

중대·희귀·난치 질환 등에 새로운 치료법을 제공하는

# 첨단재생의료란 무엇인가



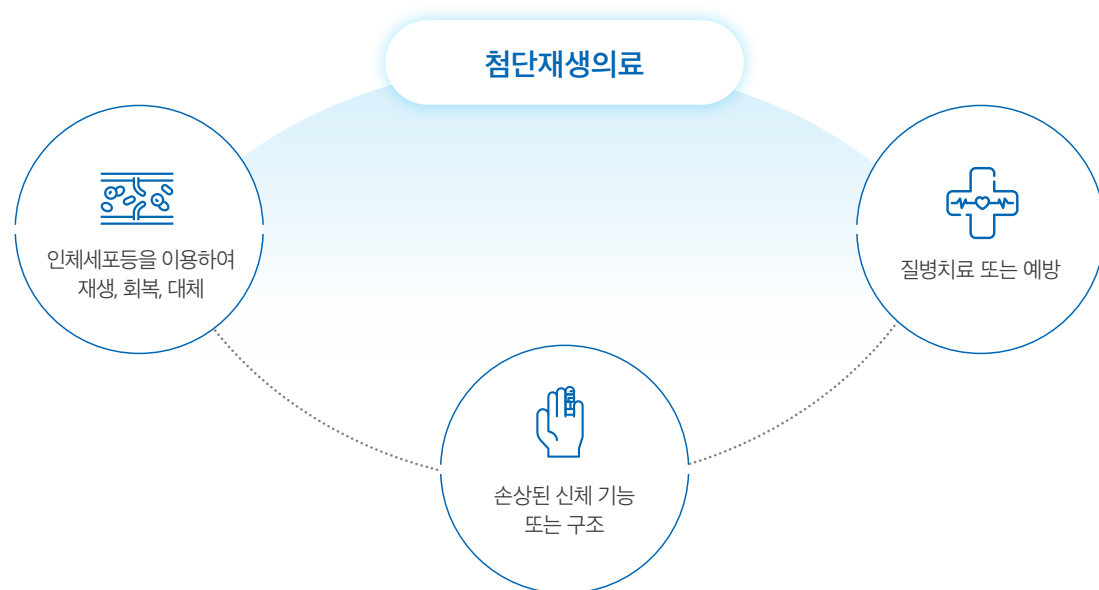
서울 중구 세종대로 17, 그레이츠승레 13층  
TEL. 02-6365-2260 EMAIL. rmaf@rmaf.kr  
www.rmaf.kr



01

## 첨단재생의료는 무엇일까?

손상된 인체세포나 조직·장기를 본인의 세포를 배양해서 대체하거나  
재생하여 정상적인 기능을 할 수 있도록 회복시키는 의료기술



### 첨단재생의료 범위

환자의 생명·건강에 영향을 주는 신체, 기능의 결함이나 질병 치료 또는 예방을 위한 치료법으로  
고위험부터 중저위험 치료까지 세포를 변형하거나 배양하는 등 다양한 방법의 임상연구를 거쳐 이루어지는 치료

#### 세포치료



사람 또는 동물로부터 유래한 세포를 이용하여 사람을 대상으로 하는 치료

#### 유전자치료



유전물질을 인체로 전달하거나 유전물질이 변형·도입된 사람 또는 동물의 세포를 인체로 전달하는 치료

#### 조직공학치료



조직의 재생, 복원 또는 대체 등을 목적으로 사람 또는 동물로부터 유래한 세포나 조직에 공학기술을 적용하여 사람을 대상으로 하는 치료

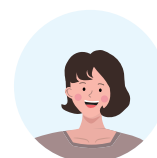
#### 융복합치료

다음 중 어느 하나에 해당하는 치료

- ① 세포, 유전자 및 조직공학치료 중 둘 이상을 혼합한 치료
- ② 세포, 유전자 및 조직공학치료와, 이 중 둘 이상을 혼합한 치료 중 의의기기를 물리적·화학적으로 결합한 치료로써 사람을 대상으로 하는 치료

