

발 간 등 록 번 호

안내서-1164-01



해외 주요국 신속심사 사례집 [민원인 안내서]

2021. 10.



식품의약품안전처

식품의약품안전평가원

신속심사과

지침·안내서 제·개정 점검표

명칭

해외 주요국 신속심사 사례집[민원인 안내서]

아래에 해당하는 사항에 체크하여 주시기 바랍니다.

등록대상 여부	☐ 이미 등록된 지침·안내서 중 동일·유사한 내용의 지침·안내서가 있습니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 기존의 지침·안내서의 개정을 우선적으로 고려하시기 바랍니다. 그럼에도 불구하고 동 지침·안내서의 제정이 필요한 경우 그 사유를 아래에 기재해 주시기 바랍니다. (사유 : _____)	
	☐ 법령(법·시행령·시행규칙) 또는 행정규칙(고시·훈령·예규)의 내용을 단순 편집 또는 나열한 것입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 단순한 사실을 대외적으로 알리는 공고의 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 일회성 지시·명령에 해당하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 외국 규정을 번역하거나 설명하는 내용입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☐ 정보제공 등 직원 교육용 자료입니까?	☐ 예 ☒ 아니오
☞ 상기 사항 중 어느 하나라도 '예'에 해당되는 경우에 지침·안내서 등록 대상이 아닙니다. 지침·안내서 제·개정 절차를 적용하실 필요는 없습니다.		
지침·안내서 구분	☐ 내부적으로 행정사무의 통일을 기하기 위하여 반복적으로 행정사무의 세부기준이나 절차를 제시하는 것입니까? (공무원용)	☐ 예(☞ 지침서) ☒ 아니오
	☐ 법령, 고시·훈령·예규와 같은 규정 또는 식약처장이 정한 특정한 사안에 대하여 그 절차 등의 내용을 알기 쉽게 풀어 설명하거나 식약처의 입장을 기술하는 것입니까? (민원인용)	☒ 예(☞ 안내서) ☐ 아니오
기타 확인 사항	☐ 상위 법령을 일탈하여 새로운 규제를 신설·강화하거나 민원인을 구속하는 내용이 있습니까?	☐ 예 ☒ 아니오
	☞ 상기 질문에 '예'라고 답하신 경우 상위법령 일탈 내용을 삭제하시고 지침·안내서 제·개정 절차를 진행하시기 바랍니다.	
상기 사항에 대하여 확인하였음. 2021 년 10월 일 담당자 확 인(부서장) 윤나영 김희성		

이 안내서는 해외 주요국에서 의약품의 허가에 적용하는 신속심사 사례에 대하여 소개하고 민원인의 이해를 돕기 위하여 식품의약품안전평가원에서 마련하였습니다.

본 안내서는 대외적으로 법적 효력을 가지는 것이 아니므로 본문의 기술 방식('~하여야 한다' 등)에도 불구하고 참고로만 활용하시기 바랍니다. 또한, 본 안내서는 2021년 10월 현재의 과학적·기술적 사실 및 유효한 법규를 토대로 작성되었으므로 이후 최신 개정 법규 내용 및 구체적인 사실관계 등에 따라 달리 적용될 수 있음을 알려드립니다.

※ “민원인 안내서”란 민원인들의 이해를 돕기 위하여 법령 또는 행정규칙을 알기 쉽게 설명하거나 특정 민원업무에 대한 행정기관의 대외적인 입장을 기술하는 것(식품의약품안전처 지침서등의 관리에 관한 규정 제2조)

※ 본 안내서에 대한 의견이나 문의사항이 있을 경우 식품의약품안전평가원 신속심사과로 문의하시기 바랍니다.

전화 : 043-719-5065

팩스 : 043-719-5060

제·개정 이력

연번	제·개정번호	승인일자	주요내용
1	안내서-1164-01	2021.10.	제정

목 차

개요	6
1. 미국 FDA 신속 프로그램	8
1) 미국 FDA 신속 프로그램 사례	
2) 미국 FDA 신속 프로그램 신청 절차	
2. 유럽 EMA 신속 프로그램	27
1) 유럽 EMA 신속 프로그램 사례	
2) 유럽 EMA 신속 프로그램 신청 절차	
3. 일본 PMDA 신속 프로그램	42
1) 일본 PMDA 신속 프로그램 사례	
2) 일본 PMDA 신속 프로그램 신청 절차	
4. 우리나라 신속심사	48
1) 신속심사 대상 및 사례	
2) 지정신청	
3) 신속심사 대상 지정 현황	
5. 해외 각 규제기관별 신속심사 요약	54
[부록] 1. 미국 FDA 임상시험계획승인 심사 신청서(FDA1571양식)	61
2. 유럽 EMA 판매허가 신청 사전 제출 요청서(일부 발취)	64
3. 유럽 EMA 신속심사 요청서 작성 가이드라인	65
4. 유럽 EMA 판매 허가 신청서(일부 발취)	79
5. 유럽 EMA 프라임 제출전 요청서	81
6. 일본 PMDA 사키가케 지정상담 신청서	82
7. 일본 PMDA 사키가케 지정 신청서	83
8. 일본 PMDA 사키가케 지정 신청 의약품 개요	84
9. 우리나라 의약품 신속심사 지정 신청서	85
10. 해외 주요국 신속 프로그램	86
11. 미국 FDA 신속 프로그램 품목 현황	107
12. 유럽 EMA 신속 프로그램 품목 현황	115
13. 일본 PMDA 신속 프로그램 품목 현황	126

개요

식품의약품안전평가원에서는 2020년 8월 허가·심사 전문성을 강화하고 개발 중인 의약품의 신속한 제품화를 지원하기 위해 신속심사과를 신설하였다. 2021년 9월까지 코로나19 백신, 신경섬유종증 치료제 등 7개 품목이 신속심사를 통해 허가되었으며, 특히 코로나19 백신은 허가기간을 대폭 단축하여 40일내에 허가심사를 완료한 바 있다.

