

2025.04

Vol.04

글로벌 시장동향보고서

세포·유전자 치료
(Cell and Gene Therapy)





본 보고서는 과학기술정보통신부에서 시행하는 연구개발지원단 육성·지원사업의 일환으로 과학기술정보통신부와 서울특별시의 지원을 받아 서울연구개발지원단(서울테크노파크 전략기획팀)에서 작성한 연구보고서입니다.

본 보고서는 글로벌 시장정보 전문업체에서 제공되는 내용을 기반으로 작성된 보고서로 서울연구개발지원단의 공식적 견해는 아님을 알려드립니다.

본 보고서는 서울과학기술정보시스템(<https://www.stis.or.kr/>)에서 다운로드 가능하며, 본 보고서의 내용을 인용할 경우 출처를 명시하여 주시기 바랍니다.



글로벌 시장동향보고서



세포·유전자 치료 (Cell and Gene Therapy)

목차

1. 개요

- 1.1 세포·유전자치료제 정의 02
- 1.2 세포·유전자치료제 특징 04

2. 시장 생태계 및 규모

- 2.1 시장생태계 06
- 2.2 글로벌 시장 규모 현황 및 전망 07
- 2.3 기업 거래 및 창업 자금 조달 현황 12

3. 승인 및 파이프라인 현황

- 3.1 승인 현황 15
- 3.2 파이프라인 현황 19

4. 주요 기업

- 4.1 상위 23개 기업 21
- 4.2 주요 스타트업 23

1. 개요

1.1. 세포·유전자치료제 정의

▶▶ 세포·유전자 치료제(Cell and Gene Therapy, CGT)는 유전물질이나 유전물질이 변형·도입된 사람 또는 동물의 세포를 인체로 전달하는 치료

- 면역·줄기세포 기반의 세포치료제(Cell therapy)부터 유전자치료제(Gene Therapy)를 포함하는 개념으로, 유전자 변형 세포치료제(Gene modified cell therapy), 유전자 교정 세포치료제, RNA 치료제, 항암 바이러스 치료제 등이 세포·유전자 치료제에 속함

〈표 1〉 유전자·세포 치료제 분류

구분	내용
세포치료제 (Cell therapy)	<ul style="list-style-type: none"> • 세포의 생물학적 특성을 변화시키는 등의 일련의 행위를 통해 치료, 진단 및 예방의 목적으로 사용되는 의약품 • CAR-T, NK cell, DCs, TCR-T cell 등
유전자치료제 (Gene therapy)	<ul style="list-style-type: none"> • 정상 유전자 및 치료 유전자를 환자의 세포 안으로 이입시켜 결손 유전자를 교정하거나 세포에 새로운 기능을 추가하여 유전자 결함을 치료 또는 예방할 목적으로 제조된 의약품 • AAV, Lentivirus, Adenovirus vector 등
RNA 치료제 (RNA therapeutics)	<ul style="list-style-type: none"> • 표적 유전자로부터 질병을 유도하는 단백질 생성 과정을 억제하면서 약의 효능을 나타내는 새로운 플랫폼 • siRNA, ASO 등
항암 바이러스 (Oncolytic virus)	<ul style="list-style-type: none"> • 야생형 혹은 약독화된 바이러스를 그대로 사용하거나 치료 유전자를 탑재해 암 치료에 사용하는 바이러스 • 유전자치료제로 구분하기도 하나, 최초 FDA 승인 유전자치료제로 인용되는 임리직(Imlygic)도 FDA는 항암 바이러스 치료제로 분류

출처 : 김용민 외(2021)

▶▶ 세포 치료제는 공여 세포와 수혜 대상의 종의 일치여부, 세포의 종류 등에 따라 구분

- 공여 세포와 수혜 대상의 종의 일치 여부에 따라 자가(autologus), 동종(allogenic), 이종(xenogenic)으로 구분
- 세포의 종류에 따라 줄기세포(Stem cell), 체세포(Somatic cell), 면역세포(Immune cell)로 구분

〈표 2〉 유전자·세포 치료제 분류

구분	내용
줄기세포 (Stem cell)	• 배아줄기세포(Embryonic stem cell), 성체줄기세포(Adults stem cell), 중간엽줄기세포(Mesenchymal stem cell), 조혈모줄기세포(Hematopoietic stem cell), 신경줄기세포 (Neural stem cell), 유도만능줄기세포 (Induced pluripotent stem cell) 등
체세포 (Somatic cell)	• 이자 베타 세포(β -islet cell), 연골세포(Chondrocyte), 상피세포(Epithelial cell) 등
면역세포 (Immune cell)	• NK세포(Natural Killer cell), T세포(T-cell), B세포(B-cell), 수지상 세포(Dendritic cell), 대식세포(Macrophage) 등

출처 : 김서희 외(2023.06)

유전자 치료제는 유전병과 같이 특정 유전자의 결손으로 야기되는 질환의 경우 정상 유전자를 치료 유전자로 이용하며, 치료를 위한 유전물질 전달 시 바이러스 사용 여부에 따라 바이러스성 벡터와 비-바이러스성 벡터로 구분

- 치료 대상 질환에 따라 암유전자(Oncogene), 종양억제유전자(Tumor Suppressor Gene), 약제내성유전자(Drug Resistance Gene), 약제감수성유전자 혹은 자살유전자(Drug Sensitivity Gene, Suicide Gene), 종양면역에 관여하는 유전자 등을 치료 유전자로 이용

〈표 3〉 바이러스성 유/무에 따른 운반체(vector)의 종류

구분	내용
바이러스성 벡터	• 유전자 전달 효능이 높지만 전달가능한 유전자 크기가 제한 되어 있으며 벡터의 기원이 병원성 바이러스이므로 안전성 등 다양한 문제점 내포
비-바이러스성 벡터	• 바이러스 유전물질이 인체 세포 안으로 유입될 소지가 없을 뿐만 아니라 도입하는 유전자 크기에 제한이 없고 별다른 부작용 없이 인체를 대상으로 투여가능 • 그러나 도입효율이 바이러스 벡터에 비해 1/1,000~1/100,000 수준으로 낮으며 도입된 유전자의 발현이 지속되지 않고 일시적

출처 : 김서희 외(2023.06)

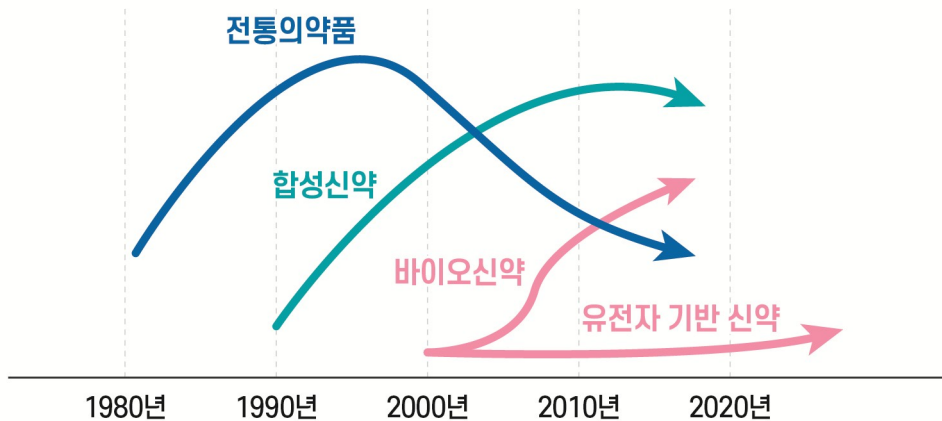
▶▶ 치료를 위하여 생체 외(Ex vivo)에서 세포에 유전자 변형을 유도하여 환자에 이식시키는 유전자 변형 세포치료제도 존재

