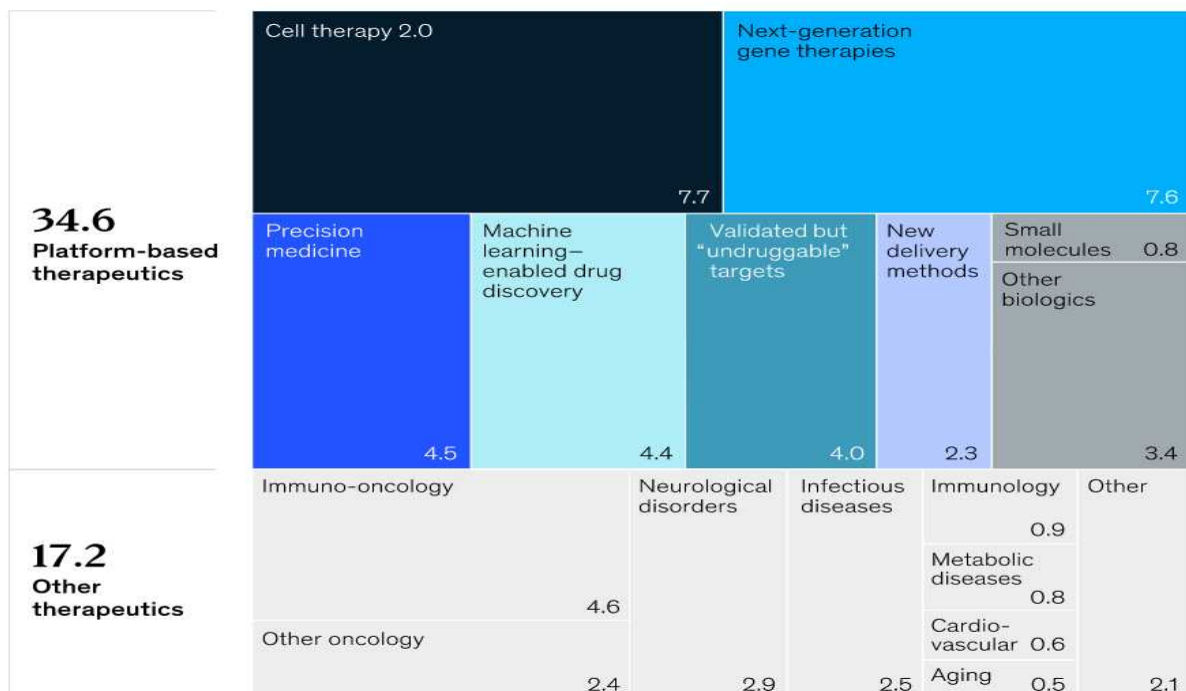


글로벌 벤처투자가 집중된 6개 바이오 플랫폼 기술

박봉현 책임연구원
 한국바이오협회 바이오경제연구센터

- ◇ '22년 6월 10일, 글로벌 컨설팅기업인 맥킨지가 공개한 보고서에 따르면, '21년 바이오 부문에서 벤처캐피털 투자 약 340억 달러, '20년 대비 두배 이상 증가
 - 벤처캐피털 회사는 '16년에 전 세계적으로 2,200개의 바이오 스타트업에 투자했으며 '21년까지 3,100개로 증가함.
 - 바이오기업들은 '21년 전 세계적으로 340억 달러 이상을 벤처캐피털에서 조달했으며, 이는 '20년 총 160억 달러의 두 배 이상을 기록한 것임.
 - 바이오분야 자금조달은 '21년 1분기에 정점을 찍었으며, 최근 신규 상장기업의 가치가 하락하여 지난 4분기 동안 감소했음에도 벤처캐피털은 지속적으로 바이오에 투자되는 추세임.

- ◇ '19년-'21년 동안 바이오분야에 투자된 520억 달러의 2/3는 플랫폼 기술
 - '19년부터 '21년까지 벤처캐피털 회사는 치료기반 바이오기업에 520억 달러 이상을 투자했으며 그중 346억 달러는 플랫폼 기술을 가진 신생기업에 투자함.
 - 벤처캐피털 투자자들은 개별환자에게 맞춤형 치료법을 제공하고 이를 정확하게 타겟 부위에 전달할 수 있는 새로운 기술에 집중한 것으로 보임



◇ 투자자의 관심을 받은 6가지 바이오 플랫폼 기술(잠재성, 문제점, 해결방안)

① 세포치료제 2.0

- '17년 최초의 키메라 항원 수용체(CAR) T세포 치료제가 승인된 이후 전례없는 효능을 달성하면서 혈액 악성 종양 치료에 혁명을 일으켰고 아직 충족되지 않은 요구가 있는 질병(예: 고형암)을 해결할 수 있는 잠재력을 제공함.
- CAR-T 세포와 관련된 염증성 사이토카인 방출 증후군 등 부작용 문제로 연구자들은 환자의 세포를 활용하고 수정하는 새로운 방법을 연구하고 있으며 '19년부터 '21년까지 2세대 노력에 대한 자금 지원을 강화함.
- 기업들은 선천성 면역세포 활용, 합성 유전자 회로를 통한 정밀제어, 생체 내(in vivo) 치료 등으로 새로운 접근방식을 시도하고 있음.

