BioINdustry No.182(2023-06)

BioINdustry
바이오인더스트리

글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망

2023. 06

- 목 차 -

[요약문] 1

1. 개요
   1) 세포·유전자치료제의 정의 2
   2) 세포·유전자치료제 기술의 특징 4

2. 시장환경 분석
   1) 세포·유전자치료제 시장생태계 5
   2) 세포·유전자치료제 관련 주요국 정책 현황 6

3. 시장 규모 및 전망
   1) 글로벌 시장현황 및 전망 9
   2) 주요 기업 동향 14

4. 세포·유전자치료제 성장전략
   1) 성장동인 및 저해요인 16
   2) CGT 시장 성공 전략 17

국가생명공학정책연구센터
National Biotech Policy Research Center

글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망

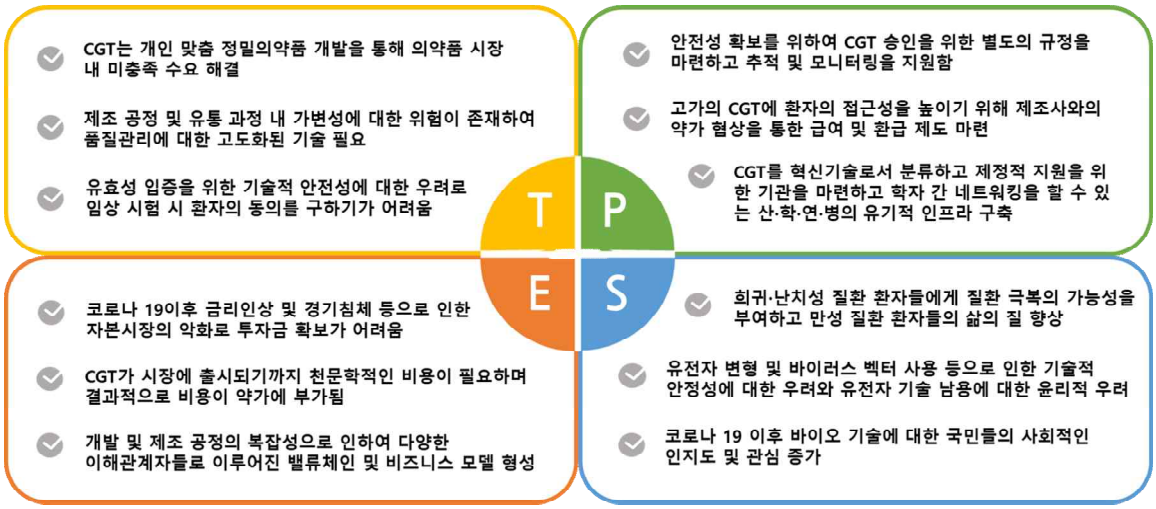
국가생명공학정책연구센터 연구원 김서희, 연구원 김민정

※ 본 보고서는 Frost and Sullivan에서 발간한 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities (2022.8)' 보고서 등을 참고로 국가생명공학정책연구센터에서 재구성한 것임

【 요약문 】

□ **세포·유전자치료제(Cell and Gene Therapy, CGT)는 시장 내 미충족 수요를 해결하고 개인 맞춤의 정밀 치료를 가능하게 하는 차세대 치료제로 전망됨**

[그림 1] 세포·유전자치료제 시장분석(PEST 분석)



※ 본 보고서 내용을 기반으로 국가생명공학정책연구센터에서 재구성

□ **글로벌 CGT 시장은 '27년까지 연평균 44.1%의 성장이 전망되며, 현재 암 관련 파이프라인이 가장 활발히 개발, 지역별로 북미 시장이 가장 큰 비중 차지**

○ 전체 시장은 2021년 46억 7천만 달러에서 2027년 417억 7천만 달러 규모로 연평균 44.1%로 성장할 것으로 예측

- 동 기간 Cell Therapy, Gene Therapy, Gene-modified Cell Therapy는 각각 연평균 56.7%, 44.6%, 39.2%의 성장률을 보일 것으로 예상

○ 암과 희귀질환 관련 파이프라인 개발이 가장 활발하게 개발 중

- CGT의 암 치료 파이프라인은 총 2,756개로, 전년대비 725개가 추가 개발('22년 상반기)

○ 지역별로 북미 시장이 45.3%로 가장 큰 비중을 차지하며 지속 성장이 예측

□ **향후 CGT 시장 성장 촉진을 위해서는 기술 개발과 제조역량 강화를 통한 고품질, 저비용의 CGT 개발과 약가 제도 및 규제 개선 등의 정책적 지원 필요**

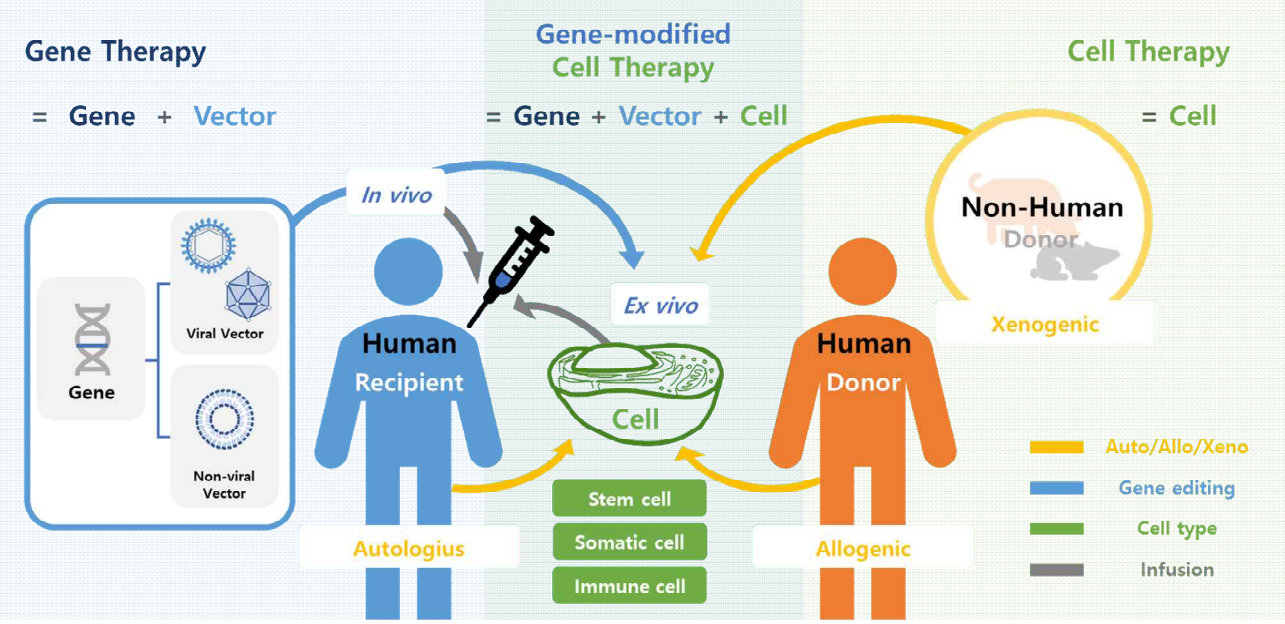
1. 개요

1) 세포 · 유전자치료제의 정의

□ **세포·유전자치료제(CGT)는 세포치료제(Cell therapy), 유전자치료제(Gene Therapy), 유전자 변형된 세포치료제(Gene modified cell therapy)로 구분**

