KDDF 국가신약개발사업단
Korea Drug Development Fund

2022년 FDA 승인 현황

국가신약개발사업단 기획팀
진주연 연구원

목 차

I. 2022년 FDA 승인 신약

I-I. 개요

I-II. 연도별 FDA 승인 신약 건수(1993~2022)

I-III. FDA CDER 승인 내역

I-IV. FDA CBER 승인 내역

II. 분류기준별 분석

II-I. 승인유형별 분석

II-II. 적응증별 분석

II-III. 모달리티별 분석

III. 세부 모달리티별 분석

III-I. 항체의약품: 단일항체(mAb), 이중항체(BsAb), 항체-약물 접합체(ADC)

III-II. 세포유전자치료제(CGT)

III-III. 방사성동위원소접합체(Radioisotope conjugate)

IV.참고문헌

KDDF 국가신약개발사업단
Korea Drug Development Fund

I. 2022년 FDA 승인 신약

I-I. 개요

I-II. 연도별 FDA 승인 신약 건수(1993~2022)

I-III. FDA CDER 승인 내역

I-IV. FDA CBER 승인 내역

I-I. 개요

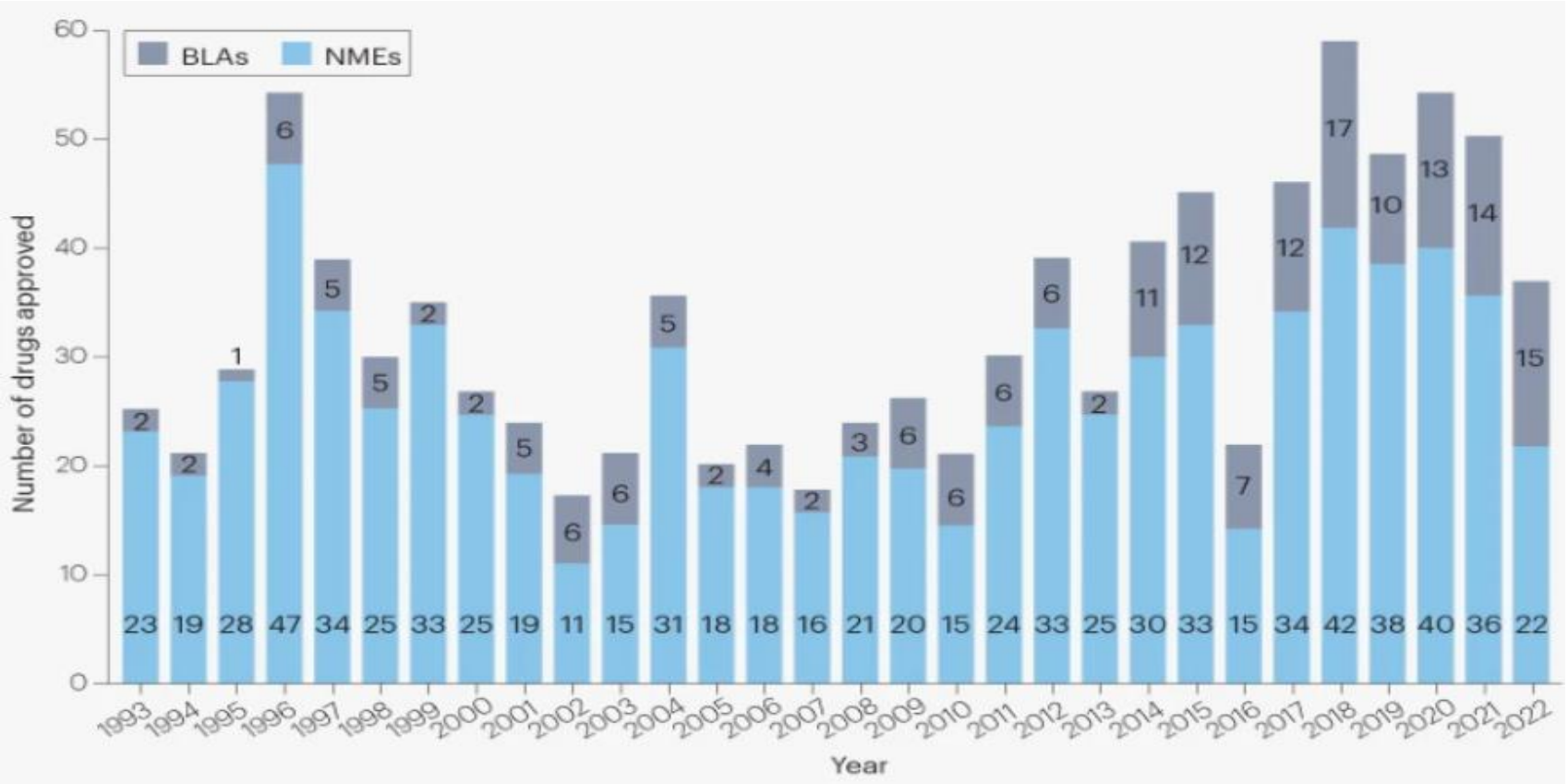
- 2022년 FDA가 승인한 신약은 **총 37개** (CDER 승인기준, 백신과 유전자/세포치료제 미포함)

