

# KPBMA Brief

2025. 05. Vol. 28  
한국제약바이오협회 정책보고서

## [협회 창립 80주년 특별기획] 신약개발 선도국 도약, K-Pharma의 극복과제

### 특별기고

- 신약개발 선도국 도약, 어떻게 할 것인가  
이관순 협회 창립80주년기념사업 추진 미래비전위원장

### 신약강국 도약의 필수조건

- 신약 개발 강국으로 가는 길  
오세웅 유한양행 부사장
- 바이오텍이 바라본 '신약강국의 길'  
이동기 올릭스 대표이사
- 대한민국 자본의 토양, 혁신의 씨앗을 틔울 수 있을까?:  
벤처캐피탈의 시선으로 본 신약강국의 길과 자본시장의 과제  
문여정 IMM인베스트먼트 전무
- 약가 정책의 전환점에서 :  
제약산업 혁신 생태계 조성을 위한 제언  
김진이 보령 상무
- 시가 바꾸는 신약개발의 미래  
표준희 한국제약바이오협회 시신약융합연구원 부원장
- 민·관·산·학·연이 만들어가는 신약강국  
이원규 오송첨단의료산업진흥재단 신약개발지원센터  
바이오구조설계팀장

- 글로벌 신약 강국의 조건:  
주요국의 정책 성공과 실패에서 얻는 교훈  
이강복 한국 아이큐비아 상무
- 글로벌 무대에서 바라 본 한국 제약바이오산업의 한계와 도전  
김성기 KASBP(재미한인제약인협회) Sponsorship Director

### 이슈진단

- 첨단 자율화 연구시스템과 AI 신약개발  
표준희 한국제약바이오협회 시신약융합연구원 부원장
- 약가인하정책이 제약기업의 성과와 행태에 미치는 영향  
강창희 중앙대학교 경제학부 교수, 전현배 서강대학교 경제학과 교수,  
최윤정 연세대학교 경제학부 교수
- 디지털 제약회사가 만드는 디지털 신약  
강성지 웰트 대표
- RWD/RWE 외부대조군 활용 동향 및 시사점  
최남경 이화여자대학교 융합보건학과 교수

### 정책제언

- 대한민국의 건강한 미래를 위한  
제21대 대선 제약바이오 정책공약 제언  
한국제약바이오협회

특별  
기고

## 신약개발 선도국 도약, 어떻게 할 것인가?



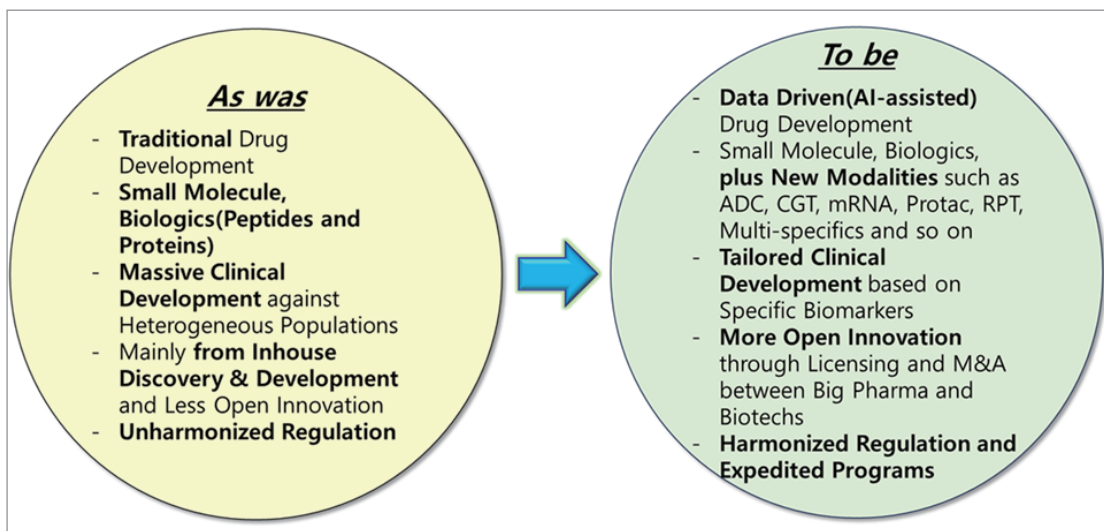
이관순 한국제약바이오협회 창립80주년기념사업 추진 미래비전위원장

## 글로벌 환경변화와 우리의 현주소

1945년 해방 직후 최초의 제약단체로 ‘조선약품공업협회’가 창립되어 오늘의 ‘한국제약바이오협회’로 발전되어 온 지도 벌써 80주년이 되었다. 그동안 우리나라의 제약바이오 산업은 초기의 수입약 일변도에서 생산역량을 확충하여 의약품의 자립도를 높이고, 품질역량을 높여 선진국 수준에 근접하는 양질의 의약품을 생산·공급하고 있으며, 일부는 선진국 시장에도 진출하여 시장 지배력을 확대하고 있다. 1987년 물질특허 도입을 계기로 신약개발에 대한 투자도 지속적으로 늘려

나가면서 신약개발 역량을 강화하였고, 현재까지 38개의 국산신약이 신약 허가를 받는 성과도 이루어 졌다. 하지만, 전세계 의약품 시장의 약 1.6%에 한정된 국내 시장에 대부분 의존하는 산업의 특성상 성장에 한계를 지니고 있으며, 신약개발을 통한 글로벌시장 진출은 아직도 요원해 보인다. 본 고에서는 이러한 제약바이오 산업이 미래의 성장을 위해 어떻게 도약해 나갈지 논의해 보기로 한다.

〈그림 1〉 글로벌 신약개발 패러다임의 변화



## 1) 글로벌 신약개발 패러다임의 변화

최근 글로벌 신약개발의 패러다임은 AI(인공지능)의 발전, 새로운 바이오마커를 통한 특정 환자군에 대한 임상을 통한 치료율의 획기적 개선, 그리고 기존의 합성의약품과 단백질 의약품 위주에서 새로운 모달리티(예. ADC, CGT, RNA, Protac, RPT, Multi-specific Antibodies 등) 약물로의 치료 방법의 변화로 새로운 혁신의 전기를 맞고 있다. 또한 각국 규제당국의 허가 제도 조화 및 다양한 신속승인 제도의 시행으로 아직 치료제가 없거나 불충분한 분야의 신약개발을 보다 효율적이고 속도감 있게 진행할 수 있는 전기가 마련되고 있다.(그림 1)

특히, 전세계 신약개발을 주도하고 있는 글로벌 빅파마들은 다양한 방법의 오픈 이노베이션을 통해 신약 파이프라인을 확보하는데 전력을 기울이고 있다. 이들이 확보하고 있는 신약 파이프라인들은 초기나 후기단계를 가리지 않고 미래의 혁신과 자체 거대 품목의 특허만으로 인한 공백을 조기에 메우기 위해 공동연구, 라이선스, M&A, 조인트벤처 설립 등 가리지 않고 진

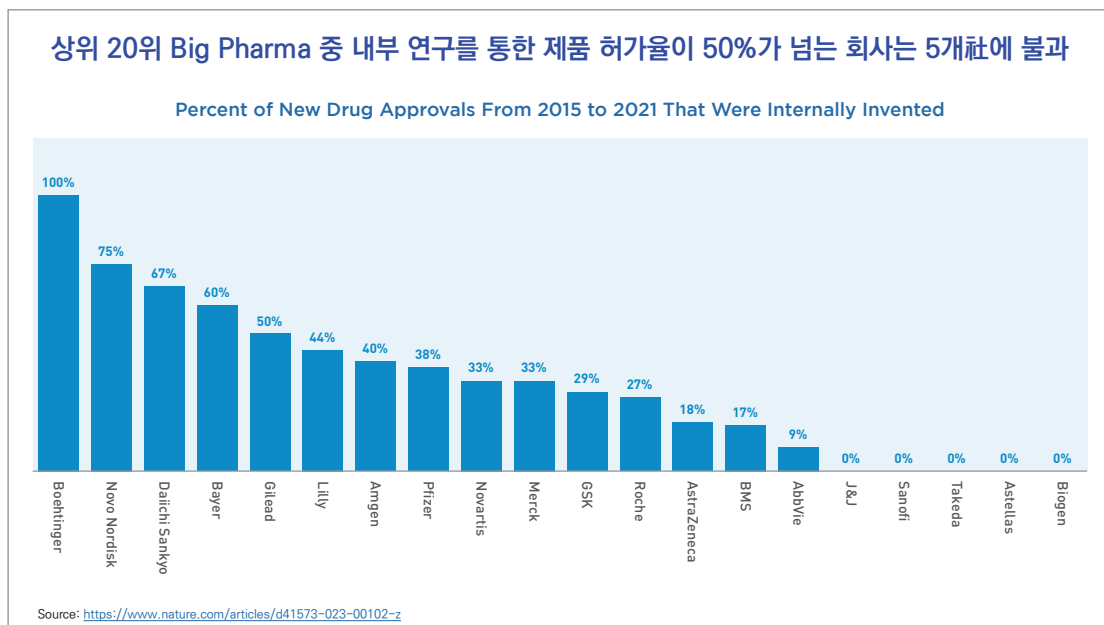
행된다. 한 통계에 의하면 세계 상위 20대 제약회사가 2015~2021년(7년간) 동안 허가 받은 신약 중 내부에서 발명된 신약의 비중이 50%가 넘는 회사는 5개에 불과했고, J&J, 사노피 등 4개 회사는 100% 외부로부터 도입된 신약들이었다. (그림 2)

## 2) 신약개발의 생산성 향상을 어떻게 이루여 낼 것인가?

매년 신약개발의 생산성이 떨어지고, 기대 수익은 정체 또는 감소하고 있다. 특히, 글로벌 신약개발 비용은 2014년 14억 달러에서 2020년에는 25억 달러로 무려 78%나 상승하였고, 동기간 임상시험 기간도 6.15년에서 7.14년으로 16% 증가하였다. 반면, 신약 파이프라인 당 예상 최고 매출액은 감소 또는 정체 상태이다.(그림 3)

이러한 생산성 감소를 해결하기 위해 다양한 형태의 오픈 이노베이션 확대(License-in, Collaboration Research, JV, M&A)가 이루어 지고 있으며, 특히 새로운 모달리티 기업과의 제휴, 혁신기술에 대한 조기선

〈그림 2〉 글로벌 상위 20대 제약회사의 허가 신약 중 내부 발명 신약의 비율 (2015~2021 허가 신약 분석)



점, AI 등 신약개발 효율화를 위한 방법들을 다양하게 도입하며 신약개발 생산성을 높여 나가는데 총력을 기울이고 있다. 특히, 개발 초기 단계부터 목표 적응증을 분명하게 설정하여 신약의 상업적 성공을 위한 총력을 기울여 나가고 있다.

### 3) 신약개발 R&D, 우리의 현주소

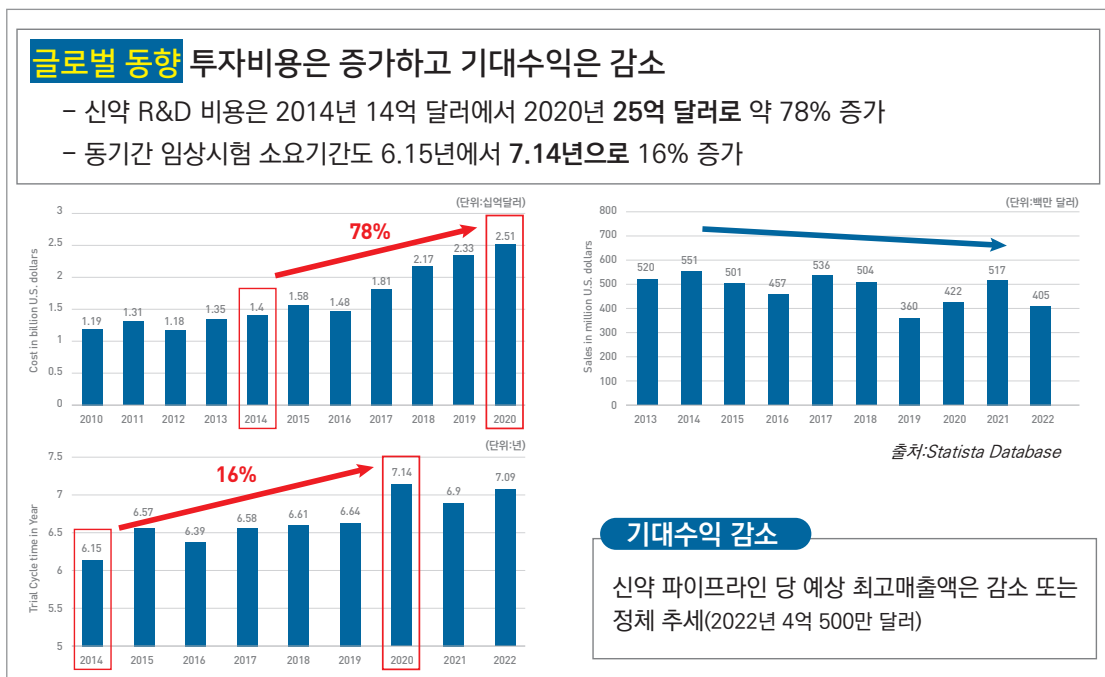
R&D 투자면에서 국내 제약바이오 기업과 글로벌 제약기업 간의 격차는 매우 크다. 국내 R&D 투자 1위 기업은 약 4,000억원인데 반해 글로벌 1위 기업은 약 17조원으로 40배 이상 차이가 난다. 국내 상장 제약바이오 기업의 2023년 총 R&D 투자액 역시 약 4.7조원으로 글로벌 1위 기업의 1/4 정도에 불과하다. 첨단기술 측면에서는 국내 파이프라인 중 신규 모달리티의 비율이 32%인데 반해, 글로벌 기업의 신규 모달리티 비율은 48%로 양적 격차는 적으나, 자본력이나 임상경험이 열세인 상황이다. AI 신약개발에서도 국내 제약바이오 기업은 글로벌 제약기업과 비교할 때 기술과 자금력, 그리고 협력에서도 격차가 커서 단기적으로 글로벌 수준의

경쟁력 확보가 어려울 전망이다. 다행인 것은 지난해 보건복지부, 과학기술정보통신부 주관으로 산학연이 폭넓게 참여하는 민관협력 AI 신약개발 플랫폼 구축사업인 “K-MELLODDY 사업단”이 출범하여 앞으로 성공적인 플랫폼이 구축된다면 국내 제약바이오 기업의 신약개발 효율화에 크게 기여할 것으로 기대된다.(그림 4)

### 4) 국내 제약바이오 산업의 긍정적인 시그널들

1999년 제1호 국내개발 신약인 선폴라주 허가 이후로 매년 1~2개의 신약이 허가되어 현재까지 39개의 국산신약이 허가되었다. 이들 중 일부는 시장성이나 안전성 측면에서 시장에서 철수된 것들도 있고, 현재는 24종만이 지속 판매중이다. 이들 24종의 2023년 기준 총 생산금액은 6,800억원 정도 규모로 국내 전체 의약품 시장 규모의 약 2%에 불과하지만 매년 두 자릿수의 높은 성장률을 보이고 있다. 이들 중에서 연간 1,000억원 이상 생산하는 품목도 4종(케이캡정, 카나브 패밀리, 제미글로 패밀리, 렉라자정)으로 매년 증가하고 있으며, 이들 국산 신약의 해외진출도 적극적으로 진행되고 있다. 특히,

〈그림 3〉 최근 글로벌 신약개발 생산성 추이



유한양행의 렉라자정은 안센에 라이선스-아웃된 이후에 리브리반트와 병용요법으로 지난해 미국 및 유럽에서 폐암치료제 신약으로 허가되어 국산신약 최초의 블록버스터 등극을 눈앞에 두고 있다. 삼성바이오로직스, 셀트리온 중심으로 진행되는 바이오시밀러 개발도 활기를 띠고 있다. 이미, 미국에 10종(16품목), 유럽에 11종(19품목)이 허가를 받아 현재 시장확대에 적극적으로 나서고 있어 이들 중 일부품목은 조만간 블록버스터에 등극할 것으로 예상된다. 다양한 모달리티의 신약 CDMO도 활기를 띠고 있고, 항체, ADC, CGT, RNA, Peptide, Small Molecule 등에서 수준 높은 CDMO Service를 제공하고 있어, 국내 신약개발 제약바이오 기업의 경쟁력 확보에 큰 역할을 할 것으로 여겨진다. 또한, 최근에는 기존 신약개발에 뛰어든 삼성, LG, SK 바이오사이언스에 더해 HD현대, CJ, GS, 오리온 등이 신약개발에 적극적으로 뛰어들어, 한편으로는 기존 제약바이오 기업들과 경쟁체제를 이루겠지만, 장기적으로는 규모의 경제를 실현하여 우리나라의 신약개발 역량을 키우는데 긍정적인 역할을 할 것으로 기대되고 있다.(그림 5)

## 도전과제와 극복방안

국내 제약바이오산업의 글로벌 신약개발과 관련하여 많은 긍정적인 시그널도 존재하지만, 여전히 더 많은 도전과제에 직면하고 있다. 혁신의 마중물 역할을 하는 바이오벤처기업 창업이 코로나 팬데믹 종료 이후 눈에 띄게 감소하고 있으며, 상장, 비상장을 불문하고 신약개발에 자본의 유입이 대폭 감소하고 있다. 국내에서의 신약에 대한 혁신가치 인정이 제대로 되지 않아 궁극적으로 이들 신약의 해외 진출에 많은 제약을 주고 있으며, 전통 제약회사들의 상당부분은 신약개발에 투자하기 보다는 여전히 손쉬운 제네릭 경쟁을 통한 외형 확대에만 열을 올리고 있다. 범 국가적 차원에서 미래 먹거리 산업인 신약개발에 필요한 우수 인재육성은 아직도 턱없이 부족한 상황이다. 이러한 과제들을 정부와 민간이 함께 머리를 맞대고 슬기롭게 극복해야만 신약개발 선도국으로의 진입이 가능할 것으로 판단된다.

〈그림 4〉 K-MELLODDY 사업단 체계도



### - AI 협력 : K-MELLODDY 프로젝트

- 민관 협력 AI 신약개발 플랫폼 구축사업
- 정부지원 : 보건복지부, 과학기술정보통신부
- 민간참여 : 제약기업(9곳), AI벤처(4곳+α), 대학(8곳), 연구소(5곳)

〈그림 5〉 국내 대기업의 제약바이오 산업 진출 현황



## 1) 자본시장 활성화와 선별적 벤처 창업 및 육성

최근 3년간 통계를 보면 바이오헬스 분야에 매년 9,000억원에서 1조 7,000억원이 투자되고 있는데 이중에서도 신약개발에 투입되는 규모는 20%이하로 추정되고 있다. 장기간 대규모 투자가 필요한 신약개발의 특성상 단계별 위험관리가 필요하고, 성공확률이 매우 낮은 산업의 특성으로 인해 자본시장에서 외면 받고 있는 상황이 오랫동안 지속되고 있다. 1990년대 이후 최근까지 약 6,000여개의 바이오벤처가 창업되었고, 특히 2015년부터 최근까지 기하급수적으로 창업이 증가하다가 최근들어 자본시장이 얼어붙으면서 창업이 급감하고 있다.(그림 6)

## 2) 신약의 혁신가치 합리적 반영

현재 전세계 선진국에서는 신약에 대한 혁신가치를 부여하여 신약개발을 장려하고, 성공시에 성과보상을 지원하는 체계를 유지하고 있어 선진국들이 지속적으로 신약개발의 주도권을 유지해 나가고 있다. 우리나라의 경우에는 유사약품을 선정함에 있어 판매된 지

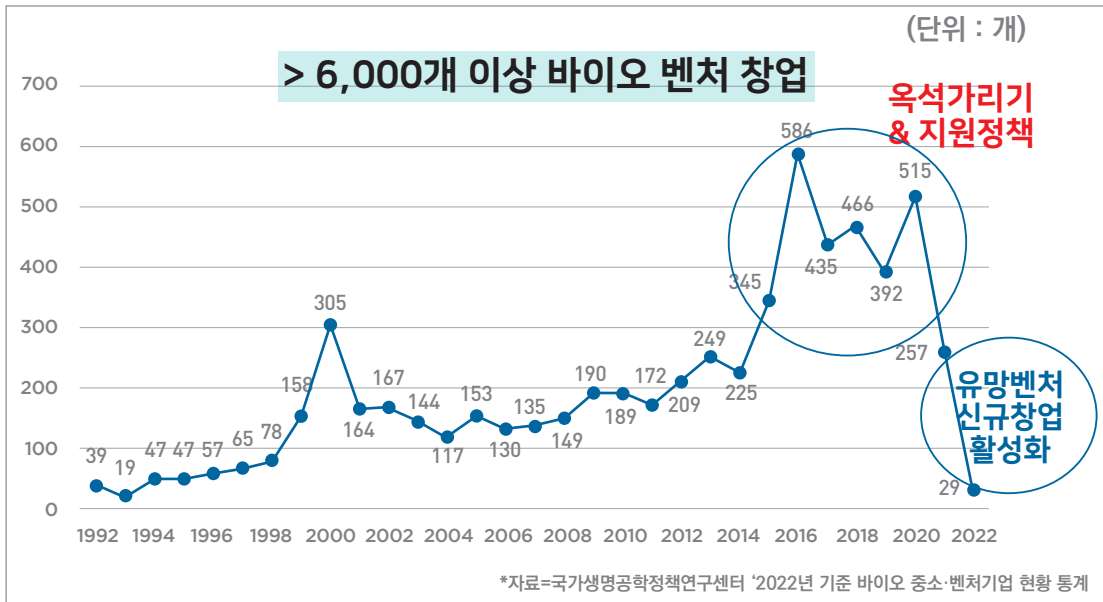
아주 오래된 의약품도 그 대상으로 하고 있어 혁신가치를 제대로 인정받기가 어려운 상황이다. 특히, 국내 개발된 신약이 해외로 진출하는 경우에 국내의 약가가 발목을 잡아서 해외진출이 어려워 지는 경우가 많은 것이 사실이다. 최근 일부 의약품에 “이중가격제도” 등이 도입되고 있으나, 이를 신약 전체로 확대해야 하고, 또한 일본처럼 특허기간 동안 약가인하분을 적립하여 특허만료 후 일괄 적용하는 “약가인하 적립제” 등도 긍정적으로 검토되어야 한다. 또한, 신약 R&D에 투자된 연구개발비를 약가산정에 반영하는 “연구개발비용 가산제도” 등도 폭넓게 검토하여 신약의 혁신가치를 합리적으로 약가에 반영하여 신약개발을 더욱 더 활성화 시키는 노력이 필요하다.

## 3) 제약바이오 산업의 체질개선 및 신약개발 활성화

현재 국내 제약바이오 기업들은 영세한 매출 및 이익의 규모나 전문인력의 부족 등으로 적극적인 신약개발 투자를 하기가 쉽지 않은 상황이다. 하지만, 현재의 제네릭 위주의 제약바이오 산업을 신약개발 위주로 재



〈그림 6〉 바이오 벤처 창업 동향 및 활성화 방안



편을 해야만 미래를 담보할 수가 있다. 가까운 중국의 제약바이오 육성사례는 우리나라의 제약바이오 산업을 구조적으로 개편하는데 많은 시사점을 던져주고 있다. 중국정부는 2011년 제12차 경제개발 5개년 계획때부터 최근까지 연속적으로 제약바이오 산업을 핵심산업군으로 분류하여 중앙정부 및 지방정부에서 이를 장려하기 위한 인센티브 정책을 수립하여 시행해 왔다. 특히, 2016년부터 2020년까지 제13차 5개년 계획 시행 결과로 제약바이오 산업은 타산업 대비 높은 연평균 9.5% 성장률을 기록하였고, 개발중인 신약의 갯수는 미국에 이어서 Global 2위로 상승하였다. 신약임상 건수도 1,000여건, 동기간 중국에서 개발된 신약도 47건(연평균 약 10건)으로 이전 5년간 대비하여 배가 성장을 이루었다. 이러한 정책의 결과로 최근에는 연간 라이선스-아웃 금액이 2024년 기준으로 350억불을 상회하는 큰 성과를 이루어 내고 있으며, 글로벌 신약개발 시장에서 무서운 속도로 성장하고 있다.(그림 7. 최근 중국의 신약 License-in 및 License-out 금액 추이)

국내에서도 K-바이오 백신 펀드, 국가 신약개발 지원자금(국가신약개발사업단 과제 등)이 국내 신약개발

우수과제에 집중적으로 투입되어 중국과의 격차를 빠르게 해소하고, 첨단기술 분야의 신약개발에서 글로벌 선도국가로 발돋움 할 수 있기를 기대해 본다.

#### 4) 신약개발 인재 수요-공급 불일치 해소

제약바이오 분야의 전문인력에 대한 수요-공급 불균형은 날로 심화되어 가고 있다. 최근 정부의 자료에 의하면 2023~2027년 융복합 기술 발전 등으로 바이오 헬스 분야에 약 11만명의 신규수요가 발생하는데 공급은 이중의 1/3정도인 3.4만명에 그쳐 7.6만명의 인력이 부족할 것으로 내다 보고 있다. 맥킨지 보고서에 따르면 미국의 경우에도 2025년 생명공학-제약 분야에 약 60%의 인력부족이 예상되며, 제약기업의 약 80%가 기술 불일치에 직면하게 될 것임을 경고하고 있다. 최근 보건복지부의 바이오헬스 인재 수요-공급 대응 전략기획 자료에 따르면 제약바이오 산업 직무별 인재수급 불일치 1순위 기술은 인공지능이 초기에서 후기까지 모두 부족할 것이라고 내다보았고, 유전자 세포치료제의 경우 전임상 시험 및 제조 및 생산이 1순위 기술로 분석되었다. 이러한 인재부족 현상을 근본적으로 해

결하기 위해서는 기업, 대학, 연구소, 정부가 협력하여 창업을 지향하는 프로젝트형 인재양성 프로그램을 신설하고, 첨단산업 인재혁신 특별법에 의해 운영되는 첨단산업 아카데미에 ‘제약바이오 아카데미’를 신설하고 범국가적 신약개발 전문인재 양성 플랫폼을 구축해 나가는 것이 필요할 것으로 판단된다.

## 신약개발 선도국 도약 전략

미국 및 유럽 등 선진국들의 혁신신약 질주와 정부의 적극적인 지원을 받고 있는 중국 제약바이오 기업들의 분발 등으로 인해 대외적으로 우리나라의 신약개발의 미래는 그리 순탄치만은 않을 전망이다. 게다가 대내적으로는 자본시장의 어려움으로 인해 바이오 벤처들이 혁신의 속도경쟁을 해 나가는데 많은 어려움에 봉착해 있다. 전통 제약회사들 또한 연속적인 약가인하 정책으로 신약개발 투자여력이 녹록치 않은 상황이다. 이렇게 어려운 상황에서도 국내 제약바이오 기업들의 신약 개발 투자는 지속적으로 증가하고 있으며, 혁신 바이오벤처기업들의 글로벌 성과도 꾸준히 창출되고 있다. 최근 정부는 대통령 직속 ‘국가바이오위원회’를 출범시키는 등 많은 노력을 기울이고 있어 범국가적인 자원을 효율적으로 투입한다면 머지않아 우리나라가 신약개발 글로벌 선도국가로 도약할 수 있을 것으로 생각된다.

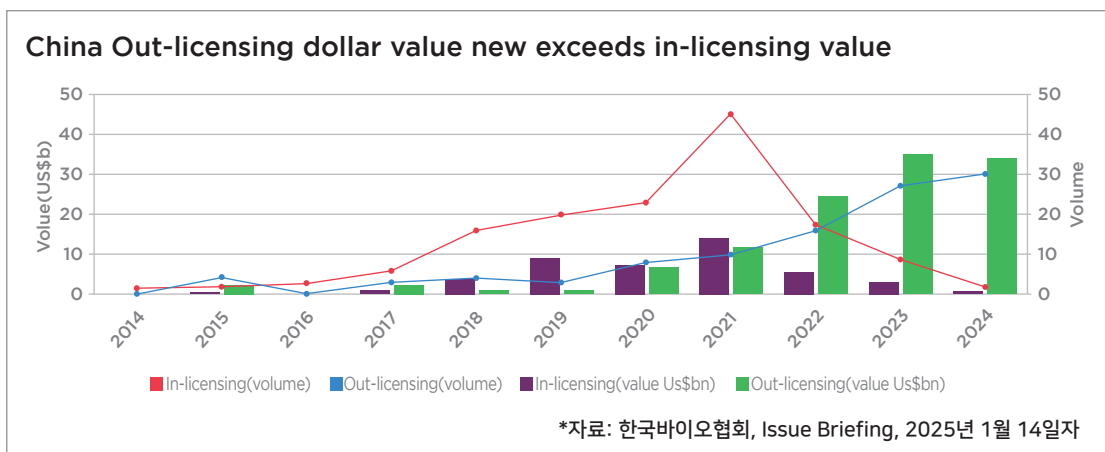
## 1) 국가차원의 신약개발 아젠다 상설운영 및 실행기구 마련 필요

우선, 국가바이오위원회에서 ‘신약개발’을 국가의 미래 성장동력으로 정하고 이를 국가차원에서 효율적으로 실행할 수 있는 기구의 마련이 시급하다. 이를 통해서 블록버스터급 신약개발 과제를 발굴하고, 이에 필요한 자원을 확보하고 체계적으로 지원하는 것이 필요하다. 이러한 과정에서 과거 중국정부가 제약바이오 산업을 어떻게 육성했는지 참고하는 것이 필요하며, 인프라 확충, 인재육성, 신약개발 자금의 확보방안 등을 종합적으로 검토하여 실행할 수 있도록 정부가 컨트롤 타워 역할을 하여야 한다.

## 2) 바이오-제약 이어달리기 프로그램 적극 가동

민간에서는 각 주체들이 어느단계에서 가치를 창출해 낼 수 있을 지 끊임없는 고민이 필요하다. 한정된 자원, 개발속도를 고려하여 잘할 수 있는 분야에 집중하는 것이 필요하다. 학·연 → 바이오텍 → 국내 제약회사 → 글로벌 제약회사로의 성공적인 이어달리기를 통해 혁신을 위한 자원의 규모를 높이고(Scale-up), 혁신의 속도를 높여(Speed-up) 나갈 때 글로벌 경쟁에서 이길 수 있을 것이다. 이러한 이어달리기 프로그램에 정부의 정책펀드, 신약개발

〈그림 7〉 최근 중국의 신약 라이선스-인 및 라이선스-아웃 금액 추이





〈그림 8〉 국내개발 블록버스터 의약품 후보물질 군(예시)

|                  |  |
|------------------|--|
| 후기임상<br>~승인      | <div>렉라자-아미반타말<br/>(유한 → 얏센)</div> <div>바토클리맷<br/>(&amp; IMVT-1402)<br/>(한울 → IMVT)</div> <div>Efpinopeg-dutide<br/>(한미 → MSD)</div> <div>Hybrozyme Platform<br/>(알테오젠 → 다수)</div> <div>티굴릭소스타트<br/>(통풍치료제)<br/>(LG화학 자체개발)</div>  |
| 전임상~초기임상         | <div>CKD510<br/>(HDAC6 Inhibitor)<br/>(종근당 → 노바티스)</div> <div>LB54640<br/>(MC4R agonist)<br/>(LG화학 → Rythm)</div> <div>ABL301<br/>(퇴행성 뇌질환)<br/>(ABL Bio → Sanofi)</div> <div>ORM-6151<br/>(혈액암 치료제)<br/>(Orum → BMS)</div> <div>LCB84<br/>(TROP2-ADC)<br/>(리가켄바이오 → 얏센)</div> <div>LCB97+Platform<br/>(L1CAM)<br/>(리가켄바이오 → Ono)</div> <div>OLX702A<br/>(si-RNA, MASH)<br/>(올릭스 → 릴리)</div> |
| 바이오시밀러<br>/바이오베터 | <div>Botox<br/>(대웅 등 다수)</div> <div>Remicade Biosimilar<br/>(셀트리온, 삼바)</div> <div>Herceptin Biosimilar<br/>(셀트리온, 삼바)</div> <div>Avastin Biosimilar<br/>(셀트리온, 삼바)</div> <div>Humira Biosimilar<br/>(셀트리온, 삼바)</div>   |

지원자금 등이 집중적으로 투입될 수 있도록 제도를 개선해 나가야 한다.

### 3) 비전 2030 목표달성으로 신약개발 선도국으로 도약

이번 제약바이오협회 창립 80주년을 맞아 첫번째 목표를 신약개발 선도국 도약으로 설정하였고, 세부 목표로는 2030년 1) 신약 R&D 투자 매출액 대비 15%이상 2) 글로벌 블록버스터 신약(매출 1조원 이상) 5종 창출로 잡았다. 매우 도전적인 목표로 보이기는 하지만 이미 우리나라는 블록버스터 의약품 후보물질을 15종 이상 다수 확보하고 있으며(그림 8 참조), 국가가 중심이 되어 최선의 노력을 경주한다면 신약개발 선도국 도약이 충분히 가능하리라 생각한다. 이제, 국내 제약바이

오 산업에서 글로벌 신약개발은 선택이 아닌 생존의 문제이다. 국가가 앞에서 끌어주고 민간에서 적극적인 신약개발 노력을 기울인다면 2030년 신약개발 선도국으로의 도약은 물론, 우리나라가 신약강국으로 우뚝 설 수 있으리라 확신하면서 글을 맺고자 한다.

#### [참고자료]

1. <https://www.nature.com/articles/d41573-023-00102-z>
2. Statistica Database
3. 국가생명공학 정책연구센터 '2022년 기준 바이오 중소·벤처 기업 현황 통계'
4. 한국바이오협회, Issue Briefing, 2025년 1월 14일자

## 신약 개발 강국으로 가는 길



오세웅 유한양행 부사장

### 신약 개발은 초고위험, 초고수익

고위험, 고수익 (high risk, high return), 신약 개발을 정의하는 대표적인 문구 중 하나다. 지난 30여년간 신입 연구원으로 시작해 오롯이 신약개발이라는 한 가지 직무에만 종사해온 필자의 경우 수십여개의 신약연구개발 과제에 참여하였으나, 그중에서 임상시험에 진입한 과제는 한손으로 꼽을 수 있으며 식약처 및 FDA 승인을 받은 과제는 폐암치료제 레이저티닙(렉라자®, Lazcluze®)이 유일하다. 그렇기에 필자는 신약개발은 초고위험, 초고수익 사업이라고 부르고 싶다.

하지만 이러한 경험도 다른 많은 연구자 분들에 비하면 흔치 않은 높은 확률이었기에 감사할 따름이다. 이렇듯 성공하면 큰 수익이 보장되지만, 10~15년의 기간과 막대한 비용이 소요되는 신약개발의 강국이 되기 위해 우리는 어떤 전략으로 무엇을 해야 할까?

2023년 보건복지부는 바이오헬스 글로벌 중심국가 도약을 위한 제3차 제약바이오산업 육성·지원 종합계획(2023~2027년)을 수립하고 발표하였으며, 비전과 목표는 다음과 같다. 대한민국이 제약바이오 강국이 되기 위해 고심해서 선정한 중기 계획이다.

| 비 전 | 제약바이오 글로벌 중심국가 도약  |
|-----|--|
| 목 표 | <ul style="list-style-type: none"> <li>▶ 글로벌 블록버스터급 신약 창출 <ul style="list-style-type: none"> <li>· 블록버스터 신약 : ('22) 0개 → ('27) 2개(누적) → ('30) 3개(누적)</li> </ul> </li> <li>▶ 글로벌 수준의 제약바이오 기업 육성 <ul style="list-style-type: none"> <li>· 글로벌 50대 제약사 : ('22) 0개 → ('27) 3개(누적) → ('30) 5개(누적)</li> </ul> </li> <li>▶ 의약품 수출 2배 달성 <ul style="list-style-type: none"> <li>· 의약품 수출액 : ('22) 81억 달러* → ('27) 160억 달러</li> <li>* '22년 수출액(22년부터 체외진단기기가 의약품에서 의료기기로 분류)</li> </ul> </li> <li>▶ 제약바이오 산업 양질의 일자리 창출 <ul style="list-style-type: none"> <li>* 제약바이오 일자리 : ('21) 12만 개(누적) → ('27) 15만 개(누적) → ('30) 18만 개(누적)</li> </ul> </li> <li>▶ 임상시험 글로벌 3위 달성 <ul style="list-style-type: none"> <li>* 임상시험 글로벌 순위 : ('21) 6위 → ('27) 3위</li> </ul> </li> </ul> |

출처: 보건복지부 보도자료 (2023. 3. 24)

| 미국 FDA 승인 국산 신약 |        |       |         |       |
|-----------------|--------|-------|---------|-------|
| 1~9호            | LG화학   | 팩티브   | 항생제     | 2003년 |
|                 | 동아에스티  | 시백스트로 | 항생제     | 2014년 |
|                 | SK케미칼  | 앱스틸라  | A형혈우병   | 2016년 |
|                 | SK바이오팜 | 수노시   | 수면무호흡증  | 2019년 |
|                 |        | 엑스코프리 | 뇌전증     |       |
|                 | 한미약품   | 롤론티스  | 호중구감소증  | 2022년 |
|                 | 셀트리온   | 짐펜트라  | 자가면역질환  | 2023년 |
|                 | 녹십자    | 알리글로  | 면역결핍증   | 2023년 |
|                 | 유한양행   | 렉라자   | 비소세포폐암  | 2024년 |
| 심사중             | 에이치엘비  | 리보세라닙 | 간암      |       |
| 신청예정            | HK이노엔  | 케이캡   | 위식도역류질환 |       |

출처: <https://www.thebionews.net/news/articleView.html?idxno=11833>

그중에서도 첫번째 목표인 글로벌 블록버스터급 신약 창출은 어디까지 왔을까? 2003년 팩티브가 국산신약으로서는 처음으로 미국 FDA 승인을 받은 후 2024년 렉라자까지 9개의 신약이 FDA 승인을 받았다. 약업계의 불문율인 10억불 이상의 매출을 블록버스터의 기준이라고 보면 한화로 1조4천억 이상의 매출이 발생해야 진정한 블록버스터 약물이라고 할 수 있을 것이다.

FDA 허가 받은 약물 중 현재 미국에서 매출이 발생하고 있는 약물은 2019년 이후에 승인된 6개 약물이며, 매출액의 차이는 있지만 그 이전에 승인받은 약물들이 상업화에 성공하지 못한 것과 비교하여 모든 약물이 의미있는 매출의 성장을 기대하고 있다. 이중 엑스코프리는 2024년에 4387억의 매출을 올렸고 올해는 최대 6100억의 미국 매출을 목표로 하고 있으며, 향후 미국과 시장 확대와 허가 범위 확대 등을 통해 블록버스터가 될 것으로 기대된다. 렉라자는 2024년 8월에 허가되어 아직 매출액이 공개되진 않았지만, 향후 블록버스터로서 자리 잡을 것으로 예상되고 있다. 본고에서는 엑스코프리와 렉라자 사례를 통해 블록버스터 신약 개발과 시장 진출 전략을 분석해 보고자 한다.

## 엑스코프리: 한우물을 파는 독심과 미국 직접 진출 전략

엑스코프리의 연구개발 성공 요인에 대해서는 배진건 박사님(아밀로이드솔루션㈜ 상임고문)이 기고글 통해 잘 정리해 주셔서 이를 인용해 보았다. (인용 1)

CNS 질환 신약개발이라는 한분야에 여러 실패에도 불구하고 오랜 기간동안 연구력을 집중함으로써 수노시와 세노바메이트 두개의 약물을 2019년 FDA 승인을 받은 후, SK바이오팜은 수노시는 미국 판권을 넘기고 로열티를 받는 비즈니스 모델을 택한 반면, 세노바메이트의 경우는 미국 시장에 직접 판매하는 전략을 선택하였다.

제약바이오 기업에게 있어 미국은 가장 매력적인 국가인 동시에 제일 중요한 시장이다. 하지만 미국 시장에 직접 진출하는 것은 법·규제 등의 진입장벽, 환경적·문화적 차이 등 수많은 걸림돌이 존재하기 때문에, 제약사들은 대부분 현지 파트너사를 통한 간접적인 방식을 택하는 경우가 대다수다. 최대한 위험을 줄이고

## 〈인용 1〉

2019년 11월 22일 SK바이오팜이 개발한 엑스코프리(Xcopri)가 FDA로부터 최종 시판허가 승인을 받았다. 주요 적응증은 17세 이상 성인 뇌전증 부분발작이다. 단독 복용과 병용 투여 모두 가능한 약물이다.

여쩌다 대한민국 신약개발에 이런 좋은 일이 일어난 것일까? 다른 제약사들과 차별점이 무엇인가? 한마디로 꾸준히 신약개발에 매달렸다는 것이다. 그것도 27년이나. SK는 지난 1993년, SK그룹의 차세대 성장동력 발굴을 위해 신약 연구개발을 시작했다. 1993년부터 대덕기술원과 미국 뉴저지(NJ)주에 설치한 미주동부R&D센터가 공동으로 의약연구 전담조직을 구성해 간질치료제, 우울증 치료제 등의 중추신경계 의약품에 대한 연구를 본격적으로 착수했다.

1997년 4월부터 기존의 미주동부R&D센터를 신약개발을 전문으로 하는 의약개발 센터와 정밀화학제품개발을 전문으로 하는 뉴저지연구소로 분리했으며 2000년 의약개발센터를 SK Life Science(SKLS)로 명칭을 변경, 현재에 이르고 있다. 이것이 SK가 갖고 있는 꾸준함을 나타내고 있다.

SK는 뼈아픈 실패의 경험도 수차례 맞았다. 꾸준함은 항상 테스트를 당한다. 첫 뇌전증 치료제 카리스바메이트는 임상1상 완료 후 존슨앤드존슨(J&J)으로 기술 수출했지만 3상 후에 2008년 출시를 앞두고 FDA 승인이 좌절됐다. 하지만 SK는 R&D 조직을 더욱 강화하며 신약개발에 힘을 쏟았다. SK 바이오 제약사업 부문을 2011년 SK바이오팜으로 분사시킨 것도 R&D를 더 집중적으로 하기 위해서다. 분사 이후 SK바이오팜은 8년 동안 R&D 비용으로 약 5000억 원을 투자했다. 이런 지속적인 투자 때문에 한국에서도 신약개발부터 의약품 생산, 마케팅 역량까지 갖춘 글로벌 바이오제약이 탄생할 기회가 생겼다.

출처: <http://www.hitnews.co.kr/news/articleView.html?idxno=47937>

불확실성을 해소하기 위해서다. 이러한 방식은 초기 자금 회수 및 리스크 분산 측면에서는 유리하지만, 장기적으로 봤을 때 밸류체인 전반에서 발생하는 수익이 파트너사에 쏠린다는 구조적 한계가 존재한다. 보다 높은 수익성과 시장 장악력을 꾀하려면 해외 법인을 설립하는 등의 직접적인 투자가 반드시 필요하다.

한국제약바이오협회가 발간한 정책보고서에 따르면, 미국 제약시장은 제조사와 도매상, 약국뿐만 아니라 지불자(payer) 역할을 하는 보험사, 이를 대행하는 PBM(처방약급여관리회사 Pharmacy Benefit Manager), 구매 컨소시엄, 처방권자(의사) 그리고 궁극적인 수혜자인 환자가 긴밀하게 연결된 '복잡한 이해관계자 구조'로 이뤄져 있다. 전문가들은 "미국 시장에서 브랜드 의약품이 성공하려면 Market access 전략을 통한 급여화, 처방 우선순위 확보, 의료진 및 환자 대상 마케팅, 우수한 임상적 가치 입증 등을 통한 차별화가 핵심 요소"라고 한다.