02

## 기대효과 및 주의사항



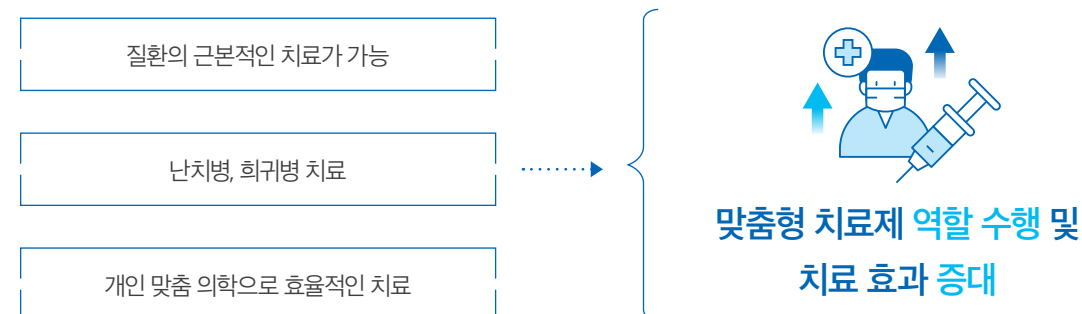
“첨단재생의료? 우리나라에도 시행되는 치료인가요?”

그럼요!

임상연구만 가능했던 「첨단재생의료 및 첨단바이오횐약품 안전 및 지원에 관한 법률」(약칭: 첨단재생바이오법)이  
2024년 2월 개정 및 2025년 2월부터 시행되어 임상연구에 참여한 환자가 아니더라도  
법적 기준 안에서 첨단재생의료 치료를 받을 수 있게 되었습니다!



### 첨단재생의료의 기대효과는?



### 첨단재생의료 치료는!

보건복지부 첨단재생의료 및 첨단바이오횐약품 심의위원회가 첨단재생의료 치료계획을 심의·승인하고,  
보건복지부장관이 지정한 첨단재생의료실시기관(재생의료기관)에서 '첨단재생의료 치료'를 받으세요.

## 첨단재생의료실시기관의 임상연구·치료 절차



첨단재생의료실시기관  
첨단재생의료 임상연구 실시를 위해  
보건복지부의 엄격한 심사를 통과한 의료기관



세포처리시설  
식품의약품안전처에 승인을 받고,  
첨단재생의료실시기관에 세포공급(배양 등)



모든 의료기관이 첨단재생의료실시기관이 될 수 있나요?

첨단재생의료 임상연구 및 치료는  
**보건복지부장관이 지정한 의료기관만** 실시할 수 있습니다.

임 상 연 구	첨단재생의료실시기관 지정		첨단재생의료 임상연구계획 수행			임상연구비 지원(R&D)	(고·중위험) 첨단재생의료 치료계획 수행		안전관리
	STEP 01 첨단재생의료 실시 기관 지정 신청	STEP 02 지정 심사·통보	STEP 03 첨단재생의료 연구계획 신청	STEP 04 첨단재생의료 연구계획 심의·승인	STEP 05 첨단재생의료 임상연구 실시	STEP 06 첨단재생의료 임상연구비 지원 신청·평가·협약·지급	STEP 07 첨단재생의료 치료계획 심의·승인	STEP 08 첨단재생의료 치료계획 실시	STEP 09 ·첨단재생의료 실시기관 관리·감독·임상연구 ·치료에 대한 정보수집 ·이상반응 보고 ·신고의 접수 및 조사 ·장기추적조사 실시
진 행 기 관	의료기관 ↕ 보건복지부, 재생의료진흥재단		첨단재생의료실시기관 ↓ 보건복지부 (첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회)	보건복지부, 첨단재생의료실시기관	첨단재생의료실시기관	재생의료진흥재단 (첨단재생의료 임상연구활성화 지원 사업단) ↕ 첨단재생의료실시기관 ↕ 보건복지부 (첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회)	보건복지부, 식품의약품안전처 (고위험) ↕ 첨단재생의료실시기관	첨단재생의료실시기관 (고위험) 선행 임상연구가 완료된 동일한 첨단재생의료실시기관에 한정 (중위험) 선행 임상연구가 완료되어 타 첨단재생의료실시기관에도 가능	질병관리청 국립보건연구원 (첨단재생의료안전관리기관)
치 료	STEP 01 첨단재생의료 실시 기관 지정 신청	STEP 02 지정 심사·통보	STEP 03 첨단재생의료 치료계획 신청 (저위험에만 한정)	STEP 04 첨단재생의료 치료계획 심의·승인 (저위험에만 한정)	STEP 05 첨단재생의료 치료 실시	STEP 06 첨단재생의료 치료계획 신청	STEP 07 첨단재생의료 치료계획 심의·승인	STEP 08 첨단재생의료 치료계획 실시	STEP 09 ·첨단재생의료 실시기관 관리·감독·임상연구 ·치료에 대한 정보수집 ·이상반응 보고 ·신고의 접수 및 조사 ·장기추적조사 실시
	첨단재생의료실시기관 지정		(저위험) 첨단재생의료 치료계획 수행			(고·중위험) 첨단재생의료 치료계획 수행		안전관리	



