

## 2023년 출시가 기대되는 신약 상위 10개와 FDA 승인 현황

국가신약개발사업단 기획팀 김효인 연구원

### Overview

2023년 5월 현재 가속승인 5건을 포함하여 총 16개 신약의 FDA 승인이 이루어졌다. 램제드(키에지), 사이포브레(아펠리스), 스카이클래리스(리아타), 데이뷰(아카디아), 조엔자(파밍) 등 중소제약사들의 희귀질환 치료제가 승인을 받았으며, 글로벌 빅파마들의 레캠비(바이오젠·에자이), 제이피르카(릴리), 예스두브로크(GSK), 자브즈프렛(화이자) 등이 승인을 받았다(표 1).

표 1. Novel Drug Approvals for 2023

(2023.5. 기준)

연번	Drug name	Company	Active Ingredient	Target/Modality	Disease	Approval Date
1	Leqembi	Biogen · Eisai	Lecanemab	$\alpha$ A $\beta$ protofibril mAb	알츠하이머	2023.1.6 (Accelerated approval)
2	Brenzavvy	TheracosBio	Bexagliflozin	SGLT-2 inhibitor	제 2형 당뇨병	2023.1.20
3	Orserdu	Menarini Group	Elacestrant	ESR1 SERD	유방암	2023.1.27

4	Jaypirca	Ely Lilly	Pirtobrutinib	BTK inhibitor	맨틀세포림프종	2023.1.27 (Accelerated approval)
5	Jesduvroq	GSK	Daprodustat	HIF-PH inhibitor	만성신장질환 관련 빈혈	2023.2.1
6	Lamzede	Chiesi Farmaceutici	Velmanase $\alpha$ TYCV	$\alpha$ mannosidase II enzyme replacement therapy	$\alpha$ 만노사이드 축적증	2023.2.16
7	Filspari	Travere Therapeutics	Sparsentan	AT1R/ETAR receptor antagonist	IgA 신병증	2023.2.17 (Accelerated approval)
8	Syfovre*	Apellis pharmaceuticals	Intravitreal pegcetacoplan	C3 inhibitor	노인성 황반변성	2023.2.17
9	Skyclarys	Reata Pharmaceuticals	Omacetaxone	NRF2 activator, NF- $\kappa$ B inhibitor	프리드리히 운동실조증	2023.2.28
10	Zavzpret	Pfizer	Zavegepant	CGRP receptor antagonist	급성편두통	2023.3.9
11	Daybue	Acadia Pharmaceuticals	Trofinetide	u/d	레트증후군	2023.3.10
12	Rezzayo	Cidara Therapeutics	Rezafungin	Antifungal agent	칸디다, 칸디다혈증	2023.3.22
13	Zynyz	Incyte	Retifanlimab	$\alpha$ PD-1 mAb	메르켈세포암	2023.3.22 (Accelerated approval)
14	Joenja	Pharming Group	Leniolisib	PI3K $\delta$ inhibitor	PI3K델타 증후군	2023.3.24
15	Qalsody	BioGen	Tofersen	SOD1 mRNA inhibitor	근위축성측삭경화증	2023.4.25 (Accelerated approval)
16	Elfabrio	Protalix Biotherapeutics· Chiesi Global Rare Diseases	Pegunigalsidase alfa	Recombinant $\alpha$ -Gal-A protein	파브리병	2023.5.9.

(Source: Novel Drug Approvals for 2023, 일부 재구성)

\* 'CY2023 CDER Fast Track Calendar Year Approvals'(2023.3.31) 기준 FDA 승인, 'Novel Drug Approvals for 2023'(FDA content current as of 2023.5.9) 기준 승인 목록 미포함

하반기에는 바이오마린의 록타비안(Roctavian, Valoctocogene roxaparvovec, Factor VIII gene therapy, A 형 혈우병), 일라이 릴리의 도나네맵(Donanemab,  $\alpha\text{A}\beta$  mAb/알츠하이머), UCB 의 빔젤스(Bimzelx, Bimekizumab,  $\alpha\text{IL-17A/F}$  mAb/판상형 건선), 화이자의 리틀레시티닙(Ritlecitinib, JAK-3/TEC inhibitor/원형탈모) 등 신약 기대 후보들이 FDA 승인 신청을 준비하고 있다.

