

# Deloitte Insights

Aug 2024



## 글로벌 제약바이오 기업 신약개발 수익성 동향

Emily May | UK Centre for Health Solutions 외 3인

Download on the  
App Store

GET IT ON  
Google Play



**Deloitte.**

'딜로이트 인사이트' 앱에서  
경영·산업 트렌드를 만나보세요!

# 목차

<b>신약개발 수익성 동향</b> .....	<b>03</b>
보고서 소개	03
방법론	03
개선된 R&D 예상 수익률	05
총 R&D 지출은 증가, 자산당 평균 개발비용은 보합세	06
자산당 평균 최대매출액 전망치 감소	06
R&D생산성의 변화 요인	07
<b>효율성 제고</b> .....	<b>08</b>
R&D 비용 증가는 여러 요인에 기인한다	08
R&D 임원의 가장 큰 우려는 규제 변화	09
효과적인 규제 준수 관리	10
AI 및 디지털 기술 사용 확대	11
임상시험 경험의 개편	13
<b>파이프라인 가치 극대화</b> .....	<b>15</b>
적응증 확대 전략에 영향을 미칠 규제 개혁	15
개발 초기부터 신약상업화 팀과 협력	16
지속가능한 파이프라인 보충 전략 채택	17
<b>생산성 향상 전략</b> .....	<b>20</b>
R&D 분야 속 생성형AI의 혁신적 잠재력	20
성공 가능성을 높이는 데이터 기반의 초기 단계 R&D	22
레드오션인 치료 분야와 모달리티를 넘어서	24
R&D 리더가 고민해 볼 질문	25
<b>최상의 R&amp;D 전략을 위한 주요 질문</b> .....	<b>26</b>
<b>부록</b> .....	<b>27</b>
<b>주석</b> .....	<b>28</b>

# 신약개발 수익성 동향

제약바이오 혁신으로 발생한 수익성을 측정하는 본 연례 보고서 시리즈는 제약바이오 기업이 후기단계 신약파이프라인을 통해 얻을 수 있는 예상 내부수익률<sup>i</sup>을 분석한다. 지난 14년 동안 본 연구를 진행해온 결과, 제약바이오 업계 전반의 수익률 하락세를 반전시키는 동시에 환자에게 지속적으로 혁신을 제공하기 위해서는 R&D 생산성에 획기적인 변화가 필요하다는 사실을 알 수 있었다. 최근 분석에 따르면 기업들은 진화하는 규제 환경, 커지는 비용 압박, 줄어드는 최대대출액, 파이프라인 보충의 어려움에 직면해 있으며, 그 결과 예상 R&D 수익이 지속적으로 자본 비용보다 훨씬 낮은 수준에 머물러 있다. 이러한 점에서 앞서 언급한 연구 결과가 그 어느 때보다 타당하다는 점을 알 수 있다.

## 보고서 소개

‘글로벌 제약바이오 기업 신약개발 수익성 동향’(Measuring the return from pharmaceutical innovation) 보고서 시리즈는 2010년부터 제약바이오 R&D의 생산성에 대한 인사이트를 제공해 왔다. 첫번째 보고서에서는 대형 제약바이오 기업 12개사가 후기단계의 파이프라인을 통해 달성할 수 있는 투자 수익률을 분석했다. 이 조사 대상 기업 집단은 지난 2020년 R&D 지출 기준 20대 기업을 포함하기까지 14년 동안 지속 확대되어 왔다(조사기업 부록 참고).

## 방법론

올해에는 자산 범위 확대, 적응증<sup>ii</sup> 추가(label expansion), 제품 라인 확장(line extension)을 포함하는 방향으로 분석 범위를 확대하고 데이터세트의 세분성을 개선했다. 신규 데이터 제공 업체인 이밸류에이트(Evaluate)는 조사대상에 속하는 각 기업에 대해 후기단계 파이프라인 자산 및 적응증에 대한 매출 예측, 기술 및 규제 성공 가능성 PTRS 추정치, 파이프라인 구성 데이터(치료 영역, 모달리티<sup>iii</sup>, 혁신의 출처 등)를 제공했다.

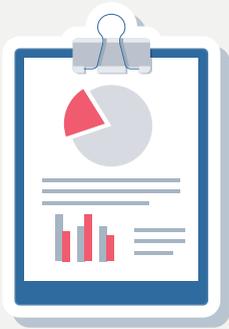
각 기업의 후기단계 파이프라인에 중점을 두는 동일한 객관적인 방법론을 지속적으로 사용하고 있으며, 여러 입력값을 활용해 R&D 생산성의 척도인 내부수익률을 계산한다. 계산에 사용된 입력값은 다음과 같다.



<sup>i</sup> 내부수익률(Internal rate of return): 당초 투자에 소요되는 지출액의 현재가치가 그 투자로부터 기대되는 현금수입액의 현재 가치와 동일하게 되는 할인율이다. 즉 미래의 현금 수입액이 현재의 투자가치와 동일하게 되는 수익률이다(출처: 국제개발협력용어집)

<sup>ii</sup> 적응증(Indication): 어떤 약제나 수술 따위에 의하여 치료 효과가 기대되는 병이나 증상(출처: 한국보건산업진흥원 제약산업 용어집)

<sup>iii</sup> 모달리티(Modality): 의약품이 표적(질병을 일으키는 원인)을 찾는 방법 또는 약물이 약효를 나타내는 방식을 뜻하며, 기전이라고도 불린다(한국제약바이오협회 공식블로그).



- ✓ 기업이 신약을 출시하기 위해 지출한 총 R&D 비용  
(연례 사업보고서에 공시된 공개 정보 및 제3자 데이터 제공업체의 데이터를 기반으로 함)
- ✓ 라이선스 인(license-in)<sup>iv</sup> 및 인수합병이 R&D 비용에 미치는 영향
- ✓ 후기단계 자산 출시로 창출될 미래 수익에 대한 추정치(이밸류에이트 제공)
- ✓ 리스크 고려한 후기단계 개발의 성공률 예측치
- ✓ R&D 진행에 내재된 리스크로 인한 실패 비용
- ✓ 임상시험 기간의 영향

본고에서 후기단계 파이프라인은 허가의 핵심이 되는 시험 단계(pivotal study) 또는 혁신 신약 지정을 받은 임상2상(phase II), 임상 3상(phase III) 단계의 약품 또는 규제 승인을 신청한 약품으로 간주한다. 연구 기간 중 승인을 받은 자산은 파이프라인이 아닌 상업화 포트폴리오로 간주되며, 분석 대상에서 제외된다. 또한 자산이 개발 주기 중 후기단계 파이프라인으로 진입하면 분석 대상에 해당하게 된다. 매년 분석 대상 기업에 일괄적이고 객관적인 방식이 적용될 수 있도록 분석 방법론, 모델링, 범위를 개선하여 정확도를 높이고 종합적인 인사이트를 확보하고자 지속적으로 노력하고 있다.

데이터 분석을 보완하고 내부수익률 변화 기저의 동인을 이해하기 위해 올해 10명의 R&D 리더를 대상으로 인터뷰를 실시했으며(조사기업에서 종사하는 리더 9명, R&D 플랫폼 기술 기업에서 종사하는 리더 1명), 딜로이트 R&D 분야 전문가에 자문을 구하고 폭넓은 문헌을 조사했다.



<sup>iv</sup>라이선스 인(License-in): 타사 신약 후보 물질의 권리(기술 물질 제품 특허) 등을 도입하는 행위(출처: 한국보건산업진흥원 제약산업 용어집)

## 개선된 R&D 예상 수익률

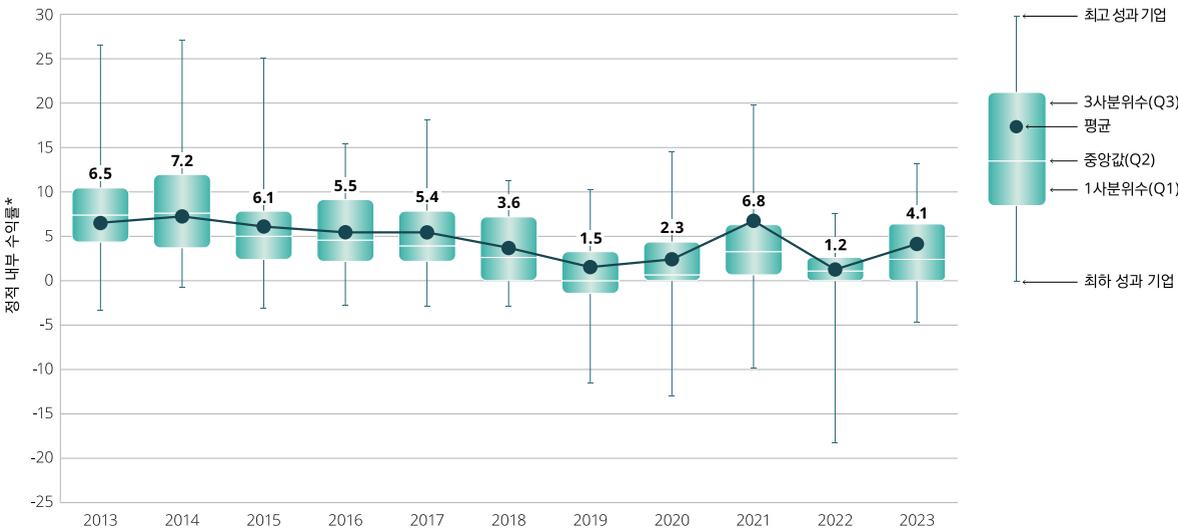
지난해 R&D 생산성(내부수익률로 측정)의 모델링에 따르면 분석이 시작된 이래 2022년에 최저점을 기록했는데 이는 몇몇 고가치의 자산이 분석 범위를 벗어나 성공적으로 승인을 받고 상용화된 결과였다. 확대된 자산 범위와 제품 라인 확장을 포함한 데이터셋을 기반으로 하는 올해 모델링에서는 그림 1과 같이 내부수익률이 4.1%까지 상승한 것으로 나타났다. 2023년에 조사기업 20개사 전체의 내부수익률 분포는 좁아졌으며, 가장 낮은 이상점(outlier)은 2019~2022년에 일부 기업에서 관찰된 마이너스 내부수익률을 훨씬 상회한다. 또한 2023년 사분위수 범위의 최소값(Q1)은 2021년 코로나19로 인한 특이 현상을 제외하고 5년 만에 처음으로 플러스 내부수익률을 기록했다.

2023년에는 2022년과 마찬가지로 고가치로 예상되는 몇 가지 자산이 승인을 받았으며, 상업화 포트폴리오에 진입하게 되면서 분석 범위를 벗어났다. 제2형 당뇨병 치료에 사용되는 GLP-1 수용체 작용제(GLP-1 receptor agonist), 판상 건선(plaque psoriasis) 경구용 치료제, 호흡기 세포융합 바이러스(RSV)에 대한 최초의 단일용량 예방접종 등이 그 예다. 그러나 2023년에는 후기단계 파이프라인에 대규모 환자 집단을 대상으로 하는 새로운 고가치 항목도 다수 추가되었다. 여기에는 만성 체중 관리를 목표로 하는 여러 단일 및 복합 GLP-1 수용체 작용제, 초기 알츠하이머병을 위한 단일클론항체, mRNA 플랫폼을 활용한 전염병 백신 등이 포함된다.

대규모 환자 집단의 적응증을 겨냥할 수 있는 과학적 혁신은 블록버스터 신약의 지형을 재편하고 보다 많은 전 세계 인구의 건강에 긍정적인 영향을 미칠 수 있는 잠재력을 가지고 있다. 뒷장에서 논의하겠지만 그림에도 불구하고 지속 가능한 파이프라인 보충은 제약바이오 기업에게 여전히 난제로 남아 있다.

내부수익률은 효율성(시간 및 비용)과 가치 창출(위험을 고려한 매출 전망)에 따라 달라지며, 이는 각각 결과를 개선할 수 있는 여러 요소를 포함한다. 따라서 후보물질 발견부터 출시에 이르기까지 신약을 개발하는 데 드는 비용의 추세와 개발중인 자산의 위험을 고려한 매출 전망을 모두 파악하는 것이 중요하다.

그림 1. 후기단계 파이프라인 수익률(2013~2023)

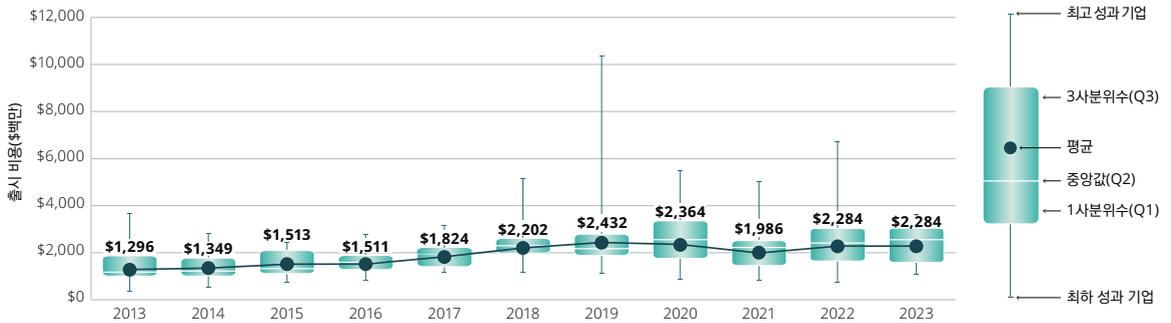


\*정적 내부수익률(Static IRR): 투자 비용 및 기대 수익을 기반해 스냅샷 방식으로 계산한 내부 수익률  
 참고: 2013-2022에는 GlobalData 데이터셋으로 계산, 2023년 데이터포인트는 Evaluate 데이터셋으로 계산  
 출처: 딜로이트 분석 2024

### 총 R&D 지출은 증가, 자산당 평균 개발비용은 보합세

그림 2는 후보물질 발견에서 출시까지 드는 자산당 평균 R&D 비용이 22억8,400만 달러로 2022~2023년 동안 보합세를 유지했음을 보여준다. 그러나 이러한 보합세는 2023년 자산 범위 확대와 제품라인 확대에 의해 조사 포트폴리오의 자산 수가 증가했기 때문이다. 후기단계 포트폴리오에 포함된 모든 자산의 후보물질 발견부터 출시에 이르기까지 드는 총 R&D 비용을 살펴보면, 기업의 평균 지출은 2022년 317억5천만 달러에서 2023년 485억4천만 달러로 증가했다. 조사기업이 보고한 총 R&D 지출액은 2021회계연도 1,392억 달러에서 2022회계연도 1,455억 달러로 4.5% 증가했다. 조사기업에 속한 기업 중 3개 기업은 2021회계연도와 2022회계연도 사이에 제약 R&D 지출을 25% 이상 늘렸다.

