KDDF 국가신약개발사업단
Korea Drug Development Fund

신약개발 글로벌 트렌드 분석
: Gene and Cell Therapy

2022. 11. 18.

기획운영팀 진주연 연구원

Contents

CHAPTER 1 ▪ 유전자치료제의 정의

CHAPTER 2 ▪ 유전자치료제 시장규모

CHAPTER 3 ▪ 국내외 유전자치료제 허가내역

CHAPTER 4 ▪ 유전자치료제 파이프라인 현황

CHAPTER 5 ▪ 유전자치료제 Deal

CHAPTER 6 ▪ 사업단 협약 과제

1. 유전자치료제의 정의

☑ 유전물질을 인체로 전달하거나 유전물질이 변형·도입된 사람 또는 동물의 세포를 인체로 전달하는 치료

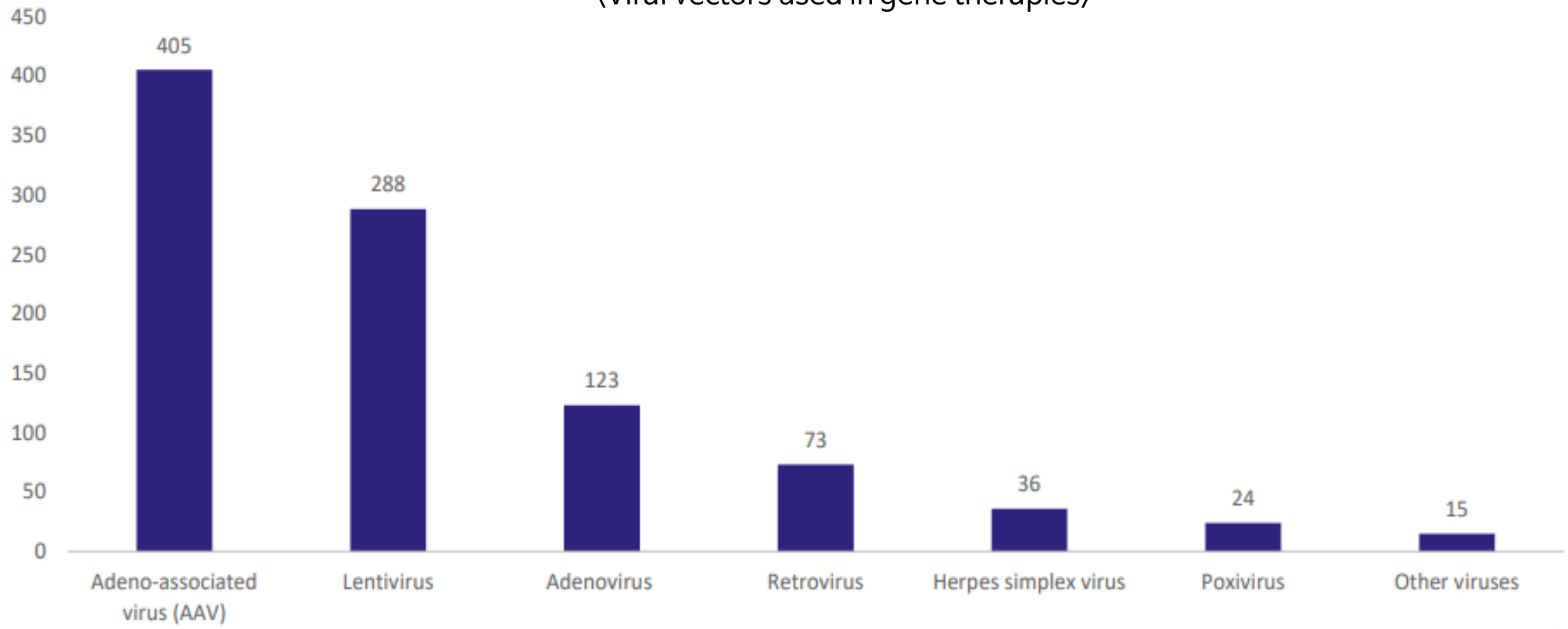
구분	내용
세포치료제 (Cell therapy)	세포의 생물학적 특성을 변화시키는 등의 일련의 행위를 통해 치료, 진단 및 예방의 목적으로 사용되는 의약품 ※CAR-T, NK cell, DCs, TCR-T cell 등
유전자치료제 (Gene therapy)	정상 유전자 및 치료 유전자를 환자의 세포 안으로 이입시켜 결손 유전자를 교정하거나 세포에 새로운 기능을 추가하여 유전자 결함을 치료 또는 예방할 목적으로 제조된 의약품 ※ AAV, Lentivirus, Adenovirus vector 등
RNA 치료제 (RNA therapeutics)	표적 유전자로부터 질병을 유도하는 단백질 생성 과정을 억제하면서 약의 효능을 나타내는 새로운 플랫폼 ※ siRNA, ASO 등
항암 바이러스 (Oncolytic virus)	야생형 혹은 약독화된 바이러스를 그대로 사용하거나 치료 유전자를 탑재해 암 치료에 사용하는 바이러스 ※ 유전자치료제로 구분하기도 하나, 최초 FDA 승인 유전자치료제로 인용되는 임리직(Imlygic)도 FDA는 항암 바이러스 치료제로 분류

※ 출처: 김용민 외(2021), 코로나19 백신·치료제 개발 사례로 살펴본 글로벌 바이오의약품 산업 R&D 동향 및 시사점, KHIDI 보건산업브리프, 제332호

바이러스성 전달체(Viral vectors)

- 유전자치료제는 유전자 투여 경로에 따라 체내(in vivo)와 체외(ex vivo)로 구분되며, 유전자 치료 연구의 80%가 바이러스성 벡터를 사용

