

## Micro Column ①

# 세포치료제의 허가 및 임상현황

김종원 \_ 식품의약품안전청 바이오생약국 첨단제제과

세포치료제란 살아있는 자가, 동종, 이종세포를 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 의약품을 말한다. 다만, 의료기관 내에서 의사가 자가 또는 동종세포를 당해 수술이나 처치 과정에서 안전성에 문제가 없는 최소한의 조작(생물학적 특성이 유지되는 범위 내에서의 단순분리, 세척, 냉동, 해동 등)만을 하는 경우는 제외한다.

줄기세포치료제란 골수, 제대혈, 지방 등 유래의 중간엽줄기세포로서, 세포치료제의 정의가 동일하게 적용되고 있다.

세포치료와 세포치료제를 혼용하여 사용하는 경우가 많이 있는데, 골수이식, 조혈모세포이식, 제대혈이식, 지방줄기세포이식 등은 의료법에 따라 의사의 치료 영역에 포함되며, 골수줄기세포, 제대혈세포, 지방줄기세포 등을 체외에서 배양·증식하거나 선별하는 등 물리적, 화학적, 생물학적 방법으로 조작하여 제조하는 경우에 한하여 세포치료제로 관리하고 있으며, 미국, 유럽, 일본 등 제약선진국 모두에서 동일하게 관리하고 있다.

세포치료제 범주에서 제외된 지방줄기세포 중에서 회사의 주도로 GMP에서 제조하여, 제조품질관리기준이 적합한 기

준 및 시험자료를 첨부하여 신청하는, “피하지방결손부위의 개선”을 목적으로 지방세포를 최소한의 조작으로 제조한 자가유래세포치료제의 경우에는 의약품으로 품목허가 하고 있으며, 비임상시험자료와 임상시험자료는 면제를 하고 있다.

언론 또는 전문가의 인터뷰를 통해서, 줄기세포치료제라고 일반적으로 부르지만, 현재까지 약사법에서는 줄기세포치료제에 대한 정확한 정의가 제시되지 않고 있다. 즉, 성체 줄기세포를 출발물질로 하여 완전히 분화된 연골세포 또는 지방줄기세포 또는 피부줄기세포로부터 완전 또는 중간정도 분화된 지방 또는 피부세포를 “줄기세포치료제”라고 부르기도 하는데, 정확한 의미에서는 “성체줄기세포유래 완전히 분화된 연골세포” 또는 “지방줄기세포유래 중간정도 분화된 지방세포”가 타당한 것으로 보인다. 또한 배아줄기세포로부터 완전히 분화시킨 상피세포치료제를 “배아줄기세포치료제”로 언론에서 보도되고 있지만, 정확한 의미에서는 “배아줄기세포유래 완전히 분화된 동종 상피세포치료제”라고 부르는 것이 타당하다고 생각되어진다.

미국은 1993년부터 의약품으로 관리하기 시작하였으며, 유럽연합, 일본도 동일하게 관리하고 있다. 후발주자인 우리

나라는 2002년부터 국제적으로 조화된 기준인 세포치료제로 관리하고 있다. 특히, 유럽연합에서는 세포치료제, 유전자치료제, 조직공학체제를 첨단생물의약품(Advanced Therapy Medicinal Product) 분류하여 2008년부터 유럽연합차원에서 관리하고 있으며, 유럽연합 전체의 품목허가를 받을 수 있게 되었다.

2010년 6월 현재 주요국의 허가현황 및 국내 허가현황은 다음과 같다.

미국의 경우에는 피부, 연골, 면역세포치료제 등 총 8건이 허가되어있다. 세포치료제(의약품)로서 2건, 조직공학체제(의료기기)로서 6건이 허가되어있다. 세포치료제는 FDA CBER(바이오의약품국), 조직공학체제는 FDA CDRH(의료

기기국)에서 허가하였으며, 현재에는 모두 FDA CBER(바이오의약품국)에서 세포치료제로서 관리하고 있다.

유럽연합에서 전체 허가(Centralized Approval)된 세포치료제는 유럽허가기관인 EMEA(유럽의약품청)에서 2009년에 허가된 자가 연골세포치료제이며, 첨단생물의약품(Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP, 세포치료제·유전자치료제·조직공학체제를 통칭)으로서 허가받았으며, 첨단생물의약품 규정 전인 2008년 이전에는 유럽 각 국가별 상이한 허가체계(의료기기, 의약품 등)에 따라 다양한 품목이 시판되어왔다.