그림 2. 2013~2023년 후보물질 발견에서 출시까지 자산당 평균 R&D 비용

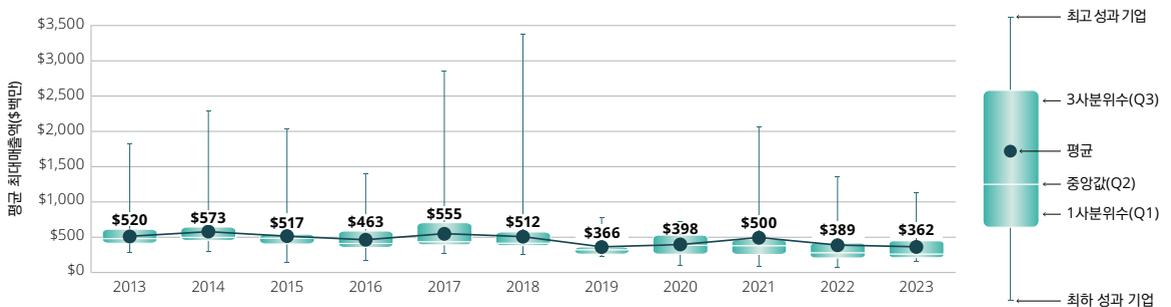


참고: 2013-2022에는 GlobalData 데이터세트로 계산, 2023년 데이터포인트는 Evaluate 데이터세트로 계산  
출처: 딜로이트 분석 2024

### 자산당 평균 최대매출액 전망치 감소

2023년 분석 대상 기업 중 단 한 곳만이 자산당 최대매출액(peak sales)을 10억 달러 이상 달성할 것으로 예상된다. 그림 3과 같이 조사기업의 파이프라인당 평균 최대매출액은 2022년 3억8,900만 달러에서 2023년 3억6,200만 달러로 감소했다. 코로나19 관련 고가치 자산에 기인한 2021년 최고치(5억 달러)에서 계속 감소하는 추세이다. 일부 기업의 고가치 코로나19 자산으로 인한 효과 이후 기업의 평균 최대매출액 예상치의 분포가 계속해서 줄어들고 있다. 전년 대비 관찰된 고가치 자산의 승인 성공을 반영하듯 조사기업의 총 매출은 상승 추세를 이어가고 있다. 20대 제약사의 R&D 매출은 2021회계연도의 6,562억 달러에서 2022회계연도 7,192억 달러로 9.6% 증가했다.

그림 3. 2013~2023년 평균 파이프라인 자산당 최대매출액 예상치



참고: 2013-2022에는 GlobalData 데이터세트로 계산, 2023년 데이터포인트는 Evaluate 데이터세트로 계산  
출처: 딜로이트 분석 2024

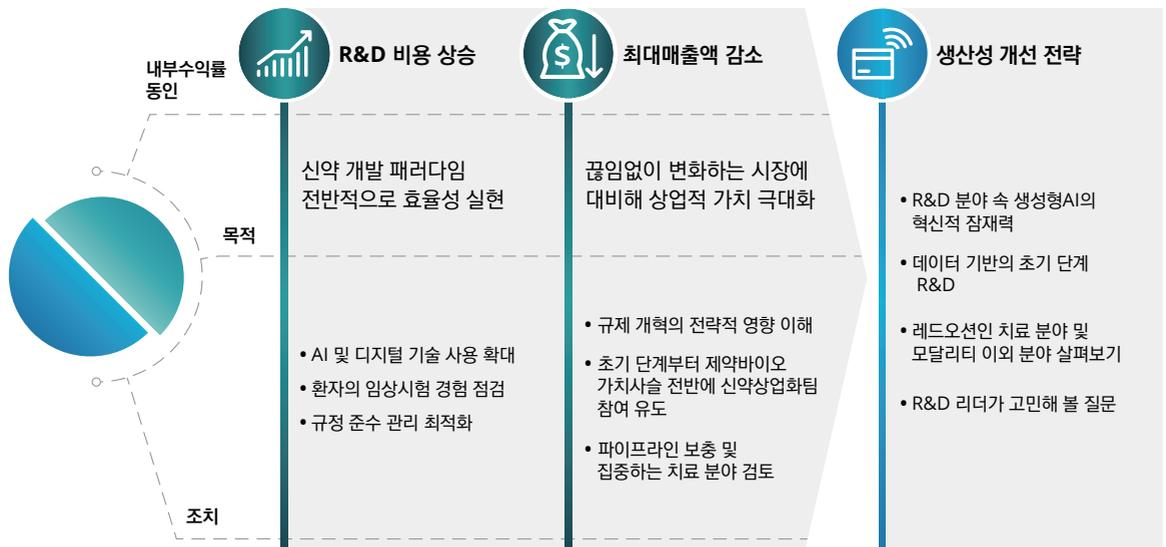
## R&D 생산성의 변화 요인

지난 14년간의 분석을 살펴보면 2010년부터 2019년까지 생산성(내부수익률)이 꾸준히 감소한 후 2020년과 2021년에 코로나19 자산의 영향으로 단기간 개선되었다가 2022년에 다시 하락했는데, 2023년에 다소 개선의 조짐이 보이기 시작한 것으로 나타났다. 그러나 제약바이오 R&D의 생산성을 향상하기란 효율성(비용)과 가치 창출(매출)의 균형을 맞춰야 하는 점을 감안하면 결코 쉬운 일이 아니다. 게다가 효율성과 가치 창출은 변화 동인에 영향을 미칠 수 있는 여러 요인에 따라 달라진다.

올해는 규제 변화, 다수 조사 기업의 고가치 자산에 대한 특허권 대거 만료, 인플레이션 압박, 빠르게 발전하는 과학과 기술, 복잡해지는 프로토콜 디자인 등으로 인해 현재 R&D 운영 모델에 상당한 압박이 가해지고 있지만, R&D 생산성을 개선할 새로운 기회도 생겨나고 있다(그림 4 참조).

본고의 뒷장에서 이러한 각각의 생산성 동인에 대해 자세히 살펴보고, 제약바이오 기업이 투자 수익률을 개선하기 위해 활용할 수 있는 수단과 앞으로의 명확한 로드맵을 마련하기 전에 해결해야 할 많은 이슈에 대해 깊이 파헤쳐본다.

그림 4. 내부수익률의 동인을 다루고 생산성 개선할 기회



# 효율성 제고

R&D 임원들은 미충족 수요(unmet needs)를 겨냥하는 의약품 출시 기간 단축을 우선시하지만, 지속적으로 높은 R&D 지출과 증가하는 비용에 대해 우려하고 있다. 기업은 엔드투엔드 디지털 전환과 AI 및 기술 도구의 사용을 확대함으로써 신약 개발의 효율성을 획기적으로 높일 수 있다. 그러나 가치 실현과 효율성 향상에 있어 데이터 인프라와 AI 역량에 투자할 때 인간 개입(human in the loop)의 중요성도 인식해야 한다.

## R&D 비용 증가는 여러 요인에 기인한다

앞서 언급한 바와 같이, 조사 대상 20대 기업의 R&D 지출은 2021회계연도 1,392억 달러에서 2022회계연도 1,455억 달러로 4.5% 증가했다. 이러한 R&D 비용 증가는 여러 요인에 기인한다. 이러한 요인에는 복잡해진 임상시험 요건, 규제 변화, 인플레이션 영향, 부서별 분절적 운용 지속 등이 있다. 지출이 증가함에도 불구하고 제약바이오 기업이 프로젝트를 추진할 때 궁극적으로 가장 중요한 동인은 타깃으로 하는 환자 집단에 혜택을 주는 성공적인 제품을 개발하는 것이기 때문에 비용 때문에 단념하는 경우는 매우 드물다.

긴 개발 기간은 오랫동안 업계의 난제였는데, 인터뷰 참여자들은 임상시험이 훨씬 정교해지면서 환자의 임상시험 경험에 대한 기준치가 높아지고 있다고 말했다. 긴 임상시험 주기는 평가변수(endpoint) 합의가 어려운 알츠하이머 등 복잡한 신경학적 질환이나 희귀 적응증에 대한 첨단 치료법을 내놓는 데 있어 임상시험이 복잡해지고 있음을 시사한다. 2023년 본 연구의 데이터세트에 포함된 개발 프로그램 중 절반은 세포 및 유전자 치료, 단일클론 및 재조합 항체, 단백질 및 펩타이드 치료, 혈장 유래 치료 등 첨단 치료법 및 바이오 의약품과 관련이 있다. 또한 2023년 조사기업 개발 프로그램의 30%는 희귀 적응증을 타깃으로 한다.

복잡한 연구를 위해 특수하고 다양한 하위 집단의 환자를 모집하게 되면서 모집 문제가 심화되고 임상시험 일정이 길어졌다.

게다가 열악한 임상시험 참여자 경험으로 인한 높은 중도 탈락율이 고질적인 이슈인데, 이로 인해 임상시험 데이터가 손실되고 대체자 모집에 추가 비용과 시간이 소요된다. 하지만 문제는 환자 모집에만 국한되지 않는다. 본 연구 인터뷰 참여자들은 팬데믹 이후 많은 숙련 의료 전문가들이 업계를 떠나면서 임상시험 진행에 필요한 노련한 현장 인력이 부족해졌다고 언급했다. 이에 대한 파급 효과로 R&D 생산성에 필수인 숙련 인력 확보가 어려워졌고 이는 결국 비용 증가로 이어졌다.



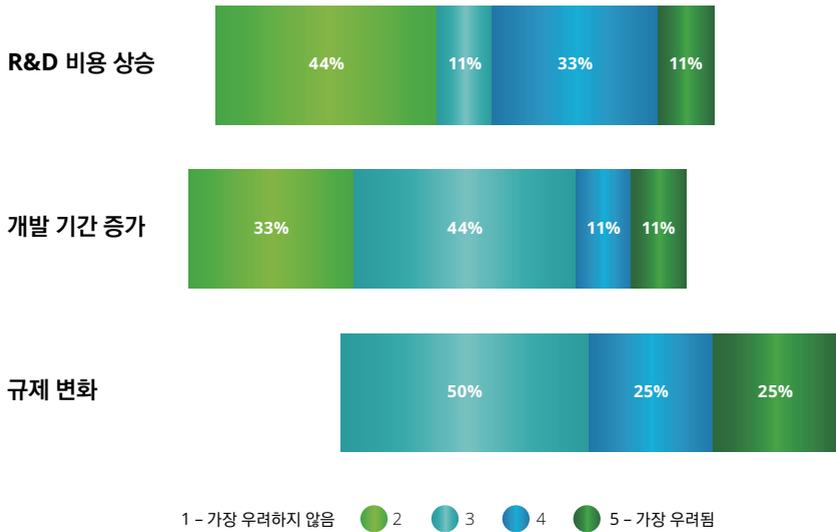
이제 우리는 점점 더 복잡해지는 과학을 밝혀내고 복잡해지는 연구를 수행해야 합니다. 복잡한 연구를 위한 환자 모집은 시간이 오래 걸립니다. 게다가 환자의 임상시험 경험의 기준치를 높이고 있습니다. 또 병원과 의료 시스템은 금전적인 보상 없이는 데이터를 공유하지 않으려고 합니다. 이러한 상황에 혁신적인 의약품을 개발하려는 기업에게는 이 모든 것이 비용 상승으로 이어집니다.

前 20대 제약바이오 기업 R&D ID 부사장

### R&D 임원의 가장 큰 우려는 규제 변화

인터뷰 참여자들에게 신약 개발에 영향을 미치는 우려스러운 요인에 대해 순위를 매겨달라고 요청했다. 그림 5에 따르면 R&D 임원들은 R&D 비용 상승과 임상시험 기간 증가보다 인플레이션 감축법(IRA)과 같은 규제 변화에 대해 더 우려하는 것으로 나타났다. 실제로 제약바이오 기업에 임상시험 중 생성되는 증거의 양과 질을 개선하도록 요구하는 까다로운 규제 요건 탓에 임상시험 설계 및 개발이 복잡해지고 이에 따라 R&D 비용과 생산성도 영향을 받고 있다. 유연하고 적응이 빠른 임상시험 프로세스를 개발하면 생산성이 향상되고, 빠르게 진화하는 규제 및 상업 환경에 효과적으로 대응하여 비용을 절감하는 동시에 제품 출시를 빠르고 효과적으로 앞당길 수 있다. 궁극적으로는 R&D 비용 상승을 해결해야 하지만, ▶비용 측면의 고려 사항 ▶환자 및 시험기관 직원의 경험 ▶신제품 혁신 및 신속한 출시 사이에서 균형을 맞추는 것이 중요하다.

그림 5. R&D 임원의 우려 사항



출처: 딜로이트 분석 2024  
 질문: R&D 생산성에 영향을 미치는 다음 요인에 대해 얼마나 우려하고 있습니까? (1점~5점)



## 효과적인 규제 준수 관리

규제가 엄격한 제약바이오 산업에서 규제 준수는 생산성을 저해하는 장애물이 될 수도, 생산성을 높이는 원동력이 될 수도 있다. 이는 신약 개발의 안전성과 효능을 위한 기본 요건이며, 상업적 목표와 환자 접근성을 최적화할 수 있는 프레임워크를 제공한다. 그러나 업계는 진화하는 새로운 규제가 기대하는 바를 해석하고 필요한 변경 사항을 여러 사업 부문에 걸쳐 협력적이면서 비용 효율적이고 시기적절한 방식으로 구현해야 하는 과제를 마주하고 있다.



“ 전 세계적으로 변화하는 규제 요건이 모든 규제 기관에 걸쳐 항상 일관적이지는 않습니다. 점점 더 많은 국가들이 특수한 요건을 제시해 개발 프로그램이 복잡해지고 있습니다. 때로는 특정 국가를 배제하거나 계획한 상업 기회를 나중에 미루는 등 전술적인 선택을 해야 할 때도 있습니다.