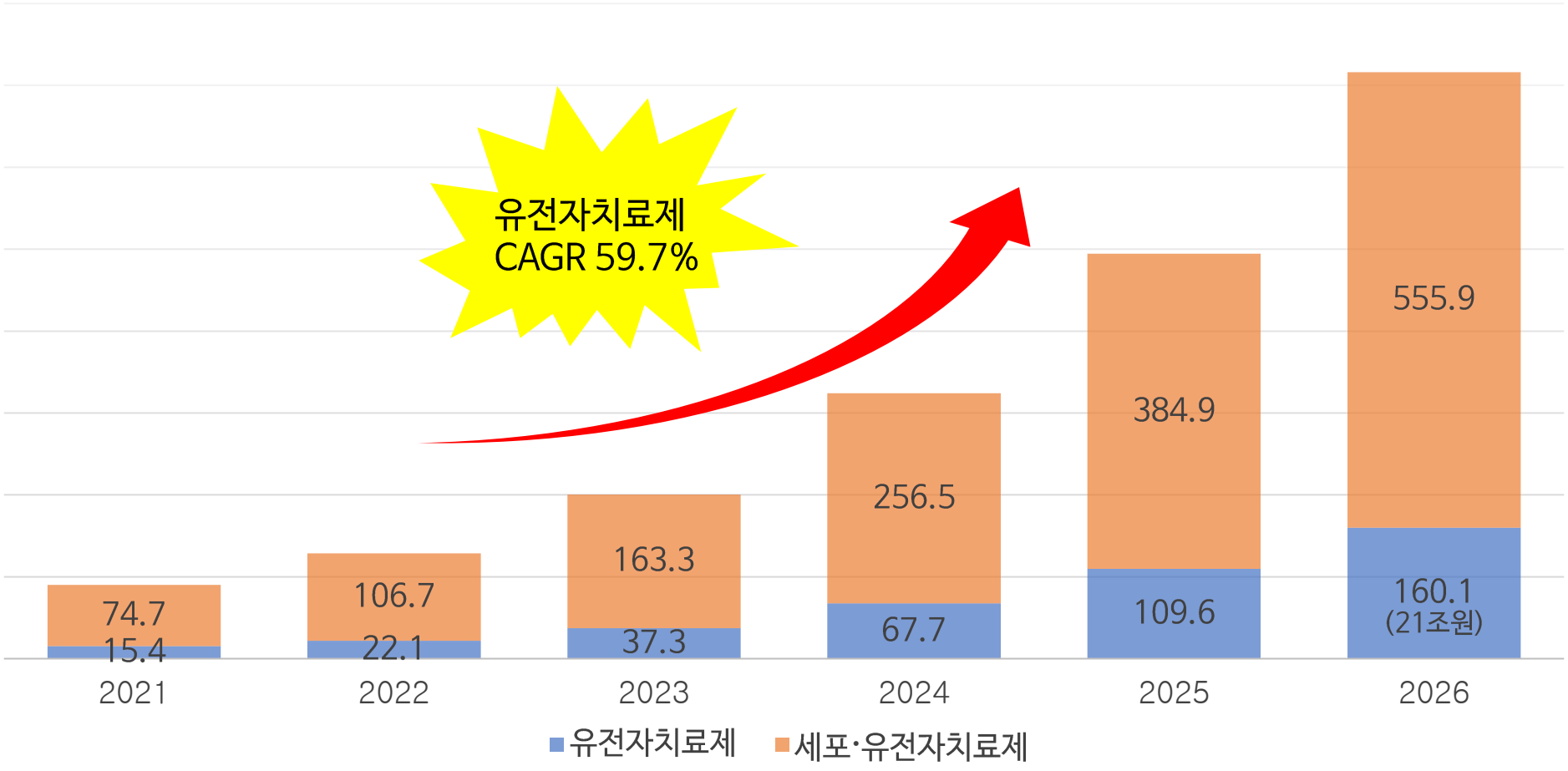
〈Viral vectors used in gene therapies〉



※ 출처: Cell and Gene Therapy dashboard | Informa, July 2021

2. 유전자치료제 시장규모

☑ 글로벌 세포·유전자치료제 시장 성장률은 49.4%, 2026년에는 555.9억 달러(한화 약 73조원)로 성장



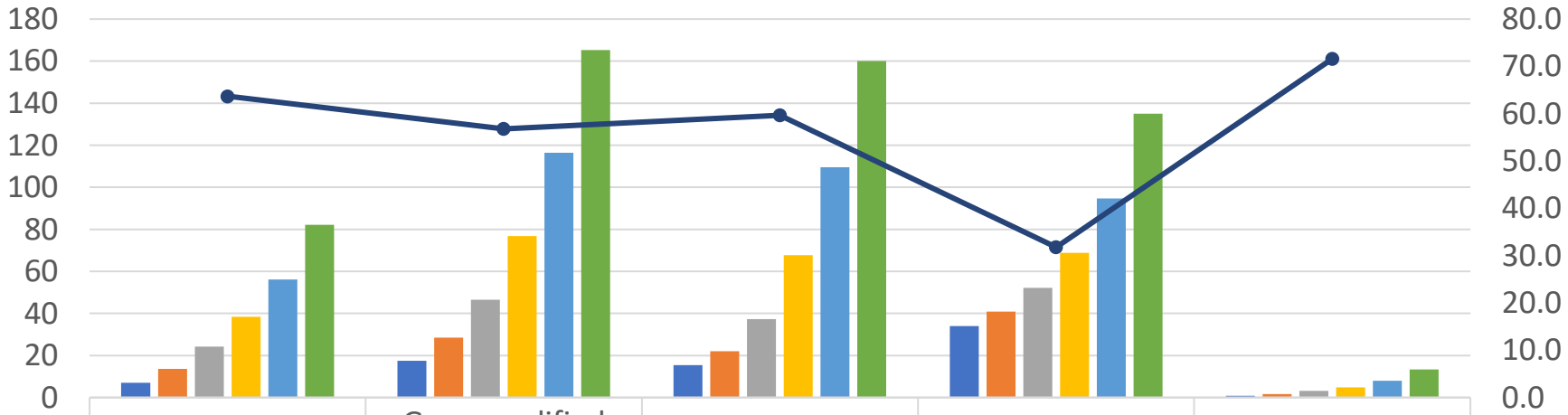
(단위: 억 달러)

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

치료제 유형별 시장 규모

2026년에는 유전자 변형 세포치료제의 시장규모가 165.3억 달러(한화 2조3,540억 원)로 가장 클 것으로 예상됨

(단위: 억 달러) (단위: %)



	Cell	Gene modified Cell	Gene	RNA	Oncolytic virus
2021	6.99	17.424	15.397	33.984	0.895
2022	13.609	28.546	22.058	40.866	1.611
2023	24.234	46.48	37.294	52.137	3.103
2024	38.386	76.737	67.684	68.869	4.832
2025	56.095	116.48	109.581	94.734	8.004
2026	82.178	165.31	160.074	135.019	13.306
CAGR	63.7	56.8	59.7	31.8	71.6

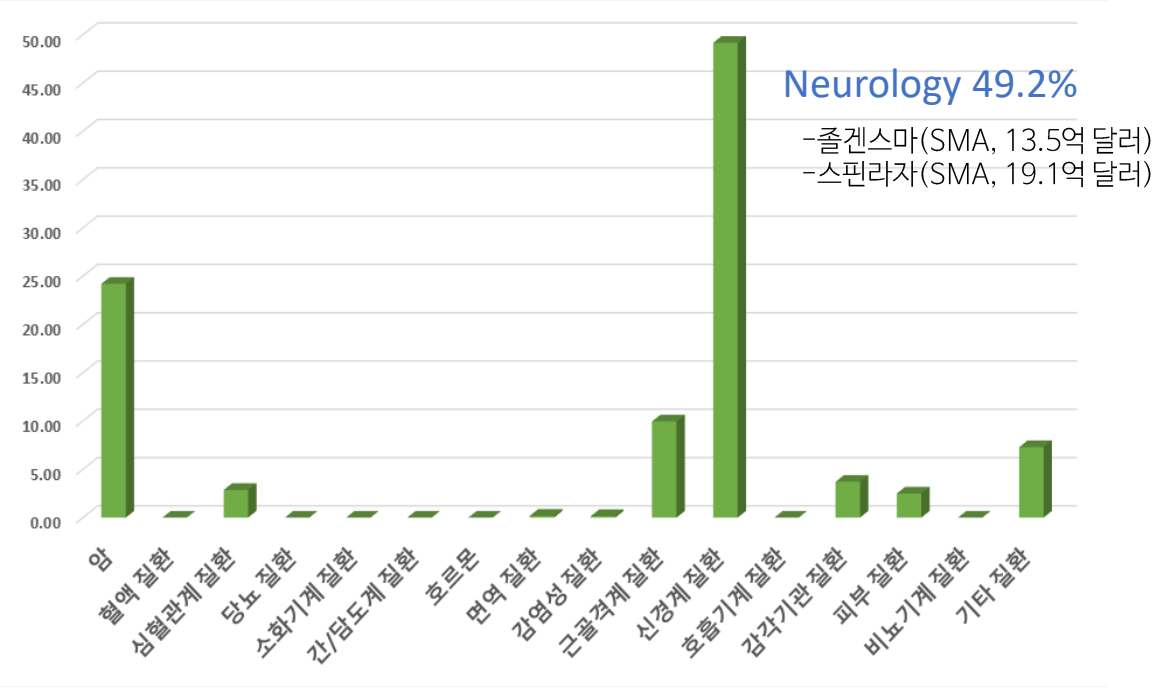
※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

적응증별 매출액 점유율 비교('21 vs '26)

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

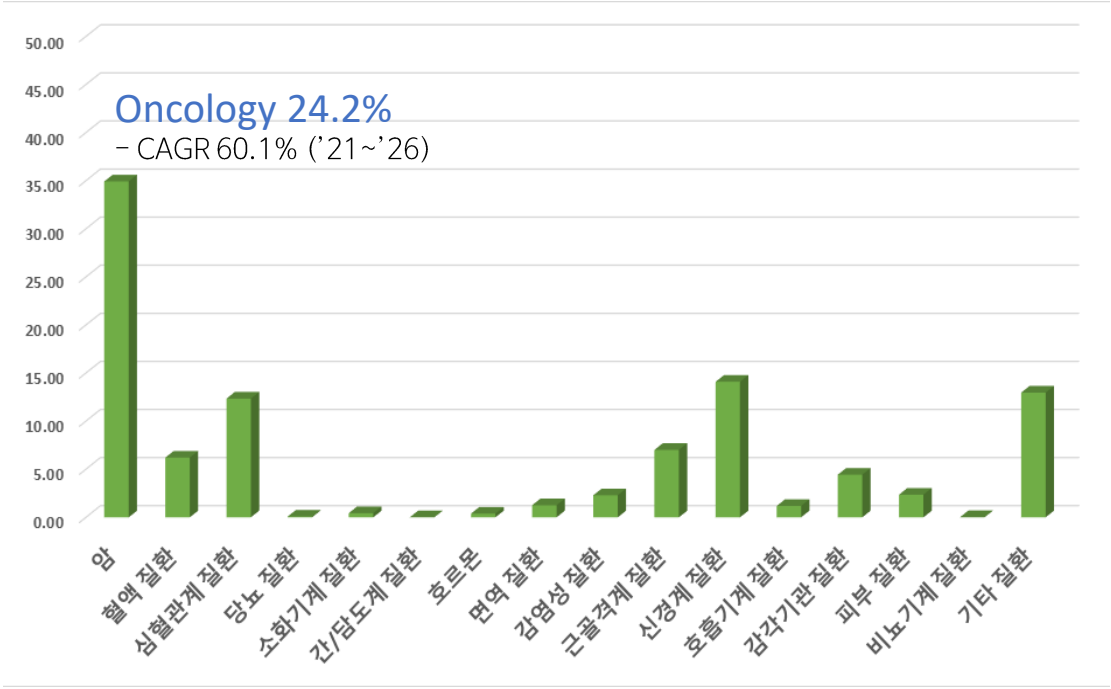
2026년에는 신경계질환 연구가 크게 감소하고 항암제 분야가 가장 큰 시장을 형성하면서, 다양한 적응증으로 개발되는 추세