  ※생물의약품평가연구센터(Center for Biologics Evaluation and Research, CBER)에서 승인한 신약은 8개

- 앞선 5년간('17~'21) FDA 승인(평균 51건)대비 2022년에는 **신약 승인**이 **저조함**

- 질환별로는 **Oncology**가 **주를 이루었으며, 세포유전자치료제**를 비롯한 **새로운 모달리티**의 **약물들(이중항체, ADC, 방사성동위원소결합체 등)**이 승인됨

I-II. 연도별 FDA 승인 신약 건수(1993~2022)



*백신 및 유전자 요법을 포함하여 CBER에서 승인한 제품은 포함되지 않음
** BLAs: Biological License Applications(생물의약품 품목허가), NMEs: New Molecular Entities(신규물질 품목허가)

※ 출처: A Mullard, "2022 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2023.

I-III. FDA CDER 승인 내역1

연번	성분명	제품명	제약사	작용기전	적응증
1	Daridorexant	Quviviq	Idorsia	Orexin receptor antagonist	불면증
2	Abrocitinib	Cibinqo	Pfizer	JAK inhibitor	아토피 피부염
3	Tebentafusp	Kimmtrak	Immunocore	gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	포도막 흑색종
4	Faricimab	Vabysmo	Roche/Genentech	VEGFxANG2 bispecific antibody	노인성 황반변성, 당뇨병성 황반부종
5	Sutimlimab	Enjaymo	Vioverativ	C1s-targeted mAb	한랭응집소증
6	Mitapivat	Pyrukynd	Agios	Pyruvate kinase activator	용혈성 빈혈
7	Pacritinib	Vonjo	CTI Biopharma	JAK2 inhibitor	골수 섬유화증
8	Ganaxolone	Ztalmy	Marinus	GABAA receptor positive allosteric modulator	CDKL5 결핍장애로 인한 발작
9	Relatlimab+nivolumab	Opdualag	BMS	LAG3-targeted mAb+PD1-targeted mAb	흑색종
10	Lutetium Lu-177 vipivotide tetraxetan	Pluvicto	Novatis	PSMA-binding radioligand therapeutic agent	PSMA 양성 전립선암
11	Oteseconazole	Vivjoa	Novatis	Azole antifungal	외음부 칸디다증
12	Mavacamten	Camzyos	BMS	Cardiac myosin inhibitor	폐쇄성 비후성 심근병증
13	Vonoprazan+amoxicillin+clarithromycin	Voquezna triple pak	Phathom	Potassium-competitive acid blocker+penicillin class antibacterial+macrolide antimicrobial	헬리코박터 파일로리
14	Tirzepatide	Mounjaro	Eli Lilly	GIP receptor and GLP1 receptor agonist	제2형 당뇨병
15	Tapinarof	Vtama	Dermavant	Aryl hydrocarbon receptor agonist	건선
16	Vutrisiran	Amvuttra	Alnylam	TTR-targeted siRNA	아밀로이드 트랜스티레틴 아밀로이드증 다발신경병증
17	Olipudase alfa	Xenpozyme	Sanofi/Genzyme	Acid sphingomyelinase ERT	산성 스핑고미엘린분해효소 결핍증(ASMD)
18	Spesolimab	Spevigo	Boehringer Ingelheim	IL-36R-targeted mAb	전신 농포성 건선
19	Daxibotulinumtoxina	Daxxify	Revance	Cotulinum toxin	미간 주름 개선
20	Deucravacitinib	Sotyktu	BMS	TYK2 inhibiotr	건선

※ 출처: A Mullard, “2022 FDA approvals”, Nature reviews drug discovery, 2023.

