

첨단재생의료 치료 1호 승인

- 재발 위험 높은 희귀 림프종 환자 치료 승인 -
- 그간 임상연구에서 벗어나 본격적 환자치료 단계로 진입 -

보건복지부(장관 정은경)는 4월 23일(목) 가톨릭대학교 여의도성모병원이 신청한 재발 위험이 높은 희귀 림프종 완전관해* 환자 대상 치료계획이 첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회(이하 ‘심의위원회’)를 거쳐 첨단재생의료 치료제도 시행(2025년 2월) 이후 첫 ‘첨단재생의료 치료’로 적합 의결되었다고 밝혔다.

* ‘완전관해’란, 현재 검사로 확인 가능한 암의 흔적이 모두 사라진 상태임. 다만, 아직 눈에 안 보이는 미세한 암세포가 남아 있을 가능성은 있으므로 추적 관찰을 필요로 함

이번에 승인된 치료는 항암치료를 마친 후 완전관해되었으나 재발 가능성이 큰 EBV(엡스타인-바 바이러스, Epstein-Barr Virus) 양성 림프절외 NK/T세포 림프종(Extranodal Natural Killer/T cell Lymphoma, ENKL)* 환자를 대상으로 환자 본인 유래 EBV 항원 특이 면역세포(T세포)를 투여하는 첨단 재생의료 치료이다.

* ‘EBV(엡스타인-바 바이러스) 양성 림프절외 NK/T세포 림프종’이란 EBV(Epstein - Barr Virus)와 긴밀한 연관이 있으며 NK세포 기원의 비호지킨 림프종임. 이 질환은 뚜렷한 임상병리학적 특징을 가진 희귀하고 매우 공격적인 질환이며, 대부분의 ENKL 환자는 비강 내로 질환이 국한되어 있으나, 전반적인 예후가 불량하고, 적절한 치료를 위한 고위험 환자를 정확히 식별하고 예측하는 것이 어려운 경우가 많음

<제1호 승인 첨단재생의료 치료 개요>

- (치료계획명) 치료 후 재발 가능성이 높은 EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종 완전관해 환자에게 자가 면역세포치료제 VT-EBV-N을 투여하여 재발을 방지하고, 장기 생존을 유도하는 첨단재생의료 치료
 - * 투여기간: 자가유래 EBV 특이 T세포 정맥투여, 4주간 주 1회 투여 → 4주 휴약 → 4주간 주 1회 투여(총 8회, 12주)
- (실시기관) 가톨릭대학교 여의도성모병원
- (실시 책임자) 혈액내과 전영우 교수
- (대상질환) 완전관해 상태의 혈액암(EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종)
- (대상자수) 15명
- (치료실시 기간) 산업융합 규제특례심의위원회 의결·통보 후 2년(연장가능)
- (치료비용) 76,207,178원
 - * 치료 시 4,000만 원 납부, 이후 5년 이내 재발하지 않을 시 3,000만 원 추가 납부, 단 치료 후 5년 이내 재발 시 비용 전액 환불

해당 질환은 항암화학요법과 방사선 치료 등 다양한 치료가 시행되고 있지만 치료 후 재발률이 높고, 재발 후 사망 위험이 크게 증가한다. 따라서 재발을 효과적으로 억제하고 장기 무병 생존율을 높일 수 있는 새로운 치료법 개발이 절실한 상황이다.

림프절외 NK/T세포 림프종은 EBV와 밀접한 관련이 있는 것으로 알려져 있다. 이에 따라 이번 치료는 표준치료 이후에도 재발 위험이 높은 림프종(ENKL) 환자에게 EBV 특이 면역세포를 투여해 남아 있을 수 있는 암세포를 제거하고, 재발을 억제하며 생존율을 높이기 위하여 제공된다.

< 안내사항 >

첨단재생의료 치료란 의료법 제12조에 따른 의료행위가 이루어지는 과정에서 첨단재생医료를 이용하는 치료로서, 신의료기술평가를 통해 안전성·유효성을 검증받은 의료기술 또는 의약품 품목허가를 통해 효능을 입증한 의약품이 아닙니다.

해당 치료는 사람의 생명 및 건강에 부정적인 영향을 미칠 우려가 있어 상당한 주의를 요하는 치료(첨단재생바이오법 제2조제5호나목, 이하 ‘중위험 치료’)입니다. 따라서 재생의료기관은 동일한 목적 및 내용의 첨단재생의료 임상연구가 사전에 실시되어 완료된 경우에만 치료계획을 작성하여 심의위원회에 제출할 수 있습니다.(첨단재생바이오법 제12조의조제2항)

한편, 이번에 승인된 치료 제1호는 **상업용 임상시험 결과를 기반으로 첨단재생의료 치료계획 심의 신청이 가능하도록 특례를 부여한 기획형 규제 샌드박스***를 통해 신청된 사례이다. 이번 건은 임상 2상** 시험 결과를 기반으로 치료계획을 작성하여 제출하였으며, 심의위원회의 적합 의결 이후, 산업융합 규제특례심의위원회(위원장: 산업부장관)에 상정되어 규제특례 부여 여부 논의 후 치료가 실시될 예정***이다.

