
 3연계강화원천 프로그램(TRL 5, 5~10억원/년)

(단위 : 명)



11. (10번 문항에 대하여) 부적정, 매우 부적정을 체크하셨다면, 적절한 프로그램의 구성과 그 사유를 기재하여 주십시오.

- 국가 출연연이 훌륭한 국가시설을 구비한 경우가 많은데, 그 경우 비용전액을 연구자가 부담하고 있음. 이는 연구기관의 실제 사용빈도가 떨어지게 됨. 국책 연구의 경우 국가시설 이용시 그 비용은 실비만 부담하고 국가의 별도의 재정으로 사용료를 matching 해주는 제도(NIH에서 일부 운영)의 신설을 요구함
- 연구비 기준이 모호함. 연구비를 유연하게 책정 필요함

- 원천기술 프로그램은 TRL 1~2, 높아도 3 정도까지로 구성하는 것이 적정하다고 판단됨
- 기초강화투자비용을 TRL 1~2, 5~10억원/년으로 더 높여야 함
- 기초분야 TRL1-2에 대한 투자는 항상 계속되어야함. 이에 1-3단계에 대한 투자를 5-10억/년으로 투자를 계속하는 것이 좋다고 생각함
- 기간은 3년 이내, 연구비는 ~10억 이내, 연구기간이나 연구비에 연구를 맞추는 것이 아니라, 연구에 따라 연구기간이나 연구비가 탄력적으로 운용되어야 하고, 기술개발의 속도가 점차 가속화되고 있으므로, 기술 개발과제는 가능한 짧은 기간에 적절한 기술을 확보하는 것이 필수적임
  - 따라서 연구기간은 프로그램과는 무관하게 3년 이내로 하여 불필요하게 지연되는 것을 방지하여야 하며, 연구비 규모는 제안자가 합리적인 연구비를 제안하고, 심사단계에서 연구비의 적정성을 심도있게 평가한 후 조정할 수 있도록 하는 것이 필요함

□ 응답자 분석

연령	20대	30대	40대	50대	60대
응답비중	1.4%	16.9%	46.5%	23.9%	11.3%
응답건수	1명	12명	33명	17명	8명

거주지역	수도권	충청권	전라/광주	경상/부산/울산/대구	제주
응답비중	69.0%	22.5%	4.2%	2.8%	1.4%
응답건수	49명	16명	3명	2명	1명

소속	교육기관(대학 등)	공공기관/정부출연연	민간기업	민간연구소	병원	기타*
응답비중	70.4%	15.5%	7.0%	0.0%	4.2%	2.8%
응답건수	50명	11명	5명	0명	3명	2명

\* 기타: 정부기관 1명, 미기업 1명

근무 연수	3년 미만	3~5년 미만	5~7년 미만	7~10년 미만	10~15년 미만	15년 이상
응답비중	14.1%	9.9%	4.2%	18.3%	21.1%	32.4%
응답건수	10명	7명	3명	13명	15명	23명

연령	원급, 사원	선임급, 조교수, 과장	책임급, (부)교수, 부장	임원급
응답비중	8.6%	22.9%	58.6%	10.0%
응답건수	6명	16명	41명	7명

\* 미응답: 1명







[표] 부처별 줄기세포 유사사업 추진현황 및 중복성 검토결과

기관명	사업명	사업내용	차별성 및 연계방안

기관명	사업명	사업내용	차별성 및 연계방안

기관명	사업명	사업내용	차별성 및 연계방안

기관명	사업명	사업내용	차별성 및 연계방안

- 중점과제의 중복성 검토는 국가과학기술종합정보시스템(NTIS)의 유사과제 검색을 활용하여 추진하려는 사업의 중점기술개발 과제의 연구목표, 연구내용, 기대효과, 키워드(한글,영문) 등을 작성 및 입력하여 중복성 검토 수행



## 2. 과제단위 중복성 검토

중점과제의 유사도 검색결과 타 과제와의 중복성 없음

[표] 중점 기술개발 과제의 중복성 검색 결과

과제명	유사도	중복성

유사과제의 확인 결과 2018년도 농업기후변화대응체계 구축사업으로 수행된  
과제로 조사되어 중복성은 없는 것으로 확인

[그림] 중점 기술개발 과제의 중복성 검색 결과

차별화 및 연계 방안

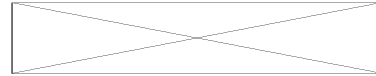
해당사항 없음

## 3. 민간기술과의 연계방안

민자 조달 가능성 여부

[표] 기업참여의향서 조사항목

기관명	사업자등록번호	
대표자	업종/업태	
주소		
기업형태	대기업(    ), 중견기업(    ), 중소기업(    ), 기타(    ) * 해당 기업 형태(√표시) * 대기업은 총자산 5조 이상, 중견기업은 상시 근로자수가 1,000명 이상 또는 자산총액 5,000억 원 이상, 자기자본 1,000억 원 이상, 3년 평균매출 1,500억 원 이상일 경우, 대기업과 중견기업에 해당하지 않는 경우 중소기업	
R&D 분야별 참여의사	R&D 분야 명	※ 참여가능 분야에 √표시
	1. 줄기세포 치료기술	
	2. 줄기세포 활용기술	
참여가능 핵심기술	0-0-0. 핵심기술명 * 붙임2(줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 핵심기술 현황) 자료를 참고하여 참여 가능한 핵심기술명을 기재	



## 제5장

## 사업 추진계획(안)

**제1절** 사업 추진방향 및 추진과제

**제2절** 사업 비전 및 목표

**제3절** 줄기세포·조직재생 원천기술별  
상세내용

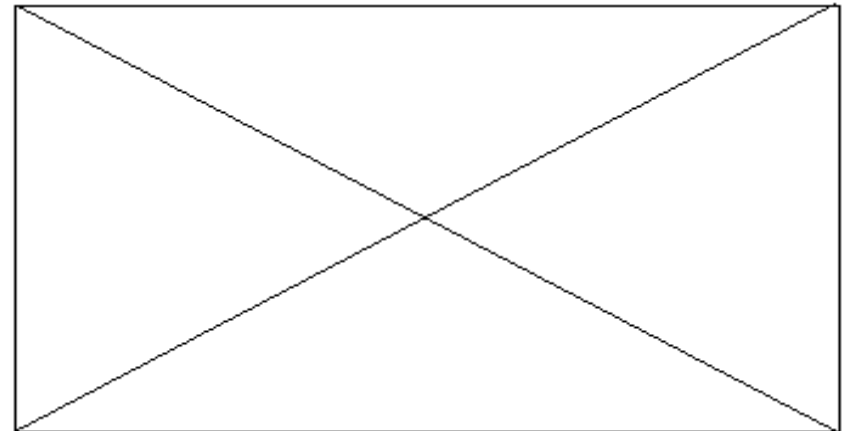
**제4절** 기대효과 및 파급효과

## 제1절 사업 추진 방향 및 과제 도출

### 1. 사업 추진방향 도출 방법

- 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 관련 R&D 수준 및 역량 시점을 ‘내부환경’으로, 정책, 연구개발, 시장 시점을 ‘외부환경’으로 조사하여 SWOT-Matrix 분석 실시
  - 내부환경은 강점과 약점(SW)으로 외부환경은 기회요인과 위협요인(OT)으로 반영
  - 논문동향과 특허동향은 외부환경인 연구개발동향 분석과 시장동향 분석, 내부환경인 수준분석과 역량분석에 연계반영
  - 투자동향 분석과 벨류체인 분석 결과는 내외부 구분없이 적용하되, 투자동향은 역량분석에도 연계반영
- SWOT분석은 1단계로 대내외 환경변화와 R&D 역량분석, 2단계로 역량기회요인과 위협요인, 강점과 약점의 도출, 3단계로 이러한 4개의 요인을 이용한 SWOT matrix 분석을 통한 기술개발 전략 도출 절차로 진행
  - SO는 강점을 활용한 성장 전략, WO는 약점극복을 통한 기회대응 전략, ST는 강점 확산으로 위협최소화 전략, WT는 약점보완을 통한 생존전략 관점에서 기술

[그림] 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 R&D 추진방향 도출 방법



## 2. 종합분석(SWOT 분석)

### 1) 내부환경

#### □ 강점

- 글로벌 줄기세포 시장의 고성장세 지속 유지
  - 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 24%의 성장세를 지속하고 있으며, '12년 325억달러에서 '18년 1,195억 달러 규모를 형성
  - 줄기세포 치료제 시장의 경우 연평균 47.5%로 급격한 시장 성장 전망
- 세계 최초·최다 줄기세포 치료제 허가 및 신속한 산업화 성과 창출
  - 현재 국내 시장은 글로벌 시장 대비 협소하나 비교적 빠르게 성장하여 '13년 2.5%에서 '18년 2.8%로 점유율 확대 예상
- 국가전략기술인 줄기세포 치료기술 및 줄기세포 분화·배양기술의 선도적인 기술수준
  - 줄기세포 치료기술과 줄기세포 분화·배양기술은 선도그룹에 속하며 최고보유 기술보유국인 미국과의 기술 수준 및 격차는 84.5%, 2.9년 차이
- 충분한 장비 인프라 확보를 통해 추가 지원 없이 기술개발사업 수행 가능 수준
  - 최근 5년간('12~'16년) BT분야에서 4,248점의 장비를 활용한 인프라를 이미 확보하고 있으며 추가 인프라 지원 없이 원활한 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 수행 가능
- 국내 세포치료제 제조는 11개 업체가 임상시험계획의 승인(IND) 또는 시판 허가(NDA)의 경험과 GMP시설을 보유하고 있으며, 세포치료센터를 보유한 9개의 의료기관 중 4개 센터가 GMP 시설을 보유
- 국내 줄기세포 분야의 연구 논문 편수 및 인용수는 세계 10위권으로 높은 수준

#### □ 약점

- 현존하는 줄기세포 치료제의 MOA분석 및 효능평가에 대한 글로벌 수준의 표준화 기술 및 모델 부족
  - 해외에 비해 기초연구보다 유효성 확인 위주의 응용연구가 활발히 진행되어 세계적 수준의 차세대 줄기세포 치료제 개발을 위한 원천기술은 부족한 상황

- 정부지원 정책 및 투자로 인해 기술경쟁력은 빠르게 향상되고 있으나 세계 최고기술 확보를 위한 전략적 R&D 투자 부족
  - 최고기술보유국인 미국 대비 기술수준 및 격차가 84.7%, 2.7년('14)에서 85.4%, 2.95년('18)으로 최근 기술격차가 더 크게 발생

## 2) 외부환경

### □ 기회 요인

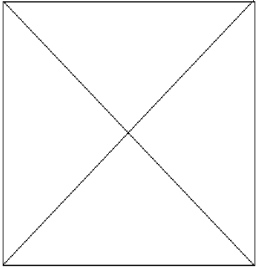
- 비치료영역 줄기세포 활용시장에서의 높은 선도 가능성
  - 줄기세포 산업의 치료시장 외 비치료영역에서의 줄기세포 활용시장이 상당한 비중을 차지하는 것에 반해 아직 활용시장을 선점한 국가가 없기 때문에 기술개발(질환모사, 오가노이드 등)을 통해 시장 선도 가능성 충분
- 전 세계적인 인구 고령화 및 희귀·난치성 질환의 치료기술 개발의 필요성이 증대됨에 따라 줄기세포 분야에 대한 기대 증가
  - 고령화로 인한 퇴행성 질환, 국내 희귀·난치성질환자 등을 위한 효과적인 치료를 위한 줄기세포 치료기술의 수요 증가
- 정부에서는 줄기세포 분야를 미래 성장 동력으로 인식하여 종합계획수립 및 투자확대 등 적극적 진흥정책 추진
  - '09년에 수립된 '줄기세포 연구 활성화 방안'을 통해 줄기세포 분야에서 글로벌 top5에 진입하는 것을 목표로 국내 연구역량 및 기술경쟁력 제고 실시
  - '12년 '줄기세포 R&D효율화 방안'을 통해 줄기세포 연구개발 투자에 대한 개념을 제시하였으며 상세기획에서 중점추진방향 제시
- 국내 바이오산업 육성 및 줄기세포 분야의 연구 활성화를 위해 첨단바이오 의약품 제정에 관한 규제완화 및 신규입법 등 법·제도적 개선 시도
  - 첨단재생의료법(안)이 발의 중에 있으며 첨단재생의료실시에 대한 심의 및 승인에 관해 규제가 완화되고 있어 원활하게 사업이 진행될 것으로 예상
  - 바이오산업의 육성 및 줄기세포 분야의 연구 활성화를 위해 첨단바이오의약품 법안과 첨단재생의료법을 통합 법안 형태로 논의될 예정

### □ 위협 요인

- 미국, 유럽, 영국, 캐나다, 중국 등 주요 국가에서 줄기세포 분야를 중점 육성하기 위해 국가차원의 R&D 투자 강화
  - (미국) NIH, CIRM의 줄기세포 R&D의 투자 규모는 `11년~17년까지 7년간 약 22조 435억원
  - (유럽) 제 7차 프레임워크 프로그램'을 통해 대규모 연구개발 지원, '14년부터 'Horizon 2020'으로 통합하여 줄기세포 지원

- (영국) 기술전략위원회(Innovate UK)는 최근 세포치료 개발과 상업화를 위한 프로젝트 선정 및 지원 계획 발표(`15.7), 총 800만 파운드(약 142억원)를 투자할 계획으로 2~3년간 총 50만~2,500만 파운드 비용이 소요되는 프로젝트 기대
  - (일본) '12년 노벨상 수상을 기점으로 유도만능줄기세포 연구 투자에 집중하고 있으며 '15년 일본의료연구개발기구(AMED)를 설립하여 적극 지원 및 제4기 국가과학기술기본계획('11~'15)를 통해 '재생의료 실현화 하이웨이' 전략을 '15년 178억엔(약 1,670억원) 투자
  - (캐나다) '14년 12월 세포, 조직, 장기를 생성할 재생의료 연구에 7년간 약 15억달러(약 1.7조원) 투자 발표('15.7)
  - (중국) '11~'15년 간 수립된 '줄기세포 국가 중대과학 연구계획'을 통해 줄기세포 분야 R&D강화(약 5,200억원 투입)
- 주요 각국에서 줄기세포 연구를 체계적으로 지원하기 위해 대대적으로 제도·법률적 정비 실시
    - (미국) 인간배아줄기세포 연구비 지원에 대한 연방정부의 규제 폐지('09), 인간배아줄기세포 임상시험 최초승인('10.10)등 연구 활성화를 위해 규제 완화
    - (유럽) 미충족 의학적 수요에 대응하고, 관련 의약품 개발을 활성화 하기 위해 첨단제제의 개발 및 신속개발 지원제도 PRIME를 신설·운영
    - (일본) 줄기세포를 이용한 재생의료 분야의 제도를 대대적으로 정비한 '재생의료 등의 안전성 확보 등에 관한 법률(재생의료안전확보법)'제정

3. SWOT 분석을 통한 사업의 추진방향 도출

4. 사업의 중점 추진분야 도출

구분	추진방향	중점분야

## 5. 중점과제 및 핵심기술의 도출

### 1) 중점분야 도출 방법

Top-down(하향식) 방식의 형태로 중점추진 분야 도출

[그림] 중점분야 도출 방법

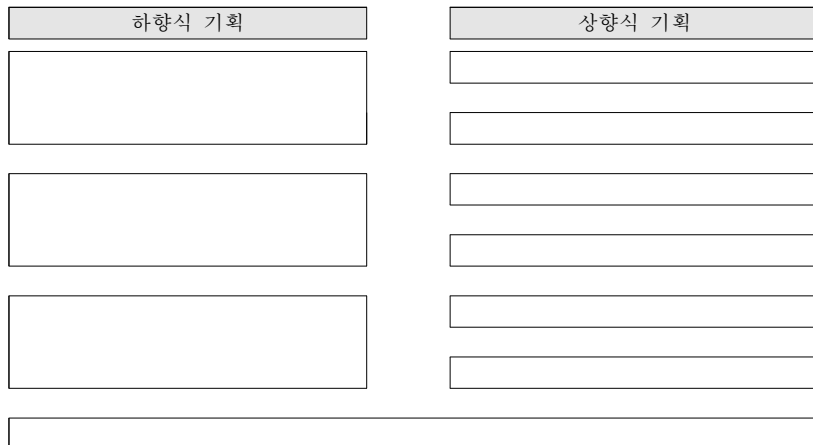


- (1단계) 총괄기획위원회 구성
- (2단계) SWOT 분석을 통한 중점분야 도출
- (3단계) 줄기세포 조직재생 기술개발사업('05~'17년 동안의 연속사업)상의 분야(줄기세포 치료기술, 줄기세포 활용기술)를 중점분야 마련을 위한 기본 틀로서 선정
- (4단계) 줄기세포 치료기술, 줄기세포 활용기술 2개의 후보 중점분야 도출

### 2) 추진과제 도출 방법

추진과제는 Top-down(하향식)을 통해 도출한 중점분야에 기반하여 Bottom-up(상향식) 방식의 기술수요 조사를 통하여 도출

[그림] 추진과제 도출 방법



추진과제의 도출 방법에 따라 다음 프로세스를 수행

[그림] 추진과제 선정 상향식 프로세스

1단계	
2단계	
3단계	
4단계	
5단계	
6단계	
7단계	
8단계	
9단계	

- (1단계) 기술 수요조사 결과를 바탕으로 추진과제 선정의 기초자료로 활용하기 위한 기술수요조사 기획 실시
- (2단계) 제안하는 기술을 상세히 파악하기 위해 기술명, 기술 분류 등의 수요조사서 설계
- (3단계) 기술수요 조사 실시
  - (조사기간) 총 3회에 걸쳐 기술수요조사를 실시
  - (조사대상) 줄기세포 분야 관련 연구자를 대상으로 수요조사 실시
  - (조사방법) 이메일 발송을 통한 이메일 회신 및 온라인 접수







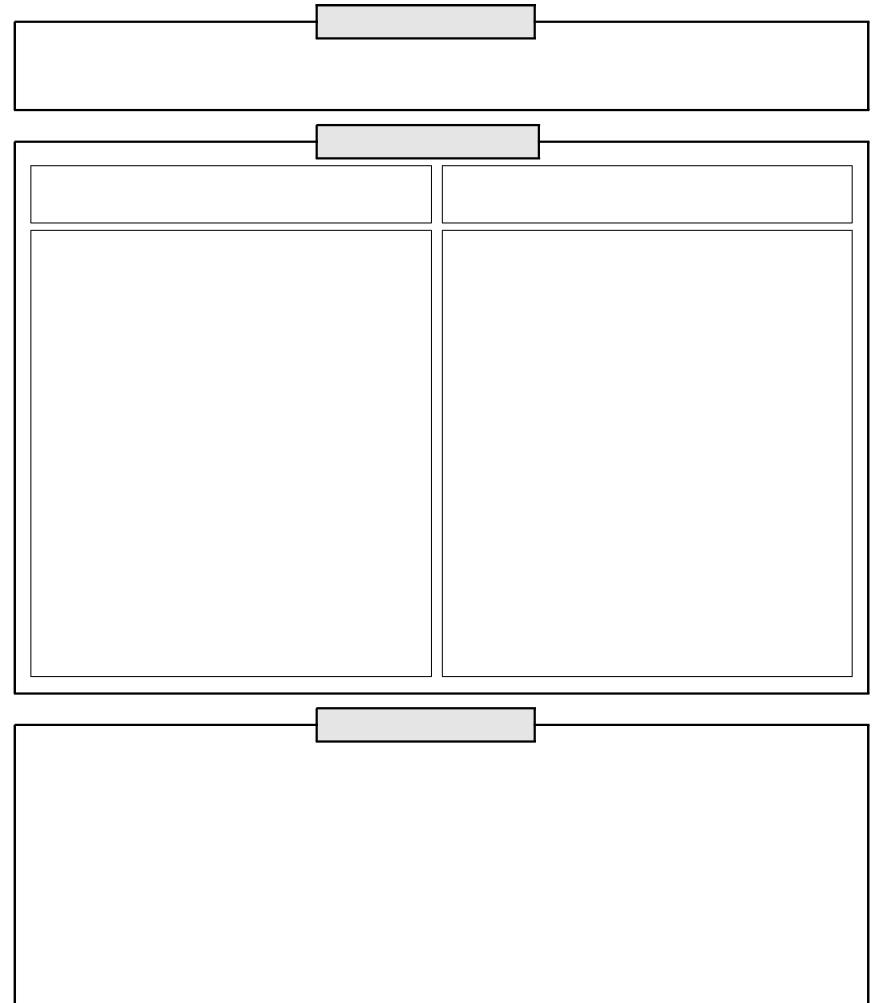
- (7단계) 분과위원회 논의를 통해 즐기세포 관련 후보 중점과제 5개, 핵심기술 10개 도출
  - 하향식 기획으로 도출한 중점분야 상향식 기획으로 도출한 핵심기술간의 매핑을 통하여 추진과제를 마련

[표] 후보 중점분야 및 중점기술 도출 결과



## 제2절 사업 비전 및 목표

### 1. 비전 체계도



## 2. 기본방향

### [줄기세포 치료분과]

- 줄기세포치료제 최초·최대 상업화 경험에 기반한 글로벌 상용화와 치료 근거 기반 임상 허가 국제 표준 제시
- 세계적으로 현재까지 품목허가된 7개 줄기세포치료제 중 4개\*가 국내에서 개발된 치료제로 가장 빠른 줄기세포 산업화 경험이 축적되어 있음
  - \* 하티셀그램-AMI('11.7), 카티스템('12.1), 큐피스템('12.1), 뉴로나타-알주('14.7)
- 줄기세포치료제의 효능기전과 생체 내 약리 활성 자료에 근거한 고도화 기술 확보를 통해 줄기세포 치료 기술의 글로벌 시장성과 신뢰도 증진 및 글로벌 리더쉽 확보 필요
  - \* 지속적인 치료기전 확보, 유효성 강화 치료제 개발, 대상질환 확대 전략을 통한 글로벌 시장 진출범위 확장
- 도전·선도형 차세대 줄기세포치료제 개발 연구를 통한 글로벌 줄기세포 치료기술 주도권 확보
- 기존의 모방·추격형 차세대 줄기세포 치료기술 개발 연구와 차별화된 차세대 줄기세포 확보 및 고도화 원천기술 확보 전략 필요
  - \* 배아줄기세포, 유도만능줄기세포, 직접교차분화세포 등 차세대 줄기세포에서 이식 가능하고 성숙화된 치료용 세포를 확보하기 위한 배양·유지·분화 기술 및 부작용 극복 기술 개발
- 융합 기술 활용을 통한 차세대 줄기세포 치료기술 고도화를 통한 차세대 줄기세포 치료 기술의 임상 진입과 글로벌 시장 선점 전략 필요
  - \* 고효율-고순도 분화 기술과 유전자 가위기술 또는 조직 공학 기술과의 융합, 한 종류 이상의 세포를 포함하는 복합 세포 치료제 개발
- 차세대 줄기세포 치료 기술의 실용화 촉진을 위한 초정밀·실시간 품질관리 및 표준화 기술과 선제적 전임상 평가 기술 개발
- 줄기세포 확립·분화·배양·생산·치료 전 공정 과정의 실시간 초정밀 품질 관리 및 표준화 기술 개발 필요
  - \* 성공적인 임상 진입과 산업화 촉진을 위한 실시간 초정밀 줄기세포 기능 분석, 대량 생산, 자동화 공정 기술 개발 등 고도화된 품질 관리 및 표준화 생산 플랫폼 개발
- 차세대 줄기세포 치료 기술의 비임상 안전성·유효성 평가 기술 개발
  - \* 안정적 임상 진입을 위한 글로벌 수준의 중개/임상 연구 기술 확보

### [줄기세포 활용분과]

- 축적된 줄기세포 기반 기술 활용을 통한 바이오 의학 부분의 새로운 패러다임 제시
- 지난 10년간의 줄기세포 기초 연구의 투자로 줄기세포의 기술력 축적
  - 국내 줄기세포 연구 성과는 세계 10위권으로 경쟁우위 선점이 가능한 수준
  - 줄기세포 분야의 핵심 기술 기술경쟁력은 세계 4위권 (미국의 80%, 국내 65%)
- 국제적 경쟁력을 갖춘 핵심 기술 (세포 분화, 줄기세포 확립, 유전자 편집 기술 등)을 바탕으로 신약개발, 바이오 전분야, 의학 분야로의 연구 파급을 통한 미래 바이오/의약학 분야의 성장에 기여
- 기존 줄기세포 기술에 미래 유망 기술인 신소재 기술과 플렉서블/웨어러블 제작 기술 등 소자 기술을 접목하는 미래 융합줄기세포 기술의 도입
  - 미래 융합연구 기반을 마련하여 세부연구 기술에서 파생되는 다양한 융합연구를 지속적으로 선도 가능
  - 미래 신기술의 도입으로 신약연구 및 인공장비 개발 기술적 고도화를 통해 개발 단계를 혁신적으로 단축 가능
- 줄기세포 기반 기술을 통해 기존의 불가능했던 세포 모델이 가능해져 타 바이오/의약학 연구로의 성과 확산 가능성 고취
  - 만능줄기세포 유래 인간 기능성 일차세포의 무한 공급 가능으로 신약개발 과정의 독성평가에서 기존의 암세포 또는 고가의 일차세포 제한성에서 극복 가능
  - 역분화 기법을 이용한 환자 세포의 구축으로 질환 특성을 보유한 질환 세포 공급이 가능으로 질환 기전 연구, 신약 후보 물질의 유효성 확인이 가능
- 비세포 치료 분야에서의 줄기세포 연구를 통한 가시적인 성과 창출
- 장기간 줄기세포 기초 연구 투자로 축적된 국내 줄기세포 연구 분야의 바이오/의약학 분야로의 연구 협력을 통한 성과 창출 유도
- 장기간의 줄기세포 연구 투자에 대한 성과 창출의 사회적 요구 충족
- 줄기세포 연구의 바이오/의약학 분야로의 융합 연구 확산의 국제적 추세 반영
- 줄기세포를 이용한 생명과학/생명공학/의약학/신약개발 분야로의 융합연구를 통해 동물 대체 시험법, 장기 모사체, 희귀 난치 질환 신약 등과 같은 가시

- 적인 성과가 창출되고 있는 현재 국제적 추세를 반영
- 환자 유래 난치 질환에 대한 신약 유효성 확인 국제적인 성공 사례 발표 (일본 2014, 2017)
- 줄기세포 유래 뇌신경 줄기세포를 이용한 지카바이러스 감염 억제제 개발 (미국, 2017)
- 독성 평가용 줄기세포 유래 일차세포의 상업화 (Insphero AG 사)
- big data/다중 오믹스 분석을 통한 새로운 줄기세포 분석 기술이 활발하게 이루어지고 있음
- 국내 기업에서 조직단위의 이미지를 분석하여 뇌졸중, 암, 폐질환 등의 질병을 진단하는 기술로 활용
- 세포 이미지 기반 줄기세포 추적을 위해서는 줄기세포 특이적 표지자 개발이 필요하며, 국내에서 활발히 개발연구를 진행중
- 줄기세포 연구의 고도화로 기존의 불가능했던 세포 모델 확립으로 타 연구 분야로의 연구 확산이 지속적으로 이루어지는 현재 국제적 추세를 반영
- 기능성 간 오가노이드를 통한 독성 평가 시스템 (네덜란드 2018)
- 다양한 유전질환 환자 유래 질환 세포 모델
- 인간 줄기세포를 이용하여, 기능적 일차 세포 또는 장기 모사체가 구축되면 서, 인간 질환 또는 발생 연구를 위해 부득이하게 이용한 동물 모델의 대체가 가능
- 동일한 기술을 적용하여 다양한 장기를 생산할 수 있는 기술의 확장성과 유전질환 환자 유래의 장기를 동물 체내에서 발생을 유도하여 질환의 진행 및 새로운 치료법을 연구할 수 있는 질환모델로 활용할 수 있음

### 3. 사업비전



### 4. 전략 및 성과목표

- [전략목표 1] 차세대 줄기세포 치료원천기술 확보
  - 줄기세포치료제의 신뢰성 확보를 통한 글로벌 리더십 강화
    - 성체줄기세포의 신뢰도 증진을 위한 작용기전 규명 및 검증기술의 지속적 확보
    - 명확한 기전에 근거한 줄기세포 치료제 효능 고도화 기술 확보 및 검증
    - 안전성 및 작용기전이 기확보된 줄기세포 치료제의 대상질환 확대
    - 선진국 (미국, EU, 일본, 중국) 또는 글로벌 제약 회사가 참여하는 글로벌 컨소시엄 육성
  - 미래 수요를 반영한 차세대 줄기세포치료제 핵심 원천기술 확보
    - 세계 수준의 차세대 줄기세포 선도 연구팀 육성
    - 치료용 세포 확립 기술의 다양화·고도화·성숙화 기술 개발과 임상 진입
    - 창의적 융복합 기술응용을 통한 차세대줄기세포 기술 고도화
  - 줄기세포치료제 고도성장을 위한 플랫폼 구축
    - 세포 배양·분화의 실시간 정밀 분석과 표준화를 위한 기반기술 구축 및 시설 확충
    - 줄기세포치료제 종류별, 질환별 안전성·유효성 검정 기술 개발 및 기준 설정
    - 줄기세포 생체 내 특성과 약리 활성 분석 기술 개발 등의 중개연구 인프라 강화
- [전략목표 2] 차세대 줄기세포 치료원천기술 확보
  - 줄기세포치료제의 신뢰성 확보를 통한 글로벌 리더십 강화
    - 성체줄기세포의 신뢰도 증진을 위한 작용기전 규명 및 검증기술의 지속적 확보
    - 명확한 기전에 근거한 줄기세포 치료제 효능 고도화 기술 확보 및 검증



5. 논리모형

### 제3절 줄기세포·조직재생 원천기술별 상세내용

#### 1. 줄기세포 치료기술

중점과제 및 핵심기술 구성

			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-
			-

### 1-1 줄기세포 한계극복 기술

#### 1-1-1. 치료기전(MOA) 분석기술 개발

##### (1) 기본 개념 및 범위

###### <개념>

- 줄기세포 치료제의 효능기전을 규명하고 치료효과에 대한 증거를 확보하기 위한 기술로, 이식 후 줄기세포의 생체 내 기능과 동태에 대한 초정밀 실시간 분석 기술과 줄기세포의 주변 미세환경, 생착, 면역 반응을 분석하고 제어할 수 있는 기술
- 글로벌 줄기세포 치료기술의 시장성과 신뢰도 증진을 위한 치료 기전 (mode of action; MOA) 분석과 효능 고도화를 위한 핵심 원천 기술 개발
  - 다학제적 산학연 협동 기초-중개-임상연구 확대와 MOA/검증기술 집중 지원 등 선도적 줄기세포 치료 기술 지원 확대
  - 줄기세포 고도화를 위한 신기술 개발 지원 및 연구 지원 시스템 구축
  - 세계 수준의 줄기세포 선도 연구팀 육성 및 다학제간 국제적 네트워크 강화
- 다학제 융합 연구를 통한 초정밀 줄기세포 연구 기반 기술 확보
  - 다학제간 융합형 연구를 통하여 세계적 수준 줄기세포 연구 결과를 도출하고 줄기세포 치료제의 한계를 극복할 수 있는 초정밀 신규 줄기세포 연구 기법 개발
  - 줄기세포의 정밀한 연구 개발을 위한 융합형 연구 기법 개발

###### <범위>

- 생체 내 세포 기능-동태 초정밀 분석 기술
  - 줄기세포 치료기전 분석 기술 개발
    - 효능기전 규명 및 치료효과 증거기술 확보
  - 줄기세포 초정밀 분석 기술 개발
    - 단일세포 혹은 세포 소기관 단위 초정밀 실시간 줄기세포 기능 분석기술과 이를 활용한 줄기세포 기능 고도화 기술
    - 이식 후 생체 내 환경에서 실시간 세포 특성 모니터링과 이를 활용한 효능 예측 기술

- 체내동태 추적 및 치료 효과 평가 기술 개발
  - 생체 내 주입 후 줄기세포의 이동경로, 분포 및 약리작용 평가기술
- 생체 내 미세환경-면역반응 조절 기술
  - 주변 분비, 생착, 및 면역 반응 기전 연구와 제어 기술
    - 줄기세포 분비기능의 정밀 분석 및 핵심 분비인자 조합 발굴
    - 줄기세포의 생착 및 면역반응 관련 MOA 확보 및 치료효능 고도화 기술
    - 줄기세포와 미세환경 간의 상호작용 관련 MOA 확보 및 치료효능 고도화 기술
  - 줄기세포 강화 인자 발굴을 통한 다양한 난치성 질환 치료법 개발

## (2) 추진 배경 및 필요성

### <추진 배경>

- 줄기세포치료제는 질병의 보존적 치료에서 근본적 치료인 재생의료를 현실화하여 미래 의료기술 패러다임 변화를 이끄는 주요 연구 분야
  - 기존에 치료 불가능하였던 희귀질환, 퇴행성 뇌질환, 당뇨 등의 난치병에 대한 새로운 치료 대안으로 기대되어 전 세계적으로 핵심 원천기술 개발 활발
    - 현재 치료법이 없는 만성 난치질환은 환자의 고통 뿐 아니라 가족의 삶의 질 저하, 막대한 사회적 의료 부담 등이 동반되어 근본적 신 의료기술 개발에 대한 니즈가 매우 높음
  - 환자맞춤형 차세대 줄기세포치료제 개발은 향후 고성장이 전망되는 고부가가치 유망산업으로 실용화 촉진 및 글로벌 시장 진입을 위한 전략적 연구 필요
    - 줄기세포치료제 개발을 위한 기초·원천기술과 함께 임상적용 및 실용화를 위한 응용기술의 발전이 급속히 진행 중으로, 지속적인 글로벌 연구트렌드 분석 및 원천기술 확보 시급
  - 글로벌 세포치료제 시장은 2015년 40억달러에서 연평균 20.1%로 성장하여 2020년 100억달러 규모로 성장할 전망
    - 전 세계적으로 활동하는 500개 기업 중 절반 이상이 미국에 있으며, 이로 인해 미국 시장의 잠재력이 가장 크지만 일본과 한국의 주도로 아시아 시장도 빠르게 성장중임
      - ※ 미국 50%, 유럽 30%, 아시아 16.5% 순으로 세포치료제 글로벌 시장 점유

- 국내 줄기세포치료제는 세계 최초, 최다 품목 허가 성과를 보유하고 있어 산업화 선도 유지와 글로벌 리더쉽 확보를 위한 고도화 기술개발 전략 요구
  - 전 세계적으로 허가된 6개 줄기세포치료제 중 4개 품목\*이 국내 줄기세포 치료제로 가장 빠른 줄기세포 산업화를 선도
    - \* 하티셀그램-AMI('11.7), 카티스텀('12.1), 큐피스텀('12.1), 뉴로나타-알주('14.7)
  - 지속적인 줄기세포치료제 고도화 전략 개발을 통한 선도 기술력 유지 및 글로벌 시장 진출을 통한 글로벌 리더쉽 확보 필요
    - 현재 줄기세포치료제 개발 기술력을 기반으로 다양한 적용 질환범위 확대, 효능 및 가격 측면에서 실용성을 증대시킨 줄기세포치료제 개발을 통해 시장 진출범위 확대 전략 필요
    - 글로벌 리더쉽 확보를 위한 줄기세포의 유효적 치료 기전 분석 기술과 이를 활용한 줄기세포 고도화 기술과 중개 연구 기술 확보 및 원활한 산업화 촉진을 위한 대량생산, 자동화 공정 기술 개발 등 고효율·저비용 줄기세포치료제 생산 플랫폼 환경조성 시급
  - 세계적으로 줄기세포 치료기술을 고령화 시대에 가장 발전 가능성이 큰 분야로 선정하고 국가 신성장동력으로 육성하고 있는 추세이나 세포를 생체 이식하는 현 단계의 치료법은 필연적으로 따라오는 위험성 및 문제점으로 인해 범용적 효용성에서 기술적 한계를 보이고 있음
    - 줄기세포의 체내 비이상적 증식으로 인한 종양형성 가능성 및 비이상적 분화에 따른 부적절한 조직형성 가능성
    - 줄기세포의 생체 내 낮은 생착율로 인한 이식 후 낮은 생존율
    - 환자에 따라 치료 효능의 차이가 큰 자가유래 줄기세포의 범용적 이용 한계
    - 성체줄기세포의 체외증식능력의 한계에 따른 대량생산의 비효율성 등
  - 줄기세포 치료제의 대상 질환 및 적응증의 확대 추세
    - 현재 시장에 출시된 세포치료제는 피부질환(38%)과 근골격계 질환(30%)을 주요 적응증으로 개발
    - 시장에 출시된 세포치료제 중 국내업체에서 개발한 제품은 근골격계 질환, 면역질환, 종양, 심혈관계 질환에 분포함
      - 향후 2-3년 내에 종양과 심혈관계 질환 치료를 위한 세포치료제의 시장출시가 활발할 것으로 전망. 현재 개발단계의 세포치료제는 종양(127개), 심혈관계질환(131개)에 집중되어 있으며, 파이프라인에서 비교적 후기임



상(3상) 단계의 제품이 다수 분포

- 국내 개발된 4개의 제품이 모두 중배엽줄기세포 치료제로서 비슷한 작동기전을 가질 가능성이 높음. 다르게 해석하면 해당 적응증 이외에 만성 염증성, 난치성 질환에도 비슷한 효과를 가질 가능성이 높음
- 적응증 확대 전략이 성공한다면 현재 우리나라가 보유한 줄기세포실용화 리더쉽 지속가능

○ 지속적인 상업화 임상시험 진행 및 활발한 임상적응증 개발분야 보유

- 국내에서 현재까지 총 46건의 임상시험이 승인, 그 중 25건이 진행 중. 전 세계적으로 상업화를 위한 임상 시험에서 한국은 2위로 약 10%의 비중
- 해외에 비해 소화기계, 신경계, 암 및 정형외과 질환의 임상 적응증 개발 비율이 상대적으로 높은 수준. 크론성누공 환자를 대상으로 자가지방유래 중간엽줄기세포 치료제(큐피스텝®)를 투여한 결과 33명의 환자 중 27명에서 누공이 완전히 막히는 치료효과(2012.01 의약품 허가, Stem Cells. 2012) 및 치료효능의 장기간 유지(Stem Cells Transl Med. 2015)

### <추진 필요성>

- 상용화 가능 기술수준에 도달한 줄기세포치료제 분야는 최근 치료 유효성 및 안전성 강화 연구를 진행하며 적용 질환을 점진적으로 확대하는 추세
- 2013년 현재 Clinicaltrials.gov 에 등록된 간엽줄기세포와 같은 성체줄기세포 치료제를 통한 임상시험의 경우 344건으로 제1상 31.4%, 제2상 49.6%, 제3상 15.3%, 제4상 3.7%를 차지하고 있음.
- 치료 유효성을 향상시키기 위한 신규 혼합인자 발굴 등 기존 줄기세포치료제 성능 강화에 대한 지속적 연구 추진
- 줄기세포치료제에 대한 부작용 감소 및 안전성 강화를 위한 돌연변이 제어 및 유전체 안정성 연구 추진
- 기존 신경계, 혈액계 및 골격계 재생의학에 주로 활용되던 줄기세포치료제가 점차 중증 만성 난치성 질환(아토피피부염, 천식, 당뇨병 합병증 등) 및 항암 치료제로서의 다양한 연구개발 추진
- 줄기세포 치료연구에 새롭게 바이오이미징 기반 MOA(mode of action)분석 기법 적용 및 분석경쟁 심화
- 주로 암의 조기진단, 신규 의약품 개발, 유전자치료, 질병치료 예후 예측 등

임상에 사용되던 MOA 분석기술이 최근 줄기세포 연구에도 사용

- 새로운 바이오이미징 기법을 활용한 생체 내 주입 줄기세포의 이동경로 및 분포, 치료효과 판정 뿐 아니라 줄기세포 치료법의 치료시기와 방법을 결정하는 정보 확보 연구 활발
- 이러한 분석 결과는 전임상 결과로 임상시험을 디자인하거나 임상적 유효성을 확보할 수 있는 최소 이식 세포 수를 예측하는 자료로 활용 가능
- \* 바이오이미징 기술 활용 확대되면서, 줄기세포 이식 후 체내 동태 분석 기술을 개발하고 이를 활용하여 줄기세포치료제의 pharmacokinetics/pharmacodynamics (PK/PD) 정보 확보가 가능 (Endele and Schroeder, 2012)
- 단일세포 오믹스 기반 MOA 분석을 통해 새로운 줄기세포 메커니즘 규명 연구성과 창출 활발
- \* MRI 분자영상기법을 활용하여 micro-encapsulated MSC의 생체 내 잔존률 증진 효능 입증(싱가포르 국립대, 2015)
- \* 외부적 줄기세포 주입 없이도 내인성 줄기세포 자체의 재생, 증식능을 조절하는 미세환경 (stem cell niche)에 대한 조절을 통하여 새로운 치료타겟을 설정하는 연구 진행(Morrison and Scadden, 2014)
- \* In vivo regeneration 및 in vivo reprogramming 등의 차세대 줄기세포 치료에 활용될수있는 연구가 강화되는 추세
- 간엽줄기세포의 파라크라인 효과에 의한 항염증 반응 메커니즘 규명 연구 활발
- \* 간엽줄기세포에서 분비하는 TSG-6 의 항염 효과 및 세포치료 효과 확인 (톨라인 대학교, 2009)
- \* 간엽줄기세포에서 분비하는 HLA-G5에 의한 regulatory T 세포 증식 확인 (Franche-Comete 대학, 2008)
- 줄기세포 분야 연구자와 타 생명과학연구분야 연구자의 공동연구를 통한 기존 기술 고도화 및 신개념 줄기세포 연구 기법 개발과 신 기술들을 활용한 줄기세포 메커니즘 규명 연구에 대한 경쟁 심화
- 줄기세포 성상을 규명하고 이를 이용하여 새로운 치료법을 개발하는데 있어, 줄기세포도 하나의 세포라는 점에서 전 분야의 세포생물학 연구 (유전자 발현 조절, 후성유전학, 세포 대사, 세포사멸, 세포주기, autophagy, 세포 내 신호 전달, 유전자 발현 조절 등)에 기초함. 그러므로 줄기세포 전무가의 관련 기술과 타 분야 세포생물학 전문 지식에 기반한 협력연구가 수될 경우 세계적 수준의 줄기세포 연구 결과 도출이 기대됨
- \* 미국 솔크연구소(Salk Institute)의 뇌신경생물학자 프레드 게이지(Fred Gage)는 정신분열증 환자의 피부세포에서 뉴런을 역분화하여 정상적인 뉴런과 정신분열증 뉴런 사이의 차이점을 분석하는 등 기존 연구방법으로는 한계가 있었던 연구를 줄기세포와 융합하여 확보한 우수 연구성과를 네이처(Nature) 등 빅 저널에 다수 발표 (Bellin et al., 2012; Mertens et al.; Mertens et al., 2015)

- \* '15년 세계줄기세포학회(ISSCR)에서는 다양한 연구팀과 업체들에서 단일세포 시퀀싱 등 Single Cell Biology에 대한 결과 다수 발표
  - \* 단일세포 정보 분석기술(예시, Fluidigm사 Single Cell Genomics)이 발전하면서 줄기세포 이식 후 세포들의 변화를 단일세포 수준에서 분석 가능
  - \* 단일세포 유전체 분석법을 통하여 지금까지 알려지지 않은 새로운 종류의 세포규명 성공(캠브리지 브로드 연구소/스펜포드대 공동연구, 2015)
- 다학제간 교류의 활용화를 통한 줄기세포 치료 기술의 고도화와 활용 범위 확대
- 난치성 질환의 병리 기전 이해와 새로운 패러다임의 치료 기술 개발을 위해 줄기세포학, 유전학, 종양생물학, 유전자 조작기술, 유전체 분석학 등 다양한 전문가들의 기술과 인프라를 융합한 다학제간 공동 연구가 진행 중
  - 줄기세포 분화와 배양 기술의 고도화를 통하여, 질환 동물 모델을 대체할 수 있는 질환 모델 시스템 개발과 신규 치료제 평가 기술로 활용됨
  - 유전자 교정과 재조합 기술과 초정밀 실시간 세포 분석 기술의 융합을 통하여 질환 발생과 치료 과정의 생리 활성 모사 시스템 구축이 가능함
- 개인 맞춤형 줄기세포 치료 기술 실현을 위하여 줄기세포 초정밀 실시간 신규 분석 기술의 적용 연구와 고도화된 품질 관리 및 표준화 기술에 대한 필요성 증가
- 줄기세포의 생물학적 특성을 살아 있는 세포에서 단일 세포 혹은 세포 소기관 단위로 실시간으로 분석할 수 있는 형광프로브, 나노전달체, 초고분해능 현미경 기술들이 개발되면서, 줄기세포의 역동적 특성을 모니터링 하는 연구들이 태동하고 있음.
  - \* 세포 내 항산화능 측정 형광 프로브를 활용하여 단일세포 수준에서 세포 내 항산화능 변화를 실시간으로 분석하고 항산화능이 증진된 줄기세포를 선택적으로 분리하고 줄기세포치료제의 품질 관리를 실시간으로 진행할 수 있는 신 기술 개발 (Jeong et al. Stem Cell Reports, 2018)
  - \* 초고해상도의 STED 현미경을 이용한 줄기세포 상태와 분화를 특정 단일 세포에서 기존 방식보다 조기에 분석 기술 개발 (Kim, Joseph J., et al, 2017)
  - 바이오정보학과 차세대 유전체 분석 기술 발전을 통하여, 줄기세포 치료 기술의 정밀의료 (precision medicine) 개념 정립과 이를 위한 고도화된 품질 관리 및 표준화 기술 개발의 필요성이 강조
  - 환자맞춤형 줄기세포 치료 기술 개발을 위하여, 환자마다 필요한 효율적인 세포 제조와 관련 품질관리 시스템의 개발이 필수적이며, 줄기세포 치료 기술의 생산 효율성, 품질, 효능, 안전성을 글로벌 수준으로 확보할 수 있는 고도화된 치료용 세포 제조 및 품질 검사 시스템 개발이 필요

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

#### 1) 과학·기술적 측면

##### □ 국내 줄기세포치료제 개발현황

##### ○ 세계적으로 세포치료제 개발의 선도적 위치를 점함

- 1세대 줄기세포 치료제를 개발하고 상용화한 국내 기업은 대표적으로 파미셀, 메디포스트, 안트로젠, 코아스템 등이 있음.
- 국내에서 진행되는 줄기세포치료제 상업임상시험 건수는 39건으로 전세계적으로 2번째로 임상시험이 활발한 국가임
- 특히 한국은 후기임상 (II/III상 및 III상) 비중이 높아 지속적인 줄기세포 치료제 상용화가 기대되고 있음.
- 또한 국내 대형 병원들의 특성화센터 중심 환자 적용 경험 등도 긍정적임. 국내에서 총 10여개 미만의 전문 기업들이 다양한 난치성 질환에 대해 20여 건의 상업화 임상시험을 수행 중인데, 향후 임상적용 사례의 증가와 함께 처방률도 증가할 것이라고 예상됨.

##### □ 국내 줄기세포 연구는 성체줄기세포 중심의 세포치료 관련 연구개발이 가장 많은 비중 차지

##### ○ 우리나라는 줄기세포 분야에서 세계적으로 경쟁력을 인정받고 전 세계 줄기세포치료제 관련 상업적 임상시험 상위 순위 위치, 특히 후기 임상 비중이 높아 치료제 개발 성숙도 향상

##### ○ 세포치료제 개발의 임상진입 및 상용화에 집중함으로써 차세대 줄기세포 원천 기술 관련 연구는 미흡한 상태

- 줄기세포 분야 정부투자를 살펴보면, 성체줄기세포 분야의 연구가 약 52%를 차지, 그 다음으로 배아 19%, iPSC 연구가 15%의 비중으로 연구투자자 지원 되고 있으며 직접교차분화 관련 연구는 1%로 매우 미미한 수준 ('13년 기준)
- 국내 기업에서의 세계 최초 줄기세포치료제 품목 허가\* 등 상용화 선도를 이끄는 등 성체줄기세포 분야의 성과는 우수하나 다른 분야에서는 미국과 일본이 선점기술을 이미 확보

\* 에프씨비파미셀 '하티셀그램-AMI(심근경색 치료제)', 메디포스트 '카티스템(연골치료

제), 안트로젠 ‘큐피스템(크론성 누공치료제)’, 코아스템 ‘뉴로티나-알주(루게릭병)’

- 기존 세포치료제의 MOA 부재의 기술적 난관을 해결할 수 있는 분자영상기법 기반 줄기세포 치료 판정 기술, 줄기세포 특이적 표지 인자 발굴, 단일세포 분석법 기술 등의 원천 기술 개발이 미비함.

□ 국내 줄기세포 융합기술 관련 연구 현황 및 문제점

- 줄기세포 융합기술 관련 연구는 소그룹 규모로 진행되고 있으며, 주로 줄기 세포치료제 기능성 강화 및 안전성 확보를 위한 연구에 집중
- 세포치료제 개발의 임상진입 및 상용화에 집중함으로써 생명과학 분야와의 협력 연구를 통한 줄기세포 융합기술 개발의 국내 수준은 상대적으로 뒤떨어져 있는 상태
- 타 생물학 및 의학 분야의 협업 연구가 미흡하여 줄기세포 리소스 기반이 취약하고 관련 연구 확장이 제한적임
  - \* 해외 선도 연구의 국내 도입의 지체와 관련 연구의 지적재산권 확보 취약
  - \* ZFN, TALEN, CRISPR/Cas9과 같은 유전자 가위에 의한 유전자 변형 기술은 세계적 수준에 도달하였지만, 이들의 줄기세포 분야 적용 연구는 상대적으로 부족
  - \* 질환 모델링과 오가노이드와 줄기세포 활용 기술이 성공적으로 개발되고 있지만, 다학제 융합 기술을 활용한 고도화 전략이 부족

□ 단일세포 분석과 분자영상기법 분야에서 신기술 개발은 아직 초기 단계

- 단일세포 수준의 새로운 분석 기술을 통한 새로운 줄기세포 메커니즘 규명 및 줄기세포 치료제 품질관리 및 표준화 기술 연구 분야는 출발기 수준
  - \* 단일세포 분석법을 이용한 줄기세포 MOA 연구 분야는 기초수준에서 연구가 진행 중이며, 응용연구 및 실용화 연구는 전무한 상황
  - \* 전자현미경 분자이미징 기법을 활용하여 인체 내 극소규모 존재하는 성체줄기세포의 고유한 세포분열 특성을 분석하는 기술 개발 (한국기초과학지원연구원, Cell Death and Disease, 2014)
  - \* 세포 및 생체 내 대표적 항산화물질인 glutathione을 모니터링 할 수 있는 형광 프로브 개발 (이화여자대학, Nature Protocol, 2015; Nature Communications 2017)
  - \* 세포 내 항산화능 측정 형광 프로브를 활용하여 단일세포 수준에서 세포 내 항산화능 변화를 실시간으로 분석하고 항산화능이 증진된 줄기세포를 선택적으로 분리하고 줄기세포치료제의 품질 관리를 실시간으로 진행할 수 있는 신 기술 개발 (서울대학교 의과대학/울산대학교 의과대학, Stem Cell Reports, 2018)
  - \* 한국표준과학연구원에서는 단일세포 수준의 MALDI 질량분석을 구현하기 위하여, 상용화급인 30-50 마이크론급 이상의 해상도를 넘어선 1 마이크론급의 MALDI-TOF 질량분석장비를 자체 개발 중
- 국내 치료제 개발에서 분자영상기술 분야는 태동기에 있으며 이에 대한 집중 투자와 인프라 구축이 시급한 실정임

- \* 국내 의약품 규제기관인 식품의약품안전처에서 바이오이미징을 이용한 치료제 개발에 대한 안내 출판물이 발간된 것은 2012년으로 불과 2년 전의 일임.
- \* 사실상 국내 제약사들은 식약처 등 규제기관의 가이드라인 발간, 홍보 등의 알림 없이는 제약회사 스스로 바이오이미징을 신약개발에 활용하여 허가자료로 제출하기는 쉽지 않은 환경임.
- \* 국내의 내시경 산업은 중저가 품목의 영세 중소기업이 대부분이며, 기술적인 측면에서도 핵심기술의 해외 의존도가 높고 R&D 투자도 중급기술 분야에 치중하고 있어 국제 경쟁력 확보에 어려움이 있음.
- \* 특히 임상에 사용되는 내시경은 전량 수입품에 의존하고 있음.
- \* 국내 삼성그룹이 5대 신수종 사업으로 바이오제약과 의료기기 분야를 선정한 이래 의료용 내시경 사업에 관련한 설비와 자금 투자를 증대하고 있는 실정이고 계열사인 삼성메디슨, 삼성바이오로직스를 바탕으로 세계 의료시장 점유율 확보를 꾀하고 있음.
- \* 국내 서울아산병원은 산업통상자원부 (“2016 바이오 의료기기 산업 핵심기술 개발 사업)와 협약을 맺고 국산 차세대 내시경 개발을 본격화함.

- 국내 초고분해능 현미경 관련 연구는 세계적으로 연구 되고 있는 STED, SIM, STORM의 경우 거의 이루어지지 않고 있어 국내 수준이 상대적으로 많이 뒤떨어져 있는 상태

- \* 국내 초고해상도 현미경은 몇몇 연구소 수준에서 장비를 도입하여 샘플 영상화를 진행하는 수준에 머물러 있음
- \* 국내 초고해상도 현미경 개발 연구는 KAIST 바이오 뇌공학과 연구팀의 레이저 잡음 이용 초고해상도 현광현미경 개발 연구 (Scientific Reports, 2013)를 제외하고 거의 전무한 상태
- \* Live cell 초고해상도 현미경 영상 기술 및 그 응용 연구가 필요한 실정임

2) 경제·산업적 측면

- 국내 줄기세포 시장은 '05년 1.7억달러(2,000억원)에서 '15년 17억달러(2조 원) 규모 형성 전망(연평균 25%로 성장)

- 국내 줄기세포 시장은 제대혈 보관서비스와 치료제개발 중심의 소규모 시장
  - 국내 줄기세포 시장은 '11년 기준 관련기업의 매출분석결과 약 540억원 규모로 다른 바이오 의약품인 백신의 국내시장(4,800억원)에 비해 시장 규모는 매우 작은 수준
  - 분야별로 제대혈보관 400억원, 치료제 140억원으로 시장이 형성되어 있으며 (서비스 등 시장 미형성), 주 수익은 제대혈 보관을 통해 얻어지고 있는 실정

- 국내 줄기세포 시장의 다변화 필요성 존재
  - 국내 시장은 기업규모가 작은 벤처 및 중소기업 중심의 시장으로 코스닥 상장 기업 4개, 치료제 개발 기업 7개사로 외국기업과 비교 시 규모의 차이 존재

- 관련 기업은 모두 제대혈 보관 및 치료제 개발에만 집중하고 있으며, 장치 및 공정시스템 개발, 연구대행 서비스와 관련된 시장은 존재하지 않아 시장의 다변화 필요성 존재
  - 과학기술정보통신부 주도로 '12년부터 줄기세포 기반 약리 독성 질병모델링 및 약효 평가 등의 국책 연구 사업 진행
  - 전분화능 줄기세포 유래 간, 심근 및 신경세포 등을 활용한 약물독성 및 스크리닝 시스템 개발을 위한 초보수준 연구로, 기업 등의 참여는 전무
- 글로벌 줄기세포 기술 주도권 확보를 위한 신기술 발굴 및 차세대 줄기세포 개발 원천기술 확보에 대한 인프라 부족
- 줄기세포 R&D 인프라 구축 추진이 다소 미흡한 상황
    - 특정 분야에 편중된 줄기세포 전문가 인력 구성 및 줄기세포치료제 개발 인프라의 취약하여 혁신적 융합형 줄기세포치료제 기술개발 부진
  - 산·학·연·병 간 연계가 취약하여 효과적인 융합 연구와 실용화 성과도출 기회 부재
    - 산업계 수요가 미반영된 학계의 줄기세포치료제 분야 연구 다수 추진
    - 제약기업, 병원 그리고 대학간의 상호 긴밀한 학술 정보 교류 및 연구 활동 증진을 위한 질환별·목적별 줄기세포치료제 연구·개발 특성화 센터 설립 필요
    - 국내 줄기세포 관련 기업의 규모가 상대적으로 영세하여 기술 개발에 투자 미흡
    - 산·학·연·병으로 구성된 국가 전문 위원단 설립 및 산업화 투자 펀드 조성을 통한 대기업 투자 기회 제공
- 국내에서도 의료 영상 기기 분야의 발전과 함께, 분자영상기술의 신뢰성과 타 분야 적용 가능성이 높아지면서 관련 시장이 지속적으로 성장하고 있음
- 암진단 분야에서 PET의 중요성이 점차 인정을 받고 고가의 검사로만 여겨지던 PET 검사에 건강보험이 적용되기 시작하였으며, 해부학적 정보를 같이 제공하는 PET/CT의 등장으로 PET 검사결과의 신뢰성이 더욱 높아짐에 따라 임상적 수요가 기하급수적으로 증가하고 있음.
    - 2008년도 우리나라 보험급여총액은 8조 7천억원으로 이중 영상의학과 핵의학 분야가 각각 1조 3천억, 3천 200억을 기록하여 의료영상 분야가 전체 보험 급여에서 차지하는 비중이 거의 20%에 달하고 있음.

- 핵의학 분야의 의료산업은 2009년 통계에 따르면 1,600억 규모로 이중 영상기기 및 영상용 방사성의약품, 기기 유지 보수 등 핵의학 영상분야가 가장 큰 비중을 차지하고 있음.

- 2016년 국내 광학 현미경 시장은 약 600억 원, 이 중 형광 현미경 시장은 약 340억 원 정도로 추정된다. 2021년에는 광학 현미경 시장이 약 860억 원, 형광 현미경 시장이 약 430억 원에 이를 것으로 예상된다.
- 이중 초고해상도 형광 현미경 시장은 세계 시장의 비율을 보수적으로 산정하여 국내 시장에 대입할 경우 전체 형광 현미경 시장의 약 2~30%를 차지할 것으로 예상되며 역시 광학 현미경 시장과 함께 성장할 것으로 예측됨.

### <국외>

#### 1) 과학·기술적 측면

- 줄기세포 치료연구에 새롭게 단일세포 분석법 등 신 기술을 활용한 MOA (mode of action)분석 기법 적용 및 분석경쟁 심화
  - 세포 분리법과 단일세포 분석법 발달에 따라서 단일세포 오믹스 기반 MOA 분석을 통해 새로운 줄기세포 메커니즘 규명 연구 성과 창출 활발
    - \* 바이오이미징 기법과 생체 세포 발현체 분석을 통하여 척수 손상 치료 후 신경줄기세포의 체내 동태 분석과 생체 세포 특이적 치료 인자를 동정하는데 성공 (Kumamaru et al., 2012)
    - \* 심근 경색 모델에 이식한 후 생체 내 생착된 역분화줄기세포 유래 심근세포의 단일세포 발현체 분석을 통하여 혈관 재생과 세포 생존 인자 활성화를 통한 줄기세포의 치료 기전을 규명 (Zhou et al., 2013)
    - \* 단일세포 발현체 분석을 통하여 새로운 CD133+ 신경줄기세포 존재를 확인하고, VEGF/bFGF 성장 인자에 의한 휴면기 신경줄기세포 활성화 기전을 밝혀내는데 성공함 (Luo et al., 2015)
- 분자영상기법을 활용하여 줄기세포 이식 후 생체 내 특성 연구 및 줄기세포 치료제 BK/BD 정보 확보 인프라 강화
  - 주로 암의 조기진단, 신규 의약품 개발, 유전자치료, 질병치료 예후 예측 등 임상에 사용되던 MOA 분석기술이 최근 줄기세포 연구에도 사용
    - \* MRI 분자영상기법을 활용하여 micro-encapsulated MSC의 생체 내 잔존률 증진 효능 입증 (Blocki et al., 2015)
  - 분자영상기법들과 줄기세포 특이적 생체표지분자들을 이용하여, 줄기세포 주입 후 생체 내에서 일어나는 분자 및 세포학적 현상들과 구성 성분들의 상호 작용 및

이동을 광학적인 영상을 통하여 일시적으로 지속 가능하게 관찰 할 수 있으므로, 줄기세포 치료 효능을 정량적으로 분석할 수 있는 기술로 활용 가능 (Hara et al., 2008)

○ 새로운 바이오이미징 기법을 활용한 생체 내 주입 줄기세포의 이동경로 및 분포, 치료효과 판정 뿐 아니라 줄기세포 치료법의 치료시기와 방법을 결정하는 정보 확보 연구 활발

○ 이러한 분석 결과는 전임상 결과로 임상시험을 디자인하거나 임상적 유용성을 확보할 수 있는 최소 이식 세포 수를 예측하는 자료로 활용 가능

□ 타 의생명과학 분야와의 줄기세포 협력 연구를 통한 새로운 줄기세포 고도화 기술 및 안전성 확보 기술 연구가 집진적으로 확대하는 추세

○ 치료 유효성을 향상시키기 위한 신규 혼합인자 발굴 등 기존 줄기세포치료제 성능 강화에 대한 지속적 연구 추진

\* 손상된 조직 및 장기의 빠른 회복을 돕는 새로운 재생물질인 "SW033291"를 개발하여 골수 및 대장세포 재생 효능 입증 (Zhang et al., 2015)

\* PDGFRa 성장 수용체 단백질과 줄기세포 혼합치료법을 통하여 심근 경색 치료 효능 강화 (Nosedá et al., 2015)

○ NGS와 같은 유전체 및 후성유전체 분석 기술 발전을 통한 새로운 줄기세포 메커니즘 규명과 줄기세포치료제에 대한 부작용 감소 및 안전성 강화를 위한 돌연변이 제어 및 유전체 안정성 연구 강화

\* 유전체 이상 미분화 만능줄기세포에서 유전자 이상발현 확인 및 유전체 이상 미분화만능 줄기세포 세포사멸 유도용 3종의 항암제(Etoposide, cytarabine hydrochloride, Gemcitabine hydrochloride) 발굴(서던캘리포니아 대학, 2014)

\* 20종 hESC와 19 종 iPSC 세포들의 후성유전체학 분석을 통하여 세포 배양에 따른 후성유전체 안전성 변화와 이에 대한 세포 특성 변화 규명 (하버드대학, 2011)

\* 미분화 만능줄기세포 특이 lectin probe를 이용한 미분화만능줄기세포 선택적 세포 사멸 유도(일본 산업기술종합연구소, 2015)

○ 간엽줄기세포의 파라크라인 효과에 의한 항염증 반응 메커니즘 규명 연구 활발

\* 간엽줄기세포에서 분비하는 TSG-6 의 항염 효과 및 세포치료 효과 확인 (틀레인 대학교, 2009)

\* 간엽줄기세포에서 분비하는 HLA-G5에 의한 regulatory T 세포 증식 확인 (Franche-Comete 대학, 2008)

□ 줄기세포 치료연구에 단일세포 분석법과 실시간 세포 성장 모니터링 등 신 기술들이 적용되면서 줄기세포 초정밀 분석 연구의 경쟁 심화

○ 단일세포 분석법은 다양한 세포를 포함한 샘플을 분석하는 기존 방식과 달리

단일세포를 분리하여 유전체, 및 전사체의 염기서열을 분석하는 기술로, 세포 간의 다양성을 밝혀 내어 세포치료제 스크리닝, 줄기세포 연구, 항암제 개발, 조직발달 기초연구 등 다양한 연구분야에 응용되고 있음.