I-III. FDA CDER 승인 내역2

연번	성분명	제품명	제약사	작용기전	적응증
21	Eflapegrastim	Rolvedon	Spectrum	Leukocyte growth factor	골수억제성 항암제를 투여받는 비골수성 악성종양의 호중구감소증
22	Terlipressin	Terlivaz	Mallinckrodt	Vasopressin receptor agonist	말린크로트 간신증후군
23	Gadopiclenol	Elucirem	Guerbet	Gadolinium-based contrast agent	비정상적 혈관 병변
24	Omidenepag isopropyl	Omlonti	Santen	Prostaglandin E2 receptor agonist	개방각 녹내장, 고안압증의 안압강화
25	Sodium phenylbutyrate +taurursodiol	Relyvrio	Amylyx	Mechanism unknown	근위축성 측색경화증
26	Futibatinib	Lytgobi	Taiho Oncology	FGFR kinase inhibitor	FGFR2 유전자 융합 또는 재배열을 보이는 간내담관암
27	Tremelimumab	Imjudo	AstraZeneca	CTLA4-targeted mAb	간세포암
28	Teclistamab	Tecvayli	J&J	BCMAxCD3 bispecific antibody	다발성 골수종
29	Mirvetuximab soravtansine	Elahere	Immunogen	FRα-targeted ADC	난소암
30	Teplizumab	Tzield	Provention Bio	CD3-targeted antibody	제1형 당뇨병 발병 지연제
31	Olutasidenib	Rezlidhia	Rigel/Forma	IDH1 inhibitor	IDH1 변이 급성 골수성 백혈병
32	Adagrasib	Krazati	Mirati	KRAS-G12C inhibitor	KRASG12C 변이 비소세포폐암
33	Lenacapavir	Sunlenca	Gilead	HIV-1 capsid inhibitor	HIV-1
34	Mosunetuzumab	Lunsumio	Roche/Genentech	CD20xCD3 bispecific antibody	여포성 림프종
35	Xe 129 hyperpolarized	Xenoview	Polarean	Hyperpolarized contrast agent	폐 환기능력 평가
36	Ublituximab	Briumvi	TG Therapeutics	CD20-targeted mAb	재발성 다발성 경화증
37	Anacaulase	Nexobrid	Mediwound	Proteolytic enzymes from pineapple plants	중증 열화상 가피제거

※ 출처: A Mullard, “2022 FDA approvals”, Nature reviews drug discovery, 2023.

I-IV. FDA CBER 승인 내역

연번	성분명	제품명	제약사	작용기전	적응증
1	Covid-19 vaccine,mRNA	Spikevax	Moderna	mRNA vaccine	COVID-19 immunization
2	Ciltacabtagene autoleucel	Carvykti	Legend Biotech/J&J	BCMA-targeted genetically modified autologous T cell immunotherapy	Multiple myeloma
3	Measles, mumps, and rubella vaccine live	Priorix	GSK	Live, attenuated vaccine	Measles, mumps and rubella vaccination
4	Betibeglogene autotemcel	Zynteglo	Bluebird bio	β-globin-encoding lentiviral vector for autologous haematopoietic stem cell gene therapy	β-thalassemia
5	Elivaldogene autotemcel	Skysona	Bluebird bio	ABCD1-encoding lentiviral vector for autologous haematopoietic stem cell gene therapy	Neurologic dysfunction in CALD
6	Gecal microbiota, live	Rebyota	Rebiotix/Ferring	Fecal microbiota suspension for rectal enema	Recurrence of Clostridioides difficile infection
7	Etranacogene dezeparvovec	Hemgenix	CSL Behring	Factor IX-encoding adeno-associated virus vector gene therapy	Haemophilia B
8	Nadofaragene firadenovec	Adstiladrin	Ferring	Interfereon α-2b-encoding adenovirus vector gene therapy	BCG-unresponsive non-muscle invasive bladder cancer

※ 출처: A Mullard, “2022 FDA approvals”, Nature reviews drug discovery, 2023.

