



2024년 블록버스터 신약

의학의 새로운 선구자들

Clarivate™

의료 혁신을 촉진하는 새로운 기술

2024년은 제약산업에 있어 최고의 시기와 최악의 시기 모두가 될 것으로 보입니다. 지난 10년 동안의 과학적 돌파구를 기반으로 한 새로운 모달리티들이 임상에서 성공을 거두며, 이전에는 미충족된 환자들의 요구사항을 해소하는 치료제를 제공하고 있습니다. 그러나, 의료 비용을 감소시키기 위한 정부 계획, 지속적인 높은 자본 비용 및 글로벌 지정학적 분쟁과 같은 외부 요인들이 해당 부문의 투자자 욕구에 제동을 걸고 있습니다.

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch™) 보고서에서는 신약의 발견, 개발 및 전달에 영향을 미칠 몇 가지 트렌드를 집중적으로 살펴보고, 블록버스터 또는 획기적인 의약품으로 자리매김하면서 향후 몇 년 간 주요 마일스톤을 달성할 약물 및 약물 후보를 조명합니다.

지난해에는 15개 약물이 Drugs to Watch에 이름을 올렸습니다. 이중 12개가 승인되어 시장에 출시되거나 출시 준비중입니다. 지난해 목록에 오른 약물 중 가장 성공을 거둔 것은 Bristol Myers Squibb의 SOTYKTU™ 일 것입니다. 이는 중등도-중증의 판상 건선을 치료하기 위한 TYK 2 억제제입니다. Bristol Myers Squibb의 보고서에 따르면 2023년 첫 9개월간 SOTYKTU™는 1억 7백만 달러의 매출을 기록하며 강력한 초반 성과를 기록했습니다. Bristol Myers Squibb은 계획 중인 환자 중 10%를 확보했다고 믿고 있으며 2024년에는 공식 적용 범위를 확대할 예정입니다.

몇몇의 혁신 신약들은 여전히 어려움을 겪고 있습니다.

최근 몇 년간 언론은 알츠하이머병을 치료할 가능성이 있는 약물의 등장에 많은 관심을 쏟았습니다. 2023년 블록버스터 신약보고서(Drugs to Watch™)에서는 각각 다른 승인 경로를 거친 2가지 약물을 언급했습니다. Eisai의 베타아밀로이드를 타겟으로 하는 LEQEMBI®는 2023년 1월 가속 승인을 받은 후 2023년 6월 완전 승인을 받았습니다. Eisai는 환자의 약물 수용이 기대치에 부합하며 2024년 더 증가할 것이라 예측하고 있습니다. FDA에 가속승인을 신청해 CRL(Complete Response Letter)을 받은 Lilly의 도나네맵(Donanemab)은 이보다 덜 성공적이었습니다. Lilly는 정확한 수의 환자를 모집했지만 아밀로이드 플라크 감소속도로 인해 많은 환자들이 6개월 후 약복용을 중단했습니다. Lilly는 FDA에 승인 신청서를 제출했으며 2024년 초에 FDA가 이에 대한 결정을 내릴 것으로 예상됩니다.

2023년 블록버스터 보고서에는 이중 특이항체 및 유전자 치료제와 같은 차세대 의약품도 언급되었습니다. 클래리베이트에서 집중 조명된 이중 특이 항체 약물은 다발성 골수종 환자의 위한 혁신 치료제인 Johns and Johnson의 TECVAII[®]였습니다. J&J는 제품의 조기 성공에 고무되었다고 밝히며, 2024년 1분기에 실제 판매량을 공개할 예정이라 밝혔습니다. 반면, A형 혈우병 치료를 위한 BioMarin의 ROCTAVIAN[™] 유전자 치료제는 2023년 3분기 매출 8십만달러를 기록하며 부진한 출발을 보였습니다. 그러나 BioMarin은 주요 환급 협상에서 진전을 이루었고, 독일 및 이탈리아 당국과의 가격 협상이 2023년 말까지 해결될 것으로 기대한다고 밝혔습니다. 뿐만 아니라, BioMarin은 미국에서 환급 네트워크를 구축하는 등... 2024년 의미 있는 사용량 증가를 위한 만반의 준비를 하고 있습니다.

계약 혁신을 위한 새로운 플랫폼이 출시되고 있습니다.

이러한 사례들은 의약품 출시가 얼마나 어려운지를 보여줍니다. 그러나, 2022년 선정된 약물들을 살펴보면 매출이 블록버스터급으로 얼마나 빠르게 상승할 수 있는지도 알 수 있습니다. 2022년 Drugs to Watch[™] 리스트에 오른 약물 중 가장 뛰어난 성과를 보인 것은 Lily의 당뇨병 치료제인 Mounjaro[®]입니다. Mounjaro[®]은 2022년에 4억 8250만달러의 매출을 달성했고, 2023년 첫 9개월간 29억 6천만달러로 그 매출이 급성장했으며 현재도 더 높아질 것으로 예상됩니다. 다른 큰 성공작으로는 Roche의 안약인 VABYSMO[™]가 있습니다. 이 제품은 2023년 첫 9개월 동안 16억 스위스 프랑의 매출을 기록했으며, 라벨에 새로운 적응증이 추가되어 상승세를 타고 있습니다. 마찬가지로 Amgen 과 AstraZeneca가 공동개발한 중증천식 치료제인 TEZSPIRE[®]는 2022년 1억 7천만달러의 매출을 달성했으며, 2023년 첫 9개월간 3억 9천만달러로 그 매출이 급성장했습니다. 2022년 리스트에 오른 약물들 중에서 또 다른 예로 들 수 있는 것은 Alnylam의 RNAi(RNA 간섭) 의약품인 AMVUTTRA[®]입니다. AMVUTTRA[®]는 성인

트래스티레틴매개(hATTR) 아밀로이드증 환자의 다발신경병증 치료제로 승인을 받았습니다. RNAi(RNA 간섭) 치료제는 향후 몇 년간 환자를 치료할 차세대 플랫폼 중 하나입니다. AMVUTTRA[®]는 약물 생산을 위해 고품질의 계약 제조기관에서의 문제로 초기에 출시가 지연되었지만, AMVUTTRA[®]는 2023년 첫 9개월간 3억 8260만달러의 매출을 달성했으며 이중 2억 8900만 달러가 미국에서 달성된 매출이었습니다. 그러나, Alnylam은 인플레이션 감축법에 대응해 스타가르트병 치료를 위한 AMVUTTRA[®]의 제3상 임상시험을 추진하지 않을 것이라고 밝혔습니다. AMVUTTRA[®]가 해당 적응증에 승인을 받게 되면, Alnylam은 메디케어 가격 협상에서 AMVUTTRA[®]의 단일 희귀질환 가격 협상 면제가 무효화되기 때문입니다.

2024년에 상당한 개념증명을 달성할 가능성이 있는 신기술 플랫폼에는 신약 발견, 임상개발, 상업 출시에 있어서 활용되는 인공지능/머신러닝 애플리케이션 도구들과 CRISPR-Cas9 유전자 편집이 포함되어 있습니다. 인공지능/머신러닝 애플리케이션은 장기적으로 볼 때 제약회사가 비용을 절감하고 혁신 주기를 단축하는 데 거대한 잠재력을 가지고 있어, 앞으로 더 신속하게 환자에게 혁신적인 약물을 제공하는 데 도움을 줄 것으로 기대됩니다.



Henry Levy

대표
클래리베이트 생명과학 및 헬스케어

목 차

- 05 방법론
- 06 자료 출처
- 07 클래리베이트 기고자
- 08 Aflibercept (고용량)
- 14 Budesonide
- 20 Datopotamab
 deruxtecan
- 28 Efanesoctocog alfa
- 34 Ensifentrine
- 39 Exagamglogene
 autotemcel
 및 Lovotibeglogene
 autotemcel
- 47 Mirikizumab
- 53 Niraparib + abiraterone
- 59 RSVpreF 및 RSVpreF3
- 67 Talquetamab
- 73 Zolbetuximab
- 79 중국에서 성장하고 있는
 만성 질환 치료제 시장
- 82 주목해야 할 트렌드
 - 83 인공지능/유전자 편집
 - 86 인플레이션 감축법
 - 88 Humira 및
 바이오시밀러
 - 90 Real World
 Data(RWD)
- 92 산업계 리더를 위한 주요
 시사점

방법론

클래리베이트의 블록버스터 신약(Drugs to Watch)은 향후 5년 내에 블록버스터 의약품으로 부상하거나 치료 패러다임을 바꿀 것으로 예상되는 최근에 출시되었거나 올해 출시될 예정인 신약(블록버스터 신약은 보통 연 매출 10억 달러를 달성하는 의약품으로 정의됨)을 소개하는 보고서입니다.

2024년 블록버스터 약물 리스트를 선정하기 위해 클래리베이트는 수백 여 가지의 질병, 의약품, 시장을 다루는 160여 명의 클래리베이트 분석가들의 전문적인 분석과 R&D, 상용화 수명주기에 대한 11개 통합 데이터를 참고했습니다.

그 다음 클래리베이트 전문가들은 예상 승인 또는 출시 날짜, 경쟁 구도, 규제 현황, 임상시험 결과, 시장 역학 등을 기반으로 각 의약품을 개별 맥락에 맞게 직접 평가했습니다. 또한 블록버스터 신약이 될 것으로 예상되지는 않지만 게임체인저 치료제가 될 의약품도 포함시켰습니다.

신약 선정 기준

- 제2상 또는 제3상 임상시험 단계에 있는 사전 등록 또는 등록 단계의 후보 약물 또는 2023년 초에 출시된 의약품을 선정해 분석했으며, 특히 업계에 반향을 일으킬 수 있을 것으로 예상되는 새로운 적응증을 위해 출시된 약물도 포함되었습니다. 2023년 이전에 출시된 약물은 제외되었습니다.
- 2029년 기준 연 매출 총 10억 달러 이상을 달성할 것으로 예상되는 데이터셋을 추렸습니다.
- 전문 분석가들은 최근 출시된 치료제와 곧 출시될 치료제 중 5년내 블록버스터가 될 것으로 예상되지 않아도 치료 패러다임을 크게 변화시킬 것이라 예상되는 약물을 리스트에 추가했습니다.

이를 통해 2024년 블록버스터 신약 13개를 선정했습니다.

Aflibercept (고용량) ▼ |

Budesonide ▼ |

Datopotamab deruxtecan ▼ |

Efanesoctocog alfa ▼ |

Ensifentrine ▼ |

Exagamglogene autotemcel 및 Iovotibeglogene autotemcel ▼ |

Mirikizumab ▼ |

Niraparib + abiraterone ▼ |

RSVpreF 및 RSVpreF3 ▼ |

Talquetamab ▼ |

Zolbetuximab ▼ |

보고서 내 의약품 정보는 각 의약품 시장에 대한 치료 전문가와의 인터뷰, 클래리베이트 의약품, 질병 현황 및 예측 보고서 Cortellis™ 매출 데이터(출처: Refinitiv I/B/E/S), 제약바이오 기업의 보도자료 및 피어리뷰 간행물 등 기타 업계 자료를 기반으로 작성되었습니다. 올해의 블록버스터 신약 보고서는 중국 시장의 블록버스터 신약, AI와 유전자 편집이 신약의 발견 및 개발에 미치는 영향, 인플레이션 감축법이 연구 전략에 미치는 영향, 바이오시밀러 환경, Real World Data(RWD)가 임상시험에 미치는 영향 등의 내용이 포함되어 있습니다. 본 보고서에 제시된 데이터는 클래리베이트 분석가들이 2024년 1월 3일을 기준으로 생성했다는 사실에 유의해 주시기 바랍니다.

자료 출처

클래리베이트는 2013년부터 전 세계 생명과학 분야 고객들이 신뢰하는 독점 기술, 툴, 기법을 적용해 연례 블록버스터 신약(Drugs to Watch™)보고서를 발간해 왔습니다.

Cortellis Competitive Intelligence™는 최신 업계 뉴스, 보도 자료와 함께 의약품 파이프라인, 계약, 특허, 글로벌 컨퍼런스, 기업 콘텐츠 등에 관한 데이터를 제공합니다. Cortellis Competitive Intelligence Drug Timelines & Success Rates 방법론은 통계 모델링과 머신러닝을 적용해 의약품 개발의 중요 단계, 일정, 성공 확률을 보다 안정적이고 정확하게 예측하는 방법론으로 특허 받은 분석 툴입니다.

Disease Landscape & Forecast는 장기적인 질병 전략을 최적화하는 데 도움이 되는 180여개의 적응증에 대한 종합적인 시장 정보와 유용한 인사이트를 제공합니다.

BioWorld™는 현재 개발 중인 가장 혁신적인 치료법과 의료 기술에 대한 유용한 정보를 제공하는 업계 최고의 뉴스 서비스입니다.

Cortellis Deals Intelligence™는 강력하고 포괄적인 거래 정보와 최고 품질의 데이터가 제공하는 향상된 시각자료를 결합하여 기업 실사를 저해하지 않으면서 최적의 거래를 신속하게 검색할 수 있도록 지원합니다.

Web of Science™는 세계 최대의 출판사 중립적인 인용 색인 및 연구 정보 플랫폼입니다. 학계, 기업, 출판사, 정부가 연구를 가속화할 수 있도록 지원하는 글로벌 연구 정보를 제공합니다.

Cortellis Clinical Trials Intelligence™는 바이오마커, 표적, 적응증을 포함한 임상 시험기관 및 임상시험계획서에 대한 상세한 인사이트를 제공하는 종합적인 출처입니다.

Cortellis Generics Intelligence™는 쉽게 검색 가능한 단일 솔루션을 통해 안정적이고 통합된 시장 성과, 제조 및 특허 데이터를 제공합니다.

Real World Data and Analytics는 진료비 청구서, 전자 건강, Rx 데이터 등을 통해 시장에 대한 포괄적인 관점을 비롯하여 모든 이해관계자 및 서비스 사이트에 대한 심도 있고 공정한 관점을 제공합니다.

Access and reimbursement payer studies는 브랜드에 도움이 되는 지불 정책이 의사의 처방에 미치는 영향에 대한 인사이트를 제공하여 고객의 시장 진입 전략을 최적화하고 특정 이해관계자를 대상으로 한 브랜드 포지셔닝 방법을 결정할 수 있도록 지원합니다.

Derwent Innovation™는 신뢰할 수 있는 글로벌 특허 및 학술 문헌을 제공하는 시장을 선도하는 특허 연구 및 분석 플랫폼입니다. 향상된 콘텐츠, 고유 검색 및 데이터 정보 기술이 40,000명이 넘는 혁신가 및 법률 전문가로 구성된 글로벌 커뮤니티들이 복잡한 문제에 대한 해답을 찾을 수 있도록 지원합니다.

클래리베이트 기고자

Michael Ward

생명과학 및 헬스케어, 글로벌 사고 리더십 최고 책임자

Graeme Green PhD, MSc

이사, 심혈관, 대사, 신장 및 혈액학

Matthew Arnold

수석 분석가, 생명과학 및 헬스케어

Khurram Nawaz

선임 관리자, 헬스케어 리서치 및 데이터 분석, 종양학

Karan Verma MSc

수석 헬스케어 리서치 및 데이터 분석가, China In-Depth

Saurabh Virdi

수석 헬스케어 리서치 및 데이터 분석가, 종양학

Joan Tur

헬스케어 리서치 및 데이터 분석가, 종양학

Carolina Ruivo

시니어 헬스케어 리서치 및 데이터 분석가, 중추신경계 및 안과질환

Colleen Albacker PhD

이사, 헬스케어 리서치 및 데이터 분석, 면역 및 염증

Laura Ramos Garcia

헬스케어 리서치 및 데이터 분석가, 종양학


Rachel Webster

DPhil, MSc, BA (Hons)

이사, 헬스케어 연구 및 데이터 분석, 종양학 및 바이오시밀러

Andrea Witt

이사, 중추신경계- 안과 장애



2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

01. **Aflibercept**

고용량; EYLEA[®] HD

습성 연령관련 황반변성(age-related macular degeneration, AMD), 당뇨병성 황반부종(diabetic macular edema, DME) 또는 당뇨병성 망막병증(diabetic retinopathy, DR)을 앓고 있는 환자의 치료 옵션에는 치료 흡수를 제한하는 침습적이고 부담스러운 투여가 포함되어 있습니다. 고용량 Aflibercept는 현재의 표준 치료(Aflibercept 2mg/EYLEA 8주마다 투여 또는 Genentech의 LUCENTIS®는 4주마다 투여)와 유사한 유효성 및 안전성을 제공하면서도 투여 횟수가 적습니다.

환자와 임상 모두에게 더 편리하며, 12주 및 16주 투여 간격을 통해 이 환자군들의 미 충족된 수요를 해소하는 데 도움을 줍니다.

블록버스터 신약 선정 이유

FDA의 고용량 Aflibercept(8mg, EYLEA HD) 승인은 중요한 결과를 도출한 제3상 임상시험 PULSAR(습성 AMD) 및 PHOTON(DME)의 긍정적인 결과에 근거한 것으로, 이 두 임상시험에서는 초기에 월 3회 EYLEA HD를 투여한 후, 12주 또는 16주마다 투여한 것이 주요 평가항목을 만족시켰습니다. 또한, 48주차 기준선에서 시력향상에 있어 EYLEA (로딩 단계 이후 8주 마다 투여)에 비해 비 열등성을 나타내면서 안정성은 유사한 것으로 나타났습니다.

고용량 Aflibercept는 안전성을 저해하지 않으면서도 EYLEA와 동일한 시각적 개선 효과를 얻기 위해 필요한 투여 빈도수가 더 적다는 점에서, 환자와 의료 공급자에게 치료부담을 줄일 수 있어 실질적인 유익성이 예상됩니다. 2년 동안 얻은 강력한 임상 결과는 EYLEA HD가 많은 환자들의 치료주기를 적어도 12주로 늘릴 수 있는 가능성을 높이고 있습니다.

• 습성 AMD에 대한 PULSAR(96주):

- 88%가 ≥12주 투여 간격을 유지
- 71%가 ≥16주 투여 간격을 유지
- 47%가 ≥20주 투여 간격에 대한 연장 기준을 충족
- 28%가 24주 투여 간격에 대한 연장 기준을 충족

• DME에 대한 PHOTON(96주):

- 89%가 ≥12주 투여 간격을 유지
- 83%가 ≥16주 투여 간격을 유지
- 43%가 ≥ 20주 투여 간격에 대한 연장 기준을 충족
- 27%가 24주 투여 간격에 대한 연장 기준을 충족

의학의 새로운 선구자들

치료 부담 경감

Aflibercept 살펴보기

제조회사

Bayer 및 Regeneron
Pharmaceuticals Inc

유형

VEGF 억제제

사용법

AMD, DME 및 DR 치료를 위해
유리체내(Intravitreal, IVT) 투여.

망막정맥폐쇄(retinal vein
occlusion, RVO)로 인한 망막부종
및 망막 혈관확장증 1형을 치료하기
위한 연구 진행 중.

영향

255만:

2032년까지 AMD로 약물 치료를
받을 것으로 예상되는 G7내 환자 수

200만:

2032년까지 약물 치료가 가능할
것으로 예상되는 G7시장의 DME
환자 수

~13만:

2032년까지 약물 치료를 받을
것으로 예상되는 G7국가의 중증
비증식성 DR 및 증식성 DR환자 수

심사 및 승인 상태

2023년 2월
- sNDA/sBLA 승인: EMA

2023년 3월
- NDA 승인: 일본 PMDA

2023년 8월
- sNDA/sBLA 승인: 중국 NMPA

습성 AMD, DME 또는 DR에 대해
- 승인: 미국 FDA

실제 및 예상 출시:
- 2023년: 미국
- 2024년: 유럽, 일본
- 2025년: 중국

특허만료 예상시기:
2039년 이후

고용량 Aflibercept가 습성 연령관련 황반변성 (AMD), 당뇨병성 황반 부종(DME) 및 당뇨병성 망막병증(DR) 치료제 시장에 미칠 영향은?

- 인구의 고령화와 인구집단에서의 당뇨병 부담 증가로 인해 습성 AMD, DME 및 DR의 유병률은 계속 증가할 것으로 예상됩니다.
- 현재 승인되었거나 후기 개발 단계에 있는 다른 약제들이 EYLEA HD의 독주에 도전할 것으로 예상됩니다:
 - 습성 AMD 및 DME치료를 위한 Vabysmo™ (Roche)
 - 습성 AMD, DME 및 DR 치료를 위한 Aflibercept 바이오시밀러
 - DME치료를 위한 OCS-01 (Oculis)
 - 상대적으로 적은 영향을 미칠 것으로 예상되는 약물:
 - 습성 AMD 치료를 위한 LYTENAVA™ (ONS-5010; Outlook Therapeutics)
 - 습성 AMD 및 DR치료를 위한 ABBV-RGX-314 유전자 치료제(AbbVie와REGENXBIO Inc)
- VEGF 억제제는 향후 10년간 습성 AMD, DME, DR의 주요 치료제로 자리잡을 것이며 주요 시장 (미국, EU5 및 일본)에서 대부분의 매출을 올릴 것으로 예상됩니다.
- 클래리베이트 분석가들은 EYLEA HD가 의미있는 환자 점유율을 확보하며 습성 AMD, DME, DR시장의 주요 성장 동력 중 하나가 될 것으로 예상합니다.

Aflibercept는 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

DME 또는 습성 AMD 환자의 가장 큰 미충족 요구는 기존의 치료법보다 편리한 전달 방식을 지닌 임상적으로 우수한 치료법에 대한 요구입니다. 병원 방문의 만성화와 시간 소요는 환자 및 보호자의 삶의 질에 큰 타격을 주며, 특히 근로 연령대의 환자 및 운전을 할 수 없는 환자에게 더 큰 부담을 줄 수 있습니다. 고용량 Aflibercept는 투여간격을 연장하는 동시에 양호한 유효성 및 안전성을 제공해 환자, 간병인 및 의료 제공자의 투여 및 치료에 대한 추적관찰 부담을 크게 줄입니다.

Aflibercept가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

Aflibercept의 바이오시밀러 버전이 출시되면 EYLEA HD를 포함한 EYLEA의 환자 점유율을 잠식할 것으로 예상됩니다. 클래리베이트 전문가들은 2032년까지 미국에서 Aflibercept로 치료를 받는 습성 AMD 환자의 약 45%가 EYLEA HD를 통해 치료를 받게 되고, 34%는 Aflibercept의 바이오시밀러를 통한 치료를 받게 될 것으로 예상합니다. 또한, 미국 습성 AMD환자의 43%가 새롭게 선보이는 경쟁 약물들 (바이오시밀러 포함)을 통한 치료를 받을 것으로 예상합니다. 개발중인 새로운 치료법으로는 EYLEA HD보다 훨씬 더 긴 투여 간격을 약속하는 치료법과 단일 IVT 주사로 치료 부담을 크게 줄일 수 있는 유전자 요법이 포함됩니다. EYLEA HD는 또한, 현재 시장에 나와있는 가장 큰 라이벌인 Vabysmo와 경쟁해야 합니다. 혁신적인 작용 기전을 갖춘 Vabysmo는 EYLEA와 일치하는 안정성 및 효능 프로파일을 제공하는 최대 16주 간격으로 투여할 수 있는 첫번째 주사 치료제입니다. Vabysmo는2022년 출시 직후 빠른 약물 채택을 경험한 바 있으며 이는 EYLEA HD가 블록버스터급 신약으로 성장하는데 부정적인 영향을 끼칠 것입니다.