\* 단일세포 발현체 분석을 통하여 희귀 위장내분비세포 (enteroendocrine cell) 동정 및 신규 바이오마커 Reg4를 발굴 (Grun et al., 2015)

\* 고순도 세포 분리와 단일세포 발현체 분석을 통하여 조혈모줄기세포 발생 전구세포의 분자-세포학적 특성 규명 (Zhou et al., 2016)

\* 배아줄기세포 자가재생능력과 대식 세포 증식에 대한 공통적으로 관여하는 lineage specific enhancer를 단일세포 발현체 분석법을 활용하여 규명 (Soucie et al., 2016)

\* 인간 배아 초기 단계의 염색체 이수성 (aneuploidy)를 예측할 수 있는 단일세포 분석법 개발 (Vera-Rodriguez et al., 2015)

\* 배양 환경에 의한 전분화능 줄기세포의 전사체 이질성을 단일세포 발현체 분석법을 활용하여 새롭게 규명 (Kumar et al., 2014; Macaulay et al., 2015)

\* 전이성 유방암 세포와 줄기세포 간의 공통적인 유전자 발현 패턴을 단일세포 발현체 분석법을 활용하여 규명 (Kim et al., 2016; Lawson et al., 2015)

\* 단일세포 유전체 분석법을 통하여 지금까지 알려지지 않은 새로운 종류의 세포규명 성공(캠브리지 브로드 연구소/스펜포드대 공동연구, 2015)

○ 미세유체역학 (microfluidics)과 차세대 염기서열 기법들의 발전과 융합을 통하여 유전체 및 전사체에서 단일세포 후성유전체, 단백질체 및 대사체 분석법으로 기술 적용 분야를 점차적으로 확대하고 있음.

\* 미세유체역학, DNA barcoding, 차세대염기서열 분석법을 융합한 단일세포 후성유전체 분석법 개발하고 이를 활용하여 줄기세포 만능성과 분화 특이적 후성유전체학적 특성을 규명하는데 성공 (Rotem et al., 2015a)

\* 미세제조 (microfabrication)을 통한 단일세포 배양 시스템과 단일세포 분석법을 융합하여 단일 줄기세포 수준에서 줄기세포 미세환경을 분석할 수 있는 기술 개발 (Gracz et al., 2015)

\* 단일세포 단백질체 분석 기술을 활용하여 초기 배아 발생에 관여하는 저분자 규명 (Onjiko et al., 2015)

□ 단일세포 수준에서 실시간 세포 특성 분석 기술을 활용하여, 줄기세포 성장 조절의 새로운 기전 규명하는 신 연구 분야 태동

○ 줄기세포 성장을 살아 있는 세포에서 모니터링 할 수 신 기술이 개발되면서 새로운 개념의 줄기세포 연구 기법으로 활용되고 있음.

\* 세포 특이적 DNA 메틸화 reporter를 활용하여 in vivo 및 in vitro 환경에서 줄기세포 분화에 따른 DNA 메틸화 변화를 단일세포 수준에서 모니터링하는데 성공 (Stelzer et al.)

\* 분자영상기법을 활용하여 배아줄기세포 만능성 전사 인자 네트워크의 가소성 (plasticity)를 새롭게 규명함 (Filipczyk et al., 2015)

○ 세포의 산화적 스트레스 정도를 단일 세포 수준에서 실시간으로 모니터링이 가능한 신 물질들이 개발되면서, 줄기세포 기능 조절에 대한 신규 기전 연구

및 줄기세포 고도화 기술로 활용 가능성이 높아짐.

- \* 세포 산화도에 대한 최적의 지표인자인 세포 내 glutathione 양을 측정할 수 있는 형광 프로브 개발을 통하여 암발생에 관여하는 kinase 단백질의 cysteine을 가역적으로 타겟팅하는 억제제를 개발함 (Serafimova et al., 2012)
- \* 세포 및 생체 내 대표적 항산화물질인 glutathione을 모니터링 할 수 있는 형광 프로브 개발 (Yin et al., 2015)

□ 신개념 분자영상기법 개발을 활용한 줄기세포 치료 효능 판정 기술 개발

- 살아 있는 생체 시편에 대하여 세포단위의 영상을 얻을 수 있는 고분해능 분자영상기법들의 역할은 질병의 조기 진단이나 생체내부에서 일어나는 생리학적 반응을 이해하기 위해 매우 중요함. 특히, 최근 비절개, 비침습의 방법을 이용하여 병의 초기 진단 및 치료를 진행하는 것이 의료계에서 중요한 이슈로 부각되고 있음 (Thurber et al., 2013).
- 현재 CT 나 MRI 등과 같은 전통적인 영상기법은 분해능이 낮고 생체 내부 세포단위의 실시간 정보를 얻기에 무리가 있어 고해상도의 실시간 생체 정보를 얻기 위한 광학 현미경 영상 기술의 중요성은 날로 증대되고 있음.
- 비침습적인 방법으로 생체 질환 모델을 모니터링 할 수 있는 기술 개발 경쟁이 전 세계적으로 치열하게 진행되고 있으며, 특히 실험동물의 생체 내부를 비침습적으로 보기 위해서 직경이 1mm 내외인 미세 내시경 프로브를 이용한 내시현미경 (Endo-microscope) 의 기술 개발에 대한 요구가 증폭 되고 있음.
  - 고해상 광학 현미경은 광학 시스템이나 대물렌즈의 물리적인 크기 제한으로 인해 인체나 실험동물 장기의 내부 기관을 in vivo 상태에서 진단하기 어렵고, 세포나 분자 단위에서 발생하는 생체내 약동학/약역학 반응에 대한 생물학적 데이터를 제공하는데 한계를 지님.
  - 이러한 문제점을 해결하기 위하여 직경이 가는 미세 내시경 프로브를 이용한 내시현미경 (Endo-microscope) 의 기술 개발 필요성이 절실하며 이를 이용한 세포단위 in vivo 정보의 영상화와 관련 질병의 진단과 치료에 대한 새로운 방법에 대한 기대가 증폭되고 있음.
- 고해상도를 얻을 수 있는 영상 시스템과 비침습적으로 생체 내부를 볼 수 있는 내시경을 접목하여 실시간으로 in-vivo 상의 세포단위 병리 조직 소견과 약물동학 분석 하는 기술은 기존 병리학적 접근법을 소요되던 많은 시간과 비용을 혁신적으로 개선할 수 있음.
- 미세 내시경을 이용한 in vivo 소형 동물 생체 영상화를 수행한 연구들이 있지만 (Kim et al., 2013; Kim et al., 2012), 국제 특허와 연구논문의 조사 결과 아직

까지 세포단위 병리 조직 소견을 in situ 로 제공하는 구체적인 연구 발표와 특허는 아직 없는 실정임

□ 초고해상도 현미경을 이용하여, 세포 소기관 단위의 live cell imaging 기술과 이를 응용한 줄기세포 초정밀 분석 연구가 진행

- 기존에 사용되던 형광현미경을 이용한 살아있는 세포 영상은 현미경 광학계 자체의 회절 한계에 의해 그 해상도가 제한되었고 이를 극복하기 위한 다양한 초고해상도의 살아있는 세포 영상 획득 방식들이 개발됨.
  - \* 살아있는 세포의 초고해상도 STED 영상을 위한 단백질 기반 형광 나노입자 개발 (Shang, Li, et al. 2017)
  - \* 기존 광학현미경으로 관찰 불가능한 원형질막 수용체 구조분석을 위한 FPALM과 dSTORM방식 응용의 살아있는 세포의 삼색광 초고해상도 영상 기술 개발 (S. Wilmes, et al, 2012)
- 초고해상도 현미경을 이용한 살아있는 세포 영상 방식을 응용한 새로운 개념의 줄기세포 연구 기법들이 등장하고 있음
  - \* 초고해상도의 STED 현미경을 이용한 줄기세포 상태와 분화를 특정 단일 세포에서 기존 방식보다 조기에 분석 기술 개발 (Kim, Joseph J., et al, 2017)
  - \* 초고해상도의 STORM 현미경을 이용하여 다능성 줄기세포와 분화된 세포에서의 새로운 염색질 구조 모델을 확인함. (Ricci MA, et al 2015)

## 2) 경제·산업적 측면

□ 줄기세포 융합 리소스 확보 및 이를 활용한 줄기세포 융합 치료 기술 활성화

- 줄기세포의 대표적인 융합분야인 조직공학 및 조직재생 관련 글로벌 시장 규모는 연 평균 8.4%씩 성장('11) 599억달러 → ('16) 897억달러)(출처 : Frost&Sullivan, 2013; BCC, 2012)
- 단일세포 시퀀싱 분석기술은 세포 간의 다양성을 밝혀내어 세포 치료제 스크리닝, 줄기세포 연구, 항암제 개발, 조직발달 기초연구 등 다양한 연구분야에 응용될 것으로 전망
  - Fluidigm Coporation (Bridging to the Cap Bewteen Cell Biology, Genomics, and Single-Cell Analysis)
  - “single cell” 키워드로 논문 분석 결과, 2015년부터 단일세포 분석 부분 논문이 130 여건으로 급속히 발전

- 와퍼젠 바이오시스템(WaferGen Bio-systems, Inc)이 단일세포 염기서열 분석 SmartChipTM 플랫폼 개발을 위해 로슈(Roche)의 자회사인 제네테크(Genentech)와 연구제휴 체결
  - Fluidigm Coporation (Bridging to the Cap Between Cell Biology, Genomics, and Single-Cell Analysis)
  - 와퍼젠의 제휴 목표는 인체 조직에서 각각의 단세포를 분리하고 이를 차세대 염기서열 분석 (NGS)을 위한 라이브러리 제작을 통해 SmartChipTM 기술력 검증
  - 와퍼젠은 2015년 말까지 제네테크가 상업용 단세포 분석기술 제품을 출시할 것으로 전망
  - 와퍼젠은 SmartChipTM으로 현재 기술에 비해 단세포의 생산을 50배 이상 증가시킬 것으로 전망,
  - 단세포 염기서열 분석기술은 신약개발 과정과 다양한 화학적 자극에 의한 각 세포의 반응 연구에 중요하며 SmartChipTM 솔루션으로 신약개발 연구 기관 연구 확대 가능하며, 새로운 종류의 세포 발견이나 질병 메커니즘 분석에서 중요한 역할을 할 것으로 기대

□ 기능 & 분자 영상 (functional & molecular imaging) 기술 확보 및 이를 활용한 생명 현상 이해와 신약개발 연구 활성화

- 분자영상 기술 분야는 SPECT (Single Photon Emission Computed Tomography), PET (Position Emission Tomography), PET/CT와 같은 의료용 영상기기와 함께 최근 기능&분자영상이 줄기세포 등 생명과학 연구와 질병 진단에 활용도가 높아지면서 지속적인 성장을 하고 있음
- 암진단 분야에서 PET의 중요성이 점차 인정을 받고 고가의 검사로만 여겨지던 PET 검사에 건강보험이 적용되기 시작하였으며, 해부학적 정보를 같이 제공하는 PET/CT의 등장으로 PET 검사결과에 신뢰성이 더욱 높아짐에 따라 임상적 수요가 기하급수적으로 증가하고 있으며, 2000년 이후 미국을 비롯한 PET 시장 규모가 빠르게 성장하고 있음

**3) 주요국 정책 동향**

- 미국 NIH는 2014년부터 NIH Common Fund's Single Cell Analysis Program (SCAP) 프로그램을 시작하면서 단일세포 분석 분야 25 연구팀에 한해 7.9 백만 달러(약 80억원)의 연구비를 투자하기 시작하였음

- 기존의 1000 genome project와 같이 single cell project를 통해서 개인의 다양한 종류의 조직에서 다양한 유전체를 지니는 세포의 전적, 생물학적 정보를 얻어 내어 인간 전체에서 일어나는 상호작용들을 규명
- 개인의 단일세포를 이용하여 질병의 이해와 함께 환자맞춤형 치료법 개발에 큰 기틀을 마련할 수 있을 것으로 기대.
- 분자영상기법을 치료제 개발에 효과적으로 활용하기 위하여 기술에 대한 접근의 용이성, 지원 라이브러리 구축, 다양한 solution의 제공이 가능한 지원체계의 구축이 필수적임
- 접근의 용이성: 전임상에서 임상까지 치료제 개발의 전 과정에 바이오이미징을 언제라도 경제적으로 활용할 수 있도록 접근의 용이성을 갖추어야 함
- 폭 넓은 선택이 가능하도록 충분한 지원 라이브러리의 구축: 표지자(marker)를 이용하여 바이오이미징 기술을 활용할 경우 상시라도 표준화된 체계에 따라 공급이 가능하도록 다양한 종류의 marker library의 구축 하고 이에 대한 공통 기반 인프라를 구축하여야 함
- 다양한 modality에 의한 solution의 제공: 핵의학을 이용한 양전자방출단층촬영(PET), 단일광자방출단층촬영 (SPECT), 자기공명영상 (MRI), 컴퓨터단층촬영 (CT), 광학영상 (optical imaging), 영상이용 독성평가 등 다양한 modality 제공에 의하여 치료제를 개발하는 주체가 치료제 개발을 진행하는 과정에서 바이오이미징 기술을 반드시 사용함으로써, 개발기간을 단축하고 비용을 절감할 수 있다는 신념을 가지게 하여야 함
- 항암제 등 치료제 개발에서 분자영상기법은 전체 임상시험의 5%에서만 활용이 되는 상황이며, 실제 치료제 개발에 효율적으로 활용하기 위하여 인프라 구축과 제도 개선이 시급함
- Clinicaltrials.gov에 등재된 164,352건의 임상시험 건수 중 바이오이미징을 이용한 등록된 임상시험은 7817개로서 전체 수행임상시험의 약 5%에 불과함
- 현재 태동기인 분자영상기법을 치료제 개발에 효과적으로 활용하기 위하여 기술에 대한 접근의 용이성, 지원 라이브러리 구축, 다양한 solution의 제공이 가능한 지원체계의 구축이 필수적임

- 미국 등은 10여년 전부터 바이오이미징을 치료제 개발에 활용하기 위한 가이드라인의 제정 발표, 유럽연합 바이오이미징 체계 구축 등 다양한 지원활동을 법제화 하고 있음
- 치료제 개발에서 분자영상기법 활성화하기 위하여 미국 등은 10여년 전부터 바이오이미징을 치료제 개발에 활용하기 위한 가이드라인의 제정 발표, 유럽 연합 바이오이미징 체계 구축 등 다양한 지원활동을 법제화 하고 있음.
- 미국 FDA에서 치료제 개발에 사용되는 대표적인 바이오이미징 기법인 microdosing study에 대한 가이드라인을 발간한 것은 2006년으로서 한국의 상황보다 훨씬 앞서있음
- 미국 켈터기 주립대학 등은 하기 그림과 같이 바이오마커로부터 얻은 영상 및 바이오마커 라이브러리를 구축하였으며, 제약사의 후보물질 개발을 위하여 바이오이미징 기술을 적용하고자 할 때 이러한 라이브러리를 검색 후 가능한 연구자들과 접촉하여 빠르게 적용이 가능한 시스템을 운영하고 있음
- 유럽의 경우 14개 국가의 다기관이 연합하여 라이브러리를 구축하고, 치료제 개발의 처음부터 마지막까지 지원하는 “바이오이미징을 위한 문(door)을 개방하는 시스템”을 구축하여 운영하고 있음
- 미국 NSF와 DARPA등은 2016년 초고해상도 현미경 연구에 지원을 시작하고 있음
- 미국 스토니 브룩대학의 Shu Jia박사 연구팀은 DARPA와 NSF로부터 초고해상도 현미경과 이를 이용한 신경퇴행질환 연구에 지원을 받기 시작하였으며, 또한 미국 펜실베이니아 주립대학은 NSF의 약 150만 달러의 지원을 받아 초고해상도 SIM/STORM현미경을 설치하여 연구에 응용할 계획

#### (4) 현황 및 개선방안

##### <현황 및 문제점>

- 줄기세포 치료기전 분석 기술 개발
  - 현존 줄기세포치료제의 MOA 분석 및 효능 평가에 대한 글로벌 수준의 표준화 기술·모델 부족
  - 기초, 중개, 임상, 실용화 각 분야별 연계 체계가 미흡하며 산업계와의 소통 부족으로 실질적인 기술수요 인식 부족

- 해외에 비해 기초연구\* 대비 응용연구\*\*가 보다 활발하여 글로벌 선점수준의 혁신적 줄기세포치료제 개발을 위한 원천기술 부족

##### ○ 생체 내 이식세포 생존 및 기능증진 기술 개발

- 세포치료제가 임상승인을 받아 환자에서 유용하게 활용되고 있지만, 이식된 세포치료제의 생존 및 기능 증진과 관련된 체계적인 연구 및 원천 기술이 확보되어 있지 않음.
- 작은 수의 세포로도 많은 수의 세포 이상의 효과를 거둘 수 있는 기술 개발이 필요
- 이에, 단순히 배양세포를 이용하는 수준에서 벗어나서 기술이 고도화 되고 있으며 유전자치료, 조직공학기술 등 다른 첨단기술이 융복합되어 보다 포괄적이고 복잡해지고 효능을 강화한 차세대 줄기세포치료제 개발이 활발히 이루어지고 있으며, 최근 5년간 등록된 신규 제품군의 임상 중에서는 분화 유도 뿐만 아니라 세포의 생물학적 특성 변형을 유도하기 위한 조건배양(저산소배양 등)을 적용한 임상사례(분화유도/조건배양)가 가장 높은 비중을 차지, 의료가기와의 복합제품군과 유전적 변형을 가한 줄기세포치료제도 개발 중

##### ○ 다학제간 교류 미흡

- 국내 줄기세포분야는 분화개발에 대한 고도의 기술들이 집적되어 있음에도 불구하고 그 외 분야와의 교류 미흡으로 그 기술들을 확장성 있게 활용하지 못하고 있는 현실임
- 유전학, 유전체 분석학, 종양학, 생명공학, 의학 분야의 타 분야의 우수한 신기술들이 존재함에도 불구하고, 이러한 고도의 기술이 활용되지 못할 뿐만 아니라, 실제 결과물 또한 기대에 부응하지 못함
- 다양한 난치성 질환 극복을 위한 치료 기술들이 개발하고 있지만, 타 분야의 고도화된 신기술들의 활용 부족으로 신뢰도가 낮은 연구 성과물을 생산함

##### ○ 신규 연구 기법들을 활용한 줄기세포 고도화 연구 부족

- 단일 세포 분석, 실시간 세포 성장 분석, 생체 영상 기술 등 새로운 연구 기법들이 타 의생명과학 분야에서 빠르게 발전하고 있음에도 불구하고, 이들을 활용한 줄기세포의 새로운 기전 규명과 초정밀 분석 기술 개발 연구 부족
- 특정 분야에 편중된 줄기세포 전문 인력 구성과 타 분야 융합 연구의 부족



으로 신규 초정밀 분석 기술들을 활용한 줄기세포 치료 기전 이해와 혁신적 줄기세포 치료 기술 개발 부진

**<개선방안>**

- 줄기세포 치료기전 분석 기술 개발
  - MOA 분석, 줄기세포 기능성 강화를 위한 기초-융합 연구 필요
  - 기초연구자와 임상 의 간의 공동연구 유도를 통해 중개 임상 연구의 협업 촉진 필요
  - 원천핵심기술 개발을 위해 줄기세포 관련 핵심유전자, 줄기세포 제어 기전 등 기초 및 융합 연구 필요
- 생체내 이식세포 생존 및 기능 증진 기술 개발
  - 생체내 이식세포 생존 및 기능 증진을 위한 체외세포 전처리기술, 병변 환경 조절 기술 및 세포치료제의 보조제(Adjuvant) 개발이 요구됨.
  - 국소로 전달된 세포가 질환의 병변 주위의 미세 환경 변화를 통하여 전달된 세포의 안정되고, 지속적 생착을 위한 연구
  - 병변 환경 개선을 통한 세포 치료제의 기능 강화 연구
  - 세포 치료제의 효능을 강화할 수 있는 임상시술 방법 정립 연구
- 다학제 융합형 줄기세포 연구 및 신 분석 기술 개발
  - 세포 대사, 후성유전학 등 기타 세포생물학 전 분야의 신규 연구 기법을 줄기세포 고도화 연구로 활용하는 기술 지원
  - 신 분석 기술을 통한 새로운 줄기세포 메커니즘 규명
  - 단일세포 분석, 실시간 세포 성장 분석, 초고분해능 현미경 기술, 유전자 편집 활용 기술, 조직 공학 및 재료 공학 활용 기술 개발을 통하여 기존 줄기세포 연구의 고도화
- 신규 줄기세포 초정밀 분석 기법을 활용한 줄기세포 치료 기술 고도화
  - 단일세포 분석법과 분자영상기법을 활용하여 줄기세포 초정밀 분석 기술을 개발하고, 이를 활용하여 줄기세포 신규 기전 규명과 신 개념 치료 기전(MOA) 분석 기술 개발
  - 실시간 줄기세포 특성 (줄기세포성, 항산화능, (후성)유전제 안전성 등) 모니터링 기술을 개발하여, 줄기세포 배양-분화와 관련 치료 기술 제조-생산

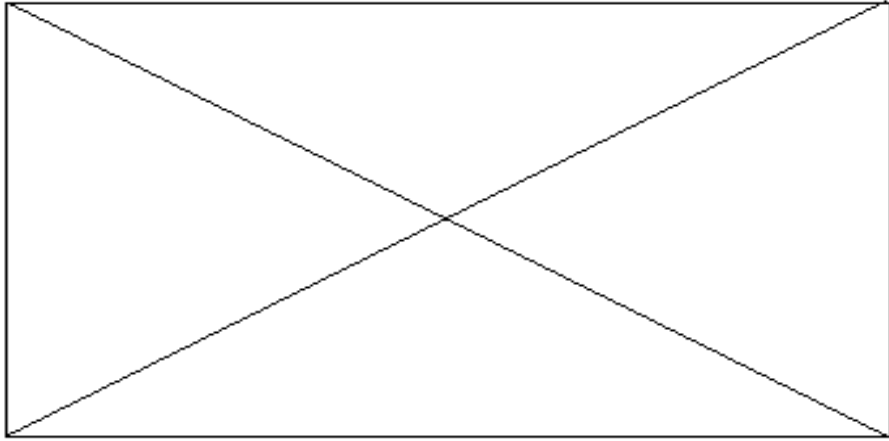
전과정의 품질 관리 시스템 개발과 이를 통한 줄기세포 치료 기술 고도화

- 고해상도 생체 영상 시스템을 개발하여 줄기세포 이식 후 체내 동태 추적 및 치료 효과 평가 기술로 활용하여, 줄기세포 치료 기술의 BK/BD(Biological Kinetics/Biological Dynamics) 정보를 제공함
- 줄기세포치료제 고도성장을 위한 인프라 구축 확대
  - 줄기세포 연구기반 및 중개연구 인프라 강화
  - 수요반영을 위한 대학·병원·기업 간 컨소시엄 활성화
  - 세계수준의 줄기세포 선도 연구팀 육성 및 다학제간·글로벌 네트워크 강화

[표] 현황 및 개선방안

As-is	To-be





**<협력방안>**

- 줄기세포 연구/산업 활성화를 위한 기술 연계 및 네트워크 활성화
  - (기술연계 촉진) 줄기세포 기초·응용·개발 단계의 기술 단절을 극복하기 위한 선순환적 기술 연계 및 다양한 분야 전문가 간 교류 확대
  - (기술교류) 연구단계·연구기관 간 기술교류 확대를 위한 다학제 융합 포럼 및 기술이전 촉진을 위한 기업 설명회 개최
    - 국내외 줄기세포 연구자 기술교류 네트워크 활성화 지원을 위한 협력 프로그램 지원
  - (창업지원) 줄기세포 R&D 주체와 금융계 종사자 간 쌍방향 연계 교육을 통한 창업 및 벤처캐피탈 지원 확대
    - 줄기세포 분야 교육을 통한 금융계 종사자의 줄기세포 이해도 제고 및 연구자 대상 금융·경영·창업 관련 교육 등 쌍방향 연계 교육 지원
  - (핵심 클러스터 육성) 국내 줄기세포 치료 기술의 글로벌 리더쉽 확보와 R&D 성과 조기 실용화 환경 조성을 위한 클러스터 생태계 구축
  - (거점 지정) 창조경제혁신센터를 중심으로 연구기관-중소벤처-대기업간 플랫폼 기술 교류, 공동 제품 개발, 공동 투자 촉진
  - (컨소시엄 구성) 첨복단지과 연구중심병원 간 컨소시엄을 통한 기술 이전 촉

- 진 프로세스 수립 등 연구기관-산업계 공동협력체계 구축
- 첨복단지 내 줄기세포 치료 기술 연구진, 줄기세포 제조·생산기업과 줄기세포치료 전문병원 간의 임상 적용 연계 및 기/장비 공동 활용 활성화
- (공공인프라) 연구 및 임상 경쟁력 강화를 위한 줄기세포·재생센터 역할\*정립 및 국내 CMO/CRO\*\* 지원
  - \* 첨단 줄기세포 치료 기술 교육·지도와 함께 줄기세포 관리·분양을 위한 국가 기반시설로서 연구/산업 활성화를 위한 기능 강화
  - \*\* 줄기세포 분야 우수 CRO 인증제 운영 및 컨설팅, CRO 인턴쉽 프로그램 지원 등
- MOA 확보 기반의 줄기세포 치료 기술 고도화를 통한 신뢰성 회복 및 글로벌 줄기세포치료제 시장 선도
  - 다분야에 걸친 줄기세포 전문가 및 국제적 선도 연구팀 육성 프로그램 개발
  - MOA 기반의 강화 줄기세포 치료제 개발을 위한 연구, 제조·생산, 분석, 전 임상 평가 등 전반적인 인프라 시설 개발 및 확충
  - 연구계·산업계 협력을 통한 고도화 줄기세포의 효능을 검증하기 위한 유효성 평가 표준화 마련
  - 산학연병 연계를 통한 질환 분석과 수요기반의 특정 질환범위 선정을 통한 국제적 경쟁력이 확보된 특화 줄기세포 원천기술 개발
  - 대학, 병원, 제약기업간의 상호 긴밀한 정보 교류 및 공동연구 활동 활성화를 위한 질환 및 기전별 줄기세포치료제 고도화 연구개발 육성 그룹 설립
- 줄기세포 치료기술의 실용화를 위한 대량생산, 자동화 공정 기술을 위한 원천 기술 개발 및 표준화 기술 개발
  - 대량생산공정이 GMP공정화 가능해야 하므로 CMO기관을 활용한 공정밸리데이션, 품질관리 설계 전략 필요함
  - 자동화 공정은 세포의 특성에 맞추어 재료 및 기기의 설계, 제작, 검증 과정이 이루어져야 이 과정에서 생명/전자/재료/공학 분야의 융합연구 필요함
  - 국내 자동화공정 연구의 경우 출발이 다소 늦은 시점이므로 기 산업화된 자동화시스템의 장단점을 활용하고 안정적인 기술을 확보하기 위해 글로벌 선도기업 등과의 국제 공동연구 추천됨

**(7) 위험요인 및 해결방안**


**(8) 상용화 전략**

**<기존 상용화 사례>**

- 국내에서 상용화된 줄기세포 치료제는 총 4건이며, 배아줄기세포 치료제의 임상진입과 신규 세포치료제 연구 활성화
  - \* 품목허가 줄기세포 치료제: 하티셀그램-AMI (파미셀, 2011허가), 카티스템 (메디포스트, 2012허가), 큐피스템(안트로젠, 2012 허가), 뉴로나타-알(코아스템, 2014허가)
  - \* 美 ACT사와 차병원그룹 (차바이오택)의 전략적 협력관계를 구축→ 미국, 영국, 한국 임상 시험 개시 및 망막색소상피세포의 생착과 시력개선효과 발표 (Lancet, 2011, 2014)
- 단일세포 분석법과 분자영상기법과 같은 신규 분석 기술을 활용한 줄기세포 치료 기전 연구들이 전세계적으로 경쟁적으로 연구되고 있으나, 아직까지

상용화된 사례는 없음

- 세포 항산화능 분석 형광 프로브와 이를 활용한 실시간 줄기세포 항산화능 모니터링 기술들이 줄기세포 품질과 치료 효능을 평가할 수 있는 연구들이 보고 되고 있으며, 이들을 줄기세포 대량 생산과 자동화 배양 시스템에 적용하는 연구들이 진행되고 있음

**<성공 사례의 시사점>**

- 상용화에 성공한 줄기세포 치료제는 단순히 배양 세포를 이용한 수준
  - 선진 각국은 재생의료를 차세대 전략 산업으로 지정하여 정책적으로 막대한 R&D 연구비를 지원하고 있으며, 제품의 상용화 촉진을 위해 위험도에 기반하는 조건부승인제도와 같은 혁신적인 인허가 제도를 제시
  - 우리나라도 이에 맞추어 재생의료에 대한 국가 로드맵을 작성하고 기술 혁신성과 글로벌 경쟁력을 갖춘 재생의료 제품 개발을 위해 전략적으로 투자 움직임
  - 국가 차세대 성장동력의 하나로서 향후 선진 각국 사이의 치열한 기술 및 시장 경쟁이 예상되며, 이에 대처하기 위해서는 경쟁력 있는 기술 개발을 위한 적극적 투자, 관련 제도와 산업 구조의 선진화 및 글로벌 네트워크 강화를 위한 선제적인 전략이 필요할 것
- 글로벌 줄기세포 치료 기술 주도권을 가지고 있는 국내 줄기세포 연구에 신규 초정밀 분석 기술들을 성공적으로 적용하여 이미 상용화된 줄기세포 치료제의 명확한 치료 유효성 기전 제시와 체내 동태 정보 제공 등을 통하여 줄기세포 치료 기술의 고도화와 글로벌 수준의 신뢰도를 확보하여, 국내 줄기세포 산업의 글로벌 리더십을 강화할 수 있음
- 줄기세포 연구자와 타 생명과학-의공학 분야 연구자들의 실질적인 융합 연구를 지원하여, 타 분야에서 빠르게 발전하고 있는 신규 분석 기술들을 적극적으로 줄기세포 연구에 활용한다면, 세계적 수준의 줄기세포 연구 결과를 도출할 뿐만 아니라, 줄기세포 치료 고도화와 차세대 치료 기술 개발의 효율성을 극대화 할 수 있다고 판단됨

**<상용화 전략 수립>**

- 기초, 중개, 임상, 실용화 각 분야별 연계 체계 강화로 실질적인 줄기세포 연구 고도화와 산업계에 적용 가능한 실질적인 원천 기술 개발

- 기초연구자와 임상 의 간의 공동연구 유도를 통해 중개 임상 연구의 협업 촉진 필요
- 기초연구 성과의 산업화 성과 연계를 위한 다학제적 성격의 산·학·연 협동 중개연구 활성화
- 임상연구 효율 최적화를 위한 공동 연구 프로그램 구축
- 줄기세포 치료 기술 개발 연구팀과 이를 활용하는 임상연구 기관과 줄기세포 제조기관 간 전문협력 네트워크 구축
- 사업화 수익성 개선 및 글로벌 시장 진출을 위한 산업화 기반 기술 개발
  - 세포 대량 생산 및 자동화 공정 개발을 통한 고효율·저비용의 줄기세포치료제 생산기술 개발 연구 지속 추진
  - 글로벌 시장 진출을 위한 장기보관 및 품질관리 표준화 기술 개발
  - 줄기세포 안전성 강화 및 적용증 확대를 통한 신규 분야 시장 개척
- 타부처 줄기세포 관련 과제 연계를 통하여 지속 가능한 기술 개발과 선순환적 성과 창출 활성화
  - 고도화된 줄기세포 품질 관리 및 표준화 기술들은 TRL 5 단계까지 기술을 확보하고, 본 프로젝트의 성과물은 이후 복지부 과제 연계를 통해 실제 세포치료제 상업화에 활용
- 기존의 생물학 분야의 전문가들이 줄기세포 기술을 활용하여 연구 고도화 (최상위 논문 및 기술 확보, human translation, clinical relevance 확보 등) 를 통해 선도적인 연구 성과 확보
  - 줄기세포 연구는 비용과 시간, 경험이 많이 필요하다고 생각하는 타 생물학 및 의학 분야 연구자들에게 부담을 줄여주고 성공사례를 확보하여, 국제 최상위 논문 출판 20건
- 투자지원을 통한 성장 동력 마련
  - 글로벌 진출 지원 확대
- \* 개도국 및 빈국의 보건의료 복지향상을 위한 공적개발원조 (ODA) 사업 적극지원 (생산플랜트, 난치/희귀병 질환세포치료제)

**(9) 기대 및 파급효과**

**<과학기술적 측면>**

- 줄기세포치료제의 기전확보와 효능 고도화를 통해 줄기세포 실용화의 큰 문제점인 고비용·저효율 문제를 극복할 수 있으며 이에 따라 산업 및 민간 투자 유도를 통해 줄기세포 기술수준이 성장할 것으로 기대
  - 통합적인 다학제간 연구로 인해 줄기세포 연구를 위한 최적의 연구 조건을 확립하고 나노/바이오/기계/전자/전산/재료/화학/의료기술 등 다양한 기술과 연계되어 완성도를 높일 수 있는 가능성 내재
  - 줄기세포치료제 개발에 활용되는 줄기세포 MOA 분석 및 동물모델 확립 기술은 재생의학 분야와 함께 신약개발 및 독성연구에도 활용도가 높아 전반적인 보건의료 분야의 기술발전에 크게 이바지할 것으로 기대
  - 현재 치료제가 없는 난치질환을 대상으로 줄기세포치료제를 적용하여 근본적인 치료를 통한 미래의학 선도
  - 줄기세포 치료에 적합한 난치질환의 순차적 확대 적용
    - MOA에 근거한 근본적인 치료법 개발
    - MOA에 근거한 질병증상 완화 및 진행 억제효과 구현
    - 개인별 질병 발병기전에 근거한 줄기세포 치료제 선택과 치료전략수립
  - 줄기세포 실용화에 필요한 기반기술 개발
    - MOA에 근거한 유효성 평가기술 최적화
    - 줄기세포 특성에 따른 품질 표준화 기술과 전임상생산 기술 수립
- <사회경제적 측면>**
- 줄기세포치료제 고도화 기술 및 차세대 줄기세포 치료 기술은 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현에 기여할 것으로 기대
  - 혁신적 융합형 줄기세포 기반 치료법 확립을 통해 전 국민적 관심 유도 및 희귀난치성 질환에 대한 환자 맞춤형 재생의료 실현화 시기 단축 가능
  - 줄기세포치료제 고도화 기술은 현재 줄기세포/재생의학 산업을 더욱 빠르게 성장하는 요인으로 작용하여 막대한 경제적 효과를 창출할 것으로 기대
  - 치료비용 감소로 더 많은 환자에게 치료기회 및 혜택을 제공하고 중장기적으로 불·난치성 질환 등으로 인해 급증하고 있는 보건의료비용을 포함한

사회·경제적 비용의 절감효과 기대

- 생명과학분야 협력연구기반 줄기세포 융합기술개발은 국내 제약사 및 국가적 차원의 줄기세포치료제 개발 지원유도 및 국내 의약산업의 경쟁력 강화에 기여할 것으로 기대

**(10) 과제 수 및 소요예산**

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



**(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안**

## 1-1-2. 치료강화 기술 개발

### (1) 기본 개념 및 범위

#### <개념>

- 줄기세포의 치료 효능 고도화를 위한 기술로, 생착능, 면역원성, 미세환경, 유전자 활성 조절과 유전자 교정 기술들의 단독 및 병합 활용을 통한 유효성 강화 기술과 줄기세포 유래 물질 기반 치료 기술, 종양원성, 면역원성 극복 기술을 활용한 안전성 강화 기술
- 국내 우수 기술 역량이 축적된 줄기세포치료 제품화 기술 및 글로벌 시장 진입 확대를 위한 줄기세포치료 기능 강화 기술 개발
  - 실용화 단계에 진입한 성체줄기세포치료제의 비용 절감 및 기능 강화를 위한 고도화 기술 중심\*의 지원
  - \* 치료 유효성 강화를 위한 생착률 증진, 신규 혼합인자 발굴, 유전자 교정 기술 등 기능 고도화 기술
  - \* 치료 안전성 강화를 위한 줄기세포 유래 물질 기반 치료 기술과 종양원성 및 면역원성 극복 기술
- 기 확보 효능 기전의 응용 및 고도화를 통한 적응증 확대 연구
  - 기 확보된 줄기세포치료제 개발 기술력을 기반으로 다양한 적용 질환범위 확대, 효능 및 가격 측면에서 실용성을 증대시킨 줄기세포치료 기술 개발을 통해 신규 시장 개척을 위한 기반 기술
  - 안정적 임상 진입을 위한 글로벌 수준의 중개·임상 연구 기술 확보 및 원활한 산업화 촉진을 위한 초정밀 실시간 분석 기술이 도입된 고도화된 줄기세포 품질 관리 및 표준화 기술

#### <범위>

- 줄기세포 치료제 치료 유효성 강화 기술 개발
  - 생착능, 면역원성, 미세 환경 조절 인자 전처리 및 유전자 활성 조절 기술
  - 유전자 교정을 통한 기능성 강화 기술의 유효성 검증과 생체 내 작용기전 증명
  - 새로운 제형개발 또는 약물전달기술
  - 생체재료 및 기존약물과의 병용 등의 다양한 융복합 기술을 활용한 치료효능 최적화 및 효능검증

- 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발
  - 엑소좀, 분비단백질 등 치료인자 발굴 및 기전 규명
  - 줄기세포 유래 엑소좀 및 단백질체 대량생산 기술 개발
  - 생체 내 줄기세포 기능 활성화 인자 발굴 포함
  - 줄기세포 치료의 대상 질환 확대
  - 질환별 최적 세포 선별과 치료 기전 분석 기술 개발
  - 기능성 강화 세포치료제 실용화 및 적응증 확대를 위한 기반 기술 연구
- 고도화된 품질관리 및 표준화 기술개발
  - 줄기세포 제조-생산 과정에서 실시간 세포 특성 모니터링과 이를 활용한 효능 예측 기술
  - 융복합 차세대 세포치료제 효능, 안전성, 품질을 고도화 할 수 있는 지표 기술
  - 구축한 지표 기술의 전임상 시험을 통한 표준화 검증

### (2) 추진 배경 및 필요성

#### <추진 배경>

- 지속적인 줄기세포치료제 고도화 전략 개발을 통한 선도 기술력 유지 및 글로벌 시장 진출을 통한 글로벌 리더쉽 확보 필요
  - 현재 줄기세포치료제 개발 기술력을 기반으로 다양한 적용 질환범위 확대, 효능 및 가격 측면에서 실용성을 증대시킨 줄기세포치료제 개발을 통해 시장 진출범위 확대 전략 필요
  - 글로벌 리더쉽 확보를 위한 줄기세포의 유효적 치료 기전 분석 기술과 이를 활용한 줄기세포 고도화 기술과 중개 연구 기술 확보 및 원활한 산업화 촉진을 위한 대량생산, 자동화 공정 기술 개발 등 고효율·저비용 줄기세포 치료제 생산 플랫폼 환경조성 시급
- 지속적인 상업화 임상시험 진행 및 활발한 임상적응증 개발분야 보유
  - 국내에서 현재까지 총 46건의 임상시험이 승인, 그 중 25건이 진행 중. 전 세계적으로 상업화를 위한 임상 시험에서 한국은 2위로 약 10%의 비중
  - 해외에 비해 소화기계, 신경계, 암 및 정형외과 질환의 임상 적응증 개발 비율이 상대적으로 높은 수준. 크론성누공 환자를 대상으로 자가지방유래

중간엽줄기세포 치료제(큐피시스템®)를 투여한 결과 33명의 환자 중 27명에서 누공이 완전히 막히는 치료효과(2012.01 의약품 허가, Stem Cells. 2012) 및 치료효능의 장기간 유지(Stem Cells Transl Med. 2015)

- 줄기세포 치료제의 대상 질환 및 적응증의 확대 추세
  - 현재 시장에 출시된 세포치료제는 피부질환(38%)과 근골격계 질환(30%)을 주요 적응증으로 개발
  - 시장에 출시된 세포치료제 중 국내업체에서 개발한 제품은 근골격계 질환, 면역질환, 종양, 심혈관계 질환에 분포함
    - 향후 2-3년 내에 종양과 심혈관계 질환 치료를 위한 세포치료제의 시장출시가 활발할 것으로 전망. 현재 개발단계의 세포치료제는 종양(127개), 심혈관계질환(131개)에 집중되어 있으며, 파이프라인에서 비교적 후기임상(3상) 단계의 제품이 다수 분포
    - 국내 개발된 4개의 제품이 모두 중배엽줄기세포 치료제로서 비슷한 작동기전을 가질 가능성이 높음. 다르게 해석하면 해당 적응증 이외에 만성 염증성, 난치성 질환에도 비슷한 효과를 가질 가능성이 높음
    - 적응증 확대 전략이 성공한다면 현재 우리나라가 보유한 줄기세포실용화 리더쉽 지속가능
- 줄기세포 기반 유전자 변이 및 교정 기술 확보를 통한 환자 맞춤형 줄기세포 치료 기술 개발 추진
  - 2013년도 소개된 CRISPR/Cas9과 같은 유전자 교정 기술은 짧은 역사에도 불구하고 현재 전세계적으로 활용도가 매우 높으며, 줄기세포 치료와 활용 기술의 고도화와 환자맞춤형 기술로 빠르게 발전하고 있음
- 세계적으로 줄기세포 치료기술을 고령화 시대에 가장 발전 가능성이 큰 분야로 선정하고 국가 신성장동력으로 육성하고 있는 추세이나 세포를 생체 이식하는 현 단계의 치료법은 필연적으로 따라오는 위험성 및 문제점으로 인해 범용적 효용성에서 기술적 한계를 보이고 있음
  - 줄기세포의 체내 비이상적 증식으로 인한 종양형성 가능성 및 비이상적 분화에 따른 부적절한 조직형성 가능성
  - 줄기세포의 생체 내 낮은 생착율로 인한 이식 후 낮은 생존율
  - 환자에 따라 치료 효능의 차이가 큰 자가유래 줄기세포의 범용적 이용 한계

- 성체줄기세포의 체외증식능력의 한계에 따른 대량생산의 비효율성등

**<추진 필요성>**

- 상용화 가능 기술수준에 도달한 줄기세포치료제 분야는 최근 치료 유효성 및 안전성 강화 연구를 진행하며 적용 질환을 점진적으로 확대하는 추세
  - 2013년 현재 Clinicaltrials.gov 에 등록된 간엽줄기세포와 같은 성체줄기세포 치료제를 통한 임상시험의 경우 344건으로 제1상 31.4%, 제2상 49.6%, 제3상 15.3%, 제4상 3.7%를 차지하고 있음.
  - 치료 유효성을 향상시키기 위한 신규 혼합인자 발굴 등 기존 줄기세포치료제 성능 강화에 대한 지속적 연구 추진
  - 줄기세포치료제에 대한 부작용 감소 및 안전성 강화를 위한 돌연변이 제어 및 유전체 안정성 연구 추진
  - 기존 신경계, 혈액계 및 골격계 재생의학에 주로 활용되던 줄기세포치료제가 점차 중증 만성 난치성 질환(아토피피부염, 천식, 당뇨병 합병증 등) 및 항암 치료제로서의 다양한 연구개발 추진
- 줄기세포 치료 유효성 강화 기술 개발이 필요
  - 줄기세포는 지난 10년 동안의 노력으로 상용화가 실현되었으나 안전성 확보를 우선적으로 염두한 치료제로서 개발되어 기존의 치료제나 치료법을 대체할 수 있는 확실한 효력을 나타내는 기술혁신이 절실히 요구
  - 허가된 줄기세포 치료제는 아직까지 시장점유율이 미비하고, 효능에 있어서도 논란
  - 이에, 단순히 배양세포를 이용하는 수준에서 벗어나서 기술이 고도화 되고 있으며 유전자치료, 조직공학기술 등 다른 첨단기술이 융복합 되어 보다 포괄적이고 복잡해지고 치료 효과를 강화한 줄기세포치료제 개발이 활발히 이루어지고 있음
  - 체내 생착능력을 강화하고, 면역원성, 미세환경 고기능성 세포치료제 개발의 확대는 향후 세포치료제의 의학적 활용을 위해서는 반드시 해결해야 하는 과제임
- 줄기세포 분야 단일 기술에서 생체재료 혼합이식, 유전자 교정 줄기세포치료, 나노기술 등과의 융합연구를 통한 신규 치료기술 연구 확대 추세
  - \* 다공성 하이드로겔에 중간배엽줄기세포를 고정시킨 후 이식하여 뼈 재생력 증진(하버드대, 2015)
  - \* CRISPR/Cas9 유전자 가위를 이용한 형질전환 인간 전분화능 줄기세포 제작(위스콘신대, 2015)



\* 나노섬유 스캐폴드를 이용한 줄기세포 후성유전체 특성 조절 및 역분화 효율 증진 (캘리포니아대, 2013)

○ 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발 필요

- 줄기세포의 치료 효능에서 주역할을 하는 엑소솜 및 분비단백질체 치료인자(역가)들을 밝혀내고, 질환모델에서의 치료 기전에 대한 과학적 근거 확보가 필요
- 줄기세포 유래 치료물질의 분비 증폭기술, 함유 약학조성물 조절기술, 특정 질환/산업을 타겟하는 미세소포체의 선별적 대량생산공정기술 등이 필수적으로 요구

○ 줄기세포 치료의 적응증 확대 연구의 필요성 증가

- 줄기세포 치료제는 원가가 높고, 유효성에 있어서도 논란이 많으므로, 대부분 희귀난치 질환을 대상으로 개발이 진행되고 있는 실정이나 정식으로 의약품 허가를 받기까지 8-10년의 기간이 소요됨
- 이렇게 어려운 조건 하에서 개발이 완료된 줄기세포치료제는 허가된 적응증에만 국한하여 사용하도록 제한되어 있는 실정
- 적응증 확대를 위해서는 Mode of action이나 신규질환에 대한 유효성 평가가 필요함. TLR 1~5의 개발 초기단계에서도 이런 분야에서 선제적 연구개발 지원이 필요
- 아직 허가를 받지 못한 줄기세포 치료제를 이용한 신규 적응증 확대도 동시에 진행이 되어야 하는 연구 개발임
- 기존 줄기세포치료제 개발의 경험이 충분한 우리나라에서는 더 빠르고 효율적으로 짧은 시간 내에 신규 줄기세포치료제 개발이 가능할 것으로 예측
- 효율적인 적응증 확대 연구를 위하여, 기초, 중개, 임상, 실용화 각 분야별 연계 체계 지원이 필요하며 산업계와의 전주기적 소통을 통해 실질적인 기술수요에 대한 인식이 필요하며, 다학제적 성격의 산학연 협동 기초-중개-임상연구 확대 및 질환별 최적 세포 선별과 치료 기전 분석 기술 개발 등 선도적 줄기세포 치료제 연구에 대한 지원 필요

○ 줄기세포치료의 비용절감 및 안정적 공급을 위해 대량배양 및 자동화공정이 개발되어야 함

- 세포치료 연구는 주로 대학 및 병원, 중소기업 연구소를 주축으로 활성화되고 있으며 개별주체들이 대량배양 및 자동화공정을 동시에 개발하기에는 기

술적, 경제적 여력이 부족하기 때문에 국가기관의 지원 및 연계전략이 요구됨

- 대량배양 공정은 향후 GMP 공정밸리데이션이 필요하고 배양 배지나 재료 등의 개발이 동반되어야 하므로 CMO, 배지 및 재료생산 기업들과의 연계가 필요함
- 자동화 공정은 자동화 기기 및 재료의 개발이 연계되어야 하며 공통으로 사용 가능한 부분과 세포치료제 생산 공정에 따라 차별화 되는 부분에 대한 모듈화 등에 대한 연구가 필요함

(3) 국내외 기술동향

<국내>

1) 과학·기술적 측면

□ 국내 줄기세포치료제 개발현황

○ 세계적으로 세포치료제 개발의 선도적 위치를 점함

- 1세대 줄기세포 치료제를 개발하고 상용화한 국내 기업은 대표적으로 파미셀, 메디포스트, 안트로젠, 코아스템 등이 있음.
- 국내에서 진행되는 줄기세포치료제 상업임상시험 건수는 39건으로 전세계적으로 2번째로 임상시험이 활발한 국가임
- 특히 한국은 후기임상 (II/III상 및 III상) 비중이 높아 지속적인 줄기세포 치료제 상용화가 기대
- 또한 국내 대형 병원들의 특성화센터 중심 환자 적용 경험 등도 긍정적임. 국내에서 총 10여개 미만의 전문 기업들이 다양한 난치성 질환에 대해 20여 건의 상업화 임상시험을 수행 중인데, 향후 임상적용 사례의 증가와 함께 처방률도 증가할 것이라고 예상

□ 줄기세포 치료 유효성 강화 기술

○ 줄기세포 치료 생체 내 유효성 강화기술 연구는 초보단계임

- 줄기세포 치료제의 유효성 강화는 1) 줄기세포 치료제의 치료 효과 강화 전략과, 2) 줄기세포 치료제가 전달되는 병변의 환경 변화를 통한 기능 강화 전략의 2 종류가 존재
- 질환별로 줄기세포 치료제가 전달되는 병변의 환경 변화를 통한 기능 강화

전략에 대한 기술 개발도 중요한 전략 중 하나이지만, 관련 연구는 극히 초보단계에 머무르고 있음

□ 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발

- 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 관련 연구는 극히 초창기 단계임
  - 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체 관련 연구는 증폭 및 정제와 관련된 연구가 주를 이루고 있음
  - 생체 내 줄기세포 기능 활성화 연구는 1) 생체 내 줄기세포의 자체 활성화 강화 전략과 2) 병변의 환경 변화를 통한 생체 내 줄기세포 기능 강화 전략이 있음
  - 줄기세포 유래 물질 기반 치료 기술 연구는 주로 협심증 및 심근 경색 질환에서 심근 재생 관련 연구가 대부분을 차지하지만, 관련 연구는 극히 초보단계에 머무르고 있으며 임상 진입 건수도 전무한 상황임
  - 줄기세포 유래 미세소포 및 분비단백질체 관련 연구는 상업적으로 피부 재생 및 화장품 분야에서 활용되고 있음

□ 중증 난치성 질환 극복의 의료 수요를 해결할 수 있는 고도화된 세포 제조와 품질 관리 시스템 부재로 상용화 및 글로벌 시장 확대에 한계

- 고비용의 생산단가: 현재 환자 1명에 투입되는 세포의 수가 1~2억개임을 감안할 때 생산 및 관리 비용등의 원가는 최소 500만원 수준으로서 산업적 측면에서 대량생산을 가능하게 하여 제품 가격 (cost of goods sold: COGS)을 낮출 수 있는 기술개발이 중요한 국제 경쟁력 요인임
- 배양, 보관 및 운송상의 제약: 수작업 의존 및 그로 인한 배양 스케일의 제한 및 짧은 유효기간으로 인한 시간적 공간적 추가 비용 소요. Cold chain을 통해 단시간 내에 운반되어야 하는 등 치료제의 시간적, 공간적 한계로 인한 추가적인 비용 소요
- 국내 대량배양 시스템 적용 현황
  - \* 줄기세포 관련 기술의 발전에 따라 Bio-reactor 등과 같은 3차원 대량증식 시스템 및 기술 요구 증대 예상
  - \* 스맷셀(SMall, Ultra Potent, scale UP) 플랫폼 구축을 통하여 줄기세포의 기능 및 품질을 향상시키고 생산원가 절감 계획(메디포스트, 2015.11)
  - \* 줄기세포 수를 늘리는 계대 배양 과정에서 줄기세포 기능이 강화된 줄기세포를 대량으로 생산하는 기술 보유( 세포바이오)
  - \* 국제줄기세포학회에서 산업체의 세포배양 자동화 시스템 제품 발표 증가 추세

(2015 ISSCR)

- 글로벌 기업을 중심으로 배양장치산업과 함께 upstream의 새로운 배양기술이 성장하고 있는 반면, 상대적으로 downstream process (DSP, 세포 배양 및 detach후 농축, 세척, 동결보존제 조성, 최종 보존병으로 주입, 냉동 및 보존에 이르는 최종 제품까지의 공정)에 대한 기술개발 미흡

□ 글로벌 시장의 신뢰도 확보를 위한 고도화된 줄기세포치료제 품질 관리 시스템 부재

- 융복합 차세대 줄기세포를 활용한 치료 기술 개발을 위해서는 고도화되고 표준화된 품질관리 시스템의 개발이 필수적임. 줄기세포치료제의 효능, 안전성, 품질을 글로벌 수준으로 확보할 수 있는 고도화되고 표준화된 치료용 세포 품질 검사 시스템 개발이 시급함
- 역가시험은 세포치료제의 효능을 대변할 수 있는 가장 핵심적인 품목으로, 생물학적 효능을 확인할 수 있는 지표를 선정하고 이를 정량적인 시험 방법을 활용하여 설정하는 것이 원칙임. 세포치료제의 역가시험은 특정 질병에 대한 세포의 임상적 치료효과를 확인할 수 있는 객관적인 지표를 설정해야 하고, 이는 세포치료제의 작용기전 탐색 및 검증 결과와 연관성을 가져야 함. 일반적으로, 세포치료제 개발 실무에서 최적의 역가시험법 설정은 세포치료제의 효능을 결정짓는 과정으로 매우 까다롭고 민감한 과정임
  - 피부각질세포치료제에서의 역가시험법 연구 ((주)엠씨티티, “피부각질세포 치료제의 확인,순도,역가 시험법 연구”)
  - 당뇨 치료용 세포치료제에서의 역가시험법 연구 (주식회사 비셀바이오 “제1형 당뇨병 세포치료제의 역가시험법 검증 연구”)
- 현재, 국내의 세포치료제 품질관리를 위한 주요 항목은 1) 정상시험 2) 무균 시험 3) 마이코플라스마 부정시험 4) 엔도톡신시험 5) 외래성 바이러스 부정시험 6) 총세포수 측정시험 7) 세포생존율시험 8) 확인시험 9) 순도시험 10) 역가시험 등으로 유전체의 안전성에 대한 품질관리 기준은 미흡한 실정임. 비임상시험에서의 종양원성 시험이 일부 뒷받침을 하고 있기는 하지만 유전체 자체에 대한 분석이 반드시 필요함
- 외래성 바이러스 부정시험은 시험기간이 14-28일이 걸리기 때문에 시험결과가 세포치료제를 환자에게 투입한 이후에 나오게 됨. 만약 시험결과가 양성으로 나오는 경우 환자의 건강을 크게 해칠 우려가 있는 매우 중요한 문제임.

신속검사법 개발 등 품질관리 고도화 및 표준화가 시급함

- 품질관리 고도화의 대표적인 예가 마이코플라스마 부정시험임. 기존에는 배양법을 사용하여 검사에 장시간이 소요된다는 단점이 있었음. 2012년 “핵산 증폭검사법을 이용한 마이코플라스마 검출법 밸리데이션 가이드라인”이 발간되어 핵산증폭기술을 도입한 신속시험법 적용이 가능하게 되었음. 핵산증폭검사법을 이용함으로써 세포치료제의 생산규모, 사용기간 등에 따른 시험법의 제약을 극복하는 것이 가능해졌음.

## 2) 경제·산업적 측면

- 국내 줄기세포 시장은 '05년 1.7억달러(2,000억원)에서 '15년 17억달러(2조원) 규모 형성 전망(연평균 25%로 성장)
  - 국내 줄기세포 시장은 제대혈 보관서비스와 치료제개발 중심의 소규모 시장
    - \* 국내 줄기세포 시장은 '11년 기준 관련기업의 매출분석결과 약 540억원 규모로 다른 바이오 의약품인 백신의 국내시장(4,800억원)에 비해 시장 규모는 매우 작은 수준
    - \* 분야별로 제대혈보관 400억원, 치료제 140억원으로 시장이 형성되어 있으며 (서비스 등 시장 미형성), 주 수익은 제대혈 보관을 통해 얻어지고 있는 실정
  - 국내 줄기세포 시장의 다변화 필요성 존재
    - \* 국내 시장은 기업규모가 작은 벤처 및 중소기업 중심의 시장으로 코스닥 상장 기업 4개, 치료제 개발 기업 7개사로 외국기업과 비교 시 규모의 차이 존재
    - \* 관련 기업은 모두 제대혈 보관 및 치료제 개발에만 집중하고 있으며, 장치 및 공정 시스템 개발, 연구대행 서비스와 관련된 시장은 존재하지 않아 시장의 다변화 필요성 존재
    - \* 과학기술정보통신부 주도로 '12년부터 줄기세포 기반 약리 독성 질병모델링 및 약효 평가 등의 국책 연구 사업 진행
    - \* 전분화능 줄기세포 유래 간, 심근 및 신경세포 등을 활용한 약물독성 및 스크리닝 시스템 개발을 위한 초보수준 연구로, 기업 등의 참여는 전무

## 3) 국내 정책 동향

- 기술관련 정책 및 규제동향: 줄기세포 적응증 확대 요구 증가추세
  - 줄기세포 치료제 조건부 허가대상 확대
    - 생명을 위협하는 질환 등에 대한 새로운 치료법이 환자에게 신속하게 적용될 수 있도록 신속허가제도 마련을 건의하는 의견이 증가 추세. 이와 같은 요구를 받아들여 식품의약품 안전처는 2016년 7월 “생물학적제제 품목허가/심사규정”을 개정해서 세포치료제의 조건부 허가대상 확대

- 세포치료제가 조건부 허가 확대되는 대상품목은 자가/동종/이종, 체세포/줄기세포의 구분없이 허가되는 모든 세포치료제임
- 이에 따라 항암제, 희귀의약품 외에도 생명을 위협하는 질환 또는 중증 비가역적 질환에 사용한 세포치료제까지 조건부 허가가 확대됨
- 국내 대학병원들의 줄기세포 특화센터 중심 환자 적용 경험 증가 추세. 국내에서 줄기세포 전문기업들이 다양한 난치성 질환에 대해 20여 건의 상업화 임상시험을 수행.

- 줄기세포 치료제 적응증 확대를 위한 첨단재생의료법 제정 추진
  - 첨단재생의료법 제정이 추진되고 있는데, 이 법을 통해 약사법상 품목허가 단계 이전에도 재생의료기술을 검증된 의료기관에서 실시하는 “병원 내 신속적용제도”가 법제화 됨
  - 병원 내 신속적용 도입을 통해 임상 전입단계에서 환자가 사용하기까지 걸리는 기간이 2015년 기준으로 2-5년에서 2017년 3개월 내로 단축됨

### □ 줄기세포 연구 관련 정책

- 줄기세포연구 종합추진계획('06~'15) 수립('06.5)
- 줄기세포 연구 활성화 방안(3-5-5 initiatives) 수립(국과위, '09.7)
- 줄기세포 R&D 투자효율화 방안 수립(국과위, '12.1)
- ‘생명윤리 및 안전에 관한 법률’ 제정
  - 인간 배아줄기세포에 대한 연구규제가 전반적으로 완화되는 추세에 맞추어 국내에서도 줄기세포 연구 단계별 적절한 규제 및 제도 적용방안 고민이 필요하며 글로벌 시장의 선두자로서 진입하기 위한 국제 수준의 가이드라인 등 표준화되고 신뢰적인 제도의 뒷받침 필요함.
  - 줄기세포 기술 개발 촉진 및 관련 산업 활성화를 위하여 일부 규제 완화 및 제도를 정비하고 배아줄기세포를 이용한 세포치료제 임상시험 허용함.('11.4)
- 제대혈관리 및 연구에 관한 법률 제정 및 시행('11. 시행)
  - 임상 시험 간소화, 제출 자료 합리화 및 희귀 의약품 조기 지정 등 줄기세포 치료제에 대한 품목 허가 절차 개선하고 국가적 차원에서 미래성장동력으로 인식하고 적극적 육성 정책 수립 및 지원함.

