
첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 제2차 기본계획[안] [2026 - 2030]

2026. 7. 21.



관계부처 합동



목 차



I. 추진 배경	1p
II. 글로벌 동향 및 우리의 위치	2p
III. 비전과 전략	9p
IV. 분야별 주요 정책과제	10p
1. 환자 접근성 확대	 10p
2. 과학적 규제 합리화 및 안전관리 강화	14p
3. 기술 · 산업 경쟁력 강화	 18p
V. 기대효과	21p

I. 추진 배경

◇ 근원적 치료 중심 의료 패러다임 전환 가속화

- 기존의 증상 완화 중심 치료와 달리 **첨단재생의료**는 세포·유전자 수준에서 질환 원인을 교정하는 접근으로, **의료 패러다임 전환**을 선도
 - 개인별 특성, 유전 요인을 반영한 **맞춤형** 기술, 반복적 약물 투여를 **단회(One-and-Done)** 투여로 대체하는 **근원적 치료** 가능성을 제시
- * 척수성근위축증은 유전자 결손 등으로 전신 근육이 퇴화하는 유전질환으로, 2019년 개발된 유전자 치료제(품목명 '줄겐스마')는 치료 유전자를 삽입하여 1회 투여로 장기 생존 효과 기대
- 연구개발 단계 기술이 **임상 입증**과, **글로벌 허가** 확대를 통해 **실제 치료** 수단으로 빠르게 전환

◇ 제도 구축 이후 성과 창출 및 치료 접근성 제고 필요

- 기존 의약품, 의료기술 제도로는 대응이 어려운 **첨단재생바이오** 특성을 고려하여, **환자 치료 접근성 확보**를 위한 **별도 제도 도입**
 - * **첨단재생바이오법** 제개정 : 심의위원회 구성, 재생의료기관 지정, 첨단바이오의약품 허가관리체계 마련 등
- 현재 환자가 **이용 가능한** **첨단재생의료·첨단바이오의약품**은 **제한적인 수준**으로 국내 치료 접근성 제고 필요

◇ 우수한 역량을 바탕으로 글로벌 경쟁 심화에 대응 필요

- 우리나라는 우수한 의료 인프라, 임상 역량, 일부 유망 원천기술과 제조기반을 바탕으로 **첨단재생바이오 분야 기반·역량** 축적
- 주요국은 규제, 급여·지불, 연구개발, 제조·사업화 등 전주기적 종합 지원을 강화하고 있으며 글로벌 시장 선점·추격* **경쟁 심화**
 - * 중국의 세포유전자치료제 임상시험 승인 건수('19~'23)가 미국 추월(中:800건 초과, 美 765건 산업연)

II. 글로벌 동향 및 우리의 위치

1 글로벌 산업 · 기술 · 정책 동향

□ **(산업동향)** 세포·유전자 치료제 허가 확대 등 첨단재생바이오 기술은 연구개발 단계에서 치료·제품화 단계로 전환, 글로벌 시장 고성장 전망

○ 시장 규모는 '24년 232억 달러에서 '30년 621억 달러로 성장할 전망이며 특히 유전자치료가 가장 높은 성장률(19.1%)을 보일 전망

< 글로벌 재생의료 시장 규모 (2021-2030) >

(단위: 백만 달러)



* 기타 치료는 조직공학, 혈소판 풍부 혈장(PRP) 치료 등 포함

※ 자료: REGENERATIVE MEDICINE - A GLOBAL STRATEGIC BUSINESS REPORT, Market Glass, (2026.1.) 재생의료진흥재단 재가공

- 블록버스터급 치료제 등장, 세계 최초 유전자편집 치료제 허가 (Casgevy, '23) CAR-T 치료제 시장은 50억 달러 규모('25년)로 성장

○ 최근 주요국에서 세포·유전자치료제 허가가 급증하고 있으며, 미국이 선도하는 가운데 일본·EU도 10개 이상의 허가 실적 축적*

* 허가실적('20~'25) : 미국(20건 이상), 일본(13건), EU(11건), 국내(6건, 모두 수입품목)

□ **(기술동향)** 기술 경쟁은 개별 치료기술 확보를 넘어 플랫폼화, 제조혁신, 차세대 재생기술 중심으로 고도화

○ **(표준화)** 대량생산, 품질관리 등에 유리한 공통 기술·원료 활용 확산

- 전달체, 배양·분화 공정 등 공통 기술기반을 활용한 플랫폼기술*과 동종 세포** 기반 범용화 전략 확산

* 美 FDA, Platform Technology Designation Program – 플랫폼 데이터 활용, 후속 개발, 심사절차 제시

** 日 세계최초 동종세포 기반 iPS 세포 치료제 'AMCHEPRY' 조건부 허가('26.3)

- 다만 유전자치료의 환자별 변이 특성, 동종세포 치료의 면역학적·기술적 제약으로 개별·맞춤형 치료 접근*도 병행

* 美 FDA: 초희귀질환 대상 개별 맞춤형 치료제의 RCT 대체 승인 경로('Plausible Mechanism Framework') 도입('26.2)

○ **(제조공정)** 상용화·제품화를 위해 제조공정 확립, 품질 일관성, 대량생산 및 공정 재현성 확보가 핵심요소로 부상

* 美: Multiply Labs는 UCSF와 협력하여 로봇 기반 T세포 배양 자동화 시스템 개발

- 비용 74% 절감(10만→3만 달러), 동일 클린룸 면적에서 생산량 최대 100배 확대

- 기술별 특성 상이, 치료 기술 확보 이후 생산공정의 복잡성, 정교한 품질관리 필요성으로 전통적 의약품 대비 상용화 난이도 높음

○ **(차세대 기술)** 세포 단위를 넘어 오가노이드, 바이오프린팅 등 조직·장기 단위의 재생·복원을 지향하는 차세대 기술로 확장

- 일부 기술은 초기 임상*에 진입하는 등 성과가 나타나고 있으며, 유전자 치료·항노화 등 연구개발 영역은 지속 확대 중

* 日: 동종 iPSC 유래 망막 오가노이드 시트 이식 임상시험 실시(세계 최초, '23.12, Cell stem Cell)

* 美 Cincinnati Children's 연구팀, 설치류의 손상된 장의 전 조직층에 걸쳐 완전한 재생 유도에 성공('24.9, Cell stem Cell), GMP 기준 오가노이드 생산체계 구축 및 인체 임상시험 준비 중

② 글로벌 정책 동향

□ (규제환경) “엄격한 사전심사”에서 “유연한 허가 + 강한 사후관리”로 변화중

- 각국은 첨단재생바이오 분야 특수성을 반영한 규제 재설계·지원
 - 개발 초기부터 맞춤형 규제지원을 제공하고, 별도 가이드라인 마련 등을 통해 조기 접근성 확보
 - * 美: CGT의 복잡성·개인맞춤 특성 등 고려 ▲소규모 대상 임상시험 설계 가이드라인 마련(‘25.9)
▲cGMP 요건 완화 등 CMC 유연 적용(‘26.1) ▲질환원인치료 타겟 등 데이터 근거 시판 허가 도입(‘26.2)
 - * 日: CGT 안전성 확인 유효성 추정 단계에서 조건부 허가 제도 운영(최대 7년), 최근 2품목 조건부 허가(‘26.3)
- 치료 후 안전성 확보 위해 장기추적조사 의무화, 실사용 데이터 보고 의무 부과, 유효성 미충족 시 허가 취소 등 사후관리 강화 병행
 - * 美·日: 조건부 허가 후 안전성·유효성 문제가 확인되는 경우 허가 취소

