

필요를 고려하여 의약품 접근성 향상을 목표로 혁신을 추구해 온 15년

중요한 교훈과 난제, 그리고 다가올 기회

Drugs for Neglected Diseases *initiative* (소외질병 치료제 개발기관, DNDi)는 환자들의 절박한 상황과 이에 따른 의사들의 좌절을 극복하기 위해 설립되었습니다. 당시 환자들은 효과는 낮고 독하며 구하기도 어렵고 가격도 비싼 약들을 복용할 수밖에 없었고, 이들을 위해 아직 개발되지 않은 약들도 많았습니다.

DNDi는 2003년 세계보건기구(WHO)의 열대 질환 연구 및 훈련 특별프로그램이 참여한 가운데 인도의학연구협의회(Indian Council of Medical Research, ICMR), 브라질의 오스왈도 크루즈 재단, 케냐의학연구소(Kenyan Medical Research Institute, KEMRI), 말레이시아 보건부, 프랑스 파스티르연구소 등이 국경없는의사회(Médecins Sans Frontières, MSF)와 협력하여 설립한 기관입니다. 국경없는의사회는 1999년에 노벨평화상을 수상하면서 상금 일부를 소외된 사람들에게 필요한 약을 개발하기 위해 새로운 비영리 대안 모델을 모색하는 데 지원하기로 했습니다.

DNDi가 얻은 여러 교훈이 활발한 토론의 씨앗이 되어 정책 수립에도 영향을 끼쳐 결국 소외된 환자들에게 필요한 치료제를 제공하는 데 필요한 보건 체계와 연구개발(R&D) 시스템이 개선되었으면 합니다.

본 문서는 DNDi가 더 나은 신약을 찾아내고 개발하여 소외된 환자들에게 제공하기 위해 지난 15년간 축적해 온 경험을 정리한 보고서의 요약본입니다. 이를 통해 그동안 DNDi가 이룬 주요 성과와 난제를 돌아보는 한편, 공공의 이익을 염두에 두며 대안적 혁신을 촉진하고 유지하는 방안에 관한 전 세계적 논의에 관해서도 언급하고자 합니다. 또한 이 보고서에 담긴 다양한 아이디어를 바탕으로 바이오 메디컬 혁신에 더욱 효과적이고 공정한 접근법이 도입되어 다른 유형의 질환과 치료제에도 적용되기를 희망합니다.

사진: Xavier Vahed/DNDi



치명적인 불균형

DNDi 설립 당시, 국경없는의사회와 파트너 단체들은 1975년~1999년에 세계적으로 시판된 신약 1,393종 중 1.1%만이 소외 질환에 관련되어 있다는 사실을 알게 되었습니다. 세계 모든 질병의 12%를 차지하는 것이 소외 질환이었는데도 말입니다.¹ 이러한 상황을 초래한 것은 시장 실패와 공공 정책 실패에 모두 원인이 있었습니다. R&D 투자는 시장을 고려하기 때문에 구매력이 거의 없는 사람들에게 필요한 사항은 염두에 두지 않았고, 각국 정부는 이러한 상황에 개입하여 시장 실패를 바로잡으려는 노력을 기울이지 않았습니다.²

10년 뒤, 후속 연구가 시행되었습니다. 그 사이에 제한적으로나마 진전을 보인 부문도 있었습니다. 그러나 2000년~2010년에 질병을 치료할 신약과 백신이 총 850종 등장했는데 그중 4%만이 소외 질환에 관한 것이었고, 그나마도 대다수는 기존 약품의 용도를 변경하여 내놓은 것이었습니다. 33종의 신규 화학 물질(New Chemical Entity, NCE) 가운데 소외 질환에 대응하는 것은 단 1%에 그쳤습니다.³



소외질환이 세계 전체 질병의 12%를 차지함에도 불구하고, 1975년~1999년에 세계적으로 시판된 신약 1,393종 중 소외 질환 관련 신약은 1.1%에 그침

