

## 2024 글로벌 연구개발 동향(at a glance)

국가신약개발사업단 R&D기획팀

진주연 연구원, 김효인 연구원, 박영숙 연구원

### Overview

2024년 국가신약개발사업단이 발간한 글로벌 연구개발 동향 자료는 총 11건이며, 그 중 신약 승인 현황 4건, 글로벌 신약개발 동향 2건, New modality 4건이며 2건은 해외학회 리뷰이다. 지난 2024년 동안 발간된 자료를 요약하여 소개한다.

<표 1. 2024 연구·산업 동향 리스트>

No.	구분	제목
1	신약 승인 현황	2023년 FDA 신약 승인 현황
2		2023년 EMA 신약 승인 현황
3		2023년 Novel Target 의약품 9종
4		2024년 FDA 신약 승인 현황
5	글로벌 신약개발 동향	2024 Most Valuable R&D Project Top 10
6		2024 Global Oncology trends
7	New modality	항체-분해약물접합체(DAC)
8		RNA 치료제

No.	구분	제목
9		TPD(Targeted protein degradation)
10	해외학회 리뷰	AACR 2024
11		ESMO 2024

## 1. 2023 년 FDA 승인 현황

미국 식품의약국(FDA)은 2023 년에 총 71 개 신약(CDER: 55 개, CBER: 16 개)을 승인하여 22 년 대비(총 45 건) 신약 승인이 크게 증가하였다. 적응증 유형별로는 Oncology(13 건), Neurology(9 건), Infectious diseases & Haematology(각 5 건)의 순으로 승인 되었으며, 모달리티 유형별로는 Small molecules(34 건), Proteins(17 건), Oligonucleotides(4 건) 순으로 승인 되었다.

<표2. 2023년 FDA CDER 승인 내역>

연번	성분명(제품명)	기업명	작용기전	적응증
1	Lecanemab (Leqembi)	Eisai/Biogen	Amyloid-β-targeted mAb	Alzheimer disease
2	Bexagliflozin (Brenzavvy)	Theracosbio	SGLT2 inhibitor	Glycaemic control in type 2 diabetes mellitus
3	Pirtobrutinib (Jaypirca)	Loxo/Eli Lilly	BTK inhibitor	Mantle cell lymphoma
4	Elacestrant (Orserdu)	Stemline	ER antagonist	ER-positive, HER2-negative, ESR1-mutant breast cancer
5	Daprodustat (Jesduvroq)	GSK	HIF-PH inhibitor	Anaemia caused by CKD for adults on dialysis
6	Velmanase alfa (Lamzede)	Chiesi	Recombinant α-mannosidase	Non-CNS manifestations of α-mannosidosis
7	Sparsentan (Filspari)	Traverse	Endothelin and angiotensin II receptor antagonist	Proteinuria in primary IgA nephropathy
8	Omaveloxolone (Skyclarys)	Reata/Biogen	Mechanism unknown, NRF2 activator	Friedrich's ataxia
9	Zavegepant (Zavzpret)	Pfizer	CGRP receptor antagonist	Migraine

연번	성분명(제품명)	기업명	작용기전	적응증
10	Trofinetide (Daybue)	Acadia	Mechanism unknown	Rett syndrome
11	Retifanlimab (Zynzyz)a	Incyte	PD1-targeted mAb	Merkel cell carcinoma
12	Rezafungin (Rezzayo)	Cidara	Echinocandin antifungal	Candidemia and invasive candidiasis
13	Leniolisib (Joenja)	Pharming	PI3K $\delta$ inhibitor	Activated PI3K $\delta$ syndrome
14	Tofersen (Qalsody)	Biogen	SOD1-targeted ASO	SOD1 amyotrophic lateral sclerosis
15	Pegunigalsidase alfa (Elfabrio)	Chiesi	PEGylated recombinant $\alpha$ -galactosidase A	Fabry disease
16	Fezolinetant (Veozah)	Astellas	Neurokinin 3 receptor antagonist	Hot flashes caused by menopause
17	Perfluorohexyloctane (Miebo)	Bausch + Lomb	Semifluorinated alkane	Dry eye disease
18	Epcoritamab (Epkiny)	Genmab/AbbVie	CD20 $\times$ CD3 T-cell engager	DLBCL and high-grade B-cell lymphoma
19	Sulbactam, durlobactam (Xacduro)	Entasis	$\beta$ -lactam antibacterial plus a $\beta$ -lactamase inhibitor	Hospital-acquired and ventilator-associated bacterial pneumonia caused by susceptible ABC
20	Nirmatrelvir, ritonavir (Paxlovid)	Pfizer	SARS-CoV-2 main protease inhibitor plus a CYP3A inhibitor	Mild-to-moderate COVID-19
21	Flotufolastat F18 (Posluma)	Blue Earth	Radioactive diagnostic agent	PET imaging in prostate cancer
22	Sotagliflozin (Inpefa)	Lexicon	SGLT1/2 inhibitor	Heart failure
23	Glofitamab (Columvi)	Genentech	CD20 $\times$ CD3 T-cell engager	DLBCL or large B-cell lymphoma
24	Ritlecitinib (Litfulo)	Pfizer	JAK3 inhibitor	Alopecia areata
25	Rozanolixizumab (Rystiggo)	UCB	FcRn-targeted mAb	AChR- or MuSK-antibody-positive gMG
26	Somatrogon (Ngenla)	Pfizer	Human growth hormone analogue	Growth hormone deficiency
27	Nirsevimab (Beyfortus)	AstraZeneca	RSV F protein-targeted mAb	RSV lower respiratory tract disease
28	Quizartinib (Vanflyta)	Daiichi Sankyo	FLT3 kinase inhibitor	AML
29	Lotilaner (Xdemyv)	Tarsus	Ectoparasiticide	Demodex blepharitis
30	Zuranolone (Zurzuvae)	Sage	GABAA receptor PAM	Postpartum depression
31	Avacincaptad pegol (Izervay)	Iveric/Astellas	C5-targeted aptamer	Geographic atrophy secondary to AMD