○ 세포치료제와 유전자치료제는 이용되는 재료가 다르다는 점에서 엄연히 구분되나, 유전자치료의 매개체로 세포를 활용하면서 둘의 구분이 모호해짐

[그림 2] 세포·유전자치료제 구분



※ 출처 : 국가생명공학정책연구센터

○ (세포치료제) 사람 또는 동물의 살아있는 세포를 체외에서 배양 증식하거나 선별하는 등 물리적 화학적 또는 생물학적 방법으로 조작하여 제조한 의약품

- (세포의 유래) 공여 세포와 수혜 대상의 종의 일치 여부에 따라 자가(autologus), 동종(allogenic), 이종(xenogenic)으로 구분하며, 세포의 종류에 따라 줄기세포(Stem cell)*와 체세포(Somatic cell)**, 면역세포(Immune cell)***로 구분

* 줄기세포(Stem cell) : 배아줄기세포(Embryonic stem cell), 성체줄기세포(Adults stem cell), 중간엽줄기세포(Mesenchymal stem cell), 조혈모줄기세포(Hematopoietic stem cell), 신경줄기세포 (Neural stem cell), 유도만능줄기세포(Induced pluripotent stem cell) 등

** 체세포(Somatic cell) : 이자 베타 세포(β-islet cell), 연골세포(Condrocyte), 상피세포(Epithelial cell) 등

*** 면역세포(Immune cell) : NK세포(Natural Killer cell), T세포(T-cell), B세포(B-cell), 수지상세포(Dendritic cell), 대식세포(Macrophage) 등

- (체외 조작) 체외 조작 정도에 따라 최소한의 조작*과 최소한 이상*의 조작으로 구분

  * 최소한의 조작 : 세포나 조직의 원래의 생물학적 또는 관련되는 기능적 특성을 변화시키지 않는 조작. (예시) 절단, 파쇄, 항생물질액으로의 세정, 에틸렌옥사이드나 감마선 멸균, 세포분리, 동결건조, 동결보존(cryopreservation), 냉동 등

  ** 최소한 이상의 조작 : 세포나 조직의 원래의 생물학적 또는 관련되는 기능적 특성을 변화시키는 조작. (예시) 세포증식(cell expansion), 캡슐화(encapsulation), 활성화(activation), 유전자 조작 등

○ (유전자치료제) 유전자의 결함을 교정하거나 유전자의 작용을 억제 및 증폭하여 각종 난치성 질환을 근본적으로 치료하는 의약품

- (유전자) 치료 대상 질환에 따라 달라지며, 유전병과 같이 특정 유전자의 결손으로 야기되는 질환의 경우 정상 유전자를 치료 유전자로 이용하여 치료

  ※ (예시) 암유전자(Oncogene), 종양억제유전자(Tumor Suppressor Gene), 약제내성유전자(Drug Resistance Gene), 약제감수성유전자 혹은 자살유전자(Drug Sensitivity Gene, Suicide Gene), 종양면역에 관여하는 유전자 등

- (운반체) 유전자치료를 위한 유전물질 전달 시 바이러스 사용 여부에 따라 바이러스성 벡터와 비-바이러스성 벡터로 구분

[표1] 바이러스성의 유/무에 따른 운반체(Vector)의 종류

분류	특징
바이러스성 벡터	유전자 전달 효능이 높지만 전달가능한 유전자 크기가 제한 되어 있으며 벡터의 기원이 병원성 바이러스이므로 안전성 등 다양한 문제점 내포
비-바이러스성 벡터	바이러스 유전물질이 인체 세포 안으로 유입될 소지가 없을 뿐만 아니라 도입하는 유전자 크기에 제한이 없고 별다른 부작용 없이 인체를 대상으로 투여 가능, 그러나 도입효율이 바이러스 벡터에 비해 1/1,000 ~ 1/100,000 수준으로 낮으며 도입된 유전자의 발현이 지속되지 않고 일시적

○ (**유전자 변형 세포치료제**) 치료를 위하여 생체 외(Ex vivo)에서 세포에 유전자 변형을 유도하여 환자에 이식시키는 치료제

- 운반체(Vector)를 활용하여 체외에서 치료 유전자를 세포에 도입·배양 후 체내로 주입

- 생체 외 전달 방법은 바이러스성 벡터에 대한 면역반응을 최소화하고 환자에 주입하기 전 형질 전환된 세포를 체외에서 확인 가능

- 대표적인 유전자 변형 세포치료제로 '킴리아(Kymriah)*'가 있으며, 예스카타(Yescarta), 진테글로(Zynteglo), 테카투스(Tecartus), 림브멜디(Limbmeldy), 브레얀지(Breyanzi)등의 제품군이 이에 속함

  * 최초의 CAR-T세포 기반 치료제 '킴리아'는 환자 또는 건강한 기증자로부터 채집한 T-세포에 바이러스 벡터를 활용하여 암세포 특이적 키메릭 항원 수용체(Chimeric Antigen Receptor, CAR)를 주입하여 배양 및 제조, 제조된 CAR-T는 환자에게 주입되어 암세포에서 특이적으로 발현하는 항원을 표적으로 하여 T세포 및 면역반응을 유도

2) 세포 · 유전자치료제 기술의 특징

□ **바이오의약품은 관련 기술의 발전으로 '(1세대)생물학적 제제·단백질 치료제 → (2세대)항체의약품 → (3세대)세포·유전자치료제(CGT)'로 패러다임 전환 중**

○ 기존 항체의약품이 바이오의약품 시장을 견인해 왔으나 큰 분자량에 따른 세포 내부 표적의 한계에 따라, 최근 유전자 수준에서 병인을 편집·교정할 수 있는 새로운 치료법으로 세포·유전자치료제가 주목

[표2] 바이오의약품 시대별 변천사

	1세대	2세대	3세대
종류	백신, 인슐린, 인터페론	항체의약품	세포치료제 유전자치료제
기술	유전자재조합기술 세포(동물)배양 기술	유전자재조합 기술 단클론항체(표적치료)	세포배양 및 조작 유전자조작 기술

※ 출처 : KoBIA, 바이오의약품 산업동향보고서(2019)

○ CGT의 경우 이론적으로 기존 치료제 대비 근본적인 치료가 가능하여 암뿐만 아니라 신경퇴행성 질환, 유전 질환 등의 난치성 질환 치료 가능성이 기대

- 생명체의 기본단위인 '세포'와 유전자의 발현 과정(Central Dogma)에 대한 이해를 바탕으로 발병기전에 대한 근원적 문제점을 해결하여 완전 치유를 목적으로 함
- 한 번의 투약으로 병을 근본적으로 치료하는 '원샷' 치료와 개인의 특성에 따라 다른 유전자 발현을 조절함으로써 환자 맞춤형 치료 및 의약품 시장 내 미충족 수요를 해결할 수 있을 것으로 기대