- 운반체(Vector)를 활용하여 체외에서 치료 유전자를 세포에 도입·배양 후 체내로 주입
- 생체 외 전달 방법은 바이러스성 벡터에 대한 면역반응을 최소화하고 환자에 주입하기 전 형질 전환된 세포를 체외에서 확인 가능
- 대표적인 유전자 변형 세포치료제로 ‘김리아(Kymriah)*’가 있으며, 예스카타(Yescarta), 진테글로(Zynteglo), 테카투스(Tecartus), 림브멜디(Limbmeldy), 브레안지(Breyanzi) 등의 제품군이 이에 속함

* 최초의 CAR-T세포 기반 치료제 ‘김리아’는 환자 또는 건강한 기증자로부터 채집한 T-세포에 바이러스 벡터를 활용하여 암세포 특이적 키메라 항원 수용체(Chimeric Antigen Receptor, CAR)를 주입하여 배양 및 제조, 제조된 CAR-T는 환자에게 주입되어 암세포에서 특이적으로 발현하는 항원을 표적으로 하여 T세포 및 면역반응을 유도

1.2. 세포·유전자치료제 특징

▶▶ 차세대 의약품 시장은 기술 발전으로 기존의 화학 의약품에서 바이오 의약품으로 빠르게 패러다임이 전환되고 있으며, 그중에서도 세포·유전자치료 기술의 발전이 주목



출처 : IBM Business Consulting (2023)

[그림 1] 시대별 의약품의 패러다임 전환

- 기존 항체의약품이 바이오의약품 시장을 견인해 왔으나 큰 분자량에 따른 세포 내부 표적의 한계에 따라, 최근 유전자 수준에서 병인을 편집·교정할 수 있는 새로운 치료법으로 세포·유전자치료제가 주목

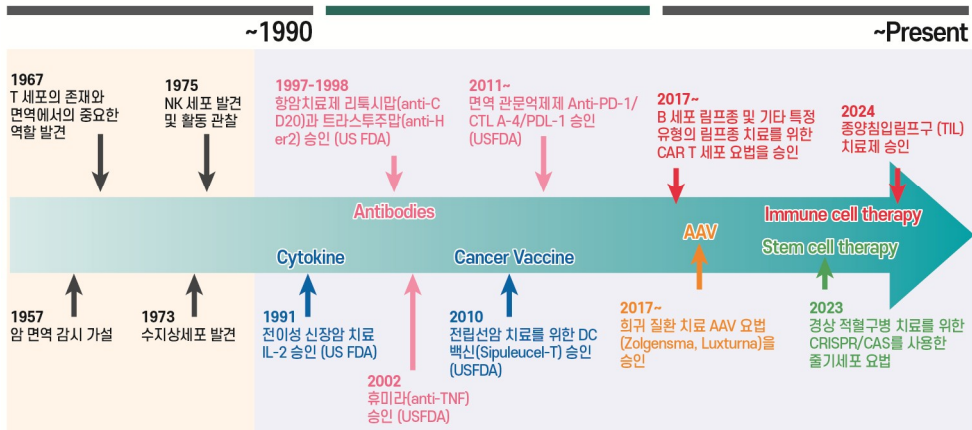
〈표 4〉 바이오의약품 시대별 변천사

구분	1세대	2세대	3세대
종류	백신, 인슐린, 인터페론	항체의약품	세포치료제 유전자치료제
기술	유전자재조합기술 세포(동물)배양 기술	유전자재조합 기술 단클론항체(표적치료)	세포배양 및 조작 유전자조작 기술

출처 : 김서희 외(2023.06), 글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망, BioIndustry, No.182

- 바이오의약품 산업은 1990년대 초부터 급격히 성장하기 시작했으며, 이 시기에는 항체와 재조합 단백질 기반의 면역치료제가 미국 식품의약품(FDA)의 승인을 받고 시장에 출시
- 특히, 프로류킨(Proleukin)과 같이 인터류킨-2(IL-2)를 이용한 재조합 단백질이나, 백혈구 감소증을 치료하는 류코맥스(Leukomax)와 같은 의약품이 개발되면서 생체 내 존재하는 단백질을 체외에서 합성하고 이를 의약품으로 활용하는 길이 열림
- 이러한 초기 성공 사례는 다른 제약사들에게도 큰 영감을 주었고, 항체 기반 치료제 개발에 대한 투자가 확대되었다. 항암 치료제로 유명한 허셉틴(Herceptin)과 리톡산(Rituxan)은 암세포의 특정 표지를 타겟으로 하여 큰 성공을 거두었고, 이는 이후의 바이오의약품 개발에 대한 투자 확대로 이어짐
- 2024년 현재, 키트루다(anti-PD-1), 휴미라(anti-TNF), 삭센다·위고비(GLP-1)와 같은 의약품들이 전 세계 바이오의약품 시장을 주도

바이오 의약품 개발 역사



출처 : 서형석(2024.07)

[그림 2] 바이오 의약품 개발 역사

▶▶ 세포·유전자치료제의 개발은 기존의 Small molecule, 단백질·항체 의약품으로는 접근하지 못했던 질병의 영역까지 단순한 증상 완화를 넘어 이론적으로는 완치의 영역까지 이르게 할 수 있음

- 유전자치료제는 기본적으로 유전자를 타겟하여 변이된 유전자를 교정하거나, 정상유전자를 투여하거나, 체내 면역시스템을 활성화시키는 백신의 개념으로 사용되고 있음
- 주로 유전적 질환, 암, 특정 만성 질환 등의 치료에 사용되며, 기존의 치료방법으로는 해결하기 어려운 질병들을 대상으로 개발되고 있거나, 상용화된 제품들이 출현
- 다만 아직까지 높은 생산 비용으로 인한 수억에서 수십억에 달하는 약가, 개별 맞춤형으로 생산되어야 하는 문제 등으로 인한 생산효율 등의 이슈가 존재
- 또한 항체·단백질 치료제와 비교했을 때 막대한 개발비 대비 매출로 인한 영업이익이 높지는 않을 것으로 예상되기 때문에 기존 제약사들의 투자 역시 망설이게 되는 현실적인 문제들이 존재

▶ 2. 시장 생태계 및 규모

2.1. 시장생태계

▶▶ 세포·유전자 치료제가 환자에게 활용되기까지는 다양한 이해관계자들로 구성된 밸류 체인(value chain)을 거치며, 다양한 비즈니스 모델이 형성되어 있음

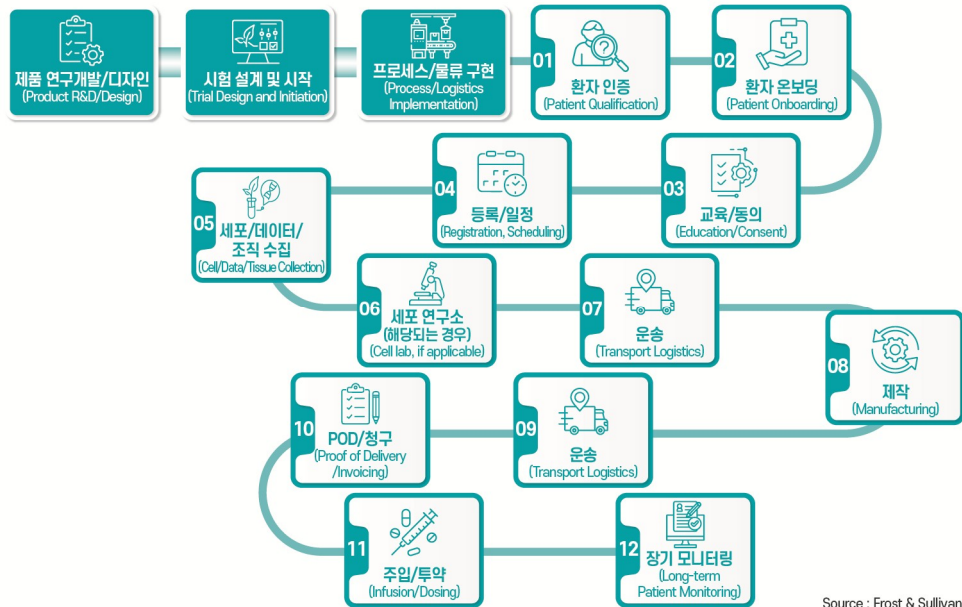
- 시장생태계 내에는 학술기관, 기술개발사, 제약투자사, 세포주 및 원료물질회사, 분석시험 회사, 계약제조사, 자동화 및 디지털 툴 개발사, 유통사 등이 밸류체인을 형성하며 이해 관계를 이루고 있음