코로나19 대유행 등 공중보건 위기상황과 의학적 미충족 해결 수요 증가에 따라 의료제품 신속심사 제도의 중요성이 대두되었다. 미국, 유럽, 일본에서는 의약품 규제 기관이 개발단계에서부터 지원하여 허가·심사 자료준비의 시행착오를 줄이고 신속한 의약품의 평가 및 허가를 위하여 혁신의약품지정, 프라임 제도, 사키가케 지정 제도 등 신속심사 프로그램을 도입하여 운영하고 있다.

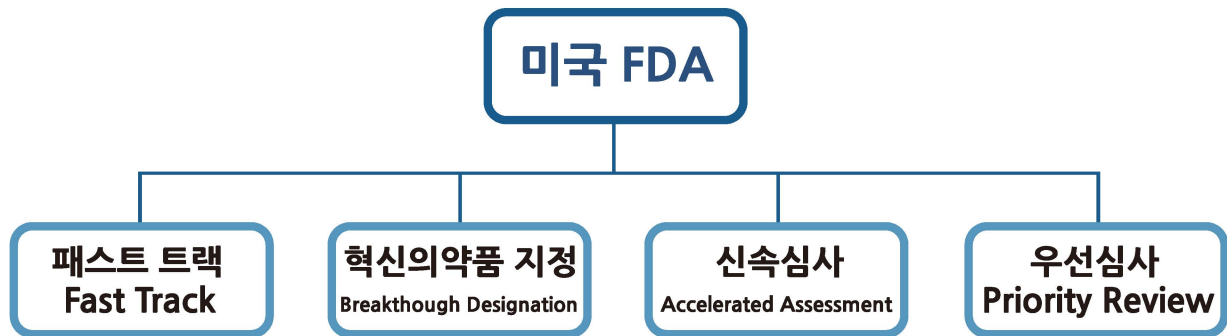
본 사례집은 국내 제약업계의 해외 진출을 지원하기 위하여 미국, 유럽, 일본의 의약품 신속심사 제도별 사례를 제시하였다. 국내 제약사가 해외 신속심사 지정을 받은 품목과 우리나라에 허가된 품목 중 해외 신속심사 적용된 글로벌 제약사 품목을 사례로 선정하였으며, 해당 품목의 국내외 신속심사 지정 시 제출자료 및 절차 등 각 신청사에서 제공한 정보를 수집하여 소개하였다. 다만 신청시 제출 자료는 공개 가능한 범위내에서 소개하는 것이므로, 자료제출 요건에 대해서는 별도 확인 필요하다. 사례집 발간일 기준으로 신속심사 사례가 작성되었으므로 각 국가별 제도 변경 사항 등에 대한 추가 확인이 필요할 수 있다. 본 사례집에서는 신청자 관점에서 각 규제기관 제도별 신청 절차를 공유하고자 한다. 또한, 미국, 유럽, 일본의 신속심사 제도 안내 및 지정제품 현황, 각 규제기관의 지정 신청서 양식을 부록으로 수록하여 활용성 높은 사용자 중심의 사례집을 발간하고자 하였다.

미국 FDA, 유럽 EMA, 일본 PMDA는 의약품의 신속한 개발과 허가를 지원하기 위하여 다양한 신속심사 절차를 운영하고 있으며, 각 규제기관별 운영 프로그램은 다음과 같다. 본 사례집에서는 미국, 유럽, 일본의 각 신속심사 프로그램별 사례를 제공한다.



