

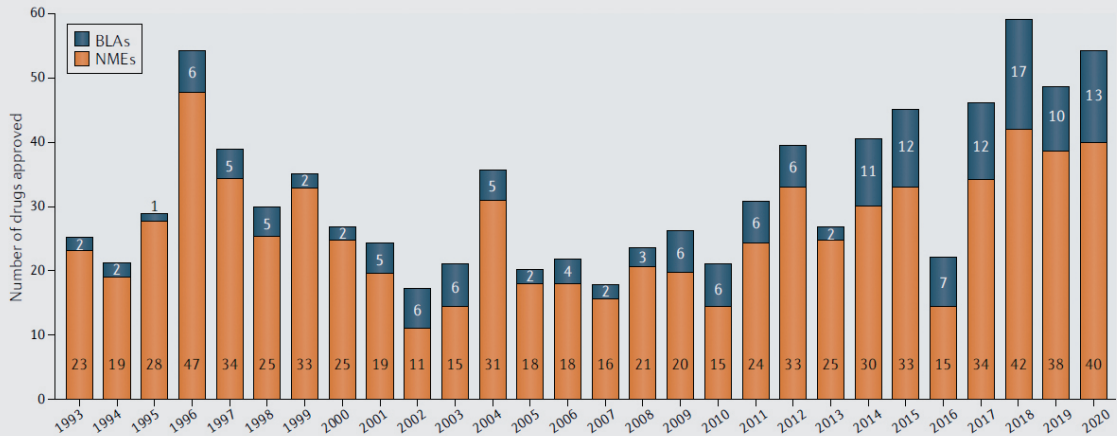
2020년 FDA 신약 승인 동향

김 준 차장 정진국제특허법률사무소
 김순남 R&D본부장 (재)국가신약개발재단 국가신약개발사업단

🏥 2020년 FDA 신약 승인현황

- COVID-19으로 인한 임상시험 중단에도 불구하고 2020년 FDA는 53개의 신약을 승인하였으며 이는 2018년 이후 두 번째로 높은 수치를 보였음.
- 최근 5년간 평균 연 46개의 신약이 승인되었으며 이는 2006년부터 2010년 평균 연 22개 신약 승인 건에 비해 2배 이상임을 확인할 수 있음

[그림 1] 신약 승인 현황



출처: Nature reviews drug discovery

- 승인된 신약 리스트는 다음과 같음

[표 1] 동물용 의료가기 비임상 및 임상시험 실시기관 지정 현황 (2021년 4월 1일 기준)

