**참고1** **재생의료 설명자료**

## 재생의료 개념 및 특수성

### 1 개념 및 범위

○ **(첨단재생의료) 사람의 신체 구조 및 기능을 재생, 회복·형성**하거나 **질병 치료·예방**을 위해 **인체세포 등**을 이용하는 치료*(① **세포치료** ② **유전자치료** ③ **조직공학치료 등으로** 분류)

* 식약처로부터 허가받은 **첨단바이오의약품을 이용하는 경우 포함**




○ **(첨단바이오의약품)** 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학제제, 융복합제제 **등 인체세포 등**을 **함유**한 **허가**된 **의약품**

### 2 재생의료 특수성

◇ 살아있는 세포를 원료로 하는 **새로운 영역**으로 **현재의 의약품 인·허가 체계로는 품목분류 및 안전성 검증 등**이 어려워 새로운 분류·관리체계 **등 마련 필요**

< 합성의약품과 첨단재생의료의 차이점 >

| 구분 | 합성의약품 | 첨단재생의료(첨단바이오의약품) |
|---|---|---|
| 기술특징 | · **단일 제제** | · **세포,유전자,조직 등 결합 형태** |
| 성분특징 | · 잘 밝혀져 있는 화학적 구조<br>· 명확한 치료효과 기전 | · 이식 후 변화가능성 존재<br>· 불확실하고 복합적인 치료효과 기전 |
| 가격 | · 상대적 낮음 | · **높은 가격** |
| 투약방법 | · **경**구, 주사(정맥, 근육) | · 주사(정맥, 피하), 이식(의사 시술과 연관성) |
| 관리체계 | · **안정적 품질관리체계** | · **제조과정**과 **최종제품**의 **표준화 어려움**<br>· 시술에 대한 관리도 필요 |
| 안전성 유효성 | · **동**물실험 | · 동물실험으로 한계, 임상연구 중요 |
| 인허가 | · **의약품** | · **의약품, 의료기기와 다른 제3의 제품으로 분류 추세** |

## 참고2 2021년도 범부처재생의료기술개발사업 신규과제 목록

| 내역사업 | 세부분야 | 과 제 명 |
|---|---|---|
| 재생의료 원천기술 개발 (16개) | 인공세포조직체/이종장기 개발기술 | 치유적 리모델링(therapeutic remodeling) 유도 질환 맞춤형 세포외 기질(ECM) 소재를 활용한 조직 재생 및 치료 기전 연구 |
| | | 동맥및정맥형혈관줄기세포기반 환자맞춤형 인공 혈관조직 이식체 개발 |
| | | 모듈화(레고블록방식)된 미세티슈블록을 재조합하여 3차원 자궁 내막 조직체 제작 |
| | | 이종장기 유래 탈세포화 된 세포외기질 바이오잉크 기반 다중 방향 수축성 심장 근육 조직체 프린팅 기술 개발 |
| | 생체 내 리프로그래밍 치료기술개발 | 생체 내 리프로그래밍 궤적 프로파일링을 통한 타깃 세포 치료기술 개발 |
| | | 신경퇴행성질환치료를위한생체내리프로그래밍및표적세포전환유도기술개발 |
| | 생체 적합 증진 기술 | 이종 췌도세포 이식을 위한 체내 면역반응 조절 캡슐화 기술 개발 |
| | | Hypo-immune 전분화능줄기세포 기반 면역적합 타가 세포치료 기술개발 |
| | 세포 분화기술 다양화·고도화 기술 | 임상 적용을 위한 인간 배아줄기세포 유래 췌도 오가노이드의 고도화 기술 개발 및 당뇨치료 효능 검증 |
| | | 차세대 간줄기세포 특이적 표면 마커발굴을 통한 분화 유지 효율 향상 기술개발 |
| | | 상용화 역분화줄기세포 유래 심실 (Ventricle) 심근세포 생산 기술 개발 및 제품화 |
| | | 미세환경 제어를 통한 생착 및 재생능 강화 인간 장 오가노이드 재생치료제 개발 |
| | 내재성 줄기세포 활성화 기술 | 난치성 질환 치료를 위한 다차원 모델에서 활성산소(ROS)에 의한 줄기세포 활성도 조절기술 개발 |
| | | 줄기세포 활성제어인자의 타겟 세포-특이적 전달을 통한 차세대 재생불량성빈혈 치료제 개발 |
| | | 내재성 줄기세포 유도 및 신경재생 촉진 기능의 신경도관을 이용한 말초신경 재생 기술 개발 |
| | | 염증성면역세포표적형줄기세포유래세포외소포체기반 류마티스 관절염 치료제 개발 |

