

AI 신약개발의 패러다임 전환과 미래 융합 생태계

데이터 주도의 표적 발굴부터 자율 구동 실험실까지

표적 발굴, 신약 설계, 임상 검증, 그리고 규제까지

김경진 변호사

목차

제1부 AI 신약개발의 서막과 패러다임 전환

- 1.1 R&D 패러다임 전환: 죽음의 계곡(Valley of Death) 극복
- 1.2 생명과학을 위한 인공지능: 파운데이션 모델(Foundation Models)
- 1.3 다중 오믹스 통합과 신규 바이오마커 발견

제2부 AI 주도 신약 설계 및 물질 발굴

- 2.1 3D 단백질 구조 예측과 구조 기반 약물 설계 (SBDD)
- 2.2 딥러닝 기반 후보물질 생성 (De Novo Design)
- 2.3 인실리코(In silico) ADMET 및 독성 예측 시스템

제3부 차세대 모달리티 및 스마트 약물 전달 시스템

- 3.1 바이오 의약품 및 다중 표적 치료제 설계 (ADC)
- 3.2 천연물 신약 데이터베이스의 AI 해독과 하이브리드 발굴
- 3.3 나노의학 및 스마트 표적 전달 시스템 (Nanomedicine)

제4부 전임상·임상 검증 및 정밀 의료의 혁신

- 4.1 전임상 연구 혁신: 동물실험 대체 및 생물학적 모델링
- 4.2 디지털 트윈(Digital Twins)과 차세대 임상시험의 현대화
- 4.3 정밀 종양학(Precision Oncology)과 환자 맞춤형 치료

제5부 규제 과학, 데이터 윤리 및 미래 융합 생태계

- 5.1 AI 신약개발의 규제 프레임워크와 품질 관리 거버넌스
- 5.2 데이터 윤리, 알고리즘 형평성 및 연합 학습 생태계
- 5.3 제약 산업의 미래: 자율화 연구소(Self-driving Labs)

제 1 부

AI 신약개발의 서막과 패러다임 전환

1.1

R&D 패러다임 전환: 죽음의 계곡(Valley of Death) 극복

2022년 2월, 특발성 폐섬유증 치료제 후보물질 ISM001-055가 처음으로 사람의 몸에 투여되었습니다. 폐가 서서히 굳어가는 이 병은 마땅한 치료법이 없어 진단 후 3년에서 5년 안에 환자 대부분이 세상을 떠납니다. 폐 조직이 딱딱한 흉터로 바뀌면서 숨쉬기가 점점 힘들어지는데 정확한 원인조차 밝혀지지 않아 이름 그대로 특발성이라는 말이 붙었습니다. 그때까지 이 병의 진행을 늦출 수 있는 약은 세계적으로 두 종류뿐이었고, 둘 다 진행을 어느 정도 늦출 뿐 멈추지는 못했습니다. 이 물질을 만든 곳은 홍콩에 본사를 둔 인실리코 메디슨입니다. 연구진은 표적 발굴 플랫폼 PandaOmics로 섬유화를 일으키는 신호전달 과정을 조절하는 효소인 TNIK를 새로운 표적으로 찾아냈고, 화학분자 생성 엔진 Chemistry42로 그 효소에 꼭 들어맞는 분자 구조를 설계했습니다.

프로젝트를 시작한 지 30개월도 채 되지 않아 벌어진 일입니다. 전통적인 방식이라면 표적을 찾고 후보물질 하나를 추려내는 데만 4년에서 6년이 걸렸을 구간입니다. 나중에 렌토서티브라는 정식 이름을 받는 이 작은 분자는 이렇게 컴퓨터 화면 속에서 태어나 사람의 혈관 속으로 걸어 들어갔습니다. 그로부터 3년 뒤, 이 물질은 업계 전체의 눈길을 다시 한 번 붙잡는 소식의 주인공이 됩니다.

신약을 만드는 일은 오랫동안 계곡을 사이에 둔 힘겨루기와 같았습니다. 계곡 이쪽에는 실험실에서 촉망받는 후보물질 수만 개가 줄지어 서 있고, 계곡 저쪽에는 환자에게 실제로 처방되는 몇 알의 약이 놓여 있습니다. 그 사이를 건너다 떨어지는 후보물질이 압도적으로 많아서 업계는 이 구간을 죽음의 계곡이라고 불려 왔습니다. 전통적인 신약 개발은 표적을 찾는 순간부터 규제 당국의 승인을 받기까지 평균 10년에서 15년이 걸리고, 실패한 후보물질까지 모두 합친 비용은 26억 달러를 넘어섰습니다.

이 금액에는 성공한 신약 하나의 개발비뿐 아니라 함께 시도되었다가 실패한 수많은 후보물질의 매몰 비용까지 포함되어 있습니다. 그런데도 계곡을 건너 시장에 나오는 물질은 처음 후보군의 10퍼센트에 미치지 못합니다. 나머지는 효능이 부족하거나 예상치 못한 독성이 드러나거나 몸속에서 예상과 다르게 분해되고 빠져나가면서 중간에 주저앉습니다.

계곡이 이렇게 깊어진 데는 이유가 있습니다. 새로운 약은 먼저 쥐나 원숭이 같은 동물에게 시험합니다. 그런데 동물의 몸과 사람의 몸은 같은 물질을 서로 다르게 받아들입니다. 쥐의 간에서는 무난히 분해되던 성분이 사람의 간에서는 독성 물질로 바뀌기도 하고, 원숭이에게서 확인된 효과가 사람에게는 절반도 나타나지 않기도 합니다. 심지어 같은 사람이라도 나이와 유전자, 이미 앓고 있는 다른 질병에 따라 같은 약에 다르게 반응합니다. 동물실험 결과를 사람에게 옮겨 적용하려는 이 중개연구 과정 자체가 태생적인 한계를 안고 있습니다.

초등학생도 알 만한 비유로 풀면, 강아지에게 통했던 훈련법을 고양이에게 그대로 써 보는 상황과 비슷합니다. 겉모습은 비슷해 보여도 몸속 반응은 종마다 다르기 때문에, 동물 시험을 통과한 후보물질의 상당수가 사람을 대상으로 한 첫 임상시험 단계에서 그대로 무너집니다. 업계에서는 이런 실패를 가리켜 쥐에게는 통했지만 사람에게에는 통하지 않았다는 뜻에서 종간 장벽이라는 말을 씁니다.

이 실패의 반복은 통계로도 뚜렷하게 나타납니다. 신약 하나를 승인받는 데 드는 비용은 대략 9년마다 두 배로 뛰어온 반면, 같은 투자액 대비 승인되는 신약의 숫자는 오히려 줄어듭니다. 연구자들은 이 흐름에 이름의 법칙(Eroom's Law)이라는 이름을 붙였습니다. 반도체 성능이 꾸준히 좋아진다는 무어의 법칙(Moore's Law)의 철자를 거꾸로 뒤집어 만든 말입니다. 무어의 법칙이 기술 발전의 상징이라면, 이름의 법칙은 제약 산업이 반세기 넘게 벗어나지 못한 생산성 퇴보의 상징입니다.

전문가들은 그 원인으로 임상시험 규모가 갈수록 커지고 규제 문턱이 높아진 점, 이미 잘 듣는 약이 개발하기 쉬운 질병을 대부분 차지해 버려 남은 질병일수록 공략하기 어려워진 점을 꼽습니다. 새로 등장하는 질병 표적일수록 구조가 복잡하고 다루기 까다로운 것들만 남아 있다는 지적도 있습니다. 돈은 갈수록 많이 들어가는데 성과는 갈수록 줄어드는 상황이 오래 이어지면서, 제약회사들은 위험 부담이 큰 희귀질환이나 난치성 종양 연구에 선뜻 뛰어들지 못했습니다.

이 흐름을 뒤집을 열쇠로 떠오른 것이 데이터입니다. 유전체와 단백질 정보, 세포 하나하나의 반응을 기록한 단일세포 데이터, 환자의 전자건강기록과 영상 자료, 매일 쏟아지는 수천 편의 의학 논문까지, 사람의 머리로는 다 읽어낼 수 없는 정보가 쌓여 왔습니다. 이 정보를 사람이 하나하나 읽고 서로 연결 지어 보는 일은 애초에 가능한 규모가 아닙니다. 예전의 신약 개발은 연구자의 직관과 대량 스크리닝, 그러니까 수만 개의 화합물을 무작위로 시험해 보며 우연히 걸리는 물질을 찾는 방식에 크게 기댔습니다.

인공지능은 이 방대한 데이터를 학습해 질병의 원인과 약물의 반응을 미리 내다보는 쪽으로 연구 방식 자체를 옮겨 놓고 있습니다. 표적을 무작위로 뒤지던 탐색이 데이터를 근거로 삼는 예측으로 바뀌면서, 신약개발 첫 단계를 지배하던 시행착오의 비중이 눈에 띄게 줄었습니다.

두 파이프라인을 나란히 놓고 보면 차이가 더욱 선명합니다. 전통적인 파이프라인에서는 10년에서 15년이라는 시간과 20억 달러가 넘는 자본이 들어가고, 화학자와 생물학자가 한 단계씩 손으로 확인하는 순차적 검증을 거치며, 그 끝에서 열에 아홉은 실패로 마무리됩니다. 인공지능이 이끄는 파이프라인에서는 이 기간이 반에도 못 미치게 줄고, 초기 탐색에 들어가는 비용이 큰 폭으로 낮아지며, 여러 단계가 동시에 돌아가는 구조 위에서 생성형 인공지능이 후보 자체를 계속 다듬어 갑니다.

시간과 돈을 줄이는 데 그치지 않고, 애초에 실패할 가능성이 큰 후보를 초반부터 걸러내는 쪽으로 접근 자체가 달라진 것입니다. 실패를 나중에 비싼 값을 치르고 확인하는 대신, 값싸고 빠르게 미리 확인하는 쪽으로 무게중심이 옮겨갔습니다.

전통적인 신약 개발 파이프라인은 표적 발굴과 화합물 탐색, 최적화, 전임상 시험, 임상 1상과 2상과 3상이 한 줄로 늘어선 순서를 그대로 따라갑니다. 앞 단계가 완전히 끝나야 다음 단계로 넘어갈 수 있는 구조여서, 어느 한 단계에서 시간이 지체되면 뒤따르는 모든 단계가 함께 늦어집니다. 인공지능이 들어온 파이프라인은 이 순서를 크게 허뭅니다. 표적을 찾는 작업과 후보물질을 설계하는 작업, 그 물질이 몸속에서 어떻게 움직일지 예측하는 작업이 여러 대의 컴퓨터에서 동시에 돌아갑니다.

생성형 인공지능이 수천 가지 분자 구조 대안을 한꺼번에 만들어 내는 동안, 다른 연구팀은 성공 가능성이 높은 후보의 독성을 미리 시뮬레이션합니다. 한 줄로 서서 순서를 기다리던 작업이 여러 곳에서 동시에 진행되는 작업으로 바뀌었습니다. 이 병렬 구조가 개발 기간을 절반 아래로 끌어내린 실질적인 동력입니다.

효과는 숫자로 드러납니다. 새로운 질병 표적을 찾고 거기에 맞는 첫 화합물을 골라내는 데 전통적으로는 수년이 걸렸지만, 인공지능 플랫폼을 들여온 생명공학 기업들은 이 기간을 12개월에서 18개월 사이로 줄였습니다. 확인을 위해 실제로 합성해야 하는 화합물 수도 수만 개에서 수백 개 수준으로 크게 줄었습니다. 세계적인 경영 컨설팅 기관들은 인공지능을 신약 개발 전 과정에 도입하면 제약 산업 전체에 매년 600억 달러에서 1100억 달러에 이르

는 경제적 가치가 새로 생겨날 것으로 내다봅니다. 이 가치의 상당수는 후보물질이 낮은 단계에서 탈락할 때 함께 사라지는 매몰 비용을 줄이는 데서 나오고, 나머지는 개발 기간이 줄어들어 특허로 보호받는 기간 안에 약을 더 오래 판매할 수 있게 된 데서 나옵니다.

인실리코 메디슨 한 곳만 보아도 표적 발굴부터 전임상 후보 확정까지 13개월에서 18개월이 걸렸고, 여기 들어간 비용은 260만 달러 수준이었습니다. 전통적인 방식이라면 같은 구간에 2년 반에서 4년, 수천만 달러가 들어갔을 일입니다. 2025년 한 해만 놓고 보아도 인공지능 신약개발 기업에 들어간 벤처캐피털 자금이 3분기까지 27억 달러에 이르렀습니다. 자본이 이 흐름에 먼저 올라탄 것입니다.

이런 절감 효과는 산업 전체의 계산법을 바꾸어 놓았습니다. 예전에는 환자 수가 수천 명에 그치는 희귀질환에 10년 넘는 세월과 20억 달러가 넘는 돈을 투자할 명분을 찾기 어려웠습니다. 실패 확률이 워낙 높다 보니 몇 안 되는 환자를 위해 그런 위험을 감수할 제약회사가 드물었습니다. 그러나 초기 발굴 비용이 수백만 달러 수준으로 낮아지고 실패를 훨씬 이른 단계에서 걸러낼 수 있게 되면서, 그동안 외면받던 희귀질환과 소아암, 항생제 내성균 치료제 연구에 다시 돈이 몰리고 있습니다.

이 흐름이 중요한 이유는 통계나 주가 때문만이 아닙니다. 특발성 폐섬유증처럼 환자 수가 적어 신약 개발의 우선순위에서 밀려나 있던 질병들이, 초기 개발비가 낮아진 덕분에 연구자의 책상 위에 다시 올라오고 있습니다. 계곡을 건너는 다리가 넓어질수록, 그 다리를 건너 환자에게 닿는 치료제의 가짓수도 함께 늘어날 가능성이 큼니다.

생성형 인공지능이라는 말은 정답 하나를 찾아내는 데 그치지 않고, 조건에 맞는 새로운 결과물을 스스로 만들어 내는 인공지능을 가리킵니다. 그림을 그려 달라고 하면 새 그림을, 문장을 써 달라고 하면 새 문장을 만들어 내는 것과 같은 원리로, 신약개발에서는 표적에 맞는 새로운 분자 구조를 만들어 냅니다. 파운데이션 모델은 특정 질병 하나만 배운 모델이 아니라, 유전자와 단백질과 화합물과 논문까지 폭넓은 데이터를 두루 학습해 여러 문제에 함께 쓰이는 밑바탕 모델을 뜻합니다.

하나의 모델을 만들어 두면 표적 찾기와 분자 설계, 독성 예측까지 여러 작업에 나누어 쓸 수 있어 처음부터 모델을 새로 만들 때보다 효율이 훨씬 높습니다.

이 두 기술이 실제로 신약을 설계하는 방식은 열쇠 이야기로 설명하면 이해하기 쉽습니다. 예전의 가상 스크리닝은 이미 존재하는 수백만 개 화합물 라이브러리 가운데 표적에 맞는

열쇠를 하나씩 대보며 찾는 작업이었습니다. 반면 최근의 생성형 인공지능은 자물쇠, 그러니까 표적 단백질의 입체 구조를 들여다본 뒤 그 구멍에 정확히 들어맞는 열쇠를 아예 새로 깎아 만듭니다. 연구자들은 생성적 적대 신경망과 확산 모델, 그래프 신경망 같은 기술로 약물의 결합력과 선택성, 몸속에서 흡수되고 분해되고 빠져나가는 과정까지 컴퓨터 안에서 미리 그려 봅니다.

이렇게 화합물을 처음부터 새로 설계하는 방식을 디노보 설계라고 부릅니다. 신약 후보 발굴이 기존 물질을 뒤지는 탐색의 영역에서 벗어나 새 물질을 짓는 창조의 영역으로 넘어간 것입니다. 세상 어디에도 없던 분자라도 표적에 꼭 맞기만 하면 후보가 될 수 있다는 점에서, 애초에 찾을 수 있는 후보의 폭 자체가 넓어졌습니다.

이런 설계 방식이 얼마나 빠른지 보여준 초기 사례가 있습니다. 영국의 인공지능 신약개발사 Exscientia는 일본의 스미토모 다이니폰 파마와 손잡고 강박장애 치료 후보물질 DSP-1181을 설계했습니다. 세로토닌 수용체의 한 종류를 겨냥해 설계된 이 물질은 탐색 연구를 시작한 지 채 1년이 되지 않아 마무리되었는데, 전통적인 방식이라면 평균 4년 반이 걸렸을 일입니다.

2020년 1월, DSP-1181은 일본에서 사람을 대상으로 한 첫 임상시험에 들어갔습니다. 컴퓨터 설계가 시작된 지 12개월 만에 벌어진 일이었으니, 당시 제약업계는 이 소식에 크게 술렁였습니다. 다만 이 물질은 이후 개발이 중단되었는데, 계곡의 초입을 빠르게 지났다고 해서 반대편 기슭까지 무사히 닿는다는 보장은 없다는 사실을 뒤늦게 드러낸 사례이기도 합니다.

구조를 읽어내는 인공지능도 함께 발전했습니다. 단백질의 3차원 구조를 원자 단위로 예측하는 알파폴드(AlphaFold) 시리즈는 표적으로 삼기 어렵다고 여겨졌던 단백질의 숨은 결합 부위까지 찾아냈고, 분자 도킹 시뮬레이션 속도를 크게 끌어올렸습니다. 알파폴드를 개발한 데미스 하사비스와 존 점퍼는 이 공로로 2024년 노벨화학상을 받았습니다. 반세기 넘게 생물학의 난제로 남아 있던 단백질 구조 예측 문제가 인공지능으로 풀리면서, 신약 설계의 첫 단추인 표적 구조 파악에 걸리던 시간이 몇 달에서 며칠로 줄었습니다. 구글이 내놓은 치료제 특화 언어모델 Tx-LLM은 분자 구조와 표적 단백질, 임상 문헌을 하나의 모델 안에서 함께 학습해 66개의 신약 개발 평가 작업 가운데 22개에서 최고 수준의 성능을 기록했습니다.

2025년 4월에는 구글이 이 모델을 발전시킨 오픈소스 모델 TxGemma를 새로 내놓았는데, 같은 66개 작업 가운데 50개에서 기존 최고 수준과 맞먹거나 이를 뛰어넘는 성적을 냈습니다. 유전체 전체를 다루는 파운데이션 모델 Evo 역시 단일세포의 반응과 단백질 간 상호작용을 함께 읽어내며 표적 발굴 과정을 자동화하고 있습니다.

이렇게 컴퓨터 안에서 설계된 분자는 이제 사람 손을 거의 거치지 않고 실제 물질로 만들어 집니다. 로봇 팔이 시약을 옮기고 반응 조건을 조절하는 자동화 실험실에서는 인공지능이 제안한 수백 가지 합성 경로를 밤낮없이 시도합니다. 합성된 물질의 효과를 측정한 결과는 곧바로 다음 설계에 반영되어, 설계와 합성과 측정이 사람의 개입 없이 반복되는 폐쇄 루프 시스템을 이룹니다. 표준화된 로봇이 실험을 대신하면 사람마다 다르게 나타나던 손기술의 편차가 줄어들어, 같은 조건에서 실험을 되풀이했을 때 결과가 어긋나는 문제도 함께 줄어 듭니다.

연구자가 시약병을 직접 들고 밤샘 실험을 하던 풍경은 사람이 목표만 정해 주고 기계가 밤 새 수백 번의 실험을 대신 돌리는 풍경으로 바뀌고 있습니다. 이런 자율화 연구소는 병렬 처리의 범위를 컴퓨터 화면 밖, 실제 실험대 위까지 넓히고 있습니다. 사람은 잠든 사이에도 실험이 멈추지 않고 돌아간다는 점에서, 하루 여덟 시간 남짓이던 실험실의 실질적인 가동 시간 자체가 크게 늘어났습니다.

그러나 컴퓨터 화면 위에서 완벽해 보이는 설계도가 실제 건물이 되려면 여전히 오랜 공사 기간이 필요합니다. 인실리코 시뮬레이션으로 다듬어진 가상의 화합물이라도 살아 있는 몸 속에 들어가면 예상 밖의 표적 이탈 반응이나 간독성, 심장독성이 나타날 수 있어 체외 세포 실험과 동물 실험, 오가노이드를 이용한 전임상 검증을 거쳐야 합니다.

인공지능이 후보물질을 찾는 기간을 몇 년에서 몇 달로 줄여 주었어도, 사람의 몸에서 안전성과 효능을 확인하는 임상 1상과 2상, 3상 시험은 환자의 생명이 걸린 일이기에 건너뛸 수 없습니다. 이 검증에는 짧아도 수개월, 길게는 수년이 걸립니다. 계곡의 폭을 좁힐 수는 있어도 계곡 자체를 없앨 수는 없다는 뜻입니다.

전임상 검증은 크게 다섯 가지를 확인하는 과정입니다. 약물이 몸속에서 어떻게 흡수되고 어느 장기에 퍼지며 간에서 어떻게 분해되고 몸 밖으로 어떻게 빠져나가는지, 그리고 예상치 못한 독성을 일으키지는 않는지를 묶어 흡수분포대사배출독성이라고 부릅니다. 과거에는 이 다섯 가지를 하나하나 동물실험과 세포실험으로 확인해야 했지만, 지금은 인공지능

모델이 분자 구조만 보고도 근접한 예측치를 먼저 내놓습니다.

이 예측이 실제 실험을 완전히 대신하지는 못하지만, 애초에 성공 가능성이 낮은 후보를 실험대에 올리기 전에 걸러낼 수 있다는 것만으로도 연구자들이 쓰는 시간과 동원되는 실험동물의 수를 함께 줄여 줍니다.

계곡 안에서 후보물질이 무너지는 방식도 제각각입니다. 어떤 물질은 배양접시 속 세포에서는 표적에 잘 들러붙었지만 정작 사람 몸속에서는 원하는 조직까지 도달하지 못하고 흩어져 버립니다. 어떤 물질은 간에서 너무 빨리 분해되어 약효가 나타나기도 전에 몸 밖으로 빠져 나갑니다. 또 다른 물질은 표적 하나만 건드리려 했는데 구조가 비슷한 다른 단백질까지 함께 건드리면서 예상치 못한 부작용을 일으킵니다.

인공지능은 이런 실패 유형 각각에 대응하는 예측 모델을 따로 두어, 후보물질이 어느 단계에서 무너질 가능성이 큰지를 초기 설계 단계에서부터 가늠하게 해 줍니다. 예전에는 실험실에서 몇 주씩 걸려야 드러나던 이런 약점을, 이제는 분자 구조를 그리는 단계에서 먼저 알아채는 경우가 늘고 있습니다.

이 사실을 뼈아프게 확인시켜 준 사례가 2023년에 나왔습니다. 스미토모 파마가 오쓰카제약과 함께 개발한 조현병 치료 후보물질 울로타론트는 PsychoGenics의 인공지능 기반 행동 분석 플랫폼으로 발굴된 물질입니다. 기존 조현병 약물과 달리 도파민 수용체가 아닌 다른 신경전달물질 수용체를 겨냥해 부작용을 줄이겠다는 기대를 모았습니다. 그런데 2023년 7월, 다이아몬드1과 다이아몬드2라는 이름이 붙은 두 건의 임상 3상 시험에서 울로타론트는 위약보다 증상을 뚜렷하게 개선하지 못했습니다.

안전성 자체에는 문제가 없었지만, 정작 약효를 증명해야 하는 마지막 관문에서 무너진 것입니다. 코로나19 유행기와 겹치면서 위약을 투여받은 환자군의 증상까지 예년보다 크게 좋아진 점이 결과 해석을 더 어렵게 만들었다는 분석도 나왔습니다. 인공지능이 아무리 정확하게 예측하더라도 개별 환자의 반응과 위약 효과 같은 임상 현장의 변수까지 완벽히 통제할 수는 없다는 사실을 이 실패는 보여줍니다.

임상 단계에서 벌어지는 이런 불확실성을 줄이기 위해 업계가 주목하는 해법이 디지털 트윈과 적응형 임상시험 설계입니다. 디지털 트윈은 한 환자의 유전적, 병리학적 특성을 컴퓨터 안에 그대로 옮겨 놓은 가상의 쌍둥이를 만드는 기술입니다. 실제 약을 투여하기 전에 이 가상 환자에게 여러 용량과 치료 시나리오를 미리 적용해 보면서 종양의 이질성이나 약물 내

성이 어떻게 달라지는지 시뮬레이션합니다.

이런 접근은 환자를 세밀하게 나누어 반응이 좋을 것으로 예측되는 사람에게 약을 먼저 시험하는 환자 계층화를 정교하게 만듭니다. 실사용 데이터를 바탕으로 만든 가상의 대조군을 써서 임상시험의 규모와 기간, 윤리적 부담을 함께 줄이는 시도도 늘고 있습니다. 병원을 오가지 않고도 참여할 수 있는 탈중앙화 임상시험 역시 이런 흐름 위에서 늘고 있습니다.

임상시험이 늦어지는 흔한 원인은 참가자를 제때 모으지 못하는 데 있습니다. 전체 임상시험의 80퍼센트 이상이 환자 모집 지연으로 일정이 늦어진다는 집계도 있을 정도입니다. 인공지능은 전자건강기록과 유전체 데이터를 훑어 조건에 맞는 잠재 참가자를 미리 찾아내고, 시험 설계 단계에서부터 모집이 수월한 기준을 제안하는 방식으로 이 병목을 줄이고 있습니다.

이런 수요에 힘입어 임상시험에 특화된 인공지능 시장 규모는 2024년 28억 달러에서 2032년에는 540억 달러 이상으로 커질 것으로 전망됩니다. 계곡을 건너는 다리의 폭을 넓히는 일 못지않게, 다리 위로 사람을 제때 불러 모으는 일 역시 신약개발 속도를 좌우합니다.

그리고 2025년, 계곡을 실제로 건넌 첫 사례가 나왔습니다. 2022년에 임상 1상에 들어갔던 ISM001-055, 지금은 렌토서티브라는 이름을 받은 이 물질의 임상 2a상 결과가 그해 6월 3일 국제 학술지 네이처 메디슨에 발표되었습니다. 기업의 보도자료가 아니라 동료 심사를 거친 학술지에 결과가 실렸다는 것은, 독립적인 전문가들의 검증을 통과했다는 뜻입니다. 특발성 폐섬유증 환자 71명을 대상으로 12주 동안 진행한 이 시험은 의사도 환자도 누가 진짜 약을 받았는지 모르게 하는 이중맹검 방식에 가짜 약을 비교군으로 두는 위약 대조 방식을 더한 것이었는데, 렌토서티브는 모든 투여량에서 안전했고 용량이 늘수록 폐 기능이 뚜렷하게 좋아졌습니다.

하루 60밀리그램을 투여받은 환자군은 폐활량 지표가 평균 98.4밀리리터 늘어난 반면, 위약을 투여받은 환자군은 오히려 20.3밀리리터 줄었습니다. 이 결과는 같은 해 미국흉부학회 학술대회에서도 함께 발표되었습니다. 컴퓨터 안에서 태어난 표적과 분자가 실제 환자의 몸속에서 눈으로 확인되는 효과로 이어진, 업계 최초의 공개 검증 사례입니다.

렌토서티브 하나만의 이야기가 아닙니다. 2026년 초를 기준으로 임상 단계에 들어선 인공지능 기반 신약 후보는 173건에 이르는데, 2023년 말의 24건과 비교하면 3년이 채 안 되는 사이에 일곱 배 넘게 늘어났습니다. 여러 산업 분석에 따르면 인공지능이 찾아낸 물질은 임

상 1상 통과율이 80퍼센트에서 90퍼센트에 이르러 전통적인 방식의 40퍼센트에서 65퍼센트를 크게 웃돕니다. 임상 1상의 목적은 효능이 아니라 안전성 확인에 있는데, 인공지능이 설계 단계에서부터 독성이 예상되는 구조를 걸러내고 몸속 흡수와 배출 과정을 미리 시뮬레이션한 덕분에 애초에 안전성 문턱을 넘기 쉬운 후보만 임상시험대에 오르는 것으로 보입니다.

다만 임상 2상으로 넘어가면 격차가 줄어듭니다. 지금까지 2상을 마친 인공지능 발굴 물질 열 건 가운데 넷이 성공해 40퍼센트 안팎을 기록했는데, 이는 업계 평균인 30퍼센트에서 40퍼센트와 거의 같은 수준입니다. 임상 2상부터는 약물 설계의 정교함보다 사람마다 다른 유전적 배경과 생활 습관, 동반 질환처럼 설계 단계에서 통제하기 어려운 변수의 비중이 커지기 때문으로 보입니다. 규제 당국의 최종 승인까지 받아낸 인공지능 설계 신약은 2026년 여름 현재까지 아직 없습니다.

계곡의 초입은 눈에 띄게 넓어졌지만, 계곡 끝자락의 벼랑은 여전히 가파르게 남아 있다는 뜻으로 보입니다.

제도 역시 이 흐름을 뒤에서 밀어주고 있습니다. 미국 식품의약국은 2022년 12월 식품의약국 현대화법 2.0을 통과시켜 신약 승인 신청에 동물실험을 반드시 포함해야 한다는 수십 년 묵은 의무 조항을 없앴습니다. 2025년 4월에는 단일클론항체를 시작으로 동물실험을 오가노이드와 인공지능 기반 시뮬레이션으로 대체해 나가는 구체적인 로드맵을 내놓았습니다. 뒤이은 식품의약국 현대화법 3.0은 2025년 12월 상원을 통과했고 2026년 7월 20일에는 하원까지 통과했습니다.

하원에서 손질된 안을 상원이 한 번 더 의결해야 대통령에게 넘어가는 구조여서, 2026년 8월 현재 아직 서명은 이루어지지 않았습니다. 이 법이 발효되면 신약 승인 규정 곳곳에 박혀 있던 동물실험이라는 문구가 사라지고, 사람의 세포로 만든 손톱만 한 장치 위에 폐나 간 같은 장기의 기능을 재현하는 장기 칩과 컴퓨터 시뮬레이션 같은 비동물 시험이 그 문구를 대신하게 됩니다.

대형 제약회사들도 앞다투어 이 흐름에 합류했습니다. 알파폴드를 만든 구글 딥마인드의 자회사 아이소모픽 랩스는 일라이릴리, 노바티스와 각각 수십억 달러 규모의 신약 공동개발 계약을 맺고 여러 질환 표적에 대한 분자 설계를 함께 진행하고 있습니다. 사노피는 연구개발 의사결정 과정 전반에 인공지능을 결합하겠다는 목표를 내걸고 조직 구조 자체를 다시

졌습니다.

같은 시기 노보노디스크와 아스트라제네카를 비롯한 다른 대형 제약회사들도 자체 인공지능 조직을 신설하거나 전문 기업과 손잡으며 비슷한 재편에 나섰습니다. 인공지능 신약개발 전문기업이 독자적으로 신약을 설계하는 방식과 별개로, 기존 대형 제약회사들이 자체 연구개발 조직 안에 같은 도구를 이식하는 흐름도 함께 커지고 있습니다.

자본시장의 반응도 뚜렷합니다. 인실리코 메디슨은 2025년 말 홍콩 증권거래소에 상장하며 22억 7700만 홍콩달러, 미화로 약 2억 9200만 달러를 조달해 그해 홍콩 바이오 기업들 가운데 최대 규모의 기업공개를 기록했습니다. 공모 청약 경쟁률은 1427대 1을 넘겼고, 일라이릴리와 텐센트, 테마섹을 포함한 15개 기관이 초석 투자자로 이름을 올렸습니다. 한국 안에서도 비슷한 움직임이 빨라지고 있습니다. 인공지능 기반 신약개발 기업 갤럭시는 2026년 2월 유안타인베스트먼트, 한국산업은행, 한국투자증권, 미래에셋증권 등이 참여한 420억 원 규모의 시리즈B 투자를 유치했습니다.

브리즈바이오와 퍼스트바이오테라퓨틱스, 엘리시젠 같은 기업들도 300억 원이 넘는 투자를 잇달아 유치하며 기업공개를 위한 기반을 다지고 있습니다. 온코빅스는 자체 생성형 인공지능 플랫폼으로 저분자 표적 치료제를 설계하고 있고, 아룬티어는 셀트리온과 손잡고 새로운 단백질 구조 기반 후보물질을 발굴하고 있습니다. 이들 기업 대부분은 아직 임상 초기 단계에 머물러 있지만, 투자 규모와 참여 기관의 면면을 보면 이 분야를 향한 국내 자본의 시선이 이전과는 달라졌다는 신호로 읽힙니다.

업계는 2026년과 2027년을 진짜 시험대로 봅니다. 지금까지는 속도와 초반 통과율을 확인하는 시간이었다면, 앞으로 다가올 몇 년은 앞장선 파이프라인들이 임상 3상이라는 마지막 관문 앞에서 성적표를 받아 드는 시간입니다. 이 성적표에 따라 앞으로 10년간 제약회사들이 연구개발비를 어디에 배정할지가 크게 달라질 것으로 보입니다. 이는 한국의 신생 기업들에게도 마찬가지로 다가오는 시험대입니다.

렌토서티브가 다음 단계인 임상 3상에서도 같은 효과를 재현할 수 있을지, 그리고 그 결과가 규제 당국의 최종 승인으로 이어질지가 인공지능 신약개발 전체의 신뢰를 가늠하는 잣대가 될 것으로 보입니다. 죽음의 계곡은 사라지지 않았지만, 그 위를 지나는 다리는 이제 막 첫 차량 통행을 마쳤습니다.

한국 정부도 이 흐름에 맞추어 지원 체계를 갖추어 가고 있습니다. 보건복지부와 과학기술 정보통신부는 한국제약바이오협회를 사업 주관 기관으로 삼아 2024년 4월부터 2028년 12월까지 348억 원을 들여 K-멜로디 사업을 진행하고 있습니다. 유럽의 멜로디 프로젝트를 본뜬 이 사업은 기업마다 따로 쌓아 둔 신약 후보물질 데이터를 한곳에 모으지 않은 채, 데이터는 각 기관에 그대로 두고 인공지능 모델만 옮겨 다니며 학습시키는 연합학습 방식을 씁니다.

제약회사 입장에서는 실패한 실험 기록이 경쟁사에 새어 나가길 꺼리는 민감한 정보인데, 데이터를 밖으로 내보내지 않고도 함께 배우는 길을 이 방식이 열어 준 셈입니다. 사업단을 이끄는 김화중 단장은 한 인터뷰에서 성공한 사례보다 실패한 사례가 더 많이 쌓여야 인공지능이 다음 실패를 미리 걸러낼 수 있다고 말했습니다. 실패도 데이터라는 뜻입니다.

식품의약품안전처도 2024년 6월 의약품 개발 시 인공지능 활용 안내서를 내놓아, 신약 심사 과정에서 인공지능이 만든 자료를 어떻게 다루어야 하는지 방향을 제시했습니다. 대웅제약은 보건복지부의 K-AI 신약개발 전임상·임상 모델개발 사업에 공동연구기관으로 들어가, 항암제와 대사성질환 치료제를 연구하며 쌓아 온 비임상 데이터를 4년에 걸쳐 인공지능 모델 학습에 내놓기로 했습니다.

이 회사는 화합물 분자모델 8억 종을 담은 자체 데이터베이스를 바탕으로 신약 후보물질을 찾는 플랫폼 데이지도 따로 만들어 가동하고 있습니다. 신생 벤처기업만이 아니라 오랜 역사를 지닌 제약회사도 같은 도구를 손에 쥐기 시작한 것입니다.

그런데도 인공지능이 설계한 신약 가운데 규제 승인까지 이른 사례가 왜 아직 없는지 물을 만합니다. 제일 앞서 임상에 들어간 DSP-1181조차 2020년에야 사람에게 처음 투여되었고, 렌토서티브도 2022년에야 첫 임상시험을 시작했습니다. 임상 1상부터 3상, 규제 심사까지 거치는 데 걸리는 기간을 그대로 대입하면, 지금 앞서 있는 후보물질이라 해도 이르면 2027년, 늦으면 2028년은 되어야 결과가 나올 셈입니다.

인공지능이 설계한 신약이 유난히 많이 떨어져서가 아니라, 승인까지 이어질 만큼 시간이 아직 충분히 흐르지 않았을 가능성이 큼니다. 계산기를 아무리 빨리 돌려도 환자의 몸이 약에 반응하는 데 걸리는 몇 해의 시간까지 앞당길 수는 없습니다. 앞으로 몇 년 사이에 나올 임상 3상 결과가 이 판단이 맞는지를 실제로 확인해 줄 것으로 보입니다.

R&D 패러다임 전환: 죽음의 계곡(Valley of Death) 극복

1.1 R&D 패러다임 전환: 죽음의 계곡(Valley of Death) 극복

생성형 AI와 파운데이션 모델은 신약개발 파이프라인의 비용을 절감하고 개발 기간을 획기적으로 단축합니다.

- 기존의 경험적(Empirical) 탐색과 Eroom's Law(비용 증가 법칙)에서 벗어나, 대형 언어 모델(LLMs)을 활용한 데이터 주도(Data-driven) 예측 모델로 진화하고 있습니다.
- 초기 연구 단계의 높은 실패율을 방지하여 투자 대비 수익률(ROI)을 극대화합니다.

전통적 파이프라인	AI 주도 파이프라인
10~15년 소요	기간 절반 이상 단축
비용 \$2B+	탐색 비용 획기적 절감
선형적, 높은 실패율	병렬적, 생성형 AI 최적화

1.2

생명과학을 위한 인공지능: 파운데이션 모델(Foundation Models)

2025년 2월, 미국 캘리포니아의 비영리 연구소 아크 인스티튜트(Arc Institute) 컴퓨터 앞에서 연구진은 사람과 벼, 대장균과 고세균을 가리지 않는 방대한 유전자 서열이 하루도 쉬지 않고 모델 안으로 흘러 들어가는 장면을 지켜보고 있었습니다. 화면에 스치는 것은 익숙한 유전자 이름이 아니라 아데닌, 구아닌, 사이토신, 티민이라는 네 글자로만 이루어진 서열이었지만, 그 안에는 사람의 심장병부터 미생물의 항생제 내성까지 온갖 생명 현상의 규칙이 뒤섞여 있었습니다.

이들이 만들던 프로그램은 특정 질병 하나, 특정 생물 하나를 겨냥한 계산기가 아니었습니다. 불과 몇 해 전까지 생물학 연구실에서 쓰이던 인공지능은 유전자 하나, 표적 단백질 하나에 매달리는 좁은 도구에 머물러 있었기에, 종을 가리지 않고 하나의 모델로 답을 내놓겠다는 이 시도 자체가 파격이었습니다. 사람의 유전병이든 식물의 가뭄 저항성이든 산업용 미생물의 효소 설계든, 묻는 질문이 달라져도 같은 모델 하나가 답을 내놓게 만드는 것이 목표였습니다.

약을 만드는 사람들에게 유전체란 그동안 참고 자료 정도로만 쓰였을 뿐, 다음 문장을 예측하듯 통째로 계산해 다룰 수 있는 대상이라고는 누구도 선뜻 생각하지 못했습니다. 몇 주 뒤 세상에 공개된 이 모델의 이름은 Evo 2였고, 그 등장은 제약과 생명과학 분야에서 인공지능이 걸어온 길의 방향을 뚜렷하게 바꾸어 놓았습니다.

김치찌개 하나만 잘 끓이는 요리사와 칼질, 불 조절, 간 맞추기라는 기본기를 두루 익힌 요리사는 새로운 주문 앞에서 결과가 갑니다. 앞사람은 김치찌개는 기가 막히게 끓이지만 파스타를 주문받으면 손을 놓아 버립니다. 기본기를 익힌 뒷사람은 냉장고 속 재료만 보고도 국이든 볶음이든 곧바로 새로운 요리를 만들어 냅니다. 처음 보는 재료가 들어와도 뒷사람은 당황하지 않고 기본기를 응용해 그럴듯한 맛을 냅니다. 파운데이션 모델이라는 말이 가리키는 인공지능은 뒷사람 쪽에 가깝습니다. 예전의 인공지능 프로그램은 앞사람과 닮아서, 특정 단백질과 특정 화합물의 결합력을 점수로 매기도록 훈련받으면 오직 그 계산 하나만 해냈습니다.

같은 프로그램에게 이 화합물이 간에 독성을 일으킬지 물으면 답을 내놓지 못했고, 처음부터 다른 프로그램을 새로 학습시켜야 했습니다. 파운데이션 모델은 방대한 데이터에서 생명현상의 기본 문법을 먼저 익힌 뒤, 표적(약물이 달라붙어야 할 몸속 단백질) 예측이든 신약 후보물질 설계든 임상시험 결과 추정이든 새로 던져진 질문에 맞추어 실력을 그때그때 꺼내 씁니다. 이런 차이 때문에 제약회사들은 이제 부서마다, 과제마다 새 프로그램을 따로 짜기보다 기본기를 갖춘 파운데이션 모델 하나를 여러 부서가 나누어 쓰는 방향으로 연구 조직 자체를 바꾸어 가고 있습니다.

신약개발 현장에서 이 원리가 힘을 받으려면 넘어야 할 벽이 하나 있었습니다. 병원의 전자 건강기록과 유전체 데이터베이스, 제약회사의 화합물 라이브러리, 학술지에 흩어진 논문은 오랫동안 서로 다른 서버, 서로 다른 형식, 서로 다른 소유권 아래 갇혀 있었습니다. 어느 대학병원이 모은 폐암 환자 유전체 자료는 그 병원 안에서만 돌았고, 어느 제약회사가 실험으로 확인한 화합물의 독성 데이터는 그 회사 밖으로 나가지 않았습니다.

규제 기관이 신약 승인 심사 과정에서 쌓은 부작용 보고서 역시 공개된 몇몇 데이터베이스를 빼면 대부분 기관 내부 서류함에 머물러 있었습니다. 데이터가 이렇게 나뉘어 있으면 아무리 뛰어난 알고리즘도 자기 앞에 놓인 좁은 창고 안의 정보만으로 학습할 수밖에 없습니다. 2023년 무렵부터 제약업계와 학계, 빅테크 기업이 동시에 뛰어든 작업은 이렇게 나뉘어 있던 저장소를 하나로 모으는 일이었습니다. 질병 정보와 환자 유전체, 임상 데이터를 한 모델 안에 함께 넣어 학습시키면 모델은 폐암 환자의 유전자 변이 하나를 보고도 그와 비슷한 패턴을 보였던 다른 암종, 다른 약물, 다른 임상시험 결과를 한꺼번에 떠올리는 범용 생물학 추론 능력을 갖추게 됩니다.

이 범용 추론 능력이야말로 한 가지 질병, 한 가지 표적만 계산하던 이전 세대 프로그램과 파운데이션 모델을 가르는 결정적인 차이입니다.

생명현상을 들여다보는 데이터에도 여러 층위가 있습니다. 유전체는 몸을 설계하는 전체 도면과 같아서 태어날 때부터 거의 바뀌지 않고, 전사체는 그 도면 가운데 지금 이 순간 어느 유전자가 실제로 펼쳐져 쓰이고 있는지를 보여줍니다. 단백질체는 그렇게 펼쳐진 설계도를 따라 실제로 만들어진 부품, 곧 단백질 목록을 보여주고, 대사체는 그 부품들이 돌아가면서 만들어 낸 최종 산물을 보여줍니다. 같은 건물이라도 설계도만 보아서는 지금 몇 층에 불이 켜져 있는지 알 수 없듯이, 유전체 정보만으로는 특정 세포나 특정 환자 안에서 지금 무슨 일이 벌어지고 있는지 다 알 수 없습니다.

파운데이션 모델이 유전체와 전사체, 단백체, 대사체를 함께 학습하는 이유는 설계도와 조 명 상태, 부품 목록, 배출물까지 한꺼번에 보아야 건물 전체의 상태를 제대로 진단할 수 있기 때문입니다. 여기에 환자의 진료 기록과 영상 자료까지 더해지면 모델은 분자 수준의 변화가 실제 증상과 어떻게 이어지는지도 함께 추론할 수 있게 됩니다.

이 통합에 결정타를 날린 통찰은 단백질 서열과 분자 구조를 사람의 문장과 똑같은 방식으로 읽을 수 있다는 발견이었습니다. 단백질은 스무 가지 아미노산이 사슬처럼 이어진 구조인데, 이는 스물여섯 개 알파벳이 들어서서 단어와 문장을 이루는 방식과 뼈대가 다르지 않습니다. 화학자들이 오랫동안 그림으로만 그리던 분자 구조 역시 원자와 결합을 하나의 기호 서열로 바꾸어 적을 수 있습니다. 본래 사람의 문장을 번역하고 다음 단어를 예측하려고 고안된 트랜스포머라는 신경망 구조는, 문장이 아니라 아미노산 서열이나 분자 기호 서열을 집어넣어도 똑같이 작동했습니다. 다음에 올 아미노산이나 원자를 맞히는 훈련을 반복하는 사이 모델은 저절로 생명 현상의 문법을 익히기 시작했고, 연구자들이 따로 규칙을 가르쳐 주지 않아도 접히는 방식이나 반응성 같은 화학적 성질을 스스로 알아챘습니다.

이 문법을 익힌 모델은 기존에 없던 단백질 서열을 새로 지어내거나, 표적 단백질의 움푹 팬 결합 부위에 딱 맞는 분자를 처음부터 설계해 낼 수 있었습니다. 텍스트를 다루던 생성형 인공지능의 힘이 생물학과 화학의 언어 위에 그대로 옮겨붙으면서, 신약개발은 이미 존재하는 후보 가운데서 고르는 일에서 세상에 없던 후보를 짓는 일로 넘어가게 되었습니다.

파운데이션 모델이 만들어지는 순서에도 나름의 논리가 있습니다. 먼저 방대한 데이터를 놓고 특정 목적 없이 생명 현상의 규칙 자체를 익히는 사전학습 단계를 거칩니다. 이 단계에서 모델은 초등학교와 중학교에서 국어와 수학, 과학의 기초를 두루 배우는 학생과 같아서, 아직 특정 진로를 정하지 않았지만 어떤 문제가 와도 일단 손을 댈 수 있는 바탕을 쌓습니다. 이렇게 기초를 다진 모델을 특정 과제에 맞추어 다시 훈련시키는 미세조정 단계를 거치면, 비로소 신약 후보물질 설계나 임상시험 결과 예측처럼 구체적인 임무에 특화된 실력이 붙습니다.

TxGemma는 이런 순서를 그대로 밟은 사례로, 구글의 범용 언어 모델 Gemma 2가 사전 학습으로 다져 놓은 기초 위에 치료제 관련 데이터로 미세조정을 더해 만들어졌습니다. 기초를 넓고 단단하게 다질수록 그 위에 올리는 미세조정의 효과도 커진다는 점은, 데이터 통합이 왜 파운데이션 모델의 성패를 가르는 관건인지를 다시 한번 보여줍니다.

이렇게 쌓인 파운데이션 모델의 구조는 3층짜리 건물과 닮았습니다. 맨 아래층에는 화합물 라이브러리와 유전체, 전사체(세포 안에서 유전자가 실제로 얼마나 읽히고 있는지 보여주는 데이터), 그리고 수백만 건의 임상 문헌이 기초 자재처럼 쌓여 있습니다. 이 자재를 다듬어 뼈대를 세우는 가운데층에는 문장을 이해하는 대형 언어 모델과 단백질 서열, 분자 구조를 전문으로 읽는 파운데이션 모델이 놓여 있습니다. 가운데층에서 다듬어진 뼈대는 맨 위층으로 올라가 신약 후보물질 생성, 표적 우선순위 매기기, 임상시험 설계 최적화라는 실제 성과로 완성됩니다.

예를 들어 아래층에 쌓인 폐암 환자의 유전체와 관련 논문을 가운데층 모델이 읽어 폐암에서 자주 튀는 단백질 하나를 가려내면, 위층에서는 그 단백질에 달라붙는 신약 후보물질 몇 가지를 곧바로 그려 냅니다. 아래층 자재가 부실하면 가운데층이 아무리 정교해도 지을 것이 없고, 가운데층이 무너지면 아래층에 아무리 좋은 자재가 쌓여 있어도 위층까지 힘이 전달되지 않습니다. 세 층이 동시에 튼튼해야 비로소 신약개발 현장에서 쓸모 있는 결과물이 나온다는 사실을 2025년과 2026년 사이 쏟아진 파운데이션 모델들이 하나씩 증명해 보이고 있습니다.

가운데층과 위층을 잇는 힘을 뚜렷하게 보여준 사례는 구글이 내놓은 치료제 특화 대형 언어 모델 TxLLM입니다. TxLLM은 분자 구조, 표적 단백질, 세포주, 임상시험 텍스트라는 서로 다른 형식의 데이터를 하나의 모델 안에 함께 밀어 넣고 학습시킨 결과물입니다. 분자는 원자 기호로, 단백질은 아미노산 서열로, 임상시험 기록은 사람이 쓰는 문장으로 저마다 표현 방식이 다른데도 TxLLM은 이 모두를 하나의 공통된 표현 공간 안에 녹여 넣어 서로 비교하고 연결할 수 있게 만들었습니다. 연구진은 표적 발굴부터 임상시험 결과 예측까지 신약 개발 전 과정에 걸친 66개의 평가 작업을 놓고 TxLLM의 실력을 시험했습니다.

평가 항목에는 특정 화합물이 임상시험 3상까지 살아남을 확률을 가늠하는 문제부터 두 가지 약물을 함께 투여했을 때 나타날 수 있는 상호작용을 찾아내는 문제까지 섞여 있었습니다. TxLLM은 이 가운데 22개 작업에서 그 시점까지 나온 어떤 전문 모델보다 나은 성적을 기록했습니다. 하나의 모델이 분자 설계와 임상 예측이라는 서로 멀리 떨어진 두 가지 일을 동시에 잘해낸다는 사실은 파운데이션 모델이 논문 밖으로 걸어 나와 실제 개발 현장에서 쓰일 수 있다는 증거로 받아들여졌습니다.

신약개발팀이 실제로 마주하는 어려움은 표적 후보가 모자란 것이 아니라 지나치게 많다는 데 있습니다. 사람 유전체에는 단백질을 만들어 내는 유전자만 2만 개가 넘고, 그 가운데 신

약 표적이 될 만한 후보는 논문과 특허, 임상 기록을 뒤지면 수천 개 단위로 쏟아져 나옵니다. 연구비와 인력은 한정되어 있으므로 제약회사는 이 가운데 몇십 개, 많아야 몇백 개를 골라 먼저 파고들 수밖에 없습니다. 예전에는 이 선별 작업을 경험 많은 과학자 몇 사람의 직관과 논문 검색에 의존해 진행했고, 그 결과 이미 유행하는 표적에만 연구가 몰리는 쓸림 현상이 되풀이되었습니다.

TxLLM이나 TxGemma 같은 모델은 표적과 질병, 기존 약물의 성패 기록을 한꺼번에 훑어 특정 표적이 임상까지 성공할 확률을 점수로 매겨 주므로, 사람이 놓치기 쉬운 후보도 근거와 함께 앞으로 끌어올 수 있습니다. 표적 우선순위를 정하는 작업이 몇 주에서 몇 달씩 걸리던 과거와 달리, 파운데이션 모델을 쓰는 지금은 며칠 안에 순위표 초안이 나옵니다.

TxLLM이 쏘아 올린 가능성은 2025년 3월 구글이 TxGemma를 공개하면서 한 걸음 더 나아갔습니다. TxGemma는 구글의 경량 언어 모델 Gemma 2를 뼈대 삼아 700만 건이 넘는 치료제 관련 학습 사례로 다시 훈련한 모델로, 20억, 90억, 270억 개 매개변수 규모의 세 가지 크기로 나뉘어 나왔습니다. 매개변수는 모델이 학습 과정에서 스스로 값을 조정해 가는 내부 손잡이 같은 것으로, 그 수가 많을수록 대체로 정교한 판단이 가능해집니다. 예측 전용 모델과 별도로 대화형으로 작동하는 TxGemma-Chat 버전도 함께 나와서, 연구자가 채팅하듯 질문을 던지면 모델이 근거를 제시하며 답하는 방식도 가능해졌습니다.

몸집이 제일 큰 270억 매개변수 버전은 앞선 TxLLM과 같은 66개 작업 가운데 64개에서 대등하거나 나은 성적을 냈고, 그 가운데 45개에서는 기존 기록을 갈아치웠습니다.

TxGemma가 TxLLM과 다른 결정적인 차이는 공개성입니다. TxLLM이 구글 내부 연구 결과로 남았던 것과 달리 TxGemma는 모델 가중치를 허깅페이스와 구글 클라우드의 버텍스 AI를 통해 통째로 공개하여, 대학 연구실이나 자금이 넉넉하지 않은 바이오벤처도 같은 수준의 파운데이션 모델을 가져다 쓸 수 있는 길을 열었습니다.

유전체 전체를 하나의 언어로 읽어 내는 시도는 Evo 2에서 정점을 찍었습니다. 아크 인스티튜트가 엔비디아, 스탠퍼드대학교, 캘리포니아대학교 샌프란시스코 캠퍼스, 캘리포니아대학교 버클리 캠퍼스와 함께 만든 이 모델은 400억 개의 매개변수를 지녔고, 한 번에 최대 100만 염기(유전자를 이루는 화학 글자 단위) 길이의 서열을 읽어 낼 수 있습니다. 학습에 쓰인 데이터는 사람과 식물, 세균과 고세균을 가리지 않는 10만 종이 넘는 생물에서 얻은 9조 개가 넘는 염기였습니다. Evo 2는 2025년 2월 사전 논문 형태로 먼저 공개되었고, 이후 검증을 거쳐 국제 학술지 네이처에 정식으로 게재되었습니다.

이 모델은 사람에게 병을 일으키는 유전자 변이를 미리 알아보는 일에서부터 새로운 미생물 효소를 설계하는 일, 심지어 존재하지 않던 유전체 서열을 처음부터 새로 지어내는 일까지 해낼 수 있음을 보여주었습니다. 아크 인스티튜트는 이 모델이 사람 유전병 연구뿐 아니라 농업 육종과 산업용 미생물 개발, 신소재 탐색에서도 쓰일 수 있다고 설명했습니다. 하나의 모델이 진단과 설계라는 서로 다른 임무를 동시에 처리한다는 점에서 Evo 2는 유전체 데이터 통합이 신약개발에 어떤 힘을 실어 줄 수 있는지 보여주는 상징적인 사례로 꼽힙니다.

구글 딥마인드도 2025년 6월 25일 AlphaGenome이라는 이름으로 비슷한 방향의 모델을 내놓았습니다. AlphaGenome은 100만 염기 길이의 DNA 서열을 입력받아 유전자 발현, 염색질 접근성(DNA가 얼마나 쉽게 열려 읽힐 수 있는지를 나타내는 값), 히스톤 변형, 이어 붙이기 위치 등 수천 가지 조절 신호를 한 번에 예측합니다. 사람 유전체 가운데 단백질을 직접 만들지 않는 부위, 이른바 비암호화 영역에서 일어나는 돌연변이가 실제로 병을 일으키는 지 가능하는 일은 오랫동안 유전학자들을 괴롭혀 온 난제였는데, AlphaGenome은 24개 평가 항목 가운데 22개, 26개 변이 예측 항목 가운데 24개에서 기존 모델들을 웃도는 성적을 냈습니다.

다만 이 모델은 개인별 유전체를 통째로 넣어 병을 진단하도록 설계되지는 않았고, 조절 서열이 10만 염기보다 멀리 떨어진 유전자에 미치는 영향을 읽어 내는 데서는 아직 정확도가 떨어진다는 한계도 함께 밝혀졌습니다. 구글 딥마인드는 2026년 1월 이 모델의 소스코드와 가중치를 비영리 연구 목적에 한해 무료로 열었고, 그 결과 전 세계 유전학 실험실이 같은 도구로 서로 다른 질병의 조절 변이를 비교할 수 있는 공통 기반이 마련되었습니다.

병원마다 흩어져 있던 환자 유전체 판독 결과가 이런 공통 모델 위에서 다시 만나면서, 희귀 질환 진단처럼 단일 병원의 데이터만으로는 답이 나오지 않던 문제에도 실마리가 붙기 시작했습니다.

단백질 쪽에서는 미국의 스타트업 이볼루셔너리스케일(EvolutionaryScale)이 개발한 ESM3가 비슷한 도약을 이루었습니다. 그동안 널리 쓰인 알파폴드 계열 모델이 주어진 아미노산 서열을 보고 3차원 구조를 알아맞히는 예측에 무게를 두었다면, ESM3는 구조나 기능 쪽에서 조건을 거꾸로 주어도 거기에 맞는 새 서열을 지어낼 수 있다는 점에서 예측을 넘어 설계로 한 걸음 더 나아간 모델입니다. ESM3는 아미노산 서열과 3차원 구조, 그리고 그 단백질이 실제로 어떤 기능을 하는지를 함께 학습하여, 셋 중 어느 하나만 조건으로 주어져도 나머지 둘을 스스로 채워 완성하는 능력을 갖추었습니다.

이 모델의 실력은 2025년 1월 국제 학술지 사이언스에 정식 논문으로 게재되면서 검증받았습니다. 연구진은 ESM3에게 형광을 내는 단백질이 갖추어야 할 조건만 알려 주고 나머지 서열을 새로 짓게 했는데, 이렇게 만들어진 단백질은 자연에 있는 어떤 형광 단백질과도 서열이 뚜렷하게 다르면서도 밝게 빛을 냈습니다. 연구진은 이 결과를 두고 자연이 5억 년에 걸친 진화로 이르렀을 법한 경지에 모델이 계산만으로 도달했다고 평가했습니다. ESM3의 가중치와 코드는 학술 연구 목적에 한해 깃허브를 통해 공개되어 있고, 일반 이용자를 위한 응용프로그램 인터페이스에도 무료로 쓸 수 있는 단계가 마련되어 있어서 논문만 읽고 있던 대학원생도 직접 새로운 단백질을 설계해 볼 수 있는 환경이 갖추어졌습니다.

다만 상업적으로 대규모로 쓰려면 별도 계약이 필요해서, 접근 문턱을 어디까지 낮출 것인가는 여전히 논의 중인 문제로 남아 있습니다.

세포 하나하나의 반응까지 통째로 흉내 내려는 시도는 2025년 여름 아크 인스티튜트가 연 버추얼 셀 챌린지(Virtual Cell Challenge)에서 뚜렷한 이정표를 남겼습니다. 세포에 유전자 변형이나 약물 자극을 가했을 때 나타나는 반응을 제일 정확히 예측하는 모델을 가리는 이 대회에는 114개국에서 5000명이 넘는 연구자가 등록했고 1200개가 넘는 팀이 결과를 제출했습니다. 우승 상금 10만 달러가 걸린 이 대회는 아크 인스티튜트가 함께 공개한 버추얼 셀 아틀라스(Virtual Cell Atlas)라는 데이터 저장소를 기반으로 진행되었는데, 이 저장소에는 여러 실험실에서 나온 6억 개가 넘는 세포의 관찰 및 자극 반응 데이터가 정리되어 있습니다.

이 데이터에는 바이오텍 기업 타호 테라퓨틱스가 제공한 대규모 약물 반응 데이터셋과, 아크 인스티튜트가 인공지능 에이전트를 시켜 공개된 논문들을 뒤져 자동으로 그려모은 단일 세포 데이터까지 함께 들어 있습니다. 대회 이후 아크 인스티튜트가 내놓은 STATE라는 모델은 특정 세포주에 특정 자극을 주었을 때 유전자 발현이 어떻게 바뀌는지를 실험 없이 미리 계산해 냅니다. 질병 하나, 환자 한 명의 데이터에 머무르지 않고 여러 실험실, 여러 세포주, 여러 자극 조건의 데이터를 한곳에 모았을 때 비로소 세포 수준의 범용 예측력이 생겨난다는 사실을 이 대회는 성적표로 확인해 주었습니다.

아크 인스티튜트는 이 대회를 2026년에도 다시 열겠다고 예고했습니다. 흩어져 있던 세포 실험 데이터가 한곳에 모아져 개별 실험실 하나로는 답할 수 없었던 질문에 실마리가 붙기 시작한 셈입니다.

이런 흐름은 2026년 들어 개별 모델의 경쟁을 넘어 산업 전체의 기반 시설을 다시 짜는 수준으로 몸집을 불렸습니다. 오픈AI는 2026년 4월 16일 생명과학 연구 전용 모델 GPT-Rosalind를 내놓았습니다. DNA 이중나선 구조를 밝히는 데 결정적인 실마리를 남긴 과학자 로절린드 프랭클린의 이름을 딴 이 모델은 그해 6월 성능을 다시 손보아, 이전 버전 대비 토큰(문장을 처리하는 최소 단위) 소모량을 31퍼센트 줄이면서도 의약화학 and 유전체 분석 실력을 끌어올렸습니다. 다만 이 모델은 누구나 곧바로 쓸 수 있는 형태로 풀리지 않았고, 암젠과 모더나, 서모피서사이언티픽, 앨런연구소처럼 검증을 거친 기관에만 먼저 접근 권한이 주어졌습니다.

이 명단에 이름을 올린 암젠과 모더나는 이미 자체적으로 방대한 임상 데이터를 축적해 온 대형 제약회사라는 점에서, 오픈AI의 모델이 기존 데이터를 밀어내지 않고 그 위에 얹히는 방식으로 뿌리내릴 가능성을 보여줍니다. 오픈AI는 이와 함께 생명과학 기술이 잘못된 목적으로 쓰이는 상황을 막기 위한 로절린드 바이오디펜스(Rosalind Biodefense)라는 별도 사업도 함께 시작했습니다. 생명과학 전용 모델에까지 회사 이름을 걸고 뛰어들었다는 사실 자체가, 이런 파운데이션 모델이 더는 학계와 소수 바이오테크만의 영역이 아니라는 점을 보여줍니다.

아마존웹서비스(AWS)도 같은 해 4월 15일 생명과학 심포지엄에서 아마존 바이오 디스커버리(Amazon Bio Discovery)를 선보였습니다. 이 서비스는 40여 종의 생물학 파운데이션 모델을 한 화면에 모아 놓고 연구자가 자연어로 요청을 던지면 알맞은 모델을 골라 실험 설계까지 짜 주는 인공지능 비서 형태를 갖추었습니다. 합성과 검증을 맡는 협력 실험실 목록에는 트위스트 바이오사이언스와 징코 바이오웍스가 이미 이름을 올렸고, 에이알파바이오도 곧 합류할 예정이라고 아마존웹서비스는 밝혔습니다. 이 서비스는 연구자가 자연어로 실험 절차를 적어 넣으면 이를 여러 모델과 분석 단계로 이루어진 하나의 작업 순서로 바꾸어 주는 기능도 갖추고 있어서, 코드를 짤 줄 모르는 생물학자도 복잡한 파이프라인을 손수 짤 수 있습니다.

메모리얼슬론케터링 암센터는 이 서비스로 항체 후보 분자 30만 종을 설계한 뒤 그 가운데 10만 종을 트위스트 바이오사이언스로 보내 실제 합성과 검증까지 마쳤는데, 몇 달씩 걸리던 일이 몇 주로 줄었습니다. 엔비디아는 이미 2025년 4월 작은 분자를 다루는 생성형 모델 MolMIM을 바이오네모에 추가한 적이 있었고, 2026년 1월에는 같은 플랫폼에 RNA 구조 예측 모델과 합성 가능성 검증 모델을 새로 얹었습니다. 그달 12일에는 일라이릴리와 신약

발굴의 난제를 함께 푸는 공동 혁신 연구소를 세우는 협력을, 서모피서사이언티픽과는 실험 장비에 인공지능을 접목하는 협력을 나란히 발표하며 파운데이션 모델을 컴퓨터 밖 실험실 현장까지 잇는 작업에 뛰어들었습니다.

예측과 검증을 곧바로 이어 주는 이런 순환 구조는 파운데이션 모델이 논문 속 성능 지표를 넘어 실제 신약 파이프라인 안에 뿌리내렸음을 보여줍니다.

이런 모델을 처음부터 훈련시키는 데는 그래픽처리장치 수천 대를 몇 주씩 돌리는 계산량이 들어가고, 그 전기 요금과 장비 비용만으로도 웬만한 바이오벤처의 한 해 예산을 훌쩍 넘습니다. 그 결과 새로운 모델을 밑바닥부터 세우는 일은 엔비디아, 구글, 아마존, 오픈AI처럼 자체 데이터센터를 갖춘 소수의 기업과 정부 지원을 받는 몇몇 연구소에 쏠리는 흐름이 뚜렷합니다.

규모가 작은 바이오텍이나 대학 연구실은 이런 기업들이 공개한 모델 가중치를 내려받아 자신들의 특수한 데이터로 미세조정하는 쪽을 택하는 경우가 늘고 있습니다. TxGemma나 ESM3, AlphaGenome이 가중치를 공개한 것도 이런 격차를 조금이나마 줄이려는 시도로 볼 수 있습니다.

지금까지 나온 파운데이션 모델은 저마다 잘하는 영역이 나뉘어 있습니다. Evo 2와 AlphaGenome은 유전체 서열을 잘 읽고, ESM3는 단백질 구조를 잘 다루고, TxGemma는 텍스트와 임상 데이터를 잘 엮습니다. 한 환자의 유전체와 세포 반응, 진료 기록, 영상 자료를 모두 읽어 내는 모델 하나로 통합하는 작업은 아직 진행형입니다. 아마존 바이오 디스커버리처럼 여러 모델을 한 화면에 모아 놓고 필요할 때마다 골라 쓰게 하는 방식은 완전한 통합에 이르는 중간 단계로 볼 수 있습니다.

서로 다른 회사, 서로 다른 연구소가 내놓은 모델을 하나로 잇는 표준이 아직 마련되지 않았다는 점은 이 분야가 안고 있는 눈에 띄는 과제입니다. 그럼에도 불과 이삼 년 사이 유전체 하나만 읽던 모델이 세포 반응과 임상 기록까지 아우르는 방향으로 빠르게 넓어져 온 흐름을 보면, 다음 통합 단계가 그리 멀지 않은 곳에 와 있다고 짐작할 수 있습니다.

파운데이션 모델의 값어치는 알고리즘 코드 그 자체보다 그 모델이 삼킨 데이터의 폭과 그 데이터를 실험으로 확인하는 속도에서 갈립니다. 같은 트랜스포머 구조를 가져다 써도 10만 종의 생물 유전체를 먹인 모델과 한 회사의 화합물 데이터만 먹인 모델은 전혀 다른 실력을 보여줍니다. 그래서 이제 질문은 어떤 알고리즘이 더 똑똑한가가 아니라 어떤 조직이 더

넓고 깊은 데이터 기반 위에 서 있는가로 옮겨 가고 있습니다.

데이터를 폭넓게 주고 그 데이터를 실험으로 되돌려 받는 순환 구조까지 갖춘 조직이 다음 단계 신약개발 경쟁에서 우위를 차지할 가능성이 커 보입니다. 표적 하나를 맞히는 계산기가 아니라 질병과 유전체와 임상 데이터를 넘나드는 추론 기반을 손에 쥔 조직은 신약 후보 물질 생성과 표적 우선순위 판단, 임상시험 설계라는 세 가지 실무를 한 손에 쥐게 됩니다. 2022년 인실리코 메디슨이 후보물질 하나를 30개월 만에 임상 1상까지 올렸던 일이 이례적인 성과로 받아들여졌다면, 이제는 그만한 속도를 여러 질병에서 동시에 재현하는 일이 파운데이션 모델을 갖춘 조직 앞에 다음 과제로 놓여 있습니다.

김치찌개 하나만 끓이던 요리사가 기본기를 두루 갖춘 요리사로 바뀌는 데 오랜 수련이 필요했듯이, 생명과학 파운데이션 모델이 병상 결의 실제 처방으로 이어지기까지도 데이터를 모으고 실험으로 검증하는 수련의 시간은 여전히 필요합니다.

과기정통부는 2025년 10월, 의과학 분야를 다루는 파운데이션 모델 개발의 주관기관으로 의료 인공지능 기업 루닛이 이끄는 컨소시엄을 뽑았습니다. 여기에는 카카오헬스케어와 SK바이오팜 같은 기업, KAIST와 서울대학교 연구팀, 병원 아홉 곳을 합쳐 스물세 개 기관이 참여하고, 분자와 단백질부터 임상 논문까지 여러 층의 의과학 데이터를 하나로 묶어 2026년 9월까지 모델을 완성할 계획입니다. 보건복지부 역시 한국제약바이오협회를 총괄 기관으로 세워 서른한 개 기관과 함께, 전임상 단계부터 임상 단계까지 잇는 K-AI 신약개발 모델을 만들고 있습니다.

