

## 2022년 EMA 의약품 승인 권고 현황

국가신약개발사업단 기획팀 진주연 연구원

### OVERVIEW

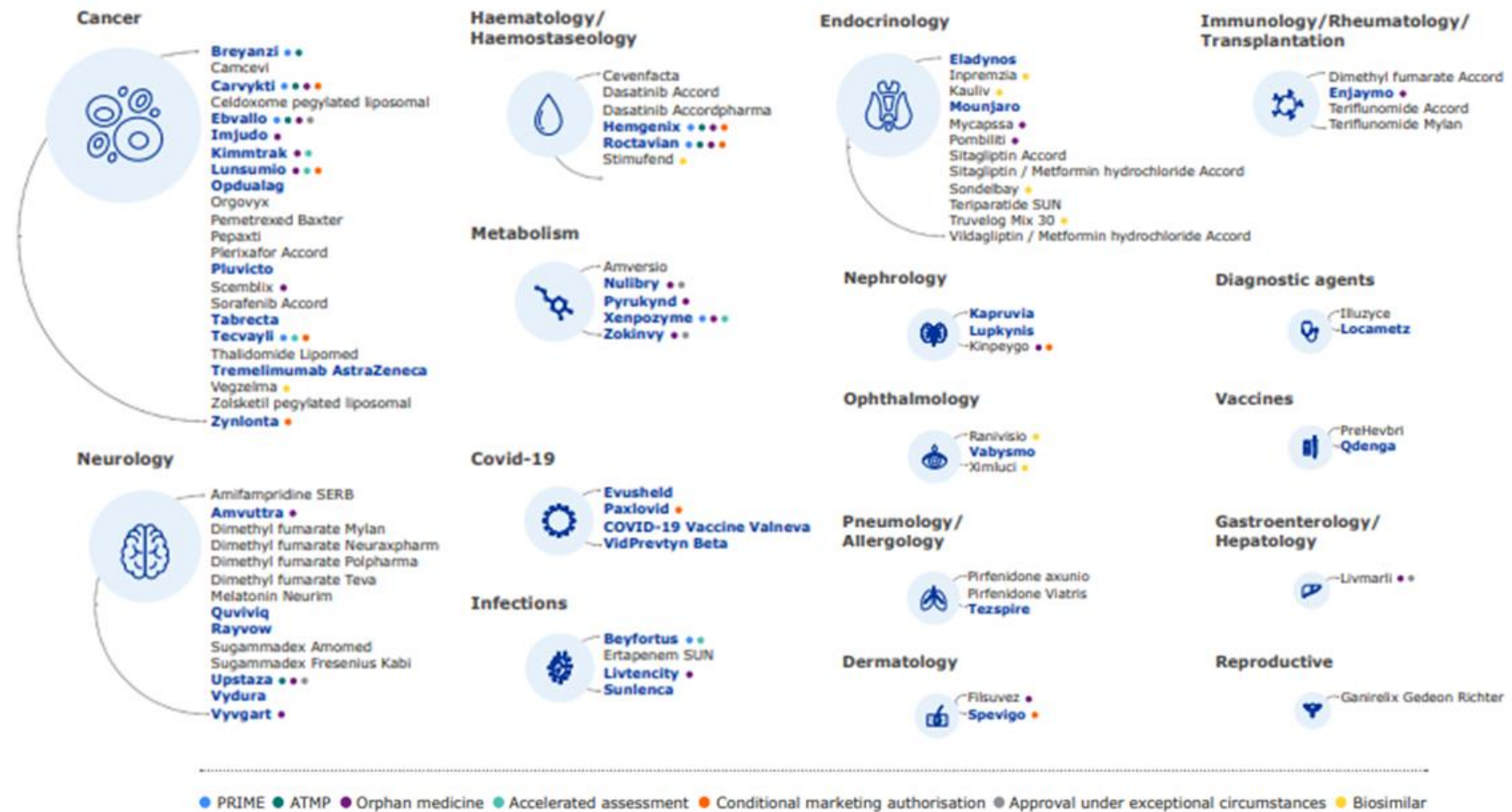
지난 2월 유럽의약품청(EMA)은 '2022 Human Medicine Highlights'를 통해 2022년 한 해 동안 진행한 심사 결과를 공개 하였다. 2022년 EMA가 판매 승인을 권고하는 긍정적인 의견(Positive opinions)을 낸 의약품은 총 89건이며, 이 중 41건은 새로운 유효 성분(New active substances)이다. 부정적인 의견(Negative opinions)을 받은 의약품은 3건, 반려된 의약품(Withdrawn applications)은 16건이다.

