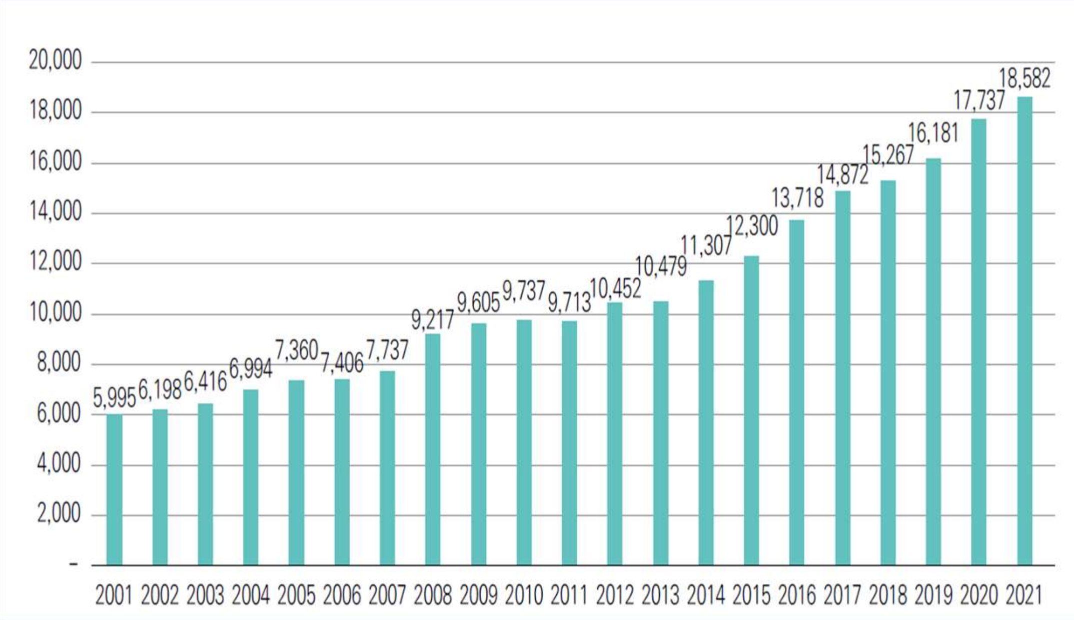
# 합리적 안전성 · 유효성 심사로 의약품 제품 지원

2022.4.13

순환신경계약품과

# Ⅰ 의약품 개발, 허가 및 사용 현황

# 의약품 개발 현황




< 전세계 R&D Pipeline 수 >

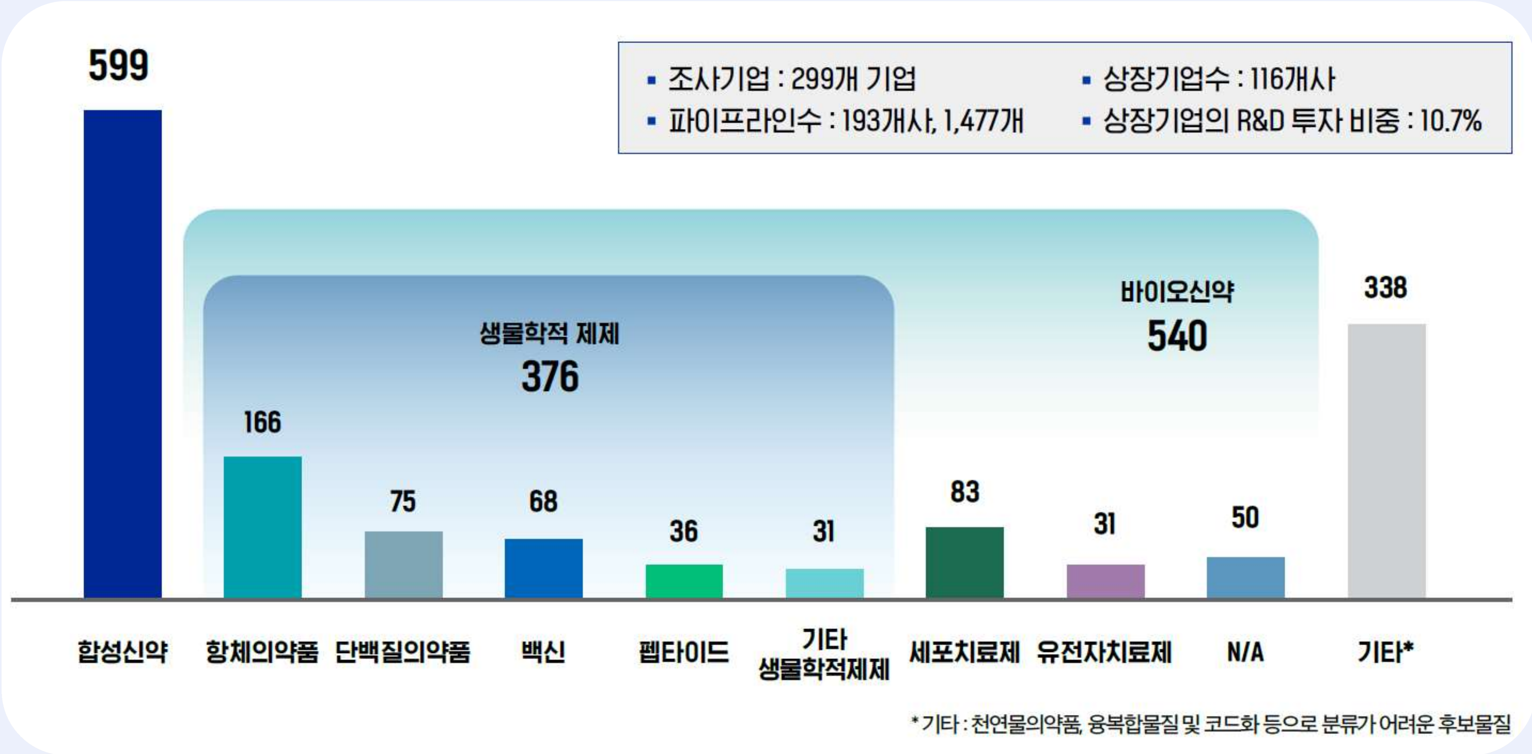
* 출처 : Evaluate Pharma World Preview 2021