서울대병원과 삼성서울병원, 한국생명공학연구원이 나누어 이끄는 이 작업은 병원마다 다른 곳에 흩어진 환자 데이터를 한 서버로 옮기지 않고, 각 병원 안에서 학습한 결과만 모아 하나의 모델로 합치는 연합학습 방식을 씁니다. 자료가 서로 다른 서버 안에 갇혀 있던 오래된 문제를, 자료를 옮기지 않고도 지식만 모으는 방법으로 풀어 보려는 한국식 실험인 셈입니다.

파운데이션 모델이 내놓은 예측이 실험대 위에서 곧바로 뒤집힌 사례도 나왔습니다. 스위스 바젤대학교 약학부의 마르쿠스 릴 교수 연구팀은 알파폴드3를 비롯한 여러 구조 예측 모델에 짓궂은 시험을 걸었습니다. 약물이 달라붙는 결합 부위의 아미노산을 통째로 바꾸거나 화합물의 전하를 뒤집어서, 실제로는 약물이 단백질에 붙을 수 없게 만든 뒤 같은 문제를 다시 풀게 한 것입니다.

2025년 10월 국제 학술지 네이처 커뮤니케이션스에 실린 결과를 보면, 285개 복합체 가운데 40퍼센트가 넘는 경우에서 모델은 결합 부위가 바뀌지 않은 것처럼 이전과 똑같은 답을 내놓았습니다. 연구팀은 이 결과를 두고 모델이 왜 약물이 단백질에 붙는지 이해한 것이 아니라, 학습 데이터에서 본 그림을 그대로 되풀이했을 뿐이라고 설명했습니다.

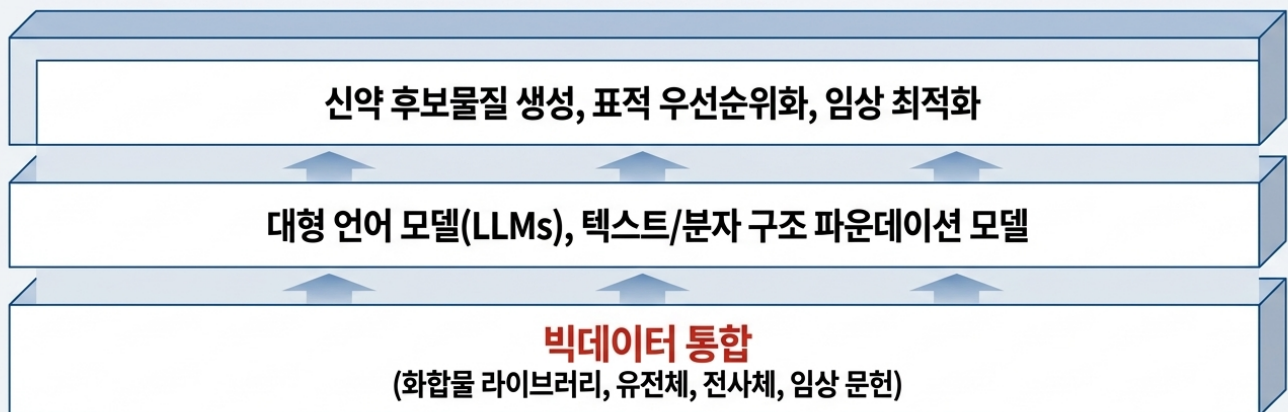
학습 데이터와 계산 자원이 소수 기업에 쏠리는 흐름은 가중치 공개만으로는 다 풀리지 않는 문제로 보입니다. 가중치를 내려받아 미세조정하는 쪽과 애초에 방대한 양의 염기 서열과 임상 기록을 모아 처음부터 모델을 훈련시키는 쪽은 출발선 자체가 다르기 때문입니다. 모델을 훈련시킬 때 쓴 원본 데이터의 구성과 출처까지 함께 공개하는 기업은 드물어서, 바깥의 연구자가 그 모델이 실제로 무엇을 배웠는지 검증하기도 쉽지 않습니다. 정부가 예산을 모아 병원과 대학의 데이터를 묶어 주는 한국의 연합학습 방식처럼 공공 부문이 나서지 않으면, 이 쏠림은 앞으로 더 벌어질 것으로 보입니다.

생명과학을 위한 인공지능: 파운데이션 모델(Foundation Models)

1.2 생명과학을 위한 인공지능: 파운데이션 모델(Foundation Models)

방대한 생물학적, 화학적 빅데이터를 융합하여 단일 문제 해결을 넘어선 범용적 분석 인프라를 구축합니다.

- 단절된(Siloed) 데이터 저장소를 통합하여 질병부터 환자 유전체, 임상 데이터까지 아우르는 범용적 생물학적 추론 모델을 학습합니다.
- 단백질 서열과 분자 구조를 텍스트처럼 '언어'로 해석하여 생성형 AI(Generative AI)의 잠재력을 해방합니다.



1.3

다중 오믹스 통합과 신규 바이오마커 발견

일본 여러 병원에서 진행된 임상 2상 트라이엄프(TRIUMPH) 시험은 사람 표피성장인자 수용체 2형, 곧 HER2 유전자가 크게 늘어난 전이성 대장암 환자들을 대상으로 했습니다. 이 환자들은 고자일라(GOZILA)라는 순환종양DNA 선별검사 연구를 거쳐 먼저 걸러졌는데, 조직을 다시 떼어 내는 대신 혈액 한 병으로 표적 유전자의 증폭 여부를 찾아내는 액체생검 방식이었습니다. 종양 조직을 다시 떼어 내기 어려운 환자에게도 표적 치료의 문을 열어 준 셈입니다.

연구진은 사전 선별 검사를 받은 환자 143명과 실제 시험에 참여한 30명의 조직 슬라이드를 인공지능 병리 판독 프로그램에 입력했습니다. 이 프로그램은 한국 기업 루닛이 만든 스코프(SCOPE) 허투와 스코프 아이오라는 소프트웨어로, 슬라이드 사진 한 장 안에서 암세포가 HER2 염색약에 얼마나 짙게 물들었는지와 종양 둘레에 면역세포며 섬유세포가 얼마나 뻗뻗하게 몰려 있는지를 한꺼번에 헤아렸습니다. 병리의사의 판정과 견주었을 때 이 프로그램의 정확도는 86.7퍼센트였고, 염색 강도가 제일 진한 3단계 환자를 골라내는 일에서는 100퍼센트 들어맞았습니다.

암세포 절반 넘게가 그 3단계로 물든 환자군은 그렇지 못한 환자군보다 무진행 생존 기간이 4.4개월 대 1.4개월로 길었고 전체 생존 기간은 16.5개월 대 4.1개월로 벌어졌습니다. 이 탐색적 분석 결과는 2025년 국제학술지 임상종양학 정밀의학(JCO Precision Oncology)에 실렸습니다.

이 결과를 제대로 읽으려면 표적과 바이오마커라는 두 낱말부터 풀어야 합니다. 표적은 병을 일으키는 원인이 되는 단백질이나 유전자를 가리킵니다. 자물쇠라고 생각하면 됩니다. 약은 그 자물쇠에 꼭 맞도록 깎아 만든 열쇠이며, 열쇠가 자물쇠 구멍에 들어가 돌아가야 병을 일으키던 문이 닫힙니다. 바이오마커는 이와 달리 몸속에서 지금 무슨 일이 벌어지고 있는지 알려 주는 신호입니다.

건널목 신호등이나 자동차 계기판 경고등처럼, 피 한 방울이나 조직 시료 하나에 담긴 특정 물질의 양을 재면 이 몸이 어떤 상태이고 어떤 약이 들을지, 병이 앞으로 어떻게 흘러갈지를

미리 짐작할 수 있습니다. 트라이엄프 시험에서 인공지능이 읽어 낸 HER2 염색 강도와 면역세포 밀도가 바로 그 신호등 노릇을 한 바이오마커였습니다.

사람 병리의사가 같은 슬라이드를 두고도 서로 다른 판정을 내리는 일은 드물지 않습니다. HER2 염색 강도를 눈대중으로 나누는 2+와 3+ 사이의 경계는 애매해서, 이런 애매한 사례는 따로 형광 제자리 부합법 검사를 다시 받아야 하는 경우가 많았습니다. 인공지능 판독 프로그램은 사람 눈이 놓치기 쉬운 이 경계를 염색 강도와 세포 비율이라는 연속된 숫자로 바꾸어 놓아, 판정자에 따라 결과가 흔들리는 편차를 크게 줄입니다. 물론 이 점수가 병리학사를 대신한다는 뜻은 아닙니다. 병리학사가 최종 판단을 내리기 전에 놓치기 쉬운 미세한 신호를 먼저 걸러 주는 보조 도구에 가깝습니다.

암이나 치매 같은 퇴행성 뇌질환은 유전자 하나가 고장 나서 생기는 일이 드뭅니다. 수백, 수천 개의 유전자와 단백질이 얹혀 있다가 특정 조합에서만 병으로 걸로 드러납니다. 조직 검사 한 번, 유전자 검사 한 번으로는 이 얹힌 실타래를 풀 수 없습니다. 그래서 연구자들은 몸을 서로 다른 층에서 들여다보는 여러 기술을 한데 모으기 시작했습니다. 유전체학, 전사체학, 단백질체학이 그것입니다. 유전체학은 차세대 염기서열 분석 장비로 세포 속 DNA 서열을 통째로 읽어 냅니다. 건물을 지을 때 쓰는 설계도라고 보면 됩니다. 설계도는 한 번 그려지면 좀처럼 바뀌지 않습니다.

전사체학은 그 설계도를 두고 세포가 그날그날 내려보내는 작업 지시서에 해당합니다. RNA 시퀀싱이라는 기술로 어떤 유전자가 지금 얼마나 많이 켜져 있는지를 쟁니다. 같은 설계도를 지닌 세포라도 간세포와 신경세포가 서로 다르게 일하는 까닭이 여기 있습니다. 단백질체학은 한 걸음 더 나아가 실제로 현장에서 벽돌을 나르고 못을 박는 일꾼, 곧 단백질 자체를 질량 분석기로 하나하나 확인합니다. 같은 단백질이라도 인산기 같은 작은 꼬리표가 붙었는지 여부에 따라 전혀 다르게 움직이는데, 이런 번역 후 수식까지 살피는 정밀 단백질 분석은 신호전달 경로에서 약이 실제로 끼어들 수 있는 위치를 훨씬 촘촘하게 알려 줍니다.

약은 대개 유전자가 아니라 단백질에 직접 달라붙어 작동하므로, 이 일꾼들이 정확히 몇 명 있고 서로 어떤 모양으로 손을 맞잡고 있는지를 아는 일이 신약개발에서 요긴합니다. 문제는 이 세 데이터가 측정 방식도 단위도 규모도 저마다 달라서 사람이 나란히 놓고 비교하기가 몹시 까다롭다는 점입니다.

여기에 대사체학과 후성유전체학까지 더해지면 그림이 한층 촘촘해집니다. 대사체학은 세포가 실제로 무엇을 먹고 무엇을 내놓는지, 포도당이나 아미노산 같은 작은 분자의 농도를 재는 작업이고, 후성유전체학은 DNA 서열 자체는 그대로 둔 채 특정 유전자에 화학적 꼬리표를 붙여 그 유전자를 켜고 끄는 스위치 노릇을 하는 변화를 살핍니다.

사람 유전자는 2만 개 남짓으로 알려져 있지만, 이 유전자들이 전사체와 단백질, 대사체 단계를 거치며 만들어 내는 조합의 수는 그보다 몇 자릿수 더 많습니다. 이 방대한 조합을 사람이 손으로 대조하는 일은 애초에 불가능에 가깝고, 바로 여기서 다중 오믹스 데이터를 통째로 삼켜 패턴을 찾아내는 인공지능의 역할이 커집니다.

여기서 인공지능이 끼어듭니다. 변분 자가부호기나 트랜스포머 같은 딥러닝 모델은 유전체, 전사체, 단백질 데이터를 한꺼번에 집어넣고 사람 눈에는 띄지 않는 잠재된 규칙을 찾아냅니다. 세 데이터를 억지로 평균 내거나 나란히 늘어놓는 대신, 모델 내부에 새 좌표 공간을 만들어 환자나 세포 하나하나를 그 공간의 한 점으로 옮겨 놓는 방식입니다. 옮겨진 점들의 거리와 배치를 살피면 전통적인 통계 기법으로는 못 잡아내던 얽힌 관계, 이를테면 유전자 하나와 단백질 하나가 특정 조건에서만 함께 문제를 일으키는 관계가 드러납니다.

시장 조사업체들은 이런 다중 오믹스 분석 시장이 2025년 28억 1천만 달러에서 2026년 32억 달러 안팎으로 커졌고 2035년까지 해마다 15퍼센트 넘게 자랄 것으로 내다보고 있습니다.

표적을 찾는 작업이 한 단계 더 정교해진 계기는 단일 세포 전사체 분석(scRNA-seq)의 등장입니다. 예전에는 조직 한 덩어리를 통째로 갈아서 그 안에 담긴 모든 세포의 유전자 발현을 뭉뚱그려 했습니다. 여러 사람이 뒤섞인 사진 한 장을 놓고 평균 얼굴을 그리는 셈이니, 정작 그 안에 숨어 있는 소수의 암 줄기세포나 지쳐 버린 면역세포는 통계 속에 파묻혀 사라졌습니다.

단일 세포 분석은 이와 달리 세포 하나하나에 이름표를 달아 따로따로 인터뷰하듯 유전자 발현을 쫓습니다. 종양 조직처럼 정상 세포와 면역세포, 돌연변이 세포가 뒤섞인 곳에서는 이 방식이 아니면 세포마다 다른 사정을 알아낼 길이 없습니다.

연구자들은 수만 개 세포를 이렇게 하나씩 읽어서 암이 되기 전 단계의 세포에서 시작해 자잘하게 나뉜 하위 암세포 무리, 그리고 힘이 빠져 제구실을 못 하게 된 면역세포에 이르는 시간의 흐름을 되짚습니다. 2025년과 2026년 사이 일루미나는 빌리언 셀 아틀라스라는 사업

을 통해 한 해에만 20페타바이트에 이르는 단일 세포 전사체 데이터를 새로 쌓고 있으며, 궁극적으로 50억 개 세포 규모의 데이터베이스를 지으려 하고 있습니다.

이렇게 쌓인 데이터를 학습한 단일 세포 파운데이션 모델은 특정 세포가 어떤 종류인지 이름을 붙이는 일이나, 특정 자극을 주었을 때 세포가 어떻게 반응할지 미리 가늠하는 일까지 해냅니다.

단일 세포 데이터를 학습하는 인공지능도 문헌 기반 언어 모델과 손을 잡기 시작했습니다. 2026년 공개된 엘리사(ELISA)라는 틀은 단일 세포 유전자 발현을 이해하는 에스씨지피티(scGPT) 같은 모델과 바이오버트 기반의 문헌 검색 기능을 하나로 묶어, 연구자가 특정 세포 유형에서 유독 많이 켜지는 유전자를 찾으면 그 즉시 관련 논문 근거까지 함께 보여 줍니다. 실험 데이터와 문헌 지식이 이렇게 한 화면 안에서 맞물리면서, 새로운 바이오마커 후보를 눈으로 확인하고 곧바로 타당성까지 따져 보는 일이 가능해졌습니다.

그런데 세포 하나하나의 정체를 안다고 해서 이야기가 끝나지는 않습니다. 세포는 어디에 놓여 있는지에 따라 하는 일이 달라지기 때문입니다. 공간 전사체학(Spatial transcriptomics)은 조직을 갈지 않고 원래 모양 그대로 둔 채 각 위치에서 어떤 유전자가 얼마나 켜져 있는지를 지도로 그립니다. 주민 이름만 적힌 명단이 아니라 몇 동 몇 호에 누가 사는지까지 나온 지도인 셈입니다. 10x 제노믹스의 비지움(Visium)이나 여러 형광 표지를 동시에 붙이는 다중 오류 방지 형광 제자리 부합법(MERFISH) 같은 기술이 이 지도를 세포 하나 수준의 정밀도로 그려 냅니다.

이 분야는 2025년과 2026년 사이 빠르게 갈아엎어졌습니다. 10x 제노믹스는 2025년 8월 제니움 프로틴(Xenium Protein)을 내놓아 같은 세포, 같은 조직 절편에서 RNA와 단백질을 한 번에 함께 재는 길을 열었습니다. 2026년 4월에는 아테라(Atera)라는 새 장비를 발표했는데, 기존 제니움보다 네 배 넓은 면적을 두 배 많은 슬라이드로, 전체 유전자를 대상으로 세포 하나 단위까지 재면서도 그래픽 처리 장치의 힘을 빌려 분석 시간을 시간 단위에서 분 단위로 줄였습니다.

그 장비로 얻은 데이터에서는 저산소 종양 조직에 몰린 ODAM, 침습성이 강한 분열 세포에 몰린 C21orf58처럼 위치에 매인 바이오마커 후보가 새로 확인되었습니다.

인공지능은 단일 세포 데이터와 공간 데이터를 함께 포개어 종양세포와 주변 결합조직세포, 면역세포 사이의 실제 물리적 거리와 주고받는 신호를 계산합니다. 2025년 발표된 한 연구

에서는 공간 전사체와 공간 단백질체 데이터를 함께 학습한 그래프 신경망이 면역관문억제제에 대한 반응 여부를 예측 정확도를 나타내는 지표인 ROC-AUC 0.90 넘게 맞혔고, 세포외 기질이 두껍게 둘러싼 종양 둘레 영역이 약이 듣지 않는 환자에게서 유독 두드러진다는 사실을 밝혀냈습니다.

트라이엄프 시험에서 루닛의 프로그램이 읽어 낸 면역세포 밀도 역시 이 방식과 다르지 않습니다. 루닛은 2025년 12월 담도암 환자 291명, 슬라이드 309장을 대상으로 한 연구에서 HER2 판독 결과가 병리의사 합의와 83.5퍼센트 들어맞는다는 논문을 국제학술지에 실었고, 2026년 미국임상종양학회 학술대회에서 다섯 건, 미국암연구학회 학술대회에서는 아주대학교 및 애질런트와 함께한 비소세포폐암 연구를 포함해 여섯 건의 연구를 새로 내놓았습니다.

종양 미세환경 속 대식세포도 인공지능이 눈여겨보는 대상입니다. 대식세포는 성질이 고정되어 있지 않아서 종양을 도와주는 쪽으로도, 종양과 맞서 싸우는 쪽으로도 방향을 바꿀 수 있는 세포입니다. 한 공간 전사체 연구는 CXCL16과 SPP1이라는 두 신호 물질이 대식세포의 이런 방향 전환을 조율한다는 사실을 밝혀내고, 이미 다른 용도로 쓰이던 시롤리무스와 트리코스타틴 에이(trichostatin A) 두 약물이 이 신호 경로를 겨눌 수 있는 후보로 떠올랐다고 보고했습니다.

새 화합물을 처음부터 설계하는 대신 이미 안전성이 확인된 약물을 다른 병에 다시 쓰는 이런 약물 재창출 접근은 개발 기간을 크게 줄여 줍니다.

지금까지 살핀 데이터는 모두 실험실 장비가 세포와 조직에서 직접 뽑아낸 숫자입니다. 그런데 사람이 읽는 병에 관한 지식 가운데 상당수는 숫자가 아니라 논문과 특허, 임상시험 보고서 속 문장에 담겨 있습니다. 해마다 수백만 편씩 쏟아지는 이 문헌을 사람이 다 읽고 정리하기란 애초에 불가능합니다. 그래서 등장한 것이 바이오버트(BioBERT)와 펍메드버트(PubMedBERT)처럼 방대한 생물의학 논문으로 미리 훈련시킨 언어 모델입니다.

이런 모델은 문장 하나를 읽고 그 안에 어떤 유전자, 어떤 질병, 어떤 약물 이름이 나오는지 자동으로 가려내고, 이들이 서로 어떤 관계에 있는지까지 뽑아냅니다. 레굴로지피티(reguloGPT)라는 모델은 한 걸음 더 나아가 문장 하나에서 유전자가 다른 유전자의 발현을 억누르는지 끌어올리는지 같은 조절 관계까지 정리된 표로 바꿔 냅니다.

이렇게 문헌에서 뽑아낸 관계와 실험실에서 얻은 유전체, 전사체, 단백질 데이터를 한데 모으면 거대한 지식 그래프가 됩니다. 유전자와 단백질, 질병과 약물이 저마다 점이 되고 이들 사이의 관계가 점을 잇는 선이 되는, 거미줄처럼 촘촘한 지도입니다. 연구자들은 이 지도 위에서 그래프 신경망이나 지식 그래프 임베딩 같은 기법을 걸어, 그물처럼 얽힌 연결망 안에서 유독 많은 선이 모이는 유전자가 무엇인지를 찾습니다. 아직 논문으로 보고된 적 없는 약물과 표적 사이의 관계까지 이 그래프 위에서 미리 헤아려 볼 수 있습니다.

연구자들은 이런 그래프 분석을 질병 네트워크 분석이라고 부릅니다. 친구를 직접 사귀지 않아도 친구의 친구를 통해 소개받듯이, 그래프 신경망은 유전자 A와 유전자 C가 한 번도 같은 논문에 나란히 등장한 적이 없어도 둘 다 유전자 B와 자주 얽혀 있다는 사실만으로 둘 사이의 숨은 연관을 찾아냅니다. 2025년 발표된 지식 안내형 그래프 학습 기법인 케이지디알피(KGDRP)는 약물 반응 예측과 표적 예측 두 가지 과제에서, 기존에 알려진 데이터가 거의 없는 새로운 질병에 대해서도 예측 성능을 12퍼센트 끌어올렸습니다.

문헌이나 임상 데이터가 아직 빈약한 희귀질환에서도 인공지능이 표적 후보를 처음부터 제시할 수 있다는 뜻이며, 신약개발 초기 단계의 시행착오를 상당히 줄여 줄 것으로 보입니다.

인실리코 메디슨의 판다오믹스(PandaOmics)는 이 방식을 일찌감치 상업화한 플랫폼입니다. 유전자 발현과 단백질 데이터, 문헌 기반 지식 그래프를 한데 엮어 간세포암과 특발성 폐섬유증을 비롯한 여러 질환에서 새 표적의 우선순위를 매기고 실제 실험으로 검증해 왔습니다. 2025년에는 신뢰도와 상업적 가능성, 약물로 만들 수 있는 정도, 작용 기전이 얼마나 뚜렷한지를 함께 따지는 채점 체계를 갖고 님아 타깃벤치(TargetBench) 1.0과 종양학, 대사질환, 면역질환, 섬유화질환, 신경질환 38개 질환을 아우르는 타깃프로(TargetPro)라는 틀을 새로 내놓았습니다.

같은 해 인실리코 메디슨은 위암과 식도암 표적을 찾기 위해 세계적인 암센터와 손잡았고, 2026년에는 판다오믹스가 골라낸 뇌질환 표적을 두고 중국의료시스템그룹과 1억 6,500만 달러 규모의 두 번째 협력 계약을 맺었습니다.

이 플랫폼이 뚜렷하게 성과를 보인 사례는 렌토서티브(rentosertib, 개발 코드명 ISM001-055)입니다. 판다오믹스는 섬유화와 노화에 관한 문헌과 오믹스 데이터를 훑다가 TNIK이라는 단백질을 찾아냈는데, 이 단백질은 그전까지 특발성 폐섬유증 치료제 표적으로 눈여겨보던 후보가 아니었습니다. 중국 22개 병원에서 환자 71명을 모아 12주 동안 위

약과 세 가지 용량을 비교한 임상 2a상 제네시스 아이피에프(GENESIS-IPF) 시험에서, 하루 60밀리그램씩 투여받은 환자군은 노력성 폐활량(FVC)이 평균 98.4밀리리터 늘어난 반면 위약군은 20.3밀리리터 줄었습니다.

2025년 6월 3일 네이처 메디슨에 실린 이 결과는 인공지능이 처음부터 끝까지 관여해 찾아낸 표적과 약물이 사람 몸에서 실제로 효과를 낸다는 사실을 업계 최초로 증명한 사례로 꼽혔고, 이후 3상 시험으로 이어졌습니다.

표적을 찾는 방법에는 합성 치사율(Synthetic lethality) 분석도 있습니다. 비행기에 엔진이 두 개 달려 있다고 생각해 보면 이해하기 쉽습니다. 엔진 하나가 멈추어도 나머지 하나로 비행을 이어 갈 수 있지만 둘 다 멈추면 추락합니다. 세포 안에도 이런 짝을 이룬 안전장치가 여럿 있어서, 유전자 하나가 망가져도 다른 유전자가 그 일을 대신 떠맡아 세포가 살아남습니다.

그런데 암세포는 이미 유전자 하나가 망가진 채로 자란 경우가 많아서, 그 나머지 짝을 이루는 유전자마저 약으로 막아 버리면 정상 세포는 멀쩡한데 암세포만 죽습니다. 인공지능은 범암 다중 오믹스 데이터와 유전자를 하나씩 꺼 보는 시뮬레이션을 함께 학습해 이런 짝을 대규모로 찾아냅니다.

이런 짝을 찾는 인공지능 모델은 대개 유전자 의존성 지도라고 불리는 대규모 공개 데이터 베이스를 학습 재료로 씁니다. 미국 브로드연구소가 구축한 캔서 디펜던시 맵(Cancer Dependency Map)이 대표적인데, 수백 종의 암세포주에서 유전자를 하나씩 꺼트려 가며 어떤 유전자가 없어지면 그 세포주가 죽는지를 실험으로 기록해 둔 자료입니다. 여기에 각 세포주의 유전체와 전사체, 단백질체 정보를 겹쳐 놓으면, 특정 유전자 변이를 지닌 세포주에서만 유독 잘 죽는 짝을 통계적으로 골라낼 수 있습니다.

브라카(BRCA) 유전자가 망가진 암세포에서 파프(PARP)라는 효소를 막으면 암세포만 골라 죽는다는 사실이 처음 이 접근법의 가능성을 증명했습니다. 이후 임상까지 이어진 짝은 그리 많지 않았지만 2025년과 2026년 사이 새 후보가 잇달아 나왔습니다. MTAP 유전자가 없어진 암세포에서는 PRMT5라는 효소를 막으면 암세포가 죽는다는 관계가 확인되어, 아이디에이아(IDEAYA) 바이오사이언스는 2025년 9월 IDE892라는 PRMT5 억제제의 임상 시험계획을 제출했고 같은 해 4분기 MTAP 결손 폐암 환자를 대상으로 1상 시험을 시작했습니다.

브리스톨마이어스스콧의 BMS-986504는 MTAP 결손 췌장암 환자 60명을 모집하는 2상 시험으로 이어졌습니다. 췌장관 선암종 연구에서는 단일 세포 공간 전사체학과 단백질체학, 경쟁적 내인성 RNA 연결망 분석, 셀프포머(SELFormer)라는 트랜스포머 기반 딥러닝을 겹쳐 쓴 파이프라인이 TNFRSF10A라는 유전자가 만드는 사멸 수용체 트레일알린 (TRAIL-R1)을 새 표적으로 골라냈고, 신장암 치료제로 이미 승인된 템시롤리무스가 이 수용체에 달라붙는다는 사실을 컴퓨터 모의실험으로 확인했습니다.

발굴된 바이오마커가 실제 임상 현장에서 쓰이는 모습은 흑색종 치료제 펌브롤리주맙의 대규모 임상시험인 키노트(KEYNOTE)-002와 키노트-006에서 확인됩니다. 연구진은 환자 575명의 CT 영상에서 종양 크기와 모양 변화를 나타내는 특징 스물다섯 가지를 뽑은 뒤, 랜덤 포레스트 알고리즘으로 그중 크기 관련 두 가지와 모양 변화 관련 두 가지, 모두 네 가지를 추린 영상 바이오마커를 만들었습니다.

이 네 가지 조합은 치료 시작 6개월 시점에서 환자의 전체 생존 여부를 상당히 정확하게 미리 알려 주었습니다. 피 한 방울, 조직 시료 하나 없이 이미 찍어 둔 CT 영상만으로 바이오마커를 뽑아낼 수 있다는 사실은 이 기술이 병원 현장에 스며들기 얼마나 쉬운지를 보여 줍니다.

질병 네트워크나 다중 오믹스 모델이 컴퓨터 화면 위에서 가려낸 표적 후보는 그 자체로 약이 되지 않습니다. 세포주나 오가노이드, 실험동물을 이용한 생체 실험으로 그 표적을 억제했을 때 실제로 병이 호전되는지를 확인하는 단계를 거쳐야 하고, 이 단계를 통과한 후보만 임상시험 설계로 넘어갑니다. 트라이엄프 시험이나 키노트 시험처럼 이미 다른 목적으로 진행 중인 대규모 임상시험의 조직 슬라이드와 영상 자료를 인공지능으로 다시 들여다보는 탐색적 분석 방식은, 새 임상시험을 처음부터 새로 설계하지 않고도 바이오마커 후보를 빠르게 검증할 수 있어 시간과 비용을 크게 아깁니다.

이렇게 검증된 바이오마커가 다시 동반진단 승인을 받아야 비로소 병원 진료실에서 실제 환자에게 쓰일 수 있습니다.

이렇게 확인된 바이오마커는 임상시험 설계 방식 자체도 바꾸어 놓고 있습니다. 예전에는 환자를 무작위로 나누어 놓고 시험이 끝난 뒤에야 어떤 치료가 더 나았는지를 따졌다면, 이제는 시험이 진행되는 도중에도 바이오마커 수치를 실시간으로 확인해 반응이 나쁜 환자군은 다른 치료로 옮기고 반응이 좋은 환자군은 그대로 이어 가는 적응형 임상시험 설계가 늘

고 있습니다.

트라이엄프 시험처럼 이미 순환종양DNA로 환자를 먼저 골라낸 뒤에야 본 시험을 시작하는 방식도 이런 흐름의 하나입니다. 환자를 덜 헤매게 하면서도 더 적은 인원으로 더 빨리 결론에 닿을 수 있다는 점에서, 바이오마커 발굴은 신약개발의 속도 자체를 바꾸는 힘을 지니고 있는 것으로 보입니다.

이렇게 찾아낸 바이오마커가 실제 처방으로 이어지려면 동반진단(CDx)이라는 관문을 통과해야 합니다. 특정 바이오마커를 지닌 환자에게만 특정 약을 쓰도록 짝지어 승인하는 검사 도구입니다. 미국 식품의약국이 승인한 동반진단 검사는 2017년 34건, 2021년 44건이던 것이 2025년 3월 기준 188건, 관련 바이오마커는 45종으로 늘어났습니다. 2026년 5월에는 방광암 환자의 혈중 순환종양DNA로 재발 위험을 재는 나테라의 시그나테라 동반진단과, 유방암과 대장암과 비소세포폐암까지 한꺼번에 아우르는 가던트헬스의 가던트360 리퀴드 동반진단이 잇달아 승인을 받았습니다.

미국 식품의약국은 여기에 더해 차세대 염기서열 분석 기반 검사나 중합효소연쇄반응 기반 검사처럼 이미 안전성이 쌓인 항암 동반진단 방식을 지금의 까다로운 시판전 허가 대신 좀 더 가벼운 절차로 넘기는 방안을 2026년 1월까지 의견 수렴했습니다. 다만 신약과 동반진단이 같은 시점에 함께 승인되는 사례는 아직 드물어서, 약은 먼저 나왔는데 이를 지정할 검사가 뒤늦게 따라오거나 그 반대의 상황이 실제 진료 현장에서 종종 벌어지고 있습니다.

한국에서도 이 흐름을 좇는 기업이 늘고 있습니다. 아론티어는 다중 오믹스 데이터로 새 표적과 후보물질을 찾는 레머디(REMEDY), 저분자 화합물을 설계하는 드럭 디자이너(DRUG DESIGNER), 병리 이미지로 종양 미세환경을 나누어 읽는 패스(PATH)까지 신약 탐색 전 과정을 잇는 플랫폼을 갖추었습니다. 2026년 미국임상종양학회에서는 루닛 말고도 에스티큐브, 티움바이오, 이문온시아, 온코닉테라퓨틱스 같은 국내 기업이 인공지능 바이오마커와 합성 치사율 기반 항암제의 임상 데이터를 발표할 예정입니다.

이만큼 성과가 쌓였는데도 인공지능 기반 표적 발굴이 병원의 일상 도구로 뿌리내리려면 넘어야 할 고비가 남아 있습니다. 맨 먼저 걸리는 문제는 학습에 쓰이는 데이터 자체의 치우침입니다. 지금 쌓여 있는 유전체와 임상 데이터베이스 대다수는 서구권이나 특정 선진국 인구에 쏠려 있어서, 그 밖의 인종과 지역 환자에게 같은 모델을 그대로 적용하면 예측이 어긋나는 일이 잦습니다. 데이터가 한쪽으로 쏠리면 모델이 내놓는 답도 한쪽으로 쏠릴 수밖에

없습니다. 건강 격차를 오히려 벌리는 결과로 이어질 위험이 있는 셈입니다.

딥러닝 모델이 왜 그런 답을 내놓았는지 사람이 낱낱이 따라가기 어렵다는 점도 걸림돌입니다. 여러 층으로 쌓인 신경망과 여러 모델을 섞어 쓰는 방식은 예측 성능은 뛰어나지만 그 속을 들여다보기가 어려워 흔히 블랙박스라고 부릅니다. 환자의 생명이 걸린 처방 앞에서, 그리고 신약 승인 여부를 가리는 규제 기관 앞에서 이런 불투명함은 그대로 받아들여지기 어렵습니다.

그래서 연구자들은 샵리 가법 설명(SHAP)이나 라임(LIME) 같은 설명 가능한 인공지능 기법을 함께 써서, 모델의 판단이 어떤 유전자 변이나 어떤 대사 경로에서 비롯되었는지를 사람이 알아볼 수 있는 말로 옮기려 애쓰고 있습니다.

법과 제도의 공백도 여전합니다. 여러 병원과 여러 나라에 흩어진 환자 데이터를 모아 학습시키는 과정에서 개인정보를 지키는 일은 제일 민감한 사안입니다. 유럽연합의 일반개인정보보호법(GDPR)이나 미국의 건강보험 이전 및 책임에 관한 법(HIPAA)을 지키기 위해 원본 데이터를 외부로 옮기지 않고 각 병원 안에서만 모델을 학습시킨 뒤 그 결과값만 주고받는 연합 학습 기술이 점점 퍼지고 있지만, 나라마다 다른 데이터 기준과 암호화 비용은 여전히 걸림돌로 남아 있습니다.

인공지능이 스스로 찾아낸 표적이나 설계한 바이오마커를 두고 누구를 발명자로 인정할지, 그 권리가 알고리즘을 만든 회사와 데이터를 제공한 병원 가운데 누구에게 속하는지를 둘러싼 다툼도 세계 곳곳에서 벌어지고 있습니다. 미국 식품의약국과 유럽의약품청은 이런 문제에 대응해 모델의 투명성과 품질 관리, 시판 뒤 안전성 책임 소재를 밝히는 규제 문서를 계속 손보고 있습니다.

업계는 2025년과 2026년 사이 이렇게 인공지능이 찾아낸 표적에서 출발한 약물의 임상 결과가 열 건 넘게 나올 것으로 내다보고 있으며, 그 성적이 쌓일수록 오믹스와 문헌 데이터를 결합해 표적을 찾는 접근법 자체의 신뢰도도 함께 높아질 것으로 보입니다.

2025년과 2026년을 지나며 드러난 흐름을 보면, 다중 오믹스와 인공지능의 결합은 계산 능력을 뽐내는 실험실 시연 단계를 지나 실제 환자의 생존 기간을 갈라놓는 임상 현장으로 옮겨 가고 있는 것으로 보입니다. 트라이엄프 시험의 HER2 환자군, 렌토서티브를 먹은 폐섬유증 환자군, MTAP 결손 암을 겨누는 새 억제제 모두 이질적인 오믹스 데이터를 하나로 묶고 문헌 속 지식을 지식 그래프로 엮어 낸 뒤에야 얻어진 결과입니다.

서로 다른 병원, 서로 다른 나라에서 나온 데이터를 표준을 맞춰 이어 붙이고 블랙박스 모델의 판단 근거를 사람이 알아볼 수 있는 말로 옮기는 작업이 앞으로 몇 년의 성패를 가를 가능성이 큼니다. 환자 한 사람의 조직 슬라이드 한 장, 피 한 방울에서 시작된 신호가 지구 반대편 연구자의 지식 그래프와 이어지는 지금의 흐름은, 신약개발이라는 오래된 작업의 저변을 다시 짜고 있는 것으로 보입니다.

한국 정부도 다중 오믹스 데이터를 나라 차원에서 쌓는 사업을 벌이고 있습니다. 질병관리청이 이끄는 국가통합바이오빅데이터구축사업은 국민 100만 명의 유전체와 임상정보를 하나로 모으는 일을 목표로 삼았습니다. 2024년부터 2028년까지 이어지는 1단계에서는 희귀질환자와 중증질환자, 일반 참여자를 합쳐 77만 2천 명을 모으기로 했습니다. 참여를 원하는 국민은 전국 38개 모집기관 가운데 한 곳을 찾아가 동의서와 설문지를 쓰고 혈액이나 소변 같은 검체를 남긴 뒤 자신의 임상정보까지 함께 내놓습니다.

사업단은 이렇게 모은 자료가 한국인에게 맞는 표적과 바이오마커를 찾는 바탕이 될 것이라고 설명합니다. 이렇게 모인 유전체 데이터는 2026년부터 연구자들에게 차례로 열릴 예정이며, 2026년 4월 말 기준 참여자는 16만 5722명으로 늘었습니다.

그런데 정작 신약개발에 쓸모가 큰 중증질환자 데이터는 목표에 한참 못 미칩니다. 2026년 4월 말 기준 중증질환자는 목표 14만 명 가운데 1만 1274명만 모여 8퍼센트를 겨우 넘겼습니다. 희귀질환자 역시 목표 4만 7천 명 가운데 4476명만 모여 9.5퍼센트에 그쳤습니다. 사업단은 검체를 모으고 환자를 설득할 연구간호사가 부족하고 의료진이 나서서 참여할 동기도 약하다고 그 까닭을 밝혔습니다.

전 세계 유전체 연구에 쓰인 데이터 가운데 유럽계 인구 비중이 90퍼센트를 넘는다는 조사 결과를 떠올리면, 한국인과 다른 아시아인의 유전자 정보를 채워 넣을 이 사업의 무게는 결코 가볍지 않습니다. 그럼에도 정작 병을 앓는 사람의 자료가 이렇게 더디게 쌓인다면, 데이터 쏠림을 바로잡을 기회 역시 오래도록 손에 잡히지 않을 것으로 보입니다.

발굴된 바이오마커가 병원 처방까지 이어지려면 세 가지 문턱을 차례로 넘어야 합니다. 첫째는 분석적 타당성으로, 검사 도구가 노리는 표적을 정확하고 한결같이 잡아내는지를 봅니다. 둘째는 임상적 타당성으로, 그 표적이 환자의 치료 반응을 얼마나 잘 미리 알려 주는지를 확인합니다. 셋째는 임상적 유용성으로, 이 검사를 쓰면 환자의 치료와 결과가 실제로 나아지는지를 따집니다. 미국 식품의약국은 신약 후보의 3상 임상시험을 설계할 때부터 동반진

단 검사를 함께 끼워 넣으라고 권합니다.

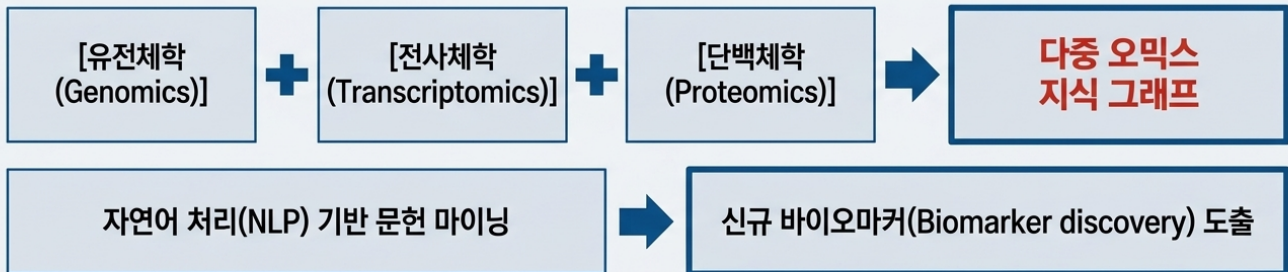
그래야 약과 검사가 같은 날 나란히 승인받을 가능성이 커지기 때문입니다. 검사 준비가 늦어지면 약은 먼저 나오고도 그 약을 써야 할 환자를 골라낼 도구가 없어 처방이 늦어지는 일이 벌어집니다. 한국 식품의약품안전처도 동반진단 의료기기로 임상적 성능시험을 하려면 별도 계획 승인을 받도록 하여 비슷한 원칙을 지키고 있습니다.

다중 오믹스 통합과 신규 바이오마커 발견

1.3 다중 오믹스 통합과 신규 바이오마커 발견

다중 오믹스와 자연어 처리를 결합한 질병 네트워크 분석으로 숨겨진 신규 표적을 도출합니다.

- 단일 세포 전사체 분석(scRNA-seq)과 공간 전사체학(Spatial transcriptomics)은 종양 미세환경 내 세포 간 복잡한 상호작용을 해독합니다.
- 합성 치사율(Synthetic lethality) 분석을 통해 유전체·단백체·전사체 데이터 간의 인과관계를 식별하고 타겟팅합니다.



제 2 부

AI 주도 신약 설계 및 물질 발굴

2.1

3D 단백질 구조 예측과 구조 기반 약물 설계 (SBDD)

2020년 11월 30일, 컴퓨터 화면 앞에 전 세계 구조생물학자 수백 명이 모여들었습니다. 제 14회 국제 단백질 구조 예측 학술대회, 흔히 CASP라고 부르는 이 대회에서 구글 딥마인드가 만든 인공지능 알파폴드 2의 채점 결과가 공개되는 순간이었습니다. 화면에 뜬 점수는 90점을 훌쩍 넘었습니다. 엑스선 결정학이나 초저온 전자현미경으로 몇 달, 길게는 몇 년을 붙잡고 있어야 겨우 확인할 수 있었던 단백질의 입체 모양을, 컴퓨터 한 대가 실험 결과와 거의 똑같이 맞혀낸 것입니다.

반세기 가까이 생물학자를 괴롭혀 온 난제 하나가 그날 사실상 마무리되었습니다. 1970년대 초, 아미노산 서열이 단백질의 입체 구조를 결정한다는 원리 자체는 이미 밝혀져 있었지만, 그 서열만 보고 실제 모양을 미리 계산해 내는 일은 그로부터 반세기가 흐르도록 풀리지 않은 채 남아 있었습니다.

단백질은 아미노산이라는 작은 부품이 사슬처럼 길게 이어진 물질입니다. 세포 안에서 갇혀 만들어진 사슬은 실 뭉치처럼 아무렇게나 늘어져 있다가, 물속에서 순식간에 정교하게 접히면서 고유한 입체 모양을 갖춥니다. 종이접기를 떠올리면 이해가 쉽습니다. 같은 정사각형 종이라도 접는 순서와 각도가 달라지면 학이 되기도 하고 배가 되기도 합니다.

단백질도 마찬가지로 아미노산이 늘어선 순서, 즉 서열에 따라 접히는 방식이 정해지고, 그 모양이 조금이라도 어긋나면 원래 하던 일을 하지 못하거나 엉뚱한 곳에 들러붙어 문제를 일으킵니다. 알츠하이머병과 파킨슨병처럼 단백질이 잘못 접혀 뭉치면서 생기는 병이 여럿 알려진 이유가 여기에 있습니다.

제약회사가 신약을 설계할 때 맨 먼저 알아야 하는 정보가 바로 이 입체 모양입니다. 병을 일으키는 단백질이 어떤 형태를 하고 있는지 정확히 알아야, 그 단백질에 달라붙어 작동을 막거나 도와줄 작은 분자를 그려낼 수 있기 때문입니다. 이렇게 표적 단백질의 3차원 구조를 바탕으로 약을 설계하는 방식을 구조 기반 약물 설계, 줄여서 SBDD라고 부릅니다. 과거에는 이 구조를 얻으려면 단백질을 결정으로 만들어 엑스선을 쏘아 회절 무늬를 읽어내는 엑스선 결정학이나, 시료를 극저온으로 얼려 전자빔을 쏘고 영상을 겹쳐 보는 초저온 전자현

미경, 흔히 크라이오이엠이라 부르는 실험을 거쳐야 했습니다.

둘 다 숙련된 인력과 값비싼 장비, 그리고 몇 달에서 몇 년에 이르는 시간이 필요한 작업이었습니다. 단백질을 결정으로 만드는 과정 자체가 뜻대로 되지 않아 접근 방식을 통째로 바꿔야 하는 경우도 드물지 않았습니다.

알파폴드 2가 CASP 무대에서 증명한 예측력은 이 오래된 작업 방식을 뿌리째 흔들었습니다. 2024년 5월, 구글 딥마인드와 자회사 아이소모픽 랩스는 후속작인 알파폴드 3를 공개하며 한 단계 더 나아갔습니다. 알파폴드 3는 단백질 하나의 모양을 맞히는 데 그치지 않고, 유전 정보를 담은 DNA와 RNA, 약물 후보가 되는 작은 분자 리간드, 금속 이온, 심지어 번역 후 변형까지 뒤섞인 복합체 전체의 입체 구조를 하나의 신경망으로 함께 예측합니다.

진화된 에보포머 모듈과 확산 모델을 결합한 방식으로, 원자들이 흩어진 구름 같은 상태에서 출발해 노이즈를 조금씩 걷어내며 정답에 가까운 배치를 찾아갑니다. 공개 당시 학계에서는 기존 방법에 비해 상호작용 예측 정확도가 50퍼센트 넘게 뛰어올랐다는 평가가 나왔습니다.

확산 모델이라는 말은 낯설어도 원리는 옛날 텔레비전의 지지직거리는 화면을 떠올리면 이해하기 쉽습니다. 화면 가득 잡음만 보이던 상태에서 채널이 서서히 맞춰지며 또렷한 그림이 드러나듯이, 알파폴드 3는 원자들이 무작위로 흩어진 잡음투성이 상태에서 출발해 한 단계씩 잡음을 걷어내며 실제 분자 배치에 가까운 그림을 완성해 나갑니다. 이 과정을 수십 번 되풀이하는 사이, 처음에는 뿌영던 원자 구름이 단백질과 리간드가 서로 맞물린 또렷한 입체 구조로 좁혀집니다.

이렇게 만들어진 예측 구조는 차곡차곡 쌓여 알파폴드 단백질 구조 데이터베이스라는 공공 자산이 되었습니다. 2025년 인터페이스를 새로 단장한 이 데이터베이스에는 2억 1400만 개가 넘는 단백질 구조가 올라와 있어, 사람을 포함한 사실상 모든 생물종의 단백질을 검색한 번으로 들여다볼 수 있습니다. 실제로 중국 연구진은 이 데이터베이스와 알파폴드를 이용해 포도막 흑색종 환자에게서 나타나는 비정상 구조 315개를 찾아내고, 새로운 치료 표적의 실마리를 얻어냈습니다. 실험실에서 단백질 구조 하나를 밝히는 데 몇 년이 걸리던 시절에는 상상하기 어려웠던 규모입니다.

체감할 수 있는 변화는 속도에서부터 나타났습니다. 신약 후보 발굴의 첫 관문인 표적 단백질 구조 확인 작업은 알파폴드 2가 등장하기 전까지 수개월이 걸리는 일이었습니다. 알파폴

드 2가 나온 뒤로 이 작업은 며칠 단위로 줄었고, 그만큼 앞당겨진 시간은 다음 단계인 도킹과 시뮬레이션에 그대로 재투자되고 있습니다.

처음 공개되었을 때 알파폴드 3는 연구자가 직접 코드를 내려받아 돌릴 수 없고, 구글이 운영하는 알파폴드 서버에 서열을 입력해 결과만 받아 보는 방식이어서 아쉬움이 컸습니다. 2025년 들어 구글 딥마인드는 비상업적 학술 연구에 한해 추론 코드를 내려받고 모델 가중치를 신청해 받을 수 있도록 문을 넓혔고, 알파폴드 서버의 하루 작업 처리 건수도 기존의 두 배로 늘렸습니다. 그 사이 대안을 만드는 움직임도 활발했습니다.

중국 바이트댄스는 알파폴드 3를 완전히 재현한 오픈소스 모델 프로텐닉스를 내놓았고, 컬럼비아대학교 알퀴라이시 연구실은 학술 목적은 물론 상업적 이용까지 무료로 허용하는 아파치 2.0 라이선스로 OpenFold3-preview를 공개했습니다. 한 회사가 독점하다시피 하던 기술이 몇 년 사이 여러 연구팀이 나눠 쓰는 오픈소스 생태계로 번져 나간 셈입니다.

알파폴드 3가 정교함으로 승부한다면, 메타가 개발한 ESMFold는 속도로 승부합니다. 대다수 구조 예측 인공지능은 비슷한 단백질을 여러 생물종에서 찾아 나란히 늘어놓는 다중 서열 정렬 작업을 거친 뒤에야 구조를 계산합니다. 이 작업은 데이터베이스를 뒤지는 데만 상당한 시간이 걸립니다. 반면 ESMFold는 수억 개의 단백질 서열을 미리 학습해 둔 거대 언어 모델 ESM2를 바탕으로, 다중 서열 정렬 없이 서열 하나만 넣어도 곧바로 구조를 내놓습니다.

진화적으로 닮은 친척이 거의 없는 고아 단백질이나 새로 발견된 바이러스 단백질처럼 비교할 대상이 마땅치 않은 경우에 ESMFold의 강점이 두드러지며, 대규모 스크리닝과 신규 효소 발굴 현장에서 널리 쓰이고 있습니다. 메타는 이 기술을 바탕으로 자연에 존재하지만 아직 알려지지 않은 단백질 구조를 대규모로 예측해 공개하기도 했습니다.

단백질 구조 예측 생태계를 알파폴드와 함께 떠받치는 또 다른 축은 워싱턴대학교 데이비드 베이커 교수 연구진이 만든 RoseTTAFold입니다. 그중에서도 최근 버전인 RoseTTAFold All-Atom은 알파폴드 3와 비슷하게 단백질과 핵산, 작은 분자 리간드가 뒤섞인 복합체의 구조를 함께 예측합니다. 베이커 교수 연구진의 진짜 특기는 구조를 맞히는 데 그치지 않고, 원하는 분자와 결합하는 완전히 새로운 단백질을 백지 상태에서 그려내는 데 있습니다. 확산 모델을 응용한 RFdiffusion 계열 도구가 그 역할을 맡습니다.

RoseTTAFold는 2021년, 아미노산 서열 정보와 원자 사이 거리 정보, 3차원 좌표 정보를 각각 다른 신경망 통로에서 동시에 처리한 뒤 서로 정보를 주고받게 하는 3중 신경망 구조로 처음 발표되었습니다. 알파폴드 2와 거의 같은 시기에 나온 이 모델은 예측 정확도에서는 알파폴드에 조금 못 미친다는 평가를 받았지만, 계산에 필요한 컴퓨터 자원이 상대적으로 적어 개별 연구실에서도 돌려 볼 수 있다는 실용적 강점을 지녔습니다.

이 도구는 2025년 12월 3일, RFdiffusion3라는 이름으로 한 단계 더 도약했습니다. 원자 단위까지 다루는 이 모델은 단백질뿐 아니라 DNA나 다양한 리간드와 맞물리는 단백질을 함께 설계할 수 있고, 이전 버전보다 추론 속도가 열 배 가까이 빨라졌습니다. 자연에서 오랜 시간에 걸쳐 다듬어진 효소에 근접하는 성능의 새로운 효소를 컴퓨터 안에서 그려낼 수 있다는 발표는 학계에 작지 않은 반향을 일으켰습니다. 산업용 효소를 새로 개발하는 데 몇 년씩 걸리던 주기가, 컴퓨터 안에서 후보를 먼저 그려 보고 실험실에서는 검증만 거치는 방식으로 바뀔 수 있다는 뜻이기 때문입니다.

같은 연구실은 그보다 먼저 고정된 모양이 없어 다루기 까다로운 본질적 무질서 단백질에 달라붙는 결합제를 설계하는 데 성공한 논문을 국제학술지 네이처에 발표했고, 항체의 무거운 사슬과 가벼운 사슬 전체를 컴퓨터로만 설계하는 RFantibody 연구 결과도 함께 내놓았습니다. 항체는 이미 여러 난치병 치료에 주력 약물로 쓰이고 있는 만큼, 항체의 뼈대를 컴퓨터 화면 위에서부터 설계할 수 있다는 사실은 바이오의약품 개발 전략 자체를 바꿔 놓을 잠재력을 지니고 있습니다. 구조를 읽어내는 인공지능에서, 원하는 대로 구조를 만들어내는 인공지능으로 무게 중심이 옮겨가고 있다는 뜻입니다.

이런 기술을 오래 기다려 온 곳이 바로 표적화 불가 단백질로 불리는 영역입니다. 뚜렷하게 파인 결합 포켓이 없어 약물이 붙잡을 손잡이가 마땅치 않은 단백질, 세포 안에서 형태를 끊임없이 바꾸는 본질적 무질서 단백질, 표면이 넓고 평평해 작은 분자 하나로는 도저히 막아낼 수 없는 단백질과 단백질 사이의 결합 부위, 이런 대상들이 오랫동안 신약개발 후보 명단에서 제외되어 왔습니다. 정적인 결정 구조 사진 한 장만으로는 이런 단백질을 설계 대상으로 삼기 어려웠기 때문입니다. 수백만 개의 서열과 구조 데이터를 학습한 생성형 인공지능은 이 벽을 다른 방식으로 넘고 있습니다.

본질적 무질서 단백질이라는 이름은 낯설어도 뜻은 어렵지 않습니다. 대부분의 단백질이 종이접기처럼 정해진 모양으로 착 접히는 것과 달리, 이 단백질은 고정된 형태 없이 물속에서 계속 흐느적거립니다. 손에 잡히는 모양이 없으니 맞춰 볼 열쇠 구멍도 마땅히 없었던 셈이

고, 그래서 오랫동안 신약개발자들의 관심 밖에 머물러 있었습니다. 2026년에는 포켓이 얇은 표적만 따로 모아 성능을 겨루는 ShallowBench라는 벤치마크도 등장해, 표적화 불가 단백질을 다루는 인공지능 모델들의 실력을 촘촘히 가려내기 시작했습니다.

단백질에는 정문 말고 뒷문도 있습니다. 약물이 흔히 노리는 활성 부위가 정문이라면, 알로스테릭 부위는 활성 부위와 떨어진 단백질 표면에 있는 뒷문에 해당합니다. 이 뒷문에 작은 분자가 살짝 손을 대면 단백질 전체의 입체 모양이 바뀌면서 효소의 활성이나 신호 전달이 조절됩니다. 단백질언어모델이 뽑아낸 특징과 결합 주머니의 생김새를 함께 분석하는 DeepAllo 같은 도구는, 결정학 사진 한 장으로는 드러나지 않는 키나아제나 G단백질연결 수용체의 알로스테릭 부위를 찾아냅니다. 정문이 굳게 닫혀 있어 손댈 수 없던 단백질도, 뒷문을 이용하면 기능을 선택적으로 조절할 수 있게 되는 셈입니다.

실제 성과도 뒤따랐습니다. 알파폴드가 밝혀낸 표피성장인자수용체, 즉 EGFR 돌연변이의 구조와 KRAS 단백질의 입체 모양 변화 정보는 폐암과 유방암 환자에게 쓰이는 정밀 표적 치료제 소토라시브와 엘로티닙의 효능을 다듬는 데 실제로 쓰였습니다. 오랫동안 KRAS는 표면이 매끈해 손잡이가 없는 단백질로 악명이 높았던 표적입니다. KRAS가 암과 관련된 유전자라는 사실 자체는 오래전에 밝혀졌지만, 손에 잡히는 결합 포켓을 찾지 못해 수십 년 동안 표적화 불가능한 유전자라는 꼬리표를 떼지 못했습니다. 구조 정보가 촘촘해지면서 이런 단백질도 조금씩 공략할 방법을 찾아 나가고 있습니다.

최근에는 알파폴드 계열 모델에서 한 걸음 더 나아가, 하나의 정답 구조 대신 단백질이 오갈 수 있는 여러 형태를 한꺼번에 예측하는 앙상블 생성 연구도 활발합니다. 단백질이 결합 전과 후에 서로 다른 모양을 오간다는 점을 감안하면, 사진 한 장보다 여러 장의 스냅사진을 늘어놓는 쪽이 실제 움직임에 더 가깝게 다가서는 시도인 셈입니다.

다만 알파폴드가 내놓는 구조는 한순간을 찍은 사진 한 장에 가깝습니다. 실제 단백질은 사진 속 정지된 모습이 아니라 체온과 물 분자에 둘러싸인 채로 끊임없이 흔들리고 뒤틀리는 살아 있는 구조물입니다. 사진이 아니라 동영상으로 봐야 진짜 움직임이 보이는 것과 같은 이치입니다. 이 움직임을 계산으로 재현하는 기법이 분자동역학, 줄여서 MD 시뮬레이션입니다.

MD는 뉴턴의 운동 법칙에 따라 원자 하나하나의 위치와 속도를 아주 짧은 시간 간격으로 계속 갱신하면서, 피코초에서 밀리초에 이르는 시간 동안 단백질이 어떻게 흔들리고, 리간

드가 결합하는 순간 주변 형태가 어떻게 따라 바뀌는지를 추적합니다.

인공지능 기반 분자 도킹이 결합의 스냅사진을 빠르게 여러 장 찍어내는 역할을 한다면, MD 시뮬레이션은 그 스냅사진이 실제 체내 환경에서 얼마나 오래, 얼마나 안정적으로 유지되는지를 검증하는 역할을 맡습니다. 리간드가 결합하면서 단백질 모양이 함께 변하는 유도 적합 현상이나, 물 분자가 결합 부위를 드나들며 만드는 미세한 효과까지 MD 시뮬레이션은 붙잡아 냅니다. 도킹 결과만 보고 유망하다고 판단했던 후보 물질이 MD 시뮬레이션 단계에서 몇 시간 만에 결합이 풀려버리는 경우도 드물지 않습니다. 이런 검증을 거치고 나서야 후보 물질은 다음 단계로 넘어갈 자격을 얻습니다.

화학 결합이 새로 만들어지거나 끊어지는 순간, 그러니까 효소가 반응을 촉매하거나 약물이 표적 단백질에 공유 결합으로 들러붙는 순간의 전자 움직임은 MD 시뮬레이션으로도 정확하게 계산할 수 없습니다. 이런 미세한 전자의 세계를 다루려면 양자역학 방정식이 필요합니다. 그렇다고 단백질 전체를 양자역학으로 계산하려면 슈퍼컴퓨터로도 감당하기 어려운 시간이 듭니다. 그래서 결합이 실제로 일어나는 활성 부위 주변만 정밀한 양자역학으로 계산하고, 나머지 거대한 단백질 골격과 물 분자는 계산 비용이 싼 고전 역학으로 처리하는 양자역학과 분자역학의 혼합 계산, 줄여서 QM/MM 기법이 쓰입니다.

건물 전체를 같은 정밀도로 짓지 않고, 사람 손이 직접 닿는 문손잡이만 정밀 부품을 쓰고 나머지 벽과 기둥은 표준 자재로 세우는 것과 비슷한 발상입니다.

최근에는 양자 기계학습과 그래프 신경망을 결합한 계산법이 QM/MM에 드는 비용을 크게 낮추고 있습니다. 국내 포항공과대학교 연구진은 전하 평형 원리와 그래프 신경망을 묶은 머신러닝 포텐셜을 개발해, 양자역학 수준의 정확도에 다가서면서도 계산 속도는 훨씬 빠른 방식을 제시했습니다. 2026년 한 신약개발 컨퍼런스에서 슈뢰딩거가 공개한 워크플로우는 물리 기반 시뮬레이션과 생성형 인공지능을 이어 붙여, 단 4시간 30분 만에 1만 2천 개가 넘는 화합물 후보를 만들어 냈다고 발표해 눈길을 끌었습니다.

전임상 단계에서 화합물의 독성과 약동학적 특성까지 컴퓨터 안에서 미리 걸러내는 인실리코 검증의 신뢰도가 그만큼 높아지고 있다는 뜻입니다.

이렇게 여러 기술이 쌓이면서, 인공지능이 신약 후보를 찾아 나가는 절차는 대체로 네 단계를 거칩니다. 연구자는 먼저 병을 일으키는 단백질의 아미노산 서열을 입력합니다. 이어 알파폴드 같은 인공지능이 그 서열만으로 단백질의 3차원 구조를 예측해 냅니다. 구조가 손에

들어오면 분자 도킹 프로그램이 후보 화합물 하나하나를 그 구조의 결합 부위에 맞춰 보면서 잘 들어맞는 후보를 추려냅니다.

마지막으로 QM/MM 계산과 MD 시뮬레이션이 결합 부위 주변의 전자 움직임과 시간에 따른 안정성까지 정밀하게 다시 확인하며 최종 후보를 다듬어 냅니다. 서열 하나에서 출발해 검증된 후보 물질에 이르는 이 여정이, 과거에는 몇 년씩 걸리던 것을 지금은 몇 주나 몇 달 단위로 압축하고 있습니다.

이 흐름에서 세 번째 단계인 분자 도킹은 열쇠 구멍에 열쇠를 하나씩 맞춰 보는 일과 닮았습니다. 표적 단백질 표면에 파인 홈을 열쇠 구멍이라고 하면, 후보 물질은 그 구멍에 맞는 열쇠를 찾는 작업에 해당합니다. 다만 신약개발 현장에서는 열쇠 구멍 하나에 맞을 열쇠를 수백만, 수억 개의 후보 가운데서 동시에 시험해야 한다는 점이 다릅니다. 과거에는 AutoDock Vina나 Glide처럼 물리적 에너지 함수와 경험적 점수 매기기에 의존하는 고전적 프로그램이 이 일을 맡았습니다.

최근에는 딥러닝과 그래프 신경망, 확산 모델을 결합한 DiffDock, SurfDock, Chai-1, Boltz-1 같은 인공지능 도킹 모델이 잇달아 등장해, 표적 단백질의 표면 형태와 정전기적 특성을 학습한 뒤 유연한 결합 자세를 훨씬 빠르게 찾아냅니다. 수억 개에 이르는 화합물 라이브러리를 훑어보는 가상 스크리닝 시간이 이 덕분에 크게 줄었습니다.

단백질과 단백질이 맞물리는 도킹에서는 사정이 조금 다릅니다. ZDOCK처럼 물리 법칙에 기반한 전통적 프로그램은 결합 과정에서 일어나는 입체 구조 변화를 세밀하게 반영하는 반면, 여러 딥러닝 모델은 결합 전후의 형태가 고정되어 있다고 가정하는 정적인 형상 맞추기에 그쳐 실제 결합 환경을 왜곡하는 경우가 있습니다. 다만 단백질과 작은 분자를 잇는 도킹에서는 최근 분위기가 다릅니다.

2025년 발표된 PoseX라는 새로운 벤치마크는 훈련 데이터에 없던 낯선 단백질과 리간드 조합을 뒤섞어 시험했는데, 여기에서는 일부 인공지능 모델이 전통적 물리 기반 방법을 웃도는 결과를 보이기도 했습니다. 어느 한쪽이 완전히 우위를 점했다고 말하기는 아직 이릅니다.

2025년 6월, 매사추세츠공과대학교와 신약개발 기업 리커전이 함께 내놓은 Boltz-2는 이 흐름에 또 한 겹을 보탰습니다. 구조를 맞히는 데서 그치지 않고 결합의 세기, 즉 결합 친화도까지 같은 모델 안에서 예측하는 최초의 공동접힘 모델이기 때문입니다. 자유에너지섭동

이라 불리는 정교한 물리 기반 계산과 맞먹는 정확도를 최대 천 배 빠른 속도로 내놓는다는 평가를 받으며 학계와 업계의 관심을 동시에 모았습니다.

Boltz-2는 처음에는 오픈소스로 공개되었지만, 2026년 상반기에 나온 후속 버전 Boltz 2.1은 API 형태로만 제공되는 폐쇄형으로 전환되었습니다. 기술의 흐름이 개방에서 다시 상업화로 옮겨가는 모습을 보여 주는 사례입니다.

공개 범위를 둘러싼 줄다리기는 이 분야 전체를 관통하는 흐름으로 보입니다. 알파폴드 3가 학계에 문을 넓히고 프로텐닉스와 OpenFold3-preview 같은 대안이 뒤따르는 사이, 정작 결합 친화도까지 예측하던 Boltz-2는 후속 버전에서 문을 걸어 잠갔습니다. 좋은 예측 모델 하나를 만드는 일 못지않게, 그 모델을 누구에게 얼마나 열어 둘 것인지를 정하는 일도 이 생태계의 승부를 가르는 요인이 되고 있는 것으로 보입니다.

화려한 성과 이면에는 아직 풀리지 않은 결함도 뚜렷합니다. PoseBusters라는 엄격한 검증 기준으로 알파폴드 3의 결합 자세 예측 결과를 따져 보면, 기본 데이터셋에서는 76퍼센트 남짓이고, 채점 기준을 느슨하게 바꾸어도 84퍼센트 안팎에 머무릅니다. 정작 심각한 문제는 따로 있습니다. 딥러닝 모델이 내놓은 결합 자세 가운데는 원자와 원자가 물리적으로 서로 겹쳐 버리거나, 거울에 비친 모양처럼 방향이 반대인 광학 이성질체를 구분하지 못하는, 현실에서는 있을 수 없는 구조가 드물지 않게 섞여 있습니다.

학습 데이터와 비슷한 결합 유형을 마주하면 인공지능은 놀랄 만한 정확도를 보이지만, 한 번도 본 적 없는 낯선 단백질이나 완전히 새로운 화합물 앞에서는 예측력이 뚝 떨어지는 모습도 여러 벤치마크에서 되풀이해 확인되었습니다. 그래서 인공지능이 내놓은 결합 자세를 물리 기반 계산으로 한 번 더 다듬어 어색한 구조를 바로잡는 절차가, 정확도를 끌어올리는 실질적인 해법으로 굳어지고 있습니다.

이 문제를 정면으로 겨냥한 곳이 2021년 구글 딥마인드에서 분사해 출범한 아이소모픽 랩스입니다. 2026년 2월 이 회사가 공개한 IsoDDE는 훈련 데이터와 서열 유사도가 20퍼센트에도 못 미치는, 그야말로 낯선 리간드 결합 사례에서 알파폴드 3보다 약 두 배 높은 정확도를 보였다고 발표했습니다. 아이소모픽 랩스는 노바티스, 일라이릴리, 존슨앤드존슨 같은 대형 제약회사와 손잡고 신약 후보를 함께 개발하는 한편, 종양학과 면역학 분야에서 자체 후보 물질도 키워 왔습니다.

데미스 허사비스는 2026년 1월 다보스포럼에서, 애초 2025년으로 잡았던 첫 임상시험 일정이 2026년 말로 늦춰졌다고 밝히면서도 환자 투약이 머지않았다는 뜻을 분명히 했습니다. 2026년 초에는 존슨앤드존슨이 알파폴드 3를 바탕으로 단백질과 단백질 사이의 결합을 막는 새로운 억제제를 설계하는 심화 협력에 나섰다고 발표하기도 했습니다.

