

글로벌 헬스케어 R&D BRIEF

(서울대학교병원 보스턴오피스 / 26.03.27.)

1. 초희귀 소아면역질환 유전자치료제 FDA 가속 승인

□ 배경 및 주요내용

- 26.3.27. FDA, Rocket Pharmaceuticals의 Kresladi(RP-L201) 가속승인
 - HLA일치 형제 공여자가 없는 '중증 LAD-I 소아환자'를 위한 자가 렌티바이러스 조혈모세포 유전자 치료제
 - **LAD-1 유전자 치료제 최초 승인 사례**

* LAD-I(Leukocyte Adhesion Deficiency Type I) 질환 개요

- ITGB2 유전자 양대립 변이에 의해 발생하는 초희귀 소아 유전성 면역결핍증
- 반복감염과 유아기 높은 사망률이 특징
- '골수이식'이 그간의 유일한 치료옵션이었으나,
 - 이식 관련 이환율·사망률이 높고, 시간 내 적합한 공여자를 찾지 못하는 문제 많음.
- 유병률 : 약 100만명당 1명¹⁾로서 초희귀질환

- Kresladi투여 후 12개월 시점에서 생존율 100%, 추적기간(3.6년~5.7년) 동안 모든 환자가 생존했고, 동종이식이 필요없었음.
- 이번 승인은 FDA의 가속승인(Accelerated Approval)에 따른 것으로, 사후 임상확증데이터를 제출해야함.
 - * 가속승인 근거 : 혈액학적·생물학적 대리 바이오마커
 - 호중구 CD18 및 CD11a 지속증가

1) <https://medlineplus.gov/genetics/condition/leukocyte-adhesion-deficiency-type-1> 기준 참고

[가속승인 vs 일반승인]

구 분	가속승인	일반승인
허가근거	대리지표, 바이오마커, 조기임상신호	임상적 이익을 직접 보여주는 확증 데이터
목 적	중증질환에서 환자접근성 ↑	충분한 근거확인 후 정식허가
승인후 요구사항	사후 확증임상데이터 필수	일반적으로 추가 확증데이터가 승인조건은 아님
실패시	확증이 실패되면 승인취소 가능	일반적으로 조건부 구조가 아님

□ 주요출처

<p>Rocket Pharmaceuticals Announces FDA Approval of KRESLADI for Pediatric Patients with Severe LAD-I (26.03.27. / PharmiWeb)</p>
<p>https://www.pharmiweb.com/press-release/2026-03-27/rocket-pharmaceuticals-announces-fda-approval-of-kresladi-for-pediatric-patients-with-severe-leukoc</p>
<p>FDA grants accelerated approval to KRESLADI gene therapy in severe LAD-I kids (26.03.27. / Yahoo Finance)</p>
<p>https://finance.yahoo.com/sectors/healthcare/articles/rocket-pharmaceuticals-wins-fda-accelerated-140759754.html?guccounter=1</p>

□ 배경 및 주요내용

- 26.03.19. UCSF와 Beth Israel Deaconess Medical Center 공동연구팀, 수면EEG 2) 기반 AI 뇌나이지수(BAI)와 치매위험의 연관성을 분석한 개인 참여자 데이터 메타분석을 JAMA Network Open에 발표함.
- 연구설계
 - 5개 지역사회 기반 코호트(MESA, ARIC, FHS-OS, MrOS, SOF) 3) 데이터 통합 분석
 - 참여자 7,105명, 연령 40~94세, 추적 기간 3.5~17년
 - 단, 연구시작시점 치매증상 없음.
 - AI 모델이 수면EEG의 13가지 미세구조 특성 4)을 분석해 Brain Age 산출
- 연구결과 :
 - 수면 EEG로 추정된 뇌 나이(BAI)가 실제 나이보다 많을수록, 나중에 치매가 생길 위험이 높음.
 - '수면시간' 보다, 수면 EEG의 미세한 패턴 자체가 뇌 건강과 더 직접

2) 수면 중 뇌파(EEG, electroencephalography)를 이용해 상태를 분석 / 잠자는 동안의 뇌파 패턴을 보고 수면 단계, 수면의 질, 이상 징후를 판단하는 방법

3) MESA: Multi-Ethnic Study of Atherosclerosis. 여러 인종을 포함한 동맥경화/심혈관질환 연구
 ARIC: Atherosclerosis Risk in Communities. 지역사회에서 동맥경화와 심혈관질환 위험 요인을 보는 장기 추적 연구
 FHS-OS: Framingham Heart Study-Offspring Study. 자녀 세대 코호트
 MrOS: Osteoporotic Fractures in Men / Study of Osteoporotic Fractures 남성의 골다공증·노화 관련 연구 코호트
 SOF: Study of Osteoporotic Fractures. 여성의 골다공증과 골절 위험을 보는 연구

위 5개 코호트는 모두 지역사회 기반의 장기 추적 코호트라서, 병원 환자만 본 게 아니라 일반 인구에 가까운 집단 에서 수면 EEG와 치매 발생의 연관성 파악 / 각 코호트는 연령대와 성별 구성이 달라서, 합치면 더 넓은 연령 범위와 더 큰 표본으로 분석가능

4) 수면 단계만 보는 게 아니라, 그 안에 숨어 있는 세부 뇌파 패턴 13가지를 모델에 넣어 뇌 나이를 예측

적으로 연결될 수 있음.

