

2023 상반기 FDA, EMA 신약 승인 현황

국가신약개발사업단 기획팀 진주연 연구원

Overview

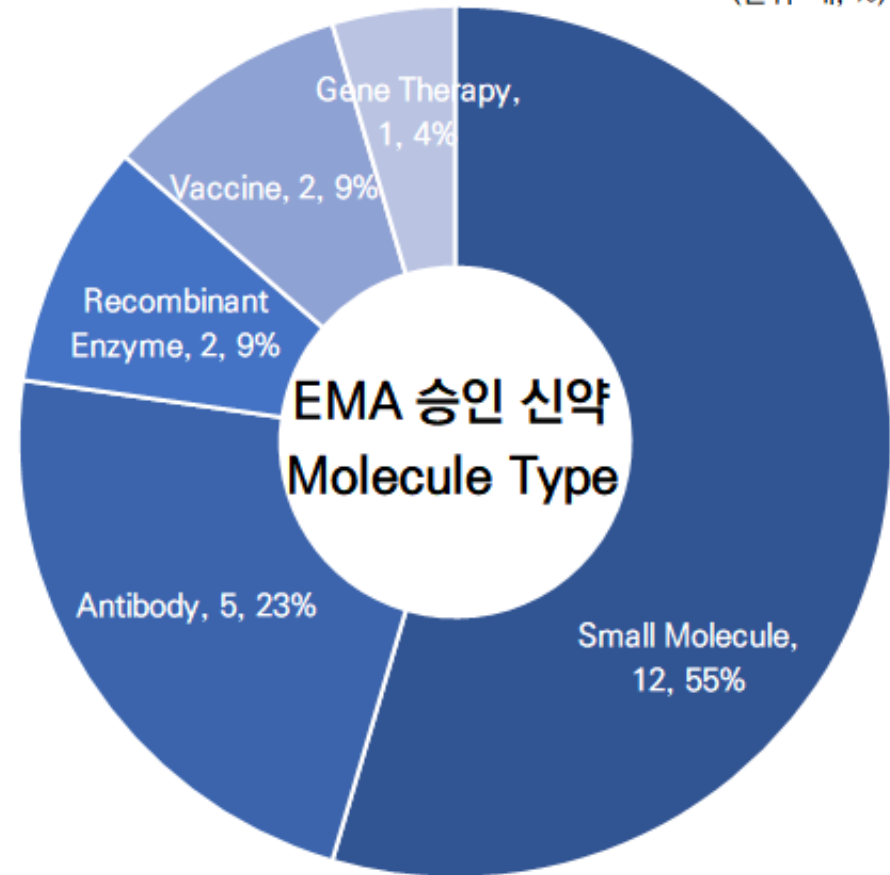
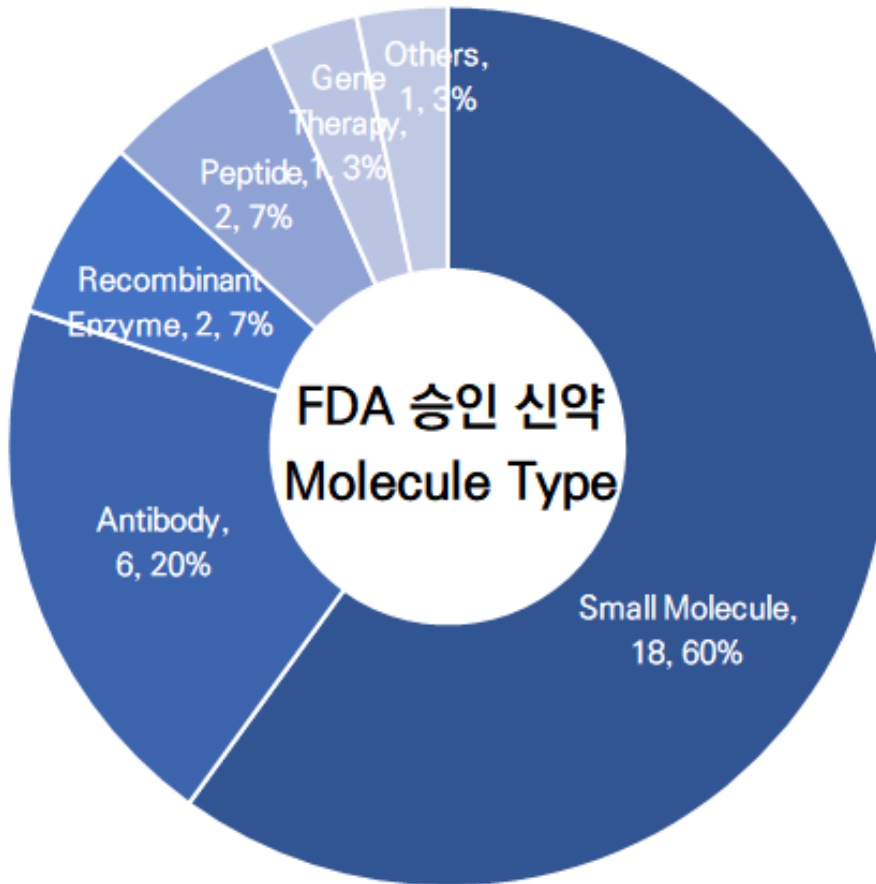
2023 년 상반기 미국 식품의약국(FDA)과 유럽 의약품청(EMA)은 각각 30 건, 22 건의 신약을 승인하였다. 올해 두 기관에서 모두 승인을 획득한 신약은 파브리병 치료제 Elfabrio(성분명; pegunigalsidase alfa)와 미만성 거대 B세포 림프종 치료제 Columvi(성분명: glofitamab-gxbm)가 있다.