연번	성분명(제품명)	기업명	작용기전	적응증
32	Talquetamab (Talvey)	Janssen	GPRC5D × CD3 T-cell engager	Multiple myeloma
33	Elranatamab (Elrexfio)	Pfizer	BCMA × CD3 T-cell engager	Multiple myeloma
34	Palovarotene (Sohonos)	Ipsen	Retinoic acid receptor agonist	Fibrodysplasia ossificans progressiva
35	Pozelimab (Veopoz)	Regeneron	C5-targeted mAb	CHAPLE disease
36	Motixafortide (Aphexda)	BiolineRx	CXCR4 inhibitor	Hematopoietic stem cell mobilization for autologous transplantation in multiple myeloma
37	Momelotinib (Ojjaara)	GSK	JAK1/2, ALK2 inhibitor	Myelofibrosis in adults with anaemia
38	Gepirone (Exxua)	Fabre-Kramer	5HT1A receptor agonist	Major depressive disorder
39	Cipaglucosidase alfa (Pombiliti)	Amicus	Recombinant α-glucosidase	Pompe disease
40	Nedosiran (Rivfloza)	Novo Nordisk	LDHA-targeted siRNA	Primary hyperoxaluria type 1
41	Etrasimod (Velsipity)	Pfizer	S1P receptor modulator	Ulcerative colitis
42	Zilucoplan (Zilbrysq)	UCB	Complement C5 inhibitor	AChR-antibody positive gMG
43	Bimekizumab (Bimzelx)	UCB	IL-17A/F-targeted mAb	Plaque psoriasis
44	Vamorolone (Agamree)	Santhera	Corticosteroid	Duchenne muscular dystrophy
45	Mirikizumab (Omvoh)	Eli Lilly	IL-23-targeted mAb	Ulcerative colitis
46	Toripalimab (Loqtorzi)	Coherus	PD1-targeted mAb	Nasopharyngeal carcinoma
47	Fruquintinib (Fruzaqla)	Takeda	VEGFR1/2/3 kinase inhibitor	Colorectal cancer
48	Taurolidine, heparin (Defencath)	Cormedix	Thiadiazinane antimicrobial plus an anticoagulant	Incidence of catheter-related bloodstream infections
49	Repotrectinib (Augtyro)	Bristol Myers Squibb	ROS1 and TRK kinase inhibitor	ROS1-positive NSCLC
50	Efbemalenograstim alfa (Ryzneuta)	Evive	Recombinant leukocyte growth factor	Neutropenia
51	Capivasertib (Truqap)	AstraZeneca	AKT kinase inhibitor	Breast cancer
52	Nirogacestat (Ogsiveo)	Springworks	γ-secretase inhibitor	Desmoid tumours
53	Iptacopan (Fabhalta)	Novartis	Complement factor B inhibitor	Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria
54	Birch triterpenes (Filsuvez)	Chiesi	Mechanism unknown	Epidermolysis bullosa
55	Eplontersen (Wainua)	Ionis/AstraZeneca	TTR-targeted ASO	hATTR with polyneuropathy

※ 출처: A Mullard, "2023 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2024.

<표3. 2023년 FDA CBER 승인 내역>

연번	성분명(제품명)	기업명	작용기전	적응증
1	Fc-vwf-xten fusion protein (Altuviio)	Bioerativ	Recombinant antihemophilic factor	Haemophilia A
2	Omidubicel (Omisirge)	Gamida Cell	Nicotinamide modified allogeneic haematopoietic progenitor cell therapy	Neutrophil recovery in patients with haematologic malignancies
3	Fecal microbiota spores, live (Vowst)	Seres	Bacterial spore suspension in capsules for oral administration	C. difficile recurrence
4	RSV vaccine, adjuvanted (Arexvy)	GSK	Stabilized prefusion F subunit vaccine	RSV prevention, in over 60s
5	Beremagene geperpavec (Vyjuvek)	Krystal	HSV-based gene therapy with OL7A1 transgene	Skin wounds in COL7A1-mutated DEB
6	RSV vaccine (Abrysvo)	Pfizer	Bivalent stabilized prefusion F subunit vaccine	RSV prevention, in over 60s and pregnant women
7	Delandistrogene moxeparvovec (Elevidys)	Sarepta	AAV-based gene therapy with a micro-dystrophin transgene	DMD patients aged 4–5
8	Donislecel (Lantidra)	Celltrans	Allogeneic pancreatic islets	Type 1 diabetes patients unable to approach target HbA1c
9	Valoctocogene roxaparvovec (Roctavian)	Biomarin	AAV-based gene therapy with modified factor VIII transgene	Haemophilia A
10	Anthrax vaccine adsorbed, adjuvanted (Cyfendus)	Emergent	Protective antigen protein-based vaccine	Post-exposure prophylaxis
11	Prothrombin complex concentrate, human (Balfaxar)	Octapharma	Prothrombin complex concentrate containing factor II, VII, IX and X, and proteins C and S	Urgent warfarin reversal
12	Meningococcal groups A, B, C, W, and Y vaccine (Penbraya)	Pfizer	Conjugate and recombinant protein vaccine, Pentavalent	Meningococcal disease prevention
13	Chikungunya vaccine, live (Ixchiq)	Valneva	Live, attenuated chikungunya virus vaccine	Chikungunya virus prevention
14	ADAMTS13, recombinant (Adzynma)	Takeda	Recombinant rADAMTS13	cTTP
15	Exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Vertex/CRISPR	CRISPR–Cas9-based BCL11a-gene-editing therapy	Sickle cell disease
16	Lovotibeglogene autotemcel (Lyfgenia)	Bluebird	Lentivirus-based gene therapy with HbAT87Q transgene	Sickle cell disease

※ 출처: A Mullard, "2023 FDA approvals", Nature reviews drug discovery, 2024.

## 2. 2023 EMA 신약 승인 권고 현황

유럽 EMA는 지난 2023년 77건의 승인권고 의약품(Positive opinions)을 선정하였다. 승인권고 의약품 중에는 새로운 유효 성분(New active substances)이 39건, PRIME(Priority Medicines) 3건, 희귀의약품(Orphan medicines) 17건, 첨단치료 의약품(Advanced therapy medicinal products) 1건, 바이오시밀러(Biosimilars) 8건, 제네릭(Generics) 14건, 신속심사(Accelerated assessments) 3건, 조건부허가(Conditional marketing authorisations) 8건, 예외적 상황의 품목허가(Approvals under exceptional circumstances) 1건이 포함된다.

