글로벌 혁신 신약 과제 선정 및 성공적인 과제 관리

R&D본부 연구개발팀
이 원 정

KOREA DRUG DEVELOPMENT FUND

YOUR GATEWAY FOR INNOVATIVE DRUG CANDIDATES IN SOUTH KOREA

목 차

I 신규과제 선정

II 과제 성공을 위한 관리

III 성과평가

신규과제 선정

선정평가 절차

계획서 접수 사업단	▪ 사업공고 후 정해진 기간 안에 연구개발계획서를 접수
사전검토 사업단	▪ 사업에 대한 이해, RFP 부합성, 중복성 등 제안 기본요건을 검토
서면평가 평가단	▪ 목표과제수의 **3배수** 이하로 발표평가 대상과제 선정
발표평가 평가단	▪ 서면평가를 통과한 과제에 대해 발표 평가 실시 ▪ **1.5배수** 이하로 다음단계 진입 과제 선정
실사평가 평가단	▪ 서면 및 발표 평가단이 요청한 내용 및 사실 확인이 필요한 데이터 검토
투자적격성 및 규모 심사 투자심의위원회	▪ 과제별 투자적격성(시장성, 경쟁력 등) 평가 ▪ 최종 지원과제 선정, 연구기간 및 지원금액 결정
최종 확정 및 연구 개시 운영위원회 → 사업단 → 주관연구기관	▪ 운영위원회는 평가결과 최종 심의 확정 ▪ 사업단은 주관연구기관에 선정을 통보 및 협약 후 연구 개시

개발단계별 연구목표 및 선행 연구내용

단계	유효물질도출	선도물질도출	후보물질도출	비임상	임상1상	임상2상
연구목표	선도물질 도출 M1: 유효물질 도출 M2: 선도물질 도출	선도물질 도출	우수한 후보물질의 도출 비임상(GLP Tox) 시험 진입	IND 승인	후속 임상 단계 승인	
주요 선행결과	치료 타깃의 검증 결과	타깃에 대한 유효물질의 적용 결과	MOA 기반 선도물질 적용결과	후보물질 Profile	GLP-Tox 결과	임상 1상 결과
필수 선행연구	▪ 타깃검증 결과 ▪ 유효물질 도출을 위한 assay system 확립 결과	▪ 타깃검증 결과 ▪ Assay system을 이용한 유효물질 평가결과	▪ 기전연구 결과 ▪ 선도물질 도출 history ▪ *in vitro/in vivo* 유효성 평가 결과	▪ 기전연구 결과 ▪ 후보물질 도출 history ▪ 후보물질 평가(유효성, 물리화학적 특성, 초기 PK, 예비독성 등) 결과	▪ 기전연구 결과 ▪ 후보물질 도출 history ▪ 후보물질 유효성 결과 ▪ 후보물질 물리화학적 특성 결과 ▪ GLP Tox, 약리, ADME 결과 ▪ CMC	▪ 기전연구 결과 ▪ 후보물질 도출 history ▪ 후보물질 유효성 결과 ▪ 후보물질 물리화학적 특성 결과 ▪ GLP Tox, 약리, ADME 결과 ▪ CMC ▪ 선행임상 결과
주요 연구계획	M1: 유효물질 도출계획 M2: 선도물질 도출계획	선도물질 도출 계획	후보물질 도출 계획	GLP-Tox 계획 IND package를 위한 연구계획	임상시험계획 (승인서, 계획서 제시)	

* 선행단계 대비 추가 항목

사업목표 달성을 위한 포트폴리오 강화

✓조기 승인 가능 과제 집중지원

1. **조기 승인이 가능한 규제 지정**(Regulatory designation)* 과제

   ***신속심사**(Accelerated approval/assessment, Fast track), **우선 심사**(Priority review), **혁신 신약**(Breakthrough Therapy, PRIME),

   희귀의약품 지정(Orphan drug designation) 등

2. **임상 2상 후 조건부 허가 가능성** 검토, 이에 대한 규제기관 의견을 반영한 전략적 임상시험계획 및 허가전략 제시 과제

✓글로벌 트렌드에 부합하는 신규타깃/모달리티, AI 신약 및 플랫폼 기반 신약과제 발굴 및 지원

1. 글로벌 공동개발 및 라이선싱 딜 수요가 높은 **신규 타깃 및 신규 모달리티**
2. 개발 효율성 및 성공률 제고를 위한 **AI 신약:** AI를 활용하여 효과적이고 신속한 신약개발 전략을 제시한 과제
3. 글로벌 경쟁력이 있는 **플랫폼 기반 신약:** 범용성 독창성 있는 플랫폼을 포함한 신약개발 과제