SK바이오팜은 2020년부터 미국 내 직접 판매망을 구축하고 현지에서 영업·마케팅을 구사하고 있으며, 성공적으로 시장을 장악해 가고 있다. 다만 이러한 전략은 이미 광범위한 의약품에 대해서 영업망과 네트워크가 구축된 글로벌 제약사와 달리 허가 받은 1-2개 약물만을 위한 영업망을 구축해야 하기 때문에, 세노바메이트처럼 처방하는 의사 그룹이 한정적인 스페셜티 약물에 적합한 전략이라고 판단된다. SK바이오팜의 미국내 영업을 담당하는 직원은 2024년 약 100여명으로 알려져 있다. 다만, 초기 판매망 구축 및 공고화를 위한 판관 비용은 상당한 수준으로 판단되며, 향후 미국 시장에서 타사 약품의 판매 대행 등을 통한 부가적인 수익을 창출할 수 있을지 기대된다.

### 오픈 이노베이션의 대명사 렉라자, 협력을 통한 위험의 감소와 수익의 공유

EGFR 돌연변이를 가진 비소세포폐암환자 치료제인 레이저티닙은 2015년 유한양행이 제노스코로부터

전임상개발후보물질 단계에서 기술 도입을 하여, 전임상 및 CMC 개발, 초기 임상시험 진행을 통해 약물의 우수성 (임상 효능, 안전성 및 뇌전아암 치료효과) 결과를 확보한 후, 존슨앤드존슨(이하 J&J)사에 기술이전 및 공동개발을 진행하게 되었다. 2021년 한국에서 단독치료제로 허가 및 시판이 최초로 이루어졌고(제품명 렉라자<sup>®</sup>), 2024년 8월 미국 FDA로부터 EGFR/c-Met 표적 이중항제인 J&J의 아미반타맙과 병용요법으로서 허가를 득한 이후 유럽 및 캐나다, 일본에서도 승인이 이루어졌다(제품명 Lazcluze<sup>®</sup>).

레이저티닙 원개발사인 제노스코에서는 2015년 동물실험 단계에서 우수한 프로파일을 가지는 후보물질을 확보했지만, 본격적인 전임상개발 및 임상개발에 필요한 비용과 임상수행역량의 미확보로 인해 파트너를 찾고 있었으며 최종적으로 유한양행과 손을 잡게 되었다. 전임상, CMC 개발 및 초기 임상연구에 필요한 기병별 조직 및 사내 전문 인력을 보유하고 있었던 유한양행은, 당시 다수의 경쟁약물이 2-3상 임상단계에 있었기 때문에 최대한 빠른 개발을 목표로 하였으며, 다행히 국내에서 동일 계열 약물에 대한 임상시험이 다수 진행되었기에 경험이 풍부한 국내 임상연구자들을 중심으로 효율적이면서도 신뢰도가 높은 임상연구가 진행될 수 있었다. 유한양행은 국내 1/2상 임상결과를 토대로 이차치료제로서 식약처로부터 조건부허가를 받을 수 있었지만, 글로벌 신약으로서 개발에 필요한 글로벌 후기 임상시험은 항암제 특성상 소요되는 막대한 비용과 경험의 제한으로 인해, 글로벌 약물로 개발할 수 있

는 파트너를 적극적으로 모색하였다. 아미반타맙을 임상개발 중이던 J&J사는 두개 약물의 병용을 통해 시장의 판도를 바꿀 수 있는 약물로 개발할 수 있다는 판단 하에, 2018년 11월 라이선싱 및 공동개발 계약을 체결하고, 역량을 집중하여 1,000명 이상의 환자를 대상으로 한 병용 1차 치료제 글로벌 3상시험에 성공하여, 미국, 유럽 등 많은 국가에서 빠르게 허가 및 판매를 진행하고 있다. 올해 3월 파리에서 개최된 유럽폐암학회에서는 병용3상시험의 전체생존기간 임상결과가 공개되었는데, 레이저티닙+아미반타맙 병용치료가 현재 표준 치료제에 비해 1년 이상 환자의 생존기간을 연장할 것이 확실시 되어, 치료 패러다임을 바꾸고 상업적 성공 가능성이 크게 높아진 것으로 기대되고 있다.

바이오벤처-국내 제약사-글로벌 제약사로 이어지는 오픈이노베이션을 통한 성공적인 협력을 통해 각 파트너사가 잘 할수 있는 역량을 가진 부분에 집중함으로써 성공가능성을 높이고, 리스크는 분담할 수 있었다. 조금 오래된 자료이긴 하지만 일반적으로 제약바이오 업계에서 이루어지는 라이선스 계약시 약물의 개발 단계별 수익의 배분 비율은 위의 표와 같다. 당연하지만 개발 후기 단계에 기여한 파트너가 투자자본의 크기에 비례하여 수익을 더 많이 가져가는 구조이며, 유한양행도 레이저티닙의 기술이전을 통해 확보한 마일스톤 기술료와 향후 매출에 따라 유입될 로열티 기술료를 R&D에 재투자 하면서, 향후 주요 파이프라인은 독자적인 개발을 2상/3상 또는 허가/시판까지 진행하여 R&D에 의한 수익을 극대화할 계획이다.

〈 표 1 〉 업계 라이선스 딜 가치 배분 비율

| 개발 단계 | 라이선스 수여자  | 라이선스 취득자  |
|-------|-----------|-----------|
| 전임상   | 10% - 20% | 80% - 90% |
| 1상    | 20% - 40% | 60% - 80% |
| 2-3상  | 40% - 60% | 40% - 60% |
| 승인    | 60% - 80% | 20% - 40% |

출처: Valuation in Life Sciences (Villiger and Bogdan, 2010)

## 맺음말

최첨단 과학을 통한 first-in-class 약물 개발과 R&D 혁신의 리더이면서, 고도화된 자본시장을 통한 효과적인 투자와 세계 최대 의약품 시장으로 무장한 미국과, 상대적으로 저렴한 R&D 비용, 잘 훈련된 대규모 기초과학자와 의과학자, 많은 대상 환자와 규제 혁신을 통한 자국내 임상시험의 용이성, 규모의 경제를 통한 신속하면서도 동시다발적인 다수의 best-in-class 약물 파이프라인의 개발과 의약품 제조 경쟁력을 갖춘 중국 사이에서 대한민국이 신약 개발 강국으로 성장하기 위해서는 세노바메이트와 레이저티닙의 사례에서처럼, 1) 독심있고 끊임없는 연구개발에 대한 투자 2) 의과학자 및 개발전문가의 육성 3) 바이오벤처 활성화와 지원을 통한 혁신 플랫폼 기술 (지면상 다루지 않았지만 알테오젠사의 하이브로자임 기술, 리가켄바이오의 ADC 링커기술, 에이비엘바이오의 BBB 셔틀기술 등 플랫폼 기술 개발을 통한 글로벌 사업화도 신약 개발 강국이 되는 중요한 한축임) 및 초기 파이프라인의 확보와 오픈 이노베이션을 통한 동반 성장 4) 후기 임상 개발의 역량과 필요한 자본 축적 및 미국 등 주요 선진시장에의 직접 진출 등의 전략이 필요하다.



## 신약강국 도약의 필수조건

## 바이오텍이 바라본 '신약강국의 길'



이동기 올릭스 대표이사

## 서론 : 신약 강국으로 가는 여정

정부는 오는 2027년까지 블록버스터 신약 2개 창출과 글로벌 50대 제약기업 3개 육성을 통해 '6대 제약바이오강국'으로 도약하겠다는 목표를 선언했다. 이는 단순한 비전 제시에 그치는 것이 아니라, 실현 가능한 전략 마련과 견고한 산업 생태계 조성이 함께 이루어질 때 비로소 달성할 수 있는 도전적인 과제다. 특히 국내 신약 바이오텍들의 성장과 성공은 이 목표를 실현하는 데 있어 핵심적인 역할을 할 것으로 기대된다. 본 글에서는 국내 신약 바이오텍의 현재 위치와 주요 성과를 조망하고, 추가 성장을 가로막는 걸림돌과 그 해결 방안을 제시함으로써, 정부 목표 달성은 물론 대한민국이 글로벌 신약 강국으로 나아가는 길을 바이오텍 CEO의 시각에서 서술하고자 한다.

## 한국 신약 바이오텍의 성공사례

## 신약 바이오텍의 자체 플랫폼 기반 빅파마 기술이전 달성

최근 국내 신약 바이오텍들이 글로벌 기술 수출에서 의미 있는 성과를 잇달아 창출하고 있다. 예를 들어, 올릭스는 RNA 간섭 기반 기술을 바탕으로 글로벌 제약사 중 시가총액 1위인 일라이

릴리와 MASH 및 비만 치료제에 대한 기술이전 계약을 체결하였다. 에이비엘바이오는 항체 기반 뇌혈관장벽(BBB) 통과 플랫폼 기술을 활용하여 사노피 및 GSK와 대규모 기술이전 계약을 성공시켰고, 리가켄바이오는 항체-약물 접합체(ADC) 기술을 앞세워 얀센과 기술수출을 이루어냈다. 또한 오름테라퓨틱스는 표적 단백질 분해(TPD) 플랫폼을 기반으로 브리스톨 마이어스 스쿼브(BMS)와 기술이전 계약을 성사시켰다. 이와 같은 사례들은 한국 바이오텍 기업들이 단순히 후보물질 발굴 단계에 머무르는 것이 아니라, 기술 플랫폼 자체를 수출하거나 글로벌 공동개발 파트너십을 구축하는 방식으로 진화하고 있음을 보여준다.

이러한 빅파마 기술이전에 성공한 신약 바이오텍들은 몇 가지 공통적인 특징을 지닌다. 첫째, 매출 및 영업이익이 미미한 초기 단계에 기술성 평가를 통해 코스닥에 상장하며 자본시장 진입에 성공한 기업들이다. 둘째, 한두 개의 개별 신약물질에 의존하는 대신, 플랫폼 기술을 바탕으로 단기간에 다수의 신약 후보를 도출할 수 있는 비즈니스 구조를 갖추고 있다. 이는 기술 기반 바이오텍들이 단일 파이프라인 중심 모델을 넘어, 지속적인 신약 창출 역량을 보유할 수 있음을 보여주는 중요한 사례로 평가된다.

## 신약 바이오텍과 국내 제약사의 협업을 통한 시너지 창출

렉라자(성분명: 레이저티닙)는 오스코텍이 개발하고 유한양행이 기술이전 및 공동개발한 3세대 EGFR 저해제로, 비소세포폐암(NSCLC) 환자 중 EGFR 변이를 가진 이들을 대상으로 한다. 2024년 8월, 미국 식품의약국(FDA)은 렉라자를 안센의 이중표적 항체인 리브리반트(성분명: 아미반타맙)와 병용하여, EGFR 엑손 19 결손 또는 엑손 21 L858R 치환 변이를 가진 국소 진행성 또는 전이성 NSCLC 환자의 1차 치료제로 승인하였다. 이로써 렉라자는 한국에서 개발된 항암제 중 최초로 FDA 승인을 받은 약물이 되었으며, 유한양행은 안센으로부터 약 800억 원의 마일스톤을 수령하였다. 이러한 성과는 국내 신약 바이오텍과 제약사의 협업이 글로벌 시장에서 의미 있는 성과를 거둘 수 있음을 보여주는 사례로 평가받고 있다.

### 신약 바이오텍 앞에 놓인 도전과 이의 극복을 위한 제언

대한민국의 신약 개발을 이끌고 있는 두 축은 전통적인 제약회사와 신약 바이오텍이라고 할 수 있다. 제약회사는 안정적인 매출 기반을 바탕으로 다양한 사업 포트폴리오를 운영하며 신약 개발을 추진하는 반면, 신약 바이오텍은 명확한 캐시카우 없이 신약 개발에 전념하는 전략을 취하고 있다. 이러한 전략은 신약 개발에 대한 집중도를 극대화하는 장점이 있지만, 동시에 재무 및 규제적 리스크에 노출될 가능성도 높다. 따라서 신약 바이오텍의 신약개발 역량을 높이고 글로벌 경쟁력을 키우기 위한 특화된 정책이 요구된다. 신약 바이오텍을 15년째 운영중인 필자의 경험을 바탕으로 다수의 신약 바이오텍이 겪고 있는 여러가지 애로 사항 중 중요한 몇 가지를 짚어보고 그 해결책을 제시해보고자 한다.

## 국내 신약 생태계 활성화를 위한 마중물 정책 자금 지원

신약 바이오텍은 장기간의 개발 기간과 높은 실패 위험으로 인해 자본 시장의 투자 심리가 위축될 때 자금 유체에 가장 큰 타격을 받는다. 이 글을 작성하고 있는 시점에도 지난 2-3년간 이어진 바이오텍에 대한 투자 심리 악화 상황이 계속되고 있으며, 많은 비상장 및 상장 신약 바이오텍들이 자금 고갈로 고사 위기에 놓이거나 연구 개발 및 임상을 축소 및 중단하는 결정을 내리고 있는 실정이다. 이러한 상황에서 정부는 전략적으로 유한책임출자자(LP)로 참여하여 유망 신약 바이오텍에 마중물 자금을 제공해야 한다.

2010년대 초반, 필자가 올릭스를 창업하여 RNA 치료제 기술 기반 신약 개발을 추진할 당시에도 바이오 투자 심리는 매우 위축되어 있었으며, 다수의 벤처캐피탈(VC)들도 긴 개발 기간과 높은 실패 위험을 이유로 신약 개발 섹터에 대한 투자를 꺼리는 상황이었다. 이때 박근혜 정부는 생애주기별 벤처기업 지원을 목표로 '성장사다리펀드'를 조성하고, 정부가 직접 LP로 참여해 민간 투자자들의 신뢰를 높이는 데 기여했다. 이는 장기간 침체되어있던 바이오 섹터의 투자 분위기를 긍정적으로 전환하는데 큰 역할을 했다.

다행히도 최근 정부는 바이오헬스 산업을 전략적으로 지원하기 위해 다양한 정책 펀드를 조성하고 있다. 예를 들어, 산업은행은 2025년까지 '혁신성장펀드'를 통해 연간 3조 원 규모의 펀드를 조성하여 모험자본 시장에 마중물을 공급하고자 한다. 또한, 중소벤처기업부는 2025년 모태펀드 출자 방향을 발표하며 바이오 투자 마중물 확대를 포함한 벤처 투자 활성화 방안을 논의하였다. 이러한 정부의 마중물 지원 역할은 민간 자금의 유입을 촉진하고, 바이오텍의 신약 개발을 위한 안정적인 자금 조달 환경을 조성하는 데 필수적이라고 사료된다.

## 신약 바이오텍과 국내 제약사 간 협업 활성화 지원

오스코텍/제노스코와 유한양행의 협업을 통해 탄생한 폐암 치료제 ‘렉라자’는, 국내 신약 바이오텍과 전통 제약사가 힘을 합쳐 글로벌 신약 개발에 성공한 모범 사례로 평가된다. 이러한 협업 모델이 지속적으로 재현될 때, 한국형 신약 혁신 생태계가 확고히 자리잡을 수 있으며, 초기 단계 기술이전 중심의 전략에서 벗어나 국내 역량을 기반으로 한 글로벌 신약 상업화 성공 모델로의 전환이 가능해질 것이다.

렉라자의 성공 이후 많은 국내 제약사들이 오픈 이노베이션 전략을 추구하며 국내 신약 바이오텍과의 협업을 모색하고 있다. 그러나 여전히 한 가지 구조적 한계가 존재한다. 국내 주요 제약사들 역시 글로벌 빅파마에 임상 파이프라인을 기술이전하는 사업 모델을 중심으로 운영되고 있어, 신약 바이오텍의 기술을 저렴하게 도입하려는 경향이 강하다. 이로 인해 바이오텍과 제약사 간 신약 물질의 가치평가에 괴리가 발생하는 문제가 나타나고 있다.

이러한 한계를 극복하기 위해서는 제도적 지원과 인센티브 설계가 필요하다. 예를 들어, 국내 바이오텍과 제약사 간 협업을 통해 기술이전이 이루어질 경우, 정부 또는 정부가 출자한 바이오펀드가 연계하여 기술을 도입한 제약사에는 연구비 지원을, 기술을 판매한 신약 바이오텍에는 투자 유치 지원을 제공하는 방식의 인센티브를 마련할 수 있다. 이를 통해 국내 기업 간 신약개발 협업 모델을 활성화하고, 제2, 제3의 ‘렉라자’를 탄생시키는 속도를 높일 수 있을 것이다.

## 법인세 차감전 손실(법차손) 기준의 유연한 적용

코스닥 기술성 특례 상장을 통해 자본시장에 진입한 많은 신약 개발 바이오텍들은, 상장 유지 조건으로 부과된 법인세차감전 계속사업손실(법차손) 기준 때문에 적극적인 연구개발(R&D)과 임상 진입에 제약을 받고 있

다. 이는 신약 바이오텍의 성장을 저해하는 독소 조항으로 작용하고 있으며, 반드시 개선되어야 한다고 본다.

첫째, 기업이 충분한 자금을 보유하고 있더라도, 연구 및 임상 개발에 막대한 비용이 소요되면서 손실 규모가 커질 경우 법차손 기준을 위반할 수 있다. 이로 인해 바이오텍들은 확보한 자금을 적극적으로 투자하는데 제약을 받게 된다. 둘째, 바이오텍이 시장에서 자금을 조달할 때 주로 발행하는 전환사채(CB)는 자본으로 인정되지 않기 때문에, 충분한 현금을 확보하고 있음에도 법차손 기준으로 인해 관리종목 지정 위험에 노출될 수 있다.

결국 현재의 법차손 기준은, 신약 개발이라는 본질적으로 장기적이고 고위험인 도전을 수행하는 기업들에게 과도하게 단기적인 재무성과를 요구하는 제도적 모순을 야기하고 있다. 특히 코스닥 시장에서는 산업 특성에 대한 고려 없이 모든 기업에 대해 일률적인 손실 기준이 적용되고 있으며, 이로 인해 충분한 자금력을 갖춘 기업조차 임상 투자에 소극적으로 나설 수밖에 없는 구조가 고착화되고 있다. 반면 미국 나스닥 시장은 일정 수준 이상의 시가총액과 유동성 요건만 충족하면 상장 유지가 가능하도록 설계되어 있다. 이러한 제도적 유연성 덕분에 기술 중심 바이오 기업들은 단기 손익에 흔들리지 않고 안정적으로 성장을 모색할 수 있는 환경을 보장받고 있다.

바이오산업의 특성상, 기업들은 상당 기간 적자를 감수하면서 연구개발과 임상에 매진해야 한다. 이러한 현실을 무시한 채 기계적으로 손실 기준을 적용하는 것은 유망한 신약 바이오텍들의 조기 퇴출을 초래할 수 있다. 이는 마치 학업에 전념해야 하는 고시생에게 “왜 아직 돈을 벌지 못하느냐”며 편의점 아르바이트를 강요하는 것과 같고, 이는 오히려 고시 합격 가능성을 떨어뜨리는 결과를 낳는다. 신약 바이오텍도 마찬가지로 R&D 집중도가 약화되면서 글로벌 경쟁에서 뒤처질 위험이 커진다.

이러한 구조적 모순을 해소하기 위해서는 신약 개발 바이오텍에 특화된 상장 관리 기준을 마련해야 한다. 이는 결코 특혜가 아니라, 산업 고유의 특성을 반영한 ‘맞춤형 규제’로 바라봐야 한다. 체육 국가대표 선발 시 종목별 특성을 고려해 선발 기준을 다르게 적용하는 것처럼, 신약 바이오텍에도 그에 걸맞은 제도적 배려가 필수적이다.

## 기술성 평가 기반 신약 바이오텍 자본 시장 진입 활성화

기술력은 뛰어나지만 매출이나 이익 기준을 충족하지 못하는 기업들이 코스닥에 상장할 수 있도록 허용한 ‘기술성 특례 상장제도’는, 일부 기업들의 임상 실패와 도덕적 해이 문제로 인해 그 실효성에 대한 의문이 제기되고 있다. 그러나 애초에 벤처 기업의 성공률이 100%에 이를 수는 없으며, 수많은 도전 속에서 소수만이 업계를 선도하는 기업으로 성장하는 것이 벤처 생태계의 본질이다. 그런 점에서, 성공한 소수를 배출할 수 있었다는 것 자체로 이 제도는 의미 있는 성과를 거둔 것으로 평가할 수 있다.

2000년대 초반 IT 붐 당시, 새롭기기술을 비롯한 수많은 이른바 ‘닷컴 기업’들이 과열된 주가를 형성하다가 버블 붕괴와 함께 시장에서 사라진 사례를 기억할 것이다. 그러나 그 버블 속에서도 다음, 네이버, 엔씨소프트 등 오늘날 국내 IT 산업을 이끄는 핵심 기업들이 탄생했다는 점 역시 간과해서는 안 된다.

마찬가지로, 리가켄, 에이비엘바이오, 올릭스 등과 같은 신약 바이오텍들이 글로벌 빅파마와의 기술이전에 성공할 수 있었던 것도 기술성 평가 기반 상장제도가 있었기에 가능했다. 이 제도가 없었다면 이들은 자본시장 진입이 지연되거나 성장 동력을 확보하는 데 큰 어려움을 겪었을 것이다.

따라서 기술성 평가 제도의 순기능에 더욱 주목할 필요가 있다. 다만, 평가의 질적 수준을 높여 진정한 성장 잠재력을 지닌 신약 바이오텍을 선별하고, 이들이 시장에 진입할 수 있도록 지원해야 할 것이다. 특히 단일 신약 후보물질에만 ‘올인’하는 구조보다는, 플랫폼 기술을 기반으로 다양한 파이프라인을 구축할 수 있는 신약 바이오텍을 육성하는 방향으로 제도를 개선해 나가는 것이 바람직하다고 본다.

## 결론 : 산업계와 정부의 협력을 통한 글로벌 신약 경쟁력 강화로 나아가야 할 때

한국의 신약 바이오텍들은 그동안 척박한 환경 속에서도 독자적인 전략과 정부의 자금적·제도적 지원을 바탕으로 꾸준히 성장해 왔다. 그 결과, 이제 다수의 신약 후보물질들이 글로벌 빅파마에 기술이전되고 있으며 FDA 승인을 받은 신약이 탄생하는 등, 세계 시장에서 경쟁력을 갖추기 시작하는 중요한 전환점을 맞이하고 있다.

이제는 이러한 모멘텀을 더욱 강화해야 할 시점이다. 우리나라가 목표로 삼은 ‘세계 6대 제약·바이오 강국’에 도달하기 위해서는, 신약 바이오텍과 정부가 상호 이해를 기반으로 현장의 애로사항을 신속히 해소하고, 필요한 경우 마중물 역할을 할 수 있는 지원을 더욱 체계적으로 제공해야 한다. 무엇보다, 한정된 자원 속에서도 작지만 민첩하고 효율적인 전략을 구사함으로써, 글로벌 무대에서 지속 가능한 경쟁력을 확보해야 할 것이다.

지금까지 이룬 성과는 시작에 불과하다. 앞으로 정부와 산업계가 긴밀히 협력해 보다 혁신적이고 과감한 접근을 지속할 때, 한국 바이오 산업은 세계를 선도하는 새로운 역사를 써 내려갈 수 있을 것이다.

## 신약강국 도약의 필수조건

## 대한민국 자본의 토양, 혁신의 씨앗을 틔울 수 있을까?

벤처캐피탈의 시선으로 본 신약강국의 길과 자본시장의 과제



문여정 IMM인베스트먼트 전무

눈부신 성장을 이뤄낸 대한민국 경제는 수차례의 변곡점을 지나 오늘에 이르렀다. 1960년대, 저임금 노동력을 기반으로 한 노동집약적 경공업은 산업화의 출발점이자 성장의 마중물이었다. 이후 중공업을 중심으로 한 수출 확대는 본격적인 산업 고도화를 이끌었고, 조선·반도체·전자제품 등은 기술력 측면에서 세계 시장을 선도하는 주력 산업으로 자리 잡았다.

지금까지 한국의 경쟁 성장사는 높은 노동 투입을 근간으로 한 제조업 중심의 수출 구조가 이끈 눈부신 결과물이었다.

그러나 지금, 그 성장 공식을 그대로 답습하기는 어렵다. 중국의 빠른 추격을 넘어 기술 격차마저 역전될 수 있다는 경고음이 곳곳에서 들려오는 상황 속에서, 우리는 또 한 번의 대전환을 마주하고 있다. 이제는 과거보다 높아진 경제 수준과 풍부한 인적 자원을 바탕으로, 보다 고부가가치 산업을 통해 다음 성장의 해답을 모색해야 할 때다. 그런 점에서 바이오 신약 산업은 대한민국의 새로운 성장 엔진으로 주목받고 있다. 이미 선진국들이 장기적인 투자를 집행해 바이오 생태계를 고부가가치 산업으로 육성한 이 흐름에 우리도 발맞춰야 한다.

제조업 기반의 매출 확대를 통해 기업을 키워온 과거의 성공 공식은 이 영역에서는 더 이상 유효하지 않다는 점에 주목할 필요가 있다. 신약 개발은 지금까지 우리 산업을 이끌어온 방식과는 전혀 다른 궤도로 성장한다. 신약 개발에는 평균 10년 이상의 시간이 소요되며, 그 과정에 투입되는 자본은 천문학적이다. 이 긴 시간 동안 기업은 유의미한 매출을 내기 어렵고, 긴 불확실성의 터널을 지나가기 위해서는 두텁고 인내심 있는 자본의 뒷받침이 절실하다. 그렇기에 자본시장과 투자 생태계가 발달한 선진국에 신약 개발 기업들이 집중되어 있는 것은 결코 우연이 아니다.

만약 우리가 신약 개발을 미래 산업의 축으로 삼고자 한다면, 스스로에게 질문을 던져야 한다. 우리의 자본시장은 과연, 신약이라는 꿈의 씨앗이 싹틀 수 있을 만큼 비옥한가?

오늘날 신약은 과거와 비교할 수 없을 정도로 기술적으로 진보했다. 분자생물학, 유전공학, 면역학의 융합은 치료제의 개념 자체를 변화시키고 있으며, 특히 세포치료제와 유전자치료제는 수억 원대의 고가 약물로 등장하고 있다. 이는 곧 막대한 연구개발(R&D) 자금이 필수적임을 의미한다.



신약 기업의 초기 성장 과정을 살펴보면, 대부분은 벤처캐피탈의 자금 지원을 통해 생존과 성장을 이어나간다. 이때 투자 유치가 반복될수록 임직원 지분은 희석되는데, 이로 인해 국내 상장 심사에서 대표이사의 낮은 지분율이 기업가치에 대한 의심으로 이어지는 구조적 딜레마가 발생한다.

해외 거래소 대비 높은 수준의 임직원 지분율을 신약 기업에 요구할 경우, 벤처캐피탈은 지속적인 자금 지원이 오히려 상장을 저해할 수 있다는 인식을 갖게 되고, 기업 역시 필수적인 투자 유치에 제약을 받게 된다. 신약 기업이 지분 구조 유지를 위해 기술 혁신보다 형식 요건 충족에 우선순위를 두는 선택을 하게 되는 것이다.

그러나 시장으로부터 반복적으로 투자를 유치한 이력은 단순한 자금 조달을 넘어, 지속적인 기술 검증과 신뢰 축적의 결과라는 점을 고려해야 한다. 이는 바이오 생태계의 지속가능한 성장 기반을 마련하는 데 핵심적인 요소다.

투자를 통해 성장한 국내 대부분 신약 기업은 기술특례상장 제도를 통해 상장시장에 진입한다. 기술특례상장 제도는 기술력이 우수한 기업이 재무 요건을 충족하지 않더라도 코스닥 상장이 가능하도록 설계된 제도다. 이는 성장 잠재력이 높은 기업이 자본시장 접근을 통해 도약할 수 있는 기회를 열어주는 일종의 자본시장적 시혜로 평가된다. 실제로 2025년 4월 기준 코스닥 시가총액 1위 기업인 알테오젠을 비롯해 다수의 기업이 이 제도를 활용해 상장에 성공한 바 있다.

2005년 제도 도입 이후 수많은 기술혁신 기업들이 공모자금을 확보하고 후속 연구개발을 통해 외형을 확장해왔다. 그러나 모든 산업분야의 기술기업을 동일한 상장 기준 아래 놓는 현 구조는, 신약 개발과 같은 장기 자본투입 산업에 단기성 성과를 요구함으로써 산업의 성장을 왜곡할 수 있다는 우려를 낳고 있다.

신약 개발 기업은 본질적으로 임상을 마무리하기 전까지 실질적인 매출을 발생시키지 못한다. 그럼에도 불구하고 기술특례상장을 위해서 일정 수준 이상의 매출을 기록해야 한다면 기업은 신약후보물질을 조기에 기술이전(licensing-out)할 수밖에 없다. 물론 기술이전은 기업의 기술력을 외부에서 인정받는 강력한 수단이 될 수 있다. 그러나 산업 전반이 '완성된 치료제의 상용화'가 아니라 '이전 타이밍 최적화'에 집중하게 된다면, 이는 신약 개발 생태계 발전을 왜곡할 수 있다. 임상 1상이나 전임상 단계에서 이전 계약을 성사시키는 데 모든 역량이 집중되고, 이후의 정교한 임상 개발은 상대적으로 소홀해지는 것으로 말이다. 결국 신약 개발 후기 단계에서 축적되어야 할 경험과 노하우가 국내에 쌓이지 못하고, 궁극적으로 국산 블록버스터 신약이 해외 제약사의 이름으로 세상에 출시되는 현실을 반복하게 될 것이다. 이는 우리가 꿈꾸는 '신약 강국'의 길과는 명백히 다른 방향일 것이다.

더욱 우려스러운 지점은, 운 좋게 상장에 성공한 기업조차도 상장폐지 심사 기준에 따라 조기에 시장에서 퇴출될 수 있다는 점이다. 현행 코스닥 시장의 상장폐지 심사 요건 중 하나는 최근 3년간 법인세비용차감전계속사업손실(법차손)이 지속된 경우를 들 수 있는데, 이는 일반 제조업이나 유통업과 달리 수익 창출까지 오랜 기간이 필요한 신약개발 기업에 그대로 적용되기에는 무리가 있다.

신약 하나가 개발되어 매출로 이어지기까지는 통상 10년 이상이 소요되며, 이 과정에서 적자는 피할 수 없는 구조다. 그러나 기술력이나 임상 진전에 대한 고려 없이 단지 '수익성 기준'만으로 심사한다면, 이는 애초에 시간을 투자해야 할 산업을 단기 성과의 잣대로 평가하는 셈이다. 실제로 일부 신약 기업은 임상 후반 단계에 도달하고 있음에도 법차손 기준 때문에 상장 유지 여부를 위협받는 상황에 놓여 있다.



|           | 홍콩 18A 조항                                    | 한국 기술특례상장                 |
|-----------|--|---------------------------|
| 순이익 요건    | 없음   | 없으나 심사 시 중요 요소로 작용        |
| 기술요건      | 인체임상단계 진입                                    | 기술평가 두 곳에서 A, BBB 이상 평가획득 |
| 자본조달요건    | 상장 전 전문투자자로부터<br>최소 HKD 1.5억 유치 (한화 약 250억원) | 없음                        |
| 대표이사 지분요건 | 명시적 요건 없음                                    | 명시적 요건 없으나 심사 시 중요 요소로 작용 |

이러한 구조는 기업뿐 아니라, 산업 전체에 불확실성을 초래한다. 수년간의 연구개발이 무르익기도 전에 ‘상장폐지’라는 구조적 리스크에 내몰리게 된다면, 국내 신약개발 생태계는 장기적 투자를 감내하기 어려운 산업으로 낙인찍히게 될 위험이 있다.

물론 한국의 바이오 신약개발을 위해 특혜와 특례만을 요구할 수는 없는 상황이다. 국내 상장사들의 재무 건전성을 제고하여 장기적으로 국내 주식시장의 신뢰를 높이는 일 역시 매우 중요한 과제다. 또한 자본시장에서의 적절한 기업가치 평가는 건전한 투자문화와 기술 기업의 성장에 반드시 필요한 요소다. 그렇기 때문에 우리는 바이오 신약 산업의 특수성을 고려한 정교한 시장 규제와 제도 설계가 필요하다는 점을 강조하고 싶다.

중국은 이러한 문제의식을 정책과 제도 변화로 풀어냈다. 대표 사례가 바로 홍콩거래소의 18A 조항이다. 2010년대 초반, 자국내 자본시장이 그들의 성장을 뒷받침하지 못함을 체감한 중국 바이오 기업이 미국으로 빠져나가는 일들이 빈번하자 홍콩거래소는 2018년 18A 조항을 신설하게 된다. 이 조항은 수익이나 이익이 없어도, 일정 수준 이상의 기술력과 임상 진입 단계에 도달한 바이오 기업이라면 상장을 허용하는 내용을 담고 있다. 그러나 이 제도의 의의는 단순히 상장 난이도를 낮추에 있지 않다. 홍콩은 오히려 전문성과 시장 검증을 강조하는 방식으로 투자자 보호와 산업생태계 육성을 동시에 강화했다.

우리나라에서는 기관투자자의 유입이 많을수록 상장 심사에서 불리하게 작용하는 경향이 있으나, 홍콩은 상장 직전 전문적인 자본의 유의미한 자금유치를 오히려 필수 요건으로 요구한다. 이는 시장에서의 전문적인 검증을 제도적으로 반영한 것으로, 검증된 자본이 참여한 기업에 상장 자격을 부여함으로써 신뢰성을 확보하는 구조다.

한편 공모시에도 기관투자자의 비중을 확대하는 한편, 해당 종목에 ‘B’ 마커를 표시해 고위험 바이오주라는 점을 시각적으로 안내하는 체계도 이를 강화한다. 또한 기관투자자의 매도 제한 기간을 설정해 상장 직후 시장에 미치는 충격을 최소화하고, 개인투자자를 보호하는 장치도 병행하고 있다.

여기에 더해 임상단계, 재무상태, 자금 소진시점에 대해 공시의무를 강화하고, 자금사용 용처를 R&D 등 핵심 영역으로 제한하고 있다. 이를 통해 18A 규정은 신약 개발 기업이 본연의 연구개발에 집중할 수 있도록 제도적 견제장치와 자본시장 연계 구조를 동시에 제공한다.

이 제도를 통해 중국의 대표적인 신약 개발 기업 베이진(BeiGene)은 나스닥 상장 이후 홍콩에도 이중 상장에 성공한 바 있다. 그리고 자본시장에서 조달한 자금을 기반으로 베이진은 BTK 억제제 ‘브루킨사(Brukinsa)’라는 블록버스터 약물을 탄생시켰다. 이는 국내에서도 아직 달성하지

못한 성과로, 한국 역시 바이오 신약 산업을 미래 성장의 핵심으로 삼고자 한다면, 자본시장 구조의 개선과 함께 상장제도에 유연성을 부여하는 노력이 병행되어야 한다.

시장의 질서를 만드는 것은 제도적 절차뿐 아니라 투자자와 운영자의 철학과 태도다. 시장 신뢰와 주주보호가 중요한 상장시장에 진입하기에 전, 비상장 시장 단계부터 바이오 신약 기업에 대한 선별적 투자와 육성이 진행되어야 한다. 이 과정에서 벤처캐피탈리스트는 단순한 자금 공급자가 아니라, 혁신 기업의 공동 설계자로서의 책임과 역할을 자각해야 한다.

선별력 있는 투자, 집중적인 육성, 경영 전략에 대한 조언 등 투자 이후의 행동이 산업 생태계의 방향성을 결정짓는다는 책임감이 필요한 시점이다. 건전한 옥석 가리기를 통해 기업이 제대로 된 기술개발에 몰입할 수 있게 돕는 것이야말로, 코스닥 시장의 신뢰와 한국 바이오 생태계의 지속가능성을 회복하는 시작점이 될 것이다.

2024년은 한국 신약개발 역사에서 이정표로 남을 해다. 유한양행의 ‘렉라자’와 SK바이오팜의 ‘엑스코프리’가 글로벌 신약 시장에서 연이은 낭보를 전하며 국내 신약 산업의 가능성을 입증한 시기였다. 이들 사례를 자세히 들여다보면, 공통적으로 2010년대 초반부터 개발을 시작해 오랜 시간 동안 R&D와 임상을 수행한 끝에 글로벌 시장에서 그 가능성을 증명했다는 사실을 알 수 있다. 렉라자는 두 차례의 기술이전을 거쳐 빅파마의 손에서 FDA 허가를 획득했고, 엑스코프리를 개발한 SK바이오팜은 5천억원의 매출을 내기까지 십수 년의 적자 구조를 감내했다. 이 사실은 곧, 우리의 자본시장이 이러한 시간을 감내할 수 있는 체력과 철학을 갖췄는지에 대한 질문으로 이어진다.

신약은 로마처럼 하루아침에 완성되지 않는다. 긴 개발 기간, 복잡한 규제, 치열한 경쟁 환경을 이겨내고 시장에 도달하기 위해서는 인내와 투자, 그리고 산업 생태계에 대한 이해와 공감의 절실하다.

지금 우리는 대한민국 바이오산업의 두 번째 도약을 마주하고 있다. 이 기회를 놓치지 않기 위해, 정책 · 연구 · 투자의 각 축이 서로의 언어를 이해하고 하나의 생태계로 움직여야 할 때다.

## 약가 정책의 전환점에서 : 제약산업 혁신 생태계 조성을 위한 제언



김진이 보령 상무

### 들어가며

2025년은 한국제약바이오협회 창립 80주년을 맞는 뜻깊은 해이다. 그간 국내 제약산업은 보건안보의 확립과 국민건강 증진, 국가경제에 활력을 불어넣는 핵심 산업으로 자리매김하며 괄목할 만한 성장을 이뤄왔다. 그러나 세계적인 경쟁 환경 변화와 기술 혁신의 가속화 속에서 기존 성장 전략만으로는 지속 가능성을 담보하기 어렵다는 지적이 많다. 이제는 산업 발전의 방향을 근본적으로 재점검하고, 질적 도약을 모색해야 할 시점이다.

글로벌 의약품 시장은 향후 5년간 연평균 6~9% 성장하여 2조 2,550억 달러 규모에 이를 것으로 전망된다.<sup>1)</sup> 이 시장의 중심에는 첨단 기술과 혁신 신약을 보유한 글로벌 제약기업들이 있다. 미국과 유럽 기업이 선도하고 있으며, 중국도 국가 주도의 대규모 투자로 가파르게 추격 중이다. 전 세계가 제약바이오 산업의 기술혁신과 R&D 경쟁력을 국가 경쟁력의 핵심 요인으로 인식하며, 집중적으로 정책적 지원을 확대하고 있다.

제약산업의 기술혁신은 민간의 노력만으로는 한계가 있으며, 정부의 전략적 정책 지원이 결정적인 역할을 한다. 특히 약가제도는 연구개발 성과에 대한 정당한 보상을 통해 기업의 투자 유인을 형성하고, 장기적 R&D 전략 수립을 가능하게 하는 핵심 정책 수단이다.<sup>2)</sup> 따라서 약가제도는 단순한 지출 통제를 넘어, 제약산업의 지속가능한 혁신을 견인하는 정책적 기반으로 재정립되어야 한다.

최근 글로벌 시장에서는 약품비 통제와 혁신 장려 사이의 균형을 모색하는 정책 변화가 본격화되고 있다. 미국은 2022년 인플레이션 감축법(IRA)을 통해 Medicare에 고가 의약품의 가격 협상권을 부여하고 약가 인상률이 물가 상승률을 초과할 경우 페널티를 부과하는 제도를 도입했다. 과거 트럼프 행정부도 '최혜국가격(MFN)' 정책을 시도했으나 업계 반발로 무산된 바 있다. 유럽 주요국도 약가와 혁신의 균형을 위해 다양한 제도를 운용 중이다. 영국은 매출 기반 환급제도(VPAS)를 시행하고 있으나, 과도한 환급률로 업계 반발이 커지며 최근 개편 논의가 진행 중이다.<sup>3)</sup> 독일은 항생제 등 필수약품의 상한가 인상, 유럽 내 생산기업 우대 조치

1) The Global Use of Medicines 2024: Outlook to 2028. IQVIA Institute Report.

2) Moreno, S. G., & Epstein, D. (2019). The price of innovation-the role of drug pricing in financing pharmaceutical innovation. A conceptual framework. Journal of market access & health policy, 7(1), 1583536.

3) ABPI. (2023). Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing and Access (VPAS) Agreement Summary.

등 공급안정 중심의 약가 정책을 추진 중이다.<sup>4)</sup> 일본은 '혁신 프리미엄 제도'를 유지하면서도 정기적인 약가 재평가를 통해 시장 반응에 따른 조정을 하고 있다.<sup>5)</sup>

이처럼 주요 국가들은 약가정책을 단순한 재정 절감 수단이 아니라 산업정책의 일환으로 재조정하고 있다. 우리나라도 건강보험 재정의 건전성 유지와 국민의 치료 접근성 제고라는 정책 목표를 달성함과 동시에, 제약산업의 혁신 역량을 유지할 수 있도록 약가제도를 재설계할 필요가 있다.

본고에서는 국내 제약사의 연구개발 및 신약개발 현황, 약물재창출, 필수약품 공급 안정화 등 핵심 이슈들을 중심으로, 약가제도의 개선 방향을 모색하고자 한다. 제약산업이 건강보험의 지속 가능성과 국민 건강 증진에 기여하는 전략 산업으로 자리 잡기 위해서는, 약가제도 또한 혁신을 유도하고 정당하게 보상하는 방향으로 전환되어야 할 것이다.

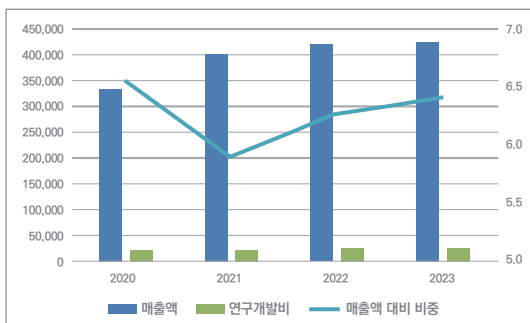
## 국내 제약기업의 연구개발 현황과 과제

### 1) 연구개발 투자 현황과 혁신역량

국내 제약산업은 팬데믹 이후에도 꾸준한 성장을 이어가고 있다. 2023년 기준 국내 의약품 제조업체의 총 매출액은 약 42조 2,257억 원으로, 전년 대비 약 0.7% 증가하였다. 특히 상장 제약사의 경우 총 매출 37조 6,917억 원 중 연구개발비(R&D) 지출은 4조 7,124억 원으로, 매출액 대비 R&D 투자 비율은 12.5%에 달해 2022년(12.7%)에 이어 높은 수준을 유지하고 있다. 혁신형 제약기업의 경우 투자 집중도가 더욱 뚜렷하다. 2023년 기준 42개 혁신형 제약사의 총 매출은 약 16조 8,524억 원, R&D 지출은 2조 4,793억 원으로, 매출액 대비 R&D 비율은 14.7%에 달하며, 이는 전체 의약품 제조기업 평균(6.4%)의 두 배를 넘는 수치이다. 이와 같은 집중 투자는 국내 제약산업의 기술 혁신을 실질적으로 견인하고 있다.