15년간 변화를 거듭해 온 DNDi 모델

DNDi는 이행 과제(소외된 사람들에게 시급히 필요한 치료제 개발)와 이행 방식(이익의 극대화가 아닌 환자들의 필요에 근거한 검사 및 대안적 가상 R&D 모델 추구) 모두에서 '혁신을 시도'해 왔습니다. 협력적인 접근 방식을 통해 연구 지식과 데이터를 최대한 널리 공유하고자 애썼고, 언제 어디서든 활용할 수 있는 공공재로서 약을 개발하겠다는 목표 아래 더 나은 신약을 적정 가격에 제공하기 위해 노력하였고 이를 위한 혁신을 추구했습니다.

2003년 이래로 총 8종의 신약을 발견하여 의약품으로 개발해 내놓음으로써 수백만 명을 위협하는 질병과 고통, 사망의 위협을 줄일 수 있었습니다. 의약품 개발에 기울인 지속적인 투자 덕분에 세계에서 가장 소외된 질환 중 일부는 치료제 개발을 재개할 수 있었습니다.



사진: Abraham Ali/DNDi

- 1 Trouiller et al. Drug development for neglected diseases: A deficient market and public-health policy failure. Lancet 2002;359:2188-2194. DOI: 10.1016/S0140-6736(02)09096-7
- 2 MSF and the DND Working Group. Fatal Imbalance: The Crisis in R&D for Neglected Diseases. Médecins Sans Frontières, 2001. Available at: <https://msfaccess.org/fatal-imbalance-crisis-research-and-development-drugs-neglected-diseases>
- 3 Pedrique et al. The drug and vaccine landscape for neglected diseases (2000-11): a systematic assessment. Lancet Global Health 2013;1:e371-79. 2013. Available at: [http://dx.doi.org/10.1016/S2214-109X\(13\)70078-0](http://dx.doi.org/10.1016/S2214-109X(13)70078-0)

한눈에 살펴보는 DNDi 15년

비영리 R&D 기관으로서 DNDi가 활동 15주년을 맞이까지 그동안 연구 및 기관 운영 차원에서 이룬 굵직굵직한 성과를 짚어 보았습니다.

치료제 개발



8

현장에 적용할 수
있는 적정 가격의
치료제 개발 건수

예: 펙시니다졸(fexinidazole) - 수면병을 치료할 최초의 완전 경구요법제이자 DNDi가 개발한 최초의 신규 화학 물질(NCE)

폭넓은 글로벌 네트워크



40여 개국,
180곳 이상의
파트너기관과
협력

의약품 개발에 장기적으로 투자함으로써 든든한 파이프라인 역할 수행

400만+



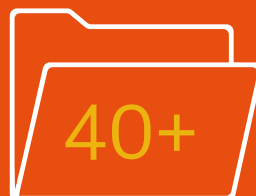
400만 개
이상의 복합
화학물 검토

의약품 개발 노력의 일환으로 제약회사들의 복합물 기록을 검토하고, 복합물을 발굴해 내며, 개방적·협력적 의약품 개발 이니셔티브를 추진함

20개가
넘는 신규
화학 물질(NCE)



DNDi 포트폴리오에 기재된
신규 화학 물질. 현재, 다수가
임상개발 후기 단계에 있음



총 7개의 질병 분야에
걸쳐 최대 40개의 R&D
프로젝트 보유

저·중소득 국가에서 진행되는 전문 임상연구



1상~4상 단계가 진행
중인 임상연구는 평균
20건

이보다 많은 수의 임상연구가 계획 단계에 있음



어느 시점에서든 2500
여 명의 환자가 현재
진행 중인 임상시험에
등록되어 있음

모든 연구는 국제적, 윤리적, 질적 기준을 준수하고
있으며 외진 지역과 불안정한 지역에서도 동일한
기준을 준수하며 연구를 수행함

DNDi의 새로운 비영리 대안 R&D 모델에는 몇 가지 뚜렷한 특징이 있는데, 이를 대략 여섯 가지 핵심 주제로 나누면 아래와 같습니다.