긍정적인 의견을 받은 의약품 중에는 PRIME(Priority Medicines) 8건, 첨단치료 의료제품(Advanced therapy medicinal products) 6건, 희귀의약품(Orphan medicines) 21건, 신속심사(Accelerated assessments) 5건, 조건부허가(Conditional marketing authorisations) 9건, 예외적 상황의 품목허가(Approvals under exceptional circumstances) 5건 , 바이오시밀러(Biosimilars) 8건이 포함된다 (그림 1, 2).



[그림 1] 2022 EMA 승인 현황 요약

## MEDICINES RECOMMENDED FOR APPROVAL



Medicines that contain a new active substance are highlighted in bold

[그림 2] 2022년도 EMA 승인 권고 의약품 내역, Source: Human Medicine Highlights 2022

## NEW ACTIVE SUBSTANCES

41건의 신규 유효 성분 의약품은 Therapeutic area별로 Cancer 12건(29%), 다음으로 Neurology 6건(15%), Metabolism과 Covid-19가 각각 4건(10%)으로 구분되고, CAR-T, mAb/BsAb, Radioligand conjugate, Small molecule, Cell&Gene Therapy 등 질환별로 다양한 모달리티를 포함 하였다. 한편, EMA가 권고한 신약의 83%는 2022년 FDA가 승인한 신약(Carvykti, Imjudo, Kimmtrak, Lunsumio, Opdualag, Pluvicto, Tecvayli, Amvuttra, Quviviq, Mounjaro 등)으로 확인된다 (표 1).

<표 1> 41 New Active Substances

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Diffuse large B-cell lymphoma, primary mediastinal large B-cell lymphoma, follicular lymphoma grade 3B	Breyanzi	Lisocabtagene maraceucel	CD19 CAR-T	BMS	o
2		Multiple Myeloma	Carvykti	Ciltacabtagene autoleucel	BCMA CAR-T	Janssen	o
3		Lymphoproliferative Disorders	Ebvallo	Tabelecleucel	T-cell immunotherapy	Pierre Fabre Medicament	x
4		Carcinoma, Hepatocellular	Imjudo	Tremelimumab	CTLA-4 monoclonal Ab	AstraZeneca	o
5		Uveal melanoma	Kimmtrak	Tebentafusp	gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	Immunocore	o
6		Lymphoma, Follicular	Lunsumio	Mosunetuzumab	CD20xCD3 bispecific antibody	Roche	o
7		Melanoma	Opdualag	Relatlimab+nivolumab	LAG3-targeted mAb+PD1-targeted mAb	Bristol-Myers Squibb	o

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
8		Prostatic Neoplasms, Castration-Resistant	Pluvicto	Lutetium Lu-177 vipivotide tetraxetan	PSMA-binding radioligand therapeutic agent	Novartis	o
9		Carcinoma, Non-Small-Cell Lung	Tabrecta	Capmatinib	MET Kinase inhibitor	Novartis	o
10		Multiple Myeloma	Tecvayli	Teclistamab	BCMAxCD3 bispecific antibody	Janssen	o
11		Carcinoma, Non-Small-Cell Lung	Tremelimumab AstraZeneca	Tremelimumab	CTLA4-targeted mAb	AstraZeneca	o
12		diffuse large B-cell lymphoma, high-grade B-cell lymphoma	Zynlonta	Loncastuximab tesirine	CD19 target ADC	ADC Therapeutics	o
13	Neurology	Amyloid Neuropathies, Familial	Amvuttra	Vutrisiran	TTR-targeted siRNA	Alnylam	o
14		Sleep Initiation and Maintenance Disorders	Quviviq	Daridorexant	Orexin receptor antagonist	Idorsia Pharmaceuticals	o
15		Migraine Disorders	Rayvow	Lasmiditan	5-HT1F receptor agonist	Eli Lilly	o
16		Amino Acid Metabolism, Inborn Errors	Upstaza	Eladocagene exuparvovec	AADC AAV gene therapy	PTC Therapeutics	o
17		Migraine Disorders	Vydura	Rimegepant	CGRP receptor antagonist	Pfizer	o
18		Myasthenia Gravis	Vyvgart	Ffgartigimod alfa	Fc receptor (FcRn) blocker	Argenx	o
19	Endocrinology	Osteoporosis	Eladynos	Abaloparatide	Parathyroid hormone-related protein	Radius Health	o
20		Diabetes Mellitus, Type 2	Mounjaro	Tirzepatide	GIP receptor and GLP1 receptor agonist	Eli Lilly	o
21	Haematology/ Haemostaseology	Haemophilia B	Hemgenix	Etranacogene dezeparvovec	Factor IX-encoding AAV gene therapy	CSL Behring	o