〈2021년 매출액 점유율〉



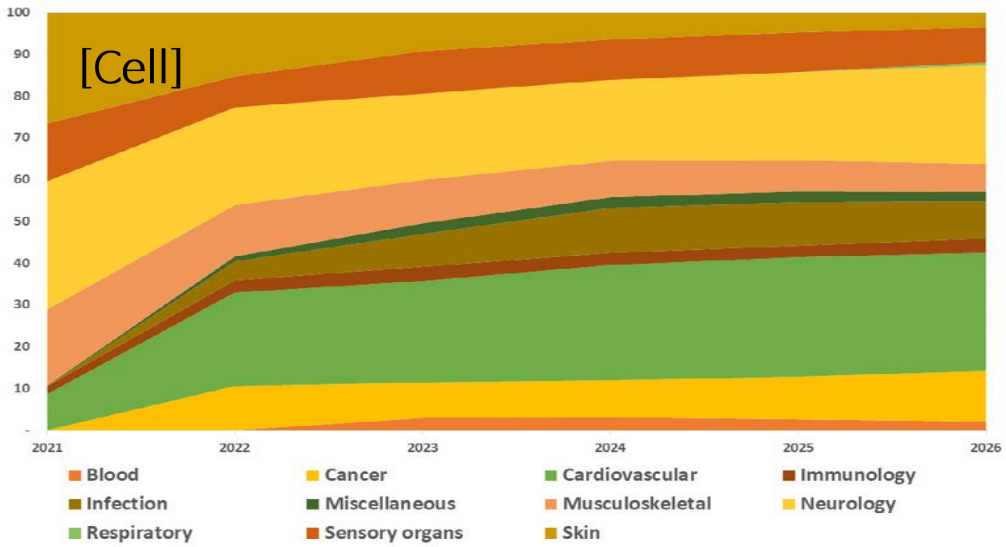
〈2026년 매출액 점유율〉

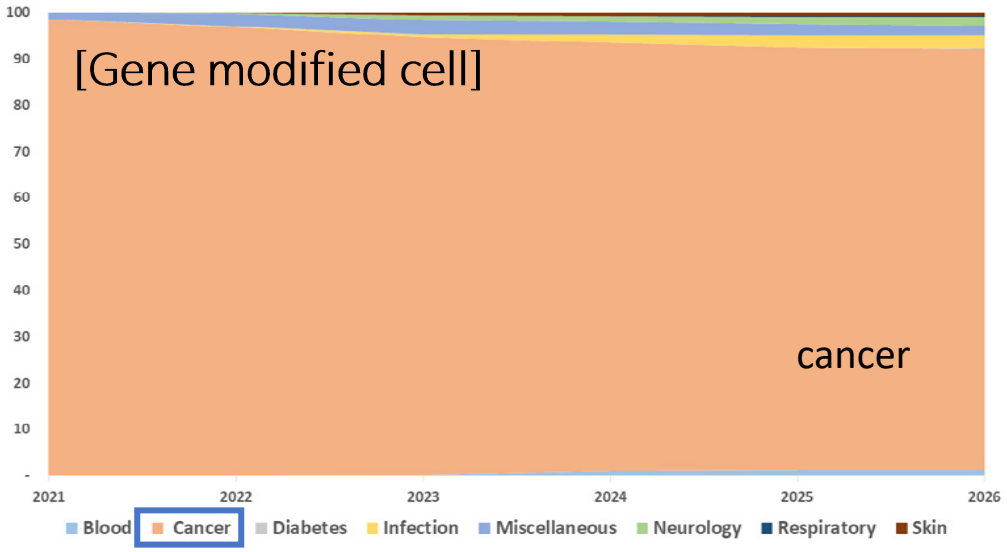
(단위: %)

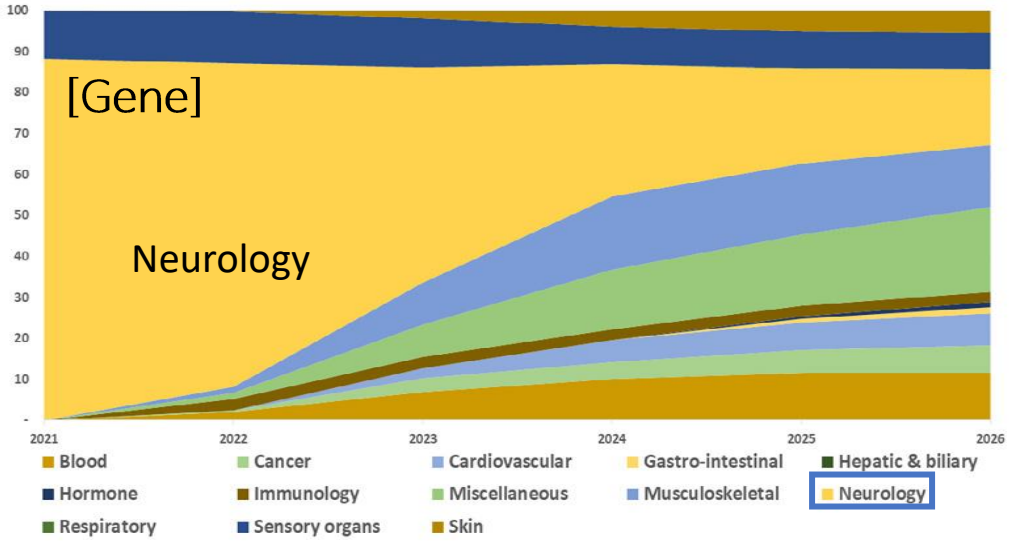


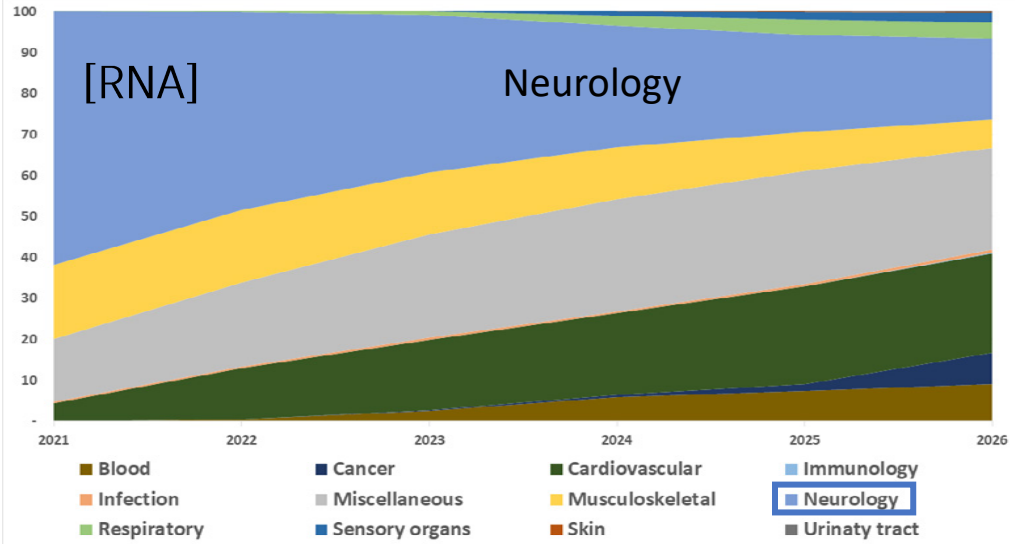
※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

치료제별 매출액 점유율 변화('21~'26)









※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

글로벌 유전자치료제 허가내역

FDA BLA에서는 총 10개의 유전자치료제 승인(유전자변형 세포치료제 6개, 유전자변형 항암바이러스 1개, 유전자치료제 3개)

연번	승인년도	제품명	개발기업	적응증	Target·Modality	가격
1	2015	임리직(IMLYGIC)	Amgen	악성흑색종	유전자재조합 항암바이러스 (HSV-1)	$65,000
2	2017	킴리아(KYMRIAH)	Novartis	불응성 B세포 림프종	CD19 target CAR-T	$475,000
3	2017	예스카르타(YESCARTA)	Kite Pharma(Gilead 인수)	재발성 또는 불응성 거대 B세포 림프종	CD19 target CAR-T	$373,000
4	2017	럭스터나(LUXTURNA)	Spark Therapeutics	희귀 유전성 망막질환	Adeno-associated viruses (AAV)	$850,000
5	2019	졸겐스마(ZOLGENSMA)	Novartis	척수성 근위축증(SMA)	Adeno-associated viruses (AAV)	$2,125,000
6	2020	테카터스(TECARTUS)	Kite Pharma(Gilead 인수)	외투세포림프종(MCL)	CD19 target CAR-T	$373,000
7	2021	아베크마(ABECMA)	BMS, 2Seventy bio	다발성골수종(MM)	BCMA target CAR-T	$419,500
8	2021	브레얀지(BREYANZI)	BMS	재발성 또는 불응성 거대 B세포 림프종	CD19 target CAR-T	$410,000
9	2022	카빅티(CARVYKTI)	J&J, Legend Biotech	다발성골수종(MM)	BCMA target CAR-T	$489,655
10	2022	진테글로(ZYNTEGLO)	Bluebird Bio	수혈 의존성 베타 지중해빈혈	Lentivirus	$2,800,000

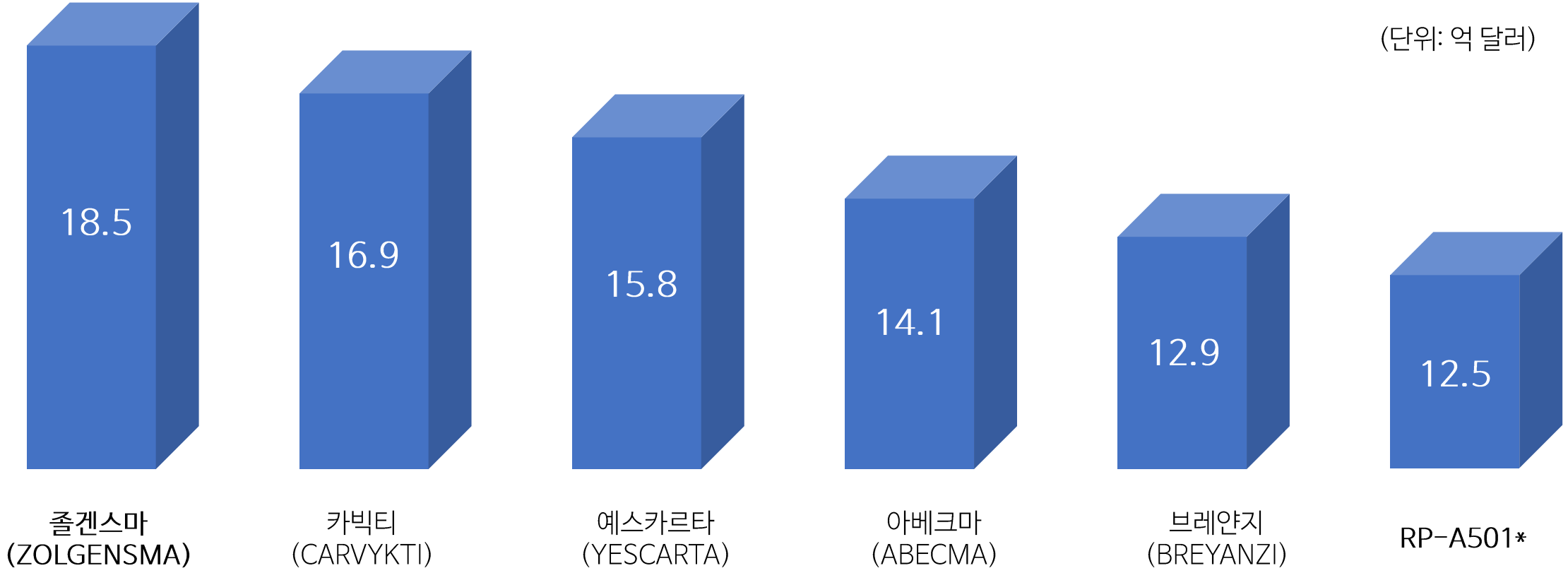
※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

