

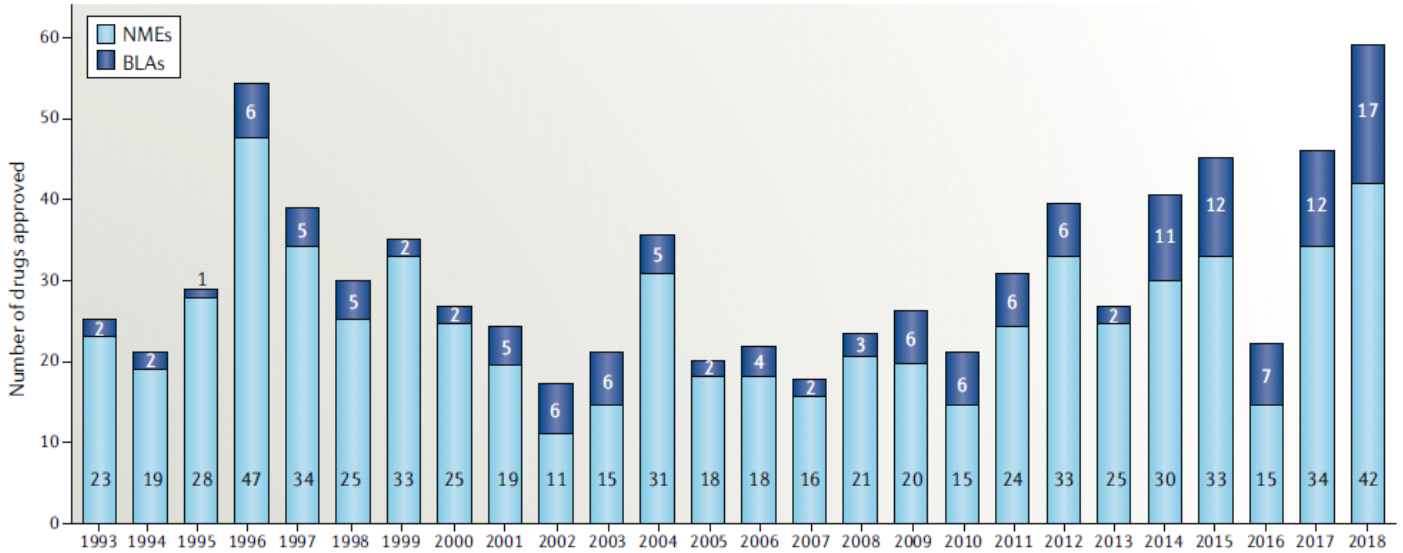
<2018년 미국 FDA 승인 의약품>

자료: Nature Review / Drug Discovery 2019, p86-87

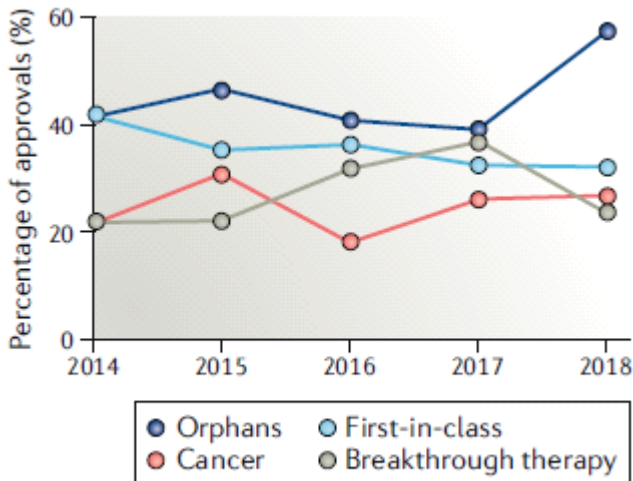
편집자: 한국화학연구원

의약정보 플랫폼센터

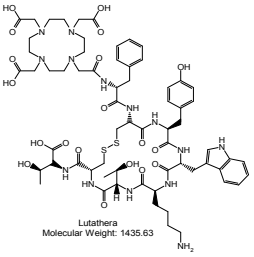
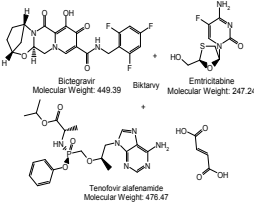
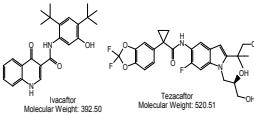
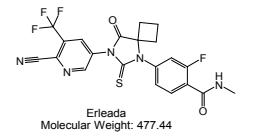
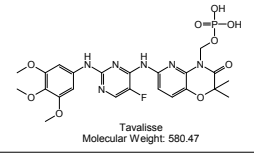
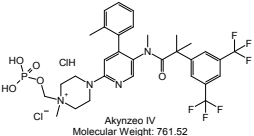
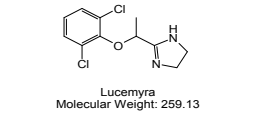
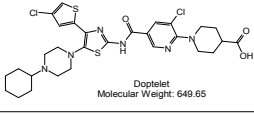