*사전 대상 지정이 필요한 제도임

1. 미국 FDA 신속 프로그램



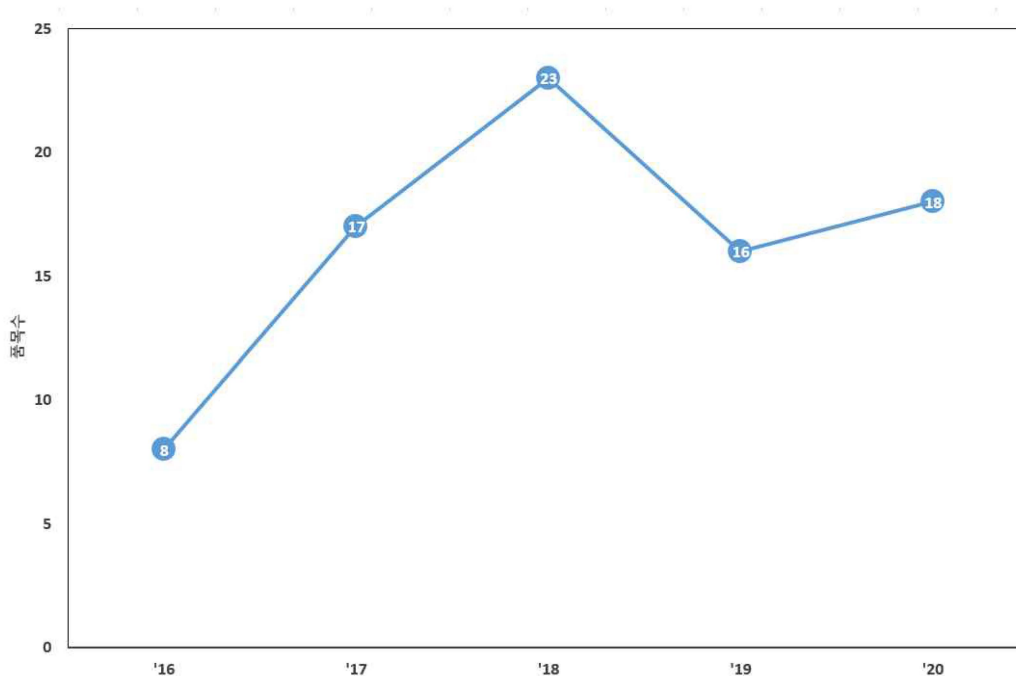
< 미국 FDA 신속 프로그램 분류 >

1) 미국 FDA 신속 프로그램 사례

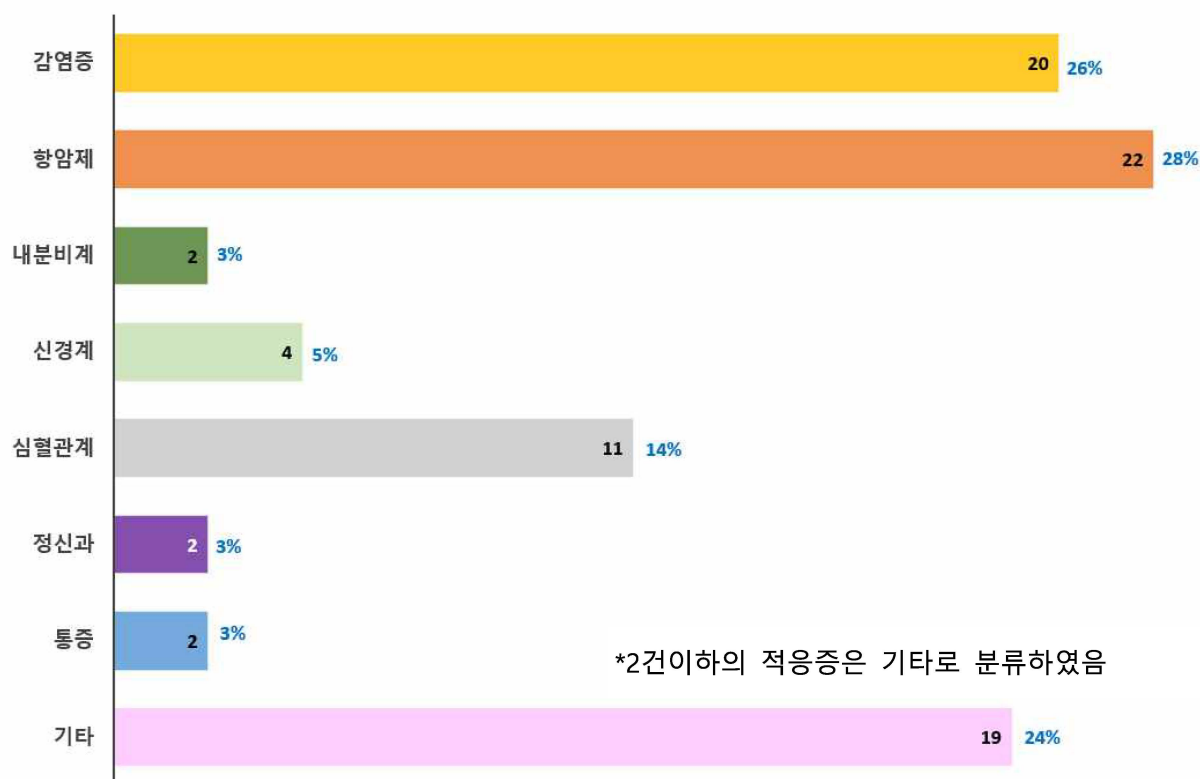
① 패스트 트랙(Fast Track)

<개요>

- 중대한 질환 치료 및 시급한 의학적 미충족을 해결하는 신약 개발을 가속화하고 심사 기간을 단축하는 절차이다.
- 패스트 트랙 지정 대상은 다음과 같다.
 - 기존 치료법이 없는 질병의 치료 또는 예방을 목적으로 하는 신약
 - 기존 치료법이 있을 경우, 기존 치료법들과 비교하여 개선점을 입증하는 의약품
 - 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물
- 패스트 트랙 지정을 통하여 2016년부터 2020년까지 최초허가 시 적용된 건수는 82건이었으며, 패스트 트랙 적용증에 따른 비율은 항암제(28%)와 감염증 치료제(20%)의 비율이 높았다.



<연도별 패스트 트랙 지정 현황¹⁾(2016~2020년)>



<적응증에 따른 패스트 트랙 지정 현황(2016~2020년)>

1)미 FDA에서 발간한 New drug Therapy Approvals 2016~2020년을 근거로 하였음

<사례>

- 국내 제약사에서 미국 FDA 패스트 트랙 지정 받은 단장증후군 치료제, 항암제, 감염증 치료제를 사례로 선정하였다.
- LAPS-GLP2(한미약품)의 적응증은 단장증후군²⁾이며 ‘중대한 질환의 치료를 위한 신약’에 해당하며, 비임상 시험자료 중 동물에서의 효력시험자료와 건강한 성인에서의 약동학/약력학 시험자료를 제출하여 기존 치료제 대비 우수성 입증을 통한 미충족 의료수요 해결 가능성이 확인되어 패스트 트랙 지정받은 사례이다³⁾.
- 포지오티닙(한미약품)의 적응증은 HER2 엑손 20 삽입 변이 비소세포폐암이며 ‘기존 치료법이 없는 중대한 질환의 치료를 위한 신약’에 해당하여 패스트 트랙 지정을 받았다. 또한 품목허가 사전 회의(Pre NDA meeting) 시 신속 심사(Accelerated approval) 가능성을 확인하였다.
- 텔파졸리드(레고켐바이오)는 미국 FDA의 ‘중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제(Qualified Infectious Disease Product, QIDP)’로 지정되어 패스트 트랙 품목으로 지정 대상이 되었다.⁴⁾ QIDP 지정 시 기존 치료법 대비 비열등성 입증할 경우 지정이 가능하므로 항생제를 개발할 경우 QIDP 지정을 받는 것이 유리하다. 그러나 패스트 트랙 지정을 위해서는 패스트 트랙 대상임을 입증하는 자료를 구비하여 별도로 신청해야 한다.

