

# 한선 프리미엄 리포트

## Hansun Premium Report

주 제 : 줄기세포를 이용한 재생의료산업의 미래전략  
발제자 : 양윤선 메디포스트 대표  
일 시 : 2016년 10월 27일(목) 오전 7시 30분  
장 소 : 국회 의원회관 제3세미나실

2,000원으로 내 마음같은 '정책후원' 하기

☒ 문자 한 통 #7079-4545

### 236회 정책세미나 주요 내용

#### < 요약 >

☞ 10월 27일 정책세미나에서는 양윤선 메디포스트 대표를 연사로 '줄기세포를 이용한 재생 의료산업의 미래전략'을 주제로 논의했습니다.

■ 거대한 규모의 의약품 시장에 속하는 줄기세포는, 고령화 시대로 접어들면서 큰 주목을 받고 있다. 암, 뇌, 심장, 희귀 질환을 극복하기 위한 혁신적 신약개발 필요성이 커지는 상황에서 줄기세포 치료가 뉴패러다임으로 등장하고 있다. 재생의료는 손상된 조직 또는 장기를 치료, 대체, 재생시킴으로써 인체의 기능을 복원시켜 주는 의료기술이다. 줄기세포 치료제는 재생의료 기술 중 하나인 세포 치료제에 속한다.

■ 흔히들 줄기세포라 하면 영원히 죽지 않는(Immortal), 무제한의(Unlimited), 끊임없이 계속되는(Continuous)의미로 받아들여져서 불로장생의 희망을 품게 된다. 근본적으로 우리 몸을 구성하는 모든 세포의 근원인 줄기세포는 똑같은 세포를 복제, 증식, 분화하는 능력을 가진 세포를 만들어낸다. 줄기세포로 질병을 치료하는 방법은 두 가지가 있다. 첫 번째로는 체외에서 줄기세포를 분화시켜 손상부위를 복구하는 방법이다. 망막 혹은 척추신경이 손상을 입었을 때 줄기세포를 망막세포 혹은 척추신경세포로 분화시켜 복구시킬 수 있다. 두 번째는 복합적 치료 인자를 동시다발적으로 분비하는 줄기세포로 재생치료 효과를 보는 방법이다. 이를 통해 세포죽음 억제, 항염증, 세포증식 촉진, 조직 재생, 항산화, 항박테리아, 면역조절 등의 효과를 볼 수 있다. 최근 유행하는 약물카테일 요법의 효과를 능가

하는 치료법이다.

■ 현재 전세계 줄기세포 관련 500여 개 기관이 250여 종 난치병 치료제를 개발 중에 있으며, 줄기세포 치료제 품목 허가 사례 6가지 중 4가지는 국내 연구기관이 개발하였다. 이처럼 우리나라 줄기세포와 재생의료의 위상은 세계적으로 매우 높다. 줄기세포 의약품 품목 허가 건수 1위, 글로벌 임상시험 2위, 임상시험 신청 기업 수 2위를 우리나라가 차지하고 있다.

■ 줄기세포가 의약품으로 성공하려면 안전성, 효능, 경제(시장)성 세 가지 요건을 갖추어야 한다. 줄기세포와 재생의료 산업 1등 국가가 되기 위해서 앞으로도 지속적인 발전이 이루어져야 한다. 줄기세포는 산업과 기술이 함께 나아가는 분야이므로 중개연구와 연구자 임상시험 활성화도 이루어져야 한다. 이외 기초연구 개혁, 줄기세포 사용 및 수급에 대한 규제 완화와 R&D 자금 확대도 필요하다. 줄기세포 맞춤형 규정 및 허가제도 역시 시급하다. 글로벌 네트워크 간의 협정과 규제 완화도 마찬가지로 이루어져야 한다. 산업적 측면에서는 창업, IPO(Initial Public Offering, 주식공개상장), M&A 활성화가 필요하다.

## ■ 의료산업계의 주류가 될 줄기세포 치료제

### : 혁신적 신약개발 필요성이 커지고 있다

- 오늘은 줄기세포를 미래 성장동력 산업의 주역으로 초점에 맞추어 기술적 가치에 대해 논하고자 한다. 거대한 규모의 의약품 시장(조선업 105조원, 반도체 400조원, 자동차 600조원 < 의약품 1200조원)에 속하는 줄기세포는, 고령화 시대로 접어들면서 큰 주목을 받고 있다.