□ (지불·급여) 불확실성 대응을 위한 혁신적 지불모델 도입

- 초기 불확실성이 큰 첨단 치료에 대해 허가 전 또는 초기 허가 단계 공적 지원을 통해 환자 접근성 제고 및 추가 근거 축적 촉진
 - * 佛 조기접근허가(AAP): ▲중증희귀 ▲안전성·유효성 추정 ▲혁신성 등 요건 충족 시 허가 전 급여 적용 (‘21)
 - 英 조기접근기금(IMF): 암·비암종 대상 유망 치료제 대상 기금 기반 조기 접근 지원 확대(‘21)
 - ** 축적된 근거를 바탕으로 정식 허가 전환(졸겐스마, 리브멜디, 카빅티, 킴리아, 예스카타 등)
- 허가 이후 고가 치료비에 대해 효과 연동 성과기반 계약, 위험 분담, 제한적 급여·재평가 등을 통해 재정 부담을 관리하면서 급여 지속

< 주요국 사례 >

- ▶ 美: 메디케이드를 통해 치료비 선지급, 효과 미달 시 제약사로부터 환급
- ▶ 獨: 급여 적용 후 일정기간 내 사망 시 제약사가 치료비 환급
- ▶ 伊: 치료 성과에 따라 6개월·12개월 등 분할 지급

□ **(연구·산업지원)** (초기)원천·초기 임상 지원에서 (후기)제조사업화 지원으로 이동

- 전임상·초기 임상 지원에서 나아가 공정개발, 제조 혁신, 스케일업, 공정 자동화, 분산형 생산체계 등 **제품화 단계** 지원으로 확대

* 美: 진단 1주일 내 치료제를 생산투여할 수 있는 분산형 맞춤 제조 체계 구축 지원(ARPA-H, GIVE 프로그램)
 英: 정부 설립 비영리기관(CGT Catapult)에서 제조기술개발·규제 등 기업의 첨단치료 혁신 지원
 中: 상하이 장장 세포·유전자 산업단지 R&D·제조 통합 클러스터 조성(재정지원, 세제혜택 등)

- 사업화 과정의 기술·규제 **병목 해소**를 위해 스타트업 가속, 규제 대응, 시장진입 연계, 평가·분석 지원 등을 결합한 **통합형** 지원체계 확대

* 美: RMIC(Regenerative Medicine Innovation Catalyst)에서 줄기세포의 특성 분석·평가, FDA 규제 대응 등 인프라를 제공하는 지원기관(NIH에서 재정 지원)
 日: 국내 스타트업·VC 연계 육성 및 해외 스타트업 유치를 통한 글로벌 생태계 조성

□ **(환자 접근성)** '품목허가' 외 첨단재생의료 제공을 위한 접근 경로 확대

- 주요국은 환자 치료 기회 확대를 위해 의약품 품목허가 외 첨단재생 바이오 특성을 고려한 조건부 허가, 의료기관 제공 등 다양한 제도 병행
- 일본·대만 등은 재생의료와 의약품 제도를 병행 운영하고, 유럽은 의료기관 기반 예외적 제공(hospital exemption) 운영

< 글로벌 첨단재생의료 제도 동향 >

	 일본 (재생의료안전법('13), 개정('24))	 대만 (특별규정('18), 법 제정('24))	 EU (Regulation(EC) No 1394/2007, '07)
대상	세포가공물(+핵산) 이용하는 의료기술 이용해 실시되는 의료 ▶1/2/3중 유형으로분류	위험성이 낮거나 단계별 인체시험 완료가 확인된 세포치료기술 ▶6중 → 재생의료 확대('24)	(병원 면제) 희귀·난치환자 치료법 없을 때 병원내 예외적으로 사용 ▶환자개인맞춤형 제작
승인	(특정)인정재생의료등위원회 (복수, 민간)	위생복지부	각 회원국 관할 관청
진입	재생의료등 제공계획 승인 (연구/치료 중 선택) ▶ 제공	세포치료기술(재생의료) 실시계획서 승인 ▶ 제공	각 회원국 관할 관청 허가 ▶ (의사 책임하) 제공
심사	① 문헌 고찰 ② 환자동의, 보험가입 의무화	① 문헌 고찰, 동료 평가 ② 환자 동의	적합 자격 대상, 의료적 필요 정당성 등 · 회원국별 세부 기준 상이
세포 공급	세포배양가공시설 (PMDA 허가)	세포제조시설 (TFDA 허가)	GMP 준수+ Non-routine basis 제조
안전 관리	인정위원회에 연례보고 안전문제 발생시 보고	정보시스템에 기록·관리·보고 이상반응보고및안전성 모니터링	안전성 보고서제출등 · 회원국별 세부 기준 상이

③ 우리의 현재 위치 : 1차 기본계획의 성과와 한계

□ **(제도)** 첨단재생의료 인프라 조성, 치료제도 도입 등 제도기반은 확대되었으나 연구자·환자가 체감할 수 있는 효과는 미흡

○ **(성과)** 국가 차원 첨단재생의료 심의·관리체계 구축 및 치료제도 도입

- 중앙심의위원회를 설치·운영하고 재생의료실시기관을 지정하여 첨단재생 특성에 맞게 임상연구·치료 계획을 승인하는 체계 구축
 - * 전문위원회에서 심층 검토 후 심의위원회 심의를 거쳐 임상연구 57건 승인('25.12월 기준)
- 치료제도 도입과 함께 임상연구 대상 확대, 연구비 지원에 대한 법적근거 마련 등 환자 치료 및 임상연구 활성화 기반 조성

< 첨단재생의료 치료 1호 승인('26.4.24) >

- ▶ **치료계획명** : 치료 후 재발 가능성이 높은 EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종 완전관해 환자에게 자가 면역세포치료제 VT-EBV-N을 투여하여 재발을 방지하고, 장기 생존을 유도하는 첨단재생의료 치료
- ▶ **대상** : EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종
- ▶ **실시기관** : 카톨릭대학교 여의도성모병원
- ▶ **대상자수** : 15명
- ▶ **치료비용** : 76백만원(5년 이내 재발 시 비용 전액 환불)

- 임상연구·치료 전 과정의 **안전성 확보**를 위해 안전관리시스템을 통해 연구·치료 진행 상황, 이상반응을 상시 모니터링하고 최종결과 수집

○ **(한계)** 국민이 안전한 재생의료치료에 접근할 수 있도록 제도정비 필요

- 재생의료실시기관 지정부터 임상연구·치료, 세포 처리 과정에 대한 전주기적 현장점검과 안전 관리체계 보완 필요
- 기술발전 속도, 심의 수요 증가에 대응하기 위하여 심의 신속성·전문성·투명성 제고 등 심의체계 고도화 필요
- 치료 시 **환자의 높은 치료비용*** 부담에 대한 공적 지원체계 부재

* 세포, 배지 등 값비싼 원료, 환자 개인별 맞춤형 제조공정 등 높은 비용 소요

□ **(기술)** 우수한 보건의료 인프라와 기술 개발 투자 확대로 임상 진입, 허가·치료 등 초기 성과 창출되고 있으나 선도국과 기술격차 여전

○ **(성과)** 질적·양적 연구 성과 축적으로 치료 승인·품목허가 승인

- SCI급 논문(928건), 특허 등록(70건), 국내개발 품목허가 승인('26.4)