*FDA 승인 내역 기준일: 2023.07.25 / EMA 승인 내역 기준일: 2023.07.08.

FDA 승인 신약 30 건을 모달리티 별로 분류하였을 때, small molecule 이 18 건(60%)으로 가장 많았으며 Ab 가 6 건(20%), recombinant enzyme 과 peptide 가 각각 2 건(각 7%), gene therapy 가 1 건(3%) 승인되었다. 질병 영역(TA)별로는 oncology 가 6건(20%), neuroscience가 5건(17%), infectious diseases 와 metabolic disorders가 각각 4건(각 13%) 순으로 많았으며, 그 외에도 ophthalmology 가 3건(10%), Immunology 가 2건(7%) 등을 차지하였다.

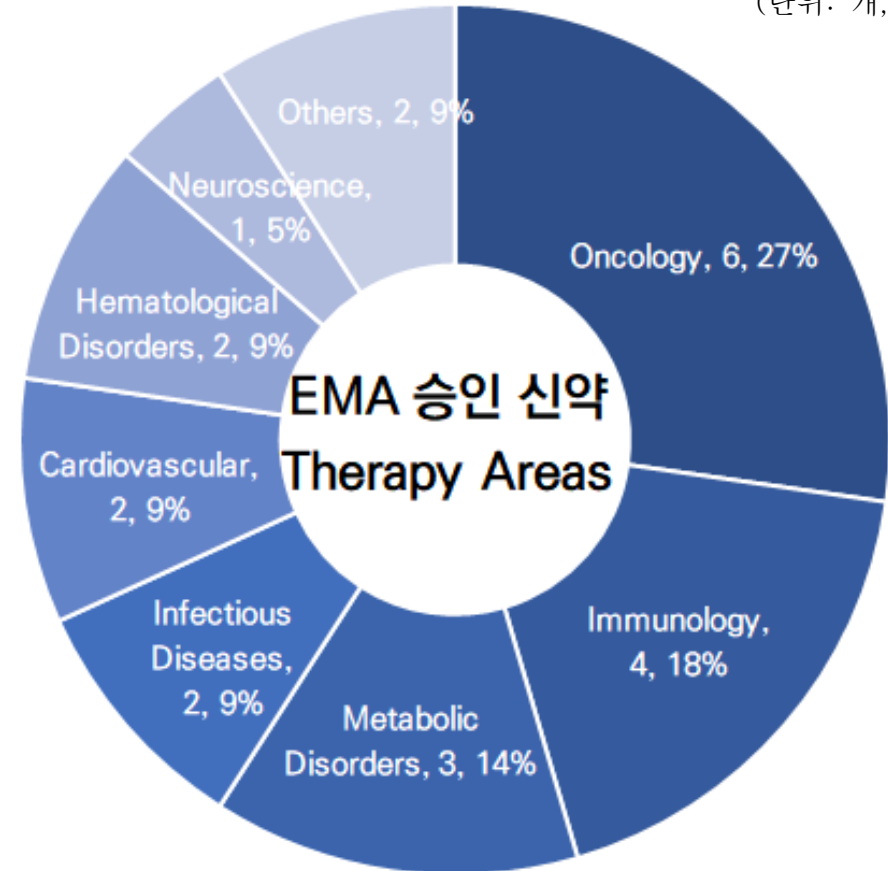
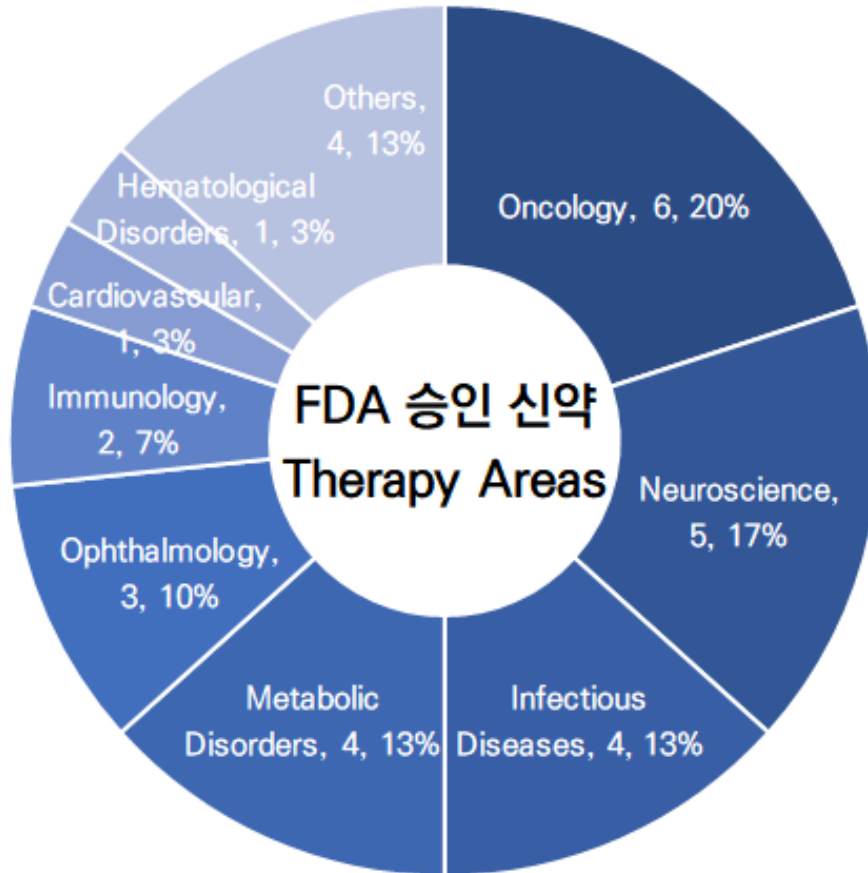
EMA 승인 신약 22건의 경우, 모달리티 분포가 FDA와 유사하게 small molecule이 12건(55%)으로 가장 많았으며, Ab가 5건(23%), recombinant enzyme 과 vaccine 이 각각 2건(각 9%), gene therapy 가 1건(5%) 순으로 많았다. TA 별로는 oncology 가 6건(27%), immunology 가 4건(18%), metabolic disorders 가 3건(14%)순으로 많았으며, cardiovascular 와 Hematological disorders 가 각각 2건(각 9%)등 신약 승인을 받았다.

(단위: 개, %)



[FDA vs EMA Modality]

(단위: 개, %)



[FDA vs EMA Therapy Areas]

1. FDA 승인 내역

상반기에는 일곱 개 제품이 가속 승인 경로에 따라 승인되었다.

(1) Biogen/Eisai의 알츠하이머병 치료제 Leqembi, (2) Eli Lilly의 외투세포 림프종 치료제 Jaypirca, (3) Travere의 IgA 신병증 치료제 Filspari, (4) Incyte의 메르켈세포암 치료제 Zynyz, (5) Ionis/BioGen의 근위축성 측색 경화증 치료제(ALS) Qalsody, (6) Genmab/AbbVie의 미만성 거대 B 세포 림프종 치료제(DLBCL) Epkinly, (7) Roche의 DLBCL 치료제 Columvi이다.