- 줄기세포 연구 활성화를 위한 공공인프라 구축 및 정부 투자 지원등 정책적 지원 강화 (미래성장동력산업으로서 정부의 적극적 지원에 따라 산업분야에서는 선진국 수준)
- 줄기세포 인프라 확충 및 제도 개선에 비해 선진국의 기술선점을 위한 세계 최고 수준 원천기술 확보에 대한 지원과 정책이 부족하고 산-학-연-병의 연계를 원활히 가져갈 수 있는 제도적 개선이 필요함.
- 줄기세포 원천기술 확보를 위한 장기적인 비전, 정책 제시 부족

<국외>

1) 과학·기술적 측면

- 타 의생명과학 분야와의 줄기세포 협력 연구를 통한 새로운 줄기세포 고도화 기술 및 안전성 확보 기술 연구가 집진적으로 확대하는 추세
- 치료 유효성을 향상시키기 위한 신규 혼합인자 발굴 등 기존 줄기세포치료제 성능 강화에 대한 지속적 연구 추진
  - \* 손상된 조직 및 장기의 빠른 회복을 돕는 새로운 재생물질인 "SW033291"를 개발하여 골수 및 대장세포 재생 효능 입증 (Zhang et al., 2015)
  - \* PDGFRa 성장 수용체 단백질과 줄기세포 혼합치료법을 통하여 심근 경색 치료 효능 강화 (Noseda et al., 2015)
- NGS와 같은 유전체 및 후성유전체 분석 기술 발전을 통한 새로운 줄기세포 메커니즘 규명과 줄기세포치료제에 대한 부작용 감소 및 안전성 강화를 위한 돌연변이 제어 및 유전체 안정성 연구 강화
  - \* 유전체 이상 미분화 만능줄기세포에서 유전자 이상발현 확인 및 유전체 이상 미분화만능 줄기세포 세포사멸 유도용 3종의 항암제(Etoposide, cytarabine hydrochloride, Gemcitabine hydrochloride) 발굴(서던캘리포니아 대학, 2014)
  - \* 20종 hESC와 19 종 iPSC 세포들의 후성유전체학 분석을 통하여 세포 배양에 따른 후성유전체 안전성 변화와 이에 대한 세포 특성 변화 규명(하버드대학, 2011)
  - \* 미분화 만능줄기세포 특이 lectin probe를 이용한 미분화만능줄기세포 선택적 세포사멸 유도(일본 산업기술종합연구소, 2015)
- 간엽줄기세포의 파라크라인 효과에 의한 항염증 반응 메커니즘 규명 연구 활발
  - \* 간엽줄기세포에서 분비하는 TSG-6 의 항염 효과 및 세포치료 효과 확인 (톨레인 대학교, 2009)
  - \* 간엽줄기세포에서 분비하는 HLA-G5에 의한 regulatory T 세포 증식 확인 (Franche-Comete 대학, 2008)
- 줄기세포 치료 기술 고도화 연구를 진행하며 적용 질환을 확대하는 추세

- 치료 유효성을 향상시키기 위한 신규 혼합인자 발굴 등 기존 줄기세포치료제 성능 강화에 대한 지속적 연구 추진
- 줄기세포치료제에 대한 부작용 감소 및 안전성 강화를 위한 미분화 세포 제거, 돌연변이 제어 및 유전체 안정성 연구 추진
- 기존 신경계, 혈액계 및 골격계 재생의학에 주로 활용되던 줄기세포치료제가 점차 중증 만성 난치성 질환(아토피피부염, 천식, 당뇨병 합병증 등) 및 항암치료제로서의 다양한 연구개발 추진
- 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발
  - 국외에서는 기존 줄기세포가 갖는 한계를 극복하기 위해, 다양한 방법론을 적용한 연구가 활발 진행되는 추세이며 그 중 하나가 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 연구임
    - 기존 줄기세포 치료 기술의 한계로 지적되고 있는 이식 후 낮은 생존능, 비이상적 분화에 따른 부적절한 조직형성 가능성 등을 극복하고자 줄기세포 분비단백질체에 대한 연구가 시작되었고 최근에는 분비단백질체의 단점인 안전성 및 지속성 등의 문제를 극복하고자 엑소솜에 대한 연구가 활발히 진행되고 있음
    - 외부적 줄기세포 주입 없이도 내인성 줄기세포 자체의 재생, 증식능을 조절하는 미세환경(Stem Cell Niche)에 대한 조절을 통하여 새로운 치료타겟을 설정하는 연구들이 진행
- 실용화 기반기술 개발 분야 국외 동향은 국내 연구동향과 다르지 않음
  - 새로운 분석기법들을 이용한 자료로 안전성, 유효성 관련 자료 강화
    - 개선된 시퀀싱, 마이크로어레이 등의 분석을 통한 유전적 안정성 검증
    - 삼차원 조직 영상, 대사체 대량분석 등을 통한 유효성 검증 지표 개발
  - 분석기기, 새로운 유형의 세포치료제들의 개발에 따라 세포치료제 규제에 대응하기 위한 생산공정 내 품질관련 새로운 시험법, 벨리데이션 방법 개발 및 표준화연구 업데이트
  - 세포치료제 대량생산, 자동화 기기 및 공정 개발 활발
    - 배양 surface 확장을 위한 배양재료(bead, fiber, patterning type), 소재(Polystyrene, 다공성 생체재료), 3D 프린팅 기술
    - 세포의 특성 및 배양재료에 맞추어 부유방법, flow 조절 가능한 용량별 대

- 량생산 바이오리액터 개발(미국 PBSbiotech사)
- iP세포 배양용 자동배양기기(일본 파나소닉사)

□ 줄기세포 치료기술 산업화 촉진을 위한 고도화된 품질관리 시스템 개발 활발

- 줄기세포 치료제 허가 건수는 대한민국이 아직 세계 1위이지만 진행중인 임상시험 건수 등에 비춰보면 미국이나 중국등이 맹추격중임. 줄기세포 치료기술은 국익이 걸린 문제로 모든 국가에서 산업화 촉진을 위해 품질관리 시스템 개발을 활발하게 진행중임
- 역가는 생물학적 활성을 나타내는 지표로 줄기세포치료제의 성패를 결정지을 수 있는 중요한 요인임. 세포치료제 개발 실무에서 최적의 역가시험법 설정은 세포치료제의 효능을 결정짓는 과정으로 매우 까다롭고 민감한 과정임. 아직 세포치료제 개발 초기단계이므로 국외와 국내의 관련 기술력 차이는 거의 없다고 판단됨
- 국내외 마찬가지로 국외에서도 줄기세포치료제의 안전성에 대한 품질관리 시스템을 고도화하기 위한 노력을 꾸준히 진행중
  - \* 미국 식품의약품안전국에서는 마스터세포은행이 있는 경우, 핵형이상성이 없는지 등을 확인하는 방법으로 유전체의 안정성을 입증하도록 할 것을 권고하고 있지만, 명확한 관련 규정은 마련되어 있지 않음 (미국 식품의약품안전국)
  - \* 광범위한 체외조작을 거치는 줄기세포 기반제제들의 경우 종양원성과 함께 유전체 안정성을 평가하는 것이 필수적이라고 기술하고 있음. 이를 위해 세포유전학적 분석, 텔로머레이즈 효소 활성, 증식능 및 세포노화 평가 등을 관련성이 있는 분석법으로 제안하였음 (유럽의약품청, 2011)
  - \* 세포치료제 개발 시 전임상 단계에서 최소 20개 중기세포들에 대한 핵형분석을 통해 염색체 이상을 검색해야 한다고 결론을 내리고 있음. 다만, 고전적 핵형분석법만으로는 민감도나 해상도가 떨어져 유전적 안정성을 완전하게 예측하는 데에 한계가 있기 때문에 관련된 다른 방법들 (CGH 어레이, 면역형광, 형광제자리부합법 (FISH) 등을 병행해서 사용해야 한다고 의견을 모았음 (유럽의약품청 전문가회의)
- 외래성 바이러스 부정시험기간이 14-28일이 소요되므로 세포치료제를 환자에게 투여한 이후에 결과가 확정됨. 만약 시험결과가 양성으로 나오는 경우 환자의 건강을 크게 해칠 우려가 있는 매우 중대한 문제임.

2) 경제·산업적 측면

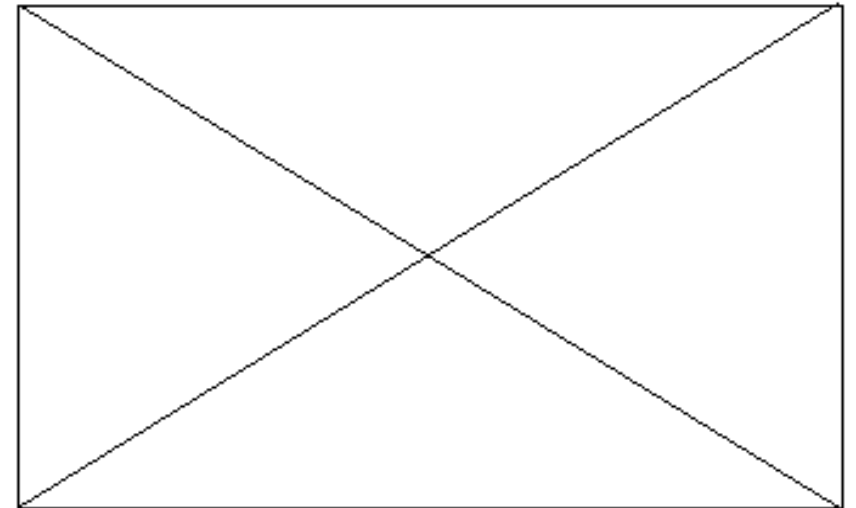
- 글로벌 줄기세포치료제 산업은 전체 줄기세포 산업에서 절반 이상의 큰 비중을 차지하고 있으며 고성장 추세
- 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 24%로 고성장세를 지속하고 있으며, 이 중

줄기세포치료제 시장은 연평균 47.5%로 더욱 급격한 시장 성장 전망

- \* 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 24.2%로 성장하여 '12년 325억달러에서 '18년 1,195억달러 규모를 형성할 전망
- \* 세포 종류별로 성체줄기세포 시장이 80% 이상의 비중을 차지, 지역별로 북아메리카 지역이 59%로 가장 큰 비중 차지

[그림] 글로벌 줄기세포 시장 현황 및 전망 (2009-2016년)

(단위 : 십억달러)



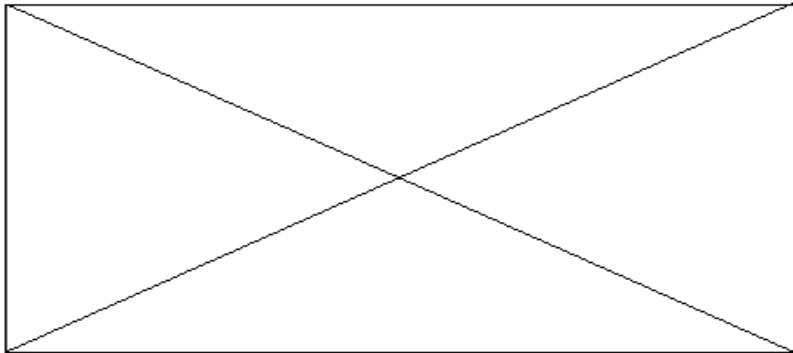
- 중증 난치성 만성질환에 대한 신규 치료 대안으로 상업화 목적의 줄기세포 임상시험이 증가하고 있으며 배아줄기세포, iPSC의 임상시험도 새롭게 실시

- 세계적으로 줄기세포 분야에서 4,800건 이상의 임상시험이 진행 중이며 이중 270건 이상의 연구가 상업화 목표로 수행 중
  - \* 상업적 임상연구에 대한 국가별 임상건수는 미국이 49%(135건)로 가장 많은 비중 차지('14.12 기준, 미국 임상등록 사이트에 등록된 임상연구 대상으로 조사)
- 적응증별 임상연구 비중은 심혈관계 질환이 27%로 가장 높으며 그 외 뇌신경계, 소화기계, 정형외과, 암, 내분비계, 면역계, 호흡기계, 안과, 비뇨기계, 혈액계, 근육계, 피부질환 등 다양한 질환으로 점점 확대되는 추세
  - \* 뇌졸중 환자를 대상으로 Multistem 치료제의 임상 2상 결과에서 65명의 환자 중

27명에서 위약 환자 대비 상당한 회복을 보이는 것을 증명(미국 Ahterssys사, 2015)

\* 노인황반변성의 임상 1/2 시험에서 효능 입증 : 노인황반변성 15명 환자를 대상으로 HuCNS -SC@Cells(neural stem cells)을 이식한 결과 교정시력, 대비 민감도, 빛간섭단층 촬영 등 평가에서 대다수의 환자가 증상이 호전되는 결과를 보임 (StemCells(STEM), 2015 ISSCR)

[그림] 줄기세포 분야 개발국별 임상건수 및 점유율('14.12 기준)



\* 출처 : 식약처, 차세대 줄기세포치료제 연구사업단, 줄기세포치료제 개발 및 규제동향 2014(2015.4)

□ 글로벌 제약회사들에서의 줄기세포치료제 개발 기업 인수합병 및 협력연구 등이 활성화되면서 줄기세포 시장진출 증가 추세

○ GlaxoSmithKline, Pfizer, Novartis, Novo Nordisk, Teva Pharmaceuticals, Roche 등과 같은 글로벌 제약사에서는 줄기세포치료제 연구개발 전문 기업과의 전략적 파트너쉽 구축을 통한 협력 추진

\* 아직 많은 제약사들이 줄기세포치료제 시장 진입에 소극적인 입장을 취하고 있으나 향후 임상시험 결과 및 의료정책 변화 등에 따라 시장 진출을 본격화할 전망

**(4) 현황 및 개선방안**

**<현황 및 문제점>**

○ 줄기세포 치료 기술 강화 기술 개발

- 유효적 치료 기전 분석을 위한 기반 기술 연구 부족
- 다학제간 교류 미흡으로, 줄기세포 치료 기술들이 확장성 있게 활용하지 못하

고 있는 현실임

- 다양한 난치성 질환 극복을 위한 치료 기술들이 개발하고 있지만, 타 분야의 고도화된 신기술들의 활용 부족으로 신뢰도가 낮은 연구 성과물을 생산함
- 기초, 중개, 임상, 실용화 각 분야별 연계 체계가 미흡하며 산업계와의 소통 부족으로 실질적인 기술수요 인식 부족
- 해외에 비해 기초연구\* 대비 응용연구\*\*가 보다 활발하여 글로벌 선점수준의 혁신적 줄기세포치료제 개발을 위한 원천기술 부족

○ 줄기세포 치료제 기능 강화 기술 개발

- 저분자화합물, 펩타이드, 성장인자 등의 단독 혹은 병용사용으로 줄기세포의 기능을 강화하여 손상된 조직이나 질환을 치료하는 기초 원천 기술 확보의 중요성이 아직까지 국내에 인식되어 있지 않아, 관련된 임상승인 건수는 0%임
- 생물, 물리, 화학, 신소재 또는 융합기술 등을 도입하여, 치료용 줄기세포의 기능(재프로그래밍), 유지 및 분화를 in vitro에서 향상시키는 기술에 대한 필요성 인식이 부족하여 관련된 임상승인 건수가 전무한 상태임.

○ 생체 내 이식세포 생존 및 기능증진 기술 개발

- 세포치료제가 임상승인을 받아 환자에서 유용하게 활용되고 있지만, 이식된 세포치료제의 생존 및 기능 증진과 관련된 체계적인 연구 및 원천 기술이 확보되어 있지 않음.
- 작은 수의 세포로도 많은 수의 세포 이상의 효과를 거둘 수 있는 기술 개발이 필요
- 이에, 단순히 배양세포를 이용하는 수준에서 벗어나서 기술이 고도화 되고 있으며 유전자치료, 조직공학기술 등 다른 첨단기술이 융복합되어 보다 포괄적이고 복잡해지고 효능을 강화한 차세대 줄기세포치료제 개발이 활발히 이루어지고 있으며, 최근 5년간 등록된 신규 제품군의 임상 중에서는 분화 유도 뿐만 아니라 세포의 생물학적 특성 변형을 유도하기 위한 조건배양(저산소배양 등)을 적용한 임상사례(분화유도/조건배양)가 가장 높은 비중을 차지, 의료기기와의 복합제품군과 유전적 변형을 가한 줄기세포치료제도 개발 중

○ 줄기세포 유래 물질 기반 치료 기술 개발

- 세포치료제 기능(리포그래밍, 증식, 분화 등)을 강화시키거나, 생체 내 줄기세포의 재생 기능을 유도하는 미세소포체, 분비단백질체 등에서 유래된 인자 발굴 및 작용 메커니즘 규명 기초 연구에 대한 연구 지원 부족함
- 상용화를 위한 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체 성분 조절 기술, 증폭 및 동정 기술에 대한 기초 연구 지원이 부족함
- 생체 내 모든 조직에는 조직 줄기세포가 있고, 특히 골수는 다양한 성체줄기 세포원의 저장고로, 골수이식의 경우도 내재성 줄기세포를 치료용 세포로 활용한 예라고 볼 수 있음
- 골수 내 중간엽 줄기세포 (MSC), 혈관내피 전구세포(EPC), 조혈모세포(HSC) 등의 stem cell trafficking (세포교통체계) 조절을 통하여, 골수내재성 줄기세포가 혈액으로 이동함
- 이들이 직접 손상 조직으로 이동하여, 조직재생에 관여하게 하는 연구들과 SDF-1(EPC homing), ADM3100(CXCR-4 blocker), GCSF (HSC, EPC이동), Substance-P (MSC, EPC), SIP (MSC) 등이 생체 내 줄기세포 이동을 촉진시키는 활성인자들과는 연구보고가 있음
- 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체 그리고 생체 내 줄기세포 치료 기술은 체외배양 줄기세포치료기술의 시·공간적 제약 등 여러 단점을 보완할 새로운 패러다임의 치료기술임
- 응급실 도착 즉시 환자에 투여 가능하여 global market 성장 가능성이 매우 높은 기술로서, 의료·산업적 측면에서 매우 중요한 기술로 고려하고 있음

○ 기허가 세포치료제의 적응증 확대

- 줄기세포 치료제는 원가가 높고, 유효성에 있어서도 논란이 많으므로, 대부분 희귀난치 질환을 대상으로 개발이 진행되고 있는 실정
  - 정식으로 의약품 허가를 받기까지는 무려 8~10여년의 기간이 소요되고, 개발단계에서 어느 정도 안전성과 유효성이 확보된 경우에도 현행 허가 제도에 필요한 자료를 모두 준비하기에 많은 장애물들이 존재함
  - 허가 후에도 고가의 치료제, 시장성이 불확실하다는 이유로 인하여, 실제로 허가 절차를 완료하지 못하고 개발이 좌절되기도 함
  - 이렇게 어려운 조건 하에서 개발이 완료된 줄기세포치료제는 허가된 적응증에만 국한하여 사용하도록 제한되어 있는 실정

○ 지속적인 유효성 근거 창출과 적응증 확대를 위한 R&D 지원 확대

- 치열해지는 줄기세포 치료제 개발 경쟁
  - 줄기세포 치료제는 기존 의학과 차별화된 작용기전을 바탕으로, 기존 의학 적 치료법으로는 해결될 수 없었던 영역에서 치료 가능성을 제시함으로써 난치성 질환 환자들에게 새로운 치료적 기회가 됨
  - 또한 고부가가치 창출의 기대로 국제 사회에서의 경쟁이 치열하게 진행
  - 줄기세포 치료제의 상업입상은 1998년부터 시작된 이래 2014년 이후 최근 3년간 지속적으로 연간 40건 이상의 임상연구가 등록되고 있음
  - 초기단계에는 미국이 전체 입상의 60%를 차지하면서 상업입상을 주도
  - 2010년도 이후 최근까지 한국, 중국, 스페인 등의 임상개발 증가로 최근 4년간 한국·중국·인도를 중심으로 한 아시아 국가들과 유럽 국가들의 임상 개발에 적극적으로 참여하고 있어 줄기세포 치료제의 임상연구가 지속적 확대 추세임
- 생명을 위협하는 질환 세포치료제의 조건부 허가 확대 시도
  - 알츠하이머, 뇌경색 등 생명을 위협하거나 만성화 하여 환자의 치료가 불가능한 질환에 사용하는 세포치료제에 대해서도 '허가 후 사용성적 조사 실시 등을 조건으로 2상 임상시험자료로만 허가'(조건부 허가) 할 수 있도록 허가 체계를 개선 시도
    - ※ 1상: 소수의 건강인 또는 환자대상으로 안전성 확인,
    - 2상: 환자 대상 최적용량 확인,
    - 3상: 수백 또는 수천명의 환자를 대상으로 안전성·유효성 검증
    - ※ 조건부 허가: 2상 임상자료로 심사 후 우선 허가하되 허가 후 3상 임상 시험자료(대규모 환자를 대상으로 개발중인 의약품이 효능 및 안전성이 있는지를 확인 하는 시험), 사용 성적 조사 자료 및 안전사용 조치(특정 의료 기관내에서 사용 등) 등의 자료 제출을 조건으로 허가하는 제도
  - 생명을 위협하는 질환 또는 비가역적인 질환에 사용되는 세포치료제를 조건부 허가대상에 포함하여 시장진입을 2~3년 단축하는 효과

○ 품질 관리 및 표준화 기술 관련

- 줄기세포 치료 기술의 글로벌 수준의 품질 관리 및 표준화 기술 부족
- 사업화 수익성 개선 및 글로벌 시장 진출을 위한 고도화된 실용화 공통 기반 기술 부족

<개선방안>

○ 줄기세포 치료제 기능 강화 기술 개발

- MOA 분석, 줄기세포 기능성 강화를 위한 기초-융합 연구 필요
- 기초연구자와 입상의 간의 공동연구 유도를 통해 중개 임상 연구의 협업

#### 촉진 필요

- 원천핵심기술 개발을 위해 줄기세포 관련 핵심유전자, 줄기세포 제어 기전 등 기초 및 융합 연구 필요
  - 줄기세포의 재생 기능을 유도하여 손상된 조직이나 질환을 치료할 수 있는 저분자화합물, 펩타이드, 성장인자 등의 단독 혹은 병용사용 효능 평가를 위한 전임상 및 임상 연구 지원이 요구됨.
  - 질환별 병변내 조직으로의 내재성 줄기세포 동원 (recruitment) 기술 개발
  - 줄기세포의 증식 강화를 통한 줄기세포의 수 증가 기술 개발
- 줄기세포 치료제 유효성 강화 기술 개발
- 유전자 조작 뿐만 아니라 생물, 물리, 화학, 신소재 또는 융합기술 등을 도입하여, 치료용 줄기세포의 기능을 in vitro에서 고도화시키는 원천 기술 확보와 관련 기술의 전임상 및 임상 연구 지원 확대가 요구됨
  - 줄기세포 치료 기능 강화 기술을 이용한 질환 극복 기술 개발을 위하여, 효능강화/고효능 성체줄기세포 개발기술의 부처별 연계 지원이 가능하도록 하여 신규 기술개발을 독려하고, 후보 기술들의 임상적용을 용이하게 하여 상용화 가능성을 확인할 수 있는 단계 및 기회로 이용
  - 재생의료, 의료기기 등 다양한 기술이 접목될 수 있도록 연구 기회 제공 및 제도 개선
- 생체내 이식세포 생존 및 기능 증진 기술 개발
- 생체내 이식세포 생존 및 기능 증진을 위한 체외세포 전처리기술, 병변 환경 조절 기술 및 세포치료제의 보조제(adjuvant) 개발이 요구됨.
  - 국소로 전달된 세포가 질환의 병변 주위의 미세 환경 변화를 통하여 전달된 세포의 안정되고, 지속적 생착을 위한 연구
  - 병변 환경 개선을 통한 세포 치료제의 기능 강화 연구
  - 세포 치료제의 효능을 강화할 수 있는 임상기술 방법 정립 연구
- 줄기세포 유래 물질 기반 치료 기술 개발
- 줄기세포의 재생 기능을 유도하는 미세소포체, 분비단백질체 등에서 유래된 인자 발굴 및 작용 메커니즘 규명을 위한 기초 연구 지원 확대가 요구됨
  - 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체 조절 기술에 대한 연구 지원 확대가 요구됨

- 생체 내 줄기세포의 가동화 및 유입 (mobilization and recruitment)인자 (저분자화합물, 펩타이드, 성장인자 등)의 개발에 대한 연구 지원 확대
  - 생체 내 줄기 세포의 증식 강화를 통한 동원 가능 줄기 세포의 수 증가 기술 개발 지원
- 기허가 세포치료제의 적응증 확대
- 투여 경로와 줄기세포 치료제 기원이 동일한 경우, 안전성이 확보된 용량 범위 내에서 다양한 적응증으로 확대하기 위한 실용화 연계 개발 연구
  - 동일 투여경로와 기원 치료제의 경우, 허가 줄기세포 치료제의 적응증 확대가 가능하도록 조건부 허가 제도의 확대실시 등 혁신적 제도 개선과 TLR 1~5단계에서 연구개발 지원 강화
- 지속적인 근거 창출을 위한 연구지원 확대
- 혁신적 기술의 실용화 가능성을 조기에 검증하고 다양한 적응증에서의 치료 기술 및 유효성 평가방법 개발을 증진하기 위한 연구
  - 임상적 근거 창출 위하여 임상진입에 필요한 GLP 독성, GMP 생산 자료 등을 만드는데 막대한 비용과 시간이 소모 되므로 줄기세포 치료제 개발을 위한 국가 과제 지원 시 단계별 선택과 집중이 필요함
  - 과제 지원 및 선정 시 Proof of concept (PoC)와 개발의 과제를 나누고 임상에서의 니즈를 반영하여 임상적 근거 창출을 위한 지속적인 지원 및 선정의 차별화가 필요함
- 혁신적 줄기세포치료제 기술의 지속적인 연구와 연계 강화
- 고도화된 줄기세포 치료 기술 개발을 위한 생산 시설, 특성분석/전임상/임상 CRO 등 전반에 걸친 인프라 시설 개발·확충과 줄기세포 유효성 평가 표준화 마련
  - 고도화된 줄기세포 치료 기술에 대한 기초연구자와 임상의 간의 공동연구를 지원하여 성공적인 중개 임상 연구 성과 창출
  - 특정 분야에 편중된 줄기세포 전문가 인력 구성과 줄기세포치료제 개발 인프라의 취약한 문제점을 해결하기 위하여, 다분야에 걸친 줄기세포 전문가 및 글로벌 선도 연구팀 육성 프로그램 개발
- 선제적 품질관리 및 평가 기준 고도화를 통한 치료제 개발 플랫폼 구축
- 본격적인 융복합 차세대 줄기세포치료제 연구개발 초기에 선제적인 품질 관리 시스템 고도화 및 표준화 연구 지원



- 품질관리 고도화 및 표준화 연구결과와 성공적인 산업화 연계를 위한 다학제적 성격의 산·학·연 협동 중개연구 활성화
- 글로벌 수준의 줄기세포치료제 품질관리 및 표준화 기술을 기반으로 한 경쟁력 강화
- 글로벌 시장 진출을 위한 실용화 기반 기술 개발
  - 글로벌 시장 진출을 위한 줄기세포치료제 품질관리 고도화 및 표준화 기술 개발을 통한 시장에서의 국가경쟁력 증진
  - 줄기세포치료제의 효능, 안전성, 품질 강화 및 적응증 확대를 통한 신규 분야 시장 개척

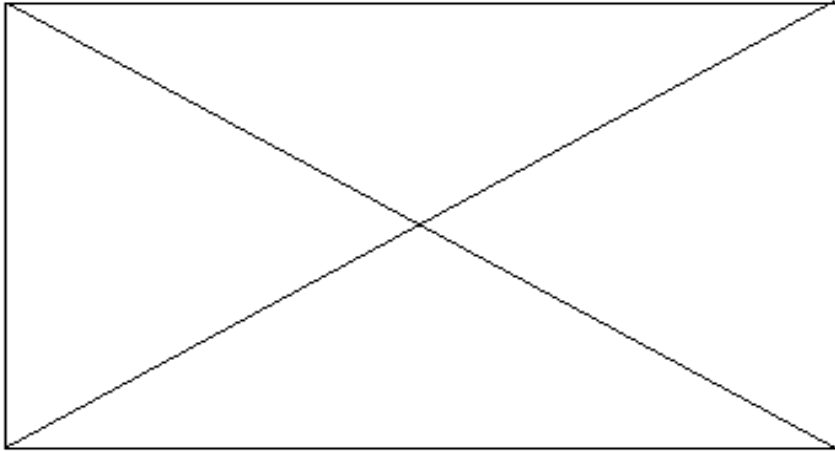
--	--

--	--

(5) 연구개발 목표 및 내용

(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

<추진체계도>



<협력방안>

- 지속가능한 줄기세포 치료 기술 발전을 위한 거버넌스 체계 구축
  - (부처연계·협력) 관계부처\*, 민간전문가가 참여하는 ‘줄기세포 R&D 협의체’를 구성, 신규사업 기획단계부터 임상지원, 사용화, 규제개선까지 긴밀한 협력 체계 구축
    - \* 미래부, 교육부, 농식품부, 복지부, 식약처, 산업부
    - ※ 부처 사업계획, 규제개선 방안, 성과연계, 연계사업 관리, 성과공유 방안 등 논의
  - (Fast Track) 줄기세포 연계 실용화 제품 개발을 위한 범부처 Fast Track (예시, 후보세포(과기정통부)-임상(복지부)-대량생산·실용화(산업부)) 운영
    - ※ (예시) 실용화 제품 개발 (산업부) → 실험실 내에 연구자 실증 및 수요 반영 (과기정통부-복지부) → 제품 보완·제작(산업부) → 기술이전·산업체 활용
    - ※ 과제 종료 평가(과기정통부)-선정평가(복지부) 동시 실시를 통한 후속연계지원 강화
- 줄기세포 연구/산업 활성화를 위한 합리적 제도 개선
  - (연구규제 개선) 창의적 줄기세포 연구 활성화를 위한 줄기세포 연구 허용 범위 완화, 조기임상 촉진 등 관련 연구 규제 개선
  - (임상연구) 연구성과의 조기임상 적용 및 상용화 촉진을 위한 연구자 주도 임상 재정지원 강화 등 임상시험 관련제도 개선
    - ※ 희귀난치질환 줄기세포치료제 등 공익적 목적이 큰 임상시험에 대해 통상 진료비용 건강보험 급여 적용 ('16.10월 ~)

- ※ 임상 부작용 보고 의무화를 통한 부작용 관리체계 구축 및 국가적 차원의 피험자 보상제도 마련을 통한 피험자 보호 강화
- (약가 선정) 글로벌 진출 신약 약가 우대 평가 기준 마련, 의약품 특성, 임상적 유용성 개선 등을 반영한 바이오의약품의 약가 산정 기준 마련
- (조건부 허가) [(가칭)획기적 의약품 개발지원특별법] 을 제정하여 선진국에 비해 제한적인 조건부 허가 범위 확대
  - ※ 희귀의약품, 항암제 → 화합물신약, 바이오신약, 허가의약품보다 안전성·유효성의 현저한 개선이 예상되는 의약품, 감염병 대유행 대응 예방·진단·치료 의약품 등
- (치료기술 보급) [(가칭)첨단재생의료의 지원 및 관리법] 제정을 통해 검증된 줄기세포 치료 기술의 병원 내 신속 도입 및 관리체계 정비
  - ※ 위험도에 따른 줄기세포 치료 기술의 안전성 및 유효성 심의, 재생의료실시기관 및 세포처리기관 허가 및 관리체계 등
- (핵심 클러스터 육성) 국내 줄기세포 치료 기술의 글로벌 리더쉽 확보와 R&D 성과 조기 실용화 환경 조성을 위한 클러스터 생태계 구축
- (거점 지정) 창조경제혁신센터를 중심으로 연구기관-중소벤처-대기업간 플랫폼 기술 교류, 공동 제품 개발, 공동 투자 촉진
- (컨소시엄 구성) 첨복단지외 연구중심병원 간 컨소시엄을 통한 기술 이전 촉진 프로세스 수립 등 연구기관-산업계 공동협력체계 구축
  - ※ 첨복단지 내 줄기세포 치료 기술 연구진, 줄기세포 제조·생산기업과 줄기세포치료 전문병원 간의 임상 적용 연계 및 기/장비 공동 활용 활성화
  - (공공인프라) 연구 및 임상 경쟁력 강화를 위한 줄기세포·재생센터 역할\*정립 및 국내 CMO/CRO\*\* 지원
    - \* 첨단 줄기세포 치료 기술 교육·지도와 함께 줄기세포 관리·분양을 위한 국가 기반시설로서 연구/산업 활성화를 위한 기능 강화
    - \*\* 줄기세포 분야 우수 CRO 인증제 운영 및 컨설팅, CRO 인턴쉽 프로그램 지원 등
- 줄기세포 기능 고도화 기술의 임상시험 진입을 위한 전임상 비임상 안전성/유효성 평가 및 표준화 기술 개발
  - 줄기세포 기능 고도화 기술의 안전성/유의성 평가는 GMP공정과 동일한 공정에서 생산된 세포를 이용하여야 하므로 공정표준화 및 품질관리 경험이 풍부한 생산기관(CMO, CDMO등)과의 공정개발 필요함
  - 안전성 연구의 경우 규제기관에서 인정하는 수준의 검증이 필요하며 비임상 시험과의 연계를 위해서는 비임상 CRO 혹은 GLP기관과의 공동 혹은 위탁연구 필요함

- 줄기세포 기능 고도화 기술의 실용화를 위한 대량생산, 자동화 공정 기술을 위한 원천 기술 개발 및 표준화 기술 개발
  - 대량생산공정이 GMP공정화 가능해야 하므로 CMO기관을 활용한 공정밸리데이션, 품질관리 설계 전략 필요함
  - 자동화 공정은 세포의 특성에 맞추어 재료 및 기기의 설계, 제작, 검증 과정이 이루어져야 이 과정에서 생명/전자/재료/공학 분야의 융합연구 필요함
  - 국내 자동화공정 연구의 경우 출발이 다소 늦은 시점이므로 기 산업화된 자동화시스템의 장단점을 활용하고 안정적인 기술을 확보하기 위해 글로벌 선도기업 등과의 국제 공동연구 추천됨

**(7) 위험요인 및 해결방안**


**(8) 상용화 전략**

**<기존 상용화 사례>**

- 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발
  - 국내에서 지방유래 중간엽 줄기세포로부터 고순도의 미세세포체를 제조하는 방법에 대한 특허를 출원
  - ADM3100은 SDF-1/CXCR4 결합을 억제하는 저분자 화합물로, 현재 임상에서 골수 이식 시 GCSF와 함께 사용하여, 혈액 증으로 골수 줄기세포를 이동시켜 골수 흡입보다 용이하게 말초혈액을 채취 보관하였다가 항암치료 후 환자에게 이식함
  - Substance-P (11 aa peptide)는 줄기세포 촉진제 전문 의약품으로 내재성 골수 줄기세포가 당뇨성 케양, 심근 경색, 뇌졸중에 혈관 재생 및 조직 재생에 직접 관여하여 치료 효능을 내게 하는 것임
- 국내에서 상용화된 줄기세포 치료제는 총 4건이며, 배아줄기세포 치료제의 임상진입과 신규 세포치료제 연구 활성화
  - \* 품목허가 줄기세포 치료제: 하티셀그램-AMI (파미셀, 2011허가), 카티스텀 (메디포스트, 2012허가), 큐피스텀(안트로젠, 2012 허가), 뉴로나타-알(코아스템, 2014허가)

가)

\* 美 ACT사와 차병원그룹 (차바이오텍)의 전략적 협력관계를 구축→ 미국, 영국, 한국 임상 시험 개시 및 망막색소상피세포의 생착과 시력개선효과 발표 (Lancet, 2011, 2014)

○ 기 허가제품 치료 적응증 확대를 통한 기존의 성과물 활용 사례

- 카티시스템은 골관절염에서 사용되던 MSC 연골치료제로서, 현재까지는 수술적인 치료에 의해 연골결손부위에 직접 주입하고 연골재생 효과를 보려는 침습적 치료방법임. 환자는 입원하고 수술을 받아야 하는 번거로움 있음
- 최근 카티시스템을 직접 관절강 내에 주사하는 방법을 개발중 (임상연구진행) 치료 방법적인 면에서 적응증 확대를 통해 수술이라는 침습적 치료없이 외래 진료실에서 관절주사로 치료를 받게 된다면 편의성 면에서 매우 큰 잇점이 있음

<성공 사례의 시사점>

○ 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발

- 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체에 대한 활용은 기존 상용화된 줄기세포 치료 기술의 단점을 보완하고 치료 역가를 강화 시킬 수 있음
- 생체 내 줄기세포를 체외 세포 배양 없이 조직재생 및 질환치료에 직접 적용하게 하므로, 고비용의 체외세포 배양이 필요 없고, 응급환자에게도 신속히 적용 할 수 있는 기술임

○ 상용화에 성공한 줄기세포 치료제는 단순히 배양 세포를 이용한 수준

- 선진 각국은 재생의료를 차세대 전략 산업으로 지정하여 정책적으로 막대한 R&D 연구비를 지원하고 있으며, 제품의 상용화 촉진을 위해 위험도에 기반하는 조건부승인제도와 같은 혁신적인 인허가 제도를 제시
- 우리나라도 이에 맞추어 재생의료에 대한 국가 로드맵을 작성하고 기술 혁신성과 글로벌 경쟁력을 갖춘 재생의료 제품 개발을 위해 전략적으로 투자 움직임
- 국가 차세대 성장동력의 하나로서 향후 선진 각국 사이의 치열한 기술 및 시장 경쟁이 예상되며, 이에 대처하기 위해서는 경쟁력 있는 기술 개발을 위한 적극적 투자, 관련 제도와 산업 구조의 선진화 및 글로벌 네트워크 강화를 위한 선제적인 전략이 필요할 것

○ 기존의 줄기세포치료제와 allogenic/autologous MSC 분리기술을 이미 보유한

우리나라에서 투여경로에 대한 접근방법을 바꿈으로서 치료수월성 면에서 실용화에 기여한 사례임.

- 줄기세포 치료제 개발의 어려움을 생각해 볼 때 질환의 적응증 확대, 치료 방법 면에서 다양화 등이 줄기세포 치료제 개발에 큰 경쟁력이 될 수 있음

○ 지속적 적응증확대를 위한 세포치료제 연구개발 지원 확대

- 실용화에 성공한 줄기세포 치료제는 단순 배양 세포를 이용한 수준
- 선진국은 줄기세포 관련 분야를 전략산업으로 지정하여 정책적으로 막대한 R&D 연구비를 지원하고 있으며, 실용화 촉진을 위해 위험도에 기반한 조건부 허가 와 같은 혁신적인 인허가 제도 도입까지 하고 있음.
- 국가 차세대 성장동력의 하나로서 향후 선진 각국 사이의 치열한 기술 개발경쟁 및 시장선점 경쟁이 예상됨
- 이에 대처하기 위해서는 경쟁력 있는 기술 개발을 위한 적극적 투자, 관련 제도, 산업구조 선진화, 기반기술 동반 개발, 글로벌 네트워크 강화전략 필요

<상용화 전략 수립>

○ 줄기세포 유래 물질기반 치료 기술 개발

- 줄기세포 유래 미세소포체 및 분비단백질체 활용 기술은 정제되어 있는 성체 줄기세포 치료 기술의 새로운 대안으로써 난치성 질환 및 피부 재생 및 상용화 측면에 적용 가능한 기술임
- 생체 내 줄기세포 활성화 기술은 줄기세포 촉진제 전문의약품으로 개발하여 세포치료제를 제공할 수 없는 응급상황 즉 심근 경색 및 뇌졸중 (6 시간 내 치료도입)에 활용 가능한 기술임

○ 혁신적 세포기술 활용한 줄기세포 기능 고도화 치료 기술 개발

○ 제도개선을 통한 성장 동력 마련

- 의료보험적용 확대 세포치료제의 특성에 합당한 개발원가 산출 서식 적용 필요
- 약가를 비급여로 인정되는 경우에도 약가 이외 수술 및 입원비 등은 급여가 진행할 수 있도록 규정 개정/현행 건별 심사가 아닌 적정 예산제 운영 검토

○ 투자지원을 통한 성장 동력 마련

- 글로벌 진출 지원 확대
- \* 개도국 및 빈국의 보건의료 복지향상을 위한 공적개발원조 (ODA) 사업 적극 지원 (생산플랜트, 난치/희귀병 질환세포치료제)
- 원천 기술을 통한 줄기세포 치료제의 대량 생산의 업그레이드를 통해 가격 경쟁력 강화
- 시장이 큰 질환과 희귀난치 질환의 전략적 개발
- 개방형 GMP를 적극적으로 활용하여 기술 이전 및 줄기세포 산업의 육성
- 줄기세포 치료제 개발의 다양성 필요
- 타 개발분야와의 융합을 통한 발전방향이 필요
- 적응증 확대를 위해서는 허가된 줄기세포 치료제의 난치질환에 대한 치료 기전 및 유효성 평가 연구
  - 줄기세포 치료에 적합한 희귀/난치 질환을 질병관리본부의 희귀난치질환과 데이터 베이스를 적극적으로 활용하여 신중하게 선정
  - 난치질환에 대해 줄기세포치료제의 mode of action을 철저히 제시하여 혁신적 줄기세포 치료기술의 실용화 가능성과 유효성을 조기 검증하고 다양한 적응증에서의 치료기술 및 평가방법 증진을 위한 선제적 지원
  - 제도개선과 실용화 기반기술 연구개발 투자를 통한 차기 줄기세포 치료제 개발에 대한 성장동력 마련

**(9) 기대 및 파급효과**

**<과학기술적 측면>**

- 줄기세포 치료 강화 원천기술개발을 통해 줄기세포 실용화의 가장 큰 문제점인 고비용·저효율 문제 극복이 가능하며 이로 인해 유도되는 산업 및 민간 투자 확대는 줄기세포 기술수준의 성장요인이 될 것으로 기대
- 줄기세포치료제 고도화 기술은 현재 줄기세포/재생의학 산업을 더욱 빠르게 성장하는 요인으로 작용하여 막대한 경제적 효과를 창출할 것으로 기대
- 줄기세포치료제 안전성/유효성 증진에 대한 원천기술 개발을 통해 줄기세포 실용화의 가장 큰 문제점인 고비용·저효율 문제 극복이 가능하며 이로 인해 유도되는 산업 및 민간 투자 확대는 줄기세포 기술수준의 성장요인이 될 것

**으로 기대**

- 줄기세포의 종양원성과 면역 반응 제어 연구는 줄기세포 기반 세포치료의 광범위한 임상적 응용을 저해하는 줄기세포 부작용을 극복할 수 있는 연구 분야이므로 미래 파급력이 매우 클 전망이다
- 안정적·고효율 특정세포 분화기술 확립을 통해 다양한 질환에서의 치료용 줄기세포주 확립 및 대량생산 가능
- 줄기세포치료제 개발에 활용되는 줄기세포 MOA 분석 및 동물모델 확립 기술은 재생의학 분야와 함께 신약개발 및 독성연구에도 활용도가 높아 전반적인 보건의료 분야의 기술발전에 크게 이바지할 것으로 기대
- 세포를 근간으로 하는 조직공학기술 및 재생의료기반기술 등 재생의료의 전반에 걸쳐 임상 적용의 안정성 확보를 제공하여 기술발전에 이바지 할 것으로 기대

**<사회경제적 측면>**

- 혁신적 융합형 줄기세포 기반 치료법 확립을 통해 전 국민적 관심 유도 및 희귀난치성 질환에 대한 환자 맞춤형 재생의료 실현화 시기 단축 가능
- 고효율·저비용 줄기세포 치료 고도화 기술 개발은 기존 치료가 불가능하였던 난치성 질환 치료의 새로운 돌파구를 제시하여 사회전반적 건강지수 및 삶의 질 향상에 이바지 할 것으로 기대
- 기존의료의 치료영역을 확장시켜 급증하는 노화, 불치병 치료 등에 적용함으로써 사회 전반적인 건강지수 향상
- 세포치료제의 유효성 향상과 더불어 안정성 확보를 통해 세포치료 임상 적용의 사회적 안정감 제공 및 시기를 앞당김
- 줄기세포 세포 치료 융합연구는 줄기세포 기반 각종 질환 치료 산업의 기반이 되는 기술로, 우수성과 도출시 전반적 산업에서 막대한 경제적 부가가치 창출 예상 및 임상의학개발 과정에 소요되는 비용과 시간을 획기적으로 개선할 수 있을 것으로 기대함.
- 줄기세포치료제 안전성/유효성 고도화 기술은 현재 줄기세포/재생의학 산업을 더욱 빠르게 성장하는 요인으로 작용하여 막대한 경제적 효과를 창출할 것으로 기대함

- 즐기세포치료제 산업 확대에 따른 고용창출 효과가 기대되며 전문 인력 양성을 통한 신규 일자리 창출 가능

**(10) 과제 수 및 소요예산**

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



**(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안**

## 1-2 차세대 줄기세포 치료 원천 기술

### 1-2-1. 치료용 세포 확보 기술 개발

#### (1) 기본 개념 및 범위

##### <개념>

- 기존 줄기세포 제작 기술과는 차별화된 차세대 줄기세포 확보와 고도화 기술 개발 등 원천기술 확보
  - 배아줄기세포, 유도만능줄기세포, 특정세포로의 직접교차분화, 새로운 원천의 성체줄기세포 세포원 확보를 위한 줄기세포 배양 및 유지 기술
  - 차세대 줄기세포 부작용 극복 기술\* 개발
    - \* 미분화줄기세포 선택적 제거, (후성)유전체 안정성 유지 기술, 돌연변이 검출 기술 등
  - 고효율-고순도 분화 기술, 유전자 가위기술, 조직 공학 융합 기술, 한 종류 이상의 세포를 포함하는 복합 세포 치료 기술 등을 활용한 차세대 줄기세포 치료 기술 개발
  - 차세대 줄기세포 치료 기술의 실용화 촉진과 글로벌 수준 효능 신뢰도 확보를 위한 표준화된 선제적 전임상 평가 기술 개발 지원

##### <범위>

- 차세대 줄기세포 치료 원천 기술
  - 차세대 줄기세포 확보 기술 개발
    - 배아 줄기세포, 유도만능줄기세포, 직접교차분화세포, 새로운 원천의 성체 줄기세포 등 차세대 줄기세포 확보를 위한 줄기세포 배양 및 유지 기술
    - 고효율 분화 조절 및 유도 기술
  - 차세대 줄기세포 치료 기술 개발
    - 고효율-고순도 줄기세포 배양, 분화, 유지 기술
    - 목적 세포 특성 및 기능 분석과 효능 검증 기술
    - 차세대 줄기세포 치료제의 안전성 확보를 위한 미분화 세포의 선택적 제거 및 (후성)유전적 안정성 유지 기술
    - 조직을 구성하는 한 종류 이상의 세포를 포함하는 복합 세포치료제, 오가노이드 또는 조직공학 융합기술 활용 이식용 모사체 등 융복합치료제 개발 및 효능 검증

#### - 차세대 줄기세포 실용화지원 기술 개발

- 차세대 줄기세포 치료 기술의 전임상 안전성·유효성 평가 및 표준화 기술 개발
- 차세대 줄기세포 대량 및 자동화 생산 공정 기술을 위한 원천 기술 개발과 표준화 기술 개발

#### (2) 추진 배경 및 필요성

##### <추진 배경>

- 차세대 줄기세포 치료기술은 기존에 치료 불가능하였던 희귀질환, 퇴행성 뇌질환, 당뇨 등의 난치병에 대한 새로운 치료 대안으로 기대되어 전 세계적으로 핵심 원천기술 개발 활발
  - \* 현재 치료법이 없는 만성 난치질환은 환자의 고통 뿐 아니라 가족의 삶의 질 저하, 막대한 사회적 의료 부담 등이 동반되어 근본적 신 의료기술 개발에 대한 니즈가 매우 높음
- 글로벌 줄기세포 기술 주도권 확보를 위한 각국의 신기술 발굴 경쟁 심화로 차세대 줄기세포치료제 개발 원천기술에 대한 니즈 확대 추세
- 기존 기술과는 차별화되는 신규 줄기세포 제작기술, 특정 세포로의 직접전환, 체세포 복제 만능줄기세포 확립 등 차세대 줄기세포 원천기술 확보 경쟁 심화
  - \* 7개 저분자 화합물 조합을 통해 유전자 삽입 없이 오로지 화합물만을 사용한 mouse iPSC 제작 성공(베이징대, 2013)
  - \* 인간 피부세포를 iPSC로 되돌리지 않고 직접전환 기술을 이용해 내배엽 세포로 만든 후 성숙한 간세포로 분화(글래드스톤연구소, 2014)
  - \* 세계 최초 체세포 복제 기술을 통한 인간만능줄기세포 확립(오리곤대, 2013)
  - \* 확장심장근육병 환자 유래 iPSC에서 심장세포 개발 및 이를 활용한 환자 맞춤형 치료법 개발(스탠퍼드 심혈관연구소, 2015)

##### <추진 필요성>

- 환자맞춤형 차세대 줄기세포치료제 개발은 향후 고성장이 전망되는 고부가가치 유망산업으로 실용화 촉진 및 글로벌 시장 진입을 위한 전략적 연구 필요
  - \* 줄기세포치료제 개발을 위한 기초·원천기술과 함께 임상적용 및 실용화를 위한 응용 기술의 발전이 급속히 진행 중으로, 지속적인 글로벌 연구트렌드 분석 및 원천기술 확보 시급
- 세계 주요국은 국가별 적극적 육성정책 추진을 통한 우수 연구 성과 창출을 기반으로 파급적인 기술개발 연계를 가속화하는 추세로, 국내에서도 파급력



높은 원천기술 확보를 위한 전략적 정책 지원 필요

\* 일본은 '12년 노벨생리의학상을 수상(야마나카 신야 교수)한 유도만능줄기세포 (iPSC) 제작 원천기술 확보를 통해 전 세계적으로 iPSC 분야 연구 우위 선점 및 막대한 파급효과 창출

- 직접교차분화기술 등 신기술을 활용한 차세대 줄기세포 치료기술개발 연구도 활발함

※ 직접교차분화기술을 활용한 사람 체세포로부터 간세포, 신경세포 등 생산하는 연구 활발

○ 차세대 줄기세포 치료제 개발을 위한 원천기술 개발이 어려운 상황으로 해외에 비해 기초연구 대비 응용연구가 보다 활발하여 글로벌 선점수준의 혁신적 줄기세포치료제 개발을 위한 원천기술 확보가 필요

- 원천핵심기술 개발을 위해 줄기세포 치료 효과에 대한 효능검증 및 치료기전 연구가 필요

- 줄기세포 치료제의 질환-특이 치료기술 향상을 위한 바이오마커 또는 바이오이미징 기반 효능 평가 분석 시스템 개발이 필요

○ 차세대 줄기세포치료제 개발 기술의 고도화와 안전성 확보를 통한 글로벌 경쟁력 확보가 시급함

- 기 확보된 차세대 줄기세포 개발 원천기술의 효율을 높이는 최적화 연구가 필요

- 이식가능한 오가노이드, 조직공학 이식 모사체 등의 복합 세포치료제 개발을 통해 새로운 원천기술 확보가 필요

- 차세대 줄기세포치료제의 부작용인 발암원성과 (후성)유전적 불안정성을 극복하기 위한 원천기술 확보를 통해 상용화 촉진 필요

○ 차세대 줄기세포 치료의 상용화를 위해 다양한 세포치료에 적합한 전임상, 비임상 기준 및 평가방법이 개발되어야 함

- 차세대 줄기세포치료는 분화된 세포치료제, 줄기세포유래 생성물, 세포-조직공학 융합치료제, 유전자변형 세포치료제 등 다양한 형태로 치료제가 제공될 것으로 예상 되므로 맞춤형 전임상, 비임상 전략 필요함

- 세포는 살아있는 세포로 증식 및 변형이 가능하고 다양한 활성을 가지기 때문에 기존의 관점과는 다른 안전성 및 유효성 기준이 필요하며 새로운 혹은 개선된 시험법이 개발되어야 함

○ 경제산업적 측면에서 차세대 줄기세포치료제 실용화 연구의 필요성

- 맞춤형 차세대 줄기세포치료제 산업화 진입 가시화

• 세계 최초 혹은 최고의 만능줄기세포, 유전자변형세포치료제 임상시험 실시

- 차세대 줄기세포치료제의 산업화를 위한 생산기술 및 평가기술 개발 시급

• 차세대 줄기세포치료제 산업화 선도를 위해 부처간 연계 실용화 연구 필요

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

#### 1) 과학·기술적 측면

○ 직접교차분화, 리프로그래밍 효율 증진, 역분화 인자 발굴 등 차세대 줄기세포 원천 기술 개발 중

- 글로벌 연구환경 및 트렌드 변화에 따라 국내에서도 iPSC 제작 및 분화 연구, 직접교차분화 등 신기술 개발에 대한 연구 추진, 다양한 성과 확보

\* 신규 저분자 화합물'RSC133'을 이용한 쉽고 효과적인 iPSC 제조 방법 규명(한국생명공학연구원, '12.12)

\* 생쥐 피부세포를 혈관세포로 직접교차분화(서울대병원, '13.12)

\* 인간 피부세포를 신경줄기세포로 직접교차분화(한국생명공학연구원, '13.12)

\* 체세포에 특정 유전자를 도입한 후 유도만능줄기세포 단계를 거치지 않고 신경줄기세포로 직접전환 시키는 교차분화 방법 확립(건국대, '14.3)

\* 국내 최초 외부유전자 없이 저분자물질 3종류로 iPSC 제조 성공(고려대, '14.6) 외부유전자 없이 iPSC를 만드는 데 세계 최초로 성공한 중국 연구팀은 이보다 많은 8종류의 저분자물질 이용

\* 천연물질을 이용해 만능 줄기세포를 만든 후 효율적으로 분화하는 방법을 연구해 신경세포로의 분화 성공(에스티씨라이프, '14.2)

\* 전사인자 (Sox2) 활성억제를 통해 줄기세포 분화효율을 최대 6배까지 향상(성균관대, '14.1)

\* 인간 체세포 복제의 성공으로 맞춤형 줄기세포 제작의 국내 원천 기술 보유 (차의과대학 '14.06)

○ 차세대 줄기세포 확보를 위한 원천기술 개발은 여전히 부족한 실정임

- 해외에 비해 분화기전 규명 등의 기초연구보다는 유효성 확인 위주의 응용연구가 활발하게 진행되어 세계적 수준의 차세대 줄기세포치료제 개발을 위한 원천기술은 부족한 상황

- 선진국의 주요 기술에 대한 추격형 연구 비중이 높아 국내 대표 기술이 부족함

□ 배아줄기세포, 유도만능줄기세포 등 차세대 줄기세포 활용 치료기술 연구는 증가 추세

- 배아줄기세포 또는 유도만능줄기세포를 이용한 차세대 줄기세포 치료제 개발 연구 성과 창출
  - 사람 체세포 복제 배아줄기세포 확립 및 효율 향상 연구 (차병원, 2015)
  - 배아줄기세포 유래 망막세포치료제 임상시험을 통해 황반변성 시력 개선 결과 보고 (차바이오텍, 분당차병원 공동연구, 2015)
  - 취약X증후군 환자의 유도만능줄기세포 유래 세포치료제의 가능성 확인 (연세대 의대, 2015)
- 차세대 줄기세포 치료제 개발을 위한 인프라 확보
  - 2005년 생명윤리법 제정 이후 국내에서 수립된 배아 및 유도만능줄기세포에 대한 등록 및 기탁을 수행 중임
  - 세포 확보 기술의 난이도가 높고 종양발생 등의 부작용으로 인해 세계적으로도 임상진입 사례가 극히 적은 상황에서도 국내에서 성공적 임상시험 수행 사례가 있음 (차병원, 2011)

## 2) 경제·산업적 측면

- 국내 줄기세포 시장의 다변화 필요성 존재
  - 전분화능 줄기세포 유래 간, 심근 및 신경세포 등을 활용한 약물독성 및 스크리닝 시스템 개발을 위한 초보수준 연구로, 기업 등의 참여는 전무
- 글로벌 줄기세포 기술 주도권 확보를 위한 신기술 발굴 및 차세대 줄기세포개발 원천기술 확보에 대한 인프라 부족

### <국외>

## 1) 과학·기술적 측면

- 배아줄기세포 및 유도만능줄기세포 기반 세포치료제의 임상진입이 성공적으로 진행되었음
  - 특히, 배아줄기세포 유래 망막색소상피세포를 이용한 세포치료제의 경우 가장 많은 임상연구가 진행되었으며 부작용 없이 시력개선효과를 나타냄
  - 만능줄기세포의 분화를 통한 세포치료제 개발은 여전히 임상진입 건수가 적어 기술개발이 가속화되고 있음
  - 유도만능줄기세포 치료제 개발의 경우 아직까지 일본이 유일하며 황반변성 및

심장질환에 대한 임상연구가 승인되었음

- 신규 차세대 줄기세포 원천기술 확보와 융합형 치료 기술 연구 활발
  - 기존 기술과 차별화된 신규 줄기세포 확보 및 고도화 기술 확보를 위한 경쟁이 심화되고 있음
    - \* 유전자 도입 없이 유도만능줄기세포 제작, 직접교차분화 기술, 체세포 복제 기술을 통한 유도만능줄기세포 확립 등
  - 줄기세포 분야 단일 기술에서 생체재료 혼합이식, 유전자 교정 줄기세포치료, 나노기술 등과의 융합연구를 통한 신규 치료기술 연구 확대 추세
    - \* 다공성 하이드로겔에 중간배엽줄기세포를 고정시킨 후 이식하여 뼈 재생력 증진 (하버드대, 2015)
    - \* CRISPR/Cas9 유전자 가위를 이용한 형질전환 인간 전분화능 줄기세포 제작 (위스콘신대, 2015)
    - \* 나노섬유 스펙클드를 이용한 줄기세포 후성유전체 특성 조절 및 역분화 효율 증진 (캘리포니아대, 2013)
    - \* 간엽줄기세포 분비 단백질 (TSG-6) 치료를 통한 상처 치유 증진 및 섬유화 억제 효과 확인 (Ulm 대학교, 2014)
  - 줄기세포 단일 기술에서 융합연구를 통한 복합세포치료제 개발 연구 확대
    - \* 생체재료와 줄기세포의 혼합을 통한 이식 모사체 개발 등

## 2) 경제·산업적 측면

- 중증 난치성 만성질환에 대한 신규 치료 대안으로 상업화 목적의 줄기세포 임상시험이 증가하고 있으며 배아줄기세포, iPSC의 임상시험도 새롭게 실시
- 세계 최초 배아줄기세포, iPSC를 이용한 임상시험이 실시되는 등 맞춤형 줄기세포치료제 개발단계 진입 가시화
  - \* iPSC를 이용해 노인성 황반변성증 환자를 대상으로 눈의 망막을 재생하는 임상연구 세계 최초 시행(일본 이화학연구소, 2014.9), 두 번째 환자 임상시험 중 유전자 돌연변이 발견으로 중단되었으나 일본에서는 파킨슨병 치료 임상신청(2015.1) 등 지속적인 임상연구 추진 계획 발표
  - \* 배아줄기세포치료제의 스타가르트병과 노인성 황반변성증 환자 대상 임상시험 최초 성공(한국 차바이오텍/미국 Ocata Therapeutics 공동연구, 2014.10)

## (4) 현황 및 개선방안

### <현황 및 문제점>

- 국내의 혁신적 세포전환 기술 및 융합 기술 기반의 차세대 줄기세포치료제 개발을 위한 연구가 진행되고 있으나, 아직까지 도입기의 기술로 글로벌 원천기술개발 성과가 부족

- ※ 유전자 도입 없이 저분자 물질 3종으로 유도만능줄기세포 제작 성공 (고려대, 2014)
  - ※ 사람 체세포로부터 신경줄기세포 직접교차분화 기술개발 (한국생명공학연구원, 2014)
  - ※ 혈우병 환자 유도만능줄기세포의 유전자 교정 후 혈우병 질환모델동물에 이식하여 출혈 증상 개선 확인 (기초과학연구원, 연세대, 고려대 공동연구, 2015)
  - 해외에 비해 유효성 검증 위주의 응용연구가 활발하여 혁신적인 차세대 줄기세포의 확보를 위한 기초연구가 미흡하며 국제경쟁력이 있는 차세대 줄기세포 치료제 개발 원천기술이 부족
  - 원천기술 연구 분야도 선진국의 선형 기술에 의존적인 추격형 연구의 비중이 높아 국내 고유의 대표 기술이 부족
  - 표준화된 효능 및 안전성 시험이 부족하여 임상시험단계 진입에 시간이 많이 소요 됨
    - 논문 등을 통해 보고된 in vitro, in vivo모델이 개발하고자 하는 세포치료의 기전 및 적응증에 맞지 않은 경우가 많아 다양한 시험을 수행하여 보완하고 있음
  - 줄기세포치료제 효율적 생산을 위한 공정관리 및 표준화기술 부족
    - 현재 줄기세포치료제는 생산규모 확장, 공정관리, 표준화기술이 확립되지 않아 상업화 과정에서의 시행착오가 많으며 공정개선 및 자동화를 위한 후속작업이 용이하지 않음
    - 아직까지 세포치료제의 면역학적 안전성, 세포특성 및 역가에 대한 안정성, 유효기간 등을 안정화하고 표준화하는 기술이 부족하여 기존의 치료제에 비해 상용화 불리함
  - 고비용, 생산 효율성 저하에 따른 사업 가치 하락
    - 세포치료제의 주요공정이 인력에 의존하고 소규모 생산으로 배치수를 늘려야 하는 경우가 많아 인건비, 품질관리비용 등의 생산원가가 높게 책정됨
    - 인력에 의존하는 생산공정은 무균시스템유지 공간, 작업시간 등의 제한적 요인으로 초기 시설비용 및 효율적 생산이 어려움
- <개선방안>**
- 원천기술 확보를 위해 차세대 줄기세포 확보를 위한 핵심유전자, 후성유전적 기전 등을 포함한 줄기세포 제어 기전 규명을 위한 기초 및 다학제간 융합

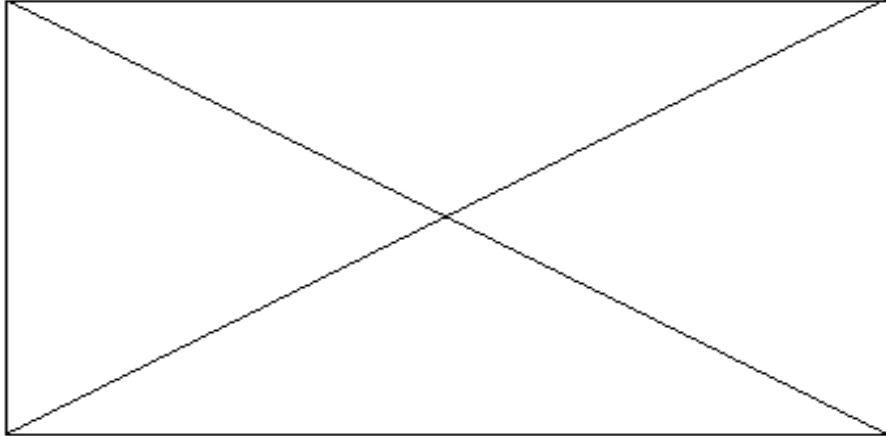
- 연구 지원
- 신개념 줄기세포 확보 및 고도화 기술 분야의 혁신적 기술 확보를 위한 기초 및 다학제간 융합 연구 지원
  - 국내 고유의 원천기술 확보를 위한 신기술 개발 및 창의적 연구수행을 위한 연구지원 시스템 구축
  - 표준화된 효능 및 안전성 시험이 부족하여 임상시험단계 진입에 시간이 많이 소요 되는 문제
    - 적응증, 줄기세포 유형에 적합한 in vitro, in vivo 표준모델을 확보하고 효능 및 안전성 기전에 맞추어 표준화된 평가 방법 및 tool을 이용함으로써 불필요한 시험을 줄여 시간, 경제적 효율을 높임
  - 줄기세포치료제 효율적 생산을 위한 공정관리 및 표준화기술 부족 문제
    - 공정단순화 및 모듈화를 통해 공정 및 품질관리를 용이하게 하고 대량생산 및 효율적 냉동보존 방법개발을 통해 생산횟수를 줄이면서 공급을 안정적으로 유지할 수 있는 체계적 시스템을 개발하여 생산, 관리효율을 높이고 개발단계부터 도큐멘테이션 및 시뮬레이션을 통해 표준화 구축
    - 세포치료제 개발 경험이 있는 전문 CMO, CDMO 기관과 연계 하여 시행착오를 줄이고 개발기간 및 비용을 절감토록 유도 함
  - 고비용, 생산 효율성 저하에 따른 사업 가치 하락 문제
    - 유사 줄기세포연구의 비임상시험 정보공유, 통계화 및 효율적 설계로 불필요한 비임상 시험 감소
    - CMO기관을 활용한 공정밸리데이션, 품질관리 설계로 제조원가 절약
    - 자동화를 고려한 공정개발, 실시간 모니터링 가능한 품질관리 방법개발, 자동화기기 개발을 순차적으로 유도하여 인력투입을 최소화하면서 생산 효율성을 높일 수 있도록 지원
    - 기기/전자/소재/소프트웨어 분야의 융합을 통해 다양한 세포치료제에 적합한 범용성 자동화 시스템을 개발하여 자체 사업화 경쟁력을 확보
    - 운송조건과 관련된 범용성 용기, 첨가액, 보관조건에 관한 연구를 지원하여 생산 비용 최소화


(5) 연구개발 목표 및 내용




(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

<추진체계도>



<협력방안>

- 차세대 줄기세포 치료 기술의 임상시험 진입을 위한 전임상 비임상 안전성/유효성 평가 및 표준화 기술 개발
  - 차세대줄기세포기술의 안전성/유의성 평가는 GMP공정과 동일한 공정에서 생산된 세포를 이용하여야 하므로 공정표준화 및 품질관리 경험이 풍부한 생산기관(CMO, CDMO등)과의 공정개발 필요함
  - 안전성 연구의 경우 규제기관에서 인정하는 수준의 검증이 필요하며 비임상 시험과의 연계를 위해서는 비임상 CRO 혹은 GLP기관과의 공동 혹은 위탁연구 필요

(7) 위험요인 및 해결방안


(8) 상용화 전략

<기존 상용화 사례>

- 현재까지 차세대 줄기세포치료제의 상용화 사례는 없음
- 오가노이드를 이용한 유효성/안전성 검증
  - 아직까지 상용화 된 사례는 없으나 최근 국가과제를 통한 활발한 연구가 진행되고 있으며 환자유래 iPSC, 3D 프린팅 등의 기술과 접목되어 미니 뇌, 미니 간 등이 기존 동물모델의 단점을 보완해줄 수 있을 것으로 기대되고 있음
- 인간화 동물모델을 이용한 면역학적 안전성 검증
  - 아직까지 상용화 된 사례는 없으나 상업적 측면에서 동종유래세포의 사용이 증가하는 추세에 맞추어 면역학적 안전성을 인간화 동물모델에서 확인하

는 연구들이 추진되고 있음

### <성공 사례의 시사점>

- 차세대 줄기세포치료의 확보 및 치료기술 개발과 유효성·안전성 평가 기술 및 대량생산·자동화 공장기술은 유기적으로 함께 개발이 되어야 하기 때문에 새로운 기술의 등장 및 needs를 빠르게 파악하고 진행하여야 함. 이에 따라 과제전략도 단기적 유연성을 염두해 두고 기획하여야 함

### <상용화 전략 수립>

- 혁신적 차세대 줄기세포 확보 고도화 기술의 임상적용 가능성 검증 및 임상시험 연계 연구 진행
  - 차세대 세포치료제의 현실성을 반영한 산업화 성과 창출이 가능한 임상연구 연계 지원
- 규제 및 제도적 지원을 통한 성장 동력 마련
  - 과도한 규제로 인한 임상시험 진입의 어려움 및 임상시험 장기화로 상용화 지연 및 실패 사례 발생
  - 일본의 적극적인 유도만능줄기세포 유래 세포의 임상시험 지원 사례처럼 국제적 경쟁이 가능한 제도적 지원이 필요
- 유효성/안전성 연구는 상용화를 촉진시키는 연구로 자체의 상용화와는 거리가 있으나 in vitro 혹은 동물모델 등의 결과물은 상용화가 가능함. 무형적인 결과들을 지적재산권으로 보호하면서 인증, 논문 등을 통해 활용사례를 홍보함으로써 유형적 결과물의 수요를 높이는 전략 필요함
- 대량생산 및 자동화 공정 연구는 재료 및 기기, 장치의 개발이 동반 되므로 상용화가 유리하나 수요를 증가 시켜야 하며 이를 위해서는 호환성 및 범용성을 확대하는 전략이 주요 쟁점임

## (9) 기대 및 파급효과

### <과학기술적 측면>

- 차세대 줄기세포 치료제는 새로운 조직재생을 포함한 광범위한 난치성 질환 치료 분야에서 새로운 가능성을 제시하고 맞춤형 세포치료를 위해 필요한 고품질의 사람 세포의 대량 생산 및 활용이 가능해짐으로써 기존 체세포 자원 활용의 한계점 극복 기대
- 차세대 줄기세포 치료제는 새로운 조직재생을 포함한 광범위한 난치성 질환 치료 분야에서 새로운 가능성을 제시하고 혁신을 일으킬 것으로 기대
- 맞춤형 세포치료를 위해 필요한 고품질의 사람 세포의 대량 생산 및 활용이 가능해짐으로써 기존 체세포 자원 활용의 한계점 극복

### <사회경제적 측면>

- 차세대 줄기세포 치료 기술은 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현에 기여할 것으로 기대
- 차세대 줄기세포 치료제의 상용화에 대한 수요가 급격히 증가하고 있어 핵심 원천기술 확보와 전략적 투자 및 지원을 통해 글로벌 시장 선점 가능성이 높음

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안



## 1-2-2. 생체 내 치료 기술 개발

### (1) 기본 개념 및 범위

#### <개념>

- 세포의 운명전환 및 융합기술을 생체 내 세포 및 조직에 직접적으로 적용시켜 생체 내 세포의 운명을 전환시키거나 내재성 줄기세포의 활성을 조절함으로써 질병이나 외상으로 발생한 손상부위를 직접적으로 재생시킬 수 있는 생체 내 치료 기술 개발
  - 현재의 재생의학적 접근은 환자의 세포를 채취하여 체외에서 증식, 역분화, 분화, 유전자 교정 등의 조작을 가한 후, 다시 생체 내로 이식하는 전통적인 방식을 따르고 있기 때문에, 절차가 복잡해지고 생체 외 조작이 많아져 안전성의 위험이 커지는 단점이 있음. 따라서, 이를 대체할 수 있는 새로운 개념의 재생의학적 치료법이 요구되고 있음.
  - 생체 내 세포전환 기술은 세포의 생체 외 조작, 이식, 수술과 같은 기존의 침습적인 치료들을 최소화하여 치료 및 회복에 소요되는 시간을 단축시키고 환자의 삶의 질을 향상시킬 수 있는 차세대 기술이며, 융합나노기술과의 접목을 통해 더 정교하고 효율적인 기술로 거듭나고 있음.
  - 유전질환의 경우 이러한 세포의 재생뿐만 아니라 유전자 교정과 같은 근본적인 질병의 기저원인에 대한 치료가 수반될 필요성이 있기 때문에 복합적인 치료기술이 필요함
  - 생체 내 세포전환 기술, 유전자 교정, 융합나노기술이 복합, 융합된 새로운 치료 기술을 개발하여 일반적인 외상성 질환 및 장애부터 유전적·비유전적 난치성 질환까지 다양한 질환을 근본적으로 해결할 수 있는 기반을 마련이 가능함

#### <범위>

- 생체 내 세포 전환 원천기술 개발
  - 뇌, 심장 등 핵심 장기별 생체 내 세포전환 표준 인자 확립
  - 나노융합기술 기반 생체 내 세포전환 효율적 유도 기술 확보
  - 뇌, 심장 등 핵심 장기별 생체 내 세포전환 최적 조건 확보
  - 뇌, 심장 등 핵심 장기별 생체 내 세포전환 기전 규명
  - 나노융합기술 기반 생체 내 세포전환 기전 규명

- 생체 내 전환된 세포 추적 지표 확립

#### ○ 생체 내 직접교차분화 기반 치료(Therapy) 기술 개발

- 나노기술이 융합된 생체 내 인자 전달 기술 개발
- 뇌 및 심장 질환모델에서 생체 내 재생 효율 증진 인자 발굴 및 조절 기술 개발
- 만능성 인자/목표세포 특이적 재생인자를 이용한 생체 내 치료기술 개발
- 비침습적인 생체 내 세포전환 유도 및 조절기술 개발
- 나노 및 유전자 교정기술이 융합된 생체 내 세포전환 기술 확립
- 뇌 및 심장 질환 모델을 통한 생체 내 치료 기술 검증
- 나노융합기술 기반 생체 내 치료 조절 기술 확보
- 나노융합기술 기반 생체 내 치료기술 유효성 확보
- 생체 내 세포전환 기술의 실제적인 인체적용 가능성을 검증하기 위해 비임상 시험의 최종단계로 인체와 유사한 대동물모델 제작 및 기술검증

#### ○ 생체 내 세포전환 고도화 및 안전성·유효성 평가기술 개발

- 생체 내 세포전환 기술의 종양원성 검증
- 뇌 및 심장 질환 대동물모델 제작 및 검증
- 질환별 생체 내 세포전환 치료기술 프로토콜 확립
- 생체 내 운명전환된 세포의 기능성 평가
- 생체 내 세포전환기술 기반 유전적 안전성 평가
- 생체 내 세포전환 치료 최적화
- 나노융합기술 기반 생체 내 세포전환 유도 플랫폼 개발

#### ○ 내재성 줄기세포 활성화 기술 개발

- 생체 내 재생능 활성화 치료 기술
- 내재성 줄기세포의 자가 재생, 이동, 조직 회귀 기능 유도/촉진 제어 기술
- 질환별 내재성 줄기세포 활성화 기술 확립
- 내재성 줄기세포 활성화 기술의 안전성 평가

## (2) 추진 배경 및 필요성

### <추진 배경>

- 기존 재생의학의 한계 및 이를 극복하기 위한 연구의 필요성
  - 재생의학은 손상된 조직이나 장기를 회복하기 위한 기술로써 인체의 세포로부터 조직과 장기를 구조적으로 대체 및 복원하거나 기능적으로 복원하는 의료기술을 총칭하며, 이를 위하여 줄기세포, 조직공학 등을 이용한 다양한 치료기술이 개발되고 있음
  - 특히 줄기세포의 발견 이후로 다양한 세포 및 조직을 만들어낼 수 있는 기반이 만들어짐에 따라 재생의학에 대한 기대가 높아졌으며, 배아줄기세포 및 유도만능줄기세포의 발견으로 폭발적인 관심을 받게 됨.
  - 하지만 이러한 기존 재생의학적 접근은 환자의 세포 혹은 건강한 타인의 세포를 취득하여 체외에서 조작 후 다시 이식하는 ex vivo 방식에 의존하기 때문에 생체 외 조작의 번거로움 뿐만 아니라 치료기간의 장기화 및 안전성 측면에서의 위험을 감내해야 하는 상황임.
  - 따라서 이와 같은 기존 재생의학의 한계를 극복하여 치료기간을 단축하고 부작용 및 위험성을 최소화하기 위한 새로운 접근법이 요구되는 시점이며, 그러한 요구에 대한 대응으로써 생체 내부에서 직접 치료효과를 기대할 수 있는 기술이 요구되고 있음.