* 정부가 과제를 선제적으로 제안하고 사업자 모집을 통해 기업이 신청하면 특례를 허용하는 top-down 방식의 규제샌드박스

** (임상 2상) 신약 후보물질의 유효성과 안전성을 평가하고 적정 용량·용법을 설정하기 위한 임상시험

*** 과제 선정('25.7월) → 치료계획 심의위원회 사무국 제출·접수('25.11월) → 심의위원회 1차 심의('26.1월) → 5차 심의·적합의결('26.4월) → 규제특례심의위원회 심의

<선행 임상시험 개요>

- (임상시험명) 완전관해 상태의 EBV 양성 림프절외 NK/T세포 림프종 환자를 대상으로 VT-EBV-N 관해 후 치료의 유효성 및 안전성을 평가하기 위한 제2상 임상시험
- (수행기관) 가톨릭대학교 여의도성모병원(치료계획 동일 기관)
- (임상시험 기간 및 대상자수) 2017년 ~ 2025년, 48명

동 건의 치료 비용과 관련하여, 투여용 인체세포의 채취·처리 및 투여 행위 등 첨단재생의료 치료에 직접적으로 소요되는 비용은 비급여로 적용되나, 림프종을 치료하는 과정에서 발생하는 검사료, 진료비 등은 통상적인 요양급여 기준에 따라 국민건강보험 적용이 가능하다.

김현숙 첨단의료지원관은 “제1호 첨단재생의료 치료 승인으로 재발 위험성이 높은 희귀 림프종 환자에게 새로운 치료 기회를 제공할 수 있을 것으로 기대된다” 라며 “이번 치료 1호 승인은 첨단재생의료 치료제도가 의료 현장에서 시작됐다는 점에서 의미가 크며, 앞으로도 미충족 의료수요에 대응하기 위하여 첨단재생의료 치료가 원활히 실시될 수 있도록 제도개선 등 지원을 강화해 나가겠다” 라고 밝혔다.

<붙임> 첨단재생의료 치료비용 관련 Q&A

담당 부서	첨단의료지원관 재생의료정책과	책임자	과 장	이준미 (044-202-2880)
		담당자	사무관	양대형 (044-202-2882)
담당 부서	첨단재생의료 및 첨단바이오의약품 심의위원회 사무국	책임자	사무국장	김현철 (02-6456-8400)
		담당자	사무관	김수원 (02-6456-8412)



연번	질의	답변
1	건강보험요양급여규칙 별표2에 따라 비급여가 적용되는 첨단재생의료 치료의 범위는 무엇인지?	<ul style="list-style-type: none"> ○ 첨단재생바이오법 제2조제5호에 따른 첨단재생의료 치료는 인체세포등 채취·처리 및 투여행위 등 직접적인 비용에 한함
2	첨단재생의료 치료계획에 대한 심의 시 치료비용에 대해서도 심의가 이루어지는지?	<ul style="list-style-type: none"> ○ 첨단재생바이오법 시행령 제16조제3항제4호에 따라 심의위원회는 치료계획 심의 시 치료비용의 적정성을 고려해야 함 <ul style="list-style-type: none"> - 치료비용의 적정성은 첨단재생바이오법 제14조제3항제4호에 따라 유사한 목적과 내용으로 실시된 국내외 치료비용 수준을 고려하여 판단함
3	첨단재생의료 치료를 받는 환자에게 첨단재생의료 치료 범위 외에 시행한 치료는 요양급여를 청구할 수 있는지?	<ul style="list-style-type: none"> ○ 첨단재생의료 치료 외에 시행한 치료는 통상적인 요양급여기준에 해당되는 경우, 국민건강보험 청구가 가능함 <ul style="list-style-type: none"> - 통상적 요양급여란 건강보험에서 급여로 제공하는 항목 및 서비스 등을 포함하는 치료과정에서 제공되는 진료 관련 비용을 의미하며, - 「요양급여의 적용기준 및 방법에 관한 세부사항」 등 관련 고시에 따름 ○ 첨단재생의료치료 도중에 발생한 부작용 치료에 대해 통상적인 요양급여 기준 범위 내에서 적용 가능함