- 암, 뇌, 심장, 희귀 질환을 극복하기 위한 혁신적 신약개발 필요성이 커지면서 줄기세포 치료가 메가트렌드(현대 사회에서 일어나고 있는 거대한 조류)로 등장하고 있다. 바로 정밀의료(Precision Medicine)와 재생의료(Regenerative Medicine)이다. 이전까지는 같은 질환에 같은 절차로 수술을 진행하였지만, 정밀의료는 유전자 분석을 통해 개개인에게 특성화된 방식으로 진행된다. 재생의료는 손상된 조직 또는 장기를 치료, 대체, 재생시킴으로써 인체의 기능을 복원시켜 주는 의료기술이다. 줄기세포 치료제는 재생의료 기술 중 하나인 세포 치료제에 속한다.

- 최근 줄기세포 연구분야에서 노벨상을 수상하는 사례가 늘어나고 있으며, 앞으로 의료산업계에서 줄기세포 연구가 주류가 될 가능성이 크다. 영국의 존 거든과 일본의 야마나카 신야 교토대 교수가 2012년 유도만능줄기세포(체세포 역분화줄기세포 iPS) 개발 공로로 노벨 생리의학상을 공동 수상하였다. 노벨위원회는 “성숙해서 제 기능이 정해진 세포라도 인체를 구성하는 모든 형태의 조직으로 자랄 만한 미성숙 세포로 역분화될 수 있음을 두 과학자가 발견했다”고 수상 이유를 설명하였다. 노벨상 수상 연구분야는 오랜 기간에 걸쳐서 산업화로 연결된다. 인슐린, Epo(몸의 산소 공급을 원활히 해주는 적혈구 생성을 촉진시키는 혈액도핑) 등의 유전자재조합 의약품을 시작으로, 질병의 예측 및 진단이 가능한 맞춤형 의약으로 이어져왔다. 또한 허셉틴, 리톡산 등의 항체의약품에서 재생의학이라 불리는 세포 치료제가 미래산업화로 그 계보가 이어지고 있다.



### ■ 줄기세포의 효능과 가능성

**: 줄기세포는 모든 세포조직을 만들어 내는 근원이다**

- 흔히들 줄기세포라 하면 영원히 죽지 않는(Immortal), 무제한의(Unlimited), 끊임없이 계속되는(Continuous)이란 불로장생의 희망을 품게 된다. 줄기세포에 대한 오해의 소지를 만드는 표현들이다. 과학에 근거한 줄기세포는 ‘불로장생’의 실현과는 거리가 멀다. 근본적으로 우리 몸을 구성하는 모든 세포의 근원인 줄기세포는 똑같은 세포를 복제, 증식, 분화하는 능력을 가진 세포를 만들어낸다.



- 난자와 정자가 결합하여 수정란이 되고, 수정란은 세포분열을 통해 배반포가 된다. 배반포 알갱이들이 세포분열과 분화를 거쳐 배아가 생산되며, 분화할 수 있는 능력을 그대로 지니고 있는 배아줄기세포를 만들기도 한다. 인간의 모든 세포 조직을 만들어내

는 첫 번째 단계라는 점에 착안하여 배아줄기세포를 통한 세포치료제가 개발되었다. 배아줄기세포를 원하는 조직으로 분화시켜 재생시키는 연구가 진행되고 있으며, 이를 통해 부상, 질병 혹은 조직 손상을 치료하고자 한다.

- 줄기세포로 질병을 치료하는 방법은 두 가지가 있다. 첫 번째로는 체외에서 줄기세포를 분화시켜 손상부위를 복구하는 방법이다. 망막 혹은 척추신경이 손상을 입었을 때 줄기세포를 망막세포 혹은 척추신경세포로 분화시켜 복구시킬 수 있다. 두 번째는 복합적 치료 인자를 동시다발적으로 분비하는 줄기세포로 재생치료 효과를 보는 방법이다. 이를 통해 세포죽음 억제, 항염증, 세포증식 촉진, 조직 재생, 항산화, 항박테리아, 면역 조절 등의 효과를 볼 수 있다. 최근 유행하는 약물각테일 요법의 효과를 증가하는 치료법이다.