### <추진 필요성>

- 리프로그래밍 기술과 유전자 교정의 생체 내 적용에 대한 기술 장벽 극복 필요
  - 기존 리프로그래밍 기술의 경우 그 속도나 효율에 있어 생체 내 직접 치료를 기대할 수 있을 정도의 수준에 이르지 못한 것으로 평가되고 있음.
  - 유전자 교정기술 역시 생체 내 적용의 관건은 높은 효율과 특이성의 확보로 여겨지고 있으며, 이러한 문제를 극복하기 위해서는 많은 시간이 소요될 것으로 여겨지고 있음.
  - 따라서 생체 내 재생 및 유전자 교정을 구현하기 위해서는 이러한 기술 장벽을 뛰어넘을 수 있는 신기술의 개발이 시급함.
- 비재생의학적 질환까지 포함하는 궁극적인 치료기술의 개발
  - 위와 같은 관점에서의 접근 방법은 재생의학적 기술의 수준을 한 단계 높

여 관련 질환의 극복을 앞당길 뿐만 아니라 암이나 노화와 같은 비재생의학적 질환을 치료하는 기반을 다질 수 있음.

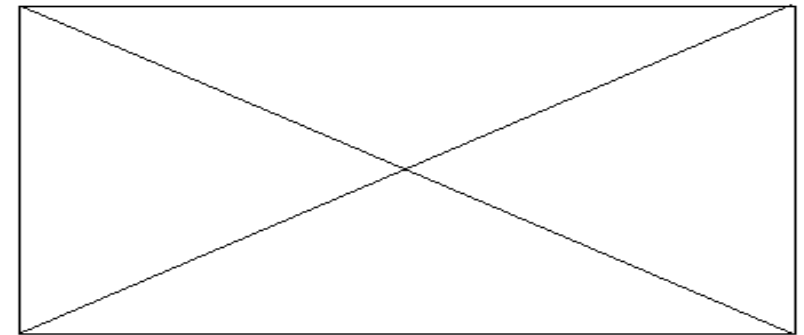
- 따라서 재생의학적 치료 뿐만 아니라 비재생의학적 질환까지 포함하는 궁극적인 치료기술을 개발하는 것이 시급함

## (3) 국내의 기술동향

### <국내>

- 다양한 세포 전환 기술의 선도
  - 국내 줄기세포 기술 수준은 바이오 전체의 기술 격차가 최고 기술 보유국 대비 4.3년인데 비해 2.5년으로 전체 바이오 분야 대비 높은 기술 수준 보유 ('17년 KISTEP 2016년 기술수준평가)

[그림] 최고기술국 대비 바이오분야 기술수준 차(%p) 및 기술격차(년) 변동(2014-2016)



\* 출처 : KISTEP, 2016년 기술수준평가 (2017)

- 고려대학교 연구진이 저분자 화합물 3종만으로 iPSC 제작에 성공 ('15년 고려대, Kang et al. 2015). 세계 최초 성공한 중국 연구팀은 8종류 화합물 사용(Pingping et al. 2013)
- 동국대학교 연구진은 전자기장을 이용한 유도만능줄기세포 획득 기술 개발 ('14년 동국대, Baek et al. 2014)하여 유도만능줄기세포 생산 효율이 37배 향상되었고, 기존에 사용되던 암 유발인자 없이 OCT4 한 가지 인자만을 사용해 극저주파를 처리한 경우에도 유도만능줄기세포 제작이 가능했음. 효율적이고 안전하므로 세포 치료제로 사용될 가능성이 높으며, 이후에는 전자기파를 생체 내 리프로그래밍에 적용하여 뇌졸중 생쥐 모델의 증상 개

선을 이끌어냄('17년 동국대, Yoo et al. 2017)

- 한국 생명공학연구원 연구진이 인간 피부세포를 신경줄기세포로 직접교차분화 성공('14년 한국생명공학연구원, Zhu et al. 2014). 질환별 직접교차분화 세포를 확보하여 환자 맞춤형 세포치료제나 신약 개발 연구에 활용 할 수 있을 것으로 기대됨

○ 생체 내 치료기술 관련 연구 활동

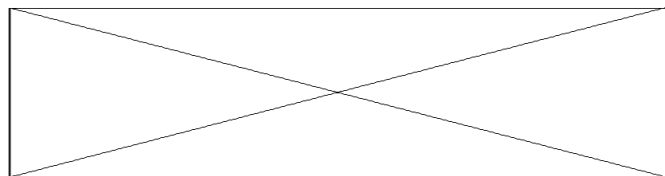
- 김종필 교수(동국대학교) 연구팀은 나노일렉트로닉스라는 개념의 전자기화된 금 나노입자를 활용하여 체외(in vitro)에서 이미 분화를 마친 마우스 및 사람의 피부세포를 신경세포로 전환하는데 성공하였으며, 이 기술을 파킨슨 질환 모델 마우스에 적용하여 생체 내(in vivo)에서 도파민성 신경 세포를 생산함으로써 파킨슨 질환의 치료 효과를 확인하였음
- 연세대학교 연구팀은 나노기술을 이용한 다양한 응용 분야의 연구를 전념하고 있으며, 2016년 전기자극을 통한 생체 내 리프로그래밍 촉진에 대한 논문을 발표한 바 있음 (Jin et al. 2016). 나노의학 관련 응용 분야 외에도 원론적인 나노입자의 물리적 거동 및 나노입자를 이용한 저장 장치 등의 개발 실험을 진행 중에 있고, 한국생명공학연구원 연구팀은 바이오칩기술 개발과 바이오이미징 기술 개발에 주력하고 있음.

<국외>

○ 세포전환기술의 다양화

- 유도만능줄기세포는 전분화능 인자를 분화된 체세포에 도입하여 배아줄기세포와 유사한 만능세포 상태로 역분화시키는 기술임 ('06년 Shinya Yamanaka 연구팀 세계 최초 성공, '12년 노벨생리의학상 수상)

[그림] 유도만능줄기세포 제작기술

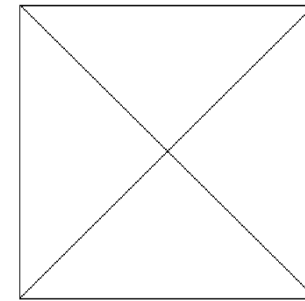


※ 출처: Nature, 465, 704-712, 2010 (Yamanaka et al. 2010)

- 체세포복제 배아줄기세포는 체세포 핵 이식을 통해 환자 맞춤형 배아줄기세포 제작하는 기술임 ('13년 Shoukhrat Mitalipov 연구팀 최초 성공, Tachibana

et al. 2013)

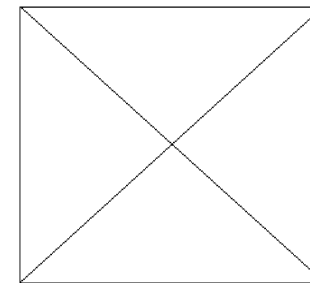
[그림] 체세포복제 배아줄기세포 제작기술



※ 출처: Cell, 153, 1228-1238, 2013 (Tachibana et al. 2013)

- 직접교차분화는 체세포를 줄기세포 단계를 거치지 않고 다른 조직의 조직특이 세포로 직접 전환 하는 기술로 줄기세포 단계를 거치지 않음으로 암화 가능성이 낮아지는 장점이 있음 ('10년 Marius Wernig 연구팀 최초 성공, 피부 세포를 신경세포로 직접교차분화 성공, Vierbuchen et al. 2010)

[그림] 직접교차분화기술



※ 출처: Nat Cell Bio. 14, 892-899, 2012 (Sancho-Martinez et al. 2012)

- 2011년 Wernig 연구팀에서 간세포를 신경세포로 전환시키는데 성공하였고 (Marro et al. 2011), 2012년에는 Yadong Huang 연구팀에서 한 가지 인자만으로 피부세포를 신경줄기세포로 전환시키는 기술을 보고함 (Ring et al. 2012)
- 이후 활용도가 높은 세포들을 대상으로 다양한 직접교차분화 기술이 보고됨 피부세포를 간세포 (Huang et al. 2014) 또는 증식 가능한 심장전구세포

로 (Lalit et al. 2016) 분화하는데 성공

- 알츠하이머 환자의 피부세포를 저분자화합물만으로 신경세포로 분화시키는데 성공 (Hu et al. 2015)
- in vivo reprogramming은 생체 내에서 세포간 전환가능한 기술임 ('08년 Douglas Melton 연구팀, 마우스 체내에서 체장세포를 베타세포로 전환시키는데 최초 성공, Zhou et al. 2008)
- 심장 조직 내의 섬유아세포를 생체 내에서 심근세포로 분화시키는데 성공 (Song et al. 2012)
- 이어 심장 조직으로의 생체 내 리프로그래밍의 효율을 증진시킬 수 있는 화합물이 발표되어 생체 내에서도 화합물을 리프로그래밍 효율 증진이 가능함을 보임 (Tamer et al. 2016)
- 알츠하이머 모델에서 신경아교세포 (glial cell)를 생체 내에서 신경세포로 분화시키는데 성공 (Guo et al. 2014)
- 간 조직 내의 섬유아세포를 생체 내에서 간세포로 분화시켜 간 섬유화 (Liver fibrosis)를 완화시키는데 성공 (Song et al. 2016)
- 명확히 조성이 밝혀진 배지 (Defined medium)를 이용해 생쥐의 체세포를 신경세포로 전환시켰고, 이를 뇌에 이식할 경우 뇌 손상으로부터 회복되었음 (He et al. 2015)
- 위와 같이 다양한 세포 전환 기술이 개발되었으며, 초기에는 바이러스, RNA, 단백질 등을 이용한 유전자 도입 기술을 주로 사용하였고, 이후 화합물만을 이용한 세포 전환기술 ('13년 베이징대, Pingping et al. 2013), 전기 자극 ('14년 동국대, Baek et al. 2014) 등을 이용한 기술 개발 등이 보고되고 있음
- 2016년에는 Yamanaka factor 기반 생체 내 리프로그래밍 기술을 활용하여 조로증 쥐에서 노화 현상을 완화시키는데 성공함 (Ocampo et al., 2016).
- 최근 많은 연구팀에서 외상으로 인한 세포 사멸이 생체 내 리프로그래밍을 촉진시킬 수 있다는 다수의 논문의 출판되어 관심을 받고 있음 (Chiche et al. 2017, Lin et al., 2017, Gadye et al., 2017).

#### (4) 현황 및 개선방안

##### <현황 및 문제점>

###### ○ 재생의학 및 유전자 치료기술의 한계

- 현재의 재생의학적 접근은 환자의 세포를 채취하여 체외에서 증식, 역분화, 분화, 유전자 교정 등의 조작을 가한 후, 다시 생체 내로 이식하는 전통적인 방식을 따르고 있기 때문에, 절차가 복잡해지고 생체 외 조작이 많아져 안전성의 위험이 커지는 단점이 있음. 따라서, 이를 대체할 수 있는 새로운 개념의 재생의학적 치료법이 요구되고 있음

###### ○ 안정적이고 효율적인 리프로그래밍 인자 전달체의 부재

- 현재 사용되고 있는 리프로그래밍 인자의 전달체는 생체 내 효율이 좋지 않아 생체 내 세포전환 효율이 크게 떨어지는 문제점이 있음. 효율적인 리프로그래밍 인자 전달 수단으로는 Viral vector가 있으나, genome에 integration되어 잠재적 위험요인으로 우려되고 있음.

###### ○ 목표세포 특이적 생체 내 세포전환 기술의 개발

- 현존하는 기술로 생체 내에 도입되는 리프로그래밍 인자는 생체 내에 존재하는 다양한 세포에 무작위적으로 도입되어 예기치 못한 부작용을 유발할 가능성이 있음. 따라서, 생체 내 목표세포 특이적 유전자 발현유도 및 세포 운명전환을 유도 할 수 있는 정확한 세포 리프로그래밍 기술이 요구됨.

###### ○ 생체 내 전환된 세포의 유효성 평가 기술 개발

- 생체 내 전환된 세포가 안정적으로 주변세포와 연결 및 결합되며 완전한 기능성을 나타내고 있는지에 대한 정확한 평가 및 보완 기술이 필요함.

##### <개선방안>

###### ○ 생체 내 직접교차 세포전환 원천기술 확보

- 생체 내 세포를 필요한 세포로 직접교차분화 시킴으로써 이식의 필요 없이 비침습적인 방법으로 재생치료를 유도할 수 있음. 이러한 기술은 유도만능줄기세포와 같이 미분화세포로 인한 기형종이 발생할 위험성이 없고 생체 내에서 줄기세포 단계를 거치지않고 목적세포로 분화되기 때문에 우수한 치료능을 기대할 수 있음.

###### ○ 효율적이고 안정적인 리프로그래밍 인자 전달체 개발

- 나노기술과 융합을 통하여 세포의 genome에 integration되지 않으면서 리프로그래밍 인자를 효율적으로 도입시킬 수 있는 전달체 개발이 가능함. 이러한, 나노기술과 융합된 생체 내 세포전환 기술은 독자적 기술로서 지식재산권 획득이 용이하며 효율적이고 안정적인 세포전환 원천기술 개발을 가능하게 함.

○ 표적세포 특이적 생체 내 세포운명전환 기술 개발

- 주변세포와 구분되는 유전자 발현조건 및 특이적 마커를 발굴하고 생체 내 표적세포에서만 발현할 수 있는 특이적 프로모터에 기반한 표적세포 특이적 세포 운명전환 기술을 개발

○ 생체 내 세포 운명전환 기술의 효율 및 기능성 보완

- 최적의 기능성과 안정성을 가지는 세포로 운명전환을 유도할 수 있는 최적의 생체 내 세포 리프로그래밍 인자의 스크리닝  
 - 생체 내 전환 과정에서의 안전한 미세환경 유지를 위한 Cytokine 및 저분자 화합물 도입을 통한 세포 안정화 및 기능성의 극대화 조건 탐색.

[표] 현황 및 개선방안


(5) 연구개발 목표 및 내용



**(6) 추진체계 및 대내외 협력방안**

**<협력방안>**

- 타부처 연계 중개연구를 통한 협력
  - 신경, 심장 등 핵심 장기별 생체 내 세포 전환 원천기술개발을 위한 기술도출형 중개연구
  - 생체 내 직접교차분화 기반의 치료(Therapy) 기반 기술을 개발하기 위한 중개연구

- 구
  - 생체 내 직접교차분화 기반의 치료(Therapy) 기반 기술을 개발하기 위한 중개연구
  - 생체 내 세포운명전환 기술의 고도화 및 안전성·유효성 평가기술을 개발을 위한 중개연구
- 기술경쟁력 제고와 미래환경 대응을 위한 해외 생체 내 세포운명전환 선도 기술팀과의 협력체계 구축필요
  - 미국 MIT Rudolf 그룹
  - 미국 UPENN Christopher 그룹
  - 미국 Salk Institute Belmonte 그룹 등
- 생체 내 치료기술 특성상 융합연구 및 중대동물 분야 전문성 확보 및 긴밀한 협조·연계방안 필요

**(7) 위험요인 및 해결방안**


**(8) 상용화 전략**

**<기존 상용화 사례>**

- 아직까지 생체 내 리프로그래밍의 상용화 사례는 없음
- ADM3100은 SDF-1/CXCR4 결합을 억제하는 저분자 화합물로, 현재 임상에서 골수 이식 시 GCSF와 함께 사용하여, 혈액 증으로 골수 줄기세포를 이동시켜 골수 흡입보다 용이하게 말초혈액을 채취 보관하였다가 항암치료 후 환자에게 이식함
- Substance-P (11 aa peptide)는 줄기세포 촉진제 전문 의약품으로 내재성 골수 줄기세포가 당뇨병 케양, 심근 경색, 뇌졸중에 혈관 재생 및 조직 재생에 직접 관여하여 치료 효능을 내게 하는 것임

#### <성공 사례의 시사점>

- 생체 내 줄기세포를 체외 세포 배양 없이 조직재생 및 질환치료에 직접 적용하게 하므로, 고비용의 체외세포 배양이 필요 없고, 응급환자에게도 신속히 적용할 수 있는 기술임
- 생체 내 줄기세포 활성화 기술은 줄기세포 촉진제 전문의약품으로 개발하여 세포치료제를 제공할 수 없는 응급상황 즉 심근 경색 및 뇌졸중 (6 시간 내 치료도입) 등에 활용 가능한 기술임

#### <상용화 전략 수립>

- 생체 내 재생기술 개발 및 유전자치료 기술 개발
  - 조직특이적/만능성 리프로그래밍 인자 발굴 및 유전자가위 치료소재 개발
    - 기존 인자의 단점을 보완하는 종양원성 최소화 및 생체 내 효율 증진 인자를 개발하고 생체 내 적합 유전자가위 치료소재 개발
  - 새 인자의 생체 내 안전성 및 유효성 검증
    - 새롭게 개발한 인자의 비종양원성 여부 검증 및 보완을 거쳐 생체 내 유전자 편집 기술의 치료적합성을 검증
  - 목표 질환 조직 및 세포에 따른 재생 전략 확립 및 동물모델 및 유전자교정 치료 유효성 안전성 검증
    - 질환별 생체 내 재생 프로토콜을 다양하게 확립하고, 임상 전 유전자 교정 치료의 안전성을 동물 모델에서 검증

#### (9) 기대 및 파급효과

#### <과학기술적 측면>

- 차세대 재생 의학적인 치료기술인 생체 내 리프로그래밍 기술은 생체 외에서의 조작을 최소화하여 안전성을 확보하기에 유리하며, 부작용 역시 최소화 할 수 있을 것으로 기대됨
- 세계적인 수준의 in vivo 유전자교정 치료 원천기술 확보
  - 세계적으로도 in vivo 유전자교정 치료의 임상시험 수행 경험이 부족하여 기술 개발에 성공한다면 이 분야의 선도 그룹으로 발돋움하는 것이 가능함
  - 유전자교정 치료 원천기술 확보時 다양한 질병으로의 응용장벽이 낮아 관련된 연구에 대한 확장성이 높음
  - 제로 오프타겟 유전자편집 원천기술 확보로 다양한 세포치료제 개발에 응용이 가능함
- 생체 내 직접 치료기술의 세계선도
  - 생체 내 리프로그래밍 기술은 화학, 생물학, 약학, 의학, 효소공학, 물리학, 지료공학, 전자공학 등의 BT, IT, NT 등 과학 전반에 걸친 기반기술들을 필요로 하는 미래형 융합 기술로 국내 산업의 전반적인 기술개발을 유도하고, 바이오산업의 성장 촉진에 기여할 것이며, 향후 연관 산업의 발전을 통한 세계시장 주도가 가능할 것으로 사료됨
  - 생체 내 세포 직접 교차분화 리프로그래밍 인자의 생체 내 전달 시스템 탐색으로 인하여 고효율·고품질의 리프로그래밍된 세포생명 전환을 통한 줄기세포 분야에서 의료기술의 획기적 발전을 유도 생명공학산업에서의 막대한 경제적 가치 창출할 수 있음. 또한, 고품질 세포 치료제의 제작과 관련된 특성과 품질 관련 인자의 발굴로 산업재산권을 확보함으로써 국가 경제의 고부가가치 창출 가능

#### <사회경제적 측면>

- 환자의 삶의 질 향상 및 사회비용 절감
  - 융합나노기술의 발전으로 외과적 처치를 최소화 한 생체 내에서의 세포 치료를 구현함으로써 투병기간 동안 환자 삶의 질의 향상에 기여함은 물론, 이후 상처나 후유증에 대한 부담 역시 감소할 것으로 기대되며, 궁극적으로 치료에 소요되는 기간 및 비용의 감소로 이어져 의료복지의 측면에서 향후 사회적 기여도가 높은 핵심 기술이 될 것으로 예상됨

- 고령화 사회로 나아가면서 현재 15% 정도인 65세 이상 노인 인구 비율이 2060년에는 40%에 이를 수 있다는 전망이 나오고 있으며, 이에 따라 점점 늘어나고 있는 대사 질환 및 파킨슨 병, 알츠하이머 병과 같은 퇴행성 뇌신경 질환에 대한 효과적인 치료기술이 필요함. 혁신적 방식의 엑소좀 및 나노입자를 이용한 융합나노기술과 생체 내 리프로그래밍 기술의 만남은 이러한 질환에 대한 해결책을 제시하여 이후 점점 증가하게 될 사회적 비용을 절감할 수 있을 것으로 기대됨

○ 대안적 치료가 부재한 Orphan disease에 대한 치료법 제시

- 대부분의 유전적 질환은 희소성 때문에 치료제가 개발되지 못한 orphan disease에 해당되며 이러한 질병의 경우 유전자 교정 치료가 유일한 근본적인 치료법임. 특히 유전자 교정 치료의 경우 기존 대안적 치료법과는 달리 새로운 질병에 대해서도 추가적으로 연구가 필요하지 않아 단시일 내에 저비용으로 다양한 질병에 맞춤 적용하는 것이 가능함. 또한 교정 이후 지속적인 치료의 필요성이 현저하게 낮아지기 때문에 다양한 희귀, 난치질환 환자에 있어 경제적 부담은 줄어드는 동시에 삶의 질 역시 향상될 것으로 기대됨

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안



2. 줄기세포 활용기술

중점과제 및 핵심기술 구성

			-	
			-	
			-	
				-
				-
				-
				-
				-
				-
				-
				-
				-

2-1-1. 세포 표준화 기술

(1) 기본 개념 및 범위

<개념>

- 줄기세포 세포치료를 제외한 줄기세포 활용에 필요한 세포모델 구축 연구를 총괄함
- 줄기세포를 이용하여 인간의 약물반응 및 질환을 대표할 수 있는 비임상 세포기술을 개발하는 줄기세포 응용기술로 인간 질환 치료에서 한계점이 존재하는 동물 모델과는 달리 발병 기전을 비롯한 질환 관련 이해 향상과 적합한 질환모델 확보, 신약 개발에 활용 등에 관련된 기술을 포함.
- 인간과 상의한 대사/흡수/독성 특성을 보이는 동물 모델의 한계를 극복하고, 줄기세포에서 유래한 인간 정상 세포를 바탕으로 대사/흡수뿐만 아니라, 세포의 기능을 다중탐색 가능한 표준화 기술을 개발하는 기술을 포함

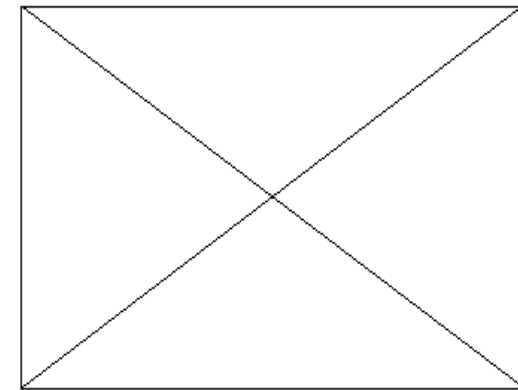
<범위>

- 줄기세포 기반 평가 (독성 평가 제외한 흡수, 대사 등) 모델 구축 및 평가 시스템 표준화
  - 줄기세포 기반의 분화세포 (위장관, 간, 심근, 신장세포 등)를 이용하여 기존의 인간 유래 1차세포를 대체할 수 있는 신약 후보물질의 대사/흡수를 평가 할 수 있는 기술
  - 줄기세포 기반 흡수, 대사를 모델 구축을 위한 고 기능성 위장관, 간, 신장세포 및 조직으로의 분화 표준화 기술 포함
- 분화세포별 세포 기능을 다중 탐색이 가능한 표준화 기술 개발
  - 질병모델 개발, 약효분석, 약물독성평가의 기반이 되는 세포 기능 세포기능 다중탐색이 가능한 표준화 기술 개발
  - 한국인 질환분석을 통해 임상적 미충족 질병모델을 선정하고, 고기능성 타겟 세포 및 조직으로의 분화기술 개발 포함
  - 분화세포의 기능을 확인할 수 있는 기능 표지자를 바탕으로 신약 후보물질의 유효성 다중 탐색 플랫폼에 적용

(2) 추진 배경 및 필요성

<추진 배경>

- 약물대사/ 약물동태 예측실패가 임상연구의 주요 실패요인 중 하나
  - 신약개발을 위한 임상연구 과정에서의 주요 실패요인이 약물대사 및 약물동태 (pharmacokinetics, PK)로 알려진 1990년대 초반 이후 신약개발의 초기단계에서부터 ADME (Absorption, Distribution, Metabolism, Excretion) 평가연구를 적극적으로 도입
  - 신약개발과정에서 후보물질의 대사적 특성을 초기에 연구하는 것은 신약 개발의 비용과 시간을 절약하는 주요한 전략으로 자리잡음
  - 하지만, 현재 ADME분석은 동물모델에 의존적으로 적절한 비임상세포모델이 미비함



[그림] 신약개발과정에서의 실패요인 분석

- 줄기세포 기반 분화세포는 인간 비임상 세포모델의 대안
  - 동물 모델은 인간 질병 이해에 불충분 및 불일치하는 경우가 있으나, 현재의 질병 연구 및 치료제 개발에 사용 가능한 인간 모델은 매우 제한적
  - 인간 유래 불멸화 (immortalized) 세포주들은 대부분 섬유화 세포에서 유래되어, 일부 세포 특성만을 반영하므로 대부분의 복잡한 질환 연구 및 치료제 개발에는 사용 불가능
    - \* 줄기세포를 활용한 질환 모델은 이러한 측면에서 대안으로 제시되고 있어 복합질환

모델링 및 스크리닝 기술 개발 필요

- 줄기세포 질환 모델은 질환기전 연구, 치료제 개발, 독성 연구 등에 광범위한 활용 가능

**<추진 필요성>**

□ 신약개발의 새로운 연구모델 개발 중요성

- 인구증가 및 고령화 사회로의 변화에 따른 질병의 다양화 현상이 나타나면서, 지금보다 정확하게 질병을 예측하고, 질병으로부터의 해방과 같은 건강한 삶에 대한 욕구가 증가함
- 제약산업은 국민소득의 증가에 따라 삶의 질 향상을 위해 필수적인 기술 집약적·고부가가치의 선진국형 산업이며, 미래의 주요 산업인 바이오산업 중 의약산업이 차지하는 비율은 90% 이상임.
- 의약산업의 경우 이익률이 15%에 다다른 최고의 부가가치 산업이나, 지난 10년간 의약품 후보물질의 품목승인 성공률이 계속 낮아지고 있으며, 특히 임상 3상 또는 허가 후, 부작용 및 독성에 의한 약물의 실패는 막대한 시간 및 비용의 손실을 유발하기 때문에 기존의 신약개발 연구의 패러다임의 변화가 요구되고 있음.

**(3) 국내외 기술동향**

**<국내>**

- 기초 및 재생의학 중심의 줄기세포 연구
  - 국가줄기세포은행 중심으로 줄기세포 자원을 확보하고 있으나, 신약개발 연구자들을 위한 줄기세포주 및 정보 제공 역할이 부족한 상황임
  - 국내 줄기세포 연구분야에서는 기전 관련 기초연구나 난치병 질환치료를 위한 재생의학연구에 편중되어 있으며, 무엇보다 줄기세포 유래 분화세포를 이용한 신약 스크리닝 및 독성평가 연구를 선도할 글로벌 경쟁 연구 클러스터가 형성되지 않음
  - 국가 차원에서 전 세계적으로 급성장하는 줄기세포 기반 신약개발 시장에 발맞춰 갈 수 있는 규제완화와 연구지원이 필요한 상황임
- 국내 연구 그룹
  - 세계적으로 상용화된 줄기세포 치료제 6종 가운데 4종이 한국기업에서 제품

화 하였으며, 줄기세포 임상연구 또한 세계 2위 수준이지만, 줄기세포 기반 신약개발 연구를 선도하는 기업에 대한 정보나 보고는 미흡함

- 건국대학교를 필두로 중앙대학교, 한국생명공학연구원, 한국기초과학지원연구원, 대국경북첨단의료산업진흥재단 및 오송첨단의료산업진흥재단으로 구성된 '줄기세포 기반 신약 스크리닝 시스템 개발 사업단'이 현재 과학기술정보통신부 주관의 바이오의료기술개발사업을 통해 연구 수행 중
- 과학기술정보통신부는 2018년 신규 바이오·의료기술개발 사업에서 줄기세포 유래 오가노이드를 활용한 생체모사체 기반 질환모델링 및 신약 유효성 평가 플랫폼 기술 개발 사업을 진행 중임

**<국외>**

○ 줄기세포 기반 약물 흡수 모델 구현

- 2017년 독일 연구자에 의해 인간 유도 만능줄기세포에서 유래된 세포들을 이용하여, 기능적으로 검증된 혈관-뇌 장벽을 확립하였음 (Stem Cell Reports 2017).
- 만능줄기세포에서 유래된 소장 흡수 유사 세포 (Enterocyte-like cells)의 확립으로 약물의 흡수와 대사 연구 모델을 구축하였음 (Ozawa T et al, Sci.Rep 2015). 이러한 유도 만능줄기세포에서 유래된 enterocyte-like cells 은 기존의 흡수 모델세포인 Caco-2 세포에 비해 정상 소장세포와 높은 유사성을 보임
- 줄기세포 유래 각질세포를 활용한 화장품을 포함한 화합물의 흡수, 민감도, 부식성, 자극성, 광독성 및 유전독성 분석시스템 개발 (Laustriat et al., 2010)

○ 줄기세포 모델을 활용한 신약 유효성 검증 연구는 동물모델의 단점을 보완하여 탈락율이 가장 높은 유효성 검증 단계를 극복할 것이라 예상하여 활발한 연구 수행 중

- 신약개발 과정에서 필수적 평가항목 중 하나인 심혈관계 안전성약리시험에 있어서 동물 복지 및 종 특이성 문제로 인하여 최근 국제사회 (FDA, CSRC, HESI, SPS, EMA, NIHS, PMDA 등)에서 Comprehensive In Vitro Proarrhythmia Assay (CiPA)라고 하는 새로운 패러다임이 제시되었고, 현재 심장독성 안전성 평가와 관련된 ICH S7B 내용이 줄기세포 유래 심근세포를 활용한 평가법으로 개정이 진행 중임에 따라, 외국의 비임상 CRO 회사들이 선점하여 관련 실험 서비스를 진행하고 있음 (표 1)

- 배아 및 유도만능줄기세포 유래 심근세포 활용한 전기생리 및 약물반응 분석을 통한 선천성 부정맥 모델 및 독성예측 및 평가시스템 개발 연구
- 유도만능줄기세포 유래 간세포를 활용하여 물질대사, 활성산소, cytochrome p-450 등을 조사, 고속집적 독성평가 기술 개발 연구가 진행
- 배아 및 유도만능줄기세포 유래 심근세포 활용한 전기생리 및 약물반응 분석을 통한 선천성 부정맥 모델 및 독성예측 및 평가시스템 개발 연구수행
- 줄기세포 유래 각질세포를 활용한 화장품을 포함한 화합물의 흡수, 민감도, 부식성, 자극성, 광독성 및 유전독성 분석시스템 개발(Laustriat et al., 2010)

[표] 인간 줄기세포 기반 신약 및 독성평가 관련 선도기업

구분	기업명	주요사업	주요성과
1			
2			
3			
4			
5			

#### (4) 현황 및 개선방안

##### <현황 및 문제점>

- 세포치료제 개발의 임상진입 및 상용화에 집중함으로써 줄기세포를 이용한 타겟세포 분화기술 개발 및 비임상 세포모델개발 연구의 국내 수준은 상대적으로 뒤떨어져 있는 상태
- 줄기세포 기반 신약의 안전성 및 유효성 평가 관련기술은 선진국 대비 50~60% 사이로 나타나 비교적 낮은 수준으로 분석
- 줄기세포를 이용한 독성 연구 분야는 기초수준에서 연구가 진행 중이며, 응용연구 및 실용화 연구는 전무한 상황
- 특정 세포 분화기술 및 배양기술은 보유하고 있으나, 원천기술이 부족한 실정이며, 약물 대사/흡수 모델 개발에 필요한 장관계 기능세포, 간세포, 신장세포 분화기술은 미약한 실정이며, 이를 이용한 대사/흡수 세포모델 평가법 개발에 대한 연구도 미비
- 관련 연구는 소그룹 규모로 진행되고 있으며, 이에 대한 분화 연구는 주로 세포치료제를 개발하기 위한 연구에 집중
- 질환-특이 세포를 확보하여 신약 개발 프로세스에 이용하기 위한 연구는 국

- 내 일부 소수 기관에서만 진행하고 있는 실정
- 환자-체세포의 공급원 또한 안정적인 시스템이 갖추어진 미국 등 외국 은행 시스템을 경유하여 세포를 수급하고 있는 실정으로 한국인 특이 질환-특이 세포의 확보 및 이에 대한 연구는 미비한 실정
- 질환 모사 연구가 기초 연구 단계에 집중되어 치료 기술 개발 연구들이 전무한 상황이므로 치료 효과 검증 연구 및 시스템 또한 부재되어 있는 실정

##### □ 줄기세포 리소스 확보 및 관련 인프라 현황

- '12년 출범한 국가줄기세포은행 및 국내의 줄기세포은행을 중심으로 줄기세포 자원 확보가 이루어지고 있는 상황
- \* 국내 연구팀에서도 약효검색 및 독성평가용 특정세포로의 분화기술과 배양증식 기술을 확보한 것으로 판단되나, 질환모델링에 필요한 다양한 줄기세포주 확보는 미진함
- \* 국내 줄기세포은행은 목적지향점이 임상에 활용하기 위한 측면이 강하므로 환자유래 질환모델을 고려한 줄기세포주 및 정보 제공 역할이 부족한 상황
- 다국적 제약사들은 내부적으로 축적된 노하우와 자료들을 활용하는 단계에서 더 나아가 컨소시엄을 구성하여 초기 독성 및 약효 검색에 주력
- \* 이들 자료들은 공개되지 않고 내부적으로 또는 협력사 간에만 공유가 이루어지므로 외부에서의 활용이 불가능
- \* 국내는 아직 신약연구개발의 축적된 노하우가 적고 다국적 기업에 비해 투자 규모 열세, 활발하지 않은 공동연구, 유효성 및 안전성을 포함한 공개 DB 부재

##### <개선방안>

- 실용화 지원 및 인프라 확충
- 줄기세포 세포치료제 상용화 지원에 국한되지 않고, 줄기세포를 바탕으로 하는 신약개발 관련 과제의 지원 확대를 통해 제약회사의 참여를 고취하고, 줄기세포 연구자들의 참여 확대 유도
- 우수 질환모델 줄기세포 기반 기술, 분화기술 활용 상용화 지원
- \* 국내 우수 특허 발굴 및 특허가치 제고를 통한 시장경쟁력 확보 및 산업화 여건 조성 마련
- \* 질환모델링 신약개발 과정에 필수적인 흡수/대사 평가 시스템 구축을 위한 전분화능 줄기세포 유래 특정세포 분화, 대량생산, 안정적 보관 및 상용화 실현
- 줄기세포 관련 지식·자원의 체계적 확보 및 관리를 위한 기반시설 조성
- \* 질환모델 줄기세포 기반 신약개발을 위한 중점연구센터 설립 및 첨단의료 복합단지, 한국화학연구소, 파스퇴르 연구소 등 유관연구기관과의 협력 시스템 구축
- \* 줄기세포 기반 질환모델링 분야에서의 국제표준화 기준 설정 방안 제안
- \* 질환별 또는 공통으로 수행되는 줄기세포 기반 약물의 효능 및 흡수/대사 모델의 지표확립 및 그룹화

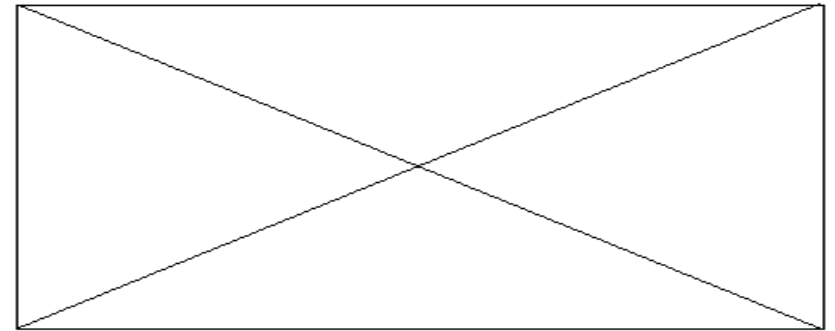
[표] 현황 및 개선방안



(5) 연구개발 목표 및 내용


(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

<추진체계도>



<협력방안>

- 국내에서 축적된 줄기세포 우수 연구역량을 바탕으로 질환모델 줄기세포 기반 신약개발 원천기술 확보 전략 수립
  - 정부의 안정적 중장기 투자지원을 통한 개인맞춤형 줄기세포 생산 기술 개발 및 유전자 조작 등을 통한 질환모델링 촉진 및 글로벌 경쟁력 향상 도모
  - 다년간의 세포치료제 개발 연구로 축적된 줄기세포 분화 모델 연구 전문가의 협업을 통한 질환 모사 세포 모델 구축 연구 확대
- 줄기세포 기반 질환모델링 연구를 위한 핵심 연구 인프라 구축 실용화 지원 및 인프라 확충
  - 줄기세포 기반 질환모델링 기술개발 및 관련 인프라 구축지원을 통한 실용화 촉진 및 관련 시장 점유율 확보방안 마련
  - 전문 연구센터 설립 및 기관별·연구분야별 연계·협력 시스템 구축

(7) 위험요인 및 해결방안


(8) 상용화 전략

<기존 상용화 사례>

현재 줄기세포 유래 흡수/대사 세포 모델을 상용화한 사례는 보고된 바 없음.

(9) 기대 및 파급효과

<과학기술적 측면>

- 신약 개발 산업 분야의 새로운 패러다임 제시
  - 약물의 약리활성 및 독성 평가 뿐만 아니라 흡수/대사는 신약개발 과정에서 선도 물질이 개발과정에서 탈락하는 가장 큰 이유중에 하나임.
  - 인간 세포 모델을 바탕으로 흡수/대사 모델 개발을 통해 사용되는 실험동물의 사용을 최소화 할 수 있는 체외 스크리닝 시스템 구축을 통해 전임상과정이 최소화됨
  - 결과적으로 신약개발 비용을 혁신적으로 절감하여 신약 개발 산업 분야에 새로운 패러다임을 제시 할 수 있을 것으로 기대함

<사회경제적 측면>

- 난치성 질환 치료를 통한 국민 건강 및 복지 향상
  - 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써, 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현 및 효율적이며 경제적인 치료법 개발과 산업화로 난치성 질환 환자의 의료비 부담 감소
- 줄기세포 관련 산업의 활성화에 따른 고용 창출
  - 질환 모사와 관련된 치료 및 신약 개발 인력을 양성하고 관련 산업을 활성화하여 고급 인력 창출과 고용이 확대될 것이라 기대
- 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위 선점
  - 다양한 난치성 질환 유래의 세포를 이용해 구축한 질환 모사 오가노이드를 활용해, 체내에서 발생하는 난치성 질환 특이적인 질환표현형을 높은 신뢰도로 재현하고 이를 이용한 다각도의 접근이 가능하게 될 것 임. 이러한 기초 데이터를 종합하여 보다 경제적이고 뛰어난 약리활성이 보장된 치료제 개발을 위한 실용적인 차세대 지식창출형 데이터베이스가 구축될 수 있을 것으로 봄
  - 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위를 바탕으로 해외 제약사들과의 국제적 교류 및 거래 확산, 이를 통한 국내 제약 시장산업의 경제적 규모 향상 등의 경제적 파급효과를 거둘 수 있을 것으로 사료됨

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)


[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)


(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안


2-1-2. 줄기세포 기반 질환모델 확립 기술

(1) 기본 개념 및 범위

<개념>

- 줄기세포를 이용하여 질환을 모델링하는 분야로, 질환모델 확보를 위한 원천 기술 개발, 발병기전 규명, 생명현상의 이해, 신약개발 활용 등에 사용되는 기술 포함
- 병리학적 세포/조직 특성을 모사하는 인간 세포 질병 모델 개발하여 활용기술 개발하는 것을 목표로 함

- 인간 질병 형질을 효과적으로 모사할 수 있는 질병모델의 부재는, 현대 질병연구 및 치료기술개발에서 큰 기술제약 요소이며, 치료제 개발 실패의 가장 큰 원인 중 하나임
- 리프로그래밍 기술과 유전자 교정기술 기반 정상 및 질환모사 줄기 세포원 제작을 통해 유전형이 동일한 인간 질환모델의 세포원 확보하고, 질환 타겟세포로 분화(이차원, 삼차원 분화 포함)를 통해 질환 모델 개발
- 실제 조직에서 환자 세포가 경험하는 자연적 환경을 보다 유사하게 재연하기 위해서, 질환 유도 미세환경 조절, 다세포 공배양 시스템을 개발하고, 이를 통해 질환 병리학적 특성이 모사된 고도 질환모델개발 연구 포함
- 질환 모사 연구모델을 통해 질환의 병리학적 특성 및 기전연구, 질병제어 기술 및 평가기술, 신약개발 플랫폼 개발 연구, 유전자 교정 치료 기반기술 개발 등의 활용기술을 포함

<범위>

- 질환모사 세포모델 제작 기술 개발
  - 유전적, 환경적 원인에 의한 다양한 질환을 모사하는 질환모델을 생산하기 위한 조직 및 세포의 생산 및 질환유발 기술 확보
  - 다양한 역분화 기술, 직접교차분화기술 등의 다양한 리프로그래밍 기술을 활용하여, 질환 특성에 맞는 질환 모사세포원을 환자체세포로부터 제작하는 환자 맞춤형 질환모델 제작하는 기술 포함
  - 질환 형질이 나타나는 특정 세포 및 조직으로의 분화하는 기술을 포함



- 질환 세포에서 질환형질이 나타나도록 배양할 수 있는 배양환경 및 미세환경 조절 기술 포함
  - 노인성 질환의 경우 세포 및 조직체 노화기술이 요구됨
  - 성인질환의 경우 영양분의 공급 불균형을 모사하는 것 필요
  - ROS, DNA 손상과 같은 스트레스 및 독성물질 노출에 따른 질병 형질 발생을 모사하기 위한 배양환경
  - 알츠하이머, 섬유화 질환과 같이 세포 밖 물질 축적에 의해 유발되는 질환의 경우, 삼차원 배양 환경이 요구됨
- 다양한 세포의 상호작용에 의해 발생하는 질환의 형질 모사를 위해, 다세포 공배양 시스템 개발 필요
  - 조직 내 다양한 분화 단계세포의 상이한 조절
  - 면역세포-조직세포 상호작용 기반 질환 모사
  - 혈관세포-조직세포 상호작용 기반 질환 모사
- on-chip 모델 등 차세대 배양기술
- 효과적인 질환연구를 위해서 질환 형질을 쉽고 분명하게 평가, 검증할 수 있는 기술 포함
- 질환 모사 세포모델 활용기술 개발
  - 줄기세포 기반 질환 표현형 모사 질병모델의 오믹스 분석을 통한 바이오 마커 개발 및 새로운 표현형 분석법 개발을 통한 질환 치료법 평가 및 검증 기술을 포함
  - 줄기세포 기반 질환 표현형 모사 질병모델을 통한 새로운 질환 기전을 밝히고, 이러한 질환 기전을 제어하는 기술 개발 포함
  - 질환 모델의 특성을 제어할 수 있는 새로운 약물개발을 위한 효능 평가 기준 확립 및 스크리닝 시스템 기술 개발 포함
  - 우수 질환모델 줄기세포 기반기술, 분화기술 활용 상용화 지원
  - 줄기세포 관련 지식-자원의 체계적 확보 및 관리를 위한 인프라 조성
- 질환 모사 세포 유전자 교정기술 개발
  - 질병모델 제작 시 나타나는 개체 차이에 의한 형질 다양성을 극복하기 위해서, 정상세포나 또는 환자 줄기세포 부터 원인 유전자를 제거하거나 정상 유전자로 교정하는 유전자 편집기술을 포함.
  - 유전자 교정기술 기반 질환 모델 특성 제어기술 개발을 위한 유전자 편집

기술 고도화 및 조직/발생단계 맞춤형 조작기술 개발, 질환 타겟 선별, 형질별 스크리닝 기술 개발 포함

## (2) 추진 배경 및 필요성

### <추진 배경>

- 인간 질병 형질을 효과적으로 모사할 수 있는 질병모델의 부재
  - 현재까지의 질환연구는 대부분 실험동물 기반 동물모델에 의존하고 있지만, 인간 질환 모사에 한계점이 존재함
  - Clinical Development Success Rates 2006-2015에서 지난 10년간 진행된 임상 약물개발 성공률을 대규모로 분석한 결과, 안전성이 검증된 모든 의약품 후보물질의 품목승인 성공률 (LOA)는 9.6%임
    - 이러한 낮은 임상연구 성공률은 실험동물의 독성 및 약효 평가모델로서의 한계를 보여줌
  - 기존의 동물 모델을 통한 질환 모사는 인간 환자에서 나타나는 병리학적 특성을 모사하지 못하는 부분이 다수 보고되고 있으며, 이에 따라 동물모델 기반 질병연구에도 불구하고 아직 질환에 대한 이해도가 낮음
    - 인종 간 차이가 있어, 동물모델에서의 결과를 바로 인간에게 적용하는 것이 어려운 경우가 다수
    - 난치성 유전병 동물 모델은 사람의 질병에서 발현되는 돌연변이와 다른 경우가 다수
  - 실제적인 질병 연구 및 치료 개발에 응용 가능한 경우는 소수
    - 유전자의 잘못된 염기서열을 수정하는 유전자 수술의 경우 인간 유전자의 염기서열과 동물 유전자의 염기서열이 달라, 동물에서 검증된 유전자 수술법이 인간에게 적용되기 어려운 경우가 다수
- 실험동물 대체 시험법 개발에 대한 사회적 요구 증가
  - 과도한 실험 동물 사용에 대한 윤리적 문제가 이슈화 되면서, 치료제 개발 목적의 동물실험도 줄일 수 있는 대체 시험법의 개발이 요구됨
  - 전 세계적인 “실험동물보호법 강화”
    - 유럽연합 (EU 가입국)은 2004년 화장품 완제품에 대한 동물실험 금지를 시작으로 화장품 원료에 대한 동물실험을 단계적으로 금지하였고, 2013년 3월에는 동물실험이 실시된 화장품의 수입/판매 및 마케팅 완전 금지
    - 2006년 크로아티아, 2013년 이스라엘, 인도 역시 화장품 동물실험이 전면

금지되었고, 2014년 3월에는 미국 캘리포니아주 의회에서 화장품 동물 실험 금지 법안이 통과

- 2013년부터 미국 FDA를 중심으로 ICH 가입국들로부터 신약 개발 과정에서도 동물 시험을 대체하고, 인간 세포를 활용하여 약물 후보 물질의 잠재적 독성을 정확히 예측하기 위하여 인간 줄기세포 유래 기능성 세포를 활용한 독성 평가 방법에 관한 가이드라인을 개정 중

- 약효평가나 검증을 위한 인간 질환연구모델은 미비한 실정
- 다양한 화합물 평가 및 신약 개발에 있어 동물실험을 대체할 수 있는 세포기반 분석기술의 필요성이 대두

#### ○ 맞춤형 치료를 위한 정밀 의학 발전

- 인간 유래 불멸화 세포주의 경우 일부 질병 특성만을 반영할 뿐 아니라, 질병 환자의 세포, 조직 특성을 그대로 반영하지 못하기 때문에 질병모델을 만드는 데 한계가 있음
- 역분화기술 및 세포전환기술, 세포분화기술, 오가노이드 배양기술 등 다양한 줄기세포 기반 세포전환기술은 맞춤형 치료를 위한 다양한 세포 및 조직 유사체의 공급이 가능하도록 해줌
- 복잡한 질환 연구 및 치료제 개발을 위한 새로운 모델 필요
  - 질환 병리학적 특성이 모사된 고도 질환모델 개발 필요
  - 다양한 유전적 배경을 반영할 수 있는 질환 모델 개발 필요

#### ○ 줄기세포를 활용한 신약 연구 개발

- 줄기세포가 기존 신약 개발의 한계성을 극복할 수 있는 대안으로 제시
  - 세포주 혹은 동물 모델을 이용한 신약 연구에서 안전성 검증에 소요되는 시간 및 경비 감소 기대
  - 재현성 검증 연구에서 줄기세포 활용 가능

### <추진 필요성>

#### ○ 신약개발에서 실험동물을 대체할 세포기반분석기술의 필요성 대두

- 전 세계적으로 연간 약 5억 마리의 실험동물들이 전임상 단계 독성 시험에 사용되며, 국내에서는 약 500만 마리 이상이 약물 시험에 사용됨
- 약물의 개발 과정에서 후보물질의 검색, 분석 및 평가를 위한 세포기반 생체외 분석 (In vitro assay) 기술 개발을 통한 다양한 기초연구, 신약개발 및 약물동

력학 시험법 개발은 연간 대량으로 사용하는 실험 동물에 소요되는 막대한 비용을 절감하고 동물 실험 사용에 대한 윤리 문제를 회피할 수 있는 대안을 제시할 수 있음

#### ○ 신약개발에서 기존 실험동물을 이용한 분석방법의 한계점 극복

- 실험동물 모델은 생물 조직체를 대상으로하는 약물의 평가에 있어 이점이 있음에도 불구하고, 인간과 실험동물간의 유전적, 생리학적 차이점에 기인하여 임상시험 시기에서 후보 약물의 탈락을 초래할 수 있으며, 실험동물의 사육 및 그에 따른 전문 인력의 필요성, 무균시설 설비 유지 등으로 고 비용이 발생한다는 부담이 있음
- 또한, 신약 후보 물질의 유효성 평가 및 질병 연구에 있어 인간 세포 기반 모델을 활용한 분석 기술은 실험동물 모델을 이용한 분석방법에 비하여 인간 생체 내부의 전반적인 대사작용을 반영할 수 있고, 임상 적용 가능성 측면에서 보다 인간에 유효한 결과 예측이 용이하다는 장점이 있음

#### ○ 줄기세포 기술 활용을 통한 신산업 창출

- 인간 전분화능 줄기세포는 무한 증식할 수 있고, 각종 장기세포로 분화가 가능한 이유로 특정 장기 세포를 대량으로 확보할 수 있는 장점이 있어 질병 치료에 있어 장기 이식을 대체할 수 있는 세포치료제 개발에 용이함
- 상기 이유로 줄기세포 산업의 대부분이 세포 치료제 개발에 편중되어 있음
- 하지만, 아래 그림에서 보는 바와 같이 세계 세포 기반 분석시장은 2014년 34억 달러 규모로 형성되어 있고, 매년 지속적인 성장 추세를 보여 10년간 연평균 성장률 11.1%로 2025년에는 108억 달러 규모로 시장 확대가 전망되는 고성장 분야임
- 따라서, 줄기세포를 활용한 질환모사 및 질환 모세 세포를 활용한 약물 평가 및 신약 개발 기술은 줄기세포를 활용한 세포 치료제 관련 산업에 더하여, 줄기세포를 활용한 세포기반 분석 산업이라는 신산업을 창출할 수 있고, 다가올 세계 시장을 점유할 수 있는 원동력이 될 것으로 사료됨

#### ○ 줄기세포 기반기술 축적 및 인프라 활용기술 개발 필요

- 국내 연구팀에도 줄기세포 역분화기술, 고효율 타겟 세포 분화기술, 오가노이드 배양기술과 유전자 교정기술 등 질병모델을 제작하는데 요구되는 기반기술이 확보되어 있음
- 질병관리본부의 인체자원은행 및 국가줄기세포은행을 비롯하여 다양한 한국인 질환연구를 위한 세포원에 대한 인프라 구축을 위한 노력이 수행되고 있음

- 이러한 줄기세포 연구 관련 한국인 질병환자 줄기세포 인프라를 활용하여 세계적 성과 창출을 위한 활용기술의 개발이 절실한 상황임

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

##### □ 질환 모사 관련 연구 기반 미흡

- 줄기세포 관련 타 연구 분야와 비교하여 질환 모사 연구는 상대적으로 미흡
  - 질환 모사 세포 확립에 대한 제한적 기술 응용
  - 줄기세포 독성 연구 분야는 기초연구가 대부분으로 응용연구 및 실용화 연구는 전무한 상황
  - 질환-특이 세포를 확보하여 신약 개발 프로세스에 이용하기 위한 연구는 국내 일부 소수 기관에서만 진행하고 있는 실정

##### ○ 질환 모사 연구에 필요한 다양한 줄기세포 공급원 기반이 취약

- 국가줄기세포은행을 비롯한 국내 줄기세포은행을 중심으로 줄기세포 자원 확보가 이루어지고 있으나 국외와 비교하여 다양한 세포주가 미 확보된 상황
- 환자유래 질환모델을 고려한 줄기세포주 및 정보 제공 역할이 부족한 상황
- 국내의 안정적인 시스템의 부재로 해외 공급원에 의존도가 높아 한국인 특이 질환-특이 세포의 확보 및 관련 연구는 미비한 실정

##### ○ 질환 모사를 이용한 줄기세포 신약 연구는 기초 연구에 편중

- 줄기세포 기반 신약의 안전성 및 유효성 평가 관련기술은 선진국과 큰 격차 (50-60%) 가 존재
- 질환모사 기술과 연계된 신약 개발은 전무한 실정

##### □ 실험동물을 대체할 수 있는 인체 반응 예측 모델 개발 연구현황

- 안전성평가연구소는 줄기세포 기반 기술을 활용해 실험동물을 대체할 수 있는 독성평가 모델 제작 연구를 진행 중임
- 한국생명공학연구원은 실험동물 대체용 인공실험체 구현 사업을 통해 실험동물 대체를 위한 오가노이드 기반 시험법을 개발 중임
- 질병관리본부는 인체자원은행 및 국가줄기세포은행을 설립하여 각종 질환 세포 및 줄기세포를 활용한 연구용 자원 플랫폼 개발 연구를 진행 중임

- 과학기술정보통신부는 2018년 신규 바이오·의료기술개발 사업에서 줄기세포 유래 오가노이드를 활용한 생체모사체 기반 질환모델링 및 신약 유효성 평가 플랫폼 기술 개발 사업을 진행 중임