KDDF 국가신약개발사업단
Korea Drug Development Fund

II. 분류기준별 분석

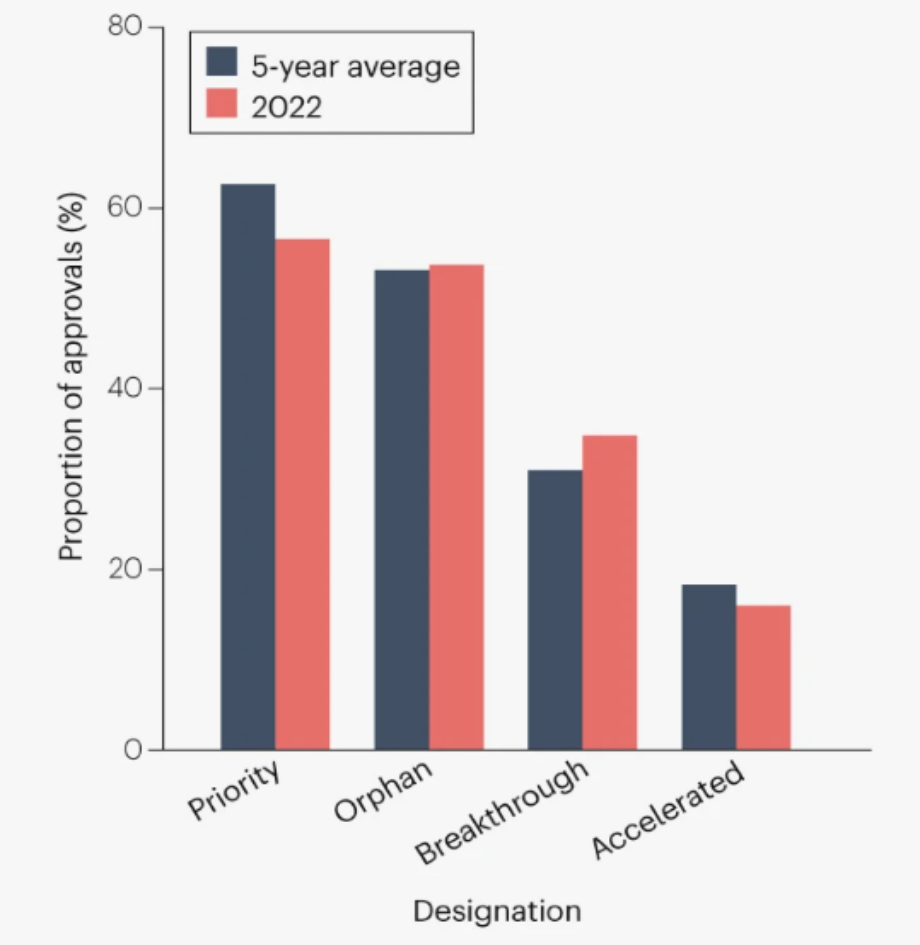
II-I. 승인유형별 분석

II-II. 적응증별 분석

II-III. 모달리티별 분석

II-I. 승인유형별 분석_2022년 FDA 승인 신약

2022년 FDA 승인은 **Priority review**를 통한 승인이 **21건**으로 가장 많음

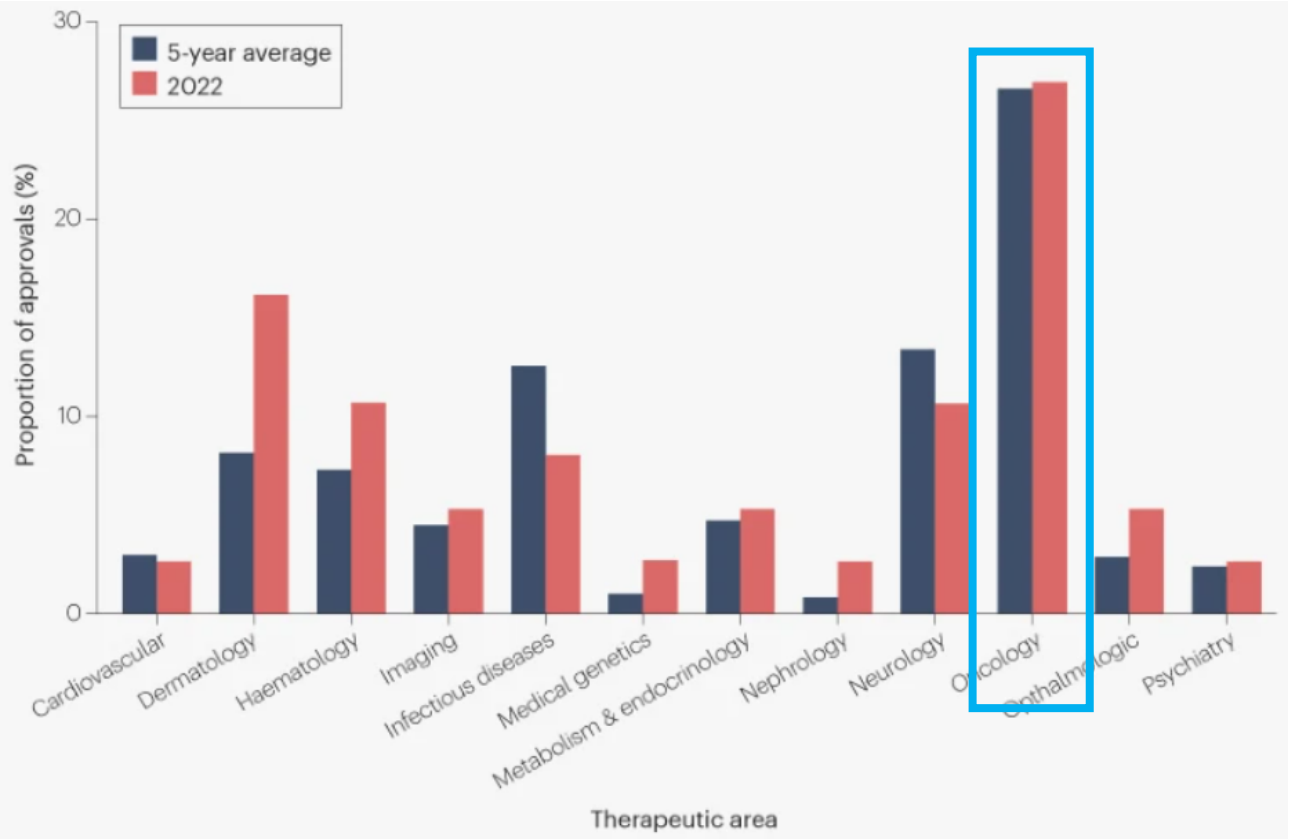


- Priority Review Designation: **57%(21건)**
  ※ 표준 치료에 대해 중요한 개선을 제공할 것으로 기대하는 치료제
- Orphan Drug Designation: **54%(20건)**
  ※ 미국에서 20만명 미만인 환자에게 영향을 주는 질병의 치료제
- Breakthrough Therapy Designation: **35%(13건)**
  ※ 실질적인 개선을 제공할 수 있는 치료제