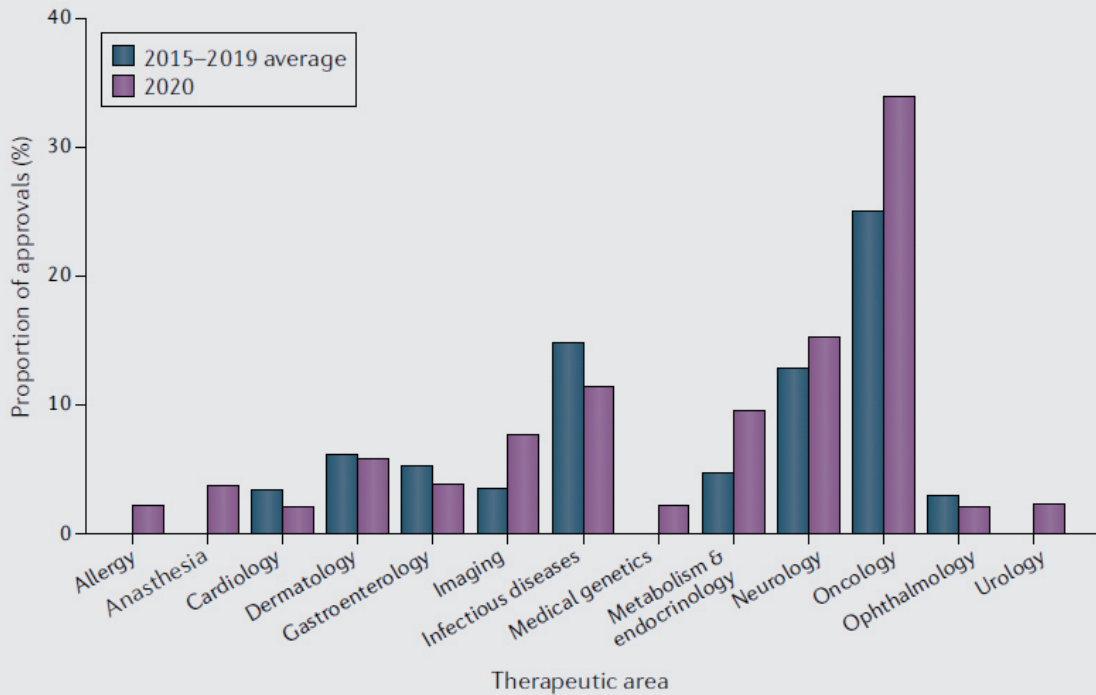
no.	약물(제품명)	기업	MoA	적응증
1	Avapritinib (Ayvakit)	Blueprint Medicines	PDGFRA, PDGFRA mutants and KIT kinase inhibitor	GIST with PDGFRA exon 18 mutations
2	Teprotumumab (Tepezza)a	Horizon Therapeutics	IGF1R-directed mAb	Thyroid eye disease
3	Tazemetostat (Tazverik)	Epizyme	EZH2 inhibitor	Epithelioid sarcoma
4	Lactitol (Pizensy)	Braintree Labs	Osmotic laxative	Chronic idiopathic constipation
5	Eptinezumab (Vyepti)a	Lundbeck	CGRP-directed mAb	Migraine
6	Bempedoic acid (Nexletol)	Esperion Therapeutics	ACL inhibitor	HeFH or atherosclerotic cardiovascular disease
7	Amisulpride (Barhemsys)	Acacia	Dopamine D2 receptor antagonist	Nausea and vomiting after surgery
8	Rimegepant (Nurtec ODT)	Biohaven	CGRP receptor antagonist	Migraine
9	Isatuximab (Sarclisa)a	Sanofi	CD38-directed mAb	Multiple myeloma
10	Osilodrostat (Isturisa)	Recordati Rare Diseases	Cortisol synthesis inhibitor	Cushing disease
11	Ozanimod (Zeposia)	Celgene/Bristol Myers Squibb	S1P receptor modulator	Multiple sclerosis
12	Selumetinib (Koselugo)	AstraZeneca	MEK1/2 kinase inhibitor	Neurofibromatosis type 1
13	Tucatinib (Tukysa)	Seagen	HER2 kinase inhibitor	HER2-positive breast cancer
14	Pemigatinib (Pemazyre)	Incyte	FGFR1-3 kinase inhibitor	Cholangiocarcinoma
15	Sacituzumab govitecan (Trodelvy)a	Immunomedics/Gilead	TROP2-directed ADC, with topoisomerase inhibitor	Triple-negative breast cancer
16	Opicapone (Ongentys)	Neurocrine	COMT inhibitor	Parkinson disease
17	Capmatinib (Tabrecta)	Novartis	MET kinase inhibitor	NSCLC
18	Selpercatinib (Retevmo)	Eli Lilly/Loxo Oncology	RET kinase inhibitor	RET fusion-positive NSCLC and thyroid cancer
19	Ripretinib (Qinlock)	Deciphera	KIT and PDGFRA kinase inhibitor	GIST
20	Fluoroestradiol F-18	Zionexa	Radioactive diagnostic	Imaging, breast cancer
21	Artesunate (Artesunate)	Amivas	Artemisinin antimalarial	Severe malaria
22	Flortaucipir F-18	Eli Lilly	Radioactive diagnostic	Imaging, tau in Alzheimer disease
23	Inebilizumab (Uplizna)a	Viela Bio	CD19-directed mAb	NMOSD
24	Lurbinectedin (Zepzelca)	Jazz	Alkylating drug	Small-cell lung cancer
25	Triheptanoin (Dojolvi)	Ultragenyx	Medium-chain triglyceride	LC-F AODs
26	Fostemsavir (Rukobia)	ViiV Healthcare	Attachment inhibitor	HIV
27	Remimazolam (Byfavo)	Acacia	Benzodiazepine	Procedural sedation
28	Cedazuridine; decitabine (Inqovi)	Otsuka	Cytidine deaminase inhibitor; nucleoside metabolic inhibitor	Myelodysplastic syndromes