MQ 시장 개요

\$17억7천만

G7 시장에서 습성 AMD치료제로 달성할 2029년 예상 매출액

"저는 특히 질병이 안정화된

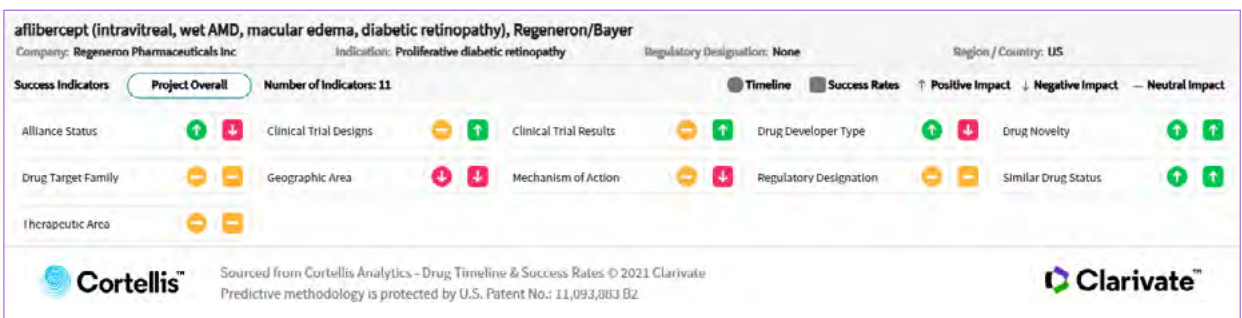
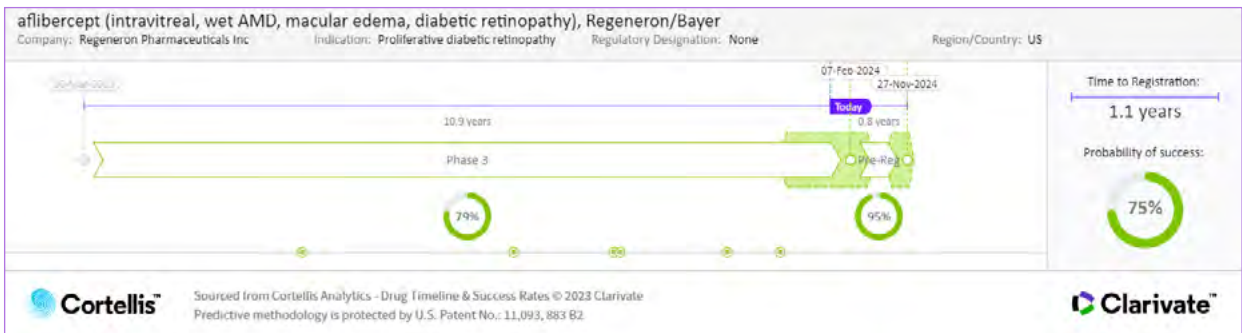
환자에게 Eylea HD를 시도해보고

싶습니다. 이는 환자들의 삶을

간편하게 만들기 위함입니다."

망막전문의, 이탈리아

Cortellis 데이터에 따르면 미국 습성 연령관련 황반병선, 당뇨병성 황반부종 및 당뇨병성 망막병증에서의 성공가능성은 75%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

02. Budesonide

TARPEYO[®] / Kinpeygo[®] / Nefecon

TARPEYO®/Kinpeygo® (프로젝트명 Nefecon)는 코르티코스테로이드 **Budesonide**를 합성, 비할로겐화 한 2세대 제품입니다. **Budesonide** 서방정은 기존 코르티코스테로이드보다 훨씬 더 나은 안정성뿐 아니라 단백질 감소 및 원발성 면역글로블린 A(immunoglobulin A, IgA) 신병증의 신장 기능 저하를 늦추는 데 더 큰 효능을 보여주었습니다. 따라서 고위험 환자들에게서 높은 수용률을 보일 것으로 예상됩니다.

Caliditas Therapeutics AB는 Kinpeygo의 유럽 상업화를 위해 STADA Arzneimittel AG와 파트너십을 맺었으며, TARPEYO의 중국, 홍콩, 마카오, 대만, 대한민국 및 싱가포르 상업화를 위해 Everest Medicines와 파트너십을 맺었습니다.

블록버스터 신약 선정 이유

변형된 표적 약물 방출 기술을 적용한 이 2세대 합성 비할로겐 형태의 Budesonide는 1세대 코르티코스테로이드에 비해 우수한 안전성 및 유효성을 제공합니다. 4mg 서방형 캡슐은 장용 코팅되어 회장에 도달할 때까지 손상되지 않고 그대로 유지되며, 회장에서는 IgA 유발 복합체를 담당하는 파이어판(Peyer's patch)을 포함한 점막 B 세포를 표적으로 합니다. 흡수 특성으로 인해 장기간 사용해도 다른 코르티코스테로이드보다 부작용이 더 적게 유발될 수 있습니다.

규제 당국의 승인을 받기 위해 제출된 자료는 위약 대조 제3상, NeflgArd 임상시험의 데이터를 기반으로 합니다. 이 임상시험은 최적화된 레닌-안지오텐신 시스템(renin-angiotensin system, RAS) 차단을 통한 최대 내약용량 치료에도 불구하고 말기 신장

질환(end-stage renal disease, ESRD)으로 진행될 위험이 있는 원발성 IgA 신병증 성인 환자를 대상으로 실시되었습니다. Budesonide투여는 9개월간 지속되었고, 그 후 시험약을 중단하고 15개월의 관찰적 추적조사 기간을 거쳤습니다.

- 그 결과 Budesonide 투여로 IgA 신병증의 진행이 느려지는 것으로 나타났습니다:
 - Budesonide 투여 9개월 시점에, 위약의 5% 감소 대비 단백질뇨(소변 단백질 대 크레아티닌 비 [protein-to-creatinine ratio [UPCR]) 34% 감소
 - 2년 시점에 Budesonide로 UPCR의 더 큰 감소 지속
 - 9개월 및 2년 시점에 Budesonide 로 유의하게 더 큰 eGFR 감소(vs 위약)

👁️ Budesonide 살펴보기

제조회사

Calliditas Therapeutics
AB, Everest Medicines 및
STADA Arzneimittel AG

유형

코르티코스테로이드 서방형 제형

사용법

빠른 질병 진행 위험이 있는
성인 IgA 신병증 환자의 단백뇨
감소를 위해 매일 경구 투여

자가면역성 간염(autoimmune
hepatitis, AIH) 및 원발성
담즙성 담관염 치료에 대해서도
평가 진행 중.

영향

~50만:

2023년 G7 시장에서 진단된 성인
IgA 신병증 발생증례

심사 및 승인 상태

2016년 11월

- 희귀의약품 지정:
EMA

2020년 11월

- 혁신 신약 지정: 중국 NMPA

2021년 12월

- 가속 승인: 미국 FDA

2022년 7월

- CMA 승인: EMA

2022년 11월

- NDA 승인:
중국 NMPA

2023년 2월

급속한 질병 진행 위험이 있는 IgA
신병증 성인 환자(UPCR $\geq 1.5\text{g/g}$)
대상
- CMA 승인: 영국 MHRA

2023년 6월

- sNDA 승인: 미국 FDA

2023년 8월

- 우선 심사 승인: 미국 FDA

2023년 9월

- MAA 신청: EMA

2023년 10월

- MAA 신청: 영국 MHRA

2023년 12월 20일

- 승인: 미국 FDA

실제 및 예상 출시:

- 2021년: 미국
- 2022년: EU, 영국
- 2024년: 중국

특허만료 예상시기:

2028년 이후

Budesonide가 IgA 신병증/버거씨병 치료제 시장에 미칠 영향은?

- IgA 신병증 시장은 주로 이 질환의 발병기전의 다양한 단계를 표적으로 하는 다양한 요법이 등장하면서 확실한 성장세를 보이고 있습니다.
- TARPEYO/Kinpeygo가 승인되기 전에는 레닌-안지오텐신-알도스테론계(renin-angiotensin-aldosterone system, RAAS) 억제제, 이뇨제, 코르티코스테로이드, 면역억제제와 같은 오랫동안 일반적으로 사용된 요법들을 포함한 지지 요법만이 IgA 신병증 치료의 근간이었습니다.
- TARPEYO/Kinpeygo는 일반 코르티코스테로이드보다 고위험 환자에게 우선적으로 사용될 가능성이 높습니다.

Budesonide는 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

IgA 신병증은 투석이나 신장이식이 필요한 말기 신장 질환으로 이어질 수 있는 희귀한 진행성 신장 질환입니다. IgA 신병증은 일반적으로 서서히 진행되며, 그 치료는 주로 증상 관리, 신부전 최소화, 다학제적 지지 치료를 통한 삶의 질 개선에 중점을 두고 있습니다. 임상 의들은 이러한 모든 목표(즉, 단백질 수치 감소 및 신장 기능 개선을 통한 삶의 질 개선)를 고려한 보다 총체적인 접근 방식을 모색하고 있습니다. 따라서 신장 기능을 보호하거나 GFR의 점진적인 감소를 늦출 수 있는 효과적이고 안전하며 내약성이 좋은 약물이 필요합니다. Budesonide는 더 우수한 유효성 및 안전성으로 인해 의사들에게 기존 코르티코스테로이드에 대한 대안적 옵션을 제공할 수 있을 것입니다.

Budesonide가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

TARPEYO/Kinpeygo의 가격이 매우 높기 때문에, 특히 신장 전문의들은 유의하게 더 효과적인 것으로 입증되지 않는 한 고가의 요법 처방을 꺼려 사용이 제한적일 가능성이 높습니다. 또한, 특히 IgA 신병증을 치료하는 다른 잠재적 경쟁약물이 이미 승인되었거나 후기 개발 단계에 있어 시장이 과열될 수 있습니다.

9개월

**Budesonide 투여기간, 15개월의
관찰적 추적조사기간을 거침**

34%

**Budesonide 투여 9개월
시점에, 위약의 5% 감소
대비 단백뇨 감소 비율**

MQ 시장 개요

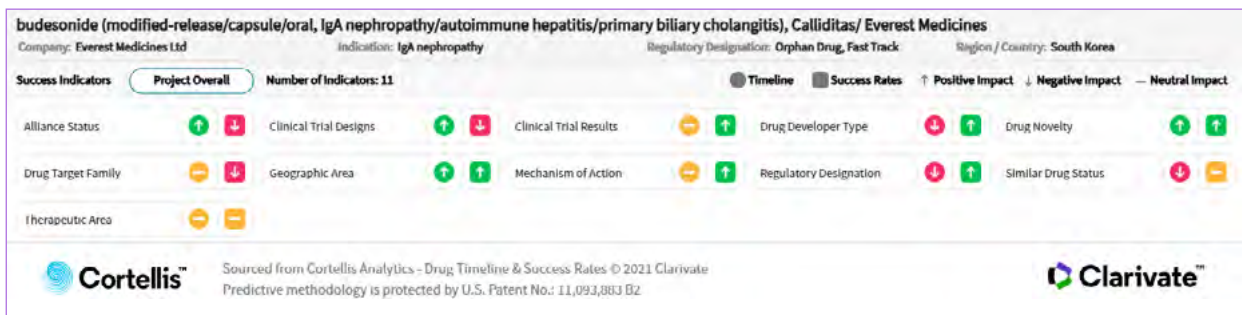
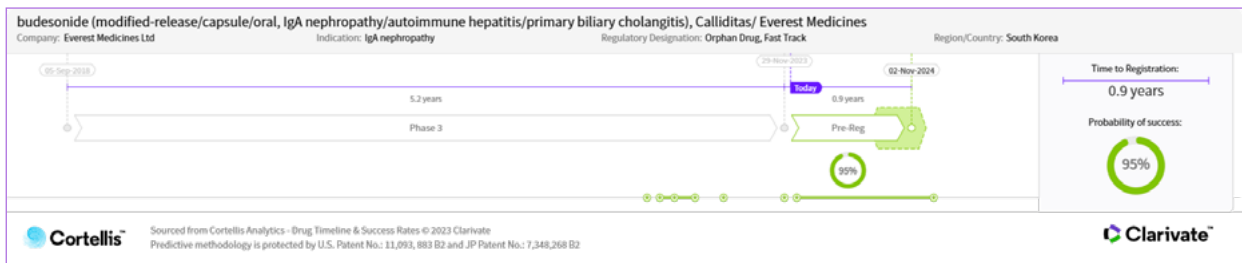
\$7억3천만

2029년 예상매출액

"매우 흥미로운 임상 결과를 알고있고, 이미 코르티코스테로이드를 사용하고 있기 때문에 이 약의 사용에 대한 기대가 큼니다. 또한 이 약은 기존의 코르티코스테로이드보다 부작용이 적어 코르티코스테로이드를 사용 중인 환자 중 일부를 Kinpeygo로 대체 할 수 있도록 지역 약국에 주문을 완료했습니다."

신장전문의, 이탈리아

Cortellis 데이터에 따르면 대한민국 원발성 면역글로불린 A 신병증에서의 성공가능성은 95% 입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

03. Datopotamab deruxtecan

Dato-DXd



Datopotamab deruxtecan은 계열 내 최고의 TROP2 표적 항체 약물 접합체 (antibody drug conjugate, ADC)가 될 가능성이 있는 약물로, HR-양성/HER-음성 유방암 및 삼중 음성 유방암 치료분야에 대해 TRODELVY®(Gilead Sciences Inc)에 이어 두 번째로 시장에 출시되려는 계획을 가지고 있는 약물입니다.

AstraZeneca와 Daiichi Sankyo의 협력은 비소세포폐암과 유방암에 대한 AstraZeneca의 전략적 집중과 ADC에 대한 투자를 Daiichi Sankyo의 독점적인 DXd ADC 기술과 결합한 것입니다.

IMFINZI®(AstraZeneca)와 병용 요법으로 사용하던 단독요법으로 사용하던, Datopotamab deruxtecan은 용도가 확장되어 초기 및 1차 전이 환자를 포함한 다양한 삼중 음성 유방암 환자군의 치료제로 활용될 것으로 예상됩니다.

비소세포폐암 치료에 있어, Datopotamab deruxtecan은 실행 가능한 유전체 변경 없이 이전에 치료받은 적이 있는 전이성 비소세포폐암 치료제로 초기 승인을 얻을 수 있을 것으로 예상됩니다. 만약 3상 AVANZAR 시험이 긍정적인 결과를 보인다면, 이 ADC는 1차 치료제(IMFINZI 및 화학 요법과의 결합)로 용도 확장을 할 수 있을 것입니다.

블록버스터 신약 선정 이유

TROP2는 비소세포폐암을 포함한 상피암 세포에서 높게 발현(>80%)되는 반면, 건강한 인체 조직에서는 발현이 제한되어 있어 매력적인 표적이 됩니다.

HR-양성/HER-음성 유방암과 비소세포폐암에 대해 각각 한 건씩 진행된 2건의 중추적 제3상 임상시험에서 긍정적인 결과가 보고되었습니다:

- TROPION-Breast01은 이전에 내분비 기반 요법 및 1개 또는 2개 이상의 화학 요법으로 치료를 받은 적이 있어 수술이 불가능하거나 전이성 HR-양성/HER2 저발현 또는 음성(IHC 0, IHC 1+ 또는 IHC 2+/ISH-) 유방암 환자에서 datopotamab deruxtecan과 시험자가 선택한 화학요법을 비교:
 - 질병 진행 또는 사망 위험 37% 감소(vs 화학요법)
 - 무진행 생존기간(progression-free survival, PFS) 중앙값 6.9개월(vs 화학요법 4.9개월)
 - 36.4%의 객관적 반응률(objective response rate, ORR, vs 화학요법 22.9%)
 - 전체 생존율(overall survival, OS: 이종 기본 평가항목) 평가 진행 중
 - 환자의 21%에서 3등급 이상의 투여 관련 이상 사례(treatment-related adverse event, TRAE) (vs 화학요법 45%).

👁️ Datopotamab deruxtecan 살펴보기

제조회사

AstraZeneca 및 Daiichi Sankyo

유형

TROP2-표적 ADC

사용법

전이성 비소세포폐암 또는 전이성 HR-양성/HER2-음성 유방암 치료를 위해 3주마다 정맥 내 투여.

난소암, 췌장암, 전립선암, SCLC, 결장직장암, 방광암, 위암, 담도암, 자궁경부암, 자궁내막암, 요로상피의 이행세포암종, HER2-음성 위식도암, 식도암 및 편평세포암종의 치료에 대해서도 평가 진행 중.

영향

~16만8천:

2023년 G7 시장에서 이전에 치료받은 전이성 HR-양성/HER-음성 유방암 발생 증례

~8만 6천:

2023년 G7시장에서 초기 및 이전에 치료받지 않은 전이성 삼중음성 유방암 신규 발생 증례

~32만9천:

2023년 G7시장에서 이전에 치료받은 경험이 있는 전이성 비소세포폐암의 신규 발생 증례

심사 및 승인 상태

HR-양성/HER-음성 유방암

예상 출시

- 2024년: 유럽, 일본, 영국, 미국
- 2027년: 중국

비소세포폐암

예상 출시

- 2024년: EU, 일본, 미국

- TROPION-Lung01은 이전에 일차 이상의 요법으로 투여 받은(면역요법, 화학요법 및 해당되는 경우 암 유발변이에 대한 표적치료 포함) 전이성 비소세포폐암 환자를 대상으로 datopotamab deruxtecan과docetaxel을 비교한 임상시험입니다.

- 질병 진행 또는 사망 위험 25% 감소(vs docetaxel)
- PFS 중앙값 4.4개월(vs docetaxel 3.7개월)
- 26% ORR (vs docetaxel 13%)
- 전체 생존율 평가 진행 중
- 환자의 25%에서 3등급 이상의 TRAE 발생 (vs 화학요법 41%)

AstraZeneca는 또한 datopotamab deruxtecan 투여의 유익성이 가장 높을 가능성이 있는 환자 식별에 도움이 되는 잠재적 진단 검사를 연구하고 있습니다.

또한, 다음 임상 3상에서는datopotamab deruxtecan 에 대한 잠재적인 용도확장을 평가하고 있습니다:

- TROPION-Breast02: 국소재발 또는 수술이 불가능한 전이성 삼중음성 유방암 환자로서 PD-1/PD-L1억제제 치료 대상이 아닌 환자에 대해 datopotamab deruxtecan을 연구자가 선택한 화학요법과 비교
- TROPION-Breast03: 수술 전 선행 항암화학요법 후 잔여 암세포를 가진 초기(1기~3기) 삼중음성 유방암 환자를 대상으로 면역항암제인IMFINZI와 병용하거나 병용하지 않은 환자를 대상으로 datopotamab deruxtecan 과 durvalumab을 병용 사용을 연구자가 선택한 치료제와 비교 평가

- TROPION-Breast04: 이전에 치료 경험이 없는 삼중음성 유방암 또는 HR-low/HR2 음성 유방암 환자들을 대상으로datopotamab deruxtecan 과 durvalumab 선행보조요법 후 화학요법제를 병용하거나 병용하지 않은 화학요법을 받거나/ 받지않은 후 pembrolizumab 보조요법을 실시하는 처방과 비교.

- TROPION-Breast05: PD-L1-양성 국소 재발 또는 전이성 삼중음성 유방암 환자를 대상으로 화학요법 및 pembrolizumab병용 사용을datopotamab deruxtecan 과 durvalumab병용 사용 또는 datopotamab deruxtecan을 단독 사용하는 치료법과 비교.

- AVANZAR: 표적화가능한 게놈변화가 없는 진행성 비소세포폐암 환자의 1차 치료를 위해 datopotamab deruxtecan, durvalumab 및 carboplatin 병용 투여를 연구.



25%

**질병 진행 또는 사망 위험
25% 감소(vs docetaxel)**

Datopotamab deruxtecan이 유방암 및 비소세포폐암 치료제 시장에 미칠 영향은?

HR-양성/HER-음성 유방암

- HR-양성/HER-음성 유방암은 가장 흔한 아형으로 전체 사례의 60-75%를 차지합니다.
- Datopotamab deruxtecan은 내분비 요법에 대한 내성을 갖고 있는 전이성 질환 치료를 위해 적어도 하나의 화학요법을 받은 환자들을 치료하기 위해 화학요법을 받은 환자들의 세번째 및 이후 라인 치료에서 가장 많은 수요를 얻을 것으로 예상됩니다. 이런 상황에서 Datopotamab deruxtecan은 ENHERTU®(Daiichi Sankyo: 예 비 HER2 저발현 환자, 전체 환자중 ~40%) 로 치료를 받을 수 없는 환자의 치료제로 TRODELVY와 경쟁할 것입니다.

삼중음성 유방암

- Datopotamab deruxtecan은 초기 및 전이성 삼중음성 유방암 치료제로서의 입지를 확보할 것입니다. 승인이후 면역치료제 및 화학요법이 차지하고 있는 현재 치료제 시장의 환자 점유율이 감소될 것입니다.
- Datopotamab deruxtecan은 모든 환자군에서 TRODELVY 와 치열하게 경쟁할 것입니다.

비소세포폐암

- 비소세포폐암의 경우, Datopotamab deruxtecan은 기존 약물 계열(예: EGFR 억제제, 면역관문억제제, 혈관신생 억제제)과 새로운 요법(예: CD73-, NKG2A-, HER3 및 TROP2 표적 제제)을 포함하는 가장 바쁜 약물 개발 파이프라인 중 하나에 진입하고 있습니다.
- Datopotamab deruxtecan은 미충족된 요구가 많고 명확한 시퀀싱 옵션이 없는 면역요법과 화학요법에 실패한 전이성 비소세포폐암 환자를 위한 새로운 치료법으로 초기에 입지를 확보할 것입니다. 새로운 작용기전을 가진 효과적인 치료제를 이 환자군에게 제공할 수 있게되는 점은 처방의사들에게 매력적일 것이라 예상됩니다.

Datopotamab deruxtecan은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

순차적 화학요법은 내분비요법에 대한 내성을 갖고 있는 전이성 HR 양성/HER음성 질환 관리를 위해 널리 활용되고 있지만, 화학요법의 낮은 반응률 및 독성관련성 때문에 미충족된 요구가 남아 있는 것이 사실입니다. Datopotamab deruxtecan은 화학요법에 비해 개선된 효능과 안정성을 제공하는 것으로 나타났습니다.

전이가 될 경우 현재 치료법으로 효과가 제한적이고, 초기 치료 이후 높은 재발률로 인해 삼중음성 유방암 환자들의 미충족된 요구가 높습니다. 단일 요법 또는 면역요법과 병용하여 사용되는 Datopotamab deruxtecan은 이런 유형의 유방암 환자들의 치료결과를 향상시킬 것으로 기대됩니다.

이전에 치료받은 전이성 비소세포폐암에 대한 효과적인 치료요법을 포함하여 비소세포폐암에 대해 미충족된 요구는 여전히 상당합니다. 후선 차수 요법으로 승인된 약제가 1차 사용으로의 용도 확대를 모색하고 승인을 획득함에 따라 비소세포폐암 치료 알고리즘은 빠르게 진화하고 있습니다. 이는 1차 치료 환경에서는 환자의 반응을 개선하지만, 이러한 환자에서 질병이 진행되었을 때 사용할 수 있는 치료 옵션이 고갈되어 후기 차수 요법에 보다 많은 치료 옵션이 절실히 필요합니다.

Datopotamab deruxtecan가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

Datopotamab deruxtecan은 HR 양성/HER 음성 유방암과 비소세포폐암 부문에서 다양한 약제와의 치열한 경쟁에 직면할 가능성이 높습니다.