[참고] 블록버스터 유전자치료제(2026년 기준, evaluate 예측)

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

☑ 졸겐스마가 지속적으로 높은 매출액을 달성할 것으로 보임(18.5억 달러, 한화 약2조6307억원)

(단위: 억 달러)



※캘리포니아대학교(Univ. of California)로부터 도입한 심근질환 일종인 다논병 치료제 후보물질(Phase I)

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

국내 유전자치료제 허가내역(~'21)

국내 허가 세포치료제는 15건으로 모두 국내 제조 의약품이며, 허가 유전자 치료제 3건은 모두 수입 의약품

연번	제조/수입	제품명	성분명	업체명	허가일자	효능효과
1	제조	콘드론	알엠에스 자가연골 유래연골세포	셀론텍㈜	2001.01.	무릎 관절의 부분적 연골결손 환자의 치료
2	제조	홀로덤	자기유래피부각질세포	테고사이언스 ㈜	2002.12.	심한 이도화상, 삼도화상 치료
3	제조	칼로덤	사람유래 피부각질세포	테고사이언스 ㈜	2005.03.	1.심부이도화상의 재상피화 촉진 2.혈액공급이 원활하고 감염증 소견이 없는 당뇨성 족부 궤양의 상처 치유 촉진
4	제조	케라힐	바솔자가피부유 래각질세포	㈜바이오솔루션	2006.05.	이도화상, 삼도화상 치료
5	제조	이뮨셀엘씨주	엘씨자가혈액유 래티림프구	주식회사 지씨셀	2007.08.	간세포암 제거술 후 종양제거가 확인된 환자 에서 보조요법
6	제조	알엠에스 오스론	알엠에스자가 골수유래뼈세포	셀론텍㈜	2009.08.	국소 골형성 촉진
7	제조	퀸셀	자가지방조직 유래 최소조작 지방세포	㈜안트로젠	2010.03.	피하지방결손부위의 개선
8	제조	큐어스킨주	자가유래피부 섬유아세포	㈜에스바이오 메딕스	2010.05.	여드름의 치유과정에서 수반 된 함몰된 흉터부위의 개선
10	제조	카티스템	동종제대혈유래 중간엽줄기세포	메디포스트㈜	2012.01.	퇴행성 또는 반복적 외상으로 인한 골관절염 환자(ICRS grade IV)의 무릎 연골결손 치료
11	제조	큐피스템주	자가지방유래 중간엽줄기세포	㈜안트로젠	2012.01.	크론병으로 인한 누공 치료
12	제조	뉴로나타-알주	자가골수유래 중간엽줄기세포	코아스템㈜	2014.07.	리루졸과 병용하여 근위축성 측삭경화증의 질환 진행속도 완화
13	제조	제조 케라힐-알로	바솔동종피부 유래각질세포	㈜바이오 솔루션	2015.10.	심부 2도 화상의 재상피화 촉진
14	제조	로스미르	테고자가피부유 래섬유아세포	테고사이언스 ㈜	2017.12.	중등도 이상의 비협골 고랑의 개선
15	제조	카티라이프	바솔자가연골 유래연골세포	㈜바이오 솔루션	2019.04.	무릎 연골결손 (ICRS grade III 또는 IV, 결손면적 2 내지 10 cm2)의 치료
16	수입	킴리아주	티사젠렉류셀	한국노바티스㈜	2021.03.	불응성 B세포 림프종
17	수입	졸겐스마주	오나셈노진 아베파르보벡	한국노바티스㈜	2021.05	척수성 근위축증(SMA)
18	수입	럭스터나주	보레티진 네파보벡	한국노바티스㈜	2021.09	희귀 유전성 망막질환

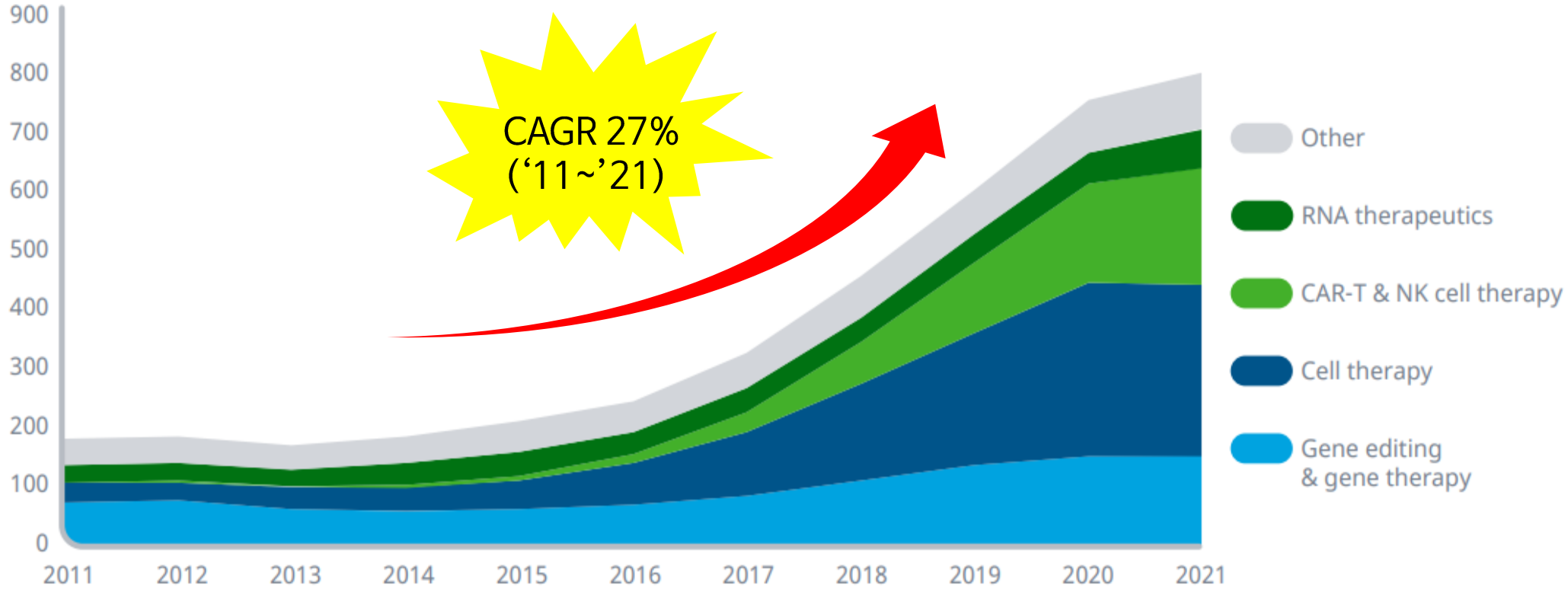
※ 출처: 식품의약품안전처

유전자치료제 파이프라인('11~'21)

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

- 차세대 바이오치료제 파이프라인(임상1상~품목허가 전)은 2016년 이후 CAGR이 27%로 최근 크게 성장하였으며 세포 치료제가 그중 큰 비중을 차지

(단위: 개)



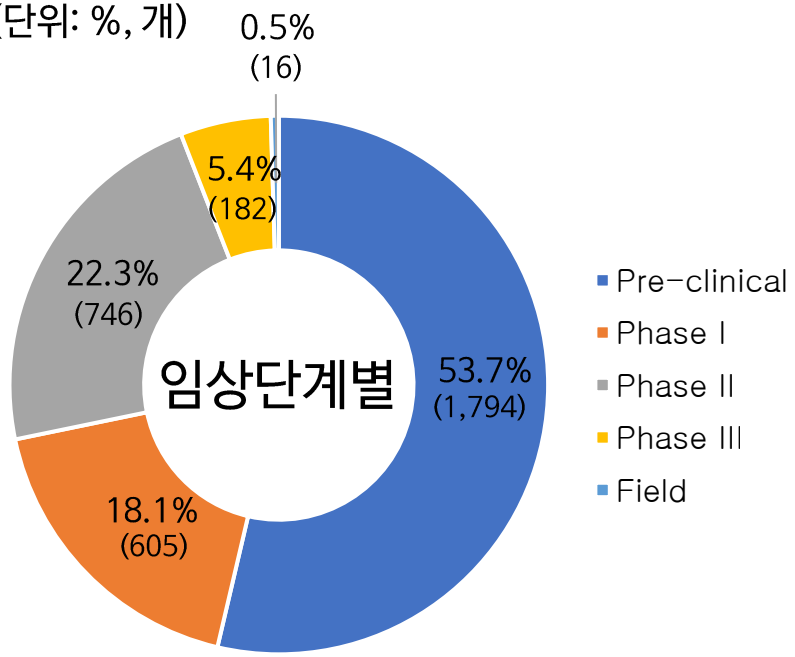
※ 출처: IQVIA Pipeline Intelligence, Dec 2021; IQVIA Institute, Jan 2022.

