

첨단재생바이오법의 제정 의의와 제한점

손성구* · 권경희**

I. 서론
II. 첨단재생바이오법의 제정 배경
1. 세포조작에 대한 약사법 규제의 불명료성 해소 필요
2. 임상연구의 의료기술적 접근을 위한 정의신설 및 약사법 분리 입법
III. 첨단재생의료 임상연구의 의의 및 제한점
1. 첨단재생의료 임상연구의 의의 ⁷
2. 첨단재생의료 임상연구의 의약품 개발 관련 제한점
IV. 맺음말

I. 서론

일반적으로 줄기세포치료로 대표되는 재생의료는 고장난 인체의 기능, 조직, 장기 등을 대증요법이 아닌 근본적 치료를 위해 살아 있는 인체세포등을 가지고(조작 포함) 문제의 기능, 조직, 장기 등을 재생, 회복 또는 형성하는 의료기술을 통해 질병을 치료 또는 예방하는 일이라고 인식된다. 그런데 이 ‘의료기술’은 2019년 8월 27일 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품의 안전 및 지원에 관한 법률」(법제처 약칭: 첨단재생바이오법) 제정 전에는 인체세포등을 조작할 때 생물학적 특성이 변화되지 않는 범위(최소한의 조작) 및 조작 장소(의료기관 내)를 만족할 때는 의료행위를 구성하는 ‘의료기술’이지만, 이를 만족

* 논문접수: 2021. 12. 13. * 심사개시: 2021. 12. 15. * 게재확정: 2021. 12. 29.

* 동국대학교 약학대학 박사과정.

** 동국대학교 약학대학 교수, 교신저자(khkwon@dongguk.edu).

* 이 글은 2021년 11월 4일 코엑스에서 개최된 제2회 첨단재생의료 발전전략 포럼에서 “첨단재생의료 임상연구와 의약품 개발”의 주제로 발표한 내용을 바탕으로 개인의 의견을 정리한 것임을 밝힌다.

하지 않을 때는 의료행위가 아닌 의약품으로 간주되었는데¹⁾, 그 이유는 세포의 생물학적 특성을 변화시키는 처리를 하는 경우 품질 및 안전성의 우려가 크기 때문이다. 특히, 줄기세포치료를 위해서는 일반적으로 많은 세포를 얻기 위한 배양과정이 필요한데 ‘최소한의 조작’의 기준을 담당하는 식품의약품안전처는 ‘배양’은 생물학적 특성이 유지되지 않는 조작으로 판단하여 왔다.²⁾

이와 같이 재생의료는 본질적으로 의료기술임에도 품질관리 및 안전성 확보를 위한 규제 필요성으로 인해 약사법에 의한 의약품 관리체계가 적용됨에 따라 의료법상 자격 있는 의료인에게 부여된 새로운 의료기술을 시도할 수 있는 권리에 제약이 생긴 것으로 볼 수도 있다. 한편, 재생의료가 아직 근거가 미흡한 부분이 많지만 희귀·난치질환자에게는 마지막 희망이 될 수 있다는 점에서 의료인이 재생의료를 시도하기 어려운 규제환경은 한편으로 희귀·난치질환자가 재생의료의 치료기회를 얻기 어려운 상황을 만들었다고도 볼 수 있다. 재생의료 특성에 따른 적절한 규제체계의 필요성은 세계적 공통사항으로 유럽, 일본 등에서는 의료인의 책임소재를 강화하면서 의료인이 재생의료를 시도할 수 있도록 관련 법령을 제·개정하여 희귀·난치질환자의 재생의료에 대한 치료기회 확대를 위해 노력하고 있다.

인간의 생명과 신체를 대상으로 하는 의료행위는 윤리적 관점에서 그 특허성이 제한될 수밖에 없기³⁾ 때문에 유전자 변형 등 높은 기술력이 뒷받침되지 않는 재생의료는 기업의 관심을 이끌어내는 데 필요한 상업성에서도 한계가 있었다. 이에 따라 특허확보 및 의약품 품목허가를 통한 상업화보다는 상대적으로 의료기술적 관점에서 희귀·난치질환자의 치료기회 확대를 위해 재생의료를 시도하고 싶어 하는 의료계의 바람이 가장 큰 동력이 되어 우리나라도 재

1) 의료법 제12조제1항은 의료행위를 ‘의료인이 하는 의료·조산·간호 등 의료기술의 시행’으로 규정.

2) 세포를 배양하는 경우 세포의 배양·증식과정에서 세포 수의 증가, 세포의 기능, 표현형, 분화상태, 대사활성, 증식 가능성 등에 변화가 일어날 수 있으므로 생물학적 특성이 유지되지 않는 것으로 판단(첨단바이오의약품 제제별 분류 해설서(민원인 안내서), 2020.12. 식품의약품안전평가원, 4p).

3) 강현, 의료행위의 특허보호에 관한 연구, 아주법학(제12권 1호), 2018, 138-154면.

생의료 활성화를 위한 세계적 흐름에 맞추어 의료기관과 의료인의 책임소재를 강화하면서 재생의료에 대한 희귀·난치질환자의 치료기회를 확대할 수 있도록 의약품 허가용 임상시험이 아닌 연구용 임상시험(임상연구) 단계에 시행되는 재생의료는 조작범위 등에 따른 의약품 간주 기준을 적용하지 않고 의료기술로 보고⁴⁾ 약사법 적용을 배제하는 것을 핵심내용⁵⁾으로 하는 첨단재생바이오법⁶⁾이 만들어졌다. 법의 정의에서 첨단재생医료를 세포치료 등의 의료행위로 규정하고, 약사법에 따른 임상시험에서 첨단재생의료 임상연구를 제외함으로써 첨단재생의료 임상연구에 사용되는 의료기술이 기존 의약품으로 간주되는 것이라 해도 의약품에서 제외될 수 있도록 약사법을 개정하였다고 볼 수 있다.⁷⁾

그러나, 법 시행 후 1년이 지난 2021년 8월말 현재 20건의 첨단재생의료 임상연구계획 중 1건만 승인되었고, 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회(사무국)가 식품의약품안전처로 송부한 고위험 연구 3건은 2021년 11월말 현재까지도 승인되지 않고 있는 등 지금까지의 법 시행 경과는 임상연구활성화에 대한 기대와 다르게 흘러가는 실정이다. 첨단재생의료 임상연구를 승인받고자 하는 연구자들은 승인신청을 위한 요구자료가 품목허가를 위한 트랙으로 실시된 임상시험계획승인 신청 서류와 다를 바 없어 법 제정 전과 비교할 때 달라진 바 없이 오히려 더 어려워지면 어려워졌다는 시각을 많이 가지고 있다.

4) 연구용 임상시험 단계의 재생医료를 의료기술로 보기 위해 첨단재생바이오법에 ‘첨단재생의료’를 신설하고, 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등을 말하는 것으로 규정하여 ‘첨단재생의료 임상연구’가 ‘치료’, 즉 의료기술을 시행하는 의료행위로서 첨단바이오의약품과 별개인 것으로 규정하였다.

5) 첨단재생바이오법 제정시 부칙으로 약사법을 개정하였는데 부칙 제7조(다른 법률의 개정)에서 약사법 제2조제15호 ‘임상시험’의 정의 “15. “임상시험”이란 의약품 등의 안전성과 유효성을 증명하기 위하여 사람을 대상으로 해당 약물의 약동(藥動)·약력(藥力)·약리·임상적 효과를 확인하고 이상반응을 조사하는 시험(생물학적 동등성시험을 포함한다)을 말한다”의 후단에 단서조항으로 “다만, 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」 제2조제3호에 따른 첨단재생의료 임상연구는 제외한다”를 추가함

6) 2019.8.27. 제정, 2020.8.28. 시행.

7) 첨단재생의료 분야의 연구자 주도 임상시험은 약사법 적용대상에서 제외한다는 의미로도 볼 수 있다.

