

국내외 희귀의약품 개발 관련 정책적 지원제도 및 시장 동향

KDB미래전략연구소 산업기술리서치센터
문 초 혜 (chohay.mun@kdb.co.kr)

- ◆ 각국은 희귀의약품 개발 유도를 위하여 법, 정책적 지원 등으로 제약기업의 개발을 독려
- ◆ 희귀의약품 개발 및 판매에 관한 강력한 인센티브에 기인하여, 글로벌 제약기업들을 필두로 글로벌 희귀의약품 시장이 가파르게 성장
- ◆ 국내의 제약 및 벤처 바이오기업들도 다양한 희귀의약품을 적극적으로 개발

□ 미국 포함 각국에서 희귀질환 치료제 개발 독려를 위해 다양한 혜택 제시

- 희귀질환의 병리학적 특징은 질환의 희소성·질환의 심각성·대체 치료제 부재 등으로 설명됨
 - 국가별 희귀질환 기준은 다소 상이하나 대부분 유병인구·유병률·발병 기전 불명확성·치료 방법 유무를 기준으로 정함
 - 희귀의약품(Orphan Drug)은 낮은 유병률로 인해 수익성이 보장되지 않는 이유로 제약사의 개발 분야에서 외면받는 현상에서 명칭이 유래됨

국가별 희귀질환 기준

국가	기준	인구/만명	환자규모 상한선
미국	미국 내 유병인구가 20만명 이하인 질환	6.4	200,000
WHO	거주자 1,000명 중 0.65~1명에 이환되는 질병 또는 상태	6.5~10	-
EU	EU 내의 유병률이 10만명당 5명 이하인 질환	5	185,000
일본	발병 메커니즘이 분명하지 않고, 치료 방법이 확립되어 있지 않은 희귀질환이며, 해당 질병에 걸릴 경우 장기간 요양을 필요로 하게 되는것	3.9	50,000
한국	유병인구가 2만명 이하이거나 진단이 어려워 유병인구를 알 수 없는 질환	4.25	20,000

자료 : (미국) 희귀질환법(Rare Disease Act of 2002), (유럽) Communication From the Commission to the European Parliament, The Council, The European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions on Rare Disease: Europe's Challenges, (일본) 난병환자에 대한 의료 등에 관한 법률, (한국) 희귀질환관리법, 당행 재작성

- 각국은 제약기업들의 희귀의약품 개발 촉진을 위한 법률 제정을 시작으로 다양한 혜택을 부여하고 있음
 - 희귀의약품은 낮은 유병률로 수익성이 보장되지 않아 제약기업의 개발 의지를 높이하고자 각국은 '희귀질환 관리법'*을 발효함
 - * The Orphan Drug Act('83년, 미국)을 시작으로 일본('93년), EU('00년), 한국('16년) 순으로 관련법 제정
 - 세계 다수의 규제기관이 개발 단계부터 희귀의약품으로 지정하여 개발부터 개발 후 판매과정까지 다양한 혜택을 부여함

미국 희귀의약품 개발 관련 부여 혜택

혜택	설명	영향
시장독점권	승인 희귀의약품 7년간 시장독점권 부여	• 해당 희귀질환 시장독점권(7년)간 제네릭 의약품 진입불가 • 전통적인 특허 보호권 및 금전적 지원 대비 강력한 혜택
세액공제	희귀의약품 세액공제를 통해 적응증에 대한 미국 내 임상시험 비용 일부 지원 효과	• ODTc*는 의약품 개발 비용을 감소시킴^{주1} * The Orphan Drug Tax Credit
임상보조금 지원제도	희귀의약품 보조금 프로그램은 희귀질환 치료/진단을 위한 새로운 치료법의 임상 비용 지원 ^{주2}	• 보조금 프로그램은 의약품 개발 비용 감소에 직접적 영향 • 미국 내 Orphan Product Grant Program 채택 시 FDA 승인 획득 가능성 증가
수수료 면제	희귀의약품은 FDA가 부과하는 일반적인 신약 신청 또는 사용자 수수료 면제	• 약물 개발 지용 관련 부담 절감