- 하지만, 인간 질병의 병리학적 특성을 모사하는 질병모델의 개발을 위한 전략적 연구과제는 전무하며, 일부 질환에 국한된 소수의 질병모델링 연구만 수행되고 있는 상황

- 지난 10년간 국가 줄기세포과제들을 통해 다수 확보된 한국인 질환자 역분화 줄기세포 주들의 활용을 위한 질병모델 개발연구가 필요한 실정

#### <국외>

##### □ 줄기세포 관련 연구 분야의 확장 및 변화

- 질환 모사를 비롯하여 줄기세포 연구가 신약개발이나 재생의학 등의 연구 분야에 활용되는 추세

- 유전자 교정 기술 등을 비롯한 관련 기술의 발전과 함께 질환 모사 연구는 미국을 비롯한 유럽연합, 일본, 중국 등 전 세계적으로 경쟁 가속화

- 대표적 유전자 교정 기술인 CRISPR 유전자 가위는 현재 폭발적인 기술성장추세를 감안하면 조만간 기술성숙 단계에 돌입할 것이라 예상하며 이는 질환 모사 연구의 발전을 가속화할 것이라 예상

- 신약 개발에서 줄기세포가 연구에 활발하게 이용되고 있는 추세

- 스크리닝, 질환모델 생산, 독성 검사, 세포치료제 연구 등에 활발하게 응용되고 있음

##### □ 인간 줄기세포를 활용한 질환 모사 기술 개발

- University of Cambridge의 Vallier 그룹은 2015년부터 인간 유도만능 줄기세포 (iPSCs)유래 hepatocytes, macrophage, cholangiocytes, stellate cells를 활용해 간 섬유화 질환 모사 모델을 개발 중임

- 또한, 동일 그룹에서 간 유전질환의 하나인 AAT1 deficiency 환자 유래 유도만능 줄기세포를 활용해 유전질환 모사 모델 개발 연구를 진행 중임

- University of Pennsylvania의 Lengner 그룹은 2016년 텔로머라아제 (telomerase) 기능이상으로 심각한 장 질환을 유발하는 희귀 유전질환인

Dyskeratosis Congenita를 인간 유도만능 줄기세포 및 유전자 편집 기술을 활용하여 생체 외 질환 모사 모델을 제작하여, 제작된 모델의 유효성을 검증했을 뿐만 아니라 제작된 질환 모사 모델의 옴믹스 분석을 통해 질환을 극복할 수 있는 신규 후보 물질을 제시하여 Cell Stem Cell에 게재 되었음

- 스위스의 바이오 기업인 Insphero AG는 각종 초대 배양 세포 (primary cultured cells) 및 인간 줄기세포 유래 세포를 활용해 비알콜성지방간염, 당뇨병 및 각종 암질환의 3D 인간 질환 모사 모델을 제작해 상업화 하여 판매하고 있음
- 미국의 바이오 기업인 Cellular Dynamics International (CDI)는 유전질환을 포함한 각종 질환 세포 유래 유도만능 줄기세포를 벙킹함과 동시에 각종 질환 유도만능줄기세포에서 분화된 기능성 세포들 (MyCell products)을 상용화하여 생체 외 질환 모사 연구에 활용되는 세포를 공급하고 있음
- 유전자 가위 기술과 발현 시기 조절 기술을 활용한 질환 모사 연구
  - 줄기세포를 활용한 질환 모사 연구는 기존의 동물모델 수준에서 인간모델 수준으로 생명현상 연구 가능
    - 줄기세포에 유전자 가위기술을 적용하여 파킨슨병 질환모델 제작 (미국 MIT, 2011)
  - 정상적인 인간 배아줄기세포를 유전자 가위를 이용하여 조작을 하여 특정 질병 관련 돌연변이를 지닌 배아줄기세포로 전환
  - 조기 질환에 국한되었던 줄기세포 질환 모사 연구가 관련 기술의 발전으로 노년 질환 연구까지 확장되고 있는 추세
    - Progerin 유전자를 삽입하여 고령에 발병하는 질환의 세포 형질을 모사 (미국 슬로언케터링 연구소, 2013)
- 줄기세포 기반 독성평가 모델 개발
  - 유도만능줄기세포를 이용한 신약 스크리닝과 후보물질 탐색 연구 확대
    - RTT, ALS, LQTS3, Schizophrenia, HD, PD, CINCA syndrome, AAT-deficiency, SMA, Familial dysautonomia, AD 질환 등을 대상으로 한 연구 성과가 보고됨.
  - 질환 모사 기술을 활용한 신약 연구는 동물모델의 단점을 보완하여 탈락율이

- 가장 높은 유효성 검증 단계를 극복할 것이라 예상하여 활발한 연구 수행 중
- 배아 및 유도만능줄기세포 유래 심근세포 활용한 전기생리 및 약물반응 분석을 통한 선천성 부정맥 모델 및 독성예측 및 평가시스템 개발 연구
- 줄기세포 유래 각질세포를 활용한 화장품을 포함한 화합물의 흡수, 민감도, 부식성, 자극성, 광독성 및 유전독성 분석시스템 개발(Laustriat et al., 2010)

#### (4) 현황 및 개선방안

##### <현황 및 문제점>

- 질환모사 관련 국내연구 부족
  - 국내 줄기세포연구분야는 세포치료제 개발 연구 집중으로 인하여 질환모사 관련연구는 상대적으로 부족한 상황
  - 안정적인 시스템의 부재로 한국인 특이 질환-특이 세포의 확보 및 관련 연구는 미비한 실정
    - 환자-체세포의 공급원을 안정적인 시스템이 갖추어진 외국 은행 시스템을 경유하여 세포를 수급하고 있는 실정으로 한국인 특이 질환-특이 세포의 확보 및 이에 대한 연구는 미비한 실정
  - 질환-특이 세포를 확보하여 신약 개발 및 치료에 이용하기 위한 연구는 국내 일부 소수 기관에서만 진행하고 있는 실정
- 질환 모사 세포 확립에 대한 제한적 기술 응용
  - 특정 세포 분화기술 및 배양기술은 보유하고 있으나 질환 모사에 필요한 다양한 세포주는 충분히 확보되지 않은 실정
  - 현재 보유한 기술들도 질환 모사보다는 주로 세포치료제 개발 등의 연구에 이용되고 있는 실정
- 질환 모사 연구와 연계된 신약 개발 및 치료 기술은 전무
  - 국내 질환 모사 관련 연구 분야는 기전 연구 등을 비롯한 기초 연구 중심으로 수행되고 있는 실정
  - 질환 모사와 연계된 신약 개발 및 치료 연구를 활발하게 진행하고 있는 해외 현황과는 달리 국내에서는 현재까지 신약 및 치료 개발까지 연계된 연구 성과는 도출되지 않은 실정
- 질환 모사 세포의 치료 효과 검증 시스템 부재
  - 질환 모사 연구가 기초 연구 단계에 집중되어 치료 기술 개발 연구들이 전부

한 상황이므로 치료 효과 검증 연구 및 시스템 또한 부재되어 있는 실정

- 유전자 교정된 줄기세포의 안전성 검증은 치료 기술 개발에 필수적 요소
- 치료 효과 검증 시스템을 통한 최적의 치료 기술 개발 필요

○ 질환 모사 관련 연구의 인프라 부족

- 줄기세포를 이용한 질환 모사 연구가 신약 개발 및 새로운 치료 기술 개발 가능성을 제시함으로써 세계적으로 과감한 투자와 긴밀한 네트워크를 기반으로 하는 기술 경쟁이 가속화 되고 있는 현황
- 선진국들의 지적재산권 선점을 통한 기술 독점화와 글로벌 제약사들의 시장지배가 강화되고 있는 실정
- 상대적으로 국내에서는 관련 연구에 대한 지적재산권 확보가 미비하고 질환 모사 연구에 대한 관심과 지원이 부족한 상황

<개선방안>

○ 질환 모사 기술 확립 및 확보

- 질환 모사 줄기세포 생산 및 조작 기술의 축적
  - 유전적 및 환경적 원인에 의한 다양한 질환을 모사하는 질환모델을 생산하기 위한 조직 또는 세포의 생산 및 질환 유발 기술 확보
  - 역분화 줄기세포 및 유전자 교정 기술 등을 이용하여 인간 질병 유전자가 발현되는 질환 모사 세포주 확립
  - 치료 전략을 그대로 인간에게 적용할 수 있어, 임상 시험 전 유전자 치료 전략 수립에 큰 기여가 될 것이라 기대
- 기초-중개-임상 피드백 시스템의 강화
  - 기초-중개-임상간의 활발한 교류 및 긴밀한 협력을 통하여 질환 모사 모델링부터 치료 기술 개발까지 연계되는 기반 마련

○ 한국인 특이 질환-특이 세포주 확보를 비롯한 다양한 줄기세포 자원 및 기술의 체계적 확보

- 한국인 특이 질환을 모사하는 세포주를 구축하고 상용화를 지원하여 다양한 질환 모사 세포의 자원 확립
- 한국인 특이 질환을 모사하는 세포주를 이용하여 약물 치료 및 유전자 교정 등을 이용한 보다 적합한 치료 기술 개발 가능

○ 질환 모사 세포모델 활용 치료 기술의 원천 기술 확대

- 질환 모사 세포를 이용한 병리적 특성 연구 및 기전 연구를 통한 치료 기술 개발

- 유전자 교정 기술 등을 통하여 유전형이 동일한 정상세포와 질환 모사 세포 확보 가능
- 정상세포와 질환 모사 세포의 병리학적 특성 연구 모델 수립 가능
- 정상세포와 질환 모사 세포의 비교를 통한 질환 특성 연구, 병리적 기전 연구하며 이를 통하여 최적의 치료 모델 수립 기대

○ 환자 맞춤형 치료 기술 및 치료 효과 검증 시스템 개발

- 환자 맞춤형 신약 스크리닝 및 독성 평가 플랫폼 개발
  - 질환 모사 세포를 대상으로 신약 스크리닝 및 독성 평가를 수행하여 적절한 치료 모델 수립
- 환자 맞춤형 유전자 교정 치료 개발
  - 질환 모사 세포를 대상으로 최적의 유전자가위 선별 연구 등을 수행하여 효과적인 유전자 교정 치료 기술 개발
  - 정교한 유전자가위 기술 개발 등을 통한 환자 맞춤형 최적의 유전자 치료 기술 개발
- 환자 맞춤형 치료의 효과 검증 시스템 개발
  - 유전자가위의 off-target 분석 플랫폼 고도화를 통한 임상 수준의 안정성 확보
  - 유전자 교정된 줄기세포의 안전성 검증

○ 질환 모사 관련 연구의 인프라 구축

- 우수 질환모델 줄기세포 기반 기술, 분화기술 활용 상용화 지원
  - 국내 우수 특허 발굴 및 특허가치 제고를 통한 시장경쟁력 확보 및 산업화 여건 조성 마련
  - 전분화능 줄기세포 유래 특정세포 분화, 대량생산, 안정적 보관 및 상용화 실현
  - 질환별 맞춤 신약 스크리닝 및 독성평가 표준화 프로그램 개발
- 줄기세포 관련 지식·자원의 체계적 확보 및 관리를 위한 기반시설 조성
  - 질환모델 줄기세포 기반 신약개발을 위한 중점연구센터 설립 및 협력 시스템 구축

- 줄기세포 기반 질환 모사 연구의 국제표준화 기준 설정 방안 제안

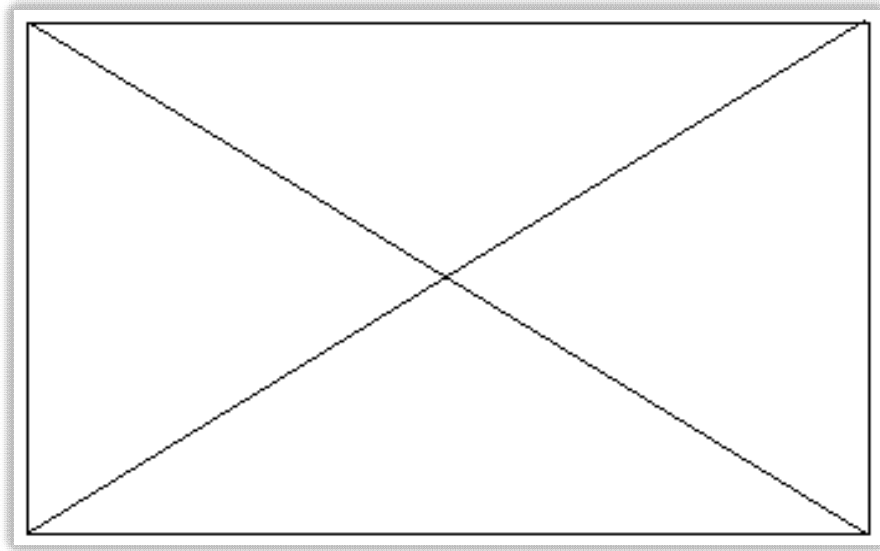
[표] 현황 및 개선방안



(5) 연구개발 목표 및 내용

(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

### <추진체계도>



#### ○ 사업 (프로그램) 구성

- 질병모델 개발을 통해 질병의 기전 연구 및 치료기술 개발 기반기술 연구가 우선적으로 수행되어야 할 희귀, 난치성 질환 선정하여, 질환별 사업 구성
  - 임상적 미충족 수요가 높은 희귀, 난치성 질환
  - 한국인 특이 질환
  - 한국인 발병률이 높은 난치성 질환
  - 줄기세포 모델을 적용하여, 효과적 모델 수립 가능한 질환
- 질환특성에 맞추어, 질환의 병리학적 특성을 모사할 수 있는 질환모사 연구전략 수립 및 활용기술 개발 전략 수립
  - 노인성 질환의 경우 세포 및 조직체 노화기술
  - 성인질환의 경우 영양분의 공급 불균형을 모사
  - ROS, DNA 손상과 같은 스트레스 및 독성물질 노출에 따른 질병 형질 발생을 모사하기 위한 배양환경
  - 알츠하이머, 섬유화 질환과 같이 세포 밖 물질 축적에 의해 유발되는 질환의 경우, 삼차원 배양 환경

- 다양한 세포의 상호작용에 의해 발생하는 질환의 형질 모사를 위해, 다세포 공배양 시스템 개발
  - 조직 내 다양한 분화 단계세포의 상이한 조절
  - 면역세포-조직세포 상호작용 기반 질환 모사
  - 혈관세포-조직세포 상호작용 기반 질환 모사

#### <협력방안>

##### ○ 질환모사 줄기세포 기반 유전자 교정 원천기술 확보 전략 수립

- 정부의 지속적, 안정적 장기 투자지원을 통한 환자 맞춤형 줄기세포 생산 기술 개발 및 유전자 조작 등을 통한 질환모델링 촉진 및 세계적 경쟁력 향상 도모
- 산업계-학계-정부 간 협력을 통한 전문 연구센터 설립 및 기관별, 연구 분야별 연계·협력 시스템 구축
- 질환 모사 줄기세포 기반 치료법 및 신약 개발을 위한 기초-중개-임상 피드백 시스템의 강화

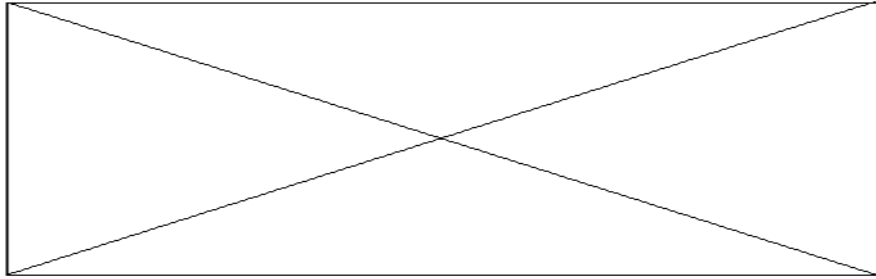
##### ○ 줄기세포 기반 질환모사 연구를 위한 차세대 핵심 연구 인프라 구축 및 실용화 지원

- 정부 차원의 줄기세포 기반 질환모사 기술개발 및 관련 인프라 구축지원을 통한 실용화 촉진 및 관련 시장 점유율 확보방안 마련
- 산업계-학계-정부 간 협력을 도모할 수 있는 거점형 시설마련 등으로 줄기세포 활용한 새로운 시장 개척 및 경쟁력 선점

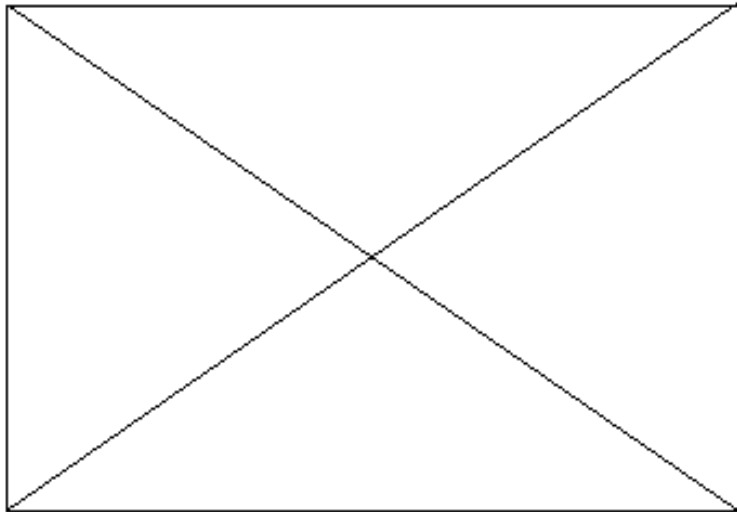
##### ○ 질병모사 세포의 객관적인 유효성 검증을 위한 대외 협력

- 현재 국·내외 인간 줄기세포 유래 질환 모사 세포의 객관적인 유효성 평가를 할 수 있는 기관은 전무한 실정
- 따라서, 본 과제 수행 기관은 도출될 질환 모사 세포의 유효성 검증을 자체로 수행하여 평가 기준을 마련
- 이후 상용화를 위한 시제품 제작하여 본 기술을 필요로 하는 관련 대학, 연구소 및 기업에 시제품을 제공하여 유효성을 검증 받고 활용도에 관한 피드백을 받아 최종 제품화를 위한 평가 기준을 마련하여 최종 제품화하여 상용화 함





- 산·학·연의 유기적 공동 연구를 통한 상용화 맞춤형 연구 수행
  - 기술 개발 단계부터 관련 기업의 적극적 참여로 산·학·연의 유기적 컨소시움을 구성하여 연구 결과물의 효율적인 사업화를 위한 연구 진행



### (7) 위험요인 및 해결방안



### (8) 상용화 전략

#### <기존 상용화 사례>

- Insphero AG사의 질환 모사 세포 플랫폼 상용화
  - Insphero AG사는 스위스의 여러 우수 대학의 세포 생물학 전문가, 디바이스 개발 전문가 및 약물 평가 전문가가 공동 설립하여, 각종 세포의 공동 배양 개발 방법 개발을 통해 간질환, 당뇨병 및 각종 암질환의 질환 모사 3D 모델을 개발
  - 또한, 개발된 질환 모사 세포를 High Throughput Screening할 수 있는 플랫폼 개발을 동시 진행하여, 제약사에서 대량 약물 평가에 적합한 형태로 성공적인 상용화를 완료
- 기타 줄기세포 관련 연구 및 상용화 사례를 바탕으로 전략 구축
  - 줄기세포치료제의 경우 국내에서 상용화된 사례가 있으며 이를 바탕으로 배아

줄기세포 치료제의 임상 진입과 신규 세포치료제 연구가 활성화

- 품목허가 줄기세포 치료제: 하티셀그램-AMI (파미셀, 2011 허가), 카티스 템 (메디포스트, 2012 허가), 큐피스템 (안트로젠, 2012 허가), 뉴로나타-알 (코아스템, 2014 허가)
- 미국 ACT사와 차병원그룹 (차바이오텍)의 전략적 협력관계를 구축→ 미국, 영국, 한국 임상 시험 개시 및 망막색소상피세포의 생착과 시력개선효과 발표 (Lancet, 2011, 2014)
- 세계 최초로 성인 체세포를 이용한 체세포복제 줄기세포를 성과를 창출 (2014.4, 차병원) 하였으나, 국내법상 제약으로 관련 연구를 미국에서 수행
- 줄기세포 연구에는 ‘신선한’ 난자가 필요하지만, 국내에서는 생명윤리법 제 31조 제2항에 따라 폐기될 예정인 난자만 사용 가능
- 현재 동결보존 된 난자 등 5가지 사유만 인정하고 있으나, 현실적으로 연구에 활용할 수 없는 수준 (생명윤리법 시행령 14조)

#### <성공 사례의 시사점>

- 각 분야 전문가들의 협업을 통한 효율적 산업화
  - 원천기술을 개발하여 상용화에 이르기까지 각 분야의 전문가들의 협업을 통한 효율적인 사업화는 시사하는 바가 큼
  - 즉, 기초 연구자들만의 단독 기술 개발이 아닌 기술 개발 초기 단계부터 기업 전문가들이 적극 참여함으로써 상용화를 고려한 기술 개발이 이루어 진다면 과제 수행의 결과 사업화의 시간을 단축할 수 있고, 기술 수요자의 needs를 고려한 기술 개발로 효과적인 상용화를 달성할 수 있음.
- 지속적 임상적 근거창출을 위한 연구 지원 확대
  - 선진 각국은 재생의료를 차세대 전략 산업으로 지정하여 정책적으로 막대한 R&D 연구비를 지원하고 있으며, 제품의 상용화 촉진을 위해 위험도에 기반하는 조건부승인제도와 같은 혁신적인 인허가 제도를 제시
  - 줄기세포 관련 산업, 특히 전 세계적으로 초기 단계인 질환 모사 분야는 차세대 치료 핵심 기술로 주목받고 있으며 향후 선진 각국 사이의 치열한 기술 및 시장 경쟁이 예상
  - 질환 모사 연구에서 국제적 경쟁력을 선점하기 위해 기술 개발을 위한 적극적 투자, 관련 제도과 산업 구조의 선진화 및 글로벌 네트워크 강화를 위한 선제적인 전략이 필요

#### <상용화 전략 수립>

- 지속적 임상적 근거창출을 위한 연구 지원 확대
  - 우수 질환모델 줄기세포 기반 기술, 분화기술 활용 상용화 지원
    - 한국인 특이 질환-특이 세포주 확보를 비롯한 다양한 줄기세포 자원 및 기술의 체계적 확보 및 세포주 상용화 지원
    - 질환 모사 세포 확립 기술의 원천 기술 확대
    - 국내 우수 특허 발굴 및 특허가치 제고를 통한 시장경쟁력 확보 및 산업화 여건 조성 마련
    - 질환모델링 신약개발을 위한 전분화능 줄기세포 유래 특정세포 분화, 대량 생산, 안정적 보관 및 상용화 실현
    - 환자 맞춤형 신약 스크리닝 및 독성 평가 플랫폼 개발
  - 줄기세포 관련 지식·자원의 체계적 확보 및 관리를 위한 기반시설 조성
    - 질환 모사 줄기세포 기반 치료법 및 신약 개발을 위한 기초-중개-임상 피드백 시스템의 강화
    - 줄기세포 기반 질환 모사 연구 및 치료 분야에서의 국제표준화 기준 설정 방안 제안
    - 질환별 또는 공통으로 수행되는 줄기세포 기반 약물의 효능 및 독성 테스트의 지표확립 및 그룹화
    - 환자 맞춤형 신약 스크리닝 및 독성 평가 플랫폼 개발
- 통합적 전략을 통한 Lab to Market 실현
  - 원천 기술개발 결과가 상용화되기 위해서는 “죽음의 계곡 (Death Valley)”과 “다윈의 바다 (Darwinian Sea)”라 불리는 큰 장벽을 극복해야함. 상기 현상은 개발된 원천기술을 기업에 이전하고, 기술을 이전받은 기업에서 해당 기술을 기업에 적용하여 상업화 하는 등에 소요되는 시간 및 투가 비용의 증가에 기인한다 판단됨
  - 따라서, 본 기획 과제의 수행에 있어서는 “선 원천기술 개발 - 후 상용화”의 구분을 두지 않고, 원천기술 개발 단계서부터 기업들의 참여를 활발히 하여 원천기술 개발 기관과 사업화를 위한 기업의 유기적 협력으로 개발될 기술의 상용화까지 매끄러운 진행이 바람직하다 사료됨
  - 이를 위해 원천기술 개발 기관은 줄기세포를 활용한 효과적인 질환 모사 방법 개발 및 도출될 질환 모사 세포의 유효성 검증 연구에 집중하고, 사업화 기업

은 줄기세포 유래 질환 모사 세포의 대량 생산 시스템을 확립하고, 활용 분야 연구에 집중하여 효율적인 업무 분담을 통한 도출될 결과물의 상용화를 계획하고 있음

○ 제품의 마케팅 및 판로확보 전략

- 본 과제의 수행 결과 도출될 줄기세포 유래 질환 모사 세포 및 질환 모사 세포를 활용한 약물 평가 및 질환 연구 플랫폼은 세계적으로 동물실험 대체법 개발 수요 및 정확한 인간 질환 모사라는 장점에 기인해 해당 시장에 빠르게 진입할 수 있을 것으로 사료됨
- 따라서, 개발 초기 단계부터 사업화 가능한 기업들의 참여로 도출될 질환 모사 세포 플랫폼의 공정화를 개발과 동시에 추진하여 빠른 시일 내에 시제품 생산이 가능하게 해야함
- 또한, 본 과제 연구결과와 지적 재산권 확보를 통한 원천 기술 확보를 우선적으로 진행하고, 이와 동시에 연구결과를 논문화하여 시장에 발표
- 이에 더하여 국·내외 대형 바이오 박람회 및 국제 컨퍼런스에 적극적 참여 및 참여 기업을 통한 부스 설치로 도출될 질환모사 세포 플랫폼의 시장 인지도를 높임
- 결론적으로 개발단계부터 기업들의 적극적 참여로 기술 개발부터 상용화까지의 시간을 최소화 하고, 기업들이 기 확보한 마케팅 및 판로 전략을 활용해 빠른 시일에 결과물의 시장 진입이 가능하도록 하는 노력 필요

(9) 기대 및 파급효과

<과학기술적 측면>

□ 인간 질병의 정확한 특성 규명 및 신규 질환 극복 타겟 발굴

- 실험동물 모델을 사용한 인간 질병 연구의 한계점을 극복하고, 인간 시료를 활용한 정확한 인간 질병 규명에 따라 질환을 극복할 수 있는 신규 타겟 발굴하여 저명한 국제 학술지에 논문 게재가 가능하다 판단되며 해당 치료제 개발 관련 후속 연구를 활성화할 수 있음.
- 현재 특별한 치료법이 없는 난치성 유전병 분야에서 질환모델을 구축하고 유전자가위 등을 이용한 치료법 개발을 통해 난치병 환자의 질병 치료에 기여할 수 있을 것이라 예상
- 줄기 세포 분화를 통하여 기존 불가능했던 병리적 특성을 가진 인간 세포 모델 확립이 가능

○ 새로운 질환 모델을 구축을 통하여 난치병 발병 기전 규명 및 맞춤형 치료법 개발 기대

- 유전적 배경이 다양한 질환 특이적 세포주들을 수립하여 유전적 다양성 및 개체차에 따른 약물 평가 및 기전 연구 가능

○ 인간 유전자의 염기서열을 기반으로 한 질환 모사 연구는 임상적 적용이 가능한 치료법 개발이 가능할 것이라 기대

□ 현재 신약 후보 물질 평가 및 신약 개발의 한계점을 극복할 수 있는 대안 제시

- 현재 비임상 단계에서 신약 후보 물질의 효능 평가를 수행하는 실험동물은 약물 대사 효소가 인간의 것과 상이하여, 실험동물로부터 도출된 결과가 임상 시험단계에서 불일치하여 신약 후보 물질의 탈락이 매우 빈번함. 따라서, 인간 질환 모사 세포를 활용한 약물의 평가는 정확한 인간 시료에서의 약물 평가 결과를 도출할 수 있어, 현재 실험동물을 사용한 평가방법의 문제를 극복할 수 있음

- 또한, 질병연구에 있어 실험동물은 유전정보가 인간과 동일하지 않아 정확한 질환 모사가 어려운 한계를 가지고 있으나, 인간의 유전정보를 보유한 인간 줄기세포는 정확한 인간 질병을 모사할 수 있어 실험동물의 유전적 불일치에 의한 질병연구 한계를 극복할 수 있음.

□ 줄기세포 기반 질환 치료 및 관련 기술 확보 및 경쟁력 강화

○ 다양한 질환과 관련 원인에 따른 맞춤형 치료 줄기세포주 구축 및 대량 생산 기술 확보 기대

- 안전성 및 수율을 향상시킬 수 있는 새로운 인간 전분화능 줄기세포를 유도하고 표준화된 세포주 제작 원천기술 개발 기대

○ 줄기세포 기반 신약개발 플랫폼 개발

- 신약개발 과정 중 약물 효능 및 독성 검증에 필요한 특정 분화 세포의 대량 생산 및 자동화 공정을 포함하는 실용화 기술 개발 기대
- 신약개발 과정에서 병리적인 특성을 갖춘 질환 모사 세포의 표현형 중심으로 유효성 확인이 가능

○ 동물 대체 기술 확대에 기여 가능

<사회경제적 측면>

- 난치성 질환 치료를 통한 국민 건강 및 복지 향상
  - 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써, 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현
    - 효율적이며 경제적인 치료법 개발과 산업화로 난치성 질환 환자의 의료비 부담 감소
  - 줄기세포 관련 산업의 활성화에 따른 고용 창출
    - 질환 모사와 관련된 치료 및 신약 개발 인력을 양성하고 관련 산업을 활성화하여 고급 인력 창출과 고용이 확대될 것이라 기대
- 줄기세포 활용 신규 산업 창출 및 수입 대체 효과
  - 현재 높은 기술장벽으로 인해 질환 모사 세포 플랫폼을 사업화한 기업은 스위스의 Insphero AG사가 유일. 따라서, 본 과제의 수행을 통해 도출될 기술이 국내에 사업화 된다면 상용화 관련 인프라가 구축되고, 관련 고용창출은 물론 향후 다가올 동물시험 대체법 시대에 막대한 수입 대체 효과 및 수출 증대효과가 있을 것으로 기대
- 줄기세포 관련 의료 시장 경쟁력 선점 및 관련 산업 활성화
  - 질환 모사는 질환 치료 및 신약 개발 분야 등 고부가가치 산업과 밀접한 기술로서 원천기술 확보 등을 통한 경쟁력 선점 시 막대한 경제적 부가가치 창출 기대
  - 난치질환 치료는 해외 환자의 의료관광 산업 육성 및 관련 산업의 활성화 창출
  - 질환 모델을 기반으로 한 신약개발은 기존 방법을 통해 소요되는 연구기간, 자본 및 인력을 획기적으로 절감하여 신약개발을 효율화할 것이라 기대
- 글로벌 세포기반 분석시장 점유
  - 세계 세포기반 분석시장은 2014년 34억 달러 규모에서 2025년에는 108억 달러 규모로 향후 10년간 약 3배의 시장 규모 증가 전망. 따라서, 증가하는 세계 시장에 발 맞추어 줄기세포 유래 세포를 활용한 세포기반 분석 시장 점유를 통한 막대한 국익 창출이 기대.

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)

## 2-1-3. 대체 독성 평가법 개발

### (1) 기본 개념 및 범위

#### <개념>

- 줄기세포에서 유래된 세포를 바탕으로 저분자 화합물의 체내 독성 평가를 수행할 수 있는 세포 모델을 구축하여 독성 평가 분석 시스템을 확립
  - 신약개발 과정에서 신규 화합물에 대한 신독성, 간독성, 심근독성, 신경 독성과 같은 독성 평가용 세포 확립

#### <범위>

- 줄기세포에서 유래한 세포 기반 독성 평가 모델 구축
  - 신독성, 간독성, 심근독성, 신경 독성 등을 평가할 수 있는 기능성 분화세포 모델 구축으로 초대배양 세포의 제한적 공급의 한계 극복
  - 기존 독성 평가 기준에 부합할 수 있는 독성 평가 지표 발굴 및 독성 평가용 분석 시스템 구축

### (2) 추진 배경 및 필요성

#### <추진 배경>

- 실험동물 규제 강화에 따른 대체 독성 평가법 개발 필요
  - 전 세계적인 “실험동물보호법 강화”
    - 유럽연합 (EU 가입국)은 2004년 화장품 완제품에 대한 동물실험 금지를 시작으로 화장품 원료에 대한 동물실험을 단계적으로 금지하였고, 2013년 3월에는 동물실험이 실시된 화장품의 수입/판매 및 마케팅이 완전 금지되었음.
    - 2006년 크로아티아, 2013년 이스라엘, 인도 역시 화장품 동물실험이 전면 금지되었고, 2014년 3월에는 미국 캘리포니아주 의회에서 화장품 동물 실험 금지 법안이 통과되었음.
    - 화장품 이외에 전 세계적으로 다양한 화합물 평가 및 신약 개발에 있어 동물실험을 대체할 수 있는 세포기반 분석기술의 필요성이 대두되고 있는 실정임

#### ○ 기존 종양세포 기원의 인간 독성평가 세포모델의 한계

- 간독성은 체내에 흡수된 약물들이 간내에 존재하는 다양한 약물대사효소들에 의해 활성화된 중간대사체를 거쳐 친수성의 최종산물로 대사되는 배출되는 해독과정 중에 주로 유발되는 것으로 알려져 있어 신뢰성 있는 간독성평가를 위해서는 인체 내 간세포의 약물대사기능을 정확히 반영하는 실험모델의 개발이 필수적임
- 현재의 간독성평가는 간암세포주 등의 불멸화 세포 및 인간 일차 간세포를 이용한 in vitro assay나 전임상 단계에서 실험동물을 이용한 시험에 의존하고 있으나 신뢰성 있는 독성평가결과를 도출하기에는 제약이 있음.
- 초대배양기술의 발전으로 인간 일차 간세포(primary human hepatocytes)가 in vitro 독성평가에 가장 이상적인 모델로 평가되고 있으나, 샘플 확보가 매우 제한적이며 in vitro 배양에서 인체 내 약물대사기능이 급격히 감소하는 등의 문제점이 지적되고 있음.
- 신경독성은 신경계의 구조적 복잡성으로 인해 행동, 인지 장애 등 전형적인 in vivo 신경독성을 대체할 수 있는 in vitro 모델 개발의 어려움에도 불구하고, 최근 대체독성 평가 기술의 필요성이 증가함에 따라 유럽을 중심으로 in vitro 신경독성 평가 모델 개발이 활발히 연구되고 있음 (Forsby et al., 2009).
- 신경독성 평가를 위한 in vitro 독성 모델로는 primary neuronal cells 및 neuronal cell lines (PC12, SH-SY5Y) 등이 활용되고 있으며, 신경발생을 연구하기 위해 neurosphere 및 neuroprogenitor cell 등이 활용되고 있음 (Coecke et al., 2007).
- in vitro 신경독성 평가는 세포 사멸과 같은 일반적인 세포독성을 기반으로 한 신경독성 평가가 가장 많이 이루어져 왔으며, 최근에는 전기생리학적 활성, 신경전달 물질의 이동, 이온채널의 활성화, 시냅스 생성능 등의 신경세포 기능의 부작용 평가 및 기능 검증 통한 신경 독성평가 기술이 개발 중임 (Bal-Price et al., 2008, 2010)

#### <추진 필요성>

- 신약개발에서 실험동물을 대체할 세포기반분석기술의 필요성 대두
  - 전 세계적으로 연간 약 5억 마리의 실험동물들이 전임상 단계 독성 시험에 사용되며, 국내에서는 약 500만 마리 이상이 약물 시험에 사용됨. 따라서, 약물의 개발 과정에서 후보물질의 검색, 분석 및 평가를 위한 세포기반 생체의 분석 (In vitro assay)기술 개발을 통한 다양한 기초연구, 신약개발 및 약물동력




**(4) 현황 및 개선방안**

**<현황 및 문제점>**

- 줄기세포 활용 대체독성 평가법 수준은 초기단계
  - 현재 국내 연구자들의 iPS 활용 연구수준은 선천병/난치병의 질환모델링을 통한 기전규명 연구에 집중되고 있는 현황임
  - \* 국내 연구그룹들은 해외 연구그룹들에 비해 줄기세포를 이용한 질환모델 구축 및 기전 연구 등 기초연구에 편중, 약물 스크리닝 및 독성평가에 대한 연구는 미비한 실정임
  - 줄기세포를 활용한 독성평가 분야는 기초연구 부분에 국소적 적응중이나 응용 단계 독성평가 분야는 절대적으로 부족한 실정
    - \* 줄기세포 활용 심독성, 간독성, 신장독성, 피부독성 등 독성 연구 분야는 분화기술 구축관련 연구형태로 기초단계에서 연구가 진행 중에 있으나 제약회사에서 개발중인 약물평가 등 응용 연구는 부족한 상태
- 줄기세포 기반 특정세포 분화기술 축적 및 배양증식 노하우 보유
  - \* 일부 국내 연구그룹에서도 유효성평가 및 안전성평가용 특정세포로의 분화기술과

배양증식에 대한 선도적 기술을 보유하고 있음

- 줄기세포활용 독성평가 분야를 활용할 만한 제약산업 부재로 국내 대표 제약회사의 줄기세포 분야의 관심부족 및 투자 기피
  - \* 인간줄기세포 기반 신약개발을 위한 특정 세포 생산 및 표준화 연구개발은 세계적 이나, 이를 활용한 연구는 이론 정립 혹은 아이디어 개발 수준에 머물러 있는 상황으로 제약회사의 물질을 활용한 실용화 연계에 한계를 보이고 있음
- 줄기세포 연구 지원과 인프라가 세포치료제 개발에 집중되어 관련 연구 확장이 제한적
  - 국내 줄기세포 시장은 기업규모가 작은 벤처 및 중소기업이 세포치료제 개발 또는 제대혈 보관 서비스에만 집중하고 있는 실정으로, 기초연구그룹과 제약회사와 협력관계 확대와 같은 다변화 다각화 전략이 필요함.
  - 과기정통부 주도로 2012년부터 줄기세포 기반 약리 독성 질병 모델링 및 약효평가 등의 국책 연구 사업이 진행되었으나, 기초연구의 한계를 보이고 있어 연구 확대 및 국내제약사의 신약개발에 도움이 되는 응용연구로의 확대가 필요함.

**<개선방안>**

- 줄기세포 활용 독성평가 연구 실용화 지원 및 인프라 확충
  - 줄기세포 활용 세포치료제 상용화 지원뿐만 아니라, 독성평가, 약물스크리닝 등 신약개발 관련 과제의 지원 확대를 통해 제약회사의 참여를 고취하고, 줄기세포 연구자들의 참여 확대 유도
  - 줄기세포 기반기술, 분화기술 활용한 독성평가 상용화 지원
    - \* 우수 특허 발굴 및 특허가치 제고를 통한 시장경쟁력 확보 및 제약기업으로의 기술 이전 또는 벤처창업 등을 통한 산업화 여건 조성 마련
    - \* 전문화된 줄기세포 유래 특정세포 분화, 대량생산 및 안정적 보관 기술 및 노하우 확보에 의한 상용화 실현
    - \* 2차원 배양세포 수준에서 3차원 오가노이드 맞춤형 독성평가 시스템 구축 및 표준화 프로그램 개발
  - 줄기세포 관련 지식·자원의 체계적 확보, 관리, 실용화를 위한 기반시설 조성 및 확장
    - \* 줄기세포 기반 신약개발을 위한 중점연구센터 설립에 의한 질환모델 활용 약물 스크리닝 및 국내제약사 발굴물질의 독성평가에 의한 신약개발 지원

- \* 첨단의료 복합단지, 한국화학연구소, 안전성평가 연구소 등 유관연구기관과의 협력 시스템 구축
- \* 인간줄기세포 기반 독성평가 분야에서의 국제표준화 기준 설정 방안 제안
- \* 줄기세포 기반 약물의 효능 및 독성 테스트의 지표확립 및 그룹화
- \* 인간줄기세포 기반 독성평가 지원을 통한 맞춤형 신약 발굴을 통한 부가가치 창출
- \* 인간줄기세포 기반 독성평가 지원을 통한 실험동물 희생의 최소화 및 임상시험 1상 대체 기술 제시

[표] 현황 및 개선방안

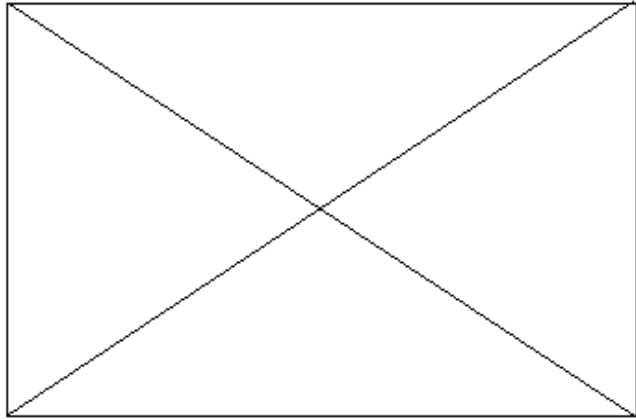
--	--

(5) 연구개발 목표 및 내용






<추진체계도>



- 독성학자, 정부규제 기관, 정치가, 시민단체가 함께 모여 화학물질과 제약에서의 안전성을 개선, 발달하기 위한 국제적인 노력이 점점 증가함에 따라, 여기서 더 나아가 새로운 연구 기술을 이용한 인간 질병 경로 이해를 위해 비동물 시험 발달을 위한 전략이 필요함.
- 새로운 기술로 발전하는 과학 연구, 기존 안전성·위해성 시험 방법의 한계, 인간 질병 규명을 위한 장벽, 동물실험에 대한 윤리적 이슈, 최근 기술을 적용한 과학적 접근과 같은 이유들이 인간과 환경 안전을 위한 비전의 원동력임.
- 이를 이루기 위해 전략적 방향, 예산투자, 정부의 협조, 다양한 산업분야와 전문가를 포함한 과학적 협력이 뒷받침되어야하고, 규제기관과 정부의 협력과 조화가 반드시 필요함.

<협력방안>

- 동물 대체시험 범부처 협력위원회 운영
  - 정부 내 식품의약품안전평가원 산하의 한국동물대체시험검증센터(KoCVAM) 외에 국가 독성물질 관리프로그램 산하의 범부처 대체독성 시험방법 평가센터의 운영.
  - KoCVAM을 통한 동물대체시험법의 활용에 대한 가이드라인 확립 및 범부처 대체독성 시험방법 평가센터를 통해 'in silico' 방식의 컴퓨터 기반 시험 기법 개발.
  - 경제협력개발기구(OECD)와 KoCVAM 및 시험방법 평가센터와의 원활한 소통 및 협력 필요.
- 정부기관, 산업계, 학계 등의 협력
  - 각 기관들이 서로 다른 규정을 갖고 있음에 따라, 각 기관에서 공통으로 사용하는 시험법을 확인하고, 이 시험법이 이용될 수 있는 많은 경우를 검토하는 절차가 필요함.
  - 검토된 시험법을 바탕으로 많은 기관의 요구에 충족하는 동물대체시험 검증 방법을 개발해야 함.
- 21세기 안전성 시험

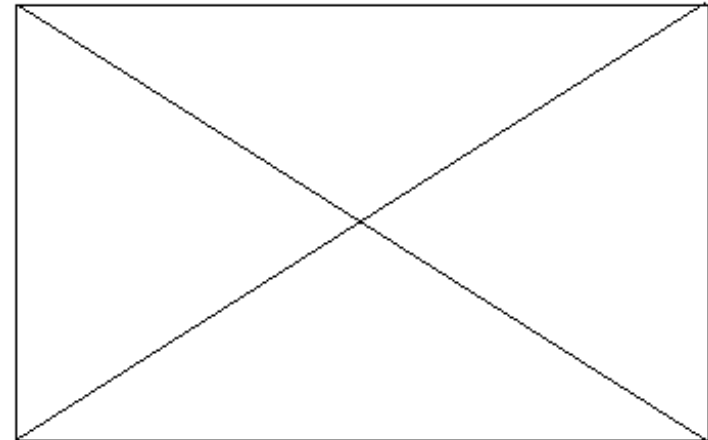
(7) 위험요인 및 해결방안



(8) 상용화 전략

<기존 상용화 사례>

- 줄기세포를 이용한 독성연구 분야는 오랜 기간 기초기술 수준에서 연구가 진행 중이며 응용연구는 부족한 상태임.
- 국내 독성연구의 경우 국가기관의 허가를 위한 실험이 필수적임으로 아직까지 독성 실험 분야에서 줄기세포가 직접적으로 이용된 사례는 전무한 상황임.
- 글로벌 대형 제약회사의 줄기세포 연구사업 진출
- 인간 줄기세포를 이용한 신약 및 독성평가 기술개발 선도 기업: 인간 줄기세포 유래 간, 심근 및 신경세포를 신약 탐색 및 독성평가에 활용 가능한 제품으로 상용화 추진 (그림 XX 과 표 1)



[그림] 글로벌 제약회사 줄기세포 연구동향 ('줄기세포 기반 신약개발 연구동향', 2015, 생명공학정책연구센터)

[표] 인간 줄기세포 기반 신약 및 독성평가 관련 선도기업

구분	기업명	주요 사업	특징

**<성공 사례의 시사점>**

- 줄기세포를 활용하여 기존의 동물시험을 활용한 독성평가를 대체할 수 있는가에 대한 동등성 및 우월성 연구가 최근 진행되고 있음.
  - 이 분야의 연구는 매우 초기단계 수준에 머물러 있는 상황이나 각국의 식약처 등과 같은 규제기관에서는 동물시험을 대체할 수 있는 줄기세포를 활용하는 연구에 대한 관심이 증가되고 있음.
- 줄기세포 기반 독성평가는 실험동물 사용에 대한 윤리적 문제 뿐만 아니라, 실험에 사용되는 동물 개체수와 동물실험에 소모되는 시간, 인력, 연구비용을 절감할 수 있는 혁신적인 시험법으로 판단하고 있고, 글로벌 제약사 및 각국의 주요 연구 기관에서는 원천 기술력을 선점하기 위한 각고의 노력을 기울이고 있음.

**<상용화 전략 수립>**

- 다양한 방법으로 개발되고 있는 줄기세포는 종양 생성, 유전적 변이, 제조 및 투여 방법에 따라 발생할 수 있는 문제점, 면역반응을 야기할 가능성 등 다양한 문제점을 야기할 수 있으므로 이를 개발단계에서 사전에 평가할 수 있는 방안이 반드시 수립되어야 할 것임.
- 인간 만능줄기세포를 이용한 신약 개발 연구의 이용은 신약개발 비임상 연구 분야의 전주기에 이용 가능함.
- 인간 만능줄기세포 및 기능성 세포를 통한 독성평가를 위하여, 충분한 양의 줄기세포를 확보하기 위한 기술 개발이 절실함.
  - 줄기세포 유래 분화세포는 장시간의 세포증식 및 배양기간이 소요되고, 세포배양에 필수적인 상업용 배지 자체가 상당한 고가이며, 생산인력의 한계로 대량생산에 어려움이 있음.
- 인간 만능줄기세포 유래 특정 세포 생산의 비용을 획기적으로 절감할 수 있

는 대량 배양 및 생산 기술을 개발하여야 하며, 세포 생산과정에서 발생할 수 있는 variation을 최소화하고 이를 검증할 수 있는 체계적인 품질관리 방안을 마련하여 우수하고 안정적인 품질의 세포를 생산할 수 있는 기반을 마련해야함

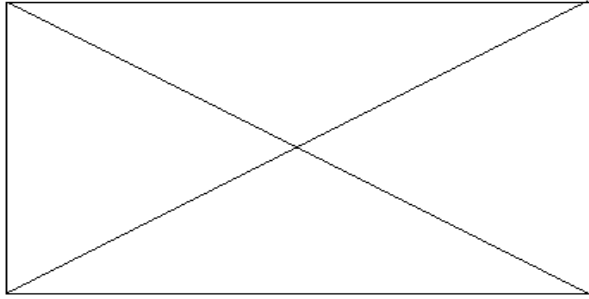
**(9) 기대 및 파급효과**

**<과학기술적 측면>**

- 질환 및 환자 유래의 iPSC 분화 및 체세포의 새로운 분화를 통한 심근/혈관/간세포 분화 기술 기반으로 하는 신약 소재 개발을 통해 이들 질환을 근본적으로 치료할 수 있는 차세대 신약개발의 기초 자료가 될 것임. 기존에 밝혀지고 있는 일련의 신호전달 기작들은 심근/혈관/간질환의 효과적 치료 기술 구축 및 신약 후보 물질 도출에 중요한 자료가 될 것임. 또한 이들 질환을 정확하게 진단하고 치료할 수 있는 새로운 표적들을 제시할 수 있을 것임
- 줄기세포를 이용한 재생의학 치료제의 개발이 가속화됨에 따라 다양한 질병을 대상으로 환자의 면역학적, 병리학적, 유전적 특징을 고려한 최적의 맞춤형 치료가 가능해 질것으로 전망됨.
- 전분화능 줄기세포기반 효능 및 독성평가 시스템을 통해 줄기세포기반 시스템에서의 약물에 대한 독성을 예측하는 데 있어 보다 정확하고 체내에서의 독성 반응을 일관성 있게 관찰하고, 체내 생리와의 관련성이 상당히 높은 결과를 도출해냄으로써 저렴하고 안전성 및 신뢰성이 우수한 의약품개발로 이어 질 수 있을 것으로 예상됨.
- 약물의 독성 분석 및 효력 평가에 사용되는 실험동물의 사용을 최소화 할 수 있는 체외 스크리닝 시스템 구축을 통해 신약개발 연구 분야에 활용 및 방대한 종류의 시험 물질 평가를 용이하게 함으로써, 신약 개발 산업의 새로운 패러다임을 제시 할 수 있을 것으로 기대.

**<사회경제적 측면>**

- 유도만능줄기세포의 활용역역을 크게 3가지로 분류하면, 현재 신약개발 및 독성테스트 활용시장이 가장 큰 비중을 차지할 것으로 전망되고 있음



[그림] 유도만능줄기세포 응용영역별 시장 현황 및 전망(2012~2018, 단위: 백만달러)  
 \*출처: BBC Research-Induced Pluripotent Stem Cells: Global Markets (2014)

- 줄기세포 기반 체외 독성평가 시스템이 개발될 경우, 신약에 대한 독성 검사를 수행하는 능력이 보다 정확하게 되고 이로 인해 보다 안전한 신약을 탐색할 수 있으며, 결과적으로 신약개발을 위한 비용 절감 효과를 통한 저렴하고 안전한 의약품 생산이 가능.
- 바이오산업 분야 중에서도 인간 만능줄기세포를 이용한 의약품 개발은 각 질환의 특이성과 부작용을 고려한 최적의 의약품을 단기간에 선별하여 시기, 효과, 신뢰성을 극대화 할 수 있는 분야인 만큼 미래 선도 산업으로 유망 함
- 줄기세포 기술에 기반 한 신약개발, 독성평가 등 임상개발 효율화는 향후 5~7년 이내에 나타날 것으로 전망되며, 이는 의료 산업에 막대한 영향을 미쳐 임상의학개발 및 신약개발단계 전반에 소요되는 자본과 시간을 절약할 수 있음
- 기능적으로 부작용이 적고 효과가 우수한 고품질의 약물을 짧은 시간 안에 개발함으로써 국민복지 증진은 물론 국가적으로 타 국가와 경쟁 시 신약개발시장의 선점에 큰 도움이 될 것으로 기대됨. 결과적으로 향후 국내 신약개발수준을 향상시킬 수 있는 발판이 마련됨은 물론, 국가의 막대한 보건의료 비용을 절감하여 21세기 재생의학 분야의 수출 및 국제 경쟁력 확보에 큰 역할을 할 것으로 기대됨

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안

2-2-1. 줄기세포 기반 후보약물 탐색 기술

(1) 기본 개념 및 범위

<개념>

- 줄기세포 유래 질환모사 모델 기반 신개념 탐색 기술
  - 기존의 종양세포 또는 질병 표적 단백질을 대상으로 하는 저분자화합물 탐색법의 한계를 극복하고, 질환 모사 세포의 병리학적 세포 특성을 대상으로 하는 세포 표현형 중심의 신약 후보 물질의 탐색 및 유효성 평가 기술

<범위>

- 줄기세포 활용 후보 약물 탐색 기술
  - 현재 활발히 연구되고 있는 줄기세포 기반 질환모사 세포 모델을 기반으로 질환의 병리적 특성을 개선할 수 있는 약물을 탐색하는 기술로, 기존의 종양세포 모델 또는 표적 단백질의 효소 활성 또는 단백질 결합능에 대한 High throughput screening 의 한계를 벗어나, 질환 모사세포의 병리적 특성 (phenotype)의 개선을 확인하여, 약물의 유효성을 탐색이 가능하도록 플랫폼을 구축하는 연구
- 신약개발단계 물질의 유효성 평가 기술
  - 구축된 줄기세포 질환 모사 세포의 병리적 특성 또는 기능적 특성을 유추할 수 있는 바이오마커를 발굴하고, 발굴된 바이오마커를 고속 탐색할 수 있는 reporter, 형광 probe, 생화학적 시험법을 개발하여, 세포 기능 개선이라는 content를 고속 탐색하여 신약개발단계 물질의 유효성을 평가할 수 기술 연구
  - 발굴된 신약개발단계 물질을 줄기세포 유래 질환모델 세포에 적용하여 기능 개선 등의 유효성을 검증하는 기술 연구
- 적응증 확대 (drug repositioning)의 신약 개발 기술
  - 시장에서의 이미 판매중이거나 임상단계에서 안전성 이외의 이유로 산업화 실패한 약물들의 새로운 의학적 용도 개발하는 신약 개발에 활용 할 수 있는 연구
- 첨단 생물학적 정보에 기반한 새로운 개념의 적응증 확대에 적용하는 기술 연구
  - 최근 각광을 받고 있는 AI/Big data 기반 약물 탐색 연구를 통해, 질환 모사

세포의 유전체, 단백질, 대사체 등의 생물 정보 데이터를 수집하여, Large-scale 의 유전체, 약물-유전체, 화합물 Big data를 대상으로 정보통신 기술과 바이오기술을 융합한 Bioinformatics 기술을 활용하여 수집된 생물 정보 데이터를 분석, 평가하여 질환 표적, 후보 약물, 약물에 대한 반응성을 예측하는 기술

(2) 추진 배경 및 필요성

<추진 배경>

- 사회적 변화에 따른 신약개발의 중요성
  - 인구증가 및 고령화 사회로의 변화에 따른 질병의 다양화 현상이 나타나면서, 지금보다 정확하게 질병을 예측하고, 질병으로부터의 해방과 같은 건강한 삶에 대한 욕구가 증가함
  - 제약산업은 국민소득의 증가에 따라 삶의 질 향상을 위해 필수적인 기술 집약적·고부가가치의 선진국형 산업이며, 미래의 주요 산업인 바이오산업 중 의약산업이 차지하는 비율은 90% 이상임.
  - 의약산업의 경우 이익률이 15%에 다다른 최고의 부가가치 산업이나, 지난 10년간 의약품 후보물질의 품목승인 성공률이 계속 낮아지고 있으며, 특히 임상 3상 또는 허가 후, 부작용 및 독성에 의한 약물의 실패는 막대한 시간 및 비용의 손실을 유발하기 때문에 기존의 신약개발 연구의 패러다임의 변화가 요구되고 있음

<추진 필요성>

- 질환모사 줄기세포를 활용한 신약개발 연구의 새로운 패러다임
  - 신약개발에 필요한 다양한 특정세포 분화유도 기술 및 고순도 분리기술 개발로 신약개발 가능성 고조
  - \* 배아줄기세포 또는 리프로그래밍 기술을 활용한 전분화능 줄기세포 유래 간, 심근 및 신경세포로의 고효율 생산기술 개발로 신약개발에 이용가능성 고조
  - 특정 질환 표현형 줄기세포 제작기술 개발로 Disease-in-a-dish 가능하여, 기존에 불가능한 질환 모사 또는 세포 모델이 가능하기 때문에 다수 거대제약사의 줄기세포 기반 신약개발 사업에 직·간접적인 투자가 활발하며 신약개발용 특정세포의 상용화 실현
  - 기존 신약개발의 과정에서 유효 물질의 탐색에 대한 한계성을 극복할 수 있는

대안으로 줄기세포 활용가능하여, 기존의 종양 세포주 또는 동물을 이용한 실험 후보물질 안전성에 소요되는 시간 및 경비 감소

- 대상 세포 기능을 회복시킬 수 있는 Content screening 이 가능해 짐.

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

- 기초 및 재생의학 중심의 줄기세포 연구로 신약개발 연구 미흡한 실정
  - 질환 특이 세포를 확보, 신약개발 프로세스에 이용하기 위한 연구는 국내 일부 소수 기관에서만 진행하고 있는 실정
  - 질환모사 기술과 연계된 신약 개발로 임상 진입한 사례는 전무한 실정이나, 최근 한국생명공학연구원, KAIST, 연세대, 차의과대, 대구침묵 신약개발지원센터 등에서 저분자 화합물의 스크리닝 및 유효성을 검증하는 수준임
  - 질환모사 줄기세포를 활용한 전임상 후보물질의 유효성 검증 연구로 현재 1종 물질이 임상시험 계획 중에 있음
  - 국내 제약회사 종근당에서 헌팅턴병 치료제로 개발한 CKD-504의 유효성 검증을 환자유래 줄기세포를 활용한 질환모델로 차의대 송지환 교수팀에서 수행, 현재 헌팅턴병 치료제로 국내 임상시험 1상 중 및 미국 임상1상 시험 계획 중에 있음
  - 국가줄기세포은행 중심으로 줄기세포 자원을 확보하고 있으나, 신약개발 연구자들을 위한 줄기세포주 및 정보 제공 역할이 부족한 상황임
  - 국내 줄기세포 연구분야에서는 기전 관련 기초연구나 난치병 질환치료를 위한 재생의학연구에 편중되어 있으며, 무엇보다 줄기세포 유래 분화세포를 이용한 신약 스크리닝 및 독성평가 연구를 선도할 글로벌 경쟁 연구 클러스터가 형성되지 않음
  - 국가 차원에서 전 세계적으로 급성장하는 줄기세포 기반 신약개발 시장에 발맞춰 갈 수 있는 규제완화와 연구지원이 필요한 상황임.
- 국내 연구 그룹
  - 세계 상용화된 줄기세포 치료제 7종 중 4종이 한국기업의 제품, 줄기세포 임상연구 세계 2위 수준, 하지만 줄기세포 기반 신약개발 연구를 선도하는 기업은 전무한 수준이나 최근 국내 줄기세포 벤처인 넥셀에서 신약개발 및 독성평가용 인간 유도만능줄기세포 유래 심근세포, 간세포, 신경세포를 상용화

하였으며, 비임상대행업체인 바이오톡스텍과 인간유래 줄기세포를 이용한 치료제 개발과 독성시험 공동연구를 위한 전략적 제휴를 하였음

- 과학기술정보통신부는 2018년 신규 바이오 의료기술개발 사업에서 줄기세포 유래 오가노이드를 활용한 생체모사체 기반 질환모델링 및 신약 유효성 평가 플랫폼 기술 개발 사업을 진행 중임

#### <국외>

- 신약 개발에서 줄기세포가 연구에 활발하게 이용되고 있는 추세
  - 스크리닝, 질환모델 생산, 독성 검사, 세포치료제 연구 등에 활발하게 응용되고 있음
  - 질환모사 줄기세포를 활용한 임상/승인 약물의 적응증 확대에 의한 신약재창출 및 전임상 후보물질의 유효성 검증 연구로 현재 3종 물질이 임상시험 진입하였음
    - 하버드대학 줄기세포연구소와 다국적 제약회사 GSK의 공동연구로 간질치료제로 FDA 승인받은 화합물 신약인 Ezogabine을 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 ALS (루게릭병)에 효과가 있음을 검증, 현재 루게릭병 치료제로 임상2상 시험 중에 있음
    - 다국적 제약회사 Roche는 PTC therapeutics, SMA Foundation과 공동연구로 SMA (척수성 근위축증) 치료제 개발을 위해 PTC therapeutics의 20만개 라이브러리를 스크리닝, 복용 가능한 화합물 신약인 RG7800을 환자유래 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 SMA에 효과가 있음을 검증, 현재 같은 약물효능을 보이는 RG7916 화합물로 SMA 치료 임상2상 시험 중에 있음
    - 다국적 제약회사 BMS는 운동장애인 진행성핵상마비 질환 (Progressive Supranuclear Palsy, PSP) 치료제로 개발한 항체신약 BMS-986168로 환자 유래 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 진행성핵상마비에 효과가 있음을 검증, 현재 주사제로 임상2상 시험 중에 있음
- 줄기세포 기반 신약 개발 연구의 최신 동향
  - 2009년 Nature 지에 발표된 Svendsen 박사 연구팀은 Spinal muscular atrophy (SMA) 환자로부터 유도만능줄기세포를 구축하고, motor neuron으로 분화하여, 환자 유래 motor neuron 세포를 바탕으로 Survival of motor neuron (SMN) 단백질을 증가를 유도하는 화합물을 스크리닝 하여, motor neuron의 장기간 생존을 유도할 수 있는 저분자 화합물을 발굴하였음.
  - 2014년 Nature 지에 발표된 Noriyuki Tsumaki 박사 연구팀의 논문은

'Achondroplasia: ACH'라는 skeletal dysplasia 질환의 환자로부터 유도만능줄기세포를 구축하고, 연골 세포 분화 촉진 화합물을 탐색하여, 고지혈증 치료제로 널리 사용되는 STATIN 계열 약물의 ACH 환자 유도 만능줄기세포의 연골 세포 분화를 촉진함을 규명하였음.

- 최근 인간만능줄기세포 유래 뇌신경줄기세포를 모델로 뇌신경줄기세포 유래 fetal-like organoid를 구축하고, FDA 에 승인된 약물 library를 high content screening 하여, Zika virus 의 감염을 억제하는 2종의 후보 약물을 발굴하였음 (Zhou T et al, Cell Stem Cell 2017).
- 알츠하이머 환자 유래 유도만능줄기세포에서 분화된 뇌신경세포를 모델로 FDA 에 승인된 약물 library를 high content screening 하여, amyloid beta 축적을 억제할 수 있는 약물조합을 확인하였음 (Kondo T et.al., Cell Reports, 2017).

○ Big data 분석을 통한 후보약물 도출 연구

- 미국 Broad Institute는 세포주에 약물을 처리한 후 전체 유전자 발현을 측정된 대규모 약물에 의해 유도된 전사체 데이터를 생산하여 이를 공개하고 있음. 화합물(약물)을 처리한 전사체 프로파일, 즉, 약물-전사체 데이터는 약물 작용 기전에 대한 오믹스 수준의 포괄적이고 통합적인 정보를 제공함.
- 2015년 Dr. van Leeuwen 박사 연구팀에서 간엽줄기세포를 모델로 골분화를 촉진할 수 있는 후보 약물을 약물-유전체 데이터 분석을 통해 발굴하고, PNAS에 발표하였음.