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
22		Haemophilia A	Roctavian	Valoctocogene roxaparvovec	Factor VIII-encoding AAV gene therapy	BioMarin Pharmaceutical	o
23	Metabolism	Metal Metabolism, Inborn Errors	Nulibry	Fosdenopterin	Synthetic form of cyclic pyranopterin monophosphate	Zydus France	o
24		Genetic Diseases, Inborn Anemia, Hemolytic	Pyrukynd	Mitapivat	Pyruvate kinase activator	Agios	o
25		Acid sphingomyelinase deficiency type A/B or type B	Xenpozyme	Olipudase alfa	Acid sphingomyelinase ERT	Sanofi Genzyme	o
26		Progeria, Laminopathies	Zokinvy	Lonafarnib	farnesyltransferase inhibitor	Eiger Biopharmaceuticals	o
27	Covid-19	COVID-19 virus infection	Evusheld	Tixagevimab cilgavimab	two mAbs, targeted surface spike protein of SARS-CoV-2	AstraZeneca	x
28		COVID-19 virus infection	Paxlovid	Nirmatrelvir ritonavir	SARS-CoV-2 main protease inhibitor HIV-1 protease inhibitor and strong CYP3A inhibitor	Pfizer Europe	o
29		COVID-19 virus infection	COVID-19 Vaccine Valneva	SARS-CoV-2 virus (inactivated) Wuhan strain hCoV-19	COVID-19 vaccine (inactivated, adjuvanted, adsorbed)	Valneva Austria	x
30		COVID-19 virus infection	VidPrevtyn Beta	SARS-CoV-2 prefusion Spike delta TM protein, recombinant	COVID-19 Vaccine (recombinant, adjuvanted)	Sanofi Pasteur	x
31	Infections	lower respiratory tract disease caused by RSV	Beyfortus	Nirsevimab	Recombinant mAb activity against RSV	AstraZeneca	x

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
32		Cytomegalovirus Infections	Livtency	Maribavir	Cytomegalovirus pUL97 kinase inhibitor	Takeda Pharmaceuticals	o
33		HIV Infections	Sunlenca	Lenacapavir sodium	HIV-1 virus capsid inhibitors	Gilead Sciences	o
34	<b>Immunology/ Rheumatology/ Transplantation</b>	Hemolysis Anemia, Hemolytic, Autoimmune	Enjaymo	Sutimlimab	mAB attaches to C1s	Sanofi Genzyme	o
35	<b>Nephrology</b>	difelikefalin	Kapruvia	Difelikefalin	Peripheral kappa opioid receptor agonist	vifor pharma	x
36		Lupus Nephritis	Lupkynis	Voclosporin	calcineurin-inhibitor immunosuppressant	Otsuka Pharmaceutical	o
37	<b>Ophthalmology</b>	Wet Macular Degeneration Macular Edema Diabetes Complications	Vabysmo	Faricimab	bispecific IgG1 antibody	Roche	o
38	<b>Pneumology/ Allergology</b>	Asthma	Tezspire	Tezepelumab	monoclonal IgG2λ thymic stromal lymphopietin (TSLP)-blocking antibody	AstraZeneca	o
39	<b>Dermatology</b>	Psoriasis	Spevigo	Spesolimab	IL-36 signaling antagonist	Boehringer Ingelheim	o
40	<b>Diagnostic agents</b>	Radionuclide Imaging	Locametz	Gozetotide	PSMA-binding radioligand therapeutic agent	Novartis	o
41	<b>Vaccines</b>	Dengue	Qdenga	Dengue tetravalent vaccine	dengue tetravalent vaccine (live, attenuated)	Takeda Pharmaceutical	x

## IMPORTANT CONTRIBUTIONS TO PUBLIC HEALTH

아래 표에서는 2022년에 승인된 공중보건에 기여한 주요 의약품들을 소개한다 (표 2). 암 분야에서 4건(Carvykti, Ebvallo, Kimmtrak, Breyanzi), 혈액학 분야에서 유전자 치료제 2건(Hemgenix, Roctavian)을 포함하여 총 11건이 있다.