- BAI는 미래 치매위험을 예측하는 '후보지표'가 될 수 있음.

지 표	결 과
BAI 10년 증가 시 치매 위험	39% 증가 (HR 1.39, 95% CI 1.21~1.59)
뇌 나이 < 실제 나이	치매 위험 유의하게 낮음
기존 수면 거시지표(수면 단계·효율)	치매 위험과 유의한 연관성 없음
추적 기간 중 치매 발생자	약 1,000명

□ 주요출처

Machine Learning–Based Sleep Electroencephalographic Brain Age Index and Dementia Risk
(26.03.19. / JAMA Network Open / By Haoqi Sun, PhD1; Sasha Milton, BA2; Yi Fang, MD2
Hash Brown Taha, MSc3; Shreya Shiju2; Robert J. Thomas, MD4; Wolfgang Ganglberger, PhD1;
Matthew P. Pase, PhD5,6,7; Timothy Hughes, PhD8; Shaun Purcell, PhD9; Susan Redline, MD,
MPH10; Katie L. Stone, PhD11,12; Kristine Yaffe, MD2,12,13,14; M. Brandon Westover, MD, PhD1;
Yue Leng, PhD2)

<https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/fullarticle/2846719>

Is Your Brain Aging Faster Than You Are? Sleep May Hold the Key
(26.03.19. / UCSF 공식 보도자료)

<https://www.ucsf.edu/news/2026/03/431656/your-brain-aging-faster-you-are-sleep-may-hold-key>

Brain Wave Patterns During Sleep Predict Risk of Dementia
(26.03.24. / Inside Precision Medicine)

<https://www.insideprecisionmedicine.com/topics/translational-research/brain-wave-patterns-during-sleep-predict-risk-of-dementia/>

3. 소음에 민감한 만성요통환자(뇌감각 증폭 현상 발견)

□ 배경 및 주요내용

- 26.03.05. 콜로라도 앤슈츠 의대, 독일 함부르크 에펜도르프대학병원, 다탘머스대학 공동연구 결과(Annals of Neurology에 게재)
→ 만성 요통환자가 일상적인 소리를 더 강렬하게 처리하며, 뇌변화를 최초로 연결한 연구

• 연구설계

- 만성 요통 환자 142명 vs. 통증 없는 건강한 대조군 51명 비교
- fMRI로 소리 및 압력 자극에 대한 뇌반응 측정
- 만성 요통 환자의 뇌가 소리의 크기와 감정적 영향을 모두 처리하는 영역에서 건강한 사람들과 다르게 반응한다는 것이 확인

• 연구결과

지 표	결 과
만성 요통 환자 vs. 건강한 청각 반응	만성 요통 환자의 뇌가 건강한 사람의 84%보다 더 강렬하게 소리에 반응
청각피질·뇌섬엽(insula) 활성화도	만성 요통 환자에서 과활성화
내측전전두피질(mPFC) 활성화도	만성 요통 환자에서 저활성화 → 감각 신호 하향 억제 기능 손상
PRT 5) 치료 후 청각 과반응	부분적 정상화

- 기존의 통증 부위 중심 치료패러다임에서 뇌기반 감각조절치료로의 전환 필요성 확인

5) 만성 통증을 조직 손상의 신호가 아닌 뇌가 생성하는 가역적 과정으로 재구성하도록 돕는 심리적 치료법.

□ 주요출처

Auditory Hyperresponsivity in Chronic Back Pain: A Randomized Controlled Trial of Pain Reprocessing Therapy

(26.02.27. / Annals of Neurology / By Alina E. C. Panzel MSc, Christian Büchel MD, Andrew Leroux PhD, Tor D. Wager PhD, Yoni K. Ashar PhD)

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/ana.78183>

Why Does Chronic Back Pain Make Everyday Sounds Feel Harsher?

(26.03.05. / University of Colorado Anschutz 공식 보도자료)

<https://news.cuanschutz.edu/news-stories/why-does-chronic-back-pain-make-everyday-sounds-feel-harsher-brain-imaging-study-points-to-a-treatable-cause>

4. 역대 최대 레지던트매칭 – 가정의학과 미달 & 비자문제 부각



□ 배경 및 주요내용

- 26.03.20. NRMP(전국 레지던트 매칭 프로그램 / National Resident Matching Program) “The Match 2026” 주요 레지던트 매칭 결과를 발표됨. 74년 역사상 최대 규모로, 6,809개 인증 프로그램에서 44,344개 포지션이 제공
 - * 한국은 보통 병원별로 직접 지원해서 각 병원/전문의 수련기관이 자체 선발하는 방식이 중심이지만, 미국은 NRMP라는 중앙 매칭 시스템을 통해 지원자와 프로그램이 서로 순위를 제출한 뒤 알고리즘으로 배정됨.

