

2019년 FDA 신약 허가 동향

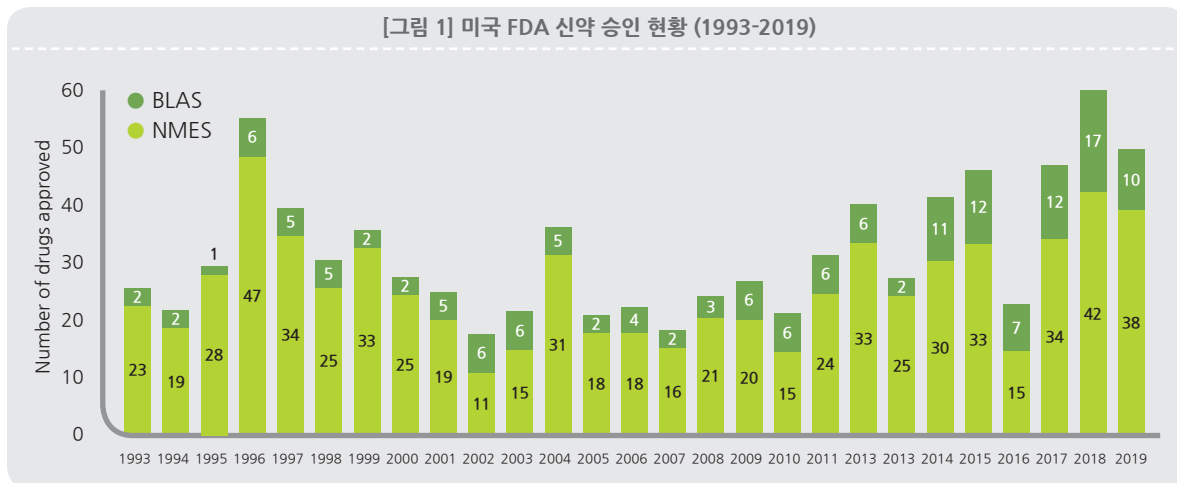
안세희 주임 정진국제특허법률사무소
지동현 대표 커넥트클리니컬사이언스

개요

미국 FDA 의약품평가센터(CDER)의 2019년 신약 허가건수는 48건으로, 2018년 59건으로 최대 승인 건수를 기록했던 건수에 비하면 다소 감소하였지만, 지난 25년 동안 3번째로 높은 승인 건수를 기록함으로써 꾸준히 많은 신약 허가 동향을 보이고 있음.

승인된 신약 중 바이오신약은 10개로 약 21%를 차지했으며, 48건의 신약 중 44%인 21건은 희귀의약품으로, 42%인 20건은 혁신신약(first-in-class)으로 승인받았음.

[그림 1] 미국 FDA 신약 승인 현황 (1993-2019)



*New Molecular Entities (NMEs): 화학합성신약 *Biologics License Applications (BLAs): 바이오신약

출처: 2019 FDA drug approvals, Nature Reviews Drug Discovery volume 19 February (2020)

또한, 의약품의 신속한 개발 및 승인을 촉진하기 위해 다양한 규제지원방안을 적극 활용하여 2019년 48건 중 17건은 패스트 트랙(Fast Track)로, 13건은 획기적 치료제(Breakthrough Therapy)로 지정, 28건은 우선심사(Priority Review), 9건은 신속 심사(Accelerated Approval) 대상으로 지정됨에 따라 미충족 수요를 충족시킬만한 다양한 의약품이 승인되는 추세임.

