2026년 주목해야 할 임상시험 11개

◇ Nature Medicine은 2025년 진행하고 있는 임상시험 중 2026년 의학 발전에 큰 영향을 미칠 11개의 임상시험을 소개. 유전자 및 세포 기반의 근본적 치료, 환자 맞춤형 정밀의료, 감염병 혁신에 관한 임상시험을 주목하며 기존 치료 방식의 한계에 도전하는 임상시험의 2026년 결과를 기대

▸주요 출처 : Nature Medicine, Eleven clinical trials that will shape medicine in 2026, 2025.12.15

◪ 정밀의료, 유전자편집, 줄기세포 및 차세대 백신기술을 통해 기존의 치료 방식으로 해결하기 어려운 한계를 극복하려는 11개 임상시험을 주목

○ 기존 백신의 한계, 만성질환의 지속적인 부담, 심혈관질환의 새로운 위험 인자 등 해결해야 할 과제들이 존재

- 결핵의 경우 **기존 BCG 백신은 성인기 보호 효과가 미흡**하여 연간 약 125만 명의 사망자가 발생, 라사열(Lassa fever)과 같은 치명적 감염병은 아직 승인된 백신이 전무한 상태

<고위험군인 라사 바이러스 실험 모습>

- HIV 치료는 매일 약을 복용해야 하는 번거로움이 있고, 만성질환인 중증 근무력증은 광범위한 면역 억제제 사용으로 인한 부작용이 큼
- 췌장암은 5년 생존율이 매우 낮고 표준 화학요법의 독성이 강하며, 롱-코비드(Long COVID)나 희귀 유전질환인 만성 육아종성 질환(Chronic Granulomatous Disease, CGD)은 근본적인 치료법이 부족
- 콜레스테롤 수치 조절만으로는 해결되지 않는 유전적 요인인 Lp(a) 수치가 **심혈관질환의 새로운 위험 인자**로 부상

◪ 이러한 한계를 극복하고자 2026년 진행될 임상시험은 유전자 및 세포 기반의 근본적 치료, 환자 맞춤형 정밀의료, 감염병 혁신을 목표로 추진될 예정

○ 단순한 증상 완화가 아닌 **유전자를 교정하거나 면역세포를 재설계하여 질병을 근본적 치료**하려는 임상시험을 주목

※ 프라임 편집(Prime Editing) 치료제, PM359: 검색 및 교체(search-and-replace) 방식의 프라임 편집을 통해 환자의 조혈모세포 내 결함 유전자를 직접 수정

※ mRNA 기반 CAR-T치료제, Descartes-08: 암 치료에 쓰이던 CAR-T를 자가면역질환에 적용, DNA가 아닌 mRNA를 활용

※ 자가 골수 줄기세포치료제, NEST: 환자의 골수에서 유래한 줄기세포를 정맥 및 비강으로 투여해 손상된 신경 조직의 재생. 2026년 7월경 마비 환자의 운동 능력 회복에 대한 1차 결과가 발표될 예정

※ Bria-IMT 세포 치료: 변형된 암세포를 주입해 환자 자신의 면역 반응을 일깨우는 세포 기반 면역요법으로, 2026년 하반기에 말기 유방암 환자의 생존율 개선 데이터를 발표할 계획

○ 특정 바이오마커나 유전적 변이를 가진 **환자군을 정밀하게 선별하여 치료 효과를 극대화**

※ RAS 억제제, RMC-6236(Daraxonrasib): 췌장암 환자의 95%에서 발견되는 KRAS 변이 전체를 타겟팅하는 최초의 다중 억제제

※ Lp(a) 감소 치료제, Pelacarsen: 심혈관질환 고위험군을 대상으로 운동이나 식단으로 조절되지 않는 유전적 위험 인자 Lp(a) 수치를 약 80% 감소. 8,000명 대상의 대규모 임상 결과가 2026년 상반기에 발표될 예정

※ IL-6 억제제, Ziltivekimab: 콜레스테롤과 무관하게 '염증' 자체가 심혈관 문제를 일으키는 기전 차단. 2026년 6월경 심장마비 위험 감소 효과가 입증될 것으로 기대

○ 환자의 편의성을 획기적으로 높이고, 수십 년간 정체되었던 **백신 분야의 한계를 돌파**

※ 장기 지속형 중화항체, RIO: 매일 먹는 HIV 치료제 대신 6개월에 한 번 주사하는 두 종류의 광범위 중화항체(bNAbs) 치료

※ 차세대 결핵 백신, M72/AS01E-4: 기존 BCG 백신의 한계를 넘어 성인에게도 효과적인 최초의 차세대 백신

※ 라사열/광견병 이중 백신, LASSARAB: 서아프리카의 치명적 감염병인 라사열을 예방하는 최초의 백신. 2026년에 안전성 및 면역원성 데이터가 확보될 예정