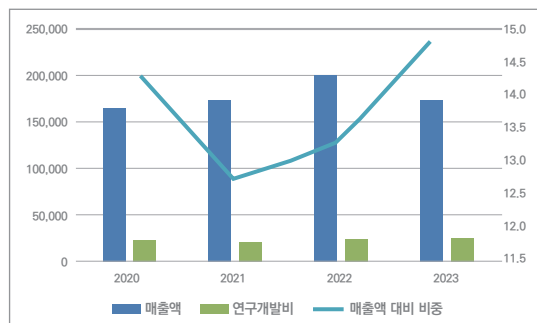
이러한 연구개발 노력은 가시적 성과로도 이어지고 있다. 1999년 SK케미칼의 '선플라주'를 시작으로 현재 총 39개의 국내개발 신약이 허가를 받았으며, (주)보령의 '카나브', HK이노엔의 '케이캡', 유한양행의 '렉라자', 그리고 대웅제약의 '펙수클루'와 '엔블로' 등 최근 몇 년

〈그림 1〉 국내 제약기업 연구개발비(단위 : 억원, %)



(자료 : 2024 제약바이오산업 Databook, 한국제약바이오협회)

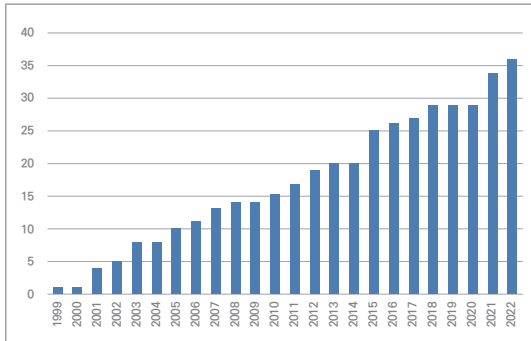
〈그림 2〉 혁신형 제약기업 연구개발비(단위 : 억원, %)



4) Reuters. (2023, June 29). Germany to raise price caps for key medicines amid shortages.

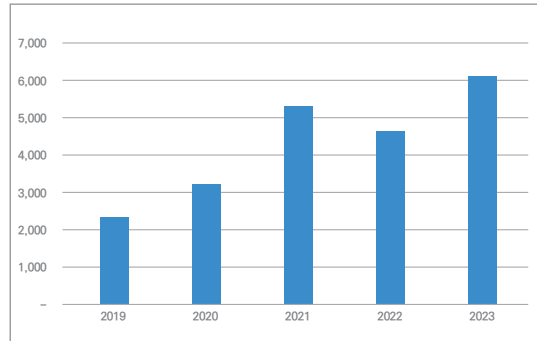
5) Japan Pharmaceutical Manufacturers Association (JPMA). (2023). Pricing and Reimbursement System in Japan.

〈그림 3〉 연도별 국내개발신약 허가 품목 수(누적)



(자료 : 2024 제약바이오산업 Databook, 한국제약바이오협회)

〈그림 4〉 연도별 국내개발신약 생산실적(단위: 억원)



간 의미 있는 신약 개발 성과가 지속되고 있다. 이와 함께 바이오벤처를 중심으로 다수의 글로벌 기술수출 제약이 체결되며 국제 경쟁력도 점차 강화되고 있다.

그러나 이러한 성과에도 불구하고 글로벌 수준의 R&D 역량과는 여전히 격차가 존재한다. 글로벌 빅파마들은 연간 10조 원 이상의 연구개발 투자를 단일 기업 차원에서 집행하고 있으며, 이와 비교해 국내 상위 제약사의 R&D 투자 규모는 대부분 1,000억 원대에 머물러 있다. 또한, 글로벌 10대 제약사의 매출액 대비 R&D 비중은 평균 24% 수준으로, 10%대<sup>6)</sup>인 국내 제약사의 투자 여력과 자금 조달 기반은 구조적 한계에 직면해 있다. 이러한 이유로, 'First-in-Class' 수준의 혁신신약 개발은 아직 드물며, 최근 5년간의 혁신신약 개발 실적을 보면 유럽 5개국은 66건, 미국은 25건, 일본은 6건, 중국은 2건의 혁신신약이 개발된 반면, 한국은 뚜렷한 사례를 찾아보기 어렵다.<sup>7)</sup>

## 2) 국내개발신약의 약가 결정 구조와 한계

국내 제약사의 신약 개발은 아직까지도 다수가 follow-on drug이나 me-too drug에 집중되고 있으며, 이로 인해 약가 산정 시 기존 대체약제 대비 비용효과성을 입증해야 하는 구조적 제약이 존재한다. 특히, 대체약제들이 이미 특허 만료 또는 제네릭 등재로 인해 약가가 낮아진 상황(오리지널 약가의 평균 53.55%)에서 신약이 등재되는 경우, 임상적 유용성이나 치료적 혁신성에도 불구하고 상대적으로 낮은 가격이 책정되는 사례가 반복되고 있다.

국내개발신약 중 매출 상위 10개 품목을 분석한 결과, 6개 품목은 '대체약제 가중평균가 이하 수용' 방식으로 등재되었고, 10개 품목의 대체약제 대비 약가는 최소 89%, 최대 133% 수준이었다. 이 중 약가가 100%를 초과한 1개 품목은 '국내개발신약 약가 우대'<sup>8)</sup>가 종료되기 이전에 등재된 경우로, 제도 폐지 이후 등재된 신약들은 대부분 90~97% 수준의 약가로 책정되었다.<sup>9)</sup> 이는 글로벌 제약사가 프리미엄 약가를 획득하는 구조와 분명한 차이를 보인다.

6) 2024 제약바이오산업(한국제약바이오협회) DATABOOK

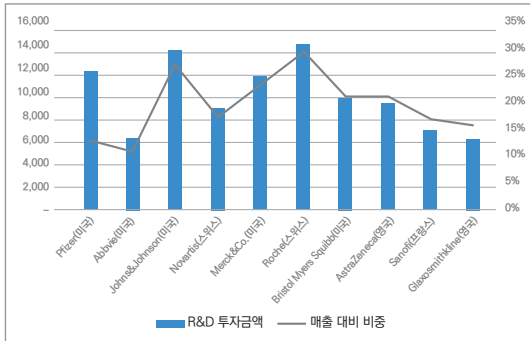
7) 장영욱, & 윤형준. (2024). 제약·바이오 산업 분야 글로벌 기술매권 경쟁 현황과 우리나라의 대응. [KIEP] 기초자료, 24(3), 1-27.

8) 제도 국내개발 신약 약가우대는 2016년부터 2018년까지 '글로벌 혁신신약 약가우대제도' 명목으로 한시적으로 운영된 바 있다.

9) 보건복지부는 '신약의 혁신가치 반영 및 보건안보를 위한 약가 제도개선' 방안에 따라 2025년부터 혁신형제약사의 비열등신약은 '대체약제 상한금액 중 최고가'와 '대체약제의 가중평균금액에서 가산(×100/53.55, 약 1.8배)된 금액' 중 '낮은 가격'으로 약가를 결정하는 '혁신형 제약 국내개발신약 약가우대' 방안을 시행하기로 하였다.

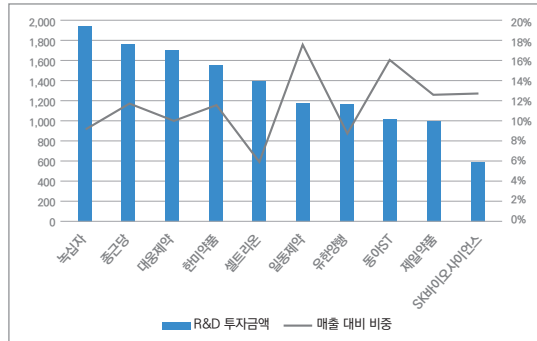
10) 이탁순, 2010.06.10., '동아ST 개발 항생제 '시베스트로' 품목허가 취하', 데일리팜

〈그림 5〉 주요 다국적제약사 R&D 투자금액(2022년, 백만달러)



(자료 : 2023 Pharma Exec Top 50 Companies)

〈그림 6〉 국내 주요제약사 R&D 투자금액(2022년, 억원)



이러한 낮은 약가는 국내 신약의 해외 수출에도 불리하게 작용한다. 국내 약가는 국제 협상 시 기준점으로 활용되므로, 국내에서 낮은 가격으로 책정될 경우 해외에서도 낮은 가격으로 수용될 가능성이 높다. 실제로 동아에스티의 항생제 신약 ‘시벡스트로(테디졸리드)’는 미국과 유럽에서 허가를 받았음에도 국내 출시를 무산된 바 있으며<sup>10)</sup>, 이는 국내 약가 구조가 신약 상업화에 미치는 부정적 영향을 단적으로 보여준다.

또한, 국내 개발 신약 중 연간 매출 100억 원을 초과한 품목은 9개(24%), 1,000억 원을 초과한 품목은 단 3개(8%)에 불과하다(표 1). 신약의 성공률 자체가 낮은 상황에서, 높은 초기 투자비용에도 불구하고 낮은 수익성과 높은 불확실성은 제약사의 혁신 의지를 약화시킬 수 있다.

더욱이 약가 등재 이후에도 사용량-약가 연동제, 실거래가 인하, 급여범위 확대 시 약가인하 등 다양한 사후 약가관리 제도가 적용되고 있으며, 최근에는 보건복지부가 추진 중인 해외약가재평가 제도에 따른 추가 인하 가능성까지 제기되고 있다. 특히 2024년까지 논의된 재평가 방안에 따르면, 주요 참조국<sup>11)</sup>에 등재 이력이 없는 품목에 대해서도 비용효과성과 임상적 가치

를 고려하지 않고, 유사약제의 평균 인하율을 일괄적으로 적용하여 추가 인하하는 방식이 포함되어 있다. 이 제도가 시행될 경우, 미국, 유럽, 일본 등 주요 참조국에서 등재 사례가 없는 상당수 국내개발신약은 후발의약품 등재로 인해 이미 약 53.55% 수준으로 인하된 약가에서, 다시 20~30% 수준의 추가 인하<sup>12)</sup>를 겪을 가능성이 있으며, 이는 장기적 투자 회수의 불확실성을 심화시키고 신약개발 동력을 크게 저해할 수 있다.

### 3) 국내개발신약의 가치와 약가제도 재설계의 필요성

국내에서 개발된 신약은 비록 글로벌 제약사의 first-in-class 제품들과 비교해 기전의 독창성이나 시장 주도력 측면에서는 상대적으로 제약이 있을 수 있으나, 국내 환자군을 대상으로 대규모 임상시험을 통해 실제 치료 효과와 안전성을 입증하였다는 점에서 임상적 가치가 높다. 특히 국내 의료 환경에 적합한 적응증 설정과 접근성 향상은 환자 중심의 치료 옵션 확대라는 측면에서도 의미 있는 성과이다.

11) 영국, 프랑스, 독일, 스위스, 이탈리아, 일본, 미국, 캐나다 등 A8 국가의 약가를 참조국으로 하여 참조국의 약가를 기준으로 국내 의약품 가격을 정기적으로 재평가하여 조정할 계획이다.

12) 해외약가재평가의 평가기준이 확정되지 않아, 분야별 평균 인하율을 예측하기 어려우나, 고혈압 치료제인 ARB계열은 최대 25% 수준의 인하율이 적용될 것으로 예상된다.



〈국내개발신약 중 연간 100억 이상 매출 품목〉

| 연 번 | 개발연번 | 제품명   | 제조사      | 허가년도 | 급여년도 | 2023년 IMS 매출액 |            |
|-----|------|-------|----------|------|------|---------------|------------|
|     |      |       |          |      |      | 단일제품          | Family 제품군 |
| 1   | 12호  | 펠루비정  | 대원       | 2007 | 2008 | 151억원         | 343억원      |
| 2   | 14호  | 놀텍정   | 일양       | 2008 | 2009 | 283억원         | -          |
| 3   | 15호  | 카나브정  | 보령       | 2010 | 2011 | 458억원         | 1,284억원    |
| 4   | 19호  | 제미글로정 | LG       | 2012 | 2012 | 293억원         | 1,068억원    |
| 5   | 20호  | 듀비에정  | 종근당      | 2013 | 2014 | 132억원         | 145억원      |
| 6   | 30호  | 케이캡정  | HK.innoN | 2018 | 2019 | 1,057억원       | 1,268억원    |
| 7   | 31호  | 렉라자정  | 유한       | 2021 | 2021 | 226억원         | -          |
| 8   | 33호  | 롤론티스정 | 한미       | 2021 | 2021 | 114억원         | -          |
| 9   | 34호  | 펙수클루정 | 대웅       | 2021 | 2022 | 412억원         | -          |

(자료 : 약가제도전문위원회, 한국제약바이오협회)

국내개발신약들은 대부분 글로벌 신약에 비해 낮은 약가 수준에서 급여가 결정되어 건강보험 재정의 효율성을 높이고, 사회적 의료비 부담 경감에도 기여하고 있다. 이처럼 임상적 유용성과 경제적 접근성을 동시에 충족시키는 국내개발신약의 가치는 단순한 기전의 혁신성만으로 판단되어서는 안 되며, 보다 복합적인 평가가 필요하다.

따라서, 약가제도는 작용기전의 혁신성뿐 아니라 임상 효과성, 사회적 편익, 경제적 파급효과 등을 종합적으로 고려하는 다층적 평가 기준에 기반하여 설계되어야 한다. 이를 통해 제약기업에게는 명확한 투자 보상 기준을 제공하고, 국민에게는 다양한 치료 대안의 선택지를 제공할 수 있는 기반이 마련될 수 있다.

국내 제약산업은 지금, 도전적인 신약개발에 착수한 기업들의 노력이 시장에서 정당한 평가를 받을 수 있는 제도적 환경을 절실히 필요로 하고 있다. 연구개발을 독려하는 약가제도는 단순한 우대 수준을 넘어, 불확실성과 리스크를 감내한 투자에 대해 정당한 보상이 가능

해야 하며, 이를 통해서만이 비로소 글로벌 경쟁 속에서 한국 신약의 지속 가능한 성장이 가능할 것이다.

## 혁신을 유도하는 약가제도 설계 방향

### 1) 약물재창출 : 저위험 혁신전략에 대한 보상의 필요성

신약 개발은 본질적으로 막대한 시간과 자원이 소요되는 고위험·고비용 산업이다. 동물실험 및 임상시험에서 요구되는 안전성, 유효성, 품질에 대한 엄격한 규제 기준으로 인해 신약 1건 개발에 약 12~17년이 소요되며<sup>13)</sup> 실패 확률도 높다. 미국 식품의약국(FDA)에 따르면 1995년 이후 FDA 신약 승인 수는 점차 감소하는 추세이며<sup>14)</sup>, 제약산업협회(PhRMA)의 보고에 따르면 신약 개발을 위한 투자비용은 꾸준히 증가하고 있다. 이와 같은 흐름은 향후 신약 개발의 실패 위험이 더 커지고, 비용 구조는 더욱 악화될 수 있음을 시사하며, 보다 효율적인 개발 전략의 필요성이 제기되고 있다.

13) Tobinick, E. L. (2009). The value of drug repositioning in the current pharmaceutical market. Drug news & perspectives, 22(2), 119-125.

이러한 맥락에서, 기존에 승인된 약물의 새로운 적응증(indication)을 개발하는 ‘약물 재창출(drug repositioning)’은 상대적으로 낮은 비용과 실패 위험으로 인해, 실용적인 혁신 전략으로 주목받고 있다. 개발 기간은 약 3~12년으로 전통적인 신약 개발보다 짧으며, 개발 비용도 20% 수준에 불과하다(그림 7)<sup>15)</sup>.

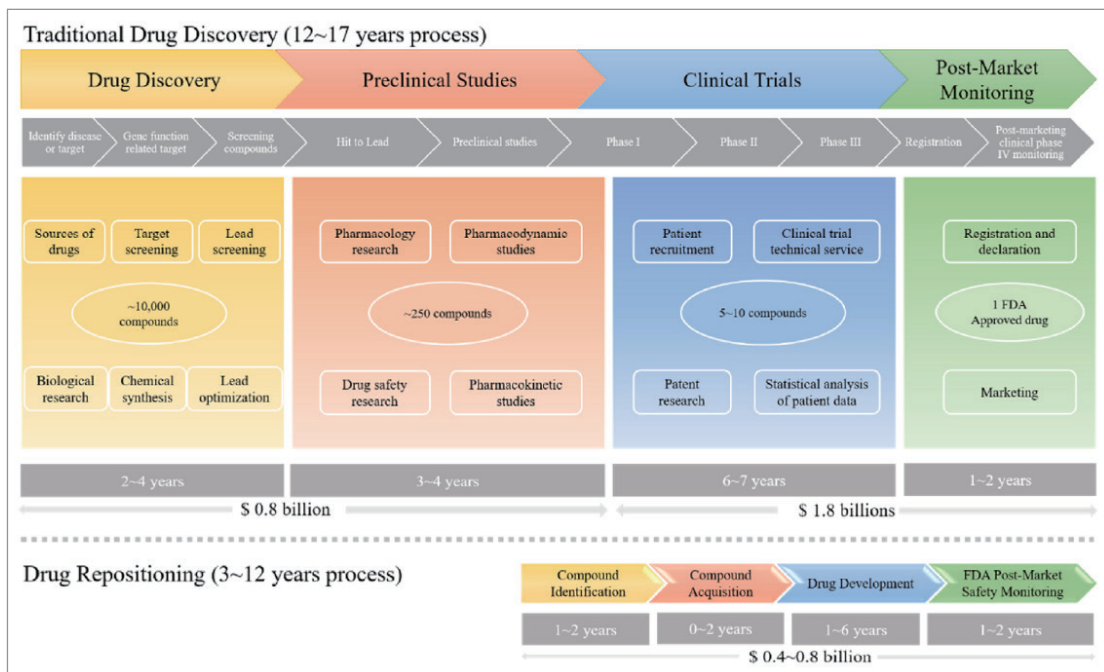
약물재창출은 R&D 자원이 상대적으로 제한적인 국내 제약사에게는 글로벌 신약 개발 경쟁에서 생존과 도약을 위한 중요한 전략적 대안이 될 수 있다. 그러나 현행 약가제도는 적응증 확대를 통해 임상시험과 허가를 완료하더라도, 약물의 추가적 임상 가치가 약가에 반영되지 않는 구조로 되어 있어, 기업 입장에서 재창출에 대한 투자 유인이 부족한 실정이다. 동일 성분이라는 이유로 새로운 치료 효과에 대한 보상이 제대로

이루어지지 않는 것은, 결과적으로 사회 전체의 편익을 저해하는 원인이 될 수 있다.

이와 관련해 Cole 등(2019)은, 동일한 성분의 약물이라 하더라도 적응증에 따라 임상적 가치가 상이할 수 있으므로, 약가 역시 이에 맞춰 차등적으로 설정되어야 한다고 주장한다<sup>16)</sup>. 이는 단순한 가격 책정의 문제가 아니라, 가치가 높은 적응증에 대해 정당한 보상이 이루어질 때, 제약사는 보다 적극적으로 해당 분야에 대한 임상연구와 허가 확대에 나설 수 있으며, 그 결과 환자의 치료 선택권 확장과 사회적 후생 증진으로 이어진다는 점에서 중요한 정책적 시사점을 갖는다.

실제로 유럽 주요국들은 적응증 기반 약가 산정방식을 부분적으로 적용하고 있다. 독일, 프랑스, 호주 등

〈그림 8〉 연도별 국내 의약품 자금도(단위 : %)



14) Pharmaceutical Research and Manufacturers of America. [http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/2015\\_pharma\\_profile.pdf](http://www.phrma.org/sites/default/files/pdf/2015_pharma_profile.pdf). 2015.

15) Hua, Y., Dai, X., Xu, Y., Xing, G., Liu, H., Lu, T., ... & Zhang, Y. (2022). Drug repositioning: Progress and challenges in drug discovery for various diseases. *European journal of medicinal chemistry*, 234, 114239.

16) Cole A, Towse A, Zamora B (2019) Indication-Based Pricing (IBP) Discussion Paper: Should drug prices differ by indication? Office of Health Economics, pp 1-11.

은 적응증별 상대 가치를 평가한 후, 예측 사용량에 따라 기증 평균한 단일 약가를 설정하고 있으며, 이탈리아는 적응증별로 상이한 위험분담 계약을 운영함으로써 실질적인 차등 가격제를 도입하고 있다. 동일 성분의 약물이라도 제형이나 제품명을 달리해 적응증에 따라 약가를 달리 적용하는 전략도 일부 국가에서 활용되고 있다. 유럽 16개국의 약가 결정 관련 이해관계자들을 대상으로 한 설문조사에서는 제약업체 95%, 보험자 65%, 규제기관 83.3%가 적응증 기반 약가제도(indication-based pricing, IBP)의 도입에 긍정적으로 응답했으며, 70%는 이 제도가 환자의 신약 접근성을 높일 수 있다고 평가하였다<sup>17)</sup>.

이러한 국제적 흐름과 달리, 국내 약가제도는 약물 재창출로 얻어진 임상적 가치와 사회적 기여를 정당하게 반영하지 못하는 구조에 머물러 있다. 동일한 성분이라는 이유만으로 기존 약가에 연동되어, 신약 수준의 보상을 받기 어려운 현실은 제약기업이 재창출 임상에 적극 참여할 유인을 약화시키는 요인이 되고 있다.

특히 이러한 약가 결정 구조는, 새로운 효능·효과에 대해 임상시험을 수행하고 적응증을 추가할 경우, 제출된 임상 자료에 일정 기간 보호를 부여하는 ‘의약품 자료보호 제도’의 취지와도 상충된다. 의약품 허가제도는 임상적 가치에 대한 일정한 인정과 보상을 제도적으로 보장하고 있음에도 불구하고, 약가제도는 이를 가격 측면에서 전혀 반영하지 않는 구조인 것이다.

따라서 약물 재창출에 따른 새로운 임상 가치를 적응증 단위로 인정하고, 그에 상응하는 가격을 책정할 수 있도록 약가제도를 정비해야 한다. 약물재창출을 통해 새로운 적응증으로 허가받은 의약품에 대해 일정 기간 신약 수준의 약가 프리미엄을 인정하거나, 별도 관리항목으로 지정해 사용 활성화를 유도할 수 있도록 해

야 한다. 아울러, 재창출 연구에 대한 정부의 R&D 지원, 신속허가 트랙 운영, 데이터베이스 구축 등도 병행되어야 하며, 이를 통해 약물재창출이 산업 혁신과 공공 보건으로 목표를 동시에 달성하는 경로로 자리매김할 수 있도록 해야 한다.

## 필수의약품 공급 안정화를 위한 약가 정책 개선

### 1) 공급 불안정의 구조적 배경

코로나19 팬데믹은 전 세계 의약품 공급의 취약성을 여실히 드러낸 계기였다. 수요 급증을 넘어, 글로벌 공급망의 집중화, 제조기반의 해외 의존, 낮은 수익성으로 인한 필수약품 생산 기피 등의 구조적 요인이 복합적으로 작용하면서 의약품 부족 현상이 심화되었다. 특히 주요 원료의약품(API) 및 중간체 생산이 중국과 인도 등 소수 국가에 편중되어 있는 현실에서, 이들 국가의 봉쇄 조치나 물류 차질은 전 세계적 의약품 품질 사태로 직결되었다. 2020년 팬데믹 초기 중국의 봉쇄 조치는 해열진통제 원료인 아세트아미노펜의 공급을 제한하며, 실제 전 세계적인 품귀 현상을 초래하였다.

한편, 글로벌 제약사들은 고수의 신약에 역량을 집중하면서, 낮은 가격과 마진으로 수익성이 부족한 필수약품의 생산을 축소하는 경향을 보이고 있다. 이로 인해 항생제, 수액제, 해열제 등 국민 건강에 필수적인 저가 의약품의 공급이 팬데믹 시기 급격히 불안정해졌으며, 일부 품목은 실제 의료 현장에서 품질 사태로 이어졌다.

정부는 이러한 공급 위기를 대응하기 위해 공급 위험이 높은 품목을 ‘국가필수의약품’으로 지정하여 별도 관리하고 있으나, 낮은 채산성으로 인해 국내 제조사가 생산을 기피하거나 원료 공급의 어려움으로 단종·품질이

17) 하소영, 강동원, 황인경, & 박미혜. (2021). 신약의 적응증 확대와 가치평가 방안 연구: 면역항암제와 표적항암제를 중심으로. 약학회지, 65(2), 150-157.에서 재인용

빈번히 발생하고 있는 실정이다. 한국희귀질환의약품센터에 따르면, 2023년 한 해 동안 국가필수의약품 81개 품목에서 총 107건의 공급 중단 사례가 보고되었다.

이와 같은 상황은 자급률 지표에서도 확인된다. 식품의약품안전처 자료에 따르면, 2022년 기준 완제의약품 자급률은 68.7%, 원료의약품은 11.9%에 불과하며, 최근 10년간 뚜렷한 개선 없이 정체 또는 하락세를 보이고 있다. 특히 제네릭 중심의 국내 생산 구조는 약가 인하 압박과 제조원가 절감을 위해 중국·인도산 원료를 우선 사용하는 구조로 이동해 왔으며, 이는 공급망 위기 발생 시 국내 생산까지 직접적으로 타격을 입는 구조적 리스크로 이어진다.

그럼에도 불구하고 국내 제약기업들은 낮은 수익성과 원가 부담 속에서도 국민건강을 지키는 필수약품의 국내 공급을 유지해왔으며, 특히 다국적 제약사들이 시장에서 철수하는 가운데 국내 기업들이 제조기반을 유지하며 공급 책임을 이행한 점은 의료안보 차원에서 중요한 의미를 지닌다.

## 2) 약가제도의 개선 방향

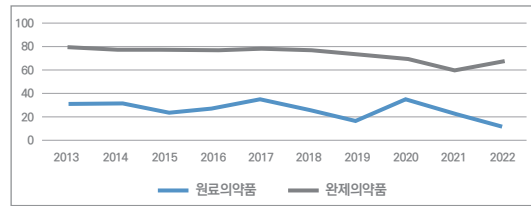
이와 같은 필수약품 공급 불안정 문제는 대부분 채산성 저하에 기인하고 있으며, 그에 따른 제약사의 생산 기피 현상은 장기적으로 보건의료 체계 전반에 영향을 미칠 수 있다. 따라서 현실적인 생산원가를 반영하여 약가를 인상할 수 있는 제도적 장치의 마련이 시급하다.

### ① 지정기준선의 현실화: 퇴방 지정기준선 인상

현재 운용 중인 퇴장방지의약품(퇴방) 제도의 약가 지정기준은 수십 년 전 설정된 기준으로, 내복제 525원, 외용제 2,800원, 주사제 5,257원에 불과하다. 제조원가가 이 기준선을 초과하더라도, 인상은 기준선까지만 가능하며 그 이상은 허용되지 않는다.

이로 인해 실질적인 제조원가 보전이 불가능한 구조가 지속되고 있으며, 생산을 유지하는 기업에는 재정

〈그림 8〉 연도별 국내 의약품 자급률(단위: %)



주: 자급률 = (생산-수출)/(생산-수출+수입)

(자료: 2023 식품의약품 통계연보)

적 부담만 가중되고 있다. 예를 들어, 국내 유일 생산처였던 A사의 설비 문제가 발생하자, 해당 기초항암제는 전국적으로 품절되었고 수많은 환자들의 치료 일정이 지연되었다. 지정기준선이 현실화되어 있었다면, 보다 신속한 생산 재개와 공급 안정화가 가능했을 것이다.

따라서, 시장 상황과 제조원가 변화를 반영한 기준선의 탄력적 조정이 반드시 필요하다. 기준선을 경직적으로 고정하는 것이 아니라, 정기적으로 조정하거나 품목 특성에 따라 차등 적용하는 구조 개편이 요구된다.

### ② 공급 기능 중심의 예외 규정 적용

현재 제도는 대체약제가 존재한다는 이유만으로 퇴방 지정율 배제하거나 약가 인상을 제한하고 있다. 그러나 대체약제가 단순히 등재되어 있다는 것만으로 실제 공급 기능을 수행한다고 보기 어렵다.

실제로 대체약제가 존재하더라도 유통망이 협소하거나 처방이 이루어지지 않는 경우가 많으며, 병원 납품이나 환자 접근성이 제한되어 있는 경우도 존재한다. 이러한 경우에는 공급기능을 제대로 수행하지 못하므로, 실질적인 대체약제로 보기 어렵다.

따라서, 제도 운영 시 공급 기능 중심의 유연한 판단 기준이 필요하다. 대체약제 여부 판단 시에는 실제 유통량, 처방 비율, 병원 납품 현황 등의 실증적 데이터를 기반으로 해야 하며, 불가피한 경우에는 예외 적용이 가능하도록 명문화할 필요가 있다.

### ③ 약가 인상 이후 일정 기간 약가 보장

수급불안정 품목에 대해 약가를 조정한 이후에도, 해당 약가가 단기간 내 실거래가 인하 또는 사용량 약가 연동제(PVA)에 따라 다시 하락하는 사례가 빈번하다. 특히 주사제 등 병원 입찰 시장에서는 저가 낙찰 구조로 인해 실거래가가 급격히 떨어지고, 결과적으로 조정된 약가조차 유지되지 못하는 문제가 발생하고 있다. 이로 인해 약가 인상을 통한 공급 안정화 조치가 무력화되며, 일정 기간이 지나면 다시 생산 중단과 공급 불안정의 악순환이 반복되는 구조가 고착화된다.

따라서 필수약품에 대해서는 약가 인상 이후 일정 기간 동안 인상된 약가를 유지할 수 있도록 제도적 보호 장치를 마련해야 한다. 예컨대 실거래가 반영에 유예기간을 명문화하거나, PVA 적용 예외를 인정하는 방식이 필요하다. 이러한 보호 장치는 제약사로 하여금 생산 확대 및 안정적 공급 유지를 위한 인센티브를 제공하며, 국가 차원의 의약품 공급망 안정화에 기여하게 될 것이다.

## 결론 : 약가제도 혁신이 곧 제약산업 혁신이다

약가제도는 단순한 의약품 지출 관리 수단을 넘어, 제약산업의 연구개발(R&D) 투자 유인을 조성하고 자본시장과의 연계를 통해 산업 전반의 혁신 역량에 직접적인 영향을 미치는 핵심 구조요인이다. 최근의 연구들은 신약의 가격이 단지 현재의 소비지출을 의미하는 것이 아니라, 해당 기업의 미래 가치와 성장 가능성을 반영하는 척도로 작용하며, 나아가 자본조달 능력(capital access)을 결정하는 중요한 변수임을 강조하고 있다<sup>18)</sup>.

특히, 가치 기반 약가(Value-Based Pricing) 원칙에서 벗어난 과도한 가격 통제는 제약사의 수익성과 시장 신뢰도를 훼손할 뿐 아니라, 중장기적으로는 필수적인

R&D 투자를 위축시켜 궁극적으로 혁신의 지속성을 해치는 결과를 초래할 수 있다. 이는 단기적인 약품비 절감을 통해 얻는 재정 효율성과 비교하여 훨씬 큰 기회비용을 동반한다는 점에서 정책적 재검토가 필요하다.

반대로, 신약의 임상적 가치와 사회적 편익을 정당하게 반영하는 약가 정책은 제약기업에게 예측 가능한 수익 구조와 재무적 안정성을 제공하여, 보다 적극적인 R&D 투자와 장기 전략 수립을 가능하게 한다. 이러한 구조는 결국 환자에게는 새로운 치료 옵션을 제공하고, 국민 건강 향상과 건강보험의 지속 가능성 강화라는 공공정책 목표에도 부합하는 선순환을 이끌어낼 수 있다.

따라서 약가제도는 단기적 재정 절감이라는 협소한 틀에 갇히기보다, 장기적인 사회 후생(social welfare) 극대화라는 전략적 관점에서 설계되어야 한다. 혁신 의약품이 임상적·사회적 가치를 바탕으로 정당한 가격을 인정받고, 그 수익이 미래 혁신에 재투자되는 투자-보상-재투자 선순환 구조가 정착될 때, 건강보험의 지속성과 제약산업의 발전은 상호 보완적으로 실현될 수 있다. 이는 곧 국민 건강과 국가 산업 경쟁력이라는 두 축을 함께 지탱하는, 약가 정책의 바람직한 진화 방향이 될 것이다.

18) Santiago G. Moreno & David Epstein (2019) The price of innovation – the role of drug pricing in financing pharmaceutical innovation. A conceptual framework, Journal of Market Access & Health Policy



## AI가 바꾸는 신약개발의 미래



표준희 한국제약바이오협회 AI신약융합연구원 부원장

### 들어가며: 전통적인 신약개발의 한계를 넘어서

신약개발은 고위험, 고비용, 장기투자의 대표적인 분야이다. 하나의 신약이 환자에게 도달하기까지 평균 10~15년의 기간이 소요되며, 비용은 1조원에서 3조원에 다다른다. 임상시험의 성공 확률은 10% 이하이며, 개발 중단되는 경우 상당수는 약물의 안전성, 유효성 또는 시장성과 관련된 불확실성에 기인한다. 이러한 비효율성과 불확실성을 극복하기 위해 최근 인공지능(AI)이 단순한 도구를 넘어 신약개발의 전 주기에 걸쳐 핵심 동력으로 진화하고 있으며, 그 가시적 성과가 나타나기 시작하였다. 인공지능, 로봇, 클라우드 등 첨단 기술의 발전은 산업의 자율화 혁신을 이끌고 있으며, 특히 생성형 AI, AI 에이전트 모델, 자율주행 실험실, AI 기반 정밀의료 등의 기술은 신약개발 R&D 프로세스에 혁신을 가져와 제약바이오 산업의 패러다임을 재편하고 있다. 이에 AI 기반 신약개발의 현재와 미래 기술을 조망하여, 앞으로 다가올 신약개발 R&D 혁신을 준비하는데 도움이 되고자 한다.

### 현재 신약개발 전주기 AI 기술 적용 현황

#### 1) 타겟 발굴 및 검증 (Target Identification & Validation)

AI는 유전체, 전사체, 단백질체, 대사체 등 멀티오믹스 데이터를 통합 분석하여, 질병 관련 유전자와 단백질을 찾아내는데 사용되며, 이는 질병 기전을 이해하고 치료 타겟을 규명하는 첫 단계이다. 인공 지능 기술을 활용한 유전자-질병의 연관성 및 인과관계 분석, 유전자 네트워크 해석, 자연어 처리를 통한 문헌 기반 타겟 및 바이오마커 발굴 등이 있다. Deep Genomics 사는 유전자 돌연변이의 병리학적 영향을 예측함으로써 약물 타겟 발굴을 자동화하고, BERG Health 사는 AI로 대사체 데이터를 분석하고 암세포와 정상세포 간의 기능적 차이를 정량적으로 모델링하여 신규 바이오마커를 발굴한다. 최근 가상세포 시뮬레이션 등을 활용하여 타겟을 발굴하고 질병 메커니즘을 이해하고자 한다.

#### 2) 후보 물질 발굴 및 최적화 (Lead generation & optimization)

신약 후보 물질을 설계하는 단계에서 Gen AI, 특히 분자 설계 모델을 이용해 효율적으로 새로운 약물 구조를 생성하고 스크리닝한다. 약효, 독성, 약동학/



약력학, 합성 가능성 등의 약물 설계 요소를 균형 있게 만족시키도록 약물 구조를 생성하는 모델(multi-parameter optimization)을 도출하여, 선도 물질 최적화(lead optimization) 과정을 효율화 할 수 있다. 전향적인 실험 검증 데이터를 추가적으로 입력하여 모델을 고도화함으로써, 개별 기업이나 타겟 종류에 특화된 선도 물질 최적화(lead optimization) 모델을 구축하여 활용 가능하다.

### 3) 단백질 구조 예측 및 바이오의약품 개발 (Protein structure prediction & biologics development)

구글 딥마인드의 AlphaFold3가 불러온 단백질 구조 예측의 혁신은 특히 신약개발에서의 활용도가 매우 높다. AI 기반 단백질 구조 예측은 신약개발에서 타겟 발굴의 사각 지대를 해소하고, 약물 설계의 속도와 정밀도를 획기적으로 끌어올리는 게임체인저이다. 특히 구조가 크고 다양해 설계 및 예측이 어려운 바이오의약품 개발 단계에서 활용도가 높는데, 타겟 구조 이해, 다른 생체 분자 및 리간드와의 결합력 예측, 항원-항체 상호작용 예측, 면역원성 예측 등에 활용되며, 약리학적 활성을 갖는 단백질 구조를 이루는 아미노산 시퀀스 추론이 가능하다. 펩타이드 약물의 서열을 디자인하고, 구조적 안정성, 분해 저항성 및 생체 투과성을 예측하는데 활용된다. RNA 서열 최적화, 구조 안정성 예측, 면역 반응성 예측, 전달체 설계, 생산 최적화 등 mRNA 치료제 및 백신의 설계와 최적화에 활용되고 있다. 최근 엔비디아의 생성형 유전체(Generative Genomics) 플랫폼 Evo2의 개발은 이러한 발전을 더욱 가속화 시킨다.

### 4) 전임상/임상 최적화 (Pre-Clinical/Clinical Optimization)

전임상 단계에서는 신약 후보물질의 유효성과 안전성을 검증하기 위해 세포실험, 동물실험이 수행되며, AI는 독성 예측, 약물 동태학(ADME) 예측 및 동물실험 대체 기술 등에 활용되어, 전임상 연구의 효율을 높이고 윤리적 문제를 완화한다.

임상시험 성공률 제고 및 비용 절감을 위해 프로토콜 강화, 환자군 선별, 바이오마커 이행, 임상 시험 설계 등에 AI를 활용한다. 또한 중간 특이성을 극복하기 위하여 전임상-임상 이행 연구에 AI를 활용하여 임상 이행성을 높인다. 인체 생리와 보다 유사한 모델과 컴퓨터 시뮬레이션을 활용하여 동물 실험을 대체하려는 노력이 활발하며, AI 기술이 주요 방법론으로 활용된다. 또한 중간 특이성을 극복하기 위해 전임상-임상 연계 이행 모델을 개발하는데 전이학습 등 AI 기술이 적용된다.

### 5) 약물 재창출 (Drug repurposing)

기존에 승인되었거나 개발 중단된 약물을 새로운 적응증을 발견하는데 있어서, 전통적으로 우연한 발견이나 제한된 지식에 의존했으나, 최근 AI를 활용하여 방대한 생물학 데이터를 분석하여 체계적으로 적응증을 발굴하고 있다. 유전체 및 전사체 분석, 약물-표적 상호작용 예측을 통한 오프 타겟 효과 발견, 질병 유사성 및 네트워크 분석, 표현형 데이터 분석, 문헌 검색을 통해 신규 적응증을 예측한다.

## 주요 최근 기술 트렌드 및 사례

### ▶ AI 기반 동물대체시험 확대

신약개발 초기 단계에서 약물의 독성, 대사, 약리작용 등을 확인하기 위해 수많은 동물실험이 수행된다. 하지만 동물 희생에 대한 윤리적 이슈, 중간 특이성에 따른 동물 모델의 생물학적 한계, 동물 실험 비용과 속도, AI 기술의 발전, 규제 정책 변화 등의 이유로 최근 AI기반 동물대체시험법이 부상하고 있다. 2025년 4월 미국 식약처(FDA)에서 단일클론항체(mAbs)와 같은 특정 바이오의약품에 대하여 더 이상 동물 실험을 필수요건으로 두지 않겠다고 발표했고, 과학적으로 신뢰할만한 대체시험법에 대하여 의약품 승인을 위한 근거로서 규제 적용이 가능함을 밝혔다.

FDA는 독성 및 세포주에 대한 AI 기반 계산 모델, 실험실 환경에서의 오가노이드 독성 테스트(소위 New Approach Methodologies 또는 NAM 데이터)를 포함한 다양한 접근 방식 등을 잠재적으로 동물실험을 대체할 수 있는 기술로 꼽았다.

FDA는 이번 조치를 'NAM 데이터'를 포함할 것을 권장하는 임상시험계획(IND) 신청에 적용한다는 방침이다. FDA는 약물 효능을 판단할 때, 동일한 규제 수준을 갖춘 해외에서 이미 확보된 인체 대상 데이터를 활용할 수 있다고도 했다.

마틴 마카리(Martin Makary) FDA 국장은 “너무 오랫동안 제약회사들은 국제적으로 광범위하게 인간이 사용할 수 있는 데이터가 있는 약물에 대해 추가적인 동물실험을 수행해왔다”며 “이 이니셔티브는 ‘약물 평가의 패러다임 전환’을 의미하며, 동물 사용을 줄이면서 의미 있는 치료를 가속화할 수 있는 가능성을 제시한다”고 강조했다.

그는 “AI 기반 컴퓨터 모델링, 인간 장기 모델 기반 실험실 테스트, 실제 인간 데이터를 함께 활용함으로써 환자에게 더 빠르고 신뢰할 수 있는 치료옵션을 제공할 수 있다”며 “이는 연구개발(R&D) 비용과 의약품 가격을 낮추는 동시에, 공중 보건과 윤리 측면에서도 모두에서 효과를 기대할 수 있다”고 전망했다.

따라서 앞으로 AI기반 동물대체시험은 향후 신약개발의 필수 수단이 될 가능성이 높다. 특히 생성형 AI와 독성 필터링의 결합, PBPK/QSP 모델과 강화학습의 결합, AI와 오가노이드 플랫폼 통합 등이 새로운 발전의 축으로 주목 받고 있다. 다만, 블랙박스 모델에 대한 규제 수용성 여부, 특정 독성 항목에 대한 고품질 데이터의 부족, 생물학적 복잡성 재현의 한계, 검증 방법 확보 등 앞으로 연구 및 해결해야할 과제가 남아있다.

## ▶ AI 에이전트의 부상: 신약개발의 새로운 두뇌

AI 에이전트는 기존의 단순한 AI 알고리즘을 넘어서, 사용자의 지시를 이해하고 자율적으로 실행 계획을 수립하며, 과학적 문제 해결을 위해 협력까지 수행하는 지능형 소프트웨어 시스템이다. 이 기술은 최근 신약개발의 전 주기를 관통하는 핵심 도구로 부상하고 있으며, 타깃 발굴에서부터 후보물질 설계, 독성예측, 임상지원에 이르기까지 폭넓은 영역에서 혁신을 일으키고 있다.

신약개발에서 AI 에이전트가 주는 가장 큰 혁신은 바로 ‘지시자 중심의 연구 자동화’이다. 연구자는 더 이상 복잡한 코딩이나 모델 구성 없이 자연어로 명령을 내리고, 에이전트는 이에 따라 가장 적절한 AI 도구를 선택하고 실험을 설계하며, 분석 결과를 요약하여 보고할 수 있다. 예를 들어, 특정 암 유형에 효과적인 후보물질을 찾고자 할 때, AI 에이전트는 유전체 데이터와 표적 단백질 정보를 분석하고, 적합한 화합물을 스크리닝한 후, 예측된 독성과 약물성을 기반으로 구조 최적화를 수행하는 일련의 작업을 자동화할 수 있다.

특히 주목할 점은 다중 에이전트(Multi-Agent) 시스템의 등장이다. 이 방식에서는 과학자 역할, 설계자 역할, 평가자 역할 등 역할이 분화된 에이전트들이 팀을 이루어 협력하며, 인간 연구자처럼 서로 피드백을 주고받으며 실험 방향을 조율한다. 이는 복잡한 과학적 문제 해결에 필요한 ‘창의적 사고’와 ‘과정 기반 의사결정’을 AI가 수행할 수 있는 기반을 제공한다. 실제로 구글의 Co-Scientist 사례는 다수의 에이전트가 협업하여 약물설계, 논문작성까지 자율적으로 수행한 성공 사례로 주목받고 있다.