1. 필요 우선

이익이 아닌 환자를 R&D의 중심에 둠

- R&D를 진행할 때 소외된 사람들의 의료적 필요 사항과 그들이 사는 지역의 특성을 최우선에 두려면 현지에서 치료를 실시하는 주체와 가까운 곳에서 연구를 실시하고 WHO, 국경없는의사회, 그리고 해당 질환의 영향을 받는 지역사회 등 주요 이해 당사자와 긴밀히 협력하는 것이 필수적입니다.
- 전문가 및 연구 주체들이 공익을 고려하여 수립하는 ‘목표 제품 프로필’(Target Product Profiles, TPPs)은 개발된 제품을 적정 가격에 제공하고 해당 질환의 영향을 받는 사람들과 그들을 지원하는 보건 체계에 구체적으로 적용하는 데 중요한 요소입니다.
- 제품을 개발하는 사람들은 다이내믹한 방식으로 R&D 포트폴리오를 관리함으로써 새롭게 나타나거나 변함없이 주의를 요하는 R&D 필요 사항에 유연하게 대처하여 진보하는 역학 트렌드에 발맞출 수 있습니다.

2. 독립성

필요에 근거하여 우선순위를 정하고 의사결정을 내리기 위해 재정적·과학적 독립을 지킴

- 과학적 독립은 의약품 개발 프로세스에서 목표 질환을 규명하고, R&D 우선순위를 설정하며, 의사결정을 추진함에 있어 중요한 요소입니다.
- 독립성을 유지하기 위한 신중한 기금 정책은 공공 및 민간 지원 사이의 균형을 잡아주고, 주요 기부자의 지원금 중 비지정 후원 비율을 높이며, 단일 기부자의 기여도가 전체 기금의 25%를 넘지 않도록 유지할 때 가장 효과적입니다.

3. 협력, 개방성, 투명성

가장 소외된 사람들에게 최상의 과학을 제공하고자 공공, 민간, 학계, 비영리, 자선 부문을 총동원하고, 열린 자세로 의약품 개발에 임하여 지식 창출을 도모하며, 연구 데이터와 지식 및 소요 비용을 공유하고자 노력함

- 같은 비전을 공유하는 공공 및 민간 파트너들의 참여가 없다면, R&D 협력 기관들이 R&D프로세스 전 과정에서 프로젝트를 수행하면서 ‘가상의 오케스트라 지휘자’로서 제 역할을 효과적으로 해낼 수 없습니다.
- R&D, 특히 의약품 개발을 위한 R&D에 더욱 협력적이고 개방적인 접근법을 활용하면 더 많은 연구자를 소외된 분야로 인도하고, 중복 연구를 줄임으로써 선도물질 도출(hit to lead) 규모를 늘릴 수 있으며, 더 적은 비용으로도 효율적으로 R&D 활동을 진행할 수 있습니다. 의약품 개발을 위한 혁신적 접근은 특히 저·중소득 국가(LMIC)가 자신의 역량을 한껏 펼치도록 도울 수 있습니다.
- 공공 및 민간 연구 기금을 지원하는 사람들이 명확한 정책을 수립하여 개방성을 장려하고 R&D 프로세스 각 단계에서 데이터, 지식, 소요 비용을 공유할 것을 권한다면 더 개방적인 연구 협력이 촉진되고 중복되는 연구도 줄일 수 있습니다.
- 세계 보건 R&D 주체들에게는 WHO가 발표한 ‘임상 시험 결과 공개에 대한 공동 성명’에 서명하고, 모든 임상 시험을 대중이 확인할 수 있는 공식 기록으로 등록하고, 임상 시험 종료 후 12개월 후에 시험 결과를 신속히 보고하고, 연구 결과를 대중에게 공개된 저널에 게재하는 등 적극적인 노력을 기울이도록 장려해야 합니다.



사진: Ana Ferreira/DNDi

R&D 비용: DNDi가 의약품 1종을 개발하는 데 드는 비용은 얼마나 될까요?