20대 제약바이오 기업 개발부문 부사장

대부분의 인터뷰 참여자들은 변화하는 규제 환경에 대해 우려했으며, 특히 미국의 인플레이션 감축법이 언급됐다. 그러나 이외에도 임상시험 평가변수, 임상시험의 다양성, 지속가능성 보고에 대한 규제 요건에 수많은 다른 변화가 있으며, 이는 지역마다 정도의 차이는 있지만 R&D 비용과 생산성에 지대한 영향을 미칠 수 있다. 미국 식품의약국(FDA)과 유럽 의약품청(EMA)이 서로 유사한 규제 기관으로 간주되는 경우가 많지만, 인터뷰 참여자들은 두 기관의 요건이 서로 다르다고 지적했다. 인플레이션 감축법 등 변화하는 규제가 의도대로 진행될 경우 주요 규제 기관 간의 불일치가 더욱 심화되고 임상시험 진행에 어려움을 초래하게 되어, 혁신을 저해하고 규정 준수에 소요되는 비용과 시간이 증가할 가능성이 높다.

## 미국 인플레이션 감축법(Inflation reduction Act, IRA)

2022년에 통과된 인플레이션 감축법은 미국 공공의료보험기관인 CMS(Center for Medicare and Medicaid)가 일부 고가의 메디케어 의약품의 약가에 대해 제조업체와 직접 협상할 수 있는 권한을 부여했다. 이 법안은 본인 부담금 지출을 연간 2,000달러로 제한하고, 메디케어 가격을 물가 상승률보다 인상하는 의약품 제조업체에 벌금을 부과한다.<sup>1</sup> 인플레이션 감축법 이전에는 메디케어의 약가 협상이 금지되어 있었다. 이제 CMS는 바이오의약품의 경우 승인 후 13년, 저분자의약품은 승인 후 9년 이후에 최대 공정 가격을 협상할 수 있다.<sup>2</sup> 투자 비용을 회수하는 데 저분자의약품의 경우 평균 8년 이상, 바이오의약품의 경우 평균 7년 이상이 걸린다는 계산이 나온다.\*

2023년 8월 CMS는 1차 약가인하 협상을 위해 특허권이 만료된 10개 의약품의 목록을 발표했다. 이 10개 의약품은 2022년 6월부터 2023년 5월까지 메디케어 지출에서 총 505억 달러를 차지했다.<sup>3</sup> 이는 경제적 제품 수명 주기를 단축하고 향후 수익에 영향을 미치며 R&D 및 상업 전략의 변화를 야기할 수 있다. 전문가들은 기업들이 바이오의약품과 단일 적응증 희귀 의약품으로 포트폴리오를 재조정할 가능성이 있다고 분석한다.<sup>4</sup>

\* 운영 비용 40%, 자산당 평균 R&D 비용 23억 달러, 순현금흐름 관점에서 R&D 투자 비용 회수로 가정

2023년 본 연구 데이터세트의 개발 프로그램 중 절반이 세포 및 유전자 치료, 단일클론 및 재조합 항체, 단백질 및 펩타이드 치료, 혈장 유래 치료 등 바이오의약품과 첨단 치료법을 포함했다. 규제 기관과 제약사가 첨단 치료법의 대리 평가변수에 대해 합의하는 데 어려움을 겪었고, 임상시험을 진행 시 설계, 제조, 공급에 문제가 생겼다. 이로 인한 임상시험 설계의 복잡성은 임상시험 기간을 늘어나게 할 수 있으며, 규제 요건에 대한 불확실성으로 인해 임상시험이 지연되고 비용이 증가할 수 있다. 규제 요건이 임상 관행과 맞지 않는 경우, 혁신을 저해하고 투자 의욕을 떨어뜨리는 요인이 될 수 있다. 기업들은 R&D 초기 단계에서 개별 개발 프로그램에 대해 합의할 수 있는 대리 평가변수를 개발하기 위해 규제 기관 및 관련 환자들과 긴밀하게 협력하고 파트너십을 맺고 있다. 본 고의 다음 장에서 규제 변화, 특히 인플레이션 감축법이 자산의 잠재적 상업적 가치에 미치는 영향에 대해 다시 살펴본다.



규제 당국이 동의하는 대리 평가변수를 확보할 방법을 찾지 못했습니다. [...] 알츠하이머 병은 [...] 조기에 치료할수록 더 나은 결과를 얻을 수 있다는 점은 분명합니다. 하지만 어느 누가 15년 동안 수천명의 환자를 등록할 수 있나요? 과학적 장벽이라기보다 정책적 장벽에 가깝다고 할 수 있습니다

20대 제약바이오 기업 연구개발부문 부사장

### AI 및 디지털 기술 사용 확대

기존의 임상시험 프로세스는 본질적으로 노동 집약적이고(고비용의 인적 자본 사용), 복잡하며, 규제가 엄격하다. 이전 보고서에서 디지털 기술, 자동화 도구, 환자 경험 솔루션이 수작업을 덜어 전체 임상시험 기간과 비용을 줄일 수 있다는 점을 조명한 바 있다. 그러나 이러한 디지털 도구는 지금까지 임상시험의 생산성을 혁신적으로 개선하기보다는 점진적으로 영향을 미쳤을 뿐이다. 테라바이트 규모의 정형 및 비정형 데이터를 처리하고 학습할 목적으로 생성형AI를 광범위하게 도입하면 R&D의 판도를 바꿀 수 있다는 것이 중론이다. 이에 대해서는 마지막 장인 생산성 향상 전략에서 다룬다.

오늘날 제약 기업들은 점차적으로 R&D 데이터를 사용하여 의사결정에 필요한 정보를 얻는 기술 기반 접근 방식을 사용하고 있다. 그 결과 임상시험 중에 생성되는 데이터의 양이 기하급수적으로 증가하고 있지만, 데이터를 처리, 관리, 활용하여 실행에 옮길 수 있는 인사이트를 확보해야만 그 이점을 얻을 수 있다. 2021년 터프츠 신약개발연구센터에 따르면 3상 임상시험에서 평균 360만 개의 데이터 포인트가 생성되었으며, 이는 10년 전 후기단계 임상시험에서 수집된 데이터의 3배에 달하는 양이다.<sup>5</sup>

임상 개발 과정에서 수집되는 방대한 양의 데이터에 인간이 검토하는 AI 및 디지털 기술을 적용하여 성공을 거둔 사례가 점차 많아지고 있다. 표적 발견 가속화, 시험기관 및 시험 참가자 파악 및 선정, 시험 참가자 모집 및 유지, 환자로부터 생성된 데이터 집계 및 분석, 프로토콜 및 사례 안전성 보고서 등 문서 생성 자동화부터 규제 승인을 위한 서류 작성 지원까지 전체 R&D 가치사슬에 걸쳐 이러한 성공 사례가 나타난다.

디지털화를 통한 차별화와 가치를 보장하려면 수집되는 임상 데이터의 유형과 규모, 신뢰성에 대해 의사결정을 내려야 한다. 뿐만 아니라 데이터를 연구 목적에 맞게 최적화할 수 있도록 어떻게 관리, 저장, 활용할지에 대해 의사결정을 내려야 한다. 디지털 임상시험 모집 솔루션, 데이터 플랫폼, AI 기반 도구는 임상연구 기법을 개선하여 환자 중심적이고 비용 효율적이며 관리하기 쉬운 접근 방식을 촉진한다. 조사대상 기업들은 이미 효율성의 가능성을 실현하고 있다.

✔ 트라이얼허브(TrialHub)는 임상시험 계획을 위한 데이터 인텔리전스 플랫폼으로, 대규모 언어 모델과 자연어 처리를 활용해 데이터 유용성, 호환성, 유연성을 개선한다. 트라이얼허브는 임상시험 계획 단계에 참여하는 모든 팀에 신뢰성 있는 데이터에 대한 중앙집중식 액세스 포인트를 제공한다. 각자의 고유한 목적에 맞게 조정할 수 있도록 허용함으로써 단편적인 분석과 분절적인 의사결정을 방지한다. 이는 6,000건 이상의 임상시험 계획에 사용되어 왔다.

- 10대 임상시험수탁기관 중 한 곳은 치료절차기준 인사이트 수집 속도가 20배 빨라지고 17만 시간에 달하는 수작업 연구를 방지할 수 있었다고 보고했다.
- 10대 제약바이오 기업 중 한 곳은 최소 한 차례의 중대한 수정 사항과 수개월에 달할 수 있었던 환자 모집 실패를 방지했으며, 그 가치는 모두 160만 달러로 추산된다.
- 한 컨설팅 기업과 고객사였던 제약바이오 기업은 임상3상 연구를 위한 구제 전략이 필요했다. 환자 경험을 개선할 수 있는 최적의 국가와 시험기관 및 분산형 임상시험(Decentralised clinical trial, DCT) 요소에 대한 계획을 수립해 이전보다 3배 빠르게 환자를 모집할 수 있었다.<sup>6</sup>

✔ 인실리코 메디슨(Insilico Medicine)의 플랫폼에서 AI로 설계한 특발성 폐섬유증 약물이 처음으로 임상2상 단계에 진입했다. 이 약물(ISM018\_055)의 전체 개발 과정에 걸쳐 다양한 AI 방식이 적용됐다. 연구팀은 인실리코 메디슨의 약물 설계 플랫폼인 Pharma.AI를 통해 다양한 AI 방법을 사용하여 질병의 잠재적 표적을 찾은 다음 유망한 약물 후보를 생성했다. ISM018\_055는 세포와 동물 모델에서 흉터를 줄이는 능력이 두드러졌다. 지난해 뉴질랜드와 중국에서 126명의 건강한 지원자를 대상으로 임상1상 시험을 성공적으로 완료했다. 표적 발굴부터 임상1상 완료까지 약 7년이 걸리는 일반적인 일정에 비해 3년 반 만에 도달한 것이다. 해당 기업은 2023년 6월에 임상2상 시험을 시작했으며 약물의 안전성을 추가로 조사하고 질병을 앓고 있는 사람들을 대상으로 효능을 테스트한다.<sup>7</sup>

✔ AI는 또한 임상시험에 필요한 환자의 수를 줄일 수 있다. 스타트업 언런(Unlearn)은 임상시험 환자의 디지털 트윈을 생성한다. 연구자들은 임상시험 시작 시 실험 환자의 데이터를 기반으로 동일한 환자가 대조군에서 어떻게 진행되었을지 예측하고 결과를 비교하는 데 디지털 트윈을 사용할 수 있다. 이 방법을 활용하면 필요한 대조군 환자 수를 일반적으로 20~50%까지 줄일 수 있다. 디지털 트윈은 연구자뿐만 아니라, 임상시험에 등록하는 환자에게도 도움이 된다.<sup>8</sup> 위약을 투여 받을 확률이 낮기 때문이다.



디지털화에 투자한 금액에 비하면 아직 충분한 성과를 거두지 못했다고 생각합니다. 많은 실패를 겪었습니다. 지속적인 진전이 있기는 하지만 극적인 진전은 아닙니다. 지난 5년 동안 업계에서는 흥미롭고 유익한 파일럿 실험이 굉장히 많이 진행되었습니다. 하지만 실제로 도입되어 확대된 사례는 훨씬 적습니다.

연구개발부문 수석부사장

기술 혁신의 속도와 AI 기술 사용의 증가를 감안할 때, 지금이 바로 업계가 지속적인 가치를 위해 디지털 기술 사용을 확대해야 할 때이다. 인터뷰 참여자들은 AI 도입에 대한 막대한 투자에도 불구하고 AI가 아직까지는 게임체인저는 아니며 완전한 투자 회수까지 갈 길이 멀다고 생각한다. 이는 대부분 기업이 AI에 임시방편적으로 투자하고 있으며 아직 명확한 장기 전략을 설정하지 못했기 때문일 수 있다. 많은 인터뷰 참여자들이 고된 노력을 통해 AI로부터 지속적인 가치를 얻기 시작하고 있다고 인정했지만, 무엇을 확대해 도입할지 여부를 결정하는 것은 어려운 일이라고 지적했다.

AI 및 디지털 기술 사용을 성공적으로 확대하기 위해서는 탑다운(top-down)과 바텀업(bottom-up)을 막론하고 전사적 차원의 지지와 전략적 집중이 필요하지만, 인터뷰 참여자들은 현재 일어나고 있는 폭발적인 과학 발전을 고려할 때 디지털화가 최우선순위가 되기는 어렵다는 점도 인정했다. 인터뷰 참여자들은 극적인 진전은 없었지만, 업계 전반에 걸쳐 지속적인 발전이 이루어지고 있으며 생성형 AI의 도입과 이로 인한 R&D 생산성 향상 가능성으로 인해 진척 속도가 빨라지고 있다고 말했다. 본고의 마지막 장(생산성 향상 전략)에서 생성형AI의 영향에 대해 다시 살펴본다.

### 임상시험 경험의 개편

임상시험 일정을 지연시키고 비용을 증가시키는 시험대상자 모집 및 유지 문제를 해결하기에 오늘날 표준이 된 환자중심 접근방식은 충분하지 않다. 인터뷰 참여자들은 환자가 겪는 임상시험 경험에 대해 업계 전반적으로 기준치가 높아졌다는 사실을 인지하고 있다. 기업은 인간 중심의 접근방식을 도입함으로써 환자 니즈, 경험, 지역사회 관계를 바탕으로 임상시험에 대한 인식과 접근성, 신뢰 등의 고유한 문제를 해결할 수 있다. 제약바이오 기업은 지역사회 관계를 구축하면 의료 연구에 대한 신뢰를 쌓고 환자들이 연구 참여를 주저하지 않을 수 있도록 하며 임상시험의 다양성을 개선하는 데 도움이 될 수 있다.<sup>9</sup> 환자와의 대화형 인터페이스를 지원하는 대규모 언어 모델 기반 앱은 환자 모집이나 동의와 같은 중요한 순간에 연구에 대한 환자의 질문에 답하여 참여도와 순응도를 높일 수 있다.