실제 사무국이 발간한 『첨단재생의료 연구연구계획 작성 및 심의 안내』(2021.7)에는 제출자료 기준이 자세히 기술되어 있는데, 첨단재생바이오법령에서는 첨단재생의료 임상연구를 의약품이 아닌 의료기술로 보고 품질 및 비임상시험 자료에 대해 약사법처럼 구체적으로 기술하지 아니하였음에도 법령 근거가 미흡한 상태에서 거의 약사법에 준해 품질 및 비임상시험자료를 요구하고 있음을 알 수 있다.⁸⁾ 즉, 법 제정 취지대로 첨단재생의료 임상연구를 환자치료 확대를 위해 의료행위적 관점에서의 접근과 의약품 개발에 대한 약사법의 규제 관점이 뒤섞이면서 혼선이 일어나고 있다고 볼 수 있다.

첨단재생의료 임상연구의 활성화가 첨단바이오의약품 개발과 궁극적으로는 연계되더라도 당장의 직접적인 임상연구 자료요건을 의약품 개발과 연결시킨다면 치료기회 확대도 어렵고 궁극적으로 의약품 개발에 기여하기도 어렵게 된다.

이 글은 환자치료 기회 확대를 위해 도입한 첨단재생의료 임상연구의 의의와 의약품 개발과 관련된 제한점을 이해함으로써 첨단재생의료 임상연구의 활성화와 나아가 우리나라 재생의료 발전에 기여할 수 있는 관점과 방안을 제시하는 데 그 목적이 있다.

참고로, 첨단재생바이오법은 첨단재생의료 임상연구뿐만 아니라 첨단바이오의약품의 안전 및 지원에 대한 규정도 있지만 첨단바이오의약품에 대한 신속처리 등 핵심적 내용들은 약사법 체계 내에서 법적 근거는 없었지만 이미 시행되고 있었고, 최근에 약사법령에 신속처리에 대한 근거규정을 마련한 것으로 보아도 첨단바이오의약품의 신속처리를 위해 첨단재생바이오법 제정이 꼭 필요하지는 않았을 것으로 보인다. 이 글은 첨단재생바이오법의 제정이 첨단

8) 품질자료 요구가 문제가 아니고, 시판허가 신청에 필요한 임상자료를 만들기 위해 수행하는 IND에 준한 품질자료 요건과는 구분될 필요가 있다는 의미이다. 병원면제제도를 시행하고 있는 유럽도 사용되는 재생의료제품(ATMP)이 특정 품질 표준에 따라 준비되어야 한다고 규정하고 있다(Natividad Cuende, Christelle Boniface, Christopher Bravery, "The puzzling situation of hospital exemption for advanced therapy medicinal products in Europe and stakeholders' concerns", cytotherapy, Volume 16, Pages 1597-1600, Issue 12, December 2014).

재생의료 임상연구를 약사법의 임상시험에서 분리하여 의료기술적 관점에서 관리하기 위한 것이었음을 핵심적 의도로 전제하고 있다.

II. 첨단재생바이오법의 제정 배경

1. 세포조작에 대한 약사법 규제의 불명료성 해소 필요

가. 약사법과 의료법 규제가 필요한 재생의료의 이중 속성

재생医료를 대표하는 줄기세포치료는 의료기관내에서 이루어지는 의료행위이다. 의료행위란 ‘의학적 전문지식을 기초로 하는 경험과 기능으로 진찰·검안·처방·투약 또는 외과적 수술을 시행하여 하는 질병의 예방 또는 치료행위 및 그 밖에 의료인이 행하지 아니하면 보건위생상 위해가 생길 우려가 있는 행위’⁹⁾이다. 재생의료는 의료기관 내에서 인체세포등을 조작하여 인체에 투여(이식)하는 치료로 본질적으로는 ‘이식’이라는 의료행위로 의료법의 규제 영역이다. 그런데, 줄기세포를 사람에게 이식할 때 원형 그대로 이식하지 않고 일정한 조작을 해서 이식할 수 있는데 원형이 달라지는 경우 안전성 및 품질에 대한 우려가 생기므로 우리나라를 포함해서 대부분의 나라들이 원형이 달라지는 조작에 대해서는 의약품적인 관점으로 보고 ‘이식’이 아닌 ‘의약품 투여/투약’으로 간주하여 품질과 안전성·유효성에 대해 약사법에 의한 규제를 하고 있는 실정이다.

일반적으로 의약품은 불특정 다수 환자를 대상으로 미리 제조되어진 ‘제품’으로 유통되고 전문가의 처방 등에 따라 환자에게 투여된다. 그러나, 안전성 및 품질에 대한 우려 등의 규제 필요성에 따라 의약품(‘첨단바이오의약품’에 해당)으로 간주되는 재생의료 제품은 ‘조작과정’이 제품이 된다.

그런데 줄기세포치료의 경우, 자기 또는 타인의 세포를 채취해서 인체에 투

9) 대법원 2018. 6. 19. 선고 2017도19422.

여할 때 줄기세포의 치료효과를 기대하기 위해서는 일반적으로 세포의 숫자를 늘리는 ‘배양’이라는 조작 또는 처리를 하게 된다. 그런데, ‘배양’에 대한 규제 기관의 입장은 ‘세포를 배양하는 경우 세포의 배양·증식과정에서 세포 수의 증가, 세포의 기능, 표현형, 분화상태, 대사활성, 증식 가능성 등에 변화가 일어날 수 있으므로 생물학적 특성이 유지되지 않는 것으로 판단’¹⁰⁾하고 있어 ‘배양’을 하게 되면 의약품에 해당하는 조작으로 간주하고 있으며, 자신의 세포를 배양할 지라도 약사법에 의해 규제되는 의약품으로 간주되어 품목허가를 받지 않고 배양해서 투여하는 의료행위는 약사법 위반에 해당한다.

그러나, 재생의료는 살아있는 세포나 조직, 유전물질 등을 원료로 하고 체내에 장기간 머무르는 특성을 보유하는 한편, 의약품으로서 제품화의 경계가 뚜렷하지 않은 특성도 있어 기존 화학물질 중심의 제품화된 의약품을 규제하는 데 초점을 맞춘 약사법으로는 효과적인 안전관리에 한계가 있는 것도 사실이다.

나. 해외 재생의료 법률 제정 흐름과 첨단재생바이오법 제정

유럽, 미국, 일본 등에서는 우리나라보다 몇 년 전에 관련 법률을 만들어 의료기관의 재생의료치료를 일정한 기준을 충족하는 경우 허용하고 있었다. 유럽은 첨단치료제제(ATMP, Advanced Therapy Medicinal Products)법을 2007년 제정하여 환자의 치료기회 확대 등을 위해 병원면제제도¹¹⁾를 도입하였고, 미국은 21세기 치유법을 2016년 제정하여 RMAT(Regenerative Medicine Advanced Therapy) 지정제도를 도입하여 재생의료치료제로 지정될 경우 신속한 제품화를 위한 FDA가 다양한 방법으로 지원할 수 있도록 하였다.¹²⁾

10) 첨단바이오의약품 제제별 분류 해설서(식약처, 2020.12).

11) 병원면제제도: 정부의 승인을 받아 의료기관내에서 시행하는 재생의료에 대해 의약품에 해당하는 조작과정등이 있어도 판매를 목적으로 하지 않는 경우 유럽의약품청(EMA)의 허가를 받지 않고 예외적으로 허용하는 제도로 우리나라의 첨단재생의료 임상연구 제도의 모델로 보는 시각이 많다. 그러나, 대강의 틀은 유사하지만 유럽의 회원국별로 병원면제제도에 대한 접근방법이 차이(특히, 제품적 규제)가 있다(주 7의 논문).

12) 미국은 유럽의 병원면제제도가 우리나라의 첨단재생의료 임상연구 제도처럼 환자의 치료 기회 확대를 위한 의료기관 내 재생의료를 예외적으로 허용하는 제도는 운영하지 않는 것으로 알려져 있다. 한편, 『첨단재생의료·첨단바이오의약품 기본계획』(2021.1)은 ‘우리

일본은 2013년에 재생의료 등 안전성 확보 등에 관한 법률을 제정하고 의약품, 의료기기법을 개정하는 등 재생의료 활성화를 위해 관련 법령을 정비하였으며, 제품으로서의 재생의료와 치료로서의 재생医료를 독립적으로 규율하는 정책방향을 명확하게 제시하였다.¹³⁾ 그리고, 개인차가 있는 인체 세포 활용에 따른 불균질한 품질의 재생의료제품의 특성을 감안하여 제한된 병례에 유효성 및 안전성이 확인되면 조건 및 기한을 두고 조기에 특별 승인하고 시판 후에도 유효성 및 안전성 검증을 지속하여 최종 승인하는 방안을 구축¹⁴⁾하고 있다.