이수연 연구원



- 2018년 총 59종(합성의약품 42종, 생물학적제제 17종)으로 96년 53종의 기록을 갱신하였다.



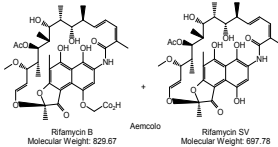
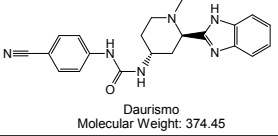
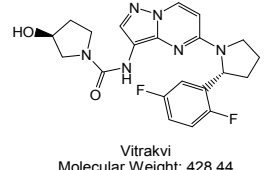
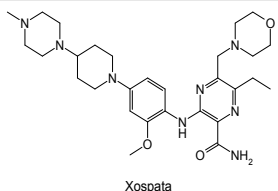
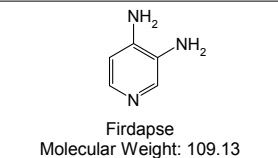
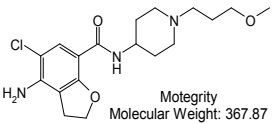
- 최근 5년 40% 이상을 차지하였던 orphan designation 물질의 승인이 2018년에는 60%로 증가하였다. 시장의 unmet need를 반영하여 질환군 내에서도 특정 환자군을 표적으로 하는 의약품 개발전략이 필요하다는 것을 시사하며, 임상환자의 선별이 성공률 제공에 필수적일 것이다.