| No | | 치료영역 | 품목수 | |
|---|---|---|---|---|
| 2020 | 2021 | | 2020 | 2021 |
| 1 | 1 | Anticancer, immunological | 3,434 | 3,712 |
| 2 | 2 | Anticancer, other | 2,510 | 2,680 |
| 3 | 3 | Gene therapy | 1,273 | 1,589 |
| 4 | 4 | Monoclonal antibody, other | 1,009 | 1,136 |
| 28 | 5 | Antiviral, other | 380 | 858 |
| 6 | 6 | Prophylactic vaccine, anti-infective | 698 | 843 |
| 5 | 7 | Ophthalmological, other | 756 | 781 |
| 7 | 8 | Neurological | 666 | 781 |
| 10 | 9 | Anti-inflammatory | 529 | 639 |
| 14 | 10 | Cellular therapy, chimaeric antigen receptor | 491 | 612 |
| 8 | 11 | Antidiabetic | 589 | 569 |
| 11 | 12 | Monoclonal antibody, humanized | 508 | 555 |
| 9 | 13 | Immunosuppressant | 544 | 542 |
| 12 | 14 | Musculoskeletal | 504 | 521 |
| 18 | 15 | Monoclonal antibody, human | 448 | 494 |

< 치료영역별 현황 >

* 출처 : Pharma R&D Annual Review 2021

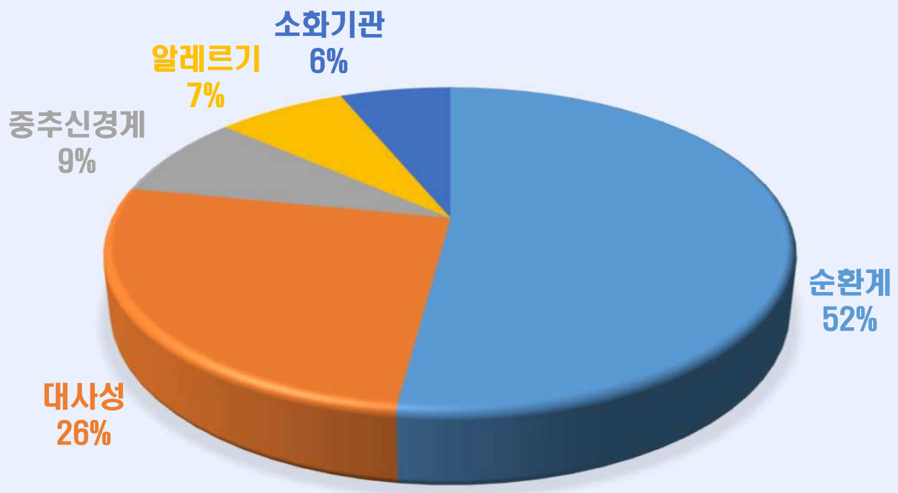
# 의약품 개발 현황




* 출처 : 한국제약바이오협회

# 의약품(개량신약) 품목 허가 현황

| 연도 | 새로운 조성 | 새로운 투여경로 | 새로운 효능·효과 | 새로운 염 또는 이성체 | 제제개선 (동일투여경로) | 계 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| ‘09년 | 4 | 0 | 0 | 0 | 0 | 4 |
