



제428 회국회(임시회)
제1 차보건복지위원회

첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률 일부개정법률안

검 토 보 고

■ 김영배의원 대표발의(의안번호 제10812호)

2025. 8

보 건 복 지 위 원 회

전문위원 정경윤

목 차

I . 개요	1
--------------	---

II . 검토의견	3
-----------------	---

I. 개요

1. 김영배의원 대표발의안(의안번호 제10812호)

가. 제안경위

(1) 제 안 자 : 김영배의원 등 10인

(2) 제 안 일 : 2025. 6. 13.

(3) 회 부 일 : 2025. 6. 16.

나. 제안이유 및 주요내용

현재 희귀난치성 질환으로 고통받는 환자들에 대한 치료법으로 유전자세포치료가 유일한 대안으로 요구되는 상황에서 첨단치료를 받지 못하고 사망하는 환아가 발생하거나 영구적 장애로 환아 및 가족들이 고통을 받고 있는 상황임.

그런데 우리나라는 유전자세포치료와 같은 첨단재생의료 관련 바이오의료의 기술 개발과 임상연구를 위해 범부처 차원에서 정책 및 예산 지원이 이루어지고 있으나, 미국, 영국, 일본 등 해외 주요 국가들의 첨단재생의료에 대한 지원 규모에 비해 많이 부족한 실정임.

또한, 현행법 제정 당시에 세포유전자치료 중 유전물질 및 핵산물질을 인체세포등의 정의에서 제외하여 현재 미국과 유럽을 중심으로 유전자가위 및 유전자교정치료제가 나오는 상황에서 우리나라의 경우에 대한 활발한 임상연구가 어렵다는 지적이 있음.

이에 인체세포등의 정의에 유전물질 및 핵산물질을 추가하여 유전자세포치료의 개발이 활성화되도록 유도하는 한편, 보건복지부장관이 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관을 설립할 수 있도록 함으로써 세포유전자치료 및 연구에 관한 사업을 효율적·체계적으로 추진할 수 있도록 하려는 것임(안 제2조제2호 등).

II. 검토의견

1. 개정안의 내용

□ 개정안은 첨단재생의료의 ‘인체세포등’의 정의 규정에 ‘유전물질 및 핵산물질’을 추가하고, 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관 설립의 법적 근거를 신설하며, 유전물질을 취급하는 세포처리시설의 경우대통령령으로 정하는 시설 및 장비 요건을 추가로 갖추도록 하려는 것임.

현행	개정안
제2조(정의) 이 법에서 사용하는 용어의 뜻은 다음과 같다. 1. (생략) 2. “인체세포등”이란 인체에서 유래한 줄기세포·조혈모세포·체세포·면역세포, 이종세포 등 대통령령으로 정하는 세포, 조직 및 장기를 말한다. 다만, 「인체조직안전 및 관리 등에 관한 법률」 제3조제1호에 따른 인체조직과 「장기등 이식에 관한 법률」 제4조제1호에 따른 장기등은 제외한다. 3. ~ 7. (생략)	제2조(정의) ----- -----. 1. (현행과 같음) 2. ----- ----- ----- -----세포· <u>유전물질·핵산물질, 조직</u> ----- -----. ----- ----- ----- -----. 3. ~ 7. (현행과 같음)

<신 설>

제10조의2(세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관) ① 보건복지부장관은 세포유전자치료 임상연구에 관한 사항을 효율적·체계적으로 추진하기 위하여 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관을 설립할 수 있다.

② 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관은 다음 각 호의 사업을 할 수 있다.

1. 「생명윤리 및 안전에 관한 법률」 제47조제1항 각 호에 따른 연구에 대한 지원
2. 첨단바이오의약품 제조에 필요한 시설의 일부 또는 전부를 대통령령으로 정하는 기준에 따라 갖추고 식품의약품안전처장의 허가를 받아 첨단바이오의약품의 위탁 생산
3. 세포유전자치료 임상연구 관련 인프라 조성 및 강화를 위한 지원 및 종합적 체계 구축
4. 세포유전자치료 임상연구 관련 국제교류 및 협력 지원
5. 그 밖에 세포유전자치료 및