출처 : 김서희 외(2023.06), 글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망, BioIndustry, No.182

[그림 3] 세포·유전자치료제 시장생태계 내 이해관계자

- 제품의 특성으로 인하여 개발 및 제조 공정이 복잡하고 환자에게 도달하기까지 많은 단계를 거치게 되는데, 이는 환자의 치료 적합성 판단 후 환자에서 세포를 추출, 활용 가능한 세포를 수집하고 제약사로 이송되어 수용체를 삽입하거나 유전자를 수정하는 등의 과정을 포함하며, 제조 공정을 거쳐 환자 맞춤형 치료제가 제작되면 다시 병원으로 전달되어 환자에게 주입되며, 주입 후에는 지속적인 모니터링이 필요



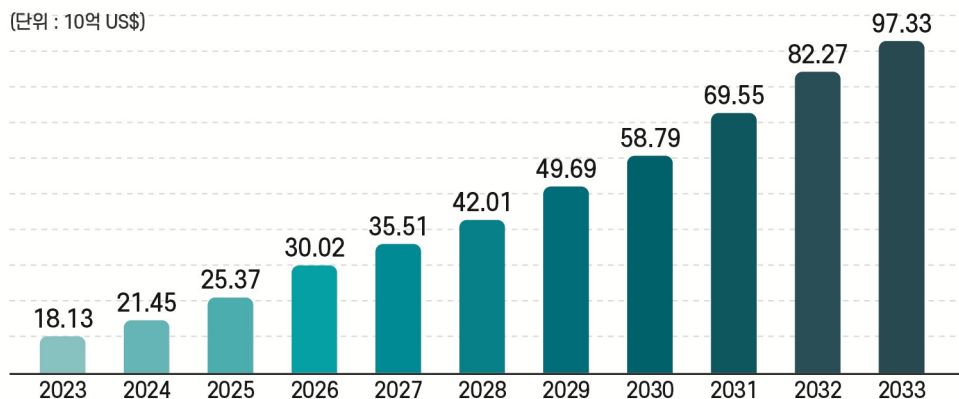
Source : Frost & Sullivan

출처 : 김서희 외(2023.06), 글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망, BioIndustry, No.182

[그림 4] 세포·유전자치료제 개발 및 활용 과정

2.2. 글로벌 시장 규모 현황 및 전망

▶▶ 글로벌 세포 및 유전자 치료 시장 규모는 2023년에 181억 3천만 달러로 추산되었으며, 2024년에서 2033년까지 예측 기간 동안 18.3%의 CAGR로 성장하여 2033년까지 약 973억 3천만 달러에 도달할 것으로 예상



출처 : Nova one Advisor (2024.04)

[그림 5] 글로벌 세포·유전자치료 시장 규모 (2023~2033)

- 북미 세포·유전자 치료 시장 규모는 2023년에 86억 7천만 달러에 달하며 2023년 매출 점유율의 50.85% 이상을 차지했으며, 이 지역에서는 400개가 넘는 기업이 다양한 질환에 대한 세포 및 유전자 치료법 개발에 적극적으로 참여하고 있어 2033년까지 약 452억 4천만 달러로 확대될 것으로 예상
- 유럽 세포·유전자 치료 시장 규모는 2023년에 62억 4천만 달러에 도달했으며, Horizon 2021 이니셔티브에 따라 유럽 전역에서 수많은 새로운 협력 연구 및 혁신 이니셔티브가 시작되어 유럽 전역에서 세포·유전자 치료 제조 서비스의 성장이 가속화될 것으로 예상되며, 2033년까지 약 300억 4천만 달러에 도달할 것으로 예상
- 아시아 태평양 지역의 세포·유전자 치료 시장 규모는 2023년에 24억 4천만 달러에 달했으며, 2033년까지 약 151억 2천만 달러를 돌파할 것으로 예상
- 치료 유형별(Therapy Type)로 구분했을 때 세포 치료와 유전자 치료는 이 분야의 두 가지 주요 제품 범주로, 유전자 치료 부문은 2023년에 14.37%의 매출 점유율을 차지했으며, 세포 치료 부문은 2023년에 87.13%의 매출 점유율을 차지

〈표 5〉 치료 유형별 세포·유전자 치료 시장 수익

(단위: 백만 달러)

구분	2022	2023	2027	2031	2032
세포 치료 (Cell Therapy)	13,396	15,621	29,434	57,138	67,758
유전자 치료 (Gene Therapy)	2,068	2,502	5,406	11,864	14,481

출처 : Nova one Advisor (2024.04)

- 시장은 유전자의 운반 방법(Delivery Method)에 따라 체내(In Vivo)와 체외(Ex Vivo)로 구분되며 In vivo 치료 시장은 예상 기간 동안 기하급수적으로 성장할 것으로 예상

〈표 6〉 운반 방법별 세포·유전자 치료 시장 수익

(단위: 백만 달러)

구분	2022	2023	2027	2031	2032
생체 내 (In Vivo)	12,222	14,353	27,812	55,526	66,309
생체 외 (Ex Vivo)	3,242	3,771	7,028	13,477	15,929

출처 : Nova one Advisor (2024.04)

- 질환별(Therapeutic class)로는 심혈관 질환, 암, 유전적 질환, 희귀질환, 종양학, 혈액학, 안과, 감염성 질환, 신경계 질환 등으로 구분될 수 있으며, 감염성 질환 부문이 2023년 시장에서 가장 많은 비율을 차지하였으며, 종양학적 질환 부문은 2023년 13.53%의 매출 점유율을 차지

〈표 7〉 질환별 세포·유전자 치료 시장 수익

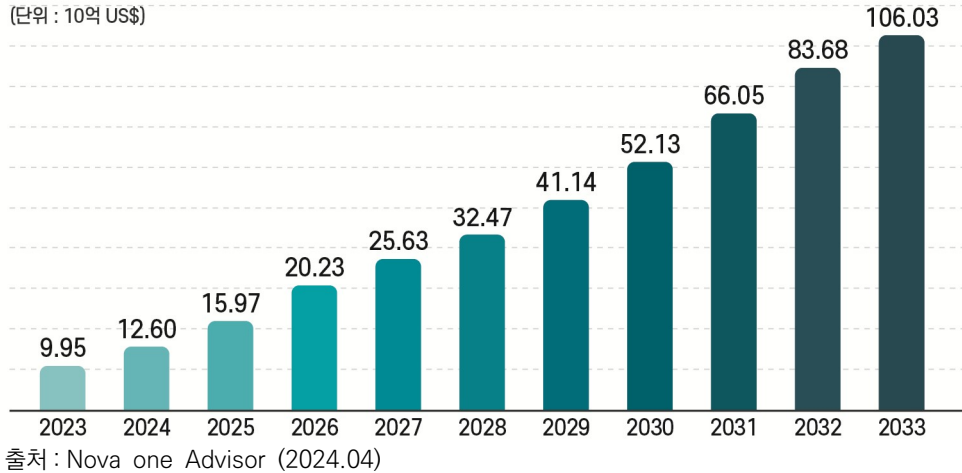
(단위: 백만 달러)