한 가지 간과하기 쉬운 측면은 임상시험이 연구자와 시험기관 직원, 환자에게 과중한 부담을 주어 향후 연구에 참여하려는 의지를 저하시킬 수 있다는 점이다. 팬데믹 기간 동안 분산형 임상시험(Decentralised clinical trial, DCT)이 진행되었는데, 아직 광범위하게 도입되지는 않았지만 분산형 임상시험이나 전자동의서, 원격의료, 가상 체크인과 원격 평가용 센서 등 분산형 요소를 포함하는 하이브리드 임상시험 모델은 혁신적인 잠재력을 지니고 있다. 임상시험에 대한 환자 참여는 크게 향상될 수 있지만, 이를 위해서는 임상시험 의뢰자와 임상기관 직원이 환자에게 더 나은 서비스를 제공할 수 있도록 임상시험 수행 방식을 조정해야 한다. 즉 데이터 수집이나 평가 도구에 대해 제약을 받지 않으면서도 환자 중심성과 다양성, 포용성을 개선하기 위한 솔루션(모바일 임상 연구 유닛 등)을 제공하는 것이다.<sup>10,11</sup> DCT에는 가상 트레이닝, 원격의료, 환자에 대한 직배송, 환자 환급, 커넥티드 기기, 이미지 캡처 등이 포함되며, 임상시험 참가자가 평



가를 위해 시험기관을 방문하도록 요구하지 않고도 자택이나 근처에서 임상시험에 참여할 수 있도록 하는 데 중점을 둔다. 다양한 연령대, 인종, 지역을 아우르는 광범위한 커뮤니티에 대한 접근성을 높이는 웨어러블 사용이 증가하면 임상시험 방식의 유연성이 제고되고 실제 임상시험 데이터(real-world trial data) 수집을 현저히 증가시킬 수 있다. 애플워치, 오우라 링, 스마트 의류와 같은 기기는 데이터 정확성을 높이고 임상시험 참가자의 부담감을 최소화하는 방식으로 데이터를 수집할 수 있다. 앞으로 환자 중심의 DCT 솔루션이 임상시험 설계의 일부로 포함되어 프로토콜 준수, 환자 모집 및 유지, R&D 생산성이 향상될 것으로 기대된다.<sup>12</sup>

하지만 원격 모니터링과 탈중앙화는 그리 간단한 해결책이 아니다. 최근 터프츠 신약개발연구센터가 전 세계 임상시험기관을 대상으로 온라인 설문조사를 실시하여 355명의 응답을 수집한 결과, 높은 비율의 임상시험기관(50.5%)이 DCT 솔루션에 대한 경험이 없으며, 소수(6.6%)만이 완전히 분산적인 임상시험에 참여한 적이 있는 것으로 나타났다.<sup>13</sup> 전체적으로 응답자 절반은 DCT 솔루션을 기존 임상시험보다 더 부담스러운 것으로 인식하고 있다.<sup>12</sup>

일반적으로 임상시험 실시의 운영 및 관리 측면의 활동은 원격으로 수행할 때 부담이 덜하다고 여기는 반면, 임상 절차 또는 연구팀-환자 간의 상호작용이 필요한 요소는 대면이나 기존 방식보다는 DCT 방식을 사용할 때 더 부담스럽다고 여긴다. 게다가 여러 시스템과 플랫폼을 사용하는 경우 DCT는 운영적으로 매우 복잡할 수 있다.

현장에서의 부담 가중과 환자 부담 감소 사이에서 균형을 맞추는 것이 중요하지만, 업계는 합성대조군(synthetic control arm)을 생성하는 등의 다른 방법을 통해 복잡성을 줄여 속도를 높이고 소외집단을 포함시킬 수 있다.<sup>13</sup>

무엇보다 임상시험에서 시간 절감의 의미는 치료제를 빠르게 개발해 생명을 구하거나 적어도 개선한다는 뜻이다. 혁신은 신약개발의 속도, 정확성, 비용 효율성을 향상시키지만, 환자 안전은 여전히 가장 중요한 문제이므로 사람 중심, 형평성 중심의 설계 방식이 필요하다. 이를 위해서는 기업이 애자일한 데이터 처리 방식에 투자하고, 규제 기관과 조기에 소통하며, 외부 파트너사와 협력하고, 포트폴리오 관리의 우선순위를 정해야 한다. 생성형AI, 머신러닝, 딥러닝, 데이터 분석의 결합은 제약바이오 R&D 전반에 걸쳐 가치 창출 시간을 단축하면서 속도와 생산성, 품질, 지속가능성을 향상시킬 수 있는 수많은 기회를 준다. 차세대 AI 기술과 풍부한 멀티오믹스(multi-omics) 데이터를 결합하면 실험실부터 병상까지 R&D 파이프라인 전반적으로 가설의 자동생성 및 테스트가 가능해져 전 과정을 아우를 수 있다.<sup>15</sup>

현대화된 임상시험이 성공하기 위해서는 임상시험 대상 환자 집단의 다양성을 대표할 수 있는 효율적이고 간결하며 이해하기 용이한 프로세스를 파악해야 한다. 지난 연구 보고서에서 확인한 바와 같이 미래의 임상시험은 다음을 기반으로 발전할 것이다.



- ✔️ 목적이 이끄는 디지털 혁신
- ✔️ 임상시험 네트워크 구축
- ✔️ 지속가능성에 대한 집중(설계 시 지속가능성 고려)
- ✔️ 광범위한 협업
- ✔️ 광범위한 데이터 상호운용성
- ✔️ FAIR[검색가능성(findability), 접근성(accessibility), 상호운용성(interoperability), 재사용성(reusability)] 데이터 표준 적용
- ✔️ 견고한 정보보호 및 개인정보보호(설계 시 보안 고려) <sup>16, 17, 18</sup>

# 파이프라인 가치 극대화

제약바이오 기업들이 수익성 있는 R&D 파이프라인을 유지하고 새로운 치료제를 출시하기 위해 노력하는 가운데, 규제, 다가오는 특허 만료, 기술 발전, 경쟁 압박 등 어려운 환경을 헤쳐나가고 있다. 오늘날 인플레이션 감축법, EU 특허법이 그 영향력을 발휘하고 업계 곳곳에서 시가 빠르게 부상하는 가운데 제약바이오 산업은 시대에 앞서 나가기 위해 신속하고 유연하며 협력적인 R&D 운영 모델이 필요하다.



인플레이션 감축법은 소수의 약품을 대상으로 하여 그 범위가 상당히 제한적입니다. 가장 규모가 큰 약품만 대상으로 하고 있습니다. 점진적인 영향과 역풍이 있겠지만 판도를 바꿀 정도의 역풍은 아닙니다. 하지만 그 규모가 확대되어 모든 약품에 적용된다면 독점 기간이 더욱 짧아질 것입니다. 메디케어가 점점 더 많은 협상을 요구하게 될 것입니다. 그러면 모든 혁신이 위축될 것입니다.

20대 제약바이오 기업 연구개발IT부문 수석부사장

인터뷰에 응한 R&D 임원들은 R&D 비용 상승과 기간 증가보다 인플레이션 감축법 등의 규제 변화에 더 큰 우려를 표했다. 이는 부분적으로는 이러한 규제의 영향이 상대적으로 잘 알려지지 않았고, 유럽 의약품청과 같은 다른 규제 기관에서도 자산의 수익 잠재력에 영향을 미치는 엄격한 신규 규제를 도입하고 있기 때문이다. 이전 장에서 규제가 R&D 비용과 임상시험에 미치는 영향을 살펴보았다면 이번 장에서는 규제가 개발 중인 자산의 상업적 가치 극대화에 미치는 영향에 대해 살펴볼 것이다.

## 적응증 확대 전략에 영향을 미칠 규제 개혁

미국의 인플레이션 감축법은 일회성 사건에 그치지 않고 지속적인 변화의 촉매제가 될 것으로 생각된다.<sup>19</sup> 인플레이션 감축법의 궁극적인 목표는 약가 인하 협상과 인플레이션에 따른 의약품 가격 인상 제한을 통해 미국인의 의료 비용을 낮추는 것이다. 그러나 메디케어 처방약 가격에 적용될 변화는 전 세계 제약바이오 산업에 광범위한 영향을 미칠 것이다.<sup>20</sup> 발효된 지 만 2년이 된 현재, 그 영향력이 어느 정도인지 아직 파악되지는 않았지만 업계 많은 이들이 주목하고 있다. 현재 인플레이션 감축법의 적용 범위는 2026년부터 적용되는 10개 의약품으로 제한되어 있지만, 이 의약품은 모두 조사기업의 상업화 포트폴리오에서 블록버스터 의약품에 해당된다.<sup>21</sup> 2030년까지 약가 인하 협상에 대해 승인 받는 의약품의 수는 80개에 달할 것으로 예상된다.<sup>22</sup>

출시 및 상업 전략 측면에서 많은 인터뷰 참여자들은 인플레이션 감축법으로 다적응증(multi-indication) 약품 출시와 관련해 내려야 하는 어려운 의사결정에 대해 언급했다. 원래 블록버스터 자산의 전략은 하나의 특수한 적응증으로 빠르게 시장에 진입한 후 2~3년 뒤에 훨씬 더 큰 적응증으로 확장하는 것이다. 그러나 제약바이오 기업은 가격 협상 전의 기간이 줄어드는 것을 피하고 싶어할 것이다. 가능한 가장 큰 적응증을 먼저 출시하여 협상 전의 시간을 최대화하려는 방안은 훨씬 더 큰 위험을 수반하며, 막대한 투자 후 실패로 이어질 가능성이 있다. 모든 상황에 적용될 수 있는 만병통치약 같은 정답은 없다.

약가 인하 협상을 피하기 위해 제조업체는 현재 메디케어 시장의 범위를 벗어나면서도 블록버스터가 될 수 있는 약품을 선호하게 될 수도 있다. 이는 메디케어가 주로 65세 이상을 대상으로 하기 때문에 젊은 층이 앓는 질환을 공략하는 의약품으로 관심을 돌리거나 인플레이션 감축법 협상 범위에서 벗어난 단일 적응증 희귀 바이오의약품에 관심이 커질 수 있다. 또 다른 전략은 협상 범위를 벗어나기 위해 이미 승인 받은 적응증 확대 목적의 임상시험을 추진하지 않는 것이 될 수 있다.<sup>23</sup>

인플레이션 감축법의 범위 확대 여부와 시점은 훨씬 더 불확실하다. 인터뷰 참여자들은 인플레이션 감축법으로 인해 인센티브가 적어지고 수익성이 감소하여 제약바이오 기업이 자산을 개발할 때 위험을 감수하지 않는 경향이 높아져 혁신을 저해할 수 있다는 우려를 제기했다. 그렇다고 해서 제약바이오 R&D에 수반되는 리스크가 전반적으로 줄어든다는 의미는 아니다. 대신 개발되는 자산 수가 줄어들면 시장 출시 기간을 단축하고 가격 협상을 시작하기 전 비용을 회수하기 위해 임상 개발 노력을 병행하여 일정을 단축해야 한다는 압박을 받게 될 것이다. 지난 2021년 및 2022년 보고서에서 다뤘듯이 코로나19 치료제와 백신의 매우 짧은 개발 일정을 통해 얻은 교훈을 포트폴리오 전반에 적용하여 자산 개발을 빠른 속도로 진전시킬 수 있다.<sup>24,25</sup>

인플레이션 감축법은 미국 제정법이지만, 제약바이오 산업의 국제적인 특성상 전 세계적인 파급 효과가 있으며 앞으로도 지속될 것이다. 그러나 동 산업 규제에 압박한 변화는 이뿐만이 아니다. 2023년 4월 유럽연합 집행위원회는 20년 만에 최대 규모의 개혁으로 평가되는 EU 제약법 개정을 제안했다.<sup>26</sup> 인플레이션 감축법과 마찬가지로 EU 개정안은 의약품에 대한 접근성을 개선하는 동시에 시장 독점을 줄이고 궁극적으로는 다적응증 제품을 옹호하는 데 초점을 맞추고 있으며, 제품이 두 개 이상의 적응증을 대상으로 하는 경우 특허를 1년 연장하는 인센티브를 제공한다. 또한 EU 내 모든 회원국에서 제품을 출시할 경우 2년의 특허 연장을 추가로 받을 수 있다(EU 전역의 의약품 접근성 격차 해소를 목표로 한다).

### 개발 초기부터 신약상업화 팀과 협력

규제에 따른 인센티브와 처벌이 강화되면서 기업은 개발 프로세스 초기에 자산에 대한 상업 전략을 수립해야 한다. 새로운 과학적 혁신만으로는 시장에서의 성공을 보장할 수 없다. 많은 인터뷰 참여자들이 제약바이오 가치 사슬 전반에 걸쳐 팀 간 운영상의 단절을 언급했다. 의약품이 출시까지 진행될 경우 제품, 시장 환경, 규제, 환자 집단 특성에 대한 기업 전반에서 오는 인사이트가 성공을 견인하는데, 이러한 인사이트가 없다면 자산에 대한 개발 진행 및 출시 여부와 상업 전략에 대해 전략적 의사 결정을 내려야 할 때 정보가 충분하지 않을 수 있다.

개발 초기에 여러 부서가 참여하고 상업적 가치를 결정한 다음, 치료 영역 전략과 개별 연구 설계를 일관되게 조정하여 출시까지 추적할 수 있도록 하면 성공적인 출시와 상업적 성과를 달성할 수 있다. 궁극적으로 기업이 R&D 초기 단계에서 약물의 상업적 잠재력을 파악하면 성공 가능성이 가장 높은 약물에 자원을 집중시킬 수 있다.

전통적으로 대형 제약바이오 기업들은 고가의 블록버스터 자산에 의존해 업계를 유지해왔고 개발 단계에서 실패로 끝나는 90%의 자산과 회수하지 못한 투자 비용을 상쇄해 왔다. 오늘날 신약 출시의 성공 여부 중 1/3은 애널리스트의 예상치를 빗나간다.<sup>27</sup> 또한 특허의 특성과 궁극적인 독점권 상실, 저가 제네릭 개발로 인해 제약바이오 기업은 손실을 메우기 위해 꾸준한 블록버스터 의약품 생산에 의존하게 된다. 독점권 상실의 영향은 향후 몇 년간 조사기업에 증가할 가능성이 높다.<sup>28</sup> 딜로이트의 2023 생명과학 M&A 동향 보고서는 2023년 M&A 거래 가치가 46% 증가했다고 강조하며 다양한 치료 분야에서 독점권 상실이 지속되는 가운데 2024년에는 대형 제약사가 M&A를 통해 포트폴리오 공백을 메우는 해가 될 것으로 예측했다.<sup>29</sup>

대형 제약사들은 2026년부터 2030년까지 실질적인 매출 성장에 기여할 수 있는 후기단계 및 초기 상업화 단계의 자산을 지속적으로 공략할 것으로 예상된다.<sup>30</sup>

블록버스터 출시 전략은 변화할 가능성이 높다. 그러나 표적 치료제에 대한 관심이 높아지는 등 변화하는 시장에서 미충족 수요를 충족하는 동시에 큰 수익을 창출할 수 있는 자산이 여전히 우선시될 가능성이 높다. R&D 투자를 이끌 치료 분야 전략을 수립할 때 상업팀을 참여시키는 기업은 고가치 자산을 파악하고 이를 성공적으로 진행시킬 수 있다. 이러한 전략은 약 5년에서 10년을 내다보고 출시 예상 시점의 상업, 규제, 혁신 환경을 예측하여 궁극적으로 성공 가능성이 가장 높고 가치가 높은 프로그램으로 투자를 유도해야 한다. 상업상의 잠재력 평가와 기술 및 규제 위험도 평가에 첨단 분석을 활용하면 이러한 전략 수립에 도움이 되며 R&D 주기의 다양한 단계에서 진행 또는 중단 여부 결정에 도움을 받을 수 있다.