그래서 가까운 일본에 세포치료를 받으러 해외 원정 치료를 가는 환자들이 많았고, 환자당 수회의 원정치료가 필요하고 경비도 4~5천만 원을 부담해서 치료를 받지만 환자들이 투자한 노력과 비용만큼 실제 치료효과가 있는지는 불명확한 실정이어서 사회적 문제가 되고 있었다.

이러한 세계적인 재생의료 관리법률 제정 흐름과 함께 환자들의 재생의료 접근성을 확대해 달라는 요구가 늘어나면서 우리나라에서도 법 제정 논의가 확산되고 재생의료에 대한 환자접근성을 확대해야 한다는 목소리와 재생의료 치료에 내재된 위험성과 불확실한 치료효과에 따른 환자 피해를 방지하기 위해서 법 제정에 신중을 기해야 한다는 상반된 진영 간에 치열한 논의 끝에 만들어진 것이 첨단재생바이오법이다.

법 제정 논의는 의료행위 활성화에 중점을 둔 첨단재생의료법안과 의약품

나라는 해외사례를 참고하여 새로운 법적 기반은 마련하였으나 기존 다른 제도와의 조화, 제한된 치료 접근성 등 제도개선 과제 다수(임상연구로만 접근 가능, 임상연구 후 생성된 자료들의 적극적 활용기전 부재 등)로 기술하면서 첨단재생의료 임상연구 결과가 품목허가로 활용될 수 있는 기전이 부재하다고 설명하고 있다. 그러나, 미국은 임상연구나 임상시험 구분없이 기업이 아닌 대학 등이 실시한 임상시험 자료와 관련 의약품에 대해 기술이전 등 협력 기업이 추가로 실시한 임상시험 자료를 해당 의약품 품목허가신청 시에 함께 제출할 수 있다. 환자치료기회 확대를 위해 유럽의 병원면제제도나 우리나라의 첨단재생의료 임상연구가 필요한 경우가 있어도 동일한 IND절차에서 예외적으로 검토하지 않을까 짐작된다(FDA/NOVARTIS, CTL019(tisagenlecleucel)(In pediatric and young adult patients with relapsed/refractory B-cell acute lymphoblastic leukemia), 2017).

13) 이세정·정명운, “신성장분야 규제법제개선연구(II)”, 연구보고(18-07), 2018, 260면; 김민우, “첨단재생의료법의 입법동향과 시사점”, 생명, 윤리와 정책(제3권 2호), 2019.10, 10면에서 재인용.

14) S&T GPS 글로벌 과학기술정책정보서비스(now.k2base.re.kr) 이슈분석 76호.

개발지원에 중점을 둔 첨단바이오의약품법안의 두 개로 압축¹⁵⁾되었는데 최종적으로 두 법안이 하나로 합쳐져서 2019년 8월 27일 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품의 안전 및 지원에 관한 법률」(약칭: 첨단재생바이오법)이 제정되었고, 2020년 8월 28일자로 시행되었다.

다. 세포조작에 대한 규제 현황

(1) 의료법

의료법은 ‘의료행위’를 ‘의료인이 하는 의료·조산·간호 등 의료기술의 시행’으로 정의하고 있다. 동 법에 따라 모든 의료기술은 정부에서 관리하고 있으며, 의료법에 따라 인체세포등을 이용한 새로운 의료기술을 사용하여 비용청구를 하기 위해서는 건강보험 급여대상이나 비급여대상여부와 관계없이 임상적 안전성·유효성에 대한 신의료기술평가를 받아야 한다. 다만, 미용목적의 성형수술 등 질환치료에 직접적인 관련이 없는 시술은 신의료기술평가와 관계없이 비용청구가 가능하다.

(2) 약사법

첨단재생바이오법 제정 이전에 식약처 고시인 “생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정”에 따라 “세포치료제”란 살아있는 자가, 동종, 이종 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품을 말한다. 다만, 의료기관 내에서 의사가 자가 또는 동종 세포를 당해 수술이나 처치 과정에서 안전성에 문제가 없는 최소한의 조작(생물학적 특성이 유지되는 범위 내에서의 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등)만을 하는 경우는 제외한다고 규정하였다. 이 규정은 첨단재생바이오법이 제정되면

15) 두 개로 압축되기 전에 「줄기세포등의 관리 및 이식에 관한 법률안」(정하균의원 대표발의 2011.9.), 「줄기세포등의 관리 및 이식에 관한 법률안」(양승조의원 대표발의 2012.8.), 「유전체를 활용한 맞춤형의료기술개발 촉진 법안」(유재중의원 대표발의 2013.5.), 「첨단재생의료의 지원 및 관리에 관한 법률안」(장정은의원 대표발의 2016.2.) 등이 발의되었다가 임기만으로 폐기된 바 있다.

서 해당 내용이 삭제되고 첨단재생바이오법령에 관련 내용이 포함되었다.¹⁶⁾

이 규정이 없었으면 의료기관 내에서 ‘세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작’하는 것에 대해서는 의약품이 아닌 의료기술로 간주될 수 있었다. 그러나 이 고시로 ▲자가, 동종, 이종 세포를 ▲체외(의료기관 내·외)에서 ▲배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하는 것이 의약품 제조로 간주되었다.

그러나, ▲자가, 동종 세포를 ▲의료기관 내에서 ▲안전성에 문제가 없는 최소한의 조작(생물학적 특성이 유지되는 범위 내에서의 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등)은 의약품 제조로 간주되지 않는다. 여기서 최소한의 조작이더라도 자가 또는 동종 세포이어야 하고, 의료기관 내에서 이루어져서 의약품 제조로 보지 않기 때문에 세포치료에 대해서는 모든 조작 대상, 모든 조작 행위, 조작 장소를 불문하고 의약품 제조 해당여부에 대한 판단대상이다.

또한, 자가, 동종 세포를 의료기관 내에서 최소한의 조작을 하는 치료만 약사법 적용대상에서 제외하고 있었으며, 의료기관이 아닌 외부 기업이 자가 또는 동종 세포를 최소한의 조작을 할 경우에는 의약품 제조로 간주하였다.

(3) 첨단재생바이오법 제정에 따른 세포조작 범위 규제의 변화

첨단재생바이오법에서 ‘최소한의 조작’ 즉, 의약품 제조로 간주되지 않는 기준에 대해서는 첨단재생의료(의료행위)와 세포치료제(의약품)에 대한 정의에서 각각 규정하고 있다.

첨단재생의료의 정의는 사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 인체세포등을 이용하여 실시하는 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등 대통령령으로 정하는 것을 말하며, 다만, 세포·조직을 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 시술하는 것으로서 대통령령으로 정하는

16) 첨단재생바이오법령에서는 ‘자가 또는 동종’을 자가로 한정하였다(첨단재생바이오법 제조 제1호, 『첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙』 제2조제1항).

것은 제외하고 있다.¹⁷⁾

약사법상 의약품 목적과 비교하면 신체구조 기능의 재생, 회복, 형성이 추가 되었으며, 치료방법으로 ‘인체세포등을 이용’한다고 규정하고 있다. 인체세포 등을 이용하는 방법은 일반적으로는 의약품, 즉 첨단바이오의약품을 투여하는 치료나 ‘이식’ 시술 치료로 나누어진다.