- Accelerated approval: **16%(6건)**
  ※ 임상적인 개선을 기반으로 한 치료제

※ 출처: A Mullard, "2022 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2023.

II-II. 적응증별 분석_2022년 FDA 승인 신약

Oncology가 가장 큰 비중을 차지하며 Dermatology, Haematology, Opthalmology 부문의 승인 증가



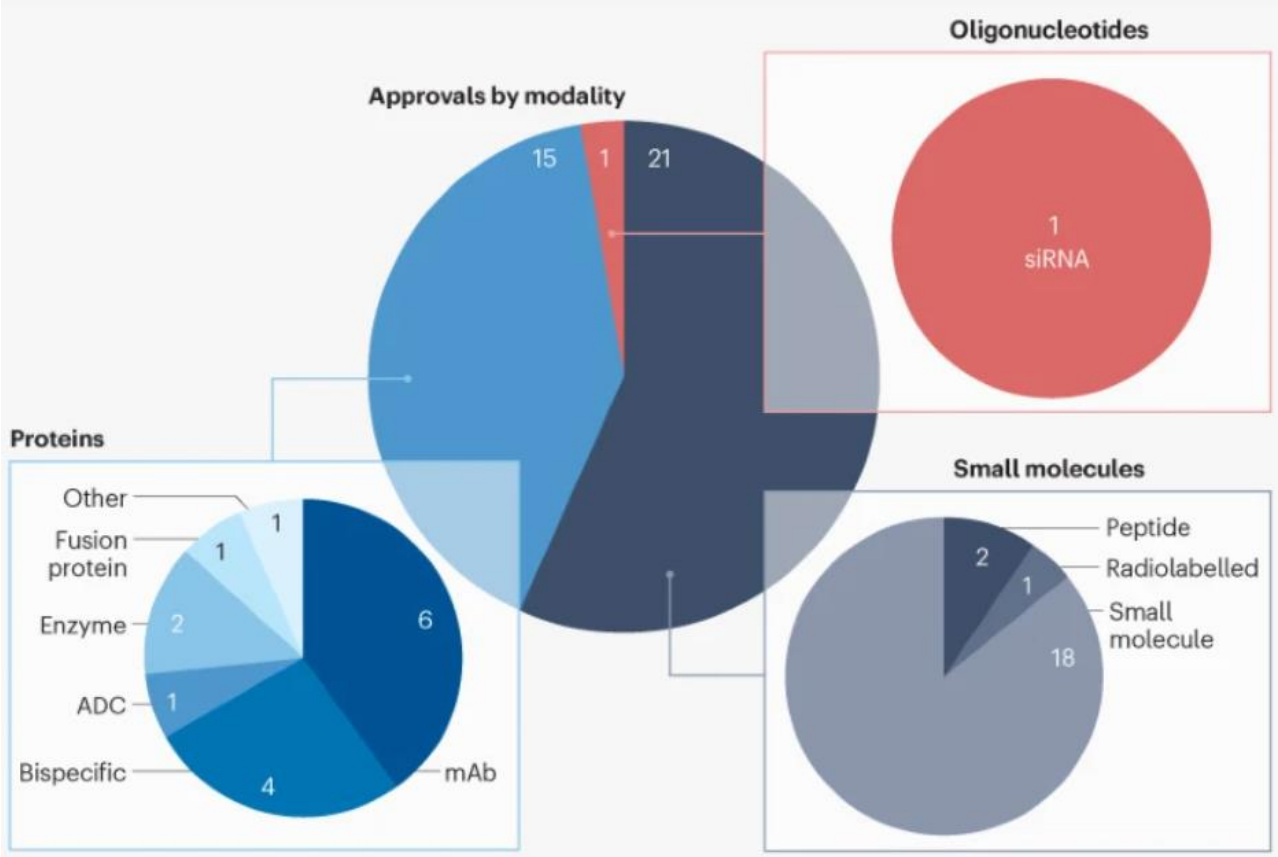
- 암 치료제(Oncology) 가 27%(10건)로 2022년 FDA 승인 신약 중 가장 많은 비중을 차지
- 피부(Dermatology, 약17%), 혈액(Haematology, 약11%) 및 안과 (Opthalmology, 약5%) 관련 적응증은 5년 평균을 상회
- 감염성 질환(Infectious diseases, 약8%) 및 신경과(Neurolgy, 약10%)는 평균보다 감소