※ 전 세계적으로 9,000여 종의 희귀 질환이 보고되어 있으며, 이 중 1/3 이상은 유전자 이상과 연관된 것으로 추산

○ 앞으로 효율성 제고, 품질관리 시스템, 제대중적 활용을 위한 범용 기술 개발 및 제조단가 저감, 면역반응 등 부작용 극복을 위해 고도화된 기술이 필요

- 세포치료제 생산을 위한 세포 조작 과정에서 증식, 여과, 정제, 동결보존 등 여러 단계가 추진됨에 따라 수동적 개입, 배양액 교체 등의 오염 위험성이 존재
- 환자 맞춤형 치료제 개발의 경우 소규모 수동식 생산 공정에 따른 규모 가변성, 생산 비용 향상에 따른 고가의 치료비용 책정 등이 해결해야 할 요소로 인식
- 유전자 전달 벡터 및 세포·유전자치료제 테스트와 관련하여 치료제 특성에 부합하는 확립된 분석 방법이 아직 부재하여 기존 생물제제에 사용되는 분석법 외 특성에 맞는 안정성 및 효능 평가 방법 정립 필요

2. 시장환경 분석

1) 세포 · 유전자치료제 시장생태계

□ CGT가 환자에게 치료제로 활용되기까지 다양한 이해관계자들로 구성된 밸류체인(Value chain)과 다양한 비즈니스 모델이 형성

○ CGT 시장생태계 내에는 학술기관, 기술개발사, 제약투자사, 세포주 및 원료 물질회사, 분석시험회사, 계약제조사, 자동화 및 디지털 툴 개발사, 유통사 등이 벨류체인을 형성하며 이해관계를 이룸

[그림 3] 세포·유전자치료제 시장생태계 내 이해관계자

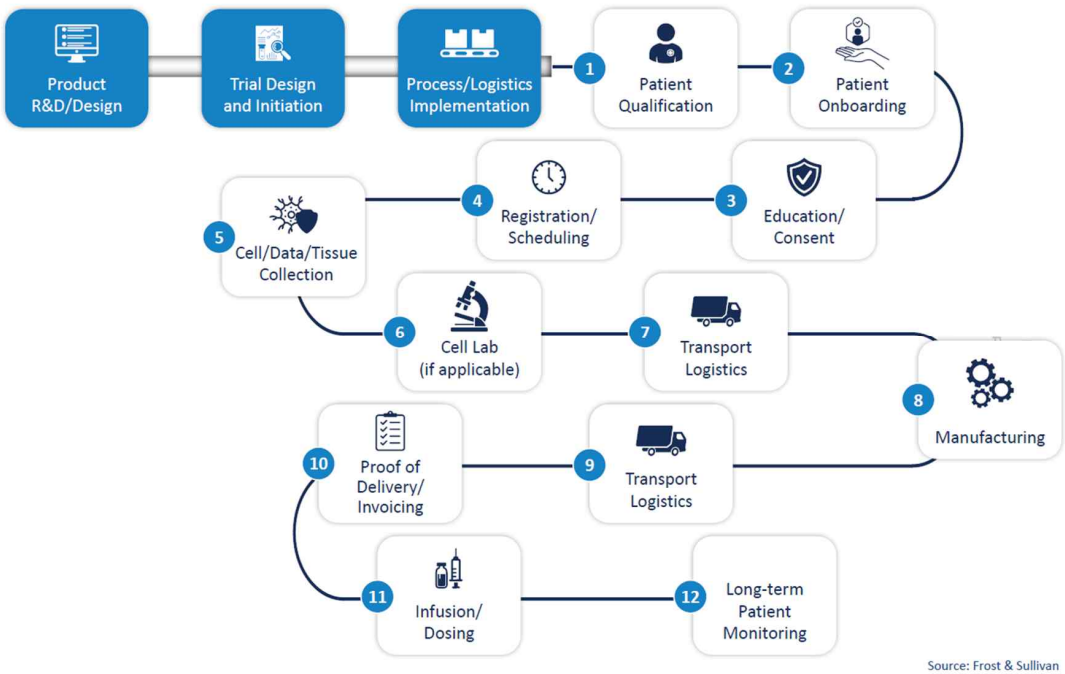


※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8 /국가생명공학정책연구센터 재구성

○ 제품의 특성으로 인하여 개발 및 제조 공정이 복잡하며 환자에게 도달하기까지 많은 벨류체인이 형성되어 있음

- 환자의 치료 적합성 판단 후 환자에서 세포를 추출, 활용 가능한 세포를 수집하고 제약사로 이송되어 수용체를 삽입하거나 유전자를 수정하는 등의 과정을 거쳐 제작
- 제조 공정을 거쳐 환자 맞춤형 치료제가 제작되면 다시 병원으로 전달되어 환자에게 주입되며, 주입 후에는 지속적인 모니터링이 필요

[그림 4] 세포·유전자치료제 개발 및 활용 과정



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

2) 세포 · 유전자치료제 관련 정책 현황

□ 주요국은 CGT 개발 촉진을 위하여 대규모 자금 투자와 연구 혁신 인프라를 지원하는 민관협력 지원 프로그램을 운영 중

○ 미국 ARPA-H는 '맞춤형 유전자치료제 컨소시엄(Bespoke Gene Therapy Consortium, BGTC)'을 운영하여 유전자치료제 개발 프로세스의 효율성 제고와 개발 과정의 장애요소(자금, 규제 등)을 극복하기 위해 각 단계별 작업반을 구성하여 혁신연구 추진

[표3] BGTC의 작업반별 참여기관 현황

작업반	정부기관	산·학·연·병
벡터 생성 (Vector Generation)	NIH, FDA	Eli Lilly, Roche, Novartis, Pfizer, Sanofi, UCB
유전자 표현 (Gene Expression)	NIH	Eli Lilly, Roche, Novartis, Pfizer, Sanofi, UCB, Boehringer-Ingelheim
생산·분석 (Manufacturing & Analytics)	NIH, FDA	Prizer, Eli Lilly, UCB, Thermo Fisher, Sangamo Therapeutics, Univ. of North Carolina, Univ. of Florida, NIIMBL
임상 개발 (Clinical Development)	NIH, FDA	Eli Lilly, Ultragenyx, Clinic for Special Children, UT Southwestern, NORD

※ 출처: 한국보건산업진흥원, 미국과 유럽의 세포·유전자치료제 혁신연구지원정책동향, 2022.10

○ 유럽혁신위원회(EIC)는 Horizon Europe을 통해 CGT 분야에 혁신 연구활동 프로그램 7개를 선정하여 CGT 개발 집중 지원

- 또한, 유럽은 '첨단치료제를 위한 R&D 가속화(ARDAT)' 정책을 통해 첨단치료제(ATMP)의 개발을 집중 지원하고, T세포 기반 면역항암제 개발 가속화를 위한 혁신 생태계 조성을 목표하는 T2Evolve('21.1~) 프로그램을 운영