첨단재생의료 중 세포치료에 사용되는 첨단바이오의약품은 세포치료제이고, 유전자치료에 사용되는 의약품은 유전자치료제, 조직공학치료에 사용되는 의약품은 조직공학제제에 해당된다. 다만, 건강보험 비급여대상인 미용, 성형은 인체세포등을 이용하여 신체 구조를 형성하는 등의 시술이라고 하더라도 첨단재생의료에서 제외된다.¹⁸⁾

인체세포등의 범위는 인체조직과 사람의 장기를 제외하고 인체세포등 ▲사람 또는 동물에서 유래한 세포(줄기세포·조혈모세포·체세포·면역세포), 조직 또는 이를 조작, 가공 및 제작 등 물리적·화학적·생물학적 방법으로 처리한 것 ▲동물의 장기 또는 이를 조작, 가공 및 제작 등 물리적·화학적·생물학적 방법으로 처리한 것 ▲복지부장관이 고시한 것으로 정의하고 있다.¹⁹⁾ 세포치료제의 정의는 사람 또는 동물의 살아 있는 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적 또는 생물학적 방법으로 조작하여 제조한 의약품으로 다만, 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 제조된 것으로서 총리령으로 정하는 것은 제외한다고 규정하면서 총리령에서 제외대상으로 의료기관에서 환자의 수술 또는 시술에 사용하기 위해 해당 환자의 세포로 제조한 의약품으로 규정하고 있다.²⁰⁾

첨단재생바이오법 제정되면서 의약품으로 간주되지 않는 대상 세포가 축소되었는데 약사법규에서는 자가 또는 동종 세포로 되어 있었으나 첨단재생바이

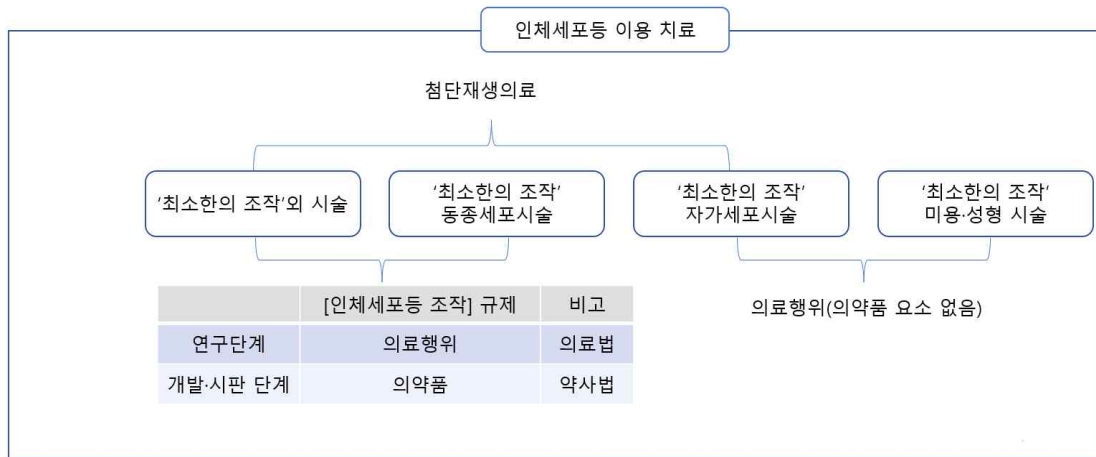
17) 첨단재생바이오법 제2조제1호.

18) 첨단재생바이오법 시행령 제2조제2항제1호.

19) 첨단재생바이오법 제2조제2호, 같은 법 시행령 제3조.

20) 『첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙』 제2조제1항.

오법에서는 자가세포로 한정하는 것으로 변경되었으며, 세포처리시설, 인체 세포등 관리업의 업종을 신설하였다.



<표 2-1> 단계별 인체세포등 조작 규제 현황

2. 임상연구의 의료기술적 접근을 위한 정의신설 및 약사법 분리 입법

첨단재생의료 임상연구를 도입하면서 연구용 임상시험 단계의 재생의료를 의료기술로 보기 위해 첨단재생바이오법에 ‘첨단재생의료 임상연구’라는 용어를 신설²¹⁾하고, 첨단재생의료 정의²²⁾에 세포치료, 유전자치료, 조직공학 치료 등을 말하는 것으로 규정하여 ‘첨단재생의료 임상연구’가 ‘치료’, 즉 의료기술을 시행하는 의료행위로서 첨단바이오의약품과 별개인 것으로 규정하였다. 또한, 첨단재생바이오법의 부칙 규정을 통해 약사법의 임상시험의 정의 규정을 변경하여 첨단재생의료 임상연구를 약사법의 임상시험 범위에서 제외하였다. 약사법에서 임상시험은 사람에게 의약품을 투여하여 의약품의 안전성과 유효성을 확인하는 시험으로 의약품 허가자료를 만들기 위해 기업주도로 실시하는 임상시험(Sponsor Initiated Trial, SIT)과 연구자 주도의 임상시험(Investigator Initiated Trial, IIT)²³⁾이 있고, 학술목적의 연구자 주도 임상

21) 첨단재생바이오법 제2조제3호.

22) 첨단재생바이오법 제2조제1호.

시험이 있는데 이 중 제일 후자의 임상시험을 통상 임상연구라고 하였다.²⁴⁾

첨단재생바이오법 제정 이전에는 약사법규 중 「의약품 임상시험 계획승인에 관한 규정」(식약처 고시) 제7조에 학술연구목적 세포치료제 연구자 임상시험계획승인에 대한 규정이 있었는데, 이는 다른 의약품의 임상연구에 비해 세포치료제가 품질관리 및 안전성 자료 작성이 어려운 사정을 감안하여 만들어진 규정이었다.

이 규정에 따라 세포치료제 임상연구 계획승인 신청 시 제출자료는 ▲식약처장이 지정한 임상시험실시기관의 임상시험심사위원회(IRB) 승인서 ▲해당 분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서 ▲자가기준 및 시험방법 ▲임상시험용의약품 기본정보(성상, 제조방법, 저장방법, 원료약품 및 그 분량)와 의약품의 임상시험 또는 임상연구에 제출해야 하는 일반적인 자료 중 “임상시험용의약품 관련 제조 및 품질에 관한 자료”와 “비임상시험성적에 관한 자료”를 제외하고 ▲개발계획 ▲임상시험자료집 ▲GMP기준으로 제조 증명 자료 ▲과거 임상적 사용경험(제출 가능한 경우) ▲임상시험실시기관, 검체분석기관, 시험자, 수탁기관 등에 관한 자료 ▲임상시험 피해자 보상에 관한 규약 ▲시험대상자 동의서 서식 ▲임상시험계획서를 제출하도록 규정하고 있다. 앞부분의 IRB승인서 등 자료로 “임상시험용의약품 관련 제조 및 품질에 관한 자료”와 “비임상시험성적에 관한 자료”를 대체했다고 볼 수 있다.

세포치료제 임상연구를 위한 제출자료의 범위는 줄기세포치료에 대한 국민들의 기대감과 이에 따른 업계의 로비력과 반비례하는 모습을 보여왔다. 2006년 황우석 사건 이후에도 줄기세포치료에 대한 기대는 꺼지지 않고 계속해서

23) 연구자 주도 임상시험: sponsor가 기업이 아닌 시험자(investigator, 연구자)인 임상시험.

24) IIT에는 품목허가용과 학술연구용이 있으며, 『의약품 임상시험 계획 승인에 관한 규정』(식약처 고시)에서 2012년 12월 18일 이전에는 세포치료제 IIT에 대해서 많은 자료를 면제하면서도 품목허가용과 학술연구용 구분이 없던 것을 2012.12.18.자 개정하면서 ‘학술연구만을 목적으로 세포치료제를 이용하여 연구자 임상시험을 실시하고자 하는 경우’로 규정하여 많은 자료를 면제하는 대신 품목허가용으로 사용하기 어렵게 개정하였다. 따라서 ‘첨단재생의료 임상연구’라는 용어도 폭넓은 자료면제의 목적으로 임상시험이 아닌 임상연구 용어를 차용한 것으로 보이나, 본질적으로 IIT가 품목허가용도 가능함에도 학술연구 목적으로 국한되어 보이게 만들었다는 점에서 아쉬움이 있다.

기대를 받고 있었고, 세포치료제 임상연구의 제출자료 범위도 상대적으로 면제되는 자료가 많았다. 2016년 7월 21일 제출자료 기준이 강화되어 어느 의약품과 같이 모든 자료를 제출하도록 규정되기 전까지 IRB 승인서, 해당분야 관련 전문가 5인 이상의 임상시험에 대한 동의서와 임상시험계획서만 제출하면 승인이 가능했다. 모든 자료를 제출하도록 하는 규정은 2017년 4월 11일에 개정되어 위에서 설명한 “제조 및 품질에 관한 자료”와 “비임상시험성적에 관한 자료”를 제외한 모든 자료를 제출하도록 변경되었다.