<표 2> 11 Important contributions to public health

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Multiple Myeloma	Carvykti	ciltacabtagene autoleucel	BCMA CAR-T	Janssen	o
2		Lymphoproliferative Disorders	Ebvallo	Tabelecleucel	T-cell immunotherapy	Pierre Fabre Medicament	x
3		Uveal melanoma	Kimmtrak	Tebentafusp	Gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	Immunocore	o
4		diffuse large B-cell lymphoma, primary mediastinal large B-cell lymphoma, follicular lymphoma grade 3B	Breyanzi	Lisocabtagene maraceucel	CD19 CAR-T	BMS	O
5	Haematology/ Haemostaseology	Haemophilia B	Hemgenix	Etranacogene dezeparovec	Factor IX-encoding AAV gene therapy	CSL Behring	O
6		Haemophilia A	Roctavian	Valoctocogene roxaparovec	Factor VIII-encoding AAV gene therapy	BioMarin Pharmaceutical	o
7	Endocrinology	Diabetes Mellitus, Type 2	Mounjaro	Tirzepatide	GIP receptor and GLP1 receptor agonist	Eli Lilly	o

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
8	Metabolism	Acid sphingomyelinase deficiency type A/B or type B	Xenpozyme	Olipudase alfa	Acid sphingomyelinase ERT	Sanofi Genzyme	o
9		Progeria, Laminopathies	Zokinvy	Lonafarnib	Farnesyltransferase inhibitor	Eiger Biopharmaceuticals	o
10	Neurology	Amino Acid Metabolism, Inborn Errors	Upstaza	Eladocagene exuparvovec	AADC AAV gene therapy	PTC Therapeutics	o
11	Infections	lower respiratory tract disease caused by RSV	Beyfortus	Nirsevimab	Recombinant mAb activity against RSV	AstraZeneca	x



## EARLY ACCESS TO MEDICINES THAT ADDRESS PUBLIC HEALTH NEEDS

### 1. Accelerated assessments

다섯 개 의약품은 가속심사(EMA 의 과학위원회에서 최대 150 일 이내에 적격 의약품을 더 빠르게 평가, 미충족 의학 수요를 해결하기 위함)를 받았고, 항암분야에서 3 건(Kimmtrak, Lunsumio, Tecvayli), 감염성 질환(Beyfortus)과 대사질환(Xenpozyme)에서 각 1 건이 포함 되었다 (표 3).

<표 3> 5 Accelerated assessments

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Uveal melanoma	Kimmtrak	Tebentafusp	gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	Immunocore	o
2		Lymphoma, Follicular	Lunsumio	Mosunetuzumab	CD20xCD3 bispecific antibody	Roche	o
3		Multiple Myeloma	Tecvayli	Teclistamab	BCMAxCD3 bispecific antibody	Janssen	o
4	Infections	lower respiratory tract disease caused by RSV	Beyfortus	Nirsevimab	Recombinant mAb activity against RSV	AstraZeneca	x
5	Metabolism	Acid sphingomyelinase deficiency type A/B or type B	Xenpozyme	Olipudase alfa	Acid sphingomyelinase ERT	Sanofi Genzyme	o

## 2. Conditional marketing authorisations

9개의 의약품이 유럽연합(EU)에서 환자에게 신약에 대한 조기 접근을 제공할 수 있는 조건부 시판 승인을 받았다. 조건부 승인은 일반적으로 요구되는 것보다 불완전한 임상 데이터를 기반으로 조기 승인을 허용하며, 2022년에는 아래의 9개 항목을 허가 하였다 (표 4). 9개 항목은 질환별로 Cancer 4개(Carvykti, Lunsumio, Tecvayli, Zynlonta), Covid-19 1개(Paxlovid), Dermatology 1개(Spevigo), Haematology 2개(Hemgenix, Roctavian), Immunology 1개(Kinpeyho) 의약품을 포함한다.