일본에서는 의약품의료기기심사기구인 PMDA 생물계심사부에서 의료용품(의료기기의 일종)으로 심사된 피부화상

표 1. 미국에서 허가된 세포치료제

품목(회사)	구성	허가종류	허가일자	효능, 효과
Orcel Bilayered cellular matrix (Ortec International)	living human skin cells + cow collagen matrix	PMA	2001. 12. 06	Wound dressing
Apligraf (Organogenesis)	living human skin + cow collagen matrix	PMA	2001. 11. 07	Wound Dressing for foot & leg ulcer
Dermagraft® (Smith&Nephew wound managemant)	human fibroblast + dissolvable mesh material	PMA	2001. 9. 28 (1997. 11. 24)	Skin wound closure
Transcyte (Advanced Tissue Sciences)	Dead fibroblast + Nylon mesh	PMA	1998. 8. 14	Wound Dressing
Composite Cultured Skin (Ortec International)	living human skin cells + cow collagen matrix	HDE*	2001. 2. 21	Wound Dressing
Epicel (Genzyme Biosurgery)	Cultured epidermal autografts	HDE*	1999. 2. 5	deep dermal or full thickness burns
Carticel	Chondrocyte	BLA	2000. 3	cartilage damage
Provenge (Dendreon Corp.)	autologous CD54+ cells	BLA	2010. 4. 29	Prostate cancer

※ BLA: Biologics License Application, PMA : Pre-Market Approval, HDE: Humanitarian Devices Exemptions

※ Wound healing을 위한 skin graft용 조직공학체제(세포 + 지지체, Cellular wound dressing이라 부름)는 미 FDA의 CDRH에서 전통적으로 담당

※ CDRH에서 허가 받은 Cellular wound dressing

※ HDE : PMA(안유과 기시법 모두 평가하는 가장 높은 단계의 의료기기 허가제도)와 거의 유사한 제도이나 유효성 자료를 면제해 주는 일종의 희귀의료기기 (환자수 4,000명/미국 이하) 허가 제도, CCS의 경우 어린이에게서 발견되는 recessive dystrophic epidermolysis bullosa(RDEB)라는 희귀 유전병에 사용됨

표 2. 유럽연합에서 전체 허가된 허가된 세포치료제

품목명(회사명)	구성	허가종류	허가일자	효능, 효과
ChondroCelect (TiGenix NV)	자가연골세포치료제	의약품	2009. 10. 5	연골결손치료

표 3. 일본에서 허가된 세포치료제

품목명(회사명)	구성	허가종류	허가일자	효능, 효과
제이스 (재팬티슈엔지니어링)	자가배양표피 (외과, 정형외과수술재료)	의료용품 4 정형용품	2007. 8. 6	피부화상치료

치료 목적의 자가배양표피세포치료제가 1건 품목허가 되어 있다.

국내에서는 연골세포, 피부세포, 면역세포, 뼈세포, 지방세포치료제 등 다양한 14품목이 허가되어 있다. 적응증은 무릎 연골결손치료, 피부화상치료, 항암 면역세포치료제 등이다.

세포치료제는 세포의 기원에 따라 자가 세포치료제, 동종 세포치료제, 이종세포치료제로 분류될 수 있다.

자가 세포치료제는 다시 세포를 증식시킨 경우와 세포를 조작하여 형질을 변화시킨 경우로 분류된다. 세포를 증식시킨 경우는 환자에게서 세포를 분리하여 시험관내에서 단순히 세포를 증식시킨 후 이를 다시 환자 자신에게 적용하는 세포치료제이며, 세포를 조작하여 형질을 변화시킨 경우는 환자에게서 세포를 분리한 후 분화, 발달시키거나 특정한 기능을 부여하기 위하여 필요한 조작을 가하여 세포의 형질이 변화된 경우이다. 생물학적 특성의 변화의 정도에 따라, 임상승인 또는 품목허가에 필요한 자료의 정도가 결정된다.

동종세포치료제는 제대혈줄기세포치료제와 같이 다른 사람에게서 세포를 분리하여 시험관내에서 단순히 세포를 증식시킨 후 이를 다른 환자에게 적용하거나, 분화, 발달시키거나 특정한 기능을 부여하기 위하여 필요한 조작을 가하여 세포의 형질이 변화된 세포치료제이다.