2012년 2월 16일에는 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」(식약처 고시)가 개정되었는데, “최근 환자, 의료계, 산업계 등에서 세포치료제의 활성화 요구가 증대함에 따라 세포의 특성 등을 고려하여 현행 세포치료제 품질, 비임상 및 임상에 대한 심사기준을 합리적으로 정비하고, 세포치료제 연구자임상을 활성화하여 상업화 연계가 용이하도록 지원”²⁵⁾하기 위한다는 개정이유를 제시하면서, [별표2]세포치료제의 제출자료 중 9.임상시험성적에 관한 자료에 “다. 자가세포치료제의 경우 해당 품목으로 수행한 연구자 임상시험 자료 또는 전문학회지에 게재된 자료로서 안전성이 확보된 경우, 초기 안전성 임상시험 자료로 갈음할 수 있다.”의 규정을 추가하였다. 이 시기 2014년 8월에는 기획재정부가 「유망 서비스산업 육성 중심의 투자활성화 대책」을 발표했는데, 줄기세포치료제와 유전자치료제가 세계적으로 높은 개발기술수준²⁶⁾을 보유한 것으로 보고 연구개발의 사업화 연결을 통한 세계시장 선점을 위해 상업 임상 1상을 면제할 수 있는 연구자 임상 인정범위를 자가줄기세포 치료제에서 모든 줄기세포 치료제로 확대(식약처 고시 개정, ‘14년 하반기)하겠다는 계획이 포함되었다. 그러나 이 계획은 해당 근거 규정이 2015.1.29. 아예 삭제되면서 없었던 일이 되었다.

25) 「생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정」(식약처 고시) 2012년 2월 16일 개정고시문 중 개정이유.

26) 2014.8.11. 기획재정부 보도자료(유망 서비스산업 육성 중심의 투자활성화 대책 발표) - 미국 대비 기술수준은 줄기세포 치료제는 87.2%, 유전자 치료제는 81.3% [120개 국가전략기술별 기술수준 종합분석(2013), KISTEP].

지금은 약사법으로 규정되어 환자에서 비용을 청구할 수 있는 응급임상 승인 제도²⁷⁾도 2000년경에 줄기세포치료를 위해 처음 도입된 제도였다. 대체 치료수단이 없는 난치병 환자의 치료기회 확대와 기업에 대한 비용 보상이 가능하도록 만들어진 제도로 처음에는 생명이 위독한 환자에게만 허용되었다가 2004년 7월부터는 치료시기를 놓치면 치료효과를 기대하기 어렵거나 대체 치료수단이 없는 경우로 확대된 후 2005년까지 모두 150건이 허용되었다. 그러나, 2006년 척수장애인이 두 차례 탯줄혈액 유래 성체줄기세포를 척수에 주입하는 응급임상 시술을 받았으나 척수감염으로 휠체어에 앉기조차 어려운 부작용을 겪으면서 당시 식약청은 무분별한 응급임상을 막기 위해 연구자 임상에 진입한 시술에 한해 응급임상을 허용하기로 방침을 바꾸었다.²⁸⁾

이 제도는 「의약품 임상시험계획 승인에 관한 규정」(식약청 고시)에 ‘품목 허가 전 임상시험용의약품의 치료목적 사용’과 ‘응급상황의 임상시험용의약품 사용(세포치료제등)’으로 규정되었다가 2012년 12월 18일자 고시가 개정되면서 치료목적사용승인 제도는 「의약품등 안전에 관한 규칙」에 규정되었고, 세포치료제등의 응급임상 규정은 삭제되었다.

세포치료제 임상연구가 약사법 체계 내에 있을 때 연구계획 승인을 위한 제출자료는 한약제제와 함께 어느 의약품과 달리 예외적으로 의약품의 핵심자료

27) 약사법 제34조제4항은 임상시험용의약품을 임상시험이 아닌 다른 용도에 사용할 수 없도록 규정하면서 제외 사항을 두었는데, ▲말기암 또는 후천성면역결핍증 등 생명을 위협하는 중대한 질환을 가진 환자를 치료하려는 경우 ▲생명이 위급하거나 대체치료수단이 없는 등 총리령으로 정하는 응급환자를 치료하려는 경우 등에는 식약처장을 승인을 받고 환자에게 사전동의를 받아서 사용할 수 있다. ‘개인별 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인(신청주체: 의료기관 소속 전문의)’과 ‘다수 환자를 위한 임상시험용의약품 치료목적 사용승인(신청주체: IND승인받은 제약회사)’으로 구분되며, 2016년까지는 ‘응급상황 사용승인’과 ‘치료목적 사용승인’으로 구분하다 2017년 12월부터 ‘치료목적 사용승인’으로 통합되었다.

28) 한겨레 기사(2006.1.16., www.hani.co.kr/arti/PRINT/95600.html): 기사에 따르면 당시 식약처는 임상연구 시술에 한해 응급임상을 허용기로 한 이유에 대하여 ‘과학적 연구의 필요성을 인정해 소규모의 환자 치료에 사용토록 허용하는 연구자임상의 경우 안전성 검사와 임상계획서를 해당 의료기관의 기관윤리심위원회에 제출해 허가를 받아야 하는 등 절차가 까다롭기 때문이다.’로 밝히고, ‘또 응급임상은 연구자임상에 참여하지 못하는 환자에 한해 허용되 응급임상에 쓰는 의약품 또한 연구자임상에서 쓰는 의약품과 동일한 것을 쓰도록 할 방침을 세웠다’고 보도하였다.

를 면제받았다. 의약품의 허가를 위한 핵심자료는 품질자료²⁹⁾, 비임상시험자료, 임상시험자료인데 품질자료와 비임상시험자료를 면제한다는 것은 의약품에 걸맞지 않은 부분이 있었다고 볼 수 있다. 그렇다고 하여 본질적으로 의료기술이면서, 살아있는 세포등을 사용하고 안정적 품질관리가 쉽지 않으며, 비임상시험을 통해 안전성 확인이 쉽지 않은 특성이 있는 세포치료제에 대해서 품질자료와 비임상시험자료를 모두 요구하는 것도 어려움이 있었다.

첨단재생의료 임상연구가 약사법의 임상시험의 범주에서 제외되고 첨단재생바이오법으로 분리입법된 것은 약사법의 어느 의약품과 같이 또는 예외적으로 임상시험계획승인등을 위한 제출자료요건을 정하는 것이 쉽지 않은 상황을 재생의료 특성에 맞게 좀 더 의료기술적 시각에서 규율할 수 있도록 하기 위함으로 볼 수 있다.

III. 첨단재생의료 임상연구의 의의 및 제한점

1. 첨단재생의료 임상연구의 의의

첨단재생의료 임상연구의 도입은 안전성·유효성 근거 부족 우려와 환자치료 기회 확대 요구가 타협에 이른 결과이다. 재생의료의 본질적 성격인 의료기관내에서 인체세포등을 이식하는 의료행위라는 것에 초점을 두어 1차 목표를 환자의 치료기회 확대에 두고 의약품 관리적 시각을 줄일 수 있는 제도로써 도입했다. 이를 위해 식약처 소관 임상시험에서 첨단재생의료 임상연구를 제외하였다.

첨단재생바이오법 제1조(목적)는 첨단재생의료에 대한 내용과 첨단바이오 의약품에 대한 내용으로 나뉘는데, 첨단재생의료에 대해서는 ‘안전성 확보체계 및 기술혁신·실용화 방안 마련’을 목적으로 규정하고 있다. 한편, 이 법이

29) 2021년 7월 20일 약사법이 개정되어 의약품 품목허가를 위한 핵심자료가 품질자료, 비임상시험자료, 임상시험자료로 규정되었다. 품질자료의 약사법 개정전 명칭이 ‘제조 및 품질에 관한 자료’이다.