| ‘10년 | 5 | 0 | 0 | 1 | 2 | 8 |
| ‘11년 | 0 | 0 | 0 | 0 | 2 | 2 |
| ‘12년 | 2 | 0 | 0 | 1 | 3 | 6 |
| ‘13년 | 9 | 0 | 4 | 5 | 1 | 19 |
| ‘14년 | 1 | 0 | 0 | 0 | 0 | 1 |
| ‘15년 | 7 | 0 | 0 | 0 | 11 | 18 |
| ‘16년 | 22 | 1 | 0 | 0 | 1 | 24 |
| ‘17년 | 7 | 0 | 0 | 0 | 4 | 11 |
| ‘18년 | 0 | 0 | 0 | 0 | 6 | 6 |
| ‘19년 | 13 | 0 | 0 | 0 | 0 | 13 |
| ‘20년 | 2 | 0 | 0 | 0 | 4 | 6 |
| ‘21년 | 3 | 4 | 0 | 0 | 0 | 7 |
| 계 | 75 | 5 | 4 | 7 | 34 | 125 |



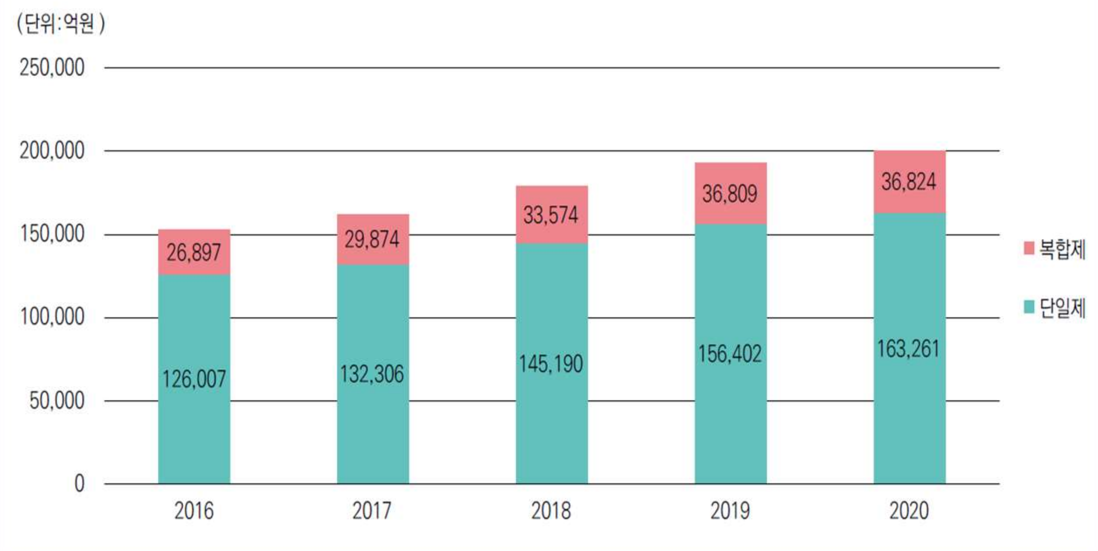

< ‘09~‘21년 개량신약 유형별 허가현황 >

# 의약품(개량신약) 품목 사용 현황

(단위: 억원, %)

| 심사년도 | 2016 | | 2017 | | 2018 | | 2019 | | 2020 | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 구분 | 청구금액 | 비중 | 청구금액 | 비중 | 청구금액 | 비중 | 청구금액 | 비중 | 청구금액 | 비중 |
| 계 | 152,905 | 100.0 | 162,179 | 100.0 | 178,764 | 100.0 | 193,211 | 100.0 | 200,085 | 100.0 |
| 단일제 | 126,007 | 82.4 | 132,306 | 81.6 | 145,190 | 81.2 | 156,402 | 80.9 | 163,261 | 81.6 |
| 복합제 | 26,897 | 17.6 | 29,874 | 18.4 | 33,574 | 18.8 | 36,809 | 19.1 | 36,824 | 18.4 |