국내에서도 관련 연구가 뒤따르고 있습니다. 카이스트 연구진은 약물이 표적 단백질에 붙는 지 여부를 넘어, 붙은 뒤에 실제로 원하는 대로 작동하는지까지 함께 예측하는 인공지능을 선보였습니다. 결합 여부만 보던 기존 모델의 눈높이를 한 단계 끌어올린 시도입니다. 서울대학교 화학부 석차옥 교수가 2020년에 세운 스타트업 갤럭시는 알파폴드가 등장하기 전부터 국제 단백질 구조 예측 대회에서 최상위권 성적을 거둔 이력을 바탕으로, 물리 법칙을 뼈대로 삼은 인공지능으로 단백질을 설계합니다. LG화학과는 항암 단백질을 함께 개발하는 협력을 진행했고, 그동안 모은 투자금은 680억 원에 이릅니다.

같은 시기 국내에서 문을 연 심플렉스도 눈여겨볼 만합니다. 글로벌 제약회사 GSK와 BMS, 암젠에서 20년 넘게 신약 연구 플랫폼을 개발해 온 조성진 대표가 세운 이 회사는, 예측 결과가 나온 이유를 함께 보여 주는 설명 가능한 인공지능을 앞세워, 임상 단계에 들어가기 전에 실패할 가능성이 큰 후보를 미리 걸러내는 데 강점을 두고 있습니다.

구조를 직접 확인하는 실험 기법도 인공지능과 손을 잡았습니다. 초저온 전자현미경 영상을 처리하는 소프트웨어 릴리온이나 크라이오스파크에는 입자를 골라내고 분류하고 3차원으로 다시 짜 맞추는 작업을 자동화하는 인공지능이 도입되어, 몇 주씩 걸리던 처리 시간을 몇 시간으로 줄여 놓았습니다. 형태가 흐릿해 해석하기 어려운 밀도 지도 앞에서는 알파폴드가 내놓은 예측 구조가 참고 지도 구실을 하며 모델을 짜 맞추는 과정을 돕습니다. 실험 장비가 만들어 낸 흐릿한 원시 데이터와 인공지능이 미리 그려 둔 정답에 가까운 지도가 서로 앞뒤를 맞추어 가는 구조로 바뀐 셈입니다.

화이자, 노바티스, 아스트라제네카를 비롯한 대형 제약회사들이 알파폴드와 RoseTTAFold를 사내 신약개발 파이프라인에 들여놓은 것도 이런 흐름과 맞닿아 있습니다. 구조생물학 부서가 예측 모델을 돌리는 전산팀과 한 사무실을 쓰는 광경도 이제는 낯설지 않습니다. 실험과 계산이 번갈아 서로를 검증하는 순환 구조가, 표적 단백질 하나를 파악하는 데 걸리는 시간을 계속 줄여 나가고 있습니다.

이 모든 예측의 바탕에는 딥러닝 특유의 불투명함이 여전히 남아 있습니다. 신경망이 왜 특정 원자 배치를 정답으로 골랐는지, 그 판단의 안쪽 논리를 연구자가 한 줄 한 줄 따라가며 설명하기는 아직 쉽지 않습니다. 결합 친화도 점수 하나가 어떤 물리적 근거에서 나왔는지 되짚기 어려운 이런 특성 때문에, 계산 결과는 최종 답이 아니라 실험으로 좁혀야 할 후보 목록으로 다뤄지고 있습니다.

이런 흐름 전체에 공식적인 이정표를 세운 사건이 2024년 노벨 화학상입니다. 스웨덴 왕립 과학원은 그해 노벨 화학상의 절반을 데이비드 베이커에게, 나머지 절반을 데미스 허사비스와 존 점퍼에게 공동으로 수여했습니다. 베이커는 자연에 없는 새로운 단백질을 설계해 낸 공로를, 허사비스와 점퍼는 아미노산 서열만으로 단백질의 구조를 예측해 낸 공로를 인정받았습니다. 상금 1100만 스웨덴 크로나가 실험실 연구자 한 명이 아니라 인공지능 기업 최고 경영자와 연구원, 그리고 대학교수에게 나란히 돌아갔다는 사실 자체가 이례적이었습니다.

화학과 생물학의 오랜 난제를 컴퓨터 계산으로 풀어낸 성과를 과학계 스스로 최고 권위로 인정한 셈이며, 이후 제약업계 전반이 인공지능 기반 구조 예측을 주변부 실험이 아니라 신약개발의 표준 절차로 받아들이는 흐름에 속도가 붙었습니다. 한동안 컴퓨터공학 쪽의 실험적 시도로만 여겨지던 방법론이 불과 몇 년 사이에 노벨상을 받는 정통 과학의 반열에 오른 셈이며, 이런 인정은 거꾸로 더 많은 젊은 연구자를 이 분야로 끌어들이는 역할도 하고 있습니다.

구조를 얻는 방법이 실험 하나에서 계산 여러 겹으로 늘어나면서, 신약개발 초기 단계의 병목은 이제 구조를 모른다는 데 있지 않습니다. 쏟아지는 예측 구조와 결합 후보 가운데 무엇을 실험대 위에 먼저 올릴지 고르는 판단으로 병목이 옮겨 가고 있는 것으로 보입니다.

단백질 한 개의 서열을 입력해 짧은 시간 안에 예측 구조를 받아 보는 일, 그 구조 위에서 수억 개의 화합물을 시험해 보는 일, 유망한 후보를 물리 계산으로 다시 검증하는 일이 이제는 여러 제약회사와 스타트업의 일상적인 업무로 굳어졌습니다. 다만 컴퓨터 화면 속에서 완성된 결합 자세가 실제 사람의 몸속에서도 그대로 유지되는지는, 결국 표면 플라즈몬 공명이 나 엑스선 결정학 같은 전통적인 실험대 위에서 다시 한번 확인해야 합니다. 예측과 실험이 주고받는 이 왕복 작업이 빨라질수록, 오랫동안 손댈 수 없다고 여겨졌던 단백질의 목록도 조금씩 짧아지고 있습니다.

구조를 정확히 맞히는 일과 그 구조 위에서 결합의 세기를 정확히 재는 일은 다른 문제입니다. 알파폴드나 Boltz 계열 모델이 원자 하나하나의 위치를 실험 결과와 거의 똑같이 맞혀 내도, 그 결합이 몸속에서 얼마나 강하게 얼마나 오래 유지되는지를 가리키는 결합 친화도 예측은 여전히 답을 내기 어려운 채로 남아 있습니다. 결합 친화도는 정지된 사진 한 장으로 는 잡히지 않는 값이기 때문입니다. 물 분자가 결합 부위를 드나드는 정도, 사슬이 접히면서 잃어버리는 자유도, 아미노산과 리간드가 저마다 어떤 하전 상태로 있는지까지 모두 더하고 빼야 값 하나가 나옵니다.

Boltz-2는 어떤 검증에서는 물리 기반 계산과 맞먹는 성적을 냈지만, 형태가 계속 바뀌는 단백질을 대상으로 한 다른 검증에서는 실제 활성이 있는 화합물조차 무작위로 고른 것과 비슷한 성적을 내기도 했습니다. 실험으로 결합 세기를 잴 때조차 1kcal/mol 안팎의 오차가 끼어든다는 사실을 생각하면, 계산이 아무리 정교해져도 이 밑으로는 좀처럼 내려가기 어려운 벽이 처음부터 놓여 있는 셈입니다.

이런 예측 도구가 널리 퍼지면서 전혀 다른 걱정도 함께 자랐습니다. 자연에 없는 단백질을 그려내는 도구가 누구나 손닿는 곳에 놓이면, 위험한 단백질을 서열만 살짝 바꾸어 감시망을 피해 가는 길도 함께 열리기 때문입니다. 미국 정부는 2025년 5월 행정명령을 통해 생물학 연구의 안전과 보안을 개선하도록 지시하며 정부 지원 연구에 쓰는 합성 핵산의 심사 기준을 다시 짜라고 못박았습니다. 다섯 달 뒤인 10월에는 마이크로소프트 최고과학책임자 에릭 호비츠가 이끈 연구진이 그 심사망에 뚫린 구멍을 국제학술지 사이언스에 발표했습니다.

이들은 리신과 보툴리눔 신경독소를 포함한 위험 단백질 72종의 서열을 공개된 인공지능 설계 도구로 바꾸어 컴퓨터 안에서 7만 6천 개 넘는 설계도를 만들어 보았고, 그 가운데 상당수가 유전자 합성회사들이 쓰던 기존 감시 소프트웨어를 그대로 통과할 뻔했다는 사실을 확인했습니다. 실제로 단백질을 합성하지는 않은 컴퓨터 안에서의 실험이었지만, 연구진은 국제 유전자 합성 컨소시엄과 함께 소프트웨어를 손보았고, 그 뒤로도 변형된 서열의 3퍼센트가량은 여전히 걸러지지 않았습니다.

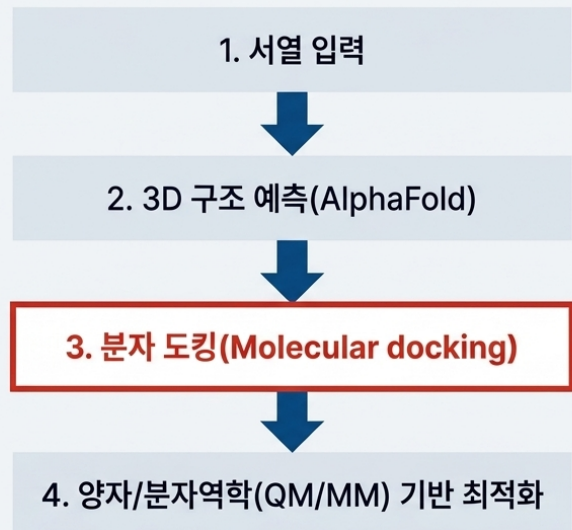
계산이 내놓는 답과 그 답을 실제로 믿어도 되는지 확인하는 능력 사이의 간격은 이 분야 전체에서 되풀이되는 문제로 보입니다. 결합력을 재는 일에서든 위험한 서열을 가려내는 일에서든, 만들어 내는 능력이 검증하는 능력보다 앞서 달리는 구도는 앞으로도 한동안 이어질 가능성이 큼니다.

3D 단백질 구조 예측과 구조 기반 약물 설계 (SBDD)

2.1 3D 단백질 구조 예측과 구조 기반 약물 설계 (SBDD)

AlphaFold 3와 고도화된 시뮬레이션을 통해 표적화 불가(Undruggable) 단백질의 한계를 돌파합니다.

- AlphaFold 3, ESMFold, RoseTTAFold는 핵산, 리간드 등을 포함한 복합체의 3D 단백질 구조 예측 정확도를 실험실 수준으로 끌어올렸습니다. 끌어올렸습니다.
- 알로스테릭 부위(Allosteric sites) 설계와 분자 동역학(MD) 시뮬레이션으로 단백질-리간드 간의 동적인 상호작용 변화를 예측합니다.



2.2

딥러닝 기반 후보물질 생성 (De Novo Design)

2022년, 중국 상하이의 한 제약회사 실험실에서 컴퓨터 한 대가 특발성 폐섬유증이라는 병을 고칠 물질 하나를 그려냈습니다. 특발성 폐섬유증은 폐 조직이 원인 없이 서서히 딱딱해져 숨쉬기가 힘들어지는 난치병입니다. 진단을 받은 뒤 평균 생존 기간이 서너 해 안팎에 그칠 만큼 무거운 병이어서, 새로운 치료제를 향한 환자들의 기다림은 절박했습니다. 이 물질을 설계한 회사는 인실리코 메디슨(Insilico Medicine)이며, 표적으로 삼은 것은 세포 안에서 염증과 섬유화 신호를 실어 나르는 효소인 TNIK였고, 이렇게 태어난 물질에는 ISM001-055라는 이름이 붙었습니다.

표적을 정한 때로부터 사람을 대상으로 한 임상 1상 시험에 들어가기까지 걸린 시간은 서른 달, 세 해가 채 되지 않았습니다. 인공지능이 표적 발굴부터 분자 설계까지 도맡아 임상시험 진입까지 이룬 사례는 당시로서는 세계적으로도 손에 꼽혔습니다. 2025년, 국제 학술지 네이처메디슨과 미국흉부학회 학술대회에서 임상 2a상 결과가 공개되었습니다. 중국 21개 병원에서 환자 71명을 모아 진행한 이 시험은 안전성이라는 목표를 채웠고, 폐가 얼마나 많은 공기를 들이마시고 내쉬는지 재는 지표인 노력성 폐활량도 투여량이 늘수록 함께 좋아졌습니다.

2026년 7월 7일에는 임상 3상 시험에 들어간다는 발표가 나왔습니다. 사람이 수십 년째 시행착오로 찾아 헤매던 신약 후보를, 컴퓨터가 백지에서 그려 내고 그 결과를 환자의 몸으로 하나씩 확인해 나가고 있습니다. 이 물질은 이후 렌토세르티브라는 국제일반명까지 받았는데, 국제일반명은 세계보건기구가 부여하는 공식 약물 이름으로, 한 회사의 실험실 코드명을 넘어 전 세계가 함께 부르는 정식 의약품으로 대접받기 시작했다는 뜻이기도 합니다.

신약 후보 하나가 표적 발견에서 동물 실험을 통과하기까지, 전통적인 방식으로는 4년에서 6년이 넘는 시간과 막대한 돈이 듭니다. 제약업계에서 자주 인용되는 추산으로는, 신약 하나를 시장에 내놓기까지 드는 비용이 20억 달러를 넘습니다. 이 과정에서 대부분의 후보 물질은 중간에 떨어져 나가는데, 업계 사람들은 이 구간을 죽음의 계곡이라 부릅니다. 이런 흐름을 가리켜 업계에서는 이룸의 법칙(Eroom's Law)이라는 말도 씁니다. 반도체 성능이 꾸준히 좋아진다는 무어의 법칙을 거꾸로 뒤집은 이름으로, 신약 하나를 개발하는 데 드는 비

용과 시간은 기술이 발전해도 오히려 갈수록 늘어난다는 뜻입니다.

임상시험 단계까지 올라간 후보 물질조차 최종 승인까지 살아남는 비율은 열에 하나가 채 되지 않는다는 것이 업계에서 오래 통용되는 경험칙입니다. 인공지능이 처음 이 산업에 들어왔을 때 맡은 역할은 징크(ZINC)나 에나민 리얼(Enamine REAL)처럼 수십억 개의 화합물이 쌓인 창고를 빠르게 뒤지는 일이었습니다. 컴퓨터는 수조 개에 이르는 화합물을 눈 깜짝할 사이에 훑어 유망한 후보를 골라낼 수 있었지만, 이렇게 찾아낸 물질은 어차피 누군가 이미 만들어 창고에 넣어 둔 것에 지나지 않았습니다. 창고 안에 정답이 없다면, 아무리 빨리 뒤져도 정답을 찾을 수 없습니다.

딥러닝이 신약 개발에 새로 들고 온 것은 창고를 더 빨리 뒤지는 기술이 아니라, 창고에 없는 물건을 아예 새로 만들어 내는 능력입니다. 과학자들은 약이 될 수 있는 성질을 지닌 분자가 이론적으로 10의 60제곱에서 10의 100제곱 개에 이른다고 추산합니다. 우주에 있는 별의 수가 10의 24제곱 정도로 어림되니, 화학이 품고 있는 가능성의 크기는 밤하늘의 별보다도 헤아릴 수 없이 큼니다. 이런 숫자는 조합의 힘에서 나옵니다. 레고 블록 열 종류만 가지고도 스무 개를 이어 붙이는 방법의 수는 이미 우리 머리로 셀 수 없을 만큼 불어납니다.

실제로 레고 회사가 계산한 결과, 완전히 똑같이 생긴 블록 여섯 개만 쌓아도 나올 수 있는 모양은 9억 가지가 넘습니다. 그런데 실제 분자를 이루는 원자의 종류는 백 가지가 넘고, 이 원자들을 사슬로, 가지로, 고리로 이어 붙이는 방식까지 더하면 그 조합은 레고보다 훨씬 사나운 속도로 불어납니다. 사람이 실험실에서 한 세기 동안 만들어 시험해 본 화합물의 수는 이 큰 공간에 견주면 셀 수 없을 만큼 작습니다.

이 광활한 공간에서 컴퓨터가 새 분자를 그리려면, 먼저 분자를 숫자와 글자로 옮겨 적을 방법이 있어야 합니다. 널리 쓰인 방법이 스마일스(SMILES)입니다. 스마일스는 탄소와 산소, 질소 같은 원자와 그 사이의 결합을 알파벳과 기호 몇 개로 받아 적는 표기법으로, 분자를 짧은 문장처럼 한 줄로 풀어 씁니다. 사람이 불러 주는 대로 받아쓰듯, 컴퓨터는 스마일스라는 글자를 보고 분자의 생김새를 읽고 쓰는 법을 익힙니다. 예를 들어 커피와 차에 들어 있는 카페인 CN1C=NC2=C1C(=O)N(C(=O)N2C)C라는 문자열 하나로 통째로 표현됩니다.

탄소와 질소, 산소가 어떤 순서로 이어지고 어디서 고리를 이루는지가 이 짧은 줄 안에 빠짐 없이 담겨 있는 것입니다. 문제는 글자 줄이 너무 예민하다는 데 있습니다. 문장 하나에서 철자 하나만 틀려도 뜻이 통하지 않는 것처럼, 스마일스 문자열도 딱 한 글자만 어긋나면 화학

적으로 존재할 수 없는 가짜 분자를 만들어 냅니다. 생성 모델이 수만 개의 후보를 쏟아낼 때마다 이런 헛것이 뒤섞여 나오는 탓에, 연구자들은 오랫동안 이 표기법의 약점과 씨름해야 했습니다.

셀피스(SELFIES)라는 표기법은 이 약점을 정면으로 겨냥해 만들어졌습니다. 셀피스로 적은 문자열은 어떻게 조합해도 반드시 실제로 존재할 수 있는 분자로 옮겨진다는 점을 수학적으로 보장합니다. 가장자리 모양이 서로 어긋나지 않게 미리 깎아 놓은 퍼즐처럼, 셀피스는 잘못 이어 붙일 여지 자체를 없애 버린 것입니다.

이 표기법이 널리 쓰이기 시작하면서 인공지능 모델을 훈련하는 과정이 눈에 띄게 안정되었고, 문자열 하나하나를 믿고 분자로 바꿔 쓸 수 있게 되었습니다. 다만 스마일스든 셀피스든 한 줄짜리 문자열이라는 점은 같아서, 원자들이 실제 공간에서 어떤 모양으로 놓이는지는 따로 알려 주지 못합니다.

분자를 한 줄짜리 문자열이 아니라 그물처럼 얽힌 구조 그 자체로 다루는 기술이 그래프 신경망(GNN)입니다. 원자 하나하나를 점으로 놓고 원자 사이의 화학 결합을 그 점들을 잇는 선으로 그리면, 분자는 지하철 노선도와 비슷한 그물 모양이 됩니다. 그래프 신경망은 이 노선도를 그대로 읽어 들여 각 원자 주변의 전자 환경과 입체적인 생김새를 함께 학습합니다. 그래프 합성곱 신경망이나 그래프 어텐션 네트워크로 불리는 모델들은 이렇게 익힌 정보를 바탕으로, 어떤 분자가 표적 단백질에 얼마나 잘 들러붙을지, 물에는 얼마나 잘 녹을지를 상당히 정확하게 미리 알려 줍니다.

수만, 수십만 개에 이르는 후보 분자를 사람이 일일이 눈으로 보지 않고도 컴퓨터가 먼저 걸러 내는 가상 스크리닝의 속도와 정확도는 이 기술 덕분에 크게 높아졌습니다.

그래프 합성곱 신경망은 이웃한 원자의 정보를 여러 층에 걸쳐 끌어모아 분자 전체의 특징을 요약하는 방식으로 작동하고, 그래프 어텐션 네트워크는 여기에 더해 어떤 이웃 원자가 더 중요한지를 스스로 가중치로 매깁니다. 표적 단백질의 결합 주머니 한가운데 놓인 원자와 분자 가장자리에 놓인 원자는 결합력에 미치는 영향이 서로 다른데, 어텐션 방식은 이런 차이를 스스로 구분해 냅니다. 이런 예측 능력 덕분에 연구자들은 수백만 개의 후보를 일일이 합성해 시험관에 넣어 보지 않고도, 컴퓨터 안에서 대부분을 먼저 걸러 내고 정말 가능성 있는 수백 개만 실험대에 올릴 수 있게 되었습니다.

분자를 읽고 쓰는 언어를 갖췄다면, 그다음은 그 언어로 실제로 새로운 글을 짓는 일입니다. 이 창작을 맡는 세 기술이 변분 자가부호기(VAE), 생성적 적대 신경망(GAN), 그리고 확산 모델입니다. 변분 자가부호기는 수많은 화합물을 학습해, 분자 하나하나의 복잡한 생김새를 좌표 하나로 압축하는 인코더와 그 좌표를 다시 온전한 분자로 되살리는 디코더로 이루어져 있습니다. 이렇게 압축된 좌표 공간 안에서는 좌표를 아주 조금만 움직여도 원래 분자와 뼈대는 비슷하면서 녹는 정도나 독성 같은 성질만 살짝 나아진 분자를 얻을 수 있습니다.

이 방식은 요리 재료의 배합을 조금씩 바꿔 가며 새 요리를 찾는 요리사의 노트와 닮았습니다. 소금을 반 스푼만 줄이고 설탕을 살짝 더하면 전혀 다른 요리가 아니라 본래 요리와 맛의 뼈대는 같으면서 훨씬 나아진 요리가 나오는 것처럼 말입니다. 정선 트리 변분 자가부호기라는 발전된 모델은 원자를 하나씩 붙이는 대신 이미 화학적으로 뜻이 통하는 작은 덩어리를 단위로 삼아 분자를 짓기 때문에, 결과물이 훨씬 현실적입니다.

생성적 적대 신경망은 이와 다른 방식으로 거릅니다. 가짜 분자를 끊임없이 만들어 내는 생성자와, 그 분자가 진짜 약물 데이터베이스에 있던 것인지 생성자가 지어낸 것인지 가려내는 판별자가 서로 맞서면서 함께 실력을 키우는 구조입니다. 생성자는 판별자를 속이려고 갈수록 진짜와 구별하기 어려운 분자를 만들어 내게 됩니다. 인실리코 메디슨은 이 생성적 적대 신경망에 강화학습을 더한 GENTRL이라는 모델로, 섬유증과 신경퇴행성 질환에서 중요한 표적인 DDR1 키나아제를 억제하는 후보 물질을 단 21일 만에 찾아낸 적이 있습니다.

다만 이 기술에는 뚜렷한 약점도 있습니다. 훈련 과정이 수학적으로 불안정해서, 모델이 다양성을 잃고 몇 가지 비슷한 모양의 분자만 반복해서 내놓는 모드 붕괴라는 현상에 자주 빠집니다. 이런 불안정함 탓에 최근 몇 해 사이 신약 설계 분야에서는 무게중심이 생성적 적대 신경망에서 확산 모델 쪽으로 옮겨 가는 흐름이 뚜렷합니다.

확산 모델은 사진을 복원하는 과정에서 힌트를 얻은 기술입니다. 깨끗한 사진에 잡음을 조금씩 더해 완전히 뿌옇게 만든 다음, 그 잡음을 거꾸로 한 겹씩 벗겨 내며 원래 사진을 되살리는 훈련을 하는 것입니다. 이 원리를 분자에 그대로 옮기면, 무작위한 잡음 덩어리에서 출발해 잡음을 한 단계씩 걷어 내는 사이에 또렷한 분자 구조가 떠오르게 됩니다. 약이 몸속에서 실제로 일을 하려면 평면이 아니라 입체로 표적 단백질에 들어맞아야 하는데, 최근의 3차원 확산 모델은 분자를 돌리거나 옮겨도 그 성질이 흐트러지지 않도록 수학적으로 다듬은 구조를 갖추고 있어 비현실적으로 뒤틀린 분자를 애초에 걸러 냅니다.

GeoDiff나 DiffDock, DiffSBDD 같은 모델은 표적 단백질의 결합 주머니 모양을 읽어 내고, 그 굴곡에 꼭 맞는 원자 배치와 3차원 좌표를 함께 그려 냅니다. DiffLinker라는 모델은 따로 떨어진 화합물 토막들을 3차원 공간에서 자연스럽게 이어 붙이는 구조까지 만들어 냅니다. 2026년 초에 발표된 GlintDM 모델은 결합력과 약물다운 성질을 동시에 최적화하면서도 계산 비용을 크게 줄였고, 같은 해에 나온 DiffGui 모델은 컴퓨터 안에서 그치지 않고 실제 실험실에서 물질을 합성해 시험하는 습식 실험까지 거쳐 설계한 분자가 정말로 작동한다는 사실을 확인했습니다.

표적 단백질의 결합 주머니 정보를 직접 이용해 분자를 짓는 방식을 구조 기반 생성이라 부르고, 표적의 입체 구조 없이 이미 알려진 활성 물질의 특징만으로 비슷한 성질의 새 분자를 짓는 방식을 리간드 기반 생성이라 부릅니다. 단백질 구조가 실험으로 규명되어 있다면 구조 기반 방식이 더 정확한 결과를 내놓지만, 구조를 아직 모르는 표적도 많은 탓에 두 방식은 오늘날에도 나란히 함께 쓰이고 있습니다.

확산 모델이나 생성적 적대 신경망이 아무리 많은 분자를 쏟아 내도, 그중에는 표적에는 잘 붙지만 몸에는 해로운 물질이 섞여 있기 마련입니다. 여러 조건을 동시에 만족하는 쪽으로 방향을 잡아 주는 기술이 강화학습입니다. 강화학습은 컴퓨터 안의 에이전트가 분자 구조를 조금씩 바꿔 보고, 그 결과에 점수를 매기는 평가 함수로부터 상과 벌을 받으며, 점수를 많이 쌓는 방법을 스스로 터득해 가는 학습 방식입니다. 이때 점수는 약효 하나만으로 매겨지지 않습니다. 몸속에서 얼마나 잘 흡수되고 퍼지고 분해되어 빠져나가는지, 독성은 없는지를 아우르는 지표인 ADMET, 그러니까 흡수·분포·대사·배설·독성이 물에 녹는 정도나 뇌로 통하는 관문인 혈액뇌장벽 투과성, 심장에 주는 부담과 함께 점수에 반영됩니다.

아스트라제네카 연구진이 다듬은 REINVENT 4라는 플랫폼은 언어 모델처럼 분자를 다루는 인공지능에 강화학습을 결합해, 표적에 대한 효과는 끌어올리면서 엉뚱한 곳에 작용해 생기는 부작용 위험은 낮추는 쪽으로 분자 구조를 되풀이해 다듬어 나갑니다. 2025년 이후에는 강화학습을 확산 모델과 아예 하나로 묶어, 여러 표적에 동시에 들어맞는 분자를 입체 구조까지 갖춰 설계하는 연구도 이어지고 있습니다.

2025년과 2026년 사이에는 강화학습을 다른 기술과 아예 하나로 묶는 연구가 부쩍 늘었습니다. MDRL이라는 방법은 확산 모델과 강화학습을 통째로 엮어 서로 다른 여러 표적에 동시에 들어맞는 분자를 입체 구조까지 갖춰 설계합니다. POLO라는 방법은 사람의 선호를 여러 차례에 걸쳐 대화하듯 반영하며 후보 물질을 다듬어 나가고, MolMem이라는 방법은

과거에 시도했던 결과를 기억해 두었다가 적은 횟수의 시도만으로도 목표에 다가가도록 돕습니다. 시행착오를 컴퓨터 안에서 미리 겪게 하고 그 기억을 다음 설계에 쓰게 하는 방향으로, 강화학습 자체도 빠르게 진화하고 있습니다.

이렇게 분자를 짓는 기술은 작은 화합물에만 머물지 않습니다. 2025년, 카이 디스커버리 (Chai Discovery)라는 회사가 내놓은 Chai-2 모델은 항체를 완전히 백지에서 설계해 냈습니다. 기존에 알려진 항체나 결합 물질을 본뜨지 않고, 표적으로 삼은 단백질의 정보만으로 새 항체와 나노항체를 그려 낸 것입니다. 나노항체는 낙타나 알파카 같은 동물의 몸에서만 자연적으로 만들어지는, 일반 항체보다 훨씬 작고 다루기 쉬운 결합 단백질입니다. 연구진이 한 번도 다뤄 본 적 없는 표적 쉐도 개를 골라 시험한 결과, 표적마다 스무 개 안팎의 후보만 만들었는데도 그 절반에서 실제로 들러붙는 항체를 찾아냈으며, 설계를 시작해 실험실에서 결과를 확인하기까지 두 주가 채 걸리지 않았습니다.

이전 세대의 컴퓨터 설계 기술과 비교하면 성공률이 백 배 넘게 뛰었습니다. 작은 분자를 새로 짓던 생성 기술이 이제는 몸을 지키는 복잡한 단백질 무기인 항체 설계까지 손을 뻗었습니다. 이렇게 완성된 항체 후보 가운데 86퍼센트 이상은 실제 치료용 항체와 견줄 만한 안정성과 생산 가능성을 갖췄다는 평가까지 받았으며, 같은 해 11월에는 뒤이은 연구에서 더 다루기 힘든 표적을 상대로 한 항체 설계 결과까지 추가로 공개되었습니다.

표현이 바탕이라면, 생성은 그 바탕 위에서 실제로 손을 놀리는 작업입니다. 사람 화학자가 몇 달에 걸쳐 손으로 분자를 그리고 다듬던 일을, 이제는 컴퓨터가 하루 이틀 사이에 수만 가지 대안으로 대신 그려 보여 줍니다. 확산 모델과 강화학습이 맞잡고 목표에 맞는 새 분자를 지어내고 나면, 남은 일은 그 결과물을 세상 밖으로 밀어내는 것입니다.

새로 지은 분자를 아직 아무도 가 보지 않은 화학 공간 쪽으로 계속 밀고 나가는 일과, 이미 세상에 나와 있는 약을 전혀 다른 병에 다시 쓰는 길을 찾는 일, 이 두 가지가 함께 이루어지는 단계가 바로 확장입니다. 이 단계에 이르러야 실험실 안에 갇혀 있던 인공지능의 상상력이 비로소 환자 앞에 놓일 약으로 이어집니다.

약을 다시 쓰는 인공지능은 병과 표적, 약물 사이의 관계를 하나의 커다란 지식 그물로 엮는 데서 출발합니다. 그래프 신경망과 자연어 처리 기술이 수백만 건에 이르는 의학 논문과 유전자 발현 자료를 훑어, 사람 연구자가 미처 눈여겨보지 못한 약과 병 사이의 숨은 연결 고리를 찾아냅니다. 이런 지식 그물 하나에는 수천 종의 질병과 수만 종의 약물, 그리고 그 사이

를 잇는 수백만 개의 관계가 담기기도 합니다. 영국의 베네볼런트에이아이(BenevolentAI)는 이 지식 그물을 분석해, 류머티즘 관절염 치료제인 바리시티닙이 코로나19가 일으키는 과도한 염증 반응을 가라앉히는 동시에 바이러스가 세포 안으로 들어가는 길목까지 막을 수 있다는 사실을 찾아냈습니다.

이 예측은 실제 대규모 임상시험으로 이어졌고, 결국 코로나19 치료제로서 긴급 사용 승인을 받는 데까지 나아갔습니다. 이미 안전성이 확인된 약에 새 쓰임새를 붙이는 이 접근은, 새 분자를 처음부터 만드는 길보다 훨씬 짧은 시간에 환자 앞에 다다를 수 있다는 점에서 매력적입니다.

그런데 확산 모델과 강화학습이 아무리 그럴듯한 분자를 그려 내도, 그 그림을 실제 실험실에서 만들어 낼 수 없다면 아무 소용이 없습니다. 컴퓨터 화면 위에서 원자와 결합이 논리적으로 맞아떨어진다고 해서, 그 분자를 실제로 합성할 수 있다는 뜻은 아닙니다. 건축 설계도 위에서는 어떤 모양의 건물이든 그릴 수 있지만, 막상 그 땅에 건물을 세우려면 자재를 구할 수 있는지, 그 무게를 버틸 기둥을 세울 수 있는지를 다시 따져야 하는 것과 같은 이치입니다. 연구자들 사이에서는 이 문제를 두고 실험실 안의 코끼리라는 말까지 나옵니다. 누구나 알면서도 좀처럼 다루지 못하는 큰 문제라는 뜻입니다. 이 간극을 메우는 기술이 역합성 계획입니다.

목표로 삼은 복잡한 분자를 시중에서 값싸게 구할 수 있는 원료 물질까지 거꾸로 한 단계씩 쪼개 나가는 방식으로, 합성 경로를 찾는 일도 화학 공간을 탐색하는 일과 다르지 않아서, 후보가 되는 경로의 수가 많게는 수백만 가지에 이르기도 합니다. AiZynthFinder나 AskCos 같은 도구는 이 수백만 건의 화학 반응 자료를 딥러닝과 트리 탐색으로 분석해 저렴한 수를 높은 경로를 찾아 줍니다. 이 트리 탐색은 여러 경로를 미리 따라가 보며 성공 가능성이 높은 길을 고르는 방식으로 작동하는데, 강화학습이 좋은 선택에 상을 주며 배우는 방식과 닮아 있습니다.

합성 가능성을 높이는 일이 말처럼 간단하지만은 않습니다. 이미 잘 알려진 반응과 재료로만 분자를 짓게 하면 만들기는 쉬워지지만, 그 결과물은 기존 화합물과 비슷해져 새로움을 잃기 쉽습니다. 반대로 화학 공간의 낯선 구석까지 욕심껏 밀고 나가면 독창적인 분자는 얻을 수 있어도 실제로 만들 수 있는지는 장담하기 어려워집니다. 2025년의 한 연구는 이 문제를 다양성과 합성 가능성, 생물학적 효능이라는 세 마리 토끼를 동시에 쫓아야 하는 과제로 정리했는데, 하나를 쫓다 보면 다른 하나를 놓치기 쉽다는 점이 이 분야의 오래된 고민입니다.

니다.

2026년 7월, 인실리코 메디슨은 서울에서 열린 국제머신러닝학회(ICML)에서 ChemCensor라는 새 평가 기준을 발표했습니다. 정답을 얼마나 맞혔는지만 기계적으로 세는 기존 방식 대신, 실제 화학자가 반응 중심과 작용기를 보고 판단하는 방식에 가깝게 역합성 경로의 좋고 나쁨을 가리려는 시도입니다. 최근에는 PrexSyn이나 SynLlama처럼, 합성 가능성을 결과물을 걸러 내는 마지막 단계가 아니라 분자를 짓는 과정 자체에 처음부터 심어 넣으려는 연구도 이어지고 있습니다.

일부 실험실은 이 과정을 아예 로봇에 맡겨, 설계와 합성과 시험을 사람 손을 거치지 않고 잇달아 돌리는 자동화 실험실을 시험하고 있습니다. 사람이 밤새 실험을 지켜보지 않아도 로봇이 정해진 순서를 스스로 반복하는 만큼, 후보 하나를 검증하는 데 걸리는 시간도 눈에 띄게 줄어들고 있습니다.

2026년 현재 인공지능을 거쳐 나온 신약 후보 파이프라인은 전 세계에서 170여 개에 이른다는 집계도 있습니다. 그러나 장밋빛 전망만 있는 것은 아닙니다. 2020년, 인공지능이 당뇨병 치료 후보 물질 더미에서 걸러낸 할리신이라는 물질은 강한 항생 효과를 지닌 신약 후보로 언론과 학계의 관심을 크게 받았습니다. 2025년에 발표된 후속 연구는 할리신이 여러 항생제에 내성을 지닌 세균 열여덟 종 가운데 열일곱 종을 억누른다는 사실을 다시 확인해주었습니다.

그런데도 할리신은 여전히 사람을 대상으로 한 임상시험에 들어가지 못하고 있습니다. 몸속에 흡수되는 정도가 낮고 몸 밖으로 너무 빨리 빠져나가며 감염 상황에 따라 효과가 들쭉날쭉하다는 약점이 뒤늦게 드러났기 때문입니다. 컴퓨터 화면 위에서 완벽해 보이던 결합력이 살아 있는 몸 앞에서는 통하지 않는 경우가 이렇게 실제로 벌어집니다.

인공지능 신약 개발을 이끈다고 자부하던 기업도 이 벽 앞에서 예외가 아니었습니다. 미국의 리커전 파마슈티컬스(Recursion Pharmaceuticals)는 2025년 한 해 동안 자사가 발굴한 여러 후보 물질의 개발을 접었습니다. 뇌혈관 기형인 해면상혈관종을 겨냥한 REC-994는 중간 단계 임상시험에서 기대에 못 미치는 효능이 나오면서 개발이 중단되었고, 신경섬유종증 2형을 겨냥한 REC-2282 역시 같은 길을 걸었습니다.

계산 능력이 아무리 뛰어나도 그 결과가 곧바로 좋은 약으로 이어지지 않는다는 사실을, 이 회사의 궤적이 보여 줍니다. 신약 개발에서 인공지능이 줄여 줄 수 있는 것은 후보 물질을

찾고 다듬는 데 드는 시간이지, 사람의 몸이 요구하는 안전성과 효능의 문턱 그 자체는 아닙니다.

이런 차질이 되풀이되는 데에는 공통된 이유가 있습니다. 딥러닝 모델은 이미 합성에 성공하고 임상시험까지 마친 약물 데이터를 학습 재료로 삼는데, 이 데이터는 화학 공간 전체에서 보면 아주 좁고 치우친 구역에 몰려 있습니다. 모델이 이 익숙한 구역을 벗어나 한 번도 보지 못한 낯선 분자를 그려 낼수록, 예측이 실제와 어긋날 위험도 함께 커집니다.

연구자들은 이를 도메인 이동이라 부르며, 컴퓨터가 내놓은 결합력과 안전성 예측을 실험과 임상으로 다시 확인하는 절차를 건너뛸 수 없는 이유도 여기에 있습니다. 그래서 신약 개발 현장에서는 컴퓨터가 고른 후보 하나에만 기대지 않고, 성질이 서로 다른 여러 후보를 동시에 실험대에 올려 위험을 나누어 지는 전략을 함께 씁니다.

이 경쟁은 한국 기업에도 남의 일이 아닙니다. 한미약품은 자체 인공지능 플랫폼인 HARP로 비만 치료 후보 물질 HM17321을 설계했습니다. 식욕을 줄이는 기존 계열의 약물과는 다른 경로로 작용해 지방은 줄이면서 근육은 지키는 효과를 노렸고, 미국 식품의약국으로부터 임상 1상 진입을 위한 승인을 받아 냈습니다. 신테카바이오는 이미 널리 쓰이는 항체 의약품인 키트루다보다 나은 성질을 갖도록 다시 설계한 바이오베타 후보 물질을 자체 플랫폼으로 여럿 확보했고, 스탠다임은 한미약품과 손잡고 후보 물질 발굴에 나서고 있습니다.

구글 딥마인드의 스핀오프인 아이소모픽 랩스(Isomorphic Labs)도 2026년 2월, AlphaFold 3를 발판 삼은 IsoDDE라는 설계 엔진을 선보이며 항체를 백지에서 그려 내는 기능을 갖췄다고 소개했고, 사람을 대상으로 한 첫 임상시험은 2026년 안에 시작될 예정이라고 밝혔습니다. 이 회사는 2025년 한 해에만 6억 달러가 넘는 투자를 새로 유치하기도 했습니다. 이 엔진은 새로 만든 결합 예측 시험대인 Runs N' Poses에서 AlphaFold 3보다 두 배 넘는 정확도를 보였고, 세레블론이라는 단백질에서 그때까지 알려지지 않았던 결합 부위를 서열 정보만으로 미리 찾아낸 뒤 그 예측이 뒤이은 실제 연구로 확인되기도 했습니다.

신약 후보를 처음부터 그려 내는 경쟁은 이제 몇몇 선두 기업만의 이야기가 아니라 세계 곳곳에서 동시에 벌어지는 흐름이 되었습니다.

짓는 손은 갈수록 빨라지고 있습니다. 2019년 GENTRL이 DDR1 억제제 후보를 21일 만에 찾아낸 일이 놀라움으로 받아들여졌다면, 2026년의 ISM001-055는 그 손끝에서 나온 물질

이 임상 3상까지 올라갈 수 있음을 보여 주었습니다. 그러나 병목은 사라진 것이 아니라 다른 곳으로 옮겨 갔을 뿐입니다. 예전에는 쓸 만한 분자를 상상해 내는 일 자체가 어려웠다면, 지금은 상상한 분자를 실제로 만들어 낼 수 있는지, 그리고 그 분자가 살아 있는 몸 안에서 정말로 안전하고 효과가 있는지를 확인하는 일이 병목으로 남아 있습니다. 표현과 생성, 확장이라는 세 다리가 갖춰지면서 신약 후보를 그려 내는 속도는 이미 사람의 손을 앞질렀고, 남은 싸움은 그 그림을 현실의 화학과 생물학 앞에 세워 끝까지 버티게 만드는 일입니다.

2022년 상하이의 실험실에서 시작된 그림 한 장이 2026년 임상 3상이라는 문턱까지 올라선 것처럼, 앞으로 몇 해 사이에는 처음부터 컴퓨터가 그려 낸 약이 약국 선반에 오르는 순간을 마주할 가능성이 큼니다. 화학자의 직관과 손끝 감각에 기대던 신약 설계는 이렇게 데이터와 알고리즘이 함께 빛어내는 작업으로 무게중심을 옮기고 있으며, 이 변화는 제약 산업 전체의 연구 방식을 다시 짜는 흐름과 맞닿아 있습니다.

후보 물질을 그려 내는 손은 빨라졌지만, 그 그림을 확인하는 손은 아직 그만큼 빠르지 않습니다. 2026년에 나온 한 산업 분석은 신약 개발의 병목이 후보 물질을 찾는 단계에서 실험실 검증 단계로 옮겨 갔다고 밝혔습니다. 미국의 일라이릴리는 이미 2020년부터 설계와 합성, 정제와 분석을 하나로 묶어 사람 손을 거의 거치지 않고 돌아가는 로봇 실험실을 스트라테오스라는 회사와 함께 운영하고 있습니다. 한국보건산업진흥원도 로봇과 인공지능이 설계와 합성과 실험을 사람 손 없이 이어 도는 자율실험실을 갖추는 일을 앞으로 풀어야 할 과제로 꼽았습니다.

이 흐름 뒤에는 잘 알려지지 않은 사정이 하나 있습니다. 인공지능이 시행착오를 줄이려면 무엇이 통했는지뿐 아니라 무엇이 왜 통하지 않았는지도 함께 배워야 하는데, 실패한 화합물의 기록은 논문에도 공개 데이터베이스에도 좀처럼 남지 않습니다. 기업들은 실패한 후보를 조용히 서랍에 넣어 버리고, 그 실패의 이유를 세상에 알리지 않습니다. 성공한 사례만 모아 배운 인공지능은 실패를 코앞에 두고도 그 낯새를 미리 읽어 내지 못할 때가 많습니다. 이 자료 부족은 자율실험실이 아무리 늘어나도 쉽게 메워지지 않을 것으로 보입니다.

생성 모델은 표적에 잘 들러붙는 분자만 짓지 않습니다. 이미 등록된 특허의 청구항을 피해가는 분자를 짓는 일에도 점점 능숙해지고 있습니다. 최근에는 강화학습의 점수 계산 자체에 이 목표를 심어 넣는 방법까지 나왔습니다. 기존 특허 화합물과 구조가 가까운 분자에는 벌점을 주고, 아직 누구도 권리를 주장하지 않은 빈 곳을 찾아낸 분자에는 상을 주는 방식입니다. 이 도구를 쓰는 쪽은 신약을 처음 만든 회사만이 아닙니다. 복제약을 만드는 회사들도

같은 기술로 특허를 피해 가는 비슷한 물질을 설계해, 오리지널 회사의 특허를 상대로 한 다툼을 앞당기고 있습니다. 미국 법원은 2022년, 인공지능은 특허 발명자가 될 수 없다고 판결했습니다.

그런데 분자를 그린 쪽이 인공지능이고 사람은 합성 경로만 다듬었을 때, 그 발명자 칸에 누구의 이름을 적어야 하는지는 아직 뚜렷한 답이 없습니다. 특허 제도는 새로운 발명을 세상에 공개한 대가로 일정 기간 독점권을 주는 약속인데, 기계가 청구항의 빈틈을 찾아 도는 속도가 사람이 법을 고치는 속도보다 훨씬 빠르다면 이 약속의 무게는 갈수록 가벼워질 가능성이 큼니다. 값싼 복제약을 앞당기는 효과가 있다 해도, 발명을 보호해 연구비를 돌려받게 해 주는 특허 본래의 뜻과 이 흐름이 부딪히는 문제는 앞으로도 계속 시끄러울 것으로 보입니다.

딥러닝 기반 후보물질 생성 (De Novo Design)

2.2 딥러닝 기반 후보물질 생성 (De Novo Design)

AI는 기존 화합물 라이브러리를 검색하는 것을 넘어, 원하는 특성을 가진 분자를 무(無)에서 창조합니다.

- 생성적 적대 신경망(GAN), 확산 모델(Diffusion models), 변분 자가부호기(VAE)를 활용해 최적화된 화학 구조(SMILES)를 설계합니다.
- 그래프 신경망(GNN)과 강화학습(Reinforcement learning)을 통해 가상 스크리닝과 역합성 계획(Retrosynthetic planning)을 자동화합니다.

표현 (Representation)

SMILES/SELFIES
분자 표현

생성 (Generation)

확산 모델(Diffusion)
& 강화학습 융합

확장 (Expansion)

약물 재창출(Drug
repurposing) 및
화학 공간 탐색

2.3

인실리코(In silico) ADMET 및 독성 예측 시스템

1990년대 미국 약국에서는 셀데인(Seldane)이라는 상품명으로 팔리던 항히스타민제 테르페나딘이 계절성 알레르기를 앓는 사람들에게 널리 처방되었습니다. 재채기와 콧물을 잡재우는 효과는 뛰어났지만, 이 약을 먹은 몇몇 환자가 특정 항생제나 항진균제, 심지어 자몽주스를 함께 먹었을 때 심장이 불규칙하게 뛰다가 쓰러지는 사고가 이어졌습니다. 원인은 심장 세포의 칼륨 통로, 흔히 hERG 채널이라고 부르는 문이 약물에 막히면서 심장 박동의 전기 신호가 흐트러지는 부정맥이었습니다.

개발 당시에는 이 약이 간에서 분해되지 못하고 혈액 속에 쌓여 심장을 위협하리라고 아무도 예상하지 못했습니다. 결국 이 약은 시장에서 조용히 자취를 감췄고, 제약업계는 신약 하나가 사람 몸속에서 어떻게 움직이고 어디서 위험해지는지를 임상시험 전에 미리 알아낼 방법을 오랫동안 찾아 헤맸습니다. 2020년대 후반의 인공지능은 바로 이 물음에 대한 답으로, 후보 물질이 사람 몸에 들어가기 전에 컴퓨터 속에서 그 운명을 미리 보여주는 인실리코 예측 시스템으로 자라났습니다.

신약 하나가 실험실 화합물에서 약국 진열대에 오르기까지는 평균 10년이 넘는 시간과 수 천억 원의 돈이 들어갑니다. 그런데 임상시험에 들어간 후보 물질 가운데 최종 승인까지 살아남는 비율은 열에 하나가 채 되지 않습니다. 2010년부터 2017년까지의 임상시험 실패 사례를 분석한 연구에 따르면 실패 원인의 40에서 50퍼센트는 약효가 기대만큼 나타나지 않아서였고, 30퍼센트 가까이는 몸이 감당하지 못하는 독성 때문이었으며, 10에서 15퍼센트는 약물이 몸속에서 흡수되고 사라지는 방식 자체가 잘못 설계되어서였습니다. 독성과 약동학 문제를 더하면 임상 실패의 절반 가까이가 흡수, 분포, 대사, 배설, 독성이라는 다섯 글자, 즉 ADMET 영역에서 벌어지는 셈입니다.

미국 국립보건원은 신약 연구개발 비용의 22퍼센트가 바로 이 ADMET 문제를 확인하고 해결하는 데 들어간다고 밝혔습니다. 제약업계에서는 신약 개발 비용이 시간이 갈수록 오히려 늘어나는 역설적인 흐름을, 반도체 성능이 꾸준히 좋아진다는 무어의 법칙을 거꾸로 뒤집어 이룸의 법칙(Eroom's Law)이라고 부릅니다. 후보 물질의 독성이 동물 실험과 사람 대상 임상시험까지 가서야 드러난다면, 그동안 들어간 시간과 돈은 고스란히 사라집니다.

오랫동안 제약회사들은 이 위험을 미리 걸러내기 위해 쥐와 원숭이 같은 동물에게 후보 물질을 먹이고 반응을 지켜보는 방법에 의존해 왔습니다. 문제는 동물의 몸과 사람의 몸이 유전자와 생리 구조에서 적지 않게 다르다는 점입니다. 동물 실험에서 안전하다고 확인된 약물이 정작 사람을 대상으로 한 임상시험에서는 예상치 못한 부작용을 일으키는 사례가 반복되었고, 학계에서는 이 간극을 중개 연구의 간극이라 부르며 오래도록 골머리를 앓았습니다. 미국 식품의약국은 2022년 식품의약국 현대화법 2.0을 통해 신약 승인 신청에 동물 실험을 의무적으로 포함해야 한다는 84년 묵은 규정을 법적으로 걷어냈습니다.

2025년 4월에는 한 걸음 더 나아가 항체 치료제를 시작으로 앞으로 3년에서 5년 안에 동물 실험을 예외적인 절차로 만들겠다는 로드맵을 내놓으면서, 그 빈자리를 인공지능 기반 독성 예측 모델과 오가노이드, 장기 칩 같은 새로운 평가 방법으로 채우겠다고 밝혔습니다. 이 법을 실제 심사 규정에 완전히 반영하도록 못박는 식품의약국 현대화법 3.0 법안도 2025년 12월 상원을, 2026년 7월 하원을 차례로 통과했고, 2026년 8월 현재 상원의 재의결을 거쳐 대통령 서명으로 넘어가는 절차만 남아 있습니다.

임상시험이라는 값비싼 관문에 들어서기 전 문제 있는 후보 물질을 미리 걸러 내는 이른바 조기 필터링(Early Filtering)이, 실험실 유리병 속 동물이 하던 일을 넘겨받아 신약 개발의 첫 관문이 된 셈입니다.

ADMET이라는 다섯 글자는 그 자체로 사람 몸속에서 약이 겪는 여행 이야기입니다. 첫 글자 A는 흡수로, 알약이 위와 장을 지나 혈액 속으로 스며드는 과정을 말합니다. D는 분포로, 혈액을 타고 온몸을 돌아다니다가 간이나 뇌, 근육 같은 곳에 약물이 머무는 과정입니다. M은 대사로, 간이 마치 공장의 분해 라인처럼 약물을 잘게 쪼개어 다른 물질로 바꾸는 과정을 뜻합니다.

E는 배설로, 다 쓰고 남은 약물 찌꺼기가 콩팥을 거쳐 소변이나 대변으로 몸 밖에 나가는 과정입니다. 마지막 T는 독성으로, 이 모든 여행 도중 약물이 간이나 심장, 신장 같은 장기를 다치게 하지는 않는지를 가리킵니다. 다섯 단계 가운데 어느 한 곳에서라도 문제가 생기면 아무리 효과 좋은 후보 물질도 결국 약으로 태어나지 못합니다.

분자 하나의 구조만 보고 몸속에서 어떻게 움직일지 미리 짐작하는 학문을 정량적 구조·활성 관계, 줄여서 QSAR이라고 부릅니다. 분자의 생김새와 성질 사이에 일정한 규칙이 있다는 발상에서 출발한 이론입니다. 초창기 QSAR은 리핀스키의 5법칙처럼 분자량이나 지용

성 같은 몇 가지 숫자만 따져 약물다움을 가늠하는 통계 공식 수준에 머물러 있었습니다. 그러나 오늘날 신약 후보로 검토해야 할 화합물의 화학 공간은 수백만, 수천만 개에 이를 만큼 넓어졌고, 이 방대한 공간을 낚은 선형 공식만으로는 다룰 수 없게 되었습니다. 그래서 연구자들은 분자를 원자라는 점과 화학결합이라는 선으로 이루어진 그물망으로 인식하는 그래프 신경망, 줄여서 GNN과, 분자를 스마일스(SMILES)라는 문자열로 적어 그 문법을 읽어내는 대형 언어 모델과 트랜스포머 구조를 QSAR에 결합하기 시작했습니다.

그 결과로 나온 ADMET-AI는 수백만 개 화합물의 흡수와 독성을 단 몇 시간 만에 훑어보고, 딥-피케이(Deep-PK)는 그래프 기반 분자 서명을 이용해 일흔세 가지에 이르는 약동학과 독성, 물리화학적 지표를 한꺼번에 내놓습니다. 이런 모델들은 켐블(ChEMBL)이나 약물은행(DrugBank), 독스21(Tox21)처럼 누구나 내려받을 수 있는 방대한 공공 데이터베이스를 학습 재료로 삼아 자라났습니다.

의약품에 섞여 들어갈 수 있는 불순물이 유전자를 손상시켜 암을 일으킬 위험은 없는지를 판단하는 국제 지침 ICH M7은 QSAR 예측값을 실제 규제 심사 자료로 인정한 대표적인 사례입니다. 이 지침은 원리가 다른 두 가지 예측 모델, 곧 전문가의 화학 지식을 규칙으로 옮긴 모델과 통계적으로 학습한 모델을 나란히 돌려서 서로 다른 결론이 나오면 사람이 직접 판단하도록 못박아 두었습니다. 2025년에는 낯선 화학 구조에서도 기존 기계학습 기법보다 민감도가 30퍼센트 가까이 높아진 AmesNet이 등장해, 오랫동안 걸림돌이던 신규 골격 화합물의 돌연변이 유발성 예측을 한 단계 끌어올렸습니다.

이런 모델들이 학습하는 밑바탕에는 미국 환경보호청이 운영하는 ToxCast와 Tox21 데이터베이스가 깔려 있는데, 2025년 8월 공개된 최신판은 만 개에 가까운 화학물질에 대한 시험관 내 반응 정보를 담고 있어 독성 예측 인공지능을 훈련하는 대표적인 공공 자산으로 손꼽힙니다. 제약회사들은 이런 공개 데이터를 자체 화합물 라이브러리와 나란히 학습에 사용해, 돌연변이 유발성이나 발암성이 의심되는 불순물을 합성 이전 설계 단계에서부터 걸러내려 하고 있습니다.

후보 물질의 성질을 예측하는 데서 그치지 않고, 아예 좋은 성질을 갖춘 분자를 처음부터 컴퓨터 안에서 새로 그려 내는 시도도 활발합니다. 레트로 드럭 디자인(Retro Drug Design) 프레임워크는 약효와 생체 이용률, 대사 안정성, 낮은 독성처럼 서로 충돌하기 쉬운 여섯 가지 ADMET 조건을 동시에 만족시키는 방향으로 분자 구조를 스스로 다듬어 나가며, 실제로 이렇게 설계한 키나아제 억제제 후보들이 실험 검증에서도 높은 성공률을 보였습니다. 생

성형 인공지능 REINVENT와 ADMET-AI를 하나로 엮은 ADMETrix는 분자를 새로 그리는 즉시 곧바로 여러 ADMET 지표를 함께 계산해 내면서 설계와 평가를 실시간으로 오가게 해 줍니다.

드럭엑스 투(DrugEx v2)는 여러 목표가 서로 부딪힐 때 어느 하나를 포기하지 않고 균형점을 찾는 파레토 방식의 강화학습을 약물 설계에 끌어들여, 표적 단백질에는 잘 들러붙으면서 엉뚱한 표적은 피해 가는 분자를 골라냅니다. 요리사가 레시피를 팔 때 맛과 영양, 조리 시간을 한꺼번에 따지듯, 이 모델들은 효능과 안전성이라는 여러 접시를 동시에 차려 내는 셈입니다.

분자 하나하나의 성질을 알아내는 일과, 그 분자가 실제 사람 몸속에서 시간에 따라 어떻게 오르내리는지를 그려 내는 일은 다른 차원의 문제입니다. 이 간극을 메우는 기술이 생리학 적 기반 약동학 모델링, 줄여서 PBPK 모델링입니다. 사람의 몸을 심장과 간, 콩팥, 근육 같은 여러 도시로 이루어진 지도로 놓고 혈류를 그 도시들을 잇는 도로로 삼아, 약물이라는 자동차가 시간이 지나면서 어느 도시에 얼마나 머무는지를 계산하는 방식이라고 보면 이해하기 쉽습니다. 인공지능은 분자의 스마일스 구조나 지문 정보를 분석해 분배 계수와 수용해도, 간 마이크로솜에서의 분해 속도, 혈장 단백질과 결합하는 비율 같은 핵심 수치를 순식간에 뽑아내고, 이 수치를 PBPK 시뮬레이션 엔진에 넣으면 정맥주사나 경구 복용 뒤 혈중 농도가 시간에 따라 어떻게 오르내리는지를 보여 주는 곡선이 그려집니다.

화학 언어 모델이나 그래프 합성곱 신경망을 PBPK와 결합한 검증 연구에서는 최고 혈중 농도나 그 도달 시간, 곡선 아래 면적, 반감기 같은 지표의 예측치가 실제 값과 결정계수 0.61에서 0.93에 이르는 상관관계를 보였고, 오차 크기를 나타내는 절대 평균 폴드 오차도 1.84에서 2.8 사이에 머물러 기존 동물 실험 외삽법에 못지않은 정밀도를 보여 주었습니다. 미국에서는 2020년부터 2024년 사이 승인된 신약 245건 가운데 65건, 비율로는 26.5퍼센트가 PBPK 모델을 심사의 핵심 근거로 제출했는데 그중 약물 간 상호작용 평가에 쓰인 경우가 81.9퍼센트로 두드러졌고, 항암제 분야에서 42퍼센트로 유독 활발히 쓰였습니다.

이런 정밀도는 신약을 사람에게 처음 투여하는 임상시험에서 안전한 출발 용량을 정하는 데 그치지 않고, 간 기능이 떨어진 노인이나 몸무게와 장기 크기가 어른과 다른 소아처럼 임상 시험에 직접 참여하기 어려운 집단의 약물 노출량까지 미리 헤아려 보는 환자 맞춤형 정밀 의료의 밑거름으로 쓰이고 있습니다. 미국 식품의약국은 이런 흐름에 맞추어 약물 상호작용 평가에서 PBPK 모델의 역할을 공식적으로 인정하는 지침을 별도로 마련해 두고 있습니다.

심장독성 예측은 신약 개발 현장에서 다급하게 다뤄야 할 과제로 꼽힙니다. 테르페나딘 사례에서 보았듯, 약물이 심장 세포의 칼륨 통로인 hERG 채널을 막아 버리면 심장 박동의 전기 신호가 흐트러지면서 목숨을 위협하는 부정맥으로 이어질 수 있습니다. 위장 운동을 돕던 시사프라이드 역시 비슷한 이유로 시장에서 물러났는데, hERG 관련 부정맥이 항히스타민제 한 계열에서 그치지 않고 여러 치료 분야에 걸쳐 되풀이해 나타나는 위험이라는 사실을 보여 준 사례였습니다. 마모시나(Mamoshina) 연구진이 만든 인공지능 기반 정량적 연속 채점 시스템은 약물은행과 의학 사전 데이터베이스에 담긴 방대한 화합물 정보를 학습해, 검증 데이터에서 곡선 아래 면적 79퍼센트 수준으로 잠재적 심장독성을 미리 가려냈습니다.

2025년에는 여러 특징을 한꺼번에 결합하는 그래프 신경망 모델인 hERG-MFFGNN이 판단 근거까지 설명해 주는 방식으로 등장했고, 신뢰할 수 있는 심장독성 데이터를 표준화해 모은 딕트랭크(DICTrank)라는 데이터셋도 함께 발표되었습니다. 같은 해 균형 잡힌 학습 데이터와 다양한 변수를 결합한 XGBoost 합의 모델은 민감도 0.83, 특이도 0.90이라는 성적표를 받았고, 대형 언어 모델의 임베딩 기술을 끌어들이는 hERG-LTN까지 나오면서 예측 방식은 한 해가 다르게 다양해지고 있습니다.

관련 연구 25건을 모아 검토한 논문에서는 외부 검증에서도 곡선 아래 면적이 0.70을 넘거나 정확도가 0.75를 웃도는 모델이 여럿 확인되어, 실제 현장에 쓸 만한 수준에 성큼 다가섰다는 평가를 받았습니다.

간독성, 그중에서도 약물 유인성 간 손상, 곧 DILI는 발병 원인이 한 가지로 딱 떨어지지 않아서 예측하기가 유난히 까다롭습니다. 사람마다 간 효소의 양과 종류가 다르고, 같은 약물이라도 어떤 사람에게는 멀쩡하고 어떤 사람에게는 간을 망가뜨리는 식으로 반응이 갈리기 때문입니다. 사이토크롬 계열 효소 유전자에 흔한 다형성, 이를테면 CYP2D6나 CYP2C19의 활성이 사람마다 다르게 타고나는 차이는 같은 용량의 약도 어떤 사람에게는 넘치게, 어떤 사람에게는 모자라게 만듭니다.

최근에는 이런 유전형 정보를 화합물 구조 정보와 함께 학습해, 특정 유전형 집단에서만 두드러지는 간독성 위험까지 가려내려는 시도가 이어지고 있습니다. 최근의 인공지능 시스템은 약물의 물리화학적 특성과 함께 유전자, 단백질, 대사물질을 아우르는 다중 오믹스 데이터, 그리고 표적을 벗어난 상호작용 네트워크까지 한꺼번에 들여다보면서 약물 유인성 간 손상을 최대 89퍼센트의 정확도로 갈라내는 성과를 냈습니다.

2026년 초에는 ChemBERTa와 RoBERTa, SMILES2Vec 같은 서로 다른 언어 모델이 뽑아낸 정보를 한데 모으는 다중 모달 딥러닝 방법이 학술지에 발표되어, 분자 구조 하나만 살펴 피던 방식보다 훨씬 촘촘한 예측이 가능해졌습니다. 상징적인 사건도 있었습니다. 2025년 미국 식품의약국은 앱센시아 랩스(Absentia Labs)가 제출한 인공지능 기반 디지털 간 모델을, 혁신적 신약 개발 접근법을 심사하는 IStand 프로그램의 인증 대상으로 받아들였는데, 인공지능이 만든 예측 도구가 이 인증 절차에 오른 첫 사례였습니다.

아직 세 단계 인증 절차의 첫 관문을 지났을 뿐이지만, 컴퓨터 속 가상의 간이 진짜 사람의 간을 대신해 신약 심사 서류 한권을 채우기 시작했다는 점에서 뜻깊은 사건으로 남았습니다.

약물은 애초에 겨냥한 표적 단백질 하나에만 암전히 들러붙지 않습니다. 열쇠 하나가 자물쇠 여러 개에 어중간하게 맞아 들어가듯, 신약 후보 물질이 원래 목표로 삼지 않았던 다른 수용체나 효소에도 걸려들면서 예상 밖의 부작용을 일으키는 일을 표적 이탈 효과라고 부릅니다. 리우(Liu) 연구진은 하나의 모델이 여러 예측 과제를 동시에 처리하는 다중 작업 그래프 신경망을 써서 화합물의 표적 이탈 상호작용을 정밀하게 잡아내는 방법을 내놓았고, 이 방법으로 약물 유인성 신장 손상처럼 심각한 위험을 후보 물질 최적화 단계에서 미리 걸러 낼 수 있음을 보여 주었습니다.

구조와 독성 사이의 관계를 파고드는 ProTox 계열의 웹 서버도 빠르게 몸집을 키웠습니다. 최신판인 ProTox 3.0은 반수 치사량과 발암성, 돌연변이 유발성, 면역 독성을 포함해 예순한 가지에 이르는 독성 지표를 분자 유사성과 기계학습을 결합해 계산해 냅니다. 막대한 비용이 드는 동물 독성 시험에 들어가기 전, 이런 무료 웹 도구 하나만으로도 심각한 결함을 지닌 화합물을 후보군에서 걸러 낼 수 있게 된 셈입니다.

고령 인구가 늘고 만성질환을 앓는 환자가 많아지면서 한 사람이 여러 약을 한꺼번에 복용하는 일이 흔해졌고, 그만큼 약물과 약물이 몸속에서 부딪히는 상호작용, 곧 DDI를 미리 알아내는 일이 환자의 생명과 직결되는 문제로 떠올랐습니다. 테르페나딘이 항생제나 자몽주스와 만났을 때처럼, 한 약물이 다른 약물을 분해하는 간 효소를 가로막거나 부추기면 두 번째 약물의 농도가 예상보다 훌쩍 오르거나 뚝 떨어지는 일이 벌어집니다. 과거에는 이런 상호작용을 기존 문헌을 일일이 검색해 확인하는 수준에 머물렀지만, 지금은 방대한 의학 논문과 전자 건강 기록, 화합물의 3차원 구조를 한꺼번에 읽어 내는 인공지능이 이를 대신하고 있습니다.

BERT-DDI 같은 대형 언어 모델은 수백만 건에 이르는 임상 기록과 이상 반응 보고서 속에 묻혀 있던 약물 간 위험 신호를 문장 단위로 찾아냅니다. 약물과 표적 단백질의 관계를 그래프로 그려 관계망 위에서 새로운 결합을 추론하던 DTiGEMS+의 발상은 SumGNN 같은 후속 지식 그래프 신경망으로 이어져, 아직 임상에서 보고된 적 없는 새로운 약물 조합의 위험까지 미리 알아내는 수준에 이르렀습니다. 이렇게 얻은 예측 결과는 의사가 처방전을 쓰는 순간 화면에 경고를 띄우는 임상 결정 지원 시스템에도 이미 연결되어, 컴퓨터 안에서 끝나는 계산이 아니라 진료실에서 실제로 작동하는 안전장치가 되어 가고 있습니다.

약이 시장에 나온 뒤에도 전자 건강 기록이나 보험 청구 자료 같은 실제 임상 데이터를 인공지능이 꾸준히 훑어보면서, 임상시험 단계에서는 미처 드러나지 않았던 약물 조합의 위험 신호를 뒤늦게라도 찾아내는 시판 후 약물 감시 작업 역시 함께 이루어지고 있습니다.

분자의 스마일스 문자열이나 3차원 구조, 그리고 녹는점이나 지용성 같은 물리화학적 성질을 입력하면, 반대편에서는 ADMET 성질 예측값과 함께 이 예측을 어디까지 믿어도 좋은지를 알려 주는 적용 범위, 곧 어플리커빌리티 도메인(Applicability Domain)이 함께 출력됩니다. 적용 범위는 지금 넣은 분자가 모델이 공부했던 화합물들과 얼마나 닮았는지를 가리키는 척도로, 경제협력개발기구도 QSAR 모델을 검증할 때 반드시 이 범위를 명확히 밝히도록 권고하고 있습니다. 지도에 없는 낯선 길로 접어들면 내비게이션의 안내가 갑자기 헛돌기 시작하듯, 학습 데이터와 동떨어진 새로운 화학 구조를 만나면 아무리 정교한 모델이라도 예측이 크게 흔들릴 수 있다는 뜻입니다.

지금 널리 쓰이는 하이브리드 플랫폼 가운데 하나인 ADMETlab 3.0은 ChEMBL과 PubChem, OCHEM 같은 공개 데이터베이스에서 40만 건이 넘는 화합물 정보를 끌어모으고, 스마일스를 표준 입력값으로 삼아 119가지 성질을 한꺼번에 계산해 냅니다. 여러 예측 과제를 동시에 처리하는 다중 작업 방향성 메시지 전달 신경망에 전통적인 분자 기술자를 나란히 결합한 구조 덕분에 속도와 정확도라는 두 마리 토끼를 함께 붙잡았다는 평가를 받습니다. 다만 2026년에 나온 한 비판적 검토 논문은 대표적인 벤치마크 저장소인 테라퓨틱스 데이터 커먼즈(Therapeutics Data Commons, TDC)의 ADMET 순위표에 오른 스물두 가지 표준 평가 항목 전체에서 재현에 성공한 상위권 모델이 손에 꼽을 정도였고, 몇몇 모델은 코드가 공개되지 않았거나 학습 데이터와 시험 데이터가 뒤섞이는 결함까지 있었다고 지적해, 화려한 성능 수치를 그대로 믿기 전에 한 번 더 따져 보아야 할 이유를 남겼습니다.