크게 첨단재생의료 임상연구에 대한 장과 첨단바이오의약품에 대한 장 및 공통사항의 장으로 나뉘어 있음에 따라 제1조(목적)의 첨단재생의료는 ‘첨단재생의료 임상연구’를 지칭한다고 볼 수 있다. 이에 따라 첨단재생의료 임상연구를 도입한 최종 목적(2차 목적)은 실용화 방안 마련으로 이는 의료기술 개발과 의약품 개발로 구분될 수 있다. 의료기관 내에서 자가유래 세포를 최소한으로 조작한 치료는 의약품 품목허가 대상이 아닌 신의료기술 평가 대상이다. 동종유래 세포를 최소한으로 조작한 경우는 의약품에 해당되어 품목허가를 받아야 한다. 또한, 자가유래 또는 동종유래 세포를 최소한의 범위를 넘어 조작한 경우는 품목허가 대상이다.

첨단재생의료 임상연구의 목적은 환자의 삶의 질 향상 및 질병 치료 기회를 확대하기 위한 것이고, 대체치료제가 없거나 생명 위협 중대 질환자, 희귀질환자 및 난치질환자가 연구대상으로 사람의 생명·건강에 미치는 위험도에 따라 고위험 연구, 중위험 연구 및 저위험 연구로 구분된다.³⁰⁾

첨단재생의료 임상연구의 실시 주체는 의료기관으로서 보건복지부로부터 첨단재생의료실시기관으로 지정을 받은 기관이다. 임상연구를 하려는 실시기관이 보건복지부에 설치된 첨단재생의료 심의위원회(사무국)에 연구계획을 제출하면, 분야별 전문위원회가 연구계획 검토보고서를 작성하여 심의위원회에 제출한다. 심의위원회는 연구계획의 적합여부를 의결하고 중·저위험 연구는 보건복지부에 심의결과를 송부하고 고위험 연구는 식약처에 송부한다.

30) 고, 중, 저의 표현은 행정용어로서 법률 규정에서는 고위험 연구는 사람의 생명 및 건강에 미치는 영향이 불확실하거나 위험도가 큰 임상연구이고, 이용하는 인체세포들은 “배아줄기세포, 역분화줄기세포, 동물 유래 세포, 타인 유래 세포(배아줄기세포 및 역분화줄기세포 제외)”이다. 다만, 최소한의 조작은 제외되고, 유전자치료와 인공 조직 또는 장기로 완전 대체하는 경우도 고위험연구에 포함된다. 중위험연구는 사람의 생명 및 건강에 부정적인 영향을 미칠 우려가 있어 상당한 주의를 요하는 임상연구이고, 이용하는 인체세포들은 “본인 유래 세포(배아줄기세포, 역분화줄기세포 제외), 다만, 최소한의 조작은 제외되고 타인 유래 세포(배아줄기세포 및 역분화줄기세포 제외)를 최소 조작한 경우와 인공 조직 또는 장기를 구조적으로 복원하는 경우는 중위험연구에 해당한다. 저위험연구는 사람의 생명 및 건강에 미치는 영향이 잘 알려져 있고 그 위험도가 미미한 임상연구이고, 이용하는 인체세포들은 “본인 유래 세포(배아줄기세포, 역분화줄기세포 제외)를 최소조작”한 것이고, 중위험 연구 중 충분한 연구자료의 축적 등으로 안전성이 증명된 연구로서 심의위원회의 심의를 거쳐 보건복지부장관이 고시하는 연구도 저위험 연구로 분류된다.

보건복지부는 중·저위험 연구의 심의결과를 실시기관에 통보하고, 식약처는 고위험연구의 연구계획을 검토하여 적합하면 심의위원회와 실시기관에 적합여부를 각각 통보한다. 연구계획이 적합함을 통보받으면 실시기관은 임상 연구를 시작할 수 있다.

2. 첨단재생의료 임상연구의 의약품 개발 관련 제한점

희귀·난치질환자의 치료기회 확대를 위해 정부의 승인을 받은 연구에 한해 의료기관내에서 의사의 책임 하에 시행하는 첨단재생의료 임상연구는 의약품 요소가 있더라도 약사법 적용범위에서 제외되어 의료법에 따른 의료기술로 보기 때문에 연구계획 승인을 위한 자료요건은 약사법에 따른 의약품 임상시험 계획승인을 위한 자료요건과 다른 시각에서 보아야 한다. 재생의료의 특성상 동물실험의 한계 등의 이유로 첨단바이오의약품 개발에 첨단재생의료 임상연구 결과가 효용가치가 높고 또, 이 결과가 첨단재생의료 임상연구 도입의 2차 목표인 실용화, 즉 의약품 개발로 이어질 수 있도록 품목허가용 임상시험계획 승인에 준해서 자료요건을 정할 필요도 있지만 그렇기 하기 어려운 제한점이 있는데, 그 이유는 재생의료의 아직까지 안전성·유효성 근거가 부족하고 의약품으로서 품질 확립이 어렵기 때문에 자료요건을 품목허가용 임상시험계획 승인에 준해 정한다면 임상연구 승인을 받기 어려워져서 치료기회 확대라는 1차 목표를 달성하기 어렵게 된다.

연구계획 승인의 자료요건은 의료기술적으로 접근해서 치료기회 확대의 목적을 이룰 수 있게 하고, 품목허가 절차에서는 임상연구 자료도 활용 가능하도록 하되 임상연구에 사용하는 원료관리, 조작과정의 표준화 등 의약품 개발과 연계될 수 있는 활용요건을 분명히 한다면 임상연구 결과를 의약품 개발에 연계하고자 하는 연구자들은 연구의 최종 목적에 맞추어 임상연구 시행 시 필요한 자료를 준비할 수 있을 것이다. 즉, 치료기회 확대를 위한 첨단재생의료 임상연구 제도 체계에서 자료요건 등으로 임상연구를 의약품 개발에 연계시키는 데에는 제한점이 많다고 할 것이다. 그럼에도 불구하고 첨단재생바이오법의

하위 법규와 시행과정에서 만들어진 연구계획 승인을 위한 자료요건은 의약품 개발과 상당히 연계되어 있는 것으로 보인다.

첨단재생의료 임상연구 승인을 받기 위한 제출자료에 대해서는 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률 시행령」 제11조에 따라 연구계획에 ▲목표 및 실시기간 ▲위험도 자체 구분 및 첨단재생의료 임상연구의 안전성·유효성에 대한 근거 ▲사용되는 인체세포등의 종류, 채취·검사·처리·보관 절차 및 방법 ▲인체세포등의 투여 방법·경로·주기 등 실시방법 ▲연구대상자의 서면동의서 ▲연구대상자의 선정기준 및 수 ▲이상반응 발생 시의 조치 매뉴얼 등 연구대상자에 대한 안전관리 방안 ▲사고 발생 시 연구대상자에 대한 보상 대책 및 관련 규약(첨단재생의료 임상연구 중단에 따른 손실 보상에 관한 사항 포함) ▲개인정보 보호 대책 ▲연구비의 규모 및 재원 조달 방안 ▲자료의 기록, 수집 및 보관 등 관리 방안 등과 보건복지부 장관이 고시하는 다음의 자료,³¹⁾ 즉, ▲재생의료기관의 명칭 및 주소 ▲연구진들의 성명, 직책, 소속 및 첨단재생의료 분야 경력 ▲세포처리시설 등 인체세포등 수급 및 처리 계획 ▲시설·장비·인력 운용계획 ▲연구대상자가 희귀·난치질환자로 임상연구 대상으로 적합함을 설명하는 자료 ▲안전성·유효성에 대한 근거 자료(생의학적 연구결과, 고위험연구는 GLP비임상시험자료, 제출할 수 있는 경우에 한해서 과거 임상적 사용 경험 자료, 근거논문자료, 기타 안전성·유효성을 입증할 수 있는 자료³²⁾ 등)가 포함되어야 한다.

고위험연구는 식약처의 승인을 받아야 하는데 이때 제출하는 임상연구 승인신청서³³⁾에는 ▲첨단재생의료 연구계획 ▲비임상시험에 관한 결과 내용

31) 첨단재생의료 연구계획 작성·제출 및 심의 등에 관한 규정(보건복지부 고시) 제4조제1항제7호.