2) 선천성 또는 생후 수술적으로 전체 소장의 50%이상이 소실되어 흡수장애와 영양실조를 일으키는 질환

3) 패스트 트랙 지정은 비임상 시험자료를 근거로 개발초기부터 가능하다.

4) Guidance for Industry Expedited Programs for Serious Conditions – Drugs and Biologics 의 IV. OVERVIEW OF EXPEDITED PROGRAMS 중 Qualifying criteria에서 확인 가능

미국 FDA 패스트 트랙 사례 1 단장증후군 치료제	
품목명 (주성분)	LAPS-GLP2 (Human glucagon-like peptide-2 (GLP-2) analogue)
신청사	한미약품(주)
적응증	소아 및 성인의 단장증후군(short bowel syndrome) 치료
용법	4주 1회 피하주사
지정 종류	패스트 트랙
지정 사유	중대한 질환의 치료를 위한 신약으로 의학적 미충족 해결 가능성 확인 (기존 치료제 대비 향상된 약물 효능, 유사한 안전성 및 복용 간격 연장을 통한 약물 순응도 개선 효과)
신청 단계	임상 2상 중 신청
신청시 제출 자료	(비임상) 기존 치료법 대비 우월성 입증 자료 제출 - 테두글루티드(Teduglutide)와 비교 효능 및 테두글루티드에서 HM15912로 전환 후 효능 자료 - 글레파글루티드(Glepaglutide), 아프라글루티드(Apraglutide) 각각과 동일한 서열을 가진 약물과 비교 효능 자료 - SBS 마우스 모델에서 테두글루티드(Teduglutide)와 비교 효능 자료 (임상) 단일용량 상승시험(Ph1 single ascending dose), 건강한 성인대상 약력학/약동학 시험자료, 안전성 자료 제출
보완 사항	해당사항 없음
상답 이력	상답이력 없음
지정 소요 기간	약 50일 소요
지정 ⁵⁾ 혜택	일반적으로 개발 관련 FDA 심사팀과의 미팅이 수월하며, 지정 품목에 대한 FDA 심사팀과 스폰서 간 심도있는 상호논의 가능함. 품목허가 단계에서는 롤링리뷰(Rolling Review) 통한 신속한 자료 검토 가능
향후 일정	임상 2상 진행 예정

5) 개발사에서 지정 신청 혜택에 대하여 체감한 내용을 기록한 것으로 실제 품목별로 다를 수 있음

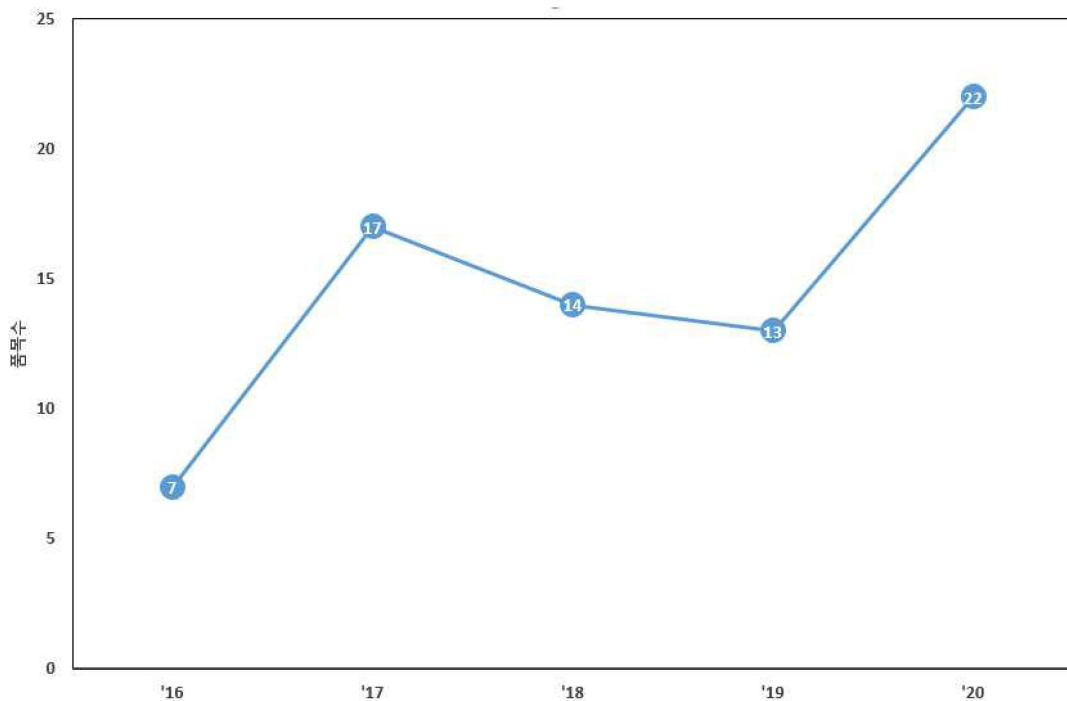
미국 FDA 패스트 트랙 사례 2 비소세포폐암 치료제	
품목명 (주성분)	포지오티닙 (Pozotinib·HCl)
신청사	한미약품(주)
적응증	HER2 엑손 20 삽입 변이 비소세포폐암
용법 용량	1일 00mg 경구투여
지정 종류	패스트 트랙
지정 사유	중대한 질환의 치료를 위한 신약으로 의학적 미충족을 해결
특이 사항	품목허가 신청 시 신속심사(Accelerated approval) 가능 여부에 대하여 FDA와의 사전 회의에서 확인하였음
신청 단계	임상 2상 중 신청
신청시 제출 자료	(임상) - 유효성: SPI-POZ-202Cohort 2에서의 치료반응률(confirmed ORR), 질병 통제율(DCR), 반응지속기간(mDoR), 무진행생존기간(mPFS) 자료 제출 - 안전성: 총 21개 임상시험에서 포지오티닙 투여 환자 안전성 자료 제출 - 중대한 또는 생명을 위협하는 질환임을 입증하는 자료: HER2 엑손 20 삽입 변이 비소세포폐암 환자의 유병률 및 HER2 엑손 20 삽입 변이 비소 세포폐암 환자의 안 좋은 예후 관련 문헌 내용 제출
보완 사항	해당사항 없음
상담 이력	상담이력 없음
소요 기간	신청부터 지정까지 약 60일 소요
지정 혜택	개발 관련 FDA 심사팀과의 미팅이 수월하며, 지정 품목에 대한 FDA 심사팀과 스폰서 간 심도있는 상호논의 가능함. 품목허가 단계에서는 롤링리뷰(Rolling Review) 통한 신속한 자료 검토 가능
향후 일정	품목허가(신속심사) 신청 예정