※ 심사유형

- 패스트 트랙(Fast Track) : 중대한 질환에 대한 치료제 개발을 촉진하고, 허가심사를 단축하여 미충족 의학적 수요를 해결하기 위한 미국 FDA의 허가 특례 제도
- 획기적 치료제(Breakthrough Therapy) : 획기적 치료제 지정은 기존의 치료법에 비해 상당한 개선의 증거를 보이는 의약품의 개발과 허가심사를 신속히 하기 위한 미국 FDA의 허가특례 제도
- 신속 심사(Accelerated Approval): 의학적 미충족 수요가 높은 중대한 질환에 대한 치료제의 허가까지의 시간을 단축하기 위하여 임상적 유효성 평가변수 (clinical endpoint, 예: 암환자의 생존) 대신 대리 평가변수 (surrogate endpoint, 예: 암종의 크기 축소)에 근거해 신약을 허가할 수 있도록 미국 FDA가 마련한 규정
- 우선심사(Priority Review) : 의약품이 허가된다면 기존의 의약품 대비, 중대한 질병의 치료, 진단, 예방에 있어 그 효능이나 안전성을 현저히 개선할 것으로 생각되는 의약품에 대해, 미국 FDA가 신약 허가 신청 후 6개월 이내에 신청에 대한 결정을 내려 주고자 하는 허가 특례 제도의 일부

2019년 미국 FDA 승인 신약 리스트

승인된 신약 리스트를 정리하면 다음과 같으며, 2019년에 제약사로는 노바티스가 5건으로 가장 많은 신약 승인을 받은 것으로 나타남.

[표 2] 2019년 미국 FDA 승인 신약 리스트

성분명 (의약품명)	제약사	적응증	특징	승인 일자	Review
PrabotulinumtoxinA (Jeuveau)	Evolus	Glabellar lines associated with corrugator and/or procerus muscle activity	Acetylcholine release inhibitor and a neuromuscular blocking agent	2019.02.01	S
Caplacizumab (Cabliivi)	Sanofi/Ablynx	ATTP (acquired thrombotic thrombocytopenic purpura)	vWF(von Willebrand factor)- directed nanobody	2019.02.06	P, O
Triclabendazole (Egaten)	Novartis	Fascioliasis	Anthelmintic	2019.02.13	P, O
Brexanolone (Zulresso)	Sage Therapeutics	Postpartum depression	GABAA receptor- positive modulator	2019.03.19	P, B

성분명 (의약품명)	제약사	적응증	특징	승인 일자	Review
Solriamfetol (Sunosi)	Jazz	Excessive sleepiness due to narcolepsy or obstructive sleep apnoea	Dopamine and noradrenaline reuptake inhibitor	2019.03.20	S, O
Siponimod (Mayzent)	Novartis	Relapsing forms of multiple sclerosis	S1P(sphingosine 1-phosphate) receptor modulator	2019.03.26	S
Romosozumab (Evenity)	Amgen	Osteoporosis	Sclerostin inhibitor	2019.04.09	S
Erdafitinib (Balversa)	Janssen /J&J	Bladder cancer	FGFR(fibroblast growth factor receptor) inhibitor	2019.04.12	P, B, A
Risankizumab (Skyrizi)	AbbVie	Plaque psoriasis	IL-23 antagonist	2019.04.23	S
Tafamidis (Vyndaqel)	Pfizer/Foldrx	Heart disease caused by ATTR-CM(transthyretin amyloid cardiomyopathy)	Transthyretin stabilizer	2019.05.03	P, O, B
Alpelisib (Piqray)	Novartis	Breast cancer	PI3K(phosphoinositide 3-kinase) inhibitor	2019.05.24	P
Polatuzumab vedotin (Polivy)	Roche	Diffuse large B- cell lymphoma	CD79b- directed ADC(antibody-drug conjugate)	2019.06.10	P, O, B, A
Bremelanotide (Vyleesi)	Amag	Hypoactive sexual desire disorder	Melanocortin receptor agonist	2019.06.21	S
Selinexor (Xpovio)	Karyopharm Therapeutics	Multiple myeloma	XPO1(exportin 1) inhibitor	2019.07.03	P, O, A
Cilastatin: imipenem; relebactam (Recarbrio)	Merck & Co.	Complicated urinary tract and complicated intra- abdominal infections	A renal dehydropeptidase inhibitor, a penem antibacterial and a β - lactamase inhibitor	2019.07.16	P
Ferric maltol (Accrufer)	Shield Therapeutics	Iron deficiency anaemia	Iron replacement product	2019.07.25	S
Darolutamide (Nubeqa)	Bayer	Prostate cancer	Androgen receptor inhibitor	2019.07.30	P
Pexidartinib (Turalio)	Daiichi Sankyo	Tenosynovial giant cell tumour	CSF1R , KIT and FLT3 inhibitor	2019.08.02	P, O, B
Pitolisant (Wakix)	Harmony	Excessive sleepiness due to narcolepsy	H3(histamine 3) receptor antagonist/ inverse	2019.08.14	P, O
Pretomanid (Pretomanid)	Pfizer/Mylan	Tuberculosis	Antimycobacterial	2019.08.14	P, O
Entrectinib (Rozlytrek)	Roche	NTRK fusion- positive solid tumours and ROS1-positive NSCLC(non- small-cell lung cancer)	TRKA , TRKB, TRKC, ROS1 and ALK inhibitor	2019.08.15	P, O, B, A
Upadacitinib (Rinvoq)	AbbVie	Rheumatoid arthritis	JAK inhibitor	2019.08.16	S
Fedratinib (Inrebic)	Celgene/BMS	Myelofibrosis	JAK2 and FLT3 inhibitor	2019.08.16	P, O