HR 양성/HER 음성 유방암의 경우, 시장 진입과 매출 잠재력을 저해하는 주요 장애물로는 내분비 요법, 아로마타제 억제제, 경구용 선택적 에스트로겐 수용체 분해제[selective estrogen receptor degrader, SERD] 등 이미 출시된 기존 요법과 기타 TROP2 억제제, 면역관문 억제제, PARP 억제제, 백신 등 새로운 요법과의 경쟁 등이 있습니다. 전이성 HR 양성/HER 음성 유방암을 위해 내분비 저항성을 다루기 위한 목적으로 여러 가지 새로운 약물 클래스가 개발되고 있습니다. 새로운 PI3K/AKT/mTOR 억제제 및 ER 표적 치료제를 포함한 이러한 새로운 약제는 datopotamab deruxtecan을 포함한 ADC의 사용을 후기 치료 라인으로 밀어낼 수 있습니다. 또한 ADC의 순차적 사용(예: ENHERTU 치료 후 datopotamab deruxtecan 사용)의 효과는 불확실하며 ENHERTU 치료 후 TOP2 제제의 사용을 잠재적으로 방해할 수 있습니다. 여러 제제들이 시장에 진입함에 따라 다양한 차수의 요법 전반에 걸쳐 치료 순서를 최적화해야 할 필요성이 커지고 있으며, 의사들은 1차 요법 후 최선의 치료 순서를 결정하는 데 어려움을 겪을 수 있습니다.

삼중음성 유방암에서 datopotamab deruxtecan은 시장에 처음으로 진입한 TRODELVY와의 치열한 경쟁이 예상됩니다.

비소세포폐암의 경우, 기존 요법(예: 면역관문 억제제, 단일클론 항체)과 새로운 요법(예: antibody drug conjugate, ADC)의 유사한 경쟁을 극복해야 할 것입니다. 1차 전이성 비소세포폐암에서 바이오마커 상태에 따라 치료 선택이 점점 더 단순화되고 있으며, 유발변이가 없는 환자를 위해서는 결합 면역 화학요법이 표준치료로 인정받고 있습니다. 치열한 경쟁이 있지만, 수익성이 높은 이 시장에서 datopotamab deruxtecan이 시장점유율을 확보하기 위해서는 기존 조합에 datopotamab deruxtecan을 추가한 요법에 대한 설득력 있는 효능개선(및 유리한 이익-위험 프로파일)을 증명해야 할 것입니다.

60-75%

전체 사례에서 HR-양성/HER-음성유방암 환자 비율

📈 시장 개요

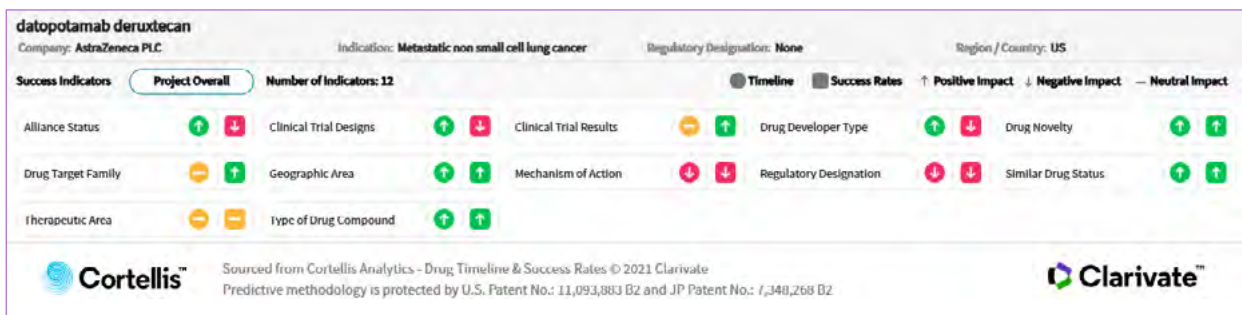
\$27억

2029년 예상 매출액 (유방암 및 비소세포폐암)


"TROP2는 비소세포폐암 치료를 위한 새로운 타겟으로, 제가 알고 있는 TROP2관련 데이터는 정말로 유망합니다. 현재는 TROP2발현이 표적제제를 사용하기 위한 전제조건은 아니지만 여전히 효과는 있는 것 같습니다. TROP2 타겟치료제에 대한 보다 많은 데이터를 보고 싶습니다."

종양학자, 독일

Cortellis 데이터에 따르면 미국 전이성 비소세포폐암에서의 성공가능성은 90%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준



2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

04. **Efanesoctocog
alfa**

ALTUVIIIIO™/ BIVV001

Efanesoctocog alfa는 주 1회 투여하는 최초의 지속형 제8 혈액응고인자(Factor VIII, FVIII) 대체 정맥주입요법으로, 현재 사용 가능한 다른 제8인자 요법의 주사 빈도와 관련된 부담을 줄이는 데 도움을 줄 수 있습니다. mAb 또는 유전자 요법과 같은 새로운 요법 투여를 꺼리는 환자에게는 Efanesoctocog alfa가 매력적인 옵션이 될 수 있습니다.

임상의들은 또한 현재까지 임상시험에서 입증된 도달 가능한 제8인자 수치, 주사 빈도 및 안전성 프로파일을 고려할 때 Efanesoctocog alfa를 긍정적으로 보고 있습니다.

Sanofi는 Efanesoctocog alfa에 대한 미국 내 개발 및 상업화 권리를 가지고 있으며, Sobi는 유럽 및 기타 시장에서 개발 및 판매를 담당하고 있습니다.

후, 이후 26주 동안 예방을 위해 정기적으로 Efanesoctocog alfa를 투여받았습니다.(B조) 주 1회 Efanesoctocog alfa 예방요법에 대한 임상시험 결과는 다음과 같습니다:

블록버스터 신약 선정 이유

Efanesoctocog alfa는 잠재적으로 순환 시간을 연장하기 위해 혁신적인 Fc 융합 기술에 폰 빌레브란트 인자와 XTEN® 폴리펩타이드를 추가했습니다. 이는 현재 제8인자 요법의 반감기 제한으로 여겨지는 폰 빌레브란트 인자 상한을 돌파한 유일한 요법입니다. 그 결과, 주 1회만 투여하는 최초의 제8인자 대체 요법으로 치료 부담을 감소시켰습니다.

FDA의 승인은 주로 이전에 치료 경험이 있는 중증 A형 혈우병 소아(>12세) 및 성인을 대상으로 52주 동안 진행된 중추적 제3상 임상시험인 XTEND-1의 데이터에 근거하여 이루어졌습니다. 연구에 참여한 환자들은 제8인자 예방치료를 받은 경험이 있으며, 임상시험중에는 일상에서의 예방을 위해 Efanesoctocog alfa를 투여받았습니다.(A조) 연구전에 필요시에 제8인자를 투여받은 환자들은 26주 동안 필요시 Efanesoctocog alfa로 치료를 받은

- A조, B조(필요시 투여) 및 B조(예방)에서 연간 출혈률(annualized bleeding rate, ABR)의 중앙값 각각 0 / 21.1 / 0
- A조, B조(필요시 투여) 및 B조(예방)에서 평균 연간 출혈률(ABR) 각각 0.7/21.4 / 0.7
- A조의 경우 이전 응고인자 예방요법과의 환자 내 비교를 기준으로 ABR 77% 감소
- 1주일 대부분에서 >40%의 평균 FVIII 활성도, 7일째에 15 IU/dL의 활성도
- 기준점에서 표적 관절이 있는 모든 참가자들의 경우, Efanesoctocog alfa로 예방치료를 12개월 받은 결과 대상관절 출혈 모두 해소
- 환자가 보고한 신체 건강 및 통증 강도 개선
- 임상기간 중 FVIII 억제제 발생 징후 없음

의학의 새로운 선구자들

A형 혈우병 치료 부담 경감

👁 Efanesoctocog alfa 살펴보기

제조회사

Sanofi (Bioverativ
Therapeutics Inc)
및 Swedish Orphan
Biovitrum AB

유형

재조합 단백질 8인자 대체요법

사용법

성인 및 소아 A형 혈우병 환자의
일상적 예방, 필요 시 투여 및
출혈 에피소드 관리, 수술 전후
출혈 관리를 위해 주 1회 정맥
내 주입

영향

~4만 5천:

2023년 G7 시장에서 진단된 A형
혈우병 유병 증례

심사 및 승인 상태

2017년 8월
- 희귀의약품 지정 승인: 미국 FDA

2019년 6월
- 희귀의약품 지정 승인: EMA

2021년 2월
- 패스트트랙 지정 승인: 미국 FDA

2021년 7월
- 혁신 신약 지정 승인: 중국

2022년 6월
- 혁신 신약 지정 승인: 미국 FDA

2023년 2월
성인 및 소아 A형 혈우병 환자 대상
- 승인: 미국 FDA

2023년 5월
- 판매허가신청(Marketing
authorization application,
MAA) 승인: EMA

2023년 9월
성인 및 소아 A형 혈우병 환자 대상
- 승인: 일본 MHLW

실제 및 예상 출시:
- 2023년: 일본, 미국
- 2024년: EU
- 2028년: 중국

특허만료 예상시기:
2032년 이후

제3상 임상시험 XTEND-Kids 역시 치료 경험이 있는 중증 A형 혈우병 소아(<12세)를 대상으로 52주에 걸쳐 진행되었으며, 주 1회 Efanesoctocog alfa 예방요법에 대해 다음과 같은 결과가 도출되었습니다.

- ABR 중앙값 및 평균 각각 0 및 0.89
- FVIII 억제 발생 징후 없음

현재 진행 중인 임상시험은 다음과 같습니다.

- XTEND-ed: 장기 유효성 및 안전성 평가를 위한 연장 시험
- FREEDOM: 현재 예방요법을 받고 있는 12세 이상의 중증 A형 혈우병 환자를 대상으로 한 제3b상 유럽 임상시험
- 미국과 일본에서 표준 치료에 따라 치료받는 A형 혈우병 환자를 대상으로 efanesoctocog alfa의 실제 효과, 안전성 및 치료 사용을 기술하기 위한 전향적, 관찰적, 종단적 코호트 연구

Efanesoctocog alfa가 A형 혈우병 치료제 시장에 미칠 영향은?

- A형 혈우병의 치료 옵션은 점점 더 다양해지고 있습니다.
- 피하 투여로 치료부담을 줄이는 치료법이 개발되었음에도 불구하고 제8인자 대체 치료로 효과를 얻은 환자의 대부분은 해당치료를 계속할 것으로 예상됩니다. 이런 환자들은 정맥에 접근할 수 있는 가능성이 높거나, 평생 링거주사에 익숙해졌거나, 출혈이 매우 적을 수 있습니다.
- 대체 치료 옵션이 있더라도 일부 돌발 출혈은 불가피합니다. 수술 후 관리 및 외상 관련 출혈뿐만 아니라 이러한 출혈로 인해 FVIII를 이용한 치료에 계속해서 필요할 것입니다.

- G7 국가의 혈우병 환자의 기대 생존 기간 중앙값이 배경 기대수명에 가까워지고 있기 때문에 A형 혈우병 환자의 인구는 고령화되고 있습니다. 치료 가능한 환자 수가 증가하고 전체 치료 기간이 길어질 뿐만 아니라, 고령의 A형 혈우병 환자 집단은 더 많은 대수술을 받게 되고 그 과정에서 연속 FVIII 주입과 같은 지혈 중재가 필요할 수 있습니다.
- 응고인자 대체 요법은 환자의 체중을 기준으로 투여하기 때문에 연령별 체중이 비례적으로 증가하면 단위당 약물 소비량이 증가하여 궁극적으로 매출 성장에 기여하게 됩니다.

Efanesoctocog alfa는 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

A형 혈우병 치료의 주요 목표는 출혈, 특히 영구적인 관절 손상과 관련된 관절 출혈을 예방하는 것입니다. 또 다른 중요한 결과는 삶의 질 향상입니다. 그러나 현재의 FVIII 대체 요법은 투여 빈도와 투여 경로가 부담스러우며 순응도가 낮습니다. Efanesoctocog alfa는 최초의 주 1회 FVIII 대체 요법으로서 환자의 편의성을 개선하고 치료 부담을 줄이며 치료 순응도를 높일 수 있습니다.

Efanesoctocog alfa가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

혈우병 치료는 특히 출혈 경향이 심한 환자의 경우 비용이 많이 들기 때문에 임상가와 보험사 모두 치료 요법의 가치를 정확하게 정량화할 것을 요구하고 있습니다. HEMLIBRA® (Genentech)는 현재 억제제를 이용 가능한 환자들이 사용할 수 있는 저렴한 피하 투여 치료 옵션으로서, 그 채택이 증가함에 따라 Efanesoctocog alfa의 시장가치를 지속적으로 제한하고 있습니다. 초기에는 비용이 많이 들 수 있지만, 새로운 유전자 요법은 완치를 가능케 할 수 있으며 FVIII 대체 요법과 같은 침습적 표준 치료의 필요성을 줄일 수 있습니다.

📈 시장 개요

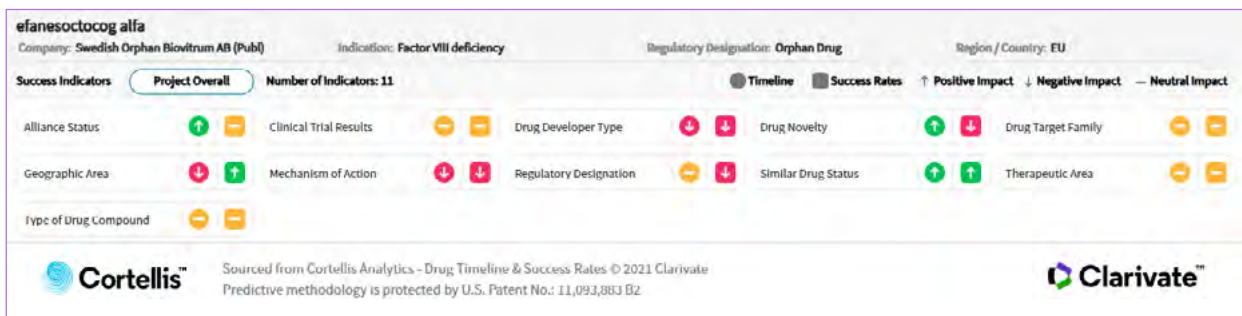
\$17억7천만

2029년 예상매출액

"BIVV001은 격일 또는 주 2회 주입이 아닌
매주 또는 10일에 한 번씩 주입할 수 있다는 큰
장점이 있기 때문에 FVIII 제품의 시장 점유율을
분명히 많이 차지하게 될 것입니다. 따라서 제가
확신하는 한 가지는 현재 사용 가능한 SHL이나
EHL은 아마도 BIVV001의 등장으로 사라질
것이라는 점입니다."

혈액전문의, 프랑스

Cortellis 데이터에 따르면 EU에서 efanesoctocog alfa의 성공가능성은 95%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

05. Ensifentrine

RPL554



Ensifentrine은 흡입형 이중 포스포디에스테라제(phosphodiesterase, PDE)3 및 PDE4 억제제로, 경구로 투여하는 기존 PDE 억제제의 전신 부작용 없이 중등도에서 중증의 만성폐쇄성폐질환(COPD) 악화를 감소시킬 수 있을 것으로 기대됩니다. 이 약이 승인될 경우, 계열 내 최초이자 10년 넘게 만성폐쇄성폐질환의 유지 치료에 사용할 수 있는 최초의 새로운 기전이 될 것입니다.

Ensifentrine의 임상 및 안전성 프로파일은 치료법이 제한되어 있는 이러한 환자군이 이용가능한 유망한 추가 치료 옵션이 될 것입니다.

블록버스터 신약 선정 이유

Ensifentrine은 기관지 확장제와 비스테로이드성 항염증 작용을 하나의 화합물에 결합한 새롭고 강력한 선택적 PDE3 및 PDE4 이중 억제제입니다. 또한 섬모 기능을 촉진하여 잠재적으로 객담과 관련된 증상을 개선할 수 있습니다. FDA에 제출된 신청서는 40세에서 80세까지의 중등도에서 중증의 만성폐쇄성폐질환 환자를 대상으로 단독 요법 또는 지속성 무스카린 길항제 또는 지속성 베타 작용제에 대한 추가 요법으로 분무형 Ensifentrine의 유효성 및 안전성을 평가한 두 건의 제3상 임상시험(ENHANCE-1 및 ENHANCE-2)의 긍정적인 결과에 근거해 제출되었습니다.

그 결과는 다음과 같습니다.

- 24주 동안 만성폐쇄성폐질환 악화 비율 및 위험도 36%~42% 감소
- 제12주에 평균 FEV1 투여 후 0~12시간 곡선하면적에서 위약 보정 기저치 대비 변화 87~94mL
- 통계적으로(ENHANCE-1) 또는 임상적으로(ENHANCE-1 및 ENHANCE-2) 삶의 질의 유의한 개선
- 성별, 연령, 흡연 여부, COPD 중증도, 배경 약물, 흡입용 코르티코스테로이드 사용, 만성 기관지염, 지리적 지역 등 하위군 전반에 걸쳐 일관적인 개선이 나타났습니다.

의학의 새로운 선구자들

만성폐쇄성폐질환을 위한 유망한 새로운 치료법

👁️ Ensifentrine 살펴보기

제조회사

Verona Pharma

유형

PDE3 및 PDE4 이중 억제제

사용법

만성폐쇄성폐질환의 유지 치료를 위해 매일 2회 투여되는 분무 제형

천식, 만성 섬유증 및 특발성 폐섬유증의 치료에 대해서도 평가 진행 중

영향

~2만 8천:

2023년 G7 시장에서 진단된 유병 종례

심사 및 승인 상태

2023년 9월
- NDA 승인: 미국 FDA

2024년 6월 26일
- PDUFA 날짜

예상 출시
- 2024년: 일본, 미국
- 2025년: EU

Ensifentrine이 만성폐쇄성폐질환 치료제 시장에 미칠 영향은?

- 유지 요법이 만성폐쇄성폐질환 시장의 주요 성장 동력이 될 것입니다.
- 현재 생물학적 제제는 만성폐쇄성폐질환 환자의 1% 미만을 차지할 것으로 예상되지만, 2032년에는 34억 달러가 넘는 종합 매출을 달성하며 만성폐쇄성폐질환 치료제 시장의 거의 14.2%를 차지할 것으로 예상됩니다.
- 그러나 Ensifentrine과 같이 일상적인 증상을 해결하고 악화를 최소화하며 삶의 질을 개선하는 새로운 요법이 예측 기간이 끝날 무렵에는 (승인 여부에 따라) 만성폐쇄성폐질환 치료제 시장에 큰 기여를 할 것으로 예상됩니다.
- Ensifentrine은 생물학적 제제를 포함한 모든 신약 중 가장 진전된 개발 상태를 보이며, 지속성 기관지 확장제 요법에 대한 추가 요법으로 사용될 가능성이 높습니다.

\$34억+

생물학적 제제가 만성폐쇄성폐질환 환자의 1% 미만의 환자만을 치료할 것으로 예상되는 상황에서도 2032년에 달성할 것으로 예상되는 종합 매출액

Ensifentrine은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

만성폐쇄성폐질환 환자는 증상과 악화를 장기적으로 조절하기 위해 흡입 유지 관리 요법(예: 기관지 확장제 및 흡입 코르티코스테로이드[inhaled corticosteroids, ICS])에 의존합니다. 그러나 치료 옵션은 여전히 제한적이며 환자는 불편한 전신 효과를 경험할 수 있습니다. 흡입용 Ensifentrine을 폐에 직접 투여해 PDE3/4를 이중으로 억제하는 것은 폐에서의 국소 효과(기관지 확장 및 항염증 효과)를 극대화하며 경구용 PDE 억제제로 발생하는 부작용 가능성을 최소화할 수 있습니다.

Ensifentrine가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

Ensifentrine은 혁신적인 치료방식이 아닌 점진적인 효과를 제공하는 약물이기 때문에 약물 채택이 제한될 수 있습니다. 초기에는 물약형태로 제공되어 네블라이저를 사용하기에 보다 휴대하기 쉬운 휴대용 흡입기(건조 분말이나 계량된 투입방법)를 선호하는 환자들에게는 단점으로 여겨질 수 있습니다. 네블라이저보다 작은 휴대용 흡입기는 환자들이 이미 다른 치료를 통해 알고 있는 방식입니다. 네블라이저를 사용하고, 청소하고, 유지하는 방법을 배워야 하는 것과 하루에 2번씩 집에서 투여해야 하는 점이 치료제 선택에 있어 큰 장애물이 될 수 있습니다. 따라서 네블라이저 형태로 제공되는 Ensifentrine은 병원 또는 노년층 환자를 대상으로 한 치료제로 머물 수 있는 위험이 있습니다.

MQ 시장 개요

\$5억-7억5천만

2029년 예상매출액

"호충구성 염증은 만성폐쇄성 폐질환에서 가장 많이 발생하는 증상으로 스테로이드에 반응하지 않는 경우가 많습니다. Ensifentrine은 호충구성 염증에도 매우 효과적인 약물이므로 만성폐쇄성폐질환의 주요 염증 성분을 줄이는 잠재적으로 매우 중요한 약물입니다."

흉부과 전문의, 영국

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

06/07. **Exagamglogene
autotemcel** 및
**lovotibeglogene
autotemcel**

Exa-cel /CASGEVY™ 및 Lovo-cel /LYFGENIA™

Exagamglogene autotemcel과 lovetibeglogene autotemcel은 치유적 치료가 제한적인 이 질환으로 쇠약해지고 삶이 변화된 환자들에게 혁신적인 치료성과를 줄 것으로 기대되는 잠재력을 가지고 있습니다.

이 치료법은 단 1회 투여로 겸상 적혈구 증후군과 수혈 의존성 베타 지중해빈혈의 기저 원인을 치료하여 환자가 수혈을 받지 않거나 혈관 폐쇄 위기(vaso-occlusive crises, VOC)를 겪지 않고 삶의 질과 신체 능력을 유의하게 개선하는 것을 목표로 합니다.

블록버스터 신약 선정 이유는?

유전성 혈액질환인 겸상 적혈구 질환 및 베타 지중해성 빈혈은 심한 통증, 장기 손상 및 수명단축을 초래합니다. 이 치료법은 단 1회 투여로 겸상 적혈구 증후군과 수혈 의존성 베타 지중해빈혈의 기저 원인을 치료하여 환자가 수혈을 받지 않거나 혈관 폐쇄 위기(vaso-occlusive crises, VOC)를 겪지 않고 삶의 질과 신체 능력을 유의하게 개선하는 것을 목표로 합니다. 이 분야에서 유전자 요법에 대한 열망에는 잠재적 치유 효과뿐만 아니라 현재 치료법의 효과, 접근성, 부작용에 대한 우려도 포함되어 있습니다. 최근 미국 의약품 감시기관인 임상경제 검토연구소(ICER)는 질병의 심각성과 치료 성공률, 내구성과 해악에 대한 불확실성을 모두 고려할 때, 두 치료법 모두 치료 기준에 비해 상당한 순 건강상의 이점을 제공할 수 있다고 평가했습니다.

Exagamglogene autotemcel

Exagamglogene autotemcel은 인간 질병의 근본적인 유전적 원인을 겨냥한 잠재적인 새로운 치료법을 발견하고 개발하기 위해 2015년에 시작된 Vertex와 CRISPR Therapeutics의 공동 연구 프로그램에서 나온 첫 번째 치료법입니다. ICER은 Exagamglogene autotemcel을 표준 치료법과 비교하면서 "필적하거나 보다 낫다."고 평가했습니다.