* 국내 개발 첨단바이오의약품 최초 CAR-T 치료제 품목 허가(림카토주, '26.4)

- 후기 임상(2·3상) 진입 확대('20 6건 → '25 11건), 분야별로는 세포치료 중심에서 유전자치료 비중이 확대*되는 등 글로벌 추세 반영

* 임상시험 분야별 비중('20→'25): 세포(65%→36%) / 유전자(23%→54%) (재생의료진흥재단)

< 임상연구 주요 성과 >

❶ **과제명:** 호흡 기도(기관, trachea) 재생을 위한 환자 맞춤형 바이오프린팅 기관 실용화 임상연구

▶ **대상:** 난치성 기관 결손 질환자

▶ **성과:** 동종 성체줄기세포 기반 3D 바이오프린팅 인공장기이식 성공

❷ **과제명:** 재발성 또는 불응성 CD19 양성 B세포 급성 림프모구 백혈병인 소아 및 청소년 대상 병원 생산 CD19 키메라 항원수용체 T세포(SNUH-CD19-CAR-T)의 제 1b상 임상연구

▶ **대상:** 급성 림프모구백혈병소아·청소년

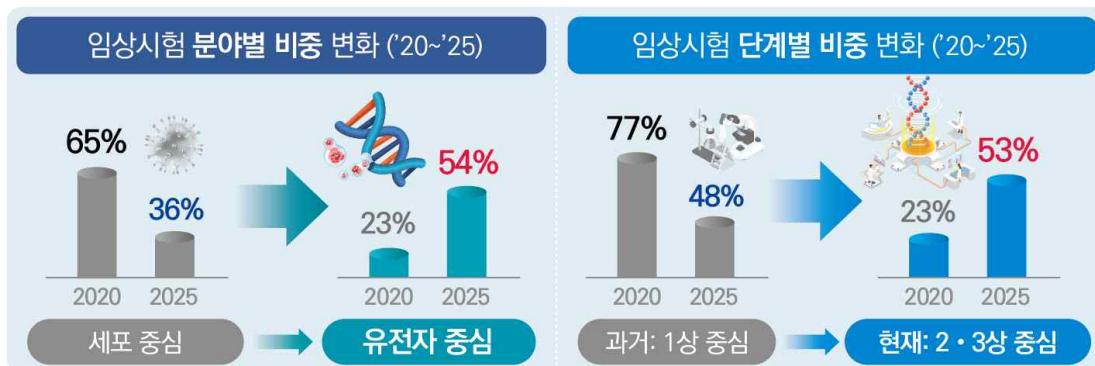
▶ **성과:** 채취부터 투여까지 소요기간 약 5배 단축(56일→12일), 8명중 5명이 1개월 후 완전 관해

○ **(한계)** 선도국 대비 기술 수준* 70~80%, 분야별 기술격차 2~5년 추정

* 재생의료 분야에서 평균 격차 감소(74.7%('22) → 76.2%('24), 보건산업진흥원, '24)

* ▲세포(70%) ▲유전자(77.5%) ▲융복합(80%) ▲줄기세포(80%) ▲이종장기(74%) ▲인공혈액(73%) ('24)

< 기술: 1차 기본계획 성과 >



□ **(산업)** 초기 생태계 형성 단계로, 자생력 확보·가시적 성과 확산 필요

○ **(성과)** 국내 유망기술 중심 기술이전*, 파트너링, 투자 관심 지속

* 글로벌 기술이전 규모 : ('24) 77억달러 → ('34) 396억달러 전망 (바이오의약품협회, '25)

- R&D·창업 지원 등을 통해 첨단재생의료분야 기업 수 증가(76개('23)→138개('25), +80%), 창업기업·연구의료기관에 시설·장비 등 지원

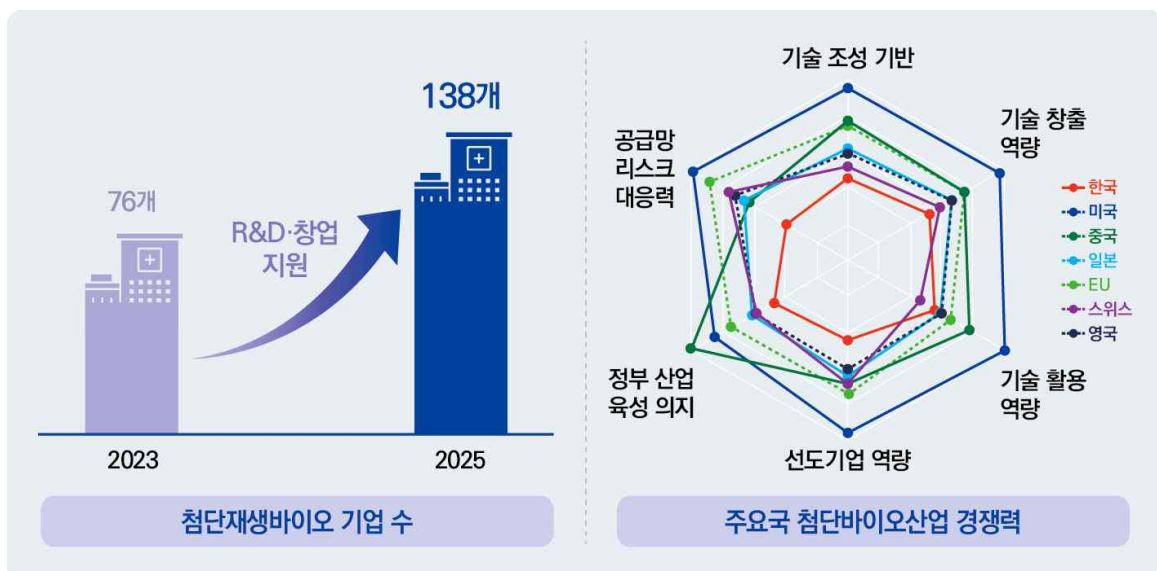
○ **(한계)** 연구·개발된 기술의 허가 및 상용화 성과는 미흡*

* 첨단바이오산업 경쟁력은 주요 7개국(미·EU·영·일·중·스·한) 중 최하위 수준(산업연구원, '25)

- 민간 투자 저조* 등 우수기술의 국내 임상 진입 환경 취약, 소재·부품·장비의 해외의존으로 생산원가 상승 및 공급망 불안정 심화,

* BT 분야의 높은 공공투자 의존도(IT: 민간 88% BT: 민간 44% 차지, '23) (산업연구원, '25)