바이오젠과 에자이가 공동 개발한 레캬비(성분명: lecanemab)는 베타 아밀로이드를 표적으로 하는 단일 항체 알츠하이머병 치료제이다. 올해 1월 6일 가속승인을 획득한 후, 대규모 글로벌 CLARITY AD 임상 3상에서 임상 혜택을 입증하여 지난 7월 6일 정식 승인을 획득했다. 데이터 분석기업인 글로벌데이터(GlobalData)는 2028년까지 레캬비가 129억 달러(약 17조)의 매출을 달성할 것이라고 예측하였다.

BTK 억제제로 FDA 승인을 받은 일라이릴리의 외투세포림프종의 3차 치료제인 Jaypirca(성분명: pirtobrutinib)는 동일 표적의 경쟁 약물들이 이미 2차 치료제로 승인을 받은 후 4번째로 시장에 출시되었다. 기존 외투세포림프종 치료제 FDA 승인 약물은 (1) 애브비와 J&J의 Imbruvica(성분명: ibrutinib), (2) 아스트라제네카의 Calquence(성분명: acalabrutinib maleate), (3) 베이진의 Brukinsa(성분명: zanubrutinib)이다.

그러나, 앞선 약물이 '공유결합'으로 BTK에 결합하는 반면, 자이피르카는 '비공유 결합'으로 결합하기 때문에, 틈새 시장을 확보하는데 중요한 강점으로 작용할 수 있다. 실제로 BRUIN 임상 1/2상에서 공유결합 BTK 억제제로 치료했던 환자의 50%에서 자이피르카가 효능을 보였다.

트래버 테라퓨틱스의 IgA 신병증 치료제 Filspari(성분명: Sparsentan)는 FDA 시판 허가를 받은 첫 비스테로이드성 약물로, 엔도텔린 안지오텐신 수용체 이중길항제이다. FDA 는 PROTECT 3 상 시험에서 36 주의 치료 기간 동안 ARB(Angiotensin II receptor blockers) 대조군인 irbesartan 에 비해 Filspari 가 단백뇨를 현저히 감소시킨 데이터를 기반으로 가속 승인을 결정하였다. Filspari 를 복용한 환자는 기준 대비 평균 49.8%의 단백뇨 감소를 달성한 반면 대조군은 15.1% 감소하였다.

가속 승인 뿐만 아니라 이번 분기에는 다수의 최초 치료제 승인들도 많았다.

Reata 의 NRF2 활성화제인 Skyclarys(성분명: omaveloxolone)는 퇴행성 신경근 장애인 Friedreich 운동실조증을 치료하는 최초의 치료제가 되었으며, 거의 여아에게만 영향을 미치는 희귀 신경 장애인 레트 증후군도 Acadia Pharmaceuticals 의 IGF1 조절제인 Daybue(성분명: Trofinetide)가 승인되면서 치료 옵션을 갖게 되었다.

Menarini 의 전이성 ER, HER2-, ESR1 변이 유방암 치료제 Orserdu(성분명: elacestrant)는 최초의 경구용 선택적 에스트로겐 수용체 분해제가 되었으며, Chiesi Farmaceutici 의 Lamzede(성분명: velmanase alfa)는 최초로 매우 희귀한 리소좀 축적 질환인 α -만노시도증의 치료제로서 FDA 승인을 획득하였다.

Pharming 은 극희귀 자가면역질환인 활성화된 PI3K Delta 증후군 환자를 위한 최초의 치료제인 Joenja(성분명: leniolisib)를 승인받았다. 활성화된 PI3K Delta 증후군은 미국에서 확인된 환자가 200 명에 불과하며, 반복적인 호흡기 감염과 면역조절장애를 특징으로 한다.

하반기에는 일라이 릴리의 도나네맵(Donanemab, A β mAb/알츠하이머), MSD 의 소타터셉트(Sotatercept, ACVR2A-Fc antagonist/폐동맥 고혈압) 등이 FDA 승인 신청을 준비하고 있다.