### 지속가능한 파이프라인 보충 전략 채택

2030년까지 190개의 의약품 특허가 만료될 예정이며, 그 중 69개는 현재 블록버스터 의약품으로 거의 모든 주요 제약사가 영향을 받을 전망이다.<sup>31</sup> 이는 2030년까지 2,360억 달러의 제약 매출이 위협에 처해 있음을 의미한다.<sup>32</sup> 매출의 약 20%를 R&D에 투자하는 산업에서 혁신의 속도를 유지하기 위해 상업화 포트폴리오를 보충해야 할 필요성은 분명해 보인다.<sup>33</sup>

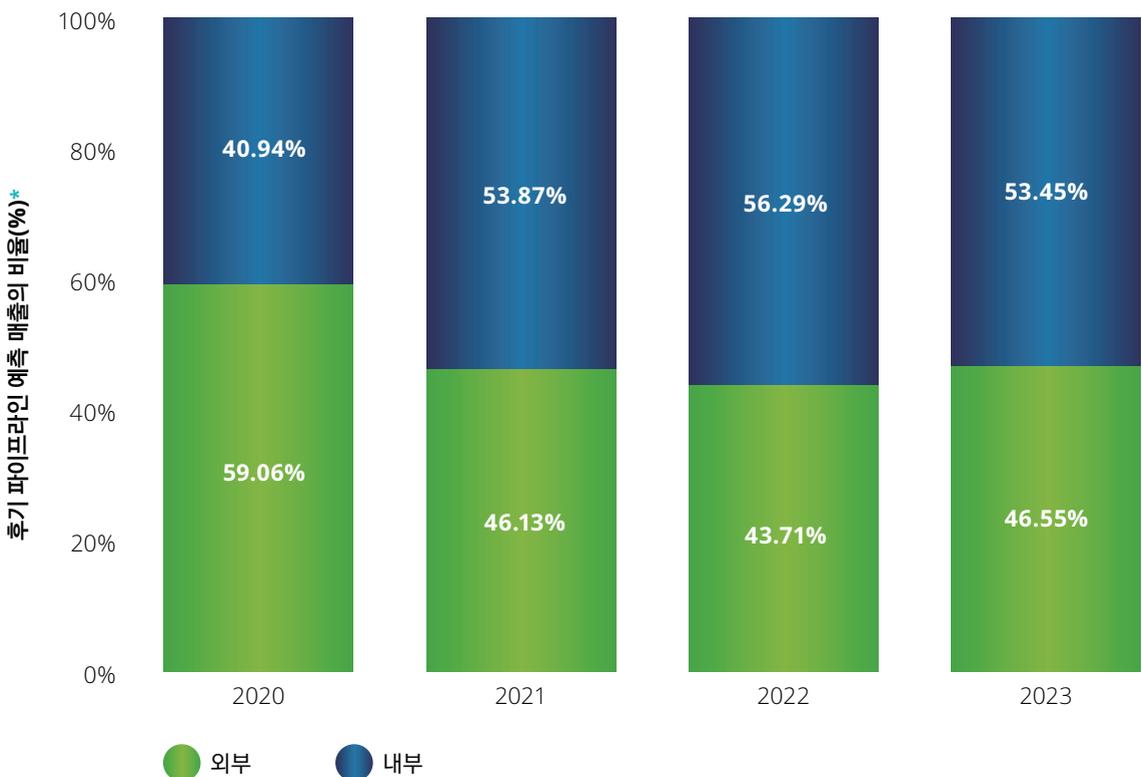
인플레이션 감축법은 가격 통제의 잠재적 영향까지 고려한다면, 혁신의 기회가 그 어느 때보다 큰 시기임에도 R&D에 투자할 수 있는 금액이 약 1,600억 달러 줄어들 것으로 예상된다.<sup>34</sup> 따라서 제약바이오 기업은 유연한 소싱 전략을 구현하여 매출 공백을 메우고 레드 오션인 치료 영역 이외의 기회를 모색하여, 잠재적인 인플레이션 감축법의 잠재적 영향을 최소화하고 데이터 기반 R&D 전략을 구현해 성공 가능성을 높여야 한다.

지속가능한 파이프라인 보충을 위해 기업은 내부 소싱과 외부 소싱 간의 장단점을 고려해야 한다. 인터뷰 참여자들이 언급한 바와 같이 기업들이 복잡한 미충족 수요를 목표로 삼으면서 내부 혁신의 위험은 점차 높아지고 있다. 혁신 신약을 개발하기 위해 기업들은 생물학을 이해하고 표적을 찾고 바이오마커, 약물 평가 분석, 평가변수와 같은 모달리티와 도구를 구축하는 데 투자해야 하는데, 이 모든 과정을 병행해야 한다. 이러한 노력에 대한 검증은 임상시험 중단율이 증가하고 있는 후기단계 임상시험에서 이루어진다.

조사기업의 경우 2021년과 2023년 사이에 종료된 후기단계 자산의 수가 세 배 이상 증가했다. 그러나 엄격한 자산 개발 진행 가이드라인을 고려할 때 내부 자산 개발을 통해 더 큰 성공을 거둘 수 있고 심층적인 내부 전문성을 구축할 수 있다.

새로운 데이터셋을 통해 2020년까지 거슬러 올라가 조사기업 파이프라인의 구성을 살펴봤다. 이 기업들의 경우, 내부에서 소싱한 자산의 예상 매출 비중은 2021년 이후 비교적 안정적으로 유지되어 예상 매출의 50% 소폭 상회했다(그림 6 참조).

그림 6. 내부 및 외부에서 조달되는 후기단계 파이프라인 예측 비율, 2020~2023년



\*참고: 위험도 고려하지 않은 총 유입 기준



외부 혁신의 출처를 확보하려면 충분한 증거가 필요합니다. 매도자가 그 정도의 증거를 확보하면 가격이 치솟습니다. 업계 전체가 항상 가치를 어디까지 매겨야 할지 고민하고 있습니다. 기업들은 이전보다 훨씬 더 많은 비용을 지불할 의향이 있습니다. 그리고 인수 가격은 투자 수익을 어떻게 얻을 수 있는지 이해하기 어려울 정도로 급등했습니다.

**20대 제약바이오 기업 R&D 최고 책임자 겸 포트폴리오 프로그램 관리 부사장**

지난 10년간 제약바이오 기업들은 파이프라인을 보충하기 위해 외부 혁신에 의존해 왔다. 2020년 이후 외부에서 조달한 자산(M&A, 구매, 합작투자, 라이선스 등을 통해 획득한 자산)이 전체 후기단계 파이프라인의 약 60%를 차지한 것으로 나타났다. 다가오는 '특허 절벽(patent cliff)'으로 인해 기업들이 포트폴리오 공백을 메우고 상업적 유입 손실을 보완하기 위해 외부 소싱에 대한 관심이 높아질 것으로 보인다.<sup>35</sup>

외부에서 조달한 자산은 개발 주기상의 인수 시점에 따라 내부 팀을 개발하거나 적절한 파트너를 찾아 상업화까지 진행해야 한다. 인터뷰 참여자들은 또한 위험이 없는 후기단계 자산을 인수하는 데만 지나치게 의존하면 인수 가격이 치솟아 투자 수익률이 떨어질 수 있다고 경고했다. 높은 성공 가능성과 높은 인수 가격 사이에서 균형을 맞추려면 중요한 시점에 거래를 체결할 지식을 갖춘 팀을 마련하는 것이 중요하다.



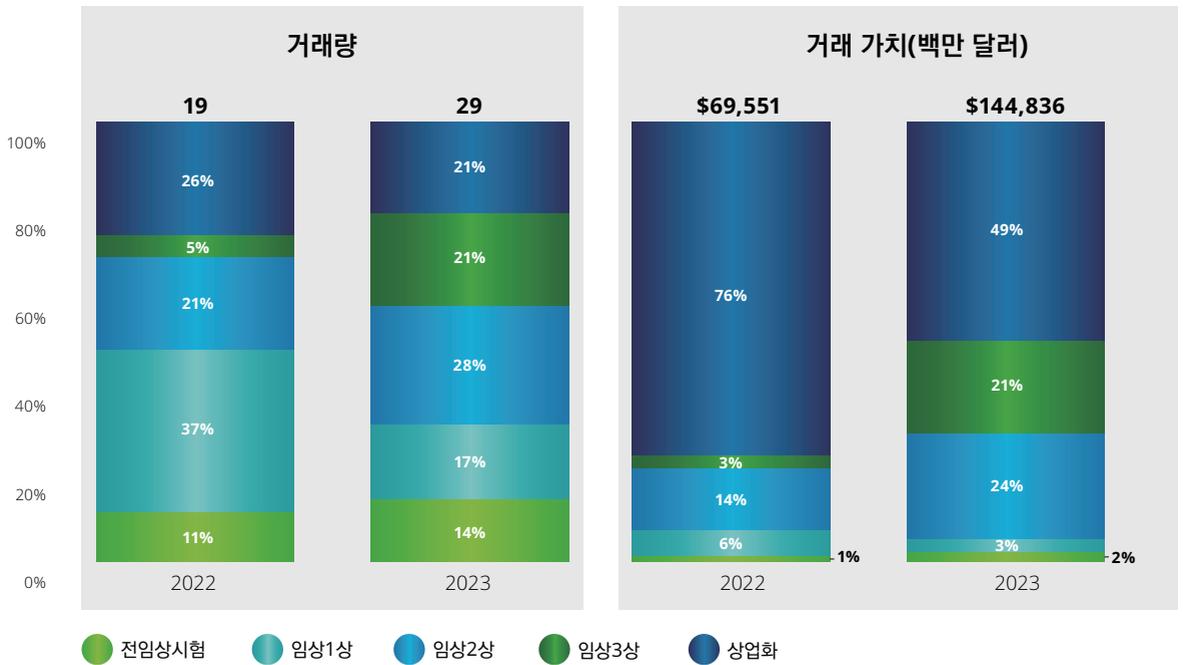
저는 기업들이 거의 100% 외부 혁신에 의존하는 방향으로 나아가는 것을 보았습니다. 저는 그것이 실패로 가는 길이라고 생각합니다. 하지만 모든 것을 내부적으로 할 수 있거나 해야 한다고 생각하지는 않습니다. 하지만 내부적으로 혁신을 위한 명확한 기반과 역량, 무엇을 인수해야 하는지에 대한 깊은 지식이 없다면 성공할 수 없다고 생각합니다.

**20대 제약바이오 기업 R&D 개발부문 수석부사장**

제약바이오 업계에서 M&A는 계속해서 중요한 역할을 할 것이며, 다가오는 특허 절벽은 여전히 중요한 동인으로 작용할 것이다. 기업들이 치료 분야의 깊이를 더하기 위해 노력함에 따라 강력한 데이터로 검증된 고가치 인수를 위한 경쟁은 치열해질 것이다. 실제로 조사기업들이 2022년과 2023년에 체결한 M&A를 분석했다. 그림 7에서 볼 수 있듯이 20대 제약바이오 기업이 체결한 거래의 가치는 2022년에서 2023년 사이 두 배로 증가했다. 2023년에 기업들은 후기단계 R&D 자산, 특히 임상2상 및 임상3상 자산을 인수하는 데 더 많은 자본을 할당하여 거래 가치 비율이 2022년 17%에서 2023년 45%로 증가했다.

장기적인 성공을 위해서는 파이프라인 전략에 있어 유연성을 기르고 내외부 소싱의 균형을 유연하게 맞추는 동시에 전략적으로 집중하는 치료 분야에 대한 강력한 지식 기반과 전문성을 구축 및 유지해야 한다. 이러한 지식 기반은 가치평가가 급등하기 전에 자산을 조기에 인수하는 등의 의사 결정을 내릴 수 있도록 다년간의 전문성을 갖춘 인재를 유지하고 유지하는 능력에 달려 있다. 대부분의 인터뷰 참여자들은 오늘날 여러 기업에서 다양한 직무를 수행하는 일반적인 커리어 패턴으로 인해 기업들이 이 문제에 대해 어려움을 겪고 있다고 말했다. 과학자들이 한 기업에서 30~40년 장기 근속하며 한 치료 분야의 단일 메커니즘에 대한 깊이 있는 지식을 쌓는 것은 더 이상 일반적이지 않다.

그림 7. 주요 임상시험 단계별 20대 제약바이오 기업 M&A 활동(2022~2023년)



참고: 제약바이오 관련 거래만 나타내고 있으며, 공개 거래 금액이 없는 거래는 제외되었다.  
출처: Capital IQ, 기업 웹사이트, 딜로이트 1차 조사 및 분석



# 생산성 향상 전략

2010년 이후 조사기업들은 성공적인 규제 승인 또는 후기단계 중단으로 파이프라인에서 자산이 제외되는 동일한 속도로 동일한 가치의 새로운 자산을 R&D 파이프라인에 보충하는 데 어려움을 겪어왔다. 비용 상승, 긴 개발 기간, 다가오는 특허 만료, 복잡한 M&A 환경, 변화하는 규제로 인해 제약바이오 산업에서는 상업화 포트폴리오가 혁신적인 R&D를 지속하고 장기적인 성장을 지원할 수 없는 지점에 다다르고 있다.

제약 산업과 의료 산업은 상호 운용 가능한 데이터, 개방적이고 안전한 플랫폼, 환자 중심 치료 등으로 인해 큰 규모의 혁신을 앞두고 있으며, 이는 더 적은 비용으로 더 생산적인 신약 개발을 실현할 수 있는 잠재력이 있다. AI는 매우 세부적이고 정확하며 부작용 위험이 적은 정밀한 새 표적 치료제 발굴을 가속화할 것이다. 컴퓨터 시뮬레이션과 개인맞춤형 의학이 발전하면서 AI는 실제로 신약 개발 및 규제 평가에 첨단 컴퓨터 모델링과 시뮬레이션을 사용하는 '인실리코'(in-silico) 임상시험으로 이어질 것이다. 환자 경험을 개선할 수 있는 AI의 잠재력은 R&D 프로세스에 걸쳐 환자 중심주의를 더욱 완벽하게 구현해 내려는 제약바이오 업계의 포부를 실현하는 데 도움이 될 것이다. 결과적으로 AI를 활용한 디지털 전환은 제약산업의 리더들에게 전략적 필수 요소로 빠르게 자리 잡고 있다.