< 산업: 1차 기본계획 성과 및 한계 >



⇒ 첨단재생바이오 제도 도입, 연구·개발 지원, 산업 육성 등 기반은 조성되었으며 실제 가시적인 성과 창출을 확산할 필요

Ⅲ. 비전과 전략

비전

첨단재생바이오기술을 통한 중대·희귀·난치질환 극복

목표



환자 접근성 제고



혁신 성장 동력 확보



01



환자 접근성 확대

- ① 국내 치료기회 확대
- ② 임상연구 활성화
- ③ 환자중심 치료지원 강화

02



규제 합리화

- ① 근거 기반 규제혁신
- ② 첨단재생의료 심의체계 고도화
- ③ 재생의료 전주기 안전관리 강화
- ④ 첨단바이오의약품 허가·관리 고도화

03



기술·산업 경쟁력 강화

- ① 혁신 기술 개발 및 임상전환 가속화
- ② 제조 혁신 및 공급망 강화
- ③ 산업기반 마련 및 혁신생태계 조성

IV. 분야별 주요 정책과제

전략 1 환자 접근성 확대

① 국내 치료기회 확대

- **(해외원정치료 국내화)** 해외원정치료 수요가 높은 질환의 임상연구를 통해 안전성·유효성 확인 후 국내 치료 실시, 미충족 의료수요 해소 **복지부**
- 무릎 골관절염 등 4개 질환을 선정하여 충분한 임상근거를 확보할 수 있도록 다기관 임상연구 추진('26.下~)

< 정부주도 임상연구 과제 >

대상 분야		질환	추진일정 (예정)
근골격계	자가 줄기세포 배양	무릎 골관절염	2026.7.~2028.3.
만성통증		난치성 만성통증	2026.7.~2028.3.
혈액암	자가 면역세포 배양	혈액암	미정
고형암		재발성 교모세포종	2026.7.~2028.3.

* 컨소시엄별 60~165명 대상 21개월 간 연구 추진

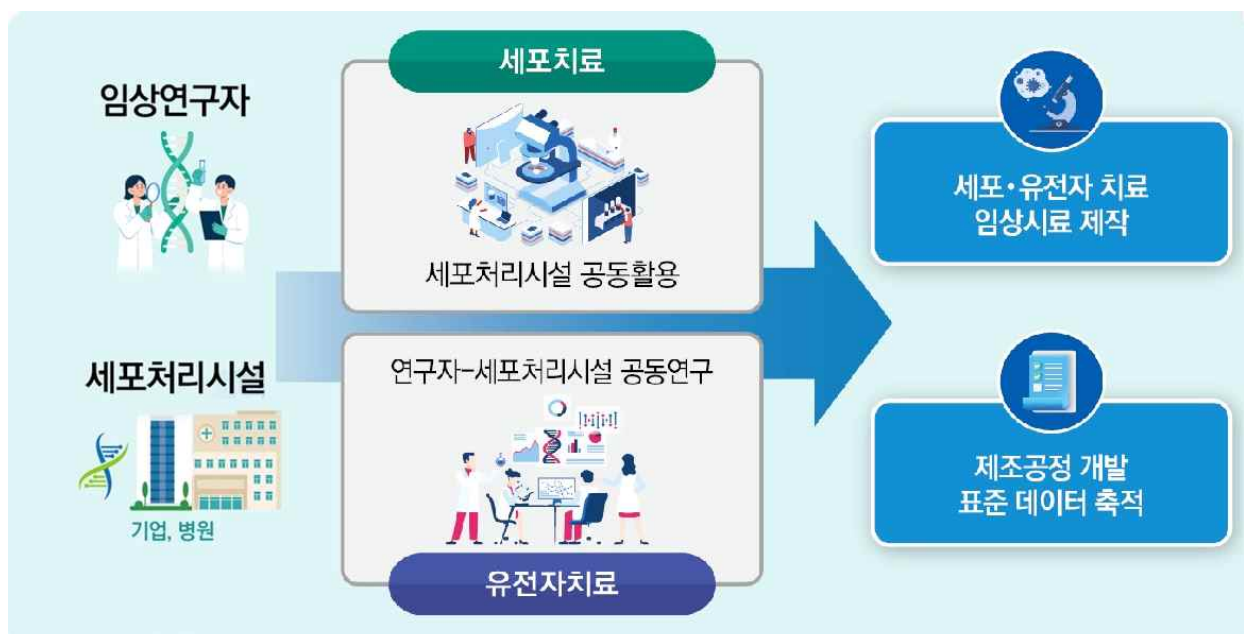
- 연구 결과를 바탕으로 치료계획 심의에서 안전성·유효성·치료비용 등을 검토하여 국내 치료 실시 여부 결정
- **(개별맞춤형 치료개발 기반 마련)** 희귀질환 등 기존 방식의 치료개발 어려운 분야에 대해 플랫폼 기술 활용 치료개발 지원모델 마련 **복지부**
 - * 「첨단재생의료 기반 희귀질환 치료 지원체계 구축」 연구 추진('26.5~11.)
 - 기술성숙도·치료가능성을 고려한 플랫폼 기술의 개발·활용 지원방안, 연구자·의료기관·제조기관 간 치료개발·임상연구 협력 지원 모델 검토

② 임상연구 활성화

- **(세포처리시설 공동활용)** 연구자-시설 간 협업을 지원하여 임상시료 제작과 공정개발 역량 보완을 지원하여 임상연구 진입 촉진 **복지부**
 - (세포치료) 우수한 세포처리시설의 시설·인력·장비를 공동 활용해 연구자의 임상시료 제작, 세포처리 공정 개발·최적화·품질시험 지원
 - (유전자치료) 연구자-세포처리시설이 컨소시엄을 구성하여 임상시료 제작에 필요한 처리공정 개발, 품질관리 및 공동연구 수행 지원

* 첨단재생의료 세포처리시설 공동활용 및 공정 고도화 지원('27~'32)

< 세포처리시설 공동활용을 통한 임상연구 지원 >



- **(원료세포 공급)** 연구자가 양질의 원료세포를 안정적으로 확보할 수 있도록 공공 세포자원의 구축·표준화 및 공급체계 마련
 - 세포주별 유래·특성·품질시험 정보를 표준화하고, GMP 기준의 임상 등급 세포주를 확보·보관·공급하는 K-Cell 뱅크·라이브러리 구축 **복지부**

* 글로벌 K-Cell 뱅크·라이브러리 구축사업('25~'28)

- 국가줄기세포은행을 통해 질병모델·세포치료 연구에 활용할 수 있는 줄기세포주를 연구자에게 공급, 단계적 임상등급 세포주 확보 추진 **질병청**

□ **(임상연구 지원 강화)** 중대·희귀·난치 질환 등 국가 지원이 필요한 분야를 중점 지원하여 임상연구 활성화 기반 마련 **복지부**

* 첨단재생의료 임상연구 활성화 지원사업(R&D) ('25~'28)

- 해당 분야의 연구 현황 및 수요를 반영하여 R&D 예산을 전략적으로 집행하고 지원 규모 확대 추진

□ **(첨단재생의료 DB 구축)** 임상연구·치료 데이터를 활용 가능한 형태로 표준화하여 수집·관리, 데이터 품질 확보, 안전한 제공·활용 기반 구축