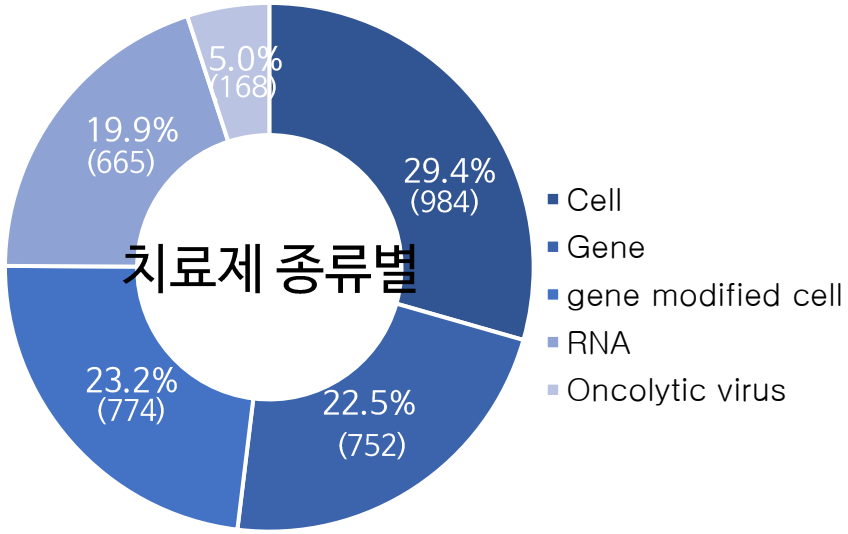
유전자치료제 파이프라인 현황('22.02.)

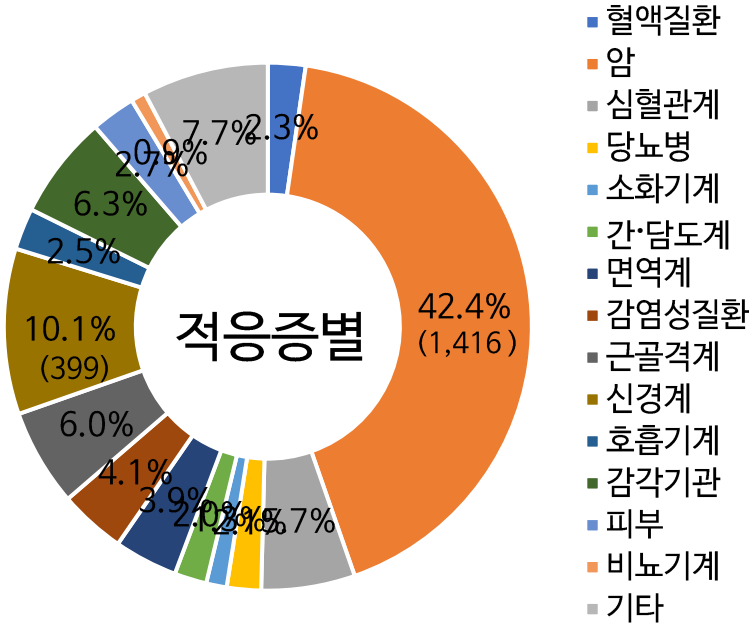
KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

- 2022년 2월 기준 글로벌 세포·유전자치료제 파이프라인은 3,343개이며, 치료제 종류별로는 세포치료제(29.4%), 적응증 별로는 암(42.4%)이 가장 많음

(단위: %, 개)







※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

연구단계별 파이프라인

구분	Pre-clinical	Phase I	Phase II	Phase IIII	Field	총합계
Cell	498	163	257	62	4	984
Gene	469	58	178	40	7	752
Gene modified cell	365	255	130	21	3	774
RNA	379	92	149	43	2	665
Oncolytic virus	83	37	32	16		168
계	1,794	605	746	182	16	3,343

(단위: %, 개)

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

적응증별 파이프라인

구분	혈액질환	암	심혈관계	당뇨병	소화기계	간·담도계	면역계감염성질환	근골격계	신경계	호흡기계	감각기관	피부	비뇨기계	기타	총합계
Cell	20	292	98	54	17	27	64	52	87	112	27	40	47	9	38	984
Gene	42	87	46	9	5	10	33	4	47	131	20	133	19	4	162	752
Gene modified cell	2	699	2	2	1		12	20	7	3	2	2	9	1	12	774
RNA	13	170	46	5	19	29	21	60	58	93	36	37	16	16	46	665
Oncolytic virus		168														168
계	35	1,329	146	61	37	56	97	132	152	208	65	79	72	26	96	3,343

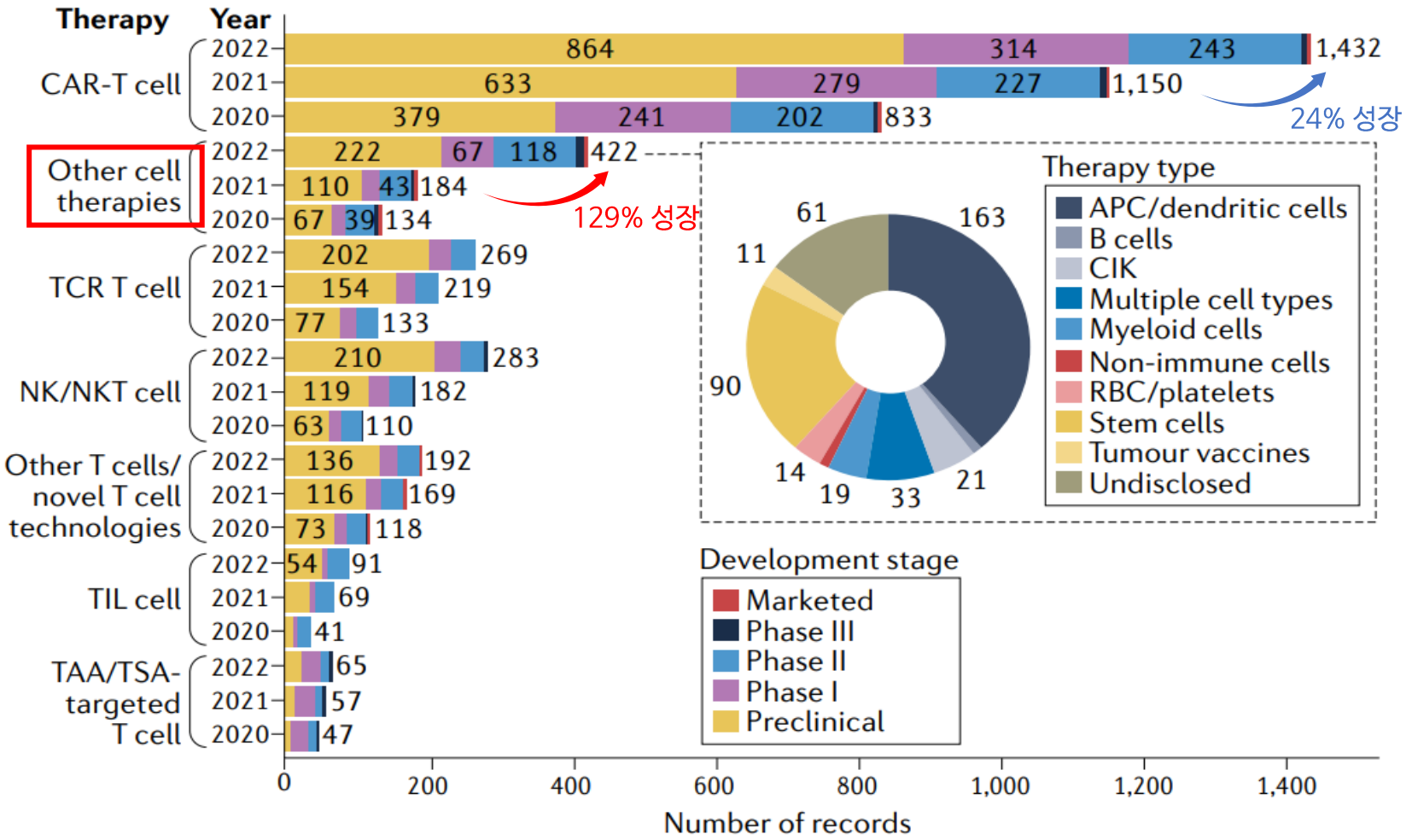
(단위: %, 개)

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

암세포 치료 파이프라인('20~'22)

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

- CAR-T cell은 지속적으로 세포치료제 파이프라인을 주도하고 있으며, Other cell therapies는 2021년 대비 129% 증가하여 가장 빠르게 증가