<그림1. 2023 EMA 심사 결과 요약>



<그림2. 2023 EMA 승인 권고 의약품 내역, Source: Human Medicine Highlights 2023>

THERAPEUTIC AREA/ PRODUCT NAME	New active substance	PRIME	Orphan	ATMP	Biosimilar	Generic	Accelerated assessment	Conditional approval	Exceptional circumstances
<b>Cancer</b>									
Akeega									
Azacitidine Kabi									
Columvi									
Degarelix Accord									
Elrexfo									
Enrylaze									
Finlee									
Herwenda									
Inaqovi									
Jaypirca									
Krazati									
Lytgobi									
Mevlyq									
Naveruclif									
Omjjara									
Orserdu									
Pedmarqsi									
Pomalidomide Viatrix									
Spexotras									
Talvey									
Tepkinly									
Tevimbra <sup>5</sup>									
Tibsovo									
Tidhesco <sup>6</sup>									
Vanflyta									
<b>Cardiovascular</b>									
Aqumeldi									
Camzyos									
Dabigatran Etexilate Accord									
Dabigatran Etexilate Leon Farma									
Ibuprofen Gen.Orph									
Qaialdo									
<b>Dermatology</b>									
Ebglyss									
Hyftor									
Opzelura									
Litfulo									
Sotyktu									
<b>Diagnostic agents</b>									
Elucirem									
Pyliciari									
Vueway <sup>7</sup>									
<b>Endocrinology</b>									
Dapagliflozin Viatrix									
Sitagliptin/Metformin hydrochloride Sun									
Tolvaptan Accord									
Yorvipath									
Veozza									
<b>Gastroenterology/ Hepatology</b>									
Orvoh									
Velsipity									
<b>Haematology/ Haemostaseology</b>									
Bekermv									
Casgevy									
Epysqli									
Jesduvroq									
Vafseo									

<sup>4</sup> Some medicines might fall into more than one therapeutic area but have been reflected only in one.

<sup>5</sup> The orphan status was removed after authorisation at the request of the marketing authorisation holder.

<sup>6</sup> Duplicate of Tibsovo. The marketing authorisation application was withdrawn after the positive CHMP opinion.

<sup>7</sup> Duplicate of Elucirem



THERAPEUTIC AREA/ PRODUCT NAME	New active substance	PRIME	Orphan	ATMP	Biosimilar	Generic	Accelerated assessment	Conditional approval	Exceptional circumstances
<b>Immunology/ Rheumatology/ Transplantation</b>									
Tyenne					•				
Uzpruvo					•				
<b>Infections</b>									
Apretude									
Rezzayo	•		•						
<b>Metabolism</b>									
Elfabrio									
Loargys	•		•						•
Opfolda									
<b>Neurology</b>									
Agamree	•		•						
Aquipta	•								
Briumvi	•								
Lacosamide Adroiq						•			
Rystiggo	•		•						
Skyclarys	•		•						
Sugammadex Adroiq						•			
Sugammadex Piramal						•			
Tyruko					•				
Zilbrysq	•								
Ztalmy	•		•						
<b>Ophthalmology</b>									
Catiolanze									
Rimmyrah					•				
Yesafili					•				
<b>Pneumology/Allergy</b>									
Lyfnua	•								
<b>Vaccines</b>									
Abrysvo	•						•		
Arexvy	•						•		
Bimervax	•								
Zoonotic Influenza Vaccine Seqirus									



### 3. 2023 Novel Target 의약품 9 종

Nature Reviews Drug Discovery의 'Novel Drug Targets in 2023'에 따르면, 지난 한 해 미국과 EU, 일본에서 승인된 신약은 백신과 유전자치료제를 제외하고 49개에 달한다. 보고서에서 소개된 9개의 Novel Target 물질 중 5개는 저분자에 해당되었으며, 나머지 2개는 각각 항체와 올리고뉴클레오타이드에 해당되었다.

< 표4. Drugs with novel mechanism of action targets approved in 2023 >

(2024.6)

No	Ingredient name	Drug name	Modality	Target	Target class	Indications	First Approval Agency	First Approval Date
1	Fezolinetant	Veozla	Small molecule	NK3R	GPCR	Vasomotor symptoms due to menopause	FDA	2023.05.12
2	Iptacopan	Fabhalta	Small molecule	CFB	Enzyme	PNH	FDA	2023.12.05
3	Nirogacestat	Ogsiveo	Small molecule	$\gamma$ -Secretase (PSEN1 and PSEN2)	Enzyme	Desmoid tumors	FDA	2023.11.27
4	Momelotinib	Ojjaara	Small molecule	ACVR1, JAK1/JAK2, mutant JAK2V617F	Kinase	Myelofibrosis	FDA	2023.09.15
5	Capivasertib	Truqap	Small molecule	AKT1/AKT2/AKT3	Kinase	Breast cancer	FDA	2023.11.16
6	Talquetamab	Talvey	BsAbs	GPRC5D, CD3	GPCR	Multiple myeloma	FDA	2023.08.09
7	Concizumab	Alhemo	mAb	TFPI	Protease inhibitor	Hemophilia A/B	Health Canada	2023.04.19
8	Tofersen	Qalsody	ASO	SOD1	Enzyme	Amyotrophic lateral sclerosis	FDA	2023.04.25
9	Nedosiran	Rivfloza	siRNA	LDHA	Enzyme	Primary hyperoxaluria type 1	FDA	2023.09.29

(Source: NRDD, BioCentury, Synapse 재구성)

#### 4. 2024 FDA 신약 승인현황

2024년 1월부터 11월까지 FDA 승인을 받은 신약을 분석한 결과, 총 43개의 약물이 승인되었다. 2023년에 55개의 신약이 FDA의 승인을 획득했고, 전년도에 승인을 받을 것으로 예상되었던 약품들의 승인 일정이 올해까지 지연된 상황들을 고려하면, 아직까지는 2024년의 승인 건수가 다소 적은 것으로 확인된다.