29	Abametapir (Xeglyze)	Dr Reddy's	Metalloproteinase inhibitor	Head lice
30	Tafasitamab (Monjuvi)a	MorphoSys	CD19-directed mAb	DLBCL
31	Belantamab mafodotin (Blenrep) a	GlaxoSmithKline	BCMA-directed ADC, with microtubule inhibitor	Multiple myeloma
32	Nifurtimox (Lampit)	Bayer	Nitrofurantoin antiprotozoal	Chagas disease
33	Oliceridine (Olinvyk)	Trevena	Opioid receptor agonist	Acute pain
34	Risdiplam (Evrysdi)	Roche/Genentech	SMN2 splicing modifier	Spinal muscular atrophy
35	Viltolarsen (Viltepso)	Nippon Shinyaku	Dystrophin splicing modifier	Duchenne muscular dystrophy
36	Satralizumab (Enspryng)a	Roche/Genentech	IL-6R-directed mAb	NMOSD
37	Clascoterone (Winlevi)	Cassiopea SpA	Androgen receptor inhibitor	Acne vulgaris
38	Somapacitan (Sogroya)a	Novo Nordisk	Growth hormone analogue	Growth hormone deficiency
39	Copper dotatate Cu-64	Radiomedix	Radioactive diagnostic	Imaging, cancer
40	Pralsetinib (Gavreto)	Blueprint Medicines/Roche	RET kinase inhibitor	RET fusion-positive NSCLC
41	Atoltivimab; odesivimab; maftivimab (Inmazeb)a	Regeneron	Cocktail of Ebola glycoprotein-directed mAbs	Ebola virus
42	Remdesivir (Veklury)	Gilead	Nucleotide analogue RNA polymerase inhibitor	COVID-19
43	Lonafarnib (Zokinvy)	Eiger	Farnesyltransferase inhibitor	HGPS
44	Lumasiran (Oxlumo)	Alnylam	HAO1-directed siRNA	Hyperoxaluria type 1
45	Naxitamab (Danyelza)a	Y-mAbs Therapeutics	GD2-directed mAb	High-risk neuroblastoma
46	Setmelanotide (Imcivree)	Rhythm	MC4 receptor agonist	Rare genetic diseases of obesity
47	PSMA-11 Ga-68	UCLA	Radioactive diagnostic	Imaging, prostate cancer
48	Berotralstat (Orladeyo)	BioCryst	Plasma kallikrein inhibitor	Hereditary angioedema
49	Tirbanibulin (Klisyri)	Athenex	Microtubule inhibitor	Actinic keratosis
50	Margetuximab (Margenza) a	MacroGenics	HER2-directed mAb	HER2-positive breast cancer
51	Relugolix (Orgovyx)	Myovant Sciences	GnRH receptor antagonist	Prostate cancer
52	Ansuvimab (Ebanga)a	Ridgeback	Ebola glycoprotein-directed mAb	Ebola virus
53	Vibegron (Gemtesa)	Urovant Sciences	β3-adrenoceptor agonist	Overactive bladder

- 최근 몇 년간 경향을 살펴보면 항암 신약 제품이 승인 목록에서 강세를 보였는데 2020년 역시 이러한 경향성은 계속되어 18개 제품이 승인되었으며 이는 2015년부터 2019년까지의 평균 (25%)보다도 높은 수치였음.

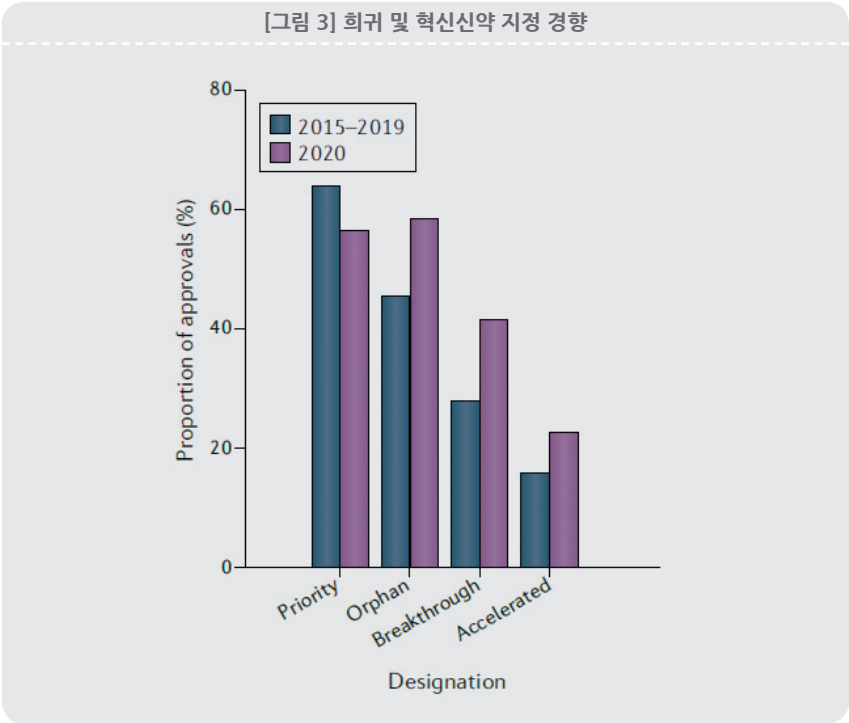
- 그 외 신경질환(8개, 15%), 전염병(6개, 11%) 순이었으며 이 두 질환 모두 5년 평균과 비슷한 수준이었음