구분	2022	2023	2027	2031	2032
심혈관 질환 (Cardiovascular Disease)	744.4	882.8	1,780.1	3,697.8	4,460.0
유전적 질환 (Genetic Disorder)	1,643.4	1,922.2	3,665.7	7,202.2	8,566.5
종양학 (Oncology)	1,936.9	2,272.3	4,385.6	8,720.7	10,403.8
혈액학 (Hematology)	1,196.6	1,396.8	2,642.3	5,150.1	6,113.4
안과학 (Ophthalmology)	835.6	972.5	1,817.6	3,500.2	4,142.3
감염성 질환 (Infectious Disease)	4,420.2	5,206.3	10,210.1	20,629.0	24,708.9
신경계 질환 (Neurological Disorders)	658.6	777.3	1,536.5	3,129.2	3,755.6
기타 (Others)	4,028.4	4,693.5	8,802.2	16,973.4	20,087.7

출처 : Nova one Advisor (2024.04)

▶▶ 글로벌 세포·유전자 치료 제조 시장 규모는 2023년에 99억 5천만 달러로 평가되었으며, 2033년에는 약 1,060억 3천만 달러 규모에 달할 것으로 예상

- 글로벌 세포·유전자 치료 제조 시장(cell and gene therapy manufacturing market)은 2024년부터 2033년까지 연평균 성장률 26.7%로 성장하여 이 기간동안 10배 이상의 시장 규모로 증가할 것으로 예측됨

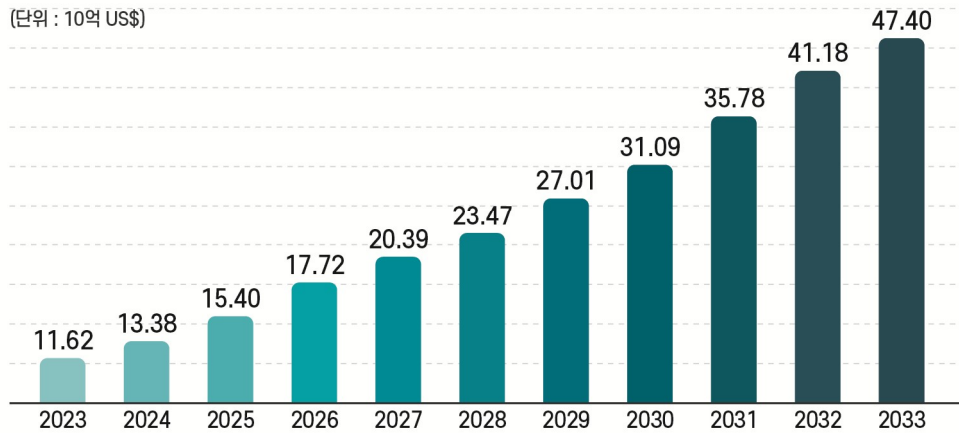


[그림 6] 글로벌 세포·유전자치료 제조 시장 규모 (2023~2033)

- 북미(North America)는 2023년에 48.32%로 글로벌 세포·유전자 치료 제조 시장에서 가장 높은 매출 점유율을 차지
- 2023년에 21.11%의 매출 점유율을 차지한 아시아 태평양 지역은 가속화된 승인 경로 확립, 의료 수요의 증가, 민간 및 정부 투자의 확대 등에 따라 세포 및 유전자 치료 제조에 있어 2023년부터 2030년까지 빠르게 성장하는 시장이 될 것으로 예상
- 세포 치료제 제조 부문은 2023년 60.19%의 매출 점유율을 보였으며, CAR-T 세포 치료제와 기타 세포 기반 치료제에 초점을 맞춘 360건 이상의 임상 시험이 다양한 질병 징후를 치료하는 이러한 치료제의 잠재력을 파악하기 위해 연구되고 있어 향후 몇 년 동안 고급 치료제 제조 서비스에 대한 수요가 증가할 것으로 예상
- 사전 상업화/R&D 규모 제조(pre-commercial/R&D scale manufacturing) 부문은 2023년에 73.34%의 상당한 매출 점유율을 차지했으며, 유전자 및 세포 치료의 강력하고 지속적으로 성장하는 파이프라인과 투자 증가와 같은 특정 요인은 부문 성장에 긍정적인 영향을 미칠 것으로 예상
- 계약 제조 모드(contract manufacturing mode) 부문은 2023년에 67.13%로 가장 높은 매출 점유율을 기록했으며, 세포 및 유전자 치료에 대한 수요가 증가함에 따라 제조 용량 부족으로 인해 계약 제조 서비스 제공업체에 성장 기회가 창출되고 있음
- 세포 특성화, 세포 분리, 세포 배양 배지 최적화, 불순물 제거 및 확장과 같은 모든 프로세스 요소에 적용할 수 있는 프로세스 개발 부문은 2023년에 17.57%의 상당한 매출 점유율을 차지했으며, 벡터 개발 부문은 예측 기간 동안 가장 빠른 CAGR을 기록할 것으로 추정

▶▶ 글로벌 세포·유전자 치료 임상 시험 시장 규모는 2023년에 99억 5천만 달러로 평가 되었으며, 2033년에는 약 1,060억 3천만 달러 규모에 달할 것으로 예상

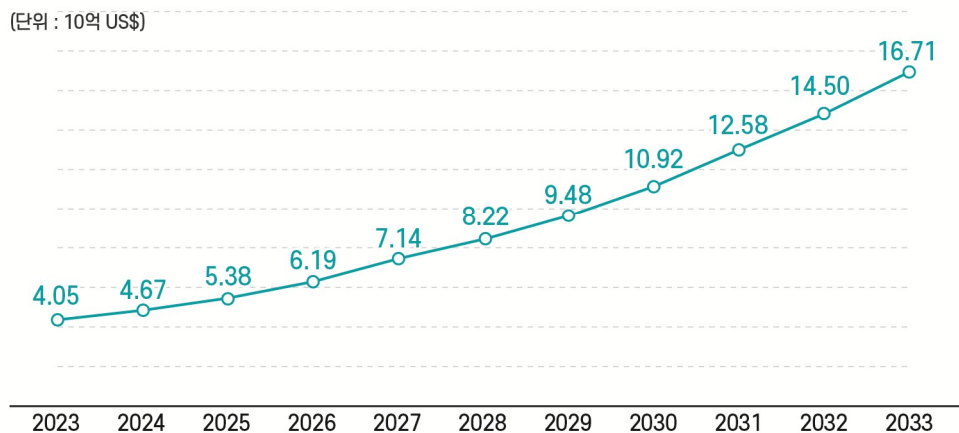
- 글로벌 세포·유전자 치료 임상 시험 시장((Clinical Trials Market))은 2024년부터 2033년 까지 연평균 성장률 26.7%로 성장하여 이 기간동안 10배 이상의 시장 규모로 증가할 것으로 예측됨



출처 : Nova one Advisor (2024.03)

[그림 7] 글로벌 세포·유전자치료 임상 시험 시장 규모 (2023~2033)

- 미국 세포 및 유전자 치료 임상 시험 시장 규모는 2023년에 40억 5천만 달러에 달했으며, 2024년에서 2033년까지 연평균 성장률은 15.23%로 성장하여 2033년까지 약 167억 1천만 달러 규모로 성장할 것으로 예상



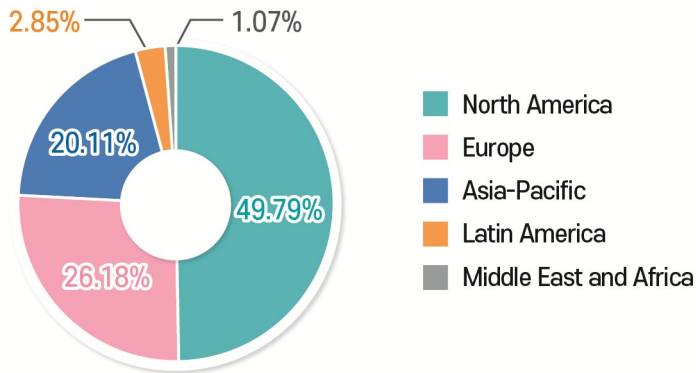
출처 : Nova one Advisor (2024.03)