승인 일자	개발사	제품명	분류	대상질환	승민국
1 2011.07.01	파미셀 (KOR)	하티셀그렘-AMI	자가 골수유래 중간엽줄기세포	급성심근경색	대한민국
2 2012.01.18	메디포스트 (KOR)	카티스텀	동종 계대혈유래 중간엽줄기세포	퇴행성관절염	대한민국
3 2012.01.18	안트로젠 (KOR)	큐피스텀	자가 지방유래 중간엽줄기세포	크론성 치루	대한민국
4 2012.05.18 2012.06.15	OSIRIS (USA)	프로키셀	동종 공수유래 중간엽줄기세포	소아 이식편대숙주병	캐나다 호주, 뉴질랜드
5 2014.07.30	코이스텀 (KOR)	뉴로나타-알	자가 골수유래 중간엽줄기세포	두개리병	대한민국
6 2015.02.17	CHIESI (ITALY)	호노클라	자가 각막유래 중간엽줄기세포	각막손상	유럽



우리나라 줄기세포와 재생의료 위상

전 세계 줄기세포치료제 품목허가 사례

- 줄기세포는 어떤 질병을 치료하고자 하는가? 사고에 의해 영구적으로 척수 혹은 뇌의 기능이 손상되는 경우 조직을 줄기세포로 치환하여 치료하고자 한다. 퇴행성 뇌질환, 관절질환과 같이 다양한 원인에 의해 점진적으로 조직이 파괴되는 경우에도 멀티 타겟 재생을 통해 동시다발적으로 해결할 수 있다. 현재 전세계 줄기세포 관련 500여 개 기관이 250여 종 난치병 치료제를 개발 중에 있으며, 줄기세포 치료제 품목 허가 사례 6가지 중 4가지는 국내 연구기관이 개발하였다. 이처럼 우리나라 줄기세포와 재생의료의 위상은 세계적으로 매우 높다. 줄기세포 의약품 품목허가 건수 1위, 글로벌 임상시험 2위, 임상시험 신청 기업 수 2위를 우리나라가 차지하고 있다. 현재 전 세계적으로 허가된 6가지 줄기세포 치료제 중 하나인 메디포스트 카티스텀은 세계 최초 동종 줄기세포 치료제 상용화 성공으로, 퇴행성 또는 반복적 외상으로 인한 골관절염 환자의 무릎 연골질환 줄기세포 치료제다. 2012년 1월 한국 식품의약품안전처로부터 판매허가를 승인받아 시술 중에 있으며, 2016년 거스 허딩크 감독의 무릎 시술에도 성공하였다.

## ■ 줄기세포가 의약품의 세가지 성공 요건

: ‘안전성’ , ‘효능’ , ‘경제(시장)성’

- 줄기세포가 의약품으로 성공하려면 안전성, 효능, 경제(시장)성 세 가지 요건을 갖추어야 한다. 안전성을 판단하는 기준은 ‘누구의 세포인가’와 ‘세포에 얼마나 손을 댔나’이다. 자가세포 치료(Autologous)를 하는지, 타세포 또는 동종세포 치료(Allogeneic)를 하는지를 기준으로 줄기세포 의약품의 안전성을 판단한다. 또한 냉해동, 단순분리 등 최소한의 조작으로 이루어졌는지 혹은 배양, 유전자조작 등 물리, 화학, 생물학적 처리의 조작으로 이루어졌는지도 판단이 필요하다.

- 줄기세포 의약품의 효능을 높이기 위해서는 순도와 세포 수, 세포 성능과 융합기술 측면의 발전이 중요하다. 가장 원시적인 형태의 조혈모 세포이식에서 메디포스트사의 카티스팀 같은 줄기세포 신약 개발로 이어지며 효능을 높인다. 단순배양 세포로는 충분한 효과가 나타나지 않으나 기능향상 세포로 뛰어난 세포 성능을 갖출 수 있도록 한다. 세포 단독으로 갖추어진 의약품이 아닌, 융합 기술 시스템으로 개발된 의약품이어야 한다.