| 내역사업 | 세부분야 | 과 제 명 |
|---|---|---|
| 재생의료 연계기술 개발 (31개) | 차세대 재생의료 응용기술 | 줄기세포 유래 슈반세포를 이용한 샤르코-마리-투스 환자의 증상 발현 기전 모델링 및 말초신경 재생 치료제 발굴 플랫폼 개발 연구 |
| | | 신장 오가노이드 고도 분화 기술 및 CRISPR-Cas9 유전자 교정 기술 기반 상염색체 우성 다낭성 신증 모델 구축 및 신약 개발 |
| | | 유전자 교정 기술을 통한 심방세동 모델 구축 및 치료제 개발 |
| | | 인간만능줄기세포 유래 뼈 모사체 개발을 통한 골다공증 치료제 탐색 플랫폼 구축 |
| | 치료제 확보기술 | 손상된 반월상 연골판 재생치료용 바이오소재 하이드로겔 개발 및 이를 기반으로 하는 재생치료제 개발 |
| | | 코중격연골전구세포 기반 초자연골강 모사 관절연골손상 재생의료치료제 개발 |
| | | 글로벌 의료용 연골소재를 활용한 연골 재생 및 보호용 다중층 생체막 하이브리드 팩(pack) 제품 개발 |
| | | 회전근개 재건을 위한 동종 줄기세포 클러스터- 콜라겐 수화젤 복합 치료제 개발 |
| | | BMP-Collagen-Poly L-lactic acid 하이브리드 생체활성 골재생 지지체 및 골형성 효율 극대화를 위한 차세대 골관절질환 치료기술 개발 |
| | | 결손부위 자가맞춤형 4D프린팅기반 구강악안면 재생치료기술 개발 |
| | | FreShtracer 기술로 선별된 고기능성 성체줄기세포를 이용하여 노화유도 미세환경 조절이 가능한 골관절염 세포치료제 개발 |
| | | 면역조절 최적화 중간엽줄기세포 유래 엑소좀을 이용한 중증 천식 치료제 개발 |
| | | 심근경색증 치료를 위한 고기능 줄기세포 유래 치료용 엑소좀 개발 |
| | | 폐섬유증 엑소좀 치료제 HYPOXISOME의 임상시험계획 승인 |
| | | 면역조절능 특화 줄기세포를 이용한 급성호흡곤란증후군 치료제 개발 |
| | | 항암 화학 요법 및 방사선 요법에 의한 구강점막 괴사질환과 미각소실을 극복할 수 있는 오가노이드 기반 세포치료제 개발 |
| | | 근이영양증에 대한 융합능 도입 세포유전자치료제의 비임상/임상 개발 |
| | | 태아 뇌신경관 유래 도파민성 신경전구세포를 이용한 파킨슨병 세포치료제 개발 |

| 내역사업 | 세부분야 | 과 제 명 |
|---|---|---|
| | | 만성뇌졸중 치료기능 유전자이입 중간엽줄기세포(CB-31)의 비임상 연구 |
| | | 파킨슨병 재생치료 환경을 유도하는 Nurr1 및 Foxa2 발현 아데노 부속 바이러스(AAV) 유전자치료제 확보기술 개발 |
| | | 외상성 뇌손상 치료용 말초신경양 미세조직구 개발 |
| | | 2형 당뇨병성 신증 치료를 위한 맞춤형줄기세포치료제의 첨단재생의료연구계획 심의신청 및 승인 |
| | | 탯줄 유래 줄기세포를 이용한 난소기능부전 치료제 개발 |
| | | 유전자 교정을 통한 A형 혈우병 환자 유래 역분화줄기세포(iPSC)의 세포치료제 비임상 연구 |
| | | 세포응집체 탑재 유연성 기관 조직체기반 난치성 기관 결손 치료기술 개발 |
| | | 유도만능줄기세포로부터 유도된 각막내피세포 확보 및 각막내피부전 동물모델 확립 후 내피세포 이식을 통한 in vivo efficacy 및 safety 평가 |
| | | 태아 골분화전구세포를 이용한 희귀난치성 질환인 골형성 부전증 세포치료제 개발 |
| | | Thrombospondin-1 및 TGF-beta 억제를 타겟으로 하는 저분자화합물을 이용한 파브리병 희귀질환 치료제에 대한 선도물질 도출연구 |
| | | 급성 난청 재생치료를 위한 줄기세포 유래 세포외소포 치료제 “SPISOME”의 비임상 연구 |
| | | 면역회피 만능줄기세포 기반 습성황반변성 세포치료제 개발 연구 |
| | | 침샘 성체 줄기세포기반 방사선치료 구강건조증 치료의 임상시험 허가를 위한 비임상 연구 |
| 재생의료 치료제·치료기술개발 (4개) | 허가용 임상시험 | 이영양성 수포성 표피박리증 치료제(ALLO-ASC-Sheet)의 유효성과 안전성을 평가하는 미국 내 제2상 임상시험 |
| | | 간질성 방광염 환자를 대상으로 동종 배아줄기세포유래 중간엽줄기세포 치료의 안전성, 유효성 평가 및 최대 내약용량 확인을 위한 제1/2a상 임상시험 |
| | | 줄기세포를 이용한 퇴행성 추간판 치료제 개발 |
| | | 기능 향상 지방줄기세포 스페로이드 치료제 (FECS-Ad)를 이용한 중증하지허혈 세포치료제의 임상 1/2a상 상업화 임상시험 |
| 지원 과제수 | | 51개 |