✓신속한 글로벌 임상 개발가능한 과제에 대한 집중지원

1. **글로벌 임상 2상 및 3상 IND 승인 및 허가 역량** 보유기관 과제
2. **글로벌 허가 역량을 구비한 전략적 글로벌 파트너** 보유기관 과제

선정평가 기준_ 유효 & 선도

단계		유효물질도출	선도물질도출
연구목표		M1: 유효물질 도출 / M2: 선도물질 도출	선도물질 도출
선정 결정 핵심 요소	연구계획의 우수성 (70)	▪ 미충족 의학 수요의 타당성 (의료현장에서 발굴된 미충족 수요) ▪ 타깃의 우수성 (신규성, 질환과의 연관성, 동일질환 다른 타깃 대비 경쟁력) ▪ 물질 도출을 위한 어세이 시스템 보유 여부 (차별성, 경쟁력, 적합성) ▪ 유효물질의 구체적 TPP 제시 (물질종류, 유효성에 대한 목표수준 등) ▪ (해당 시) AI 사용 계획의 적절성 ▪ 연구기간 단축, 연구비 절감 등 개발 효율성(AI, 플랫폼 기술 활용 등)	▪ 미충족 의학 수요의 타당성 (의료현장에서 발굴된 미충족 수요) ▪ 타깃의 우수성 (신규성, 질환과의 연관성, 동일질환 다른 타깃 대비 경쟁력) ▪ 물질 도출을 위한 어세이 시스템 보유 여부 (차별성, 경쟁력, 적합성) ▪ 보유한 유효물질의 독창성 및 혁신성 ▪ 선도물질의 구체적 TPP 제시 (물질 종류, 유효성, 독성, 물성에 대한 목표 수준 등) ▪ (해당 시) AI 사용 계획의 적절성 ▪ 연구기간 단축, 연구비 절감 등 개발 효율성(AI, 플랫폼 기술 활용 등)
	연구역량의 우수성 (20)	▪ 신약 개발 과제 수행 경험	▪ 신약 개발 과제 수행 경험
	성과활용 가능성 (10)	▪ 견고한 개발권리 확보계획의 구체성과 타당성, 확장 가능성 ▪ 물질 구성 플랫폼 기술 요소의 범용성 및 확장성	▪ 견고한 개발권리 확보계획의 구체성과 타당성, 확장 가능성 ▪ 물질 구성 플랫폼 기술 요소의 범용성 및 확장성

※ 가산점: 혁신형 제약기업 (2)