2024년의 승인 내역은 다음의 [표 5]에서 확인 가능하다. 승인된 신약은 타겟 질환별로는 Oncology 11건(26%), Immunology 6건(14%), Cardiovascular Diseases 5건(12%), Metabolic Disorders/Hematology 각 4건(9%), Neuroscience/Infectious Diseases 각 3건(7%), Respiratory/Genitourinary 각 1건(2%), 기타 5건(12%)이며, 모달리티별로는 Small molecule 25건(58%), Antibody 10건(23%), Recombinant Protein 3건(7%), Peptide/ASO 각 1건(2%), 기타 3건(7%)으로 분류되어 여전히 항암제와 저분자화합물이 가장 높은 비율을 차지하고 있음을 확인할 수 있었다.

다만, 12월 20일을 전후로 다토포타맙 데룩스테칸(Datopotamab deruxtecan; Dato-DXD, Daiichi Sankyo-AstraZeneca, TROP2 ADC / Nonsquamous NSCLC), 올레자르센(Olezarsen, Ionis Pharmaceuticals, ApoC3 ASO / Chylomicronemia Syndrome), 글레파글루타이드(Glepaglutide, Zealand Pharma, GLP-2R agonist / Short bowel syndrome) 등이 FDA의 승인 여부를 기다리고 있어 이 약물들의 승인 여부에 따라 예년과 비슷한 수준의 승인 건수를 달성할 수 있을지 귀추가 주목된다.

< 표5. FDA new drug approvals in 2024 >

(2024.11)

No.	Drug Name (Ingredient name)	Company	Target	Molecule Type	Therapeutic Area	Indication	Approval Date
1	Zelsuvmi (Berdazimer)	Ligand Pharmaceuticals	Nitric oxide(NO)	Small molecule	Infectious Diseases	Molluscum contagiosum	24.01.05
2	Exblifep (Cefepime-enmetazobactam)	Allegra Therapeutics	Penicillin binding proteins (PBP), $\beta$ lactamase(LACTB)	Small molecule	Genitourinary	Urinary tract infection (UTI)	24.02.22
3	Letybo; Botulax (LetibotulinumtoxinA)	Hugel	Botulinum neurotoxin type A(BoNT A)	Recombinant Protein	Others	Scars, Wrinkles	24.02.29
4	Tevimbra (Tislelizumab)	BeiGene	PD-1	mAb	Oncology	Esophageal squamous cell carcinoma (ESCC)	24.03.13
5	Rezdiffra (Resmetirom)	Madrigal Pharmaceuticals	Thyroid hormone receptor $\beta$	Small molecule	Metabolic Disorders	Non-alcoholic steatohepatitis	24.03.14
6	Tryvio (Aprocitentan)	Idorsia	Endothelin receptor	Small molecule	Cardiovascular Diseases	Hypertension	24.03.19
7	Duvyzat (Givinostat)	Italfarmaco	Histone deacetylase (HDAC)	Small molecule	Neuroscience	Duchenne muscular dystrophy	24.03.21
8	Winrevair (Sotatercept)	MSD	Activin receptor type 2A (ACVR2A)	Recombinant Protein	Cardiovascular Diseases	Hypertension	24.03.26
9	Vafseo (Vadadustat)	Akebia Therapeutics	Hypoxia-inducible factor prolyl hydroxylase (HIF-PH)	Small molecule	Hematology	Anemia	24.03.27

10	Voydeya (Danicopan)	AstraZeneca	Complement factor D (CFD)	Small molecule	Hematology	PNH	24.03.29
11	Zevtera (Ceftobiprole medocartil)	Basilea Pharmaceutica	Penicillin binding proteins (PBP)	Small molecule	Infectious Diseases	<i>Staphylococcus aureus</i> bloodstream infections, ABSSSI and CABP	24.04.03
12	Lumisight (Pegulicianine)	Lumicell	Cathepsin	Diagnostics	Diagnostics	Cancer, Diagnostic	24.04.17
13	Anktiva (Nogapendekin $\alpha$ inbakicept)	ImmunityBio	IL-15	Recombinant Protein	Oncology	Bladder cancer	24.04.22
14	Ojemda (Tovorafenib)	Day One Biopharmaceuticals	RAF	Small molecule	Oncology	Paediatric low-grade glioma	24.04.23
15	Xolremdi (Mavorixafor)	X4 Pharmaceuticals	CXCR4	Small molecule	Immunology	WHIM syndrome	24.04.26
16	Imdelltra (Tarlataamab-dlle)	Amgen	DLL3xCD3	BsAbs	Oncology	Small-cell lung cancer (SCLC)	24.05.16
17	Rytelo (Imetelstat)	Geron	Telomerase	ASO	Oncology	Myelodysplastic syndromes	24.06.06
18	Iqirvo (Elafibranor)	Ipsen	PPAR $\alpha$ , PPAR $\delta$	Small molecule	Immunology	Primary biliary cholangitis	24.06.10
19	Sofdra (Sofpironium)	Botanix Pharmaceuticals	M3	Small molecule	Others	Primary axillary hyperhidrosis	24.06.18
20	Piasky (Crovalimab-akkz)	Roche	C5	mAb	Hematology	Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH)	24.06.20
21	Ohtuvayre	Verona Pharma	PDE-3, PDE-4	Small molecule	Respiratory	Chronic obstructive pulmonary	24.06.26