결과적으로, AI 에이전트는 신약개발 과정에서의 병목을 제거하고, 고도화된 판단을 자동으로 내릴

수 있는 '지능형 협업 파트너'로 자리매김하고 있다. 이를 통해 연구 생산성을 높이고 고급 인력 의존도를 완화하는 전략이 필요하다. 신약개발은 이제 AI가 단순히 분석을 돕는 단계를 넘어, 문제를 이해하고 해결 전략을 스스로 구상하는 시대로 진입하고 있다.

### ▶ 자율주행 실험실 : 신약개발의 손과 발을 자동화하다

자율주행 실험실(Self-Driving Lab)은 인공지능과 로봇틱스 기술을 결합하여, 인간의 개입 없이 실험의 설계-수행-평가-학습 과정을 자동화하는 차세대 연구 플랫폼이다. 기존의 실험 자동화가 실험 '수행'에만 국한되었다면, SDL은 실험 '설계'부터 '개선'까지 실험의 전 주기를 자율적으로 수행한다는 점에서 신약개발의 '완전 자동화'를 실현하는 핵심 인프라로 간주된다.

신약개발 측면에서 자율주행 실험실의 도입은 연구 속도와 정밀도를 비약적으로 향상시킨다. 예컨대, 새로운 항암제 후보물질의 구조를 평가하기 위해 수백 가지 반응 조건을 실험해야 할 경우, 자율주행 실험실은 실험 로봇을 통해 하루 24시간 쉼 없이 고속 실험을 수행하고, AI가 실험 데이터를 실시간 분석하여 최적의 조건을 도출한다. 이 과정은 과거 수개월 이상 소요되던 연구를 수일 내로 단축하며, 실패 가능성이 높은 실험은 사전에 배제되어 자원 낭비도 최소화된다.

SDL은 단지 자동화 설비가 아니라, '지능형 실험자'로서의 기능을 한다. 강화학습, 능동학습 등 AI 기반 알고리즘이 실험 결과에서 학습한 내용을 바탕으로 다음 실험 방향을 제안하고, 반복 최적화 과정을 통해 실험의 정확성과 성공 확률을 지속적으로 높인다. 대표적으로 Acceleration Consortium의 Medicinal Chemistry 랩에서는 AI가 제시한 분자구조를 자동으로 합성하고 약효를 검증하는 일련의 자동화 실험 루프를 구축하고 있다.

자율주행 실험실은 mRNA 백신, 펩타이드, 항체의약품 등 고도의 기술과 복잡한 공정이 요구되는 바이오의약품 개발 분야에서도 활발히 활용되고 있다. 특히 제형 안정성, 합성 스케일업, 환자 맞춤형 반응 예측까지 아우르는 실험 자동화는 인간의 경험과 직관에 의존했던 신약개발을 정량적이고 재현 가능한 프로세스로 전환시키고 있다.

궁극적으로 자율주행 실험실은 인간의 두뇌인 AI 에이전트와 함께 작동하며, 가상 실험 결과를 실제로 구현하고 검증하는 '손과 발'의 역할을 수행한다. 'AI 에이전트-자율주행 실험실 연계 시스템'은 연구 속도를 극대화하고 비용을 최소화하는 완전 자율형 신약개발의 실현을 가능하게 할 것이다.

### 미래의 모습과 우리의 대응

AI가 주도하는 신약개발의 미래는 단순한 기술 혁신을 넘어, 제약바이오 산업의 근본적인 구조 변화를 의미한다. 앞으로의 신약개발은 '시간 단축'이나 '비용 절감'이라는 효율의 차원을 넘어, 개별 환자 중심의 정밀의료와 치료 경험의 혁신 차원까지 확장될 것이다. 아래는 미래 신약개발 생태계에서 AI의 역할로 인한 변화의 모습을 그렸다.

가장 큰 변화는 신약 후보물질을 찾아내는 속도에서 나타난다. 과거에는 질병 타겟을 선정하고, 분자를 설계하여 합성 경로를 예측한 후 실험을 통해 후보 물질을 검증하기까지 수년이 소요되었다. 하지만 앞으로는 AI 기반 타겟 선정, 분자동역학 시뮬레이션, 생성형 AI 모델, 자율 실험실 등 다양한 기술이 하나의 시스템으로 연결·통합되면서, 이 모든 과정이 빠르게 자동화되는 시대가 열리고 있다. AI는 스스로 새로운 분자를 설계하고, 실험 로봇은 합성하며, 다시 그 결과를 AI가 학습하는 폐루프(closed-loop) 구조가 형성되면서, 기존 전임상 초기 단계가 수주 단위로까지 단축되는 혁신이 가능할 것이다.

이러한 기술의 발전은 정밀 의료의 영역을 넘어 개인 맞춤형 치료로 확장을 가능하게 한다. 환자 개인의 멀티 오믹스 및 임상 데이터를 기반으로, AI는 특정 환자에게 최적화된 약물을 설계하거나 기존 약물을 재활용하는 전략을 세우게 된다. 더 나아가 디지털 트윈 기술로 가상 개인 환자 모델을 구축하여, 약물 반응성과 부작용을 시뮬레이션 한 후 실제 투약 여부를 결정하는 방식도 현실화될 것이다. 개별 환자만을 위한 치료제로 발전하는 것이다.

AI는 연구실 내에서 인간과 협업하는 공동 연구자로도 진화하고 있다. 최신 AI는 가설 생성, 실험 설계, 문헌 해석, 코딩을 통한 알고리즘 실험, 데이터 분석, 검증 등의 작업을 수행하며 연구자의 역할을 보완하고 있다. 인간은 전략적 판단, 윤리적 고려, 창의적 사고 등 고차원의 영역에 집중하게 되며, 이로써 실험실은 인간과 AI가 협력하는 하이브리드 형태로 재편되고 있다. 예를 들어, 구글의 Co-Scicentist가 이러한 협업의 시작점이 되고 있다.

한편, 전임상 동물 실험을 통한 약물 검증 단계에서도 AI는 중요한 전환점을 만들어내고 있다. 전임상 단계에서 필수적으로 수행되던 동물실험은 오랫동안 동물 윤리, 중간 특이성으로 인한 근거 자료로서의 가, 그리고 비용 부담으로 인한 논란을 야기하였다. 이에 따라, AI 기반 독성 예측 모델, Organ-on-a-chip 기술, 오가노이드를 활용한 대체 실험이 활발히 개발되고 있으며, 미국 FDA는 AI 기반 평가 결과를 공식 규제 검토 자료로 인정하는 법안(FDA Modernization Act 2.0)까지 통과시켰다. 이제 AI 기반 동물 대체 시험은 단순한 선언이 아니라 현실이 되고 있다.

AI는 또한 신약개발의 협업 방식도 혁신하고 있다. 실험 설계, 데이터 해석, 모델 결과 공유 등이 모듈형 API 형태로 제공됨에 따라, 전 세계의 제약사, 바이오 스타트업, 학계 연구기관 간 협업이 실시간으로

자동화되고 있다. 공동 개발된 후보물질에 대해 AI가 자동으로 기술가치 평가, 라이선스 전략 수립, 가상 임상시험을 수행하는 플랫폼도 등장할 것이며, 이는 국경 없는 오픈 이노베이션의 기반을 마련하고 있다.

한편 신약개발의 높은 '실패율'이 더 이상 당연하게 받아들여지지 않는 시대가 도래할 것이다. AI는 후보물질의 실패 가능성을 초기 단계에서 예측하고, 약효, 독성, 합성 가능성, 경제성 등을 종합적으로 분석하여 가장 가능성 있는 분자를 선별할 것이다. 이로 인해 제약회사는 성공 가능성이 높은 물질에 자원을 집중할 수 있으며, 포트폴리오 전체의 효율성이 비약적으로 향상될 것이다.

이러한 일련의 변화 속에서 AI는 단순히 신약을 더 빠르고 싸게 만드는 도구가 아니라, '신약을 만드는 방식 자체'를 설계하는 존재로 자리매김하고 있다. 최근 Foundation Model 기반의 바이오 설계 플랫폼이 확대되고 있으며, AI가 분자를 설계하고, 로봇이 그것을 합성하고, 다시 실험 데이터를 학습하여 설계를 개선하는 자가 강화 루프(Self-improving pipeline)도 구축되고 있다. 향후에는 AI가 설계하고 예측한 치료제가 규제기관의 신뢰성을 획득하기 위해 설명 가능한 AI(Explainable AI, XAI)기술의 발전도 병행되어야 할 것이다.

결론적으로, 미래의 신약개발은 단지 AI가 새로운 약을 만드는 것이 아니라, AI가 약을 개발하는 방식, 연구실의 구조, 실험 윤리, 협업의 생태계까지도 근본적으로 재설계하는 시대로 향하고 있다. AI가 신약개발의 도구를 넘어 과학의 구조를 바꾸는 시대의 문 앞에 있는 것이다. 이렇듯 AI 신약개발의 혁신은 한국 제약바이오 산업에 커다란 도전이자 기회이다. 향후 AI와 로봇 자율화 기술의 발전으로 신약개발의 속도와 성공률이 크게 향상되고, 산업 지형이 변모할 것이 분명하다. 이 변화의 물결 속에서 국내 산업이 글로벌 주도권을 확보하기 위해서는 기술 트렌드와

산업 구조 변화를 면밀히 관찰하며 민첩하고 전략적인 대응을 해나가야 한다. 기업의 개방형 혁신과 투자, 정부의 선제적 지원과 규제 혁신, 인재 양성 및 데이터 기반 강화가 바탕이 될 때 한국이 AI 신약개발 강국으로 발돋움 가능할 것이다. 지금은 장기적 안목으로 투자와 협력에 나설 때이다.

특별기고

신약강국 도약의 필수조건

이슈진단

정책제언



## 민 · 관 · 산 · 학 · 연이 만들어가는 신약강국

- 협력과 혁신의 전략



이원규 오송첨단의료산업진흥재단  
신약개발지원센터 바이오구조설계팀장

### 왜 지금 우리는 신약강국을 꿈꾸고 준비하는가?

21세기 바이오헬스 산업은 이제 단순한 기술 분야를 넘어, 국가 안보와 경제 성장, 국민 삶의 질 향상을 동시에 견인할 수 있는 핵심 전략 산업으로 자리매김하고 있다. 특히 신약개발은 국민 건강을 지키는 보건안보의 최전선이자, 높은 부가가치를 창출하는 지식집약형 산업으로서 중요하다.

2024년 현재 글로벌 제약 시장은 약 1조 5,000억 달러 규모에 이르렀으며, 2028년까지 연평균 6.2% 성장해 1조 9,556억 달러에 이를 것으로 예상되는데(2024년 글로벌 제약산업 전망, Frost & Sullivan) 특히 정밀의료, 희귀질환 치료제, 디지털 치료제, 면역세포치료제, 인공지능(AI) 기반 신약 설계 등 첨단기술을 중심으로 혁신이 급속히 전개되고 있다. 주요국은 이러한 변화를 국가 전략의 중심에 두고, 신약을 단순한 의약품이 아닌 '전략적 자산'으로 인식하며, 민 · 관 · 산 · 학 · 연이 긴밀히 협력하는 생태계 구축에 나서고 있다.

글로벌 환경 속의 한국은 세계적 수준의 기초연구 역량, 임상시험 인프라, ICT 기술력, 의료데이터 활용 가능성 등에서 충분한 잠재력을 갖추고 있어, 글로벌

기업과 기관들의 협력 대상으로 주목받고 있다. 그러나 여전히 기술 성숙도, 규제 유연성, 대규모 자금 조달력, 전문인력 확보 등 여러 요소에서 선도국과의 격차가 존재하며, 이러한 구조적 문제는 복합적인 양상을 띄며 한 개별 주체의 노력만으로는 해결하기 어렵다. 이는 글로벌 제약시장의 약 80% 정도를 소위 선진국(미국, 독일, 프랑스, 이탈리아, 스위스, 영국, 일본, 캐나다, 호주, 한국)이 점유하고 있다는 점을 통해서도 알 수 있는 것이다 (IQVIA, Global Use of Medicines 2024 Outlook to 2028).

이에 지금 우리에게 필요한 것은 정부(민), 정책 · 규제기관(관), 산업계(산), 학계(학), 연구기관(연)이 유기적으로 협력하는 통합 거버넌스라고 볼 수 있다. 특히 공공 부분이 전략적 조정자 역할을 수행하며, 각 주체의 역량과 자원을 효율적으로 연결하는 시스템을 마련해야 한다. 즉, 신약강국으로의 도약은 단순한 산업 발전의 문제가 아니라, 향후 한국이 과학기술 중심의 선도국으로 자리매김할 수 있을지를 가르는 중요한 분기점이다. 이 기회를 제대로 활용하지 못한다면 기술 주권 확보는 물론, 미래 생존 전략에서도 큰 위기를 맞게 될 것이다.



〈그림 1〉 현재 유행하고 있는 지브리 스타일로 그린 “신약개발 글로벌 리더로서의 대한민국” (인공지능 DALL-E 3 툴을 통해 제작)



## 신약개발과 관련한 세계적 흐름 및 주요 국가들의 정책 비교

### ○ 신약개발 환경의 세계적 변화

글로벌 제약 산업은 다양한 기술 융합과 환자 맞춤형 치료 중심의 패러다임 전환 속에서 빠르게 진화하고 있다. 기존 블록버스터(글로벌 연매출 1조원 이상을 거두는 의약품) 중심의 신약개발 모델은 정밀의료, 희귀질환, 디지털 치료제, 유전자 치료제

등으로 다양하게 확대, 확장 되고 있으며, 그 과정에서 오픈 이노베이션과 민관 협력형 플랫폼 구축이 필수 전략으로 부상하고 있는 것이 그 특징이다. 위에서도 언급 했지만 글로벌 제약 시장은 지속적으로 성장을 진행하고 있으며 이에 따라 미국, 유럽, 일본 등 대표적 주요 국가들은 ‘국가전략 산업’으로서의 신약개발 경쟁력을 확보하기 위해 민관 협력 기반의 정책과 제도 정비를 강화하고 있다. 이에 해당 국가들의 대표적 모델 및 사례를 살펴보는 것이 우리에게 큰 시사점을 보여줄 수 있을 것이다.

## ○ 주요국의 민관 협력 및 지원정책 사례

① 미국 - NCATS 및 BARDA 기반의 중개연구 거버넌스 NCATS(National Center for Advancing Translational Sciences)는 NIH 산하 조직으로, 기초·중개·임상 단계를 통합 지원하며 민관 협업을 체계화하고 있다.

- **민관 파트너십:** 제약기업, 바이오 기업 등과의 협력을 통해 연구 성과의 상용화와 시장 진입을 가속화
- **CTSA(Clinical and Translational Science Awards) 프로그램:** 전국 대학·연구기관에 자금을 지원해 지역사회 기반의 임상연구를 장려
- **약물 재창출(Drug repositioning) 프로그램:** 기존 의약품의 새로운 적응증 탐색을 지원하며, 신속한 임상시험과 비용 절감 효과 달성. 이를 위해 관련한 빅데이터가 요구됨
- **데이터 공유 생태계 구축:** NCATS Data Ecosystem을 통해 연구자 간 협업을 촉진하고 연구 생산성 제고
- **교육 프로그램:** 트랜슬레이셔널 연구 교육을 통해 민·공 연구자의 전문성 강화

현재 본 필자가 속해있는 오송첨단의료산업진흥재단은 산업통상자원부의 국제 공동 연구사업을 통해 이 같은 모델을 현장에 적용하고 있다.

BARDA(Biomedical Advanced Research and Development Authority)는 감염병·국가재난 대응 중심의 공공투자 기관으로, 팬데믹 대응 백신 개발에서 핵심 임무를 수행했다.

- **민관 파트너십:** 제약 및 바이오 기업과의 협력으로 치료제·백신·진단기술 개발을 공동 추진
- **직접 자금지원:** 기초 연구부터 임상, 상용화까지 전 단계에 자금 지원
- **전략적 자원 배치:** 위기 대응 기술 개발을 위해 필요한 자원을 신속하게 동원

- **혁신 촉진 프로그램 (DRIVE):** 스타트업·중소기업 중심의 기술혁신 지원
- **공공위기 대응 모델:** 코로나19 팬데믹 백신 개발이 대표 사례

식품의약품국(Food and Drug Administration, FDA)은 Breakthrough Therapy, Fast Track, Accelerated Approval 등 차등화된 인허가 제도를 통해 혁신 신약의 신속한 시장 진입을 지원하고 있다.

- **산업계와의 소통 강화:** 신약 개발, 인허가, 승인 절차에서의 피드백과 협업을 통해 규제 절차를 유연하게 조정
- **신속 승인 제도:** Fast Track, Breakthrough Therapy 등의 제도를 통해 혁신 치료제의 시장 진입 가속화
- **환자 중심 신약개발:** 환자 경험과 수요를 반영하는 연구 환경 조성
- **협력 커뮤니티 운영:** 다양한 이해관계자와의 공동 논의 구조를 통해 특정 질환 대응 전략 마련
- **규제과학 혁신 추진:** 빅데이터·생물정보학 기반의 새로운 규제기술 개발

② 유럽 - IMI 중심의 다자간 혁신 생태계 IMI (Innovative Medicines Initiative)는 EU 집행위원회와 제약협회(EFPIA)가 공동 운영하는 민관 협력 기구로, 대학·병원·시민사회·산업계가 공동 참여하는 문제해결형 R&D 프로젝트를 추진 중에 있다.

Horizon Europe 프로그램은 2021년부터 2027년까지 955억 유로를 지원하는 세계 최대의 연구혁신 프로그램이다. 한국은 2024년 3월에 호라이즌 유럽 준회원국 가입 협상이 타결되었으며, 2025년부터는 Pillar II 프로그램에도 참여하게 되었다. 이중 환자 중심 혁신과 규제 연계 등과 관련 연간 100억 유로 이상을 바이오헬스 분야에 투자하고 있다.

〈그림 2〉 신약개발 관련 주요국의 민관협력 및 지원 기관



유럽의약품청(European Medicine Agency, EMA)은 Adaptive Pathways, PRIME 제도 등 데이터 기반 심사와 임상 간소화 정책을 통해 혁신 의약품의 개발 속도를 높이고 있다.

③ 일본 - AMED 주도의 통합 R&D 생태계 AMED (Japan Agency for Medical Research and Development)는 일본 보건의료 분야 R&D를 총괄하는 기관으로, 기초부터 임상, 인허가까지 연계 지원하는 체계를 갖추고 있다. 다케다, 아스텔라스, 예자이 등 주요 일본 내 제약기업은 국립대학 및 연구소와의 협력을 통해 개발 성공률을 높이고 있으며, 정부는 장기적인 관점에서 중개연구 제도화를 추진 중이다.

### ○ 주요국가와 한국과의 협력구조 및 정책에 대한 비교

한국은 세계적 수준의 임상 인프라와 정보통신 기술(ICT) 기반 인프라 등을 보유하고 있음에도 불구하고, 정책 유연성과 다자간 협업 플랫폼 구축 면에서는 아직 제약이 존재한다.

따라서 기술 투자뿐 아니라, 제도 설계와 실행력을 강화할 수 있는 종합적 정책 인프라 구축이 병행되어야 하며, 각국의 성공적 사례에서 시사점을 도출해 제도화할 필요가 있다.

〈표 1〉 4개국의 신약개발 관련한 주요 환경의 비교

| 항목      | 미국               | 유럽               | 일본         | 한국               |
|---------|------------------|------------------|------------|------------------|
| 플랫폼     | NCATS, BARDA     | IMI, Horizon     | AMED       | 범부처 R&D 사업 (산발적) |
| 거버넌스    | 중앙집중, 공공주도       | 다자간 동등 참여        | 정부 일원화 주도  | 부처 단위 분절 운영      |
| 인허가 제도  | Fast track 등 고도화 | Adaptive pathway | 조건부 허가제 확산 | 전통적 심사 중심        |
| 민관협력 방식 | 컨소시엄 모델          | 과제별 공동참여         | 정부-산-학 일체화 | 개별 과제 단위 위주      |



## 국내 각 주체의 역할 및 한계

한국의 신약개발 생태계는 다양한 주체가 참여하고 있음에도 불구하고, 역할 간 중복, 협력의 단절, 정책 연계 부족 등으로 인해 시너지를 제대로 발휘하지 못하는 구조적 한계에 직면해 있다. 이에 주체별 기능과 현황을 더욱 구체적으로 진단하고 개선 과제를 도출할 필요가 있다.

### ○ 정부: 전략 수립 및 재정 투자 주체

우리나라 정부는 신약개발을 국가 미래산업으로 명확히 규정하고, 정책 설계와 재정 투자를 지속 확대해 왔다. 2023년 보건의료 R&D 예산은 약 2조 3,000억원으로, 국가 전체 R&D 예산의 약 8%를 차지하며 매년 증가 추세를 보인다. 대표적으로 ‘범부처 전주기 의료기술개발사업’, ‘바이오헬스 혁신전략 2.0’, ‘K-바이오백신 펀드’ 등 다양한 정책이 동시다발적으로 추진되고 있다.

그러나 과기부, 산업부, 복지부, 중기부 등 각 부처 간 분절화된 예산 구조와 중복 과제 편성, 단기성과 중심의 과제 설계 등으로 인해 기초연구와 임상, 사업화 간의 유기적 연계가 부족하다는 의견이 있다. 또한 민간의 후속 투자 유인을 끌어낼 수 있는 매칭펀드나 세제 지원 등 구조적 인센티브 체계도 미흡한 상황이다.

### ○ 정책 · 규제기관: 신기술 진입을 위한 관문

2020년 6월, 식품의약품안전처(MFDS)는 첨단재생바이오법을 시작으로 첨단바이오의약품 허가 제도, 혁신의료기기 지정제도 등 규제 개선을 위한 노력을 지속해왔다. 그러나 새로운 기술에 대한 규제 수용성과 전문 인력 확보는 여전히 어려운 상황이다.

실제 2023년 기준 실사용데이터(RWD)를 활용한 허가 사례는 5건 미만이며, 첨단바이오의약품 심사에 평균 230일이 소요되는 등, 미국(180일), 일본(170일)

에 비해 심사 속도에서 상대적으로 뒤처지고 있다. 신속심사, 조건부 승인 등 유연한 제도의 실효성이 낮고, 심사 기준의 명확성 부족, 전문인력 수급의 어려움, 산업계 · 학계와의 조기 협의의 구조 미비 등도 구조적 제약 요인으로 작용하고 있다(첨단바이오 포커스, 2023).

### ○ 산업계: 기술개발과 시장 진입의 중심축이자 원동력

국내 제약 · 바이오 기업은 기술수출과 글로벌 임상 확대를 통해 구체적인 성과를 거두고 있다. 최근 5년(2019~2023) 해외기술이전 규모는 약 47조 8,000억원(104건), 2023년 기준 국가별 임상시험 4위, 신약 파이프라인은 약 1,650개에 이른다(한눈에 보는 국내 제약산업 현황, 제약산업정보포털).

그러나 글로벌 Top Tier 기업 대비 기술력, 자본력, 사업화 인프라 등 전반적인 역량 차이가 여전히 존재하며 특히 중소기업의 경우 임상 진입 자체가 어려울 정도로 자금과 인력이 부족하며, GMP 생산시설이나 비임상시험 인프라 접근성, 해외 인허가 관련 전문 역량에서도 한계가 명확하다.

### ○ 학계: 기초연구와 융합형 인재 양성의 뿌리

대학은 신약 후보물질 발굴, 융합형 인재 양성의 출발점으로서 중요한 역할을 하고 있다. 최근에는 BT+IT, 의약+AI 등 융합교육과정을 개설하는 사례도 늘고 있다. 그러나 여전히 산업계와의 연계는 제한적이며, 연구 성과의 실용화 전환율은 낮은 수준이다. 현재 약학 · 생명과학계열의 연간 졸업자 수는 1만 4,000명을 웃돌아 바이오산업 종사자 수 약 5만명의 약 29%에 해당하나, 산업계가 요구하는 현장형 고급인재와는 괴리가 존재한다(제약바이오산업의 인력수급 불일치 요인 분석, 2024). 특히 실무 기반의 고급 인재 양성 시스템이 체계화되지 않은 점은 현장의 지속적인 인력난으로 이어지고 있다.

## ○ 연구기관: 공공 인프라 및 중개연구의 실행 및 현실화 거점

출연연과 지역 의료산업진흥재단 등은 비임상 시험, GMP 위탁생산, 전임상 모델 개발 등 신약개발 초기 단계에서 실질적인 기능을 수행하고 있다.

대표 사례로, 한국생명공학연구원은 약물 타깃 검증 및 유전체 기반 후보물질 발굴을 수행 중이며 본 필자가 속해있는 오송첨단의료산업진흥재단은 GMP 생산 및 전임상 플랫폼을 운영하고 있는데 최근에는 ABSL3 등급의 시설을 구축, 운영하고 있다.

그러나 이들 공공기관이 보유한 인프라와 전문성을 민간이 충분히 활용하지 못하고 있으며, 장비 가동률의 지역별 편차, 기술이전 이후 사업화 단계로의 연계 부족, 장기 운영재원 확보의 어려움, 고급 연구인력 이탈 문제 등이 지속적인 제약 요인으로 작용하고 있다.

## ○ 각 주체간의 연결 고리의 중요성

이처럼 각 주체는 고유한 역할과 역량을 보유하고 있음에도, 상호 간 연결성과 정책 연계 부족으로 인해 신약개발 생태계의 통합적 작동이 어렵다. 물론 최근 들어 각 부처 간 종합적인 연구 지원 및 사업 조성 등이 현실화하고 있는 점은 다행이라고 생각한다. 결론적으로 필자는 범부처 통합 거버넌스 구축, 전주기 제도 연계 설계, 협업 기반 플랫폼 조성이라고 하는 세 가지 방향에서 구조 점검 및 혁신이 필요하다고 생각한다.

## 국내 · 외 협력 사례 분석

반복하지만, 신약개발은 고위험 · 고비용 · 장기 성과라는 산업 특성상, 단일 주체만의 역량으로는 글로벌 경쟁력을 확보하기 어렵다. 이에 각국은 민 · 관

· 산 · 학 · 연이 함께 참여하는 다자간 협력 모델을 통해 R&D 생산성과 기술 성공률을 높이는 전략을 구사하고 있으며, 한국 또한 점차 다양한 협력 사례를 축적하고 있다. 국내외 주요 사례를 살펴봄으로써 효과적인 협력 구조의 핵심 요건과 정책적 시사점을 도출하고자 한다.

## ○ 국내 협력 사례

### 유한양행-제노스코-J&J:

#### 폐암 치료제 ‘텍라지(레이저터닙)’

2015년, 유한양행은 우리나라 바이오벤처인 제노스코(GENOSCO)로부터 상피성장인자 수용체(epidermal growth factor receptor, EGFR) 저해제를 도입해 폐암 치료제 개발에 착수했다. 이후 글로벌 제약사 존슨앤드존슨(J&J)과의 공동 임상을 통해 미국 FDA로부터 신속심사 대상으로 지정받았으며, 2024년 시판 허가를 획득했다.

본 사례는 국내 벤처기업이 발굴한 후보물질이 중견 제약사를 거쳐 글로벌 빅파마와 공동개발로 이어진, 단계별 연계형 협력 모델의 대표적인 성공 사례다. 기술이전-임상-수출로 이어지는 전주기 협력이 유기적으로 작동했음을 보여준다.

### GC녹십자: 면역결핍증 치료제 ‘알리글로’

GC녹십자는 자체 연구개발을 통해 희귀질환 치료제인 ‘알리글로(Alyglo)’를 개발하고, 2023년 미국 FDA로부터 품목 허가를 받았다. 임상 설계에는 국내 환자 데이터와 질병관리청의 레지스트리 정보가 적극 활용되었으며, 국산 희귀질환 치료제가 FDA에 승인된 최초 사례로 평가받는다. 이 사례는 공공 보건데이터를 기반으로 한 정밀 진료와 임상 설계가 상용화에 성공한 모범 사례로, 공공-민간 간 데이터 공유 및 활용 협력의 중요성을 시사한다.

〈그림 3〉 국내 대표 협력사례로 도출된 의약품. 좌측부터 렉라자, 알리글로, 세노바메이트.



#### SK바이오팜: 뇌전증 치료제 ‘세노바메이트’

후보물질 탐색부터 전임상, 임상, 인허가, 글로벌 시장 출시까지 전 과정을 자체적으로 수행한 경우로 2019년 미국 FDA, 2023년 유럽 EMA의 승인을 획득하며, 국내 기업이 단독으로 글로벌 신약을 완성한 최초 사례로 기록되었다.

세노바메이트 (미국 제품명 엑스코프리) 개발에는 정부 범부처신약개발사업단의 임상 2상 비용 지원(총 연구비 224억원 중 112억원을 지원)과 공공기관의 초기 기술 검증이 중요한 역할을 했다. 이 사례는 공공의 지원을 기반으로 민간이 독자 개발을 통해 글로벌 시장에 진출한 성공 모델로, 정책적 연계가 민간 혁신에 어떻게 기여할 수 있는지를 보여준다.

### ○ 글로벌 협력 사례 분석

#### ① 미국 - NCATS & CTSA 프로그램 NCATS

(National Center for Advancing Translational Sciences)는 NIH 산하의 중개연구 전담 조직으로, 기초 연구성과를 임상 및 시장 단계로 빠르게 전환하는 역할을 수행한다. 특히 NCATS가 주관하는 CTSA(Clinical and Translational Science Awards) 프로그램은 60여 개 대학병원과 연구기관, 지역사회기관이 참여하는 대규모 국가 컨소시엄이다. FDA, BARDA 등과 유기적으로 협력하며, 기술 → 제품 → 시장으로 이어지는 흐름을 단축시키고 있다.

이 모델은 공공이 주도하는 전주기 연구 플랫폼의 설계와 운영 가능성을 잘 보여주며, 연구중심병원

지원을 통한 상시적인 민관 협력체계의 제도화 필요성을 뒷받침한다.

#### ② 유럽 - IMI(Innovative Medicines Initiative)

IMI는 EU 집행위원회와 유럽제약산업연합(EFPIA)의 공동 운영 하에, 다양한 이해관계자가 ‘프로젝트 단위 컨소시엄’ 형태로 참여하는 협력 플랫폼이다. 대학, 기업, 병원, 환자단체, 규제기관이 함께 참여해 항생제 내성, 치매, 암 등 사회적 과제를 중심으로 공동 연구개발을 수행한다. 이러한 구조는 단순한 연구 지원이 아닌, 사회문제 해결을 위한 융합형 정책 메커니즘으로 작동하며, 산·학·연·정·시민사회가 함께 참여하는 복합 거버넌스의 필요성을 시사한다.

관련해 보다 자세한 내용은 한국보건의산업진흥원 제약산업 민관협력파트너십(PPP) 사례연구(2021)를 참고해 볼 수 있다.

### ○ 협력 성공요건 도출

국내의 사례를 종합할 때, 협력형 신약개발 모델의 성공을 위한 핵심 요건을 정리하면 아래 〈표2〉와 같다.

### ■ 신약강국 실현을 위한 정책 제언

반복해서 강조하지만 우리나라가 글로벌 신약개발 경쟁에서 선도적인 위상을 확보하기 위해서는 민·관·산·학·연 각 주체의 역량을 전략적으로 결집할 수 있는 정책 프레임워크가 필요하다고 생각한다. 특히 기술 개발에서 인허가, 상용화, 인재양성에 이르는 전주기 생태계



〈표 2〉 신약개발과 관련한 요소별 핵심 요건

| 요소       | 내용  |
|----------|---|
| 정책 거버넌스  | 정부 주도 또는 정부-산업계 공동 플랫폼의 명확한 역할 구분         |
| 공공지원 연계성 | R&D 투자, 임상자원, 인허가 자문 등 단계별로 이어지는 연계 지원 체계 |
| 리스크 분담   | 민간의 투자 위험을 공공이 부분 분담하여 혁신 유인 강화           |
| 글로벌 연계성  | 기술이전, 공동임상, 규제정보 공유 등 국제시장과의 연동 전략 필요     |
| 성과공유 시스템 | 기술이전, 수익 배분 등 사전 합의 기반의 협력 설계 필요          |

를 통합적으로 설계하고 실행할 수 있는 프레임 혹은 시스템이 중요하다. 이를 위해 전주기 R&D 연계 생태계 구축, 규제제도 혁신, 공공 인프라 개방, 글로벌 연계성 강화, 산업수요 기반 인재양성이라는 다섯 가지 전략축을 중심으로 구체적 실행방안을 제안하고자 한다.

### ○ 전주기 R&D 연계 생태계 구축

현재 국내 기초연구-비임상-임상-사업화 간 연계는 부처 간 분절 구조와 중복 투자로 인해 단절되고 있으며, 이는 성과 확산을 저해하는 핵심 원인 중 하나다. 이를 해결하기 위한 제안으로

- 전주기형 공동 R&D 플랫폼 구축
- 부처 간 공동기획 및 공동예산 편성 메커니즘 도입
- 사업평가 지표를 기술이전·임상 연계 중심으로 개편(논문·특허 중심에서 전환)
- 공공-민간 협력형 파이프라인 통합 관리체계 마련

등을 고려해 볼 수 있겠다. 필자가 속한 오송첨단의료산업진흥재단(KBIOHealth)이나 대구경북첨단의료산업진흥재단(KMEDIHUB)이 이러한 역할을 수행하기 위해 만들어진 정부기관으로 위에 언급된 문제들을 해결하기 위해 보다 정부의 투자, 관련 기관의 역량을 집중하고 구성원들의 노력이 보다 경주되어야 할 것이다.

### ○ 규제과학 기반 혁신 인허가 제도 고도화

규제과학적인 측면에서 신약개발 관련 혁신기술을 반영할 수 있는 관련 기관 및 부처에서 노력이 계속되고 있으나 아쉽게도 부족한 부분이 존재하는 것이 현실이다. 특히 심사 지연과 관련해 현장의 목소리가 있으며 심사 기준의 불명확성과 인력 부족 문제도 고민 중의 하나이다. 이를 극복하는 방법으로 실사용 데이터(Real World Data, RWD), 즉 다양한 자료원을 통하여 수집되는 비정형 또는 정형 정보 및 자료, 기반 심사 가이드라인 및 시스템의 고도화, 식품의약품안전처(MFDS)-산업계-학계 간 규제과학 거버넌스 구축, 의약학·AI·빅데이터 융합 전문인력 중심 심사인력 확대 및 재교육, 희귀질환·플랫폼 치료제 대상 조건부 승인제, 단계별 허가제도 확대 등을 논의해 볼 수 있을 것이다.

### ○ 공공 인프라의 민간개방 및 활용도 제고

GMP, 비임상, 분석장비 등 국가 인프라의 활용률은 낮고, 민간 접근성도 제한적이다. 이는 중소기업의 진입 장벽을 높이고, 공공투자의 효율성을 저하시킨다. 각 부분은 고가의 장비나 시설 등을 앞다투어 구축 및 확보하고자 하고, 정부는 중복 투자를 줄이기 위해 많은 노력을 기울이며, 한국기초과학지원연구원(KBSI)이나 본 필자가 속해있는 오송첨단의료산업진흥재단은 인프라를 구축 산학연 구성원들에게 지원하고자 하나 산학연

〈표 3〉 한국형 신약개발 동맹 혹은 플랫폼을 위한 구성요소

| 전략 축    | 핵심 구성 요소                             |
|---------|--------------------------------------|
| 정책 거버넌스 | 부처 간 공동기획 및 범부처 협력 체계 정립             |
| 규제 혁신   | 실사용데이터 기반 심사, 신속허가·조건부 승인 확대         |
| 공공 인프라  | GMP, 전임상, 데이터 플랫폼 등 인프라의 개방성과 연계성 강화 |
| 글로벌 연계  | 공동임상, 기술수출, 국제 파트너링 지원체계 마련          |
| 인재 양성   | 융합 역량 중심의 실무형 고급 인재 양성체계 구축          |

구성원들은 접근성이나 비용으로 인해 난색을 표한다. 사실 이러한 문제를 해결할 수 있는 방법이 딱히 보이지는 않는다. 하지만 현 수준에서 이를 해결하는 방안으로는 국가 바이오 클러스터 내 장비·인력 공유 플랫폼 제도화, 오송, 송도, 대구 등 거점 중심 시제품 생산지원 체계 확충, 벤처·스타트업 대상 우선 예약제도 및 저비용 이용료 체계 마련, 장비 가동정보, 예약 현황 등을 통합한 공공 인프라 오픈 플랫폼 구축 등을 고려해 볼 수 있으며 실제 이러한 노력은 계속해서 확대되고 있다. 한가지 조심스럽게 드리고 싶은 의견은, 이러한 공공인프라는 정부로부터 다양한 형태의 지속적인 지원이 필요한데 해당 기관이 수익을 창출하거나 기관의 자립도와 연관될 때 한계상황에 직면하게 된다. 이러한 부분에도 각 부처 및 관계자들의 고민과 논의가 필요하다고 생각한다.

### ○ 글로벌 기술수출 및 파트너링 전략 강화

국내 기업의 글로벌 진출은 현실적으로 개별 기업 역량에 의존하고 있으며, 이를 지원할 국가 차원의 제도 기반이 부족하다. 이를 돕기 위해 기술이전, 법률, 인허가 자문을 지원하는 글로벌 기술수출 전담조직 설립, 해외 제약사, CRO, CDMO와의 국가 단위 파트너링 프로그램 확대, 글로벌 공동임상 지원사업 신설을 통한 조기 시장 진입 촉진, 기술수출 실적 기업 대상 재정·세제 인센티브 제도화등을 고려해 보거나 지원하는 것을 모색해 볼 수 있다.

### ○ 산업수요 기반 인재양성 체계 구축

산업 현장이 요구하는 고급인재는 부족하며, 대학을 중심으로 하는 교육기관을 포함한 학계와 산업계 간 커리큘럼 미스매치와 인재의 해외 유출도 심화되고 있다. 즉 대학은 표면적으로 열심히 전문인력을 생산하고 있으나 현장에서의 목소리는 필요한 인재가 없다는 볼멘소리를 듣게 되는 것이다. 이러한 문제를 해결하기 위해 바이오+AI+데이터 융합 역량 중심의 석·박사 통합 트랙 도입, 산업계와 공동 설계하는 산학 교육캠퍼스 시범사업 추진, 인턴십-현장실습-정규직으로 이어지는 일자리 전환 프로그램 마련, 출연연·공공기관 중심 실무형 규제과학 인재 양성과정 개설등을 생각해 볼 수 있다. 현재 한국폴리텍과 같은 기능형 대학이 확대되고, 한국형 바이오 인력양성 사업인 복지부, 산업부 지원의 K-NIBRT 등이 이러한 문제를 해결하기 위한 현실적 노력에 일환이라고 생각하며 보다 다양하고 확대된 형태의 인재양성 플랫폼이 필요할 것이다.

### 결론: 신약강국을 향한 한국형 전략모델

신약개발은 국민 건강 보호를 넘어, 국가 기술 경쟁력 확보와 산업 성장, 그리고 고부가 일자리 창출을 동시에 실현할 수 있는 핵심 전략산업이다. 이미 우리나라는 20년 전부터 차세대 먹거리 산업으로 신약개발을 포함한 첨단의료산업을 생각해 왔고

대비해 왔다. 또한 2019년 팬데믹 이후 백신과 치료제의 자급화 필요성이 부각되면서, 신약은 단순한 의약품을 넘어 '기술주권'의 상징으로 자리매김하고 있으며 우리나라의 역량을 다시한번 전 세계에 보여주는 계기가 되었다.

한국은 세계 최고 수준의 의료 및 ICT 인프라, 임상시험 수행 능력, 그리고 우수한 기초과학 인재를 기반으로, 글로벌 신약개발 선도국으로 도약할 수 있는 역량을 갖추고 있다. 그러나 여전히 기술개발, 규제제도, 인프라, 인력, 시장 접근성 등 전주기 생태계 전반에서 구조적 보완이 요구되는 시점이다. 이러한 보완을 하나의 방법으로 해결하는 것은 불가능하겠지만 가장 문제해결에 도움이 되는 방법으로 '한국형 신약개발 동맹 혹은 플랫폼' 구축의 필요성을 강조하고 싶다. 한국형 신약개발 전략은 단편적 지원이나 개별 사업 중심 접근이 아닌, 민·관·산·학·연이 유기적으로 연결된 국가 수준의 실행 플랫폼으로 전환되어야 한다. 이를 위해 다음의 5대 핵심축을 중심으로 '한국형 신약개발 동맹 혹은 플랫폼'을 설계·운영할 필요에 대해 논의해 보았으면 한다.

마지막으로 신약강국은 기술이 아니라, 전략으로 완성된다. 이제는 비전 제시에 머무를 것이 아니라, 실행 가능한 협력 생태계를 설계하고, 지속 가능한 플랫폼을 구축해야 한다고 생각한다. 민·관·산·학·연이 함께 연결될 때, 한국은 글로벌 신약개발 경쟁에서 단순한 추격자가 아닌, 새로운 기준을 제시하는 '선도국가'로 도약할 수 있을 것이다.

## 글로벌 신약 강국의 조건: 주요국의 정책 성공과 실패에서 얻는 교훈



이강복 한국 아이큐비아 상무

### 서론

글로벌 제약바이오 시장의 혁신 경쟁이 가속화되면서, 신약 개발 역량은 국가 경쟁력의 핵심 요소로 부상하고 있다. 한국 제약바이오 산업 역시 괄목할 만한 성장을 이루었지만, 지속 가능한 성장을 통해 진정한 ‘신약 강국’으로 도약하기 위해서는 기초 연구부터 사업화까지 전주기적 생태계 혁신과 함께 산적한 과제들을 극복해야 한다. 이는 한국제약바이오협회 정책보고서의 대주제인 ‘신약개발 선도국 도약, K-파마의 극복과제’와 맞닿아 있다.

단순한 성공 사례의 참고를 넘어, 신약 강국들이 겪었던 시행착오와 정책적 한계를 이해하는 것은 K-파마가 효과적인 발전 전략을 수립하는 데 필수적이다. 본고는 주요 신약 강국인 미국, 스위스, 영국, 일본의 신약 육성 정책을 분석하되, 성공 요인뿐만 아니라 정책 추진 과정에서의 도전 과제와 정책적 시사점까지 균형 있게 살펴보고자 한다. 이를 통해 K-파마가 신약 강국으로 나아가는 데 필요한 실질적 교훈을 제시하는 것을 목적으로 한다.

### 신약 강국의 조건과 주요국 선정

‘신약 강국’은 단순히 의약품 생산 규모가 큰 나라를 의미하지 않는다. 핵심은 지속 가능한 혁신 신약 창출 역량에 있다. 이를 뒷받침하는 핵심 요소로는 크게 세 가지 축이 있다. 첫째, 혁신 기반으로 ▲탄탄한 기초과학 및 R&D 투자 ▲우수한 연구 인력과 기업가 정신이 있으며, 둘째, 생태계 구조로 ▲개방적인 산학연 협력 생태계 ▲모험 자본의 활발한 유입과 회수 시스템이 필요하다. 셋째, 제도적 지원으로 ▲혁신 기술의 상업화를 촉진하는 유연하고 효율적인 규제 시스템 ▲혁신 가치를 인정하는 시장 환경이 중요하다. 이 세 축이 균형을 이루어야 진정한 신약 강국으로 도약할 수 있다.