<상반기 FDA 승인 신약 리스트>

No.	Drug name	Company	Active Ingredient	Mechanism of Action	Molecule Type	Therapy Areas	Disease	Approval Date
1	Leqembi	Biogen/Eisai	Lecanemab	Amyloid β A4 Protein inhibitor	Monoclonal Antibody	Neuroscience	Alzheimer's Disease	23.1.6. (Accelerated approval)
2	Brenzavvy	TheracosBio	Bexagliflozin	SGLT-2 inhibitor	Small Molecule	Metabolic Disorders	Type 2 Diabetes	23.1.20.
3	Orserdu	Menarini Group	Elacestrant	ESR1 SERD	Small Molecule	Oncology	Metastatic Breast Cancer	23.1.27.
4	Jaypirca	Eli Lilly/Innovent Biologics	Pirtobrutinib	BTK inhibitor	Small Molecule	Oncology	Mantle Cell Lymphoma	23.1.27. (Accelerated approval)
5	Jesduvroq	GSK	Daprodustat	HIF-PH inhibitor	Small Molecule	Hematological Disorders	Anemia in Chronic Kidney Disease	23.2.1.
6	Lamzede	Chiesi Farmaceutici	Velmanase alfa	Alpha-mannosidase II enzyme replacement therapy	Recombinant Enzyme	Metabolic Disorders	Alpha-Mannosidosis	23.2.16.
7	Filspari	Travere Therapeutics	Sparsentan	AT1R/ETAR receptor antagonist	Small Molecule	Others	IgA Nephropathy	23.2.17. (Accelerated approval)
8	Syfovre	Apellis pharmaceuticals	Intravitreal pegcetacoplan	C3 inhibitor	Synthetic Peptide	Ophthalmology	Geographic Atrophy	23.2.17.
9	Skyclarys	Reata Pharmaceuticals	Omapixeloxolone	NRF2 activator, NF- κ B inhibitor	Small Molecule	Neuroscience	Friedreich Ataxia	23.2.28.
10	Zavzpret	Pfizer	Zavegepant	CGRP receptor antagonist	Small Molecule	Neuroscience	Migraine	23.3.9.
11	Daybue	Acadia Pharmaceuticals	Trofinetide	IGF1 peptide analogue	Small Molecule	Neuroscience	Rett Syndrome	23.3.10.
12	Rezzayo	Cidara Therapeutics	Rezafungin	1,3- β -d-glucan synthase inhibitor	Small Molecule	Infectious Diseases	Candidiasis	23.3.22.
13	Zynyz	Incyte	Retifanlimab	PD-1 antagonist	Monoclonal Antibody	Oncology	Merkel Cell Carcinoma	23.3.2. (Accelerated approval)
14	Joenja	Pharming Group	Leniolisib	PI3K δ inhibitor	Small Molecule	Immunology	Activated PI3K Delta Syndrome	23.3.24.
15	Qalsody	Ionis/BioGen	Tofersen	SOD1 inhibitor	Gene Therapy	Neuroscience	Amyotrophic Lateral	23.4.25