선정평가 기준_후보&비임상&임상

단계		후보물질도출	비임상	임상
연구목표		우수한 후보물질의 도출	IND 승인	후속 임상 단계 승인
선정 결정 핵심 요소	시장 (20 /30)	▪ 미충족 의학적 수요의 충족 가능성	▪ 미충족 의학적 수요의 충족 가능성	▪ 미충족 의학적 수요의 충족 가능성 ▪ 타깃 시장 진입 방안 및 타당성 ▪ 경쟁약물 개발현황 (동일 타깃/모달리티/ 질환 경쟁 약물 대비 차별성)
	제품 (60 /50)	▪ 해당 질환에 대한 타깃의 신규성 ▪ 타깃의 적절성 및 작용기전 근거 제시 ▪ 선도물질의 우수성 (*in vitro* 분석 및 *in vivo* 유효성 평가 결과, 경쟁 약물 대비 차별성 결과) ▪ 특허전략(등록가능성, 청구범위, 권리지역, 확장방안, 기존특허 침해 대응방안) ▪ 물질 구성 플랫폼 기술의 독창성 및 성숙도 ▪ (해당 시) AI 사용의 적절성	▪ 해당 질환에 대한 타깃의 신규성 ▪ 타깃의 적절성 및 작용기전 근거 제시 ▪ 후보 물질의 우수성 (*in vitro* 분석 및 충분한 *in vivo* 유효성 평가 결과, 경쟁 약물 대비 차별성 결과) ▪ 예비독성평가, PK 분석결과 ▪ 특허전략(등록가능성, 청구범위, 권리지역, 확장방안, 기존특허 침해 대응방안) ▪ 제조 및 품질관리 자료 (공정, 분석, 제형) ▪ 비임상 연구 세부계획의 적절성 ▪ 물질 구성 플랫폼 기술의 독창성 및 성숙도 ▪ (해당 시) AI 사용의 적절성	▪ 해당 질환에 대한 타깃의 신규성 ▪ 타깃의 적절성 및 작용기전 근거 제시 ▪ 경쟁 약물 대비 차별성 (동일 기전/타깃 또는 동일 적응증) ▪ 타깃 질환 및 개발 전략에 적합한 독성평가 및 질환모델에서의 효능 ▪ 충분한 안전역 범위 확보 ▪ 특허전략(등록가능성, 청구범위, 권리지역, 확장방안, 기존특허 침해 대응방안) ▪ 임상시험계획의 적절성 (대상자, 기간, 평가지표, 모집계획, 설계(design)등) ▪ 선행 임상시험 결과의 우수성 ▪ 물질 구성 플랫폼 기술의 독창성 및 성숙도 ▪ (해당 시) AI 사용의 적절성
	개발 (20 /30)	▪ 주관연구개발기관의 연구 개발 역량 (신약 개발 경험, 연구원의 구성 및 경력 등)	▪ 주관연구개발기관의 연구 개발 역량 (신약 개발 경험, 연구원의 구성 및 경력 등)	▪ 주관연구개발기관의 연구 개발 역량 (글로벌 신약 임상 경력, 신약 개발 경험, 연구원의 구성 및 경력 등) ▪ 글로벌 임상 또는 개발 위한 추진체계 및 추진역량

※ 가산점: 혁신형 제약기업 (2), 우수연구성과 연계 - 2년 이내 최종평가 ' 우수' 과제 (2)

과제 성공을 위한 관리

과제 담당 전문위원

숯 협약과제-신약개발 경험을 보유한 KDDF 전문위원 배정

1. 협약협의: 마일스톤 및 연구비, 연구개발계획서 검토 후 주관연구기관과 협약내용 협의
2. 과제관리: 월별/분기별/연차별 과제진행현황 검토, 과제방문, 중간점검, 협약변경 등 과제관리
3. 평가: 마일스톤평가, 최종평가, 특별평가 등 준비 안내 및 제출자료 검토, 평가진행, 결과보고 등

선정과제 협약 절차

선정공고

사업단 홈페이지
협약협의 대상 과제 공고

협약협의

과제담당 PM 과
연구개발계획 협의

(기간)
선정공고 10일(이의신청기간) 후
~ 선정공고 1개월 내

(내용)
투자심의위원회 결정 사항 반영 必
연구항목(목표 포함), 연구기간, 연구비 등

연구개발계획서 제출

협약용 연구개발계획서 확정

(방법)
협약협의 내용 반영하여 수정한
연구개발계획서 제출 (IRIS)

(절차)
1. 수정 연구개발계획서 사업단 검토
2. (필요 시) 수정 요청
3. 협약용 연구개발계획서 확정

협약

협약서 (IRIS)

(내용)
(주관기관 요청 시) 사업단과 협약식 진행

(주의사항)
- 선정 또는 사업단 관련 기사는 **협약 후 발행 가능**하고, **사전 사업단 검토** 요구됨

협약과제 관리 흐름도

✓ 신약개발 경험 보유한 PM의 연구개발 현황에 부합하는 마일스톤 기반의 관리

협약 (496개)

선정평가 의견 반영

협약변경 (298건)

마일스톤 평가 (88개)

- 계속지원 (66)
- 중단 (20)

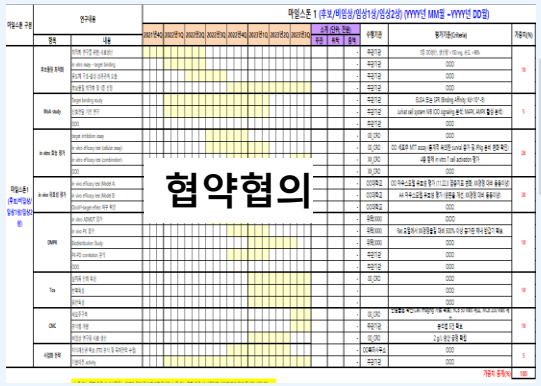
- 조기완료 (2)