Evaluate 는 Evaluate Vantage 2023 Preview 를 통해 올해 FDA 승인 확률이 높은 후보물질은 57 개이며, 그 중 승인 시 2028 년까지 10 억 달러 이상의 매출을 올릴 블록버스터 신약으로 성장 가능성이 높은 10 개의 후보를 선정했다. 본 편에서는 Evaluate 에서 선정한 10 개 후보의 FDA 승인 현황 및 임상 현황을 확인해보고자 한다(표 2).

표 2. Biggest Potential Launches of 2023

(2023.5 기준)

연번	Project	Company	Target/Modality	Disease	Status
1	Leqembi (Lecanemab)	Biogen · Eisai	$\alpha\text{A}\beta$ protofibril mAb	알츠하이머	PDUFA* July 6, 2023 (Accelerated approval)
2	SRP-9001 (Delandistrogene Moxeparvovec)	Sarepta · Roche	AAV-Dystrophin	듀센 근이영양증	PDUFA May 29, 2023 (Accelerated approval)
3	Syfovre (Intravitreal Pegcetacoplan)	Apellis	Complement C3 inhibitor	지도모양위축	FDA approval Feb 17, 2023
4	Donanemab	Eli Lilly	$\alpha\text{A}\beta(\text{A}\beta_{3-42})$ mAb	알츠하이머	Phase III (2023.1.19 received CRL)
5	Arexvy (RSVPreF3 OA)	GSK	RSV Vaccine	호흡기세포융합바이러스(RSV)	FDA approval May 5, 2023
6	Epcoritamab	Abbvie · Genmab	$\alpha\text{CD}3\alpha\text{CD}20$ BsAb	림프종	PDUFA May 21, 2023 (Accelerated approval)

7	Zuranolone	Biogen · Sage	Gaba A receptor modulator	주요우울장애	PDUFA Aug 5, 2023 (Accelerated approval)
8	Mirikizumab	Ely Lilly	$\alpha$ IL-23 mAb	궤양성 대장염, 크론병, 건선	Phase III (2023.4.13 received CRL)
9	Etrasimod	Pfizer	S1P receptor modulator	궤양성 대장염	FDA approval expected in the second half of 2023
10	Sotatercept	MSD	ACVR2A-Fc antagonist	폐동맥 고혈압	Phase III

(Source: Evaluate Vantage 2023 Preview, 일부 재구성)

\*PDUFA(Prescription Drug User Fee Act): 처방의약품 허가신청자 수수료법, PDUFA date는 FDA 승인여부 결정일을 의미함

## 1. 레캠비(Biogen-Eisai, Lecanemab, $\alpha$ A $\beta$ protofibril mAb/알츠하이머)

레캠비는 바이오젠과 에자이의 초기 알츠하이머 치료제로 인지 및 기능 저하를 늦춘다. 아밀로이드 가설에 따르면 아밀로이드 베타 ( $A\beta$ ) 단백질은 알츠하이머의 핵심 진단 바이오마커로 여겨진다. 비정상적인  $A\beta$  플라크의 축적이 뇌의 인지 기능 저하를 일으켜 치매를 유발하는 것으로 생각하기 때문이다.

레캠비는  $\alpha A\beta$  protofibril을 표적하는 항체 치료제로 2주에 1번 투여하며, 23년 1월 FDA의 신속승인을 받아 정식승인 전 판매를 시작했으나 안전성에 대한 우려가 지속되고 있다. 일반적으로 뇌혈관 장벽의 투과도에 영향을 주는 ApoE4 유전자를 가진 사람은 그렇지 않은 사람에 비해 알츠하이머 발병의 위험도가 약 4배 이상 높다고 여겨진다. ApoE가  $A\beta$ 의 혈액뇌장벽의 통과를 막아 신경세포의 손상을 유발하는 것으로 추측되기 때문이다. 레캠비는 이 유전자를 보유한 환자 중 특히 동형접합 보인자들에게 아밀로이드 관련 영상 이상(Amyloid-Related Imaging Abnormalities, ARIA)으로 확인할 수 있는 뇌부종(ARIA-E), 헤모시데린 침착(ARIA-H) 등 부작용을 일으킬 확률이 높다. 또한 3월 말, 사이언스지를 통해  $A\beta$  항체 약물이 뇌 수축 및 뇌 손상을 일으킬 수 있다는 가능성이 발표되어

안전성에 대한 우려는 종식되지 않을 것으로 보인다.