[표4] 2021년도 EIC Pathfinder 세포·유전자치료제 분야 프로젝트 선정 현황

프로젝트명	연구 내용	주 참여국	기간(개월)	지원규모(유로)
T-FITNESS	합성센서를 통한 소멸을 기반으로 한 T세포 네트워크의 미세조정	독일	48	3,789,472
EdiGenT	유전자치료제에 대한 새로운 유전자가위 프라임에디팅 및 비바이러스 전달 기전	프랑스	60	3,912,835
MUTAVAC	뮤타놈 기반 줄기세포 백신을 통한 암 타겟팅	프랑스	24	1,782,000
PAT4CGT	세포·유전자치료제 제조의 의사결정 및 공정 개선을 위한 자동화된 온라인 모니터링 및 제어	프랑스	36	3,617,785
AAVolution	간 표적 유전자치료를 위한 차세대 아데노바이러스 벡터	이탈리아	48	4,000,000
X-PAND	생체외 확장 및 멀티오믹스 프로파일링을 활용하여 효율성·안전성을 확보한 조혈줄기세포 유전자치료법의 임상적용	이탈리아	48	3,999,563
AiPSC	자가 iPSC 제조를 위한 AI 기반 플랫폼	네델란드	48	3,999,225
SMARTER	혁신적인 생체 모니터링 기술과 고급 공정제어를 통한 자가세포치료 스마트제조 구현	영국	36	3,926,533

※ 출처: 한국보건산업진흥원, 미국과 유럽의 세포·유전자치료제 혁신연구지원정책동향, 2022.10

□ **CGT 개발 초기 단계에서부터 인허가를 고려할 수 있도록 정부 차원의 인허가 과정에 대한 컨설팅을 지원**

○ 미국은 FDA의 생물의약품 평가 및 연구센터(CBER)에서 규제에 대해 자문

- CGT 개발 초기 단계에서 규제 자문을 위한 'INTERACT' 회의와 사전 임상시험 계획 승인(Investigational New Drug, IND)을 위한 회의를 운영하며, 임상 2상 이후 바이오의약품 품목 사전 허가

○ 유럽은 각국의 관할규제기관(NCA)와 유럽의약청(EMA)에서 규제에 대해 자문

- 유럽은 각국의 NCA혁신위원회와 EMA의 ITF(Innovation Task Force)를 통해 초기 개발을 지원하고, ARDAT을 통해 첨단치료제(ATMP)에 대한 자문을 제공하며, EMA에 사전 시장허가신청(Pre-MAA)을 통해 사전 허가를 받을 수 있음

○ 그 외 안전성이 확보된 CGT 승인을 위한 별도 규정 마련과 환자의 상태를 지속적으로 추적 & 모니터링 할 수 있는 장기추적 조사시스템 등도 구축

□ **고가의 CGT에 환자 접근성을 높이기 위하여 제약기업과의 약가 협상을 통해 환급이나 급여 등 적절한 보험급여 모델 채택하여 약가 개선을 지원**

○ 미국과 유럽은 유효성 데이터를 기반으로 보상되는 형식의 가치 기반 평가 모델인 '결과기반보상(OBR)' 모델을 채택하여 보험금을 지원

[표5] 국가별 CGT 환급 모델

국가	보상 모델	주요 특징	보상 대상
이탈리아, 스페인	연금 기반 모델, 성과 기반 연금/분할 지불/결과 기반 단계별 지불	- 복수년 지불 일정	Kymriah, Yescarta
		- 성과 달성을 기준으로 선불 지불과 연간 분할 지불 협의	
		- 첫 번째 결과 실패 후 추가 결과 평가 없이 지불이 종료됨	
프랑스, 영국	증거 개발에 따른 보상 모델, 개별 환자 데이터(IPD)에 기반한 증거 기반 체계/보증 모델	- 유망하지만 입증되지 않은 의료 기술에 대한 임시 전환 상태 제공	Kymriah, Yescarta
		- 보험/지불 보상은 조건적이며 증거 생성에 따라 이루어짐	
		- 주요 시험 및 실제 데이터(RWE)의 장기 추적 데이터와 건강 기술 평가를 통한 가격 결정	

독일	결과에 따른 감가	- 지불자와 제공자 간의 할인은 성과에 따라 협상됨	Kymriah, Zolgensma, Luxturna, Yescarta
		- 결과는 단일 또는 다중 시점에서 평가됨	
		- 추가 코호트 데이터를 기반으로 건강 기술 재평가가 이루어지며, IPD에 연결된 결과에 따른 할인이 제공됨	
미국	증거 개발에 따른 보상 모델, 개별 환자 데이터(IPD)에 기반한 증거 기반 체계/보증 모델	- 유망하지만 입증되지 않은 의료 기술에 대한 임시 전환 상태 제공	Kymriah, Zolgensma, Luxturna, Yescarta
		- 보험/지불 보상은 조건적이며 증거 생성에 따라 이루어짐	
		- 주요 시험 및 실제 데이터(RWE)의 장기 추적 데이터와 건강	

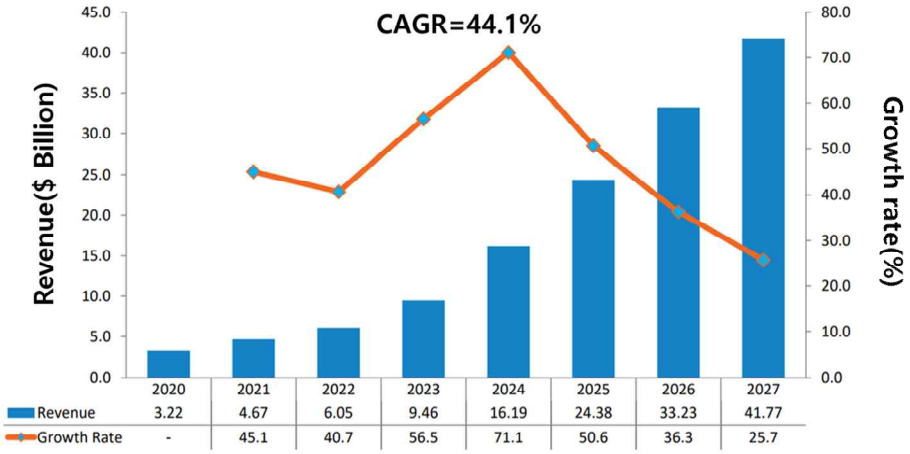
※ 출처: 한국보건산업진흥원, 미국과 유럽의 세포·유전자치료제 혁신연구지원정책동향, 2022.10

3. 시장 규모 및 전망

1) 글로벌 시장현황 및 전망

□ (전체) 글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장은 2021년 46억 7천만 달러에서 2027년 417억 7천만 달러 규모로 연평균 44.1%로 성장할 것으로 전망

[그림 5] 글로벌 세포·유전자치료제 시장 현황 및 전망(2020~2027년)