본고에서는 각기 다른 강점과 전략으로 신약 개발 생태계를 발전시켜 온 대표적인 국가로 미국, 스위스, 영국, 일본을 선정하였다. 미국은 압도적인 R&D 투자와 시장 규모, 혁신 친화적 규제를 바탕으로 글로벌 제약바이오 산업을 선도하고 있으며, 2024년 기준 생명과학 분야에 약 1,000억 달러 이상을 투자하고 있다. 이는 전 세계 R&D 투자 중 가장 높은 수준으로, 특히 국립보건원(NIH)의 약 490억 달러 예산은 기초 연구와 신약 개발을 지원하는 데 핵심적인 역할을 한다. 스위스는 강력한

〈그림 1〉 글로벌 신약 강국의 3대 구성 요소



다국적 제약사를 기반으로 안정적인 정책 환경 하에 높은 부가 가치를 창출하고 있으며, 글로벌 상위 20개 제약사 중 두 곳(노바티스, 로슈)이 본사를 두고 있다. 이들 기업은 각각 2023년 기준으로 약 640억 달러(로슈)와 520억 달러(노바티스)의 매출을 기록했으며, 이는 스위스가 글로벌 신약 강국으로 자리 잡는 데 중요한 기반이 되고 있다. 영국은 정부 주도의 생명과학 육성 전략과 NHS라는 독특한 인프라를 활용하고 있으며, 일본은 탄탄한 내수 시장과 독자적인 규제 및 약가 시스템, 정부의 적극적인 연구개발 지원을 특징으로 한다. 이들 국가의 경험은 각기 다른 측면에서 한국에 중요한 시사점을 제공할 것이다.

## 주요 신약 강국의 육성 정책 분석: 성공과 시사점

### 1. 미국: 압도적 리더십 이면의 도전 과제

#### • 성공 요인

- R&D 지원: NIH 중심의 막대한 기초연구 투자
- 규제 환경: FDA의 전문성, 예측 가능성, 신속 도입 제도
- 투자 및 사업화: Bayh-Dole 법(1980년 제정된

이 법은 연방정부가 지원한 연구 결과에 대해 대학 및 비영리 연구기관이 특허 소유권과 기술 사용료를 확보할 수 있게 했음) 기반 기술이전 활성화, 벤처캐피탈 및 자본시장의 뒷받침

- 인력 및 지재권: 글로벌 인재 유치, 강력한 특허 보호

#### • 정책적 시사점

- 약가 문제: 2022년 제정된 인플레이션 감축법(IRA)은 2026년부터 Medicare 대상 고가 의약품에 대해 정부가 약가 협상을 할 수 있도록 규정하고 있다. 이 법안은 미국 제약산업에 상당한 영향을 미칠 것으로 예상되며, 제약업계는 R&D 투자 감소 가능성을 우려하는 반면, 정부는 약 2,650억 달러의 의료비 절감 효과를 예상하고 있다. 이는 혁신 보상과 사회적 의료비 부담 간 균형을 둘러싼 정책적 긴장관계를 보여주는 사례로, 우리나라 역시 약가 제도 설계 시 혁신 인센티브와 재정 건전성 간의 균형에 대한 신중한 조율이 필요하다.
- 기초연구 투자 불확실성: NIH 예산은 정권 변화에 따라 변동성을 보이며, 장기적 연구 수행에 불안 요인으로 작용한다. 예측 가능한 예산 체계가 요구된다.
- 죽음의 계곡(Valley of Death): 풍부한 기초연구 결과에도 불구하고 초기 임상으로의 연계가 부족하다는 지적이 지속되고 있다. NIH는 SBIR(Small Business Innovation Research) 및 STTR(Small Business Technology Transfer) 프로그램을 통해 이른바 ‘죽음의 계곡’을 완화하려 노력하고 있다. 이들 프로그램은 2023년 기준 연간 약 12억 달러 규모로 운용되며, 바이오테크 스타트업의 초기 연구와 상업화 간의 간극을 메우는 데 중요한 역할을 하고 있다.

## 미국 모더나(Moderna)의 mRNA 기술 플랫폼 성공 사례

모더나는 코로나19 팬데믹 상황에서 mRNA 백신의 신속한 개발 및 상용화를 통해 주목받은 사례이다. 미국 정부는 'Operation Warp Speed' 프로그램을 통해 약 25억 달러의 자금을 지원했으며, 이를 바탕으로 모더나는 기존 백신 개발 과정(통상 5~10년)을 불과 11개월로 단축시키는 성과를 이루었다. 특히 NIH와의 긴밀한 협력 과정에서 NIH의 국립알레르기감염병연구소(NIAID) 소속 과학자들과 공동으로 백신 설계를 진행하며 기초 연구부터 임상까지 신속히 연계했다. FDA의 긴급사용승인(EUA) 제도를 통한 규제 유연성 역시 중요한 성공 요인이었다. 이러한 민관 협력 모델은 혁신적 플랫폼 기술에 대한 과감한 투자와 위험 분담, 신속한 규제 대응이 결합될 때 신약 개발의 패러다임을 혁신적으로 변화시킬 수 있음을 보여준다.

## 2. 스위스: 안정성 속의 구조적 고민

## • 성공 요인

- 친기업 환경: 낮은 법인세, 강력한 지재권, 다국적 제약사 본사 유치
- R&D 및 협력: 높은 민간 R&D 투자, 대학-기업 간 긴밀한 협력
- 인력: 우수한 교육 및 숙련 인력
- 글로벌 지향성: 수출 중심 개방형 시장

## • 정책적 시사점

- 대기업 의존 구조: 노바티스, 로슈 중심의 생태계는 안정성은 확보하지만, 중소 바이오텍 육성에는 한계가 있다. 혁신 스타트업 생태계의 균형 발전이 중요하다.
- 높은 운영 비용: 인건비와 물가가 높아 창업 및 스케일업에 진입 장벽으로 작용한다. 보완적 인센티브가 필요하다.
- EU와의 협력 불확실성: 2021년 EU와의 협상 결렬로 인해 호라이즌 유럽(Horizon Europe, EU 연구혁신 프로그램) 참여가 제한되면서, 스위스 연구자들은 유럽 연구 프로젝트에서의 협력이 3분의 1로 줄었고, 스위스의 매력도가 파트너 및 학생들에게 감소했다. 이는 국제 협력의 중요성을 보여주는 사례이며, 2025년 1월 스위스는 호라이즌 유럽에 재가입하여 협력 기반을 복구하고 있다.

## 3. 영국: 전략적 비전과 현실 간의 간극

## • 성공 요인

- 정부 주도 생명과학 비전: UKRI, Catapult 등 전략 기관 통한 투자
- 임상 연구 기반: 국민보건서비스(NHS)를 통한 방대한 헬스 데이터 및 임상 인프라
- 유인책: R&D 세제 혜택(Patent Box : 지식재산을 사업화해 발생한 소득에 대해서 법인세 등의 조세를 감면해 주는 제도 등)
- 인재 정책: 글로벌 인재 유입 지원

## • 정책적 시사점

- 브렉시트 후폭풍: EMA 이탈, 연구기금 접근 제한, 인력 이동 제한 등 부정적 영향이 컸다. 2023년 9월 EU와 합의하여 Horizon Europe 재참여가 확정되었지만, 국제 협력 안정성의 중요성을 다시금 상기시킨다.
- NHS 데이터 활용의 한계: 데이터는 풍부하나 파편화, 접근 절차 복잡성, 개인정보 이슈 등으로 실제 활용에 제약이 많다. 활용성 제고 위한 제도 개선이 요구된다.
- 특허 박스 효과 논란: 조세 회피 수단으로 이용된다는 비판도 존재하며, 실질적 효과 분석과 제도 보완이 필요하다.



### 영국 아스트라제네카(AstraZeneca)의 산학 협력 기반 백신 개발 사례

아스트라제네카는 옥스퍼드 대학의 제너 연구소(Jenner Institute)와의 효과적인 산학 협력을 통해 코로나19 백신 개발에 성공했다. 영국 정부는 백신 태스크포스(Vaccines Taskforce)를 통해 초기 개발 단계부터 약 8,400만 파운드의 연구 자금을 지원했으며, 1억 도즈 이상의 선구매 약속을 통해 개발 위험을 분담했다. 특히 팬데믹 기간 중 백신을 원가로 공급하겠다는 비영리적 접근은 글로벌 차원의 백신 보급을 촉진했다. 그러나 이후 생산 차질 및 EU와의 공급 분쟁, 일부 국가에서의 혈전 관련 부작용 논란 등은 신약 개발 성공 이후에도 생산, 공급망 관리, 국제 협력의 중요성을 일깨우는 과제로 남았다. 이 사례는 우수한 대학 연구 성과의 산업적 활용과 함께, 글로벌 시장 진출 시 다각적 전략의 필요성을 보여준다.

### 일본 다케다(Takeda)의 글로벌 M&A 성공 사례

다케다의 샤이어(Shire) 인수: 다케다는 2019년 샤이어를 약 620억 달러에 인수하며 일본 제약사의 최대 규모 M&A를 기록했다. 이를 통해 다케다는 희귀질환 및 혈우병 치료제 시장에서 글로벌 리더로 자리 잡았으며, 인수 후 매출은 약 30% 증가하여 연간 약 300억 달러를 기록했다. 또한, 글로벌 시장 점유율 확대와 함께 연구개발 역량도 강화되었다.

## 4. 일본: 내수 강자에서 글로벌 확장으로

### • 성공 요인

- 통합 R&D 정책: 2015년 설립된 일본 의료연구개발기구(AMED)는 이전에 문부과학성, 경제산업성, 후생노동성으로 분산되었던 의료 R&D 지원을 일원화하여 효율성을 크게 높였다. AMED는 연간 약 10억 ~ 11억 달러 규모의 예산으로 기초연구부터 임상개발까지 전주기 지원을 통해 파편화된 연구지원의 비효율성 문제를 해결했다.
- 규제제도: 후생노동성(PMDA)의 사키 가케(SAKIGAKE, 혁신치료제 지정제도) 지정 제도 등 신속 심사 체계
- 약가 정책: 신약 창출 가산 등 혁신 보상 제도
- 산업 기반: 강력한 내수 시장과 대형 제약사 존재

### • 정책적 시사점

- 드럭랙(Drug Lag) 경험과 개선: 과거 미국-EU 대비 신약 승인 지연이 산업 경쟁력 저해 요소였으나, 현재는 개선 추세이나 지속적 규제 효율화 필요한 상황이다.
- 약가 정책의 이중성: 혁신 가산 제도에도 불구하고

하고 빈번한 약가 인하로 인해 R&D 유인 약화 우려가 있다. 예측 가능한 약가 정책 설계가 중요하다.

- 글로벌화의 과제: 일부 M&A 성공 사례를 제외하면 전반적으로 글로벌 임상, 마케팅, 인허가 등 상업화 역량이 부족하다는 지적이 있다. 국제 경쟁력 강화를 위한 종합 전략이 필요하다.

### 종합 분석 및 K-파마를 위한 정책적 로드맵

주요 신약 강국들의 여정은 화려한 성공뿐 아니라 수많은 시행착오와 정책적 난제를 포함하고 있다. 이들의 공통된 성공 요인(▲장기적 비전과 일관된 정책 ▲전주기적 R&D 투자 ▲혁신 친화적 규제 ▲글로벌 인재 확보 ▲개방형 생태계 ▲혁신 보상 체계)은 유효하나, 이를 뒷받침하기 위한 정교한 실행 전략이 중요하다.

앞에 제시한 성공과 실패 사례 분석을 통해 도출된 시사점을 바탕으로, K-파마가 글로벌 신약 개발 선도국으로 도약하기 위한 정책 제언을 다음과 같은 단기, 중기, 장기 로드맵 형태로 제시한다.

| 영역    | 단기 (1~3년):<br>기반 강화 및 신속 조치   | 중기 (3~7년):<br>시스템 고도화 및 성과 창출   | 장기 (7년 이상):<br>신약 개발 경쟁력 및 위상 확보  |
|-------|---|---|---|
| R&D   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- AI 활용 신약 개발 지원 강화</li> <li>- 국내 AI 기반 신약 개발 스타트업 지원 프로그램 확대</li> <li>- 데이터 활용 규제 합리화</li> <li>- 공공 빅데이터(건보공단, 심평원 등) 활용 촉진을 위한 가이드라인 명확화 및 접근성 개선</li> </ul>               | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 한국형 AMED 모델 구축/고도화</li> <li>- 부처별로 흩어진 R&amp;D 지원 기능을 통합 조정하는 컨트롤 타워 설립</li> <li>- 기초-중개-임상 연구 연계 강화</li> <li>- 장기적 관점의 대형 R&amp;D 프로젝트 기획/지원</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 기초과학 연구 생태계 강화</li> <li>- 대학 및 공공 연구소의 기초 생명과학 연구에 대한 장기적이고 안정적인 투자 확보</li> <li>- 실패를 용인하고 창의적 연구를 장려하는 문화 조성</li> </ul>         |
| 규제    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 규제기관-산업계 소통 채널 활성화</li> <li>- 식약처-업계 간 정례 협의체 운영 강화</li> <li>- 예측 가능한 심사 가이드라인 제공</li> <li>- 혁신 신약(First-in-class)에 대한 신속 심사 절차(Priority Review) 적용 확대 및 투명성 제고</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 데이터 기반 규제 시스템 도입</li> <li>- RWD/RWE(실사용데이터/증거) 활용 규제 의사결정 시스템 구축</li> <li>- 관련 전문 인력 양성</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 글로벌 규제 조화 선도</li> <li>- 한국 식약처가 ICH 등 국제 규제 협의체에서 주도적 역할 수행</li> <li>- 국내 규제 표준이 글로벌 스탠다드로 인정받도록 노력</li> </ul>                   |
| 생태계   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 초기 바이오텍 투자 활성화</li> <li>- 모태펀드 내 바이오 분야 출자 확대</li> <li>- 초기 단계 투자(Seed, Series A)에 대한 세제 혜택 강화</li> <li>- 기술특례상장 제도 보완 및 M&amp;A 활성화를 위한 규제 개선 검토</li> </ul>               | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 선택과 집중을 통한 핵심 바이오 클러스터 고도화</li> <li>- 경쟁력 있는 주요 거점(예: 송도, 오송) 클러스터를 중심으로 R&amp;D, 임상, 생산, 인력양성 기능을 집적</li> <li>- 글로벌 기업/연구소 유치 및 산학연병 협력 플랫폼 강화</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 자생력 있는 바이오 혁신 생태계 완성</li> <li>- 활발한 M&amp;A 및 IPO를 통해 투자-회수-재투자의 선순환 구조 확립</li> <li>- 글로벌 인재가 모여드는 매력적인 연구 및 창업 환경 조성</li> </ul> |
| 약가/보상 | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 혁신 신약 가치 인정 기반 마련</li> <li>- 신약 가치 평가 시 R&amp;D 투자, 혁신성, 사회경제적 기여도 등을 종합적으로 고려하는 평가지표 개발 연구 착수</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 예측 가능한 약가 제도 운영</li> <li>- 혁신 신약에 대한 합리적 보상과 건강보험 재정 지속가능성 간 균형을 이루는 약가 결정 메커니즘 확립</li> <li>- 약가 협상 및 조정 과정의 투명성 및 예측 가능성 제고</li> </ul>                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 글로벌 시장 진출 연동 보상 체계</li> <li>- 국산 신약의 글로벌 시장 성과(수출 실적, 해외 허가 등)를 국내 약가 및 보험 등재 시 우대하는 방안 검토</li> </ul>                            |
| 글로벌화  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 해외 인허가 및 임상 지원 강화</li> <li>- FDA, EMA 등 주요국 인허가 획득 지원 프로그램 확대</li> <li>- 국내 기업의 글로벌 공동 임상 참여 및 네트워크 구축 지원 강화</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 글로벌 상업화 역량 강화 지원</li> <li>- 국내 제약사의 해외 직접 진출, 기술 수출, 글로벌 파트너십 확보 등 전주기적 상업화 활동 지원 강화</li> <li>- 글로벌 수준의 CDMO 경쟁력 확보 지원</li> </ul>                          | <ul style="list-style-type: none"> <li>- K-파마 브랜드 가치 제고</li> <li>- 다수의 국산 블록버스터 신약 배출 및 글로벌 시장 점유율 확보</li> <li>- 한국이 아시아태평양 지역의 신약 개발 허브로 자리매김</li> </ul>                 |

## 결론

신약 강국으로의 도약은 단거리 경주가 아닌 지속적 전략과 협력이 요구되는 마라톤이다. 주요 국가들의 사례는 성공과 실패를 함께 보여주며, 우리가 어떤 방향으로 나아가야 할지를 시사한다.

K-파마는 IT 인프라, 인재 등 강점을 바탕으로 약점(기초연구, 규제 예측성, 글로벌 역량 등)을 보완해야 한다. 특히 한국은 IT 강국으로서 AI 기술을 활용한 신약 개발 플랫폼 구축에 강점을 가지고 있으며, AI를 활용해 신약 후보 물질을 발굴하는 국내 스타트업들이 증가하고 있다. 이러한 접근법은 신약 개발 시간을 기존 대비 최대 50% 단축할 수 있는 잠재력을 갖고 있다. 또한 건강보험심사평가원의 의료 빅데이터를 활용해 임상시험 설계 및 신약 효과 분석에 기여할 수 있으며, 이러한 데이터 기반 접근법은 K-파마가 글로벌 시장에서 경쟁력을 확보하는 데 중요한 역할을 할 수 있다.

정책 설계 시 타국의 교훈을 반면교사 삼아야 하며, 정부, 산업계, 학계, 연구계의 협력을 통해 예측 가능하고 일관된 정책을 수립하고, 혁신 역량을 꾸준히 강화해 나간다면, 한국은 세계적 신약 강국으로 자리매김할 수 있을 것이다.

### [참고문헌]

- R&D World. (2024). Top 15 R&D spenders of 2024. <https://www.rdworldonline.com/top-15-rd-spenders-of-2024/>
- Congressional Budget Office. (2022). Estimated budgetary effects of H.R. 5376, the Inflation Reduction Act of 2022. <https://www.cbo.gov/publication/58366>
- National Cancer Institute. (2022) Federal Funding For Early-Stage Startups: Small

Business Funding From The National Cancer Institute. <https://einsteinmed.edu/docs/administration/biotechnology/federal-funding-for-early-stage-startups-small-business-funding-from-the-national-cancer-institute.pdf>

- Swiss Biotech Association. (2024). Swiss biotech report 2024. <https://www.swissbiotech.org/report/>
- Research and Innovation – European Commission. (n.d.). Horizon Europe: The EU research and innovation programme. [https://research-and-innovation.ec.europa.eu/funding/funding-opportunities/funding-programmes-and-open-calls/horizon-europe\\_en](https://research-and-innovation.ec.europa.eu/funding/funding-opportunities/funding-programmes-and-open-calls/horizon-europe_en)
- SUPSI. (2023). Switzerland and its exclusion from Horizon Europe, two years later. <https://www.supsi.ch/en/la-svizzera-e-l-esclusione-da-horizon-europe-due-anni-dopo>
- ForrestBrown. Patent Box explained. <https://forrestbrown.co.uk/patent-box-explained/>
- Japan Pharmaceuticals and Medical Devices Agency. (2024). Annual report on drug development. Ministry of Health, Labour and Welfare.
- AMED (Japan Agency for Medical Research and Development). (2024). Annual report 2024. <https://www.amed.go.jp>
- Japan Pharmaceuticals and Medical Devices Agency. (2024). Strategy of SAKIGAKE by MHLW. <https://www.pmda.go.jp/english/review-services/reviews/advanced-efforts/0001.html>
- Takeda Pharmaceutical Company Limited. (2024). Annual report 2024. <https://www.takeda.com/investors/financial-results/>

## 글로벌 무대에서 바라 본 한국 제약바이오산업의 한계와 도전



김성기 KASBP(재미한인제약인협회) Sponsorship Director

### 서론

글로벌 제약바이오 시장에서는 오픈 이노베이션에 대한 지속된 관심과 투자가 있어왔다. 그에 따라 전세계에서 진행중인 신약 개발 프로젝트의 수는 꾸준히 상승하여, 2025년 Citeline에서 발간한 보고서에 따르면 10년 전과 비교하여 2배가 넘는 2만3,875건에 달한다고 한다<sup>1)</sup>. 이런 관심과 확장은 산업에 활력과 혁신을 불러오지만, 다른 한편으로는 경쟁이 심화되는 것이기도 하다. 또한, 증가하는 개발비용과 기간이 신약 개발의 수익성을 악화시키면서, 오픈 이노베이션이 선택이 아닌 필수적인 전략으로 각인되고 있다.

이러한 트렌드는 제약바이오 시장에서 가파르게 성장하는 우리나라에게는 글로벌 시장에 진출하여 축적을 남길 수 있는 좋은 기회가 될 수 있다고 생각된다. 이미 여러 국내외 무대에서 경험을 쌓은 전문가들이 한국 제약바이오 산업을 이끌며 가시적인 성과들을 창출하고 있다. 이에 미국내 제약바이오 전문가들로 구성되어 있는 재미한인제약인협회(KASBP)에서 몇 가지 제언을 통해 글로벌 무대에 진출하는 한국 기업들이 고려해 볼 지점들을 환기시키고자 한다.

### Advisor 및 KOL Engagement와 전략적 의사결정

신약 개발의 꿈은 길고도 험한 여정이다. 최근 Deloitte 컨설팅의 보고서에 따르면, 하나의 Asset을 승인 받을 때까지 필요한 자금은 특히 코로나 기간에 크게 증가하여 2024년에 미화 22억 5,000만 달러로(USD), 10년 전인 2014년과 비교했을 두배 가까이 상승하였다<sup>2)</sup>. 필요한 개발 기간 또한, 여러 FDA Accelerated Program들에 따라 다를 수 있지만, 최소 10년에서 15년까지 걸릴 수 있는 것이 정설이다. 이렇게 천문학적인 자금과 오랜 시간이 투자되는 것이 신약 개발 프로젝트이기 때문에, 장기적인 목표의 설정과 연구개발 방향성의 지속적인 유지가 매우 중요하다고 할 수 있다.

하지만, 신약 개발 과정에서 발생하는 변수들이 많고, 또 확정되었다고 생각했던 요인도 변화무쌍하기에, 장기목표와 연구개발의 방향성은 항상 흔들릴 수 있는 위험에 처해있다. 예를 들어, 최근 트럼프 행정부의 집권과 함께 격변하는 규제기관의 변화 및 정책 등은 Late-Stage Asset의 Regulatory Timeline 및 생산

1) Pharma R&D Annual Review 2025, Citeline

2) Measuring the return from pharmaceutical innovation, 15th edition, March 2025

사이트 선정, 그리고 약가 선정 등에 직접적인 영향을 미치고 있다. 또한 같은 분야에 있는 경쟁사들과의 개발 속도전, 그리고 급변하는 시장 상황과 개발 트렌드로 인해 Early Stage에 있는 프로젝트들은 적응증 및 First-in-Class vs Best-in-Class 관련 의사결정 등을 유연하게 수정해야 할 수 있다. 하지만, 여러 분야에 걸친 전문가적 조언 없이 적절한 시기에 적절한 대응을 하는 것은 매우 어렵다고 할 수 있다.

이러한 위험요소들에 최적으로 대응하기 위해서는, 초기 단계부터 회사 내부의 전략 수립과 실행에 직접 관여하는 Advisor 들의 역할이 매우 중요하다. Advisor는 파이프라인 전반에 걸쳐 과학적, 규제적, 임상학적, 상업적 방향성을 제시하고, 이를 기반으로 파이프라인에 대한 시의 적절한 평가와 실행 전략을 구체화하는 데 기여할 수 있다. 특히, Scientific Advisory Board (SAB) 나 Clinical Advisory Board (CAB)와 같은 체계적인 자문 구조를 갖추면 외부 전문가의 인사이트와 내부 전략 간의 균형을 효과적으로 유지할 수 있을 것이다.

또한, KOL(Key Opinion Leader) 리쿠르팅하는 것을 고려할 수도 있다. 물론, 이제 막 시작하는 Start-up Biotech들이라면, 여러 분야에서 KOL을 확보한다는 것은 현실적으로 쉽지 않은 일이다. 특히, 미국과 같은 글로벌 시장에서 영향력이 있는 KOL이라면 더더욱 도전적인 일이라 할 수 있다. 그렇기에 파이프라인의 Target, 가능한 적응증 및 경쟁상황 등 많은 부분들을 고려하여 1~2명의 분야별 KOL 및 Advisor를 선정하고, 그 이후에 순차적으로 확대해 나가는 방식이 현실적이며 효과적이다. 이러한 체계적인 접근을 통해, 예측 불가능한 글로벌 제약 시장에서도 지속 가능하고 유연한 전략 실행이 가능할 것이며 궁극적으로는 임상 및 허가의 성공 가능성을 높이는데 기여할 것이다.

## Asset의 선택과 집중

Citeline의 보고서에 따르면, 대한민국은 2025년 1월 기준 총 3,386개의 신약 파이프라인을 개발하고 있으며 이는 1위인 미국 (11,455개)과 2위 중국 (7,032개)에 이어 전세계 3위에 해당하는 규모이다. 하지만, 같은 보고서에 따르면 한국에 본사를 둔 신약 개발 기업의 개수는 413개로, 각 회사당 개발 중인 신약 파이프라인의 평균 개수가 미국 (약 4.3개) 그리고 심지어 중국 (약 5.95개)보다 많은 약 8.2개이다.

사실 각각의 파이프라인을 제대로 유지하기 위해서는 앞서 언급한 것처럼, 엄청난 자원과 관리가 필요한 것이 현실이다. 그럼에도 이러한 결과가 나온 것에서 미루어 볼 때, 글로벌 대형 제약사들을 보유하고 있는 미국과 중국에 비해 평균 연구개발 중인 파이프라인의 개수가 차이나는 것은 Asset의 선택과 집중에 대한 관점 차이로 인해 생긴 것으로 사료된다. 이는 한국에서 개발 중인 파이프라인은 국제적인 평균보다 더 분산된 지원과 자원만을 받을 수 있다는 염려로 이어진다.

물론, 단순히 파이프라인의 수를 줄이는 것만이 능사는 아닐 것이다. 회사의 미래 성장동력을 확보하려 하거나, 리드 파이프라인 (Lead Pipeline)이 실패했을 때를 대비한 후보 물질들을 지속적으로 발굴해 나가며 여러 파이프라인을 확충하는 것 또한 매우 중요하다. 그럼에도 리드 파이프라인과 회사의 전략적인 목표를 도와줄 후보물질 파이프라인들을 선택하고 집중하는 것이 필수불가결하며, 이러한 집중은 회사 고유의 신약 개발 역량을 강화할 뿐만 아니라 차후 Global M&A 및 Licensing하는 경우에도 긍정적으로 작용할 것이다.

## 차별화 전략 확보와 플랫폼 기술 및 신약 모달리티의 전략적 중요성

제약업계는 높아지는 개발비용과 격화되는 경쟁으로 인해 수익률이 악화되는 상황에 직면해 있다.



Deloitte에 따르면, 상위 20개 글로벌 제약사들의 IRR (Internal Rate of Return) 추세는, 최근 GLP-1 약들의 성공으로 2024년 기록한 5.9%와 코로나 특수를 누린 2021년 6.8%를 제외하면, 지난 12년간 꾸준히 하락세를 보이고 있다. 또한, 수익성이 높은 시장은 경쟁이 매년 심화되어 마치 Red Ocean과 상황에 놓여있다. 예를 들어 글로벌 제약사 상위 20개 회사의 질병 분야에 중 최고의 수익을 내는 것은 예상대로 항암제 분야이며, Late-Stage Asset 중 37%로 항암제에 집중되어 있다. 그 뒤를 이어 전염병 치료제가 11%로 큰 격차를 보이며 2위를 차지하고 있다.

이처럼 치열한 경쟁 환경속에서 각 파이프라인의 성공 가능성을 높이기 위해서는, 명확한 Unmet Needs를 정확하게 파악하여 해당 파이프라인의 차별성을 세분화하여 정교하게 설계할 필요가 있다. 이러한 Unmet Needs를 제대로 파악하는 것은 해당 파이프라인의 미래 수익성과 직결되는 중요한 요소로 평가되고 있다. 실제로 최근 Deloitte에서 발간한 보고서에 따르면 Medical Unmet Needs를 직접적으로 해결해 줄 수 있는 Novel MoA (Mechanism of Action)을 개발하는 것이 리스크를 회피할 뿐만 아니라 높은 수익률을 기대할 수 있는 것으로 전략으로 분석되고 있다.

최근에는 MoA 차별성 뿐만 아니라, 플랫폼 기술과 신약 모달리티(Modality)의 선택도 신약 파이프라인의 성공 가능성을 결정짓는 중요한 요소로 부상하고 있다. 항체-약물 접합체(ADC), 이중 특이항체, mRNA, PROTAC, 세포/유전자 치료제 등과 같은 혁신적인 모달리티는 기존의 저분자화합물이나 단일항체 기반 치료제가 해결하지 못했던 치료 타겟의 한계를 극복할 수 있는 유망한 수단으로 주목받고 있다. 특히 동일한 타

겟에 대해 기존 치료제보다 더 우수한 약효, 더 낮은 독성, 또는 정밀한 세포 특이성을 제공할 수 있는 모달리티 기반 플랫폼 기술은, R&D 초기 단계에서부터 파이프라인의 차별성과 전략적 유연성을 강화하는 데 핵심적인 역할을 한다.

최근 사례로 Orum Therapeutics는 GSPT1을 타겟으로 하는 anti-CD33 항체 기반 단백질 분해제 프로그램(ORM-6151)을 Bristol Myers Squibb에 기술 이전하며 약 1억 달러의 선금급과 후속 마일스톤 지급 조건을 포함한 협약을 체결하였다<sup>3)</sup>. 또한 Orum은 자사의 degrader-antibody conjugate(DAC) 플랫폼 기술을 기반으로 Vertex와 유전자 편집 전처리 조건에 활용될 수 있는 다중 타겟 라이선스 계약을 체결하며, 플랫폼 기술의 가치를 입증하고 있다<sup>4)</sup>. ABL Bio 역시 Grabody-B 뇌 전달 플랫폼 기술을 통해 GSK와 총 26억 달러 규모의 글로벌 라이선스 계약을 체결하였으며<sup>5)</sup>, 지난 몇년간 레고캄바이오의 ADC 기술은 높은 안정성과 효율성을 바탕으로 글로벌 제약사들과의 협업을 통해 지속적으로 확장되고 있다<sup>6)</sup>. 이러한 사례들은 모두 혁신적인 모달리티 및 플랫폼 기술이 상업적 성공으로 이어질 수 있다는 점을 잘 보여주는 대표적인 예라고 할 수 있다.

궁극적으로, 이러한 플랫폼 기반 접근 방식은 단일 자산의 성공에 그치지 않고, 후속 파이프라인의 확장과 적응증 확대를 고려한 지속 가능한 성장 전략으로 이어질 수 있다. 따라서, MoA차별성뿐만 아니라 기술 플랫폼과 모달리티의 혁신성까지 함께 고려하는 것이 글로벌 경쟁 환경에서 차별화된 포지셔닝을 확보하기 위한 핵심 전략이 될 것이다.

3) <https://www.orumrx.com/news/orum-orm-6151-acquisition-by-bms>

4) <https://www.orumrx.com/news/orum-therapeutics-announces-a-global-multi-target-license-and-option-agreement-with-vertex-for-the-use-of-orms-tpd-technology-to-develop-novel-degrader-antibody-conjugates>

5) [https://www.ablbio.com/en/company/news\\_view/837?keyword=&sort\\_desc=date](https://www.ablbio.com/en/company/news_view/837?keyword=&sort_desc=date)

6) <https://ligachembio.com/>



## 결론

한국 제약바이오 산업은 일선 과학자 및 Entrepreneur들의 헌신과 혁신으로 지난 10년간 눈부신 성장과 가시적인 성과들을 창출해내고 있다. 여러 Global 대형 제약사들과의 빅딜이 속출하고 있으며, 이는 한국 제약의 기술과 역량이 Global Standard의 수준에 도달하였음을 보여주는 사례이자 살아있는 증거일 것이다. 이런 기세와 꾸준함이라면 10년 후 한국의 여러 제약사가 글로벌 상위 20개에 속해 미래의 제약 산업을 이끄는 주자가 될 것이라 믿지 않을 수 없다. 그 과정에서 이번 기고문이 그 윤활제 역할을 할 수 있기를 기대한다.

## 첨단 자율화 연구시스템과 AI 신약개발

- AI 에이전트와 자율주행 연구실(SDL)이 주도하는 미래 -



표준희 한국제약바이오협회 AI신약융합연구원 부원장

### 들어가며

4차 산업혁명과 함께 인공지능(AI), 로봇, 클라우드 등 첨단기술의 발전은 산업 디지털전환을 가속화하여 ‘자동화(Automation)’에서 ‘자율화(Autonomy)’로 패러다임을 이끌고 있으며, 이러한 변화는 AI 신약개발 R&D 프로세스에도 혁신을 가져오고 있다.

사전에 정해진 절차에 따라 반복적으로 수행하는 ‘자동화’와 달리, ‘자율화 시스템’은 환경에 따라 시스템이 스스로 분석하고 최적의 의사결정을 내려 R&D 과정에 유연성과 생산성을 높일 수 있다.

이를 위한 대표적 기술로 AI가 자율적으로 가상실험(In silico)을 수행하는 ‘AI 에이전트 기술’과 AI와 로봇이 화학물질을 다루는 일반적 실험(Wet Lab)을 자율 수행하는 ‘자율주행 연구실(Self Driving Lab, SDL)’이 있으며, 두 기술을 연계한 ‘In silico-Wet Lab 실험 연결’은 신약개발의 혁신 기술로 주목받고 있다. AI 에이전트 기술 고도화와 활용 범위 확장으로, 신약개발 전주기에서 다양한 에이전트가 개발되고 있으며 이를 활용한 혁신적인 연구개발 사례도 증가하고 있다. 자율주행 연구실은 신약개발, 소재 연구, 합성화학 등 다양한 분야에서 혁신적인 변화를 선도하고 있으며, 글로벌 제약기업 등은 이미 신약개발 및 제조 과정에 적극 도입 중이다.

국내에서도 AI 에이전트 및 로봇 기반 자율화 연구 시스템에 대한 관심이 높아지고 있으나, 아직 제약바이오 산업 분야에서의 도입 및 활용은 글로벌 선진기업 대비 초기 단계 수준이다.

#### 산업별 자율화 연구시스템 개발 주요 사례

- 제약바이오산업 : 신약 개발, 의약품 제형, 합성생물학, 제조
- 화학산업 : 신소재 개발 및 합성, 촉매 반응 최적화
- 농생명 산업 : 신제품 개발, 유전자 변형 실험 자동화
- 환경 연구 : 대기오염 저감 물질 탐색, 탄소 포집, 신재생에너지 연구

본 원고에서는 ‘AI 에이전트’ 및 ‘자율주행 연구실(SDL)’ 기술의 발전과 주요 동향을 살펴보고, 국내 제약산업에 놓인 도전 상황 분석과 향후 활용 방안 및 정책적 제언을 제시하고자 한다.

## AI 에이전트 기술 동향

### ▶ 기술 개요

AI 에이전트는 워크플로우 설계 및 도구 활용을 통해 사용자를 대신하여 의사결정, 문제 해결, 외부 환경과의 상호 작용, 작업 실행을 포함한 자율적 작업을 수행할 수 있는 AI를 의미한다.<sup>1)</sup>

최근 생성형 AI, 검색 증강 생성(Retrieval-Augmented Generation, RAG) 등 기술 융합으로 AI 에이전트의 활용 범위가 확장되고 있으며, 바이오, 헬스케어, 제조, 금융 등 다양한 산업 분야에서 혁신적 시장이 형성 중이다.

글로벌 시장조사 기관 가트너는 AI 에이전트를 2025년 10대 기술 트렌드로 선정하며, 2028년까지 최소 15%의 업무가 AI 에이전트에 의해 자율적으로 처리될 것으로 예측한다.<sup>2)</sup>

AI 에이전트 시장은 2024년 51억 달러(한화 약 7조 3천억원)에서 2030년 471억 달러(한화 약 68조 2천억원)로 연평균 44.8%씩 성장할 것으로 예상된다.<sup>3)</sup>

특히, AI 에이전트가 팀을 이루어서 과학 연구와 같은 복잡한 문제를 해결하는 다중 에이전트(Multi-Agent) 기술의 발전은 신약개발 등 전문적인 지식이 요구되는 산업까지 활용 가능성을 확대하고 있다. 'AI Scientist'는 SakanaAI가 개발한 에이전트 모델로 아이디어 생성-실험설계-논문 작성까지 AI 에이전트가

협력하여 자율적으로 수행, 약 15달러의 비용으로 컨퍼런스 게재가 가능한 수준의 논문을 작성한다.<sup>4)</sup>

'ChatDev'는 UniteAI가 개발한 최고경영자-디자이너-개발자 등 역할을 부여받은 AI 에이전트가 협력하여 소프트웨어 개발을 자동화하는 솔루션으로, 기획-코드작성-테스트-배포 과정을 자동화한다.<sup>5)</sup>

### ▶ 신약개발 사례

최근 신약개발 전주기에서 다양한 AI 에이전트 기술이 발전하고 있으며, 이를 활용한 혁신적인 연구개발 사례도 증가 중이다. '스탠퍼드대' GPT-4를 기반으로 총괄 AI와 3명의 AI 과학자 에이전트로 이루어진 'Virtual lab: AI Scientist'를 개발, Covid-19 나노항체 902개를 설계하고 90% 이상의 항체의 결합성을 검증한다.<sup>6)</sup> '텐센트'는 메타의 LLaMa 언어모델과 텐센트의 'iDrug' 플랫폼 기술을 결합, 실험 결과를 기반으로 최적화된 후보물질의 구조를 제안하는 'DrugAssist'를 개발했다.<sup>7)</sup>

후보물질을 실제 합성하는 합성설계(Synthetic Design) 단계에서 AI 에이전트 기술의 도입이 활발히 연구되고 있으며, 이는 자동화된 로봇 기술과 결합하여 SDL 기능을 강화시키고 있다. 'Coscientist'는 카네기멜론대와 ECL에서 공동개발한 GPT-4 기반의 화학합성설계 AI 에이전트로 합성 경로 설계, 프로토콜 작성 및 API 변환, 로봇 제어 등을 수행하여 팔라듐 촉매 교차 결합 반응 설계 및 최적화를 수행한다.<sup>8)</sup> 'Chemcrow'는 로잔연방공대와 IBM에서 공동개발한

1) IBM, Anna Gutowska, "What are AI agents?", 2024.7.

2) Gartner, "Gartner Top 10 Strategic Technology Trends for 2025", 2024.10.

3) Markets and Markets, "AI Agents Market", 2025.1.

4) Chris Lu, "The AI Scientist: Towards Fully Automated Open-Ended Scientific Discovery", Computer Science, 2024.9.

5) Chen Qian, "ChatDev: Communicative Agents for Software Development", Computer Science, 2024.5.

6) Kyle Swanson, "The Virtual Lab: AI Agents Design New SARS-CoV-2 Nanobodies with Experimental Validation", New Results (pre-print), 2024.11.

7) Geyan Ye, "DrugAssist: A Large Language Model For Molecule Optimization", Quantitative Biology (pre-print), 2023.12.

8) Daniil A. Boiko, "Autonomous chemical research with large language models", Nature, 2023.12.

GPT-4 기반의 화학합성설계 AI 에이전트로, 합성 및 화학 도구 18개를 통합하여 유기합성 설계를 수행하고 IBM의 Robo-RXN 시스템과 연동하여 곤충 기피제 등 3개 유기촉매 합성을 자율적으로 계획·실행한다.<sup>9)</sup>

## SDL 기술 동향

### ▶ 기술 개요

자율주행 연구실(SDL)은 AI, 로봇틱스, 고속 실험 자동화 기술, 데이터 관리 체계를 결합하여 실험을 수행하고 실험 방향 및 과정을 최적화하는 연구시스템을 의미한다.<sup>10)</sup>

인간 연구자의 개입을 최소화하고 자율적으로 실험을 설계·수행·분석함으로써 결과 데이터를 지속적으로 학습하여 실험의 효율성을 개선한다.

즉, 실험 분석결과를 기반으로 다음 수행할 실험을 계획하고, 후보물질을 샘플링하고 로봇을 활용해 신약 합성 등을 수행 후 다시 평가치 측정을 반복·학습하여 신약을 개발할 수 있다.

SDL의 주요 요소 기술은 ▲고속 실험 자동화 ▲로봇 기반 실험 수행 ▲평가 자동화 및 데이터

수집 ▲AI 기반 최적화 알고리즘(강화학습, 능동학습 등) ▲데이터 분석 및 AI 적용 등이다. 실험 자동화(Automated Experimentation)는 로봇 공정 및 실험 자동화 기법을 활용한 실험 과정 전반을 자동화하는 것이다. 로봇 실험 수행(Robotic Execution)은 협업 로봇(Collaborative Robots), 스마트 피펫, 액체 처리 시스템, 평가 시스템 적용을 통해 실험자의 개입을 최소화하여 정밀하게 실험을 수행하는 것이다.

평가 자동화 및 데이터 수집(Automated Evaluation and Data Collection)은 실험 결과를 측정하는 시스템 구축 및 데이터 수집·관리 자동화, 실패 데이터의 체계적 수집 및 분석을 의미한다. 데이터 분석(Data-driven Analysis)은 AI가 대규모 실험 데이터를 실시간 분석하고, 기계학습(ML)을 이용하여 패턴을 찾아 실험 전략을 개선하는 것이다.

AI 기반 최적화(AI-driven Optimization)는 지능형 가설 탐색을 통한 최적의 실험 방향 설정으로 탐색 효율성 증대 및 실험 실패율 감소, 신약 후보 물질 생성 및 효능·물성 예측 모델을 구축하고, 실험 결과를 반영한 강화 학습을 활용하여 최적의 화합물 설계하는 것이다.

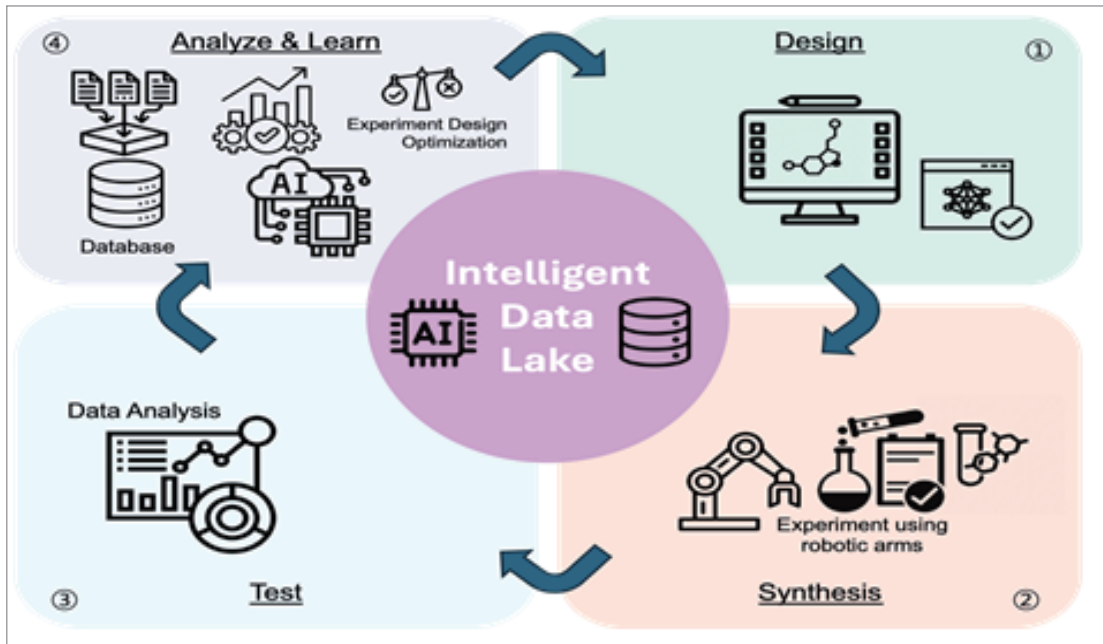
〈사진1〉 자율주행 연구실의 미래 모습



9) Andres M. Bran "Augmenting large language models with chemistry tools", Nature, 2024.5.