레캠비는 1월 6일, FDA의 신속승인을 획득했으며 신속승인을 받은 날 바로 정식승인을 위한 sBLA를 제출했다. 정식 승인 신청은 임상 3상(Clarify AD) 연구 결과 18개월 시점에서 임상치매평가척도(Clinical Dementia Rating-Sum of Boxes, CDR-SB) 점수가 1.21로, 위약 1.66 대비 인지 및 기능 저하를 약 27% 지연시키는 데 성공한 것을 근거로 이뤄졌으며, 정식 승인 여부는 7월 6일에 결정될 예정이다.

## **2. SRP-9001(Sarepta-Roche, Dystrophin, Gene therapy/듀센 근이영양증)**

사렙타와 로슈의 SRP-9001(Delandistrogene moxeparvovec)은 마이크로 디스트로핀(Micro-dystrophin)을 암호화하는 유전자를 근육 세포에 전달해 듀센 근이영양증(Duchenne muscular dystrophy, DMD)을 치료하도록 설계된 AAV 유전자치료제다. 듀센 근이영양증은 근육세포를 온전하게 유지하는 단백질인 디스트로핀의 결손 혹은 변화로 인해 근육 발달이 저하되며 근육 결함, 퇴화 및 괴사가 일어나는 유전성 질병이다. 디스트로핀은 X염색체의 p21에 존재하기 때문에 남성에게서만 발병되는데, 태내 혹은 신생아기에 발병하여 보행 이상, 기립 이상 등의 징후를 거쳐 20대 전반에 사망하는 경우가 대부분이고 40대까지 생존할 확률이 매우 낮다.

사렙타는 엑손디스 51(Exondys 51, Eteplirsen, Antisense Therapy), 바이온디스 53(Vyondys 53, Golodirsen, Antisense Therapy), 아몬드스 45(Amondys 45, Casimersen, Antisense Therapy)라는 DMD 치료제 3종을 이미 보유하고 있지만 이들은 주기적으로 투여해야 하는 반면 SRP-9001은 1회 투여로 완치가 가능할 것으로 예상하고 있어 기대가 크다.

SRP-9001은 3건의 임상 2상 시험(SRP-9001-101, 102, 103)의 결과를 근거로 22년 11월 FDA의 우선 검토 및 신속심사 대상으로 지정되었다. 특히 SRP-9001-103(Endeavor) 연구에 따르면 12주차 시점에 환자군 생검시, 마이크로디스트로핀 단백질 발현량은 정상

수치의 55.4% 수준이었고, 마이크로디스트로핀 발현 근섬유의 비율은 평균 70.5%(baseline 12.8%), 그리고 발현강도는 정상대조군의 116.9%(baseline 41%)였다.

SRP-9001의 승인 여부는 오는 5월 29일에 결정될 예정이다.

### **3. Syfovre(Apellis, Intravitreal pegcetacoplan, C3 inhibitor/지도모양위축)**

아펠리스의 사이포브레는 보체 C3의 저해제로 노인성 황반변성(Age-related macular degeneration, AMD) 말기에 발생한 지도모양위축(Geographic atrophy, GA) 증상의 진행을 지연시킨다. 사이포브레는 감소한 시력을 회복시키거나 완전 치료가 가능한 치료제는 아니다. 그러나 지도모양위축은 중심 시력을 담당하는 망막세포들을 파괴해 실명에 이르기까지 평균 2.5년밖에 걸리지 않는 중증 질환이기 때문에 다른 치료제가 없는 현 상황에서는 병증의 진행을 지연시키는 것만으로도 의의가 있다.