미국 FDA 승인 및 규제기관에 대한 제출은 두개의 중요한 1/2/3상 임상연구에서 얻은 데이터를 기반으로 합니다. 이 연구의 결과는 다음과 같습니다.:

- CLIMB-111:
 - 12세에서 35세 사이의 재발성 VOC를 앓고 있는 베타 수혈의존성 지중해성 빈혈환자.
 - 적어도 12개월 동안 88.9%의 환자들이 수혈을 받지 않음.
 - 수혈이 필요하지 않았던 평균기간 20.5개월 (최대 40.7개월)

의학의 새로운 선구자들

겸상적혈구 증후군 및 베타 지중해성 빈혈을 위한 최초의 근치적 치료제

Lovotibeglogene autotemcel 살펴보기

제조회사

Bluebird bio

유형

생체 외 렌티바이러스-기반 HBB
유전자 자극제

사용법

중증 SCD 치료를 위한 골수억제
전처치 화학요법 후 1회 정맥 내
주입

심사 및 승인 상태

2018년 10월

수혈 의존성 베타 지중해 빈혈을
앓고 있는 환자 중 β^0/β^0 유형이
아닌 경우

- MAA 승인: EMA

2020년 9월

겸상적혈구 증후군 환자
- PRIME 지정: EMA

2023년 6월

겸상적혈구 증후군 환자
- BLA 승인: 미국 FDA

2023년 12월 20일

겸상적혈구 증후군 환자
- 승인: 미국 FDA

예상 출시

- 2024년: EU, 미국

Exagamglogene autotemcel 살펴보기

제조회사

CRISPR Therapeutics 및
Vertex Pharmaceuticals Inc

유형

생체 외 CRISPR/Cas9 유전자
편집 요법

사용법

중증 SCD 및 수혈 의존성
베타 지중해빈혈 치료를 위한
골수전처리(myeloablative
conditioning) 화학요법
후 자가 조혈모세포 이식
(hematopoietic stem cell
transplant, HSCT)의 일환으로
정맥 내 주입

심사 및 승인 상태

2019년 1월
검상적혈구 증후군 환자 대상
- 패스트트랙 지정:
미국 FDA

2019년 4월
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈
환자 대상:
- 패스트트랙 지정:
미국 FDA

2019년 10월
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈
환자 대상:
- 희귀의약품 지정: EMA

2020년 1월
검상적혈구 증후군 환자 대상
- 희귀의약품 지정: EMA

2020년 4월
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상:
- 희귀의약품 지정: 미국 FDA

2020년 5월
검상 적혈구 증후군 환자 대상
- 희귀의약품 지정: 미국 FDA

수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상
- 첨단재생의약품
(Regenerative medicine
advanced therapy, RMAT)
지정: 미국 FDA

2020년 9월
검상적혈구 증후군 환자
- PRIME 상태: EMA

2020년 10월
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상:
- 희귀 소아질환 지정: 미국 FDA

2021년 4월
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상:
- PRIME 상태: EMA

2023년 1월
검상적혈구 증후군 환자 대상
- MAA 검증: EMA 및 영국
MHRA

2023년 4월
검상적혈구 증후군 환자
- BLA승인: 미국 FDA

수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상
- BLA제출: 미국 FDA

2023년 8월
검상적혈구 증후군 환자
- 우선 심사 승인: 미국 FDA

2019년 10월
재발성 혈관 폐쇄위기(VOC)를 동반한
≥12세의 SCD 또는 수혈 의존성 베타
지중해빈혈 환자 중 백혈구 항원 일치
조혈모세포 기증자를 구할 수 없는 경우
- CMA: 영국 MHRA

2023년 12월 8일
반복적인 재발성 혈관폐쇄위기(VOC)
를 동반한 >12세의 SCD 환자
- 승인: 미국 FDA

2023년 3월 30일
수혈 의존성 베타 지중해 빈혈 환자
대상
- PDUFA 날짜

예상 출시:
검상 적혈구 증후군 환자 또는 수혈
의존성 베타 지중해 빈혈 환자 대상
실제 및 예상 출시:
- 2023년: 영국, 미국
- 2024년: EU

특허만료 예상시기:
2033년 이후

- 평균 가중 헤모글로빈 9 g/dL
- 총 헤모글로빈 평균은 8.9 g/dL에서 16.9 g/dL로 증가
- 태아형 헤모글로빈(HbF) 평균은 67.4%에서 99.6%로 증가
- CLIMB-121:
 - 12세에서 35세 사이의 재발성 VOC를 앓고 있는 겸상적혈구 증후군 환자.
 - 최소 12개월 연속 94.1%의 환자들이 VOC를 경험하지 않음
 - VOC를 경험하지 않은 평균기간 18.7개월(최대 36.5개월)
 - 최소 12개월 연속 VOC관련 입원이 없었던 환자 비율 100%
 - 총 헤모글로빈 평균은 11 g/dL에서 15.9 g/dL로 증가
 - 태아형 헤모글로빈(HbF) 평균은 39.6%에서 49.6%로 증가

6개월 동안 기준이 된 EQ VAS(EuroQoL Visual Analog Scale)의 평균변화, 암 치료의 기능 평가- 일반 (FACT-G), FACT 스케일의 골수 이식부분 척도점수 (BMT)에서의 평균 변화에서 최소 임상적으로 유의미한 차이(MCID)가 충족되었으며, 이는 18개월 동안 후속 추적 기간동안 지속.

두 시험 모두에서 안정성 프로파일은 일반적으로 Busulfan과 조혈모세포이식을 사용한 골수 파괴 조절요법과 일관성을 보였으며 잠재적인 목표 외 효과는 감지되지 않았습니다.

현재 진행중인 제3상 임상시험에는 다음과 같은 것들이 있습니다.

- CLIMB-141: 2세에서 11세까지 재발성 VOC로 수혈에 의존해야 하는 베타 지중해성 빈혈 환자
- CLIMB-151: 2세에서 11세까지 재발성 VOC를 특징으로 하는 겸상 적혈구 질환을 앓고 있는 환자
- CLIMB-161: 초기 잠재적 승인 및 출시 후 회사 제조 확장을 지원하기 위함; 12세에서 35세까지 수혈에 의지해야 하는 베타 지중해성 빈혈증 또는 재발성 VOC를 특징으로 하는 겸상 적혈구 증후군을 앓고 있는 환자

CLIMB-111, 121, 151 및 161 임상시험 참가자들은 지속적인 안정성 및 유효성 평가를 위해 최대 15년의 장기 추적 임상인 CLIMB-131에도 참여할 것을 요청받았습니다.

100%

**최소 12개월 연속 VOC관련
입원이 없었던 환자 비율**

Lovotibeglogene autotemcel

lovotibeglogene autotemcel 승인은 Bluebird Bio가 유전자 치료분야에서 10년 이상에 걸쳐 노력한 결과입니다. Bluebird Bio의 이번 승인은 희귀질환에 대해 FDA의 승인을 받은 Bluebird Bio의 세번째 생체 외 유전자 치료제이자 FDA의 승인을 받은 두번째 유전성 헤모글로빈 장애 질환 치료제입니다. Lovotibeglogene autotemcel은 이런 질환 치료제로 개발 중인 약물 중 가장 심층적으로 연구된 유전자 치료제로 여겨집니다. ICER은 lovotibeglogene autotemcel을 표준치료와 비교했을 때 "조금 나아졌거나 더 낫다."고 평가했습니다.

규제 기관의 승인과 제출한 서류는 중추적인 임상시험인 1/2 HGB-206을 근거로 하면 자세한 사항은 다음과 같습니다:

- 임상시험에 참여하기 전 24개월 동안 중증 겸상 적혈구 증후군 및 중증 VOC를 앓고 있는 12세에서 50세까지의 환자로 임상 참가 24개월 이내에 적어도 4번의 VOC를 겪은 환자. 드록시우레아에 대한 내성 또는 히드록시우레아 치료에도 불구하고 VOC 증상이 발현되며 HLA 일치 여부를 보이는 형제, 자매 조혈모세포 기증자가 없는 환자 (그룹 C: plerixafor로 유도된 말초혈액에서 수집된 조혈모세포).
- 추적기간 중앙값 35.8개월 동안 88.2%가 VOC를 겪지 않았음. (최소-최장: 20.2개월 - 61개월)
- 청소년 환자: 6-18개월간 100% VOC를 겪지 않음
- 추적기간 18개월 동안 총 헤모글로빈 수치가 중앙값 8.5 g/dL에서 >11 g/DL로 증가
- 다음과 같은 삶의 질 측정항목에서 평균적인 개선을 보임: PRO Measurement Information System-57, 통증 강도 숫자 평가 척도 및 EuroQoL-5D-3L Health Utility Index

또한, 다음과 같은 제3상 시험이 진행중입니다.

- HGB-210: 중증 겸상 적혈구 질환을 앓고 있는 2세에서 50세까지의 환자 대상

HGB-205, 206 및 210 임상 참여자는 후속연구이자, 약물 안정성과 유효성 평가를 위한 최장 13년에 이르는 LTF-307에 참여하라는 요청을 받았습니다.

Exagamglogene autotemcel 및 lovetibeglogene autotemcel이 겸상 적혈구 증후군(SCD) 및 베타 지중해 빈혈 치료제 시장에 미칠 영향은?

치료가 까다로운 질환인 겸상 적혈구 증후군 및 베타 지중해빈혈은 새로운 치료제가 거의 나오지 않다가 2017년 ENDARI(Emmaus Medical Inc)가 20년 만에 처음으로 승인되었습니다.

- 이용 가능하게 된 Exagamglogene autotemcel 과 lovetibeglogene autotemcel은 최초의 근치적 치료제로서 향후 질병 조절제의 길을 열 수 있는 잠재력을 가지고 있습니다.
- 두 요법의 높은 비용과 적합한 환자 제한은 도입을 제한할 수 있습니다.
- 그러나 임상경제성평가연구소(Institute for Clinical and Economic Review, ICER)는 두 요법이 두 질환과 관련된 의료비를 절감할 수 있다고 추정했습니다. 표준 치료 대비 요법으로 인해 예방할 수 있는 VOC 당 최대 절감액은 11,600달러입니다.

Exagamglogene autotemcel 및 lovetibeglogene autotemcel은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

증상을 관리하는 데 도움이 되는 몇 가지 약물이 있지만, 대다수의 겸상 적혈구 증후군 및 수혈에 의존하는 베타 지중해 빈혈을 앓고 있는 환자는 극심한 통증 위기를 예방하고 장기손상을 예방하며 삶의 질을 개선하여 일상 과제를 완수하기 위해 평생 매달 수혈을 받아야 하므로 빈번하게 병원을 방문해야 합니다. 그러나 정기적인 수혈은 철분 과잉으로 인한 심장 및 간 질환과 같은 중대한 건강 합병증을 피하기 위해 장기간의 킬레이트 요법이 필요합니다. 진통제를 제외하고 이용 가능한 다른 치료 옵션은 거의 없습니다. 조혈모세포이식(hematopoietic stem cell transportation, HSCT)은 겸상 적혈구 증후군의 잠재적인 근치적 치료법이지만, 많은 환자에게 적합한 형제자매 일치 기증자가 없고 이식편대숙주병(graft-versus-host disease, GVHD)은 중대한 위험이며 연령 증가에 따라 HSCT의 위험이 증가합니다. 따라서 질병 조절제 및 근치적 요법에 대해 유의한 충족되지 못한 필요가 여전히 존재합니다.

두 약물이 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

SCD와 수혈 의존성 베타 지중해빈혈의 경우 다학제적 치료가 필요하지만, 의사 교육이 미흡하고 치료 조율이 제대로 이루어지지 않는 경우가 많습니다. ICER은 접근성에 장애가 될 수 있는 추가적인 요인으로 체계적인 인증 차별, 빈곤, 여러 시스템에 영향을 미치는 만성 질환 환자의 보험 적용 범위를 조정하도록 설계되지 않은 보험 시스템 등이 있다고 보고했습니다. 또한, 보고된 유효성 및 안전성 결과를 임상시험 환경 외부에 대해 일반화할 수 있는지는 아직 알려지지 않았습니니다.

Exagamglogene autotemcel은 초기에는 중증 질환 환자로 제한될 가능성이 높고, 줄기 세포 이식을 위한 인프라(즉, 승인된 치료센터[ATC])가 광범위하게

제공되지 않을 수 있으며, 적합한 많은 환자에게는 요법의 비용이 부담스러울 수 있습니다. 또 다른 우려는 이 요법에는 치료 전 절제 요법이 필요하고 난자/정자 냉동 보존의 적용 범위가 제한적이기 때문에 생식능력이 상실될 수 있으며, 이로 인해 이용률이 제한될 수 있다는 것입니다.

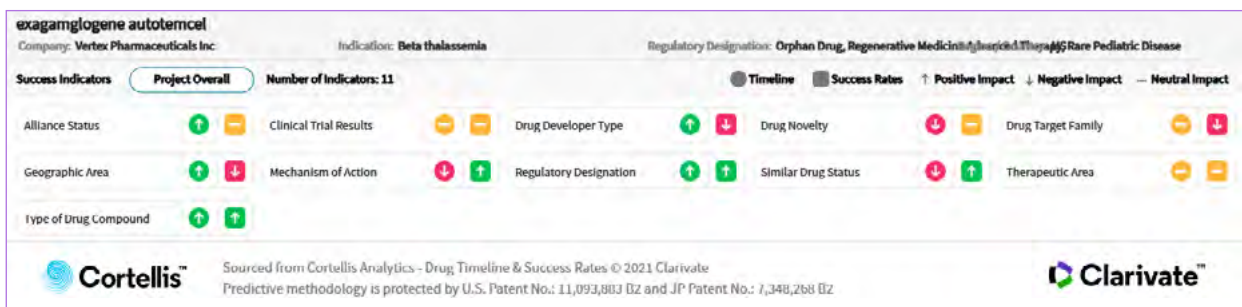
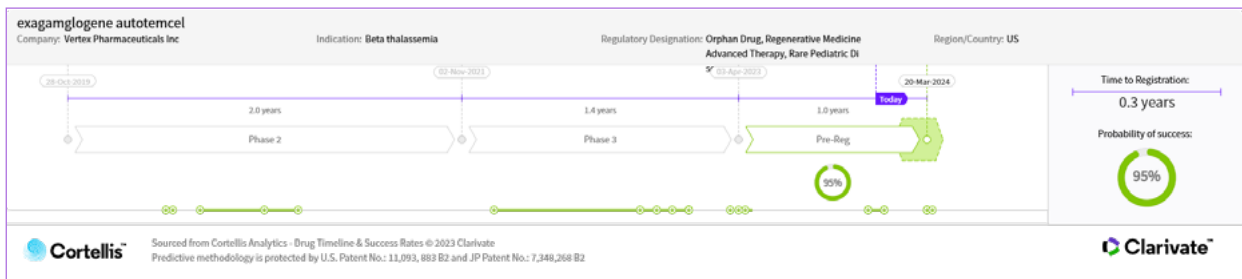
lovotibeglogene autotemcel은 혈액암에 대한 중요한 경고 사항이 있는 제품으로 이로 인해 시장에서의 수용이 어려울 수 있습니다. 이 치료는 평생동안 지속적인 모니터링을 필요로 할 뿐 아니라 가격도 비쌉니다. 출시 초기에 Lovotibeglogene autotemcel의 가격은 Exagamglogene autotemcel보다 높을 것으로 추정되었습니다. 이 치료에 접근하기 위해서는 복잡한 유전자 치료를 수행하기 위해 특별한 훈련을 받은 자격을 가진 치료센터인 QTC로 제한됩니다.

시장 개요

\$13억2천만

2029년 exagamglogene autotemcel 예상 매출액

Cortellis 데이터에 따르면 미국 베타 지중해 빈혈에서의 exagamglogene autotemcel의 성공가능성은 95%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

08. Mirikizumab

Omvoh™ / LY-3074828

IL-23의 p19 서브유닛을 표적으로 하는 단일클론 항체(monoclonal antibody, mAb)인 mirikizumab은 EMA와 미국 FDA에서 궤양성 대장염의 계열 내 최초 요법으로 승인되었으며, 크론병에 대해서는 계열 내 3번째로 승인될 가능성이 높습니다. 2023년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2023)에 포함되었지만, 미국 FDA의 제조 우려로 인해 미국 출시가 지연되어 2024년 블록버스터 신약에도 오르게 되었습니다.

새로운 작용 기전을 갖는 신종 치료법 세트의 일부로 Mirikizumab은 이들 요법이 차지하는 시장 점유율을 높이고 잠재적으로 환자에게 더 효과적이고 오래 지속되는 치료 옵션을 제공하는 데 기여할 것입니다.

블록버스터 신약 선정 이유

15세~80세의 중등도에서 중증의 크론병 환자를 대상으로 한 제3상 VIVID-1 임상시험(vs ustekinumab 또는 위약)의 결과가 규제 당국 제출을 뒷받침하는 데 사용될 것입니다. 이 임상시험은 위약과 비교하여 제52주에 공동 일차 및 모든 주요 이차 평가변수를 충족했습니다.

- 공동 일차 평가변수: Mirikizumab 군의 45.4%(vs 위약군의 19.6%)가 제12주에 임상적 반응에 도달했고, 제52주에 크론병 활성화도 지수(Crohn's Disease Activity Index, CDAI)에 따른 임상적 관해에 도달했습니다.
- 공동 일차 평가변수: Mirikizumab 군의 38.0%(vs 위약군의 9.0%)가 제12주에 임상적 반응에 도달했고, 제52주에 단순 내시경검사 점수-크론병 (Simple Endoscopic Score – Crohn's Disease, SES-CD)에 따른 임상적 관해에 도달했습니다.

현재 진행 중인 제3상 임상시험은 다음과 같습니다:

- VIVID-2: 유효성 및 안전성 평가를 위한 장기 연장 시험
- AMAY: 소아 환자(2~17세)에서의 mirikizumab 평가.

중등도에서 중증의 궤양성 대장염 환자를 대상으로 한 제3상 LUCENT 1 유도 시험(vs 위약)의 긍정적인 결과가 규제 당국의 승인을 뒷받침하는 데 사용되었습니다. 이 시험에서 빠르면 4주 만에 개선 효과가 나타났으며, 12주째에 다음과 같은 1차 및 모든 주요 2차 평가변수를 충족했습니다:

- 임상적 관해(mirikizumab 군 64% vs 위약군 43%)
- 임상적 반응(mirikizumab 군 24% vs 위약군 15%)
- 내시경적 관해
- 증상 완화
- 변 절박(bowel urgency) 감소
- 내시경적 조직 염증 개선

Mirikizumab 살펴보기

제조회사

Eli Lilly and Company

유형

인간화 IgG4 항-인간 IL-23p19 mAb

사용법

크론병 및 중등도에서 중증의 활성 궤양성 대장염 치료를 위해 0주, 4주, 8주 정맥 주입으로 구성된 유도 용량과 이후 매월 피하 주사로 투여하는 유지 용량

영향

크론병:

~180만 건

2021년 G7 시장에서 진단된 유병 증례

궤양성 대장염

~230만 건

2021년 G7 시장에서 진단된 유병 증례

심사 및 승인 상태

크론병

예상 출시

- 2025년: EU, 일본, 미국
- 2026년: 영국

궤양성 대장염

2022년 3월

- BLA 제출: 미국 FDA

2023년 3월

- 표준 요법으로 잘 조절되지 않는 중등도~중증 활성 궤양성 대장염 성인 환자 대상
- 승인: 일본 PMDA

2023년 4월

- 제안된 제조 관련 문제
- CRL: 미국 FDA

2023년 5월

- 기존 요법 또는 생물학적 치료제로 반응이 불충분하거나, 반응이 소실되었거나 불내성인 중등도~중증 활성 궤양성 대장염 성인 환자 대상
- 승인: EMA

2023년 6월

- 중등도~중증 활성 궤양성 대장염 성인 환자 대상
- 승인: 영국 MHRA

2023년 10월

- 중등도~중증 활성 궤양성 대장염 성인 환자 대상
- 승인: 미국 FDA

실제 및 예상 출시

- 2023년: EU, 일본, 영국, 미국

특허만료 예상시기:

2034년 이후

제3상 LUCENT-2 시험에서 LUCENT-1의 시험대상자를 1년간 추적 관찰했을 때 다음과 같은 결과가 나타났습니다:

- 시험대상자의 거의 3분의 2가 1년 후에도 임상적 관해를 유지했으며, 1년 후 임상적 관해를 유지한 거의 모든 시험대상자가 유지 치료 종료 전 최소 3개월 동안 코르티코스테로이드를 복용하지 않았습니다.
- 이러한 결과는 이전에 TNF 억제제, tofacitinib 또는 기타 생물학적 제제에 실패한 적이 있는지 여부와 무관하게 나타났습니다.

현재 진행 중인 임상시험은 다음과 같습니다:

- LUCENT-3: 유효성 및 안전성 평가를 위한 장기 연장 시험
- LUCENT-URGE: 중등도에서 중증의 활동성 궤양성 대장염 환자의 변 절박에 대한 mirikizumab의 효과를 평가하기 위한 제3상 시험
- SHINE-1: 소아 환자(2~17세)를 대상으로 mirikizumab을 평가하는 제2상 시험

Mirikizumab이 크론병 및 궤양성 대장염 치료제 시장에 미칠 영향은?

- 크론병과 궤양성 대장염 치료제는 효능, 작용 발현, 부작용 프로파일 및 투여 경로, 증상 중증도 및 관해 상태가 유의하게 다르기 때문에 약물 선택에 영향을 미칩니다.
- 두 질환의 시장 성장은 ENTYVIO®와 STELARA®의 사용 증가와 Mirikizumab을 비롯한 고가의 새로운 요법의 승인 및 사용률 증가에 의해 주도될 가능성이 높습니다.
- Ustekinumab 바이오시밀러의 출시는 경쟁 요법의 판매를 억제할 수 있습니다.

- 향후 몇 년 내에 두 질환에 대해 mirikizumab을 포함한 여러 가지 새로운 약제가 출시될 예정이어서 경쟁이 치열해지고 시장이 점점 더 세분화될 것입니다.

크론병:

- Mirikizumab을 포함한 새로운 요법은 TNF- α 억제제에 불응성이거나 여러 생물학적 제제에 실패한 환자에게 사용될 가능성이 높습니다.
- Mirikizumab을 포함한 새로운 요법은 TNF- α 억제제에 불응성이거나 여러 생물학적 제제에 실패한 환자에게 사용될 가능성이 높습니다.

- 많은 환자에서 치료 목표를 달성하지 못한다는 점을 고려할 때 TNF- α 억제제에 불응성인 환자를 치료할 수 있는 유의한 상업적 기회가 있습니다.

궤양성 대장염:

- 궤양성 대장염에 대한 계열 내 최초 요법으로 Mirikizumab이 출시되었지만, 다른 두 가지 IL-23 억제제인 Risankizumab(SKYRIZI®; AbbVie) 및 Guselkumab(TREMFYA®; Janssen Pharmaceuticals, Inc., Johnson & Johnson Company)이 그 뒤를 이을 것으로 예상됩니다.

- Mirikizumab과 같은 표적 요법은 일반적으로 중등도에서 중증의 질환의 치료에만 사용됩니다.
- 소아 환자에 대해서도 승인될 가능성이 있으며, 이는 치료할 수 있는 환자군을 확대하고, Mirikizumab을 다른 동일 계열 내 경쟁약물과 차별화하며, 이 환자군에 대한 표적 요법의 공백을 메우는 데 도움이 될 것입니다.

"Mirikizumab에 대한 직접 비교
임상시험 데이터가 없습니다.
Stelara보다 먼저 이 약을
사용하려면 더 많은 코호트와
더 많은 경험이 필요합니다."