○ 글로벌 제약회사의 줄기세포연구사업 적극진출

- Pfizer는 Novocell과, GE Healthcare는 Geron과 각각 줄기세포를 신약 스크리닝에 사용하기로 계약 체결(2008)
- Merck는 줄기세포 실험물 개발을 위한 세레노 인수계획 발표(2009)
- Novartis는 신약개발 초기단계에 신약후보물질 검색을 위해 Epistem의 줄기세포주 이용 관련 계약 체결(2009)
- Roche는 Harvard 대학 및 Massachusetts 종합병원과 2,000만 달러에 달하는 계약을 체결, 인간 줄기세포주기반의 질환세포모델을 개발해 신약후보물질의 효과, 안전성 및 독성 등을 조사하기로 계획(2010)

○ 적응증 확대 (drug repositioning )을 통한 신약 개발 연구

- Celgene사는 1957년 임산부의 입덧 완화를 위해 출시되었다가 기형아 출산 등의 부작용으로 1961년에 시장에서 퇴출되었던 탈리도마이드를, 작용

기전을 기반으로 다발성 골수종 및 나병치료제로 1998년 FDA 허가 받아 현재까지 사용 중임

- Forest Laboratories와 Cypress Bioscience사는 항우울제로 개발 중이던 밀나시프란을 섬유조직염 치료제로 전환 개발하였음
- Pfizer는 협심증과 고혈압치료제로 개발 중이던 실데나필과 미녹시딜을 각각 발기부전치료제와 대머리치료제로 적응증을 전환하여 개발함으로써 새로운 blue ocean형 치료제 시장을 개척하였음
- Lilly는 항우울증제, 항바이러스제, 유방암치료제로 개발한 돌록세틴, 켄시타빈, 탈록시펜을 요실금치료제, 항암제, 골다공증치료제로 각각 새롭게 허가를 받았으며, GSK의 경우는 항우울증제로 개발한 부프로피온을 금연보조제로 새롭게 개발하였음
- 적응증 확대는 새로운 약물의 적응증을 발굴해 냄으로써 기존약물의 유용성과 시장을 확대라는 차원에서 매우 유용한 전략임. 현재 미국과 일본을 비롯한 선진국에서 적응증 확대 기술은 신약개발의 비용적 효율성이란 측면에서 각광을 받고 있으며, 이에 대한 투자도 증가하는 추세에 있음. Pharma 2012에 의하면 2010년 제약회사의 전체 연구개발비는 674억 달러로 추정되며, 이중 약 40%인 200-250억 달러 정도가 repositioning에 투자된 금액으로 추정됨.

**(4) 현황 및 개선방안**

**<현황 및 문제점>**

- 줄기세포 연구 지원과 인프라가 세포치료제 개발에 집중되어 관련 연구 확장이 제한적
  - 국내 줄기세포 시장의 변화가 필요한 시점으로 기업규모가 작은 벤처 및 중소기업이 세포치료제 개발 또는 제대혈 보관 서비스에만 집중하고 있어, 제약회사와 협력관계 확대와 같은 다변화 다각화 전략이 필요함.
  - 과기정통부 주도로 '12년부터 줄기세포 기반 약리 독성 질병 모델링 및 약효 평가등의 국책 연구 사업이 진행되었으나, 연구 확대가 필요함.
- 줄기세포 기반 신약개발은 출발기 수준
  - 국내 다능성 줄기세포 연구 분야에서는 기전 관련 기초연구나 난치병 질환 치료를 위한 재생의학연구에 집중
  - \* 특히 해외 연구 그룹들에 비해 줄기세포-유래 분화세포를 이용한 신약 스크리닝



- 및 독성평가에 대한 연구는 미비
- \* 신약 유효성 평가에 비해 상대적으로 독성 연구 분야는 기초·기반 기술 개발 단계에서 연구가 진행 중이나 응용 연구는 부족한 상태
- 줄기세포 기반 기술 축적 및 신약개발을 위한 분화 기술 보유
- \* 국내 연구팀에서도 약효검색 및 독성평가용 특정세포로의 분화기술과 배양증식 기술을 확보한 것으로 판단
- \* 질환 발생기전의 원인 규명 및 신약개발을 위해 필수적인 줄기세포 유래 분화세포를 이용한 질환 표현형의 연구는 극히 제한적으로 수행중
- 질환모델링 분야를 활용할 만한 제약산업 부재로 국내 대표 제약회사의 줄기세포 분야의 관심부족 및 투자 기피
- 인간 줄기세포 기반 신약개발을 위한 특정 세포 생산 및 실용화 수준의 표준화 연구개발은 세계적이나, 이를 활용한 연구는 이론 정립 혹은 아이디어 개발 수준에 머물러 있는 상황임

<개선방안>

- 실용화 지원 및 인프라 확충
- 줄기세포 세포치료제 상용화 지원 뿐만 아니라 신약개발 관련 과제의 지원 확대를 통해 제약회사의 참여를 고취하고, 줄기세포 연구자들의 참여 확대 유도
- 우수 질환모델 줄기세포 기반 기술, 분화기술 활용 상용화 지원
- \* 국내 우수 특허 발굴 및 특허가치 제고를 통한 시장경쟁력 확보 및 산업화 여건 조성 마련
- \* 질환모델링 신약개발을 위한 전분화능 줄기세포 유래 특정세포 분화, 대량생산, 안정적 보관 및 상용화 실현
- \* 질환별 맞춤형 신약 스크리닝 및 독성평가 표준화 프로그램 개발
- 줄기세포 관련 지식·자원의 체계적 확보 및 관리를 위한 기반시설 조성
- \* 질환모델 줄기세포 기반 신약개발을 위한 중점연구센터 설립 및 첨단의료 복합단지, 한국화학연구소, 파스퇴르 연구소 등 유관연구기관과의 협력 시스템 구축
- \* 줄기세포 기반 질환모델링 분야에서의 국제표준화 기준 설정 방안 제안
- \* 질환별 또는 공통으로 수행되는 줄기세포 기반 약물의 효능 및 독성 테스트의 지표확립 및 그룹화
- \* 줄기세포 기반의 개인 맞춤형 신약 발굴을 통한 부가가치 창출

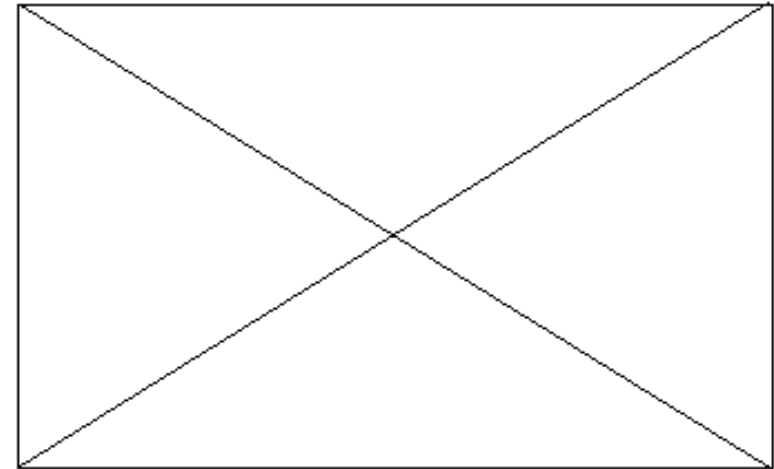
[표] 현황 및 개선방안

--	--




(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

<추진체계도>



<협력방안>

- 국내에서 축적된 줄기세포 우수 연구역량을 바탕으로 질환모델 줄기세포 기반 신약개발 원천기술 확보 전략 수립
  - 정부의 안정적 중장기 투자지원을 통한 개인맞춤형 줄기세포 생산 기술 개발 및 유전자 조작 등을 통한 질환모델링 촉진 및 글로벌 경쟁력 향상 도모
  - 다년간의 세포치료제 개발 연구로 축적된 줄기세포 분화 모델 연구 전문가의 협업을 통한 질환 모사 세포 모델 구축 연구 확대
- 줄기세포 기반 질환모델링 연구를 위한 핵심 연구 인프라 구축 실용화 지원 및 인프라 확충
  - 줄기세포 기반 질환모델링 기술개발 및 관련 인프라 구축지원을 통한 실용화 촉진 및 관련 시장 점유율 확보방안 마련
  - 전문 연구센터 설립 및 기관별·연구분야별 연계·협력 시스템 구축

(7) 위험요인 및 해결방안



(8) 상용화 전략

<기존 상용화 사례>

- 기존 신약개발 과정시 과기부 지원에 의한 다수의 후보물질 도출이 복지부와 범부처의 전임상/임상단계 프로그램으로 활용된 사례가 있으며, 임상단계에서 해외에 기술이전된 사례가 있음
- (국내) 질환모사 줄기세포를 활용한 전임상 후보물질의 유효성 검증 연구로 현재 1종 물질이 임상시험 계획중에 있음
  - 국내 제약회사 종근당에서 헌팅턴병 치료제로 개발한 CKD-504의 유효성 검증을 환자유래 줄기세포를 활용한 질환모델로 차의대 송지환 교수팀에서 수행, 현재 헌팅턴병 치료제로 미국 임상1상 시험 계획 중에 있음
  - 최근 국내 줄기세포 벤처인 넥셀에서 신약개발 및 독성평가용 인간 유도만능줄기세포 유래 심근세포, 간세포, 신경세포를 상용화 하였으며, 비임상대행업체인 바이오톡스텍과 인간유래 줄기세포를 이용한 치료제 개발과 독성시험 공동연구를 위한 전략적 제휴를 하였음
- (국제) 질환모사 줄기세포를 활용한 임상/승인 약물의 적응증 확대에 의한 신약재창출 및 전임상 후보물질의 유효성 검증 연구로 현재 3종 물질이 임상시험 진입하였음
  - 하버드대학 줄기세포연구소와 다국적 제약회사 GSK의 공동연구로 간질치료제로 FDA 승인받은 화합물 신약인 Ezogabine을 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 ALS (루게릭병)에 효과가 있음을 검증, 현재 루게릭병 치료제로 임상2상 시험 중에 있음
  - 다국적 제약회사 Roche는 PTC therapeutics, SMA Foundation과 공동연구로 SMA (척수성 근위축증) 치료제 개발을 위해 PTC therapeutics의 20만 개 라이브러리를 스크리닝, 복용 가능한 화합물 신약인 RG7800을 환자유래 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 SMA에 효과가 있음을 검증, 현재 같은 약물효능을 보이는 RG7916 화합물로 SMA 치료 임상2상 시험 중에 있음
  - 다국적 제약회사 BMS는 운동장애인 진행성핵상마비 질환 (Progressive Supranuclear Palsy, PSP) 치료제로 개발한 항체신약 BMS-986168로 환자유래 줄기세포를 활용한 약물의 유효성평가를 통해 진행성핵상마비에 효과가 있음을 검증, 현재 주사제로 임상2상 시험 중에 있음

### <성공 사례의 시사점>

- 안전성이 검증된 임상/승인 물질의 적응증 확대 발굴은 전임상/임상1상 시험 없이 임상2상 시험으로 연계되어 신규질환에 대한 신약재창출의 기회가 있음
- 제약회사에서 개발중인 후보 약물의 유효성을 확인할 수 있는 줄기세포 모델의 광범위한 구축으로 상용화 의지가 있는 제약회사의 적극적인 참여가 후보물질 발굴 및 시스템 개발에 필수적임

### <상용화 전략 수립>

- 줄기세포 질환모델 활용 스크리닝 전담기관을 구축하고 국내 산학연 줄기세포 연구자와 공동 활용에 의한 후보물질 도출 가속화
- 국내 산학연의 후보물질/임상물질을 수집하여 라이브러리를 구축, 이를 활용한 스크리닝 및 약물재배치를 통한 후보물질의 국내 제약사에 파이프라인 제공 또는 병원연계 연구자주도 임상시험 후 국내외 빅파마에 기술이전 가능

## (9) 기대 및 파급효과

### <과학기술적 측면>

- 현재 신약 후보 물질 평가 및 신약 개발의 한계점을 극복할 수 있는 대안 제시
  - 현재 비임상 단계에서 신약 후보 물질의 효능 평가를 수행하는 실험동물은 약물 대사 효소가 인간의 것과 상이하어, 실험동물로부터 도출된 결과가 임상 시험단계에서 불일치하여 신약 후보 물질의 탈락이 매우 빈번함. 따라서, 인간 질환 모사 세포를 활용한 약물의 평가는 정확한 인간 시료에서의 약물 평가 결과를 도출할 수 있어, 현재 실험동물을 사용한 평가방법의 문제를 극복할 수 있음
  - 신약개발 과정 중 약물 효능 및 독성 검증에 필요한 특정 분화 세포의 대량 생산 및 자동화 공정을 포함하는 실용화 기술 개발 기대
  - 신약개발 과정에서 병리적인 특성을 갖춘 질환 모사 세포의 표현형 중심으로 유효성 확인이 가능

### <사회경제적 측면>

- 신약 개발 산업 분야의 새로운 패러다임 제시
  - 약물의 약리활성 및 독성 평가에 사용되는 실험동물의 사용을 최소화 할

수 있는 체외 스크리닝 시스템 구축을 통해 전임상과정이 최소화되고, high-throughput 신약개발을 가능하게 할 것으로 보임. 결과적으로 신약개발 비용을 혁신적으로 절감하여 신약 개발 산업 분야에 새로운 패러다임을 제시할 수 있을 것으로 기대함

- 난치성 질환 치료를 통한 국민 건강 및 복지 향상
  - 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써, 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현 및 효율적이며 경제적인 치료법 개발과 산업화로 난치성 질환 환자의 의료비 부담 감소
- 줄기세포 관련 산업의 활성화에 따른 고용 창출
  - 질환 모사와 관련된 치료 및 신약 개발 인력을 양성하고 관련 산업을 활성화하여 고급 인력 창출과 고용이 확대될 것이라 기대
- 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위 선점
  - 다양한 난치성 질환 유래의 세포를 이용해 구축한 질환 모사 오가노이드를 활용해, 체내에서 발생하는 난치성 질환 특이적인 질환표현형을 높은 신뢰도로 재현하고 이를 이용한 다각도의 접근이 가능하게 될 것임. 이러한 기초 데이터를 종합하여 보다 경제적이고 뛰어난 약리활성이 보장된 치료제 개발을 위한 실용적인 차세대 지식창출형 데이터베이스가 구축될 수 있을 것으로 봄
  - 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위를 바탕으로 해외 제약사들과의 국제적 교류 및 거래 확산, 이를 통한 국내 제약 시장산업의 경제적 규모 향상 등의 경제적 파급효과를 거둘 수 있을 것으로 사료됨

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



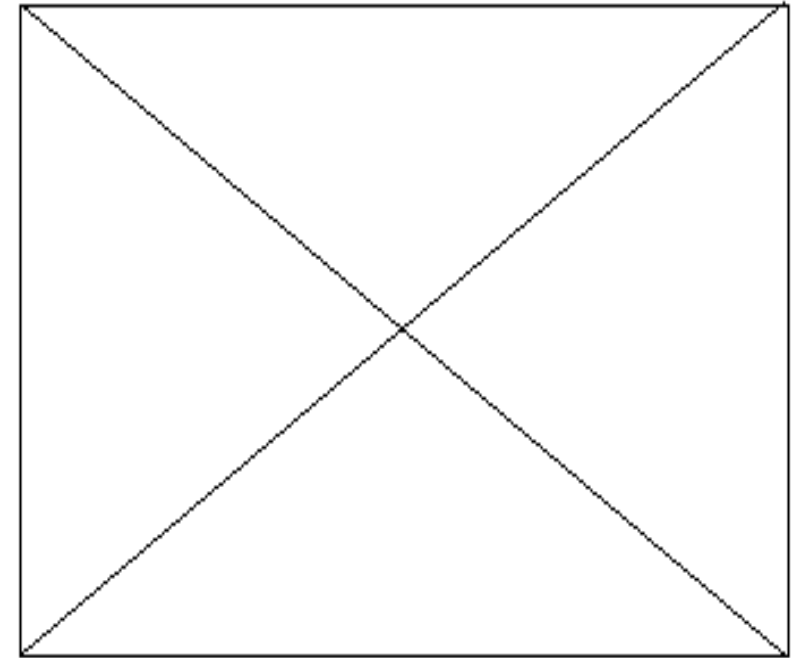
(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안

2-3-1. 오가노이드 제작기술 고도화/성숙화 기술

(1) 기본 개념 및 범위

<개념>

- 오가노이드는 줄기세포를 3차원적 배양법으로 응집 및 재조합하여 만든 장기 특이적 세포집합체로, 단순한 3차원 배양법으로 생산된 세포응집체 (spheroid)와 달리 모델장기 특이적 세포를 두 가지 이상 포함하고, 유사한 구조로 조직화 및 기능화 되어있는 인공 유사장기임
- 오가노이드는 실제 장기의 구조와 기능이 일부 유사하여 오가노이드 (organoid)라고 불리며, 세포를 삼차원 배양법을 통해 응집, 재조합시킨 세포 집합체를 의미함
- ‘실제 장기의 구조와 기능을 일부 닮았다’는 의미로서 오가노이드 개념이 도입된 이후 장기의 특이적 세포조합, 장기가 지닌 특정 공간적 분포를 통한 기능 재현, 실제 장기와 유사한 형태로 공간적 조직화가 가능함
- 배아줄기세포, 유도만능줄기세포 또는 성체 줄기세포에서 파생되며, 스스로 재생 및 분화가 가능하여 3차원으로 자가조직화 할 수 있음
- Kanaster와 Knoblich의 정의에 따르면 오가노이드는 1) 모델로 하는 장기의 최소한 하나 이상의 세포종을 가지고 있어야 하고, 2) 특정 장기에 특화된 기능을 보여주어야 하며, 3) 세포들은 일부분에서 장기와 유사한 형태로 조합되어야 함
- 이에 따르면 오가노이드 내의 세포들은 단순한 세포들의 집합이 아니라 계통을 이루고 있다는 점에서 스페로이드와 큰 차이점을 보여줌
- 오가노이드는 모델로 하는 장기에 따라 다양한 조제 방법이 적용되지만, 만능 줄기세포나 조직의 전구세포로부터 시작하여 분화하고 공간적으로 분류되고 계층을 이루는 과정을 거쳐 형성되는데, 실제 생체 내에서 장기가 형성되는 과정과 매우 유사함
- 오가노이드는 기존의 수행되고 있는 단층세포배양법에 기반한 연구시스템의 한계점을 극복하고, 체내 조직 수준의 환경조건을 반영한 새로운 연구 시스템임. 실제 조직의 구조적, 생리학적, 기능적 특성을 체외에서 높은 수준으로 재현할 수 있는 유망한 기술로 평가받고 있으며, 지속적인 연구 및 개발가능성이 큰 줄기세포 분화기술로 주목받고 있음



[그림] 오가노이드 제작 및 응용분야

<범위>

- 세포 유래별 줄기세포주 수립 등 줄기세포 확보에서 재생의료, 융합산업 등 줄기세포의 활용으로 연구 패러다임 전환
- 줄기세포는 인체모사 가능성을 보유한 혁신적 연구 재료로써 질환기전 규명, 신약 후보물질 스크리닝 등에 활용 확대
- 줄기세포 기반의 질환모델링 기술을 활용하여 기존의 동물모델 수준에서 인간모델 수준으로 생명현상 연구
- 2D/세포 수준에서 3D/장기 수준으로 연구 범위가 확대되면서 신약개발·재생의료 분야 응용 가능성 확대
- 줄기세포를 이용한 3차원 구조의 미니 오가노이드 제작 성과가 증가하는 등 신약개발 응용, 재생치료 활용가치 상승
- 2차원 세포조직 대비 신약 안전성, 성능 시험에 훨씬 효과적이며 장기대체 등 치료용 활용 가치가 높게 평가되면서 관련 연구가 더욱 활발해지는 추세

- 조직공학과 줄기세포를 접목한 인공조직 개발이 주목받으면서 향후 조직장기 수준의 이식용 오가노이드 개발 기대
- 생명과학 및 헬스케어에서 줄기세포 연구재료에 대한 범용적 사용이 증가함에 따라 줄기세포 서비스 산업화 확대
  - 줄기세포 연구개발 요소(세포주, 배지, 배양용기, 자동화 장비 등) 및 서비스 산업에 대한 산업수요가 높아질 전망
  - 미국 Cellular Dynamics International (CDI)사는 리프로그래밍 기술을 활용한 세포주 제작 및 분화세포 판매로 2014년 이후 연간 1700만 달러 이상의 매출을 기록하고 있으며, 나스닥에 상장, 일본 후지필름은 재생의료 사업 확대를 위해 CDI를 3.7억 달러에 인수함
- 오가노이드 활용을 위해서는 모델장기 특이적 오가노이드 생산기술의 확보, 해당 모델장기의 구조, 생리, 기능적 특성을 보다 높은 수준으로 재현할 수 있도록 분화시키는 성숙화 기술의 확립, 오가노이드 생산 가속화 및 대량생산 기술 개발을 통한 실용화 연구, 암 치료제 발굴을 위한 암조직 유래 오가노이드 생산기술 개발, 최종적으로 질환모사 및 신약개발 플랫폼의 개발로 이어지는 순차적 연구개발이 필요함
- 오가노이드 성숙화 기술 개발
  - 높은 정확도 및 신뢰도가 확보된 질환모사 및 신약개발 시스템을 확립하기 위해서는 실제 장기의 구조, 생리학적 특성 및 기능성을 매우 높은 수준으로 모사할 수 있는 성숙화 오가노이드 생산기술의 개발이 선결되어야 함
  - 다양한 장기특이적 오가노이드 생산기술 개발
    - 전능성 줄기세포는 분화조건에 따라 여러 모델장기 특이적인 오가노이드로 유도될 수 있음. 현재까지 폐, 위, 간, 유선, 소화관, 체장, 뇌 등 여러 모델장기 특이적 오가노이드 생산 연구가 보고 되었음. 추후 해당 장기의 전반적인 특성 뿐 아니라 각 장기의 세부 부위를 고순도로 모사할 수 있는 부위특이적 오가노이드 생산기술의 개발이 필요함
    - 기존의 오가노이드 기술은 해당 장기의 구조 및 단순한 생리학 특성만을 모사할 수 있었음. 다양한 장기특이적 오가노이드의 성숙화 기술을 개발함으로써 실제 장기의 기능성 및 미세환경을 재현할 수 있는 고기능성 오가노이드 생산기술을 확립해야함
  - 분화과정 제어기술을 통한 성숙화

- 전능성줄기세포의 분화를 통해 장기특이적 오가노이드를 생산하는 과정은 고도로 세분화된 제어가 필수적임. 엄격히 제어되지 않은 유도 과정은 모델장기 외의 다른 장기 조직이 비균질하게 관찰되는 미성숙한 구조를 나타내며 재현성, 생성 효율성을 저하함.
- 고도로 세분화된 장기 분화과정 제어기술 개발을 위해서는 모델 장기의 분화기전이 정확히 규명되어야 하고, 이를 기반으로 정밀한 분화과정 제어가 필수적임
- 체내 미세환경 조성을 통한 성숙화
  - 실제 장기는 발생 중에 인접한 주변 조직과의 유기적인 상호작용을 통해 발달 되지만, 기존의 오가노이드 생산기술은 이러한 유기적인 상호작용을 반영하지 못하는 한계점이 있음. 따라서 분화과정 중 필요한 체내 미세환경의 부재로 인해 불완전한 구조 및 기능성을 보임.
  - 특정 세포와의 공배양, 다른 장기 특이적 오가노이드와의 공배양, 오가노이드내 혈관 생성화 등 체내 미세환경을 반영하기 위한 다양한 기술개발이 필수적임
- 오가노이드 실용화 기술 개발
  - 저비용, 단기간 생산 기술개발
    - 실제 모델장기와 높은 유사성을 지니는 오가노이드의 제작 및 유지에는 장기간 높은 비용이 요구됨.
    - 실질적인 질환모델 연구 및 신약 연구를 위해서는 균일한 재현성 및 기능성을 지닌 오가노이드를 저비용으로 단기간내에 생산하는 생산기술 구축이 필요함
  - 대량 생산 시스템 구축
    - 오가노이드를 이용한 질환모사 연구와 신약개발 연구의 높은 신뢰성 및 효율성을 위해서는 균질한 구조 및 기능성을 갖춘 오가노이드의 표준화 대량생산 시스템 구축이 필수적임
  - 동결보존 기술 개발
    - 오가노이드의 배양에 요구되는 긴 제작기간과 높은 비용을 고려했을 때, 생산기간 단축 및 비용절감을 기대할 수 있는 동결보존 기술의 개발이 필수적임
- 오가노이드 기반 질환모사 연구



- 오가노이드 성숙도 분석 기술
  - 질환모사 및 신약개발 연구에 응용하기 위한 양질의 오가노이드를 선별하기 위해 생산된 오가노이드의 균질성 및 성숙화 정도를 평가할 수 있는 분석 기술 확립이 필요함
- 질환모사 오가노이드 생산기술
  - 유전자편집기술 및 환자유래 유도만능줄기세포를 활용하여 다양한 난치성 질환의 표현형 및 발병기전을 모사할 수 있는 오가노이드 생산기술 개발이 필요함
- 오가노이드 기술기반 발병기전 연구기술
  - 생산된 환자 유래 오가노이드와 정상 오가노이드의 비교분석을 통해 발병 기전을 규명할 수 있는 연구체계 확립이 필수적임

○ 오가노이드 기반 암 질환모사 연구

- 다양한 종류의 암조직 유래 오가노이드 자원 확보
  - 환자의 조직으로부터 생검한 암조직으로부터 오가노이드를 생산하고 장기간 배양 및 보관할 수 있는 बैं킹시스템 개발이 요구됨
- 오가노이드 내 다양한 종류의 암재발생 구축기술
  - 오가노이드 배양기술 과 유전자편집기술을 접목함으로써 정상조직으로부터 암조직이 발생하는 과정을 재현하고 발병기전을 분석할 수 있는 연구모델의 개발이 필요함
- 오가노이드 및 체내 암조직간의 비교분석을 통한 암 질환모사 연구기술
  - 생산된 암조직 유래 오가노이드와 정상 오가노이드의 비교분석을 통해 발 병기전을 규명할 수 있는 연구체계 확립이 필수적임
- 환자 특이적 암 오가노이드를 이용한 환자맞춤형 신약개발 연구기술
  - 생산된 암조직 유래 오가노이드를 약물스크리닝 플랫폼에 적용함으로써 특 정 암조직을 선택적으로 사멸시킬 수 있는 치료약물 스크리닝 연구를 수 행할 수 있음

(2) 추진 배경 및 필요성

<추진 배경>

- 알츠하이머 병, 파킨슨씨 병 같은 퇴행성 질환 및 자폐증, 조현병 등 발달장

애와 같은 난치성 질환의 치료법 연구를 위해서는 질환의 병변을 정확하게 재현하고 발병기전을 반영할 수 있는 질환모델의 개발이 필수적임

- 질병의 치료를 위해서는 원인 규명 및 병변기작 파악이 필수적임. 그러나 사람 특이적으로 발생하는 질병의 경우, 질환모델 동물을 기반으로 진행한 연구를 적용하기 어려움
- 사람의 조직이나 세포를 배양하는 세포배양법 기반 연구의 경우, 실제 체내 환경과 상이하게 다른 단층배양 시스템에 의해 높은 신뢰도 및 정확성을 기대하기 어려움

○ 줄기세포 기반 오가노이드 연구는 다양한 질병치료 이용에 대한 파급효과가 기대됨에 따라 최근 관련 연구개발이 더욱 활발해지는 추세

- 줄기세포 기반 오가노이드는 이론적으로 모든 종류의 장기 제작이 가능하므로 최근 재생 의학적 핵심기술로써 관심 집중
  - ‘오가노이드’를 키워드로 지정, ‘논문 제목, 초록, 키워드’를 범위로 설정하여 2000 ~ 2015년 사이에 발표된 논문을 검색한 결과 2563건 게재, 그 중 2026편이 최근 5년 동안 발표되는 등 최근 들어 관련 연구가 더욱 활발한 분야
  - 단순히 장기 모사체를 제작하는 기술에서 실제 조직/장기의 기능성을 가지는 인체 모사 장기를 제작하기 위한 연구가 활발
  - 2차원적으로 만든 세포조직보다 신약의 안전성, 성능을 시험하는데 훨씬 효과적이며 치료용으로써 활용가치도 크게 평가되면서 관련 연구가 더욱 활발해지는 추세
- 정부 및 연구기관의 오가노이드 기술에 대한 중요성 인식 확대
  - 국가 생명공학육성기술기본계획 내 “2018년 미래유망기술”에 포함됨(출처: 생명공학정책연구센터, 2018 바이오미래유망기술(2018.01))
  - 2018년 바이오 미래유망기술로 선정(출처: 생명공학정책연구센터, 2018.01)
  - 2018년 정부부처의 R&D 기술분야별 투자전략에 줄기세포를 이용한 오가노이드 제작기술에 대한 연구지원을 확대를 발표(미래창조과학부, 2017.02)
  - 오가노이드 관련 정부 R&D 사업(안)/공고 발표
    - \* 2016년 제3차 산업핵심기술개발사업(총 정부출연금 60억원)
    - \* 2017년 정부 R&D 특허전략지원 사업(안)

- 오가노이드 배양·제작을 위한 3차원 복합 시스템 개발이 활발히 진행되며 3차원 유사 장기 시스템에 관한 관심 증대 추세
  - 오가노이드 개념의 3차원 유사 장기 시스템으로서 Organ-on-chip 연구 활발
    - 3차원 유사 장기 시스템으로 장기를 칩 상에서 구현하여 최소화하는 organ-on-chip 연구가 진행 중으로, 구조의 원리를 이용해 인체 장기의 반응을 체외에서 측정할 수 있어 동물실험에 대한 윤리적 문제를 극복할 수 있는 장점 보유
  - 바이오 분야에서 3D 프린팅 기술이 활발히 응용되면서 오가노이드 연구와 같은 조직공학적 접근에서 바이오프린팅 등 3차원 복합 시스템 개발연구 활발
    - 기능성 실용성을 가지는 생체모방 오가노이드 기술 발전을 위해서 미세환경의 구조적 신호적 요소에 대한 이해 및 3차원 배양 시스템(세포의 복잡적 조합, 생체 모방성 3차원 지지체 이용, 미세유체칩, 랩온칩 등)을 위한 구조체 제작 기술 등의 연구 진행
- 오가노이드 제작, 활성화, 기능 향상을 위해 세포와의 적합성 및 상호 보완성을 충족시킬 수 있는 생체재료 개발 필요성 증대
  - 오가노이드 제작을 위한 3차원 배양 시스템 구현에 있어 세포의 증식·분화에 시너지 효과를 미칠 수 있는 생체재료 개발 연구 활발
- 오가노이드 관련 연구는 향후 기술발전 및 활용 범위 확대에 따라 관련 산업에 주요한 성장요인으로 적용될 것으로 전망
  - (조직재생) 글로벌 조직공학 및 재생시장은 '11년 599억달러에서 연평균 8.4%로 성장해 '16년 897억달러 규모로 확대될 것으로 전망
  - (3차원 배양) 줄기세포 기반 3차원 배양시장은 '13년 1.5억달러에서 연평균 29.4%로 성장해 '19년 6억달러에 달하는 규모를 형성할 것으로 전망
  - 2016년 4.7억불 규모에서 2021년 13.5억불로 성장예상(출처: 3D Cell Culture Market, 2016, Markets and Markets)
  - 오가노이드 투명화(clarity) 및 조직 이미징 장비 시장의 성장  
오가노이드 관찰에 필요한 현미경 시장은 연평균 성장률 7.2%로 2019년까지 약 6조원 정도까지 확대될 것으로 전망됨(출처: Microscopy Market by Product, Application & by End User - Global Forecast to 2019, Markets and Markets, 2014 Nov)

- 약물개발에 사용되는 고밀도 어레이의 활용범위 및 수요도 꾸준히 증가하고 있으며, 2018년 250억불에 이를 것으로 전망됨(출처: BCC Research)
- 동물실험 대체 및 신약개발 효율화를 위한 글로벌 제약 회사들의 줄기세포 유래 특정 장기세포 활용 확대 추세
  - 최근 동물사용 규제가 확대됨에 따라 전 세계적으로 동물실험 대체기술 관련 시장이 확대되는 추세로, 제약사와 줄기세포/바이오 기업 간 줄기세포 모델 개발 공동연구 활발
    - 아직까지는 2차원적 줄기세포 수준에서의 모델을 수립하여 신약 독성/효능 평가에 활용하고 있으나 향후 3차원 배양시스템을 이용한 오가노이드 모델이 개발되면 신약개발 위험요소 및 임상시험 축소 등의 이점으로 인해 제약 회사들의 요구가 더욱 증대될 것으로 예상

#### <추진 필요성>

- 인체 유사 시스템으로서의 오가노이드는 새로운 연구 패러다임으로 부각되고 있으며 사회적 변화에 따라 점차 필요성이 증대되는 추세
  - 희귀난치질환 발병률 및 안전사고 발생빈도 증가 등 사회적 변화에 따라 인체 조직/장기 손상 혹은 기능저하 사례가 증가함에 따라 조직재생 등 오가노이드 기술에 대한 니즈 확산
    - 현재 의료기술로는 심각한 장기 손상시 약물 요법만으로 치료가 불가능하며 이식만이 유일한 치료법인 경우가 많아 대체로 타인의 장기나 동물 유래 이종장기, 인공장기 이식 및 장기 대체품으로 치료 대체
    - 국내 장기이식 대기자수 현황은 계속 증가하고 있으나, 이식 대기 환자 수 대비 공여조직이나 장기 공급은 한정적 상황
  - 오가노이드 기술은 차세대 연구기술로써 2차원 세포 수준과 실험동물 모델을 이용한 현재 연구 패러다임에서 3차원적 연구 패러다임으로의 전환 잠재력 보유
    - 기존의 in vitro 모델 및 동물 모델의 단점을 보완할 수 있는 인체 유사 시스템에 대한 필요성이 증대되고 있으며 인간의 조직/장기를 모사할 수 있는 줄기세포 기반 오가노이드 및 융복합 장기칩 개발기술을 통해 이를 충족할 수 있을 것으로 기대
    - 오가노이드 및 오가노이드 기반 인체 유사 시스템을 이용한 임상시험 단계의 축소/보완을 통해 비용 및 시간 절감 가능

- 오가노이드 기술은 다양한 영역에서 활용 가치가 기대되나 아직 전 세계적으로 연구 초기단계에 있어 신속한 원천기술 개발 집중을 통한 글로벌 시장 선점 필요
  - 줄기세포의 특성 및 발생학적 접근법을 이용한 오가노이드 기술은 발생학적 기초연구부터 신약개발 활용과 장기 대체 등 재생의학적 적용까지 광범위한 영역에서 활용 가능
  - 오가노이드 기술을 통해 인간의 질병기전에 대한 이해를 높이고 보다 효율적인 인체 조직 모사를 활용한 줄기세포치료제 및 새로운 치료법 개발이 가능할 것으로 기대
  - 줄기세포 기반의 복합 오가노이드 배양시스템을 활용한 조직발생 및 재생환경 구현으로 조직재생에 필요한 인자 및 생체재료 평가에 이용 가능하며 환자 iPSC 유래 오가노이드를 통한 질환모델링, 신약개발 및 재생의학 이용에 혁신적 진보를 이룰 수 있음
- 지금까지 다양한 오가노이드 연구사례가 발표되었지만, 이 분야의 연구가 지속되어야할 필요성이 있음
  - 아직까지 인간의 모든 장기를 모사할 수 있는 오가노이드를 형성하지 못하고 있는 실정으로, 다양한 장기의 오가노이드 형성, 유지기술 개발이 필요
  - 3차원 형상을 가진 오가노이드의 연구를 위해 3차원 구조적 고찰이 필요한데, 작은 크기(수백  $\mu\text{m}$  ~ 수 mm) 및 불투명성으로 인해 내부관찰이 불가하므로, 오가노이드 투명화 기술의 개발이 필요
  - 현재 오가노이드 관찰에 사용되는 공초점 현미경 기술은 1개의 3차원 이미지를 얻는데 수 시간이 소요되므로, 이를 개선할 수 있는 고속 이미징 기술의 개발이 필요
- 오가노이드 핵심기술 개발 및 시장선점을 위해 세계 선진국에서는 국가적 차원의 연구 투자가 활발한 추세로, 국내에서도 전략적 정책지원 필요
  - 미국 국립보건원(NIH), 국방첨단연구원(DARPA), 식품의약국(FDA)을 통해 미국 대학과 병원이 연계된 'Tissue Chip Project'에 약 7천만 달러 규모의 연구비를 지원하고 있음.
- 현재 오가노이드가 가지고 있는 기술의 한계점을 극복하는 연구를 통해 빠른 실용화가 요구됨
  - 현재 오가노이드 기술은 특정 기관의 구조 및 세포구성 등 대표적인 특성을 모사할 수는 있으나 실제 장기의 특성 및 기능성 등을 반영하기에는 그

기술수준이 미성숙한 상황임. 따라서 분화과정의 정밀한 조정 및 미세환경 재현을 통한 오가노이드 성숙화 기술의 개발이 필수적이며 이를 통한 실제 장기수준의 기능성 오가노이드 생산체계 및 평가플랫폼을 확립하는 것이 필수적임

- 현재까지 오가노이드 기술은 재현성 및 생산 효율성이 낮다는 한계점을 보임. 이에 실제 모델장기의 특성 및 기능을 우수한 수준에서 모사할 수 있는 균일한 품질의 오가노이드를 대량생산하는 연구가 필요함
- 현재까지 개발된 기술로는 오가노이드 생산을 위해 장기간의 분화 및 배양과정을 필요로 하며, 이에 따라 높은 비용과 장기간 연구기간이 소모된다는 한계점이 있음. 실제 오가노이드를 질환모사 및 신약개발 연구에 적용하기 위해서는 생산기술 최적화를 통한 생산기간 단축 및 동결보존기술을 통한 배양 비용절감을 달성해야할 필요성이 있음
- 오가노이드를 이용한 질환모사 및 신약개발 연구의 신뢰도를 확보하기 위해 생산된 배치의 표본조사를 통해 오가노이드의 성숙화 정도 및 기능성을 측정하고 평가할 수 있는 분석기술의 개발이 필요함
- 환자 특이적 암 오가노이드 생산기술 개발을 통해 환자맞춤형 신약개발 및 암 치료제 스크리닝 등 정밀의료 제반기술의 확립이 필수적임

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

- 현재 오가노이드 연구분야는 개념확립 및 원천기술 개발 단계로서, 국내 다양한 연구기관에서 오가노이드 생산을 위한 연구를 진행 중에 있으나 아직까지 질환모사 및 신약개발 등에 오가노이드를 활용하는 실용화 시장은 형성되지 않음
  - 국내 다양한 연구기관에서 오가노이드 생산기술 개발을 추진하고 있으나, 현재까지 공식적인 연구성과가 발표된 바가 없기 때문에 경쟁수준을 파악하기에는 다소 무리가 있음
- 오가노이드 핵심기술
  - 2013년 미니 뇌가 제작된 후 오가노이드 제작 연구가 활발히 진행, 이후 미니 신장, 갑상선, 간 등 다양한 오가노이드 개발 성과 도출되었으나, 오가노이드 유지·배양기술이나 생체시스템을 대체할 만한 수준의 기능화 된 오가노이드 개발 측면에서는 아직까지 초기 연구단계 수준임

- 국내에서는 생체적합성 재료를 융합한 조직공학 및 인공조직 연구개발이 활발한 상황으로, 최근 들어 줄기세포 기반 지지체, 인공장기 칩 등의 연구 추진 중

○ 2016년부터 오가노이드 관련 국가연구과제가 일부 시행되고 있는 상황이나, 국외의 연구 및 투자규모에 비하면 매우 미미한 수준이며 보다 광범위하고 전폭적인 지원이 필요한 실정임

- 국내에서는 현재 몇몇 회사 및 연구소에서 오가노이드 관련 신규 프로젝트를 진행하고 있으며, 아직 오가노이드 분야에서 국내 리딩그룹이 없는 점에서 신규 기업의 투자 또한 이루어지고 있는 추세임
- 인터파크그룹 바이오융합연구소에서 오가노이드 기반 맞춤형 진단 서비스 개발에 착수함
- 안정성평가연구소에서 독성 평가 모델, 대량 세포 제작, 3차원 배양 기술 등의 공통 기반 기술을 개발 중임
  - ※ 출처 : 융합 Weekly Tip '개인 맞춤형 임상시험이 가능한 오가노이드 기술'(융합연 구정책센터, '17.11)
- 한국생명공학연구원에서 실험동물 대체용 인공실험체구현 사업을 진행중에 있으며 오가노이드 기반 시험법을 개발 중임
  - ※ 출처 : 융합 Weekly Tip '개인 맞춤형 임상시험이 가능한 오가노이드 기술'(융합연 구정책센터, '17.11)

**<국외>**

- 오가노이드 핵심기술
  - 줄기세포를 이용한 소장, 뇌, 안구 등 오가노이드 형성연구(Spence, J.R. et al, 2011; Cao, L et al., 2011; Lancaster, M.A., et al., 2013 등)
  - 오가노이드를 이용한 줄기세포 분화와 조직의 가소성(plasticity) 연구(Yin, X., et al, 2014; Takasato, M., et al., 2015; Donati, G., et al., 2015 등)
  - 오가노이드를 이용한 줄기세포의 미세환경 연구(Nozaki, K., et al., 2016; Lukovac, S., et al., 2014 등)
  - 미국 존스홉킨스대 연구팀, 알츠하이머 치매나 뇌졸중 등 뇌신경 질환연구의 효율성을 높일 수 있는 '미니 뇌' 제작(2016.2)
  - 미국 하버드대 연구팀, 인슐린을 생산하는 미니 '인공 위장'을 제작해 쥐에 이식하는 데 성공했다고 셀 스템 셀(Cell Stem Cell)지에 발표(2016.2)
  - 일본 도쿄대와 교토대 공동 연구팀, 쥐의 등에 '인간 귀' 배양(2016.1)

- 일본 오사카대 연구팀, iPSC를 이용해 '인공 눈' 조직을 배양하는 데 성공했다고 네이처(Nature)지에 발표(2016.3)
- 일본 이화학연구소와 도쿄대 공동 연구팀, 쥐의 잇몸 세포로 만든 iPSC로 모공과 피지샘이 있는 '인공 피부' 조직을 제작했다고 사이언스 어드밴시스(Science Advances)지에 발표(2016.4)

#### (4) 현황 및 개선방안

##### <현황 및 문제점>

###### ○ 국외의 오가노이드 관련 주요 연구현황 및 추진방향

- 위 연구진들로부터 현재까지 오가노이드 생산기술을 활용하여 생쥐 또는 인간배아줄기세포 혹은 역분화줄기세포로부터 대뇌피질, 중뇌, 소뇌 등과 같은 뇌조직을 비롯하여 폐, 간, 소화관, 위, 췌장과 같은 다양한 조직으로의 오가노이드 생산하는 원천기술 개발이 보고되었음
- 주요 연구진은 오가노이드 생산기술의 지속적인 개발을 통하여 보다 더 높은 재현성과 기능성을 지니는 성숙한 오가노이드를 개발하는 기술에 초점을 두고 있음
- 고기능성/고재현성 오가노이드 생산을 위해 혈관화, 하이드로젤 도입 등 체내 미세환경을 반영한 성숙화 기술 개발이 이루어지고 있음
- 또한 유전자편집기술로 배아줄기세포의 유전자를 조작하거나, 유전적 돌연변이를 지닌 환자로부터 유래한 역분화줄기세포를 이용하여 다양한 종류의 질병재현 오가노이드를 생성하고 실제 질환 병변 및 모델 장치의 발생 기전에 대한 연구를 진행하고 있음
- 최근 1년 사이 오가노이드 생산기술 및 유전자편집기술을 활용하여 위암, 대장암, 췌장암, 유방암 등 다양한 종류의 암을 재현하거나, 환자에서 유래한 암조직으로 암오가노이드 모델을 생성함. 또한 이를 통하여 암 발병을 야기하는 후보 유전자를 스크리닝하고 환자 맞춤형 약물 개발 플랫폼 개발 연구가 진행중임

###### ○ 국외의 오가노이드 관련 연구의 주요 문제점

- 줄기세포 기반 오가노이드 연구에 대한 투자 미흡
  - 바이오장기/조직공학에 대한 투자는 미흡하며, 이마저 오가노이드 연구에 대한 지원은 거의 없는 상황
  - 줄기세포 기반의 오가노이드 연구에 대한 투자는 미흡하며, 이마저 간, 신경 등 일부 장기에 국한되어 있고, 단순히 제작관련 연구 수준
- 오가노이드의 미흡한 재현성 및 낮은 생산 효율
  - 활발한 연구에도 불구하고 생성된 오가노이드의 재현성은 현저히 낮으며 이로인해 현재까지 오가노이드 기반 질환모사 및 신약개발 기술의 정확도 및

신뢰도가 확보되지 않음

- 비표준화된 생산기술로 인해 생산된 오가노이드간의 분자생리학적, 구조적 특성이 상이함
- 고기능성/고재현성 오가노이드 생산 비용이 일정하지 않으며 그 효율이 낮음
- 다학제 융합기술 개발 가능성이 높은 분야이나, 재료 및 공학 등 다양한 분야 전문가와의 교류 및 융합연구 미흡
- 미국이나 유럽에서는 다학제간, 산업체-대학간 공동연구가 활발히 진행되고 있는 반면, 한국에서는 상대적으로 취약
- 응용 분야에 대한 전문 인력이 글로벌 대비 부족한 실정
- 의료용 재료 등 일부 제품은 국산화가 빠르게 진행되고 있으나, 오가노이드 관련 기술은 초보수준으로 3D 배양 및 오가노이드 관련 산업기술 수준의 상향 추진이 필요
- 새로운 개념의 제품, 새로운 산업의 원천기술 확보가 가능할 것임
- 오가노이드 관련 3D 배양 기술 및 제품 개발 분야는 미개발 상태로, 향후 시장 증대가 예상되며 이에 국산화가 시급함
- 국내 기업의 오가노이드 관련 제품 세계시장 점유율은 0%에 가까움
- 아직까지 비용적·전문적 기술 측면에서 해결해야 할 부분이 많으며 따라서 잠재 기술력 향상을 위해 국가적 차원의 지원 필요
- 오가노이드 기술 실용화방안 연구의 필요성
- 기본적으로 오가노이드의 제작과 유지배양에는 높은 비용과 장시간의 연구 기간이 소요됨
- 이는 오가노이드 기반 질환모사 및 신약개발 연구를 위해 반드시 극복해야 할 한계점으로 현재 개념확립 단계에 있는 오가노이드 기술의 실용화방안 연구가 필수적임
- 높은 신뢰도 및 정확도 기반 오가노이드 질환연구의 필요성
- 오가노이드는 기존의 2차원적 분화시스템보다 더 유사한 체내 환경을 반영할 수 있기 때문에 기존의 질환모사 연구보다 더 높은 신뢰도 및 정확도를 보이는 연구결과를 제공할 수 있을 것으로 기대되고 있음
- 이를 위해 고기능성 오가노이드를 통해 질환표현형 및 발병기전을 재현하기 위한 기반연구들이 필요함
- 오가노이드를 활용한 암 연구의 필요성
- 한 장기에서 유래한 암의 경우에도 환자에 따라 기능적/유전적 배경이 확연

하게 다를 수 있음. 따라서 환자맞춤형 약물 스크리닝 및 독성평가 연구가 필수적인 상황임

- 현재까지 환자 특이적 암 연구를 위해 주로 추출해낸 암세포를 면역억제동물모델에 심어 계대배양한 뒤 약물 스크리닝을 하는 방법을 사용하였음
- 그러나 동물모델을 이용한 계대배양은 추출된 암 조직의 선택적 배양을 야기할 수 있으며, 결과적으로 배양된 암조직의 기능적/유전적 특성이 실제 체내의 암조직과 달라지는 변이가 발생함
- 이러한 한계점으로 인해 동물모델을 통해 배양된 암조직을 기반으로 한 병리학적 분석 및 약물 스크리닝 결과의 정확도 및 신뢰도는 매우 낮음

#### <개선방안>

- 오가노이드 핵심원천 기술 개발을 위한 통합적 기초연구 지원 강화
  - 오가노이드 연구기반 구축에서 표준화, 산업화 전주기에 걸친 지원 프로그램 조성
  - 질병발생 및 진행과정을 밝히는 기전연구의 핵심적인 플랫폼 기술 확보
  - 오가노이드 제작/배양/성숙화 국제표준화 기준을 제안하고, 오가노이드 활용을 위한 안전성 및 유효성 검증 연구시스템 확보
  - 목표지향적 기초연구를 위한 기초-중개-임상 피드백 시스템을 강화하고, 중점 선도 연구그룹 확보 및 기 연구개발자들의 지속적 지원
- 분화기전 연구를 통한 오가노이드의 재현성 및 생성 효율 극대화
  - 현재 오가노이드 생성 기술로는 균일한 고기능성/고재현성을 보이는 오가노이드 생산이 불가능함. 또한 일부 고기능성/고재현성을 보이는 오가노이드조차도 실제 체내 장기에 비하면 그 수준이 현저하게 떨어짐
  - 이러한 한계점은 결과적으로 오가노이드를 활용한 질병연구에 대한 신뢰도 및 정확성을 떨어뜨리고, 장기간의 높은 제작비용을 야기함
  - 재현성 및 균일성을 떨어뜨리는 요인을 위해 정확한 분화기전 연구를 기반으로 하는 성숙한 오가노이드 생산기술 개발이 필요함
- 오가노이드 활용/실용화 기술을 위한 융합연구 전략적 지원
  - 선도형 오가노이드 제작을 위한 융합기술을 확보하기 위해서 줄기세포, 생물학, 의·약학, 재료공학, 기계공학 등과의 협력 강화
  - 개인맞춤형 의학 프로토타입 구축을 위한 환자 유래 오가노이드 연구 지원

- 약물의 승인 평가 과정에서의 오가노이드 데이터를 채택하는 장치마련
- 오가노이드 제작을 위한 미세환경제어 기술 및 오가노이드 관련 생체 재료 연구 지원 강화
- 임상적용 가능성이 높은 오가노이드 및 인체 유사 시스템 플랫폼 개발을 위한 단계적 지원을 통한 지속성 및 글로벌 경쟁력 확보 건인
- 장기유사칩 등을 활용한 복합오가노이드 시스템 개발 지원

#### ○ 글로벌시장 경쟁력 확보를 위한 오가노이드 연구 인프라 구축

- 오가노이드 제작/배양/성숙화/평가/활용기술 개발을 위한 중점연구 시스템 구축
- 우수한 연구 인프라 구축을 위한 국가적 차원의 인력지원을 강화하고, 국내외 연구 네트워크 구축 및 성과 활용 시스템 마련
- 국내산업의 관심유도를 위한 국가적 차원의 적극적 투자

#### ○ 오가노이드 실용화 기술 개발

- 오가노이드를 다양한 분야에 접목을 위해서는 균일한 구조/기능성을 갖춘 오가노이드를 효율적으로 생산하는 기술의 개발이 필요함
- 오가노이드의 생산 가속화, 동결보존 기술의 개발을 통해 오가노이드 생성에 요구되는 장기간 배양기간을 효율적으로 단축시킬 수 있음
- 오가노이드 생산 기술의 저비용화 및 생산 효율 극대화를 통해 균일한 품질의 오가노이드를 대량생산하는 시스템 구축이 필요함

#### ○ 오가노이드기반 질환모사기술

- 오가노이드가 2차원적 분화시스템과 비교했을 때 실제 체내환경과 얼마나 더 유사하고 높은 기능성을 보이는지 확인할 수 있는 정확한 지표를 설정하고 정량적인 결과를 보여주는 연구가 필요함
- 질병을 재현하기 위해 배아줄기세포 외에 환자 유래 역분화줄기세포를 이용한 오가노이드 생성 기술이나, 유전자편집기술을 통한 질환모사 오가노이드 개발 기술이 필요함
- 환자로부터 유래한 오가노이드를 대량생산하고 차후 연구를 위한 동결보존 기술의 개발이 필요함

#### ○ 암 연구에 오가노이드 기술을 접목하기 위한 기반기술 개발

- 특정 장기의 오가노이드 생산기술과 유전자편집기술의 융합을 통해 암 발생 재현 및 발생기전 연구가 필요함
- 또한 암 오가노이드 배양은 동물모델이 불필요하기 때문에 비용적/공간적 측면에서 보다 효율적인 관리가 가능함. 이에 암 오가노이드가 암연구에 대한 새로운 연구모델로 떠오르고 있음
- 따라서 다양한 종류의 암조직 확보 및 이를 통한 암모사 오가노이드 개발 기술 구축이 필요함
- 환자 특이적 암재현 오가노이드를 활용하여 환자 맞춤형 신약개발 연구가 필요함

[표] 현황 및 개선방안



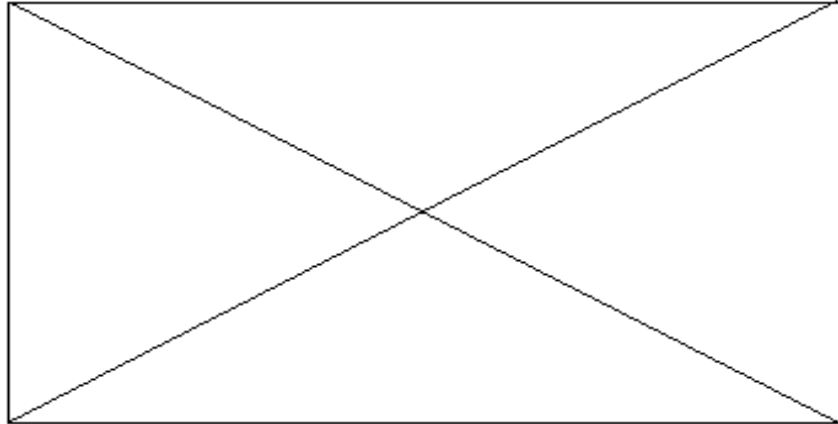
(5) 연구개발 목표 및 내용





(6) 추진체계 및 대내외 협력방안

<추진체계도>



<협력방안>

- (기술연계 촉진) 줄기세포 기초·응용·개발 단계의 기술 단절을 극복하기 위한 선순환적 기술 연계 및 다양한 분야 전문가 간 교류 확대
  - (기술교류) 연구단계·연구기관 간 기술교류 확대를 위한 다학제 융합 포럼 및 기술이전 촉진을 위한 기업 설명회 개최
  - ※ 국내외 줄기세포 연구자 기술교류 네트워크 활성화 지원을 위한 협력 프로그램 지원
  - (창업지원) 줄기세포 R&D 주체와 금융계 종사자 간 쌍방향 연계 교육을 통한 창업 및 벤처캐피털 지원 확대
  - ※ 줄기세포 분야 교육을 통한 금융계 종사자의 줄기세포 이해도 제고 및 연구자 대상 금융·경영·창업 관련 교육 등 쌍방향 연계 교육 지원
- (핵심 클러스터 육성) 국내 줄기세포 치료 기술의 글로벌 리더쉽 확보와 R&D 성과 조기 실용화 환경 조성을 위한 클러스터 생태계 구축
  - (거점 지정) 창조경제혁신센터를 중심으로 연구기관-중소벤처-대기업간 플랫폼 기술 교류, 공동 제품 개발, 공동 투자 촉진
  - (컨소시엄 구성) 축적된 역량과 기반을 활용하여 줄기세포 연구성과를 실용화로 연계하기 위한 줄기세포 연구-산업계 간 컨소시엄을 통한 기술 이전 촉진 프로세스 수립 등 연구기관-산업계 공동협력체계 구축

- ※ 첨복단지 내 줄기세포 치료 기술 연구진, 줄기세포 제조·생산기업과 줄기세포치료 전문병원 간의 임상 적용 연계 및 기/장비 공동 활용 활성화
  - (공공인프라) 연구 및 임상 경쟁력 강화를 위한 줄기세포·재생센터 역할\*정립 및 국내 CMO/CRO\*\* 지원
  - \* 첨단 줄기세포 치료 기술 교육·지도와 함께 줄기세포 관리·분양을 위한 국가 기반시설로서 연구/산업 활성화를 위한 기능 강화
  - \*\* 줄기세포 분야 우수 CRO 인증제 운영 및 컨설팅, CRO 인턴쉽 프로그램 지원 등
- MOA 확보 기반의 줄기세포 치료 기술 고도화를 통한 신뢰성 회복 및 글로벌 줄기세포치료제 시장 선도
  - 다분야에 걸친 줄기세포 전문가 및 국제적 선도 연구팀 육성 프로그램 개발
  - 관계부처 간 줄기세포 연구 연계사업 및 연구자 간 요소기술·인프라 공유 시스템을 활성화하고 우수인력·기술력의 줄기세포 산업 진출 촉진 유도
  - MOA 기반의 강화 줄기세포 치료제 개발을 위한 연구, 제조·생산, 분석, 전 임상 평가 등 전반적인 인프라 시설 개발 및 확충
  - 연구계·산업계 협력을 통한 고도화 줄기세포의 효능을 검증하기 위한 유효성 평가 표준화 마련
  - 산학연병 연계를 통한 질환 분석과 수요기반의 특정 질환범위 선정을 통한 국제적 경쟁력이 확보된 특화 줄기세포 원천기술 개발
  - 대학, 병원, 제약기업간의 상호 긴밀한 정보 교류 및 공동연구 활동 활성화를 위한 질환 및 기전별 차세대 줄기세포 치료제 및 줄기세포 기반 인체모사 고도화 연구개발 육성 그룹 설립
- 줄기세포 활용기술의 실용화를 위한 대량생산, 자동화 공정 기술을 위한 원천 기술 개발 및 표준화 기술 개발
  - 대량생산공정이 GMP공정화 가능해야 하므로 CMO기관을 활용한 공정밸리데이션, 품질관리 설계 전략 필요함
  - 자동화 공정은 세포의 특성에 맞추어 재료 및 기기의 설계, 제작, 검증 과정이 이루어져야 이 과정에서 생명/전자/재료/공학 분야의 융합연구 필요함
  - 국내 자동화공정 연구의 경우 출발이 다소 늦은 시점이므로 기 산업화된 자동화시스템의 장단점을 활용하고 안정적인 기술을 확보하기 위해 글로벌 선도기업 등과의 국제 공동연구 추천됨

(7) 위험요인 및 해결방안



(8) 상용화 전략

<기존 상용화 사례>

- 줄기세포 치료제 분야에서는 상용화 사례가 빠르게 증가하고 있으나, 줄기세포 활용을 위한 오가노이드 생산기술 분야는 아직 다양한 사업화 모델이 정착되지 않은 상황.
- 특히 국내 기업은 전무한 상태로 글로벌 시장 진출 사례가 부재하고 수요 기반의 실용화를 위한 기술교류, 성과연계도 아직은 미흡한 단계임.
- 상용화 사례를 갖고 있는 회사

▶ MatTek

- MIT의 2명의 화학 공학 교수에 의해 1985년 설립된 기업으로서, 1991년 핵심 고분자 표면 개질 기술을 이용하여 조직 공학에 적용
- 13차원 인체 조직 모델 생산의 글로벌 기업으로서, 화장품, 화학, 제약, 가정용 제품 전반의 독성 연구를 위한 피부, 눈, 호흡기 조직 모델 연구
- 첫 3차원 human cell 기반의 체외 모델은 1993년 소개되어 비용을 50~80%를 절감하고, 체외 조직 모델의 성능을 향상시킴
- EpiDerm™ Tissue Model은 사람의 표피의 다층, 차별화된 모델 형성을 위해 정상 사람 유래 표피 각질 형성 세포로 구성되며, 비동물에서의 피부 독성 평가 수단 제공

▶ Medicyte GmbH

- 독일의 하이델베르크 기술 공원에 개발 연구소 및 생산 시설이 위치하고 있고, 신규의 세포 기반 연구, 약물 개발, 세포 치료제를 위한 독자적인 세포 증식 플랫폼 기술 구축
- upcyte® 및 vericyte®는 전형적인 표현형의 변화 없이 세포주기의 제어 메커니즘에 따라 가역적 우회를 허용하는 방식으로 증식되어 약물 개발에 사용 가능
- upcytes®는 viral gene delivery sytem을 이용하여 증식이 유도되는 특징을 나타내고, vericyte®는 분화된 세포에서 증식단계의 가역성을 유도할 수

있는 proliferation factor를 포함

#### ▶ CiToxLAB

- CIT, LAB의 합병에 의해 설립되어 프랑스, 캐나다, 덴마크, 헝가리에서 전 임상, 전문 서비스를 제공하는 임상 서비스 기업으로서, 제약, 생명, 공학, 화학, 농약 등에 대한 임상 약물 개발의 전 분야에서 포괄적인 서비스를 포함
- Toxicology 분야에서는 유전 독성, 예측 독성, 독성 유전체 분석, 생체 시료 분석, 생식 독성, 발암성 연구 등을 포함. Safety Pharmacology 분야는 개, 원숭이, 미니피그의 심장 혈관 시스템, 중추 신경계에서 end point에서의 독성 연구, 외피 외부 원격 측정법 등 적용

#### ▶ Stemina (devTOXTM, cardioTOXTM)

- 2006년 11월에 설립된 기업으로서, human ESC를 이용하여 사람의 배아 발생에 잠재적인 영향을 주는 약물, 화합물, 제품 및 화장품 등에 대한 분석
- 추가적인 약물 검사 프로그램으로서, 줄기세포, 대사 등 다양한 개발 단계가 있음
- DevTOX™Stands Apart는 human ESC를 이용한 blind test에서 출생시 결함을 갖게 하는 27종 약물 실험을 위한 대사적 플랫폼과 시험물질을 포함. 동물 모델보다 정확도에 있어서 90%로 높고, 사람을 위한 분석에 제공되며, 정량적 결과 제시
- 예측 심장 독성 screening model은 심장 독성이 알려진 24종의 약물을 사용하여 구축된 것으로서, 심장 독성 분류와 관련된 biomarker 평가 및 세포 대사의 정보 제공
- 공동 협력 기관은 ILS로서 대체 독성 시험 절차 평가, 환경 유해 사이트의 생태학적 평가 등에 대한 과학적 정보 서비스 제공

#### ▶ TAP Biosystems (RAFTTM)

- 바이오, 신약 개 및 재생 의학 응용 프로그램, 자동 세포 배양 시스템 개발 기업으로서, 미국에 본사를 둔 개인 소유의 회사
- Compact Select™는 자동 세포 배양 시스템으로서, 줄기세포 연구, 독성 연구, 종양 프로그램을 위한 다양한 세포주의 배양에 이용

- Compact select SC는 줄기세포의 유지, 증식, 분화를 위해 설계된 시스템으로서, 수동의 플라스크 기반 방식으로 최소의 공정 변화로 여러 세포주를 성장
- CellBase CT는 자가세포 치료를 위한 자동화 시스템으로서, human ESC, iPSC, adult stem cell을 포함한 세포 치료제 생산에 이용
- Select™는 여러 세포주와 분석 플레이트에서 생산되는 최고의 자동 세포 배양 시스템으로서, T175 flask에서 배양되며 생산성 최적화를 위해 seeding 가능
- Cellmate는 roller bottle, T-flask에서 세포를 배양하는 모든 과정의 자동화 구축 시스템으로서, Lab bench에서 대량 생산을 위해 공정 변화 없이 세포 배양되며, 소프트웨어와 함께 제공
- Sonata는 shaking flask에서 현탁액에서 성장하는 포유류 또는 곤충 세포의 배양 자동화를 위해 설계
- RAFT는 collagen에 의한 extracellular matrix를 이용한 3차원 세포 배양 시스템으로서, 24-well, insert-well, 96-well에서 가능하며, 종양학, 독성학, 신경과학, 줄기세포 등의 응용에 적합
- 공동 협력 기관은 Remedi, Esnats, Loughborough University, UCL, The Open University, ThermoFisher, TECAN, Life Technology, Barloworld, Celectricon, Beckman Coulter, Corning, Staubli, Essen Instruments, Innovatis 등을 포함