사이포브레는 기존 발작성야간혈색소뇨증(PNH) 치료제로 사용되던 엠파벨리(Empaveli)가 적응증을 넓히며 새로운 제품명으로 출시된 것으로, 지난 2월 17일 FDA의 승인을 획득했다. FDA 승인은 2건의 임상 3상 시험(DERBY, OAKS)을 통해 병변 진행 속도의 지연(월 1회 투약시, 위약군 대비 최대 36%, 평균 18~22% 지연)을 근거로 이뤄졌다. 경쟁 약물로는 이벨릭 바이오의 지무라(Zimura, avacincaptad pegol, C5 inhibitor)가 FDA 승인을 기다리고 있다.

### **4. Donanemab(Eli Lilly, Donanemab, $\alpha$ A $\beta$ mAb/알츠하이머)**

일라이 릴리의 도나네맵은 앞서 언급한 레카네맵과 같은 A $\beta$  표적의 N3pG 항체다. 알츠하이머의 항체 치료제라는 이유로 레카네맵

과 자주 함께 언급되었는데, 프로토 피브릴 단계에서 결합하는 레카네맙과 구체적인 작용기전은 다르다. 도나네맙은 A $\beta$ 의 확립된 플라크에 존재하는 피로글루타메이트(pyroglutamate) 형태인 A $\beta$ p3-42와 결합해 플라크 수준을 감소시킨다. 다만 임상 2a상 결과를 근거로 신청한 신속심사에서 12개월 이상 치료를 받은 환자 수의 부족으로 보완요구를 받게 되면서 정식 승인 절차를 밟게 되어 시장 출시는 늦어질 전망이다. 도나네맙은 일정 수준의 플라크 제거 확인 시 추가 투여를 하지 않도록 설계되어 있는데 투약군의 47%가 치료 시작 후 1년간 CDR-SB의 저하가 나타나지 않아 투약을 중단해 최소 요건인 100명분의 데이터를 확보하지 못했기 때문이다.

이후 5월 3일 발표된 도나네맙의 임상 3상(TRAILBLAZER-ALZ2) 연구 결과에 따르면 통합 알츠하이머 평가 척도(integrated Alzheimer's Disease Rating Scale, iADRS)로 대화, 취미활동 등 일상생활 수행 기능을 평가했을 때 18개월차 투약군의 병변 진행이 위약군 대비 35% 지연되어 1차 목표점을 달성했다. CDR-SB에서도 인지 및 기능저하가 36% 감소되어 2차 목표점 또한 달성했다. 플라크 감소 속도가 빨라 투약을 빨리 중단할 수 있다는 장점은 이번 3상 시험에서도 확인되었다. 투약군의 52%는 1년이 경과하기도 전에 치료 효과를 확인해 투약을 중지했고, 18개월째에는 72%가 투약을 중지할 수 있었기 때문이다. 일라이 릴리는 이러한 임상 3상 데이터를 근거로 6월 말까지 FDA 정식승인을 신청할 계획이다.

## **5. Arexvy(GSK, Vaccine/RSV)**

GSK의 백신 아렉스비는 60세 이상의 노년층의 호흡기세포융합바이러스(Respiratory syncytial virus, RSV) 감염으로 인한 하기도 질환(LRTD)을 예방한다. RSV는 폐와 호흡기에 영향을 미치는 전염성 바이러스로 감염 시 경증으로 지나가는 성인과 달리 5세 미만 영유아와 기저질환이 있는 노인의 경우 모세기관지염, 폐렴 및 사망으로까지 이어질 수 있어 위험하다. 아렉스비 승인 이전까지는 영유아와 노년층 모두 예방 백신이 존재하지 않아 시나지스(Synagis, Palivizumab, RSV-F protein Ab)를 심장/폐질환을 가진 고위험군 영아에 한해서만 보조치료제로 사용하고 있었다.