[그림 2] 적응증별 승인 경향



출처: Nature reviews drug discovery

- 또한 희귀 및 혁신신약 측면에서 살펴보면, FDA는 31개 희귀질환(orphan) 제품(58%)을 승인했고 이는 5년 평균 46%에 비해 증가한 수치이며 혁신신약(breakthrough designation) 22개(42%)를 승인하여 이 역시 5년 평균 28%에서 증가한 수치임



출처: Nature reviews drug discovery

2020년 승인 약물 중에서 주목할 만한 점을 다음과 같이 살펴볼 수 있음

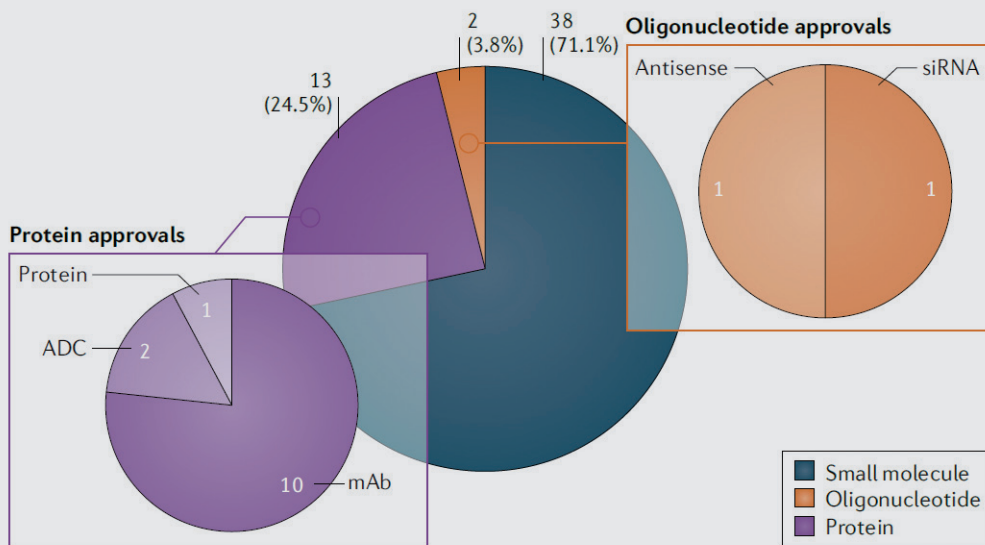
+ FDA의 신약개발 및 검토의 가속화 정책의 반영

- 앞서 살펴본 바와 같이 허가된 신약 중 31개(58%)는 희귀질환에 대한 것으로 대부분 희귀약물 법에 따른 인센티브를 받았음. 또한 전체적으로 2020년에 승인된 신약의 2/3는 적어도 하나의 신속개발 및 검토 카테고리를 거쳐 승인된 것으로 2012년 이후 가장 높은 수치임.
- 이는 FDA가 의약적 수요가 높은 분야의 신약개발에 대해서 의약품 개발자 간의 의사소통 수준을 향상시키고 신약 개발 및 검토의 가속화를 위한 정책을 적극적으로 펼치고 있음을 짐작케 함.