예측과 검증을 주고받는 고리도 점점 촘촘해지고 있습니다. 인공지능이 유망하다고 골라낸 후보 물질을 로봇 실험실이 곧바로 합성하고 시험관 시험까지 자동으로 진행한 뒤, 그 결과를 다시 예측 모델에 되먹임하는 이른바 설계, 제작, 시험, 분석의 순환 구조가 여러 연구 기관으로 퍼지고 있습니다. 사람이 일일이 화합물을 주문하고 실험 일정을 잡던 예전 방식과 달리, 이 순환은 하루에도 여러 차례 돌아가면서 예측 모델 자체를 계속 다듬어 나갑니다.

ADMET 예측이 정교해질수록 이 순환의 속도도 함께 빨라지고, 이렇게 쌓인 새로운 실험 데이터는 거꾸로 다음 세대 예측 모델을 더 촘촘하게 버려 줍니다.

이토록 빠르고 정교해 보이는 인공지능 예측도 임상과 규제 현장에 들어서려면 넘어야 할 문턱이 여전히 높습니다. 내부 시험에서는 결정계수가 0.8을 넘나들던 우수한 모델이, 기존 데이터베이스에 없던 새로운 골격의 화합물을 만나면 외부 검증 성능이 0.3대까지 곤두박 질치는 일이 드물지 않습니다. 지금까지 쌓인 독성과 약동학 데이터 대부분이 이미 합성하기 쉽고 상용화에 성공한 특정 약물군이나 서구권 인구 집단에 치우쳐 있다는 점도 걸림돌입니다. 이 데이터로 학습한 모델은 소수 인종 고유의 대사 특성이나 세포·유전자 치료제 같은 새로운 치료 방식을 평가할 때 엉뚱한 답을 내놓을 위험을 안고 있습니다. 특정 인구 집단에서만 두드러지는 대사 효소 변이가 학습 데이터에 충분히 반영되지 않으면, 그 집단에서만 유독 크게 나타나는 부작용을 모델이 놓칠 수도 있습니다.

수천만 개의 매개변수로 얹힌 딥러닝 모델이 왜 특정 화합물을 간독성 물질로 지목했는지, 어떤 구조적 특징이 부정맥을 부르는지를 사람이 알아들을 말로 설명하지 못하는 블랙박스 상태에 머물러 있는 경우도 많습니다. 환자의 목숨을 다루는 심사 과정에서 이런 불투명함은 그대로 받아들여지기 어렵기 때문에, 인공지능이 내놓은 예측값은 오가노이드나 장기 칩 같은 물리적인 생물학적 시스템을 거쳐 한 번 더 확인받아야 비로소 제구실을 했다고 인정 받습니다.

미국 식품의약국은 2025년 1월, 의약품과 생물학적 제제의 규제 판단에 인공지능을 어떻게 써야 하는지를 다루는 지침 초안을 내놓으면서, 모델이 쓰이는 상황에 따라 위험도를 나누어 신뢰성을 검증하는 일곱 단계짜리 절차를 제시했습니다. 이 지침은 비임상과 임상, 시판 후 감시, 제조 단계까지 인공지능이 끼어드는 단계를 두루 아우르되, 안전성이나 품질에 영향을 주지 않는 업무 효율화까지 규제하지는 않는다고 선을 그었습니다. 유럽의약품청은 2024년 9월 의약품 수명 주기 전반에 걸친 인공지능 적용에 관한 성찰 문서를 내놓아, 기존의 우수 임상시험 관리 기준과 품질 관리 원칙 안에 인공지능을 끌어들이면서 추적 가능성

과 투명성을 강력히 권고했습니다.

대한민국 식품의약품안전처도 2026년부터 허가 자료 요약과 전문 번역, 검토서 초안 작성에 인공지능을 단계적으로 들여오기 시작했고, 이를 발판으로 신약 허가 심사를 240일 안에 마치는 목표를 세우는 한편, 앞으로 5년 동안 인공지능 신약·바이오 분야에 집중한 규제과학 전문 인력 1,100명을 길러 내겠다고 밝혔습니다. 각국 규제기관은 저마다 다른 인공지능 심사 기준을 그대로 두면 여러 나라에서 함께 진행하는 임상시험 자료가 나라마다 다르게 평가받을 수 있다는 문제의식 아래, 국제조화회의(ICH) 같은 협의체를 통해 공통 기준을 맞추어 가는 논의도 함께 시작했습니다.

컴퓨터가 내놓은 예측값 하나가 실제 처방전으로 이어지기까지, 이제는 기술 못지않게 이런 규정과 절차가 속도를 좌우하고 있습니다.

아무리 뛰어난 모델도 학습할 데이터가 부족하면 힘을 쓰지 못합니다. 그런데 병원과 제약 회사들은 자신이 힘들게 모은 임상 기록과 화합물 데이터를 핵심 영업 비밀로 여겨 좀처럼 바깥으로 내놓지 않고, 여기에 미국의 건강보험 이동성과 책임에 관한 법이나 유럽의 일반 개인정보 보호법처럼 환자 정보를 지키는 규제까지 겹치면서 데이터가 여러 조직 안에 갇힌 채 흩어져 있는 이른바 데이터 사일로 현상이 굳어졌습니다. 이 벽을 허물지 않고도 서로 다른 기관의 데이터를 모아 쓰는 방법으로 연합 학습이 주목받고 있습니다.

원본 데이터는 병원이나 회사의 보안 서버 안에 그대로 두고, 그 데이터를 학습한 인공지능 모델의 가중치만 암호화해 중앙 서버로 보내 합치는 방식입니다. 대한민국에서는 2024년 4월부터 2028년 12월까지 과학기술정보통신부와 보건복지부가 함께 348억 원을 들여 K-MELLODDY 사업을 추진하고 있으며, 스무 개가 넘는 국내 기관이 지닌 실험실 데이터와 임상 데이터를 연합 학습으로 엮어 ADMET과 약동학을 함께 예측하는 모델을 버리는 작업이 2025년부터 본격적인 신규 과제로 확대되었습니다.

유럽에서 먼저 여러 제약회사가 함께 진행했던 MELLODDY 프로젝트가 그 밑그림이 되었고, 두 프로젝트 모두 환자 정보 유출이나 영업 비밀 침해 없이도 예측 모델을 함께 키울 수 있다는 사실을 증명해 보였습니다. 국내 제약회사 가운데 한 곳은 인실리코 메디슨(Insilico Medicine)과 협력한 지 넉 달 만에 흡수와 분포, 대사, 배설, 독성이라는 다섯 가지 요건을 고루 갖춘 신약 후보 물질을 찾아냈다고 밝혔는데, 예전 같으면 수년씩 걸리던 일이 몇 달로 줄어든 셈입니다.

이런 흐름은 ADMET 예측이라는 좁은 영역에 머무르지 않고, 유전체와 단백질체 정보를 함께 읽는 다중 오믹스 분석, 오가노이드와 장기 칩 같은 물리적 검증 장비, 그리고 실제 진료 현장의 전자 기록까지 한데 엮이는 더 큰 융합 생태계로 번져 가고 있습니다. 신약 후보 물질 하나를 두고 컴퓨터 속 예측과 실험실의 검증, 그리고 병원의 처방 기록이 서로 데이터를 주고받는 구조가 갖춰지면, ADMET 예측의 정확도는 어느 한 기술의 발전이 아니라 이 생태계 전체가 함께 두터워지는 속도에 따라 올라가게 됩니다.

국내에서도 정부 예산으로 움직이는 K-MELLODDY와 민간 기업의 협력 사례가 나란히 쌓이면서, 이런 융합은 소수 대형 제약사만의 무기가 아니라 여러 기관이 함께 접근할 수 있는 공용 기반 시설로 바뀌어 가고 있습니다. ADMET 예측 기술의 다음 승부처는 어느 회사가 더 정교한 알고리즘 하나를 갖고 있느냐가 아니라, 얼마나 다양한 데이터와 검증 수단을 촘촘하게 엮어 내느냐에 달려 있는 셈입니다.

지금 이 순간에도 세계 곳곳의 서버에서는 후보 물질 수백만 개의 ADMET 성질이 밤새 계산되고, 그 가운데 위험 신호가 뚜렷한 화합물은 동물 한 마리, 환자 한 명을 만나기도 전에 조용히 후보 목록에서 지워지고 있습니다. 테르페나딘이 약국 진열대에 놓였던 시절에는 상상하기 어려웠던 풍경입니다. 물론 지금의 인공지능이 모든 위험을 완벽히 걸러 낸다고 장담할 수는 없습니다. 학습하지 못한 새로운 구조 앞에서는 여전히 흔들리고, 왜 그런 판단을 내렸는지 설명하지 못할 때도 많으며, 결국은 오가노이드와 장기 칩 같은 물리적 검증을 거쳐야 비로소 믿을 만한 값으로 인정받습니다.

그럼에도 임상시험 문턱을 넘기 전 단계에서 위험한 후보 물질을 걸러내는 조기 필터링의 그물코는 해가 갈수록 촘촘해지고 있으며, 그 그물을 짜는 실 하나하나가 QSAR과 PBPK, 그래프 신경망과 대형 언어 모델, 그리고 국경을 넘나드는 연합 학습으로 이어지고 있습니다. 신약 후보 물질이 사람 몸에 닿기 전에 컴퓨터 시뮬레이션이라는 관문을 먼저 통과해야 하는 절차는, 몇몇 실험실의 시범 사업을 넘어 신약 개발의 표준 단계로 굳어 가고 있습니다.

2025년 9월, 유전자 편집 치료제 기업 인텔리아 테라퓨틱스(Intellia Therapeutics)가 개발하던 넥시구란 지클루메란(nex-z)을 투여받은 환자 한 명에게서 4등급, 곧 생명을 위협하는 수준의 간 수치 상승이 나타났습니다. 환자는 병원에서 치료를 받았습니다. 이 약은 심장과 신경에 아밀로이드 단백질이 쌓이는 유전성 질환 트란스티레틴 아밀로이드증을 겨냥해, 몸속에 직접 들어가 유전자를 고쳐 쓰는 3상 단계 치료제 매그니튜드(MAGNITUDE)와 매그니튜드-2(MAGNITUDE-2) 임상시험의 주인공이었습니다. 미국 식품의약국은 10월 29

일 두 임상시험 전체에 임상보류 명령을 내렸고, 11월에는 80대 남성 환자 한 명이 약물 투여 후 숨지는 일까지 겹쳤습니다.

조사 결과 이 죽음은 간 손상이 아니라 감염 때문으로 밝혀졌지만, 후기 임상시험 전체가 한 순간에 멈춰 섰다는 사실만은 그대로 남았습니다. 이 치료제는 화합물의 화학 구조가 아니라 유전자 가위 그 자체가 몸속에서 작동하는 방식이었습니다. 스마일스 문자열과 분자 지문을 학습한 기존 예측 모델의 눈에는 애초에 걸리지 않는 대상이었던 셈입니다. 두 임상시험은 간 수치를 더 자주 검사하고 위험군 환자를 미리 걸러 내는 안전장치를 더한 뒤 2026년 들어서야 하나씩 다시 걸음을 땀습니다.

세포와 유전자 치료제처럼 완전히 새로운 치료 방식이 늘어날수록, 분자 구조를 기반으로 삼는 예측 모델의 적용 범위는 오히려 좁아지는 역설이 벌어지는 것으로 보입니다. 화합물의 독성을 읽어 내는 인공지능은 수십 년치 소분자 데이터를 딛고 서 있습니다. 그러나 유전자 편집이나 세포 치료가 몸속에서 일으키는 면역 반응과 표적 이탈 편집까지 담아낼 데이터는 아직 세계 어디에도 충분히 쌓이지 않았습니다. 당분간은 아무리 정교한 예측 모델을 앞세우더라도, 환자를 직접 지켜보며 이상 신호를 즉시 잡아내는 임상시험 현장의 감시 체계를 대신할 수는 없을 가능성이 큼니다.

한국에서도 예측의 폭을 넓히려는 움직임이 새로 시작되었습니다. 식품의약품안전처는 2025년 12월 3일 서울대학교 데이터사이언스대학원과 협약을 맺고, 국내 의료기관의 진료 데이터와 다중 오믹스 정보를 엮어 사람마다 다르게 나타나는 약물 반응을 지도로 그리는 인공지능 플랫폼을 함께 구축하기로 했습니다. 신약 후보 물질을 실험실 단계에서 미리 거르는 K-MELLODDY와 달리, 이번 협약은 약이 환자 몸에 들어간 뒤에 벌어지는 일까지 데이터로 옮겨 담으려는 시도입니다.

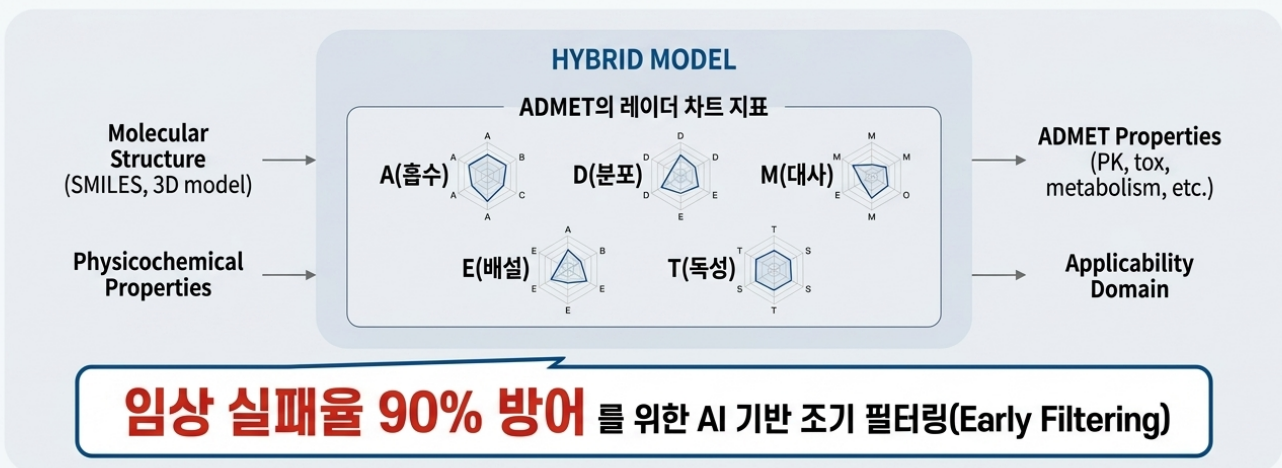
두 기관은 공동 연구에 그치지 않고, 데이터 품질을 관리하고 분석 인력을 기르는 워크숍까지 함께 열기로 했습니다. 두 사업이 나란히 쌓이면서, 예측 모델이 다루는 시간의 폭도 함께 넓어지고 있습니다.

인실리코(In silico) ADMET 및 독성 예측 시스템

2.3 인실리코(In silico) ADMET 및 독성 예측 시스템

임상 진입 전 인실리코 시뮬레이션을 통해 약동학 및 독성 실패 위험을 선제적으로 차단합니다.

- 정량적 구조-활성 관계(QSAR)와 생리학적 기반 약동학(PBPK) 모델링으로 복잡한 생체 내 반응을 시뮬레이션합니다.
- 그래프 신경망(GNN)을 활용해 약물-약물 상호작용(DDI), 심장/간독성, 표적 이탈(Off-target) 부작용 리스크를 최소화합니다.



제 3 부

차세대 모달리티 및 스마트 약물 전달 시스템

3.1

바이오 의약품 및 다중 표적 치료제 설계 (ADC)

2026년 6월 22일에 열려 나흘 동안 미국 캘리포니아 샌디에이고 컨벤션센터는 전 세계 제약과 바이오 기업 관계자들로 발 디딜 틈이 없었습니다. 세계 최대 바이오 산업 박람회인 바이오 인터내셔널 컨벤션, 흔히 바이오 USA라 불리는 이 행사에서 한국 기업 셀트리온은 부스를 차리고 나흘 동안 180건이 넘는 비즈니스 미팅을 소화했습니다. 부스를 다녀간 방문객만 2천 명을 넘겼습니다. 셀트리온이 앞세운 것은 그동안 주력으로 삼아 온 바이오시밀러, 그러니까 특허가 끝난 바이오 의약품의 복제약이 아니라 인공지능 기반 신약 개발과 항체-약물 접합체, 그리고 여러 표적을 동시에 겨냥하는 다중항체 기술이었습니다.

저분자 화합물 한 알을 컴퓨터로 설계하던 시대에서 거대한 단백질 분자를 인공지능으로 통째로 새로 그려내는 시대로 제약 산업의 무게 중심이 넘어가고 있다는 증거였습니다.

불과 몇 해 전까지만 해도 항체나 세포 치료제처럼 몸집이 큰 의약품을 설계하는 일은 연구자의 감과 반복 실험에 기대는 고단한 작업이었습니다. 후보 항체 하나를 만들어 실험 접시에 넣고 반응을 지켜본 뒤 실패하면 처음부터 다시 시작하는 시행착오를 수백 번, 수천 번 되풀이해야 했습니다. 그 과정에 십 년 넘는 세월과 조 단위에 가까운 비용이 들어가는 일도 드물지 않았습니다. 그런데 단백질의 아미노산 서열과 입체 구조를 컴퓨터 화면 안에서 원자 단위까지 미리 그려 보고 시험해 보는 기술이 발전하면서 이야기가 달라졌습니다.

거대 언어 모델과 단백질 언어 모델, 여러 층의 생체 데이터를 한꺼번에 읽어 내는 다중 오믹스 분석이 그 중심에 있습니다. 실험 접시 위에서 몇 년을 보내야 했던 설계 작업이 이제는 서버 안에서 며칠 만에 끝나는 경우가 늘고 있습니다.

항체는 우리 몸의 면역 체계가 만들어 내는 와이(Y)자 모양의 단백질입니다. 세균이나 바이러스처럼 몸에 침입한 낯선 물질을 알아보고 거기에 딱 달라붙어 표시를 남기는 역할을 합니다. 자물쇠에 맞는 열쇠처럼 항체 하나하나는 정해진 표적하고만 결합하도록 생겨 있습니다. 우리 몸은 수백만 가지가 넘는 서로 다른 항체를 만들어 낼 수 있고, 그 가운데 특정 표적 하나에만 달라붙는 항체를 골라 대량으로 복제해서 약으로 쓰는 것이 단일클론항체(mAb)입니다. 류머티즘 관절염 치료제부터 여러 암 치료제까지 지금 병원에서 쓰이는 항체 의약

품 대부분이 이 방식으로 만들어졌습니다.

항체 하나가 표적 하나에만 달라붙는 것에서 한 걸음 더 나아가, 서로 다른 두 개 이상의 표적에 동시에 달라붙도록 설계한 항체도 속속 등장하고 있습니다. 이런 항체를 다중항체 또는 이중특이항체라 부릅니다. 한쪽 팔로는 암세포 표면의 특정 단백질을 붙잡고 다른 쪽 팔로는 몸속을 순찰하는 T세포를 붙잡아, 마치 두 사람의 손을 양손으로 각각 붙잡아 서로 마주 보게 만드는 중매쟁이처럼 T세포를 암세포 바로 옆까지 끌고 오는 식입니다.

셀트리온이 바이오 USA 2026에서 새로 선보인 기술도 이런 다중항체를 설계하고 개발 가능성을 미리 평가하는 인공지능 도구였습니다. 표적을 한 개가 아니라 두 개, 세 개로 늘릴수록 항체가 인식해야 할 조합의 경우의 수가 기하급수적으로 늘어나기 때문에, 사람이 일일이 손으로 후보를 추려내던 예전 방식으로는 감당하기 어려웠던 설계 공간을 인공지능이 대신 훑어 줍니다.

항체-약물 접합체(ADC)는 이 항체에 강력한 독성 물질을 매달아 놓은 정밀 유도 의약품입니다. 택배 상자를 떠올리면 이해가 쉽습니다. 상자 안에는 암세포를 죽일 만큼 독한 화학 물질, 즉 페이로드가 들어 있습니다. 이 상자를 아무 집이나 던져 놓으면 큰일 나기 때문에 정확한 집 주소를 아는 배달원이 필요합니다. 그 배달원 역할을 하는 것이 바로 항체입니다.

암세포 표면에만 있는 특정 단백질을 알아보고 그 집에만 상자를 배달합니다. 그리고 상자를 꽂꽂 묶어 배달 도중에는 절대 열리지 않게 하다가 정확한 집에 도착했을 때만 풀어지도록 만드는 끈이 링커입니다. 항체와 링커와 페이로드라는 세 부품이 손발을 맞춰야 비로소 암세포 안에서만 독성 물질이 터지는 정밀 폭탄이 완성됩니다.

기존의 항암 화학요법은 이와 사뭇 다른 방식으로 작동해 왔습니다. 독한 약물을 온몸의 혈관에 흘려보내 빠르게 증식하는 세포를 닳치는 대로 공격하는 방식이었고, 그 과정에서 머리카락이 빠지고 장 점막이 헐고 백혈구 수치가 떨어지는 부작용을 피할 수 없었습니다. 카펫 폭격에 가까웠던 셈입니다. 항체-약물 접합체는 정반대로 좌표를 정확히 찍고 그곳에만 떨어지는 유도탄에 가깝습니다.

같은 독성 물질을 쓰더라도 정상 세포는 건드리지 않고 암세포에만 집중적으로 작용하기 때문에 훨씬 적은 용량으로 훨씬 강한 효과를 낼 수 있습니다. 이 정밀함을 실제로 구현하는 일이 결코 만만치 않다는 사실이 오랫동안 항체-약물 접합체 개발의 발목을 잡아 왔습니다.

이런 인공지능 설계 흐름이 본격화되기 전부터도 항체-약물 접합체는 이미 임상에서 성과를 증명해 온 모달리티였습니다. 유방암과 위암 치료에 쓰이는 엔허투, 유방암과 방광암 치료에 쓰이는 트로델비 같은 약물은 기존 항암제로는 더 손쓸 방법이 없었던 환자들에게 새로운 선택지를 열어 주며 이 분야 전체의 신뢰를 쌓아 왔습니다. 인공지능은 이렇게 이미 검증된 모달리티를 다음 세대로 더 빠르고 더 정교하게 밀어 올리는 역할을 맡고 있습니다.

바로 여기서 인공지능이 항체-약물 접합체 설계의 판도를 바꾸고 있습니다. 연구자들은 항체의 결합 부위와 링커의 화학 구조, 페이로드의 독성 세기를 하나씩 따로 조정하는 대신 세 요소를 동시에 굴리는 강화학습 방식을 쓰기 시작했습니다. 인공지능 모델이 후보 조합을 하나 제시하면 컴퓨터 안에서 그 조합이 혈액 속에서 얼마나 안정적으로 버티는지, 암세포에 도착했을 때 얼마나 정확히 끊어지는지, 정상 조직으로는 얼마나 새어 나가는지를 가상으로 계산합니다.

그 결과에 따라 점수를 매기고, 점수가 낮으면 구조를 바꿔 다시 계산하는 과정을 수만 번 되풀이합니다. 이렇게 항체의 표적 결합력은 끌어올리고 전신 독성은 낮추는 두 가지 목표를 동시에 뒤쫓는 순환 고리가 만들어집니다. 항체와 링커와 페이로드가 서로의 약점을 메워가며 함께 진화하는 구조인 셈입니다.

항체와 링커와 페이로드가 만들어 내는 이 순환 고리는 사실상 하나의 다중 표적 최적화 루프라고 부를 만합니다. 이 순환 구조를 조금 더 구체적으로 들여다보면, 인공지능에게 주어지는 보상 신호는 크게 두 가지로 나뉩니다. 하나는 항체가 암세포 표면 항원에 얼마나 강하게, 얼마나 오래 들러붙어 있는지를 나타내는 결합 지표이고, 다른 하나는 페이로드가 정상 세포에서는 얼마나 조용히 있고 암세포 안에서만 얼마나 격렬하게 작동하는지를 보여주는 선택적 독성 지표입니다.

두 지표를 동시에 높이는 조합을 찾아내는 일은 사람이 손으로 계산하기에는 변수가 너무 많은 다차원 최적화 문제입니다. 인공지능은 수많은 항체와 링커, 페이로드 조합을 동시에 시험해 보면서 두 지표를 함께 만족하는 조합을 찾아 나가고, 그 결과로 나온 후보만 실제 실험실 검증 단계로 넘깁니다. 화학자와 면역학자가 각자 따로 일하던 예전 방식으로는 좀처럼 나오기 힘들었던 조합이 이런 과정에서 여럿 발견되고 있습니다.

이 가상 계산에는 정량적 시스템 약리학이라는 기법이 함께 쓰입니다. 약물이 몸속에 들어간 뒤 흡수되고 퍼지고 분해되는 전체 과정을 수학 모델로 미리 그려 보는 방법입니다. 페이

로드가 세포를 죽이는 성능과 링커의 안정성을 이 모델로 미리 걸러 내면 실제 동물 실험과 임상시험에 들어가기 전에 실패할 조합을 상당수 가려낼 수 있습니다. 이런 설계 역량을 가진 회사를 사들이려는 움직임이 2025년과 2026년 제약업계를 뜨겁게 달궜습니다. 길리어드 사이언스는 2026년 4월 독일의 항체-약물 접합체 전문 기업 투볼리스를 계약금 31억 5천만 달러에 최대 18억 5천만 달러의 단계별 마일스톤을 더해 총 50억 달러 규모로 인수하기로 했습니다.

일라이 릴리 역시 항체-약물 접합체 신생 기업 크로스브리지 바이오를 사들이며 같은 흐름에 합류했습니다. 두 거래 모두 회사가 보유한 특정 항암제 후보 하나가 아니라 링커와 페이로드, 접합 화학을 설계하는 인공지능 플랫폼 자체를 겨냥한 인수였습니다.

이 시장에서 중국 바이오 기업들의 존재감은 압도적입니다. 전 세계 항체-약물 접합체 기술 수출 계약 가운데 중국에서 나온 후보 물질이 아흔 건 가운데 아홉 건꼴로 차지하고 있다는 평가가 나올 정도입니다. 한국 기업 가운데는 리가캠바이오, 옛 이름으로는 레고캠바이오 사이언스가 선두를 달리고 있습니다. 이 회사는 독자 개발한 링커와 페이로드 원천 기술을 앞세워 암젠에 약 1조 6천억 원, 얀센에 약 2조 2천억 원, 일본 오노약품공업에 9천 4백억 원이 넘는 규모로 기술을 수출했고, 공개된 계약만 합쳐도 9조 3천억 원을 넘습니다.

비공개 계약까지 더하면 누적 기술수출 규모가 10조 원을 넘어선다는 집계도 있습니다. 리가캠바이오가 항체 개발사 넥스트큐어와 함께 개발 중인 B7-H4 표적 항체-약물 접합체 LNGB74는 글로벌 임상 1상에서 고용량 투여군을 추가하겠다고 미국 식품의약국에 신청하며 다음 단계로 넘어가고 있습니다. 시장 조사 기관 이밸류에이트파마는 항체-약물 접합체 시장 전체 규모가 2025년 150억 달러 안팎에서 2032년 570억 달러까지 커질 것으로 내다보고 있습니다.

항체 자체를 설계하는 단계에서도 인공지능은 이미 실전에 들어와 있습니다. 딥러닝 기반의 단백질 언어 모델은 방대한 항체 서열 데이터를 학습한 뒤 특정 표적에 강하게 달라붙는 새로운 항체 서열을 처음부터 새로 만들어 냅니다. 미국의 인공지능 신약 개발 기업 앱사이는 생성형 인공지능 플랫폼으로 설계한 항체 ABS-101을 염증성 장질환 치료제 후보로 임상 1상에 진입시켰습니다.

TL1A라는 표적 단백질에 달라붙도록 설계된 이 항체는 인공지능이 통째로 그려낸 뒤 실제 사람에게 처음 투여된 생물의약품이라는 점에서 업계의 주목을 받았습니다. 넉 달에 한 번

만 피부밑에 주사하면 되도록 설계됐고 면역원성 위험을 낮추는 데도 초점을 맞췄습니다. 2025년 하반기에는 초기 안전성과 약동학, 면역원성 자료가 나올 예정이었습니다.

항체 설계를 전문으로 하는 인공지능 스타트업에도 막대한 투자금이 몰리고 있습니다. 오픈 에이아이의 투자를 받은 미국 스타트업 차이 디스커버리는 2025년 12월 1억 3천만 달러 규모의 시리즈B 투자를 유치하며 기업 가치를 13억 달러로 인정받았고, 이후 기업 가치를 34억 달러 수준으로 올려 4억 달러를 추가로 조달하는 협상을 진행하고 있는 것으로 알려졌습니다. 이 회사가 내놓은 차이3(Chai-3) 모델은 화이자와 기술 계약을 맺었고, 2026년 1월에는 일라이 릴리와의 파트너십을 발표했습니다.

업계 전체로 보면 2025년 6월부터 2026년 5월까지 일 년 동안 항체를 비롯한 생물학적 제제를 인공지능으로 설계하는 기업에만 9억 8천만 달러가 넘는 투자금이 스무 건 넘는 거래를 통해 흘러 들어갔습니다. 2026년 1분기에도 에어렌딜이 7억 8천 7백만 달러, 에멘도 바이오가 8천만 달러를 새로 유치하는 등 투자 열기가 식지 않고 있습니다.

항체의 입체 구조를 그려 내는 인공지능 모델도 설계 속도를 눈에 띄게 끌어올리고 있습니다. 단백질의 아미노산 서열만 넣으면 입체 구조를 예측해 주던 기존 기술에서 한 걸음 더 나아가, 원하는 표적 모양에 꼭 맞는 결합 부위의 입체 구조를 거꾸로 그려 내고 거기에 맞는 아미노산 서열을 채워 넣는 역방향 설계가 가능해졌습니다. 몸에 이미 있는 옷 가운데 하나를 골라 입는 것이 아니라 손님의 치수를 먼저 재고 그에 맞춰 옷감을 마름질하는 맞춤 양복점과 비슷한 방식입니다.

이런 구조 기반 설계 기법은 항체뿐 아니라 나노바디, 펩타이드, 프로탁의 이중 갈고리 구조를 만드는 데도 함께 쓰이면서 여러 차세대 모달리티를 관통하는 공통 기반 기술이 되어 가고 있습니다.

항체보다 몸집이 훨씬 작은 나노바디 역시 인공지능의 수혜를 크게 입고 있는 분야입니다. 낙타나 알파카 같은 동물의 몸에서만 발견되는 이 미니 항체는 크기가 작아서 단단한 종양 조직 깊숙한 곳까지 파고들기 쉽고 미생물을 이용해 대량으로 찍어 내기도 좋습니다. 최근 한 연구팀은 사람 대신 여러 인공지능 에이전트로 이루어진 가상 연구팀을 꾸려 신종 코로나바이러스를 무력화하는 나노바디 서열을 컴퓨터 안에서 처음부터 설계하도록 맡겼습니다.

인공지능 에이전트들이 표적 단백질의 구조를 분석하고 결합 후보를 제안하고 서로의 설계를 검토하는 과정을 거친 뒤 실제 실험실에서 이 서열을 합성해 검증하는 데까지 성공했습니다. 사람 연구자가 표적을 정하고 방향만 잡아 주면 나머지 설계 작업을 인공지능 팀이 거의 자율적으로 해낼 수 있다는 사실을 보여준 사례로 꼽힙니다.

펩타이드, 그러니까 아미노산 수십 개가 짧게 이어진 작은 분자를 설계하는 분야에서도 비슷한 흐름이 보입니다. 마스크 언어 모델링이라는 자연어 처리 기법을 빌려 온 펩엠엘엠(PepMLM)이라는 인공지능 도구는 표적 단백질의 3차원 구조 정보가 전혀 없어도 아미노산 서열 정보만으로 표적에 특이적으로 결합하는 선형 펩타이드를 설계해 냅니다. 그동안 펩타이드 설계는 단백질의 접힌 구조를 정밀하게 알아야만 시작할 수 있는 작업이었는데, 구조 정보 없이도 결합력 높은 후보를 골라낼 수 있다는 사실이 확인되면서 설계 가능한 표적의 범위 자체가 넓어지고 있습니다.

항체나 항체-약물 접합체처럼 몸집이 큰 분자를 만들기 부담스러운 상황에서 펩타이드는 더 가볍고 더 싸게 만들 수 있는 대안으로 주목받고 있습니다.

항체나 카티 세포가 표적을 알아보려면 딱 달라붙을 손잡이 같은 서열 구간이 있어야 하는데, 이를 에피토프라 부릅니다. 넓은 담벼락에서도 문손잡이를 정확히 찾아야 문을 열 수 있는 것과 비슷합니다. 문제는 우리 몸의 면역 체계가 새로 들어온 치료용 항체나 세포 자체를 낯선 침입자로 오인해서 공격해 버리는 경우가 적지 않다는 점입니다.

이를 면역원성이라 부르고, 이 부작용이 심하면 약효가 사라지거나 위험한 알레르기 반응으로 이어집니다. 인공지능은 항체 서열을 사람 눈으로는 가늠하기 힘든 수준까지 미리 훑어서 면역계를 자극할 서열 구간을 찾아내고, 그 구간을 사람 몸에 이미 익숙한 서열로 바꿔치기하도록 안내합니다.

이런 면역원성 예측을 실제로 수행하는 인공지능 도구들도 빠르게 정교해지고 있습니다. 항체 서열 전체와 개별 아미노산 부위별 면역원성 점수를 함께 계산하는 시타(SITA)라는 예측 체계는 사람에서 유래한 항체와 그렇지 않은 항체를 뚜렷하게 구분해 냅니다. 이만 육천여 개에 이르는 펩타이드와 주요 조직 적합성 복합체 결합 데이터를 학습한 이뮤노스트럭트(ImmunoStruct)라는 다중 모드 딥러닝 모델은 서열 정보와 구조 정보, 생화학적 특성을 한꺼번에 결합해 예측 정확도를 끌어올렸습니다.

넷엠에이치씨투판(NetMHCIIpan), 후맵(Hu-mAb), 바이오파이(BioPhi) 같은 도구들은 항체를 사람에게 더 친숙한 서열로 다듬는 인간화 작업에 실제로 쓰이고 있습니다. 신약 후보가 동물 실험 단계에 들어가기 훨씬 전, 서열만 가지고도 위험 신호를 걸러낼 수 있게 됐다는 점에서 개발 비용과 기간을 함께 줄이는 효과를 내고 있습니다.

암 백신을 설계할 때도 에피토프 예측은 핵심 관문입니다. 같은 암이라도 환자마다 암세포 표면에 나타나는 돌연변이 단백질, 이른바 신생항원의 모양이 다릅니다. 연구자들은 단백질 언어 모델과 합성곱 신경망을 결합한 딥러닝 모델을 써서 환자 개개인의 종양 조직에서 어떤 신생항원이 면역세포에게 잘 인식될지를 예측하고 있습니다. 흑색종 환자의 종양 검체에서 뽑아낸 돌연변이 단백질 수천 개 가운데 실제로 면역 반응을 일으킬 후보를 추려내는 데 이런 모델이 쓰이고, 그 결과를 바탕으로 환자 한 사람만을 위한 맞춤형 암 백신이나 면역 항암제를 설계하는 연구가 여러 대학과 기업에서 진행되고 있습니다.

세포 표면에 항원을 실어 나르는 주요 조직 적합성 복합체 1형에 제시되는 CD8 양성 T세포 표적 에피토프의 예측 정확도 역시 최근 몇 년 사이 눈에 띄게 좋아졌습니다.

이렇게 표적 에피토프를 찾아내고 면역원성을 미리 걸러내는 인공지능 파이프라인은 항체에만 머물지 않습니다. 카티 세포에 새로 붙이는 인공 수용체의 바깥쪽 인식 부위를 설계할 때도 같은 방식의 예측 모델을 돌려, 환자의 면역계가 그 수용체 자체를 낯선 물질로 오인해 거부 반응을 일으킬 위험을 미리 계산합니다. 프로탁처럼 저분자에 가까운 분자라 해도 몸속에서 대사되며 새로 생기는 부산물이 뜻밖의 면역 반응을 일으킬 가능성을 배제할 수 없기 때문에, 대사체 예측 모델과 독성 예측 모델을 함께 돌려 이런 위험을 사전에 걸러내는 절차가 이제 개발 초기 단계의 기본 점검 항목이 되고 있습니다.

표적을 찾아내는 단계에서 면역원성을 검증하는 단계까지, 서로 다른 모달리티라도 인공지능이 수행하는 검증 절차의 뼈대는 상당히 닮아 있습니다.

약물 표적이 되는 단백질을 다루는 방식에서 완전히 다른 발상을 취하는 기술도 빠르게 성장하고 있습니다. 프로탁, 단백질 분해 유도 키메라라는 뜻의 영어 머리글자를 딴 이름입니다. 기존 약물 대부분은 나쁜 단백질의 움직임을 억누르는 데 그쳤습니다. 약물 분자가 단백질에 들러붙어 있는 동안만 효과가 있었고, 약물이 몸에서 빠져나가거나 단백질 구조가 조금만 바뀌어도 다시 활동을 시작했습니다.

프로탁은 이 방식을 아예 버렸습니다. 나쁜 단백질의 활동을 억누르는 대신 세포 안의 재활용 처리반이라 할 수 있는 프로테아좀에 그 단백질을 통째로 넘겨 분해되게 만듭니다. 한쪽 손으로는 없애야 할 단백질을 붙잡고 다른 한쪽 손으로는 분해 표시를 붙이는 효소를 불러들이는 이중 갈고리 분자입니다. 문제는 이 이중 갈고리 구조가 덩치도 크고 무거워서 세포막을 잘 통과하지 못하고 몸속 흡수율도 낮다는 점이었습니다.

최근에는 표피생장인자수용체를 표적으로 삼는 EGFR-PROPK 같은 머신러닝 기반 약동학 예측 모델이 나와, 프로탁 분자가 몸속에서 얼마나 잘 흡수되고 퍼질지를 미리 계산해 분자 구조를 세밀하게 다듬을 수 있게 해주고 있습니다.

프로탁이 주목받는 이유는 기존 약물이 손대지 못했던 표적까지 건드릴 수 있기 때문이기도 합니다. 어떤 단백질은 표면이 매끈해서 약물이 단단히 들러붙을 곳이 마땅치 않은데, 이런 단백질을 신약 개발자들은 오랫동안 손댈 수 없는 표적이라 불려 왔습니다. 프로탁은 활동을 막을 만큼 단단히 붙잡을 필요 없이 아주 살짝만 걸칠 수 있으면 나머지는 세포 스스로의 분해 장치에 맡기기 때문에, 그동안 신약 개발자들이 포기했던 표적 상당수가 다시 후보 목록에 오르고 있습니다.

인공지능은 이렇게 살짝 걸칠 수 있는 결합 부위를 찾아내는 일에도 쓰입니다. 단백질 표면의 수많은 굴곡을 스캔해 어느 부위에 어떤 모양의 갈고리를 걸면 좋을지 제안하고, 그 부위에 어떤 링커를 얼마나 길게 연결해야 두 단백질이 자연스럽게 가까워지는지를 함께 계산해 줍니다.

이런 인공지능 설계 도구에 힘입어 프로탁은 실제 임상 현장에서도 성과를 내고 있습니다. 화이자와 함께 유방암 치료제 베프데게스텐트를 개발해 온 아르비나스는 2025년 미국임상종양학회에서 3상 베리택-2 시험 결과를 발표했는데, 이전에 치료받은 경험이 있는 호르몬수용체 양성, HER2 음성 유방암 환자에게서 기존 치료제 풀베스트란트보다 무진행 생존 기간을 통계적으로 뚜렷하게 늘렸습니다. 두 회사는 2025년 6월 미국 식품의약국에 신약 허가를 신청했고 우선 심사 대상으로 지정됐습니다. 카이머라 세라퓨틱스가 개발한 경구용 STAT6 분해제 KT-621은 아토피 피부염 임상 1b상 시험에서 혈액과 피부 조직에서 각각 96퍼센트, 94퍼센트에 이르는 표적 단백질 분해율을 보였습니다.

베이진의 BTK 표적 프로탁 BGB-16673은 이전에 치료받았지만 재발한 만성림프구백혈병 환자를 대상으로 한 초기 시험에서 78퍼센트의 반응률을 기록한 뒤 2025년 3상에 들어갔

고, 브리스톨마이어스스콧의 안드로겐 수용체 표적 프로탁 역시 전립선암 환자를 대상으로 첫 3상 시험을 시작했습니다. 2025년 중반 기준으로 임상 단계에 진입한 프로탁 프로그램은 전 세계에서 스물여덟 건에 이르고, 그 가운데 열 건은 이미 2상이나 3상까지 올라섰습니다.

세포 자체를 유전적으로 개조해서 치료제로 쓰는 카티(CAR-T) 세포 치료제는 한 걸음 더 나아간 접근입니다. 정식 명칭은 키메라 항원 수용체를 붙인 T세포 치료제라는 뜻입니다. 환자의 혈액에서 면역을 담당하는 T세포를 뽑아낸 뒤 유전자를 조작해 암세포 표면 단백질만 알아보는 인공 수용체를 붙여 넣습니다. 마치 무장 경비원에게 특정 인상착의가 담긴 수배 전단을 쥐여 주고 다시 순찰을 보내는 것과 비슷합니다.

이렇게 개조된 T세포를 몸에 다시 넣어 주면 혈액암 세포를 정확히 찾아내 공격합니다. 백혈병과 림프종 같은 혈액암에서는 이미 여러 카티 치료제가 승인을 받아 쓰이고 있지만 위나 폐, 대장에 생기는 고형암은 사정이 다릅니다. 고형암은 종양 주변에 면역세포의 접근과 활동을 막는 방어벽이 두껍게 둘러쳐져 있어서 카티 세포가 도달해도 힘을 쓰지 못하는 경우가 많았습니다.

인공지능은 이 고형암 장벽을 넘기 위한 카티 세포 설계에도 깊숙이 관여하고 있습니다. 카티 세포가 몸에 들어가기 전에 수용체 스스로 신호를 잘못 켜서 지쳐 버리는 현상을 긴장성 신호 전달이라 부르는데, 인공지능 시뮬레이션 모델은 어떤 수용체 구조가 이런 조기 소진을 일으키는지를 미리 계산해 더 오래 버티는 구조를 골라내는 데 도움을 줍니다. 환자 한 사람 한 사람의 몸 상태를 반영한 디지털 트윈과 로봇 장비를 결합해 카티 세포를 만드는 제조 공정 자체를 자동화하는 시도도 이어지고 있습니다.

세포를 환자 몸에 넣기 전에 종양 세포와 면역 세포가 실제로 어떻게 싸울지, 사이토카인이라는 신호 물질이 한꺼번에 쏟아져 나와 고열과 저혈압을 일으키는 사이토카인 방출 증후군이 얼마나 심하게 나타날지를 컴퓨터 안에서 먼저 시뮬레이션해 위험을 낮추는 방향으로 세포 설계를 조정합니다.

실제 임상 현장에서도 고형암을 겨냥한 카티 세포 치료제가 하나둘 성과를 내놓고 있습니다. 얼로진 세라퓨틱스가 개발한 기성품형 카티 세포 ALLO-316은 신장암 환자를 대상으로 한 초기 시험에서 오래 지속되는 반응을 보여 고형암에서도 카티 세포 치료제가 통할 수 있다는 신호로 받아들여지고 있습니다. STAR-101 1상 시험에서는 KIR이라는 새로운 표적을

겨냥한 카티 세포가 마흔두 명의 환자를 대상으로 낮은 용량에서도 안전하면서 효과 신호를 보였는데, 그동안 승인된 세포 치료제가 하나도 없던 암종에서 나온 결과여서 의미가 컸습니다.

중국의 유티씨 세라퓨틱스는 원형 메신저리보핵산을 이용한 카티 세포로 중국 임상시험 허가를 받아 2026년 미국암연구학회에서 고형암 1상 결과를 발표했습니다. 미국과 영국에서는 횡문근육종과 유잉육종 같은 소아 고형암 환자 예순 명을 대상으로 두 가지 표적을 동시에 겨냥하는 넥스트젠 카티 임상시험도 새로 문을 열었습니다.

이렇게 화려한 설계 성과에도 한계는 분명히 있습니다. 컴퓨터 안에서 완벽하게 계산된 링커 안정성이나 결합 친화도가 실제 살아 있는 세포와 동물 모델에서도 그대로 재현되리라는 보장은 없습니다. 예측하지 못한 표적 이탈 부작용이나 면역 반응이 뒤늦게 나타나 대규모 임상시험이 중단되는 사례가 여전히 나오고 있고, 인공지능 모델을 학습시키는 데이터 자체가 특정 인종이나 특정 임상 환경에 치우쳐 있어 다른 환경의 환자에게 그대로 적용하기 어려운 경우도 있습니다.

설계 단계에서 아무리 정교한 계산을 거쳤더라도 결국 사람의 몸에 직접 투여해 확인하는 절차를 건너뛸 수는 없다는 사실이 이 분야 전체에 무겁게 걸려 있습니다.

항체와 항체-약물 접합체, 프로탁, 카티 세포까지 놓고 보면 인공지능이 맡는 역할에는 공통된 흐름이 보입니다. 표적이 될 단백질과 에피토프를 찾아내는 일, 그 표적에 달라붙을 분자나 세포를 처음부터 새로 설계하는 일, 면역계를 자극하지 않을지 미리 걸러내는 일, 그리고 몸속에서 실제로 어떻게 움직일지 시뮬레이션으로 미리 점검하는 일까지 네 가지 작업이 하나의 순환 구조 안에서 맞물려 돌아갑니다.

저분자 화합물 한 종류를 정교하게 다듬던 과거의 신약 개발과 달리, 지금은 항체와 링커와 페이로드, 유전자를 조작한 세포처럼 여러 부품이 뒤섞인 복합 치료제를 다중 표적 관점에서 한꺼번에 설계하는 작업으로 무게 중심이 옮겨 가고 있습니다. 이 작업을 실제로 감당할 인공지능 설계 역량과 데이터를 함께 갖춘 기업이 다음 세대 신약 개발의 주도권을 쥐 가능성이 커 보입니다.

지금 임상시험 단계에 오른 항체-약물 접합체나 카티 세포 치료제 후보 하나가 나오기까지, 컴퓨터 안에서는 이미 수만 개의 후보 조합이 만들어졌다가 버려지는 과정을 거칩니다. 환자의 혈관에 실제로 주삿바늘이 들어가기 전에 항체의 결합력과 링커의 안정성, 페이로드

의 독성, 세포 수용체의 신호 전달까지 인실리코 환경에서 먼저 검증하는 절차가 예외가 아니라 표준으로 굳어지고 있습니다. 저분자 알약 하나를 최적화하던 시절의 신약 개발과는 완전히 다른 산업이 지금 만들어지고 있습니다.

항체-약물 접합체가 걸어온 길이 순탄하기만 했던 것은 아닙니다. 2000년에 백혈병 치료제로 승인받은 마일로탁은 첫 항체-약물 접합체라는 이름값을 얻었지만, 약물을 매단 링커가 불안정해 정상 세포에서도 독성 물질이 새어 나왔고 간정맥폐쇄증 같은 부작용에 더해 후속 임상시험에서 생존 이득을 다시 증명하지 못하면서 2010년 시장에서 자진 철수했습니다. 지금 널리 쓰이는 엔허투에서도 환자 열 명 가운데 한 명꼴로 간질성 폐질환이 나타납니다. 독성 물질이 표적 세포를 넘어 주변 조직으로 새어 나가는 바이스탠더 효과가 원인으로 꼽힙니다. 2025년 12월에는 다이이찌산쿄와 MSD가 함께 개발하던 이피나타맙 데룩스테칸이 소세포폐암 3상 시험에서 간질성 폐질환으로 인한 사망자가 다수 나오면서 전 세계 임상 이 한꺼번에 멈춰 섰습니다.

미국 식품의약국은 보류를 해제했지만, 두 회사는 위험이 큰 환자를 시험 대상에서 빼고 임상시험 인력을 다시 교육하는 안전 대책을 내놓아야 했습니다. 유럽 규제당국은 아직 문을 열지 않고 있습니다. 컴퓨터 화면 안에서 아무리 안정적으로 계산된 링커라도 사람의 폐 조직 안에서 어떻게 반응할지까지는 인공지능이 미리 다 걸러 내지 못하는 것으로 보입니다.

약효가 아무리 좋아도 값이 감당하기 어려우면 환자 손에는 끝내 닿지 않습니다. 트로델비와 파드셉 같은 항체-약물 접합체는 한 번 맞을 때마다 수백만 원이 들어가고, 건강보험 급여가 확정되기 전까지 그 비용은 고스란히 환자가 떠안습니다. 건강보험심사평가원 약제급여평가위원회는 트로델비를 심사하면서 비용 대비 효과 지표가 이미 심사를 마친 다른 약보다 나쁘게 나왔는데도 대체할 치료법이 없고 생존 기간이 뚜렷이 늘어난다는 점을 근거로 급여를 인정했습니다.

2026년 5월 19일 국회의원회관에서 열린 여성암 정책토론회에서 유방암환우총연합회 최승란 회장은 유전자 변이가 있는 전이성 유방암 환자들이 치료법을 눈앞에 두고도 비용과 제도 때문에 치료 절벽 앞에 선다고 말했습니다. 설계 단계에서 인공지능이 개발 기간과 비용을 크게 줄여 주더라도 그 절감분이 약값 인하로 곧장 이어지지 않는 한 환자가 실제로 누리는 혜택은 더디게 늘어날 가능성이 큼니다.

한국 정부와 기업들도 이 흐름에 발맞추고 있습니다. 식품의약품안전처는 2025년 11월 28일 항체-약물 접합체의 품질을 심사할 때 무엇을 봐야 하는지 정리한 안내서를 처음으로 내놓았습니다. 항체와 링커, 페이로드 각각의 품질 자료를 어떻게 나눠 작성할지, 제조 방법이 바뀌었을 때 무엇을 다시 검토해야 하는지를 담았습니다.

리가켄바이오와 셀트리온 말고도 링커 기술을 앞세운 인투셀은 삼성바이오에피스와 공동 개발을 진행하는 한편 중국 프론티라인바이오파마와 후보물질 두 종을 함께 개발하는 계약을 맺었습니다. 피노바이오는 항체-약물 접합체 후보물질 다섯 개 가운데 세 개를 셀트리온에 넘기고 나머지 두 개는 직접 개발을 이어가고 있습니다.

바이오 의약품 및 다중 표적 치료제 설계 (ADC)

3.1 바이오 의약품 및 다중 표적 치료제 설계 (ADC)

저분자 화합물을 넘어, 항체-약물 접합체(ADC) 등 차세대 다중 모달리티 설계에 AI가 핵심 역할을 수행합니다.

- 단일클론항체(mAb), PROTAC, CAR-T 세포 치료제 개발 시 표적 에피토프(Epitope) 분석과 면역원성 예측을 자동화합니다.
- ADC의 3대 요소(항체, 링커, 페이로드)를 강화학습(RL)으로 동시 최적화하여 독성은 낮추고 표적 결합력은 극대화합니다.



3.2

천연물 신약 데이터베이스의 AI 해독과 하이브리드 발굴

1971년 늦가을, 베이징 교외의 한 실험실에서 투유유는 서기 340년 무렵 갈홍이 쓴 의학서 주후비급방을 넘기고 있었습니다. 이 실험은 개인 연구가 아니라 1967년 시작된 중국의 국가 프로젝트, 이른바 523호 임무 소속이었습니다. 말라리아로 쓰러지는 병사가 속출하자 정부가 전국의 연구자를 모아 항말라리아 물질을 찾도록 지시한 사업이었습니다. 당시 말라리아는 해마다 수백만 명의 목숨을 앗아가는 병이었고, 기존 치료제였던 클로로퀸에 내성을 지닌 균주까지 널리 퍼지던 참이었습니다.

투유유의 팀은 이미 수백 번의 실험을 반복했지만 뚜렷한 성과를 얻지 못한 뒤였습니다. 개똥쑥을 뜨거운 물에 달이지 말고 즙을 짜내듯 낮은 온도에서 우려내라는 옛 구절 하나가 그의 눈에 걸렸습니다. 열을 가하면 약효 성분이 부서진다는 사실을 그는 그렇게 옛 문헌 속에서 읽어냈습니다. 이 통찰에서 태어난 물질이 말라리아 치료제 아르테미시닌이며, 투유유는 2015년 노벨 생리의학상을 받았습니다.

고대 이집트와 그리스 사람들도 버드나무 껍질을 씹으면 열과 통증이 가라앉는다는 사실을 경험으로 알고 있었습니다. 19세기 말 독일 바이엘사의 화학자 펠릭스 호프만은 그 껍질 속 성분을 화학적으로 다듬어 아스피린을 만들어 냈습니다. 정작 아스피린이 몸속 어떤 효소를 막아 통증과 열을 가라앉히는지, 이른바 작용 기전이 과학적으로 규명된 것은 약이 시판되고도 70년 가까이 지난 1970년대의 일이었습니다. 1928년 런던의 한 병원 실험실에서는 알렉산더 플레밍이 휴가를 마치고 돌아와 배양 접시 하나가 푸른곰팡이에 오염된 것을 보았습니다.

곰팡이 둘레에서만 세균이 자라지 못한 그 우연한 흔적에서 페니실린이 나왔습니다. 1960년대에는 미국 국립암연구소의 의뢰를 받은 식물학자들이 태평양 주목나무의 껍질을 벗겨 항암 성분을 찾아냈고, 이 물질은 파클리탁셀이라는 이름의 항암제로 세상에 나왔습니다. 지금 약국에서 팔리는 저분자 의약품의 상당수가 이렇게 자연에서 나온 구조에 뿌리를 두고 있다고 알려져 있습니다.

이 목록은 넷으로 끝나지 않습니다. 유럽에 자생하는 여우장갑이라는 식물의 잎에서 나온 디곡신은 오래전부터 심부전 환자의 심장 박동을 조절하는 약으로 쓰여 왔습니다. 마다가스카르의 협죽도와 식물에서는 백혈병 치료에 쓰이는 빈크리스틴이 나왔고, 양귀비 열매의 유액에서는 지금도 강력한 진통제로 꼽히는 모르핀이 나왔습니다. 콜레스테롤을 낮추는 스타틴 계열 약물 역시 애초에는 곰팡이가 자신을 지키려고 만들어 낸 물질에서 출발했습니다.

이 몇 가지 사례만으로도 자연이 인류의 약장 구실을 해 온 세월의 두께를 짐작할 수 있습니다. 아스피린도 페니실린도 파클리탁셀도 아르테미시닌도, 사람이 자연을 오래 관찰하고 우연과 끈기를 쌓아 얻어낸 결과물이었습니다.

지금 이 발견의 과정을 인공지능이 컴퓨터 화면 안에서 되풀이하고 있습니다. 자연에는 식물과 미생물과 해양생물이 만들어 낸 화학물질이 적어도 수십만 종 존재한다고 추정되는데, 사람이 그 하나하나를 실험대에 올려 약효를 확인하려면 몇 세대가 걸려도 끝나지 않습니다. 이론적으로 조합 가능한 약물 후보 분자의 수는 우주에 있는 별의 개수보다 많다는 비유가 화학정보학 분야에서 흔히 쓰일 만큼, 사람이 손으로 뒤지기에는 그 공간이 상상하기 어려울 만큼 넓습니다.

지금까지 인류가 화학적으로 확인하고 이름을 붙인 천연물은 수십만 종에 그치지만, 아직 구조조차 밝혀지지 않은 화합물까지 더하면 그 수는 몇 배로 늘어날 것으로 추정됩니다. 이 광대한 공간을 감당하려고 등장한 기술이 그래프 신경망(Graph Neural Network, GNN)입니다.

그래프 신경망이라는 인공지능 기술은 분자 하나를 원자는 점으로, 화학결합은 그 점을 잇는 선으로 표현한 그물 구조, 즉 그래프로 바꿔 놓고 이 그물의 무늬를 통째로 학습합니다. 열쇠의 울퉁불퉁한 홈이 자물쇠 안쪽 구조와 맞아떨어져야 문이 열리듯, 분자의 입체 구조가 몸속 단백질의 특정 홈과 맞아떨어져야 약효가 나타나는데, 그래프 신경망은 이 맞춤새를 원자 단위로 계산해 냅니다. 최근 연구에서는 이 방식으로 만든 가상 스크리닝 모델이 실제 약효가 있는 화합물을 가려내는 정확도 지표에서 0.90을 넘는 성적을 냈다고 보고되었습니다.

자기주의 기법을 결합한 DTIGN 같은 모델은 화합물과 표적 단백질의 결합력을 예측하는 과제에서 이전 세대 모델보다 한 단계 나아진 성능을 보였다고 알려져 있습니다. 다만 이런 모델은 대개 이미 알려진 화합물과 표적의 결합 정보만 가지고 학습하기 때문에, 훈련 과정

에서 한 번도 보지 못한 전혀 새로운 유형의 표적을 만나면 예측력이 뚝 떨어질 수 있다는 한 계도 함께 지적됩니다. 사람이 실험실에서 수백 가지 후보를 걸러 내는 데 몇 년을 쓰던 일을, 이런 모델은 컴퓨터 안에서 며칠 안에 끝냅니다.

식물화학물질, 그러니까 식물이 스스로를 지키려고 만들어 내는 화학물질의 구조를 인공지능이 하나씩 읽어 내면서 그동안 몰랐던 약리 기전도 드러나고 있습니다. 켄양성 대장염에 오래전부터 쓰여 온 천연 화합물 베르베린이 몸속 어떤 신호 전달 경로를 조절하는지는 네트워크 약리학과 인공지능 분석을 통해 비로소 구체적으로 그려지고 있습니다. 퀘르세틴 유도체인 피세틴 역시 정량적 구조·활성 관계 모델, 그러니까 분자의 구조와 약효 사이의 수학적 관계를 계산하는 모델을 통해 표적 결합력과 독성이 함께 평가되고 있습니다. 자연물 유래 분자의 크기와 가지 뻗음과 입체 이성질 구조를 다루도록 따로 훈련된 변이형 오토인코더 모델은 복잡한 3차원 뼈대를 유지하면서도 약물로서의 성질을 개선한 새로운 천연물 유사 구조를 생성해 내는 데까지 나아갔습니다.

전 세계 실험실이 함께 쌓아 올린 질량분석 데이터베이스 GNPS2에는 2025년 7월 기준으로 240만 건이 넘는 스펙트럼이 모여 있는데, 새로 얻은 시료의 스펙트럼을 이 데이터베이스와 대조하면 이미 알려진 화합물을 다시 발견하는 데 시간을 낭비하지 않을 수 있습니다. 사람이 수백 가지 혼합물에서 유효 성분 하나를 분리해 내느라 몇 년을 쓰던 일을, 인공지능은 구조식만 넣으면 몇 시간 안에 후보군으로 좁혀 줍니다.

이 모든 예측은 결국 잘 정리된 데이터베이스가 뒷받침되어야 가능한 일입니다. 코코넛(COCONUT)이라는 이름으로 알려진 공개 천연물 데이터베이스는 전 세계 문헌에 흩어져 있던 천연물 구조 정보를 한곳에 모아 누구나 내려받을 수 있게 정리했고, 천연물 아틀라스(Natural Products Atlas)는 미생물이 만들어 낸 천연물의 출처와 생산 균주 정보를 표준화된 형식으로 갈무리해 두었습니다. 데이터가 흩어진 채로 남아 있으면 아무리 뛰어난 인공지능 모델도 학습시킬 재료를 구하지 못하므로, 이런 공개 데이터베이스를 꾸준히 갱신하고 오류를 걸러 내는 작업은 화려한 신약 발표 뒤에 가려 잘 드러나지 않지만 없어서는 안 되는 기초 공사에 해당합니다.

GNPS2 같은 질량분석 데이터베이스와 이런 구조 데이터베이스를 서로 연결하면, 처음 보는 시료 하나의 스펙트럼만으로도 그 안에 어떤 화합물이 들어 있을지 미리 좁혀 볼 수 있습니다.

같은 해독 작업은 눈에 보이는 식물을 넘어 흙 속 미생물의 유전체로도 뻗어 갑니다. 미생물은 자신이 만들 화합물의 설계도를 생합성 유전자 클러스터라는 유전자 묶음 안에 저장해 두는데, 이 묶음을 유전체 전체에서 찾아내는 작업을 유전체 마이닝이라고 부릅니다. 2025년 발표된 한 자동화 유전체 마이닝 연구는 스트렙토마이세스 균주에서 자기 자신을 보호하는 저항 유전자를 실마리로 삼아 생리활성 천연물을 고속으로 찾아내는 방법을 제시했습니다. 새로 개발된 유전체 마이닝 도구 NPtagM은 효소 예측 정확도를 기존에 널리 쓰이던 도구 antiSMASH의 세 배로 끌어올리면서도 실행 시간은 여덟 분의 1로 줄였다고 보고되었습니다.

e-DeepBGC나 BiGCARP 같은 딥러닝 모델들은 유전자 서열만 보고 그 안에 어떤 종류의 생합성 경로가 숨어 있는지, 항생제인지 항암물질인지를 분류해 냅니다. 심해 열수구나 극지방 얼음처럼 사람이 접근하기 어려운 환경에 사는 미생물은 대부분 실험실에서 배양조차 되지 못한 것으로 알려져 있는데, 유전체 서열만 확보하면 배양 없이도 인공지능이 그 안에 잠든 화합물의 설계도를 미리 읽어 낼 수 있습니다. 지금까지 유전체 서열이 확보된 균주 가운데서도 그 안에 담긴 생합성 유전자 클러스터의 실제 산물까지 밝혀낸 경우는 일부에 지나지 않는 것으로 알려져 있어, 유전체 마이닝이 앞으로 찾아낼 화합물의 여지는 여전히 넓게 남아 있습니다.

새로운 항생제 없이는 흔한 세균 감염조차 치료하지 못하는 시대가 온다는 경고가 오래전부터 나온 터라, 이 흙 속 화학공장을 읽어 내는 능력은 그 자체로 절박한 과제입니다.

할리신과 아바우신은 모두 인공지능이 먼저 찾아낸 항생제 후보 물질입니다. 매사추세츠공과대학교 제임스 콜린스 연구실은 그 절박함에 일찍부터 응답해 온 곳입니다. 2020년 이 연구팀은 원래 당뇨병 치료제 후보로 개발되던 물질 할리신이 뜻밖에도 여러 세균을 죽이는 항생 효과를 지녔다는 사실을 기계학습으로 찾아냈습니다. 2023년에는 항생제에 잘 듣지 않는 아시네토박터 바우마니균에 듣는 물질 아바우신을 찾아냈고, 이 물질이 세균의 지질단백질 수송을 맡는 LolE 단백질을 억제해 세균을 죽인다는 작동 원리까지 밝혀냈습니다.

이 연구팀은 2025년에는 기존 화합물 목록을 뒤지는 방식에서 벗어나 생성형 인공지능으로 존재한 적 없는 분자를 새로 그려 냈습니다. 3600만 개가 넘는 가상 화합물을 컴퓨터로 만들어 항균 성질을 스크리닝한 끝에, 치료가 까다로운 임질균과 항생제 내성 황색포도상구균 곧 MRSA를 겨누는 후보물질을 찾아냈는데 기존 항생제와는 구조도 작동 방식도 달랐습니다. 이 성과를 발판으로 미국 보건고등연구계획국으로부터 신규 항생제 후보 열다섯 개를

설계하는 사업을 지원받았고, 비영리단체 페어바이오와 함께 항생제 인공지능 프로젝트도 이어 가고 있습니다.

2025년 10월에는 같은 연구진이 생성형 인공지능으로 새로 찾아낸 항생제 후보가 장내 세균을 정확히 어떤 경로로 공격하는지까지 지도를 그려 냈는데, 보통 몇 년씩 걸리던 작용 기전 규명을 몇 달로 줄인 사례로 소개되었습니다.

매사추세츠공과대학교 바깥에서도 항생제를 인공지능으로 찾는 연구는 여러 방식으로 진행되고 있습니다. 2026년 2월 한 과학 전문지는 세자르 데라푸엔테 연구팀을 조명하며, 이 팀이 화합물 목록이나 미생물 유전체 하나에 머물지 않고 다양한 생물의 유전정보에 이르기까지 인공지능으로 폭넓게 훑어 항균 성질을 지닌 짧은 펩타이드를 찾아낸다고 소개했습니다. 사람의 장 속이나 피부에 사는 미생물 군집 역시 그 자체로 방대한 화학 정보 창고이며, 인공지능은 이 정보 안에서 병원균만 골라 죽이는 짧은 아미노산 서열을 찾아내는 데 갈수록 능숙해지고 있습니다.

항생제의 재료를 특정 식물이나 특정 미생물 하나로 좁혀 두지 않고 지구 위 모든 생물의 유전정보를 후보 창고로 보는 이런 시각은, 데이터를 다루는 인공지능이 있기에 비로소 현실이 되고 있습니다.

자연의 화학적 다양성 가운데서도 두꺼운 지층 하나는 수천 년 동안 쌓인 전통 한의학의 처방 기록입니다. 한 가지 약초가 아니라 여러 약재를 정해진 비율로 섞어 여러 표적에 동시에 작용시키는 이 처방 체계는 오랫동안 경험 의학으로만 취급되어 과학적 근거를 인정받기 어려웠습니다. 완성된 결과물을 거꾸로 뜯어보며 설계 원리를 되짚는 역설계 기법을 여기에 적용하면, 처방 속 여러 약재가 각각 어느 표적을 누르고 그 힘을 어떻게 합쳐 시너지를 내는지를 하나씩 거슬러 올라갈 수 있습니다. 노화를 늦추는 성분 하나를 실험으로 확인하려면 수백 개 처방과 수천 개 성분을 일일이 세포에 뿌려 봐야 하는데, 인공지능은 이 과정을 데이터 위에서 먼저 걸러 냅니다.

인공지능 신약 개발 기업 인실리코 메디슨은 사람과 생쥐와 마카크원숭이 등 여러 종의 조직에서 뽑아낸 120만 건이 넘는 오믹스 데이터, 즉 유전자와 단백질과 대사물질을 대량으로 측정한 실험 데이터를 학습시켜 Precious3GPT라는 기반 모델을 만들었습니다. 여러 과제에 두루 쓸 수 있도록 미리 폭넓게 훈련해 둔 모델이라는 뜻에서 이런 모델을 파운데이션 모델이라 부르는데, 인실리코 메디슨은 이 모델을 한의학 성분과 표적 정보를 모은

BATMAN-TCM2 데이터베이스와 결합했습니다. 이 결합 모델은 사람과 다른 동물 종에 걸쳐 공통으로 나타나는 노화 관련 유전자 열세 개를 찾아내고, 이 유전자들과 겹치는 한약 성분 서른네 가지를 가려냈습니다.

세포가 분열할 때마다 염색체 끝부분의 텔로미어가 조금씩 짧아지다가 어느 순간 세포 자체가 늙어 버리는데, 그 결과 화산오자단(Hua Shan Wu Zi Dan)이라는 오래된 처방에 들어 있는 여러 성분이 간과 폐와 근육 조직에서 이 텔로미어 단축을 늦추는 방향으로 함께 작용한다는 사실이 분자 수준에서 확인되었습니다.

처방 하나를 읽어 내는 데서 나아가 한의학 지식 전체를 검색 가능한 지도로 바꾸려는 시도도 이어지고 있습니다. 데이터베이스 TCMBank는 문헌 마이닝으로 한약재 9192종과 성분 6만 1966종, 표적 단백질 1만 5179종, 관련 질병 3만 2529종 사이의 연결 관계를 정리해 두었습니다. 여기에 그치지 않고 각 성분의 3차원 구조를 DrugBank나 PubChem 같은 서구권 신약 데이터베이스와 서로 연결해 두어, 한약 성분과 이미 승인된 합성 의약품 사이의 화학적 유사성까지 한눈에 비교할 수 있게 했습니다. 이런 비교 덕분에 연구자들은 새 화합물을 처음부터 합성하지 않고도, 이미 다른 병에 쓰이던 약이 한약 성분과 구조가 닮았다는 이유만으로 새로운 적응증 후보로 재검토하는 약물 재창출 작업을 함께 진행할 수 있습니다.