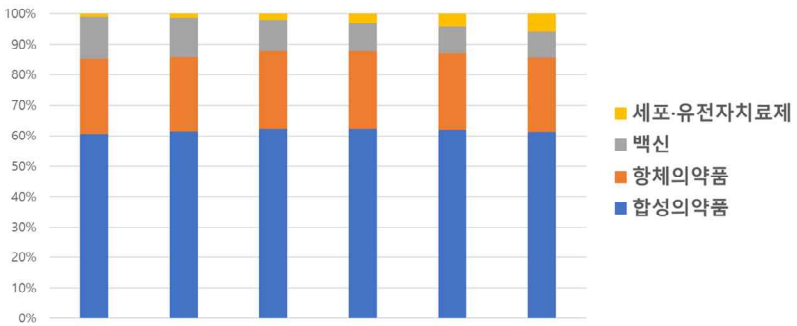
※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

[참고] 타 보고서의 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망

○ Evaluate Pharma에 따르면, 글로벌 CGT 시장의 연평균 성장률이 49.1% ('21~'26)로 분석되는 등 의약품 시장 내 CGT 시장의 빠른 성장세가 전망됨

- 글로벌 CGT 시장 규모는 2021년 기준 약 74.7억 달러에서 2026년 약 555.9억 달러 규모로 성장 전망
- 동 기간 합성의약품(5.7%)과 항체의약품(5.2%)의 성장세보다 급격한 시장 규모의 성장이 예측되며, 백신(-4.1%)에 비해서도 높은 성장률로 분석

[그림 6] 글로벌 의약품 시장 전망(2021~2026년, 단위 : 억달러, %)

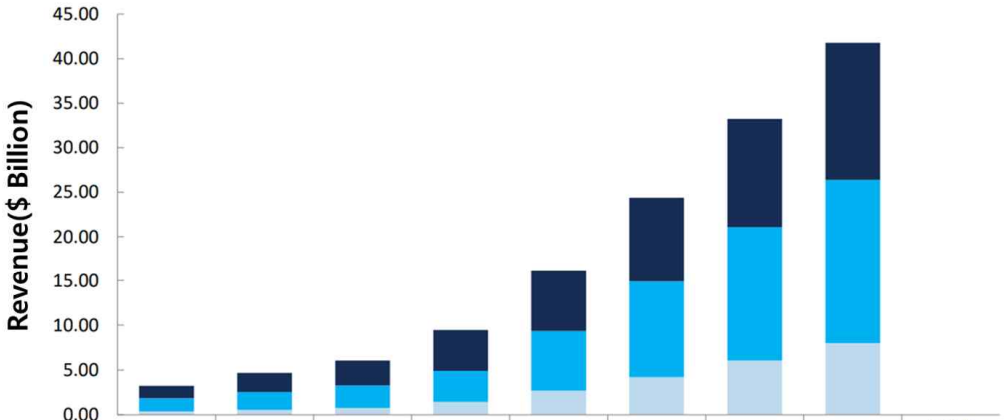


종류	2021	2022	2023	2024	2025	2026	CAGR
합성의약품	4,536.7	4,906.1	5,039.2	5,309.5	5,672.9	5,980.7	5.7
항체의약품	1,875.5	1,969.4	2,058.7	2,190.3	2,311.3	2,414.0	5.2
백신	1,007.9	1,003.9	820.4	772.6	782.7	818.6	-4.1
세포·유전자치료제	74.7	106.7	163.3	256.5	384.9	555.9	49.4

출처 : Evaluate Pharma (2022.2), KIHIDI, 보건산업브리프 vol.352 (2022)/ 국가생명공학정책연구센터 재구성

□ (모달리티별) 동기간 Cell Therapy, Gene Therapy, Gene-modified Cell Therapy는 각각 연평균 56.7%, 44.6%, 39.2%의 성장률을 보일 것으로 전망

[그림 7] 모달리티별 세포·유전자치료제 시장 전망(2020~2027년)



	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2026	2027	CAGR (21-27)
Gene-modified Cell Therapy	1.36	2.12	2.78	4.57	6.84	9.47	12.15	15.37	39.2%
Gene Therapy	1.47	2.01	2.51	3.46	6.68	10.71	15.02	18.41	44.6%
Cell Therapy	0.39	0.54	0.76	1.44	2.68	4.20	6.05	7.98	56.7%

※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

○ (세포치료제) 2021년 5억 4,000만 달러에서 2027년 79억 8,000만 달러로 연평균 56.7% 증가할 것으로 전망

- 미국 FDA에서는 ALLOCORD 및 HEMACORD 등 제대혈 유래 조혈모 줄기세포 와 같은 줄기세포에 대해서만 세포치료제를 승인
- 연골 손상을 치료하는 Vericel 사의 MACI와 크론병 복합지질 치료제인 Takeda의 Alofisel 등이 성장을 주도할 핵심 제품으로 추정
- 퇴행성 디스크 질환과 알츠하이머 등 CNS 적응증에 대한 Mesoblast의 MPC-06-ID와 Revascor에 대한 출시가 예상

○ (유전자치료제) 2021년 20억 3,000만 달러에서 2027년 184억 1,000만 달러로 연평균 44.6% 증가할 것으로 전망

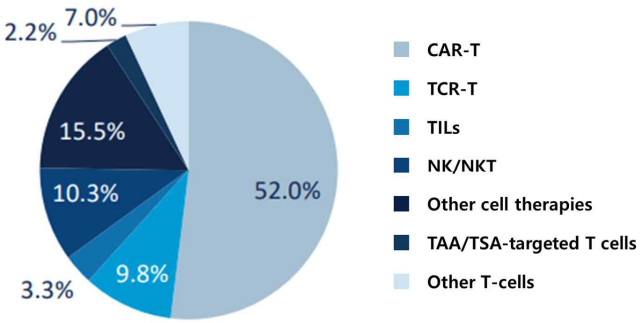
- 노바티스의 척수성 근위축증 치료를 위한 졸겐스마(Zolgensma) 및 유전성 망막질환 치료제인 럭스터나(Luxturna)가 대표적 의약품
- CRISPR Therapeutics 및 Vertex Pharmaceutical의 최초의 CRISPR 기반의 치료제인 CTX001이 출시될 예정
- 유전자 투약 및 전달과정에서의 안전문제가 남아있는 가운데, 유전자치료제 50% 이상이 유전자 도입 방법으로 AAV 바이러스를 활용하고 있으나 나노입자 및 엑소좀 등 비-바이러스를 활용한 전달 방법이 개발되어 장기적으로 더욱 성장이 예측됨

○ (유전자 변형 세포치료제) 2021년 21억 2,000만 달러에서 2027년 153억 7,000만 달러로 연평균 39.2% 증가할 것으로 전망

- 예스카타(Yescarta), 킴리아(Kymriah), 브레얀지(Breyanzi), 아베크마(Abecma), 테카터스(Tecartus), 카빅티(Carvykti) 등 6가지 항암제가 시장을 지배
- 자가세포 및 동종세포 기반의 면역치료제 개발을 목표로 하고 있는 유전자 편집 임상의 절반 이상이 암을 타겟

□ **(적응증별) 임상시험 단계의 파이프라인 중 44.8%가 암과 관련된 파이프라인이며, 중추신경계(11.7%)와 감각기관(6.6%) 등에 대한 CGT가 개발 중**