### 임상연구사례 ①

백혈병 환자를 대상으로 CAR-T 임상연구 중이던 서울대 의료기관 소아청소년과 강형진 교수팀이 국내 최초로 면역세포의 유전자 조작을 거친 후에 배양한 맞춤형 CAR-T 치료제로 백혈병 환자를 치료, 이후 추적 골수검사를 진행하였고 백혈병 세포가 완전히 사라진 것을 확인

출처: 서울대병원, 국내 최초 자체 생산 CAR-T 치료제로 백혈병 치료 성공 외, 의학뉴스, 2022. 5. 5.



### 임상연구사례 ②

계단에서 낙상 후 불완전 손상을 입어 왼쪽 팔다리는 위아래로 들었다 놓는 움직임이 가능했지만 오른쪽 신체가 거의 기능을 못하는 환자를 대상으로 손상 부위(신경)에 세포를 이식, 6개월이 지난 뒤 오른쪽 팔을 들고 무릎을 굽혔다 펼 수 있는 등 움직임이 개선되고 손 기능을 회복하였다는 결과 발표

출처: 못 움직이던 척수손상 환자, 6개월만에 팔 들었다...줄기세포 기적, 머니투데이, 2024.12.25.

## 알면 유용한 첨단재생의료 정보



### 「첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 안전 및 지원에 관한 법률」(약칭: 첨단재생바이오법)이 무엇인가요?

기존 의약품 및 의료 기술과 달리 살아있는 세포를 활용한 첨단재생의료는 동물실험, 임상시험에 대한 한계가 있어 이러한 특수성을 고려하여 만들어져 2019년 8월 제정되어 2020년 8월에 시행된 법률입니다.

### 개정된 「첨단재생바이오법」의 주요 내용은 무엇인가요?

2025년 2월부터 시행되는 개정된 「첨단재생바이오법」은 첨단재생의료의 접근성 확대 및 안전관리 요건 강화를 중점으로 개정되어 연구 대상의 제한 완화로 다양한 질환에 대한 임상연구가 가능해졌고, 임상연구 뿐만 아니라 환자 치료에도 활용할 수 있도록 새로운 제도가 도입됩니다.



### 첨단재생의료실시기관(재생의료기관)이란 무엇인가요?

보건복지부 장관으로부터 지정 받아 첨단재생의료(세포치료, 유전자치료, 조직공학치료 등)를 안전하게 제공하는 의료기관으로 첨단재생의료 임상연구와 치료를 수행합니다.

### 첨단재생의료임상연구는 무엇인가요?

환자에게 치료 기회 확대를 목적으로 사람을 대상으로 이루어지며 고위험부터 중·저위험 연구까지 구분되어 「첨단재생바이오법」에 따라 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회의 심의를 통과한 연구 계획으로 실시할 수 있는 임상연구입니다.



### 첨단재생의료 임상연구와 치료는 어떠한 차이가 있나요?

임상연구는 연구자가 실시하는 연구로 연구 대상의 제한이 완화되면서 모든 분야에 대하여 연구 대상자를 모집하여 비용 청구 없이 진행이 가능하며, 치료는 의료법에 따른 의료행위로 재생의료기관은 승인 받은 치료 계획만 실시할 수 있고, 치료 대상자 또한 중대·희귀·난치질환자로 제한되어 있습니다.