자료원 : 2020 급여의약품 청구현황, 건강보험심사평가원




< '16~'20년 단일제/복합제 청구현황 >

# Ⅱ 제품화 지원을 위한 그간 실적

# 제품화 지원을 위한 그간 실적

- 알츠하이머형 치매치료 복합제 개발 관련 질의응답집 개정
- 의약품의 신속심사 적용에 대한 가이드라인 개정
- 고혈압·이상지질혈증 복합제 허가사항 기재방식 개선
- 경구 혈당강하제 임상시험 가이드라인 개정
- 약동학 반복투여 조직분포시험을 위한 가이드라인 제정
- 독성동태시험 가이드라인 및 질의응답집 제정
- 복합제 임상시험 가이드라인 개정

# Ⅲ 사회적 수요 제품 개발 지원

사회적 수요 제품 개발 지원

# 안구건조증 점안제 임상시험 가이드라인

## 추진배경

스마트폰 등 전자 매체 사용 증가와 미세먼지 등 대기 환경 악화 등 사회 환경 변화로 **안과질환 증가에 따른 눈 관리 필요성** 증대

- **삶의 질을 저하시키는 안구건조증**에 대한 적극적 치료 요구 증가

* 안구건조증

- 눈물 분비 장애에 의한 눈물 부족, 정상적인 눈물 분비 기능에도 불구하고 안구 표면의 현저한 수분소실 등이 원인

## 향후계획

가이드라인(안) 마련, 전문가 자문 실시 ☞ 의견조회, 최종 마련(6월)

사회적 수요 제품 개발 지원

# 안구건조증 점안제 임상시험 가이드라인

## 가이드라인 주요내용

- (유효성) 객관적 징후 및 주관적 증상의 개선 입증
  - 징후 : 각막염색, 결막염색, 눈물막 파괴시간, 쉬르머 눈물 검사(눈물분비량 검사) 등
  - 증상 : 안구 자극감, 시야흐림, 눈부심, 이물감, 안구 통증/불편감, 안구 가려움증 등

- (임상적 평가 고려사항) 양안 모두 수행
  - 최대교정시력 검사
  - 안구 전방부(각막, 결막, 전방, 홍채, 눈꺼풀, 속눈썹 포함) 세극등 현미경 검사
  - 활력징후, 신체검진, 임상실험실 평가, 확장된 안저검사
  - 투여 전후 안구 불편감(편안감), 충혈, 안구내약성 평가

# Ⅳ 경구용 복합제 개발 지원

# 아스피린/위산분비억제제 복합제 개발

## 목적

아스피린/라베프라졸 복합제 허가신청시 임상시험 제출자료 범위 안내

## 추진경과

(3월) 전문가 자문(2.18), 개발 업체 대상 간담회 개최

(4월) 의약품 복합제 임상시험 가이드라인 개정(안) 의견조회

# 아스피린/위산분비억제제 복합제 개발

## 개발 품목 개요

- (주성분) 아스피린/라베프라졸 100mg/5mg
- (개발배경) 안전성 개선 목적의 복합제 개발
  - 혈전 생성 억제를 위한 아스피린 투여환자에서 부작용 개선(위·십이지장 궤양 예방) 목적의 라베프라졸 복합

    * 라베프라졸 단일제 허가사항

    - 위·십이지장 궤양 과거력이 있는 환자에 있어서, 1일 100mg 이하의 저용량 아스피린 투여에 의한 위·십이지장 궤양 예방
- (예상 주요 효능·효과) 위·십이지장 궤양 과거력이 있는 환자에 있어서, 아스피린 투여가 필요한 환자의 아스피린 투여에 의한 위·십이지장 궤양 예방

# 아스피린/위산분비억제제 복합제 개발

## 관련 규정 및 임상시험 가이드라인

- 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」 및 "복합제 임상시험 가이드라인"
  : 새로운 조성의 복합제 – 안전성 개선 목적

## 이슈사항

- 라베프라졸 제제 개발 시 실시된 제3상 임상문헌에서 라베프라졸의 아스피린으로 인한 궤양 재발 감소는 입증되었으나, 라베프라졸이 아스피린 주 치료효과에 미치는 영향은 평가된 바 없음

# 아스피린/위산분비억제제 복합제 개발

## 아스피린/라베프라졸 복합제 임상시험 제출자료 범위

1) 약동학적/약력학적 상호작용 임상시험 (1상)