32) '기타 안전성·유효성을 입증할 수 있는 자료' 규정은 위 고시 제4조제1항제7호 마목으로 규정하고 있다.

33) 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」은 첨단재생의료 임상연구 부분과 첨단바이오의약품 부분이 합쳐진 법의 형태를 가지고 있으며, 이에 따라 단일한 시행령에 시행규칙이 두 개로 첨단재생의료 임상연구에 대한 「첨단재생의료 안전 및 지원에 관한 규칙」과 「첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 규칙」으로 구성되어 있다. 고위험연구는 첨단재생의료 임상연구이지만 식약처 승인사항이므로 「첨단바이오의약품 안전

및 관련 자료 ▲인체세포등의 채취·검사·처리·보관 기준에 관한 근거 자료 ▲식약처장이 정하여 고시하는 자료 등을 포함되어야 한다.

첨단재생의료 임상연구계획 심의를 담당하고 있는 보건복지부 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회 사무국에서 발간한 「첨단재생의료 연구 계획 작성 및 심의 안내(2021.7)」는 앞에서 설명한 제출자료를 자세히 안내하고 있다.

비임상시험자료의 경우, 유전자치료³⁴⁾는 유전독성자료, 유전자치료 및 ‘최소조작한 동종유래 세포치료 또는 조직공학치료’의 경우 면역독성자료, 동종유래 세포치료제는 최소조작 여부와 관계없이 발암성(종양원성) 자료³⁵⁾를 제출해야 한다. 이종세포를 이용한 치료의 경우 모든 시험자료를 제출해야 한다. 최소조작한 자가유래 세포치료는 유전독성시험, 생식발생독성시험, 발암성(종양원성)시험, 면역독성시험이 면제되며, 최소조작 자가유래 세포치료가 아닌 다른 치료³⁶⁾의 경우 앞에서 설명한 반드시 수행해야 하는 비임상시험에 추가하여 개개 첨단재생의료의 특성에 따라 필요한 비임상시험자료를 제출하여야 하며, 미제출시 그 근거를 제시하여야 한다.³⁷⁾

그리고, 품질자료에 대하여 심의위원회 사무국 안내서는 「첨단재생의료 연구계획 작성·제출 및 심의 등에 관한 규정」(보건복지부 고시) 제4조제1항제7호 마목 ‘기타 첨단재생의료 임상연구의 안전성·유효성을 입증할 수 있는 자료’가 인체세포등의 제조 및 품질에 관한 자료로 간주하고 세부자료³⁸⁾를 안내

및 지원에 관한 규칙」 제4조(첨단재생의료 임상연구의 승인)에 신청서식을 규정하고 있다.

- 34) 염색체와 직접 작용하여 유전적 변형을 일으키거나 염색체에 삽입 가능성이 있는 경우.
- 35) 줄기세포, 핵형분석시험 결과 이상이 확인된 세포등 종양형성 가능성이 있는 세포인 경우.
- 36) 재생의료에는 최소조작 자가유래 세포치료(저위험)외에 세포치료(중·고위험), 유전자치료, 조직공학치료, 융복합치료가 있다.
- 37) 첨단재생의료 연구계획 작성 및 심의 안내(2021.7)[표4 치료 종류와 연구 위험도 구분에 따른 안전성·유효성 관련 제출자료]는 비임상시험자료를 독성에 관한 자료와 약리작용에 관한 자료로 구분하고, 독성자료는 단회·반복, 유전, 생색발생, 발암성(종양원성), 기타독성(면역·국소)으로, 약리자료는 효력, 안전성약리, 흡수·분포·대사·배설 시험자료로 구분.
- 38) 구조 또는 구성성분 등에 관한 자료(인체세포등의 주요 구성성분과 지지체나 그 외의 부수적인 구성성분, 첨부용제 및 그 특성/임상연구를 위해 사용하는 분량의 설정 사유와 근거 자료), 물리화학적·생물학적 성질에 관한 자료(인체세포등의 특성, 형태, 면역화학

하고 있다.

약사법에서는 임상시험과 임상연구에 대한 자료 구분이 따로 없다. 신청주체와 목적 등이 다를 뿐이고 품질과 안전성 확보에 대해서는 달리 규정할 이유가 없기 때문이다. 세포치료제 임상연구에 대해서 품질관리 및 비임상자료가 상당히 면제되었던 것은 응급임상이 허용되었다가 폐지되고, 임상 1상과 연계하였다가 폐지되었으며, 임상연구 제출자료가 줄었다가 늘고 다시 줄었다. 이러한 여건에서도 세포치료제 임상연구 승인을 받을 수 있었으며 다수의 임상연구가 진행되었다. 이런 상황에서 제정된 첨단재생바이오법에 임상연구를 약사법에서 분리입법한 것은 재생의료의 의료기술적 특성을 고려하여 의약품적인 접근방식에서 어느 정도 벗어나고자 하는 시도였을 것으로 보인다. 그래서, 임상연구를 위한 제출자료의 범위도 비임상시험의 종류와 기준을 구체적으로 정한다거나 품질자료의 범위를 자세히 정하지 않고 의료기술적 접근이 가능할 여지를 많이 두었다.

그러나, 심의위원회 사무국이 「첨단재생의료 연구계획 작성·제출 및 심의 등에 관한 규정」(보건복지부 고시) 제4조제1항제7호 마목 ‘기타 첨단재생의료 임상연구의 안전성·유효성을 입증할 수 있는 자료’ 규정을 품질자료를 제출받을 수 있는 근거 규정으로 해석하는 것에서 볼 수 있듯이 임상연구를 의약품 시각에서 보지 않으려는 시도는 시행과정에서 많이 어긋나고 있다. 첨단재생바이오법의 취지대로 하자면 의료기술적 관점에서 새로운 자료기준을 만들어야 할 것 같지만 참조할 수 있는 다른 나라의 제도도 마땅하지 않는 것이 현실이다.

이에 따라 사무국은 비임상시험의 종류와 품질자료의 제출기준을 약사법 체계에서 본 따 제출자료의 범위를 정하고 있는데 이러다 보니 근거규정이 분

적, 생물학적 성질 등에 대한 분석 자료/인체세포등이 나타내는 치료효과 등 생물학적 영향과 특성에 관한 자료/동 자료는 부수적인 구성성분이나 첨부용제에 대해서도 제출), 제조방법에 관한 자료(인체세포등의 채취와 보관 방법 및 안전에 관한 자료/공학적 조작을 가하는 경우 방법과 영향 및 안전에 관한 자료/세포처리시설 등에서 인체세포등을 이용하는 경우 관련 자료/제조과정에서 동반 사용되는 물질의 규격과 잔류에 관한 자료/인체세포 등의 제조과정 전반에 대한 공정도 및 관리 항목).

명하지 않은 채로 시행되고 있는 실정이다.

한편, 사무국이 식약처에 송부한 고위험 임상연구 건들 중에 아직 1건도 승인되지 않아 약사법 체계 내에 있을 때보다 더 어려워졌다는 인식을 낳고 있다. 사실 약사법 체계에서는 세포치료제 임상연구는 품질과 비임상자료가 상당부분 면제가 가능했지만 첨단재생바이오법에서는 상위 법령에서는 분명히 요구하지 않은 상황에서 지침서 형태로 약사법 체계시의 자료수준보다 비슷하거나 많은 자료를 요구하고 있는 것으로 보이는데 이는 지침서의 기준이 상당히 상향되어 운영되고 있기도 하고, 임상연구 승인 시 국가 임상연구비를 지원받을 수 있는 상황이다 보니 주목도가 높아져서 식약처가 승인을 하기가 매우 신중해질 수밖에 없는 상황이기도 하다.

IV. 맺음말

재생의료가 아직까지 안전성·유효성 근거가 부족하고 의약품으로서 품질 확립이 어렵지만 생명이 위협받는 희귀·난치질환자의 치료기회 확대를 위해 ‘첨단재생의료 임상연구’를 도입하였다. 본질적인 특성상 재생의료는 ‘이식’이라는 의료기술 또는 의료행위라는 관점에서 의약품(제품)적 규제가 재생의료 활성화에 장애가 된다는 시각에서 첨단재생의료 임상연구를 약사법에서 분리한 것은 재생의료에 대한 규제를 의료기술적으로 접근하기 위해 의도였다고 볼 수 있다.