미국 FDA 패스트 트랙 사례 3 결핵 치료제	
품목명 (주성분)	델파졸리드 (델파졸리드)
신청사	레고켄바이오(주)
적응증	결핵, 메티실린 내성 황색포도상구균(MRSA)에 의한 균혈증(bacteremia)
용법	비공개
지정 종류	패스트 트랙
특이 사항	희귀의약품 지정 후 감염질환품목인증(Qualified Infectious Disease Product, QIDP)* 지정 * 2012년 제정된 항생제 개발 지원법(Generating Antibiotic Incentives Now, GAIN)을 기반으로 감염질환품목인증을 통해 항생제 개발과 생산을 지원
지정 사유	중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제 지정 약물
신청 단계	2상 임상시험 계획 승인 신청 시 패스트 트랙 지정 신청서 제출 * QIDP 지정과 별도로 패스트 트랙 지정을 신청해야함
신청시 제출 자료	(임상) - 건강한 성인 대상 약동학 (3건), 약력학 (5건) - 안전성 및 유효성 입증: 결핵환자 대상 항결핵 효과(일차 평가 변수), 용량 설정, 약동학, 복약 순응도 및 안전성 * (대조약군) 이소니아지드+피라진아미드+리팜피신+에탐부톨 복합제 리네졸리드 (시험약군) 신청품목
상담 이력	패스트 트랙 지정 관련 미팅 1회
지정 소요 기간	신청 후 지정까지 26일 소요
지정 혜택	패스트 트랙 지정 시 품목 개발 관련 상담 요청이 쉬우며, 각 전문가의 상담 참여로 심도깊은 논의가 이루어짐
향후 일정	혁신의약품지정, 우선심사, 신속심사 신청예정

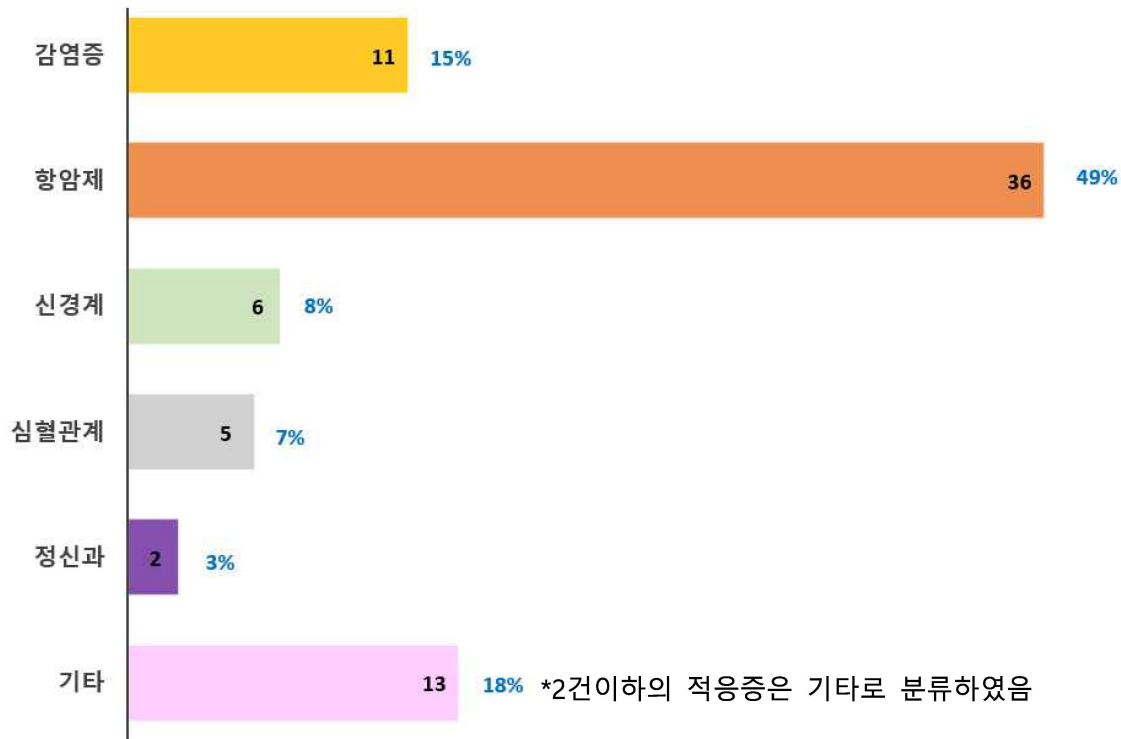
② 혁신의약품 지정(Breakthrough Therapy Designation)