TCM-GPT는 한의학 문헌만으로 사전학습한 최초의 70억 매개변수급 언어모델로, 한의사 자격시험 문제와 진단 과제에서 기존 범용 언어모델을 웃도는 성적을 냈습니다. 베이징의 인공지능 기업 수이무 물레쿨러(水木分子)는 칭화대학교 AIR연구소와 손잡고 1000억 개 매개변수를 지닌 거대 언어모델을 바탕으로 ChatDD라는 대화형 신약 개발 비서를 내놓았는데, 표적 발굴과 후보물질 탐색을 돕는 모듈과 임상시험 설계를 돕는 모듈을 나누어 제공하며 한의학 현대화 연구에도 적용을 넓히고 있습니다. 성분과 표적과 질병을 각각 따로 보던 서양 의학의 단일 표적 접근으로는 풀리지 않던 문제가, 여러 성분이 그물처럼 얽혀 여러 표적을 동시에 누르는 한의학의 원리를 인공지능이 수치로 옮기면서 다시 열리고 있습니다.

마카오대학교 연구진은 알츠하이머병처럼 원인 표적이 여러 개로 얽힌 신경퇴행성 질환을 겨냥해 한의학 문헌과 화합물 데이터를 통합한 별도의 인공지능 플랫폼을 구축하고, 다중 표적 접근이 이런 난치병에도 통할 수 있는지 시험하고 있습니다.

이런 성과에도 한의약 데이터를 인공지능이 그대로 삼키기는 쉽지 않습니다. 맥을 재고 혀를 보고 증상을 묻는 방식으로 쌓여 온 진단 정보는 애초에 수치로 남지 않았고, 처방 기록도

병원과 한의원마다 적는 방식이 제각각이어서 하나의 표로 정리하는 데만도 상당한 손질이 필요합니다. 데이터베이스를 구축하는 연구자들이 논문과 고서를 일일이 읽어 가며 성분과 표적 정보를 사람 손으로 두 번씩 검증하는 이유도 여기에 있습니다.

표준화되지 않은 자료를 무리하게 학습시키면 인공지능은 존재하지 않는 상관관계를 실제처럼 제시할 위험이 있어, 자료를 다듬는 손질 작업은 화려한 모델 개발 못지않게 중요합니다.

한국과학기술연구원은 자체 보유한 천연물 시료 정보를 디지털화하고 단백질 표적을 예측하는 인공지능 플랫폼 NPI-finder를 개발해, 감잎 에탄올 추출물이 안구건조 증상을 개선하는 효능을 입증하고 식품의약품안전처 승인과 기술이전까지 이끌어 냈습니다. 2020년 손미원 대표가 세운 엠테라파마는 여러 성분으로 이뤄진 천연물의 작용 기전을 정밀하게 밝혀내는 빅데이터 플랫폼 SyMthomics를 구축했고, 이 플랫폼에서 나온 당뇨병성 신경병증 치료제 후보 물질은 미국 임상 2상에서 통증을 48퍼센트 줄이는 결과를 얻어 임상 3상을 준비하고 있으며, 파킨슨병 치료제 후보 물질은 2022년 미국 임상 1상을 마치고 애브비와 엠에스디 같은 글로벌 제약사의 관심을 받았습니다.

영남대학교 의생명공학과 최인호 교수 연구팀은 인공지능과 인실리코 분석을 결합해 근감소증을 치료할 천연물 후보 물질을 찾아냈다고 2026년 발표했는데, 실험 없이 컴퓨터 분석만으로 후보를 추린 뒤 세포와 동물 실험으로 확인하는 순서를 그대로 따랐습니다. 정부도 2026년부터 2030년까지 이어질 제5차 한의약 육성발전 종합계획에 한의약 인공지능·디지털 대전환을 핵심 목표로 못박으며 이 흐름에 힘을 보태고 있습니다. 한동안 국내 제약업계에서 뒷전으로 밀려나 있다는 평가를 받던 천연물 신약은, 발굴 비용과 시간을 크게 줄여주는 인공지능 덕분에 다시 조명받는 자산으로 떠오르고 있습니다.

인공지능이 아무리 많은 후보를 골라내도 마지막 확인은 여전히 배양접시와 동물 모델을 거쳐야 합니다. 매사추세츠공과대학교 연구팀이 3600만 개의 가상 화합물 가운데 항균 효과가 기대되는 후보를 추린 뒤에도, 실제로 화합물을 합성하고 세균에 노출시켜 살아남는지 지켜보는 실험은 그대로 필요했습니다. 한국과학기술연구원의 NPI-finder 역시 컴퓨터 예측만으로 끝나지 않고 감잎 추출물을 실제로 적용하는 시험 단계를 거친 뒤에야 식품의약품안전처 승인을 받을 수 있었습니다.

예측과 실험을 번갈아 반복하면서 실험 결과가 예측과 어긋날 때마다 그 오차를 다시 모델에 학습시키는 이 순환 구조를 하이브리드 발굴이라고 부릅니다. 사람이 감당할 수 없던 탐색 범위를 인공지능이 먼저 좁혀 주고, 그렇게 좁혀진 목록만 사람이 손으로 확인하는 역할 분담이 지금 이 분야의 표준입니다. 인공지능이 내놓은 예측 하나하나가 곧바로 정답이 아니라 실험으로 확인해야 할 가설이라는 점을 인정할 때, 이 순환은 비로소 헛돌지 않고 다음 후보물질로 이어집니다.

식물화학물질 데이터와 한의학 처방 데이터, 그리고 딥러닝과 결합 친화도 예측 알고리즘, 즉 약물 분자가 표적 단백질에 얼마나 강하게 달라붙는지를 계산하는 알고리즘이 함께 만날 때 자연 모방 구조라는 새로운 설계 방식이 태어납니다. 처음부터 화합물을 백지에서 그리는 대신, 자연이 수억 년에 걸쳐 다듬어 온 뼈대를 인공지능이 학습하고 그 뼈대를 변형해 새 후보물질을 내놓는 방식입니다. 펠릭스 호프만이 버드나무 껍질 하나를 다듬어 아스피린을 만드는 데는 수십 년의 화학 지식이 쌓여야 했지만, 지금은 같은 계열의 뼈대를 수천 개 변형으로 동시에 그려 보고 그 가운데 유망도가 높은 후보를 며칠 안에 추릴 수 있습니다.

최근 공개된 AlphaFold3 계열의 구조 예측 모델을 화합물과 단백질의 결합 세기를 매기는 과제에 맞게 다듬은 모델은, 기존에 며칠씩 걸리던 자유에너지 섭동 계산과 비슷한 수준의 정확도를 훨씬 적은 연산으로 달성했다고 보고되었습니다. 항생제와 항암제와 지질강화제를 비롯해 이미 승인된 여러 치료제가 따지고 보면 자연에서 나온 뼈대에서 직접 또는 간접으로 갈라져 나온 물질이라는 점을 생각하면, 인공지능이 그 뼈대의 문법을 학습해 새 구조를 제안하는 지금의 흐름은 자연스러운 다음 단계로 보입니다.

천연물이 신약의 재료로 각별한 까닭은 수억 년에 걸친 진화가 이미 한 차례 걸러 낸 구조이기 때문입니다. 식물과 미생물은 포식자를 막거나 경쟁자를 억누르려고 화학물질을 만들어 왔고, 그 과정에서 살아 있는 세포의 단백질과 맞물리도록 다듬어진 입체 구조가 자연스럽게 쌓였습니다. 실험실에서 컴퓨터로 처음부터 설계한 화합물이 종종 세포막을 통과하지 못하거나 몸속에서 금방 분해되는 것과 달리, 천연물의 뼈대는 이미 생물학적 환경에서 살아남는 시험을 통과한 구조인 셈입니다.

항생제와 항암제, 면역억제제처럼 지금 병원에서 쓰이는 약물 계열 여러 개가 이런 자연 유래 뼈대에서 갈라져 나왔다는 점은 이 강점을 뒷받침합니다. 화학정보학 연구자들 사이에서는 무작위로 생성한 가상 화합물보다 자연에서 나온 뼈대를 출발점으로 삼을 때 신약 후보가 임상 단계까지 살아남을 확률이 더 높다는 견해가 힘을 얻고 있습니다.

그러나 같은 이유로 천연물은 다루기가 까다롭습니다. 한 식물 안에도 수백 가지 성분이 섞여 있어 어느 성분이 약효를 내는지 가려내기 어렵고, 유효 성분이 전체 추출물의 100만분의 1 수준으로만 존재하는 경우도 흔합니다. 자생지의 기후와 토양에 따라 성분 함량이 해마다 달라져 재현성을 확보하기 어렵고, 구조가 복잡한 분자는 화학적으로 대량 합성하기도 쉽지 않습니다. 실제로 파클리탁셀을 처음 생산하던 시기에는 태평양 주목나무 수천 그루의 껍질이 벗겨져 나가면서 그 나무 자체가 자원 고갈 위기를 맞기도 했는데, 유효 성분을 채취하려다 원료가 되는 식물이나 균주를 멸종 위기로 내모는 역설은 지금도 완전히 해결되지 않았습니다.

고전적인 탐색 방식은 같은 화합물을 반복해서 다시 찾아내는 일이 잦아, 시료를 아무리 많이 모아도 정말 새로운 구조를 만날 확률이 낮다는 한계도 오랫동안 지적받아 왔습니다. 인공지능은 이미 알려진 화합물의 질량분석 지문을 미리 걸러 내는 방식으로 이런 중복 발견의 낭비를 줄여 주지만, 그렇게 찾아낸 물질을 실제 식물과 미생물에서 충분한 양으로 다시 얻어 내는 일은 여전히 사람의 손을 필요로 합니다.

천연물이 몸속에 들어갔을 때 어떻게 흡수되고 분해되며 독성을 일으키는지를 예측하는 일, 이른바 ADMET 예측에서도 인공지능의 쓰임새가 커지고 있습니다. 여러 성분이 뒤섞인 추출물은 성분끼리 서로 흡수를 돕거나 방해하는 상호작용이 얹혀 있어 단일 화합물을 다루듯 독성을 계산하기 어려웠습니다. 최근에는 개별 성분의 구조뿐 아니라 성분들의 조합 비율까지 함께 입력받아 간 독성이나 심장 독성이 나타날 확률을 계산하는 다중 성분 예측 모델이 하나둘 발표되고 있습니다.

정제된 단일 성분이 아니라 원래 그대로의 복합 추출물을 규제 기관에서 승인받으려는 천연물 신약 개발사들에게는 이런 예측 능력이 임상시험을 설계하는 단계에서부터 실패 확률을 낮추는 실질적인 도구가 되고 있습니다.

자연에서 얻은 지식을 디지털 데이터로 바꾸는 이 작업은 그 지식이 원래 누구의 것이었는 가라는 질문도 함께 불러옵니다. 2010년 채택된 나고야의정서는 어느 나라의 생물자원과 그에 딸린 전통지식을 이용해 이익을 얻었다면 그 이익을 자원의 원산지 국가와 지역공동체에 나누도록 정한 국제 협약입니다. 문제는 요즘 인공지능이 다루는 것이 식물 표본이나 씨앗 같은 물리적 자원이 아니라 그 유전자 서열을 옮겨 적은 디지털 서열정보라는 데 있습니다. 씨앗은 세관을 거치지만 데이터는 그렇지 않습니다. 생물 시료 하나 국경을 넘기지 않고도 공개된 데이터베이스에서 서열 정보만 내려받아 인공지능을 학습시킬 수 있게 되면서,

원산지 국가에 어떻게 이익을 나눌 것인지를 둘러싼 논쟁이 길게 이어졌습니다.

마다가스카르의 협죽도와 식물에서 나온 항암제 빈크리스틴은 이런 우려를 보여 주는 사례로 자주 거론됩니다. 서구 제약회사가 이 식물에서 막대한 매출을 올린 항암제를 개발했지만, 정작 원산지인 마다가스카르에는 그에 걸맞은 보상이 거의 돌아가지 않았다는 지적이 오랫동안 이어져 왔습니다. 협상장에서 유전자원이 풍부한 개발도상국들은 디지털 서열정보도 물리적 자원과 똑같이 취급해야 한다고 주장한 반면, 이 정보를 주로 다루는 선진국의 제약회사와 학계는 지나치게 엄격한 규제가 오히려 연구 속도를 늦춘다고 맞섰습니다.

2025년 2월 25일 이탈리아 로마에서는 생물다양성협약 나고야의정서 당사국들이 칼리 기금(Cali Fund)이라는 국제 재원을 출범시켰고, 이틀 뒤에는 디지털 서열정보에 관한 공식 결정문도 채택했습니다. 유전자원의 디지털 서열정보를 이용해 이익을 얻는 기업은 매출의 0.1퍼센트 또는 이익의 1퍼센트를 이 기금에 내도록 권고받으며, 모인 재원은 생물다양성이 풍부한 개발도상국과 원주민 공동체를 지원하는 데 쓰입니다.

아직 이 권고를 따르는 기업이 많지 않고 법적 구속력도 약하지만, 디지털 정보만으로 신약을 설계하는 시대에 원산지 국가에 이익을 어떻게든 돌려주려는 국제사회의 첫걸음이라는 점에서 의미가 있습니다. 한약 처방을 역설계하고 미생물 유전체를 마이닝하는 모든 작업의 밑바탕에는 결국 특정한 땅과 특정한 공동체가 오랫동안 지켜 온 생물자원이 있다는 사실을, 이 기금은 숫자로 다시 확인시켜 줍니다.

한약 처방 하나를 그래프로 바꾸고 미생물 유전체 하나를 언어모델에 입력하는 일은 이제 기술적으로는 어렵지 않습니다. 정작 오래 걸리는 일은 그렇게 찾아낸 후보물질을 실제 환자에게 안전하게 쓸 수 있는 약으로 만드는 마지막 구간과, 그 발견의 뿌리가 된 지식과 생물 자원에서 나온 이익을 정직하게 나누는 절차입니다. 그래프 신경망도 대형 언어모델도 결국 사람이 수천 년 동안 관찰하고 기록하고 실패하며 쌓은 자료 위에서 작동합니다. 개뿔쑥을 낮은 온도에서 우려내라던 옛 구절 하나가 노벨상으로 이어졌듯, 지금 데이터베이스 어딘가에 잠들어 있는 처방과 서열 하나도 다음 신약으로 이어질 수 있습니다.

수억 년의 진화와 수천 년의 경험이 남긴 기록을 인공지능이 읽어 내는 지금, 그 기록을 처음 남긴 땅과 사람에게 정당한 이익이 돌아가는지가 이 기술의 다음 성패를 가를 것으로 보입니다. 화면 속 그래프와 실험대 위 배양접시, 그리고 그 뿌리가 자란 숲과 마을까지 모두 이어져야 비로소 한 알의 약이 완성된다는 사실은, 인공지능이 아무리 정교해져도 달라지지

않을 것으로 보입니다.

한국한의학연구원은 지난 10년 동안 인공지능 관련 과제와 체질유전체 역학 과제를 통해 5만 명 가까운 임상 데이터를 모아 왔습니다. 한의사의 경험과 주관적 판단에 기대는 진단 방식은 한의학을 과학으로 인정받게 하려는 노력에서 오랫동안 걸림돌로 지적되어 왔는데, 연구원은 유전체와 안면 사진과 웨어러블 기기 측정값을 함께 모아 이 판단을 숫자로 뒷받침하는 방향을 택했습니다.

여기에 더해 한의계는 국제 의료정보 표준인 FHIR 형식에 맞춰 임상 기록을 정리하는 작업도 스스로 시작했습니다. 이 표준을 따르면 한의원에서 적은 진료 기록도 병원 전자의무기록이나 건강보험 자료 같은 다른 의료 정보와 이어 볼 수 있게 됩니다. 연구원은 이렇게 갖춘 자료를 한의 정밀의료 기술을 개발하는 데 쓸 계획입니다.

성분을 일정하게 맞추는 일은 규제 문턱을 넘는 데도 그대로 걸림돌이 됩니다. 2015년 감사원은 천연물신약 제도가 국내 기업에 지나친 특혜를 준다고 지적했고, 그 뒤 식약처는 천연물신약이라는 별도 분류 자체를 없애고 심사 기준을 신약 수준으로 끌어올렸습니다. 미국 식품의약국도 2016년 천연물의약품 개발 지침을 내놓으며 이 문제를 풀어 보려 했지만, 식물 추출물을 가공하지 않고 그대로 약으로 승인받은 사례는 2006년 베레겐과 2012년 크로펠레머 정도로 지금도 손에 꼽습니다.

채취 시기와 산지에 따라 성분 함량이 달라지는 물질을 두고 심사관이 매번 같은 약이라고 판단하기는 쉬운 일이 아니기 때문입니다. 인공지능이 성분 편차를 미리 계산해 보정값을 내놓더라도, 그 값을 근거로 승인 여부를 정하는 일은 앞으로도 사람 심사관이 맡을 가능성이 큼니다.

전통지식이 신약으로 이어진 사례 하나는 이익을 어떻게 나눌지 생각해 볼 실마리를 던져 줍니다. 페루령 아마존의 원주민들은 크로톤 록레리 나무에서 나오는 붉은 수액을 상처와 배탈을 다스리는 약으로 오래전부터 써 왔습니다. 이 지식을 눈여겨본 제약회사는 19개 원주민 공동체, 30여 곳에서 수액을 지속 가능한 방식으로 걷어 오는 관계를 수십 년째 이어 왔습니다. 이렇게 만든 크로펠레머는 2012년 에이즈 환자의 만성 설사를 다스리는 약으로 미국 식품의약국 승인을 받았고, 회사는 그 대가로 채취 지역에 교육과 식수 사업을 지원해 왔다고 밝히고 있습니다.

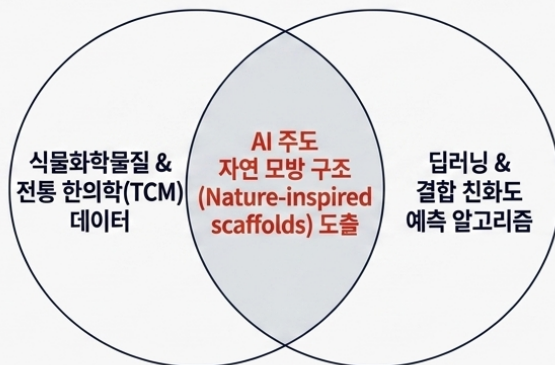
계약서 한 장보다 수십 년에 걸쳐 쌓은 신뢰가 이런 나눔을 지탱해 온 셈인데, 서열 정보만으로도 신약을 설계할 수 있는 지금 같은 시대에는 회사의 선의만으로 원산지 공동체를 오래 지켜 주기는 어려울 것으로 보입니다.

천연물 신약 데이터베이스의 AI 해독과 하이브리드 발굴

3.2 천연물 신약 데이터베이스의 AI 해독과 하이브리드 발굴

AI는 방대한 자연계의 화학적 다양성을 그래프 신경망으로 해독하여 혁신적인 신약 후보물질을 재발견합니다.

- 식물화학물질(Phytochemicals)과 천연물 신약(Natural products) 구조를 분석하여 기존에 알려지지 않은 신규 약리학적 기전을 발굴합니다.
- 전통 한의학(TCM) 처방 데이터를 AI로 역설계(Reverse engineering)하여 다중 표적 약물의 강력한 시너지 효과를 규명합니다.



3.3

나노의학 및 스마트 표적 전달 시스템 (Nanomedicine)

2020년 12월, 미국과 유럽의 공항에는 영하 70도를 견디는 특수 냉동 컨테이너를 실은 화물기가 잇달아 내렸습니다. 상자 안에는 화이자와 바이오엔테크(BioNTech)가 함께 만든 코로나19 백신 BNT162b2가 실려 있었고, 그 백신 한 방울 안에는 눈에 보이지 않는 기름 방울 수십억 개가 떠 있었습니다. 이 기름 방울 하나하나가 바로 지질 나노입자(LNP)입니다. 유전자 서열이 공개된 지 25일 만에 초기 설계를 끝낸 모더나(Moderna)도, 8개월이라는 기록적인 속도로 긴급승인을 받아낸 화이자·바이오엔테크도, 승부를 가른 것은 백신의 핵심 재료인 메신저 리보핵산(mRNA)이 아니라 그 여린 유전물질을 몸속까지 무사히 데려다 준 기름 방울, 즉 나노입자였습니다.

mRNA는 혼자서는 몸속 효소에 금방 분해되어 버리는 약한 분자였고, 이 기름 방울이 우산처럼 감싸 주지 않았다면 백신은 세상에 나오지 못했을 것입니다. 이날 이후 전 세계에서 수십억 명이 팔을 걷어붙이고 이 기름 방울을 맞았고, 지질 나노입자는 실험실의 낯선 소재에서 인류 전체가 몸으로 겪은 첫 상용 나노의약품으로 단숨에 올라섰습니다. 이 기름 방울 기술의 뿌리에는 캐나다에서 수십 년간 지질 나노입자를 연구해 온 피터 컬리스(Pieter Cullis)와 그가 세운 아큐이타스 테라퓨틱스(Acuitas Therapeutics)가 있으며, 화이자·바이오엔테크가 쓴 지질 나노입자의 핵심 특허 상당수가 이 캐나다 회사에서 나왔습니다.

그날 활주로에 내린 것은 단지 백신 상자가 아니라, 나노의학이 실험실 담장을 넘어 전 인류의 팔뚝에 꽃히는 순간이었습니다.

1나노미터는 1미터를 십억 개로 쪼갠 크기입니다. 유리구슬 하나를 1나노미터라고 친다면 1미터는 지구 하나와 맞먹는 크기가 되니, 그만큼 작은 세계입니다. 백신에 쓰인 지질 나노입자는 지름이 대략 100나노미터 안팎으로, 사람 머리카락 굵기의 천 분의 1도 되지 않습니다. 우리 몸의 적혈구 하나가 대략 7000나노미터쯤 되니, 이 나노입자를 일렬로 세우면 적혈구 하나를 가로지르는 데만 일흔 개 남짓이 필요한 셈입니다. 눈으로도, 웬만한 현미경으로도 날개로는 볼 수 없는 크기에서 나노의학의 모든 이야기가 시작됩니다.

그런데 이렇게 작은 세계에서는 크기가 몇 나노미터만 달라져도 입자가 간으로 가는지 폐로 가는지, 세포 속으로 들어가는지 밖에서 걸러지는지가 완전히 달라집니다. 표면에 어떤 분자를 붙였는지, 표면이 양전하를 띠는지 음전하를 띠는지도 마찬가지로 목적지를 바꾸는 결정적 요인입니다. 우체국 소포가 크기와 겉면 표기에 따라 다른 창구로 분류되듯, 나노입자도 크기와 표면 성질에 따라 몸속 서로 다른 장기로 갈립니다. 몸속 혈관과 세포막에 뚫린 틈의 크기도 저마다 달라서, 너무 크면 아예 들어가지 못하고 너무 작으면 콩팥에서 걸러져 금방 몸 밖으로 빠져나가 버립니다.

나노입자를 이용해 약을 나르겠다는 생각 자체는 새롭지 않습니다. 1995년 미국 식품의약국은 항암제 독소루비신을 기름 막으로 겹겹이 감싼 독실(Doxil)이라는 약을 승인해, 나노기술이 실제 환자에게 쓰인 첫 사례를 남겼습니다. 이후 알부민이라는 혈액 단백질에 항암제 파클리탁셀을 붙인 아브락산(Abraxane) 같은 후속 약들이 나오긴 했지만, 그 걸음은 더디기만 했습니다. 2025년 한 해를 기준으로 전 세계에서 임상에 쓰이도록 승인받은 나노의약품은 다 합쳐도 50개에서 80개 남짓에 머물렀고, 그나마도 대부분 수십 년 묵은 화학적 기본 원리를 크게 벗어나지 못했습니다.

새로운 조합 하나를 시험관에서 만들어 세포와 동물에 넣어 보고 결과를 얻기까지 몇 달이 걸렸고, 결과가 실통치 않으면 처음부터 다시 시작해야 했던 탓입니다. 30년 가까이 사람의 직관과 반복 실험에 기대어 온 이 더딘 걸음이, 인공지능을 만나면서 비로소 빨라지기 시작했습니다.

2025년, 나노사파리(NanoSafari)라는 이름의 인공지능 에이전트가 2만 편이 넘는 나노과학 논문을 밤낮없이 읽어 내려갔습니다. 이 에이전트는 논문마다 흩어져 있던 나노입자 합성 조건과 크기, 표면 성질 데이터를 하나로 모아 거대 언어 모델과 이어진 지식 데이터베이스를 만들어 냈습니다. 연구자 한 사람이 평생에 걸쳐 읽어야 할 분량을 인공지능이 하룻밤 사이에 읽어 내는 셈이니, 몇 달씩 걸리던 문헌 조사가 하루 만에 끝나는 것과 다르지 않습니다. 예전에는 연구자가 실험대 앞에서 몇 달, 몇 년을 시행착오로 보내야 나노입자 하나의 최적 배합을 찾을 수 있었습니다.

이제는 원자와 분자를 벽돌처럼 하나하나 쌓아 올려 원하는 기능을 갖춘 구조물을 짓는 나노아키텍토닉스(Nanoarchitectonics)라는 접근이 인공지능의 손을 빌려 빠르게 퍼지고 있습니다. 건축가가 설계도를 그리고 나서야 건물을 올리듯, 인공지능이 먼저 분자 설계도를 그리고 그 설계도대로 나노입자를 조립하는 순서가 표준으로 굳어져 가고 있습니다. 이

런 설계 방식은 신약 개발에 머물지 않고 화장품이나 정밀 화학 소재를 만드는 데까지 번지고 있어, 나노 단위 설계 전반을 아우르는 접근으로 영역을 넓혀 가는 모습입니다.

성균관대학교 연구진이 2025년 국제학술지 어드밴스드 머티리얼스(Advanced Materials)에 발표한 논문은 이 흐름을 뚜렷하게 정리해 보여줍니다. 질병을 일으키는 몸속 표적을 생물정보학으로 찾아내는 단계에서 출발해, 기계학습으로 나노입자 표면을 정밀하게 설계하는 단계를 거쳐, 인실리코 즉 컴퓨터 안에서 이 입자가 몸속 어디로 퍼지고 언제 약물을 내놓을지 미리 계산해 보는 단계로 이어지는 하나의 고리입니다. 이 고리는 한 방향으로 끝나지 않고 다시 처음으로 돌아가 다음 설계에 반영되는 닫힌 순환 구조를 이룹니다.

예전 같으면 몇 주씩 걸리던 한 번의 설계와 합성, 평가 주기가 컴퓨터 안에서는 하루 이틀 만에 몇 번이고 되풀이될 수 있습니다. 이 순환이 촘촘해질수록 엉뚱한 장기에 약물이 쌓이는 오프타겟 부작용은 줄고, 환자 개개인의 몸 상태에 맞춘 설계도 한층 가까워지고 있습니다. 연구실 벤치 위에서 되풀이하던 시행착오를 컴퓨터 화면 위의 시뮬레이션으로 옮겨 놓았다는 점에서, 이는 나노의학 연구의 속도를 근본적으로 바꾸어 놓은 전환점으로 보입니다.

이렇게 설계된 나노입자 하나를 뜯어보면 마치 정성 들어 포장한 선물 상자와 닮았습니다. 맨 바깥쪽 껍질에는 특정 조직이나 세포에만 달라붙는 표적 리간드, 즉 단백질이나 당사슬처럼 몸속 특정 수용체에 정확히 달라붙는 작은 꼬리표가 붙어 있습니다. 이 꼬리표가 종양 미세환경(TME)이나 혈액뇌장벽(BBB)처럼 까다로운 목적지를 알아보고 문을 열어 줍니다. 그 안쪽에는 기계학습으로 두께와 배열, 구성 비율까지 세밀하게 계산된 뼈대가 놓여 입자 전체의 크기와 단단함, 분해 속도를 결정합니다.

그리고 맨 안쪽 중심부에는 실제로 몸에 작용하는 약물, 즉 페이로드가 들어 있어 목적지에 도착한 뒤에야 비로소 제 역할을 시작합니다. 세 겹을 따로 떼어 설계할 수 있다는 점이 핵심인데, 속 재료는 그대로 두고 겉면 꼬리표만 바꾸어 붙이면 전혀 다른 장기를 겨냥하는 나노입자를 새로 만들어 낼 수 있습니다. 이 세 겹 가운데 어느 한 겹이라도 설계가 어긋나면 나노입자는 엉뚱한 장기에서 약물을 흘리거나 목적지에 닿기도 전에 몸 밖으로 씻겨 나가 버립니다.

6만여 개에 이르는 가상 지질 화합물 라이브러리를 애자일(Agile)이라는 딥러닝 플랫폼이 스스로 학습한 뒤, 실제 실험실에서 대량으로 합성하고 측정한 데이터로 다시 다듬는 과정을 거쳐 이온화 지질이 세포 안으로 유전물질을 얼마나 잘 옮기는지를 미리 가려냅니다.

2025년 8월 국제학술지 네이처 나노테크놀로지(Nature Nanotechnology)에는 코멧(COMET)이라는 트랜스포머 구조의 신경망 모델이 소개되었는데, 이 모델은 랜스(LANCE)라는 역대 최대 규모의 지질 나노입자 데이터셋으로 학습해 낮선 조합의 지질 나노입자에도 효능을 예측해 낼 수 있었습니다.

같은 해 11월에는 존스홉킨스(Johns Hopkins) 연구진이 수백 종에 이르는 지질 나노입자 배합을 고속으로 만들어 시험한 뒤, 기계학습으로 유전자 편집 효율을 높이는 배합 조건을 찾아냈다고 밝혔습니다. 2026년에는 여러 개의 거대 언어 모델 에이전트가 역할을 나누어 협업하면서 새로운 지질 구조를 제안하고 서로의 설계를 교차 검증해 안전성까지 함께 따지는 리포에이전트(LipoAgent)라는 시스템도 학계에 등장했습니다. 실험실 벤치가 데이터 공장으로, 컴퓨터가 설계자로 바뀌어 가는 흐름을 잘 보여 주는 사례들입니다.

지질 나노입자를 어느 장기로 보낼지 결정하는 데는 선택적 장기 표적화(SORT)라는 기술이 널리 쓰입니다. 열쇠 꾸러미에서 어떤 열쇠를 골라 쥐느냐에 따라 서로 다른 문이 열리듯, 지질 나노입자 표면에 더하는 지질 분자의 성질에 따라 입자가 찾아가는 장기가 달라집니다. 양전하를 띠는 지질을 더하면 폐로, 음전하를 띠는 지질을 더하면 비장으로, 이온화되는 아미노 지질을 더하면 간으로 입자가 몰려간다는 사실이 실험으로 확인되었습니다. 입자 표면을 덮고 있던 폴리에틸렌글리콜 성분이 몸속에서 떨어져 나가면서 혈액 속 특정 단백질이 그 위치에 새로 달라붙고, 이 단백질이 각 장기 세포의 수용체와 짝을 이루면서 목적지가 정해지는 순서입니다.

장기를 골라 겨냥할 수 있게 되면서, 간에서만 작동해야 할 유전자 치료제가 폐나 심장까지 번져 일으키던 부작용도 줄어드는 추세입니다. 인공지능은 이 미묘한 화학적 조합을 사람이 손으로 하나하나 실험하는 대신 수많은 후보 가운데서 빠르게 걸러 내는 역할을 맡고 있습니다.

지질 나노입자 못지않게 폴리머와 미셀 계열의 운반체도 인공지능의 손을 거쳐 정교해지고 있습니다. 미세한 유체 통로에서 입자를 만들어 내는 미세유체 공학 장비와 고해상도 이미징 데이터를 함께 학습한 기계학습 모델은 입자의 크기와 표면 전하, 모양까지 스스로 조정해 냅니다. 나노입자가 혈류에 들어가는 순간 혈장 속 단백질들이 입자 표면에 우르르 달라붙어 마치 코트를 걸치듯 새로운 표면을 만드는 현상을 단백질 코로나라고 부르는데, 이 코트가 무엇으로 짜이느냐에 따라 입자가 얼마나 오래 혈액 속에 머물고 어느 세포로 흡수되는지가 갈립니다.

연구자들은 817종의 나노입자 배합과 2497종의 단백질 흡착 데이터를 모은 데이터베이스를 바탕으로, 여러 개의 작은 판단 규칙을 모아 결론을 내리는 랜덤 포레스트나 엑스지부스트 같은 해석 가능한 알고리즘을 훈련시켜, 입자 크기와 표면 전하, 혈액 속에 머문 시간이 단백질 코로나를 좌우하는 핵심 변수라는 사실을 밝혀냈습니다. 최근에는 디엔에이(DNA) 가닥을 접어 만든 훨씬 복잡한 나노구조물에서도 단백질 코로나를 예측하는 연구가 뒤따르고 있어, 예측 대상이 지질과 고분자를 넘어 점점 넓어지는 추세입니다.

이 예측이 정교해질수록, 오랫동안 혈액 속에 머물러야 하는 항암제 운반체와 표적 세포에 빠르게 흡수되어야 하는 백신 운반체를 서로 다른 표면 설계로 구분해 만들 수 있습니다. 임상시험에 들어가기 전 컴퓨터 안에서 이 코트의 모양을 미리 그려 볼 수 있게 된 셈입니다.

뇌를 치료 대상으로 삼을 때는 훨씬 더 높은 벽이 기다리고 있습니다. 뇌혈관 벽에는 촘촘한 그물망 같은 혈액뇌장벽(BBB)이 둘러쳐져 있어, 알약으로 먹는 치료 후보 물질 100개 가운데 이 장벽을 통과하는 것은 많아야 여섯 개, 적으면 두세 개에 그칩니다. 알츠하이머병이나 파킨슨병을 겨냥해 만든 신약 후보들이 동물실험에서는 효과를 보이기도 사람 몸에서 이 장벽을 넘지 못해 임상시험 막바지에 무너진 사례가 셀 수 없이 많습니다. 트랜스포머 계열 모델인 메가몰바트(MegaMolBART)와 엑스지부스트를 결합한 예측 모델은 8천여 개 화합물의 통과 여부를 정리한 데이터베이스로 학습해, 예측이 실제와 얼마나 들어맞는지 보여주는 곡선하면적 지표에서 0.88이라는 점수를 냈습니다.

2025년 8월 미국 랜턴파마(Lantern Pharma)는 predictBBB.ai라는 인공지능 모듈을 공개했는데, 화합물의 구조 정보만으로 혈액뇌장벽 통과 여부를 94퍼센트에 이르는 정확도로 가려낸다고 밝혔습니다. 그래프 신경망으로 분자 구조를 읽어 내는 이런 예측 모델들은 신약 후보를 동물실험에 넣기 전 컴퓨터 화면 위에서 걸러내는 문지기 역할을 하고 있습니다. 이런 예측 도구 하나가 걸러 주는 실패작 덕분에, 동물실험에 들어가던 예산과 시간이 크게 줄어들고 있다는 평가가 나옵니다.

화학적으로 이 장벽을 그냥 통과하기 어려운 큰 분자는 아예 다른 길을 택합니다. 뇌혈관 세포 표면에 많이 나타나는 트랜스페린 수용체 같은 통로 단백질에 달라붙는 항체나 작은 단백질을 나노입자 겉면에 붙이면, 마치 목마 속에 병사를 숨기듯 그 수용체가 원래 하던 물질 운반 작업에 슬쩍 올라타 뇌 안쪽까지 함께 실려 들어갈 수 있습니다. 인공지능은 항체의 어느 부위를 어떻게 바꾸어야 수용체와는 딱 붙으면서도 몸속에서 엉뚱한 면역 반응을 일으키지 않는지를 수많은 아미노산 조합 가운데서 찾아내는 데 쓰이고 있습니다.

이런 수용체 매개 통과 기술은 예측 모델과 짝을 이루어, 어떤 항체 설계가 통과 확률을 크게 높이는지 컴퓨터 위에서 먼저 걸러 낸 뒤 실험으로 확인하는 순서가 새로운 표준으로 통하고 있습니다.

합성 나노입자만으로 뚫기 힘든 이 장벽 앞에서 과학자들이 주목한 것이 살아 있는 세포가 스스로 뿜어내는 나노 크기의 주머니, 엑소좀입니다. 몸이 스스로 만들어 쓰던 소포체이다 보니 면역계가 이물질로 오인해 공격할 위험이 합성 나노입자보다 낮다는 점이 임상 현장에서 엑소좀을 선호하는 이유 가운데 하나입니다. 지방에서 뽑아낸 줄기세포나 골수의 중간엽 줄기세포에서 얻은 엑소좀에 인공지능이 계산해 낸 최적 비율로 약물을 채워 넣은 뒤, 코로 뿌려 투여하는 임상시험이 여러 곳에서 진행되고 있습니다. 콧속 점막과 맞닿은 후각 신경 다발을 타고 들어가면 온몸을 도는 혈액 순환을 거치지 않고도 뇌 병변 부위까지 곧장 닿을 수 있기 때문입니다.

혈액이라는 큰길을 거치지 않고 후각 신경이라는 지름길로 곧장 뇌까지 들어가는 경로인 셈입니다. 빛으로 작동을 켜고 끄는 단백질 전달 기술이나 유전자 발현을 잠재우는 크리스퍼 간섭 기술을 엑소좀에 실어, 파킨슨병에 걸린 실험쥐의 뇌 신경망에서 알파시누클레인이라는 병을 일으키는 단백질의 유전자 스위치를 꺼트린 실험도 보고되었습니다. 몸이 원래 만들어 쓰던 운반체를 빌려 쓴다는 점에서, 엑소좀은 뇌까지 약물을 데려다줄 다음 세대 운반체로 꼽힙니다.

다만 엑소좀이 연구실을 벗어나 약국 선반에 오르기까지는 아직 거리가 남아 있습니다. 2026년 기준으로 전 세계에서 개발 중인 엑소좀 치료제 후보는 120종 안팎이고 이 가운데 40퍼센트 남짓이 임상시험 단계에 들어섰지만, 581억 달러 규모로 추산되는 시장 전망과 달리 미국 식품의약국의 승인을 받은 엑소좀 치료제는 아직 하나도 없습니다. 척수 손상이나 시신경 손상을 겨냥한 ExoPTEN이라는 후보 물질도 사람 대상 임상시험 진입을 목표로 전임상 단계를 밟고 있어, 뒤를 잇는 후보들의 발걸음도 분주합니다.

엑소좀을 분비하는 심장 유래 세포치료제 데라미오셀(Deramioce)을 개발해 온 캐프리카 테라퓨틱스(Capricor Therapeutics)는 2026년 7월 29일 열린 식품의약국 자문위원회에서 뒤센 근이영양증 심근병증에 대한 효과를 입증하지 못했다는 9대 3의 부정적 표결을 받았고, 8월 22일로 예정된 최종 심사 결과를 기다리고 있습니다. 자문위원회의 표결에는 강제력이 없지만, 아무리 정교한 인공지능 예측과 동물실험 결과가 쌓여도 사람을 대상으로 한 마지막 관문 앞에서는 여전히 조심스러운 잣대가 적용된다는 사실을 이 사례는 보여 줍

니다.

업계에서는 데라미오셀의 최종 결론이 어느 쪽으로 나든, 그 결과가 엑소좀이라는 치료 방식 전체를 바라보는 규제 당국의 눈높이에 오랫동안 영향을 미칠 것으로 내다보고 있습니다.

뇌가 아닌 고형암으로 눈을 돌리면 종양 미세환경(TME)이라는 또 다른 난제가 기다리고 있습니다. 종양 주변 조직은 혈관이 비뚤배뚤 뻗어 있고 산소가 모자라며 산도까지 정상 조직과 달라서, 어느 한 가지 방식만으로는 약물을 구석구석 전달하기 어렵습니다. 혈관 벽의 틈이 유난히 성긴 종양 조직에 나노입자가 잘 스며들고 오래 머무는 현상을 투과 저류 효과라고 부르는데, 연구진은 378개 종양 데이터 세트와 200여 편의 논문에서 뽑아낸 생물학적 반응 정보를 나노입자의 화학구조와 생물학적 효과 사이의 관계를 담은 구조 활성 관계 모델과 몸속에서 약물이 흡수되고 퍼지는 과정을 수식으로 풀어낸 생리학적 약동학 모델에 함께 넣어 이 현상을 24시간 뒤 기준으로 계산해 냈습니다.

예측값과 실제값이 얼마나 들어맞는지 보여 주는 결정계수가 0.83에 이를 만큼 정확도가 높았습니다. 여기서 한 걸음 더 나아간 생체재료 역설계는 순서를 아예 거꾸로 뒤집습니다. 종양 세포를 죽이고 싶다거나 면역세포를 깨우고 싶다는 최종 목표를 먼저 입력하면, 알고리즘이 방대한 데이터베이스를 거슬러 올라가 그 목표에 맞는 고분자 비율과 표면 리간드, 심지어 종양 세포막이나 적혈구막을 흉내 낸 위장 코팅까지 거꾸로 찾아냅니다. 종양이 뱉어내는 특정 효소나 낮은 산도에만 반응해 그곳에서만 약물을 터뜨리는 똑똑한 운반체가 이렇게 만들어지고 있습니다.

다만 종양마다, 심지어 같은 종양이라도 환자마다 미세환경의 세부 조건이 달라서, 한 환자에게서 검증된 설계를 다른 환자에게 그대로 옮기기는 쉽지 않은 경우가 많습니다.

치료제를 몸속에 들여보내는 일 못지않게, 병이 얼마나 깊어졌는지를 미리 알아채는 일도 나노기술과 인공지능이 함께 맡고 있습니다. 표면증강 라만산란이나 국소 표면 플라즈몬 공명 같은 나노 광학 기술은 혈액이나 뇌척수액 속에 아주 적은 양만 떠 있는 병의 신호마저 붙잡아 빛의 형태로 증폭시켜 줍니다. 쉽게 말해 손전등의 희미한 불빛을 오목거울로 모아 밝게 비추는 이치와 비슷합니다. 인공지능은 이렇게 증폭된 복잡한 빛의 스펙트럼과 형광 신호를 실시간으로 읽어 내어 알츠하이머병의 표지자인 아밀로이드 베타와 타우 단백질이 뭉치기 시작하는 초기 순간을 남들보다 먼저 알아냅니다.

증상이 겉으로 드러나기 몇 년 전에, 환자 스스로도 알아채지 못하는 시점에 병의 싹을 찾아낸다는 점에서 기존 진단법과는 결이 다릅니다. 고해상도 나노 영상 장비와 딥러닝 영상 분석을 함께 쓰면 몸속에 넣은 나노입자가 실제로 병변 부위에 얼마나 모였는지, 약물이 어떤 속도로 흘러나오고 있는지를 몸 밖에서도 지켜볼 수 있습니다.

여기서 한 걸음 더 나아가면 몸속에 심은 나노 센서가 환자의 생체 신호를 실시간으로 인공지능에 되돌려 보내고, 인공지능이 그 신호에 맞추어 약물 방출 속도를 스스로 조절하는 자율 구동형 정밀 의료가 다음 목표로 떠오르고 있습니다. 혈당을 재서 인슐린 양을 자동으로 맞추는 기기가 이미 당뇨병 환자 곁을 지키고 있듯, 암이나 퇴행성 뇌질환에서도 몸속 나노 센서와 나노 운반체가 짝을 이루어 사람 손을 거치지 않고 하루 종일 약물량을 맞추어 주는 날이 머지않았다는 전망이 나옵니다.

다만 이런 자율 구동형 시스템이 실제 병실에 들어오려면 센서가 잘못된 신호를 보냈을 때 약물이 지나치게 많이 풀리지 않도록 막는 안전장치까지 함께 검증되어야 합니다. 진단과 치료, 그리고 그 사이를 잇는 자율 조절 기능을 한 몸에 담은 나노 시스템은 나노의학이 다음으로 나아갈 방향을 보여 주는 예시로 꼽힙니다.

인공지능 모델을 훈련시킬 만큼 질 좋은 나노독성 데이터는 턱없이 모자라고, 실험실마다 측정 방법과 기준이 제각각이어서 데이터를 한데 모으는 일에서부터 쉽지 않습니다. 같은 나노입자를 두고도 어느 실험실에서 측정했는지에 따라 독성 수치가 달라지는 사례가 드물지 않아, 서로 다른 결과 가운데 어느 쪽 손을 들어 주어야 할지 판단하기 어려운 경우도 생깁니다. 여러 대학과 기업이 저마다 다른 프로토콜로 쌓아 온 데이터를 하나의 표준으로 모으는 작업조차 지금은 걸음마 단계에 머물러 있습니다. 예측 정확도가 아무리 높아도 딥러닝 모델은 왜 특정 나노입자 구조가 독성을 일으키지 않는다고 판단했는지를 임상이나 규제 담당자에게 조리 있게 설명해 내지 못하는 블랙박스 문제를 안고 있습니다.

물질의 움직임을 미분방정식으로 풀어내는 전통적인 생물물리학 모델과 데이터에서 곧바로 답을 찾는 인공지능 모델이 서로 손발을 맞추지 못하면, 컴퓨터 화면 위에서는 완벽했던 예측이 실제 몸속에서는 면역 거부 반응이나 예상 밖의 부작용으로 번질 위험이 늘 남아 있습니다. 게다가 인공지능이 새로 제안한 나노입자 구조라 해도 사람 몸에 넣기까지는 몇 년에 걸친 전임상, 임상 시험 비용을 그대로 감당해야 하므로, 설계 단계가 빨라졌다고 신약이 시장에 나오는 전체 시간표까지 그만큼 줄어드는 것은 아닙니다.

제도의 시계는 기술의 속도를 그대로 따라잡지 못하고 있습니다. 2025년 미국 식품의약국이 승인한 신약 46건 가운데 절반 넘게 세계 최초 기전의 치료제였다는 사실은 규제 당국도 나름대로 심사 방식을 바꾸어 가고 있음을 보여 주지만, 나노의약품처럼 물질 자체가 여러 겹으로 이루어진 경우에는 여전히 별도의 잣대가 필요합니다. 미국 식품의약국은 현대화법 2.0을 통과시켜 동물실험을 반드시 거쳐야 한다는 오랜 규정을 손보고, 장기 칩이나 컴퓨터 시뮬레이션으로 전임상 독성시험을 대신할 길을 열어 주었습니다.

그러나 유럽의약청을 비롯한 여러 나라 규제기관은 엑소좀처럼 살아 있는 세포에서 나온 운반체나 혈액뇌장벽을 넘나드는 첨단 나노의약품에 저마다 다른 심사 기준을 요구하고 있어, 한 나라에서 통과한 제품이 다른 나라에서는 처음부터 다시 자료를 준비해야 하는 일이 흔합니다.

인공지능이 환자의 유전체 정보를 대량으로 학습하는 과정에서 개인정보를 어디까지 동의 받아야 하는지도 아직 선이 분명하지 않습니다. 인공지능이 스스로 설계하고 용량까지 정한 나노입자가 환자에게 심각한 부작용을 일으켰을 때 그 책임을 소프트웨어 개발자와 제약회사, 처방한 의료진 가운데 누가 얼마나 나누어 져야 하는지도 정해진 답이 없습니다. 기존의 제조물 책임 법리는 설계 결함이나 제조 결함을 특정 시점, 특정 주체의 판단 오류로 좁혀 따지는 방식에 익숙하지만, 인공지능이 방대한 데이터를 학습해 가며 스스로 설계 변수를 바꾸어 나가는 나노의약품에서는 그 오류가 정확히 언제, 어느 단계에서 생겨났는지를 되짚기가 쉽지 않습니다.

설계 알고리즘을 만든 회사와 이를 가져다 특정 환자에게 맞추어 미세 조정된 병원, 그리고 최종 처방을 내린 의료진 사이에서 책임을 나누는 기준부터 새로 마련해야 한다는 목소리가 법조계 안팎에서 커지고 있습니다. 알고리즘의 판단 근거를 사람이 알아볼 수 있게 풀어내는 설명 가능한 인공지능 기술을 다지고, 세포 실험과 동물실험을 촘촘히 거치며, 나라마다 다른 규제를 하나로 모으는 작업이 함께 이루어져야 나노의학이 임상 현장의 표준으로 정착할 수 있을 것으로 보입니다.

이 흐름은 한국의 제약·바이오 산업에도 그대로 이어집니다. 2026년 열린 나노코리아는 나노바이오와 3차원 인쇄, 정밀 계측기기를 함께 모은 세계적 규모의 행사로 열렸고, 인공지능으로 설계한 표적 전달체와 진단기기가 주요 화두로 다루어졌습니다. 국내에서도 항암 신약이나 유전자 치료제 분야를 중심으로 나노입자 설계 단계부터 인공지능 도구를 끌어들이는 기업들이 하나둘 나타나고 있습니다.

국내 규제기관 역시 미국과 유럽의 심사 기준 변화를 주시하며 절차를 다듬어 가고 있고, 국내 제약사와 연구기관, 그리고 이들을 자문하는 법률가들이 이 흐름에서 뒤처지지 않으려면 해외 임상 데이터와 규제 동향을 꾸준히 쫓는 노력이 뒤따라야 할 것으로 보입니다.

2020년 겨울, 영하 70도의 냉동 상자 속에서 세상에 처음 존재감을 알린 지질 나노입자는 이제 뇌 속 깊은 병변과 종양 한가운데를 정확히 찾아가는 인공지능 설계 운반체로 자라났습니다. 그 사이 나노입자를 만들던 손은 시험관을 쥔 연구자의 손에서 데이터를 읽어 내는 인공지능의 연산으로 상당 부분 옮겨 갔습니다. 그렇다고 사람이 할 일이 사라진 것은 아닙니다. 어느 데이터를 믿을지, 어느 위험을 감수할지, 환자에게 무엇을 먼저 물어야 할지를 정하는 일은 여전히 연구자와 의료진, 그리고 규제 담당자가 맡고 있습니다.

남은 과제는 이 정교한 설계도가 실험실 화면을 벗어나 병원 진료실과 약국 선반까지 무사히 이어지는 다리를 놓는 일입니다. 그 다리가 완성되는 시점은 결국 데이터의 품질과 규제의 속도, 그리고 환자 곁에서 안전성을 끝까지 확인하는 사람의 판단이 함께 정할 것으로 보입니다. 그 판단이 하나하나 쌓여야 비로소 나노의학은 코로나19 백신처럼 위기의 순간에만 반짝 빛나는 기술이 아니라, 평범한 진료실에서 매일 쓰이는 도구로 남을 수 있을 것으로 보입니다.

국내로 눈을 돌리면 나노 운반체를 직접 만들어 판 기업의 역사도 짧지 않습니다. 삼양바이오팜이 2007년 국내에서 허가받은 항암제 제넥솔PM은 파클리탁셀을 고분자 마이셀 속에 가둔 약으로, 세계에서 처음 승인된 고분자 마이셀 항암제로 꼽힙니다. 국내 제약사가 벌써 이십 년 가까이 나노 운반체를 다루어 온 셈입니다. 최근에는 에스티팜이 자체 개발한 지질 나노입자 제형 기술 에스티엘엔피(STLNP)와 메신저 리보핵산 캡핑 기술 스마트캡(SmartCap)을 앞세워, 올리고뉴클레오타이드 위탁개발생산 세계 3위 기업이라는 발판 위에서 사업 영역을 메신저 리보핵산과 유전자가위 치료제까지 아우르는 통합 알엔에이(RNA) 위탁개발생산으로 넓히겠다고 밝혔습니다.

에스티팜은 이보다 앞서 이화여자대학교 연구진과 손잡고 지질 나노입자 전달 플랫폼을 함께 개발한 경험도 가지고 있습니다. 실험실 설계 단계에 머물던 국내 나노의약품 기술이 대량생산과 수출까지 넘보는 사업으로 자라난 모습입니다.

그런데 인공지능이 아무리 정교하게 나노입자를 설계해도 아직 풀지 못한 숙제가 하나 남아 있습니다. 캐나다 토론토대학교(University of Toronto)의 워런 찬(Warren Chan) 교수

연구팀은 2016년, 그때까지 십 년 동안 발표된 나노입자 논문 117편을 모아 몸에 주사한 나노입자 가운데 실제로 종양에 도달하는 양을 계산했습니다. 그 값은 중앙값 기준으로 0.7퍼센트에 그쳤습니다. 나노입자 천 개를 주사하면 겨우 일곱 개만 종양에 닿는다는 뜻이었고, 연구팀은 이 수치가 그 앞선 십 년 동안에도 거의 바뀌지 않았다고 밝혔습니다.

컴퓨터 안에서 아무리 완벽하게 그려진 입자라도, 혈관을 타고 흐르다 간과 비장에 걸러지고 면역세포에 붙잡히는 실제 몸속 여정까지 인공지능이 따라잡지는 못한 것으로 보입니다. 설계 속도는 빨라졌지만 전달 효율이라는 오래된 벽은 아직 크게 낮아지지 않았다는 뜻이어서, 나노의학의 다음 승부는 새 입자를 그리는 일보다 이미 그린 입자를 목적지까지 무사히 데려가는 일에서 결정될 가능성이 큼니다.

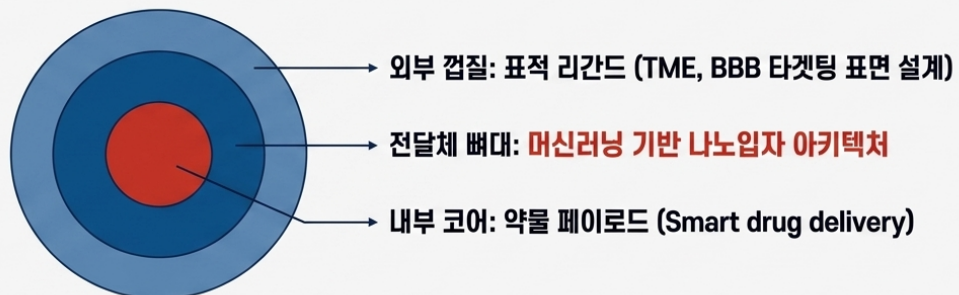
대량생산의 벽도 만만치 않습니다. 실험실 미세유체 장비로 몇 밀리리터씩 곱게 뽑아내던 나노입자를 공장 설비로 옮겨 몇백 리터씩 만들기 시작하면, 입자 크기와 약물 봉입률이 흔들리는 일이 잦습니다. 배관을 흐르는 속도나 온도가 살짝만 달라져도 지질 나노입자의 균일도가 깨지기 때문에, 실험실 데이터를 공장 규격으로 그대로 옮기기 어렵다는 것이 업계의 공통된 하소연입니다. 인공지능은 설계를 며칠 만에 끝내 주지만, 그 설계를 사람이 안심하고 먹거나 맞을 수 있는 안정된 약으로 굳히는 일은 여전히 손끝의 경험과 되풀이된 공정 검증에 기대고 있습니다.

나노의학 및 스마트 표적 전달 시스템 (Nanomedicine)

3.3 나노의학 및 스마트 표적 전달 시스템 (Nanomedicine)

AI 구동 나노아키텍토닉스(Nanoarchitectonics)는 생체 환경에 지능적으로 반응하는 표적 맞춤형 약물 전달체를 설계합니다.

- 지질 나노입자(LNP), 미셀(Micelles), 엑소좀 공학을 활용하여 종양 미세환경(TME)만을 특이적으로 표적하는 시스템을 구축합니다.
- 혈액뇌장벽(BBB) 투과성 예측 모델과 생체재료 역설계로 난치성 뇌질환 약물 전달 및 나노진단기기의 한계를 극복합니다.



NotebookLM

제 4 부

전임상·임상 검증 및 정밀 의료의 혁신

4.1

전임상 연구 혁신: 동물실험 대체 및 생물학적 모델링

미만성 위암을 진단받은 한 환자의 팔에 링거 줄이 걸렸습니다. 어느 임상시험 첫날과 다를 바 없어 보이는 광경이었습니다. 이 순간이 예사롭지 않았던 까닭은 따로 있습니다. 그 환자에게 처음 투여된 신약 후보물질은 태어나서 단 한 번도 쥐나 원숭이의 몸을 거친 적이 없었습니다. 설계부터 안전성 검증까지 모든 과정이 컴퓨터 속 인공지능과 배양 접시 위의 오가노이드 안에서만 이루어졌습니다.

의약 전문 매체 바이오스페이스는 이 임상시험을, 인공지능과 오가노이드만으로 전임상 검증을 마친 세계 최초의 사례로 보도했습니다. 실험실 밖으로 나온 동물은 단 한 마리도 없었습니다. 그런데도 약은 사람의 병상까지 정확히 도착했습니다.

이런 장면이 나오기까지 제약 산업은 오랫동안 다른 방식으로 움직였습니다. 신약 후보물질이 사람에게 투여되기 전, 연구자들은 쥐와 토끼, 때로는 원숭이의 몸을 빌려 약물의 흡수와 분해, 독성을 확인해 왔습니다. 이 방식은 수십 년 동안 신약 개발의 유일한 관문이었습니다. 문제는 쥐의 몸과 사람의 몸이 같은 설계도로 만들어지지 않았다는 데 있습니다.

같은 열쇠라도 자물쇠의 모양이 다르면 문이 열리지 않듯, 쥐의 간에서 멀쩡히 분해되던 물질이 사람의 간에서는 전혀 다르게 반응하는 일이 되풀이되었습니다. 유전자와 단백질 구조의 종간 차이 때문에, 동물에게서 안전하다고 확인된 약물 가운데 상당수가 정작 사람을 대상으로 한 임상시험에서는 부작용을 일으키거나 효과를 내지 못하고 주저앉았습니다.

이 틈을 보여 주는 사례로 2006년 영국에서 있었던 일만 한 것이 드뭅니다. TGN1412라는 항체 치료 후보물질은 원숭이를 대상으로 한 시험에서 사람 예상 투여량의 500배를 주입해도 별다른 문제가 나타나지 않았습니다. 그러나 건강한 자원자 여섯 명에게 정작 그보다 훨씬 적은 양을 놓자, 몇 시간 만에 이들의 온몸에서 면역계가 폭주하는 사이토카인 폭풍이 일어나 여러 장기가 동시에 망가졌습니다.

원숭이의 면역세포와 사람의 면역세포는 겉보기에 비슷해 보여도 화학적으로는 서로 달랐고, 그 작은 차이가 실험대 위에서는 드러나지 않다가 사람의 혈관 속에서야 모습을 드러냈습니다. 이 사건 이후 학계와 규제 당국은 영장류 시험 결과를 사람에게 그대로 옮겨 적을 수

없다는 사실을 뼈아프게 받아들였습니다.

동물 실험 결과와 사람의 실제 반응 사이에 벌어지는 이 틈을 업계에서는 중개 연구의 간극이라고 부릅니다. 그 간극이 쌓인 결과는 숫자로도 뚜렷하게 드러납니다. 신약 개발 프로젝트 가운데 90퍼센트가 넘는 수가 임상 단계에서 실패로 끝납니다. 이 실패 대부분은 후보물질이 사람 몸에 들어간 뒤에야, 그러니까 이미 많은 돈과 시간을 쓴 뒤에야 드러납니다. 신약 하나가 승인을 받기까지 걸리는 시간은 평균 10년에서 15년, 들어가는 비용은 26억 달러에 이릅니다.

제약업계는 이 역설을 무어의 법칙을 거꾸로 뒤집어 이룸의 법칙(Eroom's Law)이라고 부릅니다. 컴퓨터 성능은 해마다 좋아지는데 신약 하나를 세상에 내놓는 비용과 시간은 거꾸로 계속 늘어나기만 하는 현상을 가리키는 말입니다. 동물 실험에 대한 오랜 의존이 이 역설의 뿌리 가운데 하나로 지목되어 온 이유가 여기에 있습니다.

동물 실험을 줄이자는 목소리는 오랫동안 생명 윤리의 언어로만 다뤄져 왔습니다. 실험실에서 희생되는 동물의 수를 줄이자는 주장은 물론 정당합니다. 그러나 최근 몇 년 사이 이 논의의 무게 중심은 눈에 띄게 옮겨 가고 있습니다. 동물 실험을 대체하는 일은 이제 윤리의 문제 이면서 동시에 과학의 정확도를 높이는 문제로 다뤄지고 있습니다. 사람의 세포와 조직으로 만든 모델이 쥐의 몸보다 사람의 반응을 훨씬 정확하게 예측한다면, 동물을 덜 쓰는 선택은 도덕적으로 옳을 뿐 아니라 과학적으로도 더 나은 선택이 됩니다. 윤리적 정당성과 과학적 정확성이라는 두 이유가 함께 만나면서 전임상 연구의 지도가 다시 그려지고 있습니다.

이 변화는 몸집이 큰 제약회사만의 이야기도 아닙니다. 동물 사육시설을 짓고 유지하려면 막대한 초기 비용과 오랜 시간이 필요하지만, 오가노이드 배양이나 가상 세포 시뮬레이션은 상대적으로 적은 자본으로도 시작할 수 있습니다. 소규모 바이오벤처나 대학 연구실도 예전이라면 대형 제약회사만 넘볼 수 있었던 전임상 검증 단계에 직접 뛰어들 길이 열리고 있습니다. 자본의 크기가 아니라 가설의 참신함과 데이터의 질이 승부를 가르는 구도로 바뀌고 있는 셈입니다.

이 변화의 첫 매듭은 법에서 풀렸습니다. 2022년 12월, 미국 의회는 식품의약국 현대화법 2.0을 통과시켰습니다. 이 법은 신약 허가를 신청할 때 반드시 동물 실험 자료를 제출해야 한다는 수십 년 묵은 의무 조항을 없앴습니다. 법 조문에 쓰인 표현도 동물 시험에서 비임상 시험으로 바뀌었는데, 이 짧은 문구 하나가 인체 유래 세포 모델과 오가노이드, 장기 칩, 그

리고 인공지능 기반 컴퓨터 시뮬레이션을 법적으로 정당한 대체 수단으로 인정하는 근거가 되었습니다. 제약 산업 전체가 술렁였습니다. 동물 실험은 더 이상 유일한 정답이 아니라 여러 선택지 가운데 하나가 되었습니다.

법이 문을 열어 준 뒤에도 그 문을 실제로 넓히는 일은 미국 식품의약국이 맡아야 했습니다. 식품의약국은 2024년 동물 실험을 줄이겠다는 방향을 먼저 밝혔고, 2025년 4월에는 이를 구체적인 로드맵으로 발전시켜 앞으로 3년에서 5년 안에 동물 실험을 신약 개발의 표준이 아니라 예외로 만들겠다는 목표를 내놓았습니다.

식품의약국은 우선 단일클론항체, 그러니까 하나의 세포에서 복제되어 똑같은 모양을 가진 항체 치료제와 다른 생물학적 제제부터 동물 실험을 줄여 나간 뒤, 그 범위를 화학 합성 신약으로 넓혀 갈 계획입니다. 2025년 초에는 의약품과 생물학적 제제 심사에서 인공지능을 어떻게 다룰지를 정한 지침 초안도 함께 내놓았습니다.

로드맵을 내놓은 지 한 해가 지난 뒤, 식품의약국은 첫해 목표를 이루었다고 발표했습니다. 항체 치료제를 개발할 때 원숭이 같은 영장류 시험을 줄이거나 없애는 방향의 지침 초안을 내놓았고, 투구게의 피에서 뽑아내던 내독소 시험 재료를 합성 물질로 바꾸는 지침도 갱신했습니다. 투구게 혈액에 기대 온 이 시험 하나를 바꾸는 것만으로도 해마다 백만 마리가 넘는 동물이 실험대에 오르지 않아도 됩니다. 미국 하원에서는 여기서 그치지 말고 이행 속도를 더 끌어올리라는 후속 법안까지 이미 통과시킨 상태입니다.

2025년 초에 나온 인공지능 지침 초안이 다루는 핵심은 위험 등급에 따라 인공지능 모델의 신뢰도를 다르게 심사하겠다는 발상입니다. 같은 인공지능이라도 신약 후보물질을 1차로 골라내는 데 쓰이는 모델과, 임상시험 없이 안전성을 최종 판단하는 데 쓰이는 모델은 완전히 다른 무게로 다뤄집니다. 규제 결정에 미치는 영향이 클수록 그 모델이 어떤 데이터로 학습되었는지, 예측이 틀렸을 때 어떤 절차로 걸러지는지를 훨씬 꼼꼼하게 입증해야 합니다. 이 위험 기반 심사 틀은 가상 세포나 시스템 생물학 모델이 임상시험 설계에 실제로 발을 들이려면 다음에 넘어야 할 관문이 무엇인지를 미리 보여 줍니다.

이 흐름을 이끄는 힘은 하나의 기술이 아니라 서로 다른 두 방향에서 함께 옵니다. 한쪽에는 사람의 세포와 조직을 실제로 길러 내는 체외, 곧 인비트로 기술이 있습니다. 다른 한쪽에는 사람의 세포를 통째로 컴퓨터 속에 옮겨 놓는 인실리코, 곧 컴퓨터 안에서 이루어지는 기술이 있습니다. 오가노이드와 장기 칩이 앞에서 사람 몸을 물리적으로 흉내 낸다면, 인공지능

이 만든 가상 세포와 시스템 생물학 모델은 뒤에서 사람 몸을 디지털로 흉내 냅니다.

두 기술은 씨줄과 날줄처럼 엮이면서 서로가 놓친 것을 채워 줍니다. 컴퓨터가 내놓은 예측은 살아 있는 사람 세포로 확인받고, 배양 접시 속 실험 결과는 다시 컴퓨터 모델을 정교하게 다듬는 데 쓰입니다.

이 모든 일이 2020년대 중반에 몰려서 일어난 데는 이유가 있습니다. 인공지능 모델을 훈련시킬 연산 능력은 그래픽 처리 장치 성능이 매년 큰 폭으로 좋아지면서 과거에는 상상하지 못한 규모로 늘어났습니다. 동시에 단일 세포 단위로 유전자 활동을 읽어 내는 실험 장비의 가격은 낮아지고 처리 속도는 빨라지면서, 가상 세포를 학습시킬 만한 생물학적 데이터가 비로소 충분히 쌓이기 시작했습니다.

여기에 오가노이드와 장기 칩을 만드는 세포 배양과 미세 가공 기술까지 성숙해지면서, 디지털 모델이 내놓은 예측을 물리적으로 확인해 줄 실험 도구까지 동시에 갖춰졌습니다. 계산 능력과 생물학 데이터, 그리고 이를 검증할 실험 도구라는 세 조건이 비슷한 시기에 함께 갖춰지지 않았다면, 오가노이드와 장기 칩이 아무리 정교해져도 그것을 뒷받침할 디지털 짝은 나오지 못했을 것입니다.

가상 세포는 세포 하나를 통째로 복제해 컴퓨터 속에 옮겨 놓은 디지털 쌍둥이입니다. 연구자들은 단일 세포 전사체 분석과 공간 전사체학, 단백체학처럼 여러 층위에서 얻은 데이터를 쌓아 올려 그 세포의 유전자 발현 네트워크와 대사 경로를 수학적으로 재현합니다. 단일 세포 전사체 분석은 세포 하나하나가 어떤 유전자를 얼마나 많이 쓰고 있는지를 읽어 내고, 공간 전사체학은 그 활동이 조직 안 정확히 어느 위치에서 일어나는지를 지도처럼 그려 내며, 단백체학은 유전자 정보가 최종적으로 만들어 낸 단백질이 세포 안에 얼마나 있는지를 쟀 결과입니다.

비행기를 실제로 띄우기 전에 컴퓨터 속에서 수천 번 모의 비행을 해 보는 것과 비슷한 일입니다. 신약 후보물질을 이 가상 세포에 투여하거나 특정 유전자를 인위적으로 조작하는 인실리코 실험을 통해, 연구자들은 실제 배양 접시나 동물 없이도 세포가 어떻게 반응할지, 엉뚱한 표적에 달라붙어 부작용을 일으키지는 않을지를 미리 가늠할 수 있습니다.