• 핵심사항

지 표	26년	전년 대비
등록 지원자 수	53,373명	+875명
제공 포지션 수	44,344개	+2.6%
전체 포지션 총원을	93.5%	-
미충원 포지션	2,862개	+389개 ↑
미매칭 지원자	9,696명	+155명 ↑

→ 전공과별 주요 동향

전 공	포지션수	충원율	전년 대비
내과	11,632개	95.2%	-1.6%p 하락
가정의학과	5,491개	83.6%	-1.4%p 하락 899개 미충원
소아과	3,185개	94.4%	-0.9%p 하락
응급의학과	3,198개	95.6%	2022~23년 위기 후 회복 중
정신건강의학과	2,451개 충원	65개 미충원	전년 8개 미충원에서 급증 ↑

→ NRMP는 가정의학과 이해관계자로 구성된 패널을 소집해 '의대생 관심도, 레지던트 모집 역학, 전공과 성장·지속가능성에 영향을 미치는 광범위한 요인을 면밀히 검토할 예정'

→ 비자 스폰서십이 필요한 외국의대졸업생 매칭률은 54.5%로 5년간 최저

□ 주요출처

<p>NRMP Releases Results of the 2026 Main Residency Match (26.03.20. / NRMP 공식 발표)</p>
<p>https://www.nrmp.org/about/news/2026/03/nrmp-releases-results-of-the-2026-main-residency-match-f-or-more-than-38000-future-residents/</p>
<p>Largest Match Day on record: Dive into the 2026 numbers (26.03.20. / AMA / By Georgia Garvey)</p>
<p>https://www.ama-assn.org/medical-students/preparing-residency/largest-match-day-record-dive-2026-numbers</p>

5.

국가 AI 정책 프레임워크 발표(헬스케어 AI규제 연방 단일화 추진)

□ 배경 및 주요내용



- 26.03.20. 백악관, 국가AI정책프레임워크(A National Policy Framework for Artificial Intelligence: Legislative Recommendations)를 발표함.
- 2025.12.11. 트럼프 행정부 AI 행정명령의 후속 조치로, 연방 단일AI 규제체제 구축과 주 법률 우선 배제를 의회에 권고하는 내용.
- 프레임워크 7대 핵심원칙

원칙	내용
아동 보호	AI 플랫폼의 연령 확인, 부모 통제 도구 의무화
커뮤니티 안전	AI 기반 사기·범죄 방지
지식재산권 보호	AI 훈련 데이터의 저작권 사용 기준 — 의회 결정에 위임
표현의 자유	AI 콘텐츠 검열 금지, 이념적 편향 주입 규제

원 칙	내 용
혁신·AI 패권	규제 최소화, 미국 AI 글로벌 지배력 유지
AI 준비 인력	AI 시대 교육·직업훈련
주 법률 선점	주 AI 법률에 "과도한 부담"을 부과하는 경우 연방 법률로 선점(preempt)하도록 의회에 권고 6)

- 참고사항(연방 vs. 주 규제의 구조적 갈등)

→ 주들은 "연방 기준이 최소한에 그쳐 환자 안전을 보호하지 못한다"며 독자 입법 지속중임. 7대 프레임워크는 의회가 법률로 제정하기 전까지 구속력이 없음. 법적 내구성과 주 법률 선점의 헌법적 근거에 대한 불확실성이 남아있어

→ 주요 주별 법안사례

구 분	주요 법안 사례	내 용
정신건강 챗봇	오하이오주 (25.11. 발의)	AI의 진단·치료 결정 및 환자 정신·감정 상태 판단 사용 금지
환자 공개·동의	캘리포니아 AB 489 (26.1.1. 발효)	AI 시스템이 의료 면허 보유를 암시하는 용어·표현 사용 금지
임상 제공자 사칭 금지	텍사스 TRAIGA (발효)	고위험 AI 의무 규정, AG 집행, 위반당 \$10,000~\$200,000 민사 제재
보험사 AI 규제	펜실베이니아 (25.10. 발의)	보험사 AI 의사결정에 인간 의료제공자 검토 의무, 공개 요건

6) 즉, 연방법 우위

□ 주요출처

President Donald J. Trump Unveils National AI Legislative Framework
(26.03.20. / 백악관 공식 발표)

<https://www.whitehouse.gov/releases/2026/03/president-donald-j-trump-unveils-national-ai-legislative-framework/>

What's the state of healthcare AI regulation?
(26.03.25. / Healthcare Brew / ByMaia Anderson)

<https://www.healthcare-brew.com/stories/2026/03/25/state-healthcare-ai-regulation>