제15조(첨단재생의료세포처리시설) ① ~ ③ (생략) <u><신설></u> ④ ~ ⑥ (생략)	<u>첨단재생의료 지원기관의 목적을 달성하기 위하여 필요한 사업</u> ③ 보건복지부장관은 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관의 설립 또는 운영 등에 필요한 경비를 예산의 범위에서 출연 또는 보조할 수 있다. ④ 그 밖에 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관의 설립·운영 등에 필요한 사항은 보건복지부령으로 정한다. 제15조(첨단재생의료세포처리시설) ① ~ ③ (현행과 같음) ④ 제1항부터 제3항까지의 규정에 따라 세포처리시설로 허가를 받거나 신고하려는 자가 취급하려는 인체세포등에 유전물질이 포함되는 경우 대통령령으로 정하는 시설 및 장비를 추가로 갖추어야 한다. ⑤ ~ ⑦ (현행 제4항부터 제6항까지와 같음)
---	---

2. 주요 검토 사항

- 금번 개정안은 세포유전자 치료 및 연구 사업의 효율적·체계적 추진을 위한 것으로, 주요 내용은 ‘인체세포등’ 정의 규정에 유전물질·핵산물질을 추가하고, 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관을 설립하며, 세포처리시설이 취급하려는 인체세포등에 유전물질이 포함되는 경우 대통령령으로 정하는 시설 및 장비를 추가로 갖추도록 하는 등 크게 3가지 사항임.
- 먼저, ‘인체세포등’ 정의 규정에 유전물질·핵산물질 추가와 관련된 것으로 현행법 제2조제1호에서는 ‘첨단재생의료’에 대해서 ‘사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 인체세포등을 이용하여 실시하는 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등 대통령령으로 정하는 것을 말한다’로 정의하고 있음. 이를 세부적으로는 목적(사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방), 원료(인체세포 등을 이용하여 실시), 기술유형(세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등)으로 구분하여 이해할 수 있음.
- 한편, 첨단재생의료의 원료에 해당하는 ‘인체세포등’의 개념과 관련하여 현행법 제2조제1호에서는 인체에서 유래한 줄기세포·조혈모세포·체세포·면역세포·이종세포 등 대통령령으로 정하는 세포, 조직 및 장기로 정의하고 있음.

< ‘첨단재생의료’ 및 ‘인체세포등’ 정의(제2조제1호) >

첨단재생의료	사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 <u>인체세포등을 이용하여</u> 실시하는 세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등 대통령령으로 정하는 것
인체세포등	인체에서 유래한 줄기세포·조혈모세포·체세포·면역세포, 이종세포 등 대통령령으로 정하는 <u>세포, 조직 및 장기</u>

□ 이에 따라 세포를 매개로 유전물질을 주입하는 치료방식인 생체 외 유전자치료(ex-vivo)는 현행법에 포함되는 반면, 세포를 활용하지 않고 유전물질을 직접 주입하는 치료방식인 생체 내 유전자치료(in-vivo)는 현행법에 미포함되고 있음.

* (생체 외 유전자치료, ex-vivo) 세포를 매개로 유전물질 주입(현행법 포함)
(생체 내 유전자치료, in-vivo) 세포를 활용하지 않고 유전물질 직접 주입(현행법 미포함)

□ 개정안은 ‘인체세포등’ 개념에 유전물질 및 핵산물질을 추가함으로써 생체 내 유전자치료(in-vivo)를 포함하도록 하여 관련 임상연구 및 치료가 폭넓게 수행될 수 있도록 하려는 것이라는 점에서 의미가 있다고 하겠음.

□ 특히, 임상연구 및 치료를 위한 첨단재생의료 개념과 첨단바이오 의약품의 개념은 연계선상에서 일치시킬 필요도 있을 것으로, 현행법 제2조제7호나목에서는 첨단바이오의약품의 유전자치료제에 대해 ‘유전물질의 발현에 영향을 주기 위하여 투여하는 것으로서 유전물질을 함유한 의약품 또는 유전물질이 변형·도입된 세포를 함유한 의약품’으로 규정하고 있어, 생체 내 유전자치료제와 생체 외 유전자치료제를 모두 포함하고 있으며, 참고로 생체 내 유전자 치료에 해당하는 의약품으로서 줄겐스마주 등(참고 2)은 이미 허가된 바 있음.