DNDi가 의약품 개발 프로젝트로 개발한 의약품 8종에 관한 실적자료에 따르면, 개발한 치료제 1종당 현금 비용 400만 유로에서 6,000만 유로가 소요되었습니다(의약품 등록 비용 포함). 이 수치를 개발 단계당 평균 소모 비용으로 환산해 보면 DNDi의 의약품 개발 및 등록 현황은 다음과 같습니다. 기존 약물을 조합하거나 용도를 변경하여 신약을 개발하고 등록할 경우

400만~3,200만 유로가 소요되며, 새 화학 물질을 개발하여 등록할 경우 6,000만~1억 9,000만 유로가 소요됩니다. 이 수치에는 등록 후 추가 연구, 의약품 접근성 확보를 위한 비용, 제약 파트너들의 현물 기여는 포함되지 않습니다.

DNDi가 소모하는 비용 및 비용 책정 방법에 관한 자세한 사항: www.dndi.org/costs

**DNDi 포트폴리오에 기재된 프로젝트 조사 결과, 약물 발견에서 등록까지 소요되는 비용의 최소값과 최대값
실제 부담금 및 표준 손실 비용을 포함한 조정 금액 (연구 단계별 비용의 최소값과 최대값/단위: 100만 유로)**

	약물 발견 및 임상 전 단계	임상 개발 및 등록		총 비용	비용 범위 (손실 비용 포함)
		임상 1상	임상 2상, 3상 및 약물 등록		
새로운 조합* 없이 기존 약물 활용	해당없음		€4-10	€4-10	€4-12
기존 약물을 새로운 조합*으로 구성	€1-2	€1-4	€3-7	€4-13	€5-32
신규 화학 물질	€10-20	€4-6	€30-45	€44-71	€60-190

*기존 약물의 용도를 변경하여 유연/고정 용량으로 약물을 조합하는 방식



사진: Felipe Abondano/DNDi

4. 글로벌 네트워크 활용

과학적 교류를 장려하고, 연구 역량을 활용하고 강화하며, 혁신 생태계와 네트워크를 육성하되 특히 저·중소득 국가에 주의를 기울임

- 가상의 협력 R&D 기관은 탄탄한 파트너십과 여러 연합체 및 글로벌 네트워크를 갖추었을 때만이 실현될 수 있습니다. 공공 부문의 리더십 특히 저·중소득 국가의 공공 리더십은 지속 가능한 혁신 생태계를 보장하는 데 빼놓을 수 없는 요소입니다.
- 해당 질환의 영향을 받는 지역사회와 환자들의 필요 사항을 가까이에서 확인하는 것이 무엇보다 중요한데 이는 현지 의사, 과학자, 전문가, 나아가 해당 지역의 환자와 지역사회 및 시민사회 단체들 간의 신뢰를 바탕으로 대등한 파트너십을 성립했을 때만이 실행할 수 있습니다.
- 저·중소득 국가에서는 R&D 프로세스 전 과정에서 혁신적인 파트너십을 유지함으로써 연구 역량을 적절히 활용·강화하고, 필요사항을 정확히 규명하며, 과학적 교류를 촉진하고, 접근성을 개선할 수 있습니다. 더불어, 외진 지역까지 세심히 고려한 훈련 및 보건 인프라 구조 개선을 목표로 한 투자도 성공적인 연구의 필수 요소입니다.