| 일반명 (상품명) | 구조 | 회사 | 기전 | 적응증 | 심사 형태 |
|---|---|--|--|-------------------|----------|
| Lutetium Lu 177 dotatate (Lutathera) |  Lutathera Molecular Weight: 1435.63 | Advanced Accelerator Applications/Novartis | 소마토스타틴 수용체 표적 방사선약제 | 위장관궤장 신경내분비종양 | P,O |
| Bictegravir, emtricitabine and tenofovir alafenamide (Biktarvy) |  Bictegravir Molecular Weight: 449.39 Emtricitabine Molecular Weight: 247.24 Tenofovir alafenamide Molecular Weight: 476.47 | Gilead Sciences | HIV-1 병용 저해제 (integrase + NRTI) | 에이즈 | P |
| Tezacaftor and ivacaftor (Symdeko) |  Ivacaftor Molecular Weight: 392.50 Tezacaftor Molecular Weight: 520.51 | Vertex Pharmaceuticals | CFTR 교정기 / CFTR potentiator | 낭포성섬유증 | P,O,B |
| Apalutamide (Erleada) |  Erleada Molecular Weight: 477.44 | Johnson & Johnson | 안드로겐 수용체 저해제 | 전립선암 | P |
| Ibalizumab (Trogarzo) ^a | | TaiMed Biologics/ Theratechnologies | CD4 항체 | 에이즈 | P,O,B |
| Tildrakizumab (Ilumya) ^a | | Sun Pharma | IL-23 항체 | 건선 | S |
| Fostamatinib (Tavalisse) |  Tavalisse Molecular Weight: 580.47 | Rigel Pharmaceuticals | SYK 저해제 | 저혈소판증 | S,O |
| Burosumab (Crysvita) ^a | | Ultragenyx Pharmaceutical/ Kyowa Hakko Kirin | FGF23 항체 | X-염색체 연관 저인산혈증 | P,O,B |
| Palonosetron and fosnetupitant (Akynzeo IV) |  Akynzeo IV Molecular Weight: 761.52 | Helsinn Group | 5-HT ₃ 수용체 길항제 / NK ₁ 수용체 길항제 | 화학요법 유도 구토 | S |
| Lofexidine (Lucemyra) |  Lucemyra Molecular Weight: 259.13 | US WorldMeds | α ₂ -아드레날린 수용체 효능제 | 마약성 제제 금단증상 | P |
| Erenumab (Aimovig) ^a | | Amgen/Novartis | CGRP 수용체 항체 | 편두통 | S |
| Sodium zirconium cyclosilicate (Lokelma) | | AstraZeneca | 칼륨 바인더 | 고칼륨혈증 | S |
| Avatrombopag (Doptelet) |  Doptelet Molecular Weight: 649.65 | Dova Pharmaceuticals | TPO 수용체 효능제 | 저혈소판증 | P |
| Pegvaliase (Palynziq) ^a | | BioMarin Pharmaceutical | PAL 대체요법 | 페닐케톤뇨증 | P,O |

| 일반명 (상품명) | 구조 | 회사 | 기전 | 적응증 | 심사 형태 |
|----------------------------|---|--|-----------------------------|-------------------------|----------|
| Baricitinib (Olumiant) | Olumiant Molecular Weight: 371.42 | Incyte/Eli Lilly | JAK 저해제 | 류마티스 관절염 | S |
| Moxidectin (NA) | NA Molecular Weight: 639.83 | Medicines Development for Global Health | 구충 GABA 수용체 / 글루탐 채널 조절제 | 사상기생충 | P,O |
| Cannabidiol (Epidiolex) | Epidiolex Molecular Weight: 314.47 | GW Pharmaceuticals | 카나비노이드 | 드라베 / 레녹스-가스토 증후군 | P,O |
| Plazomicin (Zemdri) | Zemdri Molecular Weight: 592.69 | Achaogen | 아미노글리코사이드 항생제 | 요로감염 | P |
| Binimetinib (Mektovi) | Mektovi Molecular Weight: 441.23 | Array BioPharma | MEK 저해제 | 흑색종 | S,O |
| Encorafenib (Braftovi) | Braftovi Molecular Weight: 540.01 | Array BioPharma | BRAF 저해제 | 흑색종 | S,O |
| Tecovirimat (TPOXX) | TPOXX Molecular Weight: 376.34 | SIGA Technologies | 바이러스 p37단백질 저해제 | 천연두(생화학 테러방지용) | P,O |
| Ivosidenib (Tibsovo) | Tibsovo Molecular Weight: 582.97 | Agios Pharmaceuticals | IDH1 저해제 | 급성 골수성 백혈병 | P,O |
| Tafenoquine (Krintafel) | Krintafel Molecular Weight: 463.50 | Medicines for Malaria Venture/ GlaxoSmithKline | 8-아미노퀴놀린 항말라리아 | 말라리아 | P,O,B |