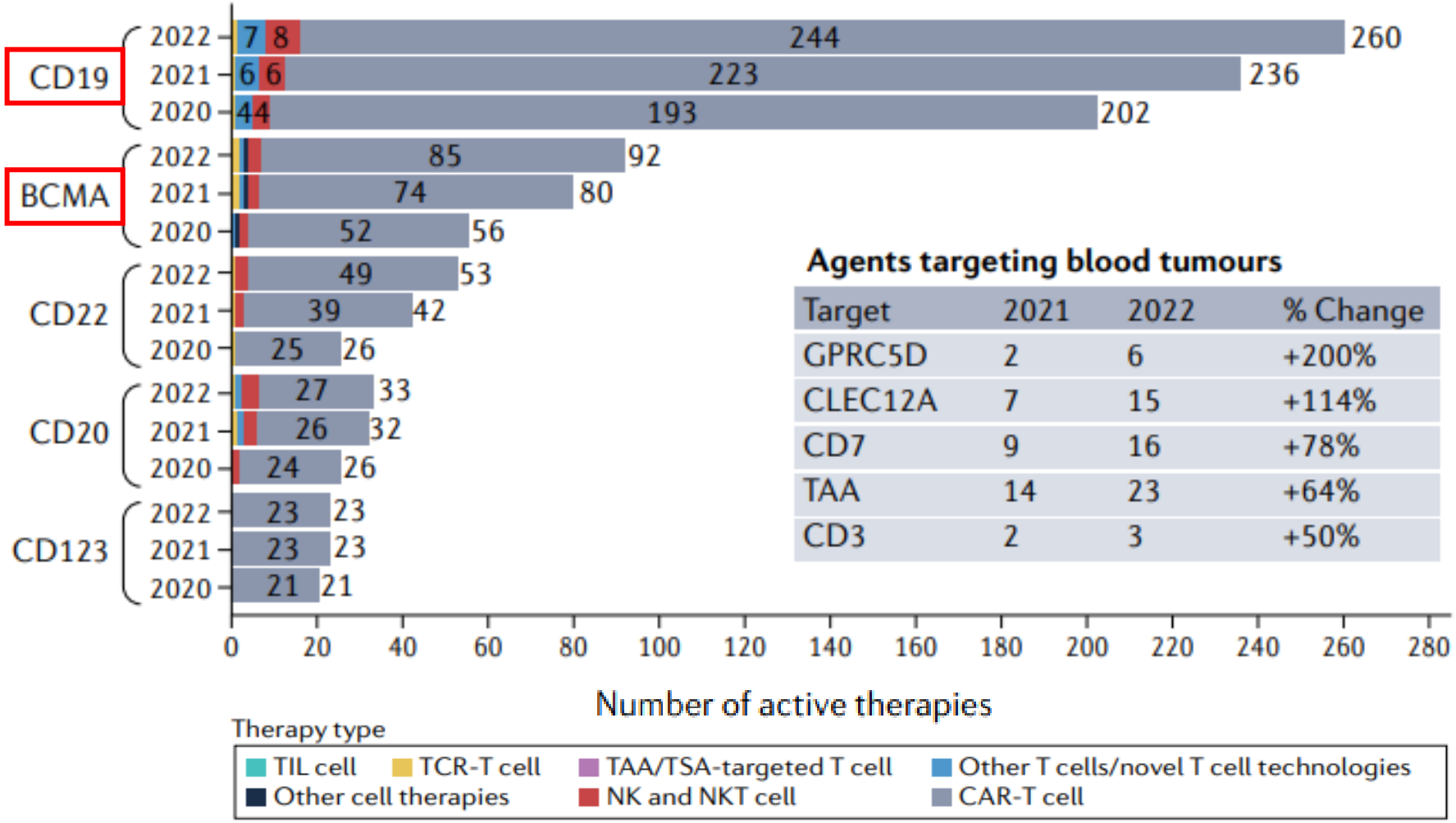
※ 출처: Landscape of cancer cell therapies: trends and real-world data

혈액암 표적 단백질

✅ CAR-T cell 치료법에서 가장 흔한 표적단백질인 CD19, BCMA 및 CD22의 사용빈도는 완만하게 증가

FDA 승인 CAR-T 치료제 6개 중 4개가 CD19 타깃

FDA 승인 CAR-T 치료제 6개 중 2개가 BCMA 타깃



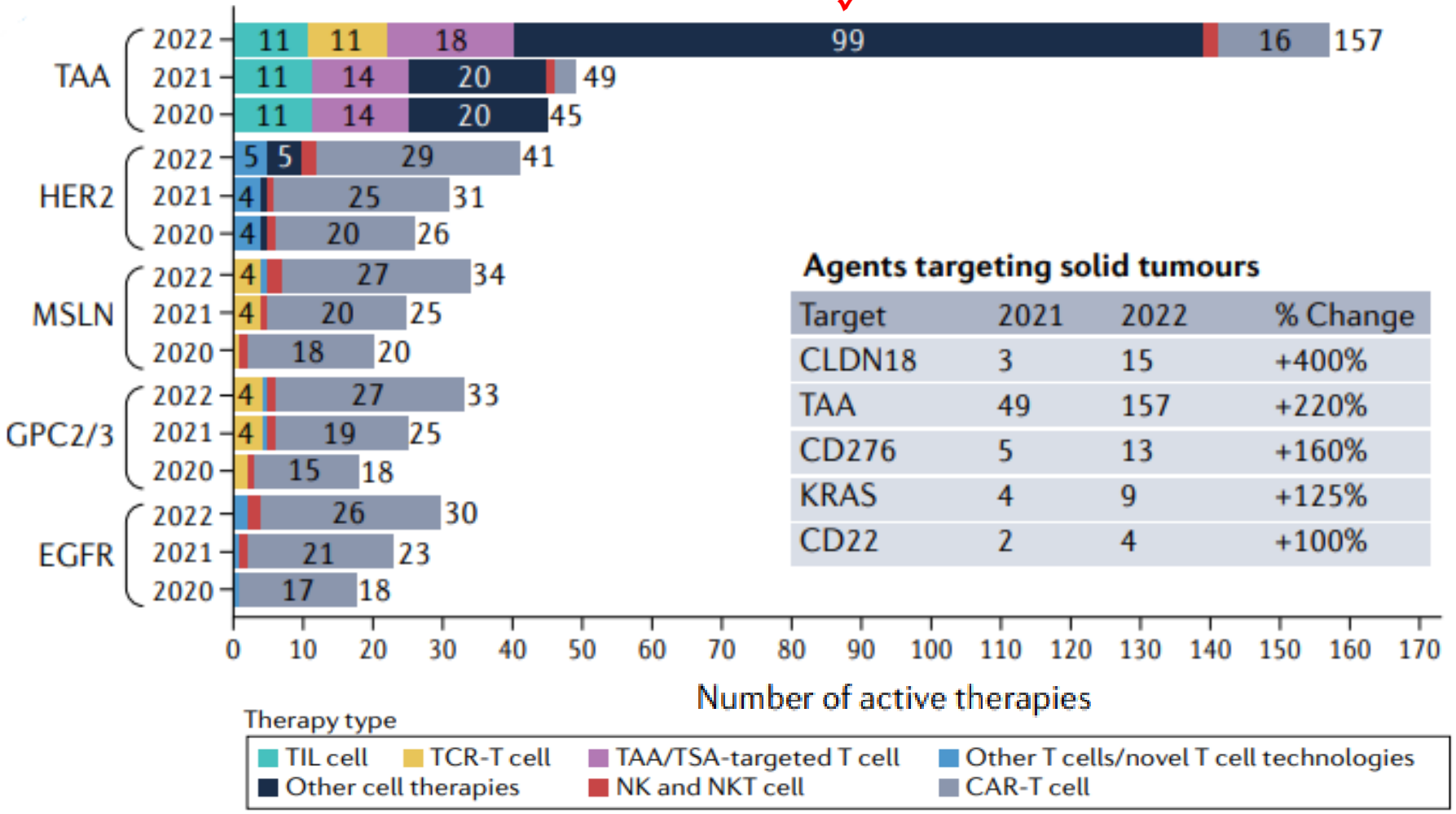
Agents targeting blood tumours

Target	2021	2022	% Change
GPRC5D	2	6	+200%
CLEC12A	7	15	+114%
CD7	9	16	+78%
TAA	14	23	+64%
CD3	2	3	+50%

※ 출처: Landscape of cancer cell therapies: trends and real-world data

고형암 표적 단백질

고형암에서 TAA(Tumour-Associated Antigen)를 표적으로 하는 Other cell therapies가 크게 증가



Agents targeting solid tumours

Target	2021	2022	% Change
CLDN18	3	15	+400%
TAA	49	157	+220%
CD276	5	13	+160%
KRAS	4	9	+125%
CD22	2	4	+100%

※ 출처: Landscape of cancer cell therapies: trends and real-world data

제출 단계 파이프라인 내역

유형	후보물질	기관명	원천 기술 개발 기관	적응증
Cell	Tab-cel	Memorial Sloan-Kettering Cancer Center, Atara Biotherapeutics, Pierre Fabre	Memorial SloanKettering Cancer	EBV+PTLD
	Megreen	China Regenerative Medicine Internationa	China Regenerative Medicine International	소화기계질환
Gene	Valoctocogene Roxaparvovec	BioMarin Pharmaceutical, St. Jude Children's Research Hospital	St. Jude Children's Research Hospital	혈우병
	Lumevoq	GenSight Biologics	GenSight Biologics	암
	Adstiladrin	Ferring Pharmaceuticals, FKD Therapies, Merck	Biogen	희귀 유전성 안질환
Gene modified Cell	LCAR-B38M / JNJ-4528	Legend Biotech	Legend Biotech	암
	Carvykti	Legend Biotech, Johnson & Johnson	Genscript Biotech	암
RNA	Vutrisiran	Alnylam Pharmaceuticals, Sanof	Alnylam Pharmaceuticals	ATTR 아밀로이드증

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

[참고] 세포·유전자치료제 유형별 파이프라인 보유 상위 기업

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

- 유형별 전체 파이프라인 보유 상위 3개 기업을 살펴보면 바이오 기업이 대다수를 차지하며 BMS, 노바티스 등 글로벌 제약기업들의 경우, 상당수 파이프라인은 외부 도입을 통해 확보

연번	Cell	Gene modified cell	Gene	RNA	Oncolytic virus
1	CHA Biotech(13개)	BMS(17개)	Bayer(21개)	Ionis Pharmaceuticals (54개)	CZ BioMed(9개)
2	Lineage Cell Therapeutics(12개)	Tmunitty Therapeutics(15개)	Généthon(18개)	Alnylam Pharmaceutical(16개)	Targovax(6개)
3	ImmunityBio(11개)	Novartis(14개)	Sarepta Therapeutics(18개)	Novo Nordisk(15개)	Calidi Biotherapeutics(6개)