	(Ensifentrine)					disease	
22	Kisunla (Donanemab-azbt)	Eli Lilly	$\beta$ amyloid	mAb	Neuroscience	Alzheimer's disease	24.07.02
23	Leqselvi (Deuruxolitinib)	Sun Pharma	JAK1, JAK2	Small molecule	Immunology	Severe alopecia areata	24.07.25
24	Voranigo (Vorasidenib)	Servier Pharmaceuticals	IDH1, IDH2	Small molecule	Oncology	IDH-mutant grade 2 glioma	24.08.06
25	Yorvipath (Palopegteriparatide)	Ascendis Pharma	PTH 1-34	Peptide	Metabolic Disorders	Hypoparathyroidism	24.08.09
26	Nemluvio (Nemolizumab-ilto)	Galderma	IL-31A	mAb	Others	Prurigo nodularis	24.08.12
27	Niktimvo (Axatilimab-csfr)	Incyte	CSF-1R	mAb	Immunology	Chronic graft-versus-host disease (GvHD)	24.08.14
28	Livdelzi (Seladelpar)	Gilead	PPAR $\delta$	Small molecule	Immunology	Primary biliary cholangitis	24.08.14
29	Lazcluze (Lazertinib)	J&J	EGFR	Small molecule	Oncology	Non-small-cell lung cancer (NSCLC)	24.08.19
30	Ebglyss (Lebrikizumab-lbkz)	Eli Lilly	IL-13	mAb	Immunology	Moderate-to-severe atopic dermatitis	24.09.13
31	Miplyffa (Arimoclomol)	Zevra Therapeutics	Hsp70	Small molecule	Metabolic Disorders	Niemann-Pick disease type C	24.09.20
32	Aqneursa (Levacetylleucine)	IntraBio	n/d	Small molecule	Metabolic Disorders	Niemann-Pick disease type C	24.09.24
33	Cobenfy	BMS	M1/M4 mAChR	Small molecule	Neuroscience	Schizophrenia	24.09.26

	(Xanomeline-trospium; KarXT)						
34	Flyrcado (Flurpiridaz F 18)	GE Healthcare	n/d	Diagnostics (Radioactive)	Cardiovascular Diseases	Evaluation of myocardial ischemia and infarction	24.09.27
35	Itovebi (Inavolisib)	Genentech(Roche)	PI3K	Small molecule	Oncology	Breast cancer	24.10.10
36	Hympavzi (Marstacimab-hncq)	Pfizer	TFPI	mAb	Hematology	Hemophilia	24.10.11
37	Vyloy (Zolbetuximab-clzb)	Astellas Pharma	CLDN18.2	mAb	Oncology	Gastric cancer	24.10.18
38	Orlynvah (Sulopenem etzadroxil, probenecid)	Iterum Therapeutics	n/d	Small molecule	Infectious Diseases	Uncomplicated urinary tract infections (uUTI)	24.10.25
39	Revuforj (Revumenib)	Syndax Pharmaceuticals	Menin	Small molecule	Oncology	Acute Leukemia	24.11.15
40	Ziihera (Zanidatamab-hrii)	Jazz Pharmaceuticals	HER2	BsAbs	Oncology	Biliary cancer	24.11.20
41	Attruby (Acoramidis)	Alexion Pharmaceuticals	Transthyretin	Small molecule	Cardiovascular Diseases	Transthyretin amyloid cardiomyopathy	24.11.22
42	Rapiblyk (Landiolol)	Ono Pharmaceutical	$\beta$ 10adrenergic receptor	Small molecule	Cardiovascular Diseases	Supraventricular tachycardia	24.11.22
43	Iomervu (lomeprol)	Eisai	n/d	Diagnostics (Radioactive)	Others	Radiographic contrast agent	24.11.27

(Source: FDA, Cortellis 재구성)

## 5. 2024 Most Valuable R&D Project Top 10

Evaluate는 1월에 2024 Preview를 통해 올 한 해 가장 기대되는 R&D Project 10개를 발표했다. 가장 높은 가치가 매겨진 2가지 에셋은 비만, 당뇨병 등 대사질환 치료제였으며, 2개의 대사질환 에셋 외 8개의 다른 에셋들은 종양 3개, 자가면역질환 2개, 호흡기질환 1개, 심혈관질환 1개, 신경질환 1개로 구성되었으며, 전체 10개 에셋을 모달리티별로 분류한 결과 저분자화합물 7개, 항체 2개, 펩타이드 1개로 확인되었다. 선정된 10개 프로젝트의 12월 기준 업데이트 결과는 [표 6]와 같다.

<표6. Biopharma's Most Valuable R&D Projects Top 10>

(2024.12)

No	Company	Project/Asset	Modality	Targets/MoA	Indication	Highest Status	Net Present Value(USD)
1	Novo Nordisk	CagriSema (cagrilintide+ semaglutide)	Peptide	Amylin receptor + GLP1 receptor combination agonist	Type 2 diabetes, Obesity	Phase 3	\$30.2bn
2	Eli Lilly	Orforglipron	Small molecule	GLP1 receptor agonist	Type 2 diabetes, Obesity	Phase 3	\$13.0bn
3	Vertex Pharmaceuticals	Vanzacaftor	Small molecule	CFTR modulator	Cystic fibrosis	Pre-registration	\$10.7bn
4	Roche	Tiragolumab	Antibody	$\alpha$ TIGIT mAb	NSCLC / Other cancers	Phase 3	\$5.2bn
5	Cytokinetics	Aficamten	Small molecule	Cardiac myosin inhibitor	Hypertrophic cardiomyopathy	Phase 3	\$4.6bn
6	AstraZeneca	Camizestrant	Small molecule	Oral SERD and ER $\alpha$ antagonist	HR <sup>+</sup> /HER2 <sup>-</sup> breast cancer	Phase 3	\$4.5bn