최종평가 (235개)

- 조기완료 (13)

- 우수 (8)
- 보통 (160)
- 미흡 (66)
- 극히불량 (1)

정산 (280건)



진도점검 (분기/월)

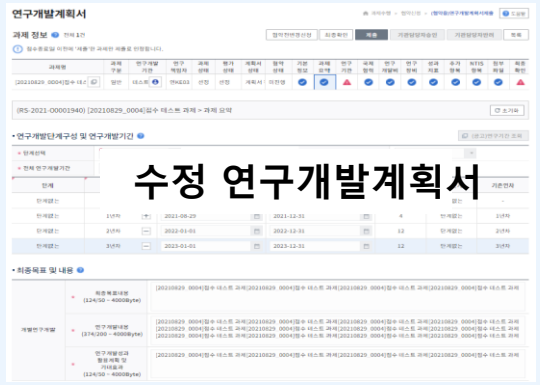
16개

중간점검 (21개)

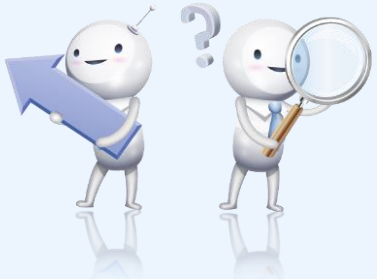
특별평가 (58개)

- 계속지원 (5)
- 중단 (40)

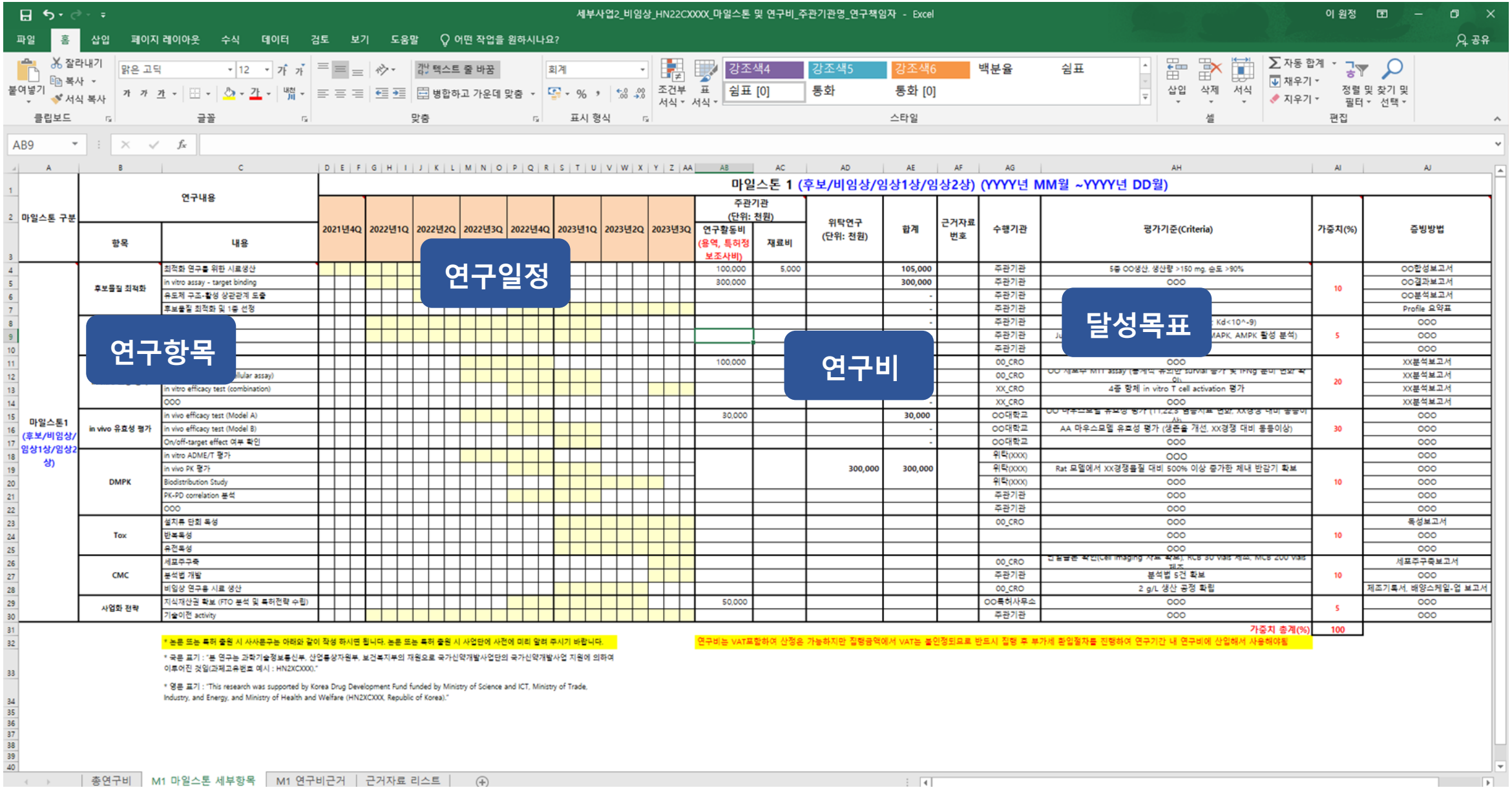
과제방문 (61건)