성분명 (의약품명)	제약사	적응증	특징	승인 일자	Review
Lefamulin (Xenleta)	Nabriva	CABP(communit- acquired bacterial pneumonia)	Pleuromutilin antibacterial	2019.08.19	P
Gallium dotatoc Ga-68	UIHC PET Imaging Center	Localization of somatostatin receptorpositive neuroendocrine tumours	Radioactive diagnostic	2019.08.21	S, O
Istradefylline (Nourianz)	Kyowa Kirin	Parkinson disease, 'off' episodes	Adenosine receptor antagonist	2019.08.27	S
Tenapanor (Ibsrela)	Ardelyx	IBS(irritable bowel syndrome) with constipation	NHE3(sodium/hydrogen exchanger 3) inhibitor	2019.09.12	S
Trifarotene (Aklief)	Galderma	Acne vulgaris	Retinoic acid receptor agonist	2019.10.04	S
Brolucizumab (Beovu)	Novartis	Wet age- related macular degeneration	VEGF inhibitor	2019.10.07	S
Afamelanotide (Scenesse)	Clinuvel	Erythropoietic protoporphyria	Melanocortin 1 receptor agonist	2019.10.08	P, O
Fluorodopa F-18	Feinstein Institutes	Diagnosis of parkinsonian syndromes	Radioactive diagnostic	2019.10.10	S
Lasmiditan (Reyvow)	Eli Lilly	Migraine with or without aura	Serotonin (5-HT) 1F receptor agonist	2019.10.11	S
Tezacaftor, lexacaftor, ivacaftor (Trikafta)	Vertex	Most common gene mutation that causes cystic fibrosis	Two CFTR(cystic fibrosis transmembrane conductance regulator) correctors and a CFTR potentiator	2019.10.21	P, O, B
Air polymer- type A (ExEm Foam)	Giskit	Assess fallopian tube patency in women with known or suspected infertility	Ultrasound contrast agent	2019.11.07	S
Luspatercept (Reblozyl)	Celgene/BMS	Anaemia in β - thalassaemia	Erythroid maturation agent	2019.11.08	P, O
Zanubrutinib (Brukinsa)	BeiGene	Mantle cell lymphoma	BTK(Bruton's tyrosine kinase) inhibitor	2019.11.08	P, O, B, A
Cefiderocol (Fetroja)	Shionogi	Complicated urinary tract infections	Cephalosporin antibacterial	2019.11.14	P
Crizanlizumab (Adakveo)	Novartis	Painful complications of SCD(sickle cell disease)	P- selectin blocker	2019.11.15	P, O, B
Givosiran (Givlaari)	Alnylam	Acute hepatic porphyria	AL AS1(aminolevulinate synthase)-directed siRNA	2019.11.20	P, O, B
Cenobamate (Xcopri)	SK Life Science	Partial onset seizures	Unknown	2019.11.21	S
Voxelotor (Oxbryta)	Global Blood Therapeutics	SCD	Haemoglobin S polymerization inhibitor	2019.11.25	P, O, B, A
Golodirsen (Vyondys 53)	Sarepta	Duchenne muscular dystrophy	Exon 53 skipping antisense	2019.12.12	P, O, A