아렉스비는 노년층 대상 임상 3상(AReSVi-006) 연구 결과를 근거로 FDA 승인을 신청했다. 천식, 울혈성 심부전, 만성폐쇄성폐질환 등 하기도 감염(LRTD) 예방 효율은 82.6%로 나타났고, 2종 이상의 복합 호흡기 증상 발현이나 중증 감염을 보이는 환자들의 예방 효율은 94.1%였다. 1개 이상의 기저질환을 보유한 환자의 예방 효율은 94.6%, 70대 환자의 예방 효율은 93.8%로 나타났다. RSV-A와 B 균주 각각 84.6%, 80.9%의 예방 효율을 보여 서브 타입에서도 효과를 보이는 것으로 확인되었다.

5월 3일, FDA는 아렉스비를 최초의 RSV 백신으로 승인했다. GSK와 비슷한 시기에 FDA 승인을 신청한 화이자의 애브리소보(Abrysvo, vaccine)도 이 달 중으로 승인 여부가 결정될 것으로 보인다. 화이자는 영유아 및 임산부, 노년층 모두를 대상으로 하는 백신인 반면 GSK는 노년층을 대상으로 한 백신이고, 화이자는 병용 투여에 대한 데이터를 발표하지 않은 데 반해 GSK의 RSV 백신은 계절성 4가 인플루엔자 백신과 병용투여 했을 때 효능이 증폭된다고 밝혀 두 백신은 차이를 보인다. 다른 경쟁 약물로는 2세 이하 영아를 대상으로 하는 백신인 사노피·아스트라제네카의 베이포터스(Beyfortus, Nirsevimab, RSV-F protein Ab)가 FDA 승인을 기다리고 있으며, 노년층을 대상으로 한 모더나의 mRNA-1345(U/d, mRNA vaccine)가 상반기 중 FDA 승인을 신청할 예정이다.

## **6. Epcoritamab(Abbvie-Genmab, Epcoritamab, $\alpha$ CD3x $\alpha$ CD20 BsAb/림프종)**

애브비와 젠맙의 엡코리타맙은 T세포의 CD3, B세포의 CD20과 동시에 결합하여 T세포 매개 CD20<sup>+</sup> 세포의 살상을 유도하는 CD3xCD20 이중항체다. 이번 FDA 허가 신청은 2회 이상 전신요법제를 사용해 치료를 진행한 전력이 있는 재발성/불응성 미만성 거대 B세포 림프종(Diffuse Large B-Cell Lymphoma, DLBCL)을 대상으로 이루어졌다. 보통 1차 치료법으로는 로슈의 리툭산(Rituxan, Rituximab,  $\alpha$ CD20 mAb)과 1세대 항암제를 조합한 병용요법을 사용한다. 그러나 전신 치료 후 조기에 재발하거나 1차 치료의 치료제에 처음부터 불응한 거대 B세포 림프종에 대한 치료법은 아직 없는 상황이다. DLBCL은 1차 치료에 실패할 경우 환자의 생존 기간이 평균 6개월밖에 되지 않아 미충족 의료 수요가 높다. 엡코리타맙은 임상 1/2상(EPCORE NHL-1)에서 반응 지속기간(DOR) 평균 12개



월, 전체반응률(ORR) 63%, 완전반응률(CR) 39%를 달성하며 지난해 11월 FDA 신속심사 대상으로 지정됐다. FDA 승인 여부는 5월 21일에 결정될 예정이다.

## **7. Zuranolone(Biogen·Sage Therapeutics, SAGE-217/BIIB125, GABA A receptor modulator/주요우울장애)**

바이오젠과 세이지의 주라놀론은 신경 활성 스테로이드로 산후 우울증(Postpartum depression, PPD)과 주요 우울장애(Major depressive disorder, MDD) 치료제다. 신경 흥분과 관련된 스테로이드 중 하나인 GABA-A 수용체의 양성 알로스테릭 효소를 조절하는 주라놀론은 신경 네트워크의 균형 및 뇌 기능의 조절을 통해 기분, 각성, 행동 및 인지 장애를 개선한다. 주라놀론은 14일의 경구 투여로 치료 효과를 볼 수 있기 때문에 60시간 동안 정맥주사제로 투여했던 산후우울증 치료제 줄레쏘(Zulresso, Brexanolone, GABA A receptor modulator) 대비 편의성이 획기적으로 개선된 것으로 평가받는다. 시판 중인 항우울제 또한 몇 주에서 최대 6개월 이상 복용해야 효과를 볼 수 있는 경우가 많아 주요 우울장애의 속성 치료제로도 기대를 모으고 있다.