< 첨단바이오의약품 정의(제2조제7호) >

7. “첨단바이오의약품”이란 「약사법」 제2조제4호에 따른 의약품으로서 다음 각 목의 어느 하나에 해당하는 것을 말한다.
- 가. 세포치료제: 사람 또는 동물의 살아 있는 세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적 또는 생물학적 방법으로 조작하여 제조한 의약품. 다만, 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 제조된 것으로서 총리령으로 정하는 것은 제외한다.
 - 나. 유전자치료제: 유전물질의 발현에 영향을 주기 위하여 투여하는 것으로서 유전물질을 함유한 의약품 또는 유전물질이 변형·도입된 세포를 함유한 의약품
 - 다. 조직공학제제: 조직의 재생, 복원 또는 대체 등을 목적으로 사람 또는 동물의 살아 있는 세포나 조직에 공학기술을 적용하여 제조한 의약품
 - 라. 첨단바이오융복합제제: 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학제제와 「의료기기법」 제2조제1항에 따른 의료기기가 물리적·화학적으로 결합(융합, 복합, 조합 등을 포함한다)하여 이루어진 의약품. 다만, 주된 기능이 의료기기에 해당하는 경우는 제외한다.
 - 마. 그 밖에 세포나 조직 또는 유전물질 등을 함유하는 의약품으로서 총리령으로 정하는 의약품

- 다만, 첨단재생바이오법이 2019년 8월 제정되어 1년이 경과한 2020년 8월부터 시행되고 있으며, 특히 첨단재생의료 치료제도 (참고 1)는 2025년 2월부터 시행되는 등 첨단재생의료 제도가 아직 시행 초기 단계임을 감안하여 생체 내 유전자치료 기술의 안전성 등에 대한 검토 후 개정 여부를 결정할 필요도 있을 것임.
- 그 외, 개정안은 유전물질과 핵산물질을 병기하여 표기하고 있는데, 유전물질 관련 유사 입법례를 살펴보면 핵산물질은 유전물질에 포함된 개념으로, 현행법의 유전자치료제 관련한 첨단바이오의약품에 대한 정의규정에서도 유전물질만을 규정하고 있는 바, 법조항의 통일성 유지를 위해 유전물질만을 추가하는 것이 적절할 것으로 보임.

< 유전물질 관련 유사 입법례 >

☐ 생명윤리법 (복지부)

제2조(정의) 이 법에서 사용하는 용어의 뜻은 다음과 같다.

16. "유전자치료"란 질병의 예방 또는 치료를 목적으로 인체 내에서 유전적 변이를 일으키거나, **유전물질** 또는 **유전물질**이 도입된 세포를 인체로 전달하는 일련의 행위를 말한다.

☐ 생명공학육성법 (과기부)

제2조(정의) 이 법에서 사용하는 용어의 뜻은 다음과 같다.

1. "생명공학"이란 각종 생물체의 생물학적 시스템, 생체, **유전체 또는 그들로부터 유래되는 물질** 정보를 연구·활용하는 학문과 기술을 말하며, 기초의과학(基礎醫科學)을 포함한다.

☐ 유전자재조합실험지침 (복지부고시)

※ 본 고시에서 '유전물질'을 직접 정의하고 있지는 않으나, 유전자재조합분자 등 다른 개념을 정의하면서 유전물질에 합성된 핵산이 포함되는 것으로 정하여 규율

제2조(정의) 이 지침에서 사용하는 용어의 정의는 다음 각 호와 같다.

3. "유전자재조합실험"이란 유전자재조합분자 또는 **유전물질(합성된 핵산 포함)**을 세포에 도입하여 복제하거나 도입된 세포를 이용하는 실험을 말한다.
4. "숙주"란 유전자재조합실험에서 유전자재조합분자 또는 **유전물질(합성된 핵산 포함)**이 도입되는 세포를 말한다.
5. "벡터"란 유전자재조합실험에서 숙주에 유전자재조합분자 또는 **유전물질(합성된 핵산 포함)**을 운반하는 수단(핵산 등)을 말한다.
6. "공여체"란 벡터에 삽입하거나 또는 직접 주입하고자 하는 유전자재조합분자 또는 **유전물질(합성된 핵산 포함)**이 유래된 생물체를 말한다.