소화기전문의, 미국

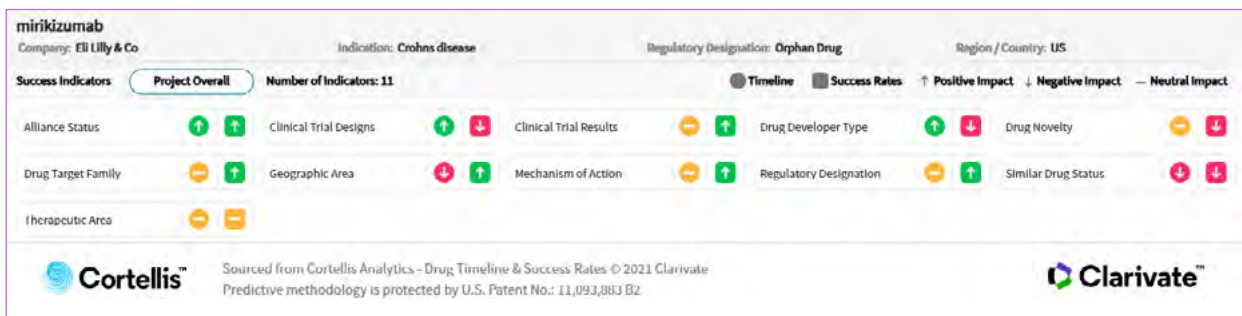
Mirikizumab은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

크론병과 궤양성 대장염은 모두 간헐적인 질병 경과를 특징으로 하며, 급성 발작(flare) 후 관해 기간이 이어집니다. 이로 인해 환자는 삶의 질이 저하될 뿐만 아니라 입원 및 외과적 중재가 필요하게 될 위험이 있습니다. 두 질환 모두 치료법이 없기 때문에 약물 요법은 급성 발작의 완화를 유도하고 (코르티코스테로이드 없이) 관해 상태를 유지하며 삶의 질을 개선하는 것을 목표로 합니다. Mirikizumab은 특히 효과적인 장기 치료 옵션이 거의 없는 환자 집단에서 의사와 환자가 사용하는 데 도움이 될 수 있는 유리한 안전성 프로파일을 가지고 있습니다. Mirikizumab은 지속적인 장기적 관해(많은 환자들이 생물학적 제제에 대한 반응 소실), TNF- α 억제제에 불내성 또는 내성을 보이는 환자들의 경우에는 대체 기전을 갖는 요법으로 치료 공백을 줄일 수 있습니다.

Mirikizumab이 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

크론병과 궤양성 대장염 모두에 대해 STELARA 및 기타 IL-23 억제제에 이어 Mirikizumab이 나중에 시장에 진입하면 그 점유율이 제한될 가능성이 높습니다. STELARA의 경우, 소화기내과 전문의들이 7~9년 동안 처방한 임상 경험이 있기 때문에 적어도 초기에는 새로운 IL-23 억제제가 환자 점유율을 크게 빼앗지 않을 것이며 주로 이후 차수 요법으로 사용될 수 있을 것입니다. 또한 2024년에 출시될 것으로 예상되는 ustekinumab 바이오시밀러의 출시는 모든 IL-23 억제제의 사용을 잠식할 수 있습니다. Mirikizumab은 점점 더 혼잡해지는 치료 환경에서 여러 치료 옵션 중 하나가 될 것입니다.

Cortellis 데이터에 따르면 미국 크론병에서의 성공가능성은 90%입니다.

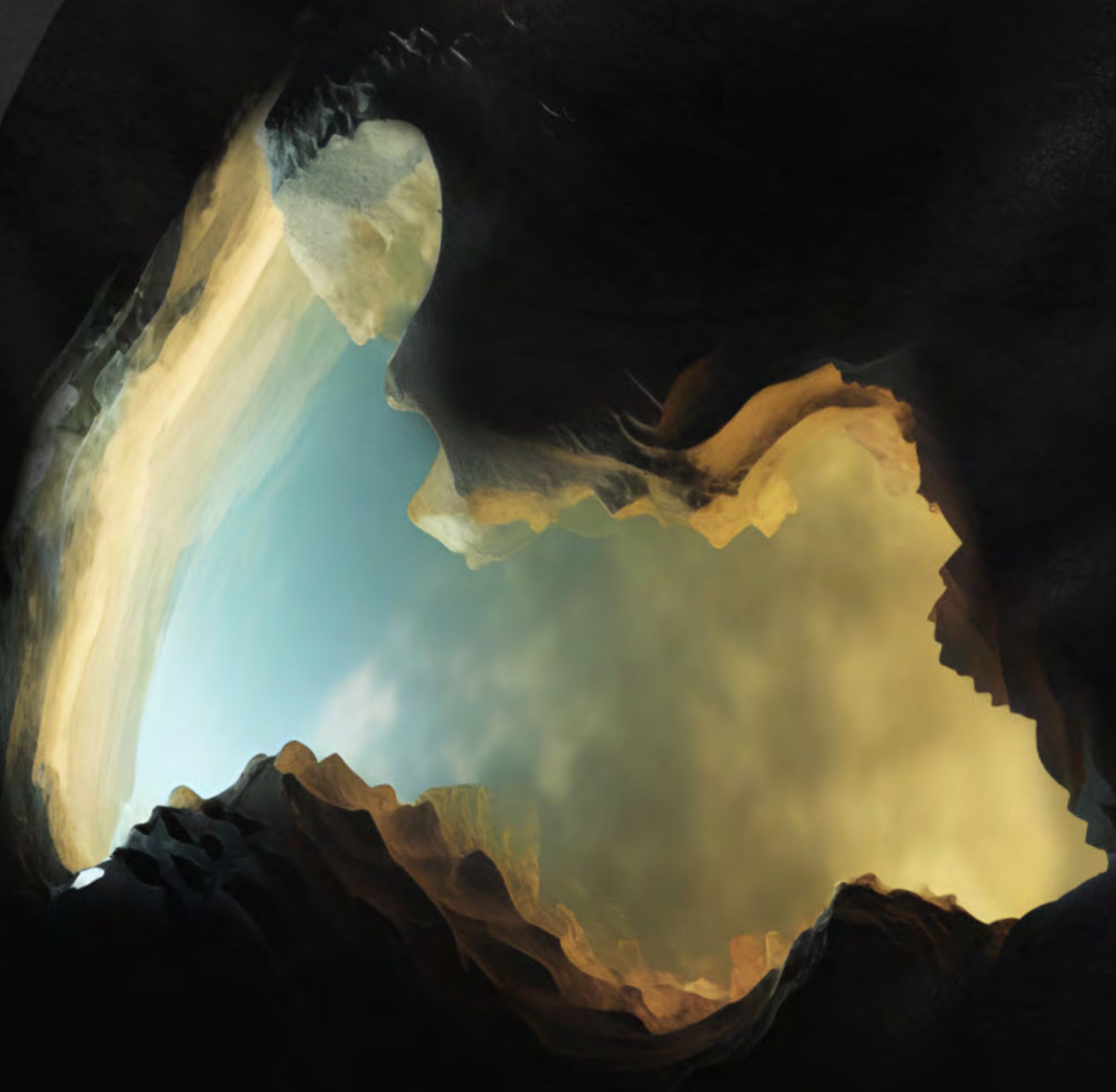


출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

09. Niraparib + abiraterone acetate

AKEEGA™



이 약은 PARP 억제제(niraparib)와 차세대 호르몬 요법(abiraterone acetate)을 결합한 최초이자 유일한 이중 작용(또는 고정용량복합제[fixed-dose combination, FDC]) 정제입니다. 유해하거나 유해한 것으로 의심이 되는 BRCA유전자 변이 양성 전이성 거세 저항성 전립선암(metastatic castration-resistant prostate cancer, mCRPC)에 대한 치료제로서의 능력은 보다 효과적인 치료를 필요로 하는 환자들의 요구를 충족하는데 도움이 될 것입니다. 전체 전이성 거세 저항성 전립선암 환자들 중 10%~15%가 BRCA유전자 변이를 나타내는데, 이 같은 BRCA유전자 양성 전이성 거세 저항성 전립선암 환자들은 공격적인 종양을 나타낼 가능성이 높습니다.

미국과 EU의 승인은 Johnson & Johnson Innovative Medicine이 세번째 전립선 암치료제를 승인받으며 마일스톤에 도달했음을 의미합니다. 또한, 환자에 대한 정밀치료를 위한 신뢰할 수 있는 예측가능한 바이오마커가 중요함을 보여주기도 합니다. 2023년 8월, 미국 FDA는 Foundation Medicine Inc.의 FoundationOne®CDx 동반 진단으로 Niraparib + abiraterone acetate을 사용할 수 있도록 승인했습니다.

블록버스터 신약 선정 이유

Niraparib + abiraterone acetate의 개발에는 창의적이고 스마트한 수명주기 관리 전략이 사용되었습니다(특히 abiraterone의 경우 제네릭이 출시되어 있다는 점을 고려할 때). 이는 매우 우수한 유효성 및 의사의 긍정적인 의견과 처방 욕구를 고려할 때 경쟁력이 있습니다. 단일 정제 내 FDC로서 이 약은 편리한 대안입니다.

미국 FDA와 EMA는 niraparib + abiraterone acetate + 프레드니손 병용요법을 투여받은 mCRPC 환자(상동 재조합 복구[homologous recombination repair, HRR] 관련 유전자 변이 유무에 관계없이)를 대상으로 위약+abiraterone+prednisone 병용요법을 투여받은 환자들과 비교한 대규모 제3상 임상시험(MAGNITUDE) 결과에 근거하여 이루어졌습니다.

그 결과는 다음과 같습니다:

- BRCA1/2 하위군의 방사선학적 무진행 생존(radiographic progression free survival, rPFS) 중앙값 19.5개월(vs 10.9개월 위약 + abiraterone acetate)
- 전체 HRR+ 코호트에서 rPFS 중앙값 16.7개월(vs 13.7개월위약 + abiraterone acetate)
- 관리 가능한 안전성 프로파일, 유익성-위해성 프로파일에 영향을 미치는 새로운 안전성 실마리정보 없음

결과는 또한 niraparib + abiraterone acetate를 통한 치료를 시작하기 전에 HRR상태에 대한 테스트의 중요성을 강조하며 누가 치료를 통해 가장 큰 효과를 얻을 수 있는지 식별하고 병용요법의 잠재적인 추가 독성과 균형을 이루도록 했습니다.

의학의 새로운 선구자들

침략적 전립선암 치료를 위한 도약

👁 Niraparib + abiraterone acetate 살펴보기

제조회사

Johnson & Johnson Innovative
Medicine

유형

PARP 억제제 및 호르몬 요법

사용법

BRCA-양성 mCRPC
치료를 위해 프레드니손 또는
프레드니솔론과 병용하여 1일
1회 경구 투여.

HRR 유전자 변이가 있는
전이성 호르몬 민감성 전립선암
(metastatic, hormone-sensitive
prostate cancer, mHSPC)에
대해서도 평가 진행 중

영향

~7만 6천:

이전에 치료받지 않은
mCRPC신규 발생 증례

~11만건:

2023년 G7시장에서 rmHSPC신규
발생 증례

심사 및 승인 상태

2022년 4월
- MAA 신청: EMA

2023년 2월
- NDA 신청: 미국 FDA

2023년 4월
Prednisone과 병용하여 BRCA-양성
mCRPC 환자 대상
- 승인: EMA

2023년 8월
FDA 승인 검사로 검출된 유해한 또는
유해한 것으로 의심되는 BRCA-양성
mCRPC 환자 대상
- 승인: 미국 FDA

실제 및 예상 출시
- 2023년: EU, 미국

Niraparib + abiraterone acetate가 전립선암 치료제 시장에 미칠 영향은?

- 호르몬 요법은 모든 환자 집단의 약물 치료의 초석입니다. 호르몬 요법은 2032년까지 전체 전립선암 시장의 50%를 차지할 것으로 예상되는 새로운 호르몬 요법(예, abiraterone, enzalutamide)을 포함해 여전히 지배적인 약물 계열로 남아있을 것입니다.
- 그러나 PARP 억제제 및 전립선 특이 막 항원 (prostate-specific membrane antigen, PSMA) 표적 방사성리간드와 같은 혁신적인 치료제 승인으로 인해 치료법이 점점 더 다양화되고 있습니다.
- 후기 단계 파이프라인은 광범위한 약물 계열과 새로운 요법(예: PARP 억제제, 키나아제 억제제, PSMA 표적 방사성리간드, 혈관신생 억제제)에 걸쳐 있습니다.
- Niraparib + abiraterone acetate는 2032년에 28억 달러의 주요 시장 매출을 달성하며 매출을 주도하는 신형 약제가 될 것입니다. 긴 치료 기간과 niraparib + abiraterone acetate의 높은 가격으로 인해 이러한 매출의 75%는 호르몬 반응성 전이성 전립선암(mHSPC) 환자 치료영역에서 발생할 것입니다.
- 다른 PARP 억제제+호르몬 요법 병용요법(예: AstraZeneca와 MSD의 Lynparza + abiraterone)도 있지만, 이는 '개방형' 병용(즉, 두 가지 약물을 다른 투여 일정에 따라 별도의 정제로 투여하는 것)입니다.

Niraparib + abiraterone acetate는 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

mCRPC는 현재 표준 치료 요법으로는 여전히 치명적인 질병이며, BRCA 양성 mCRPC 환자는 질병이 공격적으로 진행되고 예후가 좋지 않으며 생존 기간이 짧을 가능성이 더 높습니다. 보다 효과적인 치료 옵션을 제공하기 위해서는 새로운 작용기전을 가진 약물이 필요합니다. PARP억제제는 이러한 미충족된 요구를 부분적으로 충족시킬 수 있는 잠재력을 가지고 있으며, 예측가능한 바이오마커를 활용하는 표적치료법은 환자가 가장 효과적인 작용기전과 일치되도록 보장하는 것을 도울 것입니다. 이전에 시장에 나온 PARP 및 호르몬 약물 치료제 병용요법은 특정 유전자 변이 또는 특성에 기반하여 정의된 환자 하위그룹 치료를 위한 것으로 기존의 치료법에 비해 Niraparib + abiraterone acetate는 보다 편리한 투약 일정(일일 투여량)을 제공합니다.

Niraparib + abiraterone acetate가 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

이전에 시장에 나온 PARP 및 호르몬 약물 치료제 병용요법은 특정 유전자 변이 또는 특성에 기반하여 정의된 환자 하위그룹 치료를 위한 것으로 기존의 치료법에 비해 Niraparib + abiraterone acetate는 보다 편리한 투약 일정(일일 투여량)을 제공합니다. Lynparza는 abiraterone acetate 와 병용해 BRCA유전자 변이 양성 전이성 거세 저항성 전립선암의 1차 치료라인으로 시장에 최초로 출시된 이점을 가지고 있습니다. Lynparza는 또한 후기 라인에서 단독요법 치료제로 보다 일찍 출시되었기 때문에 의사들의 친숙도가 높습니다. 또 다른 경쟁제품인 TALZENNA®(Pfizer Inc)는 XTANDI®(Pfizer Inc및Astellas Pharma Inc)와 병용하여 다른 HRR 돌연변이가 있는 환자에게도 확장되는 광범위한 용도를 가지고 있습니다. 또한, 일부 종양학자들은 고정형 조합보다 "개방형 조합"에 의해 제공되는 투여에 있어서의 유연성과 비용 절감을 선호할 수 있습니다.

MQ 시장 개요

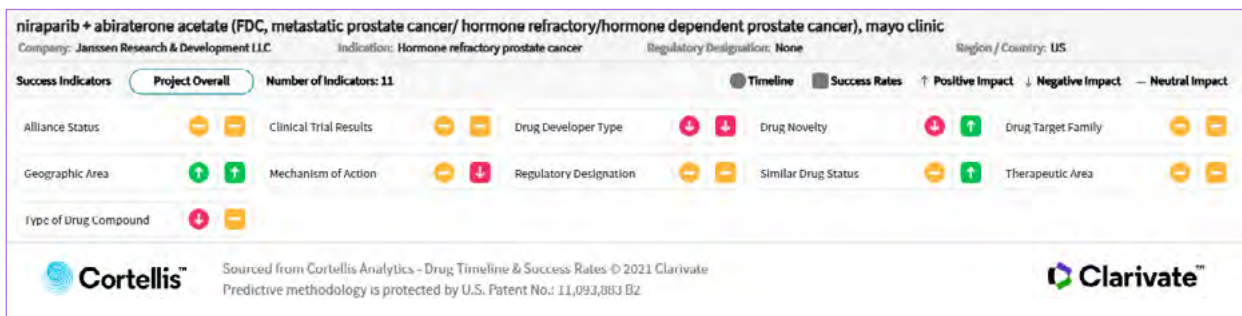
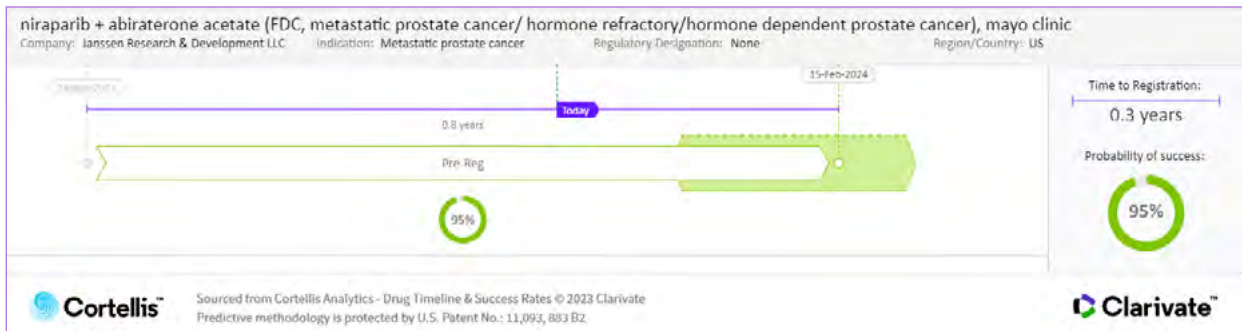
\$27억

2029년 예상매출액

"혁신적인 호르몬 치료제와 PARP억제제를 결합하는 것이 BRCA 유전자 변이를 가진 환자들을 치료하기 위한 치료제가 나아가야 할 올바른 방향입니다. 종종 다른 많은 약물을 복용하는 환자 군을 대상으로 하기에 정제들을 조합하는 것이 보다 편리합니다. 고정 용량 조합은 이 환자군의 약물 복용을 보다 간편하게 만들 것입니다."

종양학자, 영국

Cortellis 데이터에 따르면 미국에서 Niraparib + abiraterone 의 성공가능성은 95%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

10/11. RSVpreF 및 RSVpreF3

ABRYSVO™/ PF-06928316
및 AREXVY/ GSK-3844766A

호흡기세포융합바이러스(Respiratory syncytial virus, RSV) 감염은 특히 영유아와 고령자(65세 이상)을 위한 공중 보건문제로 계속 대두되고 있습니다. 중증인 경우 입원이 필요할 수 있는 흔한 상기도 감염인 RSV 감염은 계절에 따라 유행하는 경향이 있으며 인플루엔자 및 COVID-19와 유사한 증상을 나타냅니다.

이 세 가지 감염병이 한 해에 동시에 발생하면 공중보건 전문가들이 '삼중 유행병(triple-demic)'이라고 부르는 현상을 야기시켜 특히 가장 취약한 계층의 의료 부담이 증가하게 됩니다. 영유아 및 노인을 대상으로 하는 RSV 백신(RSVpreF 및 RSVpreF3)이 최초로 승인된 것은 공중 보건에 있어 중요한 이정표가 될 것입니다.

블록버스터 신약 선정 이유

두 백신의 제3상 임상시험 결과는 최근 RSV 백신 개발을 가속화한 획기적인 발견인 RSV F 단백질 기반 백신의 임상적 유효성을 입증했습니다. 또한 이 결과는 개발 후기 단계에 있는 다른 자산의 제3상 시험 결과에도 긍정적인 신호로 작용할 것으로 이는 RSV 관련 질병 부담을 줄이기 위한 공중 보건 계획을 지원하는 데 도움이 될 것입니다.

RSVPreF(ABRYSVO)

임산부 사용에 대한 규제 당국의 승인은 영아를 최대 2년간 추적 관찰한 중추적 제3상 임상시험인 MATISSE(MATernal Immunization Study for Safety and Efficacy)의 데이터를 기반으로 이루어졌습니다:

- 생후 90일 시점의 백신 유효성 81.8%
- 생후 180일 시점의 백신 유효성 69.4%

고령자 사용의 경우, 규제 당국의 승인은 해당 지역에 정의된 RSV 계절 동안 시험대상자를 추적 관찰한 제3상 RENOIR 임상시험의 데이터를 기반으로 이루어졌습니다:

- 두 가지 이상의 증상으로 RSV-LRTD를 정의했을 때 백신 유효성 66.7%
- 3가지 이상의 증상으로 RSV-LRTD를 정의했을 때 백신 유효성 85.7%

미국에서의 승인에 이어 미국 질병통제예방센터(Centers for Disease Control and Prevention, CDC)는 공식적으로 2023년 6월 60세 이상 성인에 대한 백신 사용과 2023년 9월 임신 32주에서 36주 사이의 임산부에 대한 백신 사용을 권고했습니다.

ABRYSVO 살펴보기

제조회사

Pfizer Inc

유형

재조합 2가 RSV 융합전 F (RSVpreF)

사용법

능동 면역을 위해 단회 접종, 0.5-mL 근육 주사:

- ≥60세에서 RSV로 유발되는 하기도질환(lower respiratory tract disease, LRTD) 예방
- 임신부(임신기간 32-36주)의 경우, 출생부터 생후 6개월까지의 영아에서 RSV로 유발되는 LRTD 및 중증 LRTD 예방

영향

1.2%

2025년 미국 백신접종 가능한 소아 인구

2.3%

2023년 미국 백신접종 가능 성인 인구

심사 및 승인 상태

2020년 7월
- 패스트트랙 지정: 미국 FDA

2022년 3월
- 혁신 신약 지정: 미국 FDA

2023년 4월
- 신청 승인: Health Canada

60세 이상에서 RSV로 유발되는 LRTD의 예방

2023년 5월
- 승인: 미국 FDA

2023년 8월
- 승인: EMA

임신부(임신기간 32-36주)의 경우, 출생부터 생후 6개월까지의 영아에서 RSV로 유발되는 LRTD 및 중증 LRTD 예방

2023년 8월
- 승인: 미국 FDA, EMA

실제 및 예상 출시
- 2023년: EU, 미국

AREXVY 살펴보기

제조회사

GSK plc

유형

GSK 고유 AS01E 면역증강제와 결합된 재조합 서브유닛 RSVpreF 당단백질 항원

사용법

≥60세 이상에서 RSV로 유발되는 LRTD 예방을 위한 능동 면역으로 단회 접종, 0.5mL 근육 주사

영향

12

1000명당 12명: 미국 임산부 및 소아 백신 접종 적격 인구

심사 및 승인 상태

2020년 2월

- 패스트트랙 지정:
미국 FDA

60세 이상에서 RSV로 유발되는 LRTD의 예방

2023년 5월

- 승인: 미국 FDA

2023년 6월

- 승인: EMA

2023년 7월

- 승인: 영국 MHRA

2023년 8월

- 승인: Health Canada

2023년 9월

- 승인: 일본 PMDA

실제 및 예상 출시

- 2023년: 캐나다, EU, 일본, 영국, 미국

RSVPreF3 (AREXVY)

고령자 사용에 대한 규제 당국의 승인은 중추적 제3상 AReSVi-006(성인 호흡기 세포융합 바이러스) 임상시험의 데이터를 기반으로 이루어졌습니다:

- RSV-LRTD에 대한 백신 유효성 82.6%
- 특정 심폐질환 및 내분비-대사 질환과 같은 기저질환이 한 가지 이상 있는 고령자에서 RSV-LRTD에 대한 백신 유효성 94.6%.
- 정상적인 일상 활동을 방해하는 RSV 관련 LRTD 에피소드로 정의되는 중증 RSV-LRTD에 대한 백신 유효성 94.1%

2023년 10월에 발표된 50~59세 성인을 대상으로 AREXVY를 평가한 제3상 임상시험의 예비 결과에 따르면, 해당 시험 모집단에서 백신으로 60세 이상 성인에서 관찰된 결과 대비 비열등한 면역 반응을 유도한 것으로 나타났습니다.

\$100억

향후 5년내 RSV백신 및 예방치료시장의 잠재적 가치

두 백신이 RSV 시장에 미칠 영향은?