주라놀론은 이미 FDA에서 패스트트랙 및 혁신 신약으로 지정 받은 바 있다. 임상 프로그램 NEST(2개 연구; ROBIN, SKYLARK)와 LANDSCAPE(5개 연구; MDD-201B, MOUNTAIN, SHORELINE, WATERFALL, CORAL)를 통해 그 효능을 입증했기 때문이다. 해밀턴 불안 등급 척도(HAM-A)로 확인한 결과 8일차와 15일차에 위약군 대비 불안 증상이 크게 개선 되었으며, 슬픔, 자살생각과 같은 핵심 기분 증상을 다루는 MADRS(Montgomery-Åsberg Depression Rating Scale) 총 점수로 측정한 결과 3일차에 위약군 대비 우울 증상이 빠르게 호전된 것을 확인할 수 있었다. 주라놀론은 롤링리뷰를 통해 우선심사 대상으로도 지정되어 있어 8월 5일까지 최종 승인여부가 결정될 예정이다.

## **8. Mirikizumab(Eli Lilly, mirikizumab, $\alpha$ IL-23 mAb/궤양성 대장염, 크론병, 건선)**

일라이 릴리의 미리키주맵은 염증성 사이토카인인 IL-23를 억제하는 항체로서 주 적응증은 궤양성 대장염이다. 궤양성 대장염으로 적응증을 추가 확장한 J&J의 스텔라라(Stelara, Ustekinumab,  $\alpha$ IL-12/IL-23 mAb)와 비슷한 수치의 효능을 보이며 스텔라라의 뒤를 이을 블록버스터 신약이 될 것으로 예상되었으나, FDA에서는 제조공정 문제를 이유로 4월 13일에 승인 신청을 반려했다.

일라이 릴리는 임상 3상(LUCENT-1, 2)의 연구 결과 12주차에 임상관해율 24.2%를 달성했고, 12주 유도치료에 반응한 환자들을 1년간 추적 관찰하여 49.9%가 임상적으로 개선된 데이터를 근거로 승인을 신청했는데, 이번 FDA의 승인 반려가 임상 프로파일, 안전성이 아니라 라벨의 문제가 아니라고 밝혔다. 이미 동일한 데이터를 근거로 일본 후생성에서 승인을 획득했고 EMA 산하 약물사용자문위원회에서도 판매 허가를 권고한 바 있어, 제조공정 문제를 보완한 후 FDA 승인을 재요청할 예정이다.

궤양성 대장염을 적응증으로 하는 IL-23 타겟 경쟁 약물로는 추가 적응증 확장을 시도하는 J&J의 트렘피어(Tremfya, Guselkumab,  $\alpha$ IL-23 $\alpha$  mAb)와 애브비의 스카이리치(Skyrizi, Risankizumab,  $\alpha$ IL-23 mAb)가 있다.

## **9. Etrasimod (Pfizer, Etrasimod, S1P receptor modulator/궤양성 대장염)**

화이자의 에트라시모드는 JAK 억제제나 기타 생물학적 제제로 효과를 보지 못하는 환자들을 대상으로 하는 중증 활동성 궤양성 대장염 경구 치료제다. S1P 수용체 1, 4 및 5의 조절제로 면역 기능의 기존 구성요소를 유지하면서 염증 부위의 림프구 수준을 선택적으로 감소시키도록 설계되어 미리키주맵과는 작용 기전이 다르다. 궤양성 대장염에서 S1P 수용체를 표적으로 하는 경구 치료제로는 BMS의 제포시아(Zeposia, Ozanimod)가 있어 에트라시모드가 FDA 승인을 얻게 될 경우 제포시아와 직접적인 경쟁을 하게 될 것으로 예상된다.