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

[참고] 글로벌 제약기업 세포유전자치료제 파이프라인 현황 및 확보 유형

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

☑ 글로벌 제약기업들은 기술도입, M&A 등 외부 도입을 통한 파이프라인 확보 비율(평균 78.0%)이 높음

유형	기업	파이프라인수		대상 기관
Cell	Astellas Pharma	7	기술 도입(2)	RIKEN
			M&A(5)	Ocata Therapeutics, International Stem Cell Services
	Sanofi	5	M&A(5)	Kiadis Pharma, CytoSen Therapeutics
	Takeda	4	원천기술(1)	
			기술 도입(1)	The University of Texas MD Anderson Cancer
			M&A(2)	Cellerix, BaxterInternational
Gene modified cell	BMS	17	원천기술(2)	
			기술 도입(1)	Immatics
			M&A(14)	Juno Therapeutics, Bluebird bio, JW Therapeutics 등
	Novartis	14	원천기술(9)	
			기술 도입(4)	The University of Pennsylvania
			M&A(1)	Endocyte
	Takeda	9	원천기술(2)	
			기술 도입(5)	Noile-Immune Biotech, The University of Texas MD Anderson Cancer, Kyoto University 등
			M&A(2)	Maverick Therapeutics

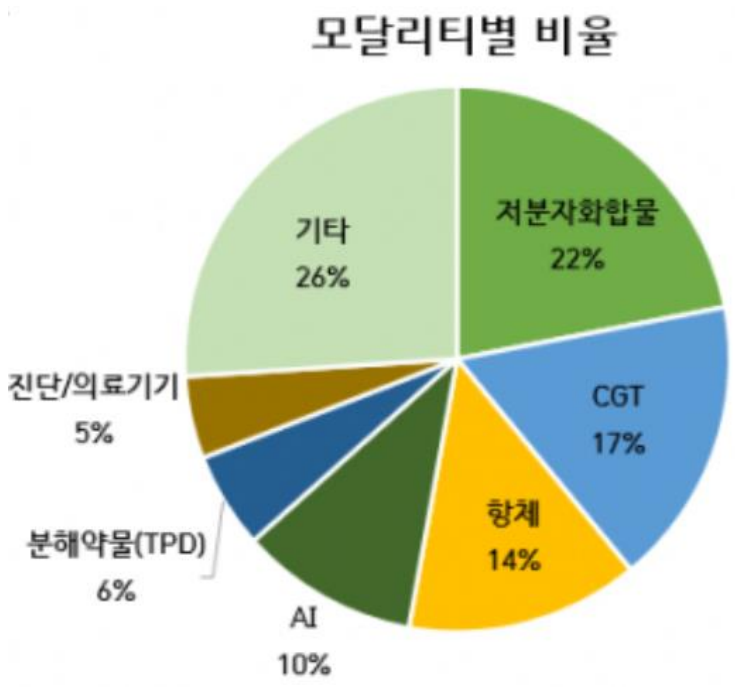
유형	기업	파이프라인수		대상 기관
RNA	AstraZeneca	14	원천기술(2)	
			기술 도입(7)	Ionis Pharmaceuticals
			M&A(4)	Dicerna Pharmaceuticals
			조인트벤처(1)	Moderna
Gene	Bayer	21	원천기술(10)	
			기술 도입(1)	Dimension Therapeutics
			M&A(8)	Asklepios BioPharmaceutical, Brain Neurotherapy Bio, Collateral Therapeutics, BrainVectis
			조인트벤처(2)	Broad Institute, CRISPR Therapeutics
	Roche	12	기술 도입(2)	4D Molecular Therapeutics, Nationwide Children's Hospital
			M&A(10)	Spark Therapeutics, Généthon
	Takeda	10	원천기술(2)	
			기술 도입(7)	Carmine Therapeutics, Codexis, LogicBio Therapeutics, StrideBio
			M&A(1)	Shire
Oncolytic virus	Merk	2	기술 도입(1)	Novartis
			M&A(1)	AViralytics
	Astellas Pharma	2	기술 도입(2)	Tottori University, KaliVirImmunotherapeutics
	BMS	2	기술 도입(2)	Hybrid Biosystems, PsiOxus Therapeutics

※ 출처: 김용민·박인용(2022), 글로벌 세포·유전자치료제 시장 전망 및 오픈 이노베이션 동향, KHIDI 보건산업브리프, 제352호.

2022년 상반기 글로벌 Deal 현황

- 올해 상반기에는 전체 123건의 글로벌 딜 중 21건이 CGT 관련으로, 글로벌 제약회사들의 새로운 기술과 모달리티에 대한 관심을 보여줌

모달리티	개수
저분자화합물	27
CGT	21
항체	17
AI	13
분해약물(TPD)	7
진단/의료기기	6
기타	32
총계	123



※ 출처: 바이오스펙테이터, 2022 상반기, 글로벌딜 123건으로 본 8가지 시각

2022년 상반기 세포치료제 Deal

5. 유전자치료제 Deal

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

날짜	구분	기업(인수)	기업(피인수)	총 규모(달러)	계약금(달러)	마일스톤(달러)	치료법(Modality) 및 타깃	적응증
0103	파트너십	키베르나 (Kyverna Therapeutics)	미국 국립보건원(NIH)	-	-	-	CD19 CAR-T, 동종 및 자가유래	자가면역질환
0105	파트너십	키베르나 (Kyveran Therapeutics)	인텔리아 (Intellia Therapeucs)	-	-	-	CD19 CAR-T, ex vivo CRISPR/Cas9 동종유래 플랫폼	B세포 유래 자가면역질환
0110	파트너십	BMS(Bristol Myers Squibb)	센추리 테라퓨틱스 (Century Therapeutics)	31억5000만	1억+5000만(지분투자)	30억	iPSC 기반 동종유래 세포치료제	암
0110	파트너십	모더나(Moderna)	카리스마 테라퓨틱스 (Carisma Therapeutics)	-	4500만+3500만 (CB)	-	in vivo CAR-M(monocyte)	
0126	인수	후지필름(Fujifilm)	아타라 (Atara BioTherapeutics)	-	-	-	세포치료제 생산시설	-
0215	파트너십	ONK 테라퓨틱스 (ONK Therapeutics)	인텔리아 (Intellia Therapeutics)	9억2000만	-	프로그램당 1억 8400만*5개	ex vivo CRISPR/Cas9 기반 동종유래 NK세포치료제	암
0221	파트너십	바이오엔텍(BioNTech)	메디진(Medigene)	-	2600만유로(연구지원금 포함)	-	TCR 기반 세포치료제	고형암
0411	파트너십	머크(MSD)	아티바 바이오테라퓨틱스 (Artiva Biotherapeutics)	-	-	-	ADCC 인핸서(enhancer) NK 세포치료제 'AB-101' 공급	-
0602	파트너십	BMS(Bristol Myers Squibb)	이매틱스(Immatics)	14억6000만	6000만	프로그램당 7억*2	감마델타(γδ) T세포 기반 동종유래 TCR-T/CAR-T	고형암
0607	파트너십	이매틱스(Immatics)	에디타스(Editas Medicine)	-	-	-	CRISPR 기술+동종유래 감마델타(γδ) T세포 치료제	암
0621	인수	갈라파고스(Galapagos)	어바운드바이오(AboundBio)	1400만달러	-	-	scFv, VH 등 항체기술을 CAR-T에 접목	암, 감염질환 등
0621	인수	갈라파고스(Galapagos)	셀포인트(CellPoint)	2억2500만유로	1억2500만유로	1억유로	현장(point-of-care) 기반 자가유래 CAR-T	암

※ 상반기 인수 규모 top5 deal

※ 출처: 바이오스펙테이터, 2022 상반기, 글로벌딜 123건으로 본 8가지 시각

2022년 상반기 유전자치료제 Deal

※ 비바이러스성 전달체 딜

날짜	구분	기업(인수)	기업(피인수)	총 규모(달러)	계약금(달러)	마일스톤(달러)	치료법(Modality) 및 타깃	적응증
0106	파트너십	일라이릴리(Eli Lilly)	엔토스 (Entos Pharmaceuticals)	4억5000만	5000만(지분투자 포함)	4억	핵산전달기술 '퓨소제닉스(Fusogenix)'	중추/말초신경계
0201	파트너십	사렙타 (Sarepta Therapeutics)	진에딧(GenEdit)	-	-	-	폴리머나노파티클(PNP) 전달체 기술	신경근육질환
0222	파트너십	다케다(Takeda)	코드(Code BioTherapeutics)	20억	-	-	합성DNA 벡터기반 유전자치료제	간질환, 중추신경질환
0308	파트너십	노바티스(Novartis)	보이저 (Voyager Therapeutics)	16억5250만	5400만	15억+옵션	BBB 투과 가능 AAV 캡시드	중추신경질환
0406	파트너십	리제네론(Regeneron)	비제네론(ViGeneron)	-	-	-	재조합 AAV 플랫폼, 낮은 약물효능 및 전달력 개선	유전성 안구질환
0110	파트너십	바이엘(Bayer)	맘모스(Mammoth Biosciences)	10억4000만	4000만	10억	✓ 초소형 in vivo CRISPR 플랫폼	간질환
0110	파트너십	화이자(Pfizer)	빔(Beam Therapeutics)	-	-	-	✓ in vivo 염기편집(base editing)	희귀유전질환
0203	인수	인테리아 (Intellia Therapeutics)	리라이트 (Rewrite Therapeutics)	2억	4500만	1억5500만	이중가닥절단(DSB) 없이 타깃서열 바꾸는 CRISPR 매개 DNA 중합효소 기반 유전자편집	-
0621	파트너십	노바티스(Novartis)	프리시전 (Precision biosciences)	14억7500만	7500만(지분투자 2000만 포함)	14억	✓ I-CreI 핵산분해효소 기반 in vivo 유전자편집	혈색소병증

※ 유전자편집기술(in vivo)

※ 출처: 바이오스펙테이터, 2022 상반기, 글로벌딜 123건으로 본 8가지 시각

1. 아비스타 → 로슈(공동개발)

로슈, 아비스타와 안질환 AAV 벡터 개발 제휴

의약뉴스 이한기 기자 | 승인 2022.07.20 08:21

유전자 치료제 개발 계획...10억 달러 이상 계약

스위스 제약기업 로슈가 미국 제약회사 아비스타 테라퓨틱스(Avista Therapeutics)와 안질환에 대한 차세대 아데노관련바이러스(AAV) 유전자 치료 벡터를 개발하기 위한 협약을 체결했다.