이종세포치료제란 다른 사람의 세포를 이용하는 것이 아니라 사람이 아닌 동물의 세포를 이용하는 세포치료제이다. 자가, 동종, 이종세포치료제에 따라, 개별 품목의 특성에 따

라 품질, 비임상 독성 및 비임상 약리시험자료의 제출범위를 결정한다.

세포치료제의 세포의 유형에 따라 연골세포치료제, 피부 세포치료제, 수지상면역세포치료제, 지방세포치료제, 중간엽줄기세포치료제, 제대혈줄기세포치료제, 뼈세포치료제, 자기활성화립프구 면역세포치료제, 채도세포치료제, 심근세포치료제 등으로 구분할 수 있다.

세포치료제는 사용하는 세포의 종류에 따라 연골세포치료제, 피부세포치료제, 뼈세포치료제, 심근세포치료제, 수지상면역세포치료제, 자기활성화립프구 면역세포치료제, 중간엽줄기세포치료제, 제대혈줄기세포치료제, 지방줄기세포치료제 등으로 구분할 수 있다.

선진외국의 경우 젤라틴의 연골세포치료제 “Carticel”, 젤라틴의 피부 세포 치료제 “Epicel”, 유럽에서 “ChondroCelect”, 일본에서 “제이스” 등이 품목허가되었으며, 최근 미국 텐드리온사의 면역세포치료제인 “Provenge”가 전립선암 치료제로 품목허가를 받은 바 있다. 이를 계기로 세포치료제의 임상 결과가 축적되고 있어, 세포치료제 개발에 희망을 제공하고 있다.

또한 최근 성체줄기세포, 바이오장기 등의 개발이 급격히 증가되고 있어 난치성 질환 치료에 가능성을 제시하고 있으며, 그로 인한 임상시험계획승인신청이 폭발적인 증가하고 있다. 특히 미국의 경우에도 2005년 9월 임상진행중인 세포 치료제가 370건을 돌파하였으며, 임상현황을 확인할 수 있

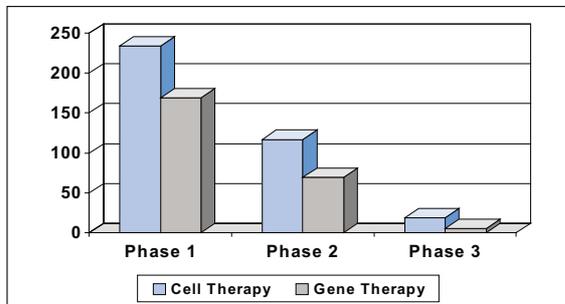
표 4. 국내 허가된 세포치료제

업체명	제품명	허가일시	범주		적응증
			구분	주성분	
세원셀론텍	콘드론	2001. 01. 30	자가	연골세포	무릎연골 결손 치료
테고사이언스	홀로덤	2002. 12. 10	자가	피부각질세포	피부 화상 치료 (심한 2도 화상 이상)
테고사이언스	칼로덤	2005. 03. 21	동종	피부각질세포	피부 화상 치료
엠씨티티	케라힐	2006. 05. 03	자가	피부각질세포	피부 화상 치료 (심한 2도 화상 이상)
이노메디시스	이노락	2007. 02. 14	자가	활성화 림프구	비세포폐암
크레아젠	크레아박스-알씨씨주	2007. 05. 15	자가	수지상세포	신세포암
안트로젠	아디포셀	2007. 08. 03	자가	미성숙 지방세포	피부 피하조직의 부피 대체
이노셀	이문셀 열씨주	2007. 08. 06	자가	활성화 림프구	간세포암
엔케이바이오	엔케이엠주	2007. 08. 07	자가	활성화 림프구	미만성 거대 B세포 림프종
차바이오앤디오스텍	하이알그라프트 쓰리디	2007. 09. 14	자가	피부섬유 아세포	당뇨병성 족부궤양
세원셀론텍	알엠에스 오스론	2009. 08. 26	자가	뼈세포	국소 골형성 촉진
차바이오앤디오스텍	오토스템	2010. 02. 01	자가	최소조작 지방세포	피하지방결손부위의 개선
안트로젠	퀵셀	2010. 03. 26	자가	최소조작 지방세포	피하지방결손부위의 개선
에스바이오메딕스	큐어스킨	2010. 05. 11	자가	섬유아세포	여드름 흉터부위의 개선

는 검색엔진인 [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)에서 cell therapy로 검색해보면, 17,312건이 검색되고, stem cell therapy로 검색

색해보면, 2,799건이 검색되는데, 종료된 임상 및 진행중인 임상을 다양한 검색어로서 확인해 볼 수 있다. 활발하게 임상이 진행중임을 확인할 수 있다.