## R&D 분야 속 생성형AI의 혁신적 잠재력

인공지능, 특히 생성형AI가 마침내 의사 결정을 빠르게 할 수 있는 혁신적인 기술 혁신이 될 수 있다는 인식이 확산되고 있다. 2020년 지능형 임상시험 관련 보고서에서 임상시험 생산성 향상, 환자 경험 개선, 규제 관련 의사 결정 가속화에 있어 AI의 역할을 살펴보았다.<sup>36</sup> 오늘날 머신러닝 및 예측 분석과 함께 생성형AI의 지속적인 발전은 임상시험 착수부터 종료에 이르기까지 엔드투엔드 비즈니스 가치 흐름을 창출할 수 있는 잠재력이 있다.

최근 연구 결과에 따르면 AI 활용이 확대되면서 R&D 영역에서 가장 큰 가치 창출 기회가 생기며, 그 다음으로 상업, 제조 및 공급망, 사업지원 부서 순인 것으로 나타났다.<sup>37</sup> 현재까지 생성형AI의 가장 일반적인 용도는 제약사가 투자할 질병 분야를 결정하는 방식을 바꾸는 것이다. 또한 표적을 파악하고, 분자를 개발하고, 신약 발견의 정확성, 예측 가능성, 속도를 개선하는 데에도 사용되고 있다.<sup>38</sup>

연구에 따르면 생성형AI는 현재 신약 개발 과정의 약 16%를 담당하고 있으며, 향후 3~5년 동안 그 사용량이 106% 증가할 것으로 예측된다.<sup>39</sup>

또한 인간 개입(human in the loop) 방식의 생성형AI는 전체 R&D 가치 사슬에서 비용 상승을 늦추고 작업을 가속화하며 외부 아웃소싱 대신 기업 내부적으로 더 많은 일을 처리할 잠재력이 있다. 이와 동시에 내부 직원과 환자 모두의 경험을 개선하고 궁극적으로 더 효과적인 치료법 개발에 기여할 수 있다.<sup>40</sup>

딜로이트 전문가들은 조사기업 중 다수 기업이 내부 역량과 파트너십을 구축해

이 기술이 다양한 운영 절차에 어떤 영향을 미칠 수 있는지 살

펴보고 있다고 언급했다. 그렇다면 혁신적 변화를 위해

생성형AI를 가장 잘 활용할 수 있는 방법은 무엇일까?

그림 8은 기업이 복잡한 질병 생물학을 이해하고 신

약 개발을 가속화하며 연구 일정을 단축하고 임상

시험 경험을 개선할 수 있는 몇 가지 전략적 적용

방안을 제시한다.



그림 8. R&D 가치 사슬 전반의 AI 전략적 적용 방안

	AI의 역할	효과
약물 용도 변경	임상시험 및 연구 데이터의 메타분석을 진행해 약물 용도 변경을 위한 양질의 가설 생성	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 전임상시험 비용 감소</li> <li>• 출시 시간 단축</li> <li>• 신약승인신청 증가</li> </ul>
AI 기반 약물 발견	독성 및 치료 효능을 평가하는 동시에 표적 및 바이오마커 파악 및 최종 후보군 선정 시 효율 극대화	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 임상 성공률 향상</li> <li>• 실패율 감소</li> <li>• 신약승인신청 증가</li> </ul>
설계 및 착수 가속화	프로토콜 및 기타 문서(동의서, 계약서) 작성과 규제기관 제출 자동화	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 평균 프로토콜 작성 시간 단축</li> <li>• 첫 등록까지 걸리는 평균 시간 단축</li> </ul>
디지털 데이터 플로우	임상시험 데이터 요소를 수집 및 표준화하여 분석가능한 데이터셋을 생성하고 임상시험문서(사례 보고서 양식 등)의 표와 차트 자동 기입	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 임상단계당 총 소요 시간 단축</li> <li>• 정기적 데이터베이스 Lock</li> <li>• 문서 생성 가속화</li> </ul>
규제 정보 파악 및 서류 제출	여러 지역의 규제 요건 파악, 서류 초안 생성, 경쟁사 규제 전략 이해	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 규제 준수 제고</li> </ul>
임상시험 참가자 경험	전략적 넛징(nudging)을 통해 참여자 경험 개선하며 모집 및 유지 전략 혁신	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 중도 탈락율 감소</li> <li>• 모집 가속화</li> <li>• 불충분한 모집으로 인한 중단 사례 감소</li> </ul>



데이터를 최대한 활용하는 가장 성공적인 기업은 데이터 아키텍처를 위한 고도의 역량을 구축하고 데이터 아키텍처에 FAIR 원칙을 구현하는 데 투자하는 기업이라고 생각합니다.

20대 제약바이오 기업 R&D 개발부문 수석부사장

디지털과 AI 투자에 대한 비즈니스 사례를 만들 때 단기적 비용과 장기적 효율성 향상 사이의 균형을 맞춰야 한다. 대규모 전략을 실행하려면 AI 사용으로 인한 윤리적 및 법적 리스크 모니터링, 투자, 실현된 가치 평가 등을 위한 거버넌스 기능을 구축해야 한다. 최근 발간된 딜로이트 보고서에서는 AI와 생성형AI 사용을 통해 혁신을 확대하기 위해서는 이를 뒷받침할 제약바이오 기업 내 문화, 리더십, 사고방식이 필요함을 강조한다.<sup>41</sup>

기술 도입을 성공적으로 확대하려면 이러한 기술을 기존 워크플로우에 통합하는 데 대한 사용자의 불안감과 회의론, 저항 등의 이슈를 해결해야 한다. 사용자에게 해당 기술이 워크플로우로 발생하는 불편을 극복하는 데 어떻게 도움이 되는지 자주 시연하고 확대 과정에 서 사용자 피드백에 적극 대응하면 광범위한 채택을 촉진하는 데 도움이 될 수 있다.

### 성공 가능성을 높이는 데이터 기반의 초기 단계 R&D

의약품 개발에 많은 시간과 비용이 필요함에도 불구하고 임상시험에 진입한 신약 후보물질 10건 중 9건은 시장 출시에 실패한다.<sup>42</sup> 연구에 따르면 임상시험 실패로 인한 비용은 전체 개발 비용의 약 60%를 차지한다.<sup>43</sup> 그러나 아이큐비아(IQVIA)의 최근 연구에 따르면 종합 성공률이 2018년 이후 최고치인 10.8%에 달해 개선의 가능성을 시사하고 있다.<sup>44</sup> 초기 단계 R&D의 분석적 인사이트를 개선하면 기업은 양질의 후보물질 양과 비용을 더 많이 늘릴 수 있다(물론 그 자체만으로 충분한 것은 아니다).

혁신이 점차 복잡해지는 가운데 중개연구\*에 투자하면 기업은 표적 단백질 결합, 안전성 프로파일, 효능에 대해 더 잘 이해하고 임상 전 또는 초기 단계 R&D에서 메커니즘 증명을 검증할 수 있게 된다.

정량적 의사결정 프레임워크를 통해 이러한 심층적인 지식을 분석하면 R&D 조직은 보다 조기에 깊은 인사이트를 바탕으로 '진행 또는 중단' 의사결정을 내릴 수 있으며, 궁극적으로 3상 연구가 중추적이 아닌 확증적인 단계가 될 수 있다.

인터뷰 참여자들은 향후 몇 년 동안 AI와 머신러닝 알고리즘이 신약 개발 활동(표적 식별, 분자 설계, 리드 검증 등)을 가속화하여 점차 상품화될 것이라고 예측한다. 차별화 요소는 이러한 알고리즘이 학습하고 지속적으로 사용하는 독점적인 데이터의 품질과 포괄성이 될 것이다. 내부 임상시험 데이터, 공개적으로 이용 가능한 멀티오믹스 데이터세트, 환자로부터 생성된 데이터(웨어러블 기기 데이터 등)를 쉽게 관리할 수 있는 분석 엔진을 구축하면 기업이 인사이트 창출을 위해 데이터를 사용하는 방식이 변화할 것이다. 지금 시점에 여러 데이터세트 활용 및 안전한 공유를 위한 데이터 아키텍처를 구축하는 데 투자하는 기업은 상당한 이점을 누릴 수 있다.

또한 인간의 건강과 질병의 생물학적 특성을 반영하는 디지털 인체 세포 모델을 개발하면 신약 후보물질의 안전성과 효능을 보다 조기에 더 잘 이해할 수 있다. 또한 임상 연구 결과를 시뮬레이션하면 연구자와 과학자가 통제된 조건에서 효율적인 방식으로 다양한 시나리오와 결과를 테스트해볼 수 있어 신약 개발을 개선할 수 있다. 이를 통해 임상시험을 실시하기도 전에 잠재적인 안전성 문제를 파악하고 용량과 치료 전략을 가장 효과적일 수 있게 만들 수 있다. 또한 모델을 활용하여 임상시험 참가자의 디지털 트윈을 만들고 만약 임상시험 참가자가 대조군에 속했다면 어떤 일이 일어났을 지 시뮬레이션하여 필요한 대조군 후보자의 수를 줄일 수 있다.

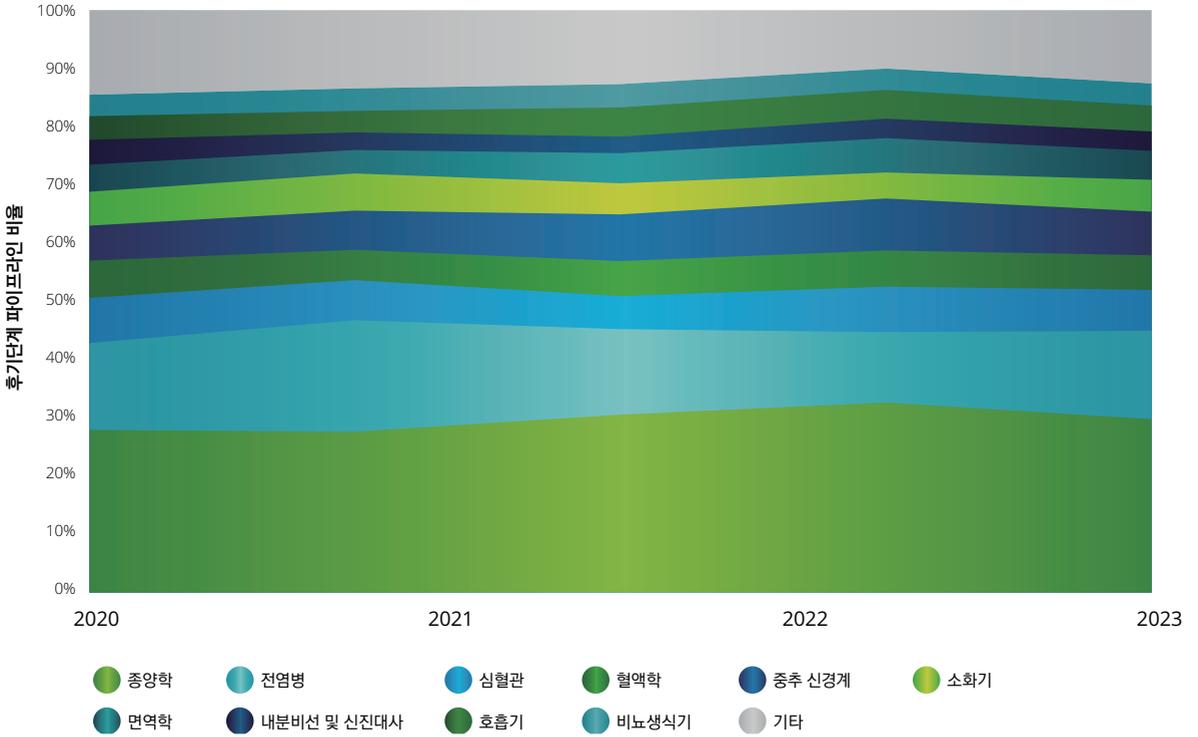
“ 임상시험에 진입한 약물이 실제로 상업화되는 성공률이 8~10%를 넘어설 수 있다면... 실패율이 80%라고 상상해 보세요. 쉽게 뛰어 넘을 수 없는 업계 선두주자가 될 겁니다.

**20대 제약바이오 기업 R&D부문 수석부사장**



\*중개연구(translational research): 기초과학의 연구결과를 임상과학에서 실제 사용될 수 있는 단계까지 연계해 주는 연구(출처: 시사상식사전)