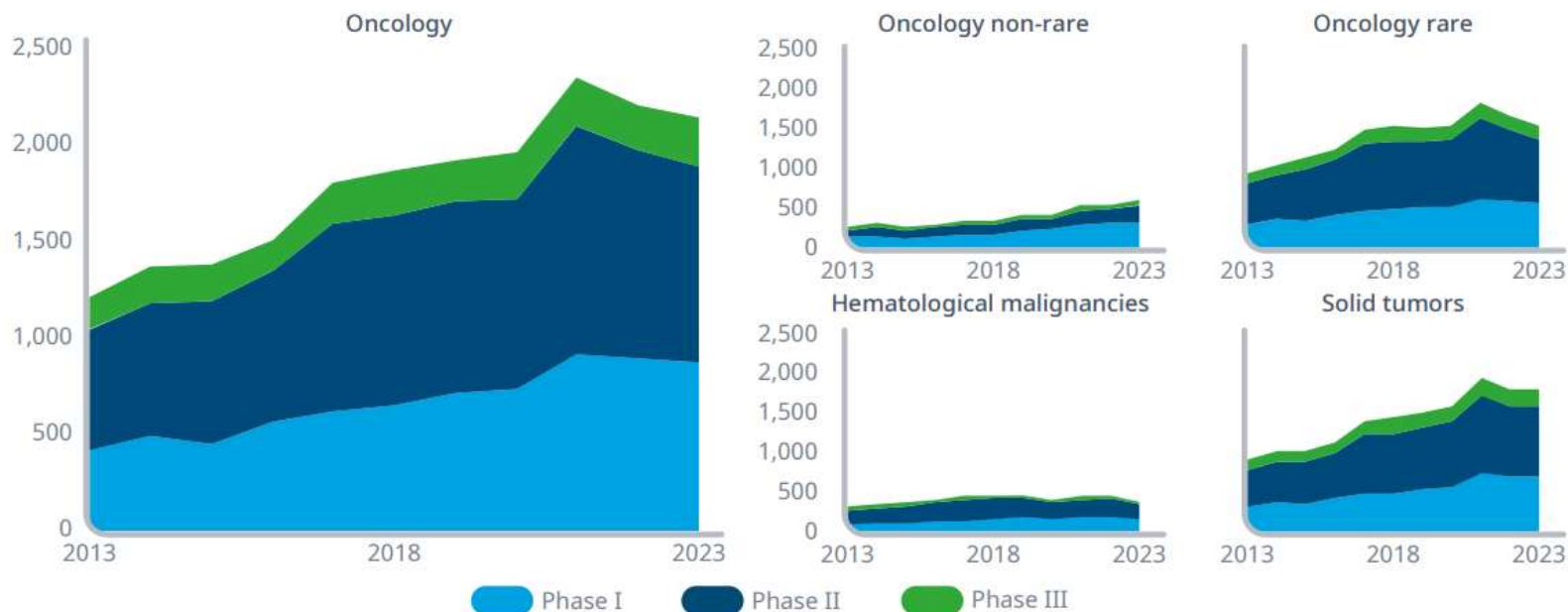
7	Roche	Giredestrant	Small molecule	Oral SERD	HR-/HER2+ breast cancer, HR+/HER2- breast cancer	Phase 3	\$3.8bn
8	Merck KGaA	Evobrutinib	Small molecule	BTK inhibitor	Multiple sclerosis	Discontinued (Phase 3)	\$3.6bn
9	J&J	Nipocalimab	Antibody	FcRn antagonist	Myasthenia gravis	Pre- registration	\$3.6bn
10	Vertex Pharmaceuticals	Suzetrigine (VX-548)	Small molecule	Nav1.8 inhibitor	Pain	Pre- registration	\$3.4bn

(Source: Evaluate Omnium, Cortellis 재구성)

## 6. 2024 Global Oncology trends

Oncology는 연구와 의료비 지출에서 가장 큰 부분을 차지한다. 2023년 전 세계 Oncology 의약품 지출은 전년 대비 250억달러 증가한 2,230억 달러를 기록했다. 2028년에는 4,090억 달러에 이를 것으로 예상된다. 2023년 시작된 Oncology 임상시험은 2,000건을 넘어서 2019년 대비 11% 증가한 수치이다. 단계별 임상시험 비중은 Phase I 41%, Phase II 49% (Phase I/II, IIa 및 IIb 포함), Phase III이 11%를 차지한다. 희귀암의 약물 평가를 위함 임상이 72% 수준이었고, 혈액암과 고형암 두가지로 분류했을 때 고형암에 대한 임상이 82%를 차지할 정도로 대부분의 임상시험은 희귀암과 고형암에 초점이 맞춰져 있다. Modality 측면에서는 cell and gene therapy, ADC, Bispecific antibody 연구가 2023년 25%를 차지하고 있었다.

<그림 3. Clinical trial starts by year, 2013-2023>



출처 : Citeline Trialtrove, IQVIA Institute, Jan 2024.

## 7. 항체-분해약물접합체(DAC)

ADC 치료제 개발에 대한 관심이 계속해서 증가하면서 이중항체(Bispecific) ADC, 면역자극(Immune-stimulating) ADC, 이중약물(Dual-drug) ADC 를 포함한 새로운 형태의 ADC 개발 연구가 진행되고 있다. 특히, ADC 와 표적 단백질 분해(TPD, Target protein

degradation) 기술을 결합한 항체-분해약물접합체(DAC, Degradant-antibody conjugate)가 주목을 받고 있다. DAC 는 두 모달리티의 장점을 결합시켜 낮은 치료지수를 극복하면서 정확한 세포 표적 특이성을 갖는 항암 신약의 개발 가능성을 제시한다.

DAC 관련 연구개발이 계속되는 가운데, 작년 9 월부터 올해 3 월까지 총 4 건의 DAC 딜이 체결되었고 DAC 연구 스타트업도 설립되었다. ADC 붐이 지속되는 가운데, 페이로드 영역의 확장을 통해 DAC 가 next ADC 로 거듭날 수 있을지에 대한 귀추가 주목된다.