- ☐ 다음, 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관 설립과 관련된 것으로 그 취지는 세포유전자치료 및 첨단재생의료 연구 활성화 등을 위한 것으로 이해되고 있음. 관련하여 우리 위원회는 2025년 예산안 심사 시 세포유전자 치료 관련 컨트롤타워 역할을 위한 유전자세포치료특화연구소 설립을 위해 75억원을 신규 반영한 바도 있음.

<2025년도 예산안 보건복지위원회 예비심사 조정내역>

세부사업명 (사업코드)	2024 본예산	2025 (안) (A)	수정안 (B)	증감액 (B-A)	수정이유
유전자 세포 치료 특화 연구소 (신규)	-	-	7,500	7,500	○ 동 사업은 세포유전자 치료 관련 컨트롤 타워 역할을 위해 국가전략기술 육성법 제18조에 따른 특화연구소를 설립하여, 첨단재생 임상연구 활성화 등 국가 차원의 체계적인 지원을 하기 위한 사업임 ○ 유전자·세포치료 특화연구소 운영을 위한 75억원 증액 필요 □ 산출내역 : 75억원 ▪ 유전자·세포치료 특화연구소 : 연간 150억 * 6/12개월 = 75억

□ 한편, 현행법 제9조1)에서는 개정안의 취지와 유사한 목적으로 보건복지부장관으로 하여금 첨단재생의료지원기관을 설립하거나 지정할 수 있도록 하고 있는 바, 첨단재생의료지원기관의 업무 등과 개정안의 신설 기관의 업무가 중복될 수 있다는 지적이 제기될 수 있겠음.

< 개정안에 따른 지원기관의 역할 및 현행 수행 기관 비교 >

개정안 지원기관의 역할	현재 해당 역할 수행 기관 또는 사업
1. 「생명윤리 및 안전에 관한 법률」 제47조제1항 각 호에 따른 연구에 대한 지원	▶ 관련 R&D사업을 통해 유전자 치료에 대한 임상연구·임상시험 지원 중 * (예) 첨단재생의료 임상연구 활성화 지원사업('25~'28)은 지원과제로 선정 시 연간 10억원 이내, 2년 지원

- 1) 제9조(첨단재생의료지원기관의 설립·지정 등) ① 보건복지부장관은 첨단재생의료기술 진흥을 위한 사업을 효율적·체계적으로 추진하고 안전성 확보를 위한 관련 정책의 개발을 지원하기 위하여 첨단재생의료지원기관(이하 “지원기관”이라 한다)을 설립하거나 해당 업무를 수행할 능력이 있다고 인정하는 기관·단체 또는 법인을 지원기관으로 지정할 수 있다.
- ②~④ 생략

개정안 지원기관의 역할	현재 해당 역할 수행 기관 또는 사업
2. 첨단바이오의약품 제조에 필요한 시설의 일부 또는 전부를 대통령령으로 정하는 기준에 따라 갖추고 식품의약품안전처장의 허가를 받아 첨단바이오의약품의 위탁 생산	▶ 식약처장의 허가를 받은 첨단바이오의약품 제조업자(법 제23조)가 수행
3. 세포유전자치료 임상연구 관련 인프라 조성 및 강화를 위한 지원 및 종합적 체계 구축	▶ 첨단재생의료지원기관(법 제9조)의 설립 목적 및 역할과 유사 * 제1항 : 첨단재생의료기술 진흥을 위한 사업을 효율적·체계적으로 추진하고 안전성 확보를 위한 관련 정책의 개발을 지원하기 위해 설립 * 제2항제2호 : 첨단재생의료기술 진흥에 필요한 기술개발의 기획 및 개발된 기술의 관리·자문
4. 세포유전자치료 임상연구 관련 국제교류 및 협력 지원	▶ 첨단재생의료지원기관(법 제9조)의 설립 목적 및 역할과 유사 * 제2항제5호 : 첨단재생의료 분야의 국제교류·협력 및 지원
5. 그 밖에 세포유전자치료 및 첨단재생의료 지원기관의 목적을 달성하기 위하여 필요한 사업	▶ 첨단재생의료지원기관(법 제9조)의 설립 목적 및 역할과 유사 * 제2항제6호 : 그 밖에 지원기관의 목적을 달성하기 위하여 필요한 사업