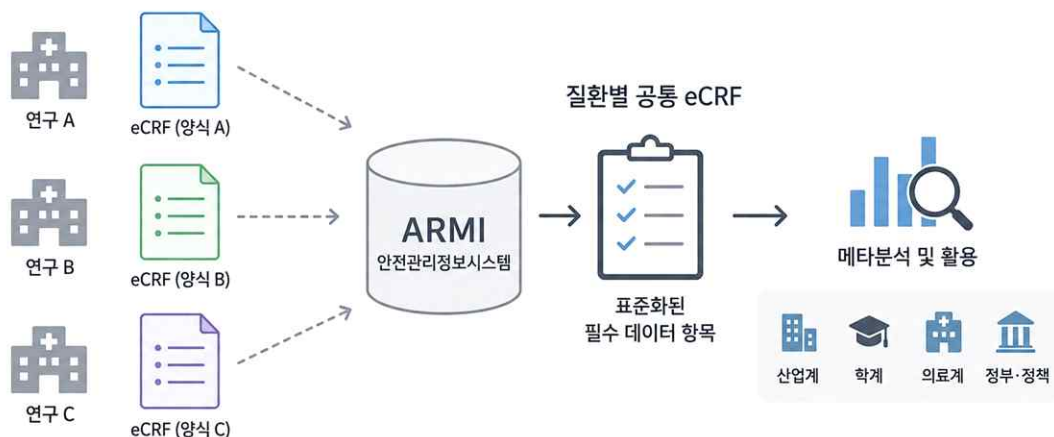
- 환자 특성, 투여세포 유형·용량, 임상결과 등 핵심 항목을 표준화한 전자증례기록서(eCRF)*를 운영하고 데이터 품질 관리 지원** **복지부·질병청**

* 환자별 진단명, 투여세포 유형, 용량, 시간별 임상결과 등 표준화된 양식으로 전자 수집하는 시스템

** 실시계획서의 보건의료분야 공공DB에 등록공개가능하도록 품질관리 지원

- 연구자가 관련 데이터에 안전하고 편리하게 접근할 수 있도록 데이터 제공 절차, 비식별·보안 기준 및 근거 마련 검토 **질병청**

< DB 표준화 추진(안) >



③ 환자중심 치료지원 강화

- **(치료 관리 강화)** 치료정보 공개와 충분한 설명·동의, 안전관리 강화를 통해 환자의 권리를 보장하고 치료제도의 안정적 정착 지원
 - 첨단재생의료포털에 치료 승인 현황·의료기관·비용 등 정보 공개, 치료 전 충분한 설명과 이해 확인을 위한 표준 동의 가이드라인 마련 **복지부**
- **(치료비용 부담 완화)** 고가의 치료비용이 환자의 치료기회를 제약하지 않도록 경제적 부담을 완화하고 공적 지원 기반을 단계적으로 마련 **복지부**
 - 재난적의료비·실손보험 등 현행 의료비 지원·보장수단에 대한 정보 제공을 강화하여 환자의 제도 활용 지원
 - * 재난적 의료비 지원사업: 가계 소득에 비해 과도한 의료비 지출로 경제적 어려움을 겪는 가구에 정부가 병원비 일부 지원(기준 중위소득 100% 이하, 소득에 따라 연간 최대 5천만원 지원)
 - 치료대안이 없는 중증희귀질환을 중심으로 질환의 특성, 치료 필요성, 공익성을 고려하여 공적 지원방안 검토

< 외국의 혁신치료비용 지원 사례 >

- ▶ 佛 HAS(국가보건최고위원회)에서 조기접근 허가(AAP) 단계부터 건강보험 급여 적용, 대체치료 여부, 효과안전성, 혁신성, 중증·희귀질환 대상 적용
- ▶ 美 CED(Coverage with Evidence Development): CMS(Centers for Medicare & Medicaid Service)가 근거가 충분하지 않은 의료기술 등에 대해 보험 적용을 허용하되, 환자등록, 임상연구 또는 RWD 수집을 의무화

- 고가 비급여 치료의 성과연계 비용 환급·조정 모델 및 운영기준 검토

< 성과 기반 위험 부담 지불 사례 >

- ▶ 국내 : 5년 이내 질환 재발 시 전액 환급(첨단재생의료 치료 1호)
- ▶ 이탈리아 Payment by Results : 치료 효과가 사전 합의한 목표에 도달하지 못하면 제약회사가 약제비 일부 또는 전부 환급
- ▶ 대만 Managed Entry Agreement : NHIA(National Health Insurance Administration)가 혁신의약품의 치료성가가 계약된 성과지표에 미달하는 경우 약가 환급 또는 가격 조정 실시

전략 2

과학적 규제 합리화 및 안전관리 강화

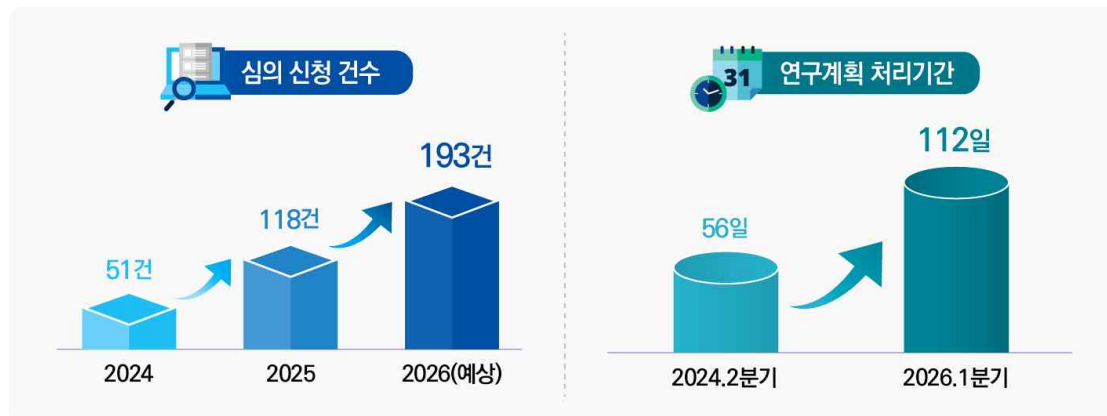
1 근거 기반 규제혁신

- **(안전성 기반 위험도 조정)** 안전성이 확보된 기술의 치료 활성화를 위해 안전성 확인 수준에 따라 위험도 기준 현실화·조정 추진 **복지부**
 - 세포 특성 및 조작 정도에 따라 안전성 근거가 축적된 경우, 근거자료를 기반으로 **심의회** 심의를 거쳐 위험도 구분 기준 **조정** 추진*
 - * 자가 면역세포 배양을 활용한 임상연구·치료의 위험도 조정 추진(중→저, ~'26.10)
 - * 저위험 조정 시 임상연구(약 2~3년 소요) 없이 치료계획 신청 가능
- **(제도 정비)** 글로벌 기술 발전, 현장 수요를 반영하여 임상연구·치료할 수 있도록 국내 제도의 적용 범위·기준 정비 **복지부**
 - **(신기술 적용)** 생체 내(in vivo) 유전자 치료* 등 신기술 유형에 대한 제도 적용 적절성 검토 및 필요 시 적용 범위 확대 추진
 - * 첨단재생의료 범위에 포함('26.5. 법개정, '26.11. 시행)
 - **(원료수급 확대)** 세포처리시설이 타 기관*에서 채취·보관하고 있는 원료 세포를 제공받아 처리할 수 있도록 관련 규정 정비 추진
 - * 제대혈은행, 배아연구기관, 인체세포등 관리업자 등
 - **(규제특례)** 제도 개선 과제는 규제샌드박스 등 특례 제도를 활용하여 실증적으로 검증*하여 제도화 가능성 검토 및 단계적 추진
 - * 해외의 인체세포등 수입, 국내 임상시험, 해외 임상시험연구 결과 활용 등
- **(실사용데이터 활용)** 희귀질환 등 소규모 환자 특성을 고려, 임상연구·치료·장기추적 과정에서 축적된 실사용데이터 활용 방안 마련
 - 장기추적조사시스템의 전자증례기록서(eCRF) 기반 연계보고 기능 구축 등 첨단바이오의약품의 사후관리 단계 데이터 축적체계 강화 **식약처**
 - 첨단재생의료 데이터를 첨단바이오의약품 품목허가 또는 임상시험에 활용하기 위한 가능성 및 방안 검토 **식약처·질병청**