- 시장성 즉 경제적 가치를 지니기 위해서 우선적으로 대량 생산이 가능해야 한다. 생산 이슈 다음 단계는 규제 문제다. 줄기세포 의약품 개발 과정 중 기존 화학의약품 맞춤 제도에 새로운 줄기세포 의약품을 적용하는 단계에서 가장 많은 자본이 투자된다. 정부의 규제도 과학 기술 발전에 발맞추어 변화해야 한다. 마지막으로 가장 중요한 비용 대비 효능을 높여 최소 비용으로 최고 효과를 볼 수 있는 의약품을 개발하여야 시장성을 떨 수 있다. 국내 의약품 시장은 규모가 작아 기술 개발 후 허가를 받아도 개발 비용이 크기 때문에 해외 시장 경쟁력을 갖출 필요가 있다. 해외 시장에서 통하는 제품 개발을 위해선 방향 설정이 중요하다. 우선적으로 의약품이 충분한 효능을 가져야 하며, 작용기 전 입증하거나 지표 개발을 통해 해외 시장에서 객관적으로 인정받아야 한다. 실온에서 견디지 못하는 세포의 보존 조건을 맞출 수 있어야 하며, 세포에 대한 수요를 높일 수 있도록 세포 공급 및 시술이 용이해야 한다. 기존 1세대 의약품들은 이미 성공적으로 치료가 힘든 병들을 치료했지만 위 방법들은 기술적으로 R&D를 필요로 한다. 그래야 대중화되어 의약품의 시장 경제성을 보완할 수 있는 잠재력을 갖는다.

## ■ 재생의료 산업 1등 국가가 되려면?

### : 산학연구기관의 개방형 혁신 필요

- 지금까지 정부 지원은 R&D 지원, 펀드 조성, 기술특례 상장과 인허가로 이루어졌다. 줄기세포 개발은 정부의 R&D 지원 자금 덕분에 해낼 수 있었다. 주식 시장에서 자본을 끌어들이지 못 하여도 기술특례 상장을 통해 기술만 가지고 있어도 팔 수 있었다. 인허가 제도 또한 줄기세포 개발과 발전에 큰 이바지를 하였다. 그러나 바이오 분야를 위한 펀드는 위험 감수성이 높다는 인식으로 인하여 투자가 많이 이루어지지 못하였다.

- 줄기세포와 재생의료 산업 1등 국가가 되기 위해서 앞으로 발전이 이루어져야 한다. 틈새를 노릴 수 있는 새로운 기술들을 R&D를 통해 개발한다. 살아있는 줄기세포로 치료에 성공하기 위해선 질병과 세포 투여 경로를 정확하게 알아야만 수술 실패율이 낮다. 산학연구기관의 개방형 혁신(Open Innovation)도 필요하다. 줄기세포는 산업과 기

술이 함께 나아가는 분야이므로 중개연구와 연구자 임상시험 활성화도 이루어져야 한다. 이외 기초연구 개혁, 줄기세포 사용 및 수급에 대한 규제 완화와 R&D 자금 확대도 필요하다.



- 줄기세포 맞춤형 규정 및 허가 제도가 시급하다. 규정 및 허가제도가 지속적이고 예측 가능해야만 한다. 제도 조정 과정에서 실제 시행착오가 많았기에 개발과 실험 과정 지체를 초래하기도 하였다. 글로벌 네트워크 간의 협정과 규제 완화도 마찬가지로 이루어져야한다.

- 산업적 측면에서는 창업, IPO(Initial Public Offering, 주식공개상장), M&A 활성화가 필요하다. 한 해 바이오산업 창업 수는 낮은 편이다. 잠재력 있는 기술의 지원을 통해 그 기술들이 연구소 밖으로 나갈 수 있는 출구를 마련해주어야 한다. M&A 활성화는 곧 창업 활성화로 이어지며, IPO도 연구비용을 보완해줄 수 있다.