아비스타 테라퓨틱스는 로슈와 새로운 AAV 유전자 치료 벡터를 개발하기 위한 파트너십을 맺었다고 19일(현지시각) 발표했다.

이 파트너십은 아비스타의 단일세포 아데노관련바이러스(AAV) 엔지니어링 플랫폼(scAAVengr) 기술을 적용해 로슈가 정의한 캡시드 프로파일과 일치하는 유리체 내 AAV 캡시드를 개발하는 것을 목표로 한다.

▲ 로슈는 아비스타 테라퓨틱스와 바이러스 벡터 기술을 활용해 안질환 유전자 치료제를 개발하는데 협력하기로 했다.

제휴 조건에 따라 로슈는 새로운 캡시드를 평가하고 아비스타로부터 라이선스를 획득할 수 있는 권리를 갖게 되며 이러한 새로운 캡시드를 사용하는 유전자 치료제 프로그램에 대한 전임상, 임상, 상업화 활동을 수행할 계획이다.

- ✓ (기술이전 물질) 아데노관련바이러스 엔지니어링 플랫폼 기술
- ✓ (적응증) 안과질환
- ✓ (계약금) 계약금 750만 달러(99억원), 최대 10억 달러(1조3162억원)

2. 포세이다 테라퓨틱스 → 로슈(기술이전)

로슈, 美 포세이다 테라퓨틱스와 CAR-T 치료제 개발 관련 협력 계약 체결

로슈는 지난 3일(현지시간) 미국 생명공학기업 포세이다 테라퓨틱스(Poseida Therapeutics)와 CAR-T 세포 치료제 개발 관련 전략적 글로벌 협력 계약을 체결, 카트 치료제 시장 진출을 공식 선언했다.

이번 계약은 기존의 CAR-T 치료제를 기반으로 다발성 골수종, B세포 림프종 등의 혈액암을 표적하는 새로운 요법 개발에 중점을 두고 있다. 계약에 따라 로슈는 포세이다의 'P-BCMA-ALLO1'를 비롯한 다양한 CAR-T 치료제 파이프라인을 개발할 수 있는 권한을 확보했다. 포세이다는 로슈측에서 1억 1000만 달러를 선불로 지급받게 되며, 향후 수년간 성과에 따라 최대 1억 1000만 달러, 장기간의 성과에 따라 최대 60억 달러(한화 약 7조 8300억 원)를 받을 수 있다.

계약 내용을 보면, 결코 만만한 금액이 아니다. 이는 포세이다의 파이프라인이 그만큼 가치가 있다는 것으로 풀이된다. 경쟁기업들이 로슈의 이번 행보에 바짝 긴장하는 이유다.

현재 포세이다는 CAR-T 치료제 후보물질들에 대한 초기 연구 단계를 진행하고 있다. 계약의 일환으로 포세이다는 추가 개발 및 상업화를 위한 임상 1상 연구를 수행하고 로슈는 이후 모든 후보물질들의 후기 임상 개발 및 글로벌 상업화를 단독으로 책임진다.

이날 마크 게르겐(Mark Gergen) 포세이다 최고경영자는 "세계 최대 제약사 중 하나인 로슈와 파트너십을 맺고 협력하게 된 것에 대해 기쁘게 생각한다"며 "로슈와 협력을 통해 유의미한 결과를 도출하기 위해 노력할 것"이라고 말했다.

업계 전문가들은 로슈가 CAR-T 치료제 개발에 뒤늦게 합류한 것과 관련, 환자 접근성이 떨어지는 CAR-T 치료제의 고질적인 문제가 로슈를 주저하게 만들었다고 지적했다.

현재 가장 많이 쓰이는 CAR-T 치료제인 '예스카타'와 '킴리아'의 경우 환자에게서 세포를 추출해 제조하는데 약 3주가 소요되며 생산 과정에도 많은 자금이 투입된다. 약가 또한 초고가로 책정돼 환자 접근성이 떨어지고 이 때문에 기대와 달리, 판매량과 매출도 많지 않다.

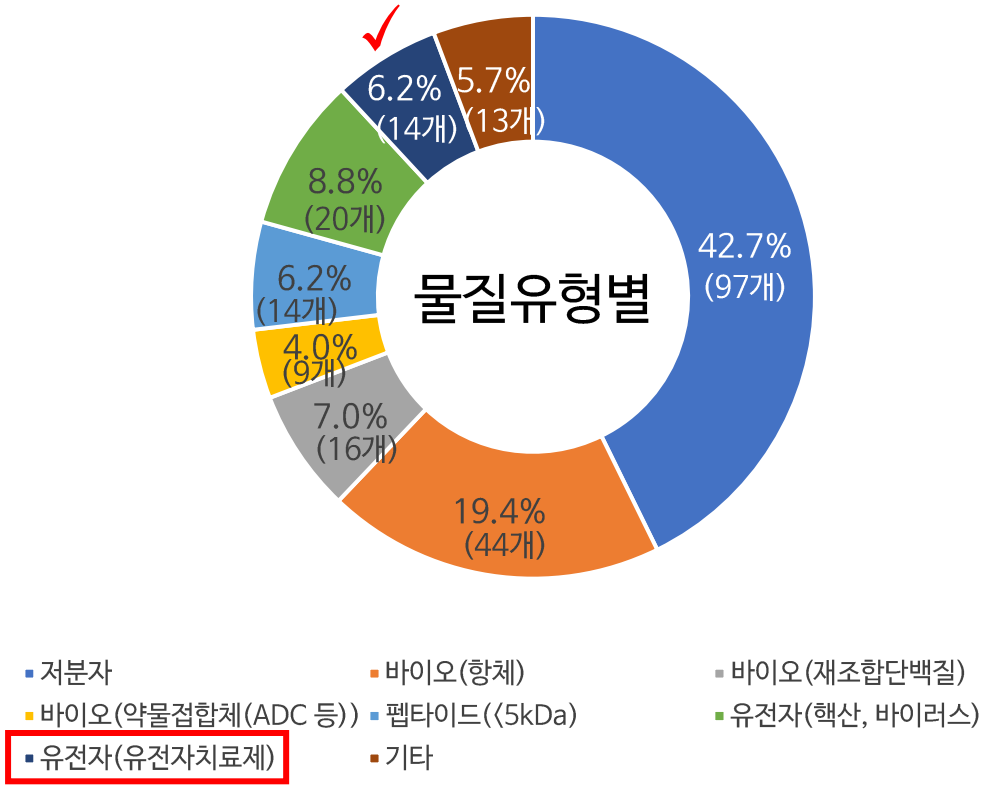
로슈와 포세이다 측은 환자 접근성을 더 높이기 위해 자가유래 세포가 아닌 동종유래 세포를 기반으로 차세대 CAR-T 치료제를 개발한다는 방침이다.

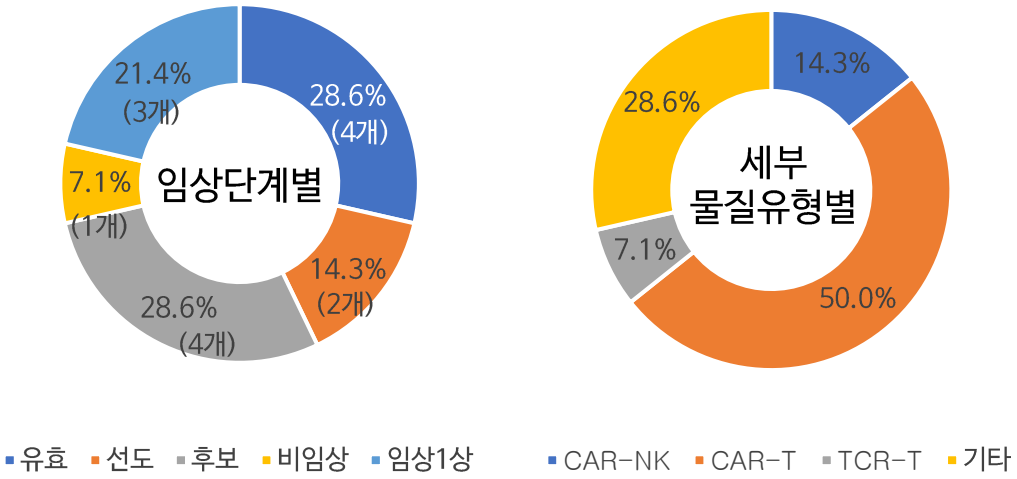
- ✓ (기술이전 물질) P-BCMA-ALLO1(다발성 골수종), P-CD19CD20-ALLO1(B세포 림프종)
- ✓ (계약금) 계약금 1억1000만달러(1443억원), 최대 60억 달러(7조8976억원)

6. 사업단 협약 과제

KDDF 국가신약개발사업단 Korea Drug Development Fund

- 사업단 협약 227개 과제('21~'22) 중에서 14개(6.2%) 가 유전자치료제 과제, 그 중 절반은 CAR-T 관련 연구





요약 및 결론

1. 글로벌 세포·유전자치료제 시장은 2026년에는 555.9억 달러(CAGR 49.4%)로 급격히 성장 예정
2. 질환별로는 신경계 질환이 크게 감소하고 항암제가 가장 큰 시장을 형성하면서, 다양한 적응증의 치료제가 개발되는 추세
3. CAR-T cell은 지속적으로 세포치료제 파이프라인을 주도하고 있으며, Other cell therapies는 빠르게 증가하고 있음(2021년 →2022년 129% 증가)
4. 상반기 글로벌딜 21건이 CGT 관련으로, 31억 달러 규모의 세포치료제 빅딜이 포함되며 하반기에도 CAR-T 관련 최대 60억 달러 규모의 빅딜에 체결됨

감사합니다

www.kddf.org