<개요>

- 혁신의약품 지정은 예비 임상시험 결과에서 기존 치료법 대비 상당한 개선을 보이는 의약품의 개발과 심사 절차를 가속화하기 위해 마련된 절차이다.
- 중대한 질환, 생명을 위협하는 질환 치료목적으로 예비 임상시험결과에서 중요한 임상 평가변수에서 기존 치료제 대비 상당한 개선이 있는 의약품을 대상으로 한다.
- 혁신의약품 지정 신청은 예비 임상시험자료가 확보된 시점부터 신청 가능하나 FDA에서는 2상 임상시험 종료 후 회의 전에 신청할 것을 권고한다.
- 혁신의약품 지정이 2016년부터 2020년까지 최초허가 시 적용된 건수는 73건이었으며, 항암제가 49%로 가장 많이 지정되었다.



<연도별 혁신의약품 지정 현황(2016~2020년)>



<적응증별 혁신의약품 지정 현황(2016~2020년)>

<사례>

- 루마크라스(암젠)의 적응증은 비소세포폐암이며, ‘중대한 질환, 생명을 위협하는 질환의 치료제로 예비 임상시험 결과에서 중요한 임상 평가 변수에서 기존 치료제 대비 상당한 개선이 있는 의약품’에 해당되어 미국 FDA 혁신의약품 지정을 받았다. 동시에 패스트 트랙 지정을 받았으며, 허가 시 우선심사를 통해 승인되었다.
- 오르비스 프로젝트(Orbis Project)⁶⁾를 통해 호주 연방의약품청(TGA), 브라질 위생감시국(ANVISA), 캐나다 연방보건부(Health Canada), 영국 의약품 및 보건 의료제품 규제청(MHRA)이 협력 심사하였다. 또한 항암제 실시간 심사(Real-Time Oncology Review, RTOR) 시범사업⁷⁾을 통하여 안전성 및 유효성 자료가 검토되었다. 이러한 여러 프로젝트를 통하여 미국 FDA에서는 목표기간에

6) 오르비스 프로젝트(Project Orbis): 미 FDA 종양학 연구센터(Oncology Center of Excellence, OCE)는 국제 파트너 간의 항암제의 동시 제출 및 검토를 위한 공동심사 체계 마련

7) '17년 FDA에 신설된 종양학 연구센터(OCE)에서는 '18년부터 항암제 실시간 심사(Real-Time Oncology Review, RTOR)를 시범사업으로 수행. 방대한 신약 허가신청 제출자료 중 중요한 안전성 및 유효성 자료를 공식적 신청서 제출 전에 미리 제출하고, FDA 심사자가 제출자료의 충분성·무결성을 사전 평가하여 자료의 품질과 잠재적 심사문제를 조기에 해결할 수 있도록 지원하는 사업

비하여 약 10주 빠르게 품목허가 승인할 수 있었다.

- 신청 적응증에 대하여 전반반응율(ORR)과 반응기간(DoR)을 기반으로 신속 심사가 되었으며 FDA에서는 승인된 용량보다 낮은 용량에 대한 시판후 시험(Postmarketing trial)을 요청하였다.
- 우리나라의 경우 희귀의약품(2021.2.24.) 및 신속심사 대상 지정(2021.4.28.) 되었다.

미국 FDA 혁신의약품 지정 사례 비소세포폐암 치료제		
품목명 (주성분)	루마크라스 (소토라십)	
신청사	암젠	
적응증	이전에 적어도 한번의 전신치료를 받은 적이 있는 KRAS G12C 변이 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암(NSCLC) 성인 환자의 치료	
용법	1일 960mg (120mg 8정) 경구 복용	
지정 종류	혁신의약품 지정	
특이 사항	패스트 트랙(2020.08.05), 우선심사(2021.02.16.), 신속심사(2021.05.28)	
지정 사유	중대한 질환 치료, 예비임상시험 결과 중요한 임상평가 변수에서 기존 치료제 대비 상당한 개선이 있음	
신청 단계	1/2상 진행중	
신청시 제출 자료	비공개	
상 담 이 력	일시	회의
	2019.5.13.	Type B(1상 종료) 회의에서 제안된 소토라십 단일요법 임상 개발 계획 및 KRAS G12C 돌연변이 진행성 비소세포폐암에 대한 소토라십 단일요법 적응증 선정하기 위한 연구의 2상 부분 설계 적절성 논의
	2019.8.6.	Type C ⁸) 회의는 이전에 치료를 받은 전이성 KRAS G12C 돌연변이 진행성 고형 종양(비소세포폐암) 환자의 치료를 위한 소토라십 단일 요법의 적응증에 대한 신속심사(accelerated approval)을 지원하기 위해 계획된 임상 약리학 패키지에 대한 합의
	2019.11.5.	Type B(3상 전) 회의는 국소 진행성 또는 전이성 NSCLC의 2차 치료로서 소라토십 단일요법의 임상적 편익을 검증하기 위해 제안된 3상 치료적 확증 임상시험의 설계에 대한 합의를 도출. 미국 허가사항에 포함시키기 위한 Study 20190009의 환자 자기 보고 결과 데이터 생성을 위한 전략 제안