주 1 : NORD 발표에 의하면, ODTc 세액공제 미시행시 기존 희귀의약품의 2/3만 개발되었을 것으로 추정

주 2 : 보조금은 적정선에서 이루어지며 개발 기업에게 약 연간 US\$ 500,000까지 제공

자료 : FDA, Health Law Journal, NORD, 당행 재작성

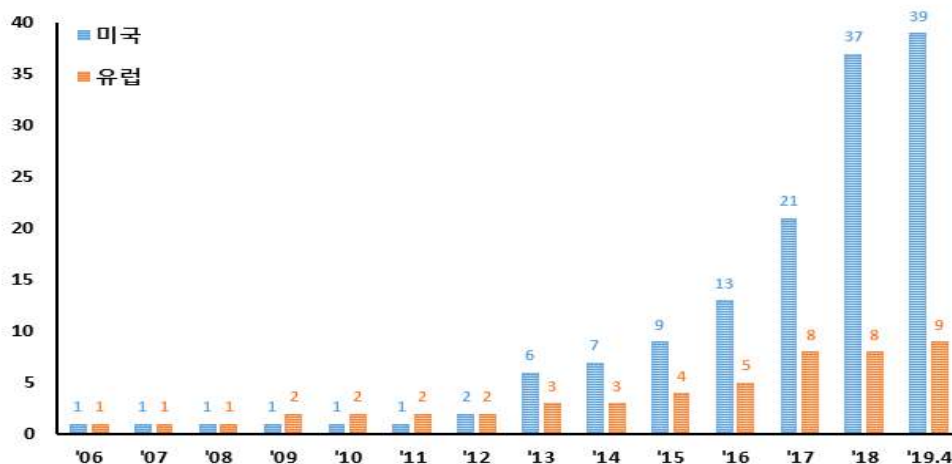
- 희귀의약품 관련 다양한 혜택 중 시장독점권(Market Exclusivity)보장이 가장 강력한 인센티브 제도임
 - 국가별 시장독점권 보장 기간*은 다소 상이하나 제약기업에 개발 독려 효과는 유사함
 - * 미국(7년), EU(6년 혹은 10년), 일본(10년), 한국(4년)[rnr]
 - 한국은 '14년부터 임상시험을 실시한 희귀의약품에 대해 4년간 동일 질환에 동일의약품이 허가되지 않도록 시장독점권 부여

□ 희귀의약품 개발 촉진을 위한 다양한 인센티브 제도로 인하여, 글로벌 희귀의약품 시장은 급속하게 성장 중

- Evaluate Pharma社에 의하면, 글로벌 희귀의약품 시장은 '17년 약 1,250억불에서 '24년 약 2,620억불 규모로 성장할 것으로 예측
 - '24년 글로벌 희귀의약품 시장은 셀진社, 존슨앤존슨社, 노바티스社 순으로 구성될 것으로 전망함
- 대형 글로벌 제약기업들이 급속하게 성장중인 희귀의약품 시장에서 시장지위를 확보하기 위해 적극적인 기업 인수 수행
 - 다케다약품공업(日)社는 다수의 희귀의약품 파이프라인을 보유한 아일랜드 제약기업 '샤이어'社를 약 6백 42억불에 인수로 인해 기업가치를 향상시킴
 - 그 외, 글로벌 제약기업인 사노피社, 셀진社, 노바티스社, 머크社도 희귀의약품 개발회사를 인수함
- 국내 다수의 제약기업도 희귀의약품 연구개발에 힘쓰고 있으며, 매년 국내외 희귀의약품 지정 건수가 늘어나는 추세임
 - 한미약품*, 안트로젠, 부광약품, 대웅제약, 크리스탈지노믹스 등을 포함한 다수의 제약기업이 희귀의약품 지정을 확보
 - * 한미약품은 미국·유럽·국내 17건의 희귀의약품 지정 실적 보유
 - '13년 이후 한국 기업의 미국·유럽 희귀의약품 지정 건수가 지속적 증가함