							Sclerosis	(Accelerated approval)
16	Elfabrio	Chiesi/Protalix Biotherapeutics	Pegunigalsidase alfa	Alpha-Galactosidase A enzyme replacement therapy	Recombinant Enzyme	Metabolic Disorders	Fabry Disease	23.5.9.
17	Veozah	Astellas Pharma	Fezolinetant	NK3 receptor antagonist	Small Molecule	Others	Hot flushes caused by menopause	23.5.12.
18	Miebo	Bausch + Lomb/Geuder Group	Perfluorhexyloctane	TRPM8 activator	Small Molecule	Ophthalmology	Dry eye disease associated with meibomian gland dysfunction	23.5.18.
19	Epkinly	Genmab/AbbVie	Epcoritamab-bysp	CD3xCD20 bispecific	Bispecific Antibody	Oncology	Diffuse Large B Cell Lymphoma	23.5.19. (Accelerated approval)
20	Xacduro	Innoviva	Sulbactam, Durlobactam	β -lactamase inhibitor	Small Molecule	Infectious Diseases	Pneumonias caused by Acinetobacter	23.5.23.
21	Paxlovid	Pfizer	Nirmatrelvir, Ritonavir	SARS-CoV-2 protease inhibitor	Small Molecule	Infectious Diseases	Coronavirus Disease 2019	23.5.25.
22	Posluma	Blue Earth Diagnostics	Flotufolastat F 18	PSMA-targeted imaging agent	Others	Others	Prostate cancer imaging	23.5.25.
23	Inpefa	Lexicon Pharmaceuticals	Sotagliflozin	SGLT-1, 2 inhibitor	Small Molecule	Cardiovascular	Congestive Heart Failure	23.5.26.
24	Columvi	Roche	Glofitamab-gxbm	CD3xCD20 bispecific	Bispecific Antibody	Oncology	Diffuse Large B Cell Lymphoma	23.6.15. (Accelerated approval)
25	Litfulo	Pfizer	Ritlecitinib	JAK3, TEC inhibitor	Small Molecule	Others	Alopecia Areata	23.6.23.
26	Rystiggo	UCB	Rozanolixizumab-noli	FcRn antagonist	Monoclonal Antibody	Immunology	Myasthenia Gravis	23.6.26.
27	Ngenla	OPKO Health	Somatrogon-ghla	GHR agonist	Recombinant Peptide	Metabolic Disorders	Paediatric growth hormone deficiency	23.6.27.
28	Beyfortus	AstraZeneca	Nirsevimab-alip	RSV F Protein Inhibitor	Monoclonal Antibody	Infectious Diseases	Respiratory Syncytial Virus infections	23.7.17.
29	Vanflyta	Daiichi Sankyo	Quizartinib	FLT3 inhibitor	Small Molecule	Oncology	Acute Myeloid Leukemia	23.7.20.
30	Xdemvy	Tarsus Pharmaceuticals	lotilaner	GABA Receptor inhibitor	Small Molecule	Ophthalmology	Blepharitis	23.7.25.

2. EMA 승인 내역

올해 상반기 두가지 신약이 FDA 와 EMA 에서 동시에 승인을 받았다.

(1) Chiesi/Protalix 의 Fabry 병 치료제 Elfabrio 와 (2) Roche 의 DLBCL 치료제 Columvi 이다.

Chiesi/Protalix 가 공동개발한 희귀 유전성 대사 질환인 파브리병 치료제인 Elfabrio(성분명: pegunigalsidase alfa)는 올해 5 월 두 기관에서 승인을 획득했다. 파브리병은 α -galactosidase A 결손으로 인해 Gb3(globotriaosylceramide)가 세포내에 축적 되어 임상적 증상을 유발하는 질환으로, 다양한 임상시험(BALANCE, BRIDGE, BRIGHT 등)에서 Elfabrio 가 환자의 Gb3 수치를 감소시키는 효력을 입증하였다.

로슈는 CD20xCD3 이중 특이적 항체 Columvi(성분명: Glofitamab-gxbm)의 FDA(올해 6 월), EMA(올해 7 월) 승인을 순차적으로 획득했다. 컬럼비는 현재 임상 1/2 상 NP30179 연구결과를 기반으로 미만성 거대 B 세포 림프종의 3 차 치료제로 조건부 승인을 획득한 상태이며, 추가 임상시험 결과를 통해 유익성을 입증해야 한다.

<상반기 EMA 승인 신약 리스트>

No.	Drug name	Company	Active Ingredient	Mechanism of Action	Molecule Type	Therapy Areas	Disease	Approval Date
1	Hemgenix	CSL Behring	Etranacogene dezaparvovec	Coagulation Factor IX activator	Gene Therapy	Hematological Disorders	Hemophilia B	23.2.20.
2	Imjudo	AstraZeneca	Tremelimumab	CTLA4 antagonist	Monoclonal Antibody	Oncology	Hepatocellular Carcinoma	23.2.20.
3	Imjudo	AstraZeneca	Tremelimumab	CTLA4 antagonist	Monoclonal Antibody	Oncology	Non-Small Cell Lung Cancer	23.2.20.