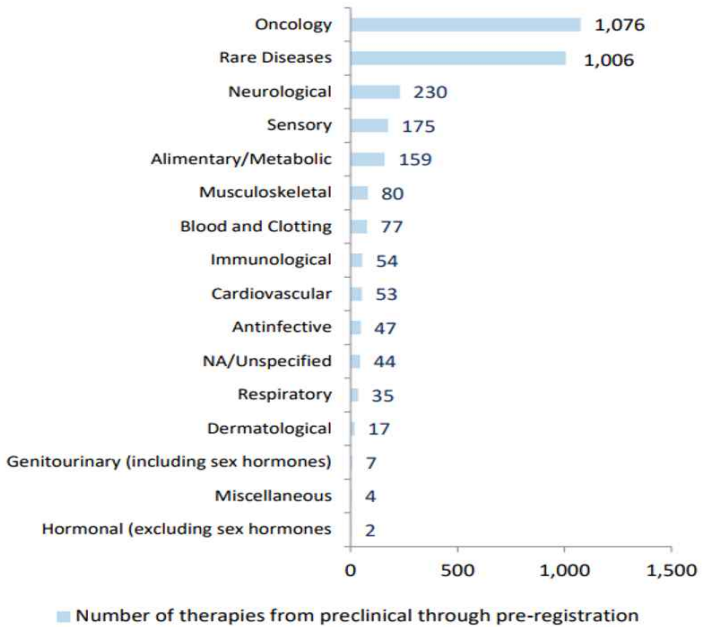
[그림 8] 적응증별 글로벌 세포·유전자치료제 임상파이프라인 현황(2021년 기준)



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

○ 유전자치료제 및 유전자 변형 세포치료제 시장 내 전임상에서 사전등록 단계의 CGT는 암(1,076개)과 희귀질환(1,006개)에 대한 파이프라인이 가장 활발히 연구

[그림 9] 유전자 및 유전자 변형 세포치료제 시장 내 전임상에서 사전등록단계의 CGT(2021)



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

- 골수종, 비호지킨림프종 (non-Hodgkin's lymphoma), 급성골수성 백혈병, B세포 림프종, 난소암 등의 희귀암에 대한 치료법 개발이 진행 중

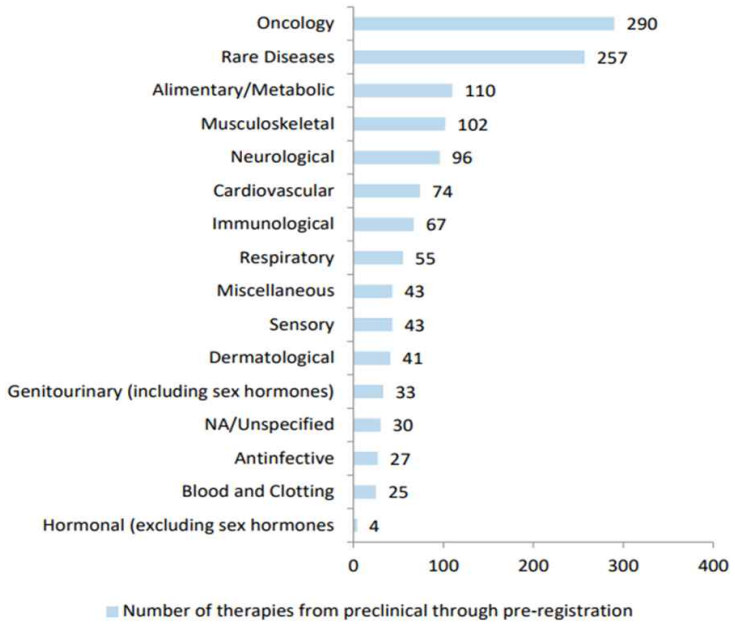
- 최근 알츠하이머, CVD, 관절염과 같은 일반적인 질병으로도 확장 중

※ (희귀질환) ALS, 바텐병, 혈우병 및 낫적혈구병을 포함한 희귀혈액질환, 색소성 망막염과 같은 드문 안과적 질환, 유전성 리소좀 축적장애, Duchenne 근이영양증 및 윌슨병 등

○ 세포치료제 시장에서도 전임상에서 사전등록 단계의 CGT는 암(290개)과 희귀질환(257개)에 대한 파이프라인이 가장 활발히 연구되고 있음

- 타겟으로 하는 질환으로 호흡곤란 증후군, COVID-19 합병증, 골관절염 및 제1형 당뇨병 등이 포함되며, 주 타겟인 고형암에는 폐암, 유방암, 대장암, 피부암 등으로 다양

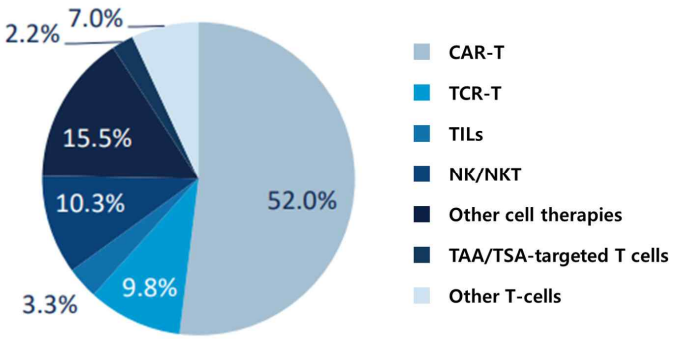
[그림 10] 세포치료제 시장 내 전임상에서 사전등록단계의 CGT(2021)



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

○ 암에 대한 CGT 파이프라인은 총 2,756개로, 전임상 단계에서 시판까지 '21년 대비 725개가 추가 개발('22년 상반기)

[그림 11] 세포 종류별 항암치료제 파이프라인(2021)

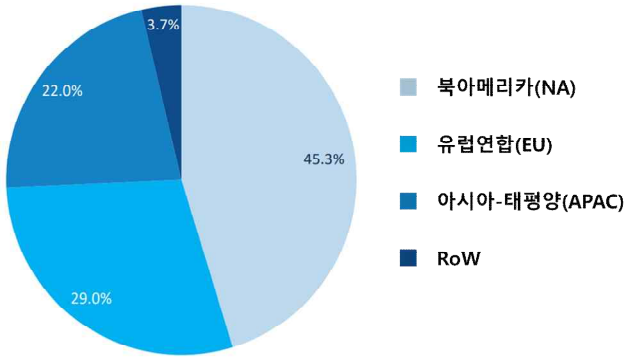


※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

- CAR-T의 긍정적인 치료효능이 입증되며 CAR-T 기반 치료제의 임상시험이 활발히 진행되고 있으며, 향후 5년 이내에 TILs세포, NK세포 TCR세포 기반의 치료제 승인이 예측됨

□ **(지역별) 북미지역(45.3%)이 글로벌 시장의 가장 큰 비중을 차지, 그 뒤를 이어 유럽(29.0%)과 아시아-태평양(22.0%) 시장에서 지속적인 시장 성장 중**

[그림 12] 지역별 세포·유전자치료제 매출액(2021)