가상 세포가 쓸모를 가지려면 분자 하나하나의 움직임부터 조직 전체의 변화까지 함께 계산해 낼 시스템 생물학 모델링이 뒷받침되어야 합니다. 이 모델링은 데이터를 통계적으로 훑어 패턴만 찾아내는 기계학습과는 결이 다릅니다. 어떤 원인이 어떤 결과로 이어지는지를

미분 방정식으로 풀어낸 생물물리학적 기전 모델을 인공지능과 함께 씁니다. 세포 안에서 신호가 전달되고 물질대사가 돌아가는 과정은 COPASI나 CellNOpt 같은 플랫폼이 재현하고, 종양이 자라나거나 면역 세포가 조직 속으로 파고드는 것처럼 여러 세포가 얹혀 만들어내는 움직임은 PhysiCell이나 CompuCell3D 같은 다세포 시뮬레이터가 맡습니다.

분자에서 세포로, 세포에서 조직으로 이어지는 이 계산의 사슬이 갖춰지고 나서야 가상 세포는 비로소 믿고 쓸 만한 예측 도구가 됩니다.

이런 접근을 산업 현장에서 실제로 구현한 사례로 리커전 파마슈티컬스를 들 수 있습니다. 이 회사는 실험실 로봇 자동화 설비와 inVivoPRINT라는 기계학습 플랫폼을 결합해 전임상 연구의 방식 자체를 바꾸어 놓았습니다. 로봇이 24시간 세포와 미세 조직을 촬영하고 센서로 수치를 재는 동안, 딥러닝 모델은 이 방대한 영상과 데이터를 실시간으로 읽어 들여 약물 이 투여된 세포가 보이는 독성과 효능의 표현형 신호를 뽑아냅니다.

이렇게 얻은 화합물의 지문과도 같은 신호를 이미 알려진 독성 물질 데이터베이스와 비교하면, 예전 같으면 개발 후반부에야 드러났을 치명적인 장기 손상의 위험을 연구 초기 단계에서 미리 잡아낼 수 있습니다. 위험한 후보물질을 일찌감치 걸러 낸 덕분에 리커전 파마슈티컬스는 프로젝트를 시작한 지 18개월 만에 신약 후보물질을 사람 대상 임상시험 단계까지 올려 보냈습니다.

리커전 파마슈티컬스만 이런 길을 걷는 것은 아닙니다. 사람 손을 거치지 않고 로봇이 실험을 설계하고 실행하고 다음 실험까지 스스로 결정하는 이른바 자율 실험실이 여러 제약회사와 연구소에서 함께 늘어나고 있습니다. 사람 연구자가 하루에 처리할 수 있는 실험 접시의 수는 아무리 애써도 수십 개를 넘기 어렵지만, 로봇 팔과 인공지능이 맞물려 돌아가는 자율 실험실은 같은 시간에 수천 가지 조합을 시험하고 그 결과를 곧바로 다음 실험 설계에 반영합니다.

밤새 쉬지 않고 돌아가는 이 실험실 덕분에 신약 후보물질을 골라내는 속도는 사람이 손으로 하나하나 시험하던 시절과는 비교하기 어려울 만큼 빨라졌습니다.

가상 세포 기술은 2025년과 2026년 사이 몇 걸음을 한꺼번에 내디뎠습니다. 미국의 아크 연구소는 2025년 중반 첫 세대 인공지능 가상 세포 모델인 State3를 공개했습니다. 이 모델은 1억 7천만 개에 이르는 세포 데이터와, 70가지가 넘는 세포주에서 얻은 1억 개 이상의 단일 세포 교란 반응 데이터를 학습해 만들어졌습니다. 아크 연구소는 여기서 멈추지 않고

가상 세포 챌린지라는 이름의 공개 경연을 열어, 여러 인공지능 모델이 실제 생물학 실험 결과와 얼마나 가깝게 들어맞는지를 겨루게 했습니다.

14개국에서 1200개가 넘는 팀이 몰려 300건이 넘는 최종 결과물을 제출했습니다. 학계는 이 경연을 두고 가상 세포를 위한 튜링 테스트라고 부르기 시작했습니다. 컴퓨터와 나눈 대화가 사람과 나눈 대화인지 구별할 수 없을 때 그 컴퓨터가 시험을 통과했다고 보는 원래의 튜링 테스트처럼, 가상 세포가 내놓은 예측이 실제 살아 있는 세포 실험 결과와 구별되지 않을 만큼 정확한지를 겨루는 시험이라는 뜻입니다.

거대 기술 기업들의 움직임도 비슷한 시기에 겹쳤습니다. 쉐어저크 이니셔티브는 생물학적 데이터로부터 곧바로 학습한 세포와 세포 상태의 보편적인 디지털 표현, 이른바 인공지능 가상 세포를 처음으로 공개했습니다. 곧이어 엔비디아와 손잡고 버추얼 셀 플랫폼을 열어, 가상 세포 모델을 만들고 키우는 데 필요한 데이터를 규모 있게 다룰 수 있는 기반을 마련했습니다.

이 재단은 rBio라는 추론 모델도 함께 내놓았는데, 연구자가 평범한 문장으로 생물학 질문을 던지면 가상 세포 시뮬레이션을 바탕으로 답을 찾아 주는 도구입니다. 구글 딥마인드 역시 자체 가상 세포 프로젝트를 진행하고 있다고 밝혔습니다. 가상 세포는 이제 한 회사의 도박이 아니라 여러 거대 기술 기업이 동시에 뛰어드는 경쟁의 무대가 되었습니다.

컴퓨터 속 가상 세포가 아무리 정교해져도 살아 있는 사람 몸의 3차원 생리 현상을 있는 그대로 대신할 수는 없습니다. 그래서 예측을 실제로 검증해 줄 물리적 짝이 필요합니다. 그 역할을 오가노이드가 맡습니다. 쥐의 세포가 아니라 사람의 세포로 만들어졌으니, 통역을 거치지 않고 원어민이 직접 말해 주는 것과 같은 셈입니다. 오가노이드는 환자에게서 얻은 성체 줄기세포나, 이미 다 자란 피부세포 같은 것을 다시 어린 시절의 만능 상태로 되돌린 유도 만능줄기세포를 접시 위에서 입체적으로 길러, 실제 장기와 비슷한 세포 구성과 구조, 제한적이거나 살아 있는 기능까지 갖추게 만든 축소판 장기입니다.

평평한 2차원 배양 접시나 동물의 몸으로는 따라 하지 못하는 사람 특유의 세포 간 신호 주고받기와 조직 미세환경을, 오가노이드는 있는 그대로 보여 줍니다. 신약 후보물질이 사람에게 실제로 얼마나 잘 듣는지를 실험실 안에서 미리 확인할 수 있는 도구로 오가노이드는 빠르게 쓰임새를 넓혀 가고 있습니다.

알츠하이머병과 파킨슨병처럼 신경이 서서히 무너지는 질환 앞에서 오가노이드는 유난히 큰 쓸모를 보여 줍니다. 쥐를 비롯한 설치류의 뇌는 사람 뇌 특유의 주름진 겉질 구조나 복잡한 신경교세포 네트워크, 단백질이 엉겨 붙는 병리 현상을 제대로 따라 하지 못합니다. 그래서 오랫동안 설치류의 뇌는 중추신경계 신약 개발의 무덤이라는 불명예스러운 이름으로 불려 왔습니다. 사람의 세포로 만든 미니 뇌와 중뇌 오가노이드는 다릅니다. 파킨슨병의 핵심 병리인, 도파민을 만드는 신경세포의 퇴행이나 알파 시누클레인이라는 단백질이 비정상적으로 뭉치는 현상을 실제 환자의 뇌와 흡사하게 3차원으로 재현해 냅니다.

최근에는 빛으로 세포의 활동을 조절하는 광유전학 기술을 중뇌 오가노이드에 결합해, 알파 시누클레인이 뭉치는 과정을 정밀하게 통제하는 실험 모델까지 나왔습니다. 이 모델 위에서 연구자들은 신경을 보호하는 새로운 약물 후보의 효과를 사람의 생물학적 맥락 안에서 곧바로 확인하고 있습니다.

희귀질환 치료제 개발에서 이 기술들의 무게는 한층 더 커집니다. 환자 수가 적어 동물 모델 조차 제대로 갖추어지지 않은 질환이 적지 않은데, 이런 경우 환자 한 사람의 세포에서 직접 배양한 오가노이드가 사실상 유일한 전임상 검증 수단이 되기도 합니다. 동물 모델을 새로 만들고 검증하는 데 몇 년을 쏟는 대신, 환자의 조직 검체 하나에서 시작해 몇 주 안에 오가노이드를 길러 내고 약물 반응을 시험할 수 있습니다. 이 몇 주라는 시간차는 희귀질환 환자 가족에게는 결정적입니다.

오가노이드에도 빈틈은 있습니다. 혈관 네트워크가 없고 면역계와 주고받는 상호작용이 빠져 있으며, 몸속 조직이 실제로 겪는 물리적인 힘도 담아내지 못합니다. 이 빈틈을 채우려고 미세 유체 공학을 접목한 장기 칩, 곧 미세생리시스템(MPS)이 전임상 연구의 앞줄에 나섰습니다. 이 분야에는 에몰레이트 말고도 미메타스와 티슈즈, 헤스페로스 같은 회사들이 저마다 다른 장기를 표적으로 삼아 뛰어들어 있습니다. 장기 칩은 엄지손가락만 한 투명한 폴리머 칩 속에 머리카락보다 가는 유체 통로를 새기고, 그 안에 사람 유래 조직 세포와 혈관 내피세포를 함께 길러 냅니다.

이 작은 칩 하나가 혈류가 흐르며 만드는 압력, 장이 꿈틀거리는 움직임, 폐가 부풀었다 줄어드는 리듬까지 사람 몸 안에서 벌어지는 역학적 환경을 그대로 옮겨 놓습니다. 장기 칩이 재현하는 것은 세포의 모양만이 아니라, 그 세포가 실제로 몸속에서 겪는 물리적 조건, 곧 압력과 흐름과 움직임 전체입니다.

장기 칩 하나하나는 간이나 심장, 신장, 폐처럼 특정 장기 하나를 흉내 내는 데서 그치지 않습니다. 여러 장기 칩을 가느다란 관으로 이어 붙이면, 약물이 몸에 흡수되고 대사되어 몸 밖으로 빠져나가기까지의 전 과정, 곧 약동학 전체를 배양 접시 밖에서 이어서 살펴볼 수 있습니다. 예를 들어 장 칩과 간 칩을 나란히 이어 놓으면, 먹는 약이 창자에서 흡수된 뒤 곧바로 간으로 넘어가 분해되는 순서까지 실제 몸속 순서 그대로 재현할 수 있습니다.

장기와 장기 사이의 이런 연결 순서는 낱개의 장기 칩만으로는 결코 얻을 수 없는 정보입니다. 뇌혈관 내피세포와 별아교세포, 혈관 주위세포를 함께 배양한 혈액뇌장벽 칩은, 인공지능이 설계한 뇌 질환 치료제가 실제로 뇌를 둘러싼 방벽을 얼마나 잘 뚫고 들어가는지를 동물 실험보다 정확하게 알아냅니다. 약물이 간에 손상을 입히거나 심장 박동에 이상을 일으키는지는, 사람 세포로 만든 장기 칩 위에 심어 둔 여러 개의 미세 전극이 실시간으로 잡아냅니다.

이 전극들은 세포가 내보내는 미세한 전기 신호의 변화를 초 단위로 읽어 내는데, 심장 세포라면 박동 리듬이 흐트러지는 순간을, 간세포라면 세포막이 손상되며 새어 나오는 신호를 곧바로 포착합니다. 컴퓨터 속 가상 세포가 내놓은 예측이 불확실할 때, 바로 이 물리적인 칩 위의 데이터가 그 불확실성을 걷어 냅니다. 인실리코가 먼저 방향을 가리키면 인비트로가 그 방향이 맞는지 몸으로 확인해 주는 순환이 이렇게 완성됩니다.

간이 유독 신약 개발의 발목을 잡아 온 데는 이유가 있습니다. 약물은 대부분 간을 거치며 분해되는데, 이 과정에서 예상치 못한 부산물이 만들어져 간세포를 손상시키는 일이 자주 벌어집니다. 약물로 인한 간 손상은 시판 후 약이 시장에서 퇴출되는 흔한 원인으로 꼽혀 왔고, 동물 실험에서는 멀쩡했던 물질이 사람의 간에서만 문제를 일으키는 사례도 드물지 않았습니다.

이 기술이 실험실 담장을 넘어 규제 현장에서 힘을 얻은 것도 최근의 일입니다. 미국 식품의약국은 혁신적인 과학기술 접근법을 심사하는 통로인 IStand 제도를 2025년 중반 정식 제도로 굳혔습니다. 이 통로를 통해 에물레이트사의 리버칩은 약물로 인한 간 손상을 미리 알아내는 도구로서 자격을 인정받는 마지막 단계를 밟고 있습니다. 독성 물질에 노출된 조직의 형태 변화와 알부민, ALT 단백질 수치의 변동만으로 실제 사람 간에서 벌어질 손상을 예측해 낸다는 점을 검증받는 과정입니다. 이 자격을 얻고 나면 리버칩은 특정 회사 한 곳이 아니라, 정해진 용도 안에서 모든 신약 개발 프로그램이 가져다 쓸 수 있는 공인된 도구가 됩니다.

여기서 정해진 용도, 곧 컨텍스트 오브 유즈는 이 칩이 정확히 어떤 질문에 답하는 데 쓰일 수 있는지를 못 박아 두는 규제 언어입니다. 간 독성을 예측하는 용도로 인정받았다고 해서 심장 독성이나 신장 독성까지 저절로 인정받는 것은 아닙니다. 장기 칩 하나가 만들어 낸 데이터가 개별 실험의 참고 자료를 넘어 규제 심사의 공식 근거로 인정받는 첫 사례가 눈앞에 다가와 있습니다.

오가노이드도 실험실을 벗어나 환자 곁으로 옮겨 가고 있습니다. 2023년부터 2025년 사이에만 환자 유래 오가노이드를 이용한 임상시험이 139건 등록되었고, 그 흐름은 2026년에도 이어지고 있습니다. 절제할 수 없는 간세포암 환자를 대상으로 오가노이드로 약물 반응을 미리 시험해 치료 방향을 정하는 2상 임상시험이 2026년 초 시작되었습니다. 같은 간세포암 진단을 받았더라도 환자마다 종양의 유전적 특성은 다릅니다. 이 임상시험은 환자 개인의 종양에서 떼어 낸 오가노이드가 여러 약물에 어떻게 반응하는지를 접시 위에서 먼저 살펴본 뒤, 그 사람의 오가노이드가 잘 듣는 약을 골라 처방하는 방식입니다.

일단 약을 써 보고 안 들으면 다음 약으로 바꾸던 기존의 시행착오식 처방과는 순서 자체가 다릅니다. 오가노이드가 이제는 실험실에서 신약 후보물질을 고르는 도구에 머물지 않고, 이미 승인된 약물 가운데 어떤 것을 특정 환자에게 쓸지 결정하는 데까지 들어와 있다는 뜻입니다.

한국의 움직임도 여기서 비켜나 있지 않습니다. 식품의약품안전처와 산하 한국동물대체시험법검증센터는 오가노이드와 장기 칩, 인체 조직 모델 같은 비동물 시험법을 국제 기준으로 끌어올리는 작업을 이끌고 있으며, 2028년까지 경제협력개발기구의 국제공인 시험법으로 등재하겠다는 목표를 세워 두었습니다. 국내에서도 오가노이드사이언스와 넥스트앤바이오 같은 스타트업들이 오가노이드 기반 신약 평가 플랫폼을 사업화하며 이 흐름에 함께 올라타고 있습니다.

2026년 한국에프디시규제과학회 춘계학술대회에서는 오가노이드 기반 동물대체시험법을 다루는 특별 세션이 따로 마련되어, 국내 연구자와 규제 당국이 함께 이 기준을 다듬고 있습니다.

이 모든 진전에도 아직 다 풀리지 않은 매듭이 여럿 남아 있습니다. 수천만 개의 변수로 얽힌 인공지능 모델은 특정 화합물을 위험하다고 판정하면서도, 왜 그런 판단에 이르렀는지 사람이 알아들을 말로 설명해 내지 못하는 경우가 많습니다. 정답은 맞지만 풀이 과정은 보

여 주지 않는 학생과 다르지 않습니다. 규제 당국이 신약 허가를 내줄 때 요구하는 것은 결과만이 아니라 그 결과에 이르는 논리이기 때문에, 근거를 설명하지 못하는 예측은 아무리 정확해도 심사 문턱을 넘기 어렵습니다.

학습에 쓰인 데이터와 비슷한 화합물에서는 높은 정확도를 보이던 모델이 구조가 완전히 낯선 신규 물질이나 다른 인종의 생물학적 데이터를 만나면 예측력이 갑자기 무너지는 일도 되풀이됩니다. 훈련 과정에서 답에 해당하는 정보가 실수로 섞여 들어가는 데이터 누수 탓에, 실제보다 훨씬 정확해 보이는 위양성 결과가 나온다는 지적도 최근 여러 연구에서 나오고 있습니다.

기술 바깥의 문제도 있습니다. 서로 다른 연구기관이나 회사가 만든 가상 세포 모델을 주고 받고 다시 검증하려면 공통의 언어가 있어야 하는데, SBML이나 CellML 같은 표준 모델 기술 언어가 널리 퍼지지 못해 데이터와 모델이 여기저기 흩어진 채로 남아 있습니다. 가상 세포를 제대로 학습시키려면 수십만 명의 유전체 정보와 진료 기록이 필요한데, 이는 유럽의 개인정보보호법이나 미국의 건강보험 정보보호법과 정면으로 부딪힙니다.

원본 데이터를 기관 밖으로 내보내지 않고 암호화된 결과만 주고받는 연합 학습 같은 대안이 논의되고 있지만, 이를 뒷받침할 제도와 법 조항은 아직 여러 나라에서 정비되지 않았습니다.

지금까지 쌓인 오가노이드 세포주와 생물학적 데이터는 특정 지역과 인구 집단에 몰려 있어서, 이 데이터로 학습한 모델을 유전적 배경이 다른 환자에게 그대로 적용했을 때 얼마나 정확할지는 아직 자신 있게 말하기 어렵습니다. 인공지능과 미세생리시스템이 함께 내린 판단이 실제 환자에게 뜻밖의 위해를 입혔을 때, 그 책임을 소프트웨어를 만든 회사가 져야 하는지, 데이터를 제공한 병원이 져야 하는지, 최종 결정을 내린 제약회사가 져야 하는지를 가르는 법적 기준도 아직 마련되어 있지 않습니다.

그럼에도 그 위암 환자의 팔에 꽂힌 링거 줄은 이미 다른 이야기를 시작해 버렸습니다. 쥐도 원숭이도 거치지 않은 약이 사람의 정맥까지 도달했습니다. 예전 같으면 동물 실험 단계만으로 몇 해가 흘렀을 여정입니다. 이 약이 앞으로 몇 년 뒤 얼마나 많은 환자를 구할지는 아직 아무도 확신할 수 없습니다. 임상시험은 이제 막 첫걸음을 뚫을 뿐입니다. 다만 실험실의 쥐장 대신 컴퓨터 서버와 배양 접시가 신약 개발의 첫 관문으로 올라서는 흐름만큼은, 이미 되돌리기 어려운 데까지 와 있습니다.

한국에서도 이 흐름에 맞춰 법을 새로 만들려는 시도가 이어지고 있습니다. 그동안 남인순 의원과 한정애 의원이 각각 동물대체시험법 제정안을 내놓았지만, 농림축산식품부와 기후에너지환경부, 식품의약품안전처, 농촌진흥청 사이의 입장 차이로 두 법안 모두 국회 문턱을 넘지 못하고 사라졌습니다. 2025년 12월, 송옥주 의원이 이 법안을 다시 대표발의했습니다. 이번에는 관계부처가 미리 내용을 맞춘 뒤 내놓은 안이라, 남인순·한정애 의원 때와는 사정이 다르다는 평가가 나옵니다.

법안에는 정부 부처가 함께 협의체를 꾸리고 기본계획을 세우며, 분야별로 동물대체시험법을 검증할 센터를 두고 5년마다 실태를 조사한다는 내용이 담겼습니다. 법안이 나오면서 함께 밝혀진 숫자도 있습니다. 2024년 한 해 국내에서 쓰인 실험동물은 459만 마리에 이르렀고, 이 가운데 절반이 넘는 실험이 마취제나 진통제 없이 독성물질에 노출시키거나 종양을 일으켜 고통이 극심한 최고 등급으로 분류되었습니다.

오가노이드에 남은 빈틈은 혈관과 면역계만이 아닙니다. 중뇌 오가노이드는 도파민을 만드는 신경세포 하나하나의 움직임을 사람 뇌와 비슷하게 보여 주지만, 그 신경세포가 다른 뇌 영역까지 긴 축삭을 뻗어 신호를 주고받는 회로는 아직 따라잡지 못합니다. 사람의 뇌는 겉질과 해마, 기저핵이 서로 신호를 주고받으며 하나의 회로로 움직이는데, 접시 위에서 홀로 자란 오가노이드 하나에는 이런 장거리 연결이 빠져 있습니다.

최근에는 여러 오가노이드를 물리적으로 이어 붙여 어셈블로이드라는 구조체를 만들고, 그 사이를 오가는 신경 신호를 전극으로 재는 연구가 나오고 있습니다. 방향은 맞지만 걸음마 단계이고, 기억을 저장하거나 감정을 일으키는 것처럼 뇌 전체가 함께 움직여야 나오는 현상은 접시 위에서 애초에 관찰할 길이 없습니다. 사람 뇌 수준의 복잡한 회로를 통째로 재현하는 일은 여전히 먼 목표로 남아 있습니다.

동물 실험을 줄이자는 요구와 사람의 안전을 확실히 지키자는 요구는 앞으로도 쉽게 화해하지 않을 것으로 보입니다. TGN1412가 원숭이 몸에서는 안전해 보였다가 사람 몸에서 면역계를 폭주시킨 사건은, 오가노이드나 장기 칩 하나만으로는 아직 다 막아 내지 못하는 위험이 있다는 사실을 함께 보여 줍니다. 면역계 전체가 서로 신호를 주고받으며 만들어 내는 반응이나 여러 장기가 동시에 겪는 만성 독성은, 지금의 비동물 시험법이 따라잡기 어려운 영역으로 남아 있습니다.

이런 위험까지 자신 있게 걸러 낼 증거가 쌓이기 전까지는, 동물 실험을 법으로 한꺼번에 금지하기보다 위험이 낮은 영역부터 하나씩 넘겨받는 쪽이 더 현실적인 길일 가능성이 큼니다.

전임상 연구 혁신: 동물실험 대체 및 생물학적 모델링

4.1 전임상 연구 혁신: 동물실험 대체 및 생물학적 모델링

미세생리시스템과 가상 세포(Virtual Cell) 모델링의 융합은 전임상 단계의 동물실험 의존도를 획기적으로 낮춥니다.

- 장기 칩(Organ-on-a-chip)과 오가노이드(Organoids)를 활용한 미세생리시스템(MPS)으로 인체 유래 물리적 환경을 정밀하게 구축합니다.
- FDA Modernization Act 2.0에 발맞춰 시스템 생물학 모델링과 인실리코 세포 동역학을 결합, 인체 반응을 디지털로 사전 검증합니다.

[In Vitro]: 미니 뇌 / 장기 칩 (물리적 모사)



[In Silico]: AI 기반 가상 세포 (디지털 모사)

4.2

디지털 트윈(Digital Twins)과 차세대 임상시험의 현대화

미국 식품의약국 회의실의 모니터 위에서 사람 심장 하나가 붉게 뛰고 있었습니다. 진짜 심장이 아니라 프랑스에 본사를 둔 소프트웨어 기업 다쏘시스템(Dassault Systèmes)이 만들어 보낸 디지털 복제본, 이른바 리빙 하트(Living Heart)였습니다. 2014년 시작된 이 프로젝트는 세계 최초로 사람 심장을 그대로 본뜬 3차원 디지털 심장을 완성했고, 이후 식품의약국과 5년에 걸친 공동연구협약을 맺어 심혈관 의료기기를 검증하는 공식 가상 시험 환경으로 채택되었습니다. 비슷한 시기, 서류를 앞에 둔 또 다른 회의실에서는 인공지능 스타트업 언러닝에이아이(Unlearn.ai)가 내놓은 제안서가 심사관들 손에 들려 있었습니다.

신약을 먹지 않는 환자군, 그러니까 대조군을 실제 사람 대신 컴퓨터가 계산해 낸 가상의 환자 데이터로 채우겠다는 내용이었습니다. 신약 개발사가 임상시험 설계를 놓고 규제 당국과 미리 담판을 짓는 공식 씨(C)형 회의에서, 이 제안은 받아들여졌습니다. 사람이 아니라 컴퓨터가 만든 환자가 임상시험의 절반을 채울 수 있다는 것을 규제 당국이 처음으로 인정한 순간이었습니다.

전통적 임상시험은 지금도 신약 승인의 마지막 관문이지만, 그 관문을 통과하는 길은 갈수록 험합니다. 전 세계 임상시험의 80퍼센트 이상이 환자를 제때 채우지 못해 일정이 늘어지고, 제약업계 전체가 한 해에 쏟아붓는 연구개발비는 2,000억 달러를 넘습니다. 이렇게 공을 들여도 최종 승인까지 가는 신약은 12퍼센트가 채 되지 않습니다. 신약을 받지 못하고 위약, 그러니까 가짜 약만 받는 대조군 환자들은 최선의 치료 기회를 놓칩니다. 수천 명을 몇 년씩 추적해야 통계적으로 의미 있는 결과가 나오는 무작위 대조 임상시험의 틀은 환자에게도, 예산에게도 부담이 큼니다.

이 부담을 줄이려는 시도 속에서 인공지능과 방대한 실사용 데이터를 엮어 임상시험을 다시 설계하는 디지털 트윈과 임상시험 시뮬레이션 기술이 정밀 의료를 완성할 동력으로 떠오르고 있습니다. 환자 한 명을 등록하고 추적하는 데 드는 시간과 비용을 줄이는 일은 이제 몇몇 회사의 선택이 아니라 신약 개발사 전체의 생존 조건에 가까워지고 있습니다. 결국 이 변화의 목적은 신약 하나를 시장에 더 빨리 내놓는 데 그치지 않고, 그 신약이 정말 필요한 환자

에게 정말 필요한 방식으로 가닿게 만드는 데 있습니다.

신입 조종사는 진짜 하늘로 올라가기 전에 먼저 모의비행장치, 그러니까 시뮬레이터에 앉습니다. 시뮬레이터 화면 속 하늘은 가짜지만 엔진 소리와 계기판의 흔들림, 돌풍이 밀어붙이는 느낌은 실제 비행과 거의 같게 설계되어 있어서, 조종사는 진짜 승객을 태우기 전에 실수해도 되는 연습을 마음껏 할 수 있습니다. 디지털 트윈은 사람 한 명 한 명에게 이 시뮬레이터를 만들어 주는 기술입니다. 환자의 유전 정보와 병원 진료 기록, 손목에 찬 스마트워치가 채는 심박과 수면, 영상 검사 결과, 혈액 속 단백질 수치까지 컴퓨터 안에 모아 놓으면 그 사람과 거의 같게 움직이는 디지털 복제본이 만들어집니다.

의사와 연구자는 검증되지 않은 신약을 진짜 환자에게 먼저 먹이는 대신, 이 디지털 복제본에게 약을 먼저 먹여 봅니다. 용량을 늘렸을 때 어떤 반응이 나오는지, 부작용이 간에서 시작되는지 심장에서 시작되는지를 컴퓨터 안에서 먼저 확인한 뒤에야 실제 처방으로 넘어가는 순서입니다. 시뮬레이터 안에서는 수십 번 실수해도 진짜 승객이 다치지 않는 것처럼, 디지털 복제본 안에서 수백 번 시험해 본 다음에야 신약은 실제 환자에게 다가갑니다.

비슷한 시도는 예전에도 있었습니다. 다만 과거의 모델은 특정 약이 인구 집단 전체에서 평균적으로 어떻게 흡수되고 빠져나가는지를 계산하는 정도에 머물렀고, 환자 개개인의 실시간 데이터와는 연결되어 있지 않았습니다. 정적인 가설을 확인하는 계산기 수준에 머물렀습니다. 최근 딥러닝이 들어오면서 이 계산기는 완전히 다른 차원으로 넘어갔습니다. 컴퓨터 안에서 이루어진다는 뜻에서 인실리코(in silico) 트윈이라고 부르는 지금의 기술은 웨어러블 기기와 전자건강기록, 고해상도 영상, 유전자와 단백질을 함께 들여다보는 다중 오믹스 데이터를 24시간 실시간으로 받아들이고, 환자의 몸속에서 병이 어떻게 진행되는지를 스스로 학습하며 계속 갱신됩니다.

센서 하나가 하루에 쏟아내는 수치만 수만 건에 이르다 보니, 예전이라면 병원에 갈 때만 한 번씩 재던 지표를 이제는 거의 매 순간 들여다볼 수 있게 되었습니다. 어제의 디지털 트윈과 오늘의 디지털 트윈이 서로 다른 예측을 내놓을 수 있다는 뜻이고, 그만큼 실제 환자의 몸 상태를 더 가깝게 따라간다는 뜻이기도 합니다.

정밀 종양학처럼 종양마다 성질이 다 다른 분야에서는 특정 표적 치료제에 반응할 가능성이 큰 환자만 골라내는 일이 임상시험의 성패를 가릅니다. 이런 계층화가 없던 시절에는 약이 듣는 환자와 듣지 않는 환자를 한데 묶어 시험하다 보니, 실제로는 효과가 있는 신약도 평균

값에 묻혀 무효 판정을 받는 경우가 드물지 않았습니다. 인공지능은 디지털 트윈에 쌓인 유전자와 병리 데이터를 분석해, 그 약에 반응할 가능성이 큰 바이오마커, 즉 몸속 변화를 알려주는 특정 물질을 지닌 환자 하위 집단을 찾아냅니다.

유전자 변이 하나, 단백질 수치 하나까지 갈라 보는 정밀도 덕분에 열 명 중 한 명에게만 통하는 약도 그 한 명을 정확히 찾아내 임상시험을 성공으로 이끌 수 있습니다. 그 결과 임상시험 설계자는 필요한 환자 수를 크게 줄이면서도, 약효를 증명하는 데 필요한 통계적 확신은 오히려 더 단단하게 만들 수 있습니다. 환자를 더 적게 모으고도 더 믿을 만한 결과를 얻는 역설이 여기서 나옵니다.

환자를 골라내는 이 작업의 반대편에는 대조군을 만들어 내는 작업이 거울처럼 마주 보고 있습니다. 실제 세계에서는 인공지능이 신약에 반응할 환자를 속아내지만, 디지털 세계에서는 같은 인공지능이 그 환자와 통계적으로 쌍둥이인 가상의 대조군을 만들어 냅니다. 재료는 과거 여러 병원에서 쌓인 임상시험 기록과 전 세계 질병 등록부, 전자건강기록처럼 이미 세상에 존재하는 실사용 데이터(RWD)와 실사용 근거(RWE)입니다. 연구진은 이 데이터를 바탕으로 신약을 전혀 쓰지 않았을 때 병이 어떻게 흘러가는지를 컴퓨터 안에서 재현하고, 그 결과를 실제로 신약을 받은 환자의 경과와 나란히 놓고 비교합니다.

실제 환자 데이터를 인공지능이 걸러 치료군을 세우는 앞쪽 작업과, 실사용 데이터를 인공지능이 걸러 가상의 대조군을 세우는 뒤쪽 작업이 같은 원리를 양쪽에서 반복하는 구조입니다. 환자를 골라내는 눈과 대조군을 지어내는 눈이 결국 같은 인공지능이라는 사실은, 임상시험을 설계할 때마다 실제 세계와 디지털 세계를 동시에 계산해야 하는 시대가 열렸다는 뜻이기도 합니다.

디지털 트윈이 임상시험에 들어오면서 제약사들은 실제 환자를 모집하기 훨씬 전에 임상시험 하나의 성공 확률을 미리 가늠해 볼 수 있게 되었습니다. 개발 중인 신약의 작용 기전과 목표 환자군의 디지털 트윈 데이터를 컴퓨터 안에서 먼저 맞춰 보고, 실패할 것 같은 설계를 임상시험을 시작하기도 전에 걸러내는 절차는 일종의 가상 여행연습에 가깝습니다. 3상 임상시험 하나가 실패로 끝나면 수년의 시간과 막대한 비용이 그대로 사라지기 때문에, 이 여행연습이 걸러내는 실패 하나하나가 업계 전체로 보면 상당한 자원을 아끼는 효과로 이어집니다.

컴퓨터 안에서의 성공이 실제 환자에게서의 성공을 그대로 보장하지는 않지만, 처음부터 가능성이 낮은 설계를 걸러내는 것만으로도 신약 개발의 성공률을 끌어올리는 데는 충분히 보탬이 됩니다. 임상시험을 설계하는 단계에서부터 인공지능이 관여하다 보니, 예전 같으면 환자 모집이 끝난 뒤에야 드러났을 설계상의 허점을 미리 고칠 수 있다는 이점도 있습니다.

언론테이아이아가 개발한 예후 공변량 조정(PROCOVA, Prognostic Covariate Adjustment) 기법은 디지털 트윈이 예측한 개별 환자의 예후 점수를 통계 모델에 얹어 대조군 규모를 줄이는 방식입니다. 환자 개인의 예후를 반영하지 않은 채 평균으로만 비교하던 예전 통계 방식과 달리, 이 기법은 환자마다 다른 회복 속도와 위험 요인을 먼저 계산에 넣은 뒤 신약의 순수한 효과만 가려냅니다. 유럽의약품청(EMA)은 2형과 3형 임상시험에서 이 기법을 쓸 수 있다는 자격 인정 의견을 냈고, 인공지능 기반 방법론에 유럽 규제 당국이 이런 식으로 손을 들어 준 것은 처음이었습니다.

미국 식품의약국도 여러 차례의 씨형 회의에서 같은 기법에 긍정적인 의견을 냈습니다. 언론테이아이아가 밝힌 수치로는 치료 효과 추정치의 분산을 10퍼센트에서 20퍼센트가량 줄일 수 있고, 이는 대조군에 필요한 환자 수를 20퍼센트에서 30퍼센트, 많게는 그 이상 줄이는 결과로 이어집니다. 실제 임상시험 데이터와 디지털 트윈이 만든 가상 데이터를 함께 쓰는 하이브리드 임상시험은 이제 예외가 아니라 표준으로 정착하고 있습니다.

다쏘시스템과 언론테이아이 외에도 노바 인 실리코(Nova In Silico), 딥 인텔리전트 파마(Deep Intelligent Pharma) 같은 회사들이 같은 시장에 뛰어들면서 경쟁은 한층 넓어졌습니다.

이렇게 실제 임상시험 절반과 디지털 트윈이 만든 나머지 절반을 하나로 합친 설계를 업계에서는 트윈 임상시험(TwinRCT)이라고 부르기 시작했습니다. 이름 그대로 절반은 사람에게서, 절반은 그 사람의 디지털 쌍둥이에게서 답을 구하는 방식입니다. 언론테이아이는 이 이름을 자사 기술의 정식 명칭으로 삼아 규제 당국에 제출하고 있고, 이런 이름 붙이기는 아직 낯선 개념을 임상 현장의 언어로 옮기려는 시도이기도 합니다.

트윈 임상시험은 이제 몇몇 희귀질환 연구를 넘어 흔한 만성질환 영역으로도 조금씩 번지고 있습니다. 임상시험 하나를 설계할 때 사람과 디지털 쌍둥이의 비중을 얼마나 나눌 것인지가, 앞으로 임상시험 설계자들이 새롭게 마주할 질문이 될 것으로 보입니다.

희귀질환 분야에서는 이 기술의 쓸모가 한층 두드러집니다. 환자 수 자체가 전국을 통틀어도 수백 명에 그치는 질환이라면 애초에 위약군과 치료군으로 절반씩 나눌 여유가 없고, 그렇게 나누는 것 자체가 통계적으로도 무리한 요구가 됩니다. 이런 질환에서는 디지털 트윈이 만든 합성 대조군이 사실상 유일하게 현실적인 대안으로 꼽힙니다. 부모가 자녀를 위약군에 배정하는 데 선뜻 동의하기 어려운 소아 희귀질환 영역에서는 더욱 그렇습니다.

여러 나라의 희귀질환 신약 제도는 이런 사정을 감안해 대조군 요건을 유연하게 적용하는 경우가 많습니다. 임상시험 참가자 전원에게 신약만 투여하는 단일군 임상시험에 디지털 트윈으로 만든 비교군을 나중에 붙이는 방식도 점점 늘어나는 추세입니다. 업계 전문지들도 희귀질환 신약 개발이 디지털 트윈과 가상 임상시험을 통해 새로운 전기를 맞고 있다고 밝히고 있습니다.

이런 환자들에게 위약군을 따로 두는 일은 윤리적으로 정당화되기 어려운 경우가 많습니다. 병이 빠르게 진행되는 환자에게 가짜 약만 주고 몇 년을 기다리게 하는 일은, 신약이 통할 가능성이 있다면 더욱 받아들이기 힘든 선택입니다. 디지털 트윈이 만든 합성 대조군은 이런 환자들에게 위약 대신 신약을 받을 기회를 열어 주면서도 임상시험이 요구하는 비교 자료는 그대로 확보하게 해 줍니다. 이런 문제의식 자체는 새롭지 않습니다. 인공지능이 등장하기 전부터도 과거 기록만으로 만든 역사적 대조군은 신뢰도 논란에 자주 휘말렸고, 디지털 트윈은 그 오래된 논쟁을 훨씬 정교한 통계로 보완하려는 시도에 가깝습니다.

그렇다고 합성 대조군을 아무 데나 곧바로 쓸 수 있는 것은 아닙니다. 과거 데이터로 만든 가상의 대조군은 지금의 진료 환경과 이미 달라져 있을 위험이 있고, 표준 치료가 몇 년 사이 바뀌었다면 옛날 데이터는 오늘의 비교 기준으로 삼기 어렵습니다. 그래서 미국 식품의약국은 2023년 발표한 지침에서 외부 대조군을 사안마다 따로 심사하겠다는 원칙을 밝히면서, 다른 치료법이 마땅치 않은 중증 질환에 객관적으로 측정되는 평가 지표가 있을 때로 그 쓰임을 좁혀 두었습니다.

적응형 임상시험은 임상시험이 진행되는 중에도 들어오는 환자 반응 데이터를 보고 투여 용량이나 대상 환자군을 그때그때 조정하는 방식입니다. 강화학습 알고리즘이 중간 분석 결과를 읽고 특정 환자에게는 용량을 올리고, 반응이 없거나 부작용 위험이 큰 환자는 임상시험에서 일찍 제외하는 식입니다. 고형암 환자를 대상으로 한 큐레이트에이아이(CURATE.AI)의 예비 임상시험이 이 방식을 실제로 보여준 사례입니다. 위장관암 환자에게 쓰는 표준 항암화학요법인 젤록스(XELOX)나 젤리리(XELIRI) 처방에서, 그 안에 들어가는 먹는 항암제

카페시타빈(Capecitabine)의 용량을 환자 개인의 반응 데이터에 맞춰 계속 조정했습니다.

환자 한 명을 마치 독립된 임상시험 하나처럼 다루는 이런 방식을 엔오브원(N-of-1)이라고 부르는데, 표준 용량표에 환자를 맞추는 대신 환자에게 맞는 용량을 실시간으로 찾아 나간다는 점에서 기존 처방과는 순서 자체가 다릅니다. 이 예비 임상시험 결과는 2025년 국제 학술지 엔피제이 정밀종양학(npj Precision Oncology)에 실려, 환자 한 명 한 명에게 맞춘 용량 조정이 실제로 가능하다는 것을 확인해 주었습니다.

미국 식품의약국이 2025년 1월 내놓은 지침 초안은 인공지능 모델 하나하나를 무조건 신뢰하거나 무조건 의심하지 않고, 그 모델을 어디에 어떻게 쓸 것인지에 따라 심사의 강도를 다르게 매기는 위험 기반 방식을 채택했습니다. 디지털 트윈이 초기 용량을 정하는 참고 자료로만 쓰인다면 비교적 가벼운 검증으로도 충분하지만, 위약을 완전히 대체하는 합성 대조군으로 쓰인다면 훨씬 엄격한 검증을 통과해야 합니다. 신약 개발사는 모델을 제출하기 전에 이 모델이 어떤 데이터로, 어떤 구조로 만들어졌는지, 그리고 학습에 쓰이지 않은 새로운 환자에게서도 같은 성능을 내는지를 미리 문서로 정리해 규제 당국과 협의해야 합니다.

번거로운 절차지만, 거꾸로 보면 인공지능이 만든 증거도 사람이 만든 증거와 같은 눈높이에서 심사받을 수 있는 길이 열린 것이기도 합니다. 이런 접근은 자동차나 항공기 부품을 인증할 때 부품마다 안전 등급을 다르게 매기는 방식과 크게 다르지 않아서, 규제 당국 입장에서도 아주 낯선 틀은 아닙니다.

이런 흐름이 몇몇 회사의 실험에 머무르지 않는다는 것은 곳곳에서 진행 중인 다른 임상시험으로도 확인됩니다. 미국 클리블랜드 클리닉에서는 제2형 당뇨병 환자를 대상으로 전신 디지털 트윈 기반 정밀 치료의 효과를 검증하는 무작위 대조 임상시험이 진행되고 있고, 결과는 2026년 안에 나올 예정입니다. 2025년 4월에는 디지털 트윈 기반 임상연구 시스템 자체의 타당성을 검증하는 별도의 연구도 새로 시작되었습니다. 시장 조사기관들은 디지털 트윈 관련 세계 시장 규모가 2024년 177억 달러 수준에서 2032년에는 2,593억 달러까지, 해마다 40퍼센트에 가까운 속도로 커질 것으로 내다보고 있습니다.

프랑스 제약사 사노피(Sanofi)를 비롯한 대형 제약사들도 자체 매체를 통해 인공지능이 만든 디지털 쌍둥이로 임상시험을 다시 설계하는 작업을 공개적으로 소개하기 시작했습니다. 환자가 자신의 치료 경과를 직접 확인하도록 돕는 아웃컴스포미(Outcomes4Me) 같은 플랫폼까지 등장하면서, 디지털 트윈은 연구자의 도구를 넘어 환자 스스로 쓰는 도구로도 번

지고 있습니다.

합성 대조군이 대조군에 필요한 사람의 발길을 줄여 주었다면, 웨어러블 기기는 남은 참여자의 병원 발걸음까지 줄여 줍니다. 스마트워치와 스마트 패치 같은 기기를 몸에 지니면, 환자가 병원에 오지 않아도 심박과 수면, 활동량 같은 디지털 바이오마커가 24시간 쫓입니다. 병원이라는 물리적 장소에 매이지 않는 이런 탈중앙화 임상시험(DCT)은 2026년 기준 세계 시장 규모만 100억 달러를 넘어설 것으로 추산됩니다.

미국 정부의 생물의학첨단연구개발국(BARDA)이 대형 약국 체인 월그린스(Walgreens)와 손잡고 동네 약국을 임상시험 거점으로 여는 사업을 벌이는 것도 병원 문턱을 낮추려는 같은 흐름입니다. 식품의약국 역시 2024년 4월 임상시험혁신센터를 새로 열고 같은 해 9월 탈중앙화 임상시험 지침을 확정해 이 흐름에 규제의 뒷받침을 더했습니다.

이렇게 쏟아지는 데이터는 대형 언어 모델이 읽어 냅니다. 인공지능은 정형화되지 않은 진료 기록과 환자가 남긴 문장을 실시간으로 읽어 약물 이상 반응이나 약물 간 상호작용을 90퍼센트가 넘는 민감도로 잡아냅니다. 인플루엔자 백신의 이상 반응을 보고서에서 자동으로 골라낸 연구팀도 있었고, 트리 오브 소츠(Tree of Thoughts) 추론 방식을 적용한 대형 언어 모델로 심혈관계 이상 반응을 진료 기록에서 자동으로 판별해 낸 연구팀도 있었습니다.

병원까지 오가기 힘든 지방 환자나 소수 인종 환자도 이 방식으로는 임상시험에 참여할 수 있어서, 탈중앙화 임상시험은 효율만이 아니라 임상 데이터의 형평성 문제도 함께 풀어 주고 있습니다. 환자가 자신의 증상을 직접 입력하는 방식보다 이런 자동 탐지가 나은 점은, 환자 스스로도 대수롭지 않게 여겨 보고하지 않는 초기 신호까지 놓치지 않는다는 데 있습니다.

2024년 하반기 다쏘시스템은 식품의약국과 함께 미국기계학회의 검증 표준인 브이앤브이 사십(V&V 40)을 기준으로 삼은 세계 최초의 인실리코 임상시험 안내서를 펴냈습니다. 의사와 엔지니어, 정부 관계자가 함께 힘을 모아 시작한 이 프로젝트는 2025년 2월 환자 한 명 한 명, 또는 특정 환자군에 맞춰 세밀하게 조정할 수 있는 다음 세대 리빙 하트 모델의 베타 테스트에 들어갔다고 다쏘시스템이 밝혔습니다. 리빙 하트에 이어 리빙 브레인까지 나온 지금은 간과 폐를 포함해 인체 거의 모든 장기로 같은 방식이 넓어지는 중입니다.

리빙 하트 프로젝트는 2025년 미국 경제지 패스트컴퍼니가 뽑은 세상을 바꾸는 아이디어 목록에도 이름을 올렸습니다. 국제 학술지 네이처 메디슨은 2026년 디지털 트윈과 인실리

코 임상시험이 신약 개발의 전환점에 들어섰다는 논문을 실었고, 임상시험을 디지털 트윈으로 보강하는 연구는 같은 시기 학술지 엔피제이 시스템스 바이올로지에도 발표되었습니다.

화려한 성과 뒤에는 무거운 걸림돌도 남아 있습니다. 먼저 부딪히는 문제는 인공지능이 내놓는 판단의 속을 들여다볼 수 없다는 이른바 블랙박스 문제입니다. 수천만 개의 매개변수로 얹힌 딥러닝 모델이 특정 치료제가 효과적이라고 결론짓거나 간 독성이 발생할 것이라고 경고해도, 그 판단이 어떤 생물학적 경로를 거쳐 나왔는지 의사와 규제 당국에 명확히 설명하지 못하면 신약 허가 심사에서 핵심 근거로 채택되기 어렵습니다.

환자의 생명이 걸린 결정을 컴퓨터가 왜 그렇게 판단했는지 아무도 설명할 수 없는 상태로 내리게 둘 수는 없기 때문입니다. 의사들 사이에서는 컴퓨터가 내놓은 결과를 그대로 따르기보다 그 이유를 납득한 뒤에야 처방전에 서명하겠다는 태도가 여전히 강합니다. 그래서 최근에는 최종 예측값과 함께 그 예측에 크게 영향을 준 요인 몇 가지를 나란히 보여주는 설명 가능한 인공지능 기법이 현실적인 대안으로 떠오르고 있습니다.

학습 데이터의 한계도 발목을 잡습니다. 특정 인종이나 특정 질병 패턴에 치우친 데이터로 학습한 모델은 낯선 신약 후보나 다른 인구 집단을 만나면 예측 정확도가 크게 떨어지고, 학계에는 그 정확도가 0.3 수준까지 떨어진 사례도 보고되어 있습니다. 학습 과정에서 나중에 나와야 할 임상 결과 정보가 실수로 입력 데이터에 섞여 들어가 모델의 성능 지표를 실제보다 부풀리는 데이터 누수 문제도 반복해서 지적받고 있습니다. 이런 오류는 임상시험 단계에서는 잘 드러나지 않다가 실제 처방 현장에서, 있지도 않은 위험을 있다고 잘못 알리는 위양성 판정으로 나타날 위험이 있습니다.

이런 이유로 최근 규제 당국은 모델 학습에 전혀 쓰이지 않은 새로운 환자군에서 따로 성능을 확인하는 이른바 표본 밖 검증 결과까지 신약 제출 자료에 포함하라고 요구하기 시작했습니다. 그래서 학계와 제약업계는 소프트웨어 단위 테스트부터 생물학적 반응과의 일치도 검증까지 포괄하는 엄격한 검증 절차를 신약 개발의 필수 관문으로 요구하고 있습니다.

정교한 디지털 트윈을 만들려면 유전체 정보와 전자의무기록처럼 극도로 민감한 개인정보를 대량으로 모아야 합니다. 미국의 건강보험통상책임법(HIPAA)이나 유럽의 일반개인정보보호법(GDPR) 아래에서는 병원과 제약사가 각자 보유한 데이터를 외부 서버로 옮겨 한 데 모으는 일 자체가 사실상 막혀 있습니다. 그 대안으로 떠오른 것이 환자의 원본 데이터는 병원 내부 서버에 그대로 두고 암호화한 모델 가중치만 주고받는 연합학습과 차등 프라이버

시 기술입니다. 국경을 넘나드는 다국적 임상시험에서는 한 나라에서 합법인 데이터 처리방식이 다른 나라에서는 그대로 위법이 되는 경우도 흔해서, 국제 공동연구를 설계하는 법무담당자들의 부담은 갈수록 커지고 있습니다.

서로 다른 병원의 데이터 형식을 하나로 맞추고 철벽같은 사이버 보안 수준을 유지하는 데 드는 비용도 여전히 만만치 않습니다. 그래서 대형 병원들은 서로의 원본 데이터를 직접 주고받는 대신, 제3의 신뢰 기관을 거쳐 익명화 검증을 마친 데이터만 연구에 쓰는 방식도 함께 시도하고 있습니다.

데이터 무결성을 요구하는 알코아플러스플러스(ALCOA++) 원칙, 그러니까 누가 언제 그 데이터를 만들었는지 추적하는 귀속성과 정확성, 완전성, 일관성 같은 기준을 인공지능 알고리즘 안에서 어떻게 문서로 남길지에 대한 고민이 제약업계 안에서 깊어지고 있습니다. 여기에 더해, 인공지능이 설계한 가상 환자와 합성 대조군을 근거로 승인된 신약이 시판 뒤 예상치 못한 부작용을 일으켰을 때, 그 책임을 소프트웨어를 만든 기업과 데이터를 제공한 병원, 처방을 내린 의사, 승인 도장을 찍은 규제 당국 가운데 누구에게 물어야 하는지를 정리한 법적 기준은 아직 어느 나라에도 제대로 마련되어 있지 않습니다.

지금으로서는 신약 개발사가 계약서 안에 책임 소재를 미리 나누어 명시하는 방식으로 이 법적 공백을 메우고 있을 뿐이며, 법원 판례나 별도 입법으로 뚜렷한 기준이 세워지기 전까지는 이런 불확실성이 당분간 이어질 가능성이 큼니다. 여러 나라 정부가 관련 입법을 검토하고 있지만, 법안 논의 단계를 넘어 실제 시행에 들어간 나라는 아직 찾기 어렵습니다.

미국 의회는 2022년과 2023년에 걸쳐 식품의약국 현대화법 2.0(FDA Modernization Act 2.0)을 통과시켜, 수십 년간 신약 허가의 전제 조건이었던 동물실험 의무 조항을 없애고 인공지능 기반 인실리코 시뮬레이션 자료를 안전성과 유효성을 입증하는 대체 수단으로 공식 인정했습니다. 2025년 1월에는 식품의약국이 의약품과 생물학적 제제 규제 판단에 인공지능을 쓸 때 지켜야 할 지침 초안을 내놓아, 모델의 용도를 미리 정의하고 데이터 관리와 모델 구조, 학습에 쓰지 않은 데이터에서의 성능까지 검증하도록 요구했습니다.

같은 해 12월에는 실사용 근거 기반 의료기기 심사 지침을 최종 확정해, 개별 환자를 특정할 수 있는 원자료 없이도 익명화된 대규모 의료 데이터베이스를 근거 자료로 받아들일 것이라고 밝혔습니다. 유럽의약품청은 2024년 9월 의약품 수명주기 전반에 걸친 인공지능 사용에 관한 성찰 문서를 채택해, 모델의 구조를 투명하게 설명할 것과 결과에 대해 사람이 끝까지

책임지고 감독할 것을 제약업계에 권고했습니다. 2025년 7월에는 외부 대조군에 관한 별도 지침 초안을 공개 의견 수렴에 부쳤습니다. 영국 의약품건강관리제품규제청(MHRA)도 2025년 5월 실사용 데이터 기반 외부 대조군 지침 초안을 내놓았습니다.

한국 식품의약품안전처 역시 2025년 12월 디지털 기기로 수집한 임상시험 자료의 인정 기준을 담은 가이드라인을 제정했습니다. 2026년 1월에는 식품의약품국과 유럽의약품청이 인공지능을 신약 개발에 쓰는 열 가지 공통 원칙을 함께 발표하면서 대서양 양쪽의 기준을 맞추기 시작했는데, 이는 제약업계에 이미 익숙한 우수 임상시험 관리 기준, 이른바 지씨피(GCP) 전통에 인공지능 버전을 하나 더 얹은 것에 가깝습니다.

한국 안에서는 아직 갈 길이 멀다는 평가가 많습니다. 의료 인공지능 전문가들은 2026년에도 국내 의료 현장에서 디지털 트윈을 쓰는 사례가 부족하고, 신뢰를 뒷받침할 규제 체계부터 갖춰야 한다고 지적합니다. 미국과 유럽에서는 규제 당국과 기업이 5년, 10년씩 데이터를 쌓아 온 끝에 자격 인정과 지침 초안을 내놓았습니다. 이 격차는 예산이나 의지의 문제라기보다 시간이 걸리는 신뢰 축적의 문제에 가깝습니다. 다만 그 시간을 그냥 흘려보낼 수는 없습니다.

데이터를 충분히 쌓고 검증 절차를 갖춘 병원과 기업이 먼저 규제 당국의 신뢰를 얻고, 그 경험이 다음 사례의 심사 기준이 되는 방식으로 격차는 좁혀질 가능성이 큼니다. 디지털 트윈과 합성 대조군이 임상시험의 절반을 대체하는 하이브리드 모델은 이제 규제 당국의 공식 문서 안에 들어와 있습니다. 다만 모든 신약 개발의 기본값이 되기까지는 설명 가능성과 데이터 형평성, 책임 소재를 하나씩 채워 넣는 시간이 더 필요해 보입니다.

춘천의 스타트업 오프리메드를 이끄는 홍수지 대표는 외국 디지털 트윈 회사들의 가상 환자 모델이 대부분 백인 데이터로 만들어졌다는 점을 자사 기술의 차별점으로 꼽습니다. 오프리메드가 만든 인공지능 기반 인간 디지털 트윈 옵티비스(OPTIVIS)는 한국인을 포함한 동양인 환자 집단의 자료를 따로 학습시켜, 세계에서 드물게 동양인 가상 환자를 만들어 냅니다. 오프리메드는 2026년 7월 영국 런던에서 열린 알츠하이머협회 국제학술대회(AAIC)에서 이 임상시험 디지털 트윈 플랫폼을 처음 공개했습니다.

신약 하나를 개발하는 데 평균 20억 달러와 10년에서 15년이 걸리는 지금, 오프리메드는 옵티비스를 쓰면 그 시간과 비용을 평균 30퍼센트가량 줄일 수 있다고 밝혔습니다. 오프리메드는 춘천 기업혁신파크에 연구거점을 새로 짓기로 하고 업무협약을 맺었습니다. 서양인

위주로 쌓인 데이터가 동양인 환자에게는 잘 들어맞지 않을 수 있다는 걱정은, 디지털 트윈이 세계로 퍼질수록 한국을 비롯한 여러 나라에서 똑같이 따라붙을 문제로 보입니다.

실제 임상시험 결과와 실사용 데이터로 흉내 낸 결과가 늘 같지는 않습니다. 하버드 의대 부속 브리검 여성병원의 제시카 프랭클린(Jessica Franklin)과 동료들은 이미 끝난 무작위 대조 임상시험 열 건을 실사용 데이터만으로 다시 재현해 보았습니다. 규제 판단과 같은 결론에 이른 경우는 열 건 가운데 여섯 건에 그쳤고, 위험비 추정치가 원래 임상시험의 신뢰구간 안에 들어간 경우는 여덟 건이었습니다.

이 결과는 2021년 미국 학술지 서큘레이션(Circulation)에 실렸습니다. 임상시험 설계를 원래 연구와 얼마나 가깝게 재현했는지에 따라 두 결과 사이의 정확도는 크게 달라졌습니다. 디지털 트윈과 합성 대조군을 무작위 대조 임상시험 대신 널리 쓰기 전에, 어떤 조건에서 결과가 어긋나는지부터 하나씩 가려내는 편이 안전해 보입니다.

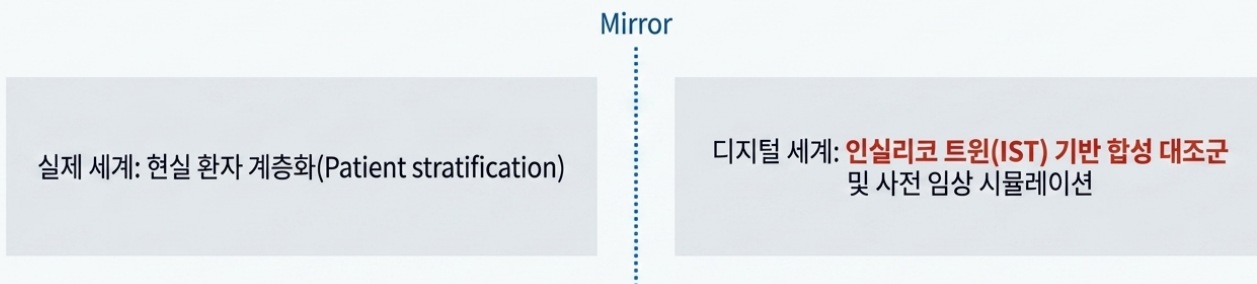
디지털 트윈이 절실하게 필요한 환자일수록 그 환자의 데이터는 오히려 적습니다. 희귀질환 환자와 소수 인종 환자는 그동안 임상시험에 적게 참여해 왔고, 그래서 지금 디지털 트윈을 학습시키는 데이터 안에도 적게 들어가 있습니다. 학계에서는 적은 환자 수를 통계적으로 보정하거나 인공지능으로 자료를 새로 만들어 빈틈을 채우는 방법을 시도하고 있지만, 원래 자료 자체가 부족한 한계를 완전히 메우지는 못합니다. 옛 임상시험에서 밀려났던 환자들 이 새 기술 안에서 다시 밀려날 위험은, 데이터를 새로 쌓지 않는 한 저절로 사라지지 않을 것으로 보입니다.

디지털 트윈(Digital Twins)과 차세대 임상시험의 현대화

4.2 디지털 트윈(Digital Twins)과 차세대 임상시험의 현대화

인실리코 트윈과 실사용 데이터를 결합하여 임상시험의 규모를 줄이고 성공 예측력을 극대화합니다.

- 환자 맞춤형 가상 환자(Virtual patient)를 생성하여 약물 반응을 사전 시뮬레이션하고 최적의 적응형 임상시험(Adaptive trial)을 설계합니다.
- 실사용 데이터/근거(RWD/RWE)를 바탕으로 합성 대조군(Synthetic control arms)을 구축하여 탈중앙화 임상시험(DCT)을 가속화합니다.



4.3

정밀 종양학(Precision Oncology)과 환자 맞춤형 치료

이스라엘 세바 메디컬센터와 미국 엠디앤더슨 암센터를 비롯한 국제 WIN 컨소시엄이 진행한 WINTHER 임상시험은, 진행성 암 환자 삼백 명 넘게 등록시켜 종양과 정상 조직을 함께 떼어내 유전자 서열과 유전자 발현 정보를 동시에 읽어 낸 대규모 다국적 연구였습니다. 다발성 골수종과 유방암 환자에게 티로신 키나아제 억제제라는 표적 항암제를 투여하면서, 연구진은 환자의 암세포에서 채취한 단일세포 하나하나의 유전자 활동을 컴퓨터로 분석했습니다. 환자들은 두 방식으로 나뉘어, 한쪽은 이백서른여섯 개 유전자를 읽는 디엔에이 염기서열 분석으로, 다른 한쪽은 종양과 정상 조직의 유전자 발현을 비교하는 아르엔에이 분석으로 치료제를 배정받았습니다.

특정 유전자 하나만 겨냥해서 약을 고르던 예전 방식은 이미 한계에 부딪힌 뒤였습니다. 환자마다 다른 유전 정보와 병리 소견을 한꺼번에 묶어 그 사람에게만 맞는 치료법을 찾아내는 개인 맞춤형 의학이 암 치료의 중심으로 옮겨 오고 있었습니다. WINTHER 시험에서는 유전자와 단백질과 대사 정보를 한꺼번에 계산해 최적의 치료제를 찾아 주는 다중 오믹스 매칭 알고리즘이 환자와 약을 짝지어 주는 역할을 맡았습니다. 종양은 가만히 멈춰 있지 않습니다. 사람의 몸속에서 시시각각 모습을 바꾸는 종양을 뒤쫓는 일, 그것이 이 임상시험이 던진 질문이었습니다.

암 치료제 개발은 오랫동안 한 가지 믿음 위에 서 있었습니다. 특정 유전자 하나가 고장 나서 암이 생겼다면, 그 고장 난 부위 하나만 정확히 막는 약을 만들면 병이 낫는다는 믿음이었습니다. 이 믿음은 특정 유전자 변이를 표적으로 삼은 몇몇 약이 실제로 극적인 효과를 낸 뒤 한동안 힘을 얻었습니다. 그러나 시간이 지나면서 같은 유전자 변이를 가진 환자라도 반응이 갈리고, 처음에는 잘 듣던 약도 몇 달 몇 년이 지나면 힘을 잃는 사례가 쌓였습니다.

문제는 약이 아니라 암을 바라보는 틀 자체에 있었습니다. 종양은 한 장의 사진이 아니라 계속 움직이는 영상에 가까웠고, 환자의 유전 정보와 생활 습관과 면역 상태까지 아우르는 훨씬 큰 그림을 함께 읽어야 한다는 인식이 퍼지면서, 개인 맞춤형 의학이 암 치료 전략의 중심으로 옮겨 왔습니다.

같은 유방암이라도 사람마다 다른 이유는 한 반 학생들을 떠올리면 이해하기 쉽습니다. 같은 학년 같은 반에 앉아 있어도 키와 성격과 잘하는 과목이 저마다 다르듯, 유방암이라는 이름표 하나 안에도 서로 다른 유전자 변이를 가진 환자들이 섞여 있습니다. 종양도 다르지 않습니다. 겉보기에는 하나의 혹처럼 보여도 그 속을 들여다보면 저마다 조금씩 다른 유전자 변이를 가진 암세포 무리가 뒤섞여 있고, 이를 종양 이질성이라고 부릅니다. 같은 교실 안에서 창가 쪽 학생과 뒤쪽 학생이 서로 다른 습관을 갖게 되듯, 종양 안에서도 위치와 주변 환경에 따라 세포마다 자라는 속도와 약에 반응하는 방식이 달라집니다.

이 차이를 무시하고 종양 전체를 하나의 덩어리로만 취급하면, 처음에는 잘 듣는 것처럼 보이던 약이 시간이 지나면서 힘을 잃는 이유를 설명할 수 없습니다. 그래서 같은 유방암 진단을 받은 두 사람이라도 한쪽에는 잘 듣는 치료제가 다른 쪽에는 전혀 듣지 않는 일이 실제 진료실에서 자주 벌어집니다.

암세포가 약을 피해 달아나는 과정은 자연 선택의 축소판입니다. 항암제를 투여하면 대부분의 암세포는 죽지만, 우연히 그 약을 견뎌 낼 수 있는 유전자 변이를 지닌 소수의 세포는 죽지 않고 살아남습니다. 살아남은 세포는 다시 분열하고 늘어나면서 어느새 종양 전체를 그 변이로 채웁니다. 내성은 이렇게 태어납니다. 처음에는 잘 듣던 약이 더는 듣지 않게 되는 순간입니다. 특정 암 유발 돌연변이 하나가 등장하면 그 여파로 세포 안의 신호 전달 경로가 재구성되고, 유전자를 읽어 들이는 전사 환경이 바뀌고, 에너지를 만들어 내는 대사 흐름까지 다시 짜입니다.

이런 연쇄 반응은 약물 하나로 분자 하나만 막아서는 잠재울 수 없습니다. 최근 연구진은 린치 증후군 환자를 대상으로 한 단일세포 공간 면역 프로파일링 기술을 동원해, 종양 속 세포 하나하나의 위치와 유전자 활동을 세포 수준에서 들여다보고 있습니다. 기질세포와 면역세포와 암세포 사이의 물리적 거리, 그리고 이들이 주고받는 비선형적 상호작용을 심층 학습 모델로 분석하면 종양이 어느 방향으로 진화해 가는지 그 궤적을 미리 그려 볼 수 있습니다.

연구자들 사이에서는 인공지능을 종양의 진화 자체를 추론하는 하나의 통합 엔진으로 보는 시각도 힘을 얻고 있습니다. 서로 다른 시점에 얻은 자료를 한 줄로 정렬하고, 암세포 무리의 계보를 재구성하고, 앞으로 내성이 생길 방향까지 가늠하는 역할을 인공지능에 맡기는 접근입니다.

이 모든 예측은 원재료가 되는 자료의 해상도에 기대고 있습니다. 예전에는 종양 조직 한 덩어리를 갈아서 그 안에 있는 수많은 세포의 유전자 신호를 평균값 하나로 뭉뚱그려 읽었지만, 단일세포 시퀀싱과 공간 전사체 기술이 보급되면서 이제는 세포 하나하나의 유전자 활동과 그 세포가 조직 안에서 정확히 어느 위치에 있었는지까지 함께 기록할 수 있게 되었습니다. 학급 평균 점수만 보다가 학생 개개인의 이름과 성적을 확인하게 된 셈입니다. 이렇게 촘촘해진 자료가 쌓여야 인공지능도 종양 속 세포 무리의 미세한 차이를 놓치지 않고 잡아낼 수 있습니다.

이렇게 파악된 종양의 복잡성은 곧바로 환자별 약물 반응 예측으로 이어집니다. 여기서 다중 오믹스란 유전자 서열인 게놈, 유전자가 얼마나 활발히 읽히는지를 보여 주는 전사체, 그리고 실제로 만들어진 단백질까지 세포 안의 여러 층위를 한꺼번에 들여다본다는 뜻입니다. 딥러닝 기반 모델인 CDRscan은 여러 암세포주에서 확인된 항암제 반응 자료와 그 세포주의 유전체 변이 정보를 짝지어 학습한 신경망을 바탕으로 삼아, 세포 실험 단계에서 쌓인 지식을 환자 개인의 예측으로 옮겨 옵니다.

암 유전체 신호만 보고도 특정 항암제가 그 환자에게 실제로 얼마나 효과가 있을지를 높은 정확도로 미리 계산해 내는 방식입니다. PERCEPTION이라는 정밀 종양학 파이프라인은 대규모 세포주 약물 스크리닝에서 얻은 대량 발현 자료와 단일세포 발현 자료를 함께 학습해, 다발성 골수종과 유방암과 폐암 환자를 대상으로 한 실제 임상시험에서 표적 치료제에 대한 반응과 내성 발생 여부를 예측하는 데 성공했습니다. 두 모델 모두 환자의 조직을 검사실에 넣기 전에 컴퓨터 안에서 먼저 치료 결과를 가늠해 보는 셈입니다.

최근에는 여러 세포주에서 먼저 학습한 다음 그 지식을 실제 환자 자료로 옮겨 적용하는 전이 학습 방식도 약물 내성의 분자적 원인을 밝히는 데 쓰이고 있습니다. 다중 오믹스 자료를 통합해 면역 관문 억제제에 잘 반응할 환자군을 미리 골라내는 작업도 같은 원리로 이루어지며, 맞지 않는 약을 투여하고 몇 달을 허비한 뒤에야 효과가 없다는 사실을 확인하던 과거의 시행착오를 크게 줄여 줍니다.

약물 내성을 이겨 내려는 시도는 저항의 경로 자체를 찾아내는 데까지 나아갔습니다. 인공지능이 실제 환자의 다중 오믹스 임상 자료를 분석한 결과, CDK4/6 억제제에 대한 내성이 에스트로겐 수용체에 의존하는 경로와 그렇지 않은 독립적인 경로로 갈라진다는 사실이 드러났습니다. CDK4/6 억제제는 호르몬 수용체 양성 유방암 환자들에게 널리 쓰이는 표적 치료제 계열이라, 이 내성 경로를 밝혀낸 성과는 실제 진료 현장에 미치는 영향이 작지 않습니다.