[그림 8] 미국 세포·유전자치료 임상 시험 시장 규모 (2023~2033)

- 북미는 2023년 글로벌 매출의 49.76%로 가장 큰 점유율을 차지했으며 미국의 유리한 규제 환경* 덕분에 예측 기간 동안 선두를 유지할 것으로 예상

* 미국 FDA는 스폰서와의 조기 및 꾸준한 참여와 함께 세포·유전자치료에 대한 협력적 규제 절차를 수립하고 있으며, 세포·유전자치료에 유용한 특별 규제 지정도 있으며, 미국 FDA는 CGT에 대한 희귀의약품 지위, 혁신적 지정, 가속 승인 및 재생의학 고급 치료(Regenerative Medicine Advanced Therapy, RMAT)를 지정하여 승인 절차를 신속하게 진행 중

- 아시아 태평양 지역은 예측 기간 동안 가장 빠른 CAGR 15.7%로 확장될 것으로 예상되고 있으며, 아시아 태평양 지역의 생명공학 기업이 점점 더 재생 치료에 특화되고 있고, 태국, 싱가포르, 인도와 같은 의료 관광 센터가 꾸준히 성장함에 따라 이 지역은 세포 연구 및 치료의 중심지로서의 자리를 유지할 것으로 예상

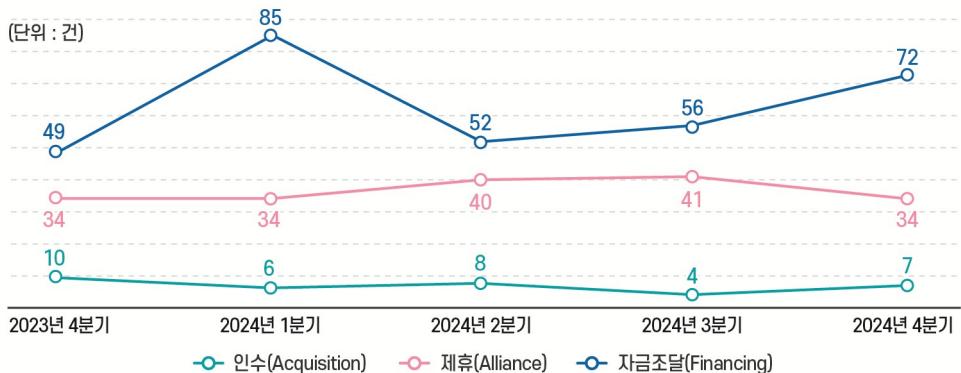


출처 : Nova one Advisor (2024.03)

[그림 9] 지역별 세포·유전자치료 임상 시험 시장 규모 (2023)

2.3. 기업 거래 및 창업 자금 조달 현황

▶▶ 2024년 4분기의 유전자, 세포 및 RNA 치료 분야에서의 거래는 총 113건으로, 전분기 101건에 비해 12% 증가하였으며 2023년 4분기의 93건에 비해 22% 증가



출처 : American Society of Gene & Cell Therapy. (2025)

[그림 10] 세포·유전자치료 분야 유형별 총 거래 수 (최근 5분기)

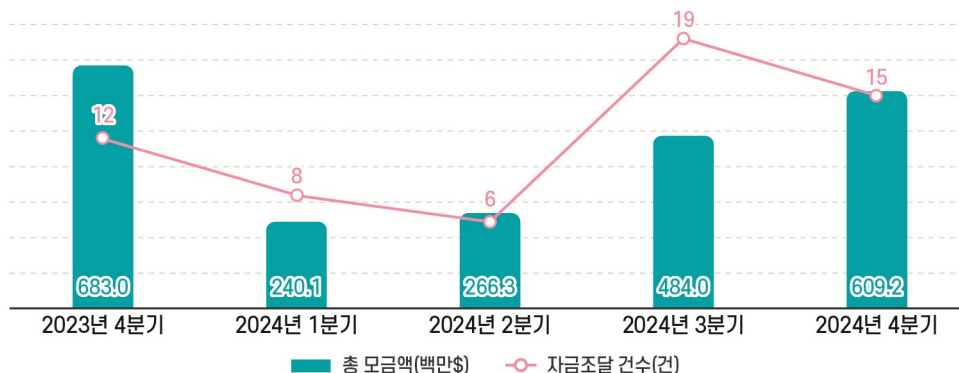
- 2024년 4분기의 증가는 주로 자금 조달(Financing)거래로, 3분기의 56건에서 4분기의 72건으로 급증했으며, 제휴(Alliance) 규모는 34개 파트너십으로 3분기 41건에 비해 17% 감소
- 2024년 4분기에 인수(Acquisition)는 4건에서 7건으로 다소 증가한 추세를 보였으며, Novartis는 Kate Therapeutics와 해당 DELIVER(Directed Evolution of AAV Capsid Leveraging In Vivo Expression of Transgene RNA) 엔지니어링 플랫폼에 대해 최대 11억 달러의 선불금과 이정표 지급금을 지불할 예정이며, Roche는 15억 달러에 이종 CAR-T 개발업체인 Poseida Therapeutics를 인수

〈표 8〉 세포·유전자치료 분야 2024년 4분기 인수 거래 현황

거래일시	거래 내용	거래 가치 (\$)
2024.10.18	REGiMMUNE과 Kiji Therapeutics가 합병	비공개
2024.10.22	Ocuphire Pharma가 Opus Genetics 인수	비공개
2024.10.24	Lyell Immunopharma, ImmPACT Bio 인수	30,000,000
2024.11.21	Novartis가 최대 11억 달러에 Kate Therapeutics 인수	1,100,000,000
2024.11.26	Roche는 세포 치료 후보 및 관련 플랫폼 기술을 포함하여 이종 CAR-T 개발업체인 Poseida Therapeutics를 인수	1,500,000,000
2024.12.02	NKGen, NKMax 인수를 위한 스톡킹 호스 입찰자로 선정	18,000,000
2024.12.17	Ultimovacs, Zelluna Immunotherapy와 사업 결합을 위한 계약 체결	비공개

출처: American Society of Gene & Cell Therapy. (2025)

➤ 2024년 4분기의 창업 자금 조달 건수는 15건으로 첨단 분자 치료 기업을 위한 시드 및 시리즈 A 자금 조달이 강화되어 총 6억 920만 달러가 조달



출처: American Society of Gene & Cell Therapy. (2025)

〈그림 11〉 세포·유전자치료 분야 창업 자금 조달 현황 (최근 5분기)

- 2024년 4분기 모금액은 3분기의 4억 8,400만 달러보다 26% 증가한 규모이며, 창업자금 조달 건수는 전분기 대비 21% 감소하였으나 2023년 같은 분기의 12건에 비해서는 증가

〈표 9〉 세포·유전자치료 분야 창업 자금 조달 내용 (2024년 4분기)

거래일시	거래내용	구분	회사위치	잠재적 거래가치(백만\$)
2024.10.07	Judo Bio 시리즈 A 자금 1억 달러 조달로 출시	RNAi	미국	100
2024.10.08	City Therapeutics가 시리즈 A 자금 1억 3,500만 달러 조달로 출시	RNAi	미국	135
2024.10.09	Clock.bio, 시드 라운드에서 530만 달러 확보	iPSC 치료	영국	5
2024.10.11	Somagenetix, 시리즈 A 라운드 에서 CHF10M 모금	유전자 치료	스위스	12
2024.10.15	invIOs, 시리즈 A 자금 조달에서 820만 유로 모금	개인화된 면역세포 치료	오스트리아	9
2024.10.15	Shift Bioscience, 1600만 달러 규모의 시드 투자	세포 재생용 유전자 치료	영국	16
2024.10.23	March Biosciences, 초과가입 시리즈 A 라운드에서 2,840만 달러 모금	CAR-T	미국	28
2024.10.30	Leal Therapeutics, 4500만 달러 자금 조달 라운드 마감	Antisense OT*	미국	45
2024.11.12	Trace Neuroscience, 1억 100만 달러 시리즈 A 자금 조달로 출시	Antisense OT*	미국	101
2024.11.28	셀로시아, ALS 유전자 치료를 위한 1,675만 달러 자금 확보	유전자 치료	호주	17
2024.11.25	Kanglin Biotechnology, 시리즈 A 라운드 에서 2000만 달러 모금	유전자 변형 세포치료	중국	20
2024.12.17	Akamis Bio Raises \$60M in Series A Prime Financing	유전자 치료	영국	60
2024.12.19	Portal Biotechnologies, 시드 자금으로 700만 달러 조달	유전자 편집	미국	7
2024.12.19	Tolerance Bio, 시드 펀딩 라운드에서 2,020만 달러 모금	iPSC 치료	미국	20
2024.12.23	GEMMABio, 시드 펀딩 3400만 달러 확보	유전자 치료	미국	34