Phases of Active Cellular and Gene Therapy INDs



September 05 (370) (247)

그림 1. 2005년 9월 현재 미국 임상진행 건수 자료

국내에서도 줄기세포치료제, 면역세포치료제 및 피부연골 세포치료제 등 29개의 임상이 승인되어 있으며, 많은 연구자 임상이 진행중에 있다.

일반적으로 세포치료제는 다른 생물의약품에 비해 세포의 산물(예. 단백질)이 아닌 세포 자체가 제품이므로 바이러스나 세균, 진균, 해면상뇌증 등 외래인자에 의한 오염가능성이 매우 높고 또한 체외 환경에서의 조작(증식, 선별, 분화 등)에 따른 세포의 특성 변화를 확인하는 것이 제한적이어서 세포치료제 사용을 위해서는 품질·안전성·유효성의 검증이 반드시 필요하며 이를 위해서는 식약청의 허가, 심사 방향을 정확히 파악하는 것이 중요하다.

### 1. 세포치료제의 품질평가지 고려사항

세포치료제의 품질평가와 관련하여 검토시 고려사항은 크게 (1) 세포의 특성분석(cell characterization), (2) 세포의 수집과 배양방법(cell collection and culture), (3) 세포 은행(cell banking), (4) 기준 및 시험방법(product testing)의 4가지이다.

#### (1) 세포의 특성분석

특성분석이란 개발하려고 하는 제품의 특성에 관한 자료를 제시하는 것으로 크게 미생물학적 안전성, 세포의 순도 및 확인, 세포의 임상적 유효성을 정량적으로 표현해 줄 수 있는 역가에 관한 자료를 제출한다. 줄기세포치료제의 전능성을 고려한 특성분석이 추가로 제시되어야 한다.

표 5. 국내 임상중인 세포치료제

구분	회사명	범주	적응증	승인일	단계	비고
1	녹십자	동종 면역세포	고형암, 혈액암	2010. 03. 22	1상	면역세포
2	메디포스트	동종 제대혈줄기세포	이식보조	2008. 03. 05	2008. 03. 05	1/2상
3		동종 제대혈줄기세포	무릎연골결손	2008. 07. 23	3상	줄기세포
4	바이넥스	자가 수지상 세포	유방암	2006. 10. 17	1/2a상	줄기세포
5		자가 활성화림프구	재발성 및 절제불가능한 진행성 위암	2008. 08. 12	1/2상	면역세포
6		자가 활성화림프구	재발성 및 절제불가능한 진행성 대장암	2008. 08. 12	1/2상	면역세포
7	바이오하트코리아	자가 골격근모세포	울혈성 심부전	2006. 09. 29	2상	일반세포
8	안트로젠	자가 지방줄기세포	치루	2008. 11. 06	1상	줄기세포
9		동종 지방줄기세포	함몰흉터	2009. 01. 20	1상	일반세포
10		자가 지방줄기세포	변실금	2009. 04. 01	1상	줄기세포
11		자가 지방줄기세포	크론병으로 인한 누공	2009. 11. 13	2상	줄기세포
12	알앤엘생명과학	자가 지방줄기세포	버거씨병	2007. 12. 18	1/2상	줄기세포
13	학	자가 지방줄기세포	퇴행성관절염	2008. 05. 13	1/2상	줄기세포
14		자가 지방줄기세포	척수손상	2009. 04. 29	1상	줄기세포
15	에스바이오메딕스	자가 피부섬유아세포	여드름 흉터	2008. 03. 05	1/2상	일반세포
16	에프씨비파미셀	자가 골수줄기세포	급성 뇌경색	2005. 06. 03	3상	줄기세포
17		자가 골수줄기세포	급성 심근경색	2006. 04. 17	2/3상	줄기세포
18		자가 골수줄기세포	만성 척수손상	2007. 12. 10	2/3상	줄기세포
19	엔케이바이오	자가 활성화림프구	미만성 거대세포 림프종	2007. 08. 03	3상	면역세포
20	엠씨티티	자가 피부각질세포	피부화상	2006. 08. 29	3상	일반세포
21	이노메디시스	자가 활성화림프구	비소세포폐암	2007. 05. 14	3상	면역세포