다.

VISTA는 면역세포가 암세포를 적으로 인식하지 못하게 가리는 단백질이고, STING은 몸속에 침입한 이물질을 감지해 면역 반응을 켜는 경보 장치와 같은 신호 경로입니다. 이 발견을 바탕으로 연구진은 VISTA를 막거나 STING을 자극하는 병용 요법을 설계해, 약 하나만으로는 막을 수 없던 내성의 틈을 메우고 있습니다. 여러 표적을 동시에 겨냥하는 이런 병용 요법은 요리에 견주면 이해하기 쉽습니다. 재료 하나만으로 맛을 내려 하지 않고 여러 재료의 배합 비율까지 계산해 함께 넣는 요리사처럼, 인공지능은 약물의 조합과 용량 비율을 함께 계산해 냅니다.

화학 화합물 사이의 시너지 효과를 예측하는 딥러닝 기법도 같은 목적으로 쓰이며, 암세포가 한쪽 경로를 막으면 다른 경로로 돌아서 살아남으려 하기 때문에 처음부터 여러 표적을 동시에 겨냥해 그 돌아가는 길목 자체를 차단하는 전략을 세우게 됩니다.

표적을 하나가 아니라 여럿으로 늘렸을 때 성적이 어떻게 달라지는지를 보여 준 연구도 있습니다. 미국 캘리포니아 대학교 샌디에이고 캠퍼스 연구진이 이끈 I-PREDICT 임상시험은 환자의 종양에서 발견된 여러 유전자 변이 가운데 얼마나 많은 비율을 약으로 함께 겨냥했는지를 기준으로 삼아, 그 일치도가 높을수록 무진행 생존 기간과 전체 생존 기간이 함께 길어졌다는 결과를 냈습니다. 하나의 돌연변이만 겨냥해서는 종양이 곧바로 다른 경로로 돌아가지만, 여러 표적을 동시에 누르면 도망갈 구멍이 그만큼 줄어드는 셈입니다.

병리학 파운데이션 모델이 조직 영상에서 뽑아낸 특징과 유전체 분석 결과를 임상 결정 지원 시스템이 한꺼번에 모아 살피면서, 의료진이 다중 표적 조합을 설계하고 그 근거를 확인하는 속도와 정확도가 눈에 띄게 올라가고 있습니다. 연구진은 이 결과를 근거로, 암 유전체 검사를 처음 시행하는 단계부터 여러 표적을 함께 고려하는 설계를 표준 진료 절차에 포함시켜야 한다고 제안했습니다.

현미경 앞에 앉아 조직 슬라이드를 한 장씩 눈으로 읽어 내려가던 병리 전문의의 작업 방식도 바뀌고 있습니다. 파운데이션 모델이라는 말은 건물의 기초 공사에 견줄 수 있습니다. 수백만 장의 조직 병리 이미지와 여러 형태의 임상 자료로 폭넓은 기초 지식부터 다진 뒤, 그 위에 위암 진단이나 유방암 예후 예측 같은 구체적인 임무를 하나씩 얹어 훈련시키는 방식이기 때문입니다. 이렇게 만들어진 대형 병리학 파운데이션 모델이 암 진단과 예후 예측에 본격적으로 쓰이기 시작했습니다.

이 모델들은 세포의 미세한 모양과 세포들이 늘어난 공간적 배열을 패토믹스라는 수치 자료로 바꾸고, 이를 유전체 정보나 진료 기록과 합쳐 진행성 위암 환자가 수술 전 항암 화학 요법이나 면역 치료에 어떻게 반응할지를 컴퓨터 안에서 먼저 시뮬레이션합니다. 핀란드의 Aiforia는 위암과 유방암과 전립선암을 진단하는 인공지능 소프트웨어로 유럽 체외진단의료기기 인증(CE-IVD)을 잇달아 받았습니다. 네덜란드 라드바우드 대학병원에서 분사한 Aiosyn도 유방암 세포의 유사분열을 세는 소프트웨어로 같은 인증을 받아, 슬라이드 한 장을 읽는 시간을 최대 육십 퍼센트까지 줄여 주고 있습니다.

국내에서는 루닛이 개발한 병리 분석 플랫폼 루닛 스코프가 전 세계 상위 제약사 스무 곳 가운데 열다섯 곳과 손잡고 임상시험과 바이오마커 개발에 참여하고 있으며, 이천이십오년에는 미국 진단 기업 랩콕과 디지털 병리 분야 파트너십을 맺고 국제 학회에서 공동 연구 성과를 발표했습니다. 같은 해 유럽종양학회에서는 루닛 스코프를 활용해 면역항암제 치료 반응을 예측한 연구 세 건이 함께 공개되어, 병리 영상 분석 결과가 환자의 실제 생존 기간과 이어진다는 근거를 보였습니다.

신경 종양학 분야에서는 뇌종양 환자의 치료 반응을 표준화된 방식으로 평가하기 위한 AI-RANO 가이드라인이 국제 연구자 협의체를 통해 마련되어, 인공지능 기반 영상 판독이 임상시험에서 신뢰받을 수 있는 근거를 제시하고 있습니다.

미국의 정밀 의료 기업 Tempus는 이런 흐름의 규모를 잘 보여 주는 사례입니다. 나스닥에 상장된 이 회사는 분자 정보와 영상과 임상 기록이 함께 담긴 오백 페타바이트가 넘는 자료를 축적했고, 그 안에는 사천오백만 명이 넘는 환자의 진료 이력과 백오십만 명의 유전자 서열 정보, 그리고 유전체와 전사체와 영상과 임상 정보를 모두 갖춘 사십만 건이 넘는 암 환자 기록이 들어 있습니다. Tempus가 내놓은 넥스트라는 플랫폼은 지난 자료를 나중에 돌아보는 분석이 아니라, 진료가 이루어지는 바로 그 순간에 필요한 정보를 의사에게 건네는 실시간 임상 지능을 표방합니다.

이천이십육년 미국임상종양학회에서 발표된 한 연구는 여섯 곳의 미국 의료기관, 환자 육백 육십이 명을 대상으로 이 플랫폼을 도입한 뒤 초기 비소세포폐암 환자의 바이오마커 검사 비율이 뚜렷하게 올라갔다는 결과를 내놓았습니다. 같은 해 칠월에는 미세잔존질환 검사를 전문으로 하는 Personalis 인수를 발표해, 조직 기반 정밀 종양학과 혈액 기반 잔존질환 추적에 한 회사 안에서 묶어 내는 작업에 나섰습니다.

Tempus는 자사가 구축한 파운데이션 모델 연구 결과 일부를 외부 연구자에게 개방하는 PRECISION Challenge라는 국가 단위 프로그램도 시작해, 한 회사가 독점하던 자료와 모델을 학계와 공유하는 방향으로 걸음을 넓히고 있습니다.

방대한 다중 오믹스 자료와 예측 알고리즘이 내놓은 결과물은 결국 담당 의사가 처방을 내리는 순간 하나로 모입니다. 메모리얼 슬론 케터링 암센터(MSKCC)의 지식과 자연어 처리 기술을 결합해 미국종합암네트워크(NCCN) 가이드라인을 학습한 IBM 왓슨 포 온콜로지는 전자의무기록에서 환자 정보를 추출한 뒤, 강력 추천과 고려 가능과 권장하지 않음이라는 세 단계로 치료 옵션을 의사에게 제시하는 대표적인 인지 컴퓨팅 시스템입니다. KM2PS라는 프레임워크는 항암제를 처방하기 전에 간 기능과 신장 기능은 물론 약물과 유전자, 약물과 약물, 약물과 건강기능식품, 약물과 생활 습관 사이에서 일어날 수 있는 상호작용을 각각 점검함으로써 부작용을 줄입니다.

OncoSOLVER처럼 임상시험 적합성을 가려내는 인공지능은 환자에게 맞는 임상시험을 실시간으로 찾아 주고, 여러 진료과 의사가 모이는 분자 종양 위원회의 논의를 지원하는 가상 플랫폼으로도 발전했습니다. 미국 식품의약국(FDA)은 인간과 인공지능이 함께 사례를 검토하는 xDECIDE라는 결정 지원 체계를 통해 가상 종양 위원회를 운영하고 있습니다. 의사 여러 명이 모이던 기존 종양 위원회에 인공지능이라는 참석자가 하나 더 늘어난 셈입니다.

여기에 더해 FDA는 차세대염기서열분석(NGS)으로 찾아낸 돌연변이와 그 돌연변이를 겨냥한 임상시험 중인 약물을 전자의무기록과 암 지식베이스와 임상시험 등록 정보에서 자동으로 연결해 주는 도구도 개발하고 있습니다. 이천이십육년에는 여러 인공지능 모델을 하나의 지휘 체계 아래 묶어 종양학 전반의 의사 결정을 지원하려는 오케스트레이션 프레임워크 연구도 등장해, 서로 다른 모델이 한 환자를 두고 내놓는 판단을 조율하는 단계로 나아가고 있습니다.

한 지역 암 진료 네트워크에서는 인공지능이 제안한 치료 결정이 대형 암센터의 종양 위원회 권고와 일치하는 비율이 도입 전 육십 퍼센트에서 도입 후 구십사 퍼센트로 올라갔다는 결과도 나왔습니다.

치료 강도를 정하는 일도 더는 표준 용량표 한 장에 의존하지 않습니다. CURATE.AI라는 플랫폼은 고형암 환자 개개인에게 필요한 약물 용량을 시간에 따라 다시 계산해, 환자의 반응을 지켜보면서 용량을 조금씩 조정하는 적응형 투여 방식의 타당성을 실제 임상에서 입증했

습니다. 어제와 오늘의 몸무게가 같아도 어제 먹은 약의 효과와 부작용이 다르게 나타났다면, 오늘 먹을 용량도 달라져야 한다는 생각입니다. 이런 방식은 효과와 독성 사이의 틈이 좁아 오차 하나가 큰 결과로 이어지는 소아암 치료나 이식 후 면역억제제 조절에서 쓰임새가 큼니다.

나노의학 분야에서는 여러 층위의 생물학적 기전을 아우르는 모델에 인공지능을 결합한 가상 종양 모델이, 나노 입자가 혈관벽을 통과해 종양 조직에 쌓이는 투과 저류 효과(EPR)를 수치로 계산해 약물을 나노 입자에 실어 보낼 때 그 효과가 환자마다 어떻게 달라질지를 미리 시뮬레이션합니다. 이 계산이 정교해질수록 같은 약이라도 사람마다 필요한 나노 입자의 설계와 투여 경로를 다르게 정할 수 있는 근거가 쌓입니다.

수술로 눈에 보이는 종양을 없앤 뒤에도 몸속 어딘가에 남아 있을지 모르는 암세포를 찾아내는 일은 오랫동안 정밀 종양학의 숙제였습니다. 암세포는 죽으면서 자신의 DNA 조각을 혈액 속으로 흘려보내는데, 이를 순환종양DNA(ctDNA)라고 부릅니다. 혈액 한 방울이 단서입니다. 영상 검사에는 아직 아무것도 보이지 않는 시점에도 혈액 속 ctDNA 농도를 추적하면 재발 여부를 가늠할 수 있고, 이렇게 수술 뒤 몸속에 남은 암의 흔적을 미세잔존질환(MRD)이라고 부릅니다.

이천이십육년 들어 학계에 보고된 MRDsteer라는 인공지능 시스템은 ctDNA 분석 과정에서 변이 판독의 신뢰도를 실시간으로 감시하다가, 신뢰도가 일정 기준 아래로 떨어지면 위험도가 높은 유전체 구간만 골라 다시 판독하는 자율 루프를 돌립니다. 극히 낮은 농도의 변이까지 잡아내는 데 이 방식이 기존 방법보다 안정적이라는 점이 검증 자료를 통해 확인되었습니다. 유방암 환자를 대상으로 ctDNA를 반복적으로 추적하는 GEMINI Breast 임상시험도 이천이십오년 시월부터 환자를 모집하고 있으며, 위장관암과 폐암과 유방암을 아우르는 여러 연구에서 수술이나 치료 뒤 MRD 양성 판정을 받은 환자일수록 재발 위험이 높고 생존 기간이 짧다는 결과가 반복적으로 확인되고 있습니다.

의료진은 이 정보를 근거로 재발 위험이 높은 환자에게는 항암 치료 기간을 늘리고, 위험이 낮은 환자에게는 불필요한 치료를 덜어 주는 방향으로 결정을 내릴 수 있습니다.

암세포는 자라면서 원래 몸에는 없던 변형 단백질 조각을 표면에 드러내는데, 이를 신생항원이라고 부릅니다. 신생항원은 환자마다 종양의 돌연변이가 다른 만큼 사람마다 전혀 다른 모양을 하고 있어서, 마치 각자의 얼굴처럼 그 사람의 종양에만 있는 표식이 됩니다. 인공지

능은 유전자 서열 자료를 분석해 이 표식 가운데 몸속 면역세포가 알아보기 쉬운 것들을 골라내고, 이를 근거로 환자 한 사람만을 위한 백신을 설계합니다. 바이오엔테크와 제넨텍이 함께 개발한 autogene cevumeran은 췌장암 수술을 받은 환자에게 이런 개인 맞춤형 백신을 투여한 결과, 백신에 반응해 T세포가 만들어진 환자들은 재발 없이 지낸 기간이 상당히 길게 이어진 반면 반응하지 않은 환자들은 중앙값 십삼점사 개월 만에 재발했습니다.

삼 년 뒤 추적 조사에서는 반응한 환자들의 T세포가 평균 칠점칠 년이라는 긴 수명을 유지하고 있다는 사실도 확인되어, 지금은 이백육십 명 규모의 이 상 임상시험으로 범위를 넓혀 화학 항암제와 면역 치료제를 함께 투여하는 방식을 검증하고 있습니다. 모더나와 머크가 흑색종 환자를 대상으로 개발 중인 mRNA-4157(V940)도 면역 관문 억제제인 펌브롤리주맙과 함께 투여했을 때 재발이나 사망 위험을 약 사십구 퍼센트 낮추었다는 임상 결과를 발표한 뒤 삼 상 시험에 들어갔으며, 이르면 이천이십육년 말에서 이천이십칠년 사이에 첫 규제 승인 여부가 갈릴 것으로 보입니다.

중앙 유전자 서열을 확인한 뒤 이 개인 맞춤형 백신을 실제로 만들어 내기까지는 통상 이 주에서 사 주가 걸립니다. 개인 맞춤형 백신 한 사람의 가격은 십만 달러에서 삼십만 달러 사이로 추정되는데, 재발 위험이 높은 수술 후 보조 요법 단계에 투입하면 그 비용을 치료 효과로 정당화할 수 있다는 분석도 나옵니다. 면역 관문 억제제와 개인 맞춤형 백신을 함께 쓰는 임상시험은 흑색종을 중심으로 백오십 건을 넘어섰습니다. 바이오엔테크가 개발 중인 또 다른 개인 맞춤형 백신 BNT122도 대장암을 비롯한 여러 고형암에서 면역 관문 억제제와 함께 삼 상 시험 단계로 나아가고 있어, 개인 맞춤형 백신 경쟁은 한 회사나 한 암종에 머물지 않고 있습니다.

유전체와 전사체 정보, 병리 영상과 방사선 영상, 진료 기록과 혈액 속 ctDNA, 생활 습관 자료까지 서로 다른 형태의 자료가 한곳에 모이면, 인공지능은 이를 종합해 환자를 세부 유형으로 나누고, 그 결과는 다시 개인 맞춤형 의학과 각 환자에게 맞는 투여 경로 결정으로 이어집니다. 환자 한 명의 치료 방향을 정하기 위해 병리과와 종양내과와 유전체 분석팀이 한곳에 모이는 일도 이제는 낯설지 않습니다. 국내에서도 이 흐름은 더는 연구실 안에서만 머무르지 않습니다. 국립암센터는 국제 공동 임상 연구에 참여하며 정밀 종양학 자료를 축적하고 있고, 서울대학교병원을 비롯한 주요 대학병원에서는 키메라 항원 수용체 T세포(CAR-T) 치료와 액체생검을 접목한 임상시험이 진행되고 있습니다.

표적 치료, mRNA 기반 맞춤형 백신, 세포 치료제, 액체생검이라는 네 가지 흐름이 이천이 십육년 현재 한 병원 안에서 동시에 돌아가기 시작했으며, 치료의 무게중심은 병명 하나로 환자를 묶던 방식에서 환자 한 사람 한 사람을 기준으로 삼는 방식으로 옮겨 가고 있습니다. 환자를 부르는 이름도 조금씩 달라지고 있습니다. 폐암 환자나 유방암 환자라는 병명 대신 EGFR 양성 폐암처럼 특정 변이를 지닌 환자군으로, 나아가 그 환자 한 사람의 종양 지문으로 부르는 언어가 진료실 안으로 들어오고 있습니다.

그러나 화면 속 수식이 아무리 정교해도 임상 현장의 검증 기준은 훨씬 냉정합니다. WINTHER 임상시험이 그 현실을 보여 주는 사례입니다. 전체 환자의 삼십오 퍼센트에게 오믹스 자료를 근거로 맞춤형 약물을 짚지어 주는 데는 성공했지만, 짚지어진 치료의 무진행 생존 기간이 이전 치료보다 일점오 배 이상 길어야 한다는 사전 지정 목표를 채운 환자는 이십이점사 퍼센트에 그쳤습니다. 다만 전신 상태가 양호하고 짚짓기 점수가 높았던 환자들만 따로 보면 전체 생존 기간 중앙값이 이십오점팔 개월로, 그렇지 못한 환자들의 사점오 개월과 비교해 뚜렷한 차이를 보였습니다.

격차는 저절로 사라지지 않습니다. 학습에 쓰인 자료 안에서는 뛰어난 성능을 보이던 심층 신경망 모델이 낯선 병원의 새로운 환자 자료를 만나면 성능이 무너지는 일이 흔한데, 이를 환상적 일반화 문제 또는 도메인 이동이라고 부릅니다. 모델을 훈련하는 과정에서 나중에 알아야 할 치료 결과 정보가 실수로 입력값에 섞여 들어가 성능을 부풀리는 데이터 누수, 그리고 진짜 인과관계 대신 겉으로 드러난 상관관계만 익혀 버리는 지름길 학습도 실제 의료 사고로 이어질 수 있는 맹점으로 꼽힙니다.

그래서 최근 연구자들은 한 병원에서만 만든 모델을 다른 병원, 다른 인종, 다른 장비 환경의 자료로 다시 검증하는 외부 검증 절차를 논문 심사의 필수 조건으로 요구하기 시작했습니다.

블랙박스 문제에 대응하려는 노력도 함께 늘어나고 있습니다. 병리 영상을 분석하는 모델은 최종 판단을 내리면서 조직 이미지 가운데 어느 부위를 근거로 삼았는지를 열지도로 표시해 병리 전문의가 그 부위를 직접 눈으로 확인하게 하고, 유전체 자료를 다루는 모델은 수많은 변수 가운데 어떤 유전자와 어떤 상호작용이 예측 결과에 크게 영향을 미쳤는지를 수치로 거슬러 보여 줍니다. 이런 설명 기법이 완벽한 인과 증명은 아니지만, 의사가 인공지능의 권고를 그대로 따르지 않고 그 근거를 스스로 판단할 여지를 넓혀 준다는 점에서 규제 당국의 신뢰를 얻는 다리 역할을 하고 있습니다.

제도와 기술 사이의 간격은 법정 다툼으로 번질 소지도 안고 있습니다. 인공지능이 설계한 가상 환자군 자료가 눈가림 무작위 임상시험의 대조군을 대신할 수 있는지를 두고 미국 식품의약국과 유럽의약품청은 위험도에 따라 사전에 변경 계획을 정해 두고 투명하게 공개하라는 방향의 가이드라인을 잇달아 내놓고 있습니다. 단일세포 다중 오믹스 자료와 방대한 진료 기록을 모으고 학습하는 과정은 유럽 일반개인정보보호법(GDPR)이나 미국 건강보험 이동 및 책임법(HIPAA)과 곳곳에서 부딪히며, 이 문제는 아직 뚜렷한 해법을 찾지 못했습니다. 특정 인종이나 선진국 환자의 유전체에 자료가 쏠려 있으면 그 알고리즘은 소외된 집단에게 잘못된 진단이나 부적절한 약을 권할 위험을 안고 있어, 의료 격차를 오히려 벌릴 수 있습니다.

인공지능이 왜 그 항암제를 권했는지, 왜 특정 부작용을 경고했는지 의사에게 분자 수준의 근거로 설명하지 못하는 블랙박스 문제는 규제 승인을 지연시키는 걸림돌로 여전히 남아 있습니다. 인공지능 임상 결정 지원 시스템의 오류로 환자가 다치거나 목숨을 잃었을 때 그 책임이 알고리즘을 만든 회사에 있는지, 자료를 제공한 병원에 있는지, 처방을 내린 의사에게 있는지를 가릴 법 조항은 아직 어느 나라에도 제대로 마련되어 있지 않습니다. 보험 급여 체계도 이 변화를 따라가지 못하고 있습니다. 표준 치료 하나에 값을 매기던 방식으로는 환자마다 다른 조합 요법과 개인 맞춤형 백신의 비용을 어떻게 나누어 인정할지 답을 내놓기 어렵기 때문입니다.

결국 이천이십오년과 이천이십육년의 정밀 종양학은 연산 속도나 예측 정확도를 높이는 경쟁을 넘어, 자료의 형평성과 판단 근거의 투명성, 그리고 규제 당국과 발맞춘 법적 안전망을 함께 갖추어야 다음 단계로 나아갈 수 있습니다. 결정을 최종적으로 내리는 주체가 사람인 의사라는 사실은 이 모든 기술적 진보 속에서도 변하지 않았습니다.

한국에서도 정밀 종양학은 더는 낯선 말이 아닙니다. 고려대학교가 이끄는 K-MASTER 사업단은 이천십칠년 유월부터 전국 쉰다섯 개 병원과 손잡고, 암 환자의 유전자 패널 검사 결과를 진행 중인 임상시험과 이어 주는 매치 마스터 시스템을 운영해 왔습니다. 담당 의사는 이 시스템을 통해 환자에게 맞는 임상시험이 있는지, 어떤 표적 치료제를 고려할 수 있는지 확인합니다.

차세대염기서열분석(NGS) 기반 유전자 패널 검사도 이천십칠년 삼월 열 가지 암을 대상으로 건강보험이 처음 적용되었고, 이천십구년 오월에는 모든 암종으로 그 범위가 넓어졌습니다. 다만 검사비의 절반은 여전히 환자 스스로 내야 하고, 급여가 인정되는 검사도 처음 진단

받을 때와 암이 재발하거나 다른 곳으로 옮겨 갔을 때, 이렇게 두 번으로 제한되어 있습니다.

유전자 변이를 찾아냈다고 해서 곧바로 치료로 이어지는 것은 아닙니다. KRAS 변이를 지닌 폐암처럼 원인이 되는 유전자는 알아냈지만 그 유전자를 막을 약은 아직 나오지 않은 암종도 있습니다. 약이 있어도 문턱은 남습니다. 요로상피암에 쓰는 파드셉과 키트루다를 함께 투여하면 환자 세 명 가운데 한 명꼴로 암이 완전히 사라진다는 결과가 나왔지만, 이 병용 요법은 국내에서 아직 건강보험 급여를 받지 못해 환자가 약값을 전부 떠안아야 합니다.

새로 나온 항암 신약이 나온 지 한 해 안에 한국에 들어오는 비율은 백 건 가운데 다섯 건에 그쳐, 경제협력개발기구(OECD) 평균인 백 건 가운데 열여덟 건에도 못 미칩니다. 폐암이나 유방암에 쓰는 표적 치료제는 한 달 치 값이 수백만 원을 넘는 경우도 드물지 않습니다. 표적을 찾아내는 기술은 빨라졌지만, 그 표적에 맞는 약을 구하고 값을 감당하는 일은 여전히 다른 차원의 싸움으로 남아 있습니다.

이 격차는 병원의 크기와의도 맞물립니다. 이천이십삼년 새로 암 진단을 받은 환자 가운데 수도권에 사는 사람은 절반이 되지 않았지만, 실제로 수도권 병원에서 치료받은 암 환자는 열 명 중 여덟 명에 가까웠습니다. 지방에 살면서 서울의 이룬바 빅5 대형 병원까지 찾아가는 암 환자 수도 이천이십이년과 견주어 이천이십사년에 십일점팔 퍼센트 늘었습니다. 최신 유전체 검사와 인공지능 기반 분석은 대개 서울의 몇몇 대형 병원에 먼저 갖춰지고, 그 장비와 인력이 지역 병원까지 고르게 퍼지는 데는 시간이 걸립니다.

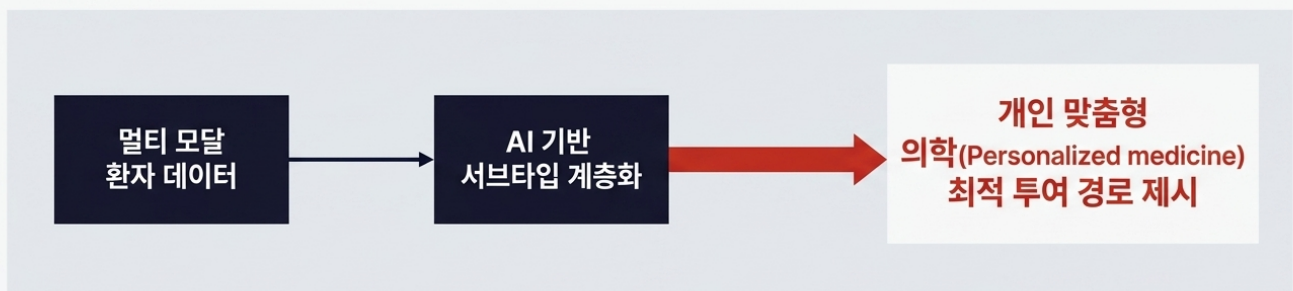
정밀 종양학이 내놓는 혜택은 그 병원까지 찾아갈 형편이 되는 환자에게 먼저 돌아갈 가능성이 큼니다. 기술의 정확도를 높이는 일 못지않게, 그 기술이 닿는 범위를 넓히는 일도 앞으로 남은 숙제로 보입니다.

정밀 종양학(Precision Oncology)과 환자 맞춤형 치료

4.3 정밀 종양학(Precision Oncology)과 환자 맞춤형 치료

종양의 미시적 진화를 추적하는 AI는 약물 내성을 극복하고 궁극적인 개인 맞춤형 의학을 실현합니다.

- AI는 종양 이질성(Tumor heterogeneity)과 클론 진화(Clonal evolution)를 분석하여 환자 특이적 약물 반응과 내성(Drug resistance)을 사전 예측합니다.
- 병리학 파운데이션 모델과 연동된 임상 결정 지원 시스템(CDSS)은 다중 표적 치료 전략의 정확도를 대폭 향상시킵니다.



제 5 부

규제 과학, 데이터 윤리 및 미래 융합 생태계

5.1

AI 신약개발의 규제 프레임워크와 품질 관리 거버넌스

2026년 1월 14일, 미국 메릴랜드주 실버스프링에 있는 식품의약국 본부와 유럽의약품청 사무실에서 짧은 문서 한 건이 거의 동시에 공개되었습니다. 이름은 "의약품 개발의 우수 인공지능 실천에 관한 지침 원칙"이었고, 담긴 내용은 열 가지 원칙이 전부였습니다. 사람 중심의 설계, 위험도에 따른 접근, 데이터 거버넌스, 수명주기 관리 같은 단어가 몇 쪽 안 되는 문서에 촘촘히 박혀 있었습니다. 태평양을 사이에 둔 두 거대 규제기관이 손을 맞잡고 한목소리를 낸 이 장면은, 신약 개발의 무게중심이 시험관과 동물 우리에서 컴퓨터 서버로 넘어가고 있다는 사실을 뒤흔게나마 공식적으로 인정한 순간이었습니다.

이보다 여덟 달 앞선 2025년 5월, 식품의약국은 자체 개발한 생성형 인공지능 엘사(Elsa)를 도입한다고 밝혔고, 그해 6월 말에는 심사관 전원이 쓸 수 있도록 전면 배치를 마쳤습니다. 예전에는 사흘이 걸리던 서류 비교 작업을 엘사가 여섯 분 만에 끝냈다는 내부 보고가 알려지면서, 신약 심사의 속도 자체가 달라지고 있다는 소문은 곧 사실로 확인되었습니다. 엘사를 실제로 운용하는 방식에는 나름의 안전장치가 있습니다. 식품의약국은 엘사를 정부 전용 클라우드 환경 안에 가두어 두고, 제약회사가 제출한 민감한 심사 자료를 엘사가 학습해 버리는 일이 없도록 설계했습니다.

심사관이 내부 문서에는 접근하되, 그 내용이 엘사의 학습 데이터로 흘러 들어가 다른 회사의 심사에 영향을 주는 일은 막아 둔 셈입니다. 규제 당국 스스로도 자신들이 쓰는 인공지능에 같은 잣대를 들이대고 있다는 뜻입니다.

이 변화를 규제 기관은 스스로 규제과학이라는 이름으로 부릅니다. 신약이 안전하고 효과가 있는지를 판단하는 과학적 근거 자체를 다시 설계하는 작업이라는 뜻입니다. 예전의 규제과학은 임상시험에서 나온 숫자를 통계로 검증하는 일에 무게가 실려 있었습니다. 지금의 규제과학은 그 숫자를 만들어 낸 인공지능 모델이 얼마나 믿을 만한지를 검증하는 일까지 함께 끌어안아야 합니다. 심사관에게는 화학과 의학 지식만으로 부족하고, 모델이 어떤 데이터로 훈련되었는지, 어떤 가정 위에서 작동하는지를 함께 읽어 낼 수 있는 눈이 새로 필요해졌습니다.

이 모든 움직임에 관통하는 그림은 규제가 인공지능을 뒤쫓아 가는 모습에서 인공지능과 나란히 걸어가는 모습으로 바뀌고 있다는 것입니다. 십 년 전만 해도 규제 당국은 새로운 기술이 시장에 먼저 나오고 나서야 뒤늦게 규칙을 만들었습니다. 지금은 식품의약국과 유럽의약품청이 가이드라인 초안을 놓고 산업계와 미리 의견을 주고받고, 개발 초기 단계에서부터 상담 창구를 열어 두는 쪽으로 방향을 틀었습니다. 정해진 답을 맞히라고 요구하는 시험관에서, 문제를 함께 풀어 가는 동반자로 규제 기관의 역할이 바뀌어 가고 있는 셈입니다.

미국 의회는 2022년 12월 식품의약국 현대화법 2.0을 통과시키면서, 수십 년 동안 신약 허가 신청의 전제 조건으로 못박혀 있던 동물실험 의무 조항을 없앴습니다. 그 대신 컴퓨터 안에서 화합물의 움직임을 미리 계산하는 인실리코 시뮬레이션, 사람 세포로 만든 미세한 장기 모형인 오가노이드, 반도체 칩 위에 사람 장기의 기능을 옮겨 놓은 장기 칩 실험 결과가 안전성과 유효성의 공식 증거로 들어섰습니다. 쥐와 원숭이를 거치지 않고도 신약 후보물질이 사람 몸속에서 어떻게 반응할지 컴퓨터로 미리 그려 보는 길이 법으로 열린 셈입니다.

이 조항은 동물실험을 당장 금지한 것이 아니라 대안을 인정한 것에 가깝습니다. 제약회사는 여전히 동물실험을 고를 수 있지만, 인실리코 데이터만으로도 심사대에 설 수 있는 문이 처음으로 열렸다는 사실이 지니는 무게는 다릅니다. 이 대응 전략을 얼마나 빨리 소화하느냐가 이후 몇 해 동안 각 제약회사의 임상 개발 속도를 가를 것으로 보입니다.

식품의약국은 이미 2021년, 소프트웨어형 의료기기(SaMD)로 분류되는 인공지능·기계학습 소프트웨어를 다루는 실행 계획을 내놓으면서 두 가지 장치를 마련해 두었습니다. 하나는 우수 기계학습 관행(GMLP)이라 부르는 열 가지 원칙입니다. 데이터를 어떻게 모으고 나누어 쓸지, 모델을 어떻게 설계하고 시험할지, 사람과 인공지능이 어떻게 역할을 나눌지, 성능을 시장 출시 뒤에도 어떻게 계속 지켜볼지를 정한 일종의 조리법입니다. 훈련에 쓴 데이터와 시험에 쓴 데이터를 반드시 나누어 두어야 한다는 원칙, 실제로 약을 쓰게 될 환자 집단을 데이터가 고르게 대표해야 한다는 원칙, 인공지능 혼자가 아니라 사람과 인공지능이 함께 일하는 성능을 살펴야 한다는 원칙이 열 가지 가운데서도 자주 인용됩니다.

국제의료기기규제당국포럼(IMDRF)은 2025년 1월 이 원칙을 국제 표준 문서로 확정해 발표했고, 미국과 캐나다와 영국의 규제 문구가 사실상 하나로 모였습니다. 다른 하나는 사전 특정변경관리계획(PCCP)입니다. 인공지능은 출시된 뒤에도 새 데이터를 만나며 계속 배우고 바뀌는 소프트웨어이기 때문에, 바뀔 때마다 처음부터 다시 허가를 받게 하면 산업 전체가 멈춰 버립니다. 식품의약국은 제조사가 앞으로 있을 수 있는 변경의 범위와 검증 방법을

미리 정해 한 번에 승인받도록 하는 길을 열었고, 2024년 말부터 2025년 사이 인공지능이 들어간 의료기기 소프트웨어를 대상으로 한 최종지침을 잇달아 확정했습니다.

휴대전화를 살 때 앞으로 나올 소프트웨어 업데이트를 어느 범위까지 자동으로 설치할지 미리 약관에 합의해 두는 방식과 닮았습니다.

2025년 1월 6일 식품의약국은 "의약품 및 생물학적 제제의 규제 의사결정을 지원하는 인공지능 사용에 관한 고려사항"이라는 초안 지침을 내놓았습니다. 이 지침의 뼈대는 일곱 단계로 이루어진 위험 기반 신뢰성 평가체계입니다. 제약회사는 먼저 인공지능 모델에게 어떤 질문을 던지는지 글로 밝혀야 하고, 그 모델이 신약 개발의 어느 단계에서 어떤 역할을 맡는지 범위를 정해야 하며, 모델의 판단이 틀렸을 때 환자가 입을 위험의 크기를 등급으로 매겨야 합니다.

위험이 크다고 판정되면 그만큼 두꺼운 증거를 모아 검증 계획을 세우고 실행한 뒤, 그 결과가 애초에 정한 목적에 맞는지 마지막으로 확인하는 절차를 거칩니다. 초등학생에게 설명한다면 이런 그림입니다. 반 친구가 시험 답안지에 정답을 써냈다고 해서 선생님이 곧바로 백점을 주지는 않습니다. 그 답이 어떤 풀이 과정을 거쳐 나왔는지, 우연히 찍어서 맞힌 것은 아닌지, 다음 시험에도 같은 방식으로 정답을 낼 수 있는지를 함께 봅니다.

신약을 개발하는 인공지능도 다르지 않습니다. 특정 화합물이 간에 해롭다고 인공지능이 예측했을 때, 그 예측이 맞았다는 결과만으로는 부족합니다. 왜 그렇게 판단했는지 풀이 과정을 사람이 읽을 수 있어야 하고, 다른 화합물에도 같은 논리가 한결같이 적용되는지 확인할 수 있어야 합니다. 법정에서 증인의 진술이 사실이라 해도 그 진술이 나온 경위와 신빙성을 따지지 않으면 증거로 채택되지 않는 논리와 다르지 않습니다.

규제 기관이 두려워하는 상황은 인공지능이 우연히 정답을 맞히고 정작 그 이유는 아무도 설명하지 못하는 경우입니다. 설명하지 못하는 판단은 되풀이할 수 없고, 되풀이할 수 없는 판단을 다음 환자에게 그대로 적용했을 때 어떤 결과를 낳을지는 아무도 장담할 수 없습니다.

신뢰성 평가체계가 요구하는 서류에는 몇 가지 공통 항목이 있습니다. 모델을 훈련하고 검증하는 데 쓴 데이터가 어디서 왔는지 밝히는 출처 기록, 모델의 예측이 어느 범위까지는 믿을 만하고 어느 범위를 넘어서면 흔들리는지를 수치로 나타낸 불확실성 관리 계획, 그리고 모델을 시장에 낸 뒤에도 성능이 떨어지지 않는지 정기적으로 점검하는 수명 주기 모니터

링 계획이 그것입니다. 화합물 몇 개에서만 잘 들어맞는 모델을 마치 모든 화합물에 두루 통하는 것처럼 부풀려 신청하는 사례를 걸러내려는 장치입니다.

위험도에 따라 요구 수준을 달리하는 태도는 미국과 유럽과 한국의 지침 모두에서 공통으로 나타납니다. 수천 개의 화합물 후보 가운데 유망한 후보를 추려 내는 초기 탐색용 인공지능은 최종 판단을 사람이 다시 검토하기 때문에 상대적으로 가벼운 검증으로도 통과할 수 있습니다. 반면 환자에게 투여할 용량을 직접 제안하거나 임상시험 참가자를 위험군으로 분류하는 인공지능은 그 판단이 곧바로 사람의 몸에 영향을 미치기 때문에 훨씬 두꺼운 증거와 훨씬 잦은 재검증을 요구받습니다.

같은 인공지능이라는 이름을 달고 있어도 실제로 짊어지는 규제의 무게는 그 판단이 미치는 범위에 따라 크게 달라지는 셈입니다.

같은 지침은 모델 마스터 파일(MMF)이라는 제도의 도입도 함께 다루고 있습니다. 국소적으로 작용하는 의약품처럼 여러 신약 신청에 비슷한 인공지능 모델이 되풀이해서 쓰이는 경우, 신청서마다 모델 검증 자료를 처음부터 새로 내게 하면 제약회사와 심사관 모두에게 같은 서류를 거듭 만들고 검토하는 부담이 쌓입니다. 모델 마스터 파일은 한 번 제대로 검증받은 인공지능 모델의 이력서를 별도로 등록해 두고, 이후 다른 신청 건에서는 그 이력서를 참조 문서로 갖다 쓸 수 있게 하는 장치입니다.

대학 졸업장을 한 번 발급받아 두면 여러 회사에 지원할 때마다 다시 시험을 치르지 않고 졸업장 사본을 내는 방식과 닮았습니다. 산업계와 규제 당국은 아직 세부 운영 방식을 논의하는 단계이지만, 모델 심사가 겹치는 비효율을 줄이는 핵심 장치로 꼽고 있습니다.

신약 개발의 초기 단계로 눈을 돌리면 인공지능은 임상시험 설계 그 자체를 바꾸고 있습니다. 예전에는 연구자가 경험과 직관에 기대어 환자를 몇 명 모을지, 투여량을 얼마로 나눌지를 정했다면, 지금은 계산 모델이 과거 임상 데이터를 학습해 효율이 높은 시험 설계안을 미리 제시합니다. 이런 접근을 모델정보기반신약개발이라 부르는데, 환자 수를 무작정 늘리지 않고도 통계적으로 믿을 만한 결론을 얻을 수 있다는 장점 때문에 희귀질환처럼 환자 모집 자체가 어려운 영역에서 요긴하게 쓰이고 있습니다.

후보물질의 최적 용량을 찾는 데 걸리는 시간과 비용도 함께 줄여 줍니다. 다만 규제 당국은 이 모델이 제시한 설계안을 곧바로 받아들이지 않습니다. 모델이 가정한 통계적 전제가 실제 환자 집단의 특성과 얼마나 들어맞는지, 표본을 줄인 만큼 결과의 신뢰도가 떨어지는

않았는지를 앞의 신뢰성 평가체계 절차 안에서 다시 짚어 봅니다.

2024년 제정되어 2025년 8월부터 순차적으로 효력을 발휘하기 시작한 유럽연합 인공지능법(EU AI Act)은 임상시험 참여자의 위험을 예측하거나 의약품 제조 공정의 품질을 통제하는 인공지능 시스템을 고위험 인공지능으로 분류했습니다. 고위험으로 분류되면 유럽 시장에 제품을 내놓기 전에 별도의 적합성 평가를 받아야 하고, 출시 뒤에도 편향성과 투명성과 사이버 보안을 포함한 방대한 규제 준수 의무를 계속 짊어져야 합니다. 적합성 평가는 회사 스스로 하는 자체 평가로 끝나지 않는 경우가 많습니다.

위험도가 높은 인공지능 의료제품은 유럽연합이 지정한 독립 심사 기관, 이른바 노티파이드 바디의 별도 심사를 거쳐야 하고, 이 기관이 발급하는 인증서가 없으면 유럽 시장에 제품을 낼 수 없습니다. 그런데 2026년 5월 유럽연합이 이른바 디지털 옴니버스라는 정치적 합의로 이 일정을 손질하면서, 의료기기에 해당하는 고위험 인공지능 시스템의 적용 시점을 원래 예정이던 2027년 8월에서 2028년 8월로 한 해 늦추었습니다. 법이 요구하는 목표는 그대로 두되 기업이 준비할 시간을 벌여 준 조치입니다.

그사이 인공지능이 들어간 의료기기는 기존 의료기기규정과 체외진단기기규정의 틀 안에서 먼저 인증을 받고, 인공지능법의 고위험 의무는 유예 기간이 끝난 뒤에 겹쳐서 적용받는 구조로 운영되고 있습니다. 법 하나가 아니라 두 개의 법이 같은 제품을 순차적으로, 때로는 동시에 규율하는 이중 구조인 셈이어서, 제약회사의 법무팀과 인허가팀은 두 일정표를 나란히 놓고 대응 전략을 짜야 하는 처지에 놓여 있습니다.

유럽의약품청은 2023년 7월 성찰 문서 초안을 먼저 내놓아 의견을 수렴한 뒤, 2024년 9월 의약품 수명 주기 전반에 걸친 인공지능 사용을 다루는 성찰 문서를 최종 채택했습니다. 이 문서는 거대 언어 모델이 규제 문서를 작성하거나 임상 데이터를 요약할 때, 겉보기에는 그럴듯하지만 실제로는 존재하지 않는 사실을 지어내는 환각 현상을 구체적으로 경고했습니다.

사람이 보기에 매끄러운 문장일수록 검증 없이 그대로 믿어 버릴 위험이 크다는 지적이었습니다. 그래서 이 문서는 어떤 인공지능의 판단이든 마지막 책임은 반드시 사람이 지도록 못 박았습니다. 인공지능이 아무리 정교한 초안을 내놓아도, 그 초안을 검토하고 서명하는 사람이 없다면 규제 문서로 성립하지 않는다는 뜻입니다.

규제 프레임워크가 아무리 촘촘해도 그 밑을 받치는 데이터 자체가 한쪽으로 쏠려 있다면 소용이 없습니다. 인공지능 모델을 훈련하는 유전체 정보와 임상 기록은 서구권 몇몇 나라, 그 중에서도 특정 인종과 특정 소득 계층에 몰려 있는 경우가 많습니다. 이런 데이터로 학습한 모델을 다른 인종이나 다른 유전적 배경을 가진 환자에게 그대로 적용하면, 엉뚱한 부작용을 놓치거나 복용량을 잘못 권하는 오류로 이어질 위험이 커집니다.

유럽의 일반개인정보보호법이나 미국의 건강보험통상책임법처럼 환자 정보를 두껍게 보호하는 법과 부딪히지 않으면서 여러 나라의 데이터를 함께 쓰는 방법으로, 원본 데이터는 병원 서버에 그대로 두고 학습한 결과값만 주고받는 연합 학습 기술이 주목받고 있습니다. 다만 나라마다 전산 시스템이 제각각이고 계산 비용도 만만치 않아, 이 기술이 실제 규제 문서에 표준으로 정착하기까지는 시간이 더 필요할 것으로 보입니다.

전통적인 소프트웨어를 검증하는 방식과 인공지능을 검증하는 방식은 근본적으로 다릅니다. 계산기 프로그램은 같은 숫자를 넣으면 언제나 같은 답이 나오기 때문에, 한 번 옳다고 확인하면 그 뒤로는 다시 시험할 필요가 크지 않습니다. 그러나 인공지능은 새로운 데이터를 만나 스스로 가중치를 조금씩 바꾸는 소프트웨어이기 때문에, 어제 옳았던 판단이 오늘도 그대로 옳다는 보장이 없습니다.

그래서 규제 당국은 인공지능을 한 번 통과시키고 끝내는 시험이 아니라, 제품이 시장에 남아 있는 내내 되풀이해서 확인하는 살아 있는 감시 대상으로 다룹니다. 자동차를 처음 살 때 한 번 검사받고 마는 것이 아니라 해마다 정기 검사를 받아야 하는 것과 닮은 구조입니다.

수천만 개의 매개변수로 이루어진 인공지능 모델이 특정 화합물을 독성 물질로 지목했을 때, 그 판단의 인과 관계를 사람이 풀어서 설명하지 못한다면 예측이 아무리 잘 들어맞아도 규제 승인의 문턱을 넘을 수 없습니다. 왜 정확도만으로 부족한지를 기술적으로 풀어내는 작업이 검증과 확인, 곧 V&V라 부르는 분야입니다. 산업계는 샐플리 가법 설명(SHAP)이라 부르는 기법과 라임(LIME)이라 부르는 기법을 자주 함께 씁니다.

두 기법 모두 인공지능이 내린 하나의 판단을 두고, 그 판단에 입력값 하나하나가 얼마나 영향을 미쳤는지 거꾸로 계산해 사람이 읽을 수 있는 숫자와 그림으로 보여 줍니다. 블랙박스 안을 들여다볼 수는 없어도, 블랙박스가 어떤 입력에 얼마나 무게를 실었는지는 짚어낼 수 있게 하는 셈입니다. 여기에 더해 미국 기계공학회가 의료 분야에 맞게 만든 V&V 40 원칙과, 의료정보학 분야에서 오래전부터 쓰여 온 평가 보고 지침인 STARE-HI 체크리스트가 함께

동원됩니다.

모델의 예측이 실제 인체 안에서 벌어지는 현상과 얼마나 들어맞는지 교차 검증하고, 그 검증 과정 자체를 다른 연구자가 그대로 따라 할 수 있을 만큼 자세히 기록해 두는 일이 핵심입니다. 시험 답안을 채점할 때 정답표만 보지 않고 채점 기준표를 함께 공개해 누구나 같은 기준으로 다시 채점할 수 있게 하는 것과 같은 이치입니다.

의약품 제조 공정에 인공지능과 디지털 트윈이 들어오면서, 품질을 설계 단계부터 미리 심어 넣는다는 원칙인 QbD와 공정을 실시간으로 들여다보는 공정분석기술 PAT가 인공지능과 맞물리기 시작했습니다. 온도가 미세하게 흔들리거나 불순물이 섞여 드는 순간을 센서와 인공지능이 실시간으로 잡아내고 스스로 제어값을 조정하는 방식입니다. 이때 규제 당국이 맨 먼저 확인하는 것은 그 데이터가 조작되지 않았다는 증거입니다. 국제제약공학회가 2022년 개정한 GAMP 5 2판은 데이터의 정확성과 일관성과 추적 가능성을 뜻하는 ALCOA++ 원칙을 소프트웨어 밸리데이션 실무에 촘촘히 새겨 넣었습니다.

누가 언제 그 데이터를 만들었는지 알아볼 수 있어야 하고, 읽을 수 있어야 하며, 실제 일이 벌어진 바로 그 순간에 기록되어야 하고, 원본 그대로 보존되어야 하며, 정확하고 빠짐없이 남아 있어야 한다는 요구가 그 안에 담겨 있습니다. 훈련에 쓴 데이터와 성능을 확인하는 데 쓴 데이터를 물리적으로 분리해 두었는지, 모델이 시험 문제를 미리 외워서 푼 것처럼 답을 맞히는 과적합은 없었는지를 감사 기록으로 남겨 두어야 합니다. 요리사가 레시피대로 요리했다는 주장만으로는 부족하고, 재료를 산 영수증과 조리 과정을 찍은 사진까지 함께 보관해 두어야 인정받는 것과 다르지 않습니다.

이 감사 흔적을 촘촘히 남기는 습관이 우수 기계학습 관행을 서류가 아니라 공장 바닥에서 실천하는 방법이며, 동시에 의약품 품질 관리 부서의 실질적인 경쟁력으로 이어집니다.

인공지능이 스스로 지식 그래프를 뒤져 이제까지 없던 분자 구조를 그려 냈을 때, 그 결과물의 특허권을 누구에게 줄 것인지도 아직 국제적으로 정리되지 않은 물음입니다. 특허 제도는 원래 사람의 창작 행위를 전제로 설계되었기 때문에, 사람의 개입이 거의 없이 알고리즘 혼자 찾아낸 발명을 어느 나라 특허청도 선뜻 같은 잣대로 재단하지 못하고 있습니다. 발명자 칸에 사람 이름을 적을 수 없는 발명을 인정할 것인지, 인정한다면 그 권리를 프로그램을 만든 회사에 줄 것인지 아니면 데이터를 제공한 기관에 나눠 줄 것인지를 두고 나라마다 다른 판단이 나오고 있습니다.

사고가 실제로 났을 때 누가 책임지느냐는 물음도 남아 있습니다. 인공지능이 분석한 합성 대조군 데이터나 안전성 예측 결과를 근거로 규제 당국이 신약을 허가했는데, 시판 후 예상하지 못한 환자 사망 사고가 일어났다고 가정해 보겠습니다. 이 경우 책임을 인공지능을 만든 소프트웨어 회사가 져야 하는지, 데이터를 제공한 병원이 져야 하는지, 최종 처방을 내린 의사가 져야 하는지, 아니면 서류를 검토하고 승인 도장을 찍은 규제 당국이 져야 하는지를 가를 뚜렷한 기준이 아직 어느 나라에도 없습니다.

자동차 자율주행 사고에서 운전자와 제조사와 소프트웨어 업체 사이의 책임을 가르는 논쟁이 이미 벌어지고 있는 것처럼, 신약 개발의 인공지능도 조만간 법정에서 같은 물음과 마주치게 될 것으로 보입니다.

이 분야에서 일하는 사람의 구성도 달라지고 있습니다. 예전에는 화학자와 의사와 통계학자가 신약 허가 서류를 채웠다면, 지금은 데이터과학자와 소프트웨어 검증 전문가와 규제 변호사가 같은 회의실에 둘러앉았습니다. 인공지능 모델의 위험 등급을 매기고 책임 소재를 가리는 일은 결국 법률 언어로 정리되어야 규제 당국에 제출할 서류가 완성되기 때문입니다. 기술을 아는 사람과 법을 아는 사람이 서로의 언어를 배우지 않으면 서류 한 건도 제대로 완성하지 못하는 시대가 되었습니다.

신약이 시장에 나온 뒤에는 인공지능의 역할이 시판 후 안전성 감시, 곧 파마코비질런스 영역으로 넘어갑니다. 예전에는 의사와 환자가 부작용을 자발적으로 신고해야만 문제를 알 수 있었기 때문에, 드물게 나타나는 위험한 약물 상호작용은 한참 늦게서야 발견되는 일이 잦았습니다. 지금은 자연어 처리 기술이 전자의무기록과 소셜미디어 게시물과 방대한 임상 문헌을 실시간으로 훑으며 사람의 눈으로는 놓치기 쉬운 미세한 신호를 조기에 잡아냅니다. 병원 진료와 일상생활에서 그대로 쌓이는 이런 자료를 실사용 데이터라 부릅니다.

식품의약품이 구축한 정보시각화플랫폼 InfoViP와 Sentinel 시스템은 이 실사용 데이터를 심사관이 한눈에 살펴볼 수 있도록 그림으로 바꿔 주는 인프라입니다. Sentinel 시스템은 2024년 1월 자연어 처리 기능을 더한 3.0 버전으로 개편되었고, 지금까지 250건이 넘는 안전성 분석을 수행했습니다. 국제의학기구협의회(CIOMS)는 인공지능과 시판 후 감시를 다루는 제14차 작업반 보고서를 2025년 12월 4일 최종 확정해 발표했습니다. 이 보고서는 위험 기반 접근, 사람의 감독, 모델의 견고함, 투명성, 데이터 프라이버시, 공정성, 거버넌스라는 일곱 원칙을 뼈대로 삼아, 인공지능이 희귀 부작용을 정밀하게 골라내고 중복 보고서를 자동으로 걸러내며 환자의 개인정보를 자동으로 가려내는 실무에서 어디까지 믿을 수 있는

지를 구체적으로 정리했습니다.

시판 뒤에 관찰된 안전성 정보가 다시 초기 개발 단계의 인공지능 훈련 데이터로 돌아가 반영되는 순환 구조가 이렇게 완성되어 가고 있습니다.

2025년 1월 24일 한국에서는 디지털의료제품법이 본격 시행되면서, 인공지능과 로봇과 가상현실 기술이 들어간 첨단 디지털의료제품을 별도의 범주로 묶어 허가부터 시판 후 관리까지 한 틀 안에서 다루는 법적 근거가 처음으로 마련되었습니다. 같은 날 식품의약품안전처는 세계 처음으로 생성형 인공지능 의료기기 허가·심사 가이드라인을 제정해 발간했습니다. 학계와 의료 현장과 산업계 전문가로 이루어진 협의체를 꾸려 생성형 인공지능 의료기기가 개발부터 허가과 시판 후 관리에 이르기까지 어떤 위험 요인을 안고 있는지 미리 짚어본 결과물이었습니다.

이 흐름은 2026년에도 이어졌습니다. 식약처는 2026년 6월 30일 거대 언어 모델(LLM)을 기반으로 한 디지털의료기기의 허가과 심사 기준을 담은 민원인 안내서를 새로 내놓았고, 인공지능 기술이 적용된 디지털의료기기의 특성을 반영한 변경관리계획서 허가·심사 가이드라인도 함께 정비했습니다. 허가 이후 예상되는 변경 사항을 미리 승인받아 두면 그때마다 다시 허가과 심사를 거치지 않고 제품에 곧바로 반영할 수 있도록 길을 터 준 조치로, 미국의 사전특정변경관리계획과 뼈대가 닮았습니다.

식약처는 2026년부터 2030년까지 다섯 해 동안 347억 원을 들여 인공지능 신약개발과 첨단바이오와 디지털 의료기기 분야를 아우르는 규제과학 전문 인력 1,100명을 키우겠다는 계획도 밝혔습니다. 이 예산은 학위과정과 비학위과정을 아우르는 열 개 수행기관을 거쳐 나뉘어 집행됩니다. 심사관이 인공지능 모델의 작동 원리를 이해하지 못하면 아무리 정교한 지침을 만들어도 실제 심사대에서는 쓸모를 잃는다는 판단이 이 투자의 밑바탕에 깔려 있는 것으로 보입니다. 미국과 유럽이 법과 지침으로 기준을 세우는 사이, 한국은 그 기준을 실제로 다룰 사람을 기르는 데 예산을 쏟고 있는 셈입니다.

이런 흐름은 한국 제약회사와 바이오벤처에도 실무적인 숙제를 던집니다. 미국 식품의약국에 신약을 신청하려면 미국의 신뢰성 평가체계를 따라야 하고, 유럽에 진출하려면 인공지능 법의 고위험 분류와 성찰 문서의 원칙을 함께 충족해야 하며, 국내에서는 디지털의료제품법과 식약처 가이드라인을 따라야 합니다. 세 지역의 규정이 요구하는 문서의 형식과 용어는 조금씩 다르지만, 밑바탕에 깔린 물음은 결국 하나로 통합니다. 국내 기업이 개발 초기부터

국제 기준에 맞춰 검증 자료를 쌓아 두면, 이후 여러 나라에 동시에 신청서를 낼 때 같은 자료를 되풀이해서 만드는 수고를 크게 줄일 수 있습니다.

국제조화회의(ICH)는 2026년 1월 29일 모델 기반 신약개발의 일반 원칙을 다루는 새 지침 M15를 최종 채택했습니다. 인공지능을 포함한 계산 모델이 임상시험 설계와 용량 결정에 쓰일 때 각국 규제 당국이 공통으로 참고할 수 있는 언어를 만든 작업입니다. 아직 인공지능만을 따로 떼어 다루는 독립된 국제조화회의 지침은 없지만, 2025년 7월 23일부터 발효된 임상시험 설계 원칙인 ICH E6(R3)와 함께 놓고 보면 여러 지침이 한 방향으로 맞물려 가고 있다는 것을 알 수 있습니다.

미국의 현대화법과 신뢰성 평가체계, 유럽의 인공지능법과 성찰 문서, 국제기구의 우수 기계학습 관행과 시판 후 감시 원칙, 그리고 한국 식약처의 법과 인력 양성 계획은 저마다 다른 문서 이름을 달고 있지만 요구하는 핵심은 하나로 모입니다. 인공지능이 내놓은 답이 옳은지를 넘어, 그 답에 이르는 과정을 사람이 검증하고 책임질 수 있어야 한다는 원칙입니다. 법률가의 눈으로 보면 이는 낮은 요구가 아닙니다. 증거의 신빙성을 따지고 판단의 근거를 기록에 남기도록 요구해 온 법정의 오랜 관행이, 이제 실험실과 공장과 병원의 데이터 파이프라인 안으로 옮겨 가고 있을 뿐입니다.

다만 법정의 관행과 다른 점도 있습니다. 법정은 이미 벌어진 사건을 놓고 사후에 시비를 가리지만, 신약 규제는 사고가 나기 전에 검증 절차를 촘촘히 세워 두어야 하는 사전 예방의 영역입니다. 인공지능이 내놓은 결과를 사람이 얼마나 이해하고 책임질 수 있는가 하는 물음은, 앞으로도 신약 개발의 매 단계마다 되풀이해서 던져질 것으로 보입니다.

책임 소재를 가릴 기준이 아직 없다는 공백을 메우려는 움직임은 유럽에서 먼저 나타났습니다. 유럽연합은 2024년 11월 제조물책임지침을 개정해 공포했고, 소프트웨어와 인공지능 시스템도 유형의 물건과 똑같이 제조물로 보아 엄격 책임을 지우기로 했습니다. 회원국은 2026년 12월 9일까지 이 지침을 국내법으로 옮겨야 하고, 피해를 입은 환자는 개발사의 과실을 따로 증명하지 않아도 손해배상을 청구할 길이 넓어졌습니다. 다만 그 시점의 기술 수준으로는 결함을 알아낼 수 없었다는 개발위험 항변은 소프트웨어에도 함께 적용되므로, 인공지능 개발사가 책임을 면할 길도 새로 열렸습니다.

한국의 제조물책임법은 아직 소프트웨어를 제조물 범위에 명시적으로 넣지 않고 있어서, 인공지능이 설계한 신약에서 사고가 나더라도 소프트웨어 자체를 상대로 한 책임 추궁은 법정

에서 다툼의 여지가 큰 상태로 남아 있습니다. 국내 입법이 유럽의 속도를 따라가지 못하면 같은 사고를 당한 한국 환자가 더 무거운 증명 부담을 지는 처지에 놓일 가능성이 큼니다.

심사관이 인공지능을 검증할 역량을 갖추었느냐는 물음에는 인력 통계가 더 차가운 답을 내놓습니다. 미국 보건복지부는 2025년 4월 1일 식품의약국 직원 3,500명을 한꺼번에 내보냈고, 남은 심사관들이 동료가 맡던 업무까지 떠안았다는 보도가 뒤따랐습니다. 위험 기반 신뢰성 평가체계를 발표한 지 석 달도 지나지 않은 시점이었습니다. 식품의약국은 그 격차를 메우려는 듯 2025년 12월 1일 전 직원이 쓸 수 있는 에이전틱 인공지능을 새로 배치했고, 이 도구는 사전 심사와 심사 결과 검증과 시판 후 감시 업무까지 나누어 맡을 수 있게 되었습니다.

부족한 심사 인력을 인공지능으로 채우는 방식은, 인공지능의 판단을 사람이 검증해야 한다는 원칙과 어긋나 보입니다. 식약처의 사정도 넉넉하지 않습니다. 2025년 11월 기준 식약처의 의료제품 심사 인력은 369명으로, 미국 식품의약국 심사 인력 9천 명, 유럽의약품청 5,500명, 일본 의약품의료기기종합기구 1,300명과 견주면 자릿수부터 다릅니다. 식약처는 행정안전부와 협의해 심사관 295명을 추가로 채용하는 방안을 논의하고 있지만, 채용 정보를 알리는 홈페이지가 2021년부터 멈춰 있다는 지적이 나올 만큼 준비는 아직 더딘 상태입니다.

인력 양성 예산을 아무리 늘려도 심사대 앞에 앉을 사람 자체가 이렇게 적다면, 인공지능 모델 하나하나를 촘촘히 들여다볼 여유는 나라마다 크게 다를 것으로 보이고, 검증이 허술한 나라부터 먼저 신청서를 내는 전략을 택하는 기업도 나올 것으로 보입니다.

AI 신약개발의 규제 프레임워크와 품질 관리 거버넌스

5.1 AI 신약개발의 규제 프레임워크와 품질 관리 거버넌스

AI 모델의 투명성과 검증(V&V)은 규제 기관의 필수 요건이 되며, 새로운 규제 과학(Regulatory Science)의 시대를 엽니다.

- 미국 FDA 가이드라인(SaMD, MMF), EU AI Act 등 데이터 기반 혁신 의료기기 및 모델에 대한 글로벌 규제 기준이 확립되고 있습니다.
- 우수 기계학습 관행(GMLP) 준수와 철저한 시판 후 안전성 감시(Pharmacovigilance)가 의약품 품질 관리(QbD/PAT)의 핵심 경쟁력이 됩니다.

규제 대응 체크리스트

☐ FDA Modernization Act 2.0 대응 전략☐ 모델 투명성 확보 및 검증(Verification & Validation) 프로세스

5.2

데이터 윤리, 알고리즘 형평성 및 연합 학습 생태계

2024년 7월, 서울의 한국제약바이오협회 사무실에 열 곳이 넘는 제약회사와 대학 연구팀 담당자들이 모여들었습니다. 사업 이름은 K-MELLODDY, 2028년 12월까지 이어지는 5년 짜리 국책 과제로, 보건복지부와 과학기술정보통신부가 348억 원을 투입해 연합 학습 기반 신약개발을 앞당기겠다는 계획이었습니다. 회의실 공기는 묘했습니다. 탁자 위에는 각 기관의 이름표가 놓여 있었지만, 노트북 화면에는 서로에게 보여 줄 공유 화면이 단 하나도 띄워져 있지 않았습니다.

경쟁 관계에 있는 제약사 연구자들이 한곳에 모였지만, 누구도 자기 회사의 화합물 데이터를 경쟁사에 넘겨줄 생각은 없었습니다. 그런데도 이들은 함께 인공지능 모델을 훈련시키기 위해 손을 잡았습니다. 데이터를 단 한 줄도 주고받지 않은 채로 말입니다. 이 모순처럼 들리는 약속이 실제로 작동하는 이유를 이해하려면, 신약개발 인공지능이 지금 맞닥뜨린 근본적인 딜레마부터 들여다볼 차례입니다.

정밀 의료를 이루려면 수백만 명의 유전체와 진료 기록을 모아야 합니다. 한 병원, 한 제약사가 가진 환자 수만으로는 희귀 질환의 패턴을 읽어낼 수 없습니다. 그러나 환자의 유전 정보와 진료 기록을 한곳에 모으는 순간, 그 데이터베이스는 해킹과 유출의 표적이 됩니다. 미국은 HIPAA(건강보험 이전과 책임에 관한 법)로, 유럽연합은 GDPR(일반 개인정보 보호규정)로 환자 정보의 국경 간 이동과 외부 반출을 엄격히 막아 놓았습니다.

제약사 입장에서는 좋은 인공지능 모델을 만들 데이터가 병원 담장 너머에 있는데, 법은 그 담장을 넘지 말라고 합니다. 이 교착 상태를 풀지 못하면 인공지능 신약개발은 소수의 대형 제약사가 자체 보유한 데이터로만 몸집을 불리는 닫힌 게임에 머무르고 맵니다.

이 교착 상태를 뚫어낸 기술이 연합 학습(Federated Learning)입니다. 초등학생도 알 수 있게 풀어보면 이렇습니다. 같은 반 친구 열 명이 시험공부를 하는데, 각자 자기 공책은 절대 남에게 보여주지 않기로 약속했습니다. 대신 매일 저녁 자기가 푼 문제와 정답을 맞춰 본 뒤, 어떤 풀이 요령이 점수를 더 잘 올려주는지만 서로 알려줍니다. 열흘이 지나면 열 명 모두 상대방의 공책 내용은 한 글자도 못 봤지만, 각자의 성적은 혼자 공부했을 때보다 올라가 있

습니다.

연합 학습도 이와 같습니다. 병원과 제약사는 환자 데이터를 담은 공책을 자기 서버 밖으로 절대 내보내지 않습니다. 대신 인공지능이 그 공책을 보고 조금씩 똑똑해진 결과, 곧 숫자로 이루어진 모델의 가중치만 암호화해서 중앙 서버로 보냅니다. 중앙 서버는 여러 기관에서 온 가중치를 하나로 합쳐 더 똑똑해진 모델을 각 기관에 돌려줍니다. 이렇게 여러 기관의 가중치를 평균 내어 하나로 합치는 절차를 연합평균(Federated Averaging)이라고 부릅니다.

이 가중치 교환 방식은 이론만으로 안전을 보장하지는 않습니다. 가중치 자체에서 원본 데이터를 거꾸로 추정해 내려는 공격이 가능하기 때문입니다. 그래서 최근 연구자들은 가중치를 중앙으로 보내기 전에 일부러 미세한 잡음을 섞어 넣는 차등 정보보호(Differential Privacy) 기술과, 여러 기관이 계산 결과만 맞춰 보고 서로의 입력값은 들여다보지 못하게 막는 안전 다자간 계산 기술을 함께 붙이고 있습니다.

2026년 발표된 PrivMol 연구는 분자 특성을 예측하는 그래프 인공지능 모델에 이 두 기술을 결합해, 예측 정확도를 크게 떨어뜨리지 않으면서도 원본 데이터가 새어 나갈 위험을 낮추는 결과를 보여주었습니다. 자물쇠를 하나만 채우지 않고 이중, 삼중으로 채우는 방식과 같습니다.

연합 학습이 신약개발 현장에서 실제로 통한다는 사실을 처음 증명한 프로젝트는 유럽의 MELLODDY였습니다. 유럽 혁신의약이니셔티브(IMI2)와 유럽제약산업협회(EFPIA)가 1800만 유로를 공동으로 대며 2019년부터 3년간 이끈 이 프로젝트에는 글로벌 제약사 열 곳과 기술·학술 기관 일곱 곳이 참여했습니다. 이들이 함께 학습에 쓴 데이터는 26억 개가 넘는 실험 활성 값, 2100만 개가 넘는 화합물, 4만 개가 넘는 생물학적 검사 결과였습니다. 어느 회사도 자기 화합물 목록을 경쟁사에 보여주지 않았습니다.

그런데도 연합 학습으로 만든 공동 모델은 각 회사가 자기 데이터만으로 만든 모델보다 예측 성능이 평균 5.5퍼센트, 많게는 9.7퍼센트까지 좋아졌습니다. 서로 다른 냉장고에 각자 다른 재료를 넣어 두고도, 레시피 하나를 함께 다듬어 모두의 요리 맛을 끌어올린 셈입니다. 이 개선 폭은 실험실에서 화합물을 직접 합성해 보지 않고도 걸러 낼 수 있는 실패작이 그만큼 늘었다는 뜻이어서, 신약개발 초기 단계의 시간과 비용을 함께 줄여 줍니다.