<표 7. DAC 글로벌 기술이전 내역>

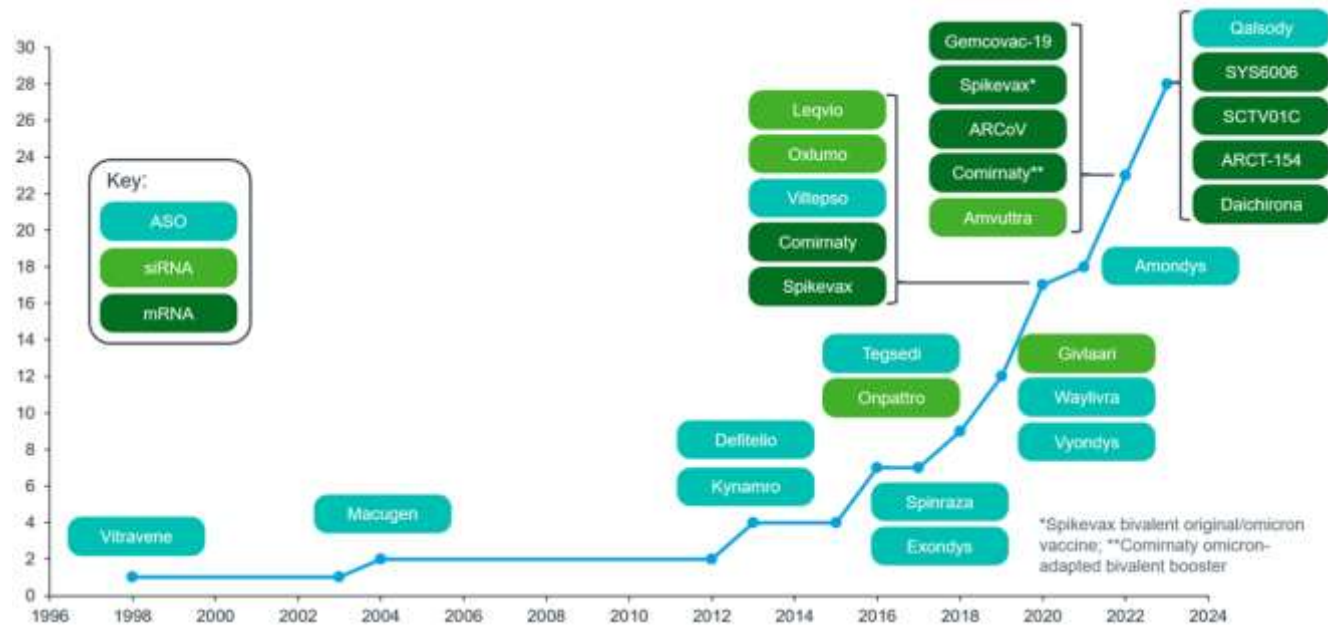
No.	Date	Degradant biotech	Partner	Deal scope	Upfront	Total
1	2023. 12.	C4 Therapeutics	Merck	미공개 항암 타겟 DAC 공동개발	\$10M	\$2.5B
2	2023. 11.	Orum Therapeutics	BMS	IND 단계 CD33 항체 기반 GSPT1 분해제, ORM-6151	\$100M	\$180M
3	2023. 11.	Prelude Therapeutics	Abcellera	SMARCA2 타겟 TPD 활용 ADC	ND	ND
4	2023. 09.	Nurix Therapeutics	Seagen	DAC(Degradant Antibody Conjugate) 개발 플랫폼, DELigase	\$60M	\$3.5B

※ Source: BIOCENTURY ARITICE, "Combining ADCs with protein degraders could widen the therapeutic windows of both"

## 8. Modality : RNA

RNA치료제 승인현황은 siRNA 5건, ASO 9건으로 2024년부터 2032년까지 연평균 성장률은 5.7%로 예상된다. FDA의 승인된 RNA치료제의 2021년~2023년의 글로벌 매출 현황을 보면, 2022년 약 \$60bn 규모의 RNA의약품 시장 형성으로 최대치를 경신하고, 2023년에는 대폭 하락한 \$23bn 규모의 시장을 형성하였다. 이러한 변화는 코로나 팬데믹 시기에 mRNA 코로나 백신의 급진적인 매출 증가 요인으로 보인다. 2023년 엔데믹 선언으로 mRNA 백신의 수요가 그 전만큼 크지는 않겠지만, mRNA 백신 상용화 이후 다양한 적응증의 RNA asset을 대상으로 활발한 M&A 및 연구개발이 진행되고 있다.

<그림 4. RNA products approved by type>



출처 : IQVIA, RNA Therapeutics ('23.11)

<표 8. FDA-approved marketed therapies>

(단위, \$m)

No.	Product	Company	Type	Indication	Approved	Sales 2021	Sales 2022	Sales 2023
1	Amvuttra (vutrisiran)	Alnylam	siRNA	hATTR amyloidosis	2022	-	94	558
2	Leqvio (inclisiran)	Alnylam/Novartis	siRNA	Hypercholesterolemia	2021	12	112	355
3	Amondys 45 (casimersen)	Sarepta	ASO	DMD	2021	69	215	274
4	Comirnaty (tozinameran)	Pfizer/BioNTech	mRNA	COVID-19	2020	36,781	37,806	12,072
5	Spikevax (elasomeran)	Moderna	mRNA	COVID-19	2020	17,700	18,400	6,671
6	Oxlumo (lumasiran)	Alnylam	siRNA	Primary Hyperoxaluria type 1	2020	60	70	110
7	Viltepso (viltolarsen)	NS Pharma	ASO	DMD	2020	70	110	121.31
8	Vyondys 53 (golodirsen)	Sarepta	ASO	DMD	2019	90	117	130
9	Givlaari (givosiran)	Alnylam	siRNA	Acute hepatic porphyria	2019	128	173	219
10	Onpattro (patisiran)	Alnylam	siRNA	hATTR amyloidosis	2018	475	558	355
11	Tegsedi (inotersen sodium)	Ionis	ASO	hATTR amyloidosis	2018	56 *	30 *	35 *
12	Spinraza (nusinersen)	Ionis/Biogen	ASO	SMA	2016	1,905	1,794	1,741
13	Exondys 51 (eteplirsen)	Sarepta	ASO	DMD	2016	454	512	541
Total without vaccines						3,319	3,785	4,487
Total						57,800	59,991	23,230

출처 : KPMG('24.01), Globaldata 재구성

\*Tegsedi sales : including Waylivra sales.

## 9. Modality : TPD

TPD는 기존 약물로 접근하기 어려웠던 병리 단백질 분해에 효능을 보여주며 차세대 신약 개발 모달리티로 주목받고 있다. 승인된 약물이 없는 상황으로 시장규모의 파악은 확실치 않지만, RCS(Royal Society of Chemistry Interest Group)에 따르면 2023~20230년 연평균 성장률(CAGR)은 27%, 시장규모는 2030년 33억 달러에 이를 것으로 전망한다.