* 복수의 적응증에 해당하는 질병영역은 하나로 분류되었음
** 5-year average: 2017~2021년 평균

※ 출처: A Mullard, "2022 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2023.

II-III. 모달리티별 분석_2022년 FDA 승인 신약

저분자신약이 21건, 바이오신약이 15건, 올리고뉴클레오타이드가 1건 승인



- 저분자신약(Small molecules)은 21건(57%)으로 가장 큰 비중을 차지
- 바이오신약(Proteins)는 전체 대비 41%(15건)를 차지하며 상승세를 유지
- 단클론항체(mAb), 이중특이(Bispecific) 및 항체-약물 결합체(ADC)를 포함한 항체 기반 치료제는 전체 승인의 30%(11건)를 차지

* 복수의 적응증에 해당하는 질병영역은 하나로 분류되었음
** 5-year average: 2017~2021년 평균

※ 출처: A Mullard, "2022 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2023.

KDDF 국가신약개발사업단
Korea Drug Development Fund

III. 세부 모달리티별 분석

III-I. 항체 의약품: 단일항체(mAb), 이중항체(BsAb), 항체-약물 접합체(ADC)

III-II. 세포유전자치료제(CGT)

III-III. 방사성동위원소 접합체(Radioisotope conjugate)

III-I. 항체 의약품

mAb 6건, BsAb 4건, ADC 1건 승인

연번	구분	성분명	제품명	제약사	작용기전	적응증
1	mAb	Sutimlimab	Enjaymo	Vioverativ	C1s-targeted mAb	한랭응집소증
2		Relatlimab+nivolumab	Opdualag	BMS	LAG3-targeted mAb+PD1-targeted mAb	흑색종
3		Spesolimab	Spevigo	Boehringer Ingelheim	IL-36R-targeted mAb	전신 농포성 건선
4		Tremelimumab	Imjudo	AstraZeneca	CTLA4-targeted mAb	간세포암
5		Teplizumab	Tzield	Provention Bio	CD3-targeted antibody	제1형 당뇨병 발병 지연제
6		Ublituximab	Briumvi	TG Therapeutics	CD20-targeted mAb	재발성 다발성 경화증
7	Bispecific	Tebentafusp	Kimmtrak	Immunocore	gp100 peptide-HLAxCD3 bispecific T cell engager	포도막 흑색종
8		Faricimab	Vabysmo	Roche/Genentech	VEGFxANG2 bispecific antibody	노인성 황반변성, 당뇨병성 황반부종
9		Teclistamab	Tecvayli	J&J	BCMAxCD3 bispecific antibody	다발성 골수종
10		Mosunetuzumab	Lunsumio	Roche/Genentech	CD20xCD3 bispecific antibody	여포성 림프종
11	ADC	Mirvetuximab soravtansine	Elahere	Immunogen	FRα-targeted ADC	난소암

※ 출처: A Mullard, "2022 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2023.