그림 9. 치료 분야별 후기단계 파이프라인 구성, 2020~2023



출처: 딜로이트 분석 2024



### 레드오션인 치료 분야와 모달리티를 넘어서

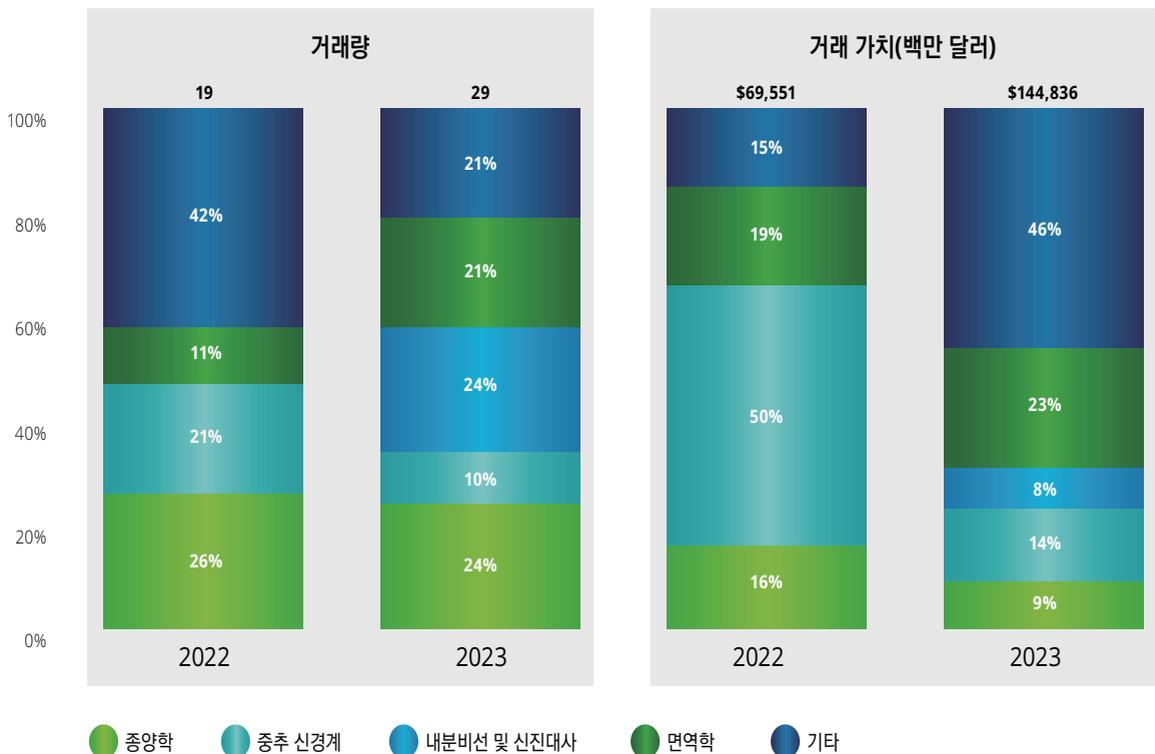
경쟁 강도, 과학적 혁신, 규제 인센티브로 인해 R&D 지출이 특정 분야, 특히 종양학 및 희귀질환에 편중되어 있다. 2023년까지 조사기업의 경우 최신 개발 프로그램의 39%가 종양학에 집중되어 있으며, 2020년 이후 이 비율은 지속적으로 파이프라인의 1/3 이상을 차지했다(그림 9 참조). 동시에 2023년에는 조사기업 개발 프로그램의 1/3이 희귀 질환을 대상으로 했다. 한 인터뷰 참여자는 기업 간 포트폴리오 전략의 눈에 띄는 유사성으로 인해 특정 치료 영역 내에서 유사한 자산을 구매하고 개발하는 경쟁이 치열해졌다고 강조했다. 이미 레드오션인 치료 분야의 경쟁이 가열되고 의료비 지출의 공평한 배분에 대한 보험사의 관심이 높아짐에 따라 이러한 상황은 변할 수 있다. 당뇨병, 심대사장애, 정신건강 질환과 같이 부담이 크고 환자 수가 많은 질병에 집중도가 높아질 것으로 예상된다. 또한 많은 국가의 인구 고령화로 인해 신경퇴행성 질환, 심혈관 질환, 비희귀암과 같은 분야에서 수명과 삶의 질을 향상하는 치료법에 대해 수요가 증가할 수 있다.



문제는 같은 약품을 만드는 기업이 너무 많다는 것입니다. 9번째 anti-PD1이 승인되었습니다. 이미 많은 anti-PD1이 있는 마당에, 기업이 돈을 쏟아붓고 규제당국이 또다른 anti-PD1을 승인하는 것이 과연 생산적 일까요? 같은 약품을 만드는 기업이 너무 많으면 산업에 도움이 되지 않습니다. 또는 혁신이 일어나지 않기도 하는데 같은 풀에서 각자 고군분투하고 있지만 정보를 공유하지 않기 때문입니다.

20대 제약바이오 기업 R&D부문 수석부사장

그림 10. 주요 치료 분야별 20대 제약바이오 기업 M&A 활동(2022~2023년)



참고: 제약바이오 관련 거래만 나타내고 있으며, 공개 거래 금액이 없는 거래는 제외되었다.

출처: Capital IQ, 기업 웹사이트, 딜로이트 1차 조사 및 분석

본고의 M&A 분석은 최신 파이프라인 구성을 반영하듯 중앙학에 지속적으로 집중되어 있는 양상을 보여준다(그림 10 참조). 그러나 2023년에는 거래 가치의 각각 23%와 14%를 차지한 면역학과 중추 신경계를 비롯한 다른 치료 분야에도 상당한 투자가 이루어지고 있다.

최근의 혁신은 특정 질병 분야에 대한 더 큰 관심과 투자를 불러일으켰다. 예를 들어, 노보 노디스크의 비만 치료제가 승인되면서 비만이 공중 보건에 비상사태이자 수익성이 높은 분야로 주목받게 되었고, 새로운 종류의 비만 치료제를 시장에 내놓으려는 경쟁이 시작되었다.<sup>45</sup> 2023년에 약물-항체 접합체, 즉 ADC(Antibody Drug Conjugate)는 플랫폼 기반 인수의 중심이 되었으며, 조사기업이 추진하는 거래 중 25%가 내분비 및 신진대사 자산을 대상으로 했다.

가장 높은 수익을 올린 의약품을 살펴보면 처음부터 계획된 것이 아니라 우연한 기회에 기업이 보유한 경험과 역량을 활용해 얻은 결과물인 경우가 많았다. 기회가 생겼을 때, 파이프라인을 보충하기 위한 노력은 유연한 운영 모델과 여러 질병 및 치료 분야에 투자할 수 있는 다양한 도구로 뒷받침된다면 성공적일 가능성이 가장 높다.

오늘날 후기단계 파이프라인에는 주목받는 치료 분야 외에도 세포 치료, RNA 간섭, mRNA 등 한때 참신했던 플랫폼 기술로 개발된 첨단 모달리티가 포함되어 있다. 인터뷰 참여자들은 많은 첨단 모달리티에 자본이 과도하게 집중되어 있다는 견해를 밝혔다.

‘유전자 편집기’(gene editor) 및 마이크로바이옴 치료제와 같은 차세대 기술과 기술 플랫폼이 발전함에 따라, 신중한 선택이 약물치료가 어려운 표적을 다룰 수 있는 역량을 구축하면서도 기업이 차별화할 수 있는 방법이 될 수 있다. 한 기업의 임원은 자사의 전략적 선택이 세포 및 유전자 치료는 제외하는 대신 안티센스(anti-sense) RNA 분야에서 파트너십을 통해 역량을 구축하는 것이라고 강조했다. 이러한 절충안은 기업들이 맞춤형 파트너십을 선택하고 새로운 기술 플랫폼을 탐색하기 위한 로드맵을 구축하는 과정에서 필수적일 가능성이 크다.

### R&D 리더가 고민해 볼 질문

제약바이오 기업은 기술 도입의 지연, 다가오는 특허 만료, 복잡해지는 규제 등 심각한 역풍에 직면해 있다. 유전자 치료에서 시에 이르기까지 과학과 기술의 발전 속도가 빨라지면서 동 산업은 임상 연구에서도 다음과 같은 문제를 계속해서 직면하고 있는 상황이다.

- ✔ 대표성 있는 환자 모집 및 유지
- ✔ 운영상 문제에 대한 대응 지연
- ✔ 불완전하거나 인사이트가 부족한 데이터 소스에 대한 의존성

기존의 경쟁적인 문화를 혁신하여 학술 의료 센터, 시험기관 네트워크, 임상시험수탁기관, 임상시험 의뢰자, 환자 등을 포함해 산업 전반적으로 중앙화된 운영 데이터에 대한 오픈 소스 접근 방식을 개발하고 공유할 방법을 찾지 않는 한 이러한 문제는 계속해서 업계를 괴롭힐 것이다.

궁극적으로 임상시험을 혁신하려면 기업은 변화 관리 기술과 파트너십, 협업을 바탕으로 완전히 다른 방식으로 일해야 한다. 이를 위해 혁신을 추진하고 체계화하며 다른 이들을 안내할 수 있는 고도로 숙련된 다학제적 리더십과 AI 전문가를 기업은 육성해야 하며, AI 도입을 추진할 수 있는 AI 친화적인 CEO와 이사회 멤버가 필요하다. 제약바이오 업계가 AI의 잠재력을 성공적으로 활용하게 된다면 제약바이오 혁신의 내부수익률 하락을 초래하는 내외부 생산성 문제가 해결되어 산업이 발전하게 될 것이다. 그러나 AI 솔루션을 도입하기 전에 제약바이오 기업이 전략을 개발할 때 신중하게 고민해봐야 할 몇 가지 주요 질문이 있다.

# 최상의 R&D 전략을 위한 주요 질문

## Q. 임상시험 프로세스의 주요 비용 동인은 무엇인가? AI가 가장 큰 영향을 미칠 수 있는 부분은 무엇인가?

환자 모집과 데이터 관리는 임상시험의 가장 큰 비용 동인이며, 현재 AI가 가장 큰 가능성을 보이는 분야이다.

## Q. M&A 전략을 어떻게 조정하고 있는가?

지속가능한 장기적 포트폴리오 가치와 단기적 수익 니즈 사이에서 균형을 맞추는 동시에 인플레이션 감축법, EU특허법과 같은 규제를 고려해야 할 필요가 있다.

## Q. 임상개발을 위한 탄탄하고 지속가능한 AI 전략을 수립했는가? 신약 발견 및 개발을 위해 선도적인 AI 기업과 어느 선까지 협력해야 할지 고려했는가?

제약바이오 기업은 신뢰할 만한 파트너를 선택해 파트너의 광범위한 지식과 전문성을 활용하고, 자체적인 독점 데이터에 특화된 AI 솔루션을 마련함으로써 이점을 얻을 수 있다.

## Q. 임상시험 설계 전반적으로 환자의 관점을 포함하고 임상시험 실행 동안 개방형 커뮤니케이션 채널을 활용하는 방안을 우선적으로 고려했는가?

연구 프로세스 전반에 걸쳐 AI를 활용하면 연구 기간 동안 헌신적인 환자를 유치하고 참여도를 높이고 유지율을 향상할 수 있다.

## Q. 규제기관과 소통하기 위한 효과적인 전략을 수립했는가? 규제 부서를 전략적 자산으로 간주하는가?

규제 기관에 제출되는 실사용 데이터(real world data, RWD)의 다양성, 속도, 양이 증가함에 따라 규제 기관도 프로세스에서 AI 도구의 사용을 늘릴 것이다. 제약바이오의 경우 규제 당국과 조기에 협력하여 목표, 연구 설계, 디지털 바이오마커 또는 대리 평가변수 사용에 대해 조율하는 일은 매우 중요할 것이다.

## Q. 증가하는 R&D 데이터를 보호하는 데 필요한 법률 및 규정 준수 요건을 이해하고 있는가?

유럽에서의 일반개인정보보호법 준수와 미국 및 기타 지역의 유사한 요건을 준수하지 않을 경우 재정적으로나 평판적으로나 심각한 결과를 초래할 수 있으므로 중요하다. 또한 제약바이오 기업은 사용되는 모든 환자 데이터가 지정된 목적에 맞게 구체적으로 동의를 받았는지, 비공개로 안전하게 유지되는지 확인해야 한다.

## Q. 임상 개발에 AI 기술을 도입하는 데 필요한 역량과 인재를 포함하는 미래 인력 개발 전략이 있는가?

AI 혁신을 도입하려면 생물학자, 화학자, 엔지니어, 데이터 과학자, 생물정보학자로 구성된 내부 전문가 팀이 필요하며, 범부서적인 팀으로서 일해야 한다. 목표는 '사내 기업이 정신 문화'를 장려하여 이러한 팀에게 혁신적인 솔루션을 만들 수 있는 자유와 자원을 제공하는 것이다. 개별 작업이 점차 생성형AI를 활용하는 방향으로 나아감에 따라, 결과물에 대한 사람의 검증을 포함해 결과물의 무결성을 보장하기 위한 가이드라인을 마련해야 한다.

## Q. 과거 임상시험 데이터의 완전성, 정확성, 잠재적 편향성을 명확하게 이해하고 있는가?

과거 임상개발은 다양한 임상시험 집단을 모집하는 데 어려움을 겪어왔다. 따라서 R&D 리더는 과거 임상 데이터에 지나치게 의존하거나 기존 데이터세트에 내재된 편향을 증폭시킬 위험이 없도록 주의해야 한다. 신뢰할 수 있는 AI 프레임워크와 거버넌스 체계를 갖추면 편향과 의도하지 않은 결과의 가능성을 완화할 수 있다.

## Q. 임상시험에 착수하기 전에 생산성을 높이기 위해 문서 생성 활동을 자동화했는가?

임상시험 프로토콜, 시험기관 계약서, 임상 보고서 양식, 임상시험을 시작하는 데 필요한 기타 주요 서류의 이전 사례를 사용하여 제약바이오 기업은 새로운 시험기관을 세우는데 필요한 문서 초안을 빠르게 작성하고 개선할 수 있다. 이는 환자 집단 내에서 다양성을 확보하는데 중요한 단계가 될 수 있으며, 소외 지역에서 시험기관을 신속하고도 적은 노력으로 설립하는 데 도움이 된다.

# 부록

## 조사 대상 기업

상위 20대 제약사(2020년 R&D 지출 기준)

국문 (가나다순)	영문	국가
글락소스미스클라인	GSK	영국
길리어드 사이언스	Gilead Sciences	미국
노바티스	Novartis	스위스
노보 노디스크	Novo nordisk	덴마크
다케다	Takeda	일본
로슈	Roche	스위스
리제네론	Regeneron	미국
머크	Merck	독일
바이엘	Bayer	독일
바이오젠	Biogen	미국
베링거 인겔하임	Boehringer Ingelheim	독일
브리스톨 마이어스 스쿼브	Bristol Myers Squibb	미국
사노피	Sanofi	프랑스
아스텔라스	Astellas	일본
아스트라제네카	AstraZeneca	영국
암젠	Amgen	미국
애브비	Abbvie	미국
얀센	Janssen	벨기에
일라이 릴리	Eli Lilly	미국
화이자	Pfizer	미국