### 첨단재생의료실시기관에서 누구나 첨단재생의료 치료를 실시할 수 있나요?

첨단재생의료 치료는 임상연구가 완료된 치료법만 실시가 가능하며, 첨단재생바이오법에서 정한 교육이수 및 필수 인력으로 등록된 사람만 치료를 실시할 수 있습니다.

\*교육에 관한 자세한 사항은 첨단재생의료 교육 포털(educrmf.kr)에서 확인하실 수 있습니다.

### 첨단재생의료 치료는 안전한가요?



첨단재생의료 치료는 엄격한 기준과 꾸준한 관리로 안전한 치료만을 제공하기 위해 보건복지부장관으로부터 첨단재생의료실시기관(재생의료기관)으로 지정 받고 치료 계획을 승인 받은 곳만 가능하며, 첨단재생의료안전관리기관과 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회의 꾸준한 안전성 모니터링과 정기적인 점검을 진행하고 있어 위험성이 발견되거나 효능이 없는 치료를 시행한 첨단재생의료실시기관은 지정을 해제합니다.



### 첨단재생의료 치료에 비용이 발생하나요?

치료 비용은 청구되며, 첨단재생의료안전관리기관에 보고된 첨단재생의료 치료 비용에 대해 보건복지부장관이 조사하고 분석한 비용 현황을 공개합니다.

### 첨단재생의료 관련 정보는 어디에서 확인할 수 있나요?



첨단재생의료와 관련된 세부 정보들은 첨단재생의료포털(www.k-arm.go.kr)에서 확인할 수 있습니다. 보다 자세한 정보가 필요하거나 궁금한 점은 재생의료진흥재단을 통해서 확인하실 수 있습니다.



### 첨단재생의료실시기관으로 지정받지 않거나 적합 승인을 받지 않고 치료를 하는 경우에는 신고 절차가 어떻게 되나요?

「첨단재생바이오법」에 위반이 의심되거나 실제 위반한 의료기관을 발견한다면 재생의료진흥재단 치료제도지원팀(ts@rmf.kr, 02-6365-2242)으로 조속히 신고하여 주시길 바랍니다.

## 첨단재생의료 관련 기관은 어떤 역할을 수행하고 있을까?

첨단재생의료는 보다 밝은 의료 미래를 위해 분야별 전문가들로 업무 체계를 수립하여 운영하고 있습니다.

### 보건복지부 및 질병관리청



#### 재생의료정책과

첨단재생바이오 법령과 정책을 총괄하고 운영하면서 기술개발 및 산업육성등을 종합적으로 담당

#### 질병관리청 국립보건연구원 재생의료안전관리과

첨단재생의료의 안전성 확보를 위해 실시를 모니터링하고, 이상반응 조사 및 장기추적조사에 대한 데이터를 수집하고 관리

#### 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 정책위원회

위원장 (보건복지부 장관)과 부위원장 (식품의약품안전처장)으로 운영되며 정책 수립과 집행 심의를 담당하는 위원회

#### 재생의료진흥재단

첨단재생의료의 정책 및 제도를 연구하고, 기술개발 기획과 전문 인력 양성을 통해 산업 인프라 강화를 위한 지원을 하는 기관

#### 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회

첨단재생의료실시기관의 임상 연구 및 치료 계획을 심의하고, 장기 추적 조사 계획의 적합성 여부에 대한 심의를 담당 하는 위원회

### 식품의약품 안전처



#### 바이오의약품정책과 첨단바이오의약품TF팀

첨단바이오의약품 안전 관리에 대한 종합적인 계획을 수립하고, 관련 법령 제정·개정 및 제도 개선과 동시에 예산을 총괄

#### 식품의약품안전평가원 세포유전자치료제과

첨단바이오의약품의 품질과 안전성 및 유효성 심사를 진행 하고, 심사 기준과 규격 설정 및 운영 지원을 하는 기관

#### 한국의약품안전관리원 첨단바이오의약품 규제과학센터

첨단바이오의약품 장기추적 조사를 지원하고, 안전 정보 관리 및 연구 예산 및 용역 관리를 하는 기관

### 법상 관련 기관



#### 첨단재생의료실시기관 (재생의료기관)

보건복지부장관으로부터 승인 (「첨단재생바이오법」제10조) 받은 후, 첨단재생의료 실시를 진행하는 의료기관

#### 세포처리시설

식품의약품안전처의 승인 (「첨단재생바이오법」제15조) 받아 인체세포등을 채취하고 이를 검사 및 처리하여 첨단재생 의료실시기관에 세포를 공급 하는곳