수요 Talk club (29건)



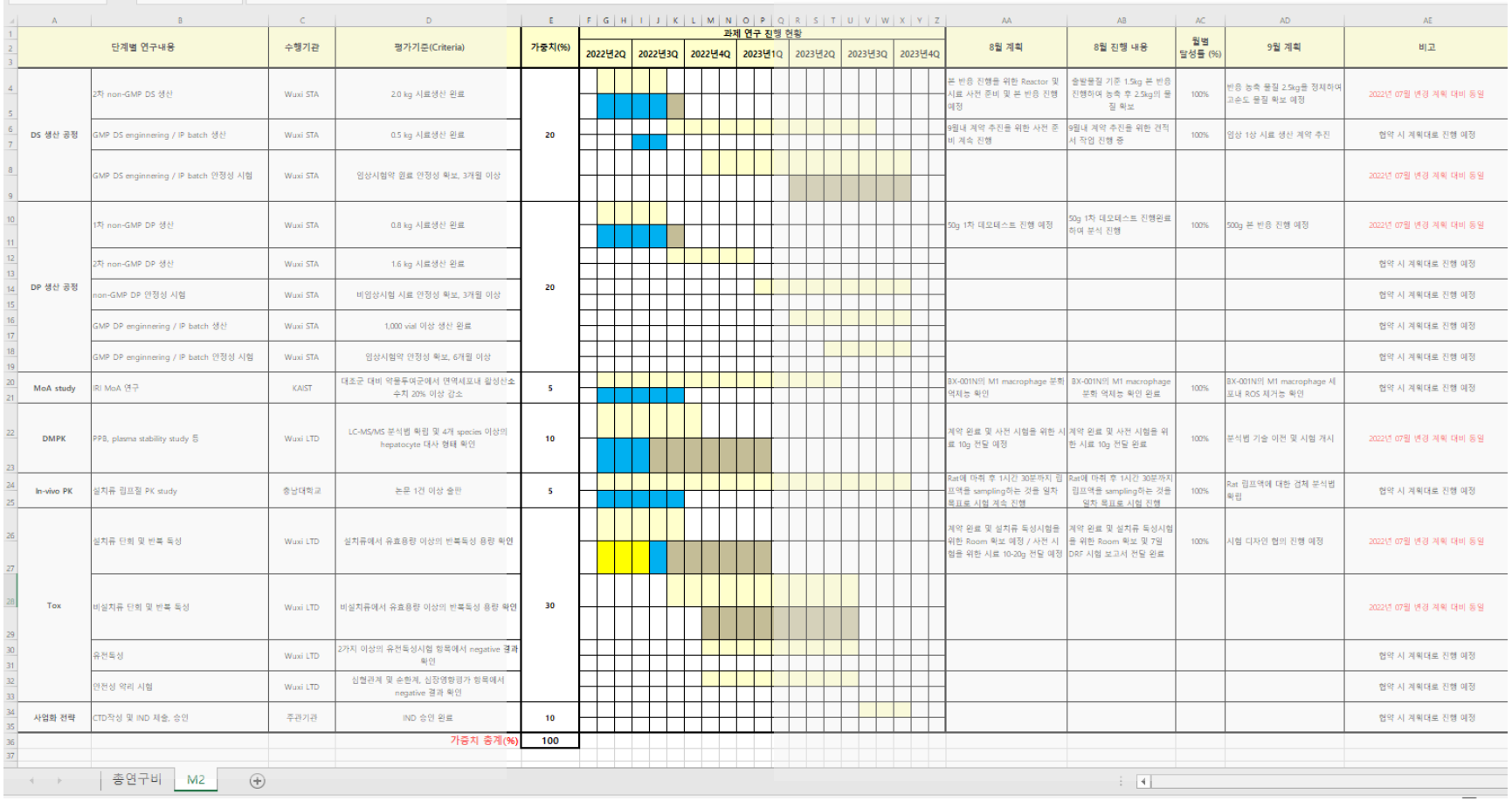
협약협의 파일- 마일스톤 및 연구비 파일



연구진행현황 관리 (월/분기)

- 유효~선도단계: **분기 별** 마일스톤 연구 진행현황 제출
- 후보~임상단계: **월별** 마일스톤 연구 진행현황 제출

➡ 필요 시, 과제방문 및 지원방안 논의



* 추진일정 표시방식

- : 계획
- : 진행중
- : 지연
- : 완료

주요 협약변경 사항 주요 검토 내용

주요 협약변경 사항		주요 검토 내용
연구책임자		- 3책 5공 위반 여부, **역량 적합성**
연구기간 연장		- **기간연장을 요청하게 된 원인(내/외의 환경변화, 연구진의 역량부족, 예측하지 못했던 이슈의 도출 등)의 수용 여부** - 과제의 지연 및 이에 따른 기간연장을 판단하기에 충분한 자료의 제출 여부 - 연구기간 연장으로 **과제의 연구목표를 달성할 가능성 상향 여부** - 요청한 연장기간의 적절성
연구개발기관 추가·변경		- 역량 적합성
연구목표 (내용)	**연구항목 추가**	- **연구항목 추가 사유의 타당성과 근거자료의 적절성** - 추가 연구가 **기존 계획에 대비하여 과제의 성공 및 완성도를 높일 가능성** - 추가 연구항목에 대한 수행 계획의 충실성 - 연구비 배분의 적절성