# 주석

1. Inflation Reduction Act and Medicare, Centers for Medicare & Medicaid Services. Accessed on 1 April 2024. See also: <https://www.cms.gov/inflation-reduction-act-and-medicare>
2. How the Inflation Reduction Act Will Impact the Biopharmaceutical Industry, LEK, 9 September 2022. See also: <https://www.lek.com/insights/ei/how-inflation-reduction-act-will-impact-biopharmaceutical-industry>
3. HHS selects the first drugs for medicare drug price negotiation, U.S. Department of Health and Human Services (HHS), August 29, 2023. See also: <https://www.hhs.gov/about/news/2023/08/29/hhs-selects-the-first-drugs-for-medicare-drug-price-negotiation.html>
4. How the IRA will affect drug development, BioSpace, 6 April 2023. See also: <https://www.biospace.com/article/how-the-ira-will-affect-drug-development/>
5. Rising protocol design complexity is driving rapid growth in clinical trial data volume, according to TUFTS center for the study of drug development, GlobeNewswire, 12 January 2021. See also: <https://www.globenewswire.com/news-release/2021/01/12/2157143/0/en/Rising-Protocol-Design-Complexity-Is-Driving-Rapid-Growth-in-Clinical-Trial-Data-Volume-According-to-Tufts-Center-for-the-Study-of-Drug-Development.html>
6. Case example developed with proprietary TrialHub data. See also: <https://trialhub.com/>
7. An AI-designed drug is moving toward approval at an impressive clip, Singularity Hub, 18 March 2024. See also: <https://singularityhub.com/2024/03/18/an-ai-designed-drug-is-moving-toward-approval-at-an-impressive-clip/>
8. How AI is being used to accelerate clinical trials, Nature Index, 13 March 2024. See also: <https://www.nature.com/articles/d41586-024-00753-x>
9. Broadening clinical trial participation to improve health equity, Deloitte, accessed on 1 April 2024. See also: <https://www.deloitte.com/global/en/our-thinking/insights/industry/health-care/increasing-diversity-clinical-trials.html>
10. Seize the digital momentum: Measuring the return from pharmaceutical innovation 2022, Deloitte, January 2023. See also: <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/uk/Documents/life-sciences-health-care/deloitte-uk-seize-digital-momentum-rd-roi-2022.pdf>
11. What is the future of virtual clinical trials, Deloitte, 13 September 2022. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/blog/health-care-blog/2022/what-is-the-future-of-virtual-clinical-trials.html>
12. Ibid.
13. Florez, M., Smith, Z., Olah, Z. et al. Quantifying Site Burden to Optimize Protocol Performance. Ther Innov Regul Sci 58, 347–356 (2024). See also: <https://doi.org/10.1007/s43441-023-00602-5>
14. New Horizons: Pioneering Pharmaceutical R&D with Generative AI from lab to the clinic – an industry perspective, Arxiv, 21 December 2023. See also: <https://arxiv.org/pdf/2312.12482.pdf>
15. Ibid.
16. Embedding environmental sustainability into pharma's DNA, Deloitte, October 2022. See also: <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/uk/Documents/life-sciences-health-care/deloitte-uk-embedding-environmental-sustainability-intopharma-dna-updated.pdf>
17. Predicting the future of healthcare and life sciences in 2025, Deloitte, accessed on 1 April 2024. See also: <https://www2.deloitte.com/uk/en/pages/life-sciences-and-healthcare/articles/companies-have-reversed-the-decline-in-the-returns-from-pharma-r-and-d.html>
18. Seize the digital momentum: Measuring the return from pharmaceutical innovation 2022, Deloitte, January 2023 <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/uk/Documents/life-sciences-health-care/deloitte-uk-seize-digital-momentum-rd-roi-2022.pdf>
19. Biopharma's IRA readiness: From What? To Now what?, Deloitte, 22 June 2023. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/blog/health-care-blog/2023/biopharmas-ira-readiness-from-what-to-now-what.html>
20. How might IRA's drug-pricing provisions affect stakeholders?, Deloitte, 28 September 2023. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/blog/health-care-blog/2023/how-might-iras-drug-pricing-provisions-affect-stakeholders.html>
21. HHS Selects the First Drugs for Medicare Drug Price Negotiation, U.S. Department of Health and Human Services (HHS), August 29, 2023. See also: <https://www.hhs.gov/about/news/2023/08/29/hhs-selects-the-first-drugs-for-medicare-drug-price-negotiation.html>

22. What does the US Inflation Reduction Act mean for pharma, LGT, 26 September 2023. See also: <https://www.lgt.com/global-en/market-assessments/insights/investment-strategies/what-does-the-us-inflation-reduction-act-mean-for-pharma--172682>
23. Strengthening The Inflation Reduction Act By Predicting Drugmakers' Avoidance And Gaming, Health Affairs, 2 March 2023. See also: <https://www.healthaffairs.org/content/forefront/lawmakers-can-strengthen-inflation-reduction-act-predicting-pharmaceutical-companies>
24. Nurturing growth: Measuring the return from pharmaceutical innovation 2021, Deloitte, January 2022. See also: <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/uk/Documents/life-sciences-health-care/Measuring-the-return-of-pharmaceutical-innovation-2021- Deloitte.pdf>
25. Seize the digital momentum: Measuring the return from pharmaceutical innovation 2022, Deloitte, January 2023 <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/uk/Documents/life-sciences-health-care/deloitte-uk-seize-digital-momentum-rd-roi-2022.pdf>
26. European Health Union: Commission proposes pharmaceuticals reform for more accessible, affordable and innovative medicines, European Commission, 26 April 2023. See also: [https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP\\_23\\_1843](https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/en/IP_23_1843)
27. Drug launches reflect overall company performance, Deloitte Insights, accessed on 1 April 2024. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/insights/industry/health-care/key-factors-for-successful-drug-launch.html>
28. Biopharma Facing Two Major Crises – A Huge Patent Cliff And Price Controls, Forbes, 26 June 2023. See also: <https://www.forbes.com/sites/johnlamattina/2023/06/26/biopharma-facing-two-major-crises-a-huge-patent-cliff-and-price-controls/?sh=3b8c7e5312a7>
29. Life sciences M&A: 2023 trends, Deloitte, accessed on 1 April 2024. See also: <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/us/Documents/mergers-acquisitions/us-mars-lshc-bi-annual-report-2024-final.pdf>
30. Ibid.
31. How steep is pharma's patent cliff, PharmaVoice, 14 June 2024. See also: <https://www.pharmavoices.com/news/pharma-patent-cliff-Merck-Keytruda-Pfizer-Seagen-Humira/652914/>
32. Ibid.
33. R&D spending as revenue share of leading 10 pharmaceutical companies in 2022, Statista, 23 October 2023. See also: <https://www.statista.com/statistics/309471/randd-spending-share-of-top-pharmaceutical-companies/>
34. Biopharma Facing Two Major Crises – A Huge Patent Cliff And Price Controls, Forbes, 26 June 2023. See also: <https://www.forbes.com/sites/johnlamattina/2023/06/26/biopharma-facing-two-major-crises-a-huge-patent-cliff-and-price-controls/?sh=3b8c7e5312a7>
35. Ibid.
36. Intelligent clinical trials: Transforming through AI-enabled engagement, Deloitte Insights, accessed on 2 April 2024. See also: [https://www2.deloitte.com/content/dam/insights/us/articles/22934\\_intelligent-clinical-trials/DI\\_Intelligent-clinical-trials.pdf](https://www2.deloitte.com/content/dam/insights/us/articles/22934_intelligent-clinical-trials/DI_Intelligent-clinical-trials.pdf)
37. Realising transformative value from AI & generative AI in Life Sciences, Deloitte, April 2024. See also: <https://www2.deloitte.com/content/dam/Deloitte/us/Documents/us-realizing-transformative-value-from-ai-and-genai-in-life-sciences-040924.pdf>
38. Intelligent drug discovery: Powered by AI, Deloitte Insights, accessed on 1 April 2024. See also: [https://www.deloitte.com/content/dam/assets-shared/legacy/docs/insights/2022/DI\\_Intelligent-Drug-Discovery.pdf](https://www.deloitte.com/content/dam/assets-shared/legacy/docs/insights/2022/DI_Intelligent-Drug-Discovery.pdf)
39. Leveraging AI and ML in Drug R&D: Current and Future Impacts on the Life Sciences Industry, LifeSci Search, 9 October 2023. See also: <https://lifescisearch.com/leveraging-ai-and-ml-in-drug-rd-current-and-future-impacts-on-the-life-sciences-industry/>
40. Can life sciences companies unlock the full value of GenAI, Deloitte, 3 October 2023. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/blog/health-care-blog/2023/can-life-sciences-companies-unlock-the-full-value-of-genai.html>
41. Algorithm to lab, explore generative AI's impact in life sciences, Deloitte, accessed on 1 April 2024. See also: <https://www2.deloitte.com/us/en/pages/life-sciences-and-health-care/articles/gen-ai-life-sciences.html>
42. Probability of Success in Drug Development, ASCPT, 19 April 2022. See also: <https://ascpt.onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/cpt.2568>
43. Achieving end-to-end success in the clinic: Pfizer's learnings on R&D productivity, Science Direct, March 2022. See also: <https://doi.org/10.1016/j.drudis.2021.12.010>
44. Global Trends in R&D 2024: Activity, productivity, and enablers, IQVIA, 22 February 2024. See also: <https://www.iqvia.com/insights/the-iqvia-institute/reports-and-publications/reports/global-trends-in-r-and-d-2024-activity-productivity-and-enablers>
45. World Preview 2023: Pharma's Age of Uncertainty, Evaluate, 14 August 2023. See also: <https://www.evaluate.com/thought-leadership/world-preview-2023-pharmas-age-uncertainty/>

# 딜로이트 산업 전문가

생명과학 및 헬스케어 산업, 전략개발, 시장조사, Data Analytics 외 서비스 제공

딜로이트는 미래 성장산업으로 주목 받고 있는 국내 생명과학 및 헬스케어 산업 성장의 동반자로서 제약사, 의료기관, 공공기관 등 다양한 기업의 전략적 과제와 혁신을 함께 해왔습니다. 약사 등 전문 자격 소지한 전문가를 국내 최다로 보유한 산업 전문팀은 다년간의 기업 자문 경험을 바탕으로 심도 있는 인사이트를 제공하고 있으며, 놀라운 속도로 발전하는 국내 제약바이오 및 헬스케어 산업에서 기업이 혁신적인 성장을 이어갈 수 있도록 최선의 노력을 다하고 있습니다.

## 생명과학 및 헬스케어 산업



### 이해섭 파트너

생명과학 및 헬스케어 산업 전문팀 리더 | 경영자문 부문

☎ 02 6676 2411

✉ harlee@deloitte.com



### 안동휘 파트너

생명과학 및 헬스케어 산업 | 회계감사 부문

☎ 02 6676 1617

✉ doahn@deloitte.com



### 박태호 파트너

생명과학 및 헬스케어 산업 | 경영자문 부문

☎ 02 6676 2163

✉ taehpark@deloitte.com



### 김영필 파트너

생명과학 및 헬스케어 산업 | 세무자문 부문

☎ 02 6676 2432

✉ youngpkim@deloitte.com



### 최원정 상무보

생명과학 및 헬스케어 산업 | 컨설팅 부문

☎ 02 6676 3703

✉ wonjechoi@deloitte.com



### 편제성 이사

생명과학 및 헬스케어 산업 | 경영자문 부문

☎ 02 6676 1979

✉ jpyeon@deloitte.com



### 문상식 이사

생명과학 및 헬스케어 산업 | 컨설팅 부문

☎ 02 6676 3671

✉ sangsmoon@deloitte.com

## Data Analytics



### 조민연 파트너

IT/Data Analytics | 회계감사 부문

☎ 02 6676 1990

@ minycho@deloitte.com

## 인공지능(AI)



### 조명수 파트너

디지털 경영관리 서비스 리더 |  
컨설팅 부문

☎ 02 6676 2411

@ mjo@deloitte.com



### 정찬욱 파트너

Core Tech | 컨설팅 부문

☎ 02 6676 2732

@ chanjung@deloitte.com



### 정창모 수석위원

인공지능 & 데이터 | 컨설팅 부문

☎ 02 6676 3288

@ changjung@deloitte.com



### 이성호 상무

인공지능 | 컨설팅 부문

☎ 02 6676 3767

@ sholee@deloitte.com

## 기업 인수합병(M&A) 전문가



### 길기완 대표

경영자문 부문 리더

☎ 02 6676 1585

@ kkil@deloitte.com



### 남상욱 파트너

M&A그룹 리더 | 경영자문 부문

☎ 02 6676 1537

@ sangnam@deloitte.com



### 송준걸 파트너

기업 구조조정 및 가치개선 그룹 리더 |  
경영자문 부문

☎ 02 6676 1351

@ joosong@deloitte.com



### 박주형 파트너

가치평가 재무모델링 그룹 리더 |  
경영자문 부문

☎ 02 6676 2038

@ joohpark@deloitte.com



### 김재환 파트너

부동산인프라그룹 리더 |  
경영자문 부문

☎ 02 6676 2032

@ jaehwkim@deloitte.com



앱



카카오톡 채널



'딜로이트 인사이트' 앱과 카카오톡 채널에서  
경영·산업 트렌드를 만나보세요!

Download on the  
App StoreGET IT ON  
Google Play

# Deloitte.

## Insights

### 성장전략부문 대표

손재호 Partner  
jaehoson@deloitte.com

### 딜로이트 인사이트 리더

정동섭 Partner  
dongjeong@deloitte.com

### 연구원

권은진 Senior Consultant  
eukwan@deloitte.com

### 디자이너

박근령 Senior Consultant  
keunrpark@deloitte.com

### Contact us

krinsightsend@deloitte.com

Deloitte refers to one or more of Deloitte Touche Tohmatsu Limited (“DTTL”), its global network of member firms, and their related entities (collectively, the “Deloitte organization”). DTTL (also referred to as “Deloitte Global”) and each of its member firms and related entities are legally separate and independent entities, which cannot obligate or bind each other in respect of third parties. DTTL and each DTTL member firm and related entity is liable only for its own acts and omissions, and not those of each other. DTTL does not provide services to clients. Please see [www.deloitte.com/about](http://www.deloitte.com/about) to learn more.

Deloitte Asia Pacific Limited is a company limited by guarantee and a member firm of DTTL. Members of Deloitte Asia Pacific Limited and their related entities, each of which are separate and independent legal entities, provide services from more than 100 cities across the region, including Auckland, Bangkok, Beijing, Hanoi, Hong Kong, Jakarta, Kuala Lumpur, Manila, Melbourne, Osaka, Seoul, Shanghai, Singapore, Sydney, Taipei and Tokyo.

This communication contains general information only, and none of Deloitte Touche Tohmatsu Limited (“DTTL”), its global network of member firms or their related entities (collectively, the “Deloitte organization”) is, by means of this communication, rendering professional advice or services. Before making any decision or taking any action that may affect your finances or your business, you should consult a qualified professional adviser.

No representations, warranties or undertakings (express or implied) are given as to the accuracy or completeness of the information in this communication, and none of DTTL, its member firms, related entities, employees or agents shall be liable or responsible for any loss or damage whatsoever arising directly or indirectly in connection with any person relying on this communication. DTTL and each of its member firms, and their related entities, are legally separate and independent entities.

본 보고서는 저작권법에 따라 보호받는 저작물로서 저작권은 딜로이트 안진회계법인(“저작권자”)에 있습니다. 본 보고서의 내용은 비영리 목적으로만 이용이 가능하고, 내용의 전부 또는 일부에 대한 상업적 활용 기타 영리목적 이용시 저작권자의 사전 허락이 필요합니다. 또한 본 보고서의 이용시, 출처를 저작권자로 명시해야 하고 저작권자의 사전 허락없이 그 내용을 변경할 수 없습니다.