- ABRYSVO와 AREXVY는 미충족된 요구가 많은 영역에 진입한 최초의 백신으로서 경쟁 우위를 점하고 있습니다. 그러나 이 시장은 점점 더 경쟁이 치열해질 것으로 보이며, 5년 이내에 RSV 백신 및 예방 시장은 100억 달러에 달할 것으로 예상됩니다.
- ABRYSVO는 노인과 임산부를 포함한 광범위한 인구가 접종 대상이라는 이점이 있습니다.
- AREXVY는 ABRYSVO보다 더 많은 주요 시장에서 승인을 획득했습니다.
- MAb인 Beyfortus™ (nirsevimab-alip; Sanofi, AstraZeneca)는 2세 이하의 소아(미국 및 EU)를 위한 유일한 RSV 백신으로 승인되었으며, 백신보다 더 유연하게 투약할 수 있습니다.
- 다른 임상 개발 후보로는 다음과 같은 것들이 포함됩니다:
 - ADV-110 (Beijing Advaccine Biotechnology Co Ltd): RSV에 대한 재조합 단백질 백신
 - BLB-201 (Blue Lake Biotechnology 및 CyanVac LLC): RSV에 대한 재조합 바이러스 벡터 백신
 - CodaVax-RSV (Codagenix Inc): RSV에 대한 약독화 바이러스 생백신
 - D46/NS2/N/deltaM2-2-Hindill (NIAID): RSV에 대한 재조합 바이러스 벡터 백신
 - DS-Cav1 (NIAID): RSV에 대한 단백질 서브유닛 백신
 - ITV-RSV-DeltaG (Intravacc): RSV에 대한 약독화 바이러스 생백신

- IVX-A12 (Icosavax): 인간 메타뉴모바이러스 및 RSV에 대한 바이러스 유사 입자 및 단백질 서브유닛 백신
- MV-012-968 (Meissa Vaccines): RSV에 대한 약독화 생백신
- MVA-BN RSV (Bavarian Nordic): RSV에 대한 재조합 바이러스 벡터 백신
- mRNA-1045 (Moderna Inc): 인플루엔자 및 RSV에 대한 mRNA 백신
- mRNA-1172 (Moderna Inc and Merck): RSV에 대한 변형 mRNA 기반 백신
- mRNA-1230 (Moderna Inc): SARS-CoV2, 인플루엔자 및 RSV에 대한 mRNA 백신
- mRNA-1345 (Moderna Inc): RSV에 대한 RNA 백신
- RSV 6120/deltaNS2/1030s (NIAID): RSV에 대한 약독화 바이러스 생백신
- RSV-276 (NIAID): RSV에 대한 약독화 바이러스 생백신
- RSV-F (Novavax): RSV에 대한 단백질 서브유닛 백신
- RSVdeltaNS2/delta1313/1314L (NIAID): RSV에 대한 약독화 바이러스 생백신
- V-306 (Virometix AG): RSV에 대한 합성 바이러스 유사 입자 백신
- VN-0200 (Daiichi Sankyo): RSV에 대한 VAGA-9001a 항원; MABH-9002b 면역증강제

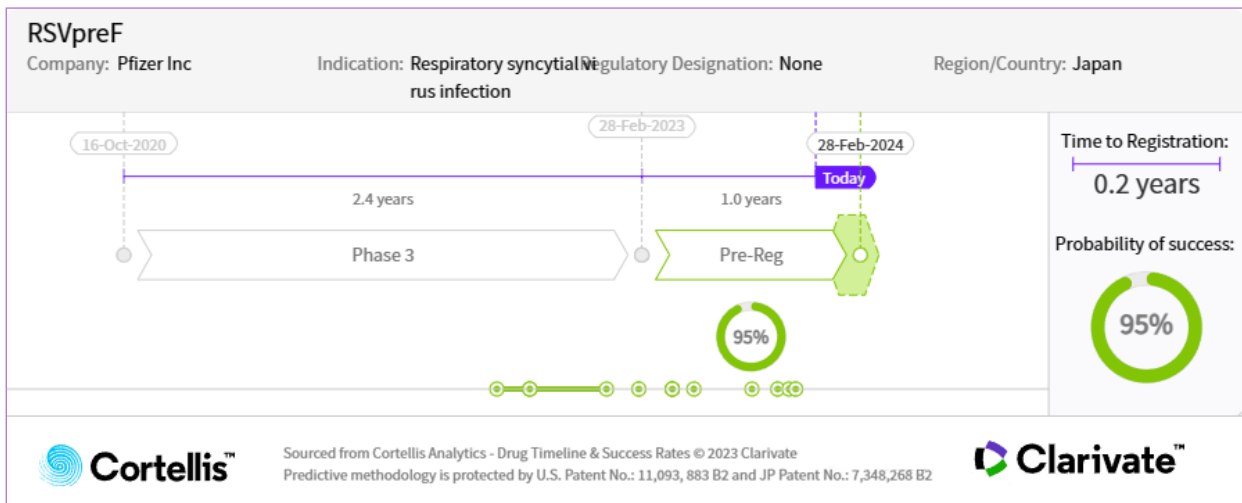
두 백신은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

전염성이 강한 흔한 바이러스인 RSV에 대한 효과적인 백신에 대한 연구는 1960년대 중반에 시작되었지만 2010년대 들어 RSV F 단백질로 그 초점이 변화할 때까지 성공하지 못했습니다. RSV로 인한 중대한 호흡기 질환으로 인한 계절성 입원은 특히 영유아, 소아, 노인, COPD 및 천식과 같은 기저질환이 있는 사람들에게 공중 보건 문제로 계속 대두되고 있습니다. RSV 백신의 승인은 다른 감염성 질환이 유행하는 시기에 감염성 질환 관리, 이환율 및 사망률 감소, 병원 부담 감소에 대한 중대한 필요성을 해결합니다.

두 백신이 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

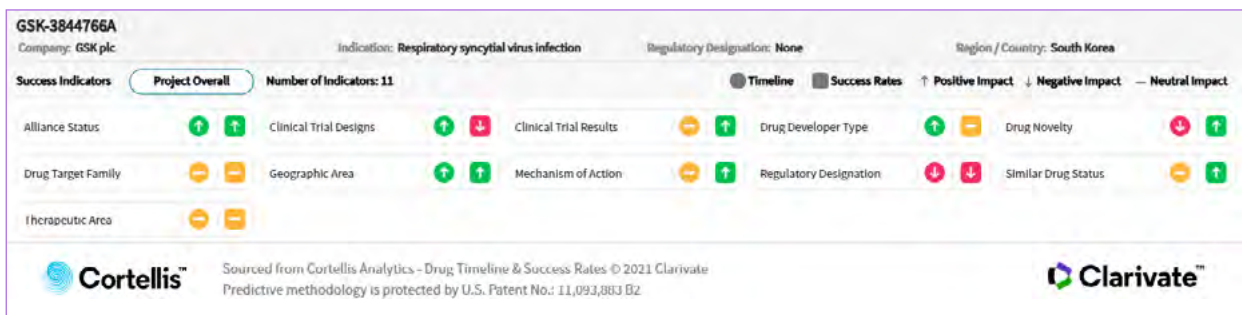
이 두 백신이 가장 먼저 승인되었지만, 다른 백신도 개발 후기 단계에 있으며, Beyfortus도 이러한 환경에서의 사용에 대해 승인되었습니다. 이러한 경쟁 외에도, 백신을 접종할 수 있는 첫 계절 동안 미국에서 보험 적용이 지연되고 COVID-19 팬데믹으로 인해 백신 접종을 주저하는 분위기가 지속되면 백신 접종률이 제한될 수 있습니다.

Cortellis 데이터에 따르면 일본에서 ABRYSVO의 성공가능성은 95% 입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

Cortellis 데이터에 따르면 대한민국에서 AREXVY의 성공가능성은 88%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

12. Talquetamab

TALVEY™

Talquetamab은 다발성 골수종 치료를 위한 계열 내 최초 CD3 및 GPRC5D 표적 이중 특이항체로, EC와 FDA로부터 각각 조건부 및 신속 승인을 받았습니다.

재발성 또는 불응성(relapsed or refractory, R/R) 다발성 골수종 환자를 대상으로 한 중추적인 제1/2상 MonumenTAL-1 시험을 기반으로 연구 및 승인이 이루어졌습니다. 현재 진행 중인 제3상 임상시험을 통해 Talquetamab의 승인된 환경에서 임상적 유의성을 확인하고 다른 다발성 골수종 환자 집단에서 승인된 다른 약제와의 병용(예: DARZALEX®, Johnson & Johnson Innovative Medicine)을 포함한 적응증 확대에 이어질 것으로 예상됩니다. Talquetamab은 자주 재발하는 난치성 질환인 다발성 골수종 치료제에 추가적으로 중요한 역할을 할 것으로 기대됩니다.

블록버스터 신약 선정 이유

Talquetamab의 승인으로 Johnson & Johnson Innovative Medicine은 다발성 골수종 환자의 미충족요구를 해결하기 위한 포트폴리오에 두 가지 이중 특이항체를 포함한 5개의 혁신 요법을 추가하게 되었습니다. Talquetamab은 다발성 골수종 치료를 위해 연구되고 있는 CD3 및 GPRC5D를 표적으로 하는 기성의 계열 내 최초, T세포 결합 이중 특이항체입니다.

프로테아좀 억제제, 면역조절제, 항-CD38 단일클론항체 등 이전에 4차 이상의 요법을 투여받은 적이 있는 환자를 대상으로 실시한 중추적 제1/2상 임상시험 MonumenTAL-1에서 긍정적인 결과가 보고되었습니다. 환자의 1/3도 임상시험 참가 이전에 BCMA표적 치료를 받았습니다. 시험결과는 다음과 같습니다:

- 격주투여-첫번째 반응으로부터 약 6개월의 추적관찰 후 중앙값:
 - 전체 생존율(overall response rate, ORR) 73.6%
 - 매우 우수한 부분 반응률(very good partial response, VGPR) 58% 및 완전반응률 (complete response, CR) 33%
 - 최소 9개월 시점에 반응이 유지된 반응자 ~85%
- 매주 투여-첫번째 반응으로부터 거의 14개월의 추적관찰 후 중앙값:
 - 전체 생존율(overall response rate, ORR) 73.0%
 - 매우 우수한 부분 반응률(very good partial response, VGPR) 57% 및 완전반응률 (complete response, CR) 35%
 - 반응 지속기간(duration of response, DOR) 중앙값 9.5개월

의학의 새로운 선구자들

다발성 골수종 치료를 위한 획기적인 이중 특이항체

Talquetamab 살펴보기

제조회사

Johnson & Johnson
Innovative Medicine

유형

CD3 및 GPRC5D를 표적으로 하는 이중 특이항체

사용법

R/R 다발성 골수종 치료를 위해 주1회 또는 격주 1회 피하 투여

영향

~10만 5천건

2023년 G7 시장에서 재발성 또는 불응성 다발성 골수종 진단 증례

심사 및 승인 상태

2021년 1월
- PRIME 지정: EMA

2021년 5월
- 희귀의약품 지정: 미국 FDA

2021년 8월
- 희귀의약품 지정:
EMA

2022년 6월
- 승인: 미국 FDA

2023년 8월
- 혁신 신약 지정: 미국 FDA

2023년 8월

프로테아좀 억제제, 면역조절제, 항-CD38 mAb를 포함하여 4차 이상의 이전 요법을 투여받았던 재발성 또는 불응성 다발성 골수종 환자 대상
- 가속 승인: 미국 FDA

이전에 면역조절제, 프로테아좀 억제제, 항-CD38 mAb를 포함한 3차 이상의 이전 요법을 투여받은 적이 있고 마지막 요법에서 질병 진행이 입증된 재발성 또는 불응성 다발성 골수종 환자 대상
- CMA: EMA

실제 및 예상 출시

- 2023년: EU, 미국
- 2025년: 일본

특허만료 예상시기:
2037년 이후

MonumenTAL-3의 임상 3상은 현재 진행중입니다. 본 임상은 적어도 하나의 이상의 이전 치료를 받은 R/R다발성 골수종 환자를 대상으로 하며 Talquetamab와 Daratumumab 병용 치료를 Daratumumab, Pomalidomide 및 Dexamethasone 병용치료와 비교하여 진행됩니다.

Talquetamab이 다발성 골수종 치료제 시장에 미칠 영향은?

다발성 골수종은 고가의 소분자 및 생물학적 제제로 구성된 병용 요법이 치료의 주류를 이루고 있기 때문에 종양학 분야에서 가장 큰 치료시장입니다. 높은 치료율, R/R 질환에 대한 많은 잠재적 치료법, 일부 요법의 긴 치료 기간이 이 시장의 규모를 견인하고 있습니다.

- 다발성 골수종 시장은 2022~2032년 동안 주요 시장에서 기존 표준 치료와 함께 현재 승인된 요법의 적응증 확대에 의해 연평균 5.9% 성장할 것으로 예상됩니다.
- 이중 특이항체는 2032년까지 주요 시장에서 69억 달러의 매출을 달성할 것으로 예상됩니다.
- BCMA-지향 이중 특이 T세포 관여 항체인 TECVAYLI™(Teclistamab; Johnson & Johnson Innovative Medicine) 및 ELREXFIO™ (Elranatamab; Pfizer)와 비교할 때 Talquetamab은 GPRC5D를 표적으로 하여 이전 BCMA기반 치료를 진행한 환자에게 효과적인 치료 옵션을 제공합니다. 또한, Talquetamab은 TECVAYLI™보다 유연한 용량으로 투여할 수 있는 이점을 가지고 있습니다.
- Talquetamab을 포함한(Lenalidomide와 dexamethasone 병용 또는 단독 DARZALEX® 사용) 이중 특이항체의 용도확장 매출액은 2032년까지 약 45억 달러를 이룰 것으로 예상됩니다.

- 피하 투여용 기성 Talquetamab은 R/R 환경에서 현재 사용 중인 요법 및 새롭게 부상하고 있는 다른 CAR-T요법보다 경쟁 우위에 있습니다.
- Talquetamab은 BCMA표적 치료법(예, CARVYKTI™ [Johnson & Johnson Innovative Medicine 및 Legend Biotech] 및 TECVALI)을 받은 것과 관계없이 모든 환자에게서 활성을 나타냈기 때문에 이전에 BCMA표적치료를 받은 환자도 Talquetamab치료대상에서 제외되지는 않았습니다.

Talquetamab은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

다발성 골수종 환자의 재발율이 높기 때문에 후속 요법이 필요합니다. 또한 새로운 차수의 요법을 사용하면 질병 진행에 따라 관해 기간이 짧아집니다. Talquetamab이 모든 치료 옵션은 아니더라도 대부분의 치료 옵션이 소진된 치료가 어려운 다발성 골수종 환자의 치료에 대해 승인되어 보다 효과적인 치료법에 대한 미충족된 요구를 해소하는데 도움이 될 것입니다. 또한 이는 기성품(off-the-shelf product)이기 때문에 환자 맞춤형 CAR-T세포 요법에 비해 이점이 있으며, 항BCMA 요법에서 질병이 진행된 환자에게도 치료 옵션을 제공합니다.

Talquetamab이 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

생명을 위협하거나 치명적인 사이토카인 방출 증후군(cytokine release syndrome, CRS) 및 면역 효과기 세포 관련 신경독성(immune effector cell-associated neurotoxicity, ICANS)을 포함한 신경독성에 대한 블랙박스 경고 라벨로 인해 투여가 저해될 수 있습니다. 따라서 Talquetamab은 처방의가 인증을 받아야 하는 TECVAYLI 및 TALVEY 위해성 평가 및 완화 전략(Risk Evaluation and Mitigation Strategy, REMS)을 통해서만 사용할 수 있습니다. 또한 다른 이중 특이요법과 치열한 경쟁에 직면할 수 있습니다.

MQ 시장 개요

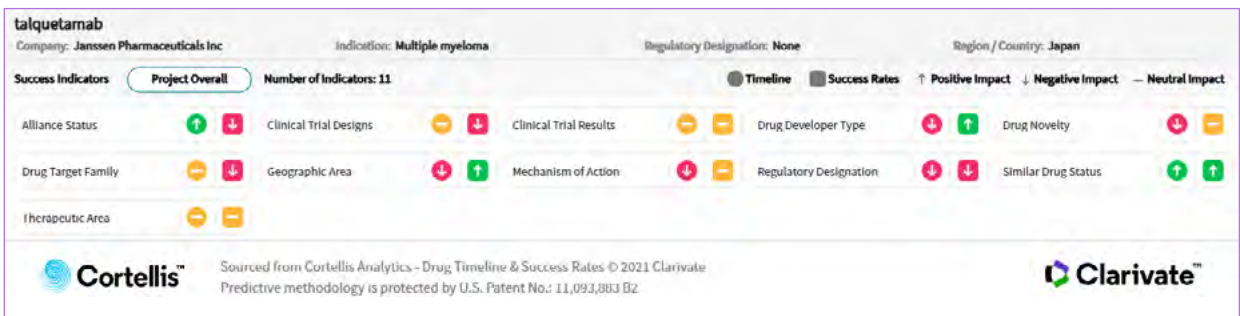
\$8억5천만

2029년 예상매출액

"저는 Talquetamab을 정말로 기대하고 있습니다. 기대의 핵심은 BCMA가 아닌 GPRC5D 표적입니다. Talquetamab 데이터는 매우 강력할 뿐 아니라 BCMA치료를 받은 경험이 있는 환자에게서도 그 효과가 확인되고 있습니다. 하지만, Talquetamab이 가진 독특한 독성과 특히 치료 후 미각이 변화하는 것들을 어떻게 다루어야 하는지를 배워야 할 것입니다. 이를 통해 매우 효과적인 이 치료법을 어떻게 부작용 없이 환자에게 제공하는 방법을 익혀야 합니다."

혈액 종양학 전문의, 미국

Cortellis 데이터에 따르면 일본에서 Talquetamab의 성공가능성은 80%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준

2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

13. Zolbetuximab

IMAB362



전이성 HER2 음성 위 및 위식도 접합부(gastroesophageal junction, GEJ) 선암종은 치료가 어렵기로 악명이 높으며, 새롭고 효과적인 치료법에 대한 미충족요구가 유의하게 높습니다.

HER2 양성 질환(trastuzumab[Genentech] 및 ENHERTU® [Daiich Sankyo]와 같은 HER2 표적 제제를 사용할 수 있는 경우)와 대조적으로, HER2 음성환자는 표적치료 옵션이 더 한정적입니다.

Zolbetuximab은 종양학 분야에서 계열 내 최초 claudin 18.2(CLDN18.2) 억제제로서 1차 전이성 HER2 음성 위암 또는 GEJ 선암종 치료제로서 이러한 요구를 해결할 수 있을 것으로 예상됩니다. CLDN18.2는 2개의 3상 시험(SPOTLIGHT 및 GLOW)에서 HER2 음성 위암환자의 ~38%에서 발현되었습니다. Zolbetuximab은 또한 췌장암환자의 50%가 CLDN18.2가 발현을 보여 이런 환자를 치료할 수 있는 잠재력을 가지고 있습니다.

블록버스터 신약 선정 이유

Claudin 18.2(CLDN18.2)는 Claudin 발현의 변화가 신호전달 경로에 영향을 미치고 증양을 촉진할 수 있기 때문에 위암 치료에 대한 유망한 표적으로 부상했습니다. Zolbetuximab은 1차 전이성 HER2 음성 위암 또는 위식도 접합부 선암 뿐만 아니라 종양학 분야에서 계열 내 최초 CLDN18.2 억제제가 될 가능성이 높으며 전이성 HER2음성 위 암 또는 CEJ선암종의 1차치료를 위한 바이오마커 기반 치료옵션을 제공할 것입니다. 규제 당국에 제출된 신청서는 CLDN18.2 양성, HER2 음성, 절제 불가능한 국소 진행성 또는 전이성 위암 또는 위식도 접합부 선암 환자를 대상으로 실시한 두 건의 제3상 임상시험에서 나타난 긍정적인 결과에 근거했습니다.

- SPOTLIGHT: 1차 zolbetuximab과 mFOLFOX6(oxaliplatin, leucovorin 및 fluorouracil과의 병용 화학요법) vs 위약 + mFOLFOX6

- 질병 진행 또는 사망 위험 24.9% 감소(대조군 대비)
- 무진행 생존기간(progression-free survival, PFS) 중앙값 10.6개월(vs 화학요법 8.7개월)
- 사망 위험 25.0% 감소(대조군 대비)
- 전체 생존(overall survival, OS) 중앙값 18.23개월(대조군 대비 위약 15.5개월)

- GLOW: 1차 zolbetuximab + CAPOX (capecitabine 및 oxaliplatin과의 병용 화학요법) vs 위약 + CAPOX

- 질병 진행 또는 사망 위험 31.3% 감소(대조군 대비)
- PFS 중앙값 8.2개월(대조군 대비 6.8개월)
- 사망 위험 22.9% 감소(대조군 대비)
- OS 중앙값 14.4개월(대조군 대비 12.2개월)

두 임상시험에서 중대한 투여 후 발생 이상사례 (treatment-emergent adverse event, TEAE)의 발생률은 두 군 간에 유사했으며 이전 시험들과 일치했습니다.

의학의 새로운 선구자들

난치성 암을 위한 약속

👁️ Zolbetuximab 살펴보기

제조회사

Astellas Pharma Inc

유형

CLDN18.2-표적 mAb

사용법

HER2-음성, CLDN18.2-양성판정을 받은 절제불가능한 국소 진행성 또는 전이성 위 또는 GEJ 선암종 치료를 위해 3주마다 정맥 주입.

궤장암 치료에 대해서도 연구 진행 중.

영향

~8만 8천

2023년 G7기장에서 이전에 치료받지 않은 전이성 HER2 음성 위 및 위식도 접합부 선암종 환자 신규 발생증례

심사 및 승인 상태

2010년 11월
- 희귀의약품 지정: EMA

2012년 11월
- 희귀의약품 지정: 미국 FDA

2022년 9월
- 패스트트랙 지정: 미국 FDA

2023년 6월
- MAA 승인: EMA
BLA 신청: 일본 PMDA

2023년 7월
- 우선 심사 승인: 미국 FDA
- BLA 승인: 중국 NMPA

2024년 1월 12일
- PDUFA 날짜

예상 출시
- 2024년: 미국

특허만료 예상시기:
2032년 이후

Zolbetuximab이 위 및 GEJ 선암종 치료제 시장에 미칠 영향은?

- 매년 전세계에서 약 100만 건의 위암 증례가 새로 진단되고 있으며, 이는 상당한 규모의 시장입니다.
- 전체 위암 진단의 약 75%가 아시아에서 발생하며, 일본은 이 분야에서 있어 중요한 시장입니다.
- 위암 치료는 여전히 비표적 요법이 상당한 부분을 이루고 있으며, 백금/fluoropyrimidine 기반 화학 요법이 여전히 표준 치료로 여겨집니다.
- 1차 전이성 HER2 음성 위암 및 GEJ 선암종 약물 치료 가능 환자 집단은 위식도암에서 가장 크지만, HER2 음성 환자는 치료 옵션이 적습니다. 따라서 이러한 환경에서는 새로운 약제에 대한 상업적 기회가 매우 큼니다.
- Zolbetuximab은 위암 및 GEJ 암에 이미 일반적으로 사용되는 화학요법(mFOLFOX6, CAPOX)과 병용하여 평가되고 있습니다. 이 2개의 제3상 시험에서 화학요법이 단독으로 쓰인 치료법에 비해 명확하고 분명한(숫자적으로는 작지만) 전체 생존기간(OS)가 입증된다면, 적절한 환자들에게 빠르게 보급될 수 있을 것입니다.
- Zolbetuximab으로 치료를 하려면 CLDN18.2에 대한 면역조직화학 검사가 필요하지만, 위암 환자의 ~38%가 해당될 수 있으므로 상당한 시장 기회로 전환될 수 있습니다.

