

06 \_ 줄기세포 치료제

# 머지않아 성체줄기세포 치료제 나온다

글 | 김현수 \_ 파미셀 대표이사 khsm@unitel.co.kr

**질**병을 치료하기 위하여 다양한 약물과 수술적 요법이 개발되었다. 그러나 난치성 질환에 대한 결과의 진보가 한계 상황에 이르자 의사들은 세포를 이용한 치료법에 관심을 갖게 되었다. 즉 손상된 조직이나 기능을 복원하기 위하여 세포를 이용하는 것으로 장기 이식과 같은 원리라고 생각할 수 있다. 의학적 진보에도 불구하고 많은 질환이 정복되고 있지 못하며 이로 인하여 다수의 환자와 가족이 고통 받고 있다. 개발자들은 가까운 미래에 이러한 고통의 일부가 해결될 수 있기를 기대하고 있다. 이제까지 몇 가지의 세포 치료제가 개발되어 상용화되었으나 여기에서는 줄기세포를 기반으로 한 세포치료제에 관해 알아본다.

### 줄기세포 분화능 이용 난치성 질환 치료

수혈과 골수이식은 줄기세포 치료의 시작이다. 새로운 기술의 적용은 치료적 효과를 높이는 결과를 보였지만, 그 가능성이 높아지는 것과 맞추어 각국의 정부는 세포 치료제라는 새로운 판단을 하게 하였다. 미국과 한국은 1998년과 2002년에 세포치료술이 아닌 세포 치료제라는 기준을 제시하였으며, 이 기준에 해당하는 줄기세포 치료제는 제약적 기준에 의하여 관리되어야 한다. 새로운 기술들은 분리, 활성화, 증식 및 유전자 조작이 해당된다. 많은 연구자들은 이러한 규제가 개발 과정보다 앞서 진행돼 산업적 발달을 막고 있다고 말하지만, 이미 발표된 규제를 돌이킬 수는 없는 것이며 산업적 발전 과정에서 발생할 수 있는 혼란을 사전에 차단한 것은 긍정적이라는 평이다.

줄기세포 치료제의 개발은 더 이상 치료적 성과가 없는 난치성 질환을 치료하기 위하여 개발되었다. 즉 손상된 조직 및 기능을 직접 복원하는 개념을 줄기세포의 분화능을 이용하여 이루어 보자는

것이였다. 줄기세포는 그 자신이 다양한 장기의 조직으로 분화될 수 있다는 이론적 원리에 의하여 세포 치료제의 좋은 대상이 되었다. 신경계 질환을 예로 들면 손상된 조직을 대체하기 위하여 신경 조직이 필요한데, 이를 얻는 것은 매우 힘들어 통상적인 치료법으로 개발되는 것은 불가능하다. 줄기세포의 증식능력과 분화능력을 이용하면 가능할 것이라는 것이 초기 단계의 개발자들의 주된 목표였다.

배아 줄기세포의 분화능은 이론상 잘 알려져 있으나 현실적으로는 성체 줄기세포의 분화능력을 이용해 개발이 시작됐다. 즉 배아 줄기세포를 직접 사용하는 것은 윤리적 문제 외에도 직접적으로 해결해야 할 과학적 문제가 많아 현재로는 어느 과학자도 직접 사용할 수는 없다. 단지 과학적 이론을 연구하는 중요한 수단으로 개발될 수 있다.

성체 줄기세포는 개발이 이미 진행되어 일부 앞서 있는 치료제는 상업화 진입을 위한 임상 실험중이었다. 성체 줄기세포를 이용한 연구 및 개발은 오래전부터 진행돼 왔다. 마치 배아 줄기세포의 시작이 줄기 세포 연구나 개발의 시작인 것처럼 보이는 것은 국내의 특이한 현상이라고 할 수 있다. 요즘 주로 다루어지는 성체 줄기세포로는 간엽 줄기세포, 조혈 줄기세포, 지방세포 유래 줄기세포가 있다. 이를 이용한 안전성 및 유효성 자료는 개발에 필요한 수준에 도달하여 상업화를 앞두고 있다. 물론 개발 시작과는 달리 최근의 연구 결과로는 직접적 조직의 대체가 주요 약리학적 기전은 아닌 것으로 밝혀지고 있다. 계속된 연구로 줄기세포 치료제의 효율을 증가시킬 수 있는 방법들이 밝혀지고 있다. 다양한 난치성 질환들을 대상으로 연구되고 있으며 국가간의 차이가 있으나 대부분이 줄기세포를 이용한 세포 치료제 개발을 국가적 목표로 하고 있