○ 치료제 개발 과정에 **환자의 참여도를 높이고**, **복합적인 증상을 동시에 해결하는 새로운 연구 모델** 시험 예정

※ 롱-코비드 다약제 임상, STIMULATE-ICP: 항응고제, 항염증제 등 여러 약물의 조합을 한꺼번에 테스트하는 '적응형 플랫폼' 연구. 환자가 직접 연구 설계에 참여하며, 2026년 초에 증상 완화에 대한 종합 분석이 완료될 예정

< 2026년 글로벌 의료 혁신을 이끌 것으로 전망되는 11개 임상시험 >

분야	치료법/약물명 (개발그룹)	모달리티	대상 질환	주요 특징 및 단계
감염병	M72/AS01E-4 (Bill & Melinda Gates MRI & GSK)	백신(단백질 서브유닛)	결핵 (TB)	3상 진행 중, 성인 및 청소년기 결핵 발병을 약 50% 예방 목표
감염병	3BNC117-LS & 10-1074-LS (Rockefeller Univ. & Gilead)	단일클론항체 (bNAbs)	HIV	2상 진행 중, 6개월간 지속되는 광범위 중화항체를 통해 매일 먹는 약 없이 바이러스를 제어
감염병	LASSARAB (Thomas Jefferson University)	백신(불활성 바이러스 벡터)	라사열 및 광견병	1상 진행 중, 라사열과 광견병을 동시에 예방할 수 있는 최초의 백신
만성질환	로라타딘, 파모티딘 등/다약제 (University College London)	화학합성물 (약물 재창출)	롱 코비드	3상 진행 중, 항염증제 및 항응고제 등의 조합을 통해 만성 피로와 혈관을 치료
심혈관	Ziltivekimab (Novo Nordisk)	단일클론항체 (IL-6 억제제)	심혈관 사고 예방	3상 진행 중, 콜레스테롤과 독립적인 염증 인자 IL-6를 차단하여 심장마비 위험을 낮춤
심혈관	Pelacarsen (Novartis & Ionis Pharm)	안티센스 올리고뉴클레오타이드	주요 심혈관 사고	3상 진행 중, 유전적 위험 인자인 Lp(a) 수치를 약 80% 감소시키는 표적 치료제
암	Daraxonrasib/RMC-6236 (Revolution Medicines)	화학합성물 (RAS 억제제)	전이성 췌장암	3상 진행 중, KRAS 변이 단백질 억제제와 결합시켜 암 성장을 멈추는 혁신적 기전을 사용
암	Bria-IMT (BriaCell Therapeutics)	세포 기반 면역요법	전이성 유방암	3상 진행 중, 변형된 암세포를 주입하여 환자 스스로의 면역 체계가 암을 공격하도록 자극
자가면역	Descartes-08 (Cartesian Therapeutics)	mRNA 기반 CAR-T 치료	중증 근무력증	2b상 진행 중, DNA 편집 대신 mRNA를 사용하여 독성을 줄이고 질병 유발 세포만 정밀하게 타격
유전질환	PM359 (Prime Medicine)	유전자 편집 (프라임 편집)	만성 육아종성 질환	1/2상 진행 중, 환자의 줄기세포 내 결함 유전자를 직접 교정하여 다시 주입하는 방식
신경질환	자가 골수 유래 줄기세포 (MD Stem Cells)	줄기세포 (자가 유래)	신경계 질환 및 손상	인체 임상 연구 중, 환자의 골수 줄기세포를 정맥 및 비강으로 투여해 뇌 기능 회복을 유도

출처 : Nature Medicine, Eleven clinical trials that will shape medicine in 2026, 2025.12.15

바이오 분야의 국내외 이슈를 살펴보기 위해 작성한 BioINwatch는 국내외 다양한 분석 보고서, 언론 기사 등을 참고하여 작성되었으며, 생명공학정책연구센터의 공식 견해는 아닙니다. 본 자료는 국가생명공학정책연구센터 홈페이지(http://www.bioin.or.kr)에서 다운로드가 가능하며, 인용시 출처를 명시해주시기 바랍니다.
- 작성/문의 : 국가생명공학정책연구센터 김무웅 연구원(☎042-879-8375), 이현희 연구원(☎042-879-8365) -