<표 4> 9 Conditional marketing authorisations

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Multiple Myeloma	Carvykti	ciltacabtagene autoleucel	BCMA CAR-T	Janssen	o
2		Lymphoma, Follicular	Lunsumio	Mosunetuzumab	CD20xCD3 bispecific antibody	Roche	o
3		Multiple Myeloma	Tecvayli	Teclistamab	BCMAxCD3 bispecific antibody	Janssen	o
4		diffuse large B-cell lymphoma, high-grade B-cell lymphoma	Zynlonta	loncastuximab tesirine	CD19 target ADC	ADC Therapeutics	o
5	Covid-19	COVID-19 virus infection	Paxlovid	nirmatrelvir ritonavir	SARS-CoV-2 main protease inhibitor HIV-1 protease inhibitor and strong CYP3A inhibitor	Pfizer Europe	o
6	Dermatology	Psoriasis	Spevigo	Spesolimab	IL-36 signaling antagonist	Boehringer Ingelheim	o
7	Haematology/ Haemostaseology	Haemophilia B	Hemgenix	Etranacogene dezeparovec	Factor IX-encoding AAV gene therapy	CSL Behring	o
8		Haemophilia A	Roctavian	Valoctocogene roxaparovec	Factor VIII-encoding AAV gene therapy	BioMarin Pharmaceutical	o
9	Immunology /Rheumatology /Transplantation	Glomerulonephritis, IGA	Kinpeygo	budesonide, micronised	IgA nephropathy	STADA	x

### 3. Approval under exceptional circumstances

예외적인 상황으로 5 개의 의약품(Ebvallo, Livmarli, Zokinvy, Nulibry, Upstaza)이 승인되었다. 질병에 걸린 환자가 극소수이기 때문에 포괄적인 데이터를 얻을 수 없거나, 의약품의 효능 및 안전성에 대한 완전한 정보를 수집할 수 없어 표준 승인에 따라 승인될 수 없는 의약품이 해당되며, 각 의약품의 정보는 아래와 같다 (표 5).

<표 5> 5 Approval under exceptional circumstances

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Lymphoproliferative Disorders	Ebvallo	Tabelecleucel	T-cell immunotherapy	Pierre Fabre Medicament	x
2	Dermatology	Alagille Syndrome	Livmarli	Maralixibat chloride	ileal bile acid transporter inhibitor	Mirum Pharmaceuticals	o
3	Metabolism	Progeria, Laminopathies	Zokinvy	Lonafarnib	farnesyltransferase inhibitor	Eiger Biopharmaceuticals	o
4		Metal Metabolism, Inborn Errors	Nulibry	fosdenopterin	Synthetic form of cyclic pyranopterin monophosphate	Zydus France	o
5	Neurology	Amino Acid Metabolism, Inborn Errors	Upstaza	Eladocogene exuparovec	AADC AAV gene therapy	PTC Therapeutics	o

#### 4. Priority medicines (PRIME)

EMA는 데이터 생성의 최적화 및 신속한 평가를 통한 환자의 미충족 의료 수요 충족을 목표로, 환자들이 유망한 의약품의 혜택을 가능한 빨리 받을 수 있도록 PRIME 제도를 지원한다. 2022년 권장된 8개의 주요 의약품(Breyanzi, Carvykti, Ebvallo, Tecvayli, Hemgenix, Roctavian, Xenpozyme, Beyfortus)은 CAR-T 2건, 이중항체 1건, 유전자 치료제 2건 등의 다양한 모달리티를 포함하며 그 목록은 아래와 같다 (표 6).