10) M. Abolhasani, "The rise of self-driving labs in chemical and material sciences", Nature Synthesis, 2, 2023.1.

〈그림 2〉 자율주행 연구실(SDL)의 순환체계(Closed Loop) 개념도



출처: 한국제약바이오협회 AI신약융합연구원

기존의 ‘전통적 자동화 실험시스템’의 자동화 수준은 실험 수행단계(로봇 활용)에 한정되나, SDL은 실험의 ‘설계-수행-결과분석 및 피드백 등’ 전 단계(AI, 로봇 등 활용)에 걸쳐 적용된다.

연구 환경도 자동화된다. 인간의 개입을 최소화하여 연구자 부담을 줄이고, 실험의 재현성과 정확성을 높일 수 있다.

### ▶ 신약개발에 대한 효과

실험 속도가 향상된다. 기존의 사람 연구자 수행 방식보다 10~100배 빠른 속도로 실험 진행(24시간/7일 연속) 가능하다.

데이터 기반의 의사결정(Data-driven decision making)을 할 수 있다. 실험 과정에서 발생하는 데이터를 분석하여 최적의 다음 실험 방향을 설정하여 불필요한 실험을 줄일 수 있다.

반복 탐색을 통해 최적화도 가능해진다. 기계 학습을 통해 최적의 실험 조건 및 방향을 지속적으로 탐색하여 신약 후보 물질 개발의 성공 확률을 높여게 된다.

### ▶ 국내외 현황

캐나다, 미국, 유럽, 중국 등 해외 주요국들은 대학 및 기업 차원에서 다양한 분야의 자율주행 기반 연구를 활성화 중이다. 캐나다의 Acceleration Consortium(토론토대), 미국의 MIT, 스탠퍼드대, 하버드대 등은 에너지, 약학, 화학 등의 분야에서 SDL을 활용한 연구를 진행 중이다. 미국 아스트라제네카, 인실리코메디슨 등 제약사 및 AI 기반 신약개발 기업들이 SDL을 적극 도입하여 연구 속도를 향상시키고 있다.

영국 Exscientia는 SDL을 활용하여 기존 방식 대비 5배 이상 빠른 신약개발 프로세스 구축 중이다. 중국 기업 크리스탈파이(XtalPi)는 ID4Inno 저분자 신약개발 플랫폼(자율주행 기반 연구소)을 구축하고,



〈표1〉 전통적인 자동화 실험 시스템 VS 자율주행 연구실(SDL) 시스템

| 구 분   | 전통적 자동화 실험 시스템        | 자율주행 연구실(SDL) 시스템      |
|-------|-----------------------|------------------------|
| 실험 설계 | 사람 연구자가 직접 실험 디자인을 결정 | AI가 실험 디자인을 스스로 결정     |
| 실험 수행 | 로봇이 통상적 프로토콜에 따라      | 로봇이 AI의 지시에 따라 실험 수행   |
| 실험결과  | 자동 실험 수행              | AI가 실험 결과 데이터를 분석하고 학습 |
| 분석    | 사람 연구자가 실험 결과를 해석     | AI가 최적의 실험 방향을 자동으로 설정 |
| 실험 개선 | 연구자의 경험에 따라 실험 조정     | 케이캡정                   |

일라이 릴리 등 글로벌 대형 제약사들과 제휴하여 서비스를 제공하고 있다.

국내 역시 대학, 연구원, 기업 차원에서 다양하게 자율주행 기반 연구를 시도하고 있다. KAIST, 서울대 등이 SDL 관련 연구를 진행 중이며, 신약 개발, 합성화학, 바이오 공정 최적화 분야에 적용 중이다.<sup>11)</sup>

한국과학기술연구원(KIST)는 고려대와 함께 로봇팔을 기반으로 한 나노입자 합성 및 합성된 나노입자의 광학적 특성을 측정하는 자동화 장치 개발 중이다.<sup>12)</sup>

한국생명공학연구원(KRIBB)은 파일럿 규모의 연구용 바이오파운드리를 구축하여 미생물, 세포공장, 산업용 효소, 생분해성 플라스틱 소재 등 개발 연구를 하고 있다.<sup>13)</sup>

기초과학연구원(IBS)은 토론토대와 함께 유기 고체 레이저(Organic Solid-state Laser, OS�) 소자 구현용 신물질 합성을 위한 클라우드 기반 AI 플랫폼 개발을 진행 중이다.<sup>14)</sup> 삼성종합기술연구원에서 자율

합성 로봇 (Autonomous Synthesis Robot, Synbot)을 개발하여 유기 분자의 자율 합성을 성공적으로 수행했다.<sup>15)</sup> 제약기업 중에서는 JW중외제약 등이 자율주행 관련 기술을 연구 중이나, 제약산업 전반적으로는 초기 단계 수준이다.<sup>16)</sup>

## 한국형 첨단 자율화 연구시스템 구축 방안

### ▶ AI 신약개발 첨단 자율화 시스템의 필요성

신약개발 과정에서 AI 기술의 중요성이 점차 커지고 있음에도 불구하고, 국내에서는 AI전문성을 갖춘 연구 인력이 부족하여 신약개발 경쟁력이 제한되고 있다. 이에 따라, AI인력의 소모를 최소화할 수 있는 첨단 자율화 연구시스템의 도입이 필요하다.

현재 글로벌 기업을 중심으로 AI 에이전트·SDL 기반의 첨단 자율화 연구시스템 기술이 고도화되고 있으나, 국내는 아직 개발 사례가 적어 기술격차가 발생하고 있다.

11) 뉴시스, “서울대·KAIST와 스탠퍼드대·MIT의 공동연구...‘톱 터어’ 연구사업 시작”, 2024.7.29.

12) KIST 보도자료, “맞춤형 나노소재 스스로 개발하는 스마트 연구실 등장”, 2024.4.4.

13) KRIBB NEWS, “KAIST-생명연, 합성생물학 연구 및 바이오파운드리 구축 협약”, 2022.7.15.

14) 동아사이언스, “사람 필요없다...전세계 자동화 실험실 AI로 통합해 레이저 신물질 발견”, 2024.5.18.

15) Ha, Taesin, et al., “AI-driven robotic chemist for autonomous synthesis of organic molecules”, Science advances, 9(44), 2023.11.

16) JW중외제약, JW Story 테크&트렌드, “제약사가 만드는 지속가능한 미래...AI 속에 ‘해답’ 있다”, 2024.1.26.

신약개발 분야는 생체정보 데이터, 임상 데이터, 약물 후보군 데이터 등은 고도의 보안이 요구되는 정보로, 해외 AI 시스템을 그대로 활용할 경우 데이터가 외부로 유출될 위험에 노출되며 장기적으로 글로벌 기업에 데이터가 종속될 가능성이 있다.

이를 방지하기 위해서는 한국형 AI 신약개발 자율화 시스템을 자체적으로 구축하여, 데이터 보호와 기술 자립을 동시에 실현하는 것이 필수적이다.

그러나 개별 기업이 독자적으로 이러한 자율화 시스템을 보유하기에는 기술적 경제적 부담이 크기에, 산업계가 공동으로 활용할 수 있는 개방형 협업 연구 모델이 필요하다.

국내 AI 신약개발의 발전을 위해서는 국내 산업계 전반이 참여하여 전문가 집약적인 협력연구를 통한 산업형 첨단 자율화 연구시스템 도입이 필요하다.

### ▶ 가상 AI 신약연구센터와 분산형 자율주행 연구실

한국제약바이오협회 AI신약융합연구원은 국내 제약바이오 산업 전반의 AI 기반 연구 자율화를 목표로 '가상 AI 신약연구센터'와 '분산형 자율주행 연구실'이라는 산업계 공동활용형 첨단 자율화 연구시스템 구축을 준비 중이다.

'가상 AI 신약연구센터'는 산업계가 공동으로 활용할 수 있는 AI 기반 신약개발 연구 플랫폼이다. 산업 전반에서 공동으로 활용할 수 있도록 제약사 연구원과 AI 전문가가 협력하여 한국형 AI 연구 에이전트(가상 AI 신약 과학자)를 개발하고, 현장에 배포하여 신약개발 전 과정에서 AI의 활용을 극대화하고자 한다.

후보물질 탐색, 실험 설계, 약물 최적화 등 신약개발의 핵심 프로세스를 지원하며, 국내 연구 데이터와 전문

성 활용을 통해 AI 모델을 고도화하여 이식하는 방식으로 자체 기술 역량을 높이고 기업의 데이터 보안 문제를 해결하는 데 기여할 수 있다.

'분산형 자율주행 연구실'은 AI 연구 에이전트(가상 AI 신약 과학자)의 연구 디자인 및 계획 수립 이후의 물리적인 지능형 자율 시스템의 구현을 가능하게 한다. 특히, 분산형 자율주행 연구실은 물리적으로 분산된 연구 인프라를 클라우드 기반으로 연결하여 실험을 자동화하고 연구 자원을 공유하는 협업형 프레임워크를 의미한다.

현재 국내 신약개발 연구 환경은 개별 연구소와 기업들이 독립적으로 연구를 수행하는 형태로 운영되고 있어 연구 자원의 활용도가 낮고 중소 제약사들은 AI 신약개발 기술을 활용하는 데 어려움을 겪고 있다. 이를 해결하기 위해 분산형 자율주행 연구실은 AI 연구 에이전트, 로봇 합성 및 평가 시스템, HTS(High-Throughput Screening) 등의 연구 장비와 시스템을 클라우드로 연계하여 연구소 간 협업을 지원한다.

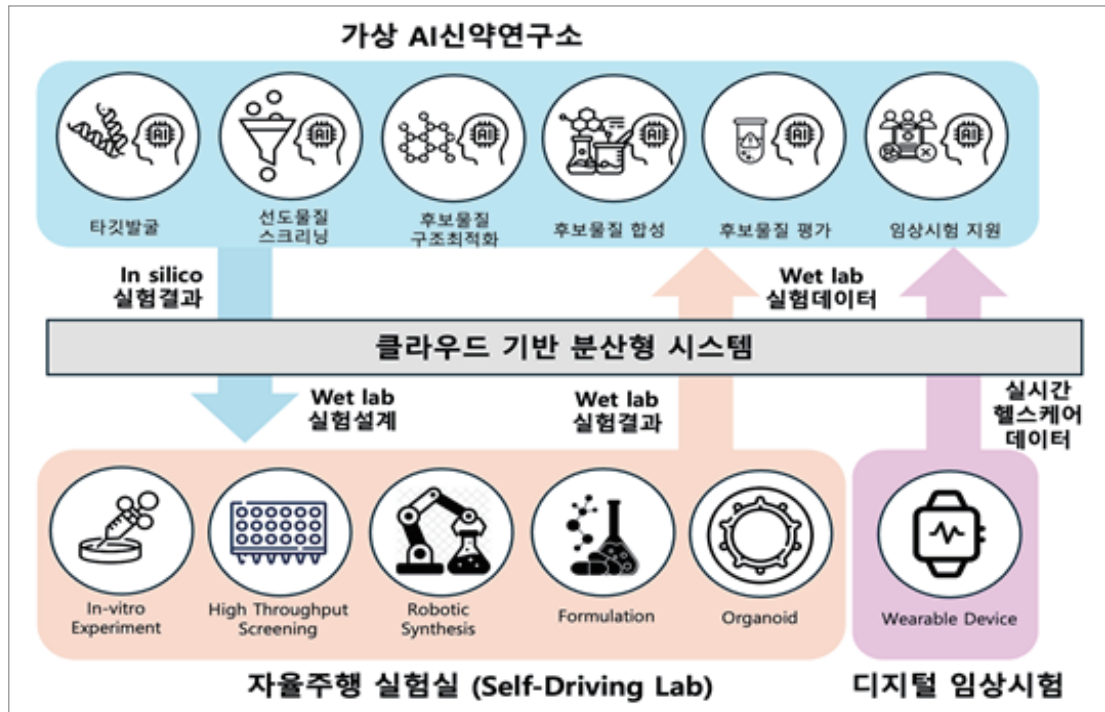
가상 AI 신약연구센터와 분산형 자율주행 연구실을 연계한 순환형 연구 프로세스 구축으로 연구 속도 향상, 비용 절감 등 연구 효율성을 극대화할 수 있다.

해당 연구시스템은 향후 연구 성과에 따라 보다 정교한 시스템으로 발전할 가능성이 높다.

글로벌 AI 신약개발 경쟁이 가속화되는 상황에서 국내 제약바이오 산업이 AI 연구 자율화 흐름에 효과적으로 대응하려면, 단순히 AI 기술 도입뿐만 아니라 산업 전체가 협력할 수 있는 공동연구 시스템이 필요하다.

따라서, 가상 AI 신약연구센터와 분산형 자율주행 연구실 개념이 실현된다면, 국내 제약사들이 AI 신약개발을 보다 효율적으로 활용하고 글로벌 시장 경쟁력을 확보하는 데 중요한 역할을 할 것으로 기대된다.

〈그림 3〉 가상 AI 신약연구센터와 분산형 자율주행 연구실 연계



출처: 한국제약바이오협회 AI신약융합연구원

## 주요 도전과제

연구 인프라 확대가 필요하다. 자율화 시스템을 구축하려면 고가의 자동화 장비 및 AI·로봇 기술이 필요하나, 국내 연구소 및 기업의 관련 인프라가 부족한 실정이다.

융합 연구 인력 확보도 해야 한다. AI 에이전트 개발을 위해서는 생명과학, 화학, 약학 등 전통적인 신약개발 분야와 AI, 데이터사이언스, 로봇틱스 등의 첨단기술을 결합할 수 있는 융합형 연구 인력이 필요하다. 현재 국내에서는 신약개발과 AI·로봇공학을 동시에 이해하고 연구할 수 있는 전문 인력이 부족하며, 산업계에서도 이러한 융합 인재를 채용·활용할 수 있는 체계가 미흡한 상황이다.

대규모 데이터 수집 및 활용도 이뤄져야 한다. AI가 학습하고 고도화되기 위해서는 대규모 실험 데이터를

필요로 하나, 데이터 활용 제한 등으로 아직 국내 신약개발 실험 데이터의 양이 글로벌 수준에 미치지 못하기 때문이다.

AI 실험 관련 제도도 확립해야 한다. AI 에이전트가 수행한 연구가 법적·과학적 신뢰성을 인정받기 위한 확립된 프로세스가 필요하다. 관련 데이터 수집 및 활용을 포함한 SDL 운영에 대한 정비된 기준·지침, 자율주행 기술을 활용한 연구결과에 대한 인허가 과정에서 승인 기준 등 제도를 확립해야 한다.

## 시사점 및 제언

우선 국내 제약바이오기업들은 AI 기술의 제약산업 적용의 중요성을 인식하고, 가상 AI 신약연구소 및 SDL 기술 도입을 위한 개별 및 전체 기업 차원의 장기적 투자 및 연구개발 전략을 수립해야 한다.

국내의 AI 에이전트, SDL, AI 신약개발 기업, 로봇 기업 등 첨단기술을 연계할 민간협력 확대를 통한 기술력 강화도 추진해야 한다. 기업 차원에서 AI 기반 신약개발 및 자동화 연구에 적합한 융합형 기술 인재를 양성하기 위한 내부 교육 프로그램을 마련하고, 소수 연구자의 결정에 의존하기보다는 데이터에 근거한 AI를 활용한 연구 문화로 전환해야 한다.

정부 및 정책적 지원도 필요하다. 가상 AI 신약연구소와 SDL을 활용한 신약개발 연구를 지원하는 정부 주도 연구 인프라 구축 및 슈퍼컴퓨팅, 클라우드 인프라 지원을 확대해야 한다.

AI 에이전트와 로봇 기술을 활용한 연구 자동화 도입을 촉진하기 위한 세제 혜택 및 연구개발 지원금 확대 등 인센티브를 모색하고, AI 신약개발 및 SDL 운영, 데이터 활용, 인허가 등과 관련된 명확한 기준·지침 확립 등 제도 정비도 필요하다. 이외에도 AI, 로봇공학, 생명과학을 융합할 수 있는 전문가 양성을 위한 체계적인 교육·훈련 프로그램을 신설하고, 국가 주도의 자율주행 연구 관련 산·학·연 협력 생태계 구축 및 글로벌 연구 협력 강화를 유도해야 한다.

AI 에이전트와 SDL은 제약바이오산업의 연구개발 속도를 혁신적으로 향상할 수 있는 기술로서, 글로벌 기업들은 이미 이를 신약개발 프로세스에 적극 도입 중이다. 우리나라 제약바이오 기업들이 글로벌 경쟁력을 확보하기 위해서는 SDL의 적극적인 도입 검토가 필수적이다.

다만, 첨단기술로서 영세 개별 기업이 감당하기 어려운 규모의 인적·물적 인프라가 요구되는 만큼 정부와 기업이 협력하여 체계적으로 인적자원 육성, 관련 제도 정비, 연구 인프라 구축, 기술 개발 지원 등을 추진할 필요가 있다.

## 약가인하정책이 제약기업의 성과와 행태에 미치는 영향



강창희 중앙대학교경제학부 교수, 전현배 서강대학교 경제학과 교수,  
최윤정 연세대학교 경제학부 교수

### 들어가며

2012년 ‘약가제도 개편 및 제약산업 선진화 방안’ 중 ‘동일 성분 동일 가격’의 일괄 약가인하 정책은 가장 강력한 가격 인하 정책 중 하나로, 제네릭 가격을 인하하여 국민 부담 및 재정 부담을 절감하고 제네릭 중심 및 내수 중심의 매출 구조를 지닌 국내 제약사들의 체질 변화를 유도하고자 했다.

보건복지부는 2012년 1월 1일자 약제급여목록표 기준으로 총 1만 3,814품목 중 6,506품목(47.1%)의 가격 인하로 건강보험 적용의약품의 평균 14%의 가격 인하, 약 1조 7,000억원(건보재정 1조 2,000억원, 본인부담 5,000억원)의 약품비가 절감된 것으로 추정했다.

일괄 약가인하 관련 선행 연구의 결과를 정리하면, 약품비 지출이 단기적으로는 감소했으나 장기적으로는 증가한 것으로 나타났다. 그 원인으로 의약품 사용량의 증가, 처방 과정에서 고가 및 오리지널 의약품의 선호가 유지 및 증가했을 가능성이 제기됐다.

반면, 약가인하 정책에 대응하여 제약기업들이 자신의 생존과 성장을 위해 어떠한 전략을 선택하고 행동하였는지에 대한 연구는 미흡한 상황이다.

정책은 제약 생태계의 모든 구성원에게 영향을 주며, 이들의 상호작용과 피드백을 통해 파급 효과가 증대된다. 따라서 정책 관련 이해관계자들에 대한 다각도의 이해가 필요하다.

이에 강창희·전현배·최윤정(2024)은 강건형 이중차분법<sup>1)</sup>을 96개 제약기업 데이터에 적용하여 개별 기업의 의약품 생산 포트폴리오가 일괄 약가인하로 인해 어떠한 방향으로 진행되었는지 살펴보고, 이로 인해 소비자의 후생과 건강보험 재정에 미치는 영향에 대해 시뮬레이션 분석을 진행했다.<sup>2)</sup>

1) 이중차분법(Difference-in-Differences, DID): 처치그룹(treatment group)과 통제그룹(control group)의 특성이 동일하다면, 특정 정책(처치) 전후의 인과적 관계를 비교하면서 두 그룹 간의 차이를 분석하는 통계적 방법

강건형 이중차분법(Robust DID): 전통적인 이중차분법의 가정을 완화하고 더 현실적인 상황에서 정책효과나 개입효과를 추정하기 위해 사용되는 방법론

2) 강창희·전현배·최윤정, “약가 인하 정책이 제약기업의 성과와 행태에 미치는 영향”, 한국제약바이오협회, 2024.



## 기업별 약가인하에 대한 노출 측정과 강건형 이중차분법

### 약가인하에 대한 이질적인 기업별 노출도

약가인하가 제약기업 매출액에 주는 충격 정도(또는 노출 정도)에 따라 제약기업의 대응과 행태 변화 정도가 달라지므로, 기업별 이질적인 노출도 측정은 실증분석의 핵심이다.

각 제약기업은 다양한 의약품 포트폴리오를 가지고 있다. 또한 일괄 약가인하 대상 의약품과 미인하의 약품이 혼재되어 있으며 해당 비율 또한 다르므로, 약가인하 노출도가 기업마다 다르다. 식품의약품안전처의 ‘식품의약품통계연보’에 따르면, 2022년 기준 제약기업당 평균 53개의 완제의약품(급여 및 비급여 의약품 모두 포함)을 생산하고 있다.<sup>3)</sup>

기업의 약가인하 노출도 변수(처치강도)는 아래와 같이 생성했다.

$$d_i = \frac{\sum_{j=1}^{K_i} q_{ij,2011}(p_{ij,2011} - p_{ij,2012})}{\text{총매출액}_{i,2011}}$$

-  $i$ : 기업,  $j$ : 제품,  $q$ : 생산량,  $p$ : 가격

-  $d_i$ 는 기업  $i$ 가 2011년 생산량을 유지 시 약가인하로 받게 되는 매출액 충격임 ( $0 \leq d_i \leq 1$ ). 약가인하 이전 의약품 포트폴리오 중 약가인하 대상인 의약품의 생산액 비중이 클수록, 약가인하율이 클수록 약가인하에 대한 노출도가 커짐

-  $d_i$ 는 기업 수준 매출액으로 환산 시 약 11% 감소를 나타냄 (평균값은 0.125, 중앙값 0.115, 표준편차 0.086, 최솟값 0, 최댓값 0.365임)

### 데이터와 강건형 이중차분법

2008~2019년 96개 제약기업 (한국제약바이오협회 회원사)의 생산 및 매출 자료, 건강보험심사평가원의 ‘약제 급여 목록 및 급여 상한금액표’, 한국평가 데이터를 연계하여 균형패널 데이터를 구축했다. 2012년 일괄 약가인하에 노출된 기업들을 처치그룹(treatment group)으로 설정하고, 처치강도( $d_i$ )가 0.01 보다 낮아 영향을 거의 받지 않은 기업들은 통제그룹(control group)으로 설정했다. 처치강도 기준을 변경하여 강건성을 검증했다.

연속형 이중차분모형을 적용함에 있어, de Chaisemartin and D'Haultfoeuille(2024)<sup>4)</sup>가 제안한 방법을 사용했다.

$$Y_{it} = \sum_{\ell=-F+2, \ell \neq 0}^{T-F+1} \beta_{\ell} [d_i \cdot 1(t=F-1+\ell)] + \alpha_i + \tau_t + u_{it}$$

-  $Y_{it}$ : 종속변수,  $\alpha_i$ : 기업 고정효과,  $\tau_t$ : 연도 고정효과

각 시점에 대한 터미변수  $1(t=F-1+\ell)$ ,  $\ell=0$ 는 기준 시점,  $\ell=1$ 는 처치 개시,  $\ell \in \{-F+2, \dots, -1, 1, \dots, T-F+1\}$  임.  $\ell=0$ 는 기준 시점의 역할을 하므로 제외되어 있다. 최근 연구들은 기존의 2원 고정효과모형<sup>5)</sup> 추정에서 ‘음의 가중치’ 문제를 개선했다.

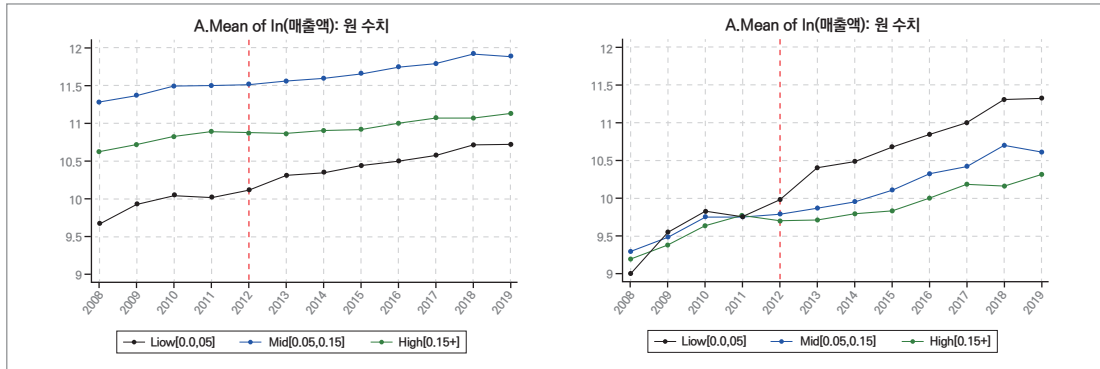
3) 식품의약품안전처, “2023 식품의약품 통계연보(제25호)”, p326, 2023.12.

4) de Chaisemartin, Clement and Xavier D'Haultfoeuille, “Difference-in-Differences Estimators of Intertemporal Treatment Effects”, The Review of Economics and Statistics, forthcoming, 2024.

5) 고정효과모형(Fixed Effects Model): 개체의 고유한 특성은 시간이 지나도 변하지 않는다고 가정하고, 이러한 개별적인 특성을 통제하여 시간에 따라 변화하는 변수가 결과에 미치는 영향을 분석하는 통계적 방법

· 2원 고정효과모형(Two-way Fixed Effects Model): 개체별 및 시간별로 변하지 않는 특성을 동시에 통제하여 종속변수에 미치는 영향을 제거한 상태에서, 주요변수의 효과를 파악할 수 있는 고정효과모형의 확장 모델

〈그림 1〉 약가인하 노출강도에 따른 ln(매출액)의 추세



출처 : 강창희·전현배·최윤정(2024)

## 제약기업의 성과와 행태에 미친 영향

### ▶ 기업의 성과 변화: 장단기적 매출 감소

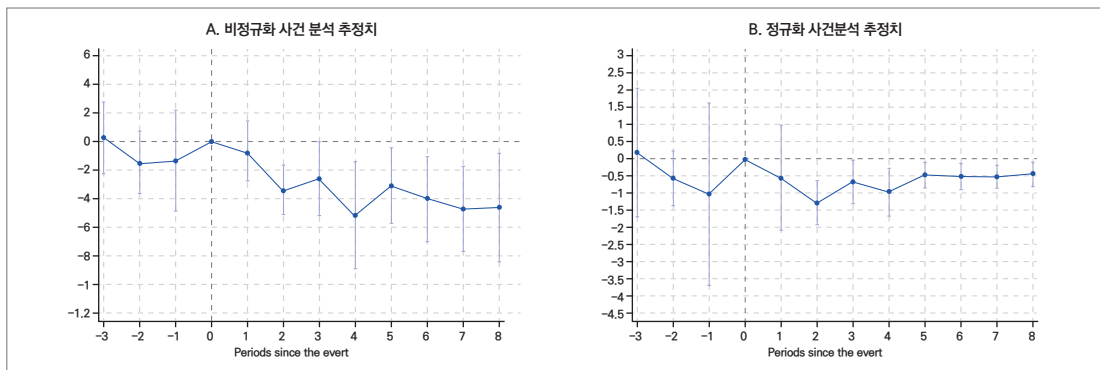
96개 기업의 매출액 시계열 추세(〈그림 1〉)를 살펴 보면 로그 매출액의 평균값이 2008년부터 지속적으로 상승하는 추세를 보이지만, 약가인하 이후 중·강노출 그룹의 매출 성장세는 약노출 그룹에 비해 상대적으로 둔화된 것으로 나타났다.

강건형 이중차분 분석을 통한 엄밀한 인과관계(〈그림 2〉)를 살펴보면, 비정규화 추정치를 바탕으로 2012년 일괄 약가인하는 2013년도 약가인하 노출 기업의 매출액을 미노출 기업 대비 약 34% 감소시켰으며, 2019년까지 약 26~51.2%의 매출 감소 효과가 지속됐다.

이는 약가인하에 노출되지 않았다면 추가적으로 증가했을 매출액 성장세 또는 약가인하로 인해서 어버린 매출액 성장세를 의미한다. 균형패널 기간 및 통제집단 설정 기준의 변경을 고려한 강건성 검증에도 유사한 결과를 보였다.

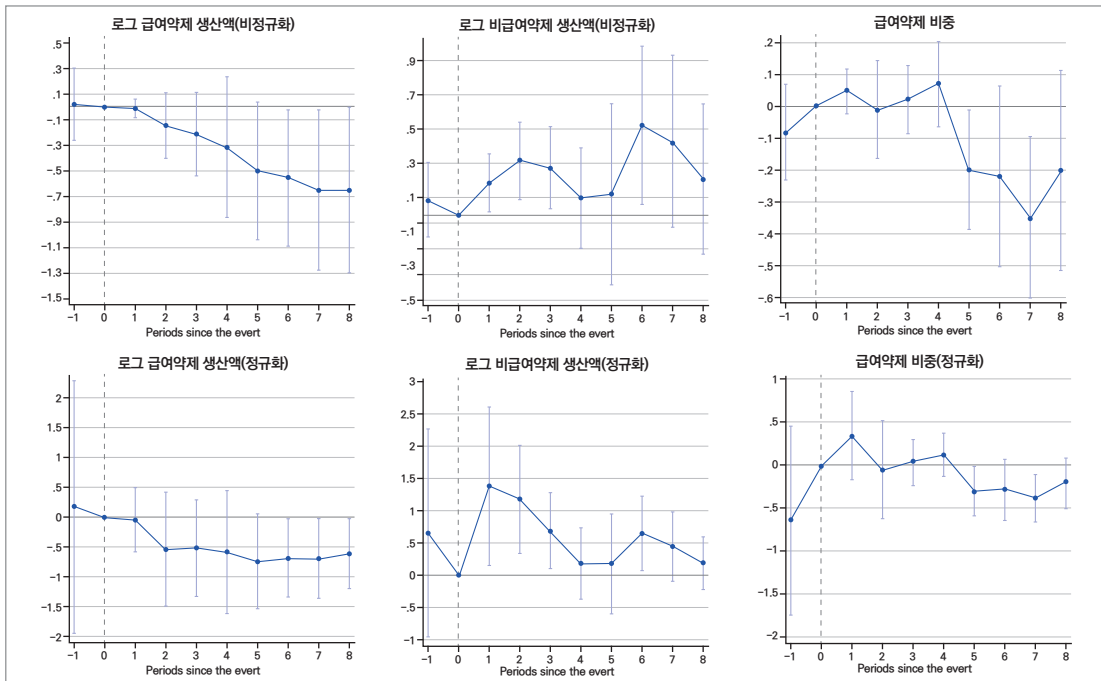
약가인하로 인한 장기적인 성장세의 상대적인 둔화를 보여주고 있는 해당 결과는 일괄 약가인하 정책이 제약기업의 장기적인 성장 및 대형화에 부정적일 수 있다는 시사점을 제시한다.

〈그림 2〉 강건형 이중차분 분석 결과: 매출액



출처 : 강창희·전현배·최윤정(2024)

〈그림 3〉 강건형 이중차분 분석 결과: 급여 및 비급여 전문의약품 생산액과 급여의약품의 생산액 비중



출처: 강창희·전현배·최운정(2024)

### ▶ 기업의 행태 변화 1: 비급여 전문의약품 생산 비중의 증가

2012년 일괄 약가인하에 따른 매출 및 수익성 감소가 클수록 제약기업들은 약가인하에 영향을 받지 않는 의약품들의 다양화나 생산증대를 꾀할 수 있다. 특히 약가인하에 노출된 급여 등재 품목의 매출액 의존도를 줄이는 방식으로 의약품 포트폴리오 구성을 변경했을 수 있다.

2012년 기준 급여 등재 품목의 약 90%, 제약기업 생산품목의 약 63%를 차지하는 전문의약품을 중심으로 분석한 결과, 급여, 비급여 전문의약품은 모두 생산량은 증가하는 추세이나 2012년 일괄 약가인하 이후 노출기업의 경우 비급여 생산액의 증가가 컸다.

노출기업의 전문의약품 생산 중 급여 전문 의약품의 생산 비중은 하락하였으며, 비노출기업의 후반기 생산 비중의 증가와 대비된다.

강건형 이중차분 분석 결과(그림 3), 일괄 약가인하에 노출된 제약기업의 급여 전문의약품 생산량 증가는 노출되지 않은 통제기업 대비 상대적으로 약 14~65% 낮게 나타났으며, 비급여 전문의약품 생산량의 성장이 컸다.

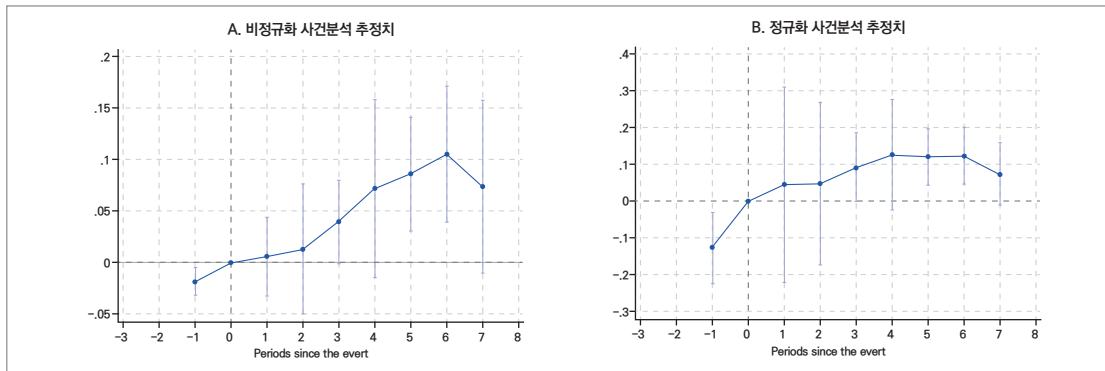
급여의약품의 생산액 비중은 일괄 약가인하 이후 단기적으로는 큰 변화가 없었으나 2016년부터 20~36%p까지 급여의약품 생산 비중이 감소했다.

### ▶ 기업의 행태 변화 2: 급여 내 미인하 전문의약품 비중 증가

약가인하로 인한 매출 감소 등에 대응하기 위해 약가인하에서 제외된 의약품의 생산 및 소비 비중을 변화시켰을 수 있다.

시계열 자료를 살펴보면, 약노출 그룹에서는 인하대상 제외 의약품의 비중이 2012년 증가한

〈그림 4〉 강건형 이중차분 분석 결과: 미인하 급여 전문의약품의 비중



출처 : 강창희·전현배·최윤정(2024)

이후로는 일정하게 유지된다. 반면, 약가인하 충격이 큰 중·강노출 그룹(인하 대상 의약품의 생산액 비중이 높은 그룹)에서는 미인하 제품군의 생산액 비중이 2012년 이후 지속적으로 상승한다.

강건형 이중차분 분석 결과(〈그림 4〉), 약가인하 노출 기업들의 미인하 급여 전문의약품의 비중이 2012년에 약 0.6%p 증가한 이후 2018년까지 최대 10.5%p까지 증가된 상태를 유지함. 이를 2018년까지 평균으로 계산하면 5.7%다.

### ▶ 기업의 행태 변화 3: 자체 생산 제품의 매출 비중 감소

2012년 약가인하가 기업의 매출 구성(제품 vs. 제품 외 매출)을 변화시켰을 가능성을 ‘한국평가데이터’의 자료와 연계하여 살펴봤다(기간: 2008~2019년, 대상: 82개 기업).

제품 매출액은 기업의 자체 공정을 활용해 직접 생산한 제품에 대한 매출액을 의미하고, 제품 외 매출액은 기업이 직접 생산하지 않은 모든 종류의 매출액을 의미한다.

제품 외 매출은 제품 매출 대비 매출원가가 높아 영업이익이 상대적으로 낮지만, 매출액을 증대하는 데 용이하다.

2008~2019년 기간 동안 약노출 그룹에서는 제품 매출액의 전반적 상승, 중·강노출 그룹에서는 감소 추세를 보였다.

제품 외 매출은 모든 그룹에서 전반적 상승 추세를 나타내므로, 약가인하 정책에 노출이 강한 그룹에서 전체 매출액 중 제품 매출액이 차지하는 비중이 감소했다.

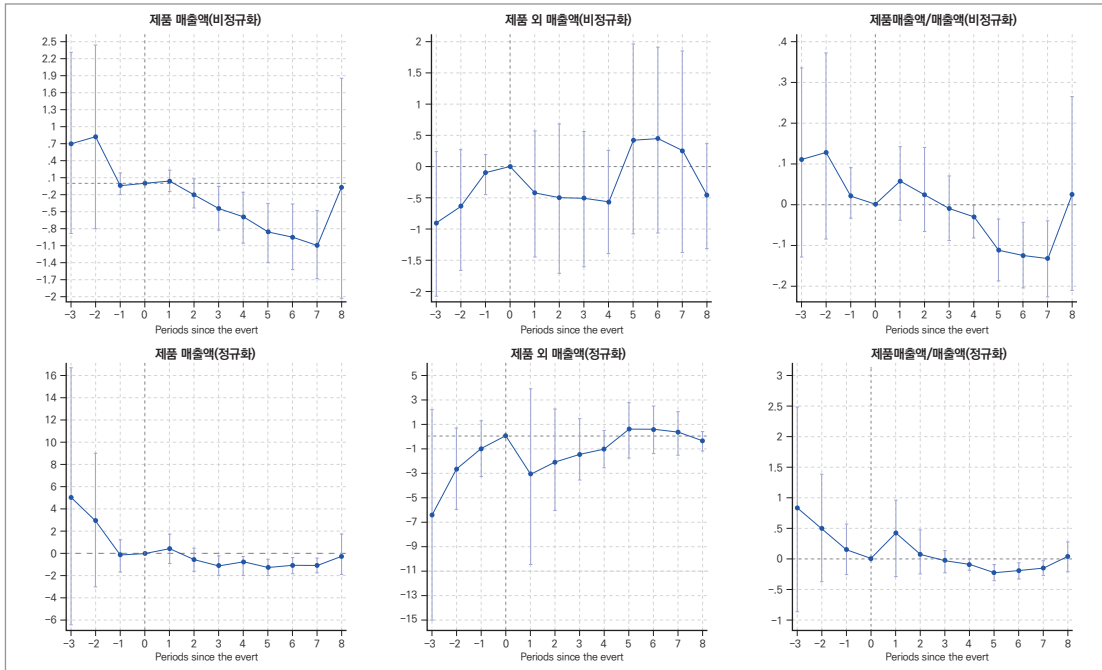
강건형 이중차분 분석 결과(〈그림 5〉), 2012년 약가인하가 노출집단 제약기업의 제품 매출액을 통제집단 대비 ‘상대적’으로 최소 11%에서 최대 106% 감소시켰다.

이는 일괄 약가인하 정책이 없었다면 노출 기업의 제품 매출액이 더 발생할 수 있었음을 의미한다.

### ▶ 기업의 행태 변화 4: 수입의약품 코프로모션(Co-promotion)의 비중 증가

한국의약품수출입협회의 ‘의약품 수입실적 데이터’(2009~2019년)를 이용하여 매출액 상위 26개 기업에 대해 수입의약품 코프로모션 매출액 비중 변화를 분석해봤다.

〈그림 5〉 약가인하 정책이 노출그룹의 제품 매출, 제품외 매출, 제품의 매출비중에 미친 영향



출처 : 강창희·전현배·최윤정(2024)

‘동일성분 동일약가’ 하에서 다국적사 오리지널 의약품은 제네릭에 비해 가격 경쟁력을 갖게 되어, 이들의 코프로모션은 국내 제약기업에게 매출 감소의 방어책 중 매력적인 대안이 될 수 있는 것으로 나타났다.

강건형 이중차분 분석 결과, 약가인하 노출기업의 코프로모션 매출액 비중은 2012년에 약 3.5%p 증가한 이후 2019년까지 2.2~3.8%p의 범위에서 증가된 상태를 유지했다.

제품 외 매출은 모든 그룹에서 전반적 상승 추세를 나타내므로, 약가인하 정책에 노출이 강한 그룹에서 전체 매출액 중 제품 매출액이 차지하는 비중이 감소했다.

코프로모션의 감소가 나타나는 강노출집단을 제외한 22개 기업을 대상으로 분석 시, 중노출 그룹의 코프로모션 매출액 비중은 약노출그룹에 비해 상대적으로 2012년에 약 4.2%p 증가했고, 2012~2019년 기간 동안 평균적으로 약 4.9%p 증가했다.

## 소비자 후생과 건강보험 재정 시뮬레이션 분석

약가인하 이후 제약기업의 행태 변화가 소비자 후생과 건강보험 재정의 개선에 어떠한 영향을 주었는지 시뮬레이션 분석을 했다.

약가인하 이전 급여 및 비급여 제품의 가격을 모두 1로 정규화한 후, 급여 약가는 15% 하락(1→0.85), 비급여 약가는 변동이 없음(1→1)을 가정했다. 생산 제품이 모두 거래되는 균형상태의 경제를 가정하며, 급여 전문의약품 생산액의 비중은 2011년 비중 약 90%를 가정했다. 급여 전문의약품의 경우 국민건강보험공단과 소비자의 부담률을 각각 75%, 25%를, 비급여 전문의약품의 소비자 부담률은 100%로 가정했다.



〈표2〉 일괄 약가인하 정책의 후생분석: 급여-비급여 생산 비중 변화 고려

|                 | 급여 전문의약품 |      |     | 급여 전문의약품 |    |      | 합계      | 가격인하<br>이전대비<br>변화율 |
|-----------------|----------|------|-----|----------|----|------|---------|---------------------|
|                 | 비중       | 가격   | 부담률 | 비중       | 가격 | 부담률  |         |                     |
| 생산자(A)          |          |      |     |          |    |      | 생산액     |                     |
| 가격 인하 이전        | 0.90     | 1    | 1   | 0.10     | 1  | 1    | 1.000   |                     |
| 가격 인하 이후        |          |      |     |          |    |      |         |                     |
| (A1)급여비중 불변     | 0.90     | 0.85 | 1   | 0.10     | 1  | 1    | 0.865   | -13.5%              |
| (A2)급여비중 10%p하락 | 0.80     | 0.85 | 1   | 0.20     | 1  | 1    | 0.880   | -12.0%              |
| 건강보험(B)         |          |      |     |          |    |      | 건보 부담액  |                     |
| 가격 인하 이전        | 0.90     | 1    | 75% | 0.10     | 1  | 0%   | 0.675   |                     |
| 가격 인하 이후        |          |      |     |          |    |      |         |                     |
| (B1)급여비중 불변     | 0.90     | 0.85 | 75% | 0.10     | 1  | 0%   | 0.574   | -15.0%              |
| (B2)급여비중 10%p하락 | 0.80     | 0.85 | 75% | 0.20     | 1  | 0%   | 0.510   | -24.4%              |
| 소비자(C)          |          |      |     |          |    |      | 소비자 부담액 |                     |
| 가격 인하 이전        | 0.90     | 1    | 25% | 0.10     | 1  | 100% | 0.325   |                     |
| 가격 인하 이후        |          |      |     |          |    |      |         |                     |
| (C1)급여비중 불변     | 0.90     | 0.85 | 25% | 0.10     | 1  | 100% | 0.291   | -10.4%              |
| (C2)급여비중 10%p하락 | 0.80     | 0.85 | 25% | 0.20     | 1  | 100% | 0.370   | 13.8%               |

## ▶ 소비자 후생의 변화

강건형 이중차분법 추정 결과인 급여 전문의약품의 생산 비중이 단기적으로 10%p 감소(급여 비중 0.90 → 0.80, 비급여 비중 0.1 → 0.2)하는 경우, 약가인하가 소비자 후생, 건강보험재정 그리고 제약기업의 매출에 미친 영향을 살펴봤다.