□ 다만, 개정안의 신설 기관 업무 중 첨단바이오의약품 위탁 생산의 경우 현행 첨단재생의료지원기관의 업무에는 반영되어 있지 않은데, 환자수가 적은 희귀질환의 특성을 고려할 때 치료제 생산에 민간 기업의 적극적인 참여가 제한될 수 있는 바, 수용가능한 범위내에서 관련 업무를 현행 첨단재생의료지원기관의 업무에 추가하는 방안은 고려될 필요가 있겠음.

- 다음, 세포처리시설이 취급하려는 인체세포등에 유전물질이 포함되는 경우 대통령령으로 정하는 시설 및 장비를 추가로 갖추도록 하는 것과 관련된 사항임.
- 현행법 제15조²⁾에서는 인체세포 등을 채취하여 재생의료기관에 공급하는 세포처리업무를 하려는 자는 대통령령으로 정하는 시설 인력 장비를 갖추어 허가를 받도록 규정하고 있는 바, 개정안은 인체세포 등에 유전물질이 포함되는 경우 세포처리시설의 시설 및 장비를 추가로 갖추도록 규정하고 있음. 이는 ‘인체세포등’에 유전물질을 추가하여 연구범위 확대에 따라 발생될 수 있는 안전성 문제를 완화하기 위한 조치와도 관련된 것으로 보임.
- 한편 현행법은 세포처리시설³⁾ 및 첨단바이오의약품 제조업⁴⁾에 대해 각각 시설 및 장비 등의 기준을 제시하고 있는 바, 세포처리시설은 임상연구용 세포 공급이라는 한정된 목적에 따라 상대적으로 유연한 시설·장비 기준과 인력 배치 기준을 가지는 반면, 첨단바이오의약품 제조업은 인체에 직접 투여되는 완제품 생산을 전제로 하므로, 제조단계 전반에 걸쳐 완결된 품질관리 체계를 요구하여 상대적으로 더 높은 수준의 요건을 제시하고 있음.

2) 제15조(첨단재생의료세포처리시설) ① 인체세포등을 채취하고 이를 검사·처리하여 재생의료기관에 공급하는 업무(이하 “세포처리업무”라 한다)를 하려는 자는 대통령령으로 정하는 시설·인력·장비를 갖추어 총리령으로 정하는 바에 따라 식품의약품안전처장으로부터 첨단재생의료세포처리시설(이하 “세포처리시설”이라 한다)로 허가를 받아야 한다. 허가받은 사항을 변경하려는 경우에도 또한 같다.

②~⑥ 생략

3) 제15조(첨단재생의료세포처리시설) ① 인체세포등을 채취하고 이를 검사·처리하여 재생의료기관에 공급하는 업무(이하 “세포처리업무”라 한다)를 하려는 자는 대통령령으로 정하는 시설·인력·장비를 갖추어 총리령으로 정하는 바에 따라 식품의약품안전처장으로부터 첨단재생의료세포처리시설(이하 “세포처리시설”이라 한다)로 허가를 받아야 한다. 허가받은 사항을 변경하려는 경우에도 또한 같다.

4) 제23조(첨단바이오의약품의 제조업허가 등) ① 첨단바이오의약품 제조를 업(業)으로 하려는 자는 대통령령으로 정하는 시설 기준에 따라 필요한 시설을 갖추고 식품의약품안전처장의 허가를 받아야 한다. 이 경우 제조업허가를 받은 자(이하 “제조업자”라 한다)는 첨단바이오의약품에 한정하여 「약사법」 제31조제1항에 따라 허가를 받은 제조업자로 본다.

②~⑩ 생략

□ 다만, 현재 세포처리시설로 허가받은 44개 기관 중 26개 기관이 첨단바이오의약품 제조업 허가를 보유하고 있는 바, 개정안에 따라 첨단바이오의약품 제조업 허가를 보유하지 않은 18개 기관이 유전 물질을 취급하는 경우 시설 및 장비 확보 등 추가적인 부담도 있을 것으로 보임.