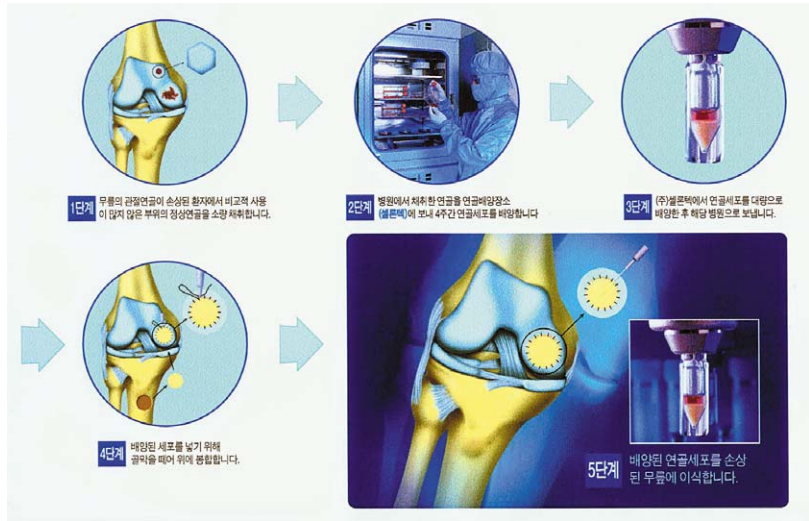
다. 현재의 희망적 목표는 대부분의 난치성 질환 환자들이 줄기세포 치료제의 개발로 도움을 받게 될 것이라는 것이다.

그러나 국내에서 비록 짧은 기간이었으나 배아 줄기세포 복제로 난치성 질환 환자들에게 너무 많은 희망을 주었다는 것이 문제이다. 줄기세포 치료제라는 규제가 아니라도 치료적 결과가 잘못 공개되거나 예상하게 될 경우 많은 혼란을 일으키며 잘못된 산업화의 길을 걸을 수 있기 때문이다. 전문 의약품이나 의사의 치료결과를 홍보에 사용 못하도록 하는 규제가 이러한 부작용을 막으려는 수단이다. 성체 줄기세포 치료제가 많은 가능성을 보이고 있는 것은 사실이나 환상적인 치료 결과를 나타낼 것이라는 것은 과장된 것이다. 물론 멀지 않은 미래에 과학 영화에서나 볼 수 있는 결과가 예상되지만 현실적 목표는 그렇지 않다. 즉 난치성 질환자들의 생존 기간을 10% 연장하거나 손상된 기능을 10%만이라도 회복시키거나 더 이상 악화되지 않도록 하는 것도 의사들은 대단한 성취로 보고 있다. 현재의 개발자들은 이러한 목표를 위하여 계산할 수 없는 노력을 투자하고 있다.

**‘생존 기간 10% 연장’ 이 가장 현실적인 목표**

줄기세포 치료제의 개발에는 이론적 및 실험적 근거, 현실적 개발과 산업화에 필요한 기준이 필요하다. 현재는 많은 실험적 근거 하에 개발이 이루어지고 많은 임상 실험의 결과가 발표되고 있다. 체계적인 임상 실험의 결과에 따라 시판이 허가되면 선진국과 국내에서 2007년말경 직접적으로 사용될 수 있는 수준까지 진행될 것이다. 초기에는 적은 수의 질병들이 대상이 될 것이지만 점차 확대되어 중증 질환 외에도 다양한 질환들이 치료적 대상이 될 것이다. 현재 주요 난치성 질환들은 암 질환, 신경계 질환, 순환기계 질환 및 간질환이다. 현대 의학으로도 이러한 질환들을 직접 치료하여 기능적 회복을 보일 수 있는 경우는 제한적이다. 2007년 이후에는 일부의 난치성 질환들이 성체 줄기세포 치료제로 기능적 회복을 보일 수 있을 것이다. 물론 일반 대중들이 갖고 있는 환상적인 치료 결과는 아직 기대하기 어려우나 부분적인 회복이라도 중증 질환자들에게는 큰 도움일 될 것이다.

제약적 기준하에 줄기세포 치료제를 개발하기 위한 연구도 상당



바이오펜터기업인 셀론텍이 생명공학 기술로 개발한 세포치료제 ‘콘드론’의 배양과정

히 진행되고 있다. 현재의 생물학적 제제의 규정으로 부족하거나 현실적으로 적용하기 어려운 부분들에 대하여 관리자들과 개발자들은 상당한 의견의 접근을 보고 있다. 이러한 과정은 개발 시간의 단축과 좀더 안전하고 효과적인 치료제 개발에 필요하다.

국내의 대부분의 줄기세포 치료제 개발은 많은 어려움 때문에 진행이 늦어지고 있다. 즉 식약청의 판단에 따라 제약적 기준에 적합한 생산 및 관리를 해야 하는 것이다. 이 과정은 산업화에 있어서 필수적이며, 반드시 거쳐야 하는 단계이다. 그러나 제약적 기준에 적합한 세포 치료제의 개발은 많은 인프라 시설 및 자료가 필요하다. 단지 한두 가지의 줄기세포 치료제를 개발하기 위하여 이러한 시설 및 자료를 만들어야 한다는 것은 큰 부담이다. 국가적 과제로 줄기세포 개발을 서두르고 있는 상황에서 이러한 어려움을 국가가 지원하는 체계 안에서 해결할 수 있다면 신속한 임상 실험 진입과 중복 또는 과잉 투자를 피할 수 있을 것이다. 또한 산업계의 대기업들도 이러한 분야에 참여할 시기와 수준에 도달한 것으로 판단된다. 국가적 지원과 산업계의 지원이 줄기세포 치료제의 개발과 국제 경쟁력 향상에 직접적인 도움이 될 것이다.. (ST)



글쓴이는 연세대학교 원주의과대학 졸업 후 연세대학교 원주 기독병원 내과 전공의, 아주대학병원 혈액종양내과 조교수를 지냈다.