시뮬레이션 결과 비급여 전문의약품 비중의 변화가 없는 경우, 순수하게 약가인하의 영향만 있으므로 건보 약제비 부담은 약 15.0% 감소하고 소비자 부담은 약 10.4% 감소했다.

하지만, 급여 비중이 줄고 비급여 비중이 늘어나는 경우, 건보 부담은 더욱 줄어들지만 소비자의 총 약제비 부담은 약가인하 후 오히려 약 13.8% 정도 늘어났다.

## ▶ 건강보험 재정의 변화

제약기업이 급여 등재된 전문의약품 중 미인하 전문의약품의 생산 비중을 높이는 포트폴리오 변화가 건강보험공단의 재정에 미치는 영향을 분석했다. 전체 급여 등재 전문의약품 중 인하 및 미인하 대상의 생산액 비중이 50:50인 경우, 강건형 이중차분법 추정 결과인 미인하 비중이 5%p 증가하는 단기적인 상황을 가정했다.

시뮬레이션 결과, 약가인하만 있는 경우 건강보험 재정부담이 감소하며 정책 목표를 달성했다. 하지만, 급여 등재 전문의약품 중 미인하 대상 비중이 증가하는 경우, 건강보험 재정부담의 감소폭이 약화되는 것으로 나타났다.

2010~2019년 5%의 약품비 연평균 성장률을 고려하면, 건강보험 재정 부담은 지속적으로 증가하며

이 경우에도 미인하 비중의 증가는 약가인하로 인한 재정부담의 감소폭을 약화시켰다.

## 시사점

일괄 약가인하로 인한 제약기업의 매출액 감소 및 건강보험 재정 개선은 단기적으로 당연한 결과다. 하지만 제약 생태계의 구성원인 제약기업들이 생존과 성장을 위해 충격에 대응하면서 시장은 정책의 효과가 의도하지 않았던 균형으로 이행될 수 있다.

정책 시행 이후, 정책 이전의 모든 조건과 상황이 동일(ceteris paribus)하다면 의도 및 계획되었던 정책의 목적을 달성하는 효과가 나타난다. 그러나 현장에서는 새로 도입된 정책이나 규제에 대한 반응이 연쇄적으로 일어나게 된다.

강건형 이중차분분석을 통해 약가인하와 제약기업의 행태 변화 간의 엄밀한 인과관계를 살펴보았으며, 제약기업들이 약가인하로 인한 매출액 충격을 완화하고자 의약품 생산, 매출 포트폴리오 및 영업방식 등에서 행태 변화를 발견했다.

‘비급여 의약품 생산 비중’ 및 ‘급여의약품 중 미인하 대상 의약품 비중’의 증가, ‘제품 외 매출 비중’과 ‘수입품 코프로모션의 비중’ 증가를 보였다.

제약기업의 전략과 행태의 변화는 제약 생태계 전반에 다양한 각도에서 영향을 준다.

비급여 의약품의 생산 증가는 단기적으로 건강보험 재정 건전성의 향상을 가져오지만, 소비자의 보장성을 오히려 약화하는 결과를 초래한다. 미인하 급여 의약품의 생산 증가는 오히려 재정 부담을 증가시키고 소비자의 보장성을 약화시켰다. 중장기적으로 선행연구에서 지적된 고가약으로의 대체, 의약품비 지출의 증가 등 복합적인 요인에 의해 재정 부담이 더욱 악화될 수 있다.

자체 생산 제품을 줄이고 외주 및 유통 상품 생산 등을 통한 제품 외 생산의 증가는 자체 생산 능력의 약화를 가져오고, 의약품 위탁생산업체 또한 가격경쟁력을 위해 상대적으로 저렴한 수입 원료의약품 대체를 하는 방향으로 진행될 수 있다. 이는 국내 제약기업의 자체 생산 기반 및 공급 안정성을 약화시킬 수 있다.

수입의약품의 코프로모션 증가는 의약품의 다양화 등의 장점을 가지나, 약가관리의 영역 밖인 오리지널 의약품의 증가로 소비자 약품비와 건강보험재정의 부담 증가로 이어질 수 있다. 또한, 계약 종료 등에 따른 기업 건전성에 대한 잠재적 리스크 확대는 국내 제약산업의 경쟁력 강화에 한계가 될 수 있다.

제약기업의 의약품 포트폴리오 및 영업방식의 다양성을 고려하면 복합적인 행태 변화가 발생할 수 있으며, 제약 생태계의 소비자-제약기업-정부 간의 상호작용과 피드백 효과는 새로운 균형으로의 이동을 가속화할 수 있다. 따라서 시장구조-행태-성과의 인과관계와 역인과관계의 역동성을 고려한 정책 설계와 집행이 필요하다.

## 디지털 제약회사가 만드는 디지털 신약

- 디지털 치료제의 현황과 전망 -



강성지 웰트 대표

### 디지털 치료제(DTx)의 개념 및 특징

#### ▶ 디지털 치료제란?

디지털 치료제(Digital Therapeutics, DTx)<sup>1)</sup>는 소프트웨어를 기반으로 질병을 예방, 관리 및 치료하는 신개념 치료 기법으로, 환자의 건강 데이터를 실시간 분석하여 맞춤형 치료 솔루션을 제공한다. 기존 화학생물학적 치료제와 달리 모바일 애플리케이션, 인공지능(AI), 웨어러블 기기 등을 활용하여 환자의 행동 패턴을 분석하고, 환자 맞춤형 치료를 가능하게 한다.

디지털 치료제는 전통적인 의약품과 달리 지속적인 모니터링이 가능하고, 환자의 행동 변화를 유도하는 특징을 갖는다. 또한 소프트웨어 업데이트를 통해 치료 효과를 지속적으로 개선할 수 있어, 한 번 개발된 후에도 성능 향상이 가능하다.

기존 약물 치료제와 비교하여 비용 절감과 환자 접근성 향상의 이점이 있으며, 약물 부작용 없이 치료 효과가 가능하다.

#### • 디지털 치료제의 발전 과정

- 1세대 디지털 치료제: 스마트폰을 이용한 단순 건강 모니터링 애플리케이션으로, 환자의 신체 데이터를 기록하고 시각적으로 제공하는 데 중점을 둠
- 2세대 디지털 치료제: 행동 변화를 유도하는 인지행동치료(CBT) 기반 솔루션으로, 정신 건강(불면증, 불안장애 등) 치료에 활용되며, 정량화된 데이터 기반의 치료 프로그램을 포함
- 3세대 디지털 치료제: AI와 빅데이터를 활용하여 환자의 실시간 데이터를 분석하고 맞춤형 치료를 제공하는 단계로, 원격 모니터링 및 개인별 치료 최적화 기능이 포함됨

#### ▶ 주요 특징

##### • 근거 기반의 디지털 헬스케어

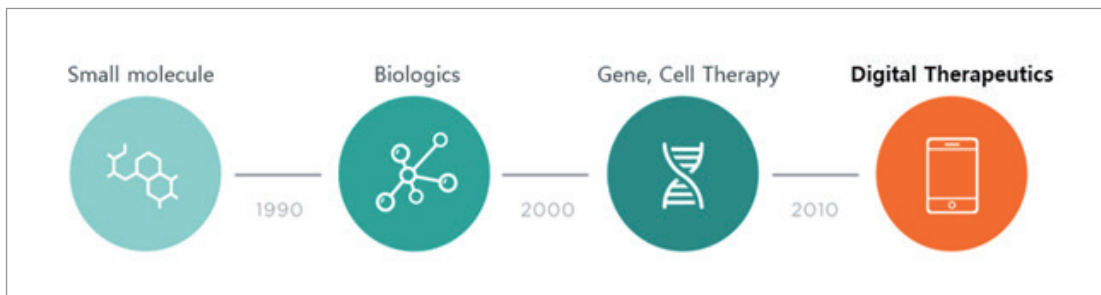
디지털 치료제는 기존 임상과 동일한 수준의 과학적 근거를 요구하며, 미국 식품의약국(FDA), 유럽의약품청(EMA), 한국 식품의약품안전처 등에서 치료 효과와 안전성을 평가받아야 한다.

1) 'Digital Therapeutics' 용어는 2010년부터 사용하기 시작했으며, 2017년 미국 Pear Therapeutics의 약물중독 치료용 애플리케이션 reSET이 디지털 치료제로서 최초로 FDA 허가 획득. 화학(합성)의약품, 바이오의약품에 이은 3세대 신약으로 주목받고 있음

〈표1〉 약물 치료제와 디지털 치료제의 차이점

| 구분   | 약물 치료제                        | 디지털 치료제  |
|------|-------------------------------|--|
| 형태   | 물리적 복용 필요                     | 스마트폰이나 웨어러블 디바이스를 통해 치료 프로그램 수행  |
| 작용   | 신체 내에서 생화학적 반응을 일으켜 치료 효과를 유도 | 데이터 기반의 치료 방법을 적용하여 치료 최적화   |
| 치료   | 환자가 처방된 용량과 방식에 따라 동일한 치료를 받음 | 실시간 데이터를 분석하여 개별 환자의 상태에 맞춘 맞춤형 치료 제공                                  |
| 임상시험 | 대규모 임상시험을 통해 고정된 용량과 효과를 검증   | AI 기반의 지속적인 데이터 수집과 치료 피드백을 반영하는 적응형 임상시험(Adaptive Clinical Trial)이 가능 |

〈그림1〉 신약 개발 기술 변천사

출처: Pear Therapeutics<sup>2)</sup>

웨어러블 센서와 AI 분석 기술을 활용한 디지털 바이오마커(Digital Biomarker)를 기반으로 실사용 데이터(Real-World Data, RWD)를 수집할 수 있으며, 이를 통해 보다 정밀한 치료 효과 분석이 가능하다.

FDA와 EMA는 최근 만성폐쇄성폐질환(COPD), 뒤센근이영양증, 심방세동 환자를 위한 디지털 평가변수(Digital Endpoint) 기반 임상시험을 승인하며, 디지털헬스케어 기술의 임상적 유효성 검증이 점차 확대되고 있다.

#### • 개인 맞춤형 치료 제공

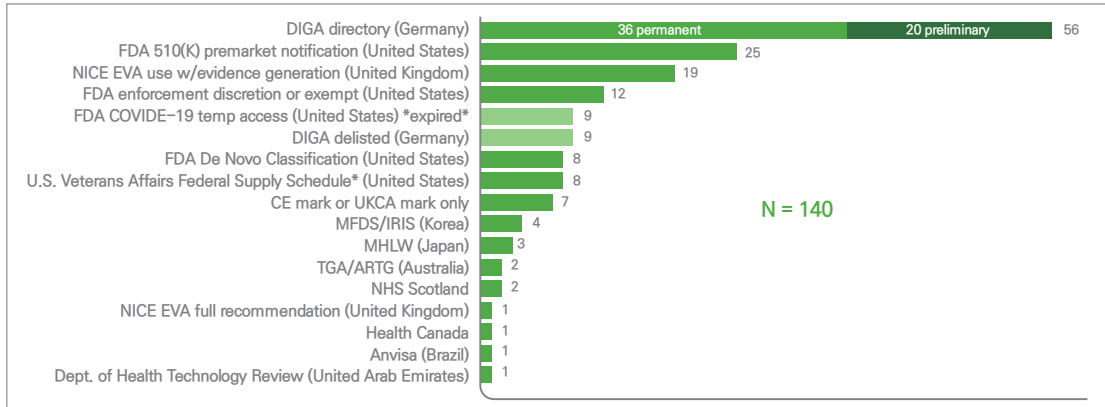
환자의 실시간 건강 데이터(RWD)를 분석하여 증상 변화에 맞춰 치료 방법을 조정할 수 있는 맞춤형 치료가 가능하다.

스마트폰, 태블릿, 웨어러블 기기와 연동하여 환자의 상태를 지속적으로 모니터링하며, 데이터 기반의 정밀 치료(Precision Medicine) 접근이 가능하다.

독일의 디지털 헬스 애플리케이션(Digitale Gesundheitsanwendungen, DiGA) 제도에서는

2) Pear Therapeutics, "Pear Therapeutics: Redefining Medicine, Prescription Digital Therapeutics for the Treatment of Serious Disease", 2020.11.10.

〈그림 2〉 국가별 디지털 치료제 허가 현황(2024년 10월)



출처: IQVIA

현재 56개 이상의 디지털 치료제가 건강보험 혜택을 받고 있으며, 미국에서도 처방형 디지털 치료제(Prescription Digital Therapeutics, PDT) 제도를 통해 디지털 치료제의 급여 적용이 확대되고 있다.

#### • 경제성 및 확장성

기존 신약 대비 개발 비용이 현저히 낮으며, 제품 출시 속도 또한 빠른 장점이 있다.

물리적 제조 공정 없이 소프트웨어 업데이트를 통해 지속적으로 개선될 수 있으며, 글로벌 시장으로의 확장이 용이하다.

초기 연구개발 비용이 낮아 스타트업 기업들의 진입이 용이하며, 기존 제약사들과의 협업을 통해 전통 제약 시장과의 융합이 활발히 진행되고 있다. 대표적으로 한독-웰트<sup>3)</sup>, 한미약품-베이글랩스<sup>4)</sup>, 노바티스코리아-에버엑스<sup>5)</sup> 등 다양한 협업 추진되고 있다.

## 국내외 현황

### ▶ 허가

#### • 주요 치료 영역

주로 정신건강, 만성질환, 신경과 질환 위주로 개발되어 출시되어 있으나, 점차 다양한 질환을 타겟으로 개발되고 있는 상황이다.

#### • 국가별 디지털 치료제 허가 건수

각 국가에서 허가받은 처방형 디지털 치료제 (PDT)는 그림 2와 같다. 2024년 10월 기준 미국에서는 37개(외래 환자 투약 애플리케이션 포함 46개)의 디지털 치료제가 승인을 받아 시장에 출시되었으며, 독일에서는 56개, 영국에서는 20개가 출시됐다.<sup>6)</sup>

한국에서는 2025년 1월 기준 5개의 디지털 치료제가 식약처 품목 허가를 획득했다. 에임메드의 불면증 인지개선 치료제 ‘솜즈(Somzz)’, 웰트의 불면증 인지개선 치료제 ‘슬립큐(SleepQ)’, 뉴냅스의 뇌졸중 환자 시야장애 개선 치료제 ‘비비드브레인(VIVID

3) 바이오스펙테이터, “‘불면증 DTx’ 웰트, 시리즈C 140억 유치..‘한독 SI투자’”, 2024.6.27.

4) 전자신문, “한미약품-베이글랩스, 비만치료제·디지털치료기기 접목 비만 관리 솔루션 개발”, 2024.12.13.

5) 머니투데이, “에버엑스, 노바티스와 ‘맞손’... ‘AI 건강관리 서비스 제공’”, 2024.12.19.

6) IQVIA, “Digital Health Trends 2024: Implications for Research and Patient Care”, p28, 2024.12.24



Brain)', 웨어앤서비스의 호흡 재활 운동 치료제 '이지브리드(EasyBreath)', 뉴라이브의 이명 치료용 디지털 치료제 '소리클리어(SoriCLEAR)'가 출시됐다.

#### • 대표적인 디지털 치료제 사례

- SleepQ(불면증 치료제): 웰트에서 개발한 인지행동치료(CBT) 기반의 디지털 치료제로, 수면 패턴을 분석하고 사용자 행동 변화를 유도하여 수면의 질을 개선한다. 임상시험 결과, 수면 효율(Sleep Efficiency)이 15.1% 향상되었으며, 기존 약물 치료와 비교했을 때 부작용이 적은 대안으로 평가된다.

- EndeavorRx(ADHD 치료제): 아킬리 인터랙티브(Akili Interactive)에서 개발한 주의력결핍과잉행동장애(ADHD) 치료용 디지털 치료제로, FDA 승인을 받은 최초의 게임 기반 치료제임. 비디오 게임을 활용하여 환자의 집중력과 인지 기능을 개선하며, 임상 연구를 통해 어린이 ADHD 환자에게 긍정적인 영향을 미치는 것이 입증됐다.

- Rejoyn(우울증 치료제): 오츠카 제약(Otsuka Pharmaceutical)과 클릭 테라퓨틱스(Click Therapeutics)가 공동 개발한 우울증 디지털 치료제로, 인지행동 치료(CBT) 및 AI 기반 정신 건강 관리를 지원한다. 환자의 기분 변화, 생활 습관 및 치료 반응을 분석하여 맞춤형 치료 전략을 제공하며, 기존 약물 치료와 병행했을 때 치료 효과를 극대화할 수 있도록 설계됐다. FDA의 혁신 의료기기(Breakthrough) 지정을 받아 신속한 승인 절차를 진행하였으며, 우울증 환자의 장기적인 정신건강 관리를 위한 새로운 대안으로 평가받고 있다.

## ▶ 규제

#### • 규제기관의 역할

FDA, EMA, 식약처 등의 규제기관은 디지털 치료제가 실제 임상에서 효과를 보일 수 있도록 엄격한 승인 절차를 적용하고 있다. 최근 미국 FDA는 AI 기반 디지털 치료제 중 일부를 '혁신 의료기기(Breakthrough Device)'로 지정하며, 신속한 시장 진입을 지원하고 있다.

#### • 한국의 디지털 치료제 규제 현황

2023년 국내 최초 불면증 디지털 치료제 승인 이후 시야장애, 호흡재활, 이명 등 다양한 질환에 대한 디지털 치료제가 안전성과 기술력을 인정받고 있다. 2024년부터 건강보험 수가 적용을 위한 논의가 활발히 진행 중이다.<sup>7)</sup>

건강보험심사평가원은 디지털 치료제의 경제성 평가를 진행 중이며, 가이드라인 재정 등 향후 건강보험 적용 가능성을 높이기 위한 제도를 정비하고 있다.<sup>8)</sup>

## 경제적 가치와 미래 전망

#### • 시장 전망

2025년 글로벌 디지털 치료제 시장 규모는 100억 달러(약 14.5조 원) 이상 성장할 것으로 예상된다.<sup>9)</sup> 미국, 유럽 등 각국에서 디지털 치료제를 정식 의료 솔루션으로 인정함에 따라, 처방형 디지털 치료제의 보험 적용 범위도 확대되면서 성장 속도가 더욱 가속화될 전망이다.

제약사와 IT 기업 간 협력이 증가하며, AI 빅데이터 기술과의 융합이 가속화되는 추세이다. 기존 제약사뿐만 아니라, 구글, 애플, 마이크로소프트

7) 동아사이언스, "디지털치료제 5호까지 나왔는데...보험 적용안돼 활용 '난항'", 2025.2.16.

8) 건강보험심사평가원, "디지털치료기기 건강보험 등재 가이드라인", 2023.8.25.

9) Global Information, The Business Research Company, "Digital Therapeutics Global Market Report 2025", 2025.1.30.

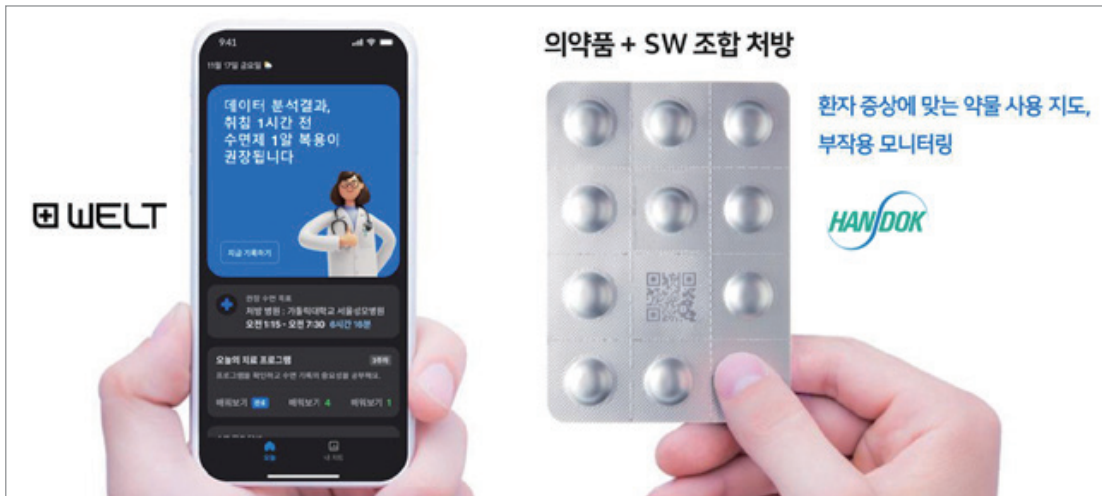
〈표2〉 일괄 약가인하 정책의 후생분석: 급여-비급여 생산 비중 변화 고려

| 국가         | 규제기관  | 규제경로  | 보험급여   |
|------------|---|---|--|
| 미국         | FDA<br>(식품의약국)                                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 510(k) Pre-market Notification (시판 전 신고)</li> <li>· De Novo 프로세스</li> <li>· FDA 510K exempt(registration/ listing) (면제 등록/목록)</li> <li>· Enforcement discretion(집행재량)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>· CMS(메디케어/메디케이드 서비스 센터)</li> <li>· US Veterans Affairs Federal Supply Schedule (미국 재향군인회 연방공급 프로그램)</li> </ul> |
| 영국         | MHRA<br>(의약품규제청)                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· UKCA 인증</li> <li>· 유럽(CE) 의료기기 규정(MDR)</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· NICE(국립보건임상연구소)</li> </ul>  |
| 독일         | EC<br>(유럽집행위원회)                                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 유럽(CE) 의료기기 규정(MDR)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· DiGA 및 DiPA (디지털헬스 애플리케이션 프로그램)</li> </ul>  |
| 프랑스        | ANSM<br>(국립의약품청)                                  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 유럽(CE) 의료기기 규정(MDR)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· PECAN(디지털의료기기 사전지원 제도)</li> <li>· LPPR(환급대상 제품 및 서비스 목록)</li> </ul>   |
| 벨기에        | FAMHP<br>(연방의약품관리청)                               | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 유럽(CE) 의료기기 규정(MDR)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· mHealth 벨기에(모바일헬스케어 프로그램)</li> </ul>  |
| 일본         | MHLW<br>(후생노동성)                                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· Todokede(시판 전 신고)</li> <li>· Ninsho(시판 전 인증)</li> <li>· Shonin(시판 전 승인)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 후생노동성</li> <li>· Chuikyo(중앙사회보험의료협의회)</li> </ul>  |
| 한국         | MFDS<br>(식품의약품안전처)                                | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 식약처 의료기기허가(KiFDA 시스템)</li> <li>· 의료기기통합정보시스템</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 건강보험심사평가원(HIRA)</li> <li>· 신의료기술평가위원회 (NECA-nHTA)</li> </ul>  |
| 브라질        | ANVISA<br>(위생감시국)                                 | <ul style="list-style-type: none"> <li>· ANVISA Cadastro(약식등록) Class I/II</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· CONITEC(보건부 기술위원회)</li> </ul>   |
| 호주         | TGA<br>(식품의약청)                                    | <ul style="list-style-type: none"> <li>· TGA 소프트웨어 기반 의료기기 ARTG(호주치료제등록)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· MSAC(의료서비스자문위원회)</li> <li>· MBS(재평가리뷰팀)</li> </ul>  |
| 아랍<br>에미리트 | MOHAP(보건 및 예방부)<br>Drug Control Dept<br>(의약품관리부서) | <ul style="list-style-type: none"> <li>· Product registration(제품등록)</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· Department of Health Technology Review (보건기술검토부서)</li> </ul>  |
| 캐나다        | Health Canada<br>(보건부)                            | <ul style="list-style-type: none"> <li>· MDL(의료기기허가)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· CADTH(보건의약기술평가원)</li> </ul>   |
| 중국         | NMPA<br>(국가약품감독관리국)                               | <ul style="list-style-type: none"> <li>· MDRC(의료기기 등록 인증)</li> </ul>  |  |
| 싱가포르       | HSA(보건과학청)  | <ul style="list-style-type: none"> <li>· ACRA(기업청) SMDR (의료기기등록부) 등록</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· ACE(국가보건기술평가 및 임상지침 기관)</li> </ul>  |
| 인도         | CDSCO<br>(중앙의약품표준관리기구)<br>SLA(주라이선스 기관)           | <ul style="list-style-type: none"> <li>· CDSCO 등록</li> <li>· MD 9 라이선스(Class C&amp;D)</li> <li>· MD 15 수입 라이선스</li> <li>· MD 5 라이선스(Class C&amp;D)</li> </ul>   |  |

출처: IQVIA<sup>1)</sup>

1) IQVIA, "Digital Health Trends 2024: Implications for Research and Patient Care", p27, 2024.12.24

〈그림 3〉 환자 맞춤형 디지털융합의약품의 미래



출처: 웰트(주), 한독 (※현재 의약품과 디지털치료제(DTx)를 조합한 디지털융합의약품 개발 노력 중)

등 글로벌 기술 기업도 헬스케어 시장에 적극적으로 진출하고 있다.

#### • 비용 효과성

기존 신약 대비 개발 비용이 30~50% 절감되며, 임상시험 진행 속도도 빠른 것이 특징이다. 기존 신약이 개발부터 승인까지 평균 10~15년이 소요되면 반면, 디지털 치료제는 3~5년 내 시장에 출시될 가능성이 높다.

의료 접근성이 낮은 지역에서도 활용이 가능하여 글로벌 헬스케어 격차 해소에 기여할 수 있다. 원격 의료 기술과 결합하면, 의료 자원이 부족한 지역에서도 효과적으로 치료 제공이 가능하다.

#### • 투자 및 성장 가능성

대형 제약사와 협력하여 시장 확대 가능성이 높다. AI와 결합한 디지털 치료제는 신약 개발 비용을 절감하고 성공 가능성을 높이는 혁신적인 솔루션으로 자리 잡고 있다.

AI, 빅데이터, 클라우드 기술과 융합하여 차세대 정밀의료 기술로 발전할 가능성이 있다. 이를 통해,

기존 치료제가 효과적이지 않았던 난치성 질환 치료 분야에서도 새로운 돌파구를 마련할 것으로 기대된다.

#### • 인공지능 및 데이터 활용

인공지능 기반 맞춤형 치료 모델이 개발되고 있으며, 웨어러블 등의 실사용 데이터(RWD) 분석을 통한 예방적 치료가 가능해질 전망이다. 개인 맞춤형 치료 기술이 발전하면서 환자의 생활 습관, 유전 정보, 생체 신호 데이터를 분석하여 보다 정밀한 치료 계획을 수립할 수 있다.

환자의 치료 반응을 인공지능이 실시간으로 분석하여 효과적인 피드백을 제공할 수 있다. 이를 통해 치료 효과를 최적화하고, 부작용 발생 가능성을 줄이는 역할을 할 수 있다.

#### • 디지털융합의약품

기존 약물과 디지털 치료제를 병용하는 'Drug + DTX' 모델이 확대되고 있다. 예를 들어 GLP-1 제제와 함께 생활습관 기반 혈당 조절 인공지능 알고리즘을 적용하여 환자의 치료 효과를 극대화하는 방식이 점점 증가하는 추세이다.

## 결론 및 시사점

기술 발전과 규제 변화에 따라 디지털 치료제 시장이 빠르게 성장하고 있으며, 글로벌 기술 경쟁이 심화되고 있다. 기존 제약사뿐만 아니라 헬스테크(HealthTech) 스타트업들의 시장 진입도 활발하다.

제약과 IT 분야의 융합을 통해 다양한 협업과 라이선스 인/아웃, M&A 등이 일어나며 디지털 제약산업은 파괴적 혁신과 가파른 성장을 할 것으로 전망된다.

인공지능의 활용과 꾸준한 소프트웨어 업데이트를 통해 의학의 난제를 해결하고 기존에 불가능했던 치료를 가능케 하는 '디지털 신약'을 개발하는 것이 가장 중요한 과제로 손꼽힌다.

디지털 기술이 환자 중심 치료의 새로운 패러다임을 제시하며, 데이터 기반 '초정밀 치료'가 가능해졌다. 기존 약물 치료의 한계를 보완하고, 보다 연속적이고 혁신적인 치료가 가능해질 것으로 예상된다.

이를 위해 디지털 치료제의 특성을 반영한 탄력적 보험 수가 적용 및 경제성 평가 기준을 확립하는 것이 중요하며, 나아가 선제적 글로벌 표준화 및 규제 대응 또한 필요하다.

디지털 치료제만이 보여줄 수 있는 독보적 가치를 제공하고 신약으로 인정받는 단계가 되었을 때 디지털 제약산업은 그 꽃을 피울 것으로 기대한다.

## RWD/RWE 외부대조군 활용 동향 및 시사점



최남경 이화여자대학교 융합보건학과 교수

### 들어가며

#### ▶ RWD/RWE 활용

최근 의약품 전주기 및 규제과학 분야에서 실사용데이터(Real-World Data, RWD)/실사용증거(Real-World Evidence, RWE)의 활용이 중요한 이슈로 떠오르고 있다.<sup>1)</sup>

RWD는 실제 의료 환경에서 발생하는 환자의 진료 정보, 처방 기록, 전자의무기록(Electronic Medical Records, EMR), 보험 청구 데이터 등 다양한 출처에서 수집된 데이터로, 임상시험의 제한된 환경과는 달리 실제 환자의 복합적인 건강 상태를 반영한다.

※ RWE는 다양한 RWD를 가공·분석하여 도출된 의약품·의료기기의 사용 및 잠재적 이익 또는 위험에 관한 임상적인 증거를 말함

RWD/RWE 활용 목적에는 임상시험군 모집, 치료관행 확인, 유병률 및 발병률 등의 질병자연사 확인, 실용적 임상시험(Pragmatic trial), 외부대조군, 의약품 적응증 확대, 제품의 라벨(label) 변경, 시판 후

안전성 또는 유효성 확인 연구, 유익성-위해성 평가 등이 있다.

특히 기존의 무작위배정 임상시험(Randomized Clinical Trials, RCT)으로 얻기 어려운 정보를 제공할 수 있어 신약 허가 및 적응증 확대, 시판 후 안전성 평가 등 규제 의사결정에서 점차 활발히 활용되고 있다.

#### ▶ 외부대조군 개념

외부대조군(External Control)은 임상시험에서 일반적으로 활용되는 표준대조군과 달리 말 그대로 ‘외부’에서 모집한 대조군을 뜻하며 유형 및 주요 출처는 다음과 같다.

외부대조군 유형은 임상시험 환자보다 이전 시점에 치료받은 과거 대조군(historical control)과 임상시험 환자와 동일한 기간 다른 환경에서 치료받은 동시대조군(contemporaneous control)으로 분류된다.

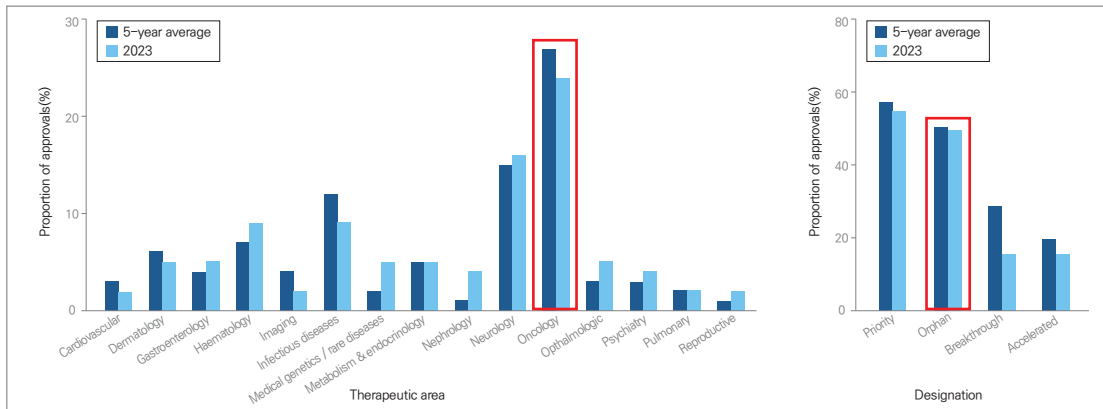
외부대조군 출처는 이전 RCT, 후향적 또는 전향적<sup>2)</sup>으로 수집된 RWD, 출판된 문헌자료, 임상시험

1) Jonker, C. J, et al., "Contribution of patient registries to regulatory decision making on rare diseases medicinal products in Europe", Frontiers in Pharmacology, 2022.

2) 후향적: 이미 생성된 데이터를 분석하여 연구를 수행하는 형태, 전향적: 새로운 데이터를 수집하면서 연구를 수행하는 형태



〈그림 1〉 치료분야 및 규제지정에 따른 FDA 신약허가 현황(2023)



출처: Nature Reviews Drug Discovery(2024)

환자의 치료 이전 상태에서 파생된 대조군(baseline control) 등이 될 수 있다.<sup>3)</sup>

이전 RCT, 후향적 또는 전향적 RWD, baseline control은 개인 수준 데이터에 대한 접근이 가능한 경우가 많으나, 출판 문헌을 활용하는 경우 개인 수준 데이터에 대한 접근이 제한적이다.

외부대조군을 선택할 때, 데이터 출처의 적합성, 품질, 그리고 환자의 특성을 얼마나 잘 반영하는지 고려해야 하며 이를 통해 비교군과 연구군 간의 신뢰할 수 있는 비교가 이루어질 수 있다.

### ▶ RWD 외부대조군 도입 필요성

세계적으로 바이오의약품, 합암제 및 희귀의약품에 대한 신약 개발이 증가하고 있다. 전 세계 희귀의약품 시장 규모는 연평균 11.6%의 성장률을 보이며 2023년 1,730억 달러에서 2028년에는 약 3,000억 달러에 도달할 것으로 예측되며, 이는 제네릭 및 전문의약품(희귀의약품 제외)의 동일

기간 연평균 성장률 6.1%와 비교하면 매우 빠른 속도이다.<sup>4)</sup>

2023년 미국 식품의약국(FDA)에서 허가된 55개 신약 중 30.9%가 바이오의약품, 24%가 합암제, 52%가 희귀의약품에 해당함. 최근 5년간 허가된 의약품의 평균 50% 이상이 희귀의약품에 해당할 정도로 희귀의약품의 점유율은 점점 증가하고 있다.<sup>5)</sup>

2023년 국내 허가된 희귀의약품은 총 37품목으로 2015년 이후 가장 많은 품목이 허가되었으며 국내 희귀의약품 시장의 규모 또한 점차 증가하여 다수의 제약 기업도 희귀의약품의 연구개발에 힘쓰고 있다.

특히 미국 희귀의약품 지정제도를 획득하는 경우 신약독점권 7년 보장, 개발지원, 감세 및 임상 2상 후 조건부 판매 등 혜택이 제공되어 국내 제약바이오기업들이 FDA 희귀의약품 지정을 획득하기 위해 노력 중이며 2024년 올해 약 10개 제약회사의 신약 파이프라인이 미국 FDA의 희귀의약품 지정을 획득하였다.<sup>6)</sup>

3) Appiah, K, et al., "Justifying the source of external comparators in single-arm oncology health technology submissions: a review of NICE and PBAC assessments", Journal of Comparative Effectiveness Research, 13(2), e230140, 2024.

4) 국가임상시험지원재단, "2028년 희귀의약품(Orphan Drugs) 글로벌 동향 예측", KoNECT 뉴스레터 6월호, 2023. 6.

5) Nature Review Drug Discovery, "2023 FDA drug approvals", 2024. 1.

6) 데일리팜, "K-바이오, 올 FDA 희귀약 지정 10건...블루오션 경쟁력↑", 2024.7.8.

〈 표1 〉 FDA와 EMA의 지정제도 및 허가경로

| 기준                          | FDA  | EMA   |
|-----------------------------|--|---|
| 혁신적 지정 제도<br>(Designations) | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 패스트트랙(Fast Track Designation)</li> <li>· 혁신신약(Breakthrough Therapy Designation)</li> <li>· 우선심사(Priority Review Designation)</li> <li>· 희귀의약품 지정(Orphan Drug Designation, ODD)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 우선순위의약품(Priority Medicines, PRIME)</li> <li>· 신속심사(Accelerated Assessment)</li> <li>· 희귀의약품 지정(Orphan Drug Designation, ODD)</li> </ul>                |
| 혁신적 허가 제도<br>(Approvals)    | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 신속허가(Accelerated Approval)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>· 예외적 상황에서의 품목허가(Marketing Authorisation under Exceptional Circumstances, MAEC)</li> <li>· 조건부 품목허가(Conditional Marketing Authorisation, CMA)</li> </ul> |

희귀질환, 특히 암 치료 분야는 여전히 미충족 수요가 높아 전세계적으로 시장 매출 및 연구개발을 주도하고 있으며 앞으로도 꾸준히 성장할 것으로 예상된다.

희귀의약품의 경우 임상 2-3상에서 충분한 표본확보나 비교군 설정이 어려워 RCT가 불가능한 경우가 많아 허가를 받기 위해, 대조군 없이 약을 테스트 하는 단일군 임상시험(Single-arm studies)을 제출하는 경우가 빈번한데 이때 RWD가 외부대조군으로 활용될 수 있다.

본 원고의 목적은 국내외 규제과학 및 의약품 허가 과정에서 RWD를 활용한 외부대조군 현황과 사례를 통해 타당성, 신뢰성, 규제적 쟁점사항을 분석하고, 향후 RWD 기반 연구의 활용 방안을 제시함으로써 국내 규제 의사결정에서 RWD의 역할을 확대하는데 기여하고자 한다.

## RWD 외부대조군 활용 현황

RWD 기반 외부대조군은 외부의 비무작위 데이터베이스에서 파생된 환자를 의미하며, 주로 신약허가 또는

적응증 확대 시 단일군 임상시험의 환자와 비교되어 RCT가 실현 가능하지 않거나 윤리적이지 않은 경우에 비교성을 제공하기 위해 활용된다.

FDA 및 유럽의약품청(EMA)은 잘 설계되고 실행된 RCT를 신약의 효능을 확인하는 최적의 표준 접근방식으로 권고하지만, RCT를 실행할 수 없는 몇 가지 경우를 인정하며 특정 상황에서는 비무작위 임상시험(non-RCTs) 증거를 받아들일 수 있도록 한다.

국제의약품규제조화위원회(International Council for Harmonisation, ICH)가 2001년 5월에 발행한 임상시험의 대조군 선택 가이드라인에 따르면 “외부대조군은 비교치료에 관계없이 다섯 번째 유형으로 함께 고려되며 예외적인 상황(unusual circumstances)에서만 사용할 수 있음”을 명시하고 있다.<sup>7)</sup>

FDA와 EMA는 일반적으로 RCT에서 벗어난 상황에서의 지정제도(designations)와 허가 경로(approval pathway)를 갖는다. FDA의 신속허가 중 67%가 단일군 임상시험을 기반으로 한다.<sup>8)</sup>

7) ICH, “Guidance for industry E10 Choice of Control Group and Related Issues in Clinical Trials”, 2001.

8) Beaver, J. A, et al., “A 25-year experience of US Food and Drug Administration accelerated approval of malignant hematology and oncology drugs and biologics: a review”, JAMA oncology, 2018.

## ▶ 의약품 시판 허가 시

의약품 허가를 위해 캐나다, 프랑스, 영국, 독일, 호주 5개국을 포함한 규제기관 및 의료기술평가(Health Technology Assessment, HTA) 기관에 제출된 외부대조군 활용 사례를 확인한다.<sup>9)</sup>

IQVIA의 HTA Accelerator 데이터베이스를 사용하여 2011년부터 2019년까지 약물 허가를 위한 단일군 임상시험 기반 HTA 제출물에 대한 결정을 검토하였을 때, 총 433건의 제출물이 확인되었으며 이 중 283건(65%)이 종양학(oncology) 분야, 43건(10%)이 혈액면역학 분야, 39건(9%)이 대사분야 등의 순이었다.

또한 단일군 임상시험 기반의 433건의 제출물 중 226건(52.2%)가 외부대조군을 포함했으며, 외부대조군의 출처는 이전 임상시험 기반(24%), RWD 기반(20%), 이전 임상시험과 RWD 동시사용 기반(8.1%) 순이다.

RWD 기반 외부대조군 사용 비율은 2011년부터 2014년까지 8%에서 2015년부터 2019년까지 30%로 22% 증가했으며, 임상시험을 외부대조군으로 활용하는 경우는 33%에서 17%로 14% 감소했다.

외부대조군 출처별 규제기관의 승인률을 평가했을 때, RWD 기반 외부대조군이 포함된 제출물의 87건 중 51건(59%)이 긍정적인 평가를 받았고, 이전 임상시험 외부대조군이 포함된 제출물은 104건 중 51건(49%)이 긍정적인 평가를 받았다.

## ▶ 항암제 시판 허가 시

항암제 시판 허가를 위해 EMA에 제출된 문서에 외부대조군이 포함된 사례를 확인하면 다음과 같다.<sup>10)</sup>

European Public Assessment Reports(EPARs)를 검색하여 임상 효능에 대한 외부대조군 데이터를 참조한 2016년부터 2021년까지의 항암제 최초 허가 신청서 103개를 포함했으며, 진단용으로만 사용되거나 시장에서 철수된 약물은 제외한다.

이 중 18개의 항암제가 허가 신청서에 외부대조군이 포함되어 있었으며, 18개의 항암제에서 총 24개의 외부대조군이 활용되었다.

24개의 외부대조군 중 15개(63%)만 수용되었으며, 나머지는 이질적인 환자집단, RWD 평가결과 누락, 부적절한 통계분석 등을 근거로 거절됨. 활용된 24개의 외부대조군 중 9개(37%)가 RWD를 활용하였다.

## ▶ 비항암제 시판 허가 시

비항암제 허가를 위해 제출된 허가문서에 외부대조군이 포함된 FDA의 사례를 확인한다.<sup>11)</sup>

2000년부터 2019년까지 비종양성 의약품 허가 시 외부대조군이 활용된 사례(항염증제, 백신 및 면역글로불린 제외) 45개 제품을 검토한다.

이 중 비악성 혈액학 제품이 22개(49%), 위장병학 및 선천적 대사오류 10개(22%), 대사 및 내분비학 6개(13%), 신경학 4개(9%), 생식기관/뼈질환 및 비뇨기과

9) Patel, D., et al., "Use of external comparators for health technology assessment submissions based on single-arm trials", Value in Health, 24(8), 1118-1125, 2021.

10) Wang, X., et al., "Current perspectives for external control arms in oncology clinical trials: Analysis of EMA approvals 2016-2021", Journal of Cancer Policy, 2023. 35, 100403.

11) Jahanshahi, M., et al., "The use of external controls in FDA regulatory decision making", Therapeutic Innovation & Regulatory Science, 2021. 55(5), 1019-1035.

3개(7%)가 포함되었으며, 36개(80%) 제품이 희귀질환 의약품에 해당하였다.

45개 제품의 외부대조군 출처는 후향적 RWD가 20개(44%)로 가장 많았으며, 환자의 치료 이전 상태와 비교하는 baseline control이 15개(33%), 문헌 검토 및 이전 임상시험이 각각 5개(11%)였고, 전향적 RWD는 활용되지 않았다.

## RWD 외부대조군 채택 사례

### ▶ 허가시 주요 근거로 채택된 경우

노바티스의 졸겐스마(Zolgensma)는 2020년 5월 EMA에서 최초 허가받은 척추성 근위축증(Spinal Muscular Atrophy, SMA) 유전자 치료제이다.<sup>12)</sup>

졸겐스마에 대한 임상 3상인 CL-303 연구 (오픈 라벨, 단일군)는 미국의 16개 주에서 프레드니솔론(prednisolone)으로 사전 치료받았고 이후 졸겐스마를 1회 투여 받았으며, 전조증상 또는 증상이 있는 제1형 SMA 환자를 대상으로 진행했다. 여기에 소아 신경근 임상연구 데이터베이스(Pediatric Neuromuscular Clinical Research (PNCr) database)를 기반으로 진행된 관찰 연구를 외부대조군으로 활용하여 비교 분석하였다.