<세포처리시설의 제조업 허가 보유 현황>

연번	기관명	첨단바이오 의약품 제조업 유무	연번	기관명	첨단바이오 의약품 제조업 유무
1	서울대학교병원	X	23	주식회사 상그리라바이오	O
2	(주)엔바이오텍	O	24	메디포스트(주)	O
3	(주)차바이오랩	X	25	주식회사지아이셀	O
4	가톨릭대학교서울성모병원	X	26	주식회사휴먼셀바이오	X
5	주식회사티에스바이오	O	27	주식회사이에이치엘바이오	O
6	주식회사지씨셀	O	28	(주)메디노	X
7	연세의료원	X	29	주식회사노보셀바이오	O
8	에스씨엠생명과학주식회사	O	30	이엔셀주식회사	O
9	대웅제약	O	31	서울송도병원	X
10	(주)에스바이오메딕스	O	32	연세아이미스팀의원	X
11	동남권원자력의학원	X	33	주식회사강스템바이오텍	O
12	차의과학대학교 분당차병원	X	34	(주)알바이오	O
13	연세대학교 의과대학 강남세브란스병원	X	35	코오롱바이오텍	O
14	오가노이드사이언스(주)	O	36	국립줄기세포재생센터	X
15	(주)박셀바이오	O	37	에이치케이이노엔(주)	O
16	(주)엔케이씨엘바이오그룹	O	38	바이젠셀 주식회사	O
17	주식회사 입셀	O	39	서울예스병원	X
18	애플론 (주)	O	40	도반바이오	X
19	마디사랑병원 세포처리시설	X	41	(주)바이오솔루션	O
20	주식회사큐로셀	O	42	(주)더바이로셀	X
21	(주)세포바이오	O	43	(주)이뮤니스바이오	O
22	주식회사엔케이맥스	X	44	주식회사 티시스템	X

- 한편, 개정안과 유사한 취지 및 내용의 국민동의청원이 우리 위원회에 회부되어 있음.

<국민동의청원 내용>

등록일자	2025. 5. 9.		
동의기간	2025. 5. 14. ~ 2025. 5. 30.	국민동의 수	51,956
청 원 자	성 명	이주혁	
제 목	희귀질환·소아암, 난치 안과 질환 등 환자를 위한 세포·유전자치료의 인프라 개선 및 제도 개정에 관한 청원		
내 용	■첨단재생의료의 정의조항 수정, 신속 승인제도 도입을 위한 「첨단재생바이오법」의 개정 ■유전자·세포치료센터 설치 ■신생아 눈 종합검사 의무화 및 국가 홍보		

- 개정안과 관련하여 보건복지부는 체내 유전자치료(in-vivo) 도입을 위한 정의 조항의 개정 필요성에 동의하나, 연구개발·임상지원 등은 기존 지원기관 및 R&D 연구사업을 통해 수행 중이고, 위탁생산은 민간이 담당하는 영역이며, 예산지원 조항은 재정당국 검토가 필요한 사항으로, 지원기관 설립 및 재정 지원 조항은 신중한 검토가 필요하다는 입장임.

문 의 처

02)6788-5496

[참고 1] 첨단재생바이오법 개정사항 ('25.2.21 시행)

① (치료 도입) 임상연구에 한해 제한적으로 허용됐던 **첨단재생의료를 환자 치료에 이용 가능하도록 **'첨단재생의료 치료' 제도 신설****

○ **(허용 조건) 의약품 허가·신의료기술평가와 같이 모든 의료기관에 일괄 적용이 아닌 특정 기관에 승인된 범위 내에서 제한적 허용**

- (실시기관 지정) 복지부 지정 재생의료기관만 치료 실시 가능
- (대상 제한) 중대·희귀·난치 질환자 등 대상으로 제한적 허용
- (임상연구 연계) 고위험·중위험 치료는 사전 임상연구 실시 의무화
- (치료계획 심의) 심의위원회가 치료계획 심의·승인

○ **(비용 관리) 비용 수준에 대하여 공적으로 관리**

- (재생의료기관) 치료 비용에 관한 사항 보고
- (복지부장관) 치료 비용 현황 조사·분석 및 공개
- (심의위원회) 첨단재생의료 치료계획 심의시 비용에 대한 심사