#### ▶ InSphero AG

- 2009년 설립된 스위스 취리히 대학의 스핀 오프 회사로서, 조직학적, 생물학적으로 높은 예측이 가능한 약물 시험을 위한 in vitro 3D micro tissue를 제공하는 기업으로서, InSphero 3D Insight™ microtissues는 장기간의 염증 매개 독성 시험 등에 적용
- 3D InSight™Human Liver Microtissues는 Kupffer cell과 primary hepatocyte의 co-culture spheroid를 통해 반복 투여에 의한 장기간 독성 측정 에 적합
- 3D InSight™Rat Liver Microtissues는 rat primary hepatocyte와 non-parenchymal cells (NPCs)에 의해 생성되며 scaffold가 없이 tight cell-cell interaction 유지 및 만성 독성 측정 가능

- 3D InSight™ organotypic multicellular tumor microtissues를 이용하여 solid tumor에서 파생된 모든 tumor type 분석 가능
- Fluorescent 3D InSight™ Tumor Microtissues는 cancer cell과 stromal cell의 공동 배양을 이용하는 것으로, red fluorescent protein (RFP)을 발현하는 stromal cell과 green fluorescent protein (GFP)를 발현하는 tumor cell과 결합하며 cell population의 정량적 정보 제공

#### <성공 사례의 시사점>

- HTStec에서 2013년 7월 발행된 3D Cell Culture Trends 2013 시장 보고서에 따르면, 전체 2013년 시장 규모는 약 \$ 77M 로 추정. 21.1%의 CAGR로 2015년에 \$109M으로 크게 성장할 것으로 기대되며, 2013년 학술 연구 28%, 약물 개발 55%, 조직공학 재생의학 분야에서 17%로 나타남
- 3D 세포 배양 공급업체의 시장점유율은 25% BD Biosciences; 17% Corning; 8% Insphero; 7% 3D Biomatrix; 7% Life Technologies; 6% Sigma-Aldrich; 3% Ibidi; 3% Synthecon; 3% n3D Biosciences; 2% SkinEthic으로 나타나고, 다른 공급업체들은 2% 이하로 나타남
- 2013년의 시장은 \$15.9M 하이드로겔 3D scaffolds; \$14.8M 회전체 생성을 위한 microplates; \$8.9M 3D scaffolds를 위한 inserts/Transwells; \$8.8M 기타분야; \$6.0M 3D scaffolds와 상이한 culture vessels; \$5.6M 구조적 3D scaffolds; \$5.2M magnetic nanoparticles; \$4.1M 하이드로겔 3D scaffold를 위한 microplates ; \$3.7M 구조적 3D scaffold를 위한 microplates ; \$1.6M magnetic nanoparticles; \$1.6M microfluidics를 통합하는 microplates; \$0.7M microcarrier로 나타남
- 3D 세포배양을 사용하는 것으로 조사된 주된 적용 분야는 암 치료 분야이었고, hydrogel scaffold는 3차원 세포 배양에서 가장 적합한 접근 방식으로 나타나고, 주로 세포 증식 및 세포 생존 분야에 분석되는 것으로 보임
- 주요 연구평가기관으로는 Insphero, Hoffmann-La Roche, EDI, Astrazeneca, 고려대학교 등이 있으며, 특히 Insphero는 3D co-culture micro tissue를 약물 독성을 평가하고, 고려대학교 정석 교수 연구팀은 미세 유체소자에 인체의 세포외 기질을 고정하고 그 안팎에 다양한 세포 배양을 통해 암 전이 과정을 단계별로 모사하는 연구 수행
- 주요 CRO 기관으로는 자동 세포 배양 시스템을 보유한 TAB Biosystems,

hESC를 이용한 약물 스크리닝을 수행하는 Stemina, 임상 약물 개발을 위한 전 분야를 담당하는 CiToxLab, 약물 및 세포 치료제 개발을 위한 세포 증식 플랫폼 기술을 갖춘 Medicyte 등이 있음

- 북미는 가장 큰 시장 점유율을 나타내고, 유럽에서는 영국의 시장 점유율이 높고, 아시아-태평양에서는 호주의 시장 점유율이 높아 향후 2015~2020년까지 시장이 확대될 전망이다
- 미국, 영국, 독일 등의 해외의 연구는 국내보다 활발한 반면, 국내는 정책적, 연구 개발 등이 선도적이지 않음
- 국내의 연구가 시작되었으나, 매우 극소의 연구 그룹에서 진행되고 있는 점에서 국내의 기술 개발에서 경쟁력이 있음
- 국외에서 다양한 기술의 접근 및 주요 기술을 보유하고 있어, 이 분야의 기술 경쟁이 치열할 것으로 예상됨
- 전 세계 시장 규모는 2015년 21.1% 연평균 성장률로 성장할 전망이며, 주요 3D 세포 배양 공급업체의 시장 점유율은 약 81%로 높은 것으로 예상됨
- 미국, 영국, 호주 등 해외의 연구는 국내보다 활발한 반면, 국내에서는 고려대학교, 경희대학교의 극소의 대학교에서 연구를 수행하고 있어 수요가 상대적으로 적고, 해외의 연구 추세를 따르는 수준
- 국내의 연구 개발은 매우 미약하나, 향후 기술 개발을 위한 국내 경쟁력 및 선점 효과를 갖출 수 있을 것으로 예상됨
- 해외에서 주요 기술을 보유하고 있어, 국내보다는 국외에서 경쟁이 강화될 것으로 나타남

#### <상용화 전략 수립>

- 줄기세포 R&D 기반제품의 국산화 지원을 통한 연구 생산 비용절감 및 줄기세포 연구 활성화 도모
- 줄기세포 연구 산업화에 소모되는 첨단 연구재료 개발 및 임상적용 시스템 기술개발 지원 확대 필요
- 줄기세포 연구성과의 실용화 연계 및 글로벌 시장 진출 가속화를 위한 산업화 기반기술 개발필요

- 줄기세포 연구/산업화 기반기술 및 제품에 대한 표준화/규격화 연구지원
- 줄기세포 관련 제품 및 기술개발 시 소모되는 시간과 비용절감을 위한 프로세스 자동화, 대량생산 장비, 분석제품의 키트화 개발 지원 필요

**(9) 기대 및 파급효과**

**<과학기술적 측면>**

- 다양한 타 학문과 동반성장 가능성
  - 오가노이드 관련 연구기술의 발전은 세포치료제 및 3차원 조직/장기 개발, 질환모델링 및 신약개발 플랫폼 등 다양한 융합기술 활용 영역에서의 기술력을 동시에 향상시킬 것으로 기대
  - 오가노이드를 이용한 바이오장기 개발은 개인별 맞춤형 조직재생학적 치료 기술을 실현함으로써 안정적인 재생의학 시대 진입 기대
  - 통합적인 다학제간 연구를 통한 최적의 지능형/맞춤형 생체재료 및 공정조건, 세포 배양 환경 확립은 다양한 기술과 연계되어 효과적이고 완성도를 높일 수 있는 기술적 기준으로 활용 가능
  - 3D 오가노이드 생산 및 성숙화 연구를 통해 체외에서 다양한 장기의 발생 및 발달과정을 유전적, 후생유전적 측면에서 보다 다각적으로 이해할 수 있으며, 특정 장기의 초기 발달과정 이해를 위한 체외 모델 시스템으로 활용이 가능함
  - 더욱이, 환자 유래의 오가노이드 생산기술은 다양한 난치성질환 또는 발달장애 질병 등의 발병기전을 이해하기 위한 모델로써 그 효용 가치가 있으므로 기초발생학, 조직공학, 약리학 등의 다양한 타학문과의 동반발전이 이루어질 것으로 예상됨
- 줄기세포 기반 질환 치료 및 관련 기술 확보 및 경쟁력 강화
  - 다양한 질환과 관련 원인에 따른 맞춤형 치료 줄기세포주 구축 및 대량 생산 기술 확보 기대
  - 안전성 및 수율을 향상시킬 수 있는 새로운 인간 전분화능 줄기세포를 유도하고 표준화된 세포주 제작 원천기술 개발 기대
  - 줄기세포 기반 신약개발 플랫폼 개발
  - 신약개발 과정 중 약물 효능 및 독성 검증에 필요한 특정 분화 세포의 대

량 생산 및 자동화 공정을 포함하는 실용화 기술 개발 기대

- 신약개발 과정에서 병리적인 특성을 갖춘 질환 모사 세포의 표현형 중심으로 유효성 확인이 가능
- 동물 대체 기술 확대에 기여 가능

**<사회경제적 측면>**

- 신약 개발 산업 분야의 새로운 패러다임 제시
  - 오가노이드를 신약개발에 실질적으로 적용하기 위해서는 체내에서 일어날 수 있는 약물에 대한 효능 및 독성을 체외에서 동일하게 예측할 수 있는 수준으로의 기술 개발이 필요하며 이를 위한 오가노이드 성숙화 과정이 필수적임
  - 오가노이드를 이용한 신약스크리닝 플랫폼이 구축되어 효율적인 체외 효능 및 독성평가 시스템이 개발될 경우, 신약후보물질에 대한 효능 및 독성 검사를 수행하는 능력이 보다 정확하게 되고 결과적으로 신약개발에 있어 비용절감 및 소요기간 단축의 효과를 얻어낼 수 있게 될 것으로 봄
  - 또한, 약물의 약리활성 및 독성 평가에 사용되는 실험동물의 사용을 최소화할 수 있는 체외 스크리닝 시스템 구축을 통해 전임상과정이 최소화되고, high-throughput 신약개발을 가능하게 할 것으로 보임. 결과적으로 신약개발 비용을 혁신적으로 절감하여 신약 개발 산업 분야에 새로운 패러다임을 제시할 수 있을 것으로 기대함
  - 재생의학의 핵심기술인 세포치료제 분야의 2022년 고용창출 효과는 2만명에 달할 것으로 기대되는 등 오가노이드 연구 활성화에 따른 국내 조직재생 관련 전문인력 양성을 통해 신규 일자리 창출도 가능할 것으로 기대
  - 급증하는 노화, 만성 난치질환에 대한 근본적인 치료 가능성을 제시하여 사회 전반적인 건강지수 향상에 이바지 할 것으로 기대
  - 혁신적인 조직재생 기술개발을 통해 현대 사회의 장기 이식 문제해결 및 희귀난치성 질환에 대한 환자 맞춤형 재생의료 실현화 시기단축

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안

## 2-3-2. 오가노이드 활용기술

### (1) 기본 개념 및 범위

#### <개념>

- 질환동물모델 및 세포배양법을 기반으로 한 생물학적 연구의 한계점
  - 최근까지도 질환 연구 및 신약 개발을 위해 질환동물모델을 이용한 연구가 진행되고 있음. 질환동물모델은 생체 내 다양한 미세환경 조건과 실제 조직의 특성 및 기능을 반영할 수 있다는 장점이 있음. 그러나 근본적으로 사람 특이적 질환의 병변 및 발병기전을 정확하게 반영하지 못한다는 한계점을 지님
  - 질환 연구 및 신약 개발을 위해 근래에는 배아줄기세포 또는 환자의 유도만능줄기세포를 이용한 세포기반 연구도 함께 진행중임. 특히 유도만능줄기세포의 경우 실제 환자와 유전적으로 동일한 사람 세포를 사용한다는 장점이 있으나, 기본적으로 세포기반 연구는 단층세포배양법(monolayer culture)에 기반함. 따라서 실제 조직의 구조적 특성 및 세포외적인 미세환경 요인 등을 반영할 수 없다는 한계점을 지님
- 오가노이드(organoid)의 정의 및 형성과정
  - 오가노이드는 줄기세포를 3차원적 배양법으로 응집 및 재조합하여 만든 장기 특이적 세포집합체로, 단순한 3차원 배양법으로 생산된 세포응집체(spheroid)와 달리 모델장기 특이적 세포를 두 가지 이상 포함하고, 유사한 구조로 조직화 및 기능화 되어있는 인공 유사장기임
  - 오가노이드는 기존의 수행되고 있는 단층세포배양법에 기반한 연구시스템의 한계점을 극복하고, 체내 조직 수준의 환경조건을 반영한 새로운 연구 시스템임. 실제 조직의 구조적, 생리학적, 기능적 특성을 체외에서 높은 수준으로 재현할 수 있는 유망한 기술로 평가받고 있으며, 지속적인 연구 및 개발가능성이 큰 줄기세포 분화기술로 주목받고 있음
  - 오가노이드는 실제 장기의 구조와 기능이 일부 유사하여 오가노이드(organoid)라고 불리며, 세포를 삼차원 배양법을 통해 응집, 재조합시킨 세포 집합체를 의미함
  - ‘실제 장기의 구조와 기능을 일부 닮았다’는 의미로서 오가노이드 개념이 도입된 이후 장기의 특이적 세포조합, 장기가 지닌 특정 공간적 분포를 통한 기능 재현, 실제 장기와 유사한 형태로 공간적 조직화가 가능함
  - 배아줄기세포, 유도만능줄기세포 또는 성체 줄기세포에서 파생되며, 스스로

재생 및 분화가 가능하여 3차원으로 자가조직화 할 수 있음

- Kanaster와 Knoblich의 정의에 따르면 오가노이드는 1) 모델로 하는 장기의 최소한 하나 이상의 세포종을 가지고 있어야 하고, 2) 특정 장기에 특화된 기능을 보여주어야 하며, 3) 세포들은 일부분에서 장기와 유사한 형태로 조합되어야 함
- 이에 따르면 오가노이드 내의 세포들은 단순한 세포들의 집합이 아니라 계통을 이루고 있다는 점에서 스페로이드와 큰 차이점을 보여줌
- 오가노이드는 모델로 하는 장기에 따라 다양한 조제 방법이 적용되지만, 만능 줄기세포나 조직의 전구세포로부터 시작하여 분화하고 공간적으로 분류되고 계층을 이루는 과정을 거쳐 형성되는데, 실제 생체 내에서 장기가 형성되는 과정과 매우 유사함

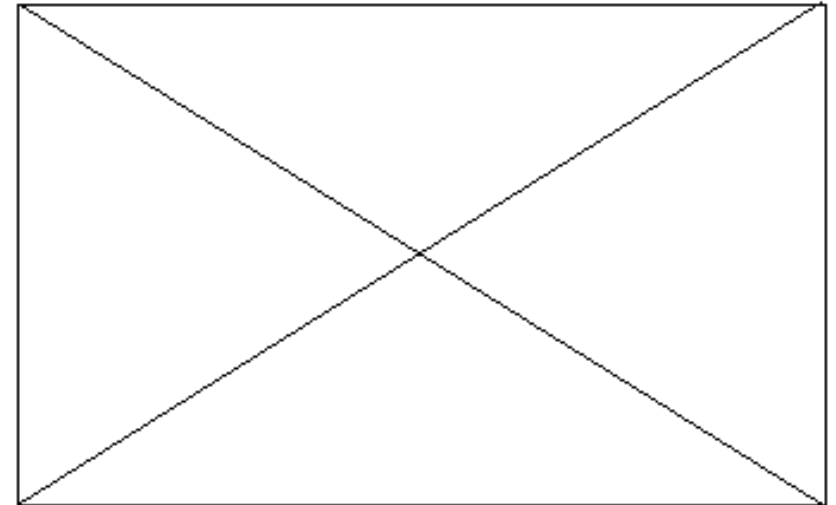


그림 1. 비치료분야에서의 줄기세포 활용법

- 생물학적 연구 분야에서 오가노이드의 활용
  - 오가노이드는 in vitro 배양이 가능하면서도 일반적인 2차원 배양법에서 얻을 수 없는 생체 유사 환경을 제공하기 때문에 특히 줄기세포 분야 및 발생생물학에서 다양한 시도가 이루어짐
  - 기관과의 상호 작용, 환경과의 상호 작용, 약물에 의한 영향 등을 연구함에

있어 생체로 실험하는 것보다 훨씬 간단하면서도 생체 내의 복잡한 환경의 영향을 단순화하여 보다 측정하기 용이한 데이터를 얻을 수 있음

○ 질병모델 및 약물독성/유효성 평가 분야에서 오가노이드의 활용

- 가장 관심을 이끄는 오가노이드 응용 분야는 질병 모델을 확립하여 질병의 메커니즘을 연구하는 것과 오가노이드를 이용한 약물의 독성/유효성 평가임
- 특히 다른 동물 모델이나 배양법으로는 인간의 뇌를 모사하기가 불가능하기 때문에 뇌와 관련된 질병 모델을 확립하는 데는 뇌 오가노이드가 가장 적합함
- 오가노이드는 기존의 2차원 또는 3차원 배양법보다 훨씬 생체와 유사하여 약물을 평가함에 있어 정확한 결과를 도출할 수 있으면서 동물을 이용한 평가법보다 훨씬 적은 비용과 시간이 소요되어 차세대 약물 독성 및 유효성 평가에 널리 사용될 것으로 예상됨
- 인체에서 유래된 오가노이드를 성공적으로 배양함으로써 다른 배양법과는 비교할 수 없는 정확한 평가 모델로 각광받고 있음
- 약물 효능 평가: 기존 방법의 비임상시험 결과가 임상적용결과와 달라서 많은 신약후보물질들이 임상시험단계에서 탈락하여 천문학적인 개발비용이 매몰되는 문제가 발생하는데, 오가노이드를 활용하면 기존 방법보다 높은 상관성을 가진 효능 평가법이 가능함
- 약물 독성 평가: 체외시험 및 비임상 동물실험의 예측성을 높이기 위하여 간과 같은 장기를 구성하는 다양한 세포가 포함된 오가노이드에 대해 독성 평가를 진행하는 것이 필요하며, 자동화된 스크리닝 시스템과 인체 유래 오가노이드를 융합하여 예측성이 높은 독성 평가가 가능함
- 약물 선별: 동일한 질환에 대하여 환자별 치료 효능이 달라 치료 효과가 높은 치료제의 효능을 평가할 수 있는 방법이 절실한데, 환자유래의 세포로 구성된 오가노이드로 치료제의 효능 평가를 수행하면 치료 효과 높은 약물을 제안할 수 있음

<범위>

- 세포 유래별 줄기세포주 수립 등 줄기세포 확보에서 재생의료, 융합산업 등 줄기세포의 활용으로 연구 패러다임 전환
- 줄기세포는 인체모사 가능성을 보유한 혁신적 연구 재료로써 질환기전 규명, 신약 후보물질 스크리닝 등에 활용 확대

- 줄기세포 기반의 질환모델링 기술을 활용하여 기존의 동물모델 수준에서 인간모델 수준으로 생명현상 연구

○ 2D/세포 수준에서 3D/장기 수준으로 연구 범위가 확대되면서 신약개발·재생의료 분야 응용 가능성 확대

- 줄기세포를 이용한 3차원 구조의 미니 오가노이드 제작 성과가 증가하는 등 신약개발 응용, 재생치료 활용가치 상승
  - 2차원 세포조직 대비 신약 안전성, 성능 시험에 훨씬 효과적이며 장기대체 등 치료용 활용 가치가 높게 평가되면서 관련 연구가 더욱 활발해지는 추세
- 조직공학과 줄기세포를 접목한 인공조직 개발이 주목받으면서 향후 조직·장기 수준의 이식용 오가노이드 개발 기대

○ 생명과학 및 헬스케어에서 줄기세포 연구재료에 대한 범용적 사용이 증가함에 따라 줄기세포 서비스 산업화 확대

- 줄기세포 연구개발 요소(세포주, 배지, 배양용기, 자동화 장비 등) 및 서비스 산업에 대한 산업수요가 높아질 전망
- 미국 Cellular Dynamics International (CDI)사는 리프로그래밍 기술을 활용한 세포주 제작 및 분화세포 판매로 2014년 이후 연간 1700만 달러 이상의 매출을 기록하고 있으며, 나스닥에 상장, 일본 후지필름은 재생의료 사업 확대를 위해 CDI를 3.7억 달러에 인수함

○ 오가노이드 활용을 위해서는 모델장기 특이적 오가노이드 생산기술의 확보, 해당 모델장기의 구조, 생리, 기능적 특성을 보다 높은 수준으로 재현할 수 있도록 분화시키는 성숙화 기술의 확립, 오가노이드 생산 가속화 및 대량생산 기술 개발을 통한 실용화 연구, 암 치료제 발굴을 위한 암조직 유래 오가노이드 생산기술 개발, 최종적으로 질환모사 및 신약개발 플랫폼의 개발로 이어지는 순차적 연구개발이 필요함

○ 오가노이드 성숙화 기술 개발

- 높은 정확도 및 신뢰도가 확립된 질환모사 및 신약개발 시스템을 확립하기 위해서는 실제 장기의 구조, 생리학적 특성 및 기능성을 매우 높은 수준으로 모사할 수 있는 성숙화 오가노이드 생산기술의 개발이 선결되어야 함
- 다양한 장기특이적 오가노이드 생산기술 개발
  - 전능성 줄기세포는 분화조건에 따라 여러 모델장기 특이적인 오가노이드로 유도될 수 있음. 현재까지 폐, 위, 간, 유선, 소화관, 췌장, 뇌 등 여러 모



델장기 특이적 오가노이드 생산 연구가 보고 되었음. 추후 해당 장기의 전반적인 특성 뿐 아니라 각 장기의 세부 부위를 고순도로 모사할 수 있는 부위특이적 오가노이드 생산기술의 개발이 필요함

- 기존의 오가노이드 기술은 해당 장기의 구조 및 단순한 생리학 특성만을 모사할 수 있었음. 다양한 장기특이적 오가노이드의 성숙화 기술을 개발함으로써 실제 장기의 기능성 및 미세환경을 재현할 수 있는 고기능성 오가노이드 생산기술을 확립해야함
- 분화과정 제어기술을 통한 성숙화
  - 전능성줄기세포의 분화를 통해 장기특이적 오가노이드를 생산하는 과정은 고도로 세분화된 제어가 필수적임. 엄격히 제어되지 않은 유도 과정은 모델장기 외의 다른 장기 조직이 비균질하게 관찰되는 미성숙한 구조를 나타내며 재현성, 생성 효율성을 저하함.
  - 고도로 세분화된 장기 분화과정 제어기술 개발을 위해서는 모델 장기의 분화기전이 정확히 규명되어야 하고, 이를 기반으로 정밀한 분화과정 제어가 필수적임
- 체내 미세환경 조성을 통한 성숙화
  - 실제 장기는 발생 중에 인접한 주변 조직과의 유기적인 상호작용을 통해 발달 되지만, 기존의 오가노이드 생산기술은 이러한 유기적인 상호작용을 반영하지 못하는 한계점이 있음. 따라서 분화과정 중 필요한 체내 미세환경의 부재로 인해 불완전한 구조 및 기능성을 보임.
  - 특정 세포와의 공배양, 다른 장기 특이적 오가노이드와의 공배양, 오가노이드내 혈관 생성화 등 체내 미세환경을 반영하기 위한 다양한 기술개발이 필수적임

○ 오가노이드 실용화 기술 개발

- 저비용, 단기간 생산 기술개발
  - 실제 모델장기와 높은 유사성을 지니는 오가노이드의 제작 및 유지에는 장기간 높은 비용이 요구됨.
  - 실질적인 질환모델 연구 및 신약 연구를 위해서는 균일한 재현성 및 기능성을 지닌 오가노이드를 저비용으로 단기간내에 생산하는 생산기술 구축이 필요함
- 대량 생산 시스템 구축
  - 오가노이드를 이용한 질환모사 연구와 신약개발 연구의 높은 신뢰성 및 효율성을 위해서는 균질한 구조 및 기능성을 갖춘 오가노이드의 표준화 대량생산 시스템 구축이 필수적임

- 동결보존 기술 개발

- 오가노이드의 배양에 요구되는 긴 제작기간과 높은 비용을 고려했을 때, 생산기간 단축 및 비용절감을 기대할 수 있는 동결보존 기술의 개발이 필수적임

○ 오가노이드 기반 질환모사 연구

- 오가노이드 성숙도 분석 기술
  - 질환모사 및 신약개발 연구에 응용하기 위한 양질의 오가노이드를 선별하기 위해 생산된 오가노이드의 균질성 및 성숙화 정도를 평가할 수 있는 분석기술 확립이 필요함
- 질환모사 오가노이드 생산기술
  - 유전자편집기술 및 환자유래 유도만능줄기세포를 활용하여 다양한 난치성 질환의 표현형 및 발병기전을 모사할 수 있는 오가노이드 생산기술 개발이 필요함
- 오가노이드 기술기반 발병기전 연구기술
  - 생산된 환자 유래 오가노이드와 정상 오가노이드의 비교분석을 통해 발병기전을 규명할 수 있는 연구체계 확립이 필수적임

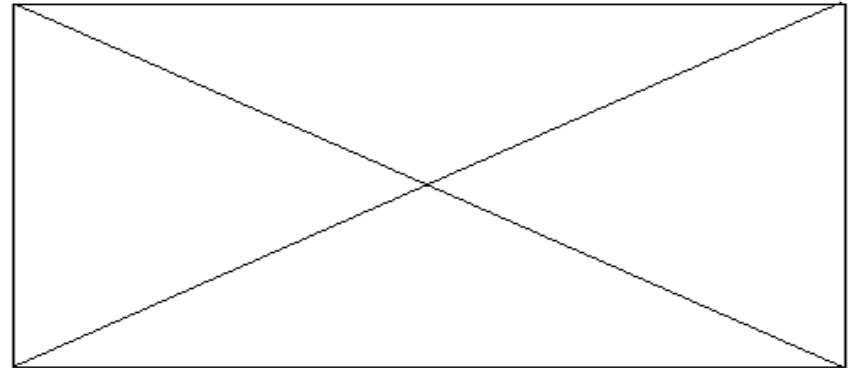
○ 오가노이드 기반 암 질환모사 연구

- 다양한 종류의 암조직 유래 오가노이드 자원확보
  - 환자의 조직으로부터 생김한 암조직으로부터 오가노이드를 생산하고 장기간 배양 및 보관할 수 있는 बैं킹시스템 개발이 요구됨
- 오가노이드 내 다양한 종류의 암재발생 구축기술
  - 오가노이드 배양기술 과 유전자편집기술을 접목함으로써 정상조직으로부터 암조직이 발생하는 과정을 재현하고 발병기전을 분석할 수 있는 연구모델의 개발이 필요함
- 오가노이드 및 체내 암조직간의 비교분석을 통한 암 질환모사 연구기술
  - 생산된 암조직 유래 오가노이드와 정상 오가노이드의 비교분석을 통해 발병기전을 규명할 수 있는 연구체계 확립이 필수적임
- 환자 특이적 암 오가노이드를 이용한 환자맞춤형 신약개발 연구기술
  - 생산된 암조직 유래 오가노이드를 약물스크리닝 플랫폼에 적용함으로써 특정 암조직을 선택적으로 사멸시킬 수 있는 치료약물 스크리닝 연구를 수행할 수 있음

## (2) 추진 배경 및 필요성

### <추진 배경>

- 세계적으로 강화되는 실험동물 사용규제 및 포유류 실험동물 기반 독성실험 축소 움직임에 능동적 대처 필요
  - 실험실 수준에서 누구나 손쉽게 의약품이나 화학물질의 독성·유해성을 평가할 수 있는 독성평가 분야의 새로운 패러다임 생성
  - 4차 산업혁명시대 도래로 독성 및 위해성 평가 분야 기존의 동물실험을 대체할 수 있는 혁신기술에 대한 사회적 요구 증가



[그림] 오가노이드 활용에 대한 사회적, 경제적, 기술적 요구 증가

- 알츠하이머 병, 파킨슨씨 병 같은 퇴행성 질환 및 자폐증, 조현병 등 발달장애와 같은 난치성 질환의 치료법 연구를 위해서는 질환의 병변을 정확하게 재현하고 발병기전을 반영할 수 있는 질환모델의 개발이 필수적임
  - 사람의 조직이나 세포를 배양하는 세포배양법 기반 연구의 경우, 실제 체내 환경과 상이하게 다른 단층배양 시스템에 의해 높은 신뢰도 및 정확성을 기대하기 어려움
- 줄기세포 기반 오가노이드 연구는 다양한 질병치료 이용에 대한 파급효과가 기대됨에 따라 최근 관련 연구개발이 더욱 활발해지는 추세
  - 줄기세포 기반 오가노이드는 이론적으로 모든 종류의 장기 제작이 가능하므로 최근 재생 의학적 핵심기술로써 관심 집중
    - ‘오가노이드’를 키워드로 지정, ‘논문 제목, 초록, 키워드’를 범위로 설정하여 2000 ~ 2015년 사이에 발표된 논문을 검색한 결과 2563건 게재, 그 중

2026년이 최근 5년 동안 발표되는 등 최근 들어 관련 연구가 더욱 활발한 분야

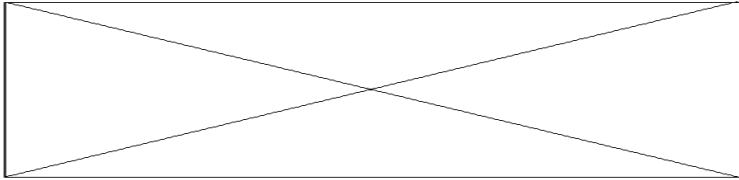
- 단순히 장기 모사체를 제작하는 기술에서 실제 조직/장기의 기능을 가지는 인체 모사 장기를 제작하기 위한 연구가 활발
- 2차원적으로 만든 세포조직보다 신약의 안전성, 성능을 시험하는데 훨씬 효과적이며 치료용으로써 활용가치도 크게 평가되면서 관련 연구가 더욱 활발해지는 추세
- 정부 및 연구기관의 오가노이드 기술에 대한 중요성 인식 확대
- 국가 생명공학육성기술기본계획 내 “2018년 미래유망기술”에 포함됨(출처: 생명공학정책연구센터, 2018 바이오미래유망기술(2018.01))
- 2018년 바이오 미래유망기술로 선정(출처: 생명공학정책연구센터, 2018.01)
- 2018년 정부부처의 R&D 기술분야별 투자전략에 줄기세포를 이용한 오가노이드 제작기술에 대한 연구지원을 확대를 발표(미래창조과학부, 2017.02)
- 오가노이드 관련 정부 R&D 사업(안)/공고 발표
  - \* 2016년 제3차 산업핵심기술개발사업(총 정부출연금 60억원)
  - \* 2017년 정부 R&D 특허전략지원 사업(안)
- 오가노이드 배양·제작을 위한 3차원 복합 시스템 개발이 활발히 진행되며 3차원 유사 장기 시스템에 관한 관심 증대 추세
- 오가노이드 개념의 3차원 유사 장기 시스템으로서 Organ-on-chip 연구활발
  - 3차원 유사 장기 시스템으로 장기를 칩 상에서 구현하여 최소화하는 organ-on-chip 연구가 진행 중으로, 구조의 원리를 이용해 인체 장기의 반응을 체외에서 측정할 수 있어 동물실험에 대한 윤리적 문제를 극복할 수 있는 장점 보유
- 바이오 분야에서 3D 프린팅 기술이 활발히 응용되면서 오가노이드 연구와 같은 조직공학적 접근에서 바이오프린팅 등 3차원 복합 시스템 개발연구 활발
- 기능성 실용성을 가지는 생체모방 오가노이드 기술 발전을 위해서 미세환경의 구조적 신호적 요소에 대한 이해 및 3차원 배양 시스템(세포의 복잡한 조합, 생체 모방성 3차원 지지체 이용, 미세유체칩, 랩온칩 등)을 위한 구조체 제작 기술 등의 연구 진행
- 오가노이드 제작, 활성화, 기능 향상을 위해 세포와의 적합성 및 상호 보완성을

충족시킬 수 있는 생체재료 개발 필요성 증대

- 오가노이드 제작을 위한 3차원 배양 시스템 구현에 있어 세포의 증식·분화에 시너지 효과를 미칠 수 있는 생체재료 개발 연구 활발
- 오가노이드 관련 연구는 향후 기술발전 및 활용 범위 확대에 따라 관련 산업에 주요한 성장요인으로 적용될 것으로 전망
- (조직재생) 글로벌 조직공학 및 재생시장은 '11년 599억달러에서 연평균 8.4%로 성장해 '16년 897억달러 규모로 확대될 것으로 전망
- (3차원 배양) 줄기세포 기반 3차원 배양시장은 '13년 1.5억달러에서 연평균 29.4%로 성장해 '19년 6억달러에 달하는 규모를 형성할 것으로 전망
- 2016년 4.7억불 규모에서 2021년 13.5억불로 성장예상(출처: 3D Cell Culture Market, 2016, Markets and Markets)
- 오가노이드 투명화(clarity) 및 조직 이미징 장비 시장의 성장
- 오가노이드 관찰에 필요한 현미경 시장은 연평균 성장률 7.2%로 2019년까지 약 6조원 정도까지 확대될 것으로 전망됨(출처: Microscopy Market by Product, Application & by End User - Global Forecast to 2019, Markets and Markets, 2014 Nov)
- 약물개발에 사용되는 고밀도 어레이의 활용범위 및 수요도 꾸준히 증가하고 있으며, 2018년 250억불에 이를 것으로 전망됨(출처: BCC Research)
- 동물실험 대체 및 신약개발 효율화를 위한 글로벌 제약 회사들의 줄기세포 유래 특정 장기세포 활용 확대 추세
- 최근 동물사용 규제가 확대됨에 따라 전 세계적으로 동물실험 대체기술 관련 시장이 확대되는 추세로, 제약사와 줄기세포/바이오 기업 간 줄기세포 모델 개발 공동연구 활발
- 아직까지는 2차원적 줄기세포 수준에서의 모델을 수립하여 신약 독성/효능 평가에 활용하고 있으나 향후 3차원 배양시스템을 이용한 오가노이드 모델이 개발되면 신약개발 위험요소 및 임상시험 축소 등의 이점으로 인해 제약 회사들의 요구가 더욱 증대될 것으로 예상

#### <추진 필요성>

[그림] 줄기세포 연구 패러다임의 변화



- 인체 유사 시스템으로서의 오가노이드는 새로운 연구 패러다임으로 부각되고 있으며 사회적 변화에 따라 점차 필요성이 증대되는 추세
  - 희귀난치질환 발병률 및 안전사고 발생빈도 증가 등 사회적 변화에 따라 인체 조직/장기 손상 혹은 기능저하 사례가 증가함에 따라 조직재생 등 오가노이드 기술에 대한 니즈 확산
    - 현재 의료기술로는 심각한 장기 손상이 약물 요법만으로 치료가 불가능하며 이식만이 유일한 치료법인 경우가 많아 대체로 타인의 장기나 동물 유래 이종장기, 인공장기 이식 및 장기 대체품으로 치료 대체
    - 국내 장기이식 대기자수 현황은 계속 증가하고 있으나, 이식 대기 환자 수 대비 공여조직이나 장기 공급은 한정적 상황
  - 오가노이드 기술은 차세대 연구기술로써 2차원 세포 수준과 실험동물 모델을 이용한 현재 연구 패러다임에서 3차원적 연구 패러다임으로의 전환 잠재력 보유
    - 기존의 in vitro 모델 및 동물 모델의 단점을 보완할 수 있는 인체 유사 시스템에 대한 필요성이 증대되고 있으며 인간의 조직/장기를 모사할 수 있는 줄기세포 기반 오가노이드 및 융복합 장기칩 개발기술을 통해 이를 충족할 수 있을 것으로 기대
    - 오가노이드 및 오가노이드 기반 인체 유사 시스템을 이용한 임상시험 단계의 축소/보완을 통해 비용 및 시간 절감 가능
- 오가노이드 기술은 다양한 영역에서 활용 가치가 기대되나 아직 전 세계적으로 연구 초기단계에 있어 신속한 원천기술 개발 집중을 통한 글로벌 시장 선점 필요
  - 줄기세포의 특성 및 발생학적 접근법을 이용한 오가노이드 기술은 발생학적 기초연구부터 신약개발 활용과 장기 대체 등 재생의학적 적용까지 광범위한 영역에서 활용 가능
    - 오가노이드 기술을 통해 인간의 질병기전에 대한 이해를 높이고 보다 효율적인 인체 조직 모사를 활용한 줄기세포치료제 및 새로운 치료법 개발이 가능할 것으로 기대

- 줄기세포 기반의 복합 오가노이드 배양시스템을 활용한 조직발생 및 재생 환경 구현으로 조직재생에 필요한 인자 및 생체재료 평가에 이용 가능하며 환자 iPSC 유래 오가노이드를 통한 질환모델링, 신약개발 및 재생의학 이용에 혁신적 진보를 이룰 수 있음
- 지금까지 다양한 오가노이드 연구사례가 발표되었지만, 이 분야의 연구가 지속되어야할 필요성이 있음
  - 아직까지 인간의 모든 장기를 모사할 수 있는 오가노이드를 형성하지 못하고 있는 실정으로, 다양한 장기의 오가노이드 형성, 유지기술 개발이 필요
  - 3차원 형상을 가진 오가노이드의 연구를 위해 3차원 구조적 고찰이 필요한데, 작은 크기(수백  $\mu\text{m}$  ~ 수 mm) 및 불투명성으로 인해 내부관찰이 불가하므로, 오가노이드 투명화 기술의 개발이 필요
  - 현재 오가노이드 관찰에 사용되는 공초점 현미경 기술은 1개의 3차원 이미지를 얻는데 수 시간이 소요되므로, 이를 개선할 수 있는 고속 이미징 기술의 개발이 필요
- 오가노이드 핵심기술 개발 및 시장선점을 위해 세계 선진국에서는 국가적 차원의 연구 투자가 활발한 추세로, 국내에서도 전략적 정책지원 필요
  - 미국 국립보건원(NIH), 국방첨단연구원(DARPA), 식품의약국(FDA)을 통해 미국 대학과 병원이 연계된 'Tissue Chip Project'에 약 7천만 달러 규모의 연구비를 지원하고 있음
- 현재 오가노이드가 가지고 있는 기술의 한계점을 극복하는 연구를 통해 빠른 실용화가 요구됨
  - 현재 오가노이드 기술은 특정 기관의 구조 및 세포구성 등 대표적인 특성을 모사할 수는 있으나 실제 장기의 특성 및 기능성 등을 반영하기에는 그 기술수준이 미성숙한 상황임. 따라서 분화과정의 정밀한 조정 및 미세환경 재현을 통한 오가노이드 성숙화 기술의 개발이 필수적이며 이를 통한 실제 장기수준의 기능성 오가노이드 생산체계 및 평가플랫폼을 확립하는 것이 필수적임
  - 현재까지 오가노이드 기술은 재현성 및 생산 효율성이 낮다는 한계점을 보이므로, 이에 실제 모델장기의 특성 및 기능을 우수한 수준에서 모사할 수 있는 균일한 품질의 오가노이드를 대량생산하는 연구가 필요함
  - 현재까지 개발된 기술로는 오가노이드 생산을 위해 장기간의 분화 및 배양 과정을 필요로 하며, 이에 따라 높은 비용과 장기간 연구기간이 소모된다는

한계점이 있으므로, 실제 오가노이드를 질환모사 및 신약개발 연구에 적용하기 위해서는 생산기술 최적화를 통한 생산기간 단축 및 동결보존기술을 통한 배양 비용절감을 달성해야할 필요성이 있음

- 오가노이드를 이용한 질환모사 및 신약개발 연구의 신뢰도를 확보하기 위해 생산된 배지의 표본조사를 통해 오가노이드의 성숙화 정도 및 기능성을 측정하고 평가할 수 있는 분석기술의 개발이 필요함
- 환자 특이적 암 오가노이드 생산기술 개발을 통해 환자맞춤형 신약개발 및 암 치료제 스크리닝 등 정밀의료 제반기술의 확립이 필수적임

### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

- 현재 오가노이드 연구분야는 개념확립 및 원천기술 개발 단계로서, 국내 다양한 연구기관에서 오가노이드 생산을 위한 연구를 진행 중에 있으나 아직까지 질환모사 및 신약개발 등에 오가노이드를 활용하는 실용화 시장은 형성되지 않음
  - 국내 다양한 연구기관에서 오가노이드 생산기술 개발을 추진하고 있으나, 현재까지 공식적인 연구성과가 발표된 바가 없기 때문에 경쟁수준을 파악하기에는 다소 무리가 있음
- 오가노이드 핵심기술
  - 2013년 미니 뇌가 제작된 후 오가노이드 제작 연구가 활발히 진행, 이후 미니 신장, 갑상선, 간 등 다양한 오가노이드 개발 성과 도출되었으나, 오가노이드 유지·배양기술이나 생체시스템을 대체할 만한 수준의 기능화 된 오가노이드 개발 측면에서는 아직까지 초기 연구단계 수준임
  - 국내에서는 생체적합성 재료를 융합한 조직공학 및 인공조직 연구개발이 활발한 상황으로, 최근 들어 줄기세포 기반 지지체, 인공장기 칩 등의 연구 추진 중
- 2016년부터 오가노이드 관련 국가연구과제가 일부 시행되고 있는 상황이나, 국외의 연구 및 투자규모에 비하면 매우 미미한 수준이며 보다 광범위하고 전폭적인 지원이 필요한 실정임
  - 국내에서는 현재 몇몇 회사 및 연구소에서 오가노이드 관련 신규 프로젝트를 진행하고 있으며, 아직 오가노이드 분야에서 국내 리딩그룹이 없는 점에서 신규 기업의 투자 또한 이루어지고 있는 추세임

- 인터파크그룹 바이오융합연구소에서 오가노이드 기반 맞춤형 진단 서비스 개발에 착수함
- 안정성평가연구소에서 독성 평가 모델, 대량 세포 제작, 3차원 배양 기술 등의 공통 기반 기술을 개발 중임
  - ※ 출처 : 융합 Weekly Tip '개인 맞춤형 임상시험이 가능한 오가노이드 기술'(융합 연구정책센터, '17.11)
- 한국생명공학연구원에서 실험동물 대체용 인공실험체구현 사업을 진행중에 있으며 오가노이드 기반 시험법을 개발 중임
  - ※ 출처 : 융합 Weekly Tip '개인 맞춤형 임상시험이 가능한 오가노이드 기술'(융합 연구정책센터, '17.11)

#### <국외>

- 국외에서는 몇몇 선도 연구진의 주도로 관련 기술의 급격한 성장이 이루어지고 있으며, 국가 및 회사의 적극적인 투자 및 연구협약이 이루어지고 있는 상황임
- 오가노이드 핵심기술
  - 줄기세포를 이용한 소장, 뇌, 안구 등 오가노이드 형성연구(Spence, J.R. et al, 2011; Cao, L et al., 2011; Lancaster, M.A., et al., 2013 등)
  - 오가노이드를 이용한 줄기세포 분화와 조직의 가소성(plasticity) 연구(Yin, X., et al, 2014; Takasato, M., et al., 2015; Donati, G., et al., 2015 등)
  - 오가노이드를 이용한 줄기세포의 미세환경 연구(Nozaki, K., et al., 2016; Lukovac, S., et al., 2014 등)
  - 미국 존스홉킨스대 연구팀, 알츠하이머 치매나 뇌졸중 등 뇌신경 질환연구의 효율성을 높일 수 있는 '미니 뇌' 제작(2016.2)
  - 미국 하버드대 연구팀, 인슐린을 생산하는 미니 '인공 위장'을 제작해 쥐에 이식하는 데 성공했다고 셀 스템 셀(Cell Stem Cell)지에 발표(2016.2)
  - 일본 도쿄대와 교토대 공동 연구팀, 쥐의 등에 '인간 귀' 배양(2016.1)
  - 일본 오사카대 연구팀, iPSC를 이용해 '인공 눈' 조직을 배양하는 데 성공했다고 네이처(Nature)지에 발표(2016.3)
  - 일본 이화학연구소와 도쿄대 공동 연구팀, 쥐의 잇몸 세포로 만든 iPSC로 모공과 피지샘이 있는 '인공 피부' 조직을 제작했다고 사이언스 어드밴시스(Science Advances)지에 발표(2016.4)

○ 국외의 오가노이드 관련 주요 연구현황 및 추진방향

- 위 연구진들로부터 현재까지 오가노이드 생산기술을 활용하여 생쥐 또는 인간배아줄기세포 혹은 역분화줄기세포로부터 대뇌피질, 중뇌, 소뇌 등과 같은 뇌조직을 비롯하여 폐, 간, 소화관, 위, 췌장과 같은 다양한 조직으로의 오가노이드 생산하는 원천기술 개발이 보고되었음
- 주요 연구진은 오가노이드 생산기술의 지속적인 개발을 통하여 보다 더 높은 재현성과 기능성을 지니는 성숙한 오가노이드를 개발하는 기술에 초점을 두고 있음
- 고기능성/고재현성 오가노이드 생산을 위해 혈관화, 하이드로젤 도입 등 체내 미세환경을 반영한 성숙화 기술 개발이 이루어지고 있음
- 또한 유전자편집기술로 배아줄기세포의 유전자를 조작하거나, 유전적 돌연변이를 지닌 환자로부터 유래한 역분화줄기세포를 이용하여 다양한 종류의 질병재현 오가노이드를 생성하고 실제 질환 병변 및 모델 장기의 발생 기전에 대한 연구를 진행하고 있음
- 최근 1년 사이 오가노이드 생산기술 및 유전자편집기술을 활용하여 위암, 대장암, 췌장암, 유방암 등 다양한 종류의 암을 재현하거나, 환자에서 유래한 암조직으로 암오가노이드 모델을 생성함. 또한 이를 통하여 암 발병을 야기하는 후보 유전자를 스크리닝하고 환자 맞춤형 약물 개발 플랫폼 개발 연구가 진행중임

		-

(4) 현황 및 개선방안

<현황 및 문제점>

- 줄기세포 기반 오가노이드 연구에 대한 투자 미흡
  - 바이오장기/조직공학에 대한 투자는 미흡하며, 이마저 오가노이드 연구에 대한 지원은 거의 없는 상황
  - 줄기세포 기반의 오가노이드 연구에 대한 투자는 미흡하며, 이마저 간, 신경 등 일부 장기에 국한되어 있고, 단순히 제작관련 연구 수준
- 오가노이드의 미흡한 재현성 및 낮은 생산 효율
  - 활발한 연구에도 불구하고 생성된 오가노이드의 재현성은 현저히 낮으며 이로 인해 현재까지 오가노이드 기반 질환모사 및 신약개발 기술의 정확도 및 신뢰도가 확보되지 않음
  - 비표준화된 생산기술로 인해 생산된 오가노이드간의 분자생리학적, 구조적 특성이 상이함
  - 고기능성/고재현성 오가노이드 생산 비율이 일정하지 않으며 그 효율이 낮음
- 다학제 융합기술 개발 가능성이 높은 분야이나, 재료 및 공학 등 다양한 분야 전문가와의 교류 및 융합연구 미흡
  - 미국이나 유럽에서는 다학제간, 산업체-대학간 공동연구가 활발히 진행되고 있는 반면, 한국에서는 상대적으로 취약
  - 응용 분야에 대한 전문 인력이 글로벌 대비 부족한 실정

		-
		-
		-

- 의료용 재료 등 일부 제품은 국산화가 빠르게 진행되고 있으나, 오가노이드 관련 기술은 초보수준으로 3D 배양 및 오가노이드 관련 산업기술 수준의 상향 추진이 필요
  - 오가노이드 융합기술은 현재 정형화되지 않은 상태로 개발되고 있어 향후 새로운 개념의 제품, 새로운 산업의 원천기술 확보가 가능할 것임
  - 오가노이드 관련 3D 배양 기술 및 제품 개발 분야는 미개발 상태로, 향후 시장 증대가 예상되며 이에 국산화가 시급함
    - 국내 기업의 오가노이드 관련 제품 세계시장 점유율은 0%에 가까움
    - 아직까지 비용적·전문적 기술 측면에서 해결해야 할 부분이 많으며 따라서 잠재 기술력 향상을 위해 국가적 차원의 지원 필요
- 오가노이드 기술 실용화방안 연구의 필요성
  - 기본적으로 오가노이드의 제작과 유지배양에는 높은 비용과 장시간의 연구 기간이 소요됨
  - 이는 오가노이드 기반 질환모사 및 신약개발 연구를 위해 반드시 극복해야 할 한계점으로 현재 개념확립 단계에 있는 오가노이드 기술의 실용화방안 연구가 필수적임
- 높은 신뢰도 및 정확도 기반 오가노이드 질환연구의 필요성
  - 오가노이드는 기존의 2차원적 분화시스템보다 더 유사한 체내 환경을 반영할 수 있기 때문에 기존의 질환모사 연구보다 더 높은 신뢰도 및 정확도를 보이는 연구결과를 제공할 수 있을 것으로 기대되고 있음
  - 이를 위해 고기능성 오가노이드를 통해 질환표현형 및 발병기전을 재현하기 위한 기반연구들이 필요함
- 오가노이드를 활용한 암 연구의 필요성
  - 한 장기에서 유래한 암의 경우에도 환자에 따라 기능적/유전적 배경이 확연하게 다를 수 있음. 따라서 환자맞춤형 약물 스크리닝 및 독성평가 연구가 필수적인 상황임
  - 현재까지 환자 특이적 암 연구를 위해 주로 추출해낸 암세포를 면역억제 동물모델에 심어 계대배양한 뒤 약물 스크리닝을 하는 방법을 사용 하였음
  - 그러나 동물모델을 이용한 계대배양은 추출된 암 조직의 선택적 배양을 야기할 수 있으며, 결과적으로 배양된 암조직의 기능적/유전적 특성이 실제

체내의 암조직과 달라지는 변이가 발생함

- 이러한 한계점으로 인해 동물모델을 통해 배양된 암조직을 기반으로 한 병리학적 분석 및 약물 스크리닝 결과의 정확도 및 신뢰도는 매우 낮음

#### <개선방안>

- 오가노이드 핵심원천 기술 개발을 위한 통합적 기초연구 지원 강화
  - 오가노이드 연구기반 구축에서 표준화, 산업화 전주기에 걸친 지원 프로그램 조성
  - 질병발생 및 진행과정을 밝히는 기전연구의 핵심적인 플랫폼 기술 확보
  - 오가노이드 제작/배양/성숙화 국제표준화 기준을 제안하고, 오가노이드 활용을 위한 안전성 및 유효성 검증 연구시스템 확보
  - 목표지향적 기초연구를 위한 기초-중개-임상 피드백 시스템을 강화하고, 중점 선도 연구그룹 확보 및 기 연구개발자들의 지속적 지원
- 분화기전 연구를 통한 오가노이드의 재현성 및 생성 효율 극대화
  - 현재 오가노이드 생성 기술로는 균일한 고기능성/고재현성을 보이는 오가노이드 생산이 불가능함. 또한 일부 고기능성/고재현성을 보이는 오가노이드조차도 실제 체내 장기에 비하면 그 수준이 현저하게 떨어짐
  - 이러한 한계점은 결과적으로 오가노이드를 활용한 질병연구에 대한 신뢰도 및 정확성을 떨어뜨리고, 장기간의 높은 제작비용을 야기함
  - 재현성 및 균일성을 떨어뜨리는 요인을 위해 정확한 분화기전 연구를 기반으로 하는 성숙한 오가노이드 생산기술 개발이 필요함
- 오가노이드 활용/실용화 기술을 위한 융합연구 전략적 지원
  - 선도형 오가노이드 제작을 위한 융합기술을 확보하기 위해서 줄기세포, 생물학, 의·약학, 재료공학, 기계공학 등과의 협력 강화
  - 개인맞춤형 의학 프로토타입 구축을 위한 환자 유래 오가노이드 연구 지원
  - 약물의 승인 평가 과정에서의 오가노이드 데이터를 채택하는 장치마련
  - 오가노이드 제작을 위한 미세환경제어 기술 및 오가노이드 관련 생체 재료 연구 지원 강화
  - 임상적용 가능성이 높은 오가노이드 및 인체 유사 시스템 플랫폼 개발을 위한

단계적 지원을 통한 지속성 및 글로벌 경쟁력 확보 건인

- 장기유사칩 등을 활용한 복합오가노이드 시스템 개발 지원
- 글로벌시장 경쟁력 확보를 위한 오가노이드 연구 인프라 구축
  - 오가노이드 제작/배양/성숙화/평가/활용기술 개발을 위한 중점연구 시스템 구축
  - 우수한 연구 인프라 구축을 위한 국가적 차원의 인력지원을 강화하고, 국내외 연구 네트워크 구축 및 성과 활용 시스템 마련
  - 국내산업의 관심유도를 위한 국가적 차원의 적극적 투자
- 오가노이드 실용화 기술 개발
  - 오가노이드를 다양한 분야에 접목을 위해서는 균일한 구조/기능성을 갖춘 오가노이드를 효율적으로 생산하는 기술의 개발이 필요함
  - 오가노이드의 생산 가속화, 동결보존 기술의 개발을 통해 오가노이드 생성에 요구되는 장기간 배양기간을 효율적으로 단축시킬 수 있음
  - 오가노이드 생산 기술의 저비용화 및 생산 효율 극대화를 통해 균일한 품질의 오가노이드를 대량생산하는 시스템 구축이 필요함
- 오가노이드기반 질환모사기술
  - 오가노이드가 2차원적 분화시스템과 비교했을 때 실제 체내환경과 얼마나 더 유사하고 높은 기능성을 보이는지 확인할 수 있는 정확한 지표를 설정하고 정량적인 결과를 보여주는 연구가 필요함
  - 질병을 재현하기 위해 배아줄기세포 외에 환자 유래 역분화줄기세포를 이용한 오가노이드 생성 기술이나, 유전자편집기술을 통한 질환모사 오가노이드 개발 기술이 필요함
  - 환자로부터 유래한 오가노이드를 대량생산하고 차후 연구를 위한 동결보존 기술의 개발이 필요함
- 암 연구에 오가노이드 기술을 접목하기 위한 기반기술 개발
  - 특정 장기의 오가노이드 생산기술과 유전자편집기술의 융합을 통해 암 발생 재현 및 발생기전 연구가 필요함
  - 또한 암 오가노이드 배양은 동물모델이 불필요하기 때문에 비용적/공간적 측면에서 보다 효율적인 관리가 가능함. 이에 암 오가노이드가 암연구에 대한 새로운 연구모델로 떠오르고 있음

- 따라서 다양한 종류의 암조직 확보 및 이를 통한 암모사 오가노이드 개발 기술 구축이 필요함
- 환자 특이적 암재현 오가노이드를 활용하여 환자 맞춤형 신약개발 연구가 필요함

[표] 현황 및 개선방안




(5) 연구개발 목표 및 내용



※ 첨복단지 내 줄기세포 치료 기술 연구진, 줄기세포 제조·생산기업과 줄기세포치료 전문병원 간의 임상 적용 연계 및 기/장비 공동 활용 활성화

- 공공인프라) 연구 및 임상 경쟁력 강화를 위한 줄기세포·재생센터 역할\*정립 및 국내 CMO/CRO\*\* 지원
- \* 첨단 줄기세포 치료 기술 교육·지도와 함께 줄기세포 관리·분양을 위한 국가 기반시설로서 연구/산업 활성화를 위한 기능 강화
- \*\* 줄기세포 분야 우수 CRO 인증제 운영 및 컨설팅, CRO 인턴쉽 프로그램 지원 등

○ MOA 확보 기반의 줄기세포 치료 기술 고도화를 통한 신뢰성 회복 및 글로벌 줄기세포치료제 시장 선도

- 다분야에 걸친 줄기세포 전문가 및 국제적 선도 연구팀 육성 프로그램 개발
- 관계부처 간 줄기세포 연구 연계사업 및 연구자 간 요소기술·인프라 공유 시스템을 활성화하고 우수인력·기술력의 줄기세포 산업 진출 촉진유도
- MOA 기반의 강화 줄기세포 치료제 개발을 위한 연구, 제조·생산, 분석, 전 임상 평가 등 전반적인 인프라 시설 개발 및 확충
- 연구계·산업계 협력을 통한 고도화 줄기세포의 효능을 검증하기 위한 유효성 평가 표준화 마련
- 산학연병 연계를 통한 질환 분석과 수요기반의 특정 질환범위 선정을 통한 국제적 경쟁력이 확보된 특화 줄기세포 원천기술 개발
- 대학, 병원, 제약기업간의 상호 긴밀한 정보 교류 및 공동연구 활동 활성화를 위한 질환 및 기전별 차세대 줄기세포 치료제 및 줄기세포 기반 인체모사 고도화 연구개발 육성 그룹 설립

○ 줄기세포 활용기술의 실용화를 위한 대량생산, 자동화 공정 기술을 위한 원천 기술 개발 및 표준화 기술 개발

- 대량생산공정이 GMP공정화 가능해야 하므로 CMO기관을 활용한 공정밸리데이션, 품질관리 설계 전략 필요함
- 자동화 공정은 세포의 특성에 맞추어 재료 및 기기의 설계, 제작, 검증 과정이 이루어져야 이 과정에서 생명/전자/재료/공학 분야의 융합연구 필요함
- 국내 자동화공정 연구의 경우 출발이 다소 늦은 시점이므로 기 산업화된 자동화시스템의 장단점을 활용하고 안정적인 기술을 확보하기 위해 글로벌 선도기업 등과의 국제 공동연구 추천됨

(7) 위험요인 및 해결방안

## (8) 상용화 전략

### <기존 상용화 사례>

- 현재 국내·외 오가노이드 연구진을 통해 자체 기술 개발 및 생성에 필요한 세포배양액 및 장비를 개발하여 라이선스를 얻고 있는 과정이며, 상용화 단계에 도달하기 위해 줄기세포 기반 기업에서 우수 연구진들과 함께 파트너십을 체결하는 등의 사례가 보고되고 있음
- 최근 STEMCELL 사는 Hans Clevers 교수 연구진의 조직유래 오가노이드 기술을 보유하고 있는 The Hubrecht Organoid Technology Foundation (The HUB)와 독점 라이선스 계약을 체결하였으며, 오스트리아 과학협회의 분자생명공학연구소(IMBA)와 미니 뇌 오가노이드 개발을 위한 기술협약을 독점적으로 제휴하고 있음
- 최근 미국의 Guo-li ming 교수 연구진은 spinning bioreactor (SpinΩ)를 자체 개발하여, 미니 뇌 오가노이드 생산의 재현성을 대폭 높인 바 있음. 해당 연구진은 bioreactor 제작 특허를 보유하고 있으며, 이를 이용하여 차후 대량 생산을 가능케 하는 가능성을 제시함. 이는 오가노이드 생산의 상용화 가능성을 보여주는 결과로 사료됨

### <성공 사례의 시사점>

- 현재 세계적으로 많은 연구자들이 오가노이드 생산기술을 개발 중에 있음에도 불구하고, 몇몇 연구진을 제외하고는 실제 상용화를 위한 실질적 개발단계에 이르지 못하였음. 따라서, 국내 연구진을 주축으로 상용화 단계의 오가노이드 기술 개발을 이루어낸다면, 국가적 경쟁력 제고와 더불어 경제적으로도 큰 이익을 창출해 낼 것으로 사료됨
- 또한 현재까지는 본격적인 투자 유치가 해외의 대기업에만 제한되어있기 때문에, 아직까지 경쟁시장으로의 투입이 원활하며 경쟁력 확보의 가능성이 있음. 따라서 국내의 바이오 기업과의 협업 및 적극적인 투자 유치 등을 통하여 기반 기술 등을 확립해 놓는다면, 경쟁력 확보가 용이함. 하지만 이를 위한 국가적 차원의 적극적인 초기 자본 투자 및 연구개발 지원이 절실함

### <상용화 전략 수립>

- 시장수요 조사
  - 3D 바이오 프린팅 기술 및 첨단 소재기술 등의 융합기술 발달에 따른 재생

의학의 기대수요 증가가 뚜렷함. 이와 같은 재생의학시장에서의 오가노이드 기술 적용 및 융합 연구에 대한 적극적 탐색 과정이 필요

- 신약 개발을 위한 기존의 동물 모델을 대체할 수 있는 플랫폼으로서의 오가노이드의 가능성을 파악하기 위해 실제 제약회사 및 기관에서의 신뢰도 검증이 필요하며 이를 평가할 객관적인 지표 확립이 선행되어야 함
- 기존 연구사업과의 연계 방안 수립
  - 기존의 오가노이드 생산기술 개발 연구 사업들의 결과들을 토대로, 실질적인 상용화 모델 개발이 필요. 이를 위해 국내의 우수 연구진을 통합할 수 있는 국가적인 차원의 제도 지원 등을 통한 통합적 시스템 마련에 대한 방안 수립이 필요
- 실제 임상·상용화 연구를 위한 연구 방향성 제시
  - 실제 임상수준의 연구를 위한 오가노이드 정제화, 면역거부반응 위험성 해결 등의 문제를 해결하기 위한 연구의 필요
  - 대량 생산을 위한 경제적인 배양법 개발, 효율적 동결보관법 개발 등 실제 상용화를 위한 정교하며 균일화된 오가노이드 생산 기술 개발이 필요

## (9) 기대 및 파급효과

### <과학기술적 측면>

- 미래 유망 원천기술로서 국제적인 선도 역할 핵심축으로 부상
  - 해외 주요 대학 및 연구기관은 3차원 세포배양시스템을 구축, 이를 이용한 오가노이드 관련 연구에 이미 많은 관심을 보이기 시작하고 있음. 또한 이를 통한 임상적용에 필요한 생체모방형 조직 생산 기술에 대한 연구지원을 점차 늘리고 있는 추세임
  - 따라서 오가노이드의 성숙화 방법 및 응용기술 개발을 통해, 미래 유망 원천기술 분야에 선도적인 역할을 수행할 뿐 아니라 기술적 측면에서 국제적 입지를 다지게 되는 계기가 될 것으로 보임
  - 안정적·고효율 특정세포 분화기술 확립을 통해 다양한 질환에서의 치료용 줄기세포주 확립 및 대량생산 가능
- 인간 질병의 정확한 특성 규명 및 신규 질환 극복 타겟 발굴
  - 실험동물 모델을 사용한 인간 질병 연구의 한계점을 극복하고, 인간 시료를 활용한 정확한 인간 질병 규명에 따라 질환을 극복할 수 있는 신규 타겟 발굴하여 저명한 국제 학술지에 논문 게재가 가능하다 판단되며 해당 치료제 개발 관련 후속 연구를 활성화할 수 있음.
  - 현재 특별한 치료법이 없는 난치성 유전병 분야에서 질환모델을 구축하고 유전자가위 등을 이용한 치료법 개발을 통해 난치병 환자의 질병 치료에 기여할 수 있을 것이라 예상
  - 줄기 세포 분화를 통하여 기존 불가능했던 병리적 특성을 가진 인간 세포 모델 확립이 가능
  - 새로운 질환 모델을 구축을 통하여 난치병 발병 기전 규명 및 맞춤형 치료법 개발 기대
  - 유전적 배경이 다양한 질환 특이적 세포주들을 수립하여 유전적 다양성 및 개체차에 따른 약물 평가 및 기전 연구 가능
  - 인간 유전자의 염기서열을 기반으로 한 질환 모사 연구는 임상적 적용이 가능한 치료법 개발이 가능할 것이라 기대
- 신약 후보 물질 평가 및 신약 개발의 한계점을 극복할 수 있는 대안 제시
  - 현재 비임상 단계에서 신약 후보 물질의 효능 평가를 수행하는 실험동물은

약물 대사 효소가 인간의 것과 상이하여, 실험동물로부터 도출된 결과가 임상 시험단계에서 불일치하여 신약 후보 물질의 탈락이 매우 빈번함. 따라서, 인간 질환 모사 세포를 활용한 약물의 평가는 정확한 인간 시료에서의 약물 평가 결과를 도출할 수 있어, 현재 실험동물을 사용한 평가방법의 문제를 극복할 수 있음

- 또한, 질병연구에 있어 실험동물은 유전정보가 인간과 동일하지 않아 정확한 질환 모사가 어려운 한계를 가지고 있으나, 인간의 유전정보를 보유한 인간 줄기세포는 정확한 인간 질병을 모사할 수 있어 실험동물의 유전적 불일치에 의한 질병연구 한계를 극복할 수 있음.