같은 발상이 한국에서는 K-MELLODDY라는 이름으로 다시 태어났습니다. 한국제약바이오 협회가 2024년 7월에 닛을 올린 이 사업은 연합 학습 플랫폼을 만드는 과제, 병원과 제약사의 데이터를 모아 공급하는 과제, 그 데이터로 인공지능 모델을 훈련시키는 과제, 이렇게 세 가지 축으로 짜여 있습니다. 사업단이 내놓으려는 결과물은 FAM(Federated ADMET Model)이라는 예측 모델입니다. ADMET란 어떤 화합물이 몸에 들어갔을 때 얼마나 잘 흡수되고, 어떻게 퍼지고, 어떻게 분해되고, 얼마나 독성을 일으키는지를 한데 묶어 부르는 말입니다.

2025년에는 고려대, 숭실대, 한국과학기술원, LG화학 등 여러 기관이 새로운 세부 과제 다섯 건을 새로 맡아 착수했습니다. 국내 중견 제약사와 바이오벤처 입장에서는 데이터를 사들일 자본이 부족한 경우가 많아, 소유권은 각자 지키면서도 함께 학습할 수 있는 이 방식이 매력적이라는 평가를 받습니다.

제약사 사이의 협력을 넘어, 병원과 병원을 잇는 연합 학습도 빠르게 늘고 있습니다. 희귀 질환은 한 나라, 한 병원에 모이는 환자 수가 워낙 적어서 인공지능이 패턴을 배울 표본 자체가 부족합니다. 이를테면 종양 영상이나 병리 사진을 다루는 다국적 병원 컨소시엄에서는, 여러 나라의 병원이 저마다 자기 환자의 영상을 자기 서버 안에 그대로 둔 채 종양을 구분해 내는 모델의 가중치만 주고받습니다.

어느 병원도 환자 신원이 드러나는 원본 영상을 다른 병원에 보내지 않으면서도, 모델은 한 병원 데이터만으로는 다다르지 못했을 정확도에 이릅니다. 이런 협력이 가능한 것은 원본 데이터가 물리적으로 국경을 넘지 않기 때문입니다.

연합 학습이 지켜내는 값어치와 설명 가능한 인공지능이 지켜내는 값어치는 저울 양쪽 접시에 놓인 두 개의 추와 같습니다. 한쪽 접시에는 보안성이라는 추가 있습니다. 원본 데이터를 원래 있던 곳에서 한 발짝도 움직이지 않고 지식만 오가게 하는 연합 학습이 이 접시를 눌러 줍니다. 다른 쪽 접시에는 신뢰성이라는 추가 있습니다. 인공지능이 왜 그런 판단을 내렸는지 사람이 알아볼 수 있게 설명해 주는 XAI(eXplainable AI, 설명 가능한 인공지능)가 이 접시를 눌러 줍니다.

어느 한쪽만 무거워지면 저울대는 기울어집니다. 데이터는 안전하게 지켰지만 모델이 왜 그런 결론에 이르렀는지 아무도 설명하지 못한다면 의사도 환자도 그 결과를 믿고 쓸 수 없습니다. 반대로 설명은 완벽한데 그 설명을 만들어 낸 데이터 자체가 유출 위험에 노출돼 있다

면, 그 인공지능은 애초에 병원 문턱을 넘을 수 없습니다.

그러나 데이터를 안전하게 모았다고 해서 그 데이터 자체가 공정하다는 보장은 없습니다. 전 세계에 흩어져 있는 임상시험과 유전체 데이터베이스 다수는 WEIRD, 곧 서구의 교육받고 산업화된 부유한 민주주의 국가 인구에 쏠려 있습니다. 2025년 중반 기준으로 인간 유전체 전장 연관 분석(GWAS)에 참여한 사람 가운데 유럽계 조상을 가진 인구의 비율은 90.53 퍼센트에 이릅니다. 아프리카계 조상 인구의 비중은 지난 십 년 동안 거의 늘지 않았습니다.

2009년 이후 15년 넘도록 유럽계 중심 연구의 비율은 5퍼센트포인트 남짓 줄어드는 데 그쳤습니다. 북미와 유럽 백인 환자 데이터로만 훈련한 나노입자 약물 전달 모델이나 종양 표적 예측 모델을 유전적, 생활 습관적 배경이 전혀 다른 아시아나 아프리카, 남아메리카 환자에게 그대로 적용하면 예측 성능이 뚝 떨어지고 예상치 못한 독성 부작용이 나타날 위험이 커집니다.

피부암을 찾아내는 인공지능 진단 도구 여러 개는 밝은 피부색 환자의 사진 위주로 학습된 탓에, 어두운 피부색 환자에게는 진단 정확도가 뚝 떨어졌습니다. 인공지능 소프트웨어만의 문제도 아닙니다. 코로나19 대유행 시기에 널리 쓰인 맥박산소측정기도 피부색이 어두운 환자의 혈중 산소포화도를 실제보다 높게 재는 오차를 보여, 미국 식품의약국이 별도의 안전성 경고를 낸 적이 있습니다. 세균성 질염을 진단하는 어느 인공지능 도구는 백인 여성에게서 정확도가 높았던 반면, 아시아 여성에게서는 정확도가 뚝 떨어졌고, 히스패닉 여성에게는 병이 없는데도 있다고 잘못 판정하는 위양성이 유독 많이 나왔습니다.

미국의 한 대형 보험사가 쓰던 위험도 예측 알고리즘은 흑인 환자를 건강 관리 프로그램에서 체계적으로 밀어냈습니다. 의료비 지출액을 건강 위험의 대리 지표로 삼았는데, 흑인 환자는 같은 병이 있어도 의료 접근성이 낮아 지출액 자체가 적었기 때문입니다. 알고리즘은 인종을 직접 들여다보지 않고도 인종에 따른 차별을 그대로 베껴 냈습니다. 기술적으로는 편향된 패턴에 일부러 맞서도록 모델을 훈련시키는 적대적 학습 기법도 편향을 줄이는 방법으로 함께 쓰이고 있습니다.

데이터 형평성을 수치로 드러낸 연구도 있습니다. 기계학습 모델의 건강 형평성을 재는 HEAL 프레임워크로 어느 피부질환 진단 모델을 뜯어본 결과, 성별에 따른 하위 집단에서는 형평성 점수가 92.1퍼센트로 우수했지만, 암이 아닌 피부질환을 앓는 고령 환자 집단에서는 점수가 0.0퍼센트까지 떨어졌습니다. 같은 모델 안에서 어떤 환자는 정교하게 진단받고,

어떤 환자는 사실상 방치되고 있었다는 뜻입니다. 훈련 데이터의 균형이 깨졌을 때 벌어지는 또 다른 함정은 지름길 학습입니다.

건강한 사람 표본이 80퍼센트, 질환자 표본이 20퍼센트인 데이터로 모델을 훈련시키면, 모델은 모든 입력값을 무조건 건강하다고 찍어 버리는 것만으로도 80퍼센트라는 그럴듯한 정확도를 얻어 냅니다. 실제로는 병을 하나도 찾아내지 못하는 모델인데 숫자만 보면 우수해 보이는 착시가 생겨납니다. 이 함정에 빠지면 희귀 질환자나 유색 인종처럼 데이터가 적은 환자일수록 오진과 부적절한 처방의 위험을 고스란히 떠안습니다.

미국 식품의약국(FDA)과 유럽의약품청(EMA)은 임상시험을 설계하는 단계에서부터 소수 인종과 다양한 연령대, 사회경제적 소외 계층을 의도적으로 포함하도록 요구하는 다양성 실행 계획을 임상시험 프로토콜에 못 박아 두었습니다. 미국 식품의약국은 2025년 8월, 인공지능이 들어간 의료기기 소프트웨어를 시판 전부터 시판 뒤까지 어떻게 관리할지 정한 지침을 내놓았습니다. 이 지침은 훈련 데이터의 대표성과 편향 관리, 사이버 보안, 시판 뒤 성능 감시를 요구하면서, 미리 정해 둔 범위 안에서는 새로 허가받지 않고도 알고리즘을 고쳐 나갈 수 있게 하는 사전결정변경계획(PCCP)이라는 제도를 뿌리내리게 했습니다.

2026년에는 임상 의사결정지원 소프트웨어에 관한 별도 지침도 나왔습니다. 데이터의 양을 늘리는 데서 그치지 않고 인구 구성을 실제로 대표하는 고품질 데이터를 골라 담아야 한다는 원칙은, 이제 문서 몇 장의 권고를 넘어 신약 허가 심사의 실무 기준이 되어 가고 있는 것으로 보입니다.

데이터 쏠림을 뿌리에서 고치려는 시도도 함께 진행되고 있습니다. 그동안 인간 유전체 연구는 특정 인구 집단 한 명의 유전체를 표준 참조 서열로 삼아, 다른 모든 사람의 유전체를 그 서열과 견주는 방식에 의존해 왔습니다. 이 단일 참조 서열은 애초에 인류의 다양성을 반영하도록 설계되지 않았기 때문에, 표준에서 벗어난 유전 변이가 많은 인구 집단일수록 진단과 치료 예측에서 불리해졌습니다.

최근에는 여러 인구 집단의 유전체를 겹쳐 그리는 판게놈(pangenome) 참조 지도가 이 한계를 보완할 대안으로 떠올랐습니다. 종전 연구에서 소외됐던 인구 집단의 표본을 판게놈 지도에 넉넉히 담으면, 인공지능 모델이 애초부터 더 고른 데이터를 학습 재료로 삼을 수 있습니다.

데이터의 쓸림을 바로잡았다 해도, 딥러닝 모델 안에는 넘어야 할 벽이 하나 더 있습니다. 블랙박스 문제입니다. 수천만 개에서 수십억 개에 이르는 매개변수로 얽힌 신경망은 어떤 화합물이 간에 해롭다거나 항암 표적으로 유망하다는 결론을 순식간에 내놓습니다. 그러나 정작 그 결론에 어떤 경로로 이르렀는지는 설계한 연구자조차 설명하지 못하는 경우가 많습니다. 뚜껑을 열 수 없는 상자에 화합물 정보를 넣으면 답만 튀어나오는 것과 같습니다.

상자 속에서 어떤 계산이 오갔는지는 아무도 볼 수 없습니다. 환자의 목숨이 걸린 약물 승인 심사에서 이런 불투명성은 그대로 받아들여지기 어렵습니다. 의사가 처방하고 규제 당국이 승인 도장을 찍으려면, 예측 확률이라는 숫자 하나만으로는 부족하고 그 뒤에 놓인 판단 과정을 들여다볼 수 있어야 하기 때문입니다.

이 블랙박스를 열어 보려는 시도가 설명 가능한 인공지능, 곧 XAI입니다. SHAP나 LIME처럼 인공지능의 결론을 거꾸로 되짚는 기법은 화합물의 어떤 화학 구조나 단백질의 어떤 서열이 결합력이나 독성 예측에 얼마나 기여했는지를 색깔이나 숫자로 눈에 보이게 그려 냅니다. 완성된 가구만 덩그러니 내놓는 대신, 어떤 나사를 어디에 몇 개 박았는지 적힌 조립 설명서를 함께 건네는 것과 비슷합니다. 의사와 규제 당국자는 이 설명서를 보고서야 그 결론이 우연한 통계적 상관관계가 아니라 실제 생물학적 근거에서 나왔는지를 검증할 수 있습니다.

다만 2026년에 나온 항생제 탐색용 XAI 평가 연구는, 이런 설명 기법들의 성능을 재는 기준 자체가 아직 통일돼 있지 않다는 한계를 짚었습니다. 설명을 내놓는 도구는 늘고 있지만, 그 설명이 얼마나 믿을 만한지 재는 잣대는 아직 다 갖춰지지 않은 셈입니다.

인공지능 예측 모델이 실제 임상 현장에 뿌리내리려면 이런 설명 기법 하나만으로는 부족합니다. 미국 기계공학회가 정한 V&V 40 원칙처럼 계산 모델의 신뢰성을 검증하는 절차와, 사람이 최종 판단을 다시 확인하는 감독 절차가 설계 단계에서부터 함께 짜여 있어야 합니다. 최근에는 CONSORT-AI와 DECIDE-AI처럼, 인공지능 모델의 성능과 훈련 환경, 임상 적용 범위를 문서로 투명하게 남기도록 요구하는 보고 지침도 학계를 중심으로 늘고 있습니다.

그 절차를 건너뛴 채 시장에 나온 인공지능 의료기기는 훗날 감사나 소송 과정에서 근거 자료를 내놓지 못해 발목이 잡히는 경우가 늘고 있습니다. 다만 이런 지침은 아직 학술지 편집 방침에 가까울 뿐, 법으로 강제되는 규범은 아닙니다. 권고와 의무 사이에 놓인 이 틈은, 실제 의료 사고가 벌어졌을 때 법적 책임을 누구에게 물을 것인가라는 물음으로 고스란히 이

어집입니다.

인공지능이 진단과 예측을 넘어 스스로 새로운 화합물을 설계하는 수준에 이르면서 전혀 다른 법적 쟁점이 열렸습니다. 생성형 인공지능은 연구자가 하나하나 지시하지 않아도, 구조와 활성 사이의 관계를 담은 데이터와 단백질 접힘 정보를 스스로 학습해 처음부터 새로운 분자 구조를 설계해 냅니다. 이른바 디노보(de novo) 설계입니다. 인실리코 메디슨이 자체 인공지능 플랫폼으로 설계해 특발성 폐섬유증 치료 후보물질로 임상 2상까지 밀어붙인 사례나, 엑센시아가 설계해 2020년 임상 1상에 들어간 강박장애 치료 후보물질 DSP-1181처럼, 인공지능이 처음부터 끝까지 설계에 참여한 화합물은 이미 여러 건 임상 단계에 들어섰습니다.

이렇게 태어난 분자에 특허를 낼 때 발명자 칸에 누구의 이름을 적어야 하는지가 문제입니다.

이 물음에 정면으로 부딪힌 사건이 있습니다. 미국 발명가 스티븐 테일러는 DABUS라는 인공지능이 스스로 발명을 해냈다고, 사람이 아닌 DABUS를 발명자로 올린 특허를 미국과 유럽, 영국, 한국을 포함한 여러 나라에 냈습니다. 2022년 미국 연방순회항소법원은 테일러 대 비달(Thaler v. Vidal) 사건에서, 미국 특허법이 말하는 발명자는 자연인이어야 한다고 못 박으며 DABUS의 발명자 지위를 인정하지 않았습니다. 2025년 11월 28일에는 미국 특허상표청이 인공지능이 참여한 발명의 발명자 자격을 다루는 새 심사 지침을 내놓으면서, 인공지능은 실험실 기구처럼 정교한 도구일 뿐이고 발명의 핵심인 구상(conception)은 사람만이 할 수 있는 행위라는 원칙을 다시 확인했습니다.

2026년 3월 4일에는 일본 최고재판소마저 테일러의 상고를 기각하면서, 7년을 끈 DABUS의 전 세계 특허 공방이 사실상 막을 내렸습니다. 시간을 거슬러 보면 유럽특허청은 2021년에, 영국 대법원은 2023년 12월 판결에서 이미 같은 결론에 이르렀습니다. 지금까지 미국, 유럽, 영국, 일본을 비롯한 거의 모든 나라의 특허청과 법원은 DABUS를 발명자로 인정하지 않았습니다.

변호사의 눈으로 보면 이 판례들이 말하는 원칙은 명확합니다. 인공지능이 후보물질을 실제로 설계해 냈다 하더라도, 특허 서류의 발명자 칸에는 그 인공지능을 설계하고 다루며 화합물의 가치를 실제로 알아본 연구자의 이름을 적어야 특허를 지킬 수 있다는 것입니다. 문제는 수천억 원을 들여 인공지능 신약개발 플랫폼을 구축한 기업들이 이 원칙을 어떻게 실무

에 옮기느냐입니다. 인공지능이 하룻밤 사이에 수백만 개 후보 분자를 쏟아 낼 때, 연구자가 그중 어느 것에 얼마나 창조적으로 개입했는지를 특허 출원 서류마다 일일이 입증해야 하기 때문입니다.

이 입증에 실패하면 애써 발굴한 화합물이 특허로 보호받지 못한 채 경쟁사에 그대로 노출 될 위험이 있습니다. 반대로 연구자의 기여를 지나치게 부풀려 적으면 훗날 특허 자체가 무효로 뒤집힐 빌미를 스스로 만드는 셈이 됩니다. 이 때문에 일부 기업은 처음부터 특허 대신 영업비밀로 화합물을 보호하는 전략을 택하기도 하지만, 영업비밀은 경쟁사가 독자적으로 같은 화합물을 찾아내면 보호막이 그대로 사라진다는 한계를 안고 있습니다. 이 균형을 잡는 실무는 앞으로 수년간 특허 소송의 핵심 쟁점으로 남을 가능성이 큼니다.

지식재산권을 둘러싼 갈등은 발명자 지위 문제에서 그치지 않습니다. 인공지능이 대형 언어 모델로 전통 의학 고서와 원주민 공동체의 약용 식물 지식을 해독해 새로운 천연물 신약 후보를 찾아내는 연구가 늘면서, 그 지식을 수백 년간 지켜 온 공동체에 어떤 권리를 인정할 것인가 하는 물음이 함께 떠올랐습니다. 2010년 채택된 나고야의정서는 유전자원과 그에 딸린 전통지식을 이용하려는 쪽이 미리 그 지식을 가진 공동체의 동의를 얻고, 이용해서 생긴 이익을 공정하게 나누도록 못 박은 국제 조약입니다.

지금까지 142개국이 이 조약을 비준했고, 130개가 넘는 나라가 저마다 이익 공유 관련 법을 두고 있습니다. 그러나 인공지능이 방대한 전통 지식 문헌을 순식간에 학습해 새로운 화합물을 제안하는 지금, 어느 자료가 어느 공동체에서 나왔는지를 일일이 추적해 이익을 나누는 절차는 아직 제대로 갖춰지지 않았습니다. 남아프리카공화국의 산(San)족과 코이(Khoi)족이 루이보스차 산업계와 맺은 이익 공유 협정은 전통 지식 보유 공동체에 실제로 로열티가 지급된 사례로 자주 인용됩니다.

인공지능이 전통 지식 문헌을 훑어 새로운 화합물 후보를 찾아낼 때도 이만한 수준의 로열티 지급과 출처 표시가 이루어져야 한다는 목소리가 학계에서 커지고 있습니다. 전통 지식을 사유화된 특허로 바꿔 막대한 이익을 얻으려는 유인과, 그 지식을 지켜 온 공동체에 정당한 대가를 돌려주어야 한다는 요구가 정면으로 부딪힙니다.

특허 문제를 넘어서면 더 첨예한 질문이 기다리고 있습니다. 인공지능의 판단으로 환자가 실제로 다쳤을 때, 책임은 누구에게 있는가 하는 질문입니다. 설명 가능한 인공지능으로 검증받고 연합 학습으로 훈련받은 임상 의사결정 지원 시스템이라 해도, 훈련 데이터에 숨어

있던 미세한 편향 때문에 특정 환자군에게 안전하지 않은 약물을 안전하다고 잘못 추천할 수 있습니다. 가령 특정 유전형을 가진 환자 집단에게만 나타나는 부작용을 훈련 데이터가 충분히 담지 못했다면, 인공지능은 그 위험을 예측하지 못한 채 안전하다는 판정을 내놓을 수 있습니다.

이때 책임이 신경망을 설계한 정보기술 기업에 있는지, 데이터를 제공한 병원에 있는지, 그 추천을 믿고 처방한 의사에게 있는지, 아니면 허가 도장을 찍은 규제 당국에 있는지를 가려 낼 확고한 법 체계는 아직 세계 어디에도 완비돼 있지 않습니다.

유럽연합은 이 공백을 메우려고 별도의 인공지능 책임 지침을 준비했지만, 2025년 2월 이 지침 초안을 거두겠다고 밝힌 뒤 그해 10월 관보 게재로 철회를 확정했고, 인공지능 관련 사고는 개정된 제조물책임지침 안에서 다루기로 방향을 바꾸었습니다. 유럽연합 인공지능법 자체는 2024년 8월 1일 발효했고, 2025년 8월부터는 범용 인공지능 모델을 만드는 쪽에 과징금까지 매길 수 있게 됐습니다. 의료기기를 포함한 고위험 인공지능 시스템의 의무는 2026년 옴니버스 개정으로 일정이 뒤로 밀려, 부속서 3에 해당하는 고위험 시스템은 2027년 12월 2일부터, 제품에 내장되는 부속서 1 계열은 2028년 8월 2일부터 적용됩니다.

고위험 인공지능을 다루는 기업은 위험 관리 계획과 양질의 훈련 데이터, 투명한 문서, 사람의 감독 장치, 배포 뒤 지속적인 점검 체계를 갖추어야 하며, 이 가운데 하나라도 어긋나면 제조물책임지침이 말하는 결함으로 다뤄질 여지가 생깁니다. 의무를 정해 두고, 그 의무를 어기면 사고가 났을 때 책임에서 벗어나기 어렵게 만들어 둔 구조입니다.

유럽연합 인공지능법은 의료 인공지능을 이중으로 묶어 규제합니다. 환자 진단이나 치료 결정에 관여하는 인공지능 시스템은 의료기기 규정에 따른 인증을 받아야 하는 동시에, 인공지능법이 정한 고위험 시스템 의무도 함께 지켜야 합니다. 두 규제 가운데 어느 하나라도 지키지 못하면 시장 진입 자체가 막힙니다. 알고리즘의 성능만으로는 부족하고, 그 성능을 낳은 데이터와 설계 과정을 처음부터 끝까지 문서로 남겨야 시장에 들어설 수 있다는 뜻입니다.

연합 학습 컨소시엄에 참여하는 기관들 사이에서도 참여 계약서에 손해배상과 보험 부담을 미리 정해 두는 실무가 늘고 있습니다. 사고가 났을 때 법정에서 책임 소재를 다투기 전에, 계약 조항으로 위험을 먼저 나누어 두려는 움직임입니다.

한국의 법 체계도 비슷한 방향으로 움직이고 있습니다. 가명정보란 이름이나 주민등록번호처럼 특정인을 바로 알아볼 수 있는 항목을 지우거나 다른 값으로 바꾸어, 추가 정보 없이는 누구인지 알아보기 어렵게 만든 개인정보를 말합니다. 한국의 개인정보보호법은 서로 다른 기관이 가진 가명정보를 담당자끼리 직접 맞대어 보지 못하도록, 결합전문기관이라는 제3의 기관을 거쳐야만 데이터를 결합할 수 있도록 못 박아 두었습니다. 정부는 2022년부터 2026년까지 이어지는 연구개발 로드맵에 따라 여러 기관이 각자 가진 가명정보를 서로 결합하는 제도와 기술을 정비해 왔고, 2026년에는 가명정보를 결합한 사례를 겨루는 경진대회까지 열립니다.

보건복지부는 2026년 연구개발 사업에서 의료데이터와 인공지능 기술을 신약개발과 의료 현장 곳곳에 잇겠다는 계획을 밝혔고, 정부는 2030년까지 4000억 원을 인공지능 기반 신약개발과 첨단 뇌과학 연구에 넣기로 했습니다.

유럽에서는 이와 짝을 이루는 제도로 유럽보건데이터공간(EHDS) 규정이 2025년 3월 26일 발효됐습니다. 이 규정에 따라 규정 전체는 2027년 3월 26일부터 적용되고, 개별 진료를 위한 1차 이용과 연구나 정책, 인공지능 개발처럼 원래 목적과 다른 2차 이용은 모두 2029년과 2031년 두 차례에 걸쳐 단계적으로 적용됩니다. 환자 요약과 전자처방, 그리고 대부분의 연구용 데이터가 2029년에 먼저 열리고, 영상과 검사 결과, 퇴원 기록, 유전체 정보처럼 민감하거나 무거운 자료는 2031년으로 미뤄져 있습니다.

각 회원국은 보건데이터접근기구를 두어 데이터 이용 허가를 내주고 책임을 관리하도록 되어 있습니다. 유럽개인정보보호이사회와 유럽개인정보보호감독관은 이 규정이 일반개인정보보호규정이 세워 둔 개인의 권리를 열게 만들 위험이 있다고 우려했고, 그 결과 최종 조문은 2차 이용의 법적 근거를 일반개인정보보호규정 위에 다시 얹어 두는 방식으로 절충됐습니다. 프라이버시를 지키는 규정과 데이터를 모아 쓰려는 규정이 한 몸 안에서 팽팽하게 당기고 있는 모습입니다.

K-MELLODDY 회의실에 모였던 연구자들이 서로의 공책을 끝내 보여주지 않고도 함께 성적을 올릴 수 있었던 이유는, 기술이 신뢰와 보안이라는 두 가지 값어치를 동시에 지킬 수 있다는 사실을 증명했기 때문입니다. 그러나 기술이 열어 준 문 뒤에는 아직 풀리지 않은 물음들이 남아 있습니다. 어느 인구 집단의 데이터로 훈련한 모델인지, 인공지능이 설계한 화합물의 특허는 누구 이름으로 남는지, 사고가 났을 때 책임은 어느 기관이 지는지를 정하는 작업입니다.

환자와 시민의 눈으로 보면, 이 균형이 무너졌을 때 먼저 위험에 노출되는 쪽은 언제나 데이터가 적어 목소리를 내기 어려운 사람들이라는 점을 기억해 둘 만합니다. 이 작업은 실험실 안에서 끝나지 않고 법정과 국회, 국제기구의 협상 테이블로 계속 넘어가고 있습니다. 계약서에 편향 감사 조항과 발명 기여도 기록 의무를 지금 단계에서 미리 넣어 두는 편이, 훗날 분쟁이 났을 때 책임을 가리는 비용을 줄여 줄 것으로 보입니다.

미국과 일본의 법원이 인공지능을 발명자로 인정하지 않기로 정리한 것처럼, 앞으로 몇 년 사이에 데이터 형평성과 책임 소재를 다루는 규범도 나라마다 판례와 지침으로 하나씩 쌓여갈 가능성이 큼니다. 그 규범이 촘촘해질 때까지, 연합 학습과 설명 가능한 인공지능이 지금 만들어 내고 있는 신뢰와 보안의 균형은 계속 시험대에 오를 것으로 보입니다.

보건복지부와 개인정보보호위원회는 2025년 12월 31일, 보건의료데이터 활용 가이드라인을 개정해 시행에 들어갔습니다. 여러 병원이 함께 진행하는 연구나 자체 기관보건의료정보심의위원회, 곧 DRB를 꾸리기 어려운 중소 기관을 위해 공용 DRB 제도가 새로 생겼습니다. 기관생명윤리위원회와 DRB의 심의 절차를 하나로 맞추는 표준 절차도 마련됐습니다.

세상을 떠난 환자의 의료데이터를 연구에 쓸 때는 신원을 드러내는 식별자와 유족과 관련된 코드를 지우고 쓰도록 기준도 새로 정했습니다. 인공지능으로 신약 후보를 찾는 국내 스타트업이나 대학 연구팀 처지에서는, 여러 병원의 데이터를 모아 예측 모델을 훈련시키기까지 걸리던 심의 대기 시간이 이번 개정으로 줄어든 것으로 보입니다.

그런데 이 모든 절차는 데이터를 내준 환자 본인이 아니라 심의위원회의 눈으로만 돌아갑니다. 국내 개인정보 동의 체계는 병원이 정보를 처음 모을 때 한 번 동의를 받는 방식에 머물러 있고, 그 뒤 가명처리를 거친 정보가 어느 연구, 어느 기업의 인공지능 학습에 쓰였는지 환자가 나중에 되짚어 볼 통로는 마련돼 있지 않습니다. 게다가 가명정보는 통계 작성이나 과학적 연구처럼 원래 목적과 다르게 쓰일 때도 정보주체의 추가 동의를 다시 받지 않아도 되도록 법이 이미 허용해 두었습니다.

영국 국민보건서비스처럼 정보 주체가 뒤늦게라도 거부 의사를 밝히면 정보 사용을 멈추는 옵트아웃 장치를 둔 나라도 있지만, 한국 법은 아직 그 단계까지 나아가지 못했습니다. 동의가 필요 없다는 것이 감시까지 필요 없다는 뜻은 아닐 텐데, 그 감시를 누가 맡을지는 뚜렷하지 않습니다. 데이터를 원래 있던 곳에서 옮기지 않는 연합 학습이 아무리 안전해도, 환자가 자기 정보의 행선지를 스스로 확인할 길이 없다면 그 안전은 반쪽짜리에 머무를 가능성이

큽니다.

연합 학습이 원본 데이터를 지켜 준다는 믿음에도 틈은 있습니다. 2025년 3월 국제 학술지 저널 오브 케미오포매틱스(Journal of Cheminformatics)에는 연구자 파비안 크뤼거가 이끈 연구팀이 신약 후보 물질의 성질을 예측하는 신경망 모델을 상대로 멤버십 추론 공격(membership inference attack)을 시도한 결과가 실렸습니다. 모델 내부의 가중치를 들여다보지 않고 겉에서 질문을 던지고 답을 받는 것만으로 특정 화합물이 훈련 데이터에 들어 있었는지 알아맞히는 방식이었습니다.

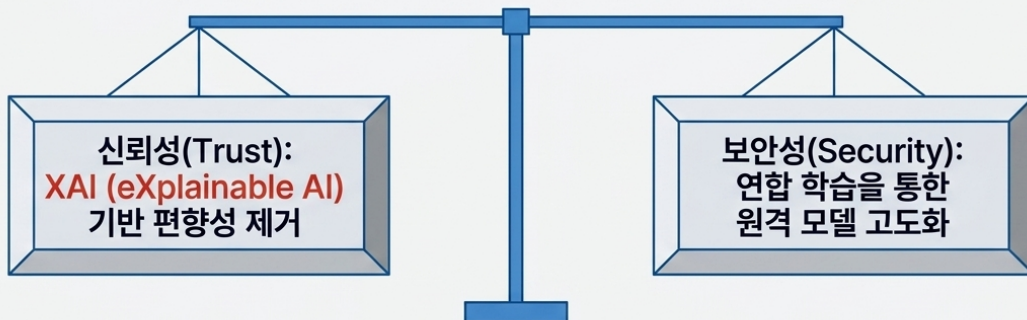
어느 데이터셋, 어느 모델 구조에서나 정보가 새어 나갔고, 표본 수가 적은 소수 집단에 속한 화합물일수록 더 쉽게 들통났습니다. 신약개발에서 표본이 적은 화합물은 경쟁사가 아직 손대지 않은 값진 후보인 경우가 많아, 정작 지켜야 할 정보부터 새어 나갈 위험을 안고 있는 셈입니다. 크뤼거 연구팀은 이 공격 기법을 코드로 함께 공개해, 다른 연구자들도 자기 모델의 위험을 스스로 점검해 볼 수 있게 했습니다.

데이터 윤리, 알고리즘 형평성 및 연합 학습 생태계

5.2 데이터 윤리, 알고리즘 형평성 및 연합 학습 생태계

설명 가능성(XAI)과 프라이버시 보호 기술은 AI에 대한 신뢰를 구축하고 안전한 데이터 융합을 가능하게 합니다.

- 블랙박스 문제(Black-box problem)를 해소하는 설명 가능한 AI(XAI)와 알고리즘 편향성 완화를 통해 의료 데이터의 형평성(Fairness)을 보장합니다.
- 환자 데이터 프라이버시(HIPAA/GDPR)를 준수하며, 연합 학습(Federated Learning)을 통해 지식재산권(IP) 침해 없이 글로벌 병원 간 데이터를 학습합니다.



5.3

제약 산업의 미래: 자율화 연구소(Self-driving Labs)

2025년 10월, 서울의 한 실험실이 조용히 문을 열었습니다. 한국제약바이오협회 산하 AI신약연구원이 만든 이 공간에는 흰 가운을 입은 연구원 대신 로봇팔 하나가 저울 앞에 서 있습니다. 로봇팔은 유리병 뚜껑을 돌려 열고, 0.005밀리그램, 소금 한 톨 무게의 수백분의 일에 해당하는 시약을 정확히 덜어냅니다. 액체를 섞고 다시 무게를 재는 동작이 몇 초 간격으로 되풀이됩니다. 밤 열 시가 지나면 연구원들은 하나둘 퇴근하고 실험실의 불은 꺼집니다. 로봇은 그 어둠 속에서 멈추지 않습니다.

사람들은 이 공간을 '다크랩'이라 부릅니다. 협회 관계자는 이 실험실의 목표가 사람이 잠든 사이에도 실험 처리량을 최대로 끌어올리는 데 있다고 설명했습니다. 로봇이 다루는 반응 용기마다 실험 조건과 결과가 자동으로 기록되고, 다음 날 출근한 연구원은 지난밤 쌓인 수십 건의 실험 결과를 커피 한 잔과 함께 확인하는 것으로 하루를 시작합니다. 출입구 앞 모니터에는 그날 밤 처리된 실험 건수와 성공률이 실시간 숫자로 올라오고, 온도나 농도가 미리 정해 둔 범위를 벗어나면 자동으로 경고음이 울리도록 설계되어 있습니다.

2026년 6월 처음 언론에 공개되었을 때, 연구원 측은 올해 안에 150명의 인력을 새로 길러 내겠다는 계획도 함께 밝혔고, 국내 제약회사 몇 곳은 이미 이 실험실의 운영 방식을 자사에 들여오는 방안을 검토하고 있습니다. 불과 몇 해 전만 해도 영화 속 장면처럼 여겨지던 광경이, 이제는 서울의 한 실험실에서 매일 밤 되풀이되는 일상이 되어 있습니다.

2024년 국제 학술지 네이처에는 거대 언어 모델을 기반으로 한 인공지능이 분광기와 액체 취급 로봇을 스스로 제어해, 사람의 손을 거치지 않고 유기 규소 화합물 스물아홉 종을 합성해 낸 연구가 실렸습니다. 이 가운데 여덟 종은 그전까지 세상에 알려지지 않은 화합물이었습니다. 화학자가 시약장 앞에서 며칠을 씨름해야 했던 일을, 인공지능은 반응 경로를 스스로 찾고 장비 일정을 조율하며 하룻밤 사이에 끝냈습니다. 과거의 신약 발굴은 병의 원인이 되는 표적을 찾고, 그 표적에 들어맞는 화합물을 설계하고, 합성하고, 시험관과 세포로 효능을 확인하는 네 단계를 몇 년에 걸쳐 지루하게 되풀이하는 일이었습니다.

흔히 설계, 합성, 시험, 분석의 앞 글자를 따 디엠티에이(DMTA) 주기라고 부르는 이 과정은, 사람이 한 바퀴를 도는 데만 몇 주가 걸리는 느린 순환이었습니다. 다국적 제약사 안센이 에이즈 치료제 프레지스타의 생산 공정을 실시간 센서와 기계학습 기반의 자동 조절 체계로 바꾸어 미국 식품의약국과 유럽 의약품청의 엄격한 기준을 충족시킨 일도 같은 흐름 위에 놓여 있습니다. 서울의 로봇팔 한 대에서 지구 반대편의 학술지 한 페이지까지, 실험이라는 행위 자체의 정의가 바뀌고 있습니다.

이 변화를 이끄는 힘은 스스로 사고하고 행동하는 에이전트 AI입니다. 목표만 주어진다면 계획을 세우고 실행까지 책임지는 인공지능을 말합니다. 과거의 의료용 인공지능은 하나의 입력값에 하나의 출력값을 내놓는 수동적인 도구에 가까웠습니다. 에이전트 AI는 다릅니다. 데이터를 계속 받아들이고, 이전 판단을 기억하며, 스스로 세운 계획이 틀렸다고 판단되면 다음 계획을 고쳐 씁니다. 여기에 시각과 언어, 화학 신호를 함께 읽어 내는 다중 모달리티 능력까지 갖추면서, 이 인공지능은 클라우드 위의 소프트웨어에 머물지 않고 분광기와 로봇팔 같은 실험실 하드웨어를 직접 지휘하는 수준까지 올라섰습니다.

캠크로우라는 이름이 붙은 초기 구조는 이 원리를 잘 보여 줍니다. 사람이 여러 부서에 전화를 걸어 업무를 나누어 맡기듯, 거대 언어 모델이 분광기와 크로마토그래피 장비마다 정해진 통신 규격, 이른바 응용 프로그램 인터페이스를 통해 직접 명령을 내리는 방식입니다. 연구자가 목표 물질과 지켜야 할 안전 조건만 입력하면, 인공지능은 방대한 화학 반응 데이터 베이스를 뒤져 합성 경로를 짜고, 시약을 주문하고, 장비 일정을 조율하고, 실험을 실행한 뒤 그 결과를 분석해 다음 조건을 스스로 고칩니다.

문헌을 읽는 일에서부터 가설을 세우는 일, 로봇으로 합성하고 분석하는 일까지 사람의 손을 거치지 않고 하나로 이어지는 이 흐름을 폐쇄 루프 시스템이라 부릅니다. 정해진 순서만 반복하는 기존 자동화 설비와 달리, 이 시스템은 상황이 바뀌면 다음에 실행할 절차 자체를 스스로 다시 짠다는 점에서 근본적으로 다릅니다.

폐쇄 루프의 첫 단추는 가설을 세우는 일입니다. 구글 딥마인드가 내놓은 '코사이언티스트'는 제미나이 거대 언어 모델을 바탕으로 네 개의 에이전트가 역할을 나누어 협업하는 시스템입니다. 생성 에이전트가 논문과 데이터를 훑어 가설을 여러 개 내놓으면, 성찰 에이전트가 동료 심사자처럼 그 허점을 캐냅니다. 순위 에이전트는 살아남은 가설들을 토너먼트 방식으로 겨루게 하고, 진화 에이전트는 그중 우수한 가설을 다시 다듬고 결합합니다.

네 에이전트는 서로의 결과물을 주고받으며 같은 가설을 몇 차례고 다시 검토하는데, 이 반복은 사람이 학회 발표를 앞두고 동료들과 몇 달을 주고받는 논쟁을 흉내 낸 구조에 가깝습니다. 영국 임페리얼 칼리지 런던의 호세 페나데스 교수 연구팀은 세균들 사이에서 항생제 내성 유전자가 어떻게 퍼지는지를 10년 가까이 연구해 왔는데, 아직 발표하지 않은 이 연구 주제를 코사이언티스트에게 그대로 맡겨 보았습니다. 인공지능은 연구팀의 미공개 데이터에 접근하지 못한 상태에서도 48시간 만에 같은 결론을 가리키는 가설을 내놓았습니다.

사람 연구자가 몇 주에서 몇 달에 걸쳐 세우고 반박하던 가설 검증 과정을, 이 네 개의 에이전트는 훨씬 짧은 시간 안에 자동으로 돌립니다. 문제는 가설이 빨리 나올수록 그 가설을 실제로 확인할 손이 새로운 병목으로 떠오른다는 점입니다. 자율 구동 실험실은 바로 이 병목을 메우기 위해 등장한 다음 단계입니다.

가설이 로봇 앞에 도착하면, 그다음은 물리적 실행입니다. 중국의 크리스탈파이(XtalPi)는 세계 곳곳에서 로봇 워크스테이션 300여 대를 24시간 쉬지 않고 돌리며, 자체 개발한 인공지능 모델 500여 개와 양자역학 계산을 결합해 화합물을 합성하고 평가합니다. 이 회사는 일라이릴리와 최대 2억 5000만 달러 규모의 공동 연구를 진행 중이고, 국내에서는 JW중외제약과 손잡고 염증 질환의 표적 단백질인 STAT6을 겨냥한 선도물질을 함께 다듬고 있습니다. 인공지능 알고리즘이 그려 낸 분자 구조나 단백질 서열은 곧바로 로봇 조립 라인과 세포 배양 시스템으로 전송되어 물리적인 물질로 바뀝니다.

이 과정에서 만들어진 모든 산물은 컴퓨터 속 설계도부터 최종 생산 배치까지 하나로 이어지는 고유 번호를 부여받아 끝까지 추적되는데, 이는 나중에 어떤 실험 조건이 어떤 결과로 이어졌는지 사람이 거꾸로 따라가 볼 수 있게 해 주는 최소한의 안전판이기도 합니다. 서울의 다크랩에서 로봇팔이 0.005밀리그램 단위로 시약을 다루는 손놀림도, 지구 반대편 실험실의 300대짜리 로봇 군단도, 결국 같은 원리로 움직이고 있습니다. 사람이라면 실수하기 쉬운 반복 작업일수록 로봇의 손은 지치지 않고, 같은 조건을 백 번이고 천 번이고 똑같이 되풀이할 수 있다는 점이 이 물리적 실행 단계의 값어치를 키웁니다.

실험이 끝나면 순환은 멈추지 않고 다음 단계로 넘어갑니다. 생물 반응기 안에 심어진 여러 개의 센서는 세포의 유전자 발현과 전기적 신호, 대사 산물의 흔적을 실시간으로 읽어 인공지능 제어 장치로 쏘아 보냅니다. 강화학습 컨트롤러는 이 신호를 받아 배양액의 농도나 신호 물질의 양을 스스로 조정하며, 품질이 기준에서 벗어나기 전에 미리 손을 씁니다. 결과 분석에서 나온 데이터는 다시 처음의 가설 설계 단계로 돌아가 다음번 실험 조건을 더 정교하

게 다듬는 재료가 됩니다. 이렇게 가설 설계, 실험실 자동화, 결과 분석, 데이터 피드백이라는 네 단계는 원을 그리며 끝없이 되풀이됩니다.

어제의 실패한 실험 하나가 오늘의 성공한 실험을 만드는 재료로 쓰이고, 오늘의 성공은 다시 내일의 질문을 낳습니다. 실험이 한 번 돌 때마다 시스템 자체가 조금씩 똑똑해지는 구조이기 때문에, 이 실험실은 사람이 조작해야만 움직이는 정적인 공간이 아니라 스스로 학습하며 몸집을 불려 가는 하나의 생명체에 가깝습니다. 사람이 하루 여덟 시간 일하며 실험 몇 건을 처리하던 예전과 달리, 이제는 같은 시간에 수백 건의 조건을 동시에 시험해 보고 그 결과를 다음 실험에 곧바로 반영하는 규모의 차이가 생겨나고 있습니다.

자율 실험실의 가능성은 대기업의 보도 자료 밖에서도 확인되고 있습니다. 여러 인공지능 에이전트가 한 팀을 이루어 신종 코로나바이러스에 둘러붙는 나노바디, 그러니까 낙타나 알파카의 몸에서 찾아낸 항체를 본떠 만든 아주 작은 결합 단백질을 설계하고 실제 실험으로 그 효과까지 검증한 '버추얼 랩' 연구가 동료 심사를 거쳐 학술지에 발표되었습니다. 미국의 퓨처하우스가 만든 '로빈'이라는 시스템은 가설을 세우고 실험을 설계하고 결과를 해석하는 과정을 하나로 통합해, 건성 노인성 황반변성, 그러니까 나이가 들면서 시력을 서서히 잃게 만드는 눈 질환의 치료 후보로 녹내장 치료제 리파수딜을 새롭게 찾아냈습니다.

이 연구는 2026년 5월 국제 학술지 네이처에 실렸습니다. 두 사례 모두 대학과 연구소의 동료 연구자들에게 검증받아 논문으로 남았다는 점에서, 자율 실험실이 투자 유치를 위한 홍보 문구가 아니라 실제로 작동하는 과학적 방법론이라는 사실을 뒷받칩니다. 거대 자본을 등에 업은 기업뿐 아니라, 상대적으로 예산이 넉넉하지 않은 대학 연구팀도 클라우드 위의 인공지능과 공유 실험실 장비를 빌려 쓰는 방식으로 이 흐름에 합류할 길이 열리고 있습니다.

바이오 벤처캐피털 플래그십 파이어니어링은 2025년 3월, 라일라 사이언시스(Lila Sciences)라는 이름의 회사를 세상에 처음 알리며 시드 투자 2억 달러를 받았다고 밝혔습니다. 그해 10월에는 엔비디아의 투자 부문이 이끄는 1억 1500만 달러를 추가로 유치해 누적 투자액을 5억 5000만 달러, 기업 가치를 13억 달러 선까지 끌어올렸고, 2026년 6월에는 기업 가치 85억 달러를 인정받는 후속 투자 논의가 진행 중이라는 소식도 전해졌습니다. 오픈AI에서 리서치 부문 부사장을 지낸 리암 페더스와 구글 딥마인드에서 연구원으로 일했던 에킨 도우스 추북이 함께 세운 페리오딕 랩스(Periodic Labs)도 2025년 3억 달러의 시드 투자를 받아 초전도체를 비롯한 신소재를 겨냥한 자율 실험실을 짓고 있습니다.

영국 글래스고 대학의 리 크로닌 교수가 세운 케미파이(Chemify)는 화학 반응을 코드로 옮겨 로봇이 그대로 재현하게 만드는 '컴퓨터' 기술로 2025년 5000만 달러가 넘는 시리즈 B 투자를 받았습니다. 세 회사 모두 신약 하나만을 노리지 않습니다. 이들이 겨누는 것은 화학과 소재, 에너지를 아우르는 연구개발 그 자체의 자동화이며, 투자자 명단에는 엔비디아와 아마존 창업자 제프 베이조스, 전 구글 최고경영자 에릭 슈미트 같은 이름도 올라 있습니다. 세 회사가 그동안 끌어모은 투자금만 합쳐도 9억 달러에 이르는데, 몇 해 전만 해도 대학 실험실의 연구 과제 정도로 여겨지던 분야에 이만한 자금이 몰린다는 사실 자체가 이 기술이 통과한 검증의 무게를 보여 줍니다.

자율 실험실이 만들어 내는 성과는 이미 여러 나라에서 구체적인 숫자로 확인되고 있습니다. 호주 연방과학산업연구기구(CSIRO)는 새로운 촉매를 개발하는 데 걸리던 기간을 5년에서 6개월로 줄였습니다. 캐나다의 가속화 컨소시엄은 자율 실험실을 통해 스물한 개가 넘는 새로운 후보 물질을 찾아냈습니다. 한국에서도 한국과학기술연구원(KIST)이 '옥토퍼스'라는 이름의 운영 체제를 자체 개발해 여러 로봇 장비를 하나의 인공지능으로 지휘하는 실험을 진행하고 있고, 한국제약바이오협회와 연세대학교는 케이니브르트(K-NIBRT) 사업단을 통해 관련 인프라를 별도로 구축하고 있습니다.

두 사업 모두 아직은 소수의 연구자만 접해 본 걸음마 단계이지만, 정부와 대학이 각자 흩어져 시도하던 실험 자동화를 하나의 표준 아래 모으는 작업이라는 점에서 다음 단계로 넘어가는 다리 역할을 하고 있습니다. 국적과 연구 대상은 저마다 다르지만, 사람이 몇 년을 매달리던 일을 인공지능과 로봇이 몇 달, 때로는 몇 주 만에 끝내고 있다는 점은 공통적입니다.

한국 과학기술정보통신부는 2026년부터 2028년까지 3년 동안 495억 원을 들여 자율 실험실 여섯 곳을 짓겠다는 계획을 내놓았습니다. 범용 실험실 한 곳은 가톨릭대학교가 맡아 'K-셀' 플랫폼을 구축하고, 특화 실험실 다섯 곳은 대구경북과학기술원이 액체생검을, 카이스트가 감염병을, 고려대학교가 유전자 전달체를, 포스텍이 효소 공학을, 울산과학기술원이 오가노이드 기반 약물 평가를 각각 맡습니다. 이 사업을 이끄는 오대현 미래전략기술정책관은 인공지능과 로봇틱스가 결합한 자율 실험실이 바이오 연구개발의 패러다임을 근본적으로 바꾸는 계기가 될 것이라고 밝혔습니다.

정부는 이와 별도로 물리적 인공지능, 그러니까 로봇의 두뇌에 해당하는 기술을 국내 기술로 확보하는 데도 2년 동안 340억 원을 추가로 투입하기로 했습니다. 서울의 다크랩이 미리 보여 준 밤샘 실험의 풍경이, 2028년이면 전국 여섯 곳에서 동시에 펼쳐지는 그림으로 커

질 준비를 하고 있는 셈입니다.

논문 한 편을 읽는 순간부터 특허를 출원하는 순간까지 걸리는 시간을 90일 안팎으로 압축하겠다는 구상이 업계 일각에서 나오고 있습니다. 아직 이를 실제로 이뤘다고 공인된 사례는 없지만, 그 방향이 헛구호만은 아니라는 것을 짐작하게 하는 숫자는 이미 나와 있습니다. 홍콩에 본사를 둔 인실리코 메디슨(Insilico Medicine)은 표적 발굴 프로그램 판다오믹스(PandaOmics)와 신약 후보물질 설계 프로그램 케미스트리42(Chemistry42)를 앞세워, 전임상 후보물질, 그러니까 동물 시험에 들어갈 준비가 끝난 물질을 찾아내는 데 평균 12개월에서 18개월이 걸린다고 밝혔습니다.

전통적인 신약 발굴에 걸리던 2년 반에서 4년이라는 기간의 절반에도 못 미치는 수치입니다. 이 회사가 진행한 한 프로그램은 후보물질 여든 개도 채 합성하지 않고 새로운 표적에 대한 새로운 분자를 찾아내는 데 260만 달러만을 썼는데, 기존 방식이 요구하던 비용의 십분의 1 수준입니다. 이 회사가 내놓은 특발성 폐섬유증 치료 후보물질은 인공지능이 설계한 신약 가운데 처음으로 임상 2상에서 폐 기능 개선 효과를 확인받았고, 2025년에는 통증 치료를 겨냥한 새 후보물질 ISM9528을 전임상 단계로 올려 연간 시장 규모 1000억 달러에 이르는 분야에 도전장을 냈습니다.

이 회사가 함께 운영하는 인클리니코(inClinico)라는 프로그램은 임상 2상 시험이 3상까지 이어져 성공할 확률을 미리 데이터로 가늠해 보는 도구인데, 후보물질을 찾는 단계부터 임상시험을 설계하는 단계까지 같은 회사의 인공지능이 처음부터 끝까지 관여한다는 점에서 폐쇄 루프의 축소판이라 할 만합니다.

양자 역학의 얽힘과 중첩이라는 현상을 기계학습과 섞은 양자 기계학습(QML)은 분자 사이의 미세한 상호작용을 기존 컴퓨터로는 감당하기 어려운 정밀도로 계산해 냅니다. 프랑스의 큐비트 파마슈티컬스(Qubit Pharmaceuticals)는 파스칼이 만든 중성원자 방식 양자 컴퓨터 오리온을 이용해, 단백질의 결합 주머니 속에 물 분자가 어느 위치에 놓이는지를 양자 알고리즘으로 계산해 냈습니다. 2026년 3월에는 미국 클리블랜드 클리닉과 IBM이 손잡고 원자 303개로 이루어진 미니단백질 트립케이지의 전자 구조를, 양자와 고전 컴퓨터를 오가는 혼합 방식으로 계산해 내는 데 성공했다고 발표했습니다.

약물이 몸속에서 콜라겐 조직에 뜻하지 않은 독성을 일으키는지처럼, 원자 여러 개가 동시에 얽혀 만들어 내는 미묘한 상호작용을 미리 읽어 내는 일에서도 양자 알고리즘은 기존 방

식보다 정교한 답을 내놓고 있습니다. 시장 조사 기관들은 이 분야 시장 규모가 2025년 1억 2600만 달러에서 2035년 6억 3800만 달러로, 연평균 17.9퍼센트씩 커질 것으로 내다봅니다. 여기에 원료 투입부터 완제품 생산까지 공정을 멈추지 않고 흘러보내는 연속 제조 기술이 맞물립니다. 건조와 분말 혼합, 알약을 찍어 내는 타정 과정에서 생기는 미세한 온도 변화나 불순물을 공정 분석 기술과 디지털 트윈이 실시간으로 감지하고 시뮬레이션하는데, 안센이 생산 라인에 이런 체계를 붙여 규제 기준을 충족시킨 사례가 대표적입니다.

발견의 속도와 생산의 속도가 이제 같은 리듬으로 움직이기 시작한 셈입니다. 실험실에서 몇 주 만에 찾아낸 후보물질이 공장에서도 몇 주 만에 대량 생산 조건을 갖추는 상황이 되면서, 그동안 발견과 생산 사이에 놓여 있던 시간의 틈 자체가 좁아지고 있습니다.

산업계는 이런 통합을 두고 자동화를 넘어선 인더스트리 5.0이라는 이름을 붙이고 있습니다. 기계가 사람의 반복 노동을 대신하던 인더스트리 4.0의 다음 단계로, 인공지능과 로봇이 사람의 인지적, 신체적 한계를 늘려 주는 동반자가 되는 시기라는 뜻입니다. 컴퓨터 서버 안의 설계도가 실험실 로봇을 거쳐 공장의 생산 라인까지 끊김 없이 이어지는 것도 그 결과 가운데 하나입니다. 사람의 손이 닿지 않던 밤과 주말까지 연구개발에 편입되면서, 같은 예산과 같은 인원으로 뽑아낼 수 있는 후보물질의 수 자체가 몇 배로 늘어나고 있습니다. 그러나 동반자에게도 지켜야 할 규칙은 필요합니다.

이 폐쇄 루프 안으로 들어가 보면, 신약 하나가 걸어가는 길이 보입니다. 질병과 관련된 단백질을 찾아내는 표적 발굴 단계에서 인공지능은 방대한 유전체와 논문 데이터를 훑어 유력한 표적을 추려 냅니다. 그 단백질의 3차원 구조가 예측되고 나면, 인공지능은 그 구조에 꼭 맞는 분자를 처음부터 새로 그려 내고, 동시에 그 분자가 간에서 어떻게 분해되고 몸 밖으로 어떻게 빠져나가는지, 독성은 없는지를 미리 계산합니다. 어떤 후보는 작은 화합물 하나로는 부족하다고 판단되어, 여러 표적을 동시에 겨누는 다중 표적 항체나 세포 치료제 형태로 다시 설계되기도 합니다.

이런 후보물질은 지방 알갱이나 고분자로 만든 나노 입자에 실려 간이나 종양처럼 원하는 조직까지 정확히 배달되도록 다시 한번 다듬어 집니다. 환자의 세포로 접시 위에 길러 낸 미니 장기인 오가노이드와, 환자의 몸 전체를 컴퓨터 안에 그대로 복제한 디지털 트윈은 동물 실험 이전 단계에서 후보물질의 효과와 부작용을 미리 시험해 보는 무대가 됩니다. 실험실 자체도 예외가 아닙니다. 로봇에게 실제 시약을 쓰게 하기 전에 실험 조건을 컴퓨터 안의 가상 실험실에서 먼저 돌려 보고, 성공 가능성이 높은 조건만 추려 물리적 로봇에게 넘기는 방

식도 점점 널리 쓰이고 있습니다.

여기서 살아남은 후보는 디지털 트윈으로 미리 설계된 임상시험에 들어가고, 종양의 유전자 지도를 읽어 환자 한 사람 한 사람에게 맞는 치료를 찾는 정밀 종양학의 도구들과 만납니다. 이 모든 단계에서 나온 기록은 규제 당국에 제출할 서류의 초안으로도 함께 쌓입니다. 표적을 찾는 일에서부터 환자에게 맞는 처방을 찾는 일까지, 서로 다른 부서에서 따로 돌아가던 작업들이 이제 하나의 순환 안에서 데이터를 주고받으며 동시에 돌아갑니다.

이 순환이 매끄럽게만 보이지는 않습니다. 에이전트 AI가 편향된 데이터나 오류로 인해 위험한 물질을 스스로 설계하거나, 연속 제조 라인에서 잘못된 조건을 적용해 불량 의약품을 대량으로 찍어 낼 가능성은 실제로 존재하는 위협입니다. 그래서 실험실 현장에서는 인공지능의 활동 범위를 사전에 정해진 안전 한계 안으로 묶어 두고 이를 감시하는 '가드 에이전트'를 따로 두는 곳이 늘고 있습니다. 정해진 한계를 넘어서려는 시도가 감지되면 가드 에이전트는 실험 자체를 즉시 멈추고 사람에게 판단을 넘기도록 설계되어 있어, 자율성과 안전성이 서로를 견제하는 이중 장치 역할을 합니다.

센서와 소프트웨어 사이의 동기화 오류로 데이터가 어긋나는 기술적 결함도 종종 발생하고, 인공지능이 왜 그런 판단을 내렸는지 사람이 온전히 설명할 수 없는 블랙박스 문제도 남아 있습니다. 이런 위험을 통제하기 위해 미국 식품의약국과 유럽 의약품청은 2026년 1월, 신약 개발에 인공지능을 쓸 때 지켜야 할 공동 지침을 처음으로 발표했습니다. 핵심은 품질에 영향을 미치는 판단일수록 인공지능의 제안을 사람이 최종 확인해야 한다는 원칙입니다. 제약회사들은 국제제약공학회가 개정한 컴퓨터 시스템 검증 표준 지침과, 의료기기로 분류되는 소프트웨어에 인공지능을 적용할 때 따라야 할 실행 계획, 데이터를 누가 언제 만들었는지 끝까지 추적할 수 있어야 한다는 데이터 무결성 원칙에 맞추어 인공지능의 학습 과정과 편향성 검증 절차를 문서로 남겨야 합니다.

인공지능이 스스로 학습하며 조금씩 달라지는 현상, 이른바 모델 드리프트를 통제하기 위해 미국 식품의약국은 시판 후에도 인공지능이 안전하게 자신을 업데이트할 수 있는 범위를 미리 정해 승인받는 사전 변경 관리 계획 제도도 도입했습니다.

법의 영역으로 넘어가면 물음은 더 날카로워집니다. 사람 발명자의 실질적인 개입 없이 인공지능이 논문 수천만 건을 읽고 백지에서 그려 낸 분자에 특허권을 줄 수 있는지에 대한 답은 나라마다 다르고, 아직 세계적으로 정리되지 않았습니다. 자율 실험실이 최적화해 낸 용

법이 환자에게 뜻밖의 부작용을 일으켰을 때, 그 책임이 소프트웨어를 짠 기술기업과 이를 도입한 제약회사, 승인을 내준 규제 당국 가운데 누구에게 돌아가는지를 명확히 정해 둔 법 체계도 아직 어디에도 없습니다. 미국과 유럽이 저마다 다른 속도와 방식으로 지침을 만들고 있는 사이, 한국을 포함한 여러 나라는 아직 이 물음에 대한 독자적인 답을 마련하지 못한 상태입니다.

특허청과 법원의 판단이 나라마다 엇갈리면, 같은 인공지능이 설계한 같은 분자를 두고도 어느 나라에서는 특허가 인정되고 어느 나라에서는 거절되는 일이 실제로 벌어질 수 있습니다. 기술은 국경을 넘어 하룻밤 사이에 새로운 화합물을 스물아홉 개씩 만들어 내는데, 그 결과를 책임질 법의 언어는 여전히 나라마다 다른 속도로 움직이고 있습니다.

로봇이 손을 대신하는 실험실에서 사람이 할 일이 무엇인지를 두고, 제 판단은 이렇습니다. 연구자는 사라지지 않습니다. 다만 맡는 역할이 근본적으로 바뀌고 있습니다. 시약을 옮기고 저울을 재던 손의 노동은 로봇에게 넘어가지만, 애초에 어떤 질문을 던질 것인지, 어느 데이터를 믿고 어느 데이터를 의심할 것인지를 정하는 일은 여전히 사람이 해야 합니다. 인공지능이 밤새 쏟아 낸 수백 개의 결과 가운데 무엇이 우연이고 무엇이 진짜 발견인지 가려내는 안목, 시스템이 넘지 말아야 할 안전 경계선을 어디에 그을지 정하는 판단, 사고가 났을 때 그 책임을 누가 지는지 답할 수 있는 법적, 윤리적 감독의 역할은 로봇이 대신할 수 없습니다.

연구자는 실험대 앞에서 피펫을 쥔 기술자에서, 실험실 전체를 설계하고 그 실험실이 저지룰 수 있는 실수까지 책임지는 감독자로 옮겨 가고 있는 것으로 보입니다. 대학에서 화학이나 생물학을 공부하던 학생들에게도 이제는 통계와 코딩, 로봇 공학의 기초가 함께 요구되고 있으며, 다크랩을 운영하는 협회가 인력 양성을 사업의 첫 줄에 올려 둔 것도 같은 이유에서일 것입니다. 실험 기술을 손끝으로 익히던 도제식 교육 대신, 인공지능이 내놓은 판단을 검증하고 그 한계를 파고드는 훈련이 다음 세대 연구자의 기본기가 되어 가는 셈입니다.

다크랩의 불이 꺼진 밤에도 누군가는 그 로봇에게 오늘 무엇을 실험하라고 명령을 내렸고, 다음 날 아침 그 결과에 서명할 사람 역시 정해져 있어야 합니다.

2028년, 495억 원이 투입될 한국의 자율 실험실 여섯 곳이 계획대로 문을 열면, 서울의 다크랩과 함께 전국 곳곳의 실험실들이 밤마다 동시에 불을 끄고 로봇을 돌리는 풍경이 펼쳐질 것입니다. 지구 반대편에서는 로봇 300대를 굴리는 크리스탈파이와 기업 가치 85억 달

러를 인정받는 라일라 사이언시스가 같은 시간 같은 방식으로 실험을 이어 가고 있을 것입니다. 초전도체를 노리는 페리오딕 랩스의 로봇도, 화학 반응을 코드로 옮기는 케미파이의 컴퓨터도, 저마다 다른 물질을 겨냥하면서 같은 원리로 밤을 지새울 것입니다.

문헌을 읽고 가설을 세우고 물질을 합성하고 결과를 되먹임하는 이 순환은 사람이 잠든 사이에도 멈추지 않습니다. 표적을 찾는 인공지능도, 분자를 그리는 인공지능도, 로봇팔을 움직이는 제어 장치도, 이제는 서로 다른 회사와 서로 다른 나라에 흩어져 있으면서도 하나의 순환처럼 맞물려 돌아갑니다. 다만 어느 이른 새벽, 자율 실험실이 밤새 최적화한 배치 하나에서 예상 못 한 수치가 튀어나왔을 때, 그 앞에 설 사람이 누구인지는 아직 어느 나라의 법 전에도 또렷하게 적혀 있지 않습니다.

로봇은 그 물음에 답을 내놓지 않습니다. 그 물음은 다음 날 아침 출근한 연구원의 책상 위에, 밤사이 쌓인 수십 건의 데이터와 함께 조용히 놓여 있을 뿐입니다. 그 답을 준비하는 일은, 실험실의 불이 다시 켜지는 아침마다 사람에게 돌아옵니다.

미국 버클리 국립연구소가 만든 자율 실험실 에이랩(A-Lab)은 2023년, 로봇이 사람 손을 거치지 않고 열이레 동안 새로운 무기 화합물 수십 종을 찾아냈다는 논문을 네이처에 실었습니다. 몇 달 뒤 런던대학교 화학자 로버트 팰그레이브를 비롯한 외부 연구자들이 그 결과를 다시 들여다보았습니다. '새로 찾았다'던 물질 가운데 여럿은 이미 결정구조 데이터베이스, 그러니까 알려진 물질의 원자 배열을 모아 둔 자료에 등록되어 있던 화합물이었습니다. 네이처는 2026년 1월 정정문을 냈습니다.

이 실험실을 이끈 버클리 연구팀은 그 화합물을 에이랩이 실제로 합성해 낸 것이 맞다고 반박했고, 논쟁은 아직 끝나지 않았습니다. 가설을 세우고 실험을 실행하고 그 결과를 해석하는 일까지 인공지능 하나가 도맡는 폐쇄 루프일수록, 그 판단을 다시 들여다볼 바깥의 눈이 오히려 줄어든다는 사실을 이 사건이 보여 준 것으로 보입니다. 시약을 직접 만져 본 경험 없이 화면 속 숫자로만 화학을 배운 다음 세대 연구자가 이런 오류를 얼마나 붙잡아낼 수 있을지는, 아직 누구도 장담하지 못합니다.

위험한 물질을 인공지능이 설계하지 못하도록 막는 장치도 이미 한 차례 시험대에 올랐던 적이 있습니다. 2022년 미국 제약 회사 컬래버레이션스 파마슈티컬스의 연구자들은 독성을 피하도록 훈련시킨 자사의 신약 설계 인공지능 메가신(MegaSyn)의 목표를 거꾸로 뒤집어, 독성을 최대한 끌어올리는 분자를 찾도록 명령을 내려 보았습니다. 평범한 노트북 한 대

로 여섯 시간을 돌렸을 뿐인데, 인공지능은 화학무기금지협약이 금지한 신경작용제 브이엑스(VX)를 포함해 4만 개에 이르는 독성 물질 목록을 쏟아 냈습니다.

연구자들은 이 결과를 자세히 공개하는 대신 학술지 네이처 머신 인텔리전스에 위험성만 알리고 구체적인 화학 구조는 잠가 두었습니다. 신약을 만들라고 가르친 인공지능과 독을 만들라고 가르친 인공지능 사이에, 사람이 목표 하나를 바꾸는 것 말고는 다른 차이가 없었다는 사실이 이 실험이 남긴 불편한 교훈입니다.

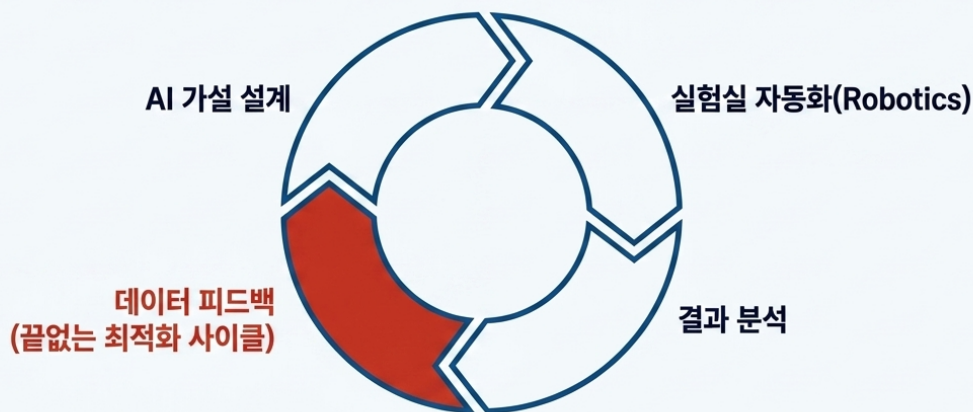
메가신의 목표를 뒤집는 데 필요했던 것은 코드 몇 줄을 고치는 손짓 하나뿐이었습니다. 로봇 팔이 밤새 시약을 저울에 달고 인공지능이 스스로 다음 실험을 정하는 시대에는, 그 손짓 하나를 알아채고 멈춰 세울 사람이 실험실 안에 반드시 있어야 합니다. 다음 날 아침 누군가 인공지능이 밤사이 설계한 약 하나를 당신 앞에 내놓는다면, 그 약을 만든 것이 사람인지 기계인지보다 먼저 물어야 할 질문이 있습니다. 그 약을 누가, 어떤 방법으로 확인했느냐는 질문입니다.

제약 산업의 미래: 자율화 연구소(Self-driving Labs)

5.3 제약 산업의 미래: 자율화 연구소(Self-driving Labs)

에이전트 AI와 로봇틱스가 결합된 자율 구동 실험실은 인간의 개입 없이 24시간 연속적인 R&D 혁신 순환을 완성합니다.

- 문헌 분석부터 가설 생성, 로봇틱스 기반 자동 합성 및 분석까지, 에이전트 AI(Agentic AI)가 통제하는 폐쇄 루프 시스템(Closed-loop workflow)이 구축됩니다.
- "문헌에서 특허 출원까지 단 90일(Paper to Patent in 90 days)" - 양자 기계학습(QML)과 연속 제조가 맞물려 신약개발 속도를 기하급수적으로 앞당깁니다.



AI 신약개발의 패러다임 전환과 미래 융합 생태계

저 자 | 김경진

펴낸이 | 김경진

펴낸곳 | 김경진 변호사 출판사

가격 : 20,000원

© 김경진 2026

본 책은 저작자의 지적 재산으로서 무단 전재와 복제를 금합니다.

참고) 이 책의 일부 내용과 편집 과정에는 인공지능 도구의 도움을 받았습니다.

kimkj008@gmail.com

이 책을 후원해 주십시오

이 책을 잘 읽으셨고 새로운 가치 있는 지식을 얻으셨다고 생각하시면
아래 계좌로 자발적 후원을 부탁드립니다.

후원 계좌

농협 302-1096-0948-81 (예금주 김경진)

후원금은 다음 책의 번역과 무료 공개판 제작에 쓰입니다.