○ **(안전 관리) 기존 임상연구의 안전관리체계를 치료에도 적용하되, 치료의 특성을 감안한 추가 장치 신설**

- (재생의료기관) 실시현황 기록·보관·보고, 이상반응 안전관리기관 보고
- (복지부장관) 계획과 다르게 실시 등 의무규정 위반시 처벌,
조사 결과에 따라 치료 중지·치료대상자 보호대책 마련 등 조치
- (심의위원회) 중간 결과 보고를 받아 연구 및 치료의 진행상황 점검,
필요시 기관 IRB 및 안전관리기관 조사·감독 요청

② (연구 확대) 연구대상 제한(중대·희귀·난치 질환)을 삭제하여 모든 질환에 대한 임상연구가 가능하도록 개선

[참고 2]	생체 내(in-vivo) 유전자치료제 허가 현황 ('25.3 기준)
---------------	--

□ **[한국]** 첨단바이오의약품 총 19개 중 **3종**

연번	제품명(업체명)	대상질환	허가	개발 국가
1	줄겐스마주 (한국 노바티스)	척수성 근위축증(SMA)	'21.05	미국
2	렉스타나주 (한국 노바티스)	유전적 망막디스트로피	'21.09	미국
3	헴제닉스주 (씨에스엘코리아)	B형 혈우병	'24.09	미국

□ **[미국]** 생물 의약품 승인된 총 44개 중 **10종**

연번	제품명(업체명)	대상질환	허가	개발 국가
1	IMLYGIC (Amgen Inc.)	절제불가한 재발성 흑색종	'15.10	미국
2	LUXTURN A (Spark Therapeutics, Inc.)	RPE65 돌연변이와 관련된 망막이영양증	'17.12	미국
3	ZOLGENSMA (Novartis Gene Therapies, Inc.)	척수성 근위축증(SMA)	'19.05	미국
4	Hemgenix (CSL Behring LLC)	B형 혈우병	'22.11	미국
5	ADSTILADRIN (Ferring Pharmaceuticals)	비근침윤성 방광암, 제자리암종	'22.12	스위스
6	VYJUVEK (Krystal Biotech)	이영양성 수포성 표피박리증	'23.05	미국
7	ELEVIDYS (Sarepta Therapeutics)	듀센 근이영양증	'23.06	미국
8	ROCTAVIAN (BioMarin Pharmaceuticals)	A형 혈우병	'23.06	미국
9	BEQVEZ (Pfizer, Inc.)	B형 혈우병	'24.04	미국
10	KEBILIDI (PTC Therapeutics, Inc.)	AADC 결핍증	'24.11	미국

□ **[유럽]** ATMP 및 기타 유형으로 승인된 총 20개 중 7종

연번	제품명(업체명)	대상질환	허가	개발 국가
1	Imlygic (Amgen®)	AAV 기반 유전자 치료	'15.12	미국
2	Luxturna (Novatis)	레버 선천성 흑암시, 망막색소변성	'18.11	미국
3	Zolgensma (Novartis)	척수성 근위축증(SMA)	'20.05	미국
4	Upstaza (ptc therapeutics)	AADC 결핍증	'22.07	미국
5	Roctavian (BioMarin)	중증 A형 혈우병	'22.08	미국
6	Hemgenix (CSL Behring LLC)	B형 혈우병	'23.02	미국
7	BEQVEZ (Pfizer, Inc.)	B형 혈우병	'24.07	미국

□ **[일본]** 재생의료등 제품으로 승인된 총 21개 중 4종

연번	제품명(업체명)	대상질환	허가	개발 국가
1	Collategene (AnGes Inc.) > 조건 및 기한부 승인	중증하지허혈증	'19.03	일본
2	ZOLGENSMA (Novatis)	척수성 근위축증	'20.03	미국
3	Delytact Injection (Daiichi Sankyo Company, Limited) > 조건 및 기한부 승인	악성신경교종	'21.06	일본
4	Luxturna (Novatis)	RPE65 돌연변이와 관련된 망막이영양증	'23.06	미국