5. 접근성 향상에 초점을 맞춘 연구

가장 적합한 치료제를 가장 필요한 지역사회에 적정 가격에 널리 보급함

- R&D 기관이라 할지라도 새로운 보건 기술과 도구를 소개하고 접근성을 확보하는 데 따르는 적잖은 난관을 극복하려면 여러 파트너 및 실제로 치료를 시행하는 주체와 협력하는 것이 중요합니다.
- 접근성 확보는 R&D 프로세스 후반부 또는 규제 승인 이후뿐만 아니라 R&D 프로젝트 착수 시점부터 우선순위로 삼아야 합니다. R&D 프로그램을 개발할 때는 늘 접근성 확보를 염두에 두어야 하며, 목표 제품 프로파일(TPP)에는 가격 적정성, 유용성, 현장 실현성을 보장하는 핵심 요소가 담겨 있어야 합니다.
- 산업 파트너와의 적극적인 협력 관계를 수립하는 것은 지속 가능한 생산, 공급 및 배급을 보장하고, 해당 질환의 영향을 받는 지역사회를 포함한 주요 이해 당사자의 참여를 유도하는 데 필수적이며, 연구 초기부터 공공 부문의 리더십과 커뮤니티를 구축하는 데 매우 중요합니다.
- 성공적인 R&D에 빠지지 않는 것이 바로 지속 가능한 약품 생산입니다. 때로는 기술 이전을 통해 가격 적정성을 유지하는 한편 접근성을 확보할 수도 있습니다.

6. 변화의 주제

새로운 방식의 혁신을 시도하고 구체화시켜 공공 보건을 고려한 R&D를 장려하고, 공공 부문의 리더십을 육성하며, 타당한 근거를 바탕으로 더 효과적이고 공정한 바이오 메디컬 R&D 시스템을 널리 알림

- 지적 재산 정책을 수립하여 공개하는 것은 계약 협정에서 '황금 기준'이 되는 접근성 확보에 우호적인 라이선스 조항을 통과시키는 근본적인 요소가 될 수 있습니다.
- 경쟁적인 현장에서 협상이 이루어지거나 개발 프로세스 후기에 협상이 진행되는 경우 더 복잡한 상황이 생길 수 있지만, 제약 파트너에게 접근성 확보에 대한 굳은 의지가 있고 각국이 무역관련 지식재산권협정(TRIPS) 활용에 융통성을 발휘할 자세가 되어 있다면 충분히 접근성 확보에 우호적인 방식으로 협상을 진행할 수 있습니다. 그러나 공공 기금 혹은 자선 기금이 사용될 경우에는 R&D 프로세스 초반에 접근성 조항을 포함시키는 것이 바람직합니다.
- 규제상 정체가 생기는 것은 여전히 까다로운 문제입니다. 규제 전략의 올바른 목적은 기술적·과학적 검토 과정이 의약품 품질과 환자의 안전 측면을 철저히 살피고 공공 보건 맥락에 적합하고 신속한 방식으로 진행하는 것입니다.
- 역내 규제를 일치시켜 다양한 사안을 효과적으로 검토하는 것을 목표로 한 중요 이니셔티브에는 충분한 지원을 해야 합니다.
- 더 효과적이고 공정하며 필요에 근거를 둔 국제적인 바이오 메디컬 R&D 시스템을 수립하려면 시장 실패에 대처할 공공 부문의 리더십과 공공 정책이 필수입니다. 이를 통해 공공 기금으로 진행한 R&D의 혜택이 온전히 공공 부문으로 돌아가도록 하고, 해당 질환의 영향을 받는 국가들이 직접 R&D 우선순위를 설정하도록 해야 합니다.

사진: Xavier Vahed/DNDi



결론

2000년부터 2010년까지 **세계 보건 기금은 엄청난 폭으로 성장했습니다.** 기금 마련의 ‘황금기’였던 이 시기에는 저·중소득 국가에서 HIV/AIDS, 결핵, 말라리아, 모자 보건 등 여러 주요 분야의 프로그램을 진행하는 데 필요한 기금 수십억 달러가 지원되었습니다. 그 결과 수천만 명에게 필요한 치료제와 백신을 제공했고 5세 미만 아동의 사망률도 유례를 찾아보기 어려울 정도로 줄었습니다. **이 시기를 지난 현재는 놀라웠던 성장 흐름이 안타깝게도 잦아드는 듯합니다.**

게다가 정치적 상황도 시시각각 변해 가며 불안정한 모습을 보이고 있으며, 특히 전 세계적으로 민족주의가 부상하고 있습니다. 이는 세계 보건 부문의 다자적 이니셔티브 및 상호적 해외 개발 지원 등 다양한 부문에 대한 투자를 위협하며, 취약한 사람들을 더욱 소외시키거나 직접적으로 겨냥합니다.