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

○ (북미 시장) 가장 큰 시장으로 2022년 6월까지 총 23개의 CGT가 승인

- 약가 책정을 위한 급여 모델으로 'Risk-sharing' 환급 모델을 채택하여 CGT가 적절히 환자에게 활용될 수 있도록 함
- 제조과정에 대한 표준화를 위하여 여러 지침과 규제프레임워크를 도입
- 이러한 정책이 미국 CGT시장의 성장을 견인할 것으로 예측되며, 현재 9개의 CGT가 추가로 출시 예정으로 시장 성장 촉진이 전망

○ (유럽 시장) 한때 CGT 분야 리더였으나 첨단바이오의약품으로 허가된 24개의 치료제 중 7개의 치료제가 시장에서 철회

- 약가산정 방식과 상환체계가 나라별로 달라 나라별 협상이 필요하며 미국과 비교하여 원료 생산 및 제조 시설이 부족

○ (아시아-태평양(APAC) 시장) 한국, 중국, 일본 등의 나라에서 원활한 규제 정책과 인프라, 자본 등을 통해 R&D가 활발히 진행 중

- 중국은 R&D 인프라 및 자본 투자를 통한 성장 잠재력을 보유하고 있으며 다양한 종양질환에 대한 CAR-T 세포 임상을 주도
- 한국은 18개 이상의 세포치료제가 허가되는 등 세포치료제 분야에 큰 발전을 이룸

○ 그 외의 국가들은 고비용, 인프라 부족, 열악한 규제 환경 등으로 인해 CGT 분야의 성장이 더뎌지고 있으나 다양한 글로벌 이니셔티브를 통해 지원 중

- 브라질과 남아프리카를 포함한 여러 국가에서 임상 개발 지원을 위한 인프라 구축
- 머크(Merck)는 SaudiVax와 협력하여 사우디아라비아 지역에 CGT 허브 구축

2) 주요 기업 동향

□ 2021년 매출액의 상위 10개의 기업 중 약 70%를 CAR-T 기반 치료제를 보유한 3개 기업(노바티스, 길리어드 사이언스, 브리스톨마이어스큅(BMS))이 차지

○ (노바티스) 급성림프구성백혈병 치료제인 킴리아(Kymriah)의 성공에 힘입어 척수성근위축증 유전자치료제인 졸겐스마(Zolgensma)를 출시하여 시장 지배

- CAR-T세포 치료제에 주력하고 있으며 6개의 유전자치료제를 추가 개발 중

- 파트너십과 혁신 기술인수를 통해 파이프라인을 확장하고 있으며, 최근 Arctos Medical과 Gyroscope Therapeutics를 인수

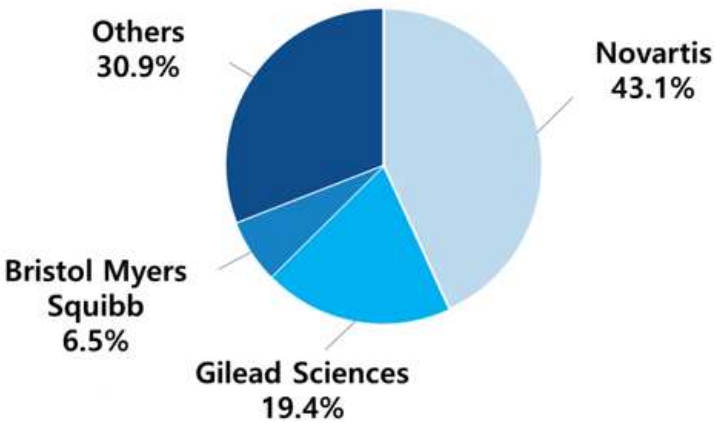
○ (길리어드 사이언스) 미망성 거대 B세포 림프종 치료제인 예스카타(Yescarta)와 급성 백혈병 치료제 테카투스(Tecatus)를 주력으로 면역항암제를 개발

- 주로 암에 대한 파이프라인을 확장하고 있으며, 2022년 첫 번째로 승인된 킴리아를 제치고 예스카타가 CAR-T치료제 시장에서 매출액 1위를 달성

○ (브리스톨마이어스큅(BMS)) 유전자 변형 세포치료제와 혈액암·고형암과 관련된 다세포 치료제에 대한 강력한 상업적 능력을 보유

- 2023년 불응성 거대 B세포 림프종 치료제인 브레얀지(Breyanzi)가 혈액암 적응증 등의 2차 치료제로 승인됨

[그림 13] 세포·유전자치료제 매출액 상위 10개 기업의 수익점유율(2021)



※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8

□ **생태계 내 다양한 기업들이 벨류체인을 이루고 있으며, 빅파마 간의 합작 투자와 CDMO기업 및 바이오텍 간의 M&A, 라이센싱 등의 경영 전략 운영**

○ 빅파마들은 제품의 연구개발 및 설계, 임상시험, 제조, 공급 등의 전 단계를 지원하는 CDMO 설립을 통해 시장에 진입

- 바이오 차세대기술을 보유한 스타트업 및 중소기업에 의해 CGT 플랫폼 기술 혁신이 주도되며 기업 간 M&A를 통해 시장에 진출

○ (M&A사례) Danaher, Norvatis, Charles River Laboratories 등의 기업들은 CGT 개발에 필요한 플랫폼 기술, 배양 배지, 사이토카인 등의 소재· 부품·장비 제조역량을 보유한 바이오텍 기업을 인수

- 다나허(Danaher Corporation)는 알데브론(Adlevron)을 96억달러에 인수하며 플라스미드 DNA, mRNA 등의 핵산 제조 역량을 강화

[표6] 세포·유전자치료제 주요 M&A 사례('21년~'22년 1분기)

거래일	인수기업	피인수기업	거래가치(M)	세부내용
2022년 1월 28일	Oxford Biomedica	Homology Medicine's	175.0	미국내 AAV 제조 혁신사업
2022년 2월 03일	Intellia Therapeutics	Rewrite Therapeutics	200.0	Rewrite Therapeutics의 DNA쓰기 플랫폼 추가를 통한 Intellia의 게놈편집 기능 확장
2021년12월 22일	Novartis	Gyroscope Therapeutics	1,500.0	망막 질환 및 유전자 치료 전문성강화를 위한 Vedere Bio 및 Arctos Medical 인수
2021년 7월 02일	Sartorius	CellGenix	118.5	성장인자, 사이토카인을 포함한 세포배양 배지 관련 포트폴리오 확장
2021년 5월 04일	Athenex	Kuur Therapeutics	185.0	CAR-NKT플랫폼을 기성품으로 세포치료제 개발 확대
2021년 5월 17일	Charles River Laboratories	Vigene Biosciences	350.0	유전자 치료제 기술 인수
2021년 6월 22일	uniQure	Corlieve Therapeutics	298.3	측두엽간질 치료를 위한 유전자치료제
2021년 6월 17일	Danaher	Aldevron	9,600.0	CRISPR 기반 유전자치료, Plasmid DNA, 단백질, mRNA 포트폴리오 추가
2021년 3월 09일	Takeda Pharmaceutical	Maverick Therapeutics Inc.	525.0	조건부 활성 이중특이성 T세포 플랫폼 확보를 통한 면역항암제 포트폴리오 확장
2021년 3월 23일	Beam Therapeutics	Guide Therapeutics	440.0	LNP스크리닝 기술과 지질 라이브러리 유전자편집의 생체내전달을 우히나 다양한 조직의 확장 타겟팅을 지원
2021년 2월 17일	Charles River Laboratories	Cognate BioServices	875.0	CDMO 기업인수를 통한 CGT제조 능력 확보