Zolbetuximab은 어떤 치료 공백을 메울 수 있는가?

초기 위암 증상은 일반적인 위 관련 질환과 중복되는 경우가 많습니다. 따라서 위암은 종양의 발생지에서 다른 신체 조직이나 기관으로 전이된 진행성 또는 전이성 단계에서 진단되는 경우가 많습니다. 전이 단계 환자의 5년 상대 생존율은 6.6%입니다. 표적치료제와

면역 요법의 승인에도 불구하고 일차 요법 시작 후 2년 초과 생존 환자가 거의 없기 때문에 위암의 생존율 개선 필요성은 여전히 충족되지 못한 상태입니다. 또한 전이성 HER2 음성 위암 또는 GEJ 선암종은 치료가 어려운 것으로 악명이 높습니다. CLDN18.2는 위암 치료의 유망한 표적으로 떠오르고 있으며, Zolbetuximab같은 치료 옵션이 제한적인 HER2 음성 위암 및 GEJ선암종 환자에게 중요한 옵션이 될 수 있습니다.

Zolbetuximab이 블록버스터 신약이 되기 위해 극복해야 하는 문제는?

- Zolbetuximab의 사용은 일상적인 임상에서 진단 검사를 하는데 있어 아직은 필수적이지 않은 바이오마커인 CLDN18.2 테스트를 광범위하게 채택하는 지 여부에 달려있습니다. CLDN18.2테스트에 대한 인식과 교육을 증진하는 것은 Zolbetuximab의 제한적 사용완화 위험을 감소시킬 것입니다.
- CLDN18.2를 표적으로 하는 여러 다른 치료법들이 임상 개발 중에 있으며, 그 중 일부는 블록버스터급 거래를 통해 획득되었습니다. 이러한 후보들 중 일부는 Zolbetuximab과 같은 mAb과 다른 방식을 제공하는 데, 예를 들어 항체-약물접합체(ADC) 또는 이중 특이 제제입니다. 만일 승인이 된다면 이런 치료법들이 Zolbetuximab 와 경쟁하게 될 것입니다.
 - TST-001 (osemitamab; Transcenta Therapeutics Co Ltd)
 - ASKB-589 (AskGene Pharma Inc)
 - CMG901 (AstraZeneca)
 - SYSA-1801 (EO-3021; Elevation Oncology Inc)
 - TJ-CD4B (ABL111; I-Mab)
 - TPX-4589 (LM-302; Turning Point Therapeutics)

📈 시장 개요

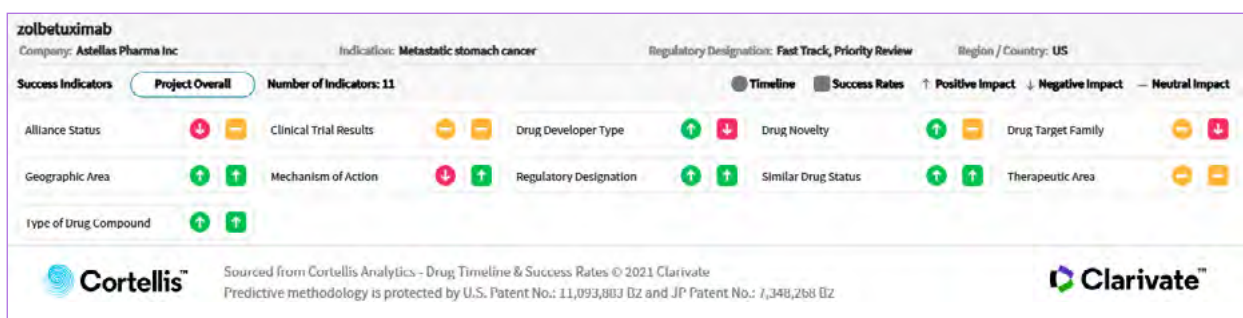
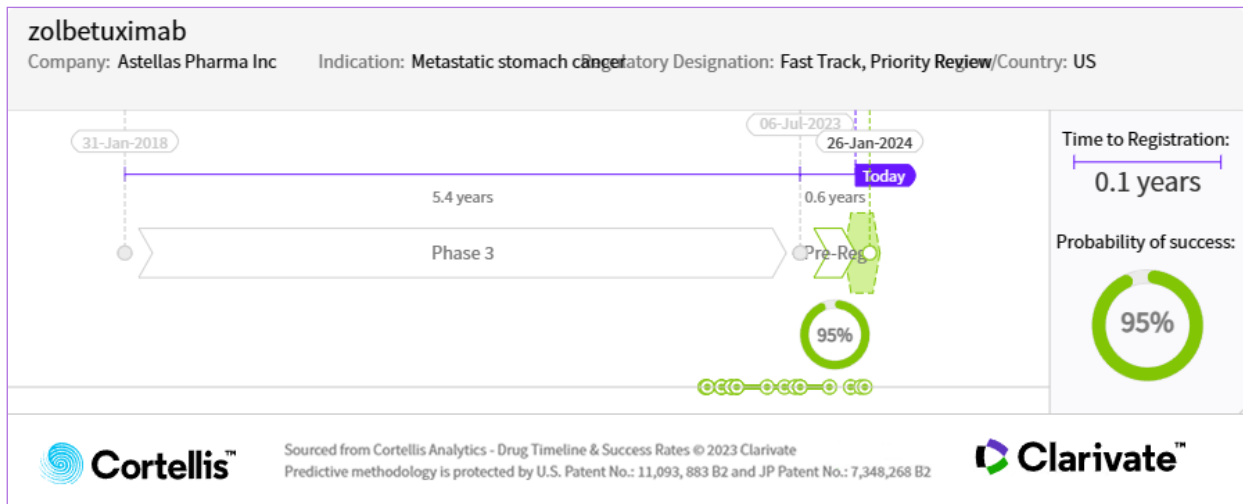
\$11.4억

2029년 G7시장에서 달성할 기대되는 예상매출액

"지난 몇년간 Zolbetuximab의 위암에 대한 데이터는 매우 훌륭한 것으로 보입니다. HER2-음성 환자들에게는 많은 미충족된 요구들이 있기 때문입니다. Claudin 18.2테스트가 표준이 되면 이런 환자군에서 반응률과 생존결과가 향상될 것으로 기대됩니다."

종양학 의사, 이탈리아

Cortellis 데이터에 따르면 미국 전이성 위암에서의 성공가능성은 95%입니다.



출처: Cortellis Competitive Intelligence, Drug Timeline & Success Rates Prediction, 2023년 11월 3일 기준



2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

중국에서 성장하고 있는 만성 질환 치료제 시장

2029년까지 10억 달러 규모의 블록버스터 의약품에 진입하거나 중국 의 환자들에게 큰 영향을 미칠 가능성이 있는 글로벌 및 국내 제조 자산을 포함한 7개의 의약품을 확인했습니다.


시장 계획에 중국의 접근법을 포함하면 환자 수가 많고 급성 및 만성 질환 모두에 대한 더 나은 치료 옵션에 대한 미충족된 요구들이 높기 때문에 수익 창출 기회를

확대할 수 있습니다. 올해 선정된 의약품의 대부분은 Healthy China 2030 이니셔티브의 초점인 비전염성 질환을 대상으로 합니다.

→ 중국에서 성장하고 있는 만성 질환 치료제 시장

약물	회사	적응증	최초 미국 승인	최초 유럽 승인	최초 중국 본토 승인	2022년 전 세계 매출액 (100만 달러)	중국 본토에서 2029년 예상 매출액 (100만 달러)	중국 본토에서 예상되는 특허 만료시기	블록버스터 신약 선정 이유
Cadonilimab (开坦尼®/ AK104)	Akeso Inc	자궁경부암	N/A	N/A	2022년	546	400-500		백금 기반 화학요법 중이거나 요법을 받은 이후에 질병이 진행된 재발성 또는 전이성 자궁경부암(relapsed or metastatic cervical cancer, R/M CC) 환자에 대한 계열 내 최초 PD-1/CTLA-4 이중 특이항체; 보다 안전한 면역관문억제제 (immune checkpoint inhibitor, ICI) 병용요법에 대한 미충족 요구 해결 가능성; 두 가지 표적을 차단하고 저용량으로 사용 가능; 간세포암종(hepatocellular carcinoma[HCC], 제3상) 및 위암 (제3상)에 대해 적극적인 적응증 확대 모색 중; NSCLC에 대해서도 제2상 개발 중
Dupilumab (DUPIXENT®)	Sanofi 및 Regeneron Pharma Inc	아토피 피부염 (Atopic dermatitis, AD)	2019	2017	2020	8900	1500	2029	IL-4/IL-13 수용체 작용제; 임상적인 임상 프로파일을 갖는 시장 최초 생물학적 제제; 중국 의 소위된 중등도-중증 AD 환자들에게 제공될 예정; 성인, 청소년 및 6세 이상 소아를 포함한 모든 연령군에 대해 승인; 천식, 비 용종증을 동반한 만성 비부비동염, 호산구성 식도염 및 결절성 양진에 대해서도 세계 1개 이상의 국가에서 규제 승인을 받음
Rimegepant (Nurtec® ODT /VYDURA®)	Pfizer Inc	편두통	2020	2022	2023	213	300-350		CGRP 수용체 길항제; 급성 및 예방 환경에서 이중 유효성을 보이는 최초이자 유일한 항편두통 요법; 중국의 편두통 환자들을 위한 보다 효과적인 치료 옵션에 대한 오랜 미충족 수요를 고려해 2023년 4월 Lecheng 시범 지역에서 출시; 2024년 정식 승인 예정.

약물	회사	적응증	최초 미국 승인	최초 유럽 승인	최초 중국 본토 승인	2022년 전 세계 매출액 (100만 달러)	중국 본토에서 2029년 예상 매출액 (100만 달러)	중국 본토에서 예상되는 특허 만료시기	블록버스터 신약 선정 이유
Semaglutide (Ozempic®/ Wegovy®)	Novo Nordisk	제2형 당뇨병 (Type 2 diabetes mellitus, T2DM)/ 비만	2017년/ 2021년	2018년/ 2022년	2021	9,500 (Ozempic 및 Wegovy 모두)	1,000 (Ozempic 및 Wegovy 모두)	2026	GLP-1 수용체 작용제; 투약 편의성 및 다른 GLP-1 대비 우수한 임상 프로파일 - semaglutide의 T2DM 성공에 주요 기여; 비만 및 NASH 분야에서의 적응증 확대로 중국에서의 가치 제안이 더욱 강화될 것으로 기대됨
Tenofovir amibufenamide (Hengmu®)	Hansoh Pharma	만성 B 형 간염 바이러스 (HBV) 감염	N/A	N/A	2021	?	500		뉴클레오타이드 역전사효소 억제제이자 중국에서 개발된 최초의 2세대 경구용 항바이러스제; 1세대 및 2세대 tenofovir 약물에 내성이 있는 HBV 환자에게 적합한 치료 옵션; 중국 본토에서 HBV의 큰 부담을 해결할 가능성; 이 분야의 후발주자임에도 불구하고 최근 NRD에 포함되고 기존 뉴클레오사이드 유사 요법에 비해 강력한 임상 프로파일로 인해 이 시장에서 완만한 성장세를 기록할 가능성이 있음
Tirzepatide (Mounjaro®)	Eli Lilly & Co	제2형 당뇨병 (T2DM) 및 비만	2022	2022	2024년 예상	483	700		동종 최초의 이중 GLP-1/GIP 수용체 작용제; 현재까지 이용 가능한 임상 데이터에 따르면 Semaglutide보다 Tirzepatide의 체중 감소 효과가 더 높음; 환자 인구의 규모와 비만 약물 치료율의 예상 증가를 고려할 때 향후 5년 내에 상당한 상업적 가치를 얻을 것으로 기대됨
Upadacitinib (RINVOQ®)	AbbVie	AD 및 류마티스 관절염 (rheumatoid arthritis, RA)	2019	2020	2022	2522	500-550		선택적 경구용 JAK1 억제제; 다른 경쟁 JAK 억제제 및 HUMIRA®(RA)와 DUPIXENT(AD) 등 환자 점유율을 향상하는 생물학적 제제 대비 우월한 유효성; 건선성 관절염, 강직성 척추염, 축성 척추관절증 및 궤양성 대장염에 대해 전 세계 1개 이상의 국가에서 규제 당국의 승인을 받음



2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

주목해야 할 트렌드

인공지능/유전자 편집

유전자 편집과 인공지능/머신러닝의 도래 유전자 편집과 인공지능/머신러닝이 2024년 제약바이오 산업의 혁신적인 의약품 개발 능력에 큰 영향을 미칠 것으로 보입니다.

CRISPR-Cas9 유전자 편집 플랫폼을 사용해 설계된 의약품의 첫번째 승인으로 세간의 모든 관심은 제약회사들이 다른 유전자 편집 접근법을 활용해 고도로 특이한 치료법을 개발하고, 약물 발견 프로세스를 개선하며, 이전에 치료할 수 없었던 질병에 대한 새로운 길을 여는 등... 이를 어떻게 활용하는 지에 대해 쏠리고 있습니다.

유전자 편집은 연구자들이 보다 정확한 질병모델을 만들 수 있도록 지원해 의약품 발견 프로세스를 간소화할 수 있는 잠재력을 가지고 있습니다. 제약회사들은 질병의 근본적인 유전적 원인에 직접 대응하는 약물을 설계할 수 있게 됨으로써 잠재적으로 보다 효과적이고 맞춤형 치료법을 개발할 수 있을 것입니다. 이는 약물 부작용을 최소화하고 안전 프로파일을 향상시킴으로써 보다 안전한 치료법 출시로 이어지게 됩니다.

유전자 편집을 활용하려는 제약회사들은 급변하는 환경에서 경쟁력을 유지하면서 자유롭게 운영할 수 있는 자유를 보장하기 위해 자사의 지식재산 포트폴리오를 전략적으로 관리해야 합니다. 뿐만 아니라 유전자 편집 기술을 활용하여 개발된 치료제에 대한 접근성과 가용성에 대한 우려사항도 세심하게 다루어야 합니다.

500+

2022년 인공지능/
머신러닝을 활용한 임상수

인공지능과 머신러닝도 이와 유사하게 다양한 방식으로 제약산업에 혁신적인 영향을 미칠 전망입니다. 인공지능과 머신러닝 알고리즘은 생물학적 및 유전자 데이터를 보다 효율적으로 식별하고 개인의 유전체에 기반한 맞춤형 치료옵션을 생성할 수 있습니다. 인공지능과 머신러닝은 또한, 기존 약물 용도변경을 통해 새로운 적응증을 치료할 수 있는 약물 리스트를 식별해 시간과 자원을 절약할 수 있으며, 복잡한 데이터 세트를 검토해 약물 후보 물질의 성패를 예측할 수 있습니다. 따라서 이를 활용하면 기존에 비해 보다 많은 정보에 입각한 의사결정을 이끌어 낼 수 있도록 지원합니다. 인공지능 및 머신러닝을 활용해 설계된 첫번째 약물 후보물질들이 이미 2상시험 중에 있습니다.

의료전문가들이 보다 정확하고 시의적절한 결정을 내릴 수 있도록 돕는 인공지능 및 머신러닝의 힘을 보여주는 강력한 증거가 이미 존재합니다. 특히 의료 영상 해석에 있어 인공지능과 머신러닝은 질병을 보다 정확하게 식별하고 진단할 수 있도록 지원합니다. 더욱이 인공지능은 약물과 관련된 부작용을 감지하고 예측하기 위해 대량의 데이터를 분석하고 환자의 안전을 개선할 뿐만 아니라 다양한 데이터 소스를 기반으로 잠재적인 안전 신호를 식별해 조기 개입 및 위험완화를 촉진하는 역할을 점점 더 많이 수행하게 될 것입니다.

약물 발견 및 개발을 넘어 인공지능과 머신러닝은 임상시험 최적화 및 공급망 관리 향상에도 도움을 줍니다. 인공지능과 머신러닝은 특정 기준에 따라 적합한 후보군을 식별함으로써 임상시험 참가자를 모집하는 데 사용될 수 있으며, 머신러닝 알고리즘은 임상 데이터를 실시간으로 검토해 기존 방법을 통해 명확하지 않았던 패턴이나 잠재적 문제를 감지할 수 있습니다. 인공지능을 사용해 제조프로세스를 최적화하고 효율성을 향상하고 비용을 절감하고 품질관리를 개선할 수 있으며, 머신러닝을 알고리즘은 수요를 예측하고 재고를 최적화하면서도 중단을 최소화해 공급망 효율성을 향상시킬 수 있습니다.

2024

**유전자 편집 및 인공지능/
머신러닝이 제약바이오 산업이
혁신적인 의약품을 창출하는
능력에 상당한 영향을 미칠
것으로 예상됩니다.**

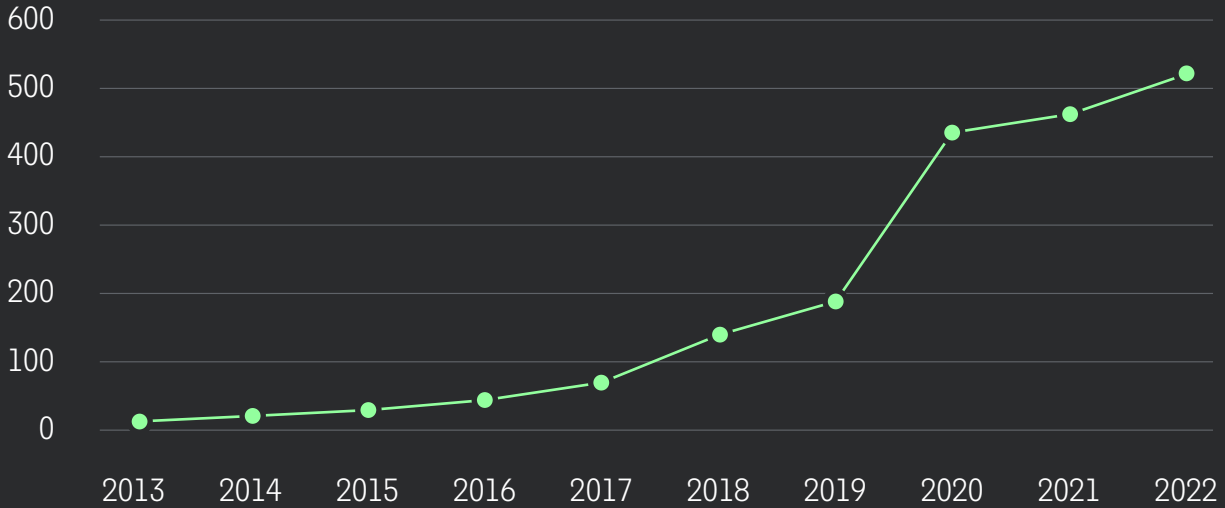
이런 대대적인 규제 변화는 다가올 몇 년 동안 상당한 특허 만료에 직면한 제약회사들의 고비의 순간 그리고 전세계 경제가 불확실한 시기에 이루어지고 있습니다. 혁신 주기의 침체를 보완하기 위해 미국에서 연간 가격 인상을 대대적으로 단행했던 예전의 방식은 이제는 더 이상 가능한 일이 아닙니다.

제약회사들은 사내 역량을 개발하거나 외부 파트너를 통해 필요한 기술에 액세스 하기 위해 많은 투자를 하고 있습니다. 인공지능 및 머신러닝의 잠재력을 최대한 활용하기 위해 제약회사들은 이런 기술 사용을 둘러싼 빠르게 진화하는 규제 환경에 발맞추면서도 교육에 사용되는 데이터 세트가 다양하고 대표적이며 고품질인지를 확인하게 위해 데이터 수집, 전처리 및 선별하는데 필수적으로 세심한 주의를 기울여야 합니다.

1번째

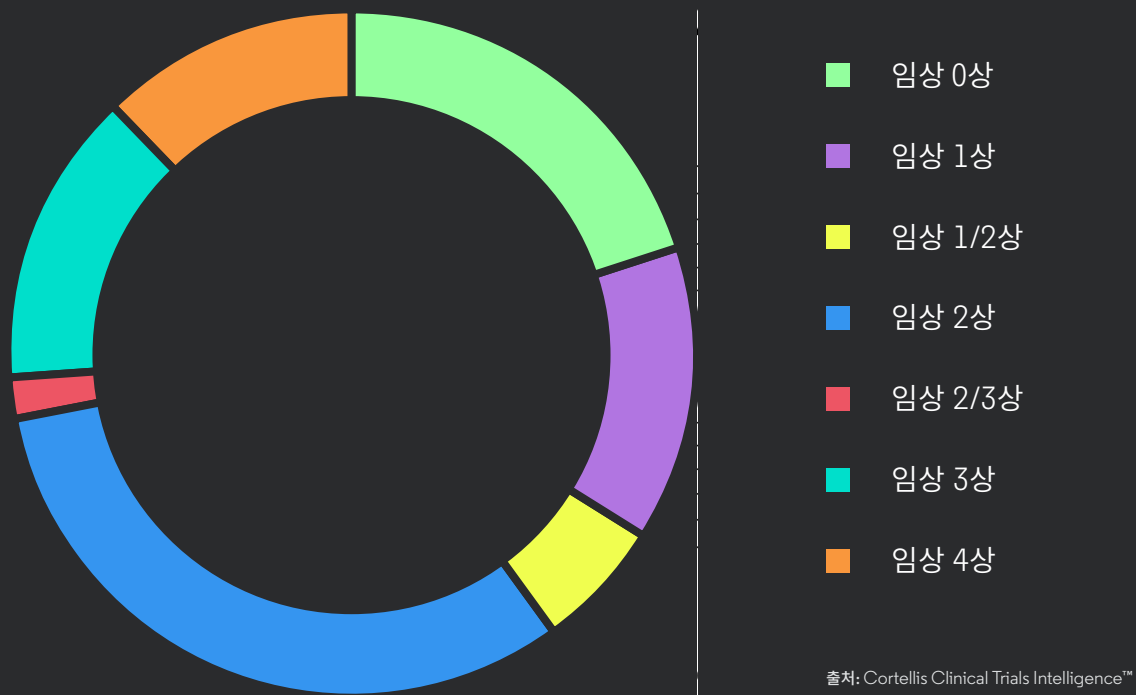
**CRISPR-Cas9 유전자 편집
플랫폼을 사용하여 개발된
의약품이 최초로 승인되면,
약물 발굴과 특이적 치료 전반을
개선하기 위해 제약회사들이 이
프로세스를 어떻게 활용할 수
있을지에 관심이 집중될 것입니다.**

→ 전 세계적으로 매년 증가하고 있는 인공지능/머신러닝 관련 임상시험 추이



출처: Cortellis Clinical Trials Intelligence™

→ 2013년부터 2022년까지 인공지능/머신러닝 관련 임상개발의 대다수를 차지하는 초기 단계 시험(임상 0상에서 2상까지)



출처: Cortellis Clinical Trials Intelligence™

인플레이션 감축법

인플레이션 감축법이 시장진입과 포트폴리오 전략에 혼란을 야기하고 있습니다.

일부 산업 관계자들이 "혁신 감소법"이라 비판하는 인플레이션 감축법은 작년 봄 이후 시행 중입니다. 이 법이 제약바이오 산업의 의약품 연구 및 개발에 미치는 실제 영향을 완전히 이해하는 데는 수년 심지어는 수십년이 걸릴 수도 있습니다. 그러나, 우리는 이미 Lilly와 Alnylam Pharmaceuticals를 포함한 기업들이 법에 따른 연구개발 프로그램 취소의 책임을 법의 책임으로 돌리고 있는 등 의도하지 않은 결과를 목격하고 있습니다.