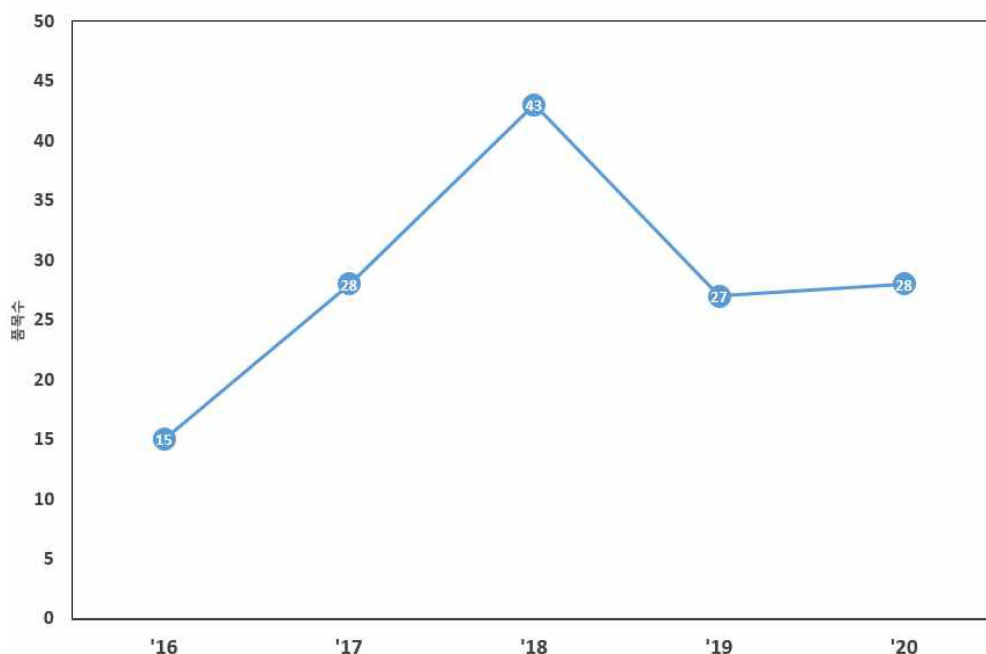
	2020.1.30.	Type C 품질관련 회의는 제안된 시판 원료의약품 및 제품 제조, 관리 전략 및 품목허가의 신속심사(accelerated approval) 가능성을 감안할 때 향후 상업화를 위한 지원 데이터 패키지에 대해 논의
	2020.4.3.	Type C Structure and Format 회의는 소토라십 및 제안된 데이터 표준화 계획의 제안된 구조, 형식 및 내용에 대한 입력 및 합의, 통합 요약의 주요 개념 및 전자 데이터 모의 제출에 대한 피드백
	2020.10.15.	계획된 Type B 품질관련 품목허가 신청 사전 회의. FDA의 의견을 구하고 소토라십에 대해 계획된 품목허가 시 제출이 필요한 데이터 패키지 논의 및 합의
	2020.11.10.	계획된 Type B 품목허가 신청 사전 회의. 허가신청 전 소토라십 비임상 및 임상관련 논의
지정 소요 기간	61일 소요	
신청 방법	전자적으로 제출 (https://www.fda.gov/industry/electronic-submissions-gateway)	
향후 일정	미국 FDA 허가(2021.5.28.)	

8) FDA 공식 meeting 제도는 사안의 중요성에 따라 Type A, Type B, Type C로 나뉜다. Type C meeting은 신약의 개발, 심사와 관련된 모든 종류의 문의를 할수 있으며, 신청자의 서면 요청 접수 후 75일이내 회의 개최

③ 우선심사(Priority Review)