<표 6> 8 Priority medicines

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Diffuse large B-cell lymphoma, primary mediastinal large B-cell lymphoma, follicular lymphoma grade 3B	Breyanzi	Lisocabtagene maraceucel	CD19 CAR-T	BMS	o
2		Multiple Myeloma	Carvykti	Ciltacabtagene autoleucel	BCMA CAR-T	Janssen	o
3		Lymphoproliferative Disorders	Ebvallo	Tabelecleucel	T-cell immunotherapy	Pierre Fabre Medicament	x
4		Multiple Myeloma	Tecvayli	Teclistamab	BCMAxCD3 bispecific antibody	Janssen	o
5	Haematology/ Haemostaseology	Haemophilia B	Hemgenix	Etranacogene dezeparovec	Factor IX-encoding AAV gene therapy	CSL Behring	o
6		Haemophilia A	Roctavian	Valoctocogene roxaparovec	Factor VIII-encoding AAV gene therapy	BioMarin Pharmaceutical	o
7	Metabolism	Acid sphingomyelinase deficiency type A/B or type B	Xenpozyme	Olipudase alfa	Acid sphingomyelinase ERT	Sanofi Genzyme	o
8	Infections	Lower respiratory tract disease caused by RSV	Beyfortus	Nirsevimab	Recombinant mAb activity against RSV	AstraZeneca	x

## MEDICINES FOR RARE DISEASES

희귀 의약품을 위한 EU 프레임워크는 연구자에게 인센티브를 제공함으로써 희귀 질환 환자를 위한 의약품 개발 및 마케팅을 장려하는 것을 목표로 한다. 희귀 의약품의 지정은 승인 당시 EMA의 Orphan Medicinal Products (COMP) 위원회에서 검토하여 현재까지 이용 가능한 정보가 의약품의 희귀성을 유지하고 약 10년 간의 시장 독점성을 부여 할 수 있는지 여부를 검토한다. 2022년 희귀 의약품으로 지정된 7개의 의약품 목록(Carvykti, Ebvallo, Kimmtrak, Hemgenix, Roctavian, Xenpozyme, Zokinvy)은 아래와 같다 (표 7).

<표 7> 7 Medicines for rare diseases

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명	FDA 승인
1	Cancer	Multiple Myeloma	Carvykti	Ciltacabtagene autoleucl	BCMA CAR-T	Janssen	o
2		Lymphoproliferative Disorders	Ebvallo	Tabelecleucel	T-cell immunotherapy	Pierre Fabre Medicament	x
3		Uveal melanoma	Kimmtrak	Tebentafusp	Gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	Immunocore	o
4	Haematology/ Haemostaseology	Haemophilia B	Hemgenix	Etranacogene dezeparvovec	Factor IX-encoding AAV gene therapy	CSL Behring	o
5		Haemophilia A	Roctavian	Valoctocogene roxaparvovec	Factor VIII-encoding AAV gene therapy	BioMarin Pharmaceutical	o
6	Metabolism	Acid sphingomyelinase deficiency type A/B or type B	Xenpozyme	Olipudase alfa	Acid sphingomyelinase ERT	Sanofi Genzyme	o
7		Progeria, Laminopathies	Zokinvy	Lonafarnib	Farnesyltransferase inhibitor	Eiger Biopharmaceuticals	o

## NEGATIVE OPINIONS

인체용 의약품 사용 자문위원회(Medical Products for Human, CHMP)는 2022년 3개의 의약품(Hervelous, Omblastys, Tuznue)에 대한 부정적인 의견(Negative opinions)을 제출했다. 위원회는 긍정적인 혜택 대비 위험의 균형에 대한 합의에 도달 할 수 없으면 약품 승인에 대한 부정적인 의견을 발표하고, 그 근거를 상세히 설명한다. 신청자는 부정적인 의견을 받은 후 15일 이내에 위원회에 재검토를 요청할 권리가 있다. 부정적인 의견을 받은 3개 의약품의 목록은 아래와 같다 (표 8).

<표 8> 3 Negative opinions

연번	Therapeutic Area	적응증	제품명	성분명	모달리티	회사명
1	Cancer	breast cancer, gastric cancer.	Hervelous	Trastuzumab	HER2 mAb	Prestige Biopharma
2		Neuroblastoma	Omblastys	Iodine (131I) omburtamab	CD276 mAb	Y-Mabs Therapeutics
3		breast cancer, gastric cancer.	Tuznue	Trastuzumab	HER2 mAb	Prestige Biopharma

<문의>

국가신약개발사업단 기획팀 진주연 연구원([jjjin@kddf.org](mailto:jjjin@kddf.org))

#### Reference

EMA, Human Medicines Highlights 2022

<https://www.ema.europa.eu/>