### <사회경제적 측면>

- 신약 개발 산업 분야의 새로운 패러다임 제시
  - 오가노이드를 신약개발에 실질적으로 적용하기 위해서는 체내에서 일어날 수 있는 약물에 대한 효능 및 독성을 체외에서 동일하게 예측할 수 있는 수준으로의 기술 개발이 필요하며 이를 위한 오가노이드 성숙화 과정이 필수적임
  - 오가노이드를 이용한 신약스크리닝 플랫폼이 구축되어 효율적인 체외 효능 및 독성평가 시스템이 개발될 경우, 신약후보물질에 대한 효능 및 독성 검사를 수행하는 능력이 보다 정확하게 되고 결과적으로 신약개발에 있어 비용절감 및 소요기간 단축의 효과를 얻어낼 수 있게 될 것으로 봄
  - 또한, 약물의 약리활성 및 독성 평가에 사용되는 실험동물의 사용을 최소화할 수 있는 체외 스크리닝 시스템 구축을 통해 전임상과정이 최소화되고, high-throughput 신약개발을 가능하게 할것으로 보임. 결과적으로 신약개발 비용을 혁신적으로 절감하여 신약 개발 산업 분야에 새로운 패러다임을 제시할 수 있을 것으로 기대함
- 난치성 질환 치료를 통한 국민 건강 및 복지 향상
  - 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능하게 함으로써, 국민의 삶의 질 향상 및 건강한 사회 실현
  - 효율적이며 경제적인 치료법 개발과 산업화로 난치성 질환 환자의 의료비 부담 감소
  - 줄기세포 관련 산업의 활성화에 따른 고용 창출
  - 질환 모사와 관련된 치료 및 신약 개발 인력을 양성하고 관련 산업을 활성화

화하여 고급 인력 창출과 고용이 확대될 것이라 기대

○ 줄기세포 활용 신규 산업 창출 및 수입 대체 효과

- 현재 높은 기술장벽으로 인해 질환 모사 세포 플랫폼을 사업화한 기업은 스위스의 Insphero AG사가 유일. 따라서, 본 과제의 수행을 통해 도출될 기술이 국내에 사업화 된다면 상용화 관련 인프라가 구축되고, 관련 고용 창출은 물론 향후 다가올 동물시험 대체법 시대에 막대한 수입 대체 효과 및 수출 증대효과가 있을 것으로 기대

○ 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위 선점

- 다양한 난치성 질환 유래의 세포를 이용해 구축한 질환 모사 오가노이드를 활용해, 체내에서 발생하는 난치성 질환 특이적인 질환표현형을 높은 신뢰도로 재현하고 이를 이용한 다각도의 접근이 가능하게 될것임. 이러한 기초 데이터를 종합하여 보다 경제적이고 뛰어난 약리활성이 보장된 치료제 개발을 위한 실용적인 차세대 지식창출형 데이터베이스가 구축될 수 있을 것으로 봄
- 이러한 지식 창출형 데이터들이 학문 및 산업계통을 통해 적극 활용될 경우, 향후 치료제 실용화를 위한 유효후보약물 선정시 정확도가 향상될 것이고, 보다 효율적이고 효과적으로 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서 우위를 선점할 수 있을 것으로 사료됨
- 환자맞춤형 질병치료제 개발 시장에서의 우위를 바탕으로 해외 제약사들과의 국제적 교류 및 거래 확산, 이를 통한 국내 제약 시장산업의 경제적 규모 향상 등의 경제적 파급효과를 거둘 수 있을 것으로 사료됨

○ 줄기세포 관련 의료 시장 경쟁력 선점 및 관련 산업 활성화

- 질환 모사는 질환 치료 및 신약 개발 분야 등 고부가가치 산업과 밀접한 기술로서 원천기술 확보 등을 통한 경쟁력 선점 시 막대한 경제적 부가가지 창출 기대
- 난치질환 치료는 해외 환자의 의료관광 산업 육성 및 관련 산업의 활성화 창출
- 질환 모델을 기반으로 한 신약개발은 기존 방법을 통해 소요되는 연구기간, 자본 및 인력을 획기적으로 절감하여 신약개발을 효율화할 것이라 기대

○ 글로벌 세포기반 분석시장 점유

- 세계 세포기반 분석시장은 2014년 34억 달러 규모에서 2025년에는 108억 달러 규모로 향후 10년간 약 3배의 시장 규모 증가 전망. 따라서, 증가하는

세계 시장에 발 맞추어 줄기세포 유래 세포를 활용한 세포기반 분석 시장 점유를 통한 막대한 국익 창출이 기대

(10) 과제 수 및 소요예산

[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)



[표] 연도별 소요예산

(단위 : 억원)



(11) 타부처사업과의 차별성 및 연계방안

## 3-1-1. 코디네이팅 센터

## (1) 기본 개념 및 범위

## &lt;개념&gt;

- 줄기세포 연구자 간, R&D사업 간, 산학연 및 글로벌 연계가 가능한 구심점 역할을 수행
  - 줄기세포 연구개발 정책기획 및 연구자 네트워크 활성화를 통한 줄기세포 원천기술 개발 확보 및 연구성과의 산업화, 글로벌화 촉진

## &lt;범위&gt;

- 줄기세포 Lab to Market을 촉진하기 위한 범위로 사업내용 구성
  - 줄기세포 연구·산업 활성화 정책 및 R&D사업 기획 지원, 국내외 연구자 네트워크 활성화, 연구성과의 기술사업화 및 창업 촉진, 산업개발 인프라 구축 등 크게 4가지 내용으로 구성

## (2) 추진 배경 및 필요성

## &lt;추진 배경&gt;

- 최근 혁신적 연구성과 발표로 줄기세포 연구개발 환경이 다변화함에 따라 연구개발 전략의 유연성 및 연구자 간 네트워크의 중요성 확대
  - 유도만능줄기세포(iPSC), 직접교차분화, 체세포복제 배아줄기세포, 오가노이드 등 혁신적 연구개발에 따른 줄기세포 연구환경 변화
- 줄기세포 기반의 신약개발, 조직공학 등 융복합 연구로 줄기세포의 활용영역이 확대되는 추세로, 줄기세포는 유망 신시장으로서 관심 고조
  - 환자 맞춤형 iPSC를 이용한 신약 후보물질 효능조사 등 신약개발 효율화, 오가노이드 및 3D 프린팅기술을 이용한 3차원 인간장기 제작 등 조직공학적 기술개발 추진

## &lt;추진 필요성&gt;

- 줄기세포는 미래 경제적·기술적 파급효과가 큰 핵심 신성장동력으로서 세포 치료제, 신약개발, 생체조직공학 등 다양한 분야에 활용되어 경제적 부가가

## 치 창출 가능

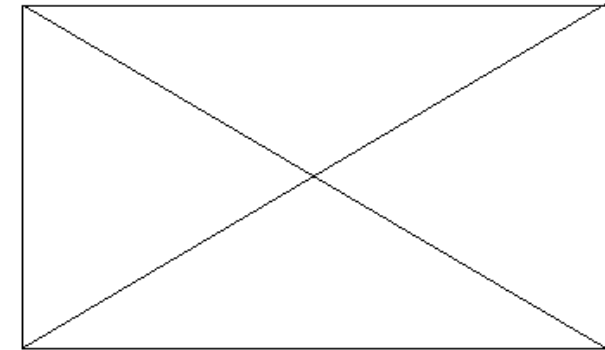
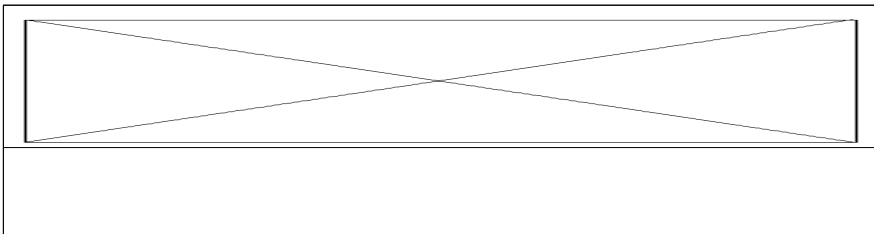
- 또한 질병의 근본적 치료인 재생의료와 개인맞춤형 미래의료기술 패러다임 변화에 부응 가능
  - ※ 파킨슨, 망막질환, 당뇨 등 적절한 치료법이 없는 난치질환에 대한 근본적 치료법 제공 가능성 확대
- 글로벌 줄기세포 시장은 2017년 628억달러 규모를 형성, 향후 빠르게 성장하여 2025년 3,944억달러 규모로 성장할 전망
  - 줄기세포치료제 및 치료기술 관련 임상시험의 증가와 줄기세포 기반의 신약개발 활성화 추세 등에 따라 글로벌 줄기세포 시장은 연평균 성장률 25.8%(’17~’25)로 꾸준히 확대될 전망
- 세계 주요국은 신기술 유망분야인 줄기세포 주도권을 확보하기 위해 국가 차원의 전략 정책 수립 및 법·제도 정비에 속도
  - (투자 확대) 국가전략 내 줄기세포를 핵심분야로 선정하고 줄기세포 치료제·첨단 재생의료 원천기술 확보를 위한 투자 확대
    - ※ 미국 NIH 1.5조원(’15년, NIH 총 예산의 5.1%), CIRM(캘리포니아) 3.3조원(~’17년), 일본 1,800억원(’15년, 정부 BT 예산의 5.7%) vs 국내 1,151억원(’14년, 정부 BT 예산의 4%)
- (제도 정비) 줄기세포 산업화 촉진 및 치료기술의 신속한 보급을 위한 규제 완화 등 법·제도 개선
  - ※ (미국) 인간 배아줄기세포 연구비 지원에 대한 연방정부의 규제 폐지(’09), 인간 배아줄기세포를 이용한 임상시험 최초 승인(’10.10) 등 안정적인 인간 배아줄기세포 연구 활성화를 위해 규제 완화
  - ※ (일본) 자유진료로 실시되던 재생의료에 대한 적절한 규제 적용을 위해 ‘재생의료 안전성 확보법’ 시행(’14.11), 재생의료 보급 및 실용화 촉진이 가능하도록 ‘재생의료 등 제품’ 조기승인 제도를 담은 ‘의약품·의료기기법(구, 약사법)’ 시행(’14.11)
- 국내에서도 시의적절한 원천기술 및 핵심 요소기술 확보와 줄기세포 산업의 글로벌 선도국 지위 확보가 시급
  - 이러한 대내외적인 환경에서 시의적절한 원천기술 확보 및 연구성과의 실용화/산업화 촉진이 향후 줄기세포 산업의 글로벌 선도국 지위 확보에 매우 중요할 것으로 인식
- 줄기세포는 신기술 유망분야로서 대내외적인 환경변화 등 줄기세포 분야가 처한 R&D 환경에 대한 주기적·체계적 동향분석 및 미래전망이 중요한 시점
  - 줄기세포 원천기술 확보 및 연구성과의 산업화, 글로벌화 촉진을 위한 R&D 정책기획 및 국내외 연구자 네트워크 활성화 지원 필요



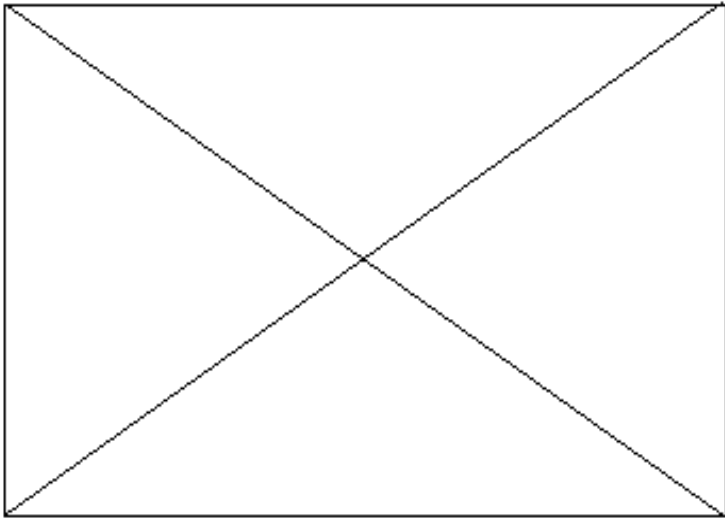
### (3) 국내외 기술동향

#### <국내>

- 국내 줄기세포는 과학·기술 경쟁력이 우수한 강점 분야로 조사·평가
  - 국내 줄기세포 기술수준은 글로벌 기술수준과 비교하여 기술수준이 높고 기술 격차가 작은 선도그룹에 해당
    - ※ 국내 줄기세포 분야 기술수준은 빠르게 상승 : ('08) 77.1%, 5.0년 → ('10) 80.8%, 3.5년 → ('12) 86.5%, 2.8년 → ('14) 84.7%, 2.7년
  - 성체줄기세포치료제는 시판 허가 수준의 기술력 보유, 배아줄기세포도 임상 가능 수준의 기술력 보유
- 이러한 국내 줄기세포 경쟁력은 그간 국가 차원의 적극적 투자와 지원을 통해 확보한 것으로 평가
  - 범부처 차원의 '줄기세포연구 종합추진계획(2006~2015)' 수립 및 연차별 '줄기세포 시행계획'에 따라 줄기세포 연구 지원
    - ※ 줄기세포 정부투자액은 '03년 이후 지속적으로 증가 추세 : '03년 102억원 → '15년 1,163억원
- 하지만 2016년으로 종료된 '줄기세포연구 종합추진계획' 이후 줄기세포연구에 대한 국가 전략이 부재한 상황
  - 급변하는 줄기세포 연구개발 환경에 발 빠르게 대처하고, 기술개발 및 산업 발전을 위한 정책 및 전략 마련을 위한 체계적인 지원 필요
- 줄기세포 주요 지원 부처인 과기정통부와 복지부를 중심으로 줄기세포 및 재생의료 연구개발 정책기획을 지원하기 위한 사업을 추진
  - 과기정통부는 줄기세포 원천기술개발 확보를 위해 '줄기세포 원천기술 확보 촉진지원 사업(Korea Network for Stem Cell Research & Tech-Development, KoNSCRT(콘서트) 사업)'을 추진
    - ※ 1기 사업기간 : '12~'17년, 2기 사업기간 : '17~'20년



- 복지부는 글로벌 줄기세포·재생의료 연구개발 촉진센터(Global Stem Cell and Regenerative Medicine Acceleration Center, GSRAC)를 두어 글로벌 수준의 R&DB 전략기획 및 사업화 촉진을 수행
  - ※ 사업기간 : '11~'18년(종료)
  - ※ 재생의료 분야의 정책지원, 사업화지원, 네트워크 구축 및 정보/동향분석을 통한 기술혁신의 실용화 추진
  - ※ 줄기세포·재생의료 연구 및 사업 활성화를 위한 전략 수립 및 성공적인 산업 생태계 조성을 위한 실행계획 수립
  - ※ 우수 연구성과 창출 및 실용화를 위한 국가 R&D 성공모델 제시 및 기술사업화를 위한 연구자 지원



- 하지만 이들 사업은 종료되었거나 향후 종료를 앞두고 있어 줄기세포의 특성을 반영한 연구개발 및 산업화 지원을 위한 컨트롤 타워의 역할 필요

**<국외>**

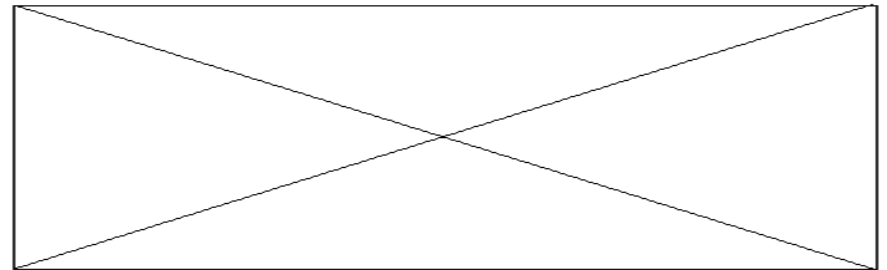
- 해외 줄기세포 선도국에서는 줄기세포의 미래 성장 가능성을 인식하여 줄기세포 연구개발 및 산업화를 지원하기 위한 전문기관을 설립
  - (미국) 캘리포니아주 소재의 재생의학연구소(California Institute for Regenerative Medicine, CIRM)은 Bridging the Gap(Turning ideas into therapies)을 강조
    - ※ 설립 당시 조성된 연구자금(30억달러, 약 3.3조원) 중 잔액 9억달러(약 1조원)에 대한 활용계획을 수립(CIRM Strategic Plan 2016 & Beyond(2016~2020년), 2015.1)



- (영국) 정부의 적극적인 주도로 기술혁신센터인 캐터펄트 센터(Catapult center)를 2011년부터 설립. 10개 캐터펄트 센터 중 '세포 & 유전자 치료(Cell and Gene Therapy)' 센터 설립하여 운영
  - ※ 기초연구와 산업계 수요 사이의 간극을 좁히고 시장이 필요로 하는 혁신의 속도를

높이고자 하는 산학연 협력 프로그램으로 현재 10개의 캐터펄트 센터가 운영 중

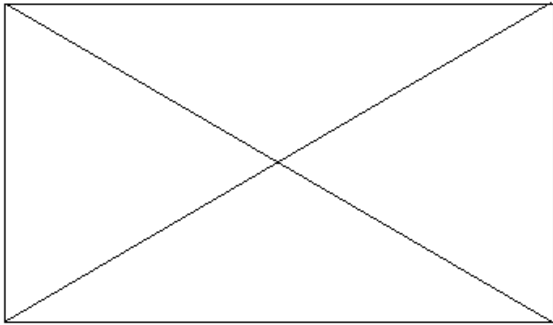
**< Cell and Gene Therapy Catapult 기능 >**



출처 : 가톨릭대학교 조미영, 첨단 재생의료에 대한 정부지원, 2017

※ 90% 이상의 자금을 국가예산(Innovate UK core revenue grant funding, Innovate UK capital grant funding)으로 보조하며, 10% 가량 외부 연구개발 용역 및 서비스 제공에 따른 자체 수입으로 운영(2017년 혁신청의 예산투자자는 약 2,500만 파운드(약 367억원)로 조사)

< Cell and Gene Therapy Catapult 2016~ 2017 예산 >



출처 : Cell and Gene Therapy Catapult, Annual Review 2017

- (캐나다) 연방정부 산하의 재생의학상용화지원센터(Center for Commercialization of Regenerative Medicine, CCRM)는 세포·유전자 치료제와 재생의학 기술개발 및 상용화를 위한 비영리 민간 컨소시엄
  - ※ 환자들을 위해 과학적 발견이 신속하게 시장 제품으로 전환하는 것을 목표. CCRM은 첨단세포치료기술센터(CATCT) 설립, 스핀오프(Spin-off) 분사 및 Medicine by Design 프로그램 참여 등으로 전세계 투자자들의 관심을 끌기 시작
  - ※ CCRM은 캐나다 정부에서 전략기술 분야에 지원하는 우수연구센터 네트워크(Network of Centers of Excellence, NCE) 프로그램의 하나로 2011년 1,500만 캐나다 달러의 자금을 지원받아 시작되었으며, 토론토대학에서 운영 중

< CCRM 팀 구성, From Concept to Market >


출처 : CCRM, 2016 ANNUAL REPORT

(4) 현황 및 개선방안

<현황 및 문제점>

- 국가 차원의 적극적인 투자와 지원에 힘입어 국내 줄기세포 기술수준과 경쟁력이 빠르게 향상되어 왔으나, 범부처 계획인 ‘줄기세포연구 종합추진계획’이 2016년 종료됨에 따라 줄기세포 연구에 대한 국가 전략이 부재한 상황
  - 급변하는 줄기세포 R&D 및 산업화 환경에 발 빠르게 대처하기 위해 줄기세포 연구자 간, 산학연 간 활발한 교류를 기반으로 결집된 집단지성을 활용하여 줄기세포 연구 및 기술개발, 산업발전을 위한 정책 및 전략 마련 필요
- 위와 같은 활동을 위해 줄기세포 주요 지원 부처인 과기정통부와 복지부를 중심으로 줄기세포 및 재생의료 연구개발 정책기획을 지원하기 위한 사업을 추진해왔으나,
  - 이들 사업은 종료되었거나 향후 종료를 앞두고 있어 줄기세포의 특성을 반영한 연구개발 및 산업화 지원을 위한 컨트롤 타워의 역할 필요
    - ※ 과기정통부 ‘줄기세포 원천기술 확보 촉진지원 사업(KoNSCRT(콘서트) 사업)’ 20년 종료
    - ※ 복지부 ‘글로벌 줄기세포/재생의료 연구개발촉진센터 (GSRAC)’사업 18년 종료
  - 국가 차원의 적극적 육성정책에 힘입어 축적되어온 국내 경쟁력을 기반으로 줄기세포 기술개발 및 산업발전을 선도할 수 있도록 체계적인 정책기획, 연구자 네트워킹, 기술사업화를 상시적으로 지원할 수 있는 사업 필요

<개선방안>

- 줄기세포 및 재생의학이라는 유망분야의 개발과 성장을 지원하기 위해 연구자 및 산업계의 요구를 수용하고 지원하는 별도의 조직을 운영

[표] 현황 및 개선방안




- 기술개발 및 산업화 생태계 구축
- 지속적 성장을 위한 시스템 안정화

**<협력방안>**

- 줄기세포 연구자, 개발자, 산업체, 병원 등 기술개발 단계별로 연합체의 구성 및 상호 협력과 교류를 위한 토대 제공
  - 각 개발 단계별 주체의 의견수렴 및 산업화 트랙에 있어서의 주요 보완점을 확인하고 공유함으로써 개발의 최종 목표를 확인하고 연구개발이 이루어지도록 정책 운영.
  - 확인된 각 개발 단계별 주요 보완점을 해결할 전문인력 및 인프라의 확보 및 구축
- 국내 기술/인프라 요소분석 및 협력체계 구축
  - 국내의 첨단치료제 및 줄기세포 연구기술인력 및 주요관심사를 포괄하는 database를 구축하여 필요한 세부기술간의 원활한 협력이 이루어질 수 있는 기반 구축
  - 비관련 생물학 및 관련 분야 연구자들의 첨단치료제 및 줄기세포 분야로의 진출을 위한 정보, 기술, 협력 파트너 제공을 위한 컨설팅 제공.
- 해외 기술/인프라 요소분석 및 협력체계 구축
  - CRIM(CA, US), CCRM (Canada), Catapult Cell & Gene Therapy (UK) CiRA or AMED(Japan)와의 교류 및 협력을 통해 개발과정의 국제적 공조체계를 확립하여 글로벌 스탠다드를 구축하는데 참여
  - 국내에서 개발중인 기술의 해외진출 및 해외기술의 국내 진출에 대한 협력을 통해 국제 수준의 인정과 독자성 확립을 추구

**(9) 기대 및 파급효과**

**<과학기술적 측면>**

- 줄기세포 교류 활성화와 정보 공유를 위해 구축된 KoNSCRT 운영체계를 활용함으로써 줄기세포 원천기술 개발에 기여
  - 줄기세포 연구자 간, R&D사업 간, 산학연 및 글로벌 연계를 통해 수요 및 환경변화를 빠르게 파악하여 줄기세포 R&D 정책기획에 반영하여 우수기술 확보에 활용 가능

**<사회경제적 측면>**

- 줄기세포기술 및 첨단치료제 개발을 통해 질병의 근본적 치료인 재생의료와

개인맞춤형 미래의료기술 패러다임 변화에 대응 가능

- 또한 본 사업을 통해 구현 가능한 줄기세포기술 및 첨단치료제기술의 사업화 촉진지원 시스템은 정부 R&D 과제에서 도출된 연구성과를 원활하게 실용화로 연계하여 줄기세포 및 첨단치료제 산업의 글로벌 선도국 지위 확보에 기여

**(10) 과제 수 및 소요예산**

[표] 연도별 소요예산

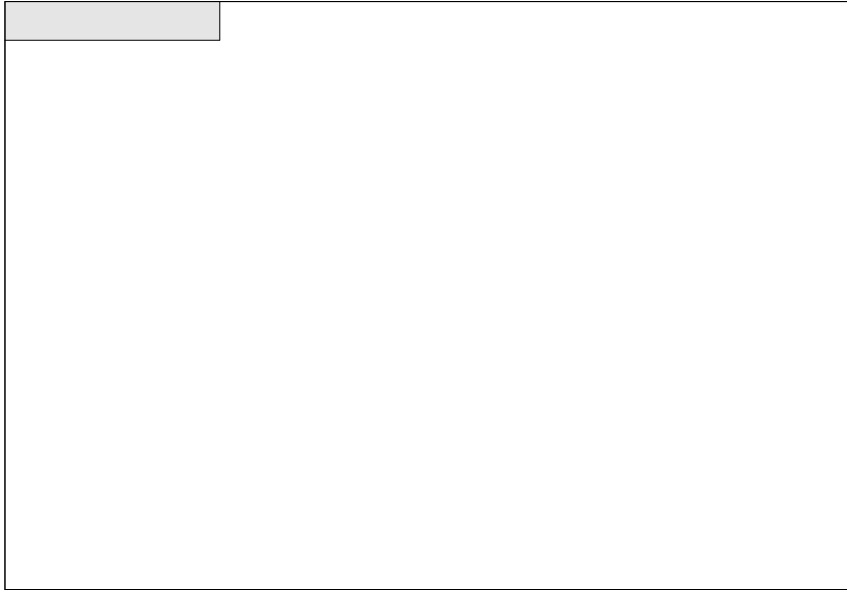
(단위 : 억원)



[표] 연도별 과제 수

(단위 : 개)

## 제4절 기대 및 파급효과



### 1. 과학기술적 파급효과

- 줄기세포 치료제의 시장성과 신뢰도 증진을 통해 글로벌 리더십 강화
  - (줄기세포치료 한계극복) 효능 기전에 근거한 고도화 기술이 집약된 줄기세포 치료제 제품화 기술과 글로벌 시장진입 확대를 위한 초정밀 분석기술 개발 지원 확대
  - 줄기세포 기능 고도화, 안전성 확보 기술 및 글로벌 수준 시장 신뢰도 제고를 위한 표준화된 초정밀 실시간 줄기세포 분석 기술 개발 지원 확대
  - 다학제적 산·학·연 협동 중개연구 확대와 기업 주도의 상업화 연구 확대
- 글로벌 환경 변화를 고려한 차세대 줄기세포치료 핵심 원천기술 개발과 임상진입을 위한 인프라 구축
  - 임상 진입이 가능한 차세대 줄기세포 제작·분화·성숙화 기술, 융합형 줄기세포치료, 체내 재생 (in vivo regeneration) 등 원천기술 확보
  - 세계 수준의 줄기세포 선도 연구팀 육성 및 다학제간·국제적 네트워크 강화
  - 창의적 융복합 기술개발을 위한 다학제적 산·학·연 협동연구 지원과 동시에 개인 중심의 창의적 연구를 수행할 수 있는 연구지원 시스템 구축
- 줄기세포 고도성장을 위한 선제적 품질평가·비임상·임상평가 기준 마련과 치료제 개발 인프라 구축 확대
  - 기초연구 성과의 임상 활성화를 위한 대학·병원·기업 간 컨소시엄 활성화를 통한 선순환적 연구 생태계 조성
  - 줄기세포치료제 맞춤형 중개·임상 연구 특성화 센터 구축
  - 산업화 촉진을 위한 공통기반기술 개발 지원 확대
- 줄기세포 기술 개발을 통한 국내 기술력 확보
  - 현재 치료제가 없는 희귀 난치/불치 질환의 근본적인 치료를 통한 미래의학의 글로벌 선도가 가능
  - 기존의 생물학 분야의 전문가들이 줄기세포 기술을 활용하여 연구 고도화 (최상위 논문 및 기술 확보, human translation, clinical relevance 확보 등)를 통해 선도적인 연구성과 확보 가능
  - 차세대줄기세포의 세포 대량배양 및 자동화 공정기술 개발로 인공지능분야의 기술발전을 생명과학 쪽으로 활용할 수 있는 기회제공 가능
  - 타 미래유망기술과의 기술 융합을 통한 기존 줄기세포의 기술적 한계 극복
  - Big data/다중 오믹스 분석을 통한 새로운 줄기세포 분석 기술 및 줄기세포 기반 신소재 기술 개발 가능

- 줄기세포 기술 개발로 맞춤형 치료제 개발을 통한 정밀의학 구현
  - 인간 질병의 정확한 특성 규명 및 신규 질환 극복 타겟 발굴을 통한 맞춤형 치료법 개발 기대
  - 개인의 유전적 특성에 따라 의약품 효과를 극대화 할 수 있는 환자 맞춤형 진단 및 치료 분야의 선도가 가능
- 줄기세포 관련 기술 개발을 통해 다른 질환으로의 치료 범위 확대 가능
  - 신규 치료제 개발 기간 단축과 효능의 향상을 통한 기술 경쟁력 우위 선점 가능
- 선진국 (미국, EU, 일본, 중국) 또는 글로벌 제약 회사가 참여하는 차세대줄기세포 치료 기술 글로벌 컨소시엄 구축
  - 시판된 제품의 한계극복기술과 적응증 확대 컨소시엄 3건
  - 차세대치료기술 글로벌 임상 시험 활성화 컨소시엄 3건
- (가칭)줄기세포·조직재생 원천기술개발사업 관련 2개 국가전략기술의 수준 및 격차 92.3%, 1.5년 이내로 축소
  - 줄기세포 치료기술 분야의 기술수준 93.5%, 기술격차 1.7년으로 축소
  - 줄기세포 분화·배양기술 분야의 기술수준 92.0%, 기술격차 1.3년으로 축소

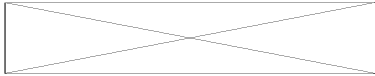
## 2. 경제사회적 파급효과

- 차세대 줄기세포 치료 기술의 산업화 성공사례 창출을 통한 신규 시장 형성
  - 국내 강점 분석을 통한 국내 특화 모델 개발과 비즈니스 모델별 파트너십 구축, 기관 간 협력 지원을 통한 성공 사례 창출
- 국내기업의 산업적 출구 지원정책 강화와 해외기업 투자 유치
  - 국내기업 제품의 수출 및 기술이전 지원 등을 통한 산업적 출구 지원 강화
  - 글로벌 시장 진출을 위한 교두보 확보를 위한 글로벌 파트너십 구축을 통한 해외 투자 유치
  - 줄기세포 연구재료 및 장비 국산화 촉진을 통한 연구 인프라 국산화 판로 개척
- 글로벌 시장 진입을 위한 기반 기술 강화 및 인재 양성
  - 해외 인허가 장벽 극복을 위한 효능 기전 근거 제시 기반 기술 지원
  - 글로벌 컨소시엄과 해외 네트워크를 활용하여 글로벌 임상시험 현황과 주요 국가별 임상·인허가 규제 등 종합정보를 제공하여 글로벌 임상 연구 역량 강화

- 해외시장 진출 시 국내기술의 가치를 극대화할 수 있는 글로벌 시장 주도형 전문 인재 양성
- 줄기세포 관련 기술 개발로 만성질환에 대한 치료제의 국산화를 통한 사회·경제적 비용 절감 및 국민의 복지증진에 기여
  - 난치성 질환 및 경제적 부담률이 큰 질병의 치료를 가능케 함으로써, 국민의 삶의 질 향상 및 복지 증진에 기여 가능
  - 대량생산 및 자동화기술을 통해 환자들에게 보다 저렴한 가격으로 줄기세포 치료제의 제공이 가능하여 사회 전반적 건강지수 및 삶의 질 향상에 이바지할 것으로 기대
- 줄기세포와 관련한 기술 개발을 통해 고부가가치의 산업 창출로 국가 경제에 커다란 기여를 할 수 있음
  - 줄기세포치료제 고도화 기술은 현재 관련 산업을 더욱 빠르게 성장하는 요인으로 작용하여 막대한 경제적 효과를 창출할 것으로 기대
  - 치료제가 없는 난치질환의 경우 본 기술을 통한 치료제 개발 시 현재 시장의 90%이상을 잠식할 수 있는 잠재력이 있는 약물이 될 것으로 기대
- 줄기세포 관련 산업의 활성화와 이를 통한 고용 창출 확대
  - 차세대 줄기세포 치료제 개발 분야 등 줄기세포 관련 산업의 활성화에 따라 전문인력 양성 및 산업화를 통한 새로운 고용 창출 효과 기대
- 줄기세포 기술 개발로 난치병 환자 치료가 된다면 이에 따른 긍정적 파급효과가 예상
  - 혁신적 융합형 줄기세포 기반 치료법 확립을 통해 전 국민적 관심 유도 및 희귀난치성 질환에 대한 환자 맞춤형 치료 실현화 시기 단축 가능
- 차세대 줄기세포치료제 세계최초 품목 허가, 임상 진입 5건 달성과 관련 줄기세포 비즈니스 모델 창출
  - 현재 임상시험 중인 차세대 줄기세포치료제 현황을 기준으로 계산하였을 때, 임상 진입 5건과 이중 세계 최초 품목 허가를 달성할 것으로 예상
  - 글로벌 기술 우위를 통하여, 우수 기술 해외 수출, 생산 기술 플랫폼 해외 수출, 글로벌 표준화와 유통망 확보, 국내외 환자 대상 차세대 줄기세포 치료 의료관광 수익 모델 등을 창출하여 경제 이익을 창출할 것으로 예상됨
- 본 사업의 소요인력은 5,236명으로 소요인력에 대한 일자리 창출 효과 발생 예상
  - 기존 사업의 최근 3년('15~'17년) 예산대비 인력현황을 기준으로 계산하였을

때, 공동연구원 4,025명, 연구보조원 1,211명으로 소요인력에 대한 일자리  
창출 효과 발생 예상





## 제6장

# 사업운영계획 및 소요예산

제1절 사업추진체계 및 역할분담

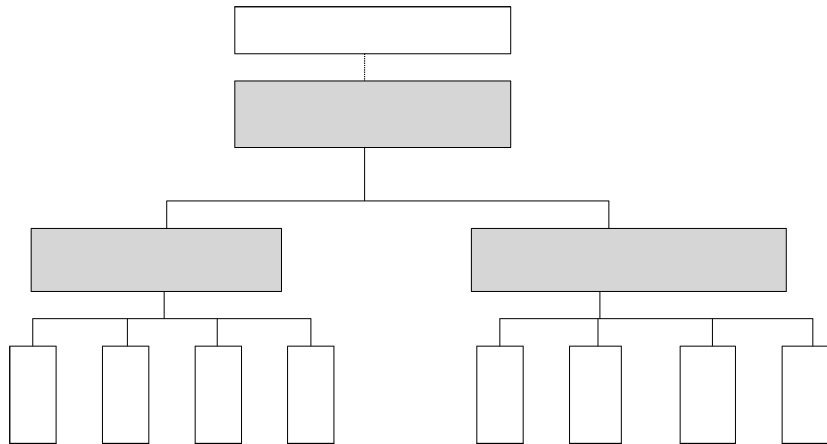
제2절 과제 소요예산 및 자원조달방안

## 제6장 사업 운영계획 및 소요예산

### 제1절 사업추진체계 및 역할분담

#### 1. 전체사업 추진체계

- 사업 추진 주체
  - 줄기세포·조직재생 원천기술개발사업은 과기정통부가 추진하며, 한국연구재단이 과제 선정 및 평가/관리를 맡고 연구자별 연구팀을 구성하여 과제를 수행
- 사업 주체별 역할
  - (과기정통부) 과기정통부는 본 사업의 주관부처로 종합 조정, 운영방안 등을 마련하고 정책적인 결정 등에 대한 총괄적 관리를 수행
    - 과기정통부 소관사업은 공모를 통해 주관연구기관(연구책임자)를 선정하며, 한국연구재단이 이를 관리하는 구조로 추진
  - (한국연구재단) 한국연구재단은 본 사업의 성공적 수행을 위한 과제 선정, 평가 등의 관리 감독 및 지원업무를 수행함

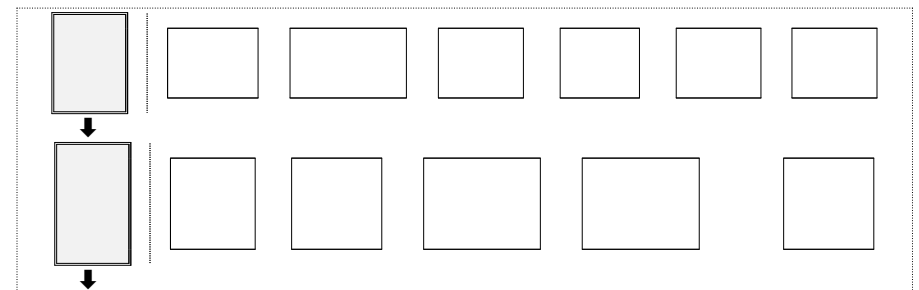


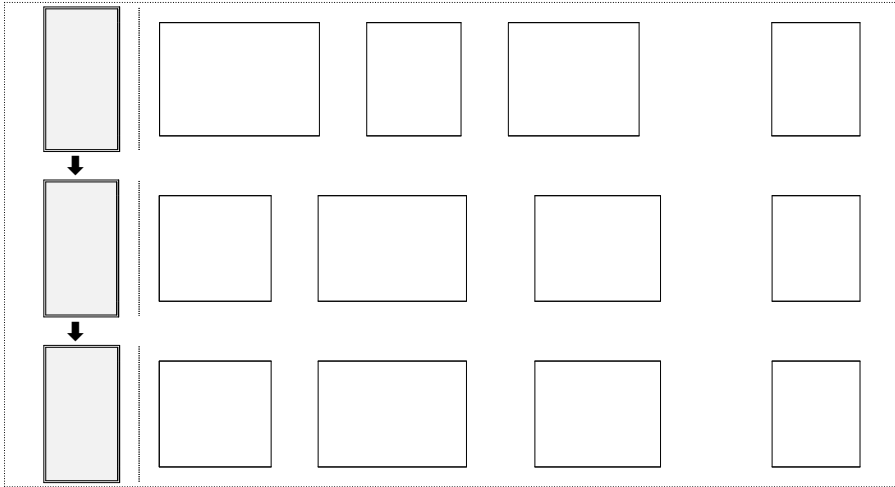
#### 2. 사업관리 방안

(가칭)줄기세포·조직재생 원천기술개발사업은 사업목표 달성 및 정부 예산 투자의 타당성 확보를 위해 사업 특성에 적합한 과학기술적, 사회경제적 성과의 창출계획을 수립하고 주기적인 모니터링·관리의 실시 및 종합적 성과분석을 통해 마련된 개선 방안을 사업추진에 환류시키는 체계를 구축

- 사업관리 체계
  - 성과지향적 사업관리 체계 구축
    - 사업목표 달성을 위해 요구되는 성과 목표 및 성과지표를 사업 특성 및 유형을 바탕으로 설계하고 연차별로 창출되어야 하는 성과들에 대한 계획을 사전 수립하여 성과지향적인 사업관리가 이루어질 수 있는 체계 구축
  - 정기적 모니터링 실시 및 성과의 DB화
    - 수립된 성과창출계획에 부합하는 성과들이 제대로 도출되고 있는지를 주기적·정기적으로 모니터링하고, 성과 DB를 구축하여 성과의 체계적 관리 및 향후 종합적 성과분석과 예산 투자의 타당성 입증을 위한 기반 구축
    - 연차별 연구 성과의 제고 및 체계적 관리를 위해서는 최소 1년 또는 6개월 단위로 사업 성과의 정기적인 모니터링 실시 필요
    - 일관된 성과 데이터베이스 구축을 통해 사업성과 현황에 근거한 성과창출계획의 지속적인 보완 및 사업관리 체계의 개선 실시
- 평가 단계별 주요 계획

[표] 평가 단계별 평가체계도





\* 연차점검 대상과제에 한함

### 1) 신규과제 기획


#### 기획연구·기술수요조사

- 현장수요 반영 확대를 위해 기술수요조사 채널을 다양화하며, 학회·협회와 연계하여 차년도 신규과제 수요 발굴을 위한 수요조사 실시
  - ※ (예) 관련 대표학회, 산업계 협회, 기획마루, 수시 수요조사, PM·전문위원 기술제안 등
  - ※ 전문기관은 기술수요조사를 위한 구체적 계획 마련
- 부처 간 이어달리기 및 수요 반영 등 협력 강화를 위한 부처 간 실무 협의체 운영(예: 재생의료 협의체 등)

#### 세부기획

- 전문기관 주관의 전문가 검토(기획·자문위원회)를 거쳐 신규과제 기획
  - \*\* 절감 자원(단계평가 등)을 활용하여 상시 기획수요조사(기획마루), 수시 수요조사 등을 통해 도출된 연구 분야에 대한 '기술수요기반 연구개발' 공모 추진('18년 하반기)
- 연구주제 및 성과목표만 제시하는 혼합형(Middle-Up) 기획을 원칙으로 하며, 필요시 연구내용 등 주제별 특성을 반영한 하향식(Top-Down) 기획 추진


- 자유공모형 과제\*는 혼합형(Middle-Up) 방식으로 기획하며, 별도의 RFP 작성 없이 공고문과 연구주제 안내서로 대체(NIH Program Announcement 참고)

\* 연구 분야만 광범위하게 명시하고 연구 내용 제시가 불필요한 과제로, 원천기술 개발사업 분류 중 창의원천형·미래성장전략형이 주로 이에 해당(두 유형인 경우에도 전략적인 지원이 필요한 경우 Top-Down 형태 추진 가능)

- ⇒ 자유공모형 과제는 매년 유사한 내용의 공고를 실시하여 연구자의 예측가능성을 제고하며, 선정되지 못한 연구자에게도 제도전 기회 제공
  - \* (예시) 신약 파이프라인 개발, 차세대 의료기기 플랫폼 기술개발
- 지정공모형 과제\*는 하향식(Top-Down) 방식으로 기획하며, RFP 및 연구주제 안내서 내 구체적 사항 명시
  - \* 연구 목적 달성을 위해 연구 내용 제시가 필요한 과제로, 원천기술개발사업 분류 중 공공기술형·인프라형이 주로 이에 해당
- 연구주제 안내서에 추진 배경\*을 명시하여 연구자들의 이해도 제고
  - \* 추진 배경은 국가심 안전, 정부 R&D투자방향, 국내외 연구동향 등을 참고하여 작성
- 과제의 단계별 성과목표(성과 창출 및 성과 활용·확산 지표)를 명확히 제시하여 평가 시 성과목표의 달성가능성 집중 검토
  - \* 5대 성과분야별 성과지표 적극 활용
- 국가 정책적 방향에 부응하면서 전략적 접근이 필요한 사업의 경우, 보다 성과창출이 용이한 다양한 방식의 사업을 추진

[표] 다양한 전략적 R&D 추진방식(예)



\* 핵심연구과제, 지원기관, 코디네이팅과제 등은 관련 연구 팀을 대표하여 연구자 교류회, 연구성과 통합관리, 국제협력 총괄, 사업화 총괄·지원 등 추가적인 역할 담당

- 기획위원 운영 기준을 명확화 하여 기획의 투명성, 책임성 강화
  - PM은 개별과제 특성에 따라 맞춤형 기획위원회를 구성·운영
  - 원칙적으로 최종 조정·보완에 참여한 전문가는 해당 과제 신청을 제한하되,

- Top-down식 기획위원회에 참여한 전문가는 해당 과제 선정대상에서 제외
- 기획-선정-성과관리의 일관성·책임성 유지를 위해 기획위원을 평가위원으로 우선 활용
  - 사업설명회를 통해 수렴된 현장의견에 따라 보완이 필요한 경우, PM·전문위원·기획위원 등 회의를 거쳐 과제접수 마감 10일전까지 수정공고 가능
  - \* (전문기관 역할) 수요조사 등을 통해 미래 유망분야 풀 발굴 및 확보, 신규과제 공고를 위한 상세 기획(필요시 관련 환경분석(특허, 논문, 시장분석) 수행, 기타 원활한 기획을 위한 PM 지원에 초점
- 공고 시 차기단계 성과목표·연구내용을 명시하지 않은 과제는 최종평가를 위해 추가 기획 실시
  - \* 생명연구자원 통합정보체계 구축사업 등
- '18년 예산 심의과정에서 예산이 변경된 과제의 경우 예산 조정에 따른 연구내용·성과목표 등의 재조정을 위한 추가 기획 실시(예산 적정성 검토 포함)
  - \* 해외생물소재 확보 및 활용 사업, 생명연구자원 통합정보체계 구축사업 등
- 기획 시 현장의견 반영이 필요한 Top-down과제의 경우, 필요 시 기획위원 공모를 통해 광범위한 기획위원 Pool 구성
  - \* 공모 완료 후 기획의 투명성 제고를 위해 기획위원 명단 공개 (구체적 기획 방식 및 기획위원의 기획과정 상 공정성 확보를 위한 제도적 장치 마련 병행)
- 신규과제 공고
  - 과제 기획 소요기간, 공고 및 검토·평가일정, 절감재원 해소 및 정책적 추진 과제 등을 감안하여 과제 공고 시기를 연 3회(1·3·6월) 내외로 조정
    - \* 필요 시 하반기 과제 공고 추진
  - 연구자들의 과제 준비기간 확보를 위해 공고기간을 6주 내외로 설정
  - 공고 전 1주간 내외의 사전 공고를 통해 공고사항에 대한 의견수렴을 진행하며, 의견수렴 사항에 대한 검토 후 공고 실시
  - 과제 사전 공고 전후로 사업 설명회 개최를 통해 사업 추진의 필요성 및 당위성, 세부적인 내용에 대한 연구자 및 대국민 이해도 제고

2) 선정평가

--	--	--	--

※ 심도있는 선정평가를 위해 5주 내외의 선정평가 기간 확보

○ 발표평가가 원칙인 선정평가에서 예외적으로 '서면평가(1차) → 발표평가(2차)'의 2단계로 진행할 수 있는 기준 및 절차 명확화

※ 전문성 제고 및 질 중심의 평가를 위하여 RFP별 “▲신청과제수 10개 이상 과제”, “▲연 10억원 이하, ▲경쟁률 3:1 이상”의 조건을 모두 만족할 경우 2단계 평가로 진행 가능

○ 중복연구 최소화·과다 수주 방지를 위해 연구의 차별성 면밀 검토\* 및 연구비 규모에 따른 참여율 최소요건\*\* 적용

\* ① 연구자는 “기존 종료/수행중인 연구”와의 차별성·중복성 검토 및 참여율에 대한 증빙자료 제출 ②전문기관은 별도 자료 작성 → 전문가 평가 시 종합적으로 판단

⇒ 과제선정 이후라도 제출서류에 명백한 오류가 있는 경우 절차를 거쳐 선정 취소 등 조치

\*\* 전문기관은 연구비 규모에 따른 참여율 가이드라인 마련

○ 전문가 평가 시 심사대상 과제의 세부/단위 주관기관의 고시 간접비 대비 신청 간접비 비교 자료를 별도로 제공, 평가 참고자료로 활용

○ 원전기술 확보 및 성과창출 제고를 위해 평가항목 세분화·명확화

[표] 2018년도 바이오·의료기술개발사업 선정평가 항목


※ 세부사업별 특성을 고려, 평가항목 및 배점이 다를 수 있음

○ 연구과제의 수월성 확보 강화를 위해 가감점부여 방법 및 기준 유지

- 상위규정\*을 준용하되, 사업의 목적에 부합하는 과제를 선정할 수 있도록 가·감점 부여(총괄·단위 책임자 대상)

\* 공동관리규정 및 과기정통부 소관 과학기술분야 연구개발사업 처리규정의 연구개발과제 선정의 우대·감점의 기준 및 방법

※ 선정평가를 1차(서면), 2차(발표)로 나누어 진행할 경우 1차 평가시에만 가감점을 부여하여 형평성 및 연구과제의 수월성 확보

※ 여성 및 지방대학 소재 연구책임자의 경우 평가 분야별 선정과제 수가 5개 이상일 경우에만 부여 / 가점으로 인해 선정되는 과제수가 전체의 20%를 넘지 않도록 함

[표] 2018년도 바이오·의료기술개발사업 가감점 부여 기준


\* 여성 연구책임자 가점 부여(여성과학기술인 육성 및 지원에 관한 법률 및 시행령)  
 \*\* 지방소재 과학자 가점 부여(국가균형발전특별법 및 시행령)  
 \*\*\* 혁신형 제약기업 가점 부여(제약산업 육성 및 지원에 관한 특별법 및 시행령), '신약개발' 분야에만 적용  
 \*\*\*\* 신약개발지원센터가 공동연구·위탁으로 참여하는 경우에 해당(첨단의료복합단지 지정 및 지원에 관한 특별법 및 시행령), '신약개발' 분야에만 적용

### 3) 연차점검

- 연차점검을 원칙적으로 폐지하고 연차실적계획서 및 자체평가 의견서 제출로 대체하며, 예외적인 경우\*에 한해 연차점검 실시
  - \* (연차점검 대상과제) ① 연 20억 이상 과제(12개월 기준), ② 외부기관(감사원, 국회 등) 지적 과제 ③ 연구수행 불성실·연구비 관리 부실 등으로 인해 별도 점검이 필요한 과제
  - \*\* 사업단의 경우 사업단 내 세부과제 간 별도 연차점검 실시방안 마련
  - \*\*\* 매뉴얼·훈령 개정 이전 연차점검 대상 과제들은 PM·전문위원 컨설팅으로 진행
- 연차점검 결과를 과제별로 구분(예시: 우수, 보통, 미흡 등)하여 목표달성이 미흡한 과제에 대해서는 예산 조정 및 연구 중단 가능
- 제출된 계획서는 향후 단계·최종평가 시 참고자료로 활용되며, 연구 종료 이후 공개\*되어 빅데이터화
- \* 공개 방식·공개 시점 및 비공개 기간 등은 상위 규정을 준용
- 연차점검 대상 과제는 목표달성도·달성 가능성을 중점적으로 점검하며, 자발적 연구관리 및 연구자 부담 완화를 위한 연차점검방식 다양화
  - 신규과제의 1차년도 연차점검은 총괄/단위과제로 전문위원(필요시 PM, 기획위원 등)이 컨설팅 실시
  - ※ 단, 허위 작성 시 차기 연차점검·단계평가 시 페널티 부여
  - ※ 전문위원은 실용화 연계, 최종목표 달성 등을 위한 방향을 제시하고 가시적 성과가 도출될 수 있도록 과제내용 수정·변경의견 제시
  - 과제 성격에 따라 통합 발표회(세미나 등), 현장방문위원(PM·전문가 등)의 방문점검 등 내실있는 연차점검 실시
- 차기년도 연구협약은 연구개시일 전에 진행하여 연구몰입도 제고

[표] 2018년도 바이오·의료기술개발사업 연차점검 항목


※ 구체적인 사항(평가방식 및 평가결과 활용방안)은 사업별 평가계획 수립 시 결정(연차점검 계획 수립 시 연차점검을 강화한 시스템 반영 / 세부사업별 특성을 반영하여 차별화)

4) 단계평가

- 연구계획 대비 진행상황 점검 중심으로 절대평가를 실시하며, 연구성과의 질적 우수성 제고를 위해 과제 진도관리 강화
  - ※ 평가 결과는 5단계로 구분하며, 우수 이상 과제에 대해서는 연구비 증액 검토, 미흡 이하 과제는 연구비 감액·연구 중단(연구비 감액에 따른 연구목표 변경 병행)

[표] 점수구간 별 평가 기준


- ※ 과제 특성에 따라 차별화 가능(필요시 상대평가 실시)
- 유사분야 과제에 대해 통합평가를 실시하며, 충분한 사전검토·평가기간 확보를 통해 평가의 실효성 제고
  - ※ 차년도 연구 개시일 최소 60일 이전 실적보고서 접수 마감 및 평가계획 수립
- 연구 환경 변화의 따른 목표 변경(Moving Target) 지원
  - ※ 중간평가 시 연구자가 사업 목적 범위 내 목표 변경을 신청할 수 있도록 하며, 평가위원회에 심사/검토 권한을 부여하여 목표 변경 지원

[표] 2018년도 바이오의료기술개발사업 단계평가 평가항목


- ※ 구체적인 사항(평가방식 및 평가결과 활용방안)은 사업별 평가계획 수립시 결정 (R&D, 인프라사업 등 세부사업별 특성을 반영하여 다양한 평가지표를 발굴·차별화)
- \* 5대 성과분야(과학적 성과, 기술적 성과, 경제적 성과, 사회적 성과, 인프라 성과)의 주요 성과지표 활용 (원천기술개발사업 평가 매뉴얼 등 참고)

5) 최종평가

- 연구성과의 질적 우수성 확보 및 다양한 형태의 성과평가를 위해 총괄·단위 과제 중심의 연구목표 달성도와 대표적 성과를 종합적으로 평가
  - 과제의 점수 및 평가등급은 연구 목표 달성도(70%), 연구성과의 우수성 및 활용성(30%, 우수성과 등급 등)을 검토하여 절대평가로 결정
- 과제책임자는 과제의 대표적 연구성과 소개서를 작성·제출
  - \* 총괄·단위 2개 이내, 세부 1개로 작성하며, 총괄과제책임자는 세부과제의 대표성과를 종합 정리하여 작성
  - 총괄과제의 경우 과정(성실성)과 성과를 병행하여 종합적으로 평가
  - 주요 연구성과 등 우수성과 소개서는 온라인 상에 공개

[표] 최종평가 항목 및 평가표(예시)


- ※ “연구성과의 우수성 및 활용성” 등급 및 점수(30점)는 평가패널 내 합의로 결정하며, 총괄·단위과제 대표적 우수성과중 가장 높은 등급의 해당 점수를 반영하고 성과의 질적 우수성과 성과 활용성 등을 종합적으로 평가하여 점수 부여

[표] 최종평가 등급 부여 기준


※ 연구소재지원사업, 바이오인프라사업(생명연구자원확보관리 및 활용)은 사업특성을 고려하여 연구성과 질적 우수성을 반영할 수 있는 별도 우수성과 가이드라인을 적용[붙임3]

※ 총 연구비를 고려한 차별화된 등급 가이드라인 적용(위 가이드라인은 총 연구비 20억원 기준)

※ 구체적인 사항(평가방식 및 평가결과 활용방안)은 사업별 평가계획 수립 시 결정

※ 최종 평가 성과등급 : 특허실적 또는 기술이전실적 위주로 평가


○ 최종평가 후 평가등급별 후속조치 실시

- 평가등급이 우수한 과제는 후속연구, 성과홍보 등 지원(추적관리)
- 평가위원회에서 연구개발의 결과가 극히 불량한 과제로 판단한 경우 제재 조치평가단에 상정
- ※성실실패 여부는 평가위원회에서 심의하고, 성실실패로 결정된 경우는 제재조치 면제


- 대표 우수성과소개서 우수등급 과제는 후속단계 연구 시, 우선지원 등 후속 조치 가능


□ 연구성과 관리·유통 제도 개요

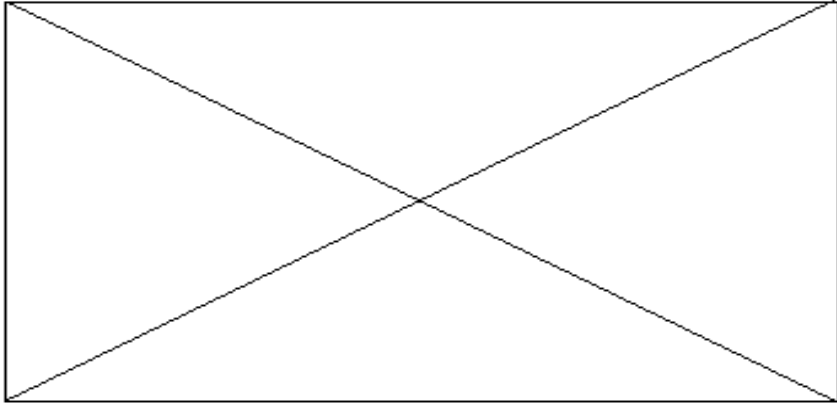
- 연구현장에 분산되어 개별적으로 보관·관리되고 있는 다양한 연구성과를 체계적으로 관리하고 효율적인 활용을 지원하기 위하여 미래창조과학부는 「연구성과 관리·유통 전담기관」을 지정·운영
- 수집된 연구성과는 검증과 분류, 가공 등을 통해 산·학·연 연구자와 국민들이 보다 쉽고 편리하게 이용할 수 있도록 정보를 개방·공유하는 제도

근거 : 국가연구개발사업의 관리 등에 관한 규정 제25조(연구개발정보의 관리) 제13항

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



[그림] 연구성과 관리·유통 체계



□ 등록·기탁의 적용범위

- 연구개발성과의 등록 또는 기탁은 국가연구개발사업 수행을 통해 창출된 연구개발성과에 한정

□ 등록대상 및 기탁대상 구분

- 등록대상 연구성과 : 논문, 특허, 보고서 원문(전자원문 포함), 기술요약정보, 연구시설·장비, SW, 생명정보, 신물질(정보)
- 기탁대상 연구성과 : 화합물, 생물자원, 신물질(실물)

□ 연구자 중심 R&D 환경 조성을 위한 과제 프로세스 개선

- 「R&D 과제 기획/선정/평가/보상 프로세스 혁신방안(안)」(’17.11월, 국과심)의 주요 사항 구체화
- (기획) 연구주제 및 성과목표만 제시하는 혼합형 (Middle-Up) 기획을 원칙으로 하며, 필요시 연구내용 등 주제별 특성을 반영한 하향식(Top-Down) 기획 추진


- (선정평가) 심도있는 질적 평가 추진을 위한 충분한 사전검토, 상피제도 완화 및 평가방식 다양화 추진
    - \* 사전검토 내실화, 상피제도 적용대상 완화(동일기관 → 동일학과·학부)
  - (연차점검) 연차점검을 원칙적으로 폐지하고 연차실적·계획서 제출로 대체하며, 예외적인 경우\*에 한해 연차점검 실시
    - \* (연차점검 대상과제) ① 연 20억 이상 과제(12개월 기준), ② 외부기관(감사원, 국회 등) 지적 과제 ③ 연구수행 불성실·연구비 관리 부실 등으로 인해 별도 점검이 필요한 과제
  - (단계평가) 연구계획 대비 진행상황 점검 중심으로 절대평가를 실시하며, 연구 환경 변화에 따른 목표 변경(Moving Target) 지원
- 기초연구와 차별화된 전략적 원천기술개발을 통해 성과창출 촉진
- 기획 방향과 부합되는 과제 선정·점검·관리 등을 추진하기 위해 분야별 PM을 중심으로 전문성과 책임성을 확보
    - \* PM은 평가 현장에서 사업의 목적·추진방향·선정기준 등을 설명하여 기획-평가의 일관성 확보
  - 기초연구 후속지원\*을 확대하고 실용화 과제 평가 시 사업화 전문가·병원 연계 확대, 부처간 협업모델\*\* 확대
    - \* 타겟 발굴 및 검증, 신개념 의료기기 원천기술개발, 신개념 생체대체·보조기기 원천 기술개발, 의과학자 연구역량 강화사업 등
    - \*\* 항체 의약품 후보물질 발굴·최적화, 차세대 줄기세포 치료제 및 조직재생(복지부), 방역수요연계 감염병 극복기술개발(질본) 등
  - 사업 체계화를 위한 분야·세부사업간 개편을 실시하고 이에 따른 사업 내 과제 통합·분리, 연구기간 조정 등 세부사항 구체화
- 설립 미션에 부합하는 국가 인프라 지원 및 관리 강화
- 생명공학정책연구센터의 정책지원·연구정보관리 등 역할 강화
  - 9대 연구 성과물에 대한 연구성과 관리·유통 체계 안내 강화[붙임3]
    - 생명연구자원(실물·정보)의 경우 연구성과물 전달기관에 기탁·등록된 연구자 원만을 사업실적으로 인정
  - KOBIC은 그간 성과 점검 및 고유 미션 재정립에 따라 사업 규모 및 내용 적정성 재검토





## 2. 사업예산의 적정성 검토

- 기존 과제의 투자 현황을 분석한 결과, 줄기세포 치료기술의 과제당 사업의 최고 단가는 12억원, 최저 단가는 2.1억원, 평균 4.3억원을 투자한 것으로 분석됨
- 줄기세포 활용기술의 경우 과제당 최고 단가는 8.9억원, 최저 단가는 2.0억원, 평균 단가는 12.6억원으로 분석됨

[표] 분야별 과제당 사업의 평균 단가

(단위: 억원)

분야	과제당 사업의 평균 단가										최고	최저	평균
	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10			

## 3. 재원조달방안

- 최근 3년간(`15~`17) 재원조달 현황
  - 정부출연금 대비 민간 매칭비율은 97:3
    - 평균 정부출연금 349억원, 민간 매칭금액 11억원
  - 민간 참여과제의 정부출연금 대비 민간 매칭비율은 77:23
    - 평균 민간 참여과제 정부출연금 48억원, 민간 매칭금액 11억원

[표] 최근 3년간(`15~`17) 재원조달 현황

(단위 : 억원, %, 개)

분야	재원조달 현황		
	정부출연금	민간 매칭	비율

- 재원분담 방식
  - 민간 매칭비율 적용
    - 본 사업의 총 사업비는 7년간(`20~`26)간 총 3,850억원(연평균 550억원) 규모
    - 최근 3년간(`15~`17)의 민간 매칭비율(3%)을 적용할 경우 550억원의

3%에 해당하는 16.5억원을 민간기업 투자금으로 산정 가능

## 4. 소요인력

- 본사업의 총 소요인력은 5,236명으로 추정\*되며 매년 평균 748명이 참여
  - \* 기존사업의 최근 3년간(2015년~2017년) 사업참여인력의 1억원당 참여비율(공동연구원수는 1.04명, 연구보조원수는 0.31명)과 소요예산을 기준으로 추산

분야	소요인력									
	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10

- 민간기업 참여 시 인건비 계상의 허용을 통해 보다 많은 일자리 창출이 가능할 예정
  - \* 고용기준 : 세부·협동과제의 연구비가 전체 연구기간 동안 5억원 이상일 경우 반드시 만18~34세의 청년 1명 이상을 1년 이상 고용토록 하고, 2019년부터 청년일자리 창출효과 지표 도입 예정

본 연구보고서에 기재된 내용들은 연구책임자의  
개인적 견해이며 과학기술정보통신부의 공식견해가  
아님을 알려드립니다.

과학기술정보통신부 장관 유 영 민