III-I. 항체 의약품: 단일항체(mAb)

Opdualag™
(nivolumab and relatlimab-rmbw)
Injection for intravenous use | 480 mg/160 mg

Opdualag(BMS, Relatlimab+Opdivo 병용)

- **LAG3 억제 면역항암제**인 렐라틀리맙은 **암세포**에 대한 **면역 체계**를 **활성화**
- 2/3상 RELATIVITY-047 시험 결과를 기반으로 **진행성 흑색종 대상 렐라틀리맙과 옵디보의 복합제로 승인**
- **옵디보 단독 사용**보다 **더 개선된 무진행생존기간**(Progression Free Survival, PFS)을 제공

Imjudo(AstraZeneca, Tremelimumab)

- 2011년 최초의 CTLA4 차단제인 BMS의 '여보이(성분명 Ipilimumab)' 승인 이후 **11년 만의 두번째 CTLA4 항체 치료제**
- 최초 개발사인 화이자가 첫 임상연구를 시작한 후 19년 만에 항 PD-L1 면역항암제 **'임핀지(성분명 durvalumab)'와의 병용요법**을 통해 **절제 불가능한 간세포암 1차 치료제**로 미국 시판허가
- **비소세포폐암 1차 치료제**로도 적응증을 확대('22.11.)

IMJUDO®
tremelimumab-actl
Injection for Intravenous Use 20 mg/mL

III-I. 항체 의약품: 이중항체(BsAb)

KIMMTRAK
(tebentafusp-tebn)
Injection for Intravenous Use 100 mcg/0.5 mL

Kimmtrak(Immunocore, Tebentafusp)

- **고형암 최초 이중항체 T세포 인게이저**(T-cell engager) 약물이자 **최초의 TCR**(T-cell receptor)치료제
- 눈에 생기는 희귀한 **전이성 포도막흑색종(Uveal melanoma)**를 **타겟**
- **CD3 결합 항체도메인**(scFV)에 흑색종 표면에서 발현하는 **펩타이드-MHC**(HLA-A*02:01 gp100)에 **결합하는 TCR**을 **연결**시킨 형태

TECVAYLI™
(teclistamab-cqyv) Injection for subcutaneous use
10 mg/mL and 90 mg/mL

Tecvayli(J&J, Teclistamab)

- 작년 10월 유럽에 이어 **미국**에서도 **다발성골수종의 5차 치료제**로 승인
- **BCMAxCD3**를 타겟하는 **성인 재발성 및 불응성 다발성골수종 대상 이중항체**

Lunsumio™
mosunetuzumab-axgb
injection for intravenous use 1 mg | 30 mg

Lunsumio(Roche, Mosunetuzumab)

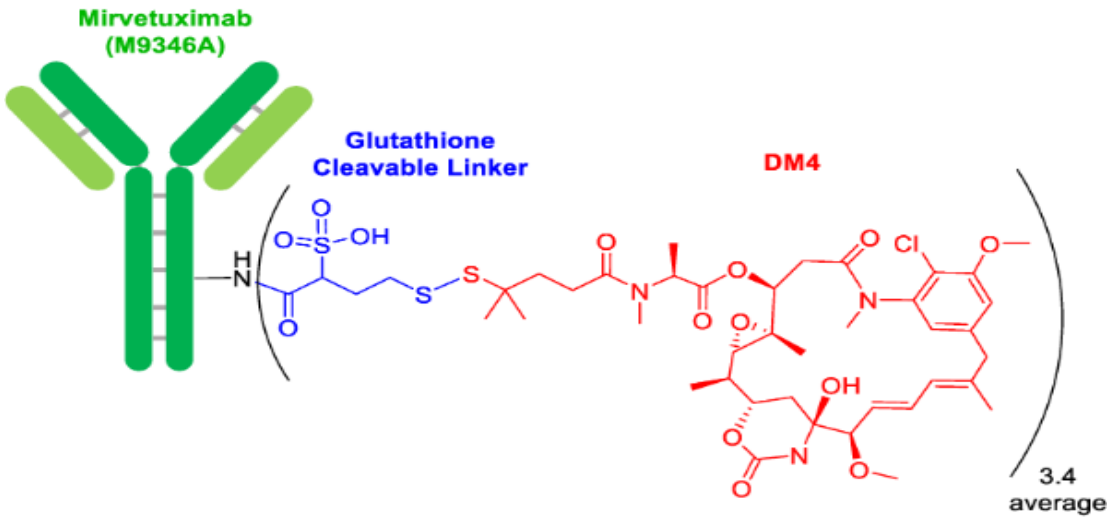
- 난치성 질환인 **여포성림프종(Follicular lymphoma, FL)**의 **3차 치료제**인 **CD20xCD3 이중항체**
- **B세포 표면**의 **CD20**에 선택적으로 결합하고, **T세포 표면**의 **CD3**을 **이중**으로 **표적**하여 악성 B 세포를 제거하도록 T세포를 조절