<표9. 글로벌 임상 진행 중인 TPD 신약 대표 파이프라인>

Company	Degrader	Indication	Clinical stage	Target	TPD type
Arvinas	ARV-471	ER+/HER2- 유방암 (Pfizer공동개발)	Phase III	ER	PROTAC
	ARV-110	전이성 전립선암	Phase III	AR	PROTAC
	ARV-766	전이성 전립선암	Phase I/II	AR	PROTAC
Kymera Therapeutics	KT-474	화농성 한선염, 아토피성 피부염(AD) (Sanofi 공동개발)	Phase II	IRAK4	PROTAC
	KT-333	여러 혈액학적 고형암	Phase I	STAT3	PROTAC
C4 Therapeutics	CFT7455	재발/불응성 다발성 골수종, 림프종	Phase I/II	IKZF1/3	Molecular glue
	CFT1946	BRAF V600 변이 암종	Phase I/II	BRAF V600	PROTAC
Nurix Therapeutics	NX-2127	재발/불응성 림프종, 다발골수종	Phase I/II	BTK, IKZF1/3	Molecular glue
	NX-5948	재발/불응성 림프종, 다발골수종	Phase I/II	BTK	PROTAC
Bristol Myers Squibb	CC-92480	재발/불응성 다발성 골수종	Phase III	IKZF1/3	Molecular glue
Monte Rosa Therapeutics	MRT-2359	베스티클 수송 관련 MYC 암종	Phase I/II	GSPT1	Molecular glue
Orum Therapeutics	ORM-5029	HER2 양성 진행성 암종	Phase I	GSPT1	DAC

출처 : 한경 BIO Insight, 2024 Vol.44, 각 사 정리

## 10. 해외 학회 리뷰 : AACR 2024

미국암연구학회(AACR 2024)가 현지시간으로 4월 5일부터 10일까지 미국 샌디에고에서 개최되었다. 7,200 개 이상의 초록과 50 개 이상의 주요 심포지움, 300 여개의 포스터세션으로 진행되며 총 44 개의 New target 을 도출하였다. 발표된 New target 중 유방암 적응증을 가진 target 은 총 10 건이었다. 그 중 6 건이 TNBC(triple-negative breast cancer) indication 으로 Cell growth and migration 부터 DNA damage response 에 이르기까지 다양한 치료 기전에서 두각을 나타냈다.

<표 10. AACR 2024 Breast cancer New therapeutic targets 내역>

No.	MoA (mode of action)	Molecular Target	Related mechanism	Indication	Abstract No.
1	Cell growth and migration	SCUBE3	MAPK/DNA damage surveillance/apoptotic pathway	TNBC	5892
2	Stress/damage response	BACH1	Hypoxia and stress	TNBC	386
3	Stress/damage response	LIG1	DNA nick repair, PARylation	BRCA-mt cancer	3363
4	Stress/damage response	xCT	cystine/glutamate exchanger, redox homeostasis	TNBC	5962
5	Immune modulators	CCN5	PD-L1 related immune checkpoint	TNBC	1399
6	Gene control	VGLL1	PI3K/AKT/ $\beta$ -catenin pathway	breast cancer	5963
7	Cell division	NCAPG	HIF-1 $\alpha$ protein stability	TNBC	2789
8	Lipid metabolism	ZEB1	cancer-associated adipocytes (CAAs) lipolysis	Breast cancer	4434
9	Hormone signaling	DAX-1	miRNAs 29c, 199a, and 424	Breast cancer	5687
10	Hormone signaling	PELP1	combination with topoisomerase inhibitors	TNBC	2099



## 11. 해외 학회 리뷰 : ESMO 2024

### ADC - B7-H3

B7-H3(CD276)은 B7 단백질 계열 면역 체크포인트 분자로 종양세포와 활성화 된 종양 침윤 면역세포에서 고발현되어 종양 증식과 전이, 치료 저항에 관여하는 것으로 알려져 있다. 아직까지 허가된 B7-H3 타겟 ADC 치료제는 존재하지 않으며, SCLC를 적응증으로 메디링크(MediLink)의 YL201과 MSD-다이이치산쿄(Daiichi Sankyo)의 이피나타맙 데룩스테칸(Ifinatamab Deruxtecan), 밍후이(Minghui Pharmaceutical)의 MHB088C, HSK-한서제약(Hansoh)의 GSK5764227, 매크로제닉스(MacroGenics)의 MGC018 등이 개발 경쟁 중이다.

### ADC - Claudine 6

CLDN6은 태아 발달시기에만 높게 발현되며 성인의 정상 세포조직에서는 발현되지 않는다. 난소암, 자궁암, 자궁내막암 등 부인과암을 비롯하여 간암, 식도암, NSCLC 등 고형암에서 높은 비율로 발현되며, PD-(L)1이나 EGFR, MSLN, FR $\alpha$  등 잘 알려진 타겟들과 발현 패턴의 구분이 가능해 고형암 치료제의 새로운 바이오마커로 각광받고 있다. ADC로는 TORL Biotherapeutics의 TORL-1-23과 다이이치산쿄의 DS-9606a가 개발 중이며, ADC 외의 다른 모달리티로는 바이오엔텍(BioNTech)의 CAR-T BNT211과 CLDN6xCD3 이중항체 BNT142가 개발 중에 있다.

### BsAbs - VEGFxPD-(L)1

기존 승인된 이중항체들은 대부분 림프종이나 다발성골수종 등 혈액암을 대상으로 하는 반면, VEGFxPD(L)-1의 경우 폐암, 두경부암, 대장암, 유방암 등 고형암을 대상 적응증으로 삼고 있다. 현재 서밋(Summit)의 이보네시맙(Ivonescimab)과 바이오엔텍의 BNT327이 대표적인 리드 에셋으로 개발 경쟁 중이다.

<문의>

국가신약개발사업단 기획팀

진주연 연구원 ([jjjin@kddf.org](mailto:jjjin@kddf.org)), 김효인 연구원 ([inakim@kddf.org](mailto:inakim@kddf.org)), 박영숙 연구원 ([yspark@kddf.org](mailto:yspark@kddf.org))

#### Reference

KDDF 홈페이지\_연구·산업 동향, <https://kddf.org/index.php/ko/board/research//?page=1&>