🏥 항체치료제의 선전

- ADCs(Antibody-drug conjugates)를 포함하여 12개의 항체기반 치료제가 승인을 받았음. 특히 2020년에 2개의 ADC가 승인받았는데 현재까지 9개의 ADC가 승인받았고 그 중에서 5개 제품이 지난 2년간 승인받을 정도로 최근들어 ADC 제품 승인이 증가하고 있음.
- 2020년 승인받은 ADC는 Immunomedics의 삼중 음성 유방암치료를 위한 TROP2 타겟으로 하는 sacituzumab govitecan과 BCMA 표적 항암제인 GlaxoSmithKline의 belantamab mafodotin으로 시장분석 전문가들에 따르면, 2026년까지 연간 매출이 각각 24억달러, 13억 달러에 이를 것으로 예상됨

[그림 4] 승인 약물 유형별 분류



출처: Nature reviews drug discovery

Roche/Genentech의 Risdiplam

- small molecule 제품 중 가장 주목할 만한 약물은 Roche와 Genentech의 Risdiplam으로 RNA 표적에 결합하는 척추근위축증(Spinal muscular atrophy, SMA) 치료제임.
- SMA는 자율근육운동을 통제하는 신경계 일부에 영향을 주는 유전적 질환으로 척추에 있는 신경세포가 점진적으로 상실되게 되는데 이는 생존운동뉴런(Survival motor neuron, SMN) 단백질을 코딩하는 SMN1의 결함으로 인해 발생하게 됨. 2016년 FDA는 SMA에 대한 최초의 치료요법으로 Biogen과 Ionis의 nusinersen을 승인하였는데 이 치료제의 경우 SMN2로부터 pre-mRNA의 스플라이싱을 조절하여 엑손 7의 포함을 촉진하여 기능성 SMN 단백질의 생산을 증가시킴.
- Genentech의 Risdiplam은 SMN2 pre-mRNA의 스플라이싱을 조절하여 전장 SMN 단백질 수준을 높이는 small molecule 약물로, nusinersen은 클리닉에서 척추 강내로 투여되는 반면, risdiplam은 경구로 사용 가능하며 집에서 투여할 수 있다는 장점이 있음.
- 전문가들에 따르면 Risdiplam은 2026년까지 연간 매출이 20억 달러에 이를 것으로 예상하고 있음.

COVID-19 치료제 첫 번째 승인

- COVID-19에 대한 첫 번째 승인된 항바이러스제로 길리어드사의 렘데시비르가 있음. 팬데믹 상황에서 매우 신속한 검토를 통해 FDA가 치료제를 승인하였으며, 이는 신약의 개발과 승인절차가 얼마나 효율적으로 조정될 수 있는지 보여주는 사례로 이후 이러한 신속성은 COVID-19 백신에서도 적용되고 있음

주요 블록버스터들의 예상 매출 추이

- Evaluate Pharma에 따르면, 11개 블록버스터 제품들의 2026년까지의 예상 매출 추이를 살펴본 결과, 20억 달러 이상인 제품이 4개 정도 차지하고 있고 있음. 그러나 Boston Consulting Group 분석에 따르면, 2020년 신규 승인된 약물의 전반적인 재정전망을 그리 높게 평가하지 않았는데 2020년 신규 승인 약물의 평균 최고 판매량은 7억 달러 규모로 4억 달러 규모의 중앙값을 보였음.

약물	기업	2026 forecast(US\$ billions)
Teprotumumab	Horizon Therapeutics	3.4
Ozanimod	Bristol Myers Squibb	2.5
Sacituzumab govitecan	Immugenics/Gilead	2.4
Risdiplam	Roche	2
Rimegepant	Biohaven Pharmaceuticals	1.6
Ripretinib	Deciphera Pharmaceuticals	1.6
Lurbinededin	Jazz Pharmaceuticals	1.5
Belantamab mafodotin	GlaxoSmithKline	1.3
Tucatinib	Seagen	1.2
Avapritinib	Blueprint Medicines	1
Tazemetostat	Epizyme	1

< 참고자료 >

1. Nature reviews drug discovery, 2020 FDA drug approvals(2021)

Writer

김 준

정진국제특허법률사무소, 차장
e-mail: kj1374@jjpat.com

Reviewer

김순남

(재)국가신약개발재단 국가신약개발사업단,
R&D본부장

BIO ECONOMY BRIEF

발행 : 2021년 6월 | 발행인 : 고한승 | 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