한국 기업의 미국·유럽 희귀의약품 지정 누적 현황('19년 4월 기준)

(단위: 건수)



자료 : FDA, EMA, 국내외 희귀의약품 시장 및 연구개발 현황분석(보건산업브리프('19)), 당행 재작성

국내 식약처 개발단계 희귀의약품 현황

기업명	성분 또는 코드명	목표 희귀질환
한미약품	HM15136 5mg(주사제)	선천성 고인슐린혈증
한미약품	HM43239(경구제)	FLT3변이 양성인 재발 또는 불응성 급성골수성 백혈병 환자의 치료
한미약품	HM15912(주사제)	단장증후군
한독	HL2351(주사제)	크리오피린 관련 주기적 증후군
프레스티지바이오 로직스	PBP1510(주사제)	췌장 선암종 상향조절인자 양성 진행성 췌장암
파맵신	재조합 단일클론면역글로불린 G1 항VEGFR-2/KDR 항체(주사제)	베바시주마를 포함한 이전 치료 후 진행성 질환인 교모세포종
클립스	자가유부유래상피세포판	윤부줄기세포결핍증
크리스탈지노믹스	CG200745(주사제)	이전 저메틸화치료에 실패한 골수형성이상증후군 수술이 불가능한 진행성 또는 전이성 췌장암 환자의 치료에서 젬스타빈 및 엘로티닙과 병용투여
차바이오앤디오스텍	동종 배아줄기세포 유리 망막색소 상피세포(주사제)	스타가르트병
지엔티파마	넴로넴다즈(주사제)	인공소생에 성공한 심장정지 환자의 뇌손상 감소
에스티엠바이오	동종 혈액 유래 자연살해세포(주사제)	젬시타빈 기반의 1차 표준항암요법에 불응이거나 항암 치료의 부작용으로 인하여 항암치료를 진행하기 어려운 진행성 담관계(담도 및 담낭암)
에빅스젠	AVI-CO-004(경구제)	다른 레트로바이러스 제제와 병용하여 HIV-1 감염환자의 치료
알바이오	자가지방유래중간엽줄기세포 (주사제)	페리-롬버그병 환자에서 미세지방이식술의 보조요법
안트로젠	동종지방유래중간엽줄기세포 (첨부제)	수포성 표피 박리증
안트로젠	동종지방유래중간엽줄기세포 (주사제)	Anti-TNF 제제에 불응인 크론병성누공
안트로젠	동종지방유래중간엽줄기세포 (주사제)	Anti-TNF 제제에 불응인 크론병
부광약품	아파티닙메실레이트(경구제)	이전에 실시된 두가지 이상의 치료법에 실패하였거나 불응한 진행성 및 전이성 또는 국소 재발성 위암
부광약품	JM-010(경구제)	레보도파로 유발된 이상운동증
바이젠셀	VT_EBV-M22(경구제)	완전관해 상태의 EBV양성 절외 NK/T세포 림프종
바이오리더스	BLS-M22(경구제)	뒤센 근디스트로피
미래셀바이오	MR-MC-01(주사제)	간질성 방광염(만성)
메지온	유데나필(경구제)	선천성 단심실로 폰탄수술을 받은 청소년 환자의 운동 능력 개선
메디포스트	동종지방유래중간엽줄기세포 (주사제)	미숙아 기관지 이형성증
라이프리버	이종 간유래 간세포	급성 및 급성화 간부전으로 인한 응급 간이식대기환자
SCM생명과학	SCM-CGH(주사제)	표준치료 불응성 만성 이식편대숙주반응
SCM생명과학	SCM-AGH(주사제)	전산화 단층촬영 중증도 지수 7~10에 해당하거나 장기 부전을 동반하는 중증 급성 췌장염
JW크레아젠	자가혈액유래수지상세포(주사제)	교모세포종

자료 : 식품의약품안전처('21년 2월 1일 기준), 당행 재작성