## 236회 정책세미나 질의응답

**질문1** 줄기세포 주사로 불리는 지방줄기세포 기술이 발달하면 지방이식 주사가 가능한가?

**답변** 항노화 기술은 줄기세포로 가능하다고 본다. 허나 연구 과정에서 노화 방지 과정들을 살펴보아야 한다. 그러나 10년 이상의 연구 기간이 필요하다. 자가지방에는 유능한 줄기세포가 많이 포함되어 있지만 관리와 감독을 통해 검증을 받아야 한다.

**질문2** 무릎관절 치료 시, 줄기세포 치료와 인공 치료의 차이는 무엇인가?

**답변** 인공 치료의 경우 자기 연골의 기능을 포기하는 것으로 완전히 자유로운 운동성에서는 제한이 있다. 줄기세포 치료는 관절의 기존 기능들을 회복시켜줄 수 있다. 인공관절의 경우 80세 이상이 되면 연골세포가 없는 경우가 있지만, 줄기세포는 관절의 세포 기능이 조금이라도 남아 있으면 기능을 할 수 있도록 도와준다.

**질문3** 보톡스, 필러 등의 기능이 있다는 줄기세포 화장품이 실제 효능이 있는가?

**답변** 줄기세포 화장품은 사실 줄기세포 자체가 아닌 줄기세포 배양액으로 만들어진다. 배양액내에 줄기세포가 뽑아낸 인자들 중 피부에 좋은 것들을 추출하여 화장품을 만드는 것에 대한 허가는 받은 상태이다. 그 인자들이 피부에서 어떻게 작용하는지 알게 되면 그 인자들의 조합으로 신약도 개발할 수 있지 않을까.

**질문4** 1세대보다 효능을 높인 다양한 줄기세포 접근방법이 주목을 받고 있다. 앞으로 어떤 접근방법을 취할 예정인가?

**답변** 세포수를 빨리 늘리는 것도 좋지만, 각 세포별 기능을 높이는 데도 주력하고 있다. 무릎 관절 치료 시, “줄기세포를 왜 주사로 하지 않았느냐” 라는 질문을 많이 받았다. 시도하지 않은 것이 아니라, 현재 기술로는 많은 제약이 있다. 카티스템 세포로는 직접 부위에 투입을 하면 효능이 훨씬 증가한다. 주사만으로도 관절을 재생시키는 효과를 볼 수 있으나, 그 단계로 진화하는 중이다.

**질문5** 뇌성마비, 치매를 위한 세포 치료제 개발 과정은 어떻게 진행되고 있는가?

**답변** 세포 치료제를 통해 뇌성마비와 치매를 치료하고자 하는 노력은 지속적으로 이루어지고 있다. 허나 수술법보다 수술약이 더 많은 수익을 창출하기에, 정부에서는 수술약

개발을 우선적으로 추진하고자 한다. 약의 효능을 높이기 위해서는 융합기능이 필요하고, 이를 위한 연구가 진행 중이다. 치매 치료제는 개발가능성이 높다. 기존 약들보다 줄기세포 치료제가 치매를 유발하는 나쁜 요소들을 제거하는데 더 효과를 발휘하는 양상을 보이면서 줄기세포 치매 치료제에 많은 희망을 걸고 있다.

**질문6** 유전자를 보관하여 개별 맞춤형 치료제를 개발하려는 연구기관이 늘어나고 있다. 만약 유전자를 보관하게 되면 이후에 활용 가능성이 높아질까?

**답변** 언급한 바와 같이 골수 은행, 제대혈 은행들이 늘어나는 추세다. 허나 줄기세포도 시간이 흐르면 노화가 진행된다. 물론 보관은 가능하다. 허나 유의해야 할 부분은 말초 혈액과 같은 조직에서는 줄기세포가 매우 미세하다. 골수에 있는 줄기세포를 꺼내려면 말초액을 맞아야 하지만, 이러한 미세함을 보관할 수 있는지에 대한 의문이 든다. 이를 위한 제도도 갖추어져 있지 않은 실정이다. 유전자 혹은 줄기세포를 배양해서 활용한다면 충분히 의약품이 될 수 있지만, 의약품이 될 수 있도록 기술, 보관시설과 제도 등이 뒷받침 되어야 한다.

※ 이 자료가 도움 되셨다면 수신번호 #7079-4545로 한 통 꼭~ 한선을 지지해주세요.  
(한 통 2,000원)