② 첨단재생의료 심의체계 고도화

- **(심의운영체계 개편)** 심의 수요 증가에 대응하여 심의의 효율성·전문성·예측가능성을 강화하는 운영체계 구축 **복지부**
- 심의위원회 내 분과위원회를 설치하고, 전문위원회의 분야 개편과 심층 검토 기능 강화를 통해 심의위-전문위 간 역할 분담 체계화

< 심의수요 증가 및 처리 지연 현황 >



- 축적된 심의 사례·경험을 토대로 임상연구·치료계획 심의 가이드라인 마련, 대면심사 도입, AI 활용 검토 등 심의 운영·절차 개선
 - * 임상연구치료 계획 심의 가이드라인 마련('26), 심의체계 관련 법령정비 추진('26~)
 - 중·저위험 치료 확산에 대비, 동일·반복 치료계획에 대한 심의 방안 마련
- **(임상연구 사전컨설팅 강화)** 연구계획 수립 단계부터 주요 심의요건과 보완사항을 안내하여 연구계획의 완성도와 심의 예측가능성 제고 **복지부**
 - 연구자의 심의 준비를 지원할 수 있도록 첨단재생바이오 심의 사무국이 연구계획 작성과 준비 서류 등에 대한 맞춤형 사전컨설팅 제공
 - * 전담인력 확충과 함께 표준화된 연구계획서 작성 사례, 주요 보완 사례에 대한 사전 Q&A 등 제공

< 일본 사례 >

- **인정재생의료등위원회:** 사무국(위원장 등)이 임상연구·치료 계획에 대해 무료 상담서비스 제공, 접수 이후 위원회에서 제출 서류 분석·보완 지도 등

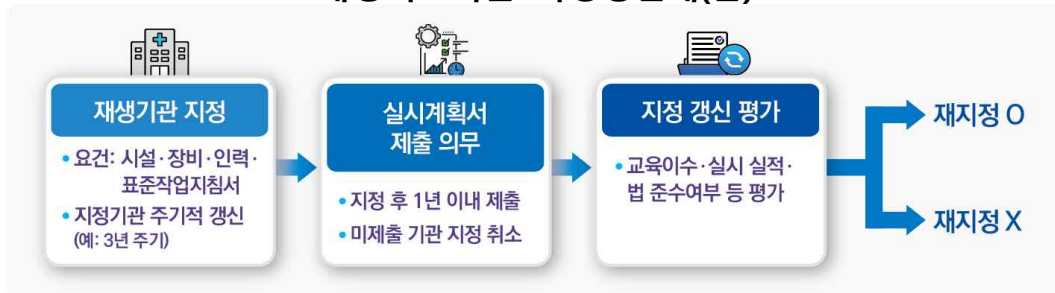
③ 첨단재생의료 전주기 안전관리 강화

- **(재생의료기관 사후관리 강화)** 재생의료기관의 책임성을 확보하기 위한 지정 이후 의무 부여, 주기적 갱신제도 도입 및 광고 모니터링 강화 **복지부**

- 지정 후 1년 내 실시계획 제출 의무화 추진 및 지정갱신제(주기: 3년) 도입하여 재생의료기관 지정 후 기관* 관리·퇴출 기전 마련

* 연구·치료 실적 및 교육 이수 여부, 거짓·과대광고 등 법 위반 여부 등

< 재생의료기관 지정갱신제(안) >



- 첨단재생의료 광고 가이드라인 마련, 첨단재생의료 특화 모니터링 운영 등을 통해 건전한 첨단재생의료 환경 조성
- 의료기관 내 치료·세포처리과정 모니터링 등 안전관리 강화 **복지부·질병청**
- **(세포처리시설 관리 강화)** 세포·유전물질 취급범위 확대에 대응하여 세포처리시설의 품질·안전관리 관리체계 고도화
 - 세포·유전물질 취급, 세포 수입 등 변화된 운영환경('26.5. 법개정, '26.11. 시행)을 반영하여 시설·장비·품질관리 기준 정비 **복지부·식약처**
 - 현장점검을 통해 표준작업지침서(SOP) 준수 여부를 확인하고 종사자 교육을 강화하여 세포처리과정의 안전성 제고 **복지부·질병청**
- **(이상반응 보고·장기추적조사 개선)** 이상반응 적시 대응을 위한 기준 정비, 장기추적에 데이터 연계 병행하여 안전관리 실효성 제고 **질병청**
 - 이상반응 중대성에 따른 보고 시점 차등화, 보고 이행 여부 및 중대한 이상반응 사례에 대한 현장점검 강화
 - 장기추적조사와 건강보험 등 보건의료 공공데이터를 연계하여 장기추적조사의 누락을 방지하고 안전성 근거를 체계적으로 축적

4 첨단바이오의약품 허가·관리 고도화

- **(제도 예측성 제고)** 개발 촉진을 위해 기획 단계부터 규제 정합성을 검토하고, 선제적 심사기준 제시를 통해 기업의 **예측가능성** 강화 **식약처**
 - R&D 기획 단계부터 식약처의 규제 정합성 검토를 연계하여 제품화 가능성을 조기 진단하고 규제 대응 전략 제공
 - 첨단바이오의약품 특성에 맞는 개발단계·제품 특성별 심사기준을 선제적으로 마련하고, AI를 활용한 제품의 허가심사 기준 수립
- **(전주기 안전관리 체계 고도화)** 원료 채취부터 유통까지 일관된 품질·안전 관리체계 구축하고 장기추적조사 운영체계 개선 **식약처**
 - 인체세포등 관리업의 점검지속 및 규제지원을 위한 제도 정비, 소통협의체 운영 내실화를 통한 제도 개선
 - 위험도 평가 기반 국내·외 제조소 GMP 점검 지속, 첨단바이오의약품 품질확보를 위한 유통제품 품질평가 지속 및 표시기재 점검 강화
 - 장기추적조사 이행 제도 효율화(이상사례 보고양식 국제표준 허용, 계획서 제출기한 개선 등) 및 전산 시스템 기능 고도화
- **(허가심사 규제서비스 기반 마련)** 개발·제조 현장 수요를 반영하여 실무 중심의 전문인력 양성하고, 맞춤형 지원서비스 강화 **식약처**
 - 원료부터 완제까지 단계별 체계적 제조품질관리 교육과정 운영 및 사용·안전관리 맞춤형 교육체계 구축
 - 품목군별, 심사분야별 전문성을 갖춘 고역량 상담인력 확보를 통해 전주기 밀착 상담체계 BIO RISE-UP* 구축