| 일반명 (상품명) | 구조 | 회사 | 기전 | 적응증 | 심사 형태 |
|---|--|-------------------------------|---------------------------------|-----------------|----------|
| Elagolix sodium (Orilissa) | Orilissa Molecular Weight: 653.58 | AbbVie | GnRH 수용체 길항제 | 자궁내막증 | P |
| Fish oil triglycerides (Omegaven) | | Fresenius | 지방산 혼합물 | 단장증후군 | P,O |
| Lusutrombopag (Mupleta) | Mupleta Molecular Weight: 591.54 | Shionogi | TPO 수용체 효능제 | 저혈소판증 | P |
| Mogamulizumab (Poteligeo) ^a | | Kyowa Hakko Kirin | CCR4 항체 | 여포성 림프종 | P,O,B |
| Patisiran (Onpattro) | | Anylam Pharmaceuticals | TTR siRNA | 다발성 신경증 | P,O,B |
| Segesterone acetate and ethinyl estradiol vaginal system (Annovera) | Annovera Segesterone acetate Molecular Weight: 370.49 Ethinyl estradiol Molecular Weight: 296.41 | TherapeuticsMD | 프로게스틴과 에스트로겐 복합 호르몬 피임제 | 피임 | S |
| Migalastat (Galafold) | Galafold Molecular Weight: 163.17 | Amicus Therapeutics | α -갈락토시다아제 조절제 | 파브리병 | P,O,A |
| Stiripentol (Diacomit) | Diacomit Molecular Weight: 234.30 | Biocodex | GABA 재흡수 저해제 | 드라베 증후군 | P,O |
| Cenegermin (Oxervate) ^a | | Dompé | 재조합 NGF | 신경영양 각막염 | P,O,B |
| Lanadelumab (Takhzyro) ^a | | Dyax/Shire | 칼리크레인 항체 | 유전성 혈관부종 | P,O,B |
| Eravacycline (Xerava) | Xerava Molecular Weight: 558.56 | Tetraphase Pharmaceuticals | 테트라사이클린 항생제 | 복합성 복부 내 감염증 | P |
| Doravirine (Pifeltro) | Pifeltro Molecular Weight: 425.75 | Merck & Co. | 비뉴클레오사이드 역전사효소 저해제(NNRTI) | 에이즈 | S |
| Moxetumomab pasudotox (Lumoxiti) ^a | | AstraZeneca | CD22 항체-약물 결합제(ADC) | 모발세포 백혈병 | P,O |
| Fremanezumab (Ajovy) ^a | | Teva | CGRP 항체 | 편두통 | P |

| 일반명 (상품명) | 구조 | 회사 | 기전 | 적응증 | 심사형 태 |
|---|--|-----------------------------------|---------------------------|---------------------|----------|
| Duvelisib (Copiktra) | Copiktra Molecular Weight: 416.87 | Verastem | PI3k 저해제 | 만성 림프구성 백혈병 | P,O,A |
| Galcanezumab (Emgality) ^a | | Eli Lilly | CGRP 항체 | 편두통 | S |
| Dacomitinib (Vizimpro) | Vizimpro Molecular Weight: 469.95 | Pfizer | EGFR 저해제 | 비소세포 폐암 | P,O |
| Cemiplimab (Libtayo) ^a | | Regeneron/ Sanofi | PD1 항체 | 표재성 편평세포 암종 | P,B |
| Sarecycline (Seysara) | Seysara Molecular Weight: 487.51 | Allergan | 테트라사이클린 항생제 | 심상성 좌창 | S |
| Omadacycline (Nuzyra) | Nuzyra Molecular Weight: 556.66 | Paratek Pharmaceuticals | 테트라사이클린 항생제 | 피부 및 피부조직 감염증 | P |
| Elapegamase (Revcovi) ^a | | Leadiant Biosciences | 재조합 아데노신탈아미노효소 | 유전성 면역결핍 | P,O |
| Inotersen (Tegsedi) | | Ionis Pharmaceuticals | TTR 안티센스 올리고뉴클레오타이드 | 다발성 신경증 | P,O |
| Talazoparib (Talzenna) | Talzenna Molecular Weight: 380.36 | Pfizer | PARP 저해제 | 유방암 | P |
| Baloxavir marboxil (Xofluza) | Xofluza Molecular Weight: 571.55 | Shionogi/Roche | 중합효소 산성 엔도뉴클레아제 억제제 | 인플루엔자 | P |
| Lorlatinib (Lorbrena) | Lorbrena Molecular Weight: 406.42 | Pfizer | ALK와 ROS1 저해제 | 비소세포 폐암 | P,O,B,A |
| Revefenacin (Yupelri) | Yupelri Molecular Weight: 597.76 | Theravance Biopharma/ Mylan | 장작용 근육 수용체 길항제 | 만성 폐쇄성 폐질환 | S |