4. 세포 · 유전자치료제 성장전략

1) 성장동인 및 저해요인

성 장 동 인	1~2년	3~4년	5~6년
분석 기술 : ddPCR 및 분석 초원심분리(AUC)와 같은 방법 등 단일 세포 분석기술의 발전으로 qPCR 및 ELISA에서 관찰되는 결과의 변동성을 줄여 데이터의 정확성을 높힘.	**High**	**High**	Medium
아웃소싱: 바이오의약품의 통합 솔루션을 제공하는 CDMO와의 협력을 통해 결과의 재현성을 개선하고 3차원(3D) 서스펜션 시스템, 폐쇄 루프 연속 제조, 실시간 모니터링 및 프로세스 자동화 등 기술도입을 통한 생산성 향상	**High**	**High**	Medium
투자: 1티어 제약바이오기업과 공공-민간 자본투자, 벤처투자 등을 통해 CGT 제조 및 개발을 가속화, 여러 M&A와 전략적 협업을 통해 치료제 개발의 실패 확률을 줄임	**High**	**High**	Medium
Plug & Play 플랫폼 기술: 업스트림 및 다운스트림 프로세싱을 통한 플랫폼 또는 플러그 앤 플레이 솔루션을 통해 CGT제조 및 개발 기술발전	**High**	**High**	Medium

저 해 요 인	1~2년	3~4년	5~6년
기술적 문제: 바이러스 벡터의 안전성 문제, 다양한 세포 유전자치료제의 제품별 특성을 바탕으로 품질과 안전을 위한 표준화 개발 시급 .	**High**	**High**	**High**
규제 : CGT는 주로 희귀질환을 대상으로 하여 환자수가 한정되어 있어 임상적 안전성과 효능 입증이 어려움. 품질 평가를 위한 가이드라인의 부재와 국가별 상이한 규제프레임워크로 인해 수출입시 인허가가 어려움	**High**	Medium	Medium
제조: CGT는 비싼 cGMP 등급의 원료로 만들어지며, 배치의 변화에 대한 내재적인 위험으로 지속적인 모니터링이 필요하며, 제품별 유연한 제조공정의 변동이 필요하며, 수동집약적인 과정이 필요하기도함, 공급망 구축시 복잡한 필요요건이 따름	Medium	Medium	**High**
비용: 제조과정에서 많은 비용이 드는 CGT는 시장내 높은 약가를 형성하여 환자의 접근성을 감소시킴. 건강보험을 통한 정부의 지원도 제한적이므로, 재정적 가치와 부합하는 기술적 가치 입증 필요	Medium	Medium	Medium

※ 출처 : Frost and Sullivan, 'Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities, 2022.8 / 국가생명공학정책연구센터 재구성

2) CGT 시장 성공 전략

□ (기회1) GMP 등급의 플라스미드 제조를 위한 내부 역량 강화

○ 플라스미드는 바이러스 벡터 제작의 핵심 요소이나, 플라스미드 생산 역량은 아직까지 현재의 수요를 충족하기에 심각하게 부족

- 백터 제조과정은 GMP 수준으로의 확장, 비용, 도입 효과 재현, 프로세스 효율성 등의 측면에서 많은 문제점을 보유

⇒ **(전략1) 플라스미드 제조 서비스사를 인수, 다수의 바이러스 벡터 기반 유전자 치료 제품과 실질적 파이프라인을 제공하는 CDMO를 통한 지속 가능한 혁신 기술 투자**

□ (기회2) CRISPR-Cas9을 활용한 인체 세포 기반의 면역항암치료제 개발

○ CRISPR/Cas9은 유전자 편집 기능의 정확성·효율성을 크게 향상 시켰으며, 적응성 T세포와 NK세포에서의 유전자 편집은 면역 체크포인트의 조절과 항체 기능 향상, 면역세포 기능의 향상을 통해 효과적인 항암치료제 개발 가능

⇒ **(전략2) CDMO 기업들은 이식효율이 높은 동종세포를 뱅킹화하고 타 기업들이 보유한 혁신 플랫폼 기술과 접합하여 새로운 CGT 개발을 통한 파이프라인 확장**

□ (기회3) Bio-reactor와 동결보존 시스템의 규모 확대(scale-up)

○ 현재 CGT 파이프라인은 희귀 질환과 암에 많은 비중이 있으나, 향후 심혈관 질환, 당뇨병, 파킨슨병, 알츠하이머, 관절염 등의 치료제로서의 확장을 예견

- 대중적인 질환의 경우 더 큰 규모의 Bio-Reactor와 동결보존 장치 등에 스케일 업된 GMP 제조역량 필요할 것으로 예측

⇒ **(전략3) 상업화를 위한 대규모 바이오리액터를 제조 공정 시설에 갖추고, 비/임상시료 제조는 일회용 시스템을 활용하는 등의 방법을 통해 소재·부품·장비를 타겟하는 제조 역량에 맞게 전략적으로 배치**

< 참고 문헌 >

1) Frost and Sullivan, ‘Global Cell and Gene Therapy(CGT) Growth Opportunities’, 2022.8.

2) LG 경제연구원, 글로벌 바이오 투자현황-유전자치료제 및 세포치료제, BRIC view 동향리포트, 2022.12.

3) 국가생명공학정책연구센터, 미국 FDA, CAR-T 세포치료제 등 제품 개발을 위한 지침 초안 발표, BioINwatch22-43, 2022.6.21.

4) 산업연구원, 세포·유전자 치료제 시장 동향 및 정책 시사점, 2022.9.

5) 팜뉴스, '세포 유전자 치료' 규제과학, 세계적 수준 도달 위한 조건은?, 2022.10.17.

6) 한국바이오의약품협회, 바이오의약품 산업동향보고서, 2019.7.

7) 한국바이오협회, ‘바이오제조 동향 - 세포유전자치료제 중심으로’, BIO ECONOMY BRIEF, 2021. 2. 7.

8) 한국바이오협회, ‘2023년 글로벌 세포·유전자치료제 시장동향’, 2023. 2. 7.

9) 한국보건산업진흥원, 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈이노베이션 동향, 보건산업브리프, 2022.3.23.

10) 한국보건산업진흥원, 미국과 유럽의 세포·유전자치료제 혁신연구 지원 정책 동향, 보건산업브리프, 2022.10.

◇ BioINdustry는 산업정보 전문업체에서 분석한 내용을 기반으로 작성한 보고서로 국가생명공학정책연구센터의 공식적 견해는 아닙니다.

◇ 본 자료는 국가생명공학정책연구센터 홈페이지(http://www.bioin.or.kr)에서 다운로드가 가능하며, 자료의 내용을 인용 할 경우 출처를 명시하여 주시기 바랍니다. 단, 영리적 목적의 이용은 금지됩니다.