재생의료에 대한 규제역사는 의약품적 규제와 의료기술적 규제의 줄다리기로 해도 과언이 아닐 것이다. 첨단재생바이오법 제정이전에는 약사법 체계에서 관리되고 있었지만, 과학적 근거에 대한 충분한 연구가 부족한 상태에서 난치질환에 대한 근본적 치료술이 될 것이라는 높은 사회적 기대에 기대어 비용 청구가 가능한 응급임상을 허용하기도 하였으며, 임상연구 승인을 위한 제출 자료를 여느 의약품과 달리 상당히 면제해 주기도 하였다. 이는 재생의료에 대하여 의료기술적 접근이 익숙한 의료계의 분위기도 한몫했다고 할 수 있다.

희귀·난치질환자의 치료기회 확대라는 명분을 내세웠지만 첨단재생바이오 법은 지금까지 약사법 체계에서 규제가 고무줄처럼 강화되기도 하고 완화되기도 했던 것을 되풀이 하지 않도록 별도 법으로 분리하여 의료기술적 시각에서 규율할 수 있도록 하여 의약품 수준으로 품질관리 및 안전성 시험 자료가 충분하지 않더라도 임상연구를 할 수 있도록 하는 의도였다고 볼 수 있다.

그러나, 실제 시행과정에서 임상연구계획 승인을 위한 제출자료는 법령 근거가 미흡한 상태에서 지침형태로 약사법에 준해서 자료범위를 정하고 있다. 이는 법 제정 취지대로 첨단재생의료 임상연구를 환자치료 확대를 위해 의료행위적 관점에서의 접근과 의약품 개발에 대한 약사법의 규제 관점이 뒤섞이면서 혼선이 일어나고 있다고 볼 수 있다.

이러한 혼선이 일어나지 않도록 하려면 치료기회 확대를 위한 첨단재생의료 임상연구의 정체성을 고려할 때 의약품 개발과 연결하는 데는 제한점이 있음을 인식하고 첨단재생의료 임상연구를 치료기회 확대라는 본연의 정체성을 지키고, 한편으로 품목허가 시 임상연구 결과를 활용할 수 있도록 하면서 활용요건을 구체화해야 한다. 이를 통해 실용화가 기대되는 첨단재생의료 임상연구를 진행하는 연구자가 향후 품목허가신청을 고려하여 임상연구 시료 개발·생산부터 기업과 협력하는 방안을 강구할 수 있게 하는 등 시장의 힘과 임상연구자의 자발적인 동기로 임상연구 승인을 위한 기본요건보다 필요한 자료를 더 준비할 수 있도록 해야 한다.

[참 고 문 헌]

- 강현, “의료행위의 특허보호에 관한 연구”, 『아주법학』 제12권 1호, 2018.
- 김민우, “첨단재생의료법의 입법동향과 시사점”, 『생명, 윤리와 정책』 제3권 2호, 2019.
- 이세정·정명운, “신성장분야 규제법제개선연구(II)”, 『연구보고』 18-07, 2018.
- 기획재정부 보도자료, “유망 서비스산업 육성 중심의 투자활성화 대책 발표.” 2014년 11월 8일.
- 보건복지부 보건복지상담센터(www.129.go.kr)의 자주하는 질문 “의료행위란 무엇인가요?”.
- 보건복지부, 『첨단재생의료 연구계획 작성 및 심의 안내』, 2021.
- 보건복지부, 『첨단재생의료 연구계획 작성·제출 및 심의 등에 관한 규정』(개정 2021. 4.28. 고시).
- 식품의약품안전처, 『첨단바이오의약품 제제별 분류 해설서』, 2000.
- 식품의약품안전처, 『생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정』(개정 2016.2.16. 고시).
- 한겨레신문, “응급입상 요건 까다로워진다.” 2006년 1월 16일.
- S&T GPS 글로벌 과학기술정책정보서비스(now.k2base.re.kr) 이슈분석 76호.
- FDA/NOVARTIS, CTL019(tisagenlecleucel)(In pediatric and young adult patients with relapsed/refractory B-cell acute lymphoblastic leukemia), 2017.
- Natividad Cuende, Christelle Boniface, Christopher Bravery, “The puzzling situation of hospital exemption for advanced therapy medicinal products in Europe and stakeholders' concerns”, cytotherapy, Volume 16, Pages 1597-1600, Issue 12, December 2014.

[국문초록]

첨단재생바이오법의 제정 의의와 제한점

손성구(동국대학교 약학대학 박사과정)

권경희(동국대학교 약학대학 교수)

첨단재생바이오법의 제정 의의는 본질적으로 ‘이식’이라는 의료행위인 재생의료를 약사법 규제에서 벗어나 의료기술적 접근으로 환자치료기회를 확대하는 데 있다. 그러나, 법이 시행된 지 1년여가 지난 상황에서 식약처가 승인하는 고위험연구는 1건도 승인되지 않고 있는 등 임상연구가 활성화되지 않고 있다. 그 이유는 환자치료기회 확대를 위한 법률 취지에도 불구하고 법률적 근거가 미흡함에도 임상연구 승인을 위한 자료요건을 의약품 개발과 연결하여 정하고 있어 많은 연구자들이 자료요건을 맞추기가 어려운 실정이다. 법 제정 이전 약사법 체계 내의 세포치료제 임상연구를 위한 제출자료는 품질 및 비임상시험 자료가 상당히 면제되었지만, 첨단재생바이오법이 시행되면서 임상연구 계획 승인신청 시 품질 및 비임상시험자료를 의약품에 준해 요구하고 있다. 이를 바로잡으려면 치료기회 확대를 위한 첨단재생의료 임상연구의 정체성을 고려할 때 의약품 개발과 연결하는 데는 제한점이 있음을 인식하고 첨단재생의료 임상연구의 정체성을 지키고, 한편으로 품목허가 시 임상연구 결과를 활용할 수 있도록 하면서 활용요건을 구체화하여 시장의 힘으로, 임상연구자의 자발적인 동기로 임상연구 승인을 위한 기본요건보다 필요한 자료를 스스로 준비할 수 있도록 해야 한다.

주제어: 첨단재생바이오법, 재생의료, 임상연구, 줄기세포치료, 의료기술

Study on Significance and limitations of the Enactment of the Advanced Regenerative Bio Act

Seong Goo Sohn

Student, College of Pharmacy, Dongguk University

Kyeng Hee Kwon

Prof. College of Pharmacy, Dongguk University

=ABSTRACT=

The significance of the enactment of the 「Act On The Safety Of And Support For Advanced Regenerative Medicine And Advanced Biological Products」 is to break away from the regulation of the Pharmaceutical Affairs Act and expand patient treatment opportunities through a medical technology approach to regenerative medicine, which is essentially a medical practice called ‘transplantation’. However, more than a year after the law was enacted, clinical study has not been activated, with not a single high-risk study approved by the Ministry of Food and Drug Safety being approved. The reason is that despite the legal purpose of expanding patient treatment opportunities, the data requirements for clinical study approval are set in connection with drug development despite the insufficient legal basis, making it difficult for many researchers to meet the data requirements. Prior to the enactment of the Act, submitted data for clinical study on cell therapy products within the Pharmaceutical Affairs Act were considerably exempted from quality and non-clinical test data, but with the enforcement of the Advanced Regenerative Bio Act, quality and non-clinical test data are required in accordance with pharmaceuticals when applying for approval of a clinical study plan. To rectify this, when considering the identity of clinical study on advanced regenerative medicine to expand treatment opportunities, recognize that there are limitations in connection with drug development. And it is necessary to preserve the identity of clinical study on advanced regenerative medicine, and on the other hand, in the case of drug product approval, clinical study results should be

utilized while specifying usage requirements. Therefore, with the power of the market and the voluntary motive of the clinical researcher, it is necessary to prepare the necessary data by themselves rather than the basic requirements for clinical study approval.

Keyword : Advanced regenerative bio act, investigator initiated trial, clinical study of advanced regenerative medicine, stem cell therapy, medical technology