구분	회사명	범주	적응증	승인일	단계	비고
22	이노셀	자가 활성화림프구	교모세포종	2007. 05. 04.	3상	면역세포
23		자가 활성화림프구	간암	2007. 06. 26.	3상	면역세포
24	크레아젠	자가 수지상세포	전립선암	2006. 07. 04.	1/2a상	면역세포
25		자가 수지상세포	전이성 신세포암	2007. 05. 15.	3상	면역세포
26		자가 수지상세포	전이성 간암	2008. 09. 29.	1/2a상	면역세포
27	테고사이언스	동종 피부각질세포	당뇨병성족부궤양	2007. 11. 13.	3상	일반세포
28	한스바이오텍	자가 피부섬유아세포	당뇨병성족부궤양	2007. 07. 02.	3상	일반세포
29	호미오세라피	동종 골수줄기세포	이식편대숙주	2008. 09. 22.	1/2a상	줄기세포

※회사명 가나다순

### (2) 세포의 수집과 배양방법

세포배양을 위한 수집/가공/배양 조건과 관련된 방법을 기술하고 세포배양에 사용되는 배양배지(culture media)의 품질 및 허용기준, 제조과정 중 시험에 대해서도 자료를 제출한다. 동종세포치료제는 다른 사람으로부터 감염될 수 있는 질환을 사전에 방지하기 위한 기증자 선별시험을 수행하고 그 결과를 제출하여야 한다. 세포배양 중 사용되는 원료 중 동물유래 원료에 대해서는 동물유래 물질에 대한 특정 병원체 (예. 소해면상뇌증(BSE), 동물유래 바이러스 등)에 대한 오염이 없음을 증명하는 자료를 제출하여야 한다. 중간단계에서 이용된 시약이 최종제품에 잔류하는 정도를 확인하기 위해 실시되는 시험에 대한 기술이 있어야 한다.

### (3) 세포은행

제조과정 중 마스터 세포은행(Master cell bank, MCB) 및 작업세포은행(Working cell bank, WCB)을 수립한다면 세포은행에 관한 모든 자료를 제출하여야 한다. MCB의 경우 미생물학적인 오염 여부, 세포의 물리화학적 특성 (morphology, genotype, phenotype) 분석, 세포의 냉동보관과 관련한 자료, 냉동보관 이후 세포의 생존도 및 계대배양에 따른 유전적 또는 표현형의 안정성에 대해서도 자료를 제출한다. WCB의 특성규명을 위한 정보는 MCB의 경우만

큼 광범위 하지는 않으며 MCB에 대한 정보가 이미 충분하다면 무균, 마이코플라스마, 확인 및 세포생존율 등에 관해 시험한 자료로 갈음할 수 있다.

### (4) 기준 및 시험방법

기준 및 시험방법은 제품의 일관성 및 품질을 보증하기 위한 것으로 매 생산 로트별로 시험하고 그 결과가 기준에 충족됨을 확인하기 위한 것이다. 세포치료제에 대한 기준 및 시험방법 항목으로는 제품의 특성을 확인하기 위한 확인, 순도, 생존율, 역가, 안전성을 보증하기 위한 미생물학적 시험으로 무균, 마이코플라스마, 외래바이러스 부정시험, 엔도톡신시험 등이 있다.

세포치료제의 경우 제품 자체가 환자 개개인에 대한 맞춤형 의약품인 경우가 있기 때문에 최종제품의 품질시험만으로 제품의 안전성과 품질을 보증할 수 없는 점이 문제로 지적되고 있다. 따라서 제조과정 자체를 안전하게 확보함으로써 제품과 환자를 보호해야 하며 이를 위해서는 제품의 특성분석, 제조과정 관리, 제조변경을 극복할 수 있는 품질관리 프로그램이 중요하다.

## 2. 세포치료제의 안전성·유효성 평가시 고려사항

세포치료제는 첨단 생명공학기술을 이용하여 인류의 난

치성 질병을 치료하고자 하는 새로운 형태의 의약품으로 기존의 화학물질 의약품과는 다른 개념을 가지고 안전성·유효성에 대하여 평가가 이루어져야만 적절한 평가가 이루어질 수 있다. 세포치료제의 안전성·유효성 평가시 고려사항은 크게 비임상과 임상시험으로 나누어 볼 수 있다.