성분명 (의약품명)	제약사	적응증	특징	승인 일자	Review
Enfortumab vedotin (Padcev)	Astellas	Urothelial cancers	Nectin-4-directed ADC	2019.12.18	P, B, A
Brilliant Blue G (Tissueblue)	Dutch Ophthalmic Research	Staining the internal limiting membrane	Brilliant Blue G dye	2019.12.20	P, O
Lemborexant (Dayvigo)	Eisai	Insomnia	Orexin receptor antagonist	2019.12.20	S
Trastuzumab deruxtecan (Enhertu)	Daiichi Sankyo/ AstraZeneca	HER2(human epidermal growth factor receptor 2)-positive breast cancer	HER2-directed ADC	2019.12.20	P, B, A
Lumateperone (Caplyta)	Intra- Cellular Therapies	Schizophrenia	Atypical antipsychotic	2019.12.20	S
Ubrogepant (Ubrovelvy)	Allergan	Migraine with or without aura	CGRP(calcitonin gene- related peptide) receptor antagonist	2019.12.23	S

*S:표준심사(Standard Review)/P:우선심사(Priority Review)/A:신속심사(Accelerated Approval)/B:획기적 치료제(Breakthrough Therapy)/
O:희귀의약품(Orphan Drug)

출처: 2019 FDA drug approvals, Nature Reviews Drug Discovery volume 19 February (2020)

2019년 잠재적 블록버스터 신약 리스트

2019년에 승인받은 의약품 중 5개 약물은 승인을 넘어 블록버스터 성장 잠재성을 갖춘 것으로 평가되고 있으며, 연간 글로벌 매출에서 매년 약 30억 달러 이상의 매출을 올릴 것으로 예측됨.

[표 3] 2019년 잠재적 블록버스터 신약 리스트

의약품	제약사	판매 예측 (US\$ billions)
Tezacaftor, elexacaftor, ivacaftor	Vertex	4.5
Risankizumab	AbbVie	4.1
Oral semaglutide	Novo Nordisk	3.8
Upadacitinib	AbbVie	3.6
Onasemnogene abeparvovec	Novartis	2.9
Tafamidis	Pfizer	1.7
Brolucizumab	Novartis	1.6
Voxelotor	Global Blood Therapeutics	1.5
Esketamine	Johnson & Johnson	1.5
Polatuzumab vedotin	Roche	1.2

출처: 2019 FDA drug approvals, Nature Reviews Drug Discovery volume 19 February (2020)

〈참고자료〉

1. 2019 FDA drug approvals, Nature Reviews Drug Discovery volume 19 February (2020)
2. <BioNwatch(BioIN+Issue+Watch): 20-8> 생명공학정책연구센터('20. 1. 30)

Writer

안세희 정진국제특허법률사무소, 주임
전화: 02-6677-7630
e-mail: saysaysaya@jjpat.com

Reviewer

지동현 커넥트클리니컬사이언스, 대표

BIO ECONOMY BRIEF

발행 : 2020년 06월 | 발행인 : 서정선 | 발행처 : 한국바이오협회 한국바이오경제연구센터
13488 경기도 성남시 분당구 대왕판교로 700 (삼평동, 코리아바이오파크) C동 1층, www.koreabio.or.kr
* 관련 문의 : 한국바이오협회 한국바이오경제연구센터 e-mail : Koreabio1@koreabio.org



한국바이오경제연구센터
KOREA BIO-ECONOMY RESEARCH CENTER

Innovating Data Into Strategy & Business



9 772508 681005
ISSN 2508-6812