* 비임상에서 품목허가까지 전주기에 대해 수시상담 체계를 마련하여 사전상담 강화

전략 3

기술 · 산업 경쟁력 강화

① 혁신 기술 개발 및 임상전환 가속화

- **(차세대 혁신기술 R&D) 조직 단위의 재생·복원과 정밀 유전자 치료로의 확장을 위한 핵심 원천·플랫폼, 치료기술 개발 역량 강화**
 - **바이오프린팅, 오가노이드, 항노화 등 미래 유망 원천·치료기술 개발** 지원하여 차세대 재생의료 기술 확보 **복지부·과기부·산업부**
 - * ▲인공아체세포기반 재생치료 기술개발('24~'29) ▲항노화 및 역노화 재생의료 중개임상연구('26~'32)
▲세포기반 인공장기 혁신재생신약 원천기술개발('26~'30) ▲바이오 인공조직 기술개발사업('27~'32)
▲기능설계형 오가노이드 기반 혁신재생신약 원천기술개발('27~'31)
 - **유전자 편집·제어·복원, 유전자전달체 등 핵심 소재·원천기술 개발** R&D 지원하여 희귀·난치 질환 극복기반 강화 **복지부·과기부**
 - * ▲한국형 ARPA-H프로젝트('24~'32) ▲유전자전달체전달 기술 확보('24~'27) ▲유전자 치료제 개발('26~)
▲유전자편집제어복원기술개발('23~'27) ▲차세대 RNA 편집·표적제어 원천기술개발('25~'29)
▲후성유전체편집 기반 질환 유전자 제어('25~'29)
- **(AI·빅데이터 기반 기술 고도화) AI 기반 후보물질 발굴, 바이오 빅데이터 등을 활용한 치료제 개발 연구 지원**
 - **AI 기반 질환 세포 모델로 임상 환경을 구현하고, 임상시험 설계·지원** 플랫폼을 구축하여 후보물질 발굴과 기술개발 속도 제고 **복지부·과기부·중기부**
 - * ▲디지털 AI세포 구축사업('26~'30) ▲K-AI 신약개발 전임상, 임상 모델 개발 사업('25~'29)
▲AI 기반 신규 모달리티를 활용한 희귀난치질환 치료제 개발('25~'29) ▲AI기반 후보물질 탐색('26~)
 - **희귀질환 국가등록자료와 유전체*·보건의료 빅데이터의 안전한 연구 활용** 기반을 마련하여 질병 특성 분석, 치료기술 개발 연구 지원 **복지부·질병청**
 - * 국가 통합 바이오 빅데이터 구축 사업 100만명 규모 유전체 바이오 빅데이터 구축으로 연구 활용 지원
- **(혈액장기 등 공익적 수요대응 R&D) 시장만으로 충분히 공급이 어려운 필수 치료 자원 관련 기술 확보 및 미충족 의료수요 해소 기반 마련** **복지부·과기부·산업부**
 - 시장성 부족으로 민간 투자가 제한되는 인공혈액·이종장기 등 공익성이 높은 분야의 **핵심기술 개발과 실용화 연구 지속 지원**
 - * ▲세포기반인공혈액기술개발사업('23~'27) ▲이종장기연구개발사업('23~'27)
▲기능설계형 오가노이드 기반 혁신재생신약 원천기술개발('27~'31)

- **(전주기 R&D 지원)** 기초·원천연구 성과가 비임상·임상으로 연계될 수 있도록 연구단계간 연속적인 지원을 강화하고 임상전환 촉진 **복지부·과기부**

* 범부처재생의료기술개발사업('21~'30)

- 기초연구 성과가 임상 연계될 수 있도록 비임상 플랫폼 및 유효성 평가 프로토콜 개발, 부처 간 연계형 연구과제를 발굴·지원 **복지부·과기부**

* ▲첨단바이오횰약품 맞춤형 비임상시험 플랫폼 산업 고도화 사업('25~'29) ▲유전자세포치료 R&BD 실증 플랫폼 구축('27~'32)

- **(중소·벤처 특화 지원)** 중소기업 전략기술 로드맵* 내 첨단재생바이오 분야를 대상으로 중소·벤처 맞춤형 R&D 과제 지원 **중기부**

* 매년 전략기술 로드맵 수립, 25년은 4대 기술 테마, 39개 전략 분야, 218개 전략 품목 구성 → 유전자세포 치료제 전략품목에 포함

② 제조 혁신 및 공급망 강화

- **(AI·데이터 기반 제조혁신)** AI·로봇 기반 제조공정 자동화와 공정 데이터 활용을 통해 생산성·품질 일관성을 높이고 생산비용 절감

- 첨단바이오횰약품 개발·제조 전 과정에 QbD* 기반 스마트 제조 시스템 도입으로 제조 공정 효율화 **산업부**

* Quality by Design: 설계 단계부터 품질목표·주요 공정변수 관리하여 불량·변동성 최소화

* 첨단재생의료 제조공정 고도화 기술개발 사업('26~)

- 실시간 공정 모니터링·이미지 분석, 충전 공정 및 실험 자동화 등 AI 기반 품질관리·공정혁신 기술의 개발·도입 지원 **복지부·산업부**

* ▲실험자율화(Self-Driving Lab) 실습 인프라 구축 및 이론실습 교육 등 AI·자동화 활용역량 강화('26)

- **(소재·부품·장비 공급망 강화)** 국산 바이오 소재·부품·장비의 품질 경쟁력 확보, 핵심 원료 안정적 공급으로 글로벌 품질기준 대응 **산업부**

- 국산 바이오 소재·부품·장비의 제조기술 개발, 성능시험 및 사용자 평가 지원 및 원료구매처 다변화 지원

* 국산 원부자재 제조 지원사업, 백신·원부자재 성능시험 지원사업, 바이오 원부자재 사용자 테스트 지원사업, 원료구매 다변화 지원사업('26~'27)

③ 산업기반 및 혁신 생태계 조성

- **(사업화 지원체계 마련)** 벤처·초기창업 기업의 사업화 단계별 맞춤형 애로 해소 지원을 통해 사업화 과정의 시행착오 최소화 **복지부·중기부**
 - * 기술 가치평가 분석, 규제 대응, 민간 투자유치 등
 - * 스마트 테크브릿지(STB) : AI 기반 기술추천·기술매칭·기술이전·전자계약금융 지원을 통합한 기술사업화 전주기 원스톱 플랫폼으로 기업 맞춤형 기술사업화 서비스 제공
- 전문가 자문단 구성·운영으로 규제 및 사업화 상시 자문 서비스를 제공하고, 기업의 핵심 기술적 난제 해결을 위한 전문 컨설팅 제공
- **(산업 표준·통계 구축)** 구체적 산업 현황 파악·기초자료 구축으로 현장 수요 기반 정책 수립 및 산업의 표준화 기반 조성 **복지부·산업부**
 - 산업 기반 조성을 위한 기업 현황, 산업 구조 등 실태조사* 실시, 표준 분류체계(KS) 확립, 국가 승인통계 마련 추진
 - * 기업 수, 기업 규모, 매출 등 실적, R&D 투자, 대내외 협력 관계 등
- **(현장 전문인력 양성)** 글로벌 표준(GMP) 기반 제조·공정 전주기 실무 교육 및 기업 인턴십 연계를 통한 현장 밀착형 인재 양성 **복지부**
 - 첨단재생바이오 분야 GMP 수준의 제조·공정 전주기 실무자 양성을 위한 교육을 확대하고, 기업 인턴십 연계를 지원
- **(글로벌 협력 확대)** 국내 첨단재생바이오 산업의 경쟁력 강화 및 혁신 생태계 조성을 위한 글로벌 인적·물적 네트워크 구축 **복지부**
 - 글로벌 선도기관(CIRM, CCRM) 등과의 협력 사업 발굴, 글로벌 수준 우수 전문인력 교류, 다국가 공동 임상연구 지원 방안 검토