III-I. 항체 의약품: 항체-약물 접합체(ADC)

ELAHERE™
mirvetuximab soravtansine-gynx
injection 100 mg

Elahere(Immunogene, Mirvetuximab soravtansine)

- FDA가 **8년** 만에 **승인**한 **난소암 치료제**
- 난소암의 90%에서 발현하는 **엽산 수용체 알파**(Folate receptor alpha , FRα)를 타깃으로 하며, 세포독성 약물로 **튜불린 저해제 DM4**를 사용



<Elahere의 구조>

※ 출처: Beatriz G, "The Pharmaceutical Industry in 2022: An Analysis of FDA Drug Approvals from the Perspective of Molecules", *Molecules*, 2023.

III-II. 세포유전자치료제(CGT)

zynteglo™
(autologous CD34+ cells encoding $\beta^{A\text{-}T87Q}$-globin gene)

Zynteglo(Bluebird Bio, Betibeglogene autotemcel)

- **수혈 의존성 베타-지중해성 빈혈(Transfusion-dependent β-thalassemia, TDT)** 치료제로 승인
- TDT는 **헤모글로빈 감소** 또는 **결핍**을 유도하는 **'베타-글로빈(β-globin)' 유전자**에 **변이**가 생겨 발병
- 환자의 **조혈모세포**를 꺼내 **렌티바이러스**로 **정상 β-globin 유전자**를 **전달**한 다음, 다시 환자에게 투여

skysona™
(elivaldogene autotemcel)

Skysona(Bluebird Bio, Elivaldogene autotemcel)

- X-연관 희귀 대사질환인 **대뇌부신백질이영양증(Cerebral adrenoleukodystrophy, CALD) 치료제**
- 기존에 CALD의 **유일한 치료법**은 **동정 조혈모세포 이식**
- **렌티바이러스** 기반의 **ex-vivo 방식**(진테글로와 동일)이며, 환자의 **조혈모세포**에 **정상 ABCD1 유전자**를 **전달**

HEMGENIX®
etranacogene dezaparvovec-drlb

Hemgenix(CLS Behring, Etranacogene dezaparvovec)

- **B형 혈우병 유전자치료제**, B형 혈우병은 **혈액**을 **응고**시키는데 필요한 **9번 혈액응고인자(FIX)**가 **결실**되거나 **결핍**되어 발생
- 헴제닉스는 **AAV5 벡터**를 통해 **정상 FIX 유전자**를 **전달**하는 **1회 투여 제제**

III-III. 방사성동위원소접합체(Radioisotope conjugate)

PLUVICTO™
lutetium Lu 177 vipivotide tetraxetan
INJECTION FOR INTRAVENOUS USE

Pluvicto(Novatis, Lutetium Lu-177 vipivotide tetraxetan)

- **성인 전이성 거세 저항성 전립선암**(mCRPC) **환자**를 위한 **최초의 방사성 리간드 치료제**
- 플루빅토는 **전립선 특이 막 항원**(prostate-specific membrane antigen, **PSMA**) 표적 리간드를 통해 전립선 암세포에 부착한 뒤, **방사성동위원소 루테튬177**을 통해 방사선으로 암세포를 사멸

<Pluvicto 작용기전>

※ 출처: https://www.us.pluvicto.com/about-pluvicto/how-pluvicto-works/

IV.참고문헌

- A Mullard, “2022 FDA approvals”, Nature reviews drug discovery, 2023.
- 바이오스펙테이터, “FDA, 2022년 ‘신약승인 37건’서 본 4가지 BIG 이슈”, 2023.01.19.
- Beatriz G, “The Pharmaceutical Industry in 2022: An Analysis of FDA Drug Approvals from the Perspective of Molecules”, Molecules, 2023.
- https://www.us.pluvicto.com/about-pluvicto/how-pluvicto-works/