	연구항목 변경 및 삭제	- 연구항목의 변경 혹은 삭제 사유의 타당성과 근거자료의 적절성 - 연구항목의 변경 혹은 삭제가 과제의 성공, 효율성 및 완성도를 높일 가능성
연구기간 단축		- 연구목표 조기 달성 등
연구비 증액		- 주관기관의 연구비 증액 사유의 타당성 및 근거자료의 적절성 - 연구기간 연장 또는 연구항목 추가에 따른 연구비 증액의 필요성 및 지원의 타당성
연구항목 간 연구비 이동		- 협약 연구비 내에서 연구항목 간 연구비 재배분 사유의 타당성과 근거자료의 적절성 - 협약 연구비 내에서 연구항목 간 연구비 재배분이 과제의 성공, 효율성 및 완성도를 높일 가능성

III 성공적인 개발을 위한 성과 평가

성과평가 체계

중간점검

(대상)
마일스톤 진행 중
중간점검이 필요한
과제

(절차)
평가단 →
(중단의견 시)
특별평가 진행

특별평가

(대상)
혁신법 제15조
제1항&2항
특별평가 사유발생 시

(절차)
평가단 →
운영위원회 →
(필요 시)
제재처분평가단

마일스톤평가

(대상)
복수마일스톤 과제의
단일마일스톤
연구기간 종료과제

(절차)
평가단 →
투자심의위원회 →
(필요 시)
제재처분평가단

최종평가

(대상)
연구기간 종료 과제

(절차)
평가단 →
투자심의위원회 →
운영위원회 →
(필요시)
제재처분평가단

중간점검 절차

- 협약으로 정하였거나, 중대한 사정 변경이 발생한 경우 중간점검 실시
- 전문성, 객관성, 공정성을 유지하기 위하여 중간점검위원회를 구성하여 운영