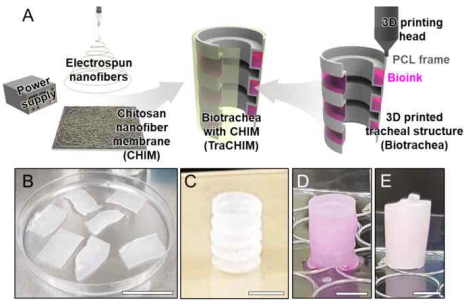
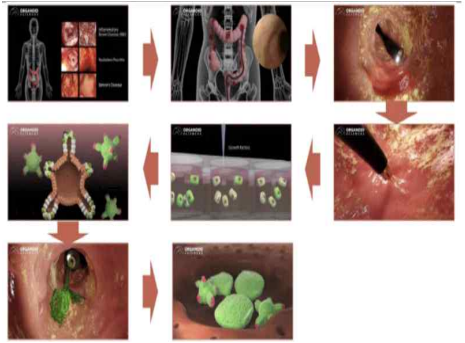
V. 기대효과

- **중대·희귀·난치질환 등 미충족 의료수요 해소로 국민 삶의 질 향상**
 - 치료 활성화로 환자의 실질적인 치료 기회 확대
 - * ('25) 치료 제도 도입 → ('30) 제도적·실질적 접근 기회 확대
 - 근거기반 첨단재생의료 치료 활성화로 무분별한 해외원정 시술 방지
- **과학적 근거 기반 첨단재생바이오 기술 연구·개발 활성화**
 - 규제합리화를 통한 예측가능성 제고로 국내 연구개발 촉진
 - * ('25) 임상연구 누적 57건 → ('30) 임상연구치료 누적 150건 이상
 - 전주기 안전관리 강화로 과학적 기반 마련 및 신뢰성 제고
- **첨단재생바이오 산업의 신성장동력 확보**
 - 글로벌 경쟁력있는 기술 개발 및 품목 허가
 - * 국내 첨단바이오의약품 개발 : ('20~'25) 0건 → ('26~'30) 5건 이상
 - 성과창출을 통해 민간투자, 시장참여 확대 등 선순환 생태계 구축

주요 정책과제	추진일정	소관부처
1. 환자 접근성 확대		
① 국내 치료기회 확대		
❶ 해외원정치료 국내화	'26~	복지
❷ 개별맞춤형 치료개발 기반 마련	'26~	복지
② 임상연구 활성화		
❶ 세포처리시설 공동활용	'27~	복지
❷ 원료세포 공급	'26~	복지·질병
❸ 임상연구 지원 강화	'26~	복지
❹ 첨단재생의료 DB 구축	'26~	복지·질병
③ 환자중심 치료지원 강화		
❶ 치료 관리 강화	'27~	복지
❷ 치료비용 부담 완화	'28~	복지
2. 과학적 규제 합리화 및 안전관리 강화		
① 근거기반 규제혁신		
❶ 안전성 기반 위험도 조정	'26~	복지
❷ 제도 정비	'26~	복지
❸ 실사용데이터 활용	'26~	식약·질병
② 첨단재생의료 심의체계 고도화		
❶ 심의운영체계 개편	'26~	복지
❷ 임상연구 사전컨설팅 강화	'27~	복지
③ 첨단재생의료 전주기 안전관리 강화		
❶ 재생의료기관 사후관리 강화	'27~	복지
❷ 세포처리시설 관리 강화	'27~	복지·식약·질병
❸ 이상반응 보고 및 장기추적조사 개선	'27~	질병
④ 첨단바이오의약품 허가·관리 고도화		
❶ 제도 예측성 제고	'26~	식약
❷ 전주기 안전관리 체계 고도화	'26~	식약
❸ 허가심사 규제서비스 기반 마련	'26~	식약

주요 정책과제	추진일정	소관부처
3. 기술·산업 경쟁력 강화		
① 혁신 기술 개발 및 임상전환 가속화		
❶ 차세대 혁신기술 R&D	'26~	복지·과기·산업
❷ AI·빅데이터 기반 기술 고도화	'26~	복지·과기·중기·질병
❸ 혈액·장기 등 공익적 수요대응 R&D	'26~	복지·과기·산업
❹ 전주기 R&D 지원	'26~	복지·과기
❺ 중소·벤처 특화 지원	'26~	중기
② 제조 혁신 및 공급망 강화		
❶ AI·데이터 기반 제조혁신	'26~	복지·산업
❷ 소재·부품·장비 공급망 강화	'26~	산업
③ 산업기반 및 혁신생태계 조성		
❶ 사업화 지원체계 마련	'26~	복지·중기
❷ 산업 표준·통계 구축	'26~	복지·산업
❸ 현장 전문인력 양성	'26~	복지
❹ 글로벌 협력 확대	'26~	복지

□ 임상연구 주요성과

	▶ (재생의료기관) 서울대병원 ▶ (연구책임자) 강형진 교수 ▶ (과제명) 재발성 또는 불응성 CD19 양성 B세포 급성 림프모구 백혈병인 소아 및 청소년 대상 병원 생산 CD19 키메라 항원수용체 T세포(SNUH-CD19-CAR-T)의 제 1b상 임상연구 ▶ (연구대상) 급성 림프모구백혈병소아·청소년 ▶ (연구기간) '21.12.~'26.8. ▶ (주요성과) 국내 최초 병원 내 CAR-T 치료 생산플랫폼 구축으로 생산기간 약 5배 단축(56일→12일), 치료받은 8명 중 5명이 투여 1개월 후 완전관해
	▶ (재생의료기관) 서울성모병원 ▶ (연구책임자) 배자성 교수 ▶ (과제명) 호흡 기도(기관, trachea) 재생을 위한 환자 맞춤형 바이오프린팅 기관 실용화 임상연구 ▶ (연구대상) 난치성 기관 결손 질환자 ▶ (연구기간) '22.1.~'25.12. ▶ (주요성과) 세계 최초 동종 성체줄기세포 기반 3D 바이오프린팅인공장기(trachea)이식 성공
	▶ (재생의료기관) 고대구로병원 ▶ (연구책임자) 이범재 교수 ▶ (과제명) 난치성 베체트장염환자에서 ATORM-C의 안전성 및 유효성 평가 연구 ▶ (연구대상) 베체트 장염 환자 ▶ (연구기간) '23.3.~'26.10. ▶ (주요성과) 세계 최초 베체트병 환자에게 오가노이드 기반 치료제(ATORM-C) 적용

□ 첨단재생의료 치료 성과 [치료 1호 승인, '26.4.24.]

- ▶ 치료계획명 : 치료 후 재발 가능성이 높은 EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종 완전관해 환자에게 자가 면역세포치료제 VT-EBV-N을 투여하여 재발을 방지하고, 장기 생존을 유도하는 첨단재생의료 치료
- ▶ 대상 : EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종
- ▶ 실시기관 : 카톨릭대학교 여의도성모병원
- ▶ 대상자수 : 15명
- ▶ 치료비용 : 76백만원(5년 이내 재발 시 비용 전액 환불)