비임상시험은 임상시험 시작 이전뿐만 아니라 개발 전 과정을 통하여 사람에게 미칠 수 있는 독성학적·약리학적 영향을 결정하기 위하여 실시된다. 비임상 독성 연구의 목적은 임상시험에서 최초 투여용량을 설정하며 투여용량을 증가시킬 경우 용량 증가를 계획하는 데 적절한 정보를 제공함에 있다. 또한 비임상 연구를 통해 세포치료제의 표적장기를 결정하여 임상시험에서 검사항 독성평가항목의 결정을 위한 자료를 제공할 수 있으며, 독성을 나타낼 위험성이 큰 대상 환자군을 결정할 수 있다. 비임상 약리 연구의 목적은 사람에서의 유효성반응을 예측하고, 임상시험에서의 유효한 투여용법(투여경로, 투여횟수 등) 및 용량을 결정하며, 효과발현의 작용기전 및 신체 각 부위(계) 및 기능 등에 미치는 영향을 관찰함에 있다.

비임상 독성 및 약리시험의 시험계획을 위해서 고려해야 할 사항으로는 1) 투여하고자 하는 세포군 2) 임상의 효능·효과와 제품군을 가장 잘 반영할 수 있는 동물 종 및 생리적인 조건 3) 투여 용량, 투여 경로, 투여횟수, 제형 등이 있다.

세포치료제는 독특하면서도 다양한 본질을 갖고 있기 때문에, 전통적인 약리시험 또는 독성시험은 세포치료제의 안전성과 생물학적 활성을 결정하는데 적절하지 않을 수도 있다. 따라서 비임상 연구를 시작하기 전 식품의약품안전청의 심사 담당자(reviewer)와 충분히 상담한 후에 수행하기를 권고한다. 긴급한 모집을 필요로 하는 환자에 대한 임상시험의 경우도 적절한 비임상시험이 반드시 선행되어야 한다. 특히, 세포증식능을 갖는 줄기세포 등의 경우에는 종양형성 가능성(tumorigenicity)에 대하여 충분히 고찰하여야 한다.

세포치료제 비임상시험의 경우 독성시험을 효력시험과의 조합시험으로 디자인하는 것이 고려될 수 있다. 효력시험과의 조합시험법이라 함은, 효력모델에서 독성학적 지표를 확

인하는 독성시험을 말한다.

세포치료제 역시 “의약품”으로써 관리되고 있으므로 임상시험성적에 관한 자료는 식약청이 지정한 임상시험실시기관에서 실시한 것으로 의약품임상시험관리기준에 적합한 자료가 제출되어야 한다. 보다 구체적인 자료 제출요건 및 개발단계별 임상시험의 형태 및 종류 등은 “생물학적 제제 등 허가 및 심사에 관한 규정” 및 “의약품임상시험 관리기준”을 참고한다.

세포치료제, 특히 이종세포치료제의 경우 동물매개성 감염증과 같은 잠재적인 위험성 등 심각한 공중보건상의 위험요소를 가지고 있으므로 안전성에 대한 보증이 확실히 증명될 수 있을 때를 제외하고는, 대체치료가 가용하지 않은 환자로서 심각하거나 생명을 위협하는 질환을 가진 환자에게 제한적으로 적용할 필요가 있다. 또한 장기간의 추적조사를 위한 내용이 임상시험계획에 포함되어야 하며, 임상시험계획에 따라 장기간의 추적조사를 실시하여야 한다.

### 3. 결론

21세기는 새로운 생명공학 기술을 이용한 난치성 질병치료에 획기적인 의약품이 속속 개발될 것으로 기대되고 있으며 그 중에서도 세포치료제 분야는 차세대 의약품으로 각광을 받고 있다. 예를 들어 줄기세포의 응용을 통한 난치병 정복의 노력은 심혈관계, 신경계, 혈액 및 면역계, 유전병, 간질환, 내분비 질환, 골, 연골, 피부질환 등 의학의 거의 모든 영역에서 변화를 일으키고 있다. 이렇듯 새로운 종류의 세포치료제가 개발됨에 따라 품질·안전성·유효성 평가 시 고려사항과 평가방법들이 다양하게 변화할 것이다. 앞으로 식약청에서는 세포치료제와 관련된 정책 발전을 위하여 산·학·연·관 협의를 통한 유기적인 심사평가 체계 확립에 노력하고, 각계 단체의 조언과 제언의 수용을 통해 세포치료제에 대한 과학적이고도 체계적인 관리를 수행할 것이다.