DNDi 및 국제 보건 R&D 주체들에게는 더욱 필요에 근거한 혁신 시스템을 통해 새로운 보건 기술을 적정 가격으로 공정하게 제공하기 위해 관심을 쏟아야 할 주요 문제들이 남아 있습니다.

한편, 새로운 감염병 및 전염에 취약한 질환, 그 외 비감염성 질환의 출현과 항생제 내성 문제는 중대한 세계 공중보건 이슈로 대두되고 있습니다. 이러한 난관에 대응하려면 새로운 보건 도구를 찾아내고 개발하며 이를 제공하기 위한 노력을 더욱 강화해야 합니다. 질병의 효과적인 진단, 치료 및 예방을 저해하는 기술적 격차를 해소해야 하는 것은 ‘보편적 건강 보장 및 지속 가능한 개발 목표’에 관한 논의에서도 점점 더 큰 비중을 얻고 있지만, 공익을 고려한 R&D를 관리하고 주도할 수 있는 포괄적이고 지속 가능한 프레임워크가 없어서 각각의 노력이 단편적으로 진행된다면 연구 진척이 미미해질 위험이 있습니다.

사람들에게 필요한 사항을 우선적으로 고려하여 대응할 수 있도록 **바이오 메디컬 혁신을 이루려면 국내, 역내, 나아가 국제적 수준에서 어떠한 메커니즘이 필요할까요?** 필요에 근거한 혁신, 접근성 확보, 치료제 제공을 유지시킬 새로운 기금의 출처는 어디서 찾아볼 수 있을까요? 협력, 개방성, 투명성을 장려하고 공공 보건상 중요한 혁신을 적정 가격에 널리 제공하려면 어떤 ‘보호 수단’이 필요할까요? 인센티브 메커니즘 등 R&D 모금을 위한 새로운 경제 모델이 과연 나타날까요?

나아가 이런 인센티브는 혁신과 지속 가능한 접근성 보장을 위해 적합한 R&D 프로세스 단계에서 올바른 주체에게 제공될 수 있을까요? 자원을 상호 공유하고 제조, 등록, 공급 등에서 나타나는 끈질긴 ‘접근성 정체’ 문제를 해결하기 위해 협력을 모색할 만한 새로운 분야는 무엇이며, 지금의 공급 및 배급 체계를 더 효율적으로 활용하려면 어떤 방법을 써야 할까요? 인간의 건강과 생명에 급격한 변화를 몰고 올 잠재력을 지닌 새로운 기술들은 현재 공정성을 염두에 두고 설계되고 실현되고 있는 것일까요? 저·중소득 국가가 주도하는 R&D 접근법 및 ‘지식 허브’ 수립을 촉진할 남남 및 삼각 파트너십 개발을 심화할 수 있는 새로운 기회들은 어떤 것일까요?

앞으로 10년을 내다볼 때, 세계 보건 R&D의 이해 당사자들은 이런 숭한 도전 과제를 정면으로 맞닥뜨려야 할 것입니다. DNDi는 소외된 사람들의 필요에 대응하겠다는 열의를 새롭게 다지고, 새로운 R&D 접근 방식을 계속 시도함으로써 공익을 위한 혁신에 박차를 가하며, DNDi가 경험한 것들을 꾸준히 공유하여 더욱 효과적이고 공정한 바이오 메디컬 혁신 시스템을 만들어 나가는 데 헌신할 것입니다. 이러한 시스템을 구축해야만, **치료제와 의료 도구가 이를 가장 필요로 하는 사람들에게 그들이 사는 지역 특성을 고려한 의료 혜택으로 적정 가격에 널리 제공될 것입니다.**

영문 보고서: www.dndi.org/15yearsreport

DNDi

Drugs for Neglected Diseases initiative

www.dndi.org |     

등 SNS 채널에서도 DNDi 소식을 확인해 보세요

DNDi 뉴스레터 수신:

www.dndi.org/newsletter