Alnylam Pharmaceuticals의 경우 주요 성숙시장 전체에서 10만명당 7명의 사람들에게 영향을 미치는 안과질환인 스타가르트 병에 대한 치료 개발이 법의 규정에 따라 중단되었습니다. 해당 법은 특정 희귀병에 대한 치료를 정부 가격 협상의 대상에서 제외하는 내용을 포함하고 있습니다. Alnylam Pharmaceuticals의 AMVUTTRA®는 이미 미국에서 트랜스티레틴 매개 아밀로이드증(ATTR) 치료제로 지정되어 있습니다.

이 법안은 시장진입과 포트폴리오 전략에 대한 광범위한 재고를 촉발했으며 초기 시장 진입을 고속으로 추진하는 희귀병에 대한 일반적인 전략의 가치를 절하시키고 협상 없는 판매를 위한 좁은 창구로 인해 잠재적으로 소분자 약물 개발을 억제했습니다.

이런 대대적인 규제 변화는 다가올 몇 년 동안 상당한 특허 만료에 직면한 제약회사들의 고비의 순간 그리고 전세계 경제가 불확실한 시기에 이루어지고 있습니다. 혁신 주기의 침체를 보완하기 위해 미국에서 연간 가격 인상을 대대적으로 단행했던 예전의 방식은 이제는 더 이상 가능한 일이 아닙니다. 이를 보완하기 위해 제약회사들은 보다 효율적으로 운영해야 할 뿐 아니라, 기술 산업의 “빨리 실패하라(Fail Fast)”는 접근법을 따라 혁신주기의 초반에 진행할지/진행 안할지(go/no go)를 결정해야 합니다.

→ 메디케어 가격 협상을 위해 선택된 초기 의약품

의약품 명	일반적인 치료조건	2022년 6월부터 2023년 5월까지 메디케어 파트 D 프로그램에 부담한 총 처방약 비용	2022년 6월부터 2023년 5월까지 특정 약물을 사용한 메디케어 파트 D 가입자 수
Eliquis	혈전 예방 및 치료	\$16,482,621,000	3,706,000
Jardiance	당뇨병; 심부전	\$7,057,707,000	1,573,000
Xarelto	혈전 예방 및 치료 ; 관상동맥 또는 말초 동맥 질환 환자의 위험 감소	\$6,031,393,000	1,337,000
Januvia	당뇨	\$4,087,081,000	869,000
Farxiga	당뇨; 심부전; 만성 신부전	\$3,268,329,000	799,000
Entresto	심부전	\$2,884,877,000	587,000
Enbrel	류마티스 관절염; 건선; 건선성 관절염	\$2,791,105,000	48,000
Imbruvica	혈액암	\$2,663,560,000	20,000
Stelara	건선; 건선성 관절염; 크론병; 궤양성 대장염	\$2,638,929,000	22,000
Fiasp; Fiasp FlexTouch; Fiasp Penfill; NovoLog; NovoLog FlexPen; Novolog PenFill	당뇨	\$2,576,586,000	777,000

참고:

숫자는 천단위에서 반올림됨

2022년 6월 1일부터 2023년 5월 31일까지 협상 대상 약물을 결정했으며, 이 기간 동안 약 8백2십4만7천명의 메디케어 파트 D보험가입자가 위와 같은 약물을 사용하여 심혈관 질환, 당뇨병, 자가면역 질환 및 암과 같은 다양한 질병을 치료했습니다. 위에 기록된 약물들은 해당기간 동안 파트 D총 보장 처방약 비용의 20%에 해당하는 505억달러를 차지했습니다.

출처: 메디케어 및 메디케이드 서비스 센터

Humira/바이오시밀러

바이오시밀러 시장은 성장통을 겪고 있습니다.
HUMIRA매출은 감소하고 시장 점유율은 정체 중입니다.

미국 AbbVie's Humira (adalimumab)에 대한 미국 내 독점권 상실은 2023년 블록버스터 신약(Drugs to Watch)에서 확인된 바 있습니다. 2023년 1월말 미국 특허 만료이후9종의 Adalimumab 바이오시밀러가 시장에 출시되었으며(표 참조) 이 중 Boehringer Ingelheim의 CYLTEZO® (Adalimumab-adbm)와 Pfizer의 ABRILADA™ (Adalimumab-afzb)는 상호교환이 가능한 지위를 가지고 있으며 다른 일부 제품들은 검토 중일 수 있습니다.

HUMIRA의 미국 특허가 만료된 후 이것이 매출에 미친 영향은 뚜렷합니다. AbbVie는 2023년 첫 9개월 동안 미국에서 HUMIRA매출이 이전에 비해 31% 감소한 94억 2천1백만달러를 기록했다고 보고했습니다. 글로벌 매출 또한, 18% 감소한 16억 8천만달러(국제 특허는 이전에 만료됨)로, 회사는 첫 9개월동안 총매출이 전년 동기 대비 29%가 감소한 111억달러라 보고했습니다. 미국시장에서 Adalimumab 바이오시밀러를 출시한 첫 회사인 Amgen은 같은 기간동안 미국 매출이 9천3백만달러, 같은 기간 동안 글로벌 매출이 3억 7천3백만달러를 기록했다고 보고했습니다.

그럼에도 불구하고 AbbVie는 HUMIRA에서의 수익은 감소했지만, 전체 미국 시장에서의 시장점유율에는 거의 영향을 미치지 않았다고 발표했습니다. HUMIRA의 시장 점유율은 HUMIRA 바이오시밀러에 대해 의사와 환자들의 불안감이 일부 강력한 방어요인으로 작용하고 있는 것입니다. 하지만, 바이오시밀러 제조업체들과 연관 무역조직들 그리고 미국 정치인들은 미국 의료시스템 내의 구조적 문제, 시장 내에서 일치하지 않는 인센티브를 비롯한 문제로 인해 바이오시밀러 도입이 기대에 미치지 못하고 있다고 주장합니다.

Accessible Medicines 협회는 PBM(pharmacy benefits manager) 및 건강 플랜이 저렴한 바이오시밀러를 선호하는 대신 높은 리베이트를 활용하기 때문에 환자들이 아직 이런 제품의 혜택을 받지 못하고 있다고 밝혔습니다. 향후, 바이오시밀러 옹호자들이 PBM을 설득해 비용지출을 줄이고, FDA의 승인을 받은 바이오시밀러에 대한 접근성을 높이기 위한 노력을 강화할 것으로 예상됩니다.

클래리베이트 분석가들은 Adalimumab 바이오시밀러가 가까운 시일 내에 HUMIRA의 시장 우위를 무너뜨릴 수는 없을 것이라 판단하고 있습니다. 실제로 미국에서 조사한 지불자(보험사 등)의 62%는 HUMIRA를 우선 브랜드로 포뮬러리에 포함할 것으로 예상했습니다. 분석가들은 AbbVie가 높은 리베이트 및 지불자와의 독점 계약 제공을 통해 HUMIRA의 우선 브랜드 지위를 유지하려고 노력하고 있다고 말했습니다. 그러나 많은 Adalimumab 바이오시밀러가 구연산 완충액이 없는 CF(Citrate-free)제형으로 개발되었기 때문에 분석가들은 Adalimumab 바이오시밀러가 2031년까지 64%의 시장점유율을 차지할 것으로 예측하고 있습니다.

→ FDA 가 승인한 Adalimumab 바이오시밀러

바이오시밀러 명	제조사	aBLA 승인	미국 출시일
AMJEVITA™ (adalimumab-atto)	Amgen	2016년 9월 23일	2023년 1월 31일
CYLTEZO® (adalimumab-adbm)	Boehringer Ingelheim	2017년 8월 25일	2023년 1월 31일
HYRIMOZ® (adalimumab-adaz)	Sandoz	2018년 10월 30일	2023년 7월 1일
HADLIMA™ (adalimumab-bwwd)	Samsung Bioepis	2019년 7월 23일	2023년 7월 1일
YUSIMRY™ (adalimumab-aqvh)	Coherus BioSciences	2021년 12월 20일	2023년 7월 1일
YUFLYMA® (adalimumab-aaty)	Celltrion	2023년 5월 24일	2023년 7월 2일
HULIO® (adalimumab-fkjp)	Mylan	2020년 7월 6일	2023년 7월 3일
IDACIO® (adalimumab-aacf)	Fresenius Kabi	2022년 12월 14일	2023년 7월 3일
ABRILADA™ (adalimumab-afzb)	Pfizer Inc	2019년 11월 15일	결정예정

출처: FDA, 기업 데이터

Real world data

RWD는 혁신주기를 가속화하고 안전성 문제를 해결할 수 있는 가능성을 제시합니다.

Real World Data (RWD)는 잘 운영되는 무작위 임상시험을 대체할 수는 없지만, 개발자들과 규제 당국 및 임상 의들이 환자를 보다 잘 이해하고, 약물 후보물질이 환자 진료에 어떤 영향을 미칠지를 파악하는데 도움을 줄 수 있습니다.

청구데이터, EHR/EMR 및 레지스트리 데이터와 같은 RWD소스는 기업들이 다음과 같이 임상시험을 구체화, 보완, 개선 및 가속화하는 데 도움을 주고 있습니다.

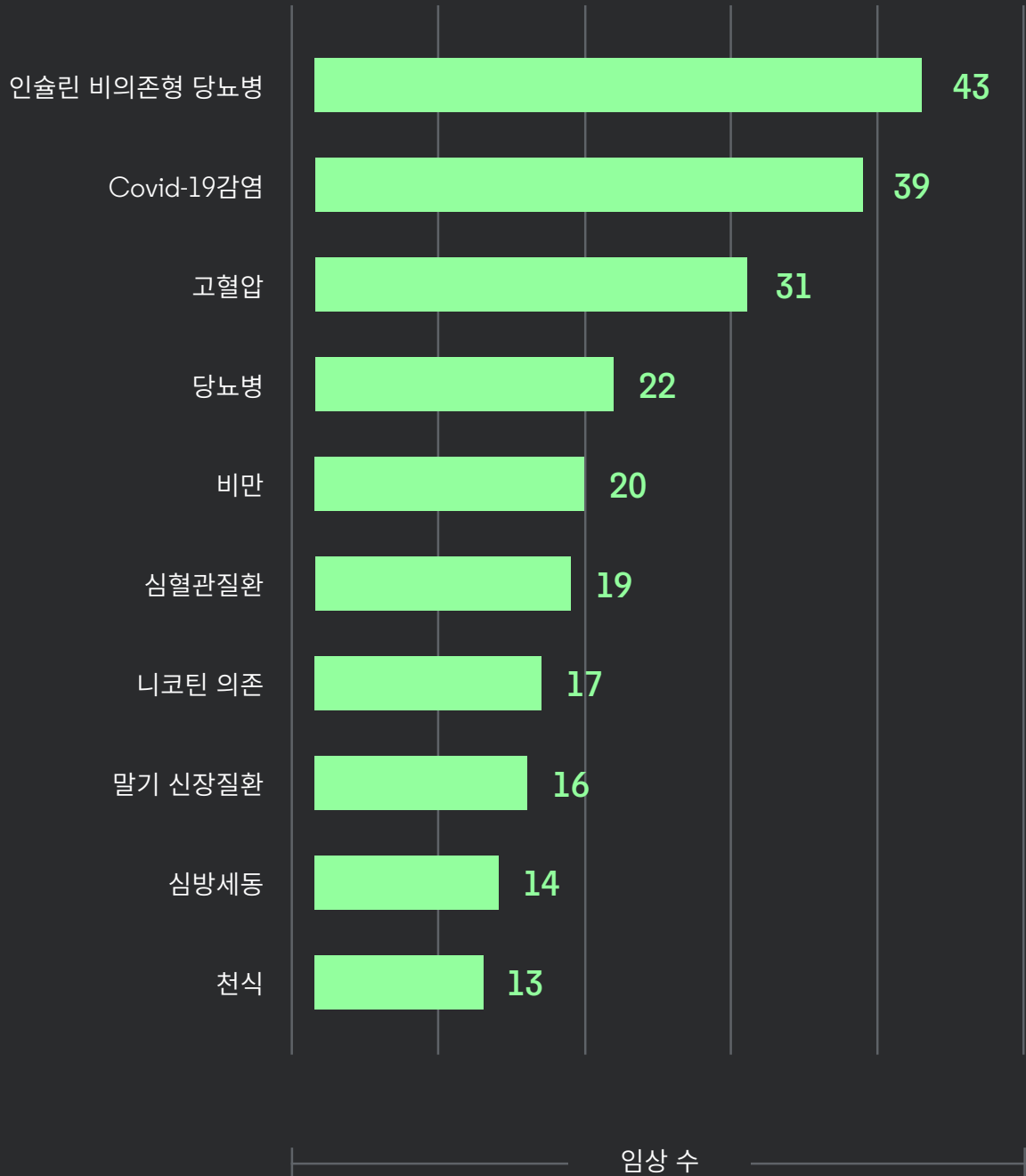
- 의료서비스가 부족한 모집단을 식별하고 어떤 환자군이 새로운 치료법으로부터 가장 큰 이익을 얻는지를 이해
- 성공적이고 신속한 임상시험 완료를 보장하기 위해 대상사이트 및 조사자 선택
- 실제 환자군을 대표하는 임상시험을 보다 많이 설계
- 환자의 미충족 요구와 치료에 대한 장애물을 예상

클래리베이트 Sam Chesney 수석 컨설턴트는 "연구에서 RWD를 사용할 수 있는 방법은 매우 다양합니다."


라면서 "이는 초기 단계에서 약물이 어떤 환자에게 가장 큰 혜택을 줄 것인지를 이해하는 것부터 임상 후기 단계에서 사이트와 조사자를 선택하는 것까지 매우 다양합니다. RWD는 자산을 진전시키기 전에 시장규모가 얼마정도 될지를 예측하는 데 좋은 아이디어를 제공합니다. RWD를 활용하면, 얼마나 많은 환자가 이 질병을 앓고 있는지를 이해할 수 있기 때문에 향후 어떤 어려움을 마주하게 될지에 대한 아이디어도 얻을 수 있게 됩니다. 역학 데이터는 유용하지만 Real World Data는 그보다 더 세분화된 수준의 정보를 제공합니다." 라 말했습니다.

RWD만을 기반으로 승인된 신약은 아직 없지만 클래리베이트의 분석에 따르면 1998년부터 2019년 사이 NDA(new drug application)에 제출에 있어 RWD데이터를 보조자료로 활용해 제출한 사례는 18건, 라인 확장에 사용된 사례는 10건이 있었습니다. 이 17개 제품의 NDA는 모두 승인되었습니다. RWD는 시판 후 시장 안정성에 있어 중요한 활용사례를 제공합니다. 클래리베이트의 Cortellis Competitive Intelligence 데이터에 따르면 지난 10년 동안 후속연구 및/또는 RWD를 기반으로 시장에서 시판 후 승인이 철수된 약물은 42 개였습니다.

→ EHR/EMR 데이터가 임상시험에 포함된 상위 10개 질환



출처: Cortellis Clinical Trials Intelligence™



2024년 블록버스터 신약(Drugs to Watch 2024)

산업계 리더를 위한 주요 시사점

01. 제약회사들은 잠재적인 파트너들이 과제를 해결하도록 요구합니다.

Covid-19 팬데믹이 정점에서 화려한 자금 조달 상황을 몇년간 보낸 후, 파티는 종료되었고, 생명과학 산업의 거래들은 엄숙한 단계에 접어들었습니다. 사실 클래리베이트가 “미래의학을 위한 제약회사들의 투자처” 보고서에서 밝힌 것과 같이 제약회사들이 파트너십을 하지 않는다는 것, 인수합병을 하지 않는 것은 아닙니다. 보고서에 밝힌 것처럼 2022년 제약바이오 파트너링 거래는 2018년 이후 그 건수가 가장 작았음에도 불구하고 가치는 사상 2번째로 높았습니다. 오히려 제약회사는 어떤 베팅을 할지에 보다 신중해졌고, 그 결과 자산을 판매하거나 라이선스를 부여하려는 바이오테크 기업들은 잠재적인 파트너에게 자신들의 약물들이 시장에서 어떻게 성과를 내는지 보여줄 것을 요청받고 있습니다. 이는 어떤 시장에 접근할 수 있는지, 역학 상황, 규제 환경이 어떻게 진화할지, 가격 및 환급에 참여하는 이해관계자들의 주요 우선사항 등이 무엇인지에 대해 이해해야 함을 의미합니다.

02. 인플레이션 감축법은 보다 효율적일 것을 강요합니다.

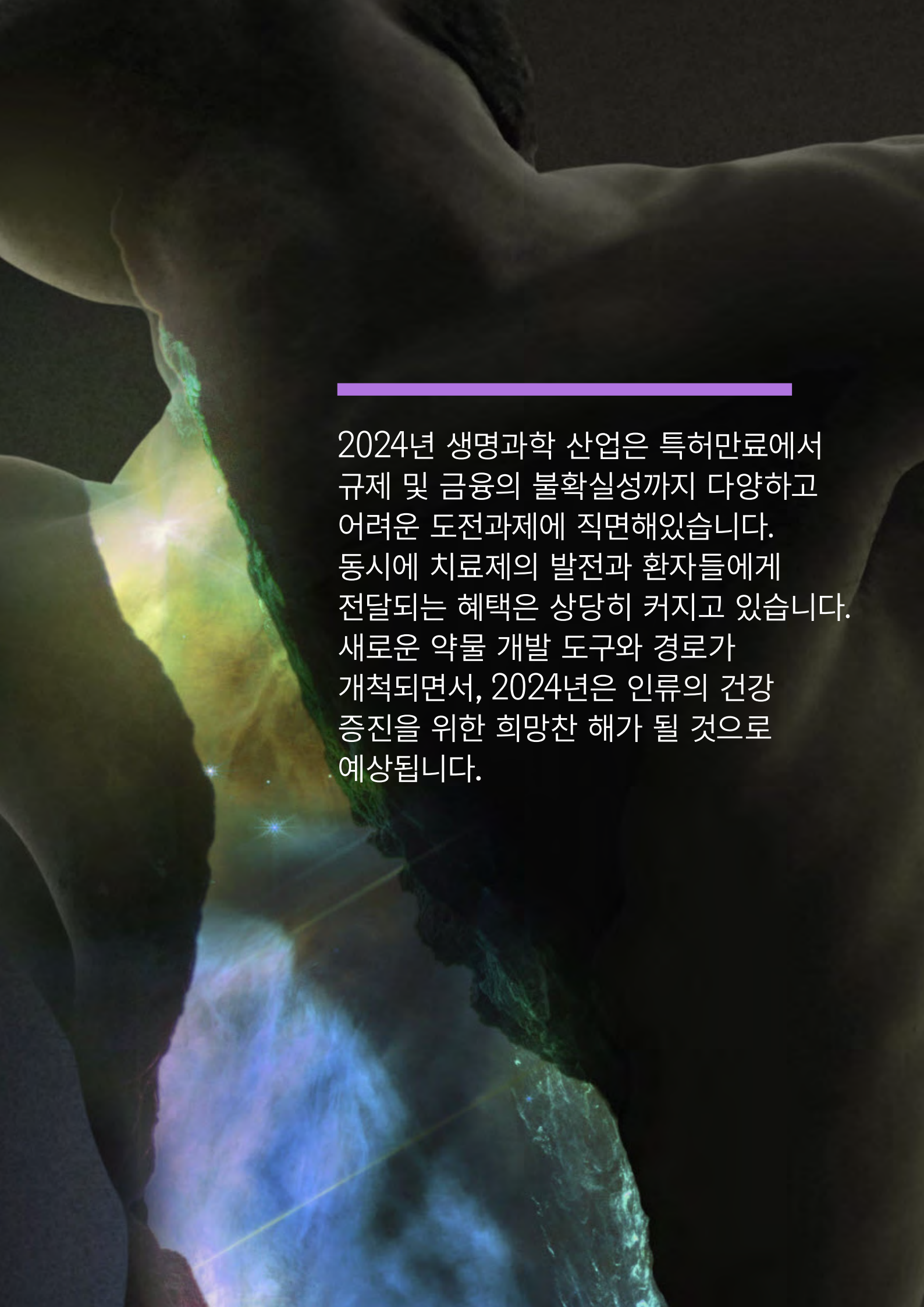
기업들의 매출에 영향을 주는 특허만료를 탐색하는 것과 마찬가지로, 인플레이션 감축법은 향후 몇 년 동안 많은 제약사들의 수익을 상당히 잠식할 것입니다. 타격을 완화하기 위해 제약사들은 연구개발 경제성을 개선하고, 실행가능한 의약품보다 빠르고 저렴하게 시장에 출시하며, 혁신 주기 초기에 불확실한 약물에 대한 개발을 포기하는 노력을 배가해야 할 것입니다. 인공지능과 머신러닝은 이 부분에서 의약품 설계를 돕고, 임상시험을 최적화하며, 약물의 용도 변경 기회를 식별하는 역할을 수행할 것입니다.

03. 인공지능 및 머신러닝이 현실로 나타납니다.

올해에는 인공지능 및 머신러닝이 혁신적인 의약품의 발견, 개발, 제공을 어떻게 변화시키게 될지에 대한 보다 많은 구체적인 사례를 볼 수 있을 것입니다. 이런 기술의 잠재력을 실현하기 위해서는 기업이 가장 강력하고 고품질의 데이터로 이런 도구를 훈련시키고 이를 관리할 전문지식을 습득해야 할 것입니다.

04. 제약사들이 RWD의 가치를 깨닫게 됩니다.

기업들은 이제 판매가능한 시장을 식별하고 임상시험 최적화를 이해하는 것부터 의사들과 커뮤니케이션 하는 전략을 미세조정하는 것까지 혁신 라이프사이클 전반에 걸쳐 RWD를 활용하고 있습니다. 올해는 임상 평가변수를 결정하고, 가격 및 환급을 위한 가치기반 제안을 지원하는데 RWD를 활용하는 사례가 증가하는 것을 보게 될 것입니다. 인공지능 및 머신러닝과 마찬가지로 기업들은 이런 데이터 세트의 수집, 큐레이션 및 관리를 위한 전략을 개발해야 합니다.



2024년 생명과학 산업은 특허만료에서
규제 및 금융의 불확실성까지 다양하고
어려운 도전과제에 직면해있습니다.
동시에 치료제의 발전과 환자들에게
전달되는 혜택은 상당히 커지고 있습니다.
새로운 약물 개발 도구와 경로가
개척되면서, 2024년은 인류의 건강
증진을 위한 희망찬 해가 될 것으로
예상됩니다.

클래리베이트 소개

클래리베이트는 선도적인 글로벌 서비스 제공업체입니다. 클래리베이트는 사람과 조직을 신뢰할 수 있는 정보에 연결해 그들의 시각, 업무 및 세계를 변화시키는 역할을 합니다. 구독 및 기술 기반 솔루션은 깊은 도메인 전문지식과 결합되어 학계 및 정부, 생명과학 및 헬스케어, 지식 재산 분야의 고객들을 지원합니다. 자세한 정보는 clarivate.com/ko 를 방문해주세요.

연중 Drugs to Watch의 업데이트 및 분석에 대해 보시고 싶으시면 [Drugs to Watch](#) 웹사이트를 방문하신 후, 클래리베이트 생명과학 및 헬스케어 [트위터](#) 및 [LinkedIn](#)을 팔로우 해주세요. #DrugstoWatch2024

글로벌 헬스케어 환경을 탐색하는 일이 점점 더 복잡해지고 있습니다. 환자의 삶을 긍정적으로 변화시킬 성공적인 약물을 발굴, 개발 및 상업화하는 일은 기념비적인 일입니다. 클래리베이트가 제품 라이프사이클 전반에 걸쳐 전문가 및 연결된 데이터, 솔루션으로 어떻게 지원할 수 있는지 살펴보세요.

지금 바로 전문가에게 문의하십시오.

clarivate.com/ko