| 일반명 (상품명) | 구조 | 회사 | 기전 | 적응증 | 심사형 태 |
|--|---|-----------------------------|---------------------------|------------------------|----------|
| Rifamycin (Aemcolo) |  | Cosmo Technologies | 항결핵제 | 여행자 설사 | P |
| Emapalumab (Gamifant) ^a | | Novimmune | γ-인터페론 차단 항체 | 림프조직구 증식증 | P,O,B |
| Glasdegib (Daurismo) |  | Pfizer | 헤지호그 경로 저해제 | 급성 골수성 백혈병 | P,O |
| Larotrectinib (Vitrakvi) |  | Loxo Oncology/Bayer | TRKA,TRKB와 TRKC 저해제 | 성인/소아 고형암 | P,O,B,A |
| Gilteritinib (Xospata) |  | Astellas | FLT3 저해제 | 급성 골수성 백혈병 | P,O,B |
| Amifampridine (Firdapse) |  | Catalyst Pharmaceuticals | 칼륨 채널 차단제 | 램버트-이튼 근무력 증후군 | P,O |
| Prucalopride (Motegrity) |  | Shire/Takeda | 5-HT ₄ 수용체 효능제 | 만성 특발성 변비 | S |
| Calaspargase pegol (Asparlas) ^a | | Servier | 아스파라긴 특이 효소 | 급성 림프구성 백혈병 | S,O |
| Ravulizumab (Ultomiris) ^a | | Alexion | 보체 저해제 | 발작성 야간 혈색 소뇨증 | S,O |
| Tagraxofusp (Elzonris) ^a | | Stemline Therapeutics | IL-3와 디프테리아 독소융합 단백질 | 모구형질 세포양수지상 세포종양 | P,O,B |

자료 : Nature Review / Drug Discovery 2019, p86-87

* A: Accelerated approval, B: Breakthrough designation, O: Orphan designation,
P: Priority review, S: Standard review, ^a : Biologic therapy.

<최근 4년간 미국 FDA 허가 약물 질환군별 분류>

| | 2015 | 2016 | 2017 | 2018 | 합계 |
|------|------|------|------|------|-----|
| | 45 | 22 | 46 | 59 | 172 |
| 순환기 | 8 | 0 | 2 | 0 | 10 |
| 내분비 | 3 | 1 | 5 | 1 | 10 |
| 소화기 | 4 | 4 | 5 | 3 | 16 |
| 정신 | 3 | 1 | 0 | 1 | 5 |
| 종양 | 8 | 3 | 11 | 16 | 38 |
| 희귀 | 10 | 4 | 9 | 12 | 35 |
| 류마티스 | 1 | 0 | 1 | 1 | 3 |
| 호흡기 | 1 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| 안질환 | 0 | 1 | 2 | 1 | 4 |
| 여성 | 1 | 0 | 0 | 2 | 3 |
| 감염 | 3 | 2 | 6 | 10 | 21 |
| 혈액 | 0 | 0 | 0 | 3 | 3 |
| 피부 | 2 | 2 | 3 | 2 | 9 |
| 영양 | 0 | 0 | 0 | 1 | 1 |
| 신경 | 1 | 1 | 1 | 5 | 8 |
| 진단 | 0 | 2 | 0 | 0 | 2 |