Step 1

진도 실적보고 및 점검

주관연구개발기관이
중간점검 사항에 대한 자료제출

- 진도실적보고서
- 자체점검 의견서
- 증빙자료

Step 2

전문가 검토

중간점검위원회(외부 전문가로 구성)
과제 계속 진행 여부에 대한 의견서 작성

계속 · 중단 검토의견 도출

- 계속: 연구개발결과가 상호 합의된 목표 및 기준을 달성한 경우
- 중단: 연구개발결과가 상호 합의된 목표 및 기준을 달성하지 못한 경우

Step 3

평가결과에 따른 조치

중단 의견 시, 특별평가 진행

특별평가 절차

- 연구개발과제의 변경 및 중단을 결정하기 위한 평가
- 본 평가를 통하여 연구개발목표, 연구책임자 등 변경 또는 해당 연구개발과제 중단할 수 있음

Step 1

진도 실적보고 및 점검

혁신법 제15조제1항&제2항
특별평가 사유가 발생한 경우
주관연구개발기관이 자료제출

- 진도실적보고서
- 자체점검 의견서
- 증빙자료 등

Step 2

전문가 검토

평가단(외부 전문가로 구성)
평가사유에 대한 타당성, 협약변경 및 과제 중단 등의 필요성, 연구수행 포기에 대한 정당한 사유 여부 검토

- 계속지원, 변경 계속지원, 조기완료 (목표조기 달성) 여부 결정
- 중단 결정

운영위원회 확정

Step 3

평가결과에 따른 조치

- 중단, 조기완료:
  최종평가 등 후속 조치
- 변경 계속지원:
  협약변경 진행
- 계속지원: 조치사항 없음

특별평가 사유

- **제15조 제1항: 중앙행정기관의 장 시행**

1. 연구개발과제의 수행 과정에서 제31조제1항에 따른 **국가연구개발사업 관련 부정행위가** 발생한 경우
2. 제32조 및 제33조에 따라 **연구책임자의 국가연구개발활동에 대한 참여제한이 확정**된 경우
3. 연구개발 환경이 변경되어 연구개발과제를 **계속하여 수행하는 것이 불필요하다고 판단되는 경우**
4. 중앙행정기관의 장이 제2항에 따른 요청을 인정한 경우
5. 연구개발과제를 수행하는 **연구자 또는 연구개발기관이** 이 법 또는 **협약에 따른 의무를 이행하지 아니하거나 연구개발과제를 계속하여 수행하는 것이 불가능**하다고 인정되는 경우
6. 그 밖에 연구개발과제의 변경 및 중단이 필요한 경우로서 대통령령으로 정하는 경우

- **제15조 제2항: 연구개발기관 또는 연구책임자의 요청**

1. **연구개발 환경이 변경**되었거나 연구개발과제 **목표를 조기에 달성**하여 연구개발과제를 **계속하여 수행하는 것이 필요하지 아니하다**고 판단되는 경우
2. 연구개발과제를 **계속하여 수행하는 것이 불가능하다고 판단되는** 경우

성과평가 절차

	마일스톤 평가	최종평가
자료 제출	- 주관연구개발기관: 진도실적보고서, 자체평가 의견서, 증빙자료 등 제출	- 주관연구개발기관: 최종보고서, 자체평가 의견서, 증빙자료 등 제출
평가	- 평가단: 외부 전문가로 구성 • 마일스톤 달성 여부에 대한 평가 * • 평가점수 평균으로 판단: (70점이상) 계속/ 변경 계속/조기완료 (70점 미만) 중단 - 투자심의위원회 심의·조정하여 확정 - 운영위원회 보고	- 평가단: 외부 전문가로 구성 • 마일스톤 달성 여부에 대한 평가 * • 평가점수 평균으로 판단: 우수(85점 이상) / 보통(70점~85점) 미흡(50점~70점) / 극히 불량(50점 미만) - 투자심의위원회 심의·조정 - 운영위원회에서 심의·조정하여 확정
조치	- 계속지원: 후속 마일스톤 진행 - 조기완료·중단: 후속 조치	- 운영위원회 결과 주무부처에 보고 - 제재처분 심의 대상: 제재처분 심의 진행