   * 약력학적 평가변수 : 혈소판 응집능(aspirin reaction unit) 및 TXB2 감소

2) 복합제의 생체이용률시험 (1상)

3) 저용량 아스피린 투여 환자를 대상으로 궤양 발생위험 감소에 대한 안전성·유효성 평가자료(최소 6개월)

4) 장기 투여 경험 등 안전성 자료

# V 새로운 의료가치 창출 제품 개발 지원

# 인공지능 기반 제품 개발

## 인공지능을 활용한 신제품 후보 물질 발굴

1) **신약 후보물질 발굴 단계의 '데이터 중심 (data-centric)' 전환**

2) **신약개발 비용과 기간의 단축 및 R&D 프로세스의 효율성 개선**

3) **전통적인 머신러닝에서 딥러닝 접근 방식으로 전환**

4) **인공지능 기술은 타분야의 이머징 기술과 결합하여 최고의 가치 창출**

5) **머신러닝/AI의 통합을 통한 정밀의료의 향상**

6) **종양학, 신경퇴행성 질환 등 복잡한 질환에 대한 AI/딥러닝 적용**

7) **인공지능 활용 신약개발 분야의 특허는 회색지대**

* 출처 : 프로스트앤설리번, Data Science Impacting the Pharmaceutical Industry Part I: Drug Discovery Applications, 2020.8

# 인공지능 기반 제품 개발

## 새로운 적응증 개발 기허가의약품 조합 복합제 심사 방향(기본 원칙)

- **각각의 성분이 목표하는 효과에 기여하고, 각 성분의 복합(용량, 투여 간격, 기간)이 대상 환자집단에서 안전성·유효성이 입증되어야 함**

  - 의학적으로 심각한 질환 또는 상태를 치료하기 위한 목적으로 개발
  - 복합제 사용에 대한 강력한 생물학적 타당성이 있음
  - 비임상자료 및 임상자료를 통하여 복합제가 이용가능한 요법 및 개별 제제에 비하여 유의한 치료적 개선을 보임을 입증함
  - 개별 성분이 독립적으로 개발될 수 없는 타당한 사유가 있음

# 인공지능 기반 제품 개발

## 새로운 적응증 개발 기허가의약품 조합 복합제 심사 방향(기본 원칙)

### 비임상시험

- 각 단일 성분 조합에 대한 생물학적 타당성 입증
- 임상시험 개발을 위한 상대적 용량비에 대한 정보 확인
- 3개월 반복투여 등 복합제 독성시험자료

### 임상시험

- (1상) 성분별 안전성, 생체이용률 및 약동학 평가
- (2상) 성분별 기여도 추가 입증, 효과성에 대한 증거 제공, 복합제 용량 최적화 등
- (3상) 2상 결과 등에서 각각의 약물 기여 입증 여부에 따라 임상시험 설계

# Ⅵ 안전사용정보 제공 기반 강화

# 전문가용 임상시험 정보 작성 가이드라인

## 추진배경

- ‘15.7.1일자 「의약품의 품목허가·신고·심사 규정」(식약처 고시) 개정에 따라 전문가용 임상시험 정보를 기재하여 의약품 안전사용 정보 제공 중으로,
- 정확한 임상시험 정보제공을 위한 개별 임상시험 내용 등 작성방법 가이드라인 제시 요청

## 향후계획

전문가용 임상시험 정보 작성기준 마련(6월)

* 임상시험 정보 기재를 위해 포함되는 임상시험 여부, 개개 시험을 설명하는 방법, 시험 결과를 제시하는 방법 등 제공 예정

# 전문가용 임상시험 정보 작성 가이드라인

## 가이드라인 주요내용

- (일반적 원칙) 시험 대상자의 유효성 결과 위주,시험 대상자 및 평가변수를 포함한 시험 설계, 사용 가능한 사실의 한계점 요약
- (시험 설계)
  - 주요 디자인 특성 : 맹검 수준, 대조군, 시험 기간 등(예, 무작위배정, 이중맹검, 위약대조)
  - 치료군 : 각 시험군에 대한 용량, 요법, 적정 절차 등
  - 기타 : 병용요법, 시험 집단, 중요 평가변수 등
- (시험 결과 요약) 약물 유효성에 대한 전문가의 이해에 기여하도록 작성
  - 시험대상자의 분포 : 등록환자 수, 완료자 수, 중단자 수 및 그 사유 등
  - 치료효과 : 대조약과 비교하여 치료의 임상 결과를 설명
  - 인구 통계 및 기타 하위 그룹 요약

# 감사합니다

식품의약품안전처