## 용어 및 문의처

### 첨단재생의료 관련 용어

<b>첨단재생의료</b> Advanced regenerative medicine	사람의 신체 구조 또는 기능을 재생, 회복 또는 형성하거나 질병을 치료 또는 예방하기 위하여 인체세포 등을 이용하여 실시하는 세포치료, 유전자 치료, 조직공학치료, 융복합치료 (세포·조직을 생물학적 특성이 유지되는 범위에서 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등의 최소한의 조작을 통하여 시술하는 것은 제외)
<b>세포치료</b> Cell Therapy	사람 또는 동물로부터 유래한 세포를 이용하여 사람을 대상으로 하는 치료
<b>유전자치료</b> Gene Therapy	유전물질을 인체로 전달하거나 유전물질이 변형·도입된 사람 또는 동물의 세포를 인체로 전달하는 치료
<b>조직공학치료</b> Tissue engineering therapy	조직의 재생, 복원 또는 대체 등을 목적으로 사람 또는 동물로부터 유래한 세포나 조직에 공학 기술을 적용하여 사람을 대상으로 하는 치료
<b>융복합치료</b> Convergence therapy	세포치료와 유전자치료와 조직공학치료 중 둘 이상을 혼합한 치료, 세포치료와 유전자치료와 조직공학치료와 융복합치료 중 어느 하나에 해당하는 치료에 의료가기 (사람이나 동물에게 단독 또는 조합하여 사용되는 기구·기계·장치·재료·소프트웨어 또는 이와 유사한 제품)를 물리적·화학적으로 결합(융합, 복합 및 조합 등을 포함한다)한 치료
<b>고위험 치료</b> High-risk therapy	사람의 생명 및 건강에 미치는 영향이 불확실하거나 그 위험도가 큰 치료
<b>중위험 치료</b> High-risk therapy	사람의 생명 및 건강에 부정적인 영향을 미칠 우려가 있어 상당한 주의를 요하는 치료
<b>저위험 치료</b> Low-risk therapy	사람의 생명 및 건강에 미치는 영향이 잘 알려져 있고 그 위험도가 미미한 치료
<b>치료대상자</b> Patient	대체치료가 없거나 생명을 위협하는 중대한 질환, 「희귀질환관리법」 제2조 제1호에 따른 희귀질환, 그 밖에 난치질환 등을 가진 사람으로서 첨단재생의료 치료의 대상이 되는 사람
<b>줄기세포</b> Stem cells	스스로 무한히 분열하고, 다른 세포로 분화할 수 있는 능력을 가진 세포
<b>성체줄기세포</b> Adult stem cells	성체 조직으로부터 유래된 줄기세포로 뼈, 장기 등 인체 내 특정 조직으로 분화할 수 있음
<b>배아줄기세포</b> Embryonic stem cells	배반포로부터 유래된 줄기세포로 모든 조직의 세포로 분화할 수 있음
<b>유도만능줄기세포</b> Induced pluripotent stem cell(iPSC)	성체 조직으로부터 재프로그래밍 되어 만들어진 줄기세포로 배아줄기세포와 유사한 수준의 형태와 특성을 지님
<b>세포 배양</b> Cell culture	생물체로부터 분리한 세포를 분리하여 배양하는 과정
<b>유전자 교정</b> Gene editing (Genome editing)	유전체 내의 DNA 특정 부위를 인식하여 교정하는 기술
<b>유전자 도입</b> Gene transfer	유전자 또는 유전자군을 인위적으로 세포에 도입하여 해당 유전자군을 발현시키는 조작

### 문의처