성과평가 평가표

마일스톤 평가

대항목	소항목	총점
최종목표 달성 여부 (30)	연구결과의 목표 달성 여부 1) 마일스톤 목표를 달성하였는가? 2) 마일스톤에 상응하는 결과(기술이전, 사업화, 표준화등)을 확보하였는가?	30
연구결과의 우수성 (25)	후속단계 진입 가능한 물질/결과 도출 여부 (Developability)	10
	경쟁약물 대비 차별성/우월성 근거 제시	10
	미충족 의학적 수요 극복 근거 제시	5
연구수행의 적절성 (15)	연구수행 과정의 적절성 1) 데이터 무결성(Data integrity) (개발 물질의 일관성, 재현성, 통계적 유의성 등) 2) 증빙 자료 및 도출 결과에 대한 근거 자료의 제출 및 충실성 3) 목표달성을 위한 적극적인 추진	10
	연구수행 방법의 적절성 1) 적절한 연구기술의 사용, 개발단계에 적합한 연구항목 수행 2) 연구항목 별 시험 디자인의 적절성	5
계획의 우수성 (30)	차기 마일스톤 계획의 우수성 1) 계획의 구체성, 실현가능성, 효율성 2) 마일스톤 결과 및 시장 현황을 반영한 TCP/TPP 제시	30

최종평가

대항목	소항목	총점
최종목표 달성 여부 (20)	연구결과의 목표 달성 여부 1) 마일스톤 목표를 달성하였는가? 2) 마일스톤에 상응하는 결과(기술이전, 사업화, 표준화등)을 확보하였는가?	20
연구결과의 우수성 (40)	후속단계 진입 가능한 물질/결과 도출 여부 (Developability)	20
	경쟁약물 대비 차별성/우월성 근거 제시	10
	미충족 의학적 수요 극복 근거 제시	10
연구수행의 적절성 (30)	연구수행 과정의 적절성 1) 데이터 무결성(Data integrity) (개발 물질의 일관성, 재현성, 통계적 유의성 등) 2) 증빙 자료 및 도출 결과에 대한 근거 자료의 제출 및 충실성 3) 목표달성을 위한 적극적인 추진	20
	연구수행 방법의 적절성 1) 적절한 연구기술의 사용, 개발단계에 적합한 연구항목 수행 2) 연구항목 별 시험 디자인의 적절성	10
결과 활용 계획의 우수성 (10)	결과 활용 계획의 우수성 1) 계획의 구체성, 실현가능성, 효율성 2) 마일스톤 결과 및 시장 현황을 반영한 TCP/TPP 제시	10

성과평가 시 유의사항

대항목	소항목	총점
최종목표 달성 여부 (20)	연구결과의 목표 달성 여부 1) 마일스톤 목표를 달성하였는가? 2) 마일스톤에 상응하는 결과(기술이전, 사업화, 표준화등)을 확보하였는가?	20
연구결과의 우수성 (40)	후속단계 진입 가능한 물질/결과 도출 여부 (Developability)	20
	경쟁약물 대비 차별성/우월성 근거 제시	10
	미충족 의학적 수요 극복 근거 제시	10
연구수행의 적절성 (30)	연구수행 과정의 적절성 1) 데이터 무결성(Data integrity) (개발 물질의 일관성, 재현성, 통계적 유의성 등) 2) 증빙 자료 및 도출 결과에 대한 근거 자료의 제출 및 충실성 3) 목표달성을 위한 적극적인 추진	20
	연구수행 방법의 적절성 1) 적절한 연구기술의 사용, 개발단계에 적합한 연구항목 수행 2) 연구항목 별 시험 디자인의 적절성	10
결과 활용 계획의 우수성 (10)	결과 활용 계획의 우수성 1) 계획의 구체성, 실현가능성, 효율성 2) 마일스톤 결과 및 시장 현황을 반영한 TCP/TPP 제시	10

증빙자료- 연구/시험보고서 제출 必

→ 증빙 미비 시, 불성실 수행으로 평가받을 가능성 존재

과제 성과 외 실적자료(특허, 논문 등) 제출 지양

연구실적/현황 허위 보고 시 평가점수에 반영

→ 수행과정이 불량한 과제로 평가받을 가능성 존재

자체평가의견서 실적에 근거하여 작성 必

- Pass vs. No Pass
- 달성도(%)

성공적인 신약개발, 대한민국의 미래입니다.

Thank You!

- kddf@kddf.org
- kddf_pm@kddf.org (과제관련 문의)