4	Pombiliti	Amicus Therapeutics	Cipaglucosidase alfa	GAA enzyme replacement therapy	Recombinant Enzyme	Metabolic Disorders	Glycogen Storage Disease Type II	23.3.20
5	Sotyktu	Bristol-Myers Squibb	Deucravacitinib	TYK2 inhibitor	Small Molecule	Immunology	Psoriasis	23.3.24.
6	Bimervax	Hipra	COVID-19 Vaccine (recombinant, adjuvanted)	Immune stimulant	Vaccine	Infectious Diseases	COVID-19 virus infection	23.3.30.
7	Opzelura	Incyte Biosciences	Ruxolitinib	JAK1, 2 inhibitor	Small Molecule	Immunology	Vitiligo	23.4.19.
8	Akeega	Janssen	Niraparib, Abiraterone acetate	Androgen biosynthesis inhibitor	Small Molecule	Oncology	Castration-Resistant Prostatic Neoplasms	23.4.19.
9	Vafseo	Akebia Therapeutics	Vadadustat	Hypoxia-inducible factor prolyl hydroxylase inhibitor	Small Molecule	Hematological Disorders	Anemia in Chronic Kidney Disease	23.4.24.
10	Elfabrio	Chiesi Farmaceutici	Pegunigalsidase alfa	Alpha-Galactosidase A enzyme replacement therapy	Recombinant Enzyme	Metabolic Disorders	Fabry Disease	23.5.4.
11	Tibsovo	Laboratoires Servier	Ivosidenib	Isocitrate Dehydrogenase Cytoplasmic Inhibitor	Small Molecule	Oncology	Acute Myeloid Leukemia, Bile Duct Cancer	23.5.4.
12	Hyftor	Plusultra pharma	Sirolimus	Mammalian Target Of Rapamycin inhibitor	Small Molecule	Others	Angiofibroma; Tuberous Sclerosis	23.5.15.
13	Omvoh	Eli Lilly Nederland	Mirikizumab	IL-23 subunit- α inhibitor	Monoclonal Antibody	Immunology	Ulcerative Colitis	23.5.26.
14	Pedmarqsi	Fennec Pharmaceuticals	Sodium thiosulfate	Inactivates metabolic by-products of cisplatin	Small Molecule	Others	Ear Diseases; Ototoxicity	3.5.26.
15	Sugammadex Adroiq	Extrovis	Sugammadex	Elective relaxant binding agent	Small Molecule	Neuroscience	Neuromuscular Blockade	23.5.26.
16	Qaialdo	Nova Laboratories	Spironolactone	Aldosterone Receptor antagonist	Small Molecule	Cardiovascular	Edema	23.5.26.
17	Briumvi	Propharma Group	Ublituximab	Anti-CD20 antibody	Monoclonal Antibody	Immunology	Multiple Sclerosis	23.5.31.
18	Arexvy	GlaxoSmithKline	Recombinant respiratory syncytial virus pre-fusion F protein, adjuvanted with AS01E	Immune stimulant	Vaccine	Infectious Diseases	Respiratory Syncytial Virus Infections	23.6.6.
19	Opfolda	Amicus Therapeutics	Miglustat	Glycosyltransferase inhibitor	Small Molecule	Metabolic Disorders	Glycogen Storage Disease Type II	23.6.26.
20	Camzyos	Bristol-Myers	Mavacamten	Myosin 7 inhibitor	Small	Cardiovascular	Hypertrophic	23.6.26.

		Squibb			Molecule		Cardiomyopathy	
21	Lytgobi	Taiho Pharma Netherlands	Futibatinib	Fibroblast Growth Factor Receptor Inhibitor	Small Molecule	Oncology	Cholangiocarcinoma	23.7.4.
22	Columvi	Roche	Glofitamab-gxbm	CD3xCD20 bispecific	Bispecific antibody	Oncology	Diffuse Large B-Cell Lymphoma	23.7.7

<문의>

국가신약개발사업단 기획팀 진주연 연구원(jyjin@kddf.org)

Reference

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

<https://www.eisai.com/news/2023/news202343.html>

<https://www.fiercepharma.com/pharma/eisai-biogens-leqembi-set-generate-129b-sales-through-2028-globaldata>

<https://investor.lilly.com/news-releases/news-release-details/us-fda-approves-jaypircatm-pirtobrutinib-first-and-only-non>

<https://www.fiercepharma.com/marketing/travere-fda-approval-bristol-myers-castoff-unique-drug-rare-kidney-disease>

nature reviews drug discovery, FDA new drug approvals in Q1 2023

nature reviews drug discovery, FDA new drug approvals in Q2 2023

<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data>