

# 2023년 글로벌 세포·유전자치료제 시장 동향

## - 유럽보다는 미국에서 세포유전자치료제 개발 활발, 보험/규제 환경조성 -

한국바이오협회 바이오경제연구센터

▼ 이 내용은 재생의료연합(Alliance for Regenerative Medicine)의 Timothy D. Hunt 대표가 2023년 1월 9일 JP Morgan Healthcare Conference에서 발표한 내용을 정리한 것입니다.

### □ 2022년 전세계 세포·유전자치료제 투자액은 전년 대비 44% 감소

- 2022년 한해 동안 126억 달러가 전세계 세포·유전자치료제 기업에 투자됨. 이는 2021년 227억 달러에 비해 44%가 감소된 수치임.
- 전세계 세포·유전자치료제 투자는 2019년 98억 달러 → 2020년 199억 달러 → 2021년 227억 달러로 지속 증가 추세에 있었음.

### □ 그럼에도 2022년 미국과 유럽에서 6개가 최초로 허가되고, 5개가 새로운 지역 또는 새로운 적응증으로 허가되는 큰 성과 창출

- 2022년에 6개의 세포·유전자치료제가 처음으로 허가를 받았음.

기업명	허가제품	허가국가	구분
Legend Biotech & Janssen	Karvykti	미국, EU	CAR-T
BioMarin Pharmaceutical	Roctavian	EU	유전자치료제
PTC Therapeutics	Upstaza	EU	유전자치료제
UniQure & CSL Boehringer	Hemgenix	미국	유전자치료제
Ferring Pharmaceuticals	Adstiladrin	미국	유전자치료제
Atara Biotherapeutics	Ebvallo	EU	세포치료제

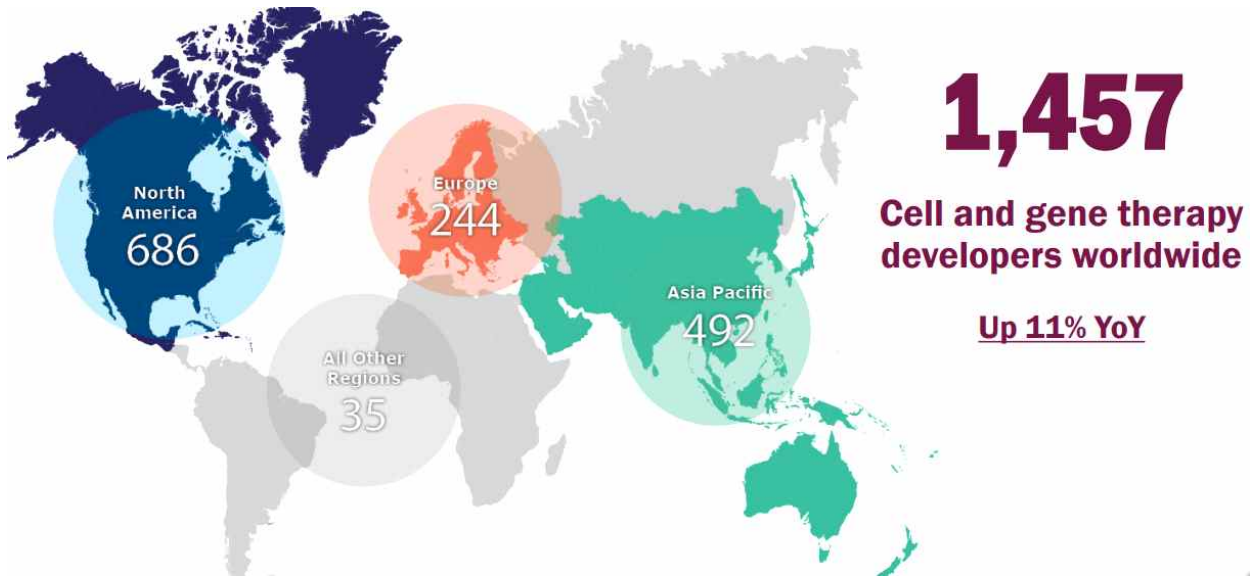
- 아울러, 5개의 세포·유전자치료제가 새로운 지역 또는 새로운 적응증으로 허가됨. CAR-T치료제인 BMS의 Breyanzi, Novartis의 Kymriah, Kite Pharma의 Yescarta 등 3개, 유전자치료제인 Bluebird bio의 Zynteglo 및 Skysona 등 2개 품목이 그것임.

### □ 2023년 1월 현재 세포·유전자치료제에 대한 2,220개 임상 진행 중

- 현재 2,220개 임상이 진행 중이며 지역별로 보면 북미지역이 43%, 아시아태평양(APAC)에서 38%, 유럽에서 18%가 진행 중
- 2022년에 새롭게 254개 세포·유전자치료제 임상이 추가되었으며, 이중 48%는 아시아태평양(APAC) 지역에서 추가됨.
- 임상 3상에는 202개가 진행 중에 있으며, 유전자편집기술(CRISPR)을 통한 임상시험도 100개 이상이 진행 중
- 진행중인 모든 임상의 60%가 종양을 타겟으로 하고 있으며, 고형암과 혈액암의 비중이 거의 50%로 비슷함.

□ 전 세계 세포·유전자치료제 개발기업은 1,457개사로 전년 대비 11% 증가

- 전 세계 세포·유전자치료제 개발기업은 1,457개사로 이중 47.1%인 686개사가 북미 지역에 소재하고 있음. 아시아태평양 지역에는 492개사, 유럽에는 244개사, 기타 지역에는 35개사가 세포·유전자치료제를 개발하고 있음.



□ 2023년 선진국 세포·유전자치료제 개발 전망 : 미국은 활발, 유럽은 정체

- 2023년에는 세계 최초 타이틀을 가지는 세포·유전자치료제가 허가될 것으로 전망됨. 세계 최초로 유전자편집기술(CRISPR)을 이용한 유전자치료제가 허가받을 것으로 전망되며, 세계 최초로 고형암에 대한 적응세포치료제(Adoptive Cell Therapy)와 세계 최초 뒤센느 근이영양증(Duchenne Muscular Dystrophy) 유전자치료제가 그것임.
- 미국에서는 2023년 최대 14개의 세포·유전자치료제 허가 여부가 결정되고 이중 최소 5개 이상이 허가를 받을 것으로 예상되는 등 세계에서 가장 활발하게 임상 및 인허가가 진행 중임. FDA는 많은 새로운 세포 및 유전자치료제에 대한 심사 역량과 전문성 확보를 위해 2022년 9월 기존 담당부서인 OTAP(Office of Tissues and Advanced Therapies)를 OTP(Office of Therapeutic Products)로 확대 개편하고, 현재 300명인 심사인력이 있으나 향후 5년에 걸쳐 100명의 심사관을 추가로 채용할 계획임.
- 반면에, 한때 세포·유전자치료제 분야 리더였던 유럽은 첨단바이오의약품(ATMP)으로 허가받은 24개의 치료제 중 7개가 보험 급여 등의 이슈로 철수됨. 또한, 2022년 한해에만 임상 1상에 단지 3개만이 신규로 진입하였으며 이는 유럽에서 세포유전자치료제가 여전히 유전자변형생물체(GMO) 규제를 받고 있는 등의 문제를 가지고 있기 때문인 것으로 알려짐.