카플란-마이어(Kaplan-Meier) 분석<sup>13)</sup> 및 메타분석<sup>14)</sup>을 시행한 결과, 졸겐스마 치료군에서 전체 환자 수 대비 생존 환자 수로 계산한 생존율이 더 높게 나왔고(91% vs. 22%), 전체 환자 수 대비 스스로 앉아 있을 수 있는 환자 수로 계산한 비율 또한 더 높았다(59% vs.

0%). 이를 통해 졸겐스마의 임상적 유효성을 확인할 수 있었다.

위 결과를 토대로 EMA는 졸겐스마를 2세 미만의 소아환자에서 SMN1 유전자에 중복(bi-allelic) 돌연변이가 있는 환자 중 제1형 SMA로 진단된 SMA 환자 또는 SMN2 유전자를 3개까지 가지고 있는 환자의 치료에 조건부 허가했다.

### ▶ 허가시 주요 근거로 불채택된 경우

중국 안텐진의 엑스포비오(Xpovio)는 2019년 7월 FDA에서 허가받은 재발성 난치성 다발성 골수종 환자 치료제이다.<sup>15)</sup>

제출된 단일군 임상시험은 셀리넥서(Selinexor)와 덱사메타손(dexamethasone)의 조합에 대한 전향적, 오픈라벨, 단일군 2b상 시험인 STORM(Selinexor Treatment of Refractory Myeloma)을 수행했다. 여기에 과거 외부대조군으로 플래티론헬스社(Flatiron Health) 분석 데이터베이스의 전자건강기록(Electronic Health Record, EHR)을 사용한 후향적 관찰 연구를 하였으며, STORM 시험에서 연구된 것과 유사한 모집단의 생존을 STORM의 생존결과와 비교하는 것이 목적이었다.

그러나 FDA는 EHR 데이터에 적용된 방법론적 문제에 대한 우려를 표명했으며 매우 제한된 표본크기, 불안정한 추정치, 생성된 증거가 STORM 환자에서 관찰된 생존에 대한 맥락이나 비교를 제공할 수 없다는 의견을 결과가 규제 의사결정을 뒷받침하기에 부적절하다고 평가했다.

12) 송재환 외, “미국과 유럽의 실사용데이터/실사용근거를 활용한 의약품 허가심사 사례 분석”, 약물역학위해관리학회지, 2022.

13) 카플란-마이어 분석은 생존분석에서 사용되는 통계기법으로 전체 연구기간 동안에 사건이 발생한 시점마다 구간생존율을 산출하여 최종적으로 누적생존율을 산출하는 방법

14) 메타분석은 특정 주제에 대해 지금까지 발표된 기존 연구문헌을 분석하고 평가하여 결론을 도출하는 통계적 방법

15) Center for Drug Evaluation and Research (CDER). Multi-Discipline Review Xpovio (Selinexor).

위 결과를 토대로 재발성 불응성 다발성 골수종에 대한 최초 허가 신청 승인에 EHR 결과를 허가에 고려하지 않았으며, 진행 중인 3상 무작위 BOSTON(Bortezomib, Selinexor and Dexamethasone) 시험의 효능 데이터를 기반으로 신속승인 및 BOSTON 시험 결과 제출을 위한 시판 후 요구사항(Post-marketing Requirement, PMR)을 부여했다.

## 주요 규제적 쟁점사항

### ▶ 타당성 및 신뢰성

RWD 외부대조군은 RCT를 수행할 수 없는 신약의 단일군 임상시험 비교군으로서 유용하게 활용될 수 있지만, 외부대조군과 임상시험군의 이질성 및 연구방법에 대한 우려사항은 규제기관의 RWD 수용을 방해하는 주요 쟁점이다.

외부대조군의 이질성은 자료 출처의 다양성, 과거와 현재의 치료표준의 차이, 비무작위로 인한 환자의 기본 특성 차이, 주요한 공변량에 대한 제한된 정보 등에서 기인한다.

RWD 데이터 자체에서 발생하는 본질적인 우려뿐 아니라 충분한 표본크기의 확보, RWD 연구를 수행하는 연구자가 적용하는 연구설계의 불명확성, 선택 편향(selection bias)을 포함하는 다양한 편향 및 잠재적인 교란요인 등에 대한 우려도 있다.

자료 간 이질성, 상호운용성 결여를 해결하기 위한 데이터 품질관리, 표준화, 데이터 연계 등에 대한 고려가 필요하다.

### ▶ 법적/제도적 가이드라인

국내 의약품 규제 의사결정에서 보다 적극적인 RWD 활용이 요구된다.

국외에서는 시판 후 안전성 평가 연구는 물론 신약 허가, 적응증 확대 및 라벨변경에도 RWD가 활발히 활용되며 수용도도 높은 편이다.

FDA는 현재까지 RWD 관련 13종 이상의 가이드라인을 발행하였으며, 2023년 2월 제약사에게 RWD 외부대조군 활용 임상시험 수행 시 연구설계 및 분석방법을 제시하는 가이드라인을 발행한다.

국내에는 그간 신약, 희귀의약품 등에 대해 재심사제도 및 위해성관리계획을 모두 이행해야 했지만, 2025년 2월부터 재심사제도와 위해성관리계획 제도가 일원화될 예정이며 능동적인 약물감시로 RWD가 활용될 수 있다.<sup>16)</sup> 또한 RWD를 효과적으로 활용할 수 있는 가이드라인도 지속적으로 개발 중이다.

그러나 시판 후 연구의 방법으로 여전히 사용 성적 조사가 주를 이루고 있으며 법적/제도적 근거가 모호하여 실제 RWD 연구가 수행되기에는 법적인 실효성이 부족한 실정이다.

현재까지 발행된 RWD 가이드라인<sup>17)</sup> 또한 시판 후 연구에 집중되어 있어 외부대조군을 포함한 의약품 전 주기에서 RWD/RWE가 활용될 수 있도록 다양한 가이드라인 개발 논의가 필요하다.

국내에서 RWD 연구를 수행 및 RWE를 평가할 수 있는 선례가 아직 많지 않으므로 적극적인 사례 발굴 및 적용이 요구된다.

16) 후생신보, “의약품 재심사 제도 폐지, 안전관리제도 일원화한다”, 2024.2.1.

17) 식품의약품안전처, “신약 등의 재심사 업무 가이드라인(민원인 안내서)”, 2019.12.



〈표1〉 일괄 약가인하 정책의 후생분석: 급여-비급여 생산 비중 변화 고려

| 주제         | 대응 및 주요내용   |
|------------|---|
| 정부         | <b>▶ 의사소통 강화</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 규제 의사결정에서 RWD 연구 활용에 대한 청사진 제시</li> <li>- RWD/RWE 연구에 대한 규제기관의 이해 및 수용성 확대</li> <li>- 데이터보유자, 규제기관, 제약기관 등을 포함한 다양한 이해관계자의 의견 조율</li> <li>- 규제적으로 RWD를 활용하고자 하는 제약업계와의 사전 합의 및 지속적인 의사소통</li> </ul>                                 |
|            | <b>▶ 규제적 기반 및 거버넌스 마련</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- RWD 연구가 허용되는 상황에 대한 법적근거 마련</li> <li>- 데이터 활용과 개인정보보호 간 균형적인 해결점 제시</li> <li>- 규제과학 분야에서 활용가능한 RWD의 범위에 대한 안내</li> <li>- 제약업계를 포함한 RWD 연구 수행자들의 데이터 접근성 확보</li> <li>- RWD 활용 연구 및 RWE 평가 가이드라인 개발 및 다양한 모범사례 제시</li> </ul> |
|            | <b>▶ 전문가 교육 강화</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 규제적으로 수용가능한 RWD 연구수행을 위한 정기적 전문가 교육 실시</li> <li>- 제출된 RWD 및 RWE를 적합하게 평가 및 해석할 수 있는 내부 인력양성</li> </ul>  |
| 제약업계 및 연구자 | <b>▶ 목적에 맞는 RWD 활용 및 연구수행</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 목적에 맞는 명확한 가설 및 RWD 선택</li> <li>- 목적에 맞는 RWD 연구설계 및 통계분석 방법의 적용</li> </ul>   |
|            | <b>▶ 타당도 높은 RWD 연구수행</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 규제기관과의 지속적인 의사소통</li> <li>- RWD 연구 사전 프로토콜 작성 및 성실한 이행</li> <li>- 연구 과정 및 결과에 대한 명확한 설명 및 해석</li> <li>- 다양한 역학적, 통계학적 연구방법론을 통한 결과의 타당성 및 신뢰성 강화</li> </ul>   |
| 데이터 보유자    | <b>▶ RWD 품질관리 및 보증</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- RWD 품질관리 및 보증에 대한 명확한 SOP 마련 및 공개</li> </ul>  |
|            | <b>▶ 원활한 데이터 제공 및 개인정보보호</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 연구의 목적 및 시급성을 고려한 유연하고 신속한 제공</li> <li>- 자료 제공 및 개인정보보호에 대한 균형 달성</li> </ul>  |

## 시사점 및 대응방안

전 세계적으로 희귀의약품은 정부차원에서 개발을 장려하여 시장규모가 급속도로 성장하고 있으며, 높은 투자가치를 보유함. 긴급한 미충족 의료수요를 해결하기 위해 임상시험 승인 절차가 비교적 간소화되며 미국에서는 희귀의약품 지정제도를 통해 연구개발을 지원, 7년 간의 독점권을 부여하는 등 기업에 큰 재정적·사회적 이점을 제공한다. 국내 희귀의약품 시장의 성장은 글로벌 경쟁력을 강화하고 국민들의 경제적 부담 완화

및 치료 접근성을 개선하여 국가적으로도 큰 경제적 부가가치를 창출할 수 있다.

RWD 외부대조군의 활용은 의약품 개발과 규제과학의 새로운 패러다임으로 자리 잡아가고 있다. 특히, 희귀질환이나 생명을 위협하는 질환과 같이 전통적인 무작위배정 임상시험 수행이 제한되는 상황에서 이를 대체할 수 있는 윤리적이고 현실적인 방법으로 주목받고 있으며, 신약의 신속한 허가를 위한 규제적 의사결정에서 중요한 RWE로 작용할 수 있다.

그러나 외부대조군의 성공적인 활용을 위해서는 몇 가지 필수적인 요건들이 충족되어야 한다. 데이터의 신뢰성과 연구설계의 견고함, 그리고 규제기관과의 긴밀한 의사소통이 필수적이다. 따라서 법적·제도적 기반을 강화하고, 데이터의 품질을 보장하는 체계를 마련하고, 전문가 교육 및 역량 강화를 통해 RWD와 외부대조군은 보다 폭넓게 활용될 수 있을 것이다.

이를 통해 임상시험의 효율성과 신약개발 속도를 높여, 환자들에게 더 빠르고 안전한 치료 옵션을 제공할 수 있을 것으로 기대된다.

정책제안

# 대한민국의 건강한 미래를 위한 제21대 대선 제약바이오 정책 제안



한국제약바이오협회

## 1. 제약바이오 강국 실현을 위한 10대 정책제안

### 1. 생명을 위한 기술투자 - 신약개발과 의약품 안정공급으로 국민건강을 지키겠습니다.

10년이 걸리는 신약개발, 90% 이상 해외 의존하는 원  
료의약품, 더 이상 기다릴 수 없습니다.  
국민께 필요한 의약품을 적기에, 충분히, 안정적으로 공  
급하겠습니다.

#### 주요 정책제안

- ① 성과기반 R&D 정책 수립으로 신약개발 생태계 조성
- ② 국민 건강주권 확보를 위한 감염병 대응 필수 백신  
및 치료제 자국화
- ③ 글로벌 신약 창출을 위한 국내개발 신약 보상체계 마련
- ④ 의약품 공급주권 확보를 위한 원료의약품 국산화 지원

### 2. 빠르게, 정밀하게 - AI기반 디지털 전환을 앞당기겠습니다.

모든 제약바이오기업이 사용할 수 있는 데이터 플랫폼  
과 AI모델을 개발하겠습니다.  
건강보험은 아끼고 치료속도는 높아집니다.

#### 주요 정책제안

- ⑤ 연합학습의 확장, 협력형 AI신약개발 가속화사업 구축
- ⑥ '신약개발 빅데이터 플랫폼' 및 'AI기반 지능형 자율실  
험실 모델' 개발
- ⑦ AI-바이오 전문인재 양성 위한 '산학 협력형 교육과정'  
신설
- ⑧ 산업계 주도 '첨단산업아카데미(제약바이오)' 지정 운영

### 3. 혁신과 투자의 선순환 - 예측 가능한 정책 수립이 절실합니다.

수시로 바뀌는 정부정책으로 기업은 투자를 꺼리고 신  
약개발은 멈춥니다. 산업도 국민도 안심할 수 있는 예측  
가능하고 일관된 정책이 필요합니다.

#### 주요 정책제안

- ⑨ R&D비율에 따른 약가인하 감면분을 재투자하는 순  
환 체계 마련
- ⑩ 균형잡힌 사후관리 정책으로 예측가능한 약가로드  
맵 구축

## II. 2025 제약바이오 비전 2030 실천과제

### I 신약개발 혁신성장 생태계 구축

1. 성과기반 R&D 인프라 확대 및 블록버스터 신약 개발 지원
2. 디지털 전환 및 AI·빅데이터 등 신기술 융합 생태계 조성
3. R&D 지속을 위한 예측 가능한 약가 관리 제도 시행

### II 제약바이오 글로벌 경쟁력 제고

1. 의약품 수출 확대 및 글로벌 빅파마 육성 지원
2. 의약품 전주기·융복합 혁신 선도형 전문 인재 양성
3. 권역별 제약바이오 클러스터 육성과 지역 일자리 증대

### III 의약품 접근성 확대와 사회적 책임 강화

1. 원료의약품 공급망 강화 정책 수립
2. 제조·품질혁신과 안정공급 체계 확보
3. 넥스트 팬데믹 대비 위기 대응 인프라 구축

## 1 신약개발 혁신성장 생태계 구축

### (1) 성과기반 R&D 인프라 확대 및 블록버스터 신약개발 지원

#### 현황

- **(성공확률)** 신약개발에서 허가 출시까지 9~17년, 수천억~수조원 소요, 성공확률 '21년 1/10,000로 난이도 지속 증가
- **(혁신신약 후보)** 혁신신약을 개발할 수 있는 세계 최고수준의 인력·연구역량 보유, 3,233여개(미국, 중국에 이어 세계 3위) 우수한 신약 후보물질 보유

및블록버스터 후보 3~5개 확보

- **(기업 규모)** '22년 제약바이오기업 세계 매출 1위 화이자 133조원 대비 국내 기업 연 매출 5조원 이상 전무, 10대 제약사 R&D 비용 총 2.1조원(글로벌 1위 로슈 17조원의 12%)

- **(R&D 예산)** 정부 제약바이오 관련 R&D 예산 총 2조 5,826억원('23년) 중, 기업 지원은 3,477억원(13.5%)에 불과해 대학 및 출연연(78.9%)에 비해 크게 낮음

\* IT 분야: '23년 R&D 예산 중 기업 지원 비중은 44.5%

#### 정책 제안

##### ① 전략적 R&D 투자 시스템 구축

- 한국형 ARPA-H 확대 추진, 예비타당성 면제 적용 등 제도 개선
- 블록버스터 신약 창출 위한 메가펀드 지속적 확대 (5조원 규모)
- 제약바이오기업의 바이오벤처 등 출자에 대한 세액공제 확대

##### ② 성과도출형 R&D 예산 정책방향 전환

- 정부 R&D 예산을 제약바이오기업 지원 최소 30% 이상 상향 조정
- 신약 개발과 상업화 성공률 제고 위해 후기 2·3상과 글로벌 진출 지원 강화
- \* '23년 R&D 예산 비중 : 후보물질 도출(26.6%), 인프라(35.0%), 임상(8.7%)(KISTEP)

##### ③ 국내개발 혁신신약에 대한 약가 보상 체계 개선

- 혁신형 제약기업에 준하는 R&D 투자 기업이 개발한 신약 등 약가 우대 대상 지속 확대
- \* 현행 혁신형 제약기업이 개발한 신약 & 식약처장 신속심사 허가 & 국내 임상시험 수행 등의 경우에만 적용되는 약가 우대 대상 확대
- \*\* 연구개발 투자 외 필수약품 공급, 일자리 창출 등 지표 반영하여 제약기업에 대한 약가 우대 확대(제2차 국민건강보험 종합계획 반영)

- 글로벌 경쟁력 강화를 위해 환급제 (이중 약가제도) 적용 대상 확대
- \* 외국 개발 현황 및 기술 수출 현황 등 시판 계획이 확인 되는 경우 등

## (2) 디지털 전환 및 AI·빅데이터 등 신기술 융합 생태계 조성

### 현황

- **(AI신약개발)** 신약개발은 소모비용이 높고 성공률이 극히 낮은 고위험·고수익 사업으로, 인공지능(AI)은 신약개발 전주기에 활용되어 시간과 비용을 획기적으로 단축시키고 성공률은 높일 것으로 기대
- **(글로벌 현황)** 구글·엔비디아·마이크로소프트 등 빅테크 기업이 글로벌 제약사의 대규모 투자와 자원을 기반으로 신약개발 전주기에 활용 될 AI초격차 기술을 개발 중
- \* 구글 알파폴드3 및 알파프로테오, 엔비디아 바이오네모 등
- **(국내 현황)** 국내에도 50개 이상의 AI신약개발 전문기업이 설립되고 임상 진입 파이프라인을 개발하는 등 점차 발전하나, 데이터-전문인력-컴퓨팅 자원 등 인프라 부족으로 글로벌기업과 경쟁하기에는 기술개발 속도 한계에 따른 격차 발생
- \* 국내 AI신약개발 기술은 미국 대비 74% 수준으로, 5년 수준의 기술격차

### 정책 제안

- ① **연합학습의 확장, 협력형 AI신약 개발 가속화(AIDA) 구축**
  - K-MELLODDY 개념을 확장한 국가차원의 데이터 기반 오픈 이노베이션 생태계 조성
- ② **‘신약개발 빅데이터 플랫폼’ 구축 및 ‘AI기반 지능형 자율실험실 최적화모델’ 개발**
  - 국가 바이오 R&D 공공데이터를 신약개발 분야별 목적에 맞게 수집하고, 산업계가 접근이 가능하도록 지원하는 ‘신약개발 빅데이터 플랫폼’ 구축

- 다기관이 필요한 양질의 신약개발 목적의 실험데이터를 생산하는 ‘AI기반 지능형 자율실험실 최적화모델’ 개발로 데이터 확보

### ③ ‘AI신약개발 산학 협력형 융합인재 양성 프로그램’ 개발로 전문인력 확보

- 복지부 ‘인공지능(AI) 활용 신약개발 교육 및 홍보 사업’을 확대하여, 산업계와 대학이 공동으로 인재를 배출하는 ‘AI신약개발 산학 협력형 융합인재 양성 프로그램’ 개발
- \* 과기부 조사에 따르면 국내 AI 부족 인력은 8,579명 수준이며, 40% 이상의 인재가 해외로 유출

### ④ ‘AI바이오 컴퓨팅자원 공동 활용 플랫폼’ 사업으로 컴퓨팅자원 확보

- 공공기관이 보유한 컴퓨팅 자원을 AI신약개발 분야에서 활용할 수 있도록 개방 및 지원하는 ‘AI바이오 컴퓨팅자원 공동 활용 플랫폼’ 사업 수행
- \* 알파폴드 등 대규모모델 개발에는 A100, H100 등 GPU가 최소 200대 이상 필요

## (3) R&D 지속을 위한 예측 가능한 약가 관리 제도 시행

### 현황

- **(분절적 사후관리)** 전체 등재 의약품 대상으로 사용량-약가 연동 협상, 실거래가 약가 인하 등 약가 사후관리 제도가 중복적·분절적으로 운영되어 수시로 약가 인하 발생할 리스크 상존
- **(R&D 투자 여력 상실)** 글로벌 블록버스터 신약 창출을 위한 산업육성 정책과 배치되는약품비 정책으로 인해 기업의 R&D 투자여력 상실 및 산업 구조 변화 등 산업적 부작용 발생
- 상시 약가 인하 및 장기적 로드맵 부재로 산업계 예측 가능성이 저하되어 적극적인 R&D 투자 저해 요소로 작용



- 과도한 약가 인하는 의약품 공급 불안을 초래하여, 장기적으로 환자의 의약품 접근성 저해하여 보건 안보 위협

#### 정책 제언

#### ① R&D비율에 따른 약가인하 감면분을 재투자하는 순환 체계 마련

- 약가 인하시 R&D 투자 비율에 따른 감면 확대 등 보상 강화
- 약가인하 감면 비용분을 연구개발에 재투자하여 신약 창출로 이어지는 선순환 체계 구축
- \* 벨기에 R&D 유인형 약가 인센티브 모델

#### ② 균형잡힌 사후관리 정책으로 직관적이고 예측 가능한 장기 로드맵 구축

- 건강보험 재정 및 산업 육성, 혁신 신약 개발을 모두 고려한 종합적 정책 마련
- 분절적인 사후관리제도 합리화, 약가 인하 시행 일정 통합하여 산업계 예측가능성 확보

#### ③ 소아의약품, 희귀의약품 등 약가 우대 및 사후 관리 제도 제외

- 생산이 어렵고 수익성이 낮은 소아용·희귀질환의 약품에 대해서는 약가우대 및 사후관리 선별 제외
- 소아의약품등의 R&D 및 생산시설 투자 촉진으로 안정적 공급에 기여
- \* 미국 Orphan Drug Act(희귀의약품 세제혜택, 7년 독점권 부여), 일본 소아약 가산

## 2 제약바이오 글로벌 경쟁력 제고

### (1) 의약품 수출 확대 및 글로벌 빅파마 육성 지원

#### 현 황

- (의약품 수출) 우수한 생산기술 및 품질관리를 바탕으로 '19년~'23년 연평균 12.87% 성장(식약처)

\* '19년 6.1조원 → '21년 11.4조원 → '23년 9.9조원

- (수출 확대 한계) 코로나19 기간 크게 증가했던 백신 등 수출액이 엔데믹 후 감소하며 수출액이 줄어드는 경향을 보임. 의약품 수출 증대를 위해 수출 포트폴리오의 다변화 전략 필요 → 글로벌 경쟁력 있는 제네릭, 개량신약 등의 수출이 확대되어야 하나, 인도·중국 등 대비 가격 경쟁력이 낮고 각종 인허가 장벽, 높은 초기 비용 등으로 수출 지역 제한적

\* 독일, 미국 등 20개국 중심으로 수출(85%), 중남미·중동·아프리카는 극히 미미

- (기업규모 영세) 매출 5천억원 이상 제약사가 20여개에 불과(전체 300여개), 해외 진출에 필요한 규모의 경제 실현이 어려움

\* '22년 매출 기준 글로벌 50위 기업 : 미국 17개, 일본 6개, 독일 5개, 중국 4개

\*\*\* 한국('23년) : 삼성바이오로직스(50위권/3.7조원), 셀트리온(100위권/2.2조원), 유한양행 (100위권/1.9조원)

#### 정책 제언

#### ① 권역별(선진국/신흥국 등), 의약품별(신약/개량신약/제네릭) 맞춤형 지원 확대

- 임상 및 인허가 관련 규제장벽 대응을 위한 제도 분석, DB구축, 품목별 맞춤형 상담, 수출전략 수립 등 규제지원 확대
- 현지 유통망 구축 및 마케팅 컨설팅 등 지원 강화, 해외 제약전문가 인력풀 확대
- 민간 전담기관을 활용한 체계적인 수출활성화 지원

#### ② 수출 장벽 완화를 위한 정부간 협력 강화 및 인프라 구축 지원

- 주요 수출국의 참조국 등재, 공동 심사, GMP 상호 인정협정(MRA) 체결 확대로 수출 활성화

#### ③ 미국 cGMP 수준의 선진 생산설비와 시스템 구축

- 세계적 공급망 중단사태 등에 대비한 글로벌 의약품 공급기지(CMO) 구축

- 소품목 대량생산 위한 QbD 기반 연속공정 시스템 도입 등 제조혁신 가속

#### ④ M&A 활성화 지원으로 '규모의 경제'를 통한 시너지 창출

- 국내 사정에 맞는 기업간 M&A 활성화 지원 : 정책금융 지원, 세제상 인센티브 부여, 적용대상 확대와 실효성 있는 규제특례 마련
- \* 일본 성공사례 벤치마킹한 기업활력법('24년 종료 예정)의 상시화 추진

### (2) 의약품 전주기 · 융복합 혁신 선도형 전문 인재 양성

#### 현황

- **(일자리 산업)** 제약바이오산업은 높은 성장률과 질 좋은 일자리 창출에 크게 기여
  - \* 산업 성장률(~'30년) 전망 : 바이오헬스 4.0% > 조선 2.9% > 자동차 1.5%(산업은행 등)
  - \*\* 생산 10억원 증가시 고용 효과 : 바이오헬스 16.7명 > 전 산업 평균 8.0명(한국은행)
  - \*\* 정규직 점유율 : 제약업종 95.4% > 제조업 83.9% > 전 산업 63%('24 한국제약바이오협회)
- **(정부 지원)** 한국형 NIBRT 및 WHO 글로벌 바이오 인력양성 허브 지정 프로그램 운영으로 바이오 생산 공정 전문 인력 양성 확대 추진 중
  - \* 한국형 NIBRT(송도), WHO 프로그램(송도, 시흥, 오송, 화순 등) 캠퍼스 구축
- **(전문인력 수요 급증)** 바이오와 디지털의 결합 등 기술혁신과 산업 확장으로 인해 연구개발, 규제·인허가, 생산 등 전문인력 수요가 빠르게 증가
  - \* 산업별 인력 부족률 : 12대 주력산업 평균 2.6% 대비 바이오헬스산업 3.5%로 2번째로 높음('23 산자부)
- **(일자리 미스매치)** 부처별 산발적인 교육 및 인력 양성에 따른 산업 현장과의 연계 미흡, 수요와 공급간 미스매치로 인력수급 어려움 발생
  - \* 미스매치의 주요원인 : 대학의 산업인재 수요 미반

영, 편중된 인재양성으로 신기술 등 특화분야 이해도 부족, 전문가 인력 풀(교수·강사) 부족('24 복지부)

#### 정책 제안

#### ① 제약바이오 산업 인력 양성을 위한 효율적인 거버넌스 구축

- 9개\*의 부처가 분산된 사업 추진 중, 상위수준의 거버넌스 체계를 구축하여 정책조정 및 조율 도모 필요
- \* 복지부, 과기부, 산자부, 교육부, 고용부, 중기부, 식약처, 특허청, 질병청

#### ② 산업계 주도의 '첨단산업아카데미(제약바이오)' 지성 운영

- 산업계 대표기관이 정부·산업·학계를 조정하며, 실질적인 교육·취업연계를 지원, 지속가능한 인재 공급 시스템 구축
- 기업주도 인재양성 프로그램 운영, 미래 신기술 수요인재 양성

#### ③ 국내 산업계와 협력 가능한 재외 한인과학자 네트워크 및 활용 강화

- \* 미국 : KASBP(재미한인제약인협회), KAPAL(한미 생명과학인협회), NEBS(뉴잉글랜드생명과학협회), K-BioX

### (3) 권역별 제약바이오 클러스터 육성과 지역 일자리 증대

#### 현황

- **(클러스터)** '23년 현재 전국에 약 25개의 제약바이오 클러스터, 9개 바이오벤처 지원센터, 16개 지역 진흥사업 등이 산재
  - \* 오송생명과학단지, 대구 첨단의료복합단지, 인천 송도, 판교 테크노밸리, 서울 홍릉 등
- 해외 클러스터와 달리 대부분 정부 주도로 설립, 자본 및 앵커 기업 등의 부재로 클러스터로서의 새

로운 가치 창출과 성장에 한계

- **(인력 확보)** 비수도권 지역에 위치한 클러스터는 현장 및 연구인력 확보 어려움
  - 인제 육성 체계와 취·창업 연계 미흡, 정부·기업
  - 교육기관 유기적 협력체계 부족

#### 정책 제언

##### ① 지역 맞춤형 통합 네트워크 인프라 조성 확대

- 지역 대학과 기관, 제약기업 등 유기적으로 연결하는 네트워크 활성화
- 기술, 자금, 인력 등 다양한 분야의 오픈 이노베이션 생태계 마련
- 산업계, 대학, 지역사회 3자 파트너십 구축으로 지역인재 양성·채용 증대

##### ② 지역 인재 채용과 인턴십 프로그램 활성화로 양질의 지역 일자리 창출

- 첨단 바이오공정·제조 연구 및 고등교육 과정 프로그램 개발 지원, 숙련 인력 개발을 위한 실습 기회 제공

##### ③ 국내 제약바이오 클러스터 운영 효율성 및 활용도 제고

- 클러스터별 강점 극대화, 오픈 이노베이션 활성화·신사업 전략 수립
- 해외 대표 클러스터와의 파트너십 구축 등 국제적 협력 강화

### 3 의약품 접근성 제고와 사회적 책임 강화

#### (1) 원료의약품 공급망 강화 정책 수립

##### 현황

- **(제조역량)** 국내 원료의약품 생산업체 수 및 품목 수 감소, 생산시설 노후화 및 수출 저하

\* 업체수 : ('13) 381 → ('18) 242 → ('23) 296

\* 품목수 : ('13) 10,341 → ('18) 6,700 → ('23) 6,244

- **(자금률)** 최근 5년 평균 원료의약품 자금률 22.9%, 해외 의존도 심각

\* 자금률(%) : ('19) 16.2 → ('20) 36.5 → ('21) 24.4 → ('22) 11.9 → ('23) 25.6

- **(경쟁력)** 국산 원료의 가격 경쟁력 낮아 수입에 의존(중국 35%, 인도 15%)

- 국산 원료는 출발물질 부족, 높은 인건비, 국내시장 규모 한계 등으로 원가 절감 곤란
- 환경관련법 강화 등에 따른 시설 투자 및 유지비용 상승으로 부담 가중

- **(정부 지원)** 원료 개발 활성화 위한 보험약가 우대, 세제 지원 극히 미흡

\* 국산 원료 사용 시 보험약가 우대(68%, 5년+5년) 제도 신설되었으나 대상이 신규 등재 국가필수의약품 제네릭 등으로 극히 제한적이며, 사후관리로 약가 인하될 수 있음

\*\*\* R&D 비용 2~25%, 설비투자 1~10% 수준 세제 지원으로 백신 원료 등에 비해 매우 낮음

- **(해외 동향)** 팬데믹 이후 전세계적으로 공급망 안정화 정책 강화 추세. 미국은 트럼프 2기 행정부 출범으로 제조업 기반을 자국 내로 되돌리기 위한 온쇼어링(On-shoring) 정책 추진 등 보건 안보 강화

#### 정책 제언

##### ① 의약품 안정 공급 체계 구축을 위한 컨트롤타워 설치

- 의약품 수급 현황 조사, 분석, 모니터링 및 국내외 동향 파악
- 공급 안정성 증장기 플랜 및 국내생산 필수 의약품 정부조달 우선구매제도 마련
- 원료 국산화 및 핵심 원료의 안정적 공급 지원, 저가·필수약 생산 지원 등

##### ② 조세특례제한법상 원료의약품 세제혜택 확대

- 필수약의약품 국산 원료는 '국가전략기술'에 일반 원료는 '신성장·원천기술'에 포함 (백신·소부장재와 같은 수준으로 지원 필요)

### ③ 공급처 다변화에 따른 인센티브 제공

- 중국, 인도 외 양질의 공급처 다변화, 자급화시 약가 또는 제조시설 지원 등 인센티브 제공

### ④ 국산 원료 사용 완제의약품에 인센티브 확대

- 국산 원료 사용 시 약가 우대 대상 확대
  - \* 국가필수의약품 외 생산·수입·공급 중단 보고 대상 의약품, WHO 필수약품 추가
- 국산 원료 사용으로 약가 가산되는 기간 동안 사후관리 제외
  - \* 사후관리 적용 시 약가 우대된 후 바로 인하되어 정책의 실효성 훼손

## (2) 제조·품질 혁신과 안정공급 체계 확보

### 현황

- **(품질 관리)** GMP 기준 강화로 인해 설비투자 및 기술개선 부담 확대
  - GMP설비 및 시스템 도입에 따른 투자비용은 중소 제약사의 경우 약 30억원, 무균의약품 제조소의 경우 50억원 이상 소요
- **(공급 불안정)** 국가필수의약품 473종, 퇴장 방지의약품 625개 중 상당수 시설 및 재산성 문제로 상시 공급 불안정
  - \* 카나마이신주사(결핵, 유한양행), 답손정제(한센병, 태극제약), 맥실레틴캡슐(유전성 부정맥, 한국코러스) 등은 생산 중단 또는 시장 퇴출 위기
- **(해외 동향)** 해외 각국은 제조품질 혁신과 안정적 공급을 위한 정책 수립
  - (미국)바이오제조이니셔티브, (유럽)핵심 의약품 법, (인도)생산연계 인센티브, (일본) 의약품안정공급체계 긴급정비사업
  - 미국(NIIMBL), 영국(MMIC), 아일랜드(SSPC) 등 제약바이오 선진국에서는 원료 및 완제의약품 대상 연속제조공정 등 제조품질 혁신에 대해 정부가 선제적 지원 중

### 정책 제안

#### ① 제조 품질 및 생산성 향상을 위한 R&D 투자 인센티브 지원

- 기술 개선 투자에 대해 세액공제를 상향 조정 (5% → 10~15%)
- 임상비용 세액 공제 확대 및 이월공제 기간 확대 (10년→20년)

#### ② 생산 인프라 개선 및 첨단 설비 구축 지원

- 의약품 제조 경쟁력 강화를 위한 QbD(Quality by Design) 도입, 연속공정 및 스마트공장 등 첨단 제조시설 구축에 대해 보조금·저금리 융자 등 투자 비용 지원 확대

#### ③ 공공-민간 파트너십 기반의 공급 안정 품목 선정 및 단계적 지원

- 공공-민간 협력을 기반으로 국가필수의약품 및 전략 품목 지정 및 공공 주도 장기 계약(3~5년) 체결 마련
- 필수약품 지속 생산 인센티브 강화를 위한 국내외 유통 인프라 개선, 해외 진출 및 수출 지원 확대

## (3) 넥스트 팬데믹 대비 위기 대응 인프라 구축

### 현황

- **(해외 대응)** 감염병 백신 등 공익적 R&D의 중요성 인식, 공공투자 및 조직 중심으로 지원 확대 추세
  - \* 미국 PCORI, 영국 NETSCC 등 공공조직의 지원하에 공익적 임상 연구 수행
  - \*\* CEPI(감염병혁신연합) '100일 작전'으로 백신 신속 개발 시스템 구축
  - ▲ 백신 라이브러리 구축 ▲ 백신 안전성 자료 사전 확보 ▲ 백신 플랫폼 개발 ▲ 제조역량·임상시험 네트워크 강화 ▲ 글로벌 파트너십, 자금 조달, 데이터 공유 거버넌스 구축
- **(국내 대응)** 한국은 코로나19 백신과 치료제를 모두 개발한 세계 3번째 국가로서 충분한 역량이 있으나,

#### 넥스트 팬데믹에 대한 체계적 대응 부족

- 미국, 유럽, 일본 등은 mRNA 백신 플랫폼 개발 완료, 반면 우리나라는 백신 등 신속 개발 mRNA 플랫폼 관련 '24년 예산 대폭 삭감(50~80%)

· **(백신 자국화)** 백신 자급률 30% 수준에 불과, 수입 백신 의존 심화

\* 국가필수예방접종 백신 40종 중 국내 생산 13종 (32.5%), '22년 백신 무역수지 적자 1조

자생적으로 형성되어 2016년부터 세계 최고의 클러스터로 부상

- ▶ 주 정부는 제약바이오 법제화 · 정책 지원, 대학 · 연구소 · 기업 · VC 연결하는 네트워킹 활동 전개 등 마중물 역할 수행
- 2007년 바이오 이니셔티브 추진을 위해 10년간 10억달러 지원, 매스바이오(Massbio) · 매사추세츠 라이프사이언스 센터 설립 등을 통한 적극적인 네트워킹 지원

#### 정책 제안

##### ① 신·변종 감염병 백신 개발 가속화 생태계 구축

- mRNA, 합성항원기술 등 차세대 백신 플랫폼 연구개발 지원 확대
- '백신개발 100일 작전', '대규모 신속 글로벌 임상 프로젝트' 수립

#### 안동시-안동대-SK바이오사이언스

- ▶ SK바이오사이언스 현장 전문가(12개팀) 통해 이론 강의 수업, 현장실습과 인턴십 프로그램 운영(SK바이오사이언스, 동물세포실증지원센터, 경북바이오산업연구원, 국제백신연구소)

##### ② 넥스트 팬데믹 대응 거버넌스 구축

- 미래 감염병 발생 대비 R&D 투자, 범정부 인프라 체계적 시스템 및 글로벌 네트워크 강화
- \* 미국 : 미래 공중보건위기 대응 차원 '프로젝트 넥스트젠(Project NestGen)'에 50억달러 투자

##### ③ 감염병 대응 필수 백신 및 치료제 자국화 방안 마련

- 국가 필수 백신 등 개발 촉진 위한 손실보상제 도입, 사전 구매제도 및 장기 구매 계약 시스템 마련
- \* 코로나19 상황에서 미국, 일본 등 사전구매제도 적극 활용으로 개발기간 단축

#### 미국 보스턴-캠브리지 바이오클러스터

- ▶ 하버드 · MIT 등 배출 인재, 펀딩 확대(VC), 앵커 기업들과 스타트업간 오픈 이노베이션 생태계를 토대로

##### ④ 감염병 대응 체계 고도화

- 인플루엔자 등 계절성 백신 NIP 접종 대상 확대\*로 국가 집단 면역체계 확보
- \* 집단 생활을하는 중·고교생(학령기) NIP 확대
- 조류인플루엔자\*(H5N1)의 인체 감염 등 대유행 측에 따른 백신 등 국가 비축 체계 마련
- \* AI 인체 감염이 대규모로 확산하면 한 달 안에 인구의 40%가 감염되고, 중환자가 28만명으로 예측

### III. 기대효과

- ① 연구개발 생태계 조성 및 디지털 혁신 등을 통해 신약 개발 선도국으로 도약하겠습니다.
- ② 원료의약품 자급률 제고 등 제조역량과 품질관리를 강화하여 국민 건강을 지키는 안전망을 구축하겠습니다.
- ③ 안정적인 의약품 공급체계를 마련하여 필수약품의 적기 공급률 100%를 달성하겠습니다.
- ④ 넥스트 팬데믹에 대비한 위기 대응 역량을 축적해 원료 및 필수예방백신 자급률을 50% 이상으로 끌어올리겠습니다.



## 〈 각국의 의약품 공급망 지원 정책 〉

| 국가  | 정책 | 의약품 공급망   | 수급 불안정   | 원료의약품  |
|---|----|---|--|--|
|    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 제3차 제약바이오산업 육성지원 5개년 종합계획('23)</li> <li>- 바이오헬스 신시장 창출 전략('23), 바이오경제 2.0 추진방향('23) 등 바이오의약품 육성 전략 추진</li> <li>- 바이오제약연합출범('24)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 의약품 수급불안정 대응 민관협의체 운영(현황 파악 역량 강화, 생산 증대 지원 등)('23)</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 국산원료 사용 국가필수약의 약가우대 (국가필수약품 제네릭약가 산정방식 개선)('24)</li> <li>- 원료의약품 개발·제조에 대한 세제지원 확대('24)</li> </ul>  |
|    |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 필수약품 생산 보장 행정명령('20)</li> <li>- 공급망 100일 검토보고서('21)</li> <li>- 국가 바이오기술 및 바이오 제조 행정명령('22)</li> <li>- 국가 바이오기술 및 바이오제조를 위한 과감한 목표('23)</li> <li>- 생물보안법(Biosecure Act) 의결('24)</li> <li>- 트럼프 2기 출범 및 의약품 관세 도입 언급('25)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>- FDA 안전혁신법(FDASIA) 제정을 통한 의약품 제조의 영구적/일시적 중단을 FDA에 보고('12)</li> <li>- FDA 의약품 공급망 보안법(DSCSA) 강화 지침('21)</li> <li>- 부처 간 약물부족 TF 설립('19) 및 수급불안정 모니터링('20)</li> </ul>                   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- CARES 법안 제정을 통한 원료의약품 제조 중단·차질에 대한 FDA 보고 의무화('20)</li> <li>- 행정명령(E014017), API 공급망 현황과 육성계획 검토('21)</li> <li>- 5년 내 저분자 원료의약품의 25% 자국생산을 위한 권장사항 발표('24)</li> </ul> |
|  |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 유럽 제약산업 전략('20)</li> <li>- 통상정책검토보고서('21)</li> <li>- 핵심의약품법(Critical Medicines Act) 제정 제안('23)</li> <li>- 의약품 부족해결을 위한 중장기 전략 수립('23)</li> <li>- 바이오기술 및 바이오제조 정책 방안 검토('24)</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 수급불안정 및 안정조정 그룹(MSSG) 설립('23)</li> <li>- 의약품 공급 및 가용성 문제 보고 단일창구(i-SPOC) 마련('22)</li> <li>- 핵심의약품법 추가 이니셔티브 제안('25)</li> <li>- 핵심의약품 연합 출범('24) 및 전략보고서 발표(인센티브 지원 등)('25)</li> </ul> | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 핵심의약품 1차 목록 발표('23)</li> <li>- 핵심의약품 목록 업데이트('24)</li> </ul>  |
|  |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 바이오 전략('19, '20)</li> <li>- 경제안보법상 첨단 중요기술 중 바이오기술 선정('22)</li> <li>- 바이오 경제 전략('24)</li> <li>- 신약개발력 구상회의('24)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 공급망 대응을 위한 국내 투자 촉진 사업(약 4조 7,500억원) ('20~'22)</li> <li>- 의약품안정공급 지원사업 (약 1,600억원) ('20~'24)</li> <li>- 2023년 경제재정운영과 개혁의 기본방침 발표('23)</li> </ul>                                     | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 의약품안정공급지원사업('20~'24)</li> <li>- 안정확보의약품 지정 및 목록 발표('21)</li> <li>- 항균제안정공급방침(5,200억원 펀드)('23)</li> </ul>  |
|  |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 바이오경제 개발 5개년 계획('22)</li> <li>- 첨단바이오기술 국가 중점 연구개발 프로젝트('22)</li> <li>- 바이오 혁신클러스터 조성('21~)</li> <li>- 바이오의약품 CDMO 산업 육성</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 바이오경제 개발 5개년 계획('22)</li> </ul>   | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 원료의약품 산업의 고품질 발전을 촉진하기 위한 시행계획('21)</li> </ul>  |
|  |    | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 인도 제약 비전 2047('22)</li> <li>- 제약 클러스터 강화계획('21~'26) 및 제약의료기술 분야 연구 및 혁신 촉진 계획('23~'28)</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 생산연계 인센티브(PLI) 제도(약 1조 2,300억원)('20~'30) 원료의약품 포함 주요약품 대상 인센티브 제공</li> </ul>  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 생산연계 인센티브(PLI) 제도('20~'30)</li> <li>- API 산업단지 조성(약 5,100억원)('20~'25)</li> </ul>  |

## MEMO

[illegible]

## MEMO