② 차세대 유전자 치료제

- DNA와 RNA를 편집하고 조절하여 유전질환에 탁월한 치료효과를 제공했으며 영구적이고 정확한 유전자 삭제 및 생체 외 수정을 가능하게 하는 편집으로 계속 진화함.
- CRISPR-Cas9 유전자 편집은 제한된 범위의 편집만 가능하며 영구적인 DNA 손상, 돌연변이 유발 등의 안전성 문제가 제기됨.
- 기업들은 기존 유전자 요법의 문제를 극복하기 위해 새로운 RNA 및 편집도구 개발, 새로운 뉴클리아제, 비 뉴클리아제 편집 등의 차세대 개발전략에 집중하고 있음.

③ 정밀의학

- 유전자, 환경 및 생활방식의 개인적 다양성을 고려한 치료의 효과를 극대화하는 접근방식이며 인공지능과 결합된 데이터 분석의 발전으로 시장이 증가함.
- 1세대 정밀진단은 알려진 바이오마커와 돌연변이만 감지할 수 있으며 치료에 반응하지 않는 하위그룹이 있어 고유한 질병 하위 집단의 추가 식별이 필요함.
- 기업들은 다중오믹스 분석을 통한 질병의 조기발견, 새로운 바이오마커 발견 플랫폼, 게놈 분석을 통한 질병 예방 및 치료에 집중하고 있음.

④ 머신러닝 기반 약물 발견

- 분자 행동을 예측하는 컴퓨터 모델링 시뮬레이션을 통해 효과적인 약물 설계 및 최적화가 가능해짐.
- 고품질 데이터의 부족, 일반화의 부족, 해석 불가능한 알고리즘 등으로 약물 발견의 효율성과 정확성을 높이기 위해 제한적인 상황임.
- 기업들은 단백질, RNA-스플라이싱 부위 등을 포함하여 확인된 질병 표적 범위를 확장하고 있으며 러신머닝 모델의 일반화를 위해 하나의 예측모델의 적용, 리드 검증·최적화 등 새로운 방법을 개발하는 중임.

⑤ 약물 투여가 불가능한 표적 타겟기술

- 인체에 있는 질병관련 단백질의 최소 85%는 약물을 사용할 수 없어 표적화하기 어려운 단백질 및 치료하기 어려운 질병에 약물을 전달하는 분야에 투자자 관심 증가
- 단백질의 소분자 약물에 대한 내성, 단백질 기능이 쉽게 변경되지 않는 표적의 제한된 효과, 검증된 표적의 부족 등의 한계가 존재함.
- 기업들은 이전에 알려지지 않은 결합 부위 식별, 질병 유발 단백질의 분해, 새로운 질병 표적 개발로 약물치료가 불가능한 표적 및 질병 해결을 위한 새로운 플랫폼을 개발 중임.

⑥ 새로운 약물전달 방법

- 더 많은 치료법이 질병 특이적 세포를 표적으로 하는 강력한 매개체에 의존함에 따라 약물 전달은 상당한 발전을 보임.
- 정맥 내 지질나노 입자는 주로 간을 표적으로 하는 등 접근이 제한적이며 일부 전달방법은 면역체계를 촉발하여 부작용 발생의 위험이 존재함.
- 기업들은 새로운 벡터 캡시드 개발, 엑소좀 등의 신체의 자연신호 기반 전달방법, 지질 조성을 최적화한 나노입자 등의 새로운 기술을 활용한 약물전달 플랫폼을 개발하고 있음.

◇ 더 많은 투자를 받기 위해 바이오산업이 해결해야 될 과제

- (차별화된 혁신) 기업들은 성공적인 경쟁을 위해 혁신을 차별화하고 제품의 가치를 보여줄 증거를 생산해야 함.
- (난치성 질병 해결) 잘 알려진 질병이 아닌 혁신을 통해 제대로 다루어지지 않은 질병을 표적으로 고유한 제품을 개발해야 함.
- (비용 제한적인 의료시스템 가치 입증) 제조 프로세스의 발전과 효율적인 R&D를 통해 더 적은 비용으로 더 많은 환자를 도울 수 있는 제품을 개발해야 함.

〈참고자료〉 What are the biotech investment themes that will shape the industry?, Mckinsey & company, 2022.6.10