OT* : Oligonucleotide

출처 : American Society of Gene & Cell Therapy. (2025)

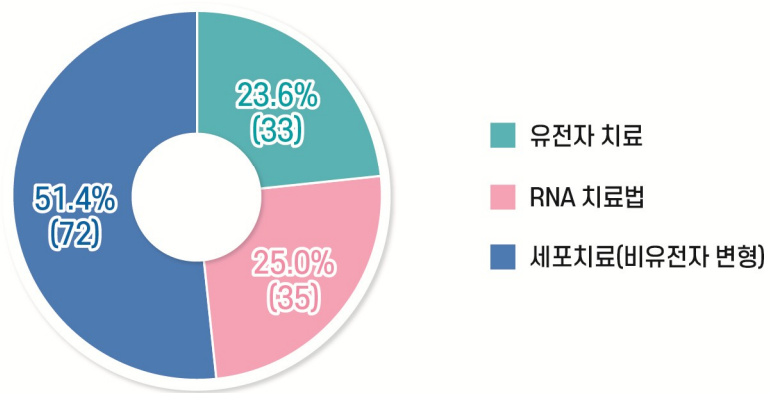
▶ 3. 승인 및 파이프라인 현황

3.1. 승인 현황

▶▶ 2024년 4분기 기준 전 세계적으로는 72개의 세포 치료, 33개의 유전자 치료법, 35개의 RNA 치료법이 승인되어 임상적으로 사용되고 있으며, 2024년 전체적으로는 새로운 유전자 치료 승인이 4건, 새로운 비유전자 변형 세포 치료 승인이 2건, 새로운 RNA 치료 승인이 3건 발생

- 2024년 4분기에 미국에서 재발 또는 내성 B세포 전구체 급성 림프구성 백혈병 성인 환자 치료를 위한 유전제로 Autolus의 자가 CD19 키메라 항원 수용체 T 세포 치료제인 AUCATZYL이 승인됨
- 2024년 4분기에 미국에서 지단백 리파아제 결핍증이 있는 성인을 대상으로 Ionis Pharmaceuticals의 TRYNGOLZA가 승인됨
- 2024년 4분기에 미국에서 혈액 및 면역 체계 장애가 있는 환자의 이식을 위해 StemCyte의 REGENECYTE가 승인됨

승인된 유전자, 세포, RNA 치료법



출처 : American Society of Gene & Cell Therapy. (2025)

[그림 12] 세포·유전자 치료제 승인 현황 (2024.4분기 기준)

▶▶ 미국 FDA 승인을 받은 다양한 세포·유전자치료제는 기존 치료법으로 해결할 수 없었던 여러 혈액암, 고형암 및 희귀질환에 대한 치료 옵션을 제공

- 2024년 8월까지 미국 FDA의 승인을 받은 세포·유전자치료제는 총 38개로, 다국적 제약사 노바티스가 2017년 CAR-T 세포·유전자치료제인 킴리아를 개발한 이후 다양한 치료제 개발과 적응증 확대가 이뤄지고 있음

〈표 10〉 미국 FDA 승인 세포·유전자치료제 (2024.08 기준)

제품명	업체명	허가일	구분	성분명	적응증
PROVENGE	Dendreon	2010.04	세포 치료제	자가 면역세포 시뮬류셀-T	전립선암
LAVIV	Fibrocell	2011.06	세포 치료제	자가 아즈피셀-T	주름개선
HEMACORD*	New York Blood Center	2011.11	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
GINTUIT	Organogenesis	2012.03	조직공학 제제	동종 피부각질세포, 섬유아세포	구강치은점막상처
HPC, CORD BLOOD*	Clinimmune Labs, University of Colorado Cord Blood Bank	2012.05	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
DUCORD, HPC CORD BLOOD*	Duke University School of Medicine	2012.10	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
ALLOCORD*	SSM Carinal Glennon Children's Medical Center	2013.05	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
HPC, CORD BLOOD-LIFE SOUTH*	LifeSouth Community Blood Centers	2013.06	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
IMLYGIC	BioVex	2015.10	유전자 치료제	OV 벡터 탈리모진 라헤르파랍벡	흑색종
HPC, CORD BLOODBLOO DWORKS*	Bloodworks	2016.01	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
CLEVECORD*	Cleveland Cord Blood Center	2016.09	세포 치료제	동종 조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들

제품명	업체명	허가일	구분	성분명	적응증	
KYMRIAHA	Novartis	2017.08	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 티사젠렉류셀	급성B세포 림프구성 백혈병, B세포 림프종, 소포성 림프종
YESCARTA	Kite Pharma	2017.10	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 약시캡타진 실로류셀	거대B세포 림프종, 미만성거대B세포 림프종, 소포성 림프종
LUXTURNA	Spark Therapeutics	2017.12	유전자 치료제	AAV 벡터	보레티진 네파보백	망막이영양증
HPC, CORD BLOOD-MD ANDERSON CORD BLOOD BANK*	MD Anderson Cord Blood Bank	2018.06	세포 치료제	동종	조혈전구세포	유전적, 후천적, 혹은 골수제거치료로 인해 조혈계에 이상이 발생한 환자들
ZOLGENSMA	Novartis Gene Therapies	2019.05	유전자 치료제	AAV 벡터	오나셈노진 아베파보백	척수성 근위축증
MACI	Vericel	2019.05	조직공학 제제	자가	연골세포	무릎연골결손
TECARTUS	Kite Pharma	2020.07	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 브렉수캡타진 오토류셀	급성 B세포 림프구성 백혈병, 외투세포 림프종
BREYANZI	Juno Therapeutics	2021.02	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 리소캡타진 마라류셀	거대B세포 림프종, 만성림프구 백혈병, 외투세포 림프종
ABECMA	Celgene	2021.03	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 이데캡타진 비클류셀	다발성골수종
STRATAGRAFT	Stratatech	2021.06	조직공학 제제	동종	각질세포, 피부섬유아세포	피부화상
RETHYMIC	Enzyvant Therapeutics	2021.08	조직공학 제제	동종	흉선조직	선천성 무흉선
CARVYKTI	Janssen Biotech	2022.02	유전자 치료제	세포	CAR-T 세포 실타캡타진 오토류셀	다발성 골수종
ZYNTEGLO	Bluebird bio	2022.08	유전자 치료제	LV	베티베글로진 오토렘셀	베타지중해서 빈혈
SKYSONA	Bluebird bio	2022.09	유전자 치료제	LV	엘리발도진 오토렘셀	부신백질 이영양증
HEMGENIX	CSL Behring	2022.11	유전자 치료제	AAV 벡터	에트라코진 데카파보백	B형 혈우병