화이자는 22년 12월에 2건의 임상 3상(ELEVATE UC 52, 12)을 근거로 에트라시모드의 FDA 승인 신청서를 제출했다. ELEVATE UC 52 연구에서 유도요법 12주차에 임상관해율 27%, 유지요법 40주차에 임상관해율 32.1%를 달성했으며, ELEVATE UC 12 연구에서는 투약군의 임상관해율 24.8% 달성으로 위약군의 임상관해율 15.2% 대비 임상적으로 개선된 양상을 보였다. FDA 승인 여부는 올해 하반기 중으로 결정될 예정이다.

## **10. Sotatercept(MSD, Sotatercept, ACVR2A-Fc antagonist/폐동맥 고혈압)**

MSD의 소타터셉트는 ACVR2A-Fc(Activin receptor type IIA-Fc) 융합 단백질로 폐동맥 고혈압을 대상으로 한다. 폐동맥 고혈압은 심장과 폐를 연결하는 대동맥에 이상이 생겨 폐가 부어오르고 혈압이 과도하게 상승하는 난치성 희귀질환이다. 호흡곤란, 흉부 통증, 심부전증, 급성 심장마비 등의 증상으로 돌연사 위험이 커지며, 발병 후 43%의 환자가 5년 내 사망한다. 소타터셉트는 세포의 증식과 분화를 촉진하는 액티빈(Activin) A, B 리간드 및 성장분화인자(Growth differentiation factor) 8, 11과 결합한다. 폐혈관 사이의 비정상적인 신호를 차단해 성장 촉진 신호 경로와 성장억제 신호경로간 균형 회복을 돕고 혈관벽이 두꺼워져 고혈압이 발생하는 것을 막는 방식으로 작용한다. 폐동맥고혈압을 대상으로 한 기존 약물들은 혈관을 확장하는 방식으로 작용해 병증의 진행을 늦출 뿐 완치가 불가능했기 때문에 소타터셉트는 근본적인 원인을 해결할 수 있는 최초의 신약이 될 것이라 기대받고 있다.

2020년 4월, FDA의 혁신치료제로 지정된 소타터셉트는 FDA에 NDA를 제출하며 우선심사 지정을 요청한 상태다. 우선심사 지정 요청의 근거는 임상 3상(STELLAR) 연구다. 투약 24주차에 6분 보행거리를 측정한 결과 위약군 대비 평균 40.8m 더 이동해 운동 능력 향상을 입증했으며, 평균 32.7주 동안의 추적 관찰 중 위약군 대비 임상적 악화와 사망 위험을 84% 감소시킨 것으로 확인되었다. 소타터셉트가 FDA 우선심사 품목으로 지정될 경우 올해 하반기 중으로 승인 여부를 확인할 수 있을 것으로 예상된다.

<문의>

국가신약개발사업단 기획팀 김효인 연구원 ([inakim@kddf.org](mailto:inakim@kddf.org))

## Reference

각 제약사 홈페이지

BioCentury

Globaldata

Evaluate Vantage 2023 Preview, *Evaluate*

<https://www.evaluate.com/thought-leadership/vantage/evaluate-vantage-2023-preview>

Top 10 most anticipated drug launches of 2023, *Fierce Pharma*

<https://www.fiercepharma.com/marketing/top-10-most-anticipated-drug-launches-2023>

Introducing Drugs to Watch 2023, *Clarivate*

<https://clarivate.com/drugs-to-watch/drugs-to-watch-listing/>

Novel Drug Approvals for 2023, *FDA*

<https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/novel-drug-approvals-2023>

CY 2023 CDER Fast Track Calendar Year Approvals, *FDA*

<https://www.fda.gov/media/159901/download>

NDA Approval(Syfovre), *FDA*

[https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2023/217171Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2023/217171Orig1s000ltr.pdf)

Promising Alzheimer's therapy and related drugs shrink brains, *Science*

<https://www.science.org/content/article/promising-alzheimer-s-therapy-and-related-drugs-shrink-brains>

Leqembi / Donanemab, *Alzforum*

<https://www.alzforum.org/therapeutics/leqembi>

<https://www.alzforum.org/therapeutics/donanemab>

Vaccines and Related Biological Products Advisory Committee Meeting March 1, 2023, *FDA Briefing Document*

<https://www.fda.gov/media/165622/download>

Sotatercept for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension, *The New England Journal of Medicine*

<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2024277>