제품명	업체명	허가일	구분	성분명	적응증	
ADSTILADRIN	Ferring Pharmaceuticals	2022.12	유전자 치료제	AAV 벡터	나도파라진 피라데노백	비근육 침습성 방광염
OMISIRGE	Gamida Cell	2023.04	세포 치료제	동종	오미두비셀	혈액암
VYJUVEK	Sarepta Therapeutics	2023.05	유전자 치료제	HSV	베레마진 게퍼파백	수포성 표피박리증
ELEVIDYS	Sarepta Therapeutics	2023.06	유전자 치료제	AAV 벡터	데란디스트로진 모세파보백	듀센 근이영양증
LANTIDRA	CellTrans	2023.06	조직공학 제제	동종	도니슬레셀	제1형 당뇨병
ROCTAVIAN	BioMarin Pharmaceutica	2023.06	유전자 치료제	AAV 벡터	발록토코진 록사파보백	A형 혈우병
CASGEVY	Vertex Pharmaceuticals	2023.12	유전자 치료제	세포	엑사겔로진 오토템셀	겸상적혈구병, 베타지중해성빈혈
LYFGENIA	Bluebird bio	2023.12	유전자 치료제	세포	로보티베그로진 오토템셀	겸상적혈구병
AMTAGVI	Iovance Biotherapeutics	2024.02	세포 치료제	세포	리필류셀	흑색종
LENMELDY	Ochard Therapeutics	2024.03	유전자 치료제	세포	아티다사진 오토템셀	이염성 백질이영양증
BEQVEZ	Pfizer	2024.04	유전자 치료제	AAV 벡터	피다나코진 엘레파보백	B형 혈우병
TECELRA	Adaptimmune Therapeutics	2024.08	유전자 치료제	세포	아피미트레스진 오토류셀	활막육종

* 미국에서는 세포·유전자치료제로 분류되지만 한국에서는 의로기술로 분류됨
출처 : 범부처재생의료기술개발사업단 (2024)

- 최근 미국 FDA의 허가를 받은 세포·유전자치료제에서 가장 획기적인 부분은 CRISPR-Cas9 최신 기술을 적용한 치료제인 카스게비의 승인과 암타그비와 테셀라와 같이 고형암 대상의 새로운 접근법의 면역세포 치료제의 등장
- 지금까지 대부분의 CAR-T세포 치료제는 혈액암에 국한되어 있었으나 전체 암의 90% 이상을 차지하는 고형암에 대해서는 기존의 CAR-T 세포치료제로는 효과적인 치료가 어렵고, 극복해야 할 과제들이 다수 존재
- 이러한 제한점들을 극복할 수 있는 종양침투림프구(TIL)와 TCR엔지니어링 T세포의 치료제 승인은 다양한 고형암 환자들을 위한 효과적인 치료제 상용화에 대한 기대감을 높이고 있음

3.2. 파이프라인 현황

- ▶▶ 2024년 1월 기준 R&D 단계 파이프라인에 따른 글로벌 치료 분야별 순위에서 유전자 치료는 3순위를 차지했으며, 지난 10년동안 관련 R&D가 지속적으로 증가
 - 유전자 치료(Gene therapy)는 2023년 2,083건에서 2,151건으로 증가하여 3.3% 성장하였으며, 순위는 3순위를 유지
 - ※ 유전자 치료와 세포 치료 분류는 상호배타적이지 않으며, 1,192개의 약물이 유전자 치료와 세포 치료 둘 다로 포함되어 세포 치료법이 아닌 유전자 치료법은 959개이며 이는 주로 체외 유전자 치료법
 - 키메라 항원 수용체를 활용한 세포치료는 2023년에 이어 10순위를 차지하였으며, 2024년 기준 활성화합물 수는 795건을 기록

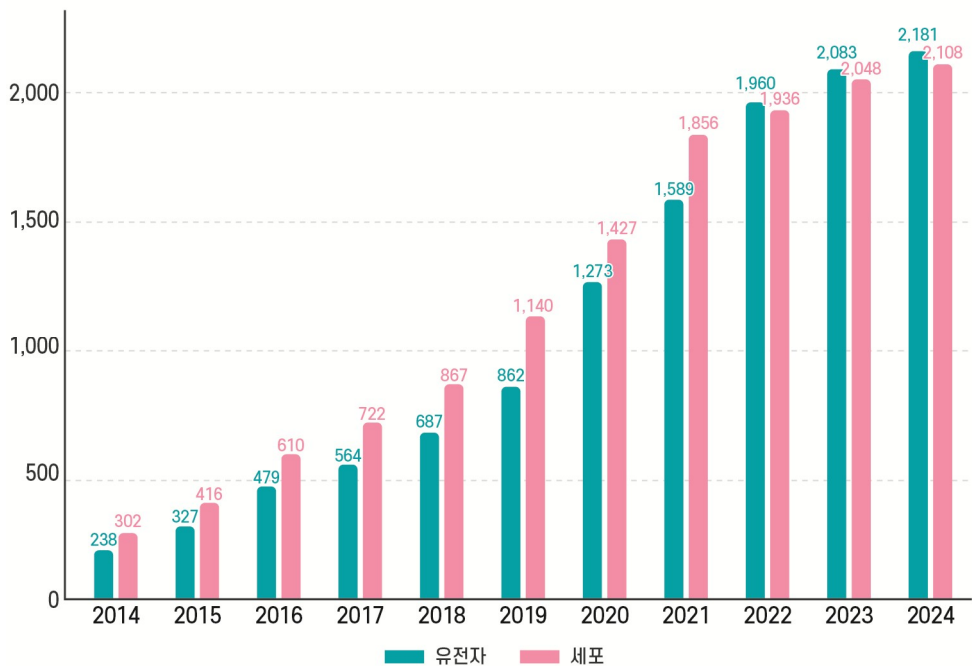
〈표 11〉 세포·유전자치료제 치료 분야별 R&D 제품 수 (2024년 기준)

2024년 순위 (2023)	치료요법	2024년 활성화합물 수 (2023)	경향
1 (1)	항암제, 면역학적 (Anticancer, immunological)	4,860 (4,492)	↑ ↑
2 (2)	항암제, 기타 (Anticancer, other)	3,935 (3,622)	↑ ↑
3 (3)	유전자 치료 (Gene therapy)	2,151 (2,083)	↔
4 (4)	단일클론 항체, 기타 (Monoclonal antibody, other)	1,595 (1,395)	↑
5 (6)	신경학적 (Neurological)	1,125 (1,045)	↔
6 (5)	예방백신, 항감염백신 (Prophylactic vaccine, anti-infective)	1,115 (1,064)	↔
7 (7)	안과, 기타 (Ophthalmological, other)	1,054 (984)	↔
8 (8)	항바이러스제, 기타 (Antiviral, other)	935 (983)	↓
9 (9)	면역억제제 (Immunosuppressant)	899 (797)	↑
10 (10)	세포치료, 키메라 항원 수용체 (Cellular therapy, chimaeric antigen receptor)	795 (792)	↔
11 (11)	항당뇨제 (Antidiabetic)	772 (747)	↔
12 (14)	근골격계 (Musculoskeletal)	767 (677)	↑
13 (12)	항염증 (Anti-inflammatory)	747 (722)	↔
14 (13)	GI 염증/장 질환 (GI inflammatory/bowel disorders)	740 (705)	↔
15 (15)	인지 강화제 (Cognition enhancer)	702 (641)	↑
16 (17)	단일클론 항체, 인간화 (Monoclonal antibody, humanized)	672 (624)	↑

2024년 순위 (2023)	치료요법	2024년 활성화합물 수 (2023)	경향
17 (16)	호흡기 (Respiratory)	654 (632)	↔
18 (18)	심혈관 (Cardiovascular)	645 (599)	↑
19 (19)	신경 보호 (Neuroprotective)	632 (595)	↔
20 (20)	간 보호 (Hepatoprotective)	618 (594)	↔
21 (21)	피부 (Dermatological)	589 (559)	↔
22 (22)	비뇨기 (Urological)	578 (519)	↑
23 (24)	항파킨슨병 (Antiparkinsonian)	570 (516)	↑
24 (32)	항체-약물 접합체 (Antibody-drug conjugate)	551 (405)	↑↑
25 (23)	진통제, 기타 (Analgesic, other)	547 (517)	↔

출처 : Citeline. (April 29, 2024)

- 유전자치료와 세포치료는 약물 개발의 주요 원동력으로 남아있으며, 관련 R&D는 지난 10년동안 지속적으로 증가하고 있음



출처 : Citeline. (April 29, 2024)

[그림 13] 유전자 및 세포 치료 R&D 제품 수 (2014~2024)



















▶ 4. 주요 기업

4.1. 상위 23개 기업 (2025년 1월 시가총액 기준)

▶▶ 시가총액 기준 주요 세포·유전자 치료 기업은 대다수 미국 기업이며, 소규모 회사 중 다수는 지난 몇 년 동안 시가총액이 감소하는 경향을 보임

- 피부과 질환을 위한 의약품을 개발하는 유전자 치료 회사인 Krystal Biotech의 시가총액이 약 52억 달러로 1순위를 차지했으며, 2순위는 스위스 유전자 편집 회사인 CRISPR Therapeutics로 약 36억 달러 시가총액을 기록

〈표 12〉 글로벌 치료 분야별 R&D 제품 수 (2025년 1월 기준)

순위	기업명	시가총액	국가
1	 Krystal Biotech	5,160	
2	 CRISPR Therapeutics	3,610	
3	 Beam Therapeutics	2,410	
4	 Intellia Therapeutics	940	
5	 Poseida Therapeutics	920	
6	 uniQure	760	
7	 MeiraGTx	610	
8	 Verve Therapeutics	530	
9	 Taysha Gene Therapies	350	

순위	기업명	시가총액	국가
10	 Benitec Biopharma	350	
11	 enGene	270	
12	 Neurogene	240	
13	 Prime Medicine	230	
14	 Korro Bio	230	
15	 Voyager Therapeutics	210	
16	 Sangamo Therapeutics	200	
17	 Editas Medicine	120	
18	 Adverum Biotechnologies	95.9	
19	 GenSight Biologics	34.8	
20	 Generation Bio	32.2	
21	 Passage Bio	24.0	
22	 AVROBIO	5.2	
23	 bluebird bio	3.8	

출처 : CompaniesMarketCap.com. (January 9, 2025)

4.2. 주요 스타트업

▶ 다양한 솔루션을 개발하는 세포·유전자치료 스타트업이 창업되고 있으며, 2024년에는 48건의 창업 자금 조달이 이뤄짐

〈표 13〉 주요 세포·유전자 치료제 스타트업 (2024년 기준)

기업명	국가	주요 분야	학술 소스	자금조달 유형/모금액	타겟 치료분야
 KENAI THERAPEUTICS		유도 다능성 줄기세포 기술을 사용한 기존 도파민 뉴런 대체 요법	n/a	시리즈A / \$82M	파킨슨병
 TRIX BIO		1형 조절 T세포 치료법	Stanford Univ.	시리즈A / \$75M	자가면역 및 염증성 질환
 ASGARD THERAPEUTICS		항원 제시 수지상 세포로 암세포를 생체 내 재프로그래밍하기 위한 유전자 치료	Coimbra Univ.; Lund Univ	시리즈A / \$32.8M	종양학
 NVELOP therapeutics		유전자 편집을 위한 생체 내 전달을 가능하게 하는 모듈형 비바이러스 벡터	Broad Institute; Massachusetts General Hospital	시드 / \$100M	공개되지 않음
 ESILIO		mRNA 중간체를 활용한 유전자 삽입	n/a	시리즈A / \$82M	공개되지 않음
 Latus		새로운 아데노 관련 바이러스 캡시드 변형을 통해 전달되는 유전자 치료법	Children's Hospital of Philadelphia	시리즈A / \$54M	CLN2 질환 및 헌팅턴병
 BOREALIS BIOSCIENCES		질병 유발 단백질의 생성을 조절하기 위해 천연 mRNA를 표적으로 삼는 xRNA 기술 (노바티스 플랫폼)	n/a	시리즈A / \$150M	신장
 GC Therapeutics		TFome iPSC 프로그래밍 플랫폼	Harvard Medical School	시리즈A / \$65M	위장관, 신경학, 면역학
 Mirai Bio		유전자 의약품에 대한 중단간 개발 역량 (전달 및 설계, 테스트, 제조)	공개되지 않음	초기투자 / \$50M	공개되지 않음

기업명	국가	주요 분야	학술 소스	자금조달 유형/모금액	타겟 치료분야
		분자 엔지니어링 트리거를 통한 siRNA 치료법	Ohio State Univ; Tokyo Univ; Massachusetts Univ.	시리즈A / \$135M	유행성 질병
		스플라이싱을 교정하는 안티센스 올리고뉴클레오타이드	Stanford University; Francis Crick Institute; 미국 국립신경질환 뇌졸중연구소	시리즈A / \$101M	신경학
		특정 신장 세포의 유전자 침묵을 위한 리간드-siRNA 접합체를 생산하기 위한 STRIKE(Selectively Targeting RNA Into KidnEy) 플랫폼	공개되지 않음	시드, 시리즈A / \$100M	전신 및 신장질환

출처 : American Society of Gene & Cell Therapy (2024, 2025)

- ▶▶ 우리나라에서는 2024년 in vivo 유전자 치료제를 주요 파이프라인으로 한 진에딧 (GenEdit)이 473억 원으로 국내 신약 개발 바이오기업 중 가장 많은 투자를 유치
- 진에딧은 미국 샌프란시스코에 본사를 둔 스타트업으로, 체내로 직접 유전자를 전달하는 인비보(in vivo) 방식의 유전자 치료제를 개발하고 있으며, 2024년 3,500만 달러 (약 473억 원) 규모의 시리즈B 유치에 성공했으며, 누적 투자금은 1,000억 원 이상에 달함

참고문헌

- 김서희 외(2023.06), 글로벌 세포·유전자치료제(CGT) 시장 전망, BioIndustry, No.182
- 범부처재생의료기술개발사업단 (2024), 2024년 美 FDA 승인 세포·유전자치료제
- 서형석(2024.07), 세포·유전자치료제(CGT) 개발 동향, BioNpro Vol.140
- 김용민 외(2021), 코로나19 백신·치료제 개발 사례로 살펴본 글로벌 바이오의약품 산업 R&D 동향 및 시사점, KHIDI 보건산업브리프, 제332호
- 메디게이트 뉴스(2025.01.18.) VC 투자 100억원 이상 받은 국내 신약 바이오텍, 어떤 기술 가지고 있을까, <https://medigatenews.com/news/3685962392>
- American Society of Gene & Cell Therapy (2024) Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report Q1 2024 Quarterly Data Report
- American Society of Gene & Cell Therapy (2024) Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report Q2 2024 Quarterly Data Report
- American Society of Gene & Cell Therapy (2024) Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report Q3 2024 Quarterly Data Report
- American Society of Gene & Cell Therapy (2025) Gene, Cell, & RNA Therapy Landscape Report Q4 2024 Quarterly Data Report
- Citeline (April 29, 2024) Pharma R&D Annual Review 2024
- CompaniesMarketCap.com. (January 9, 2025). Market capitalization of selected gene and cell therapy companies worldwide as of 2025
- IBM Business Consulting (2023) Pharma 2010: The Threshold of Innovation
- Nova one Advisor (2024.04) Cell and Gene Therapy Market – Global Industry Analysis, Size, Share, Growth, Trends, Regional Outlook, and Forecast 2024–2033
- Nova one Advisor (2024.03) Cell And Gene Therapy Clinical Trials Market Size, Share & Trends Analysis Report By Phase (Phase I, II, III, IV), By Indication, By Region, And Segment – Global Industry Analysis, Size, Share, Growth, Trends, Regional Outlook, and Forecast 2024–2033
- Nova one Advisor (2024.04) Cell And Gene Therapy Manufacturing Market Size – Global Industry Analysis, Size, Share, Growth, Trends, Regional Outlook, and Forecast 2024–2033