<개요>

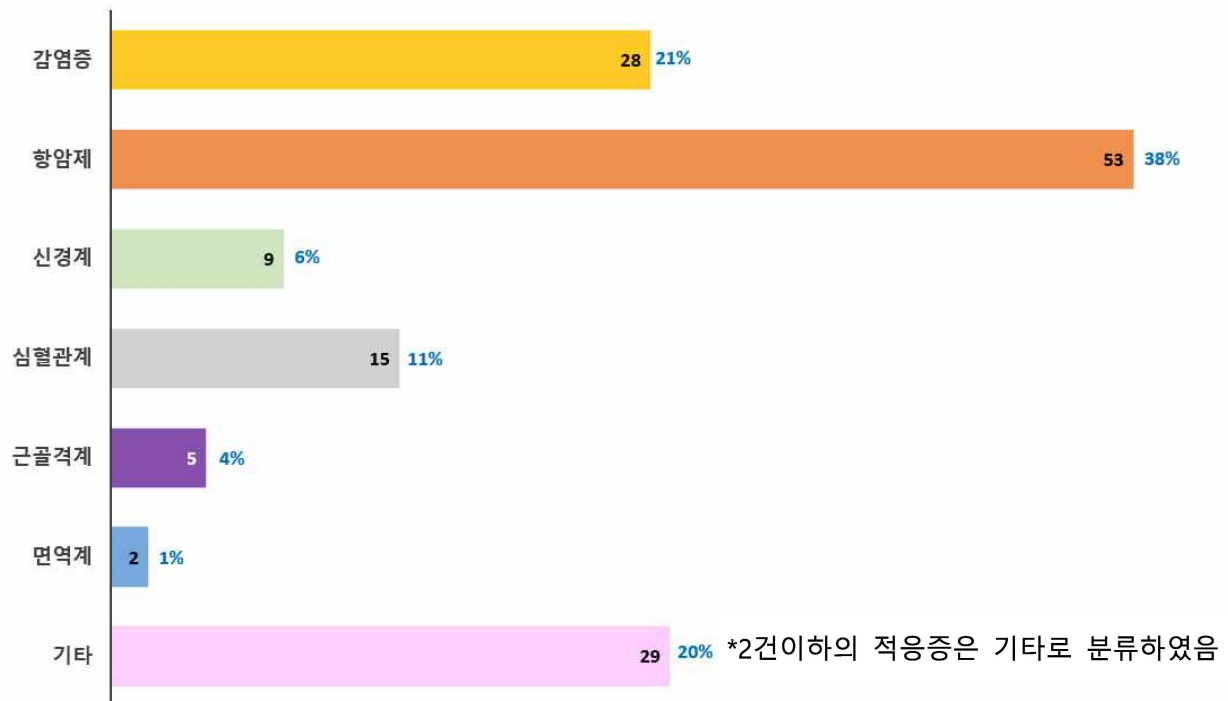
- 우선심사는 중대한 질환의 치료·진단·예방에서 표준치료보다 안전성 및 유효성의 유의한 개선⁹⁾이 입증된 의약품 또는 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물을 대상으로 하며 허가 신청 후 6개월 이내 승인을 목표로 한다.
- 우선심사 지정 신청은 품목허가 신청 시 가능하며, 신청사의 우선심사 지정 신청 없이도 심사자의 판단에 따라 우선심사로 지정할 수 있다.
- 또한, 우선심사로 지정된 품목의 경우 일반심사 품목에 비하여 보완이 없이 허가되는 비율이 높으며, 이는 우선심사 품목으로 지정 시 신청사와 규제 당국간의 ‘허가 전 회의(Pre-submission communication)’을 통해 활발한 의사소통을 하기 때문인 것으로 분석되었다.¹⁰⁾
- 우선심사가 2016년부터 2020년까지 최초허가 시 적용된 건수 141건이었으며, 항암제(42%)와 감염증 치료제(22%)의 비율이 가장 높았다.



<연도별 우선심사 지정 현황(2016~2020년)>

9) 여기서 유의한 개선은 1) 유효성 증가 입증, 2) 치료를 제한하는 약물반응의 감소, 3) 환자 순응도 증가, 4) 소규모 환자집단에서 안전성 및 유효성 입증 등을 포함한다. 즉, 대상 질환군에 대해 이미 적용되는 의약품이 존재하는 경우 지정을 위해 개발 의약품의 상대적인 유효성이나 안전성 측면의 개선점이 비교되어야 한다.

10)Independent Evaluation of FDA's First Cycle Priority Review Performance-Retrospective Analysis Final Report Text



<적응증별 우선심사 지정 현황(2016~2020년)>

<사례>

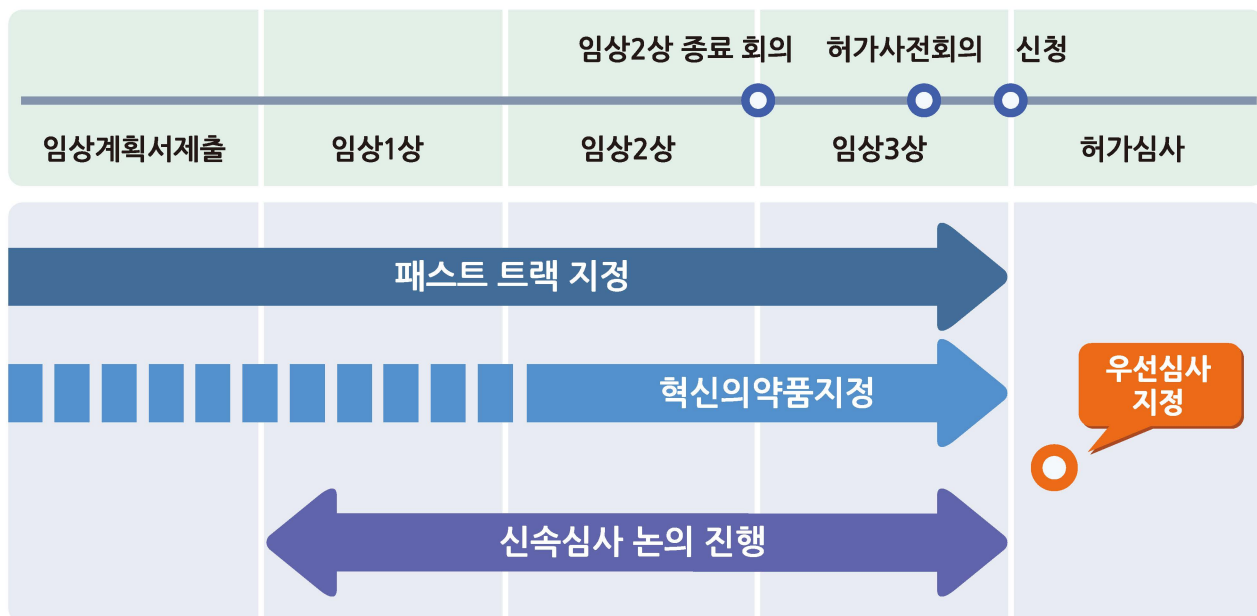
- 오락솔(한미약품)의 적응증은 항암치료 후 6개월내 재발 또는 전이된 유방암의 치료로서, 중대한 질환을 적응증으로 가지며, ‘기존 치료제 대비 안전성 및 유효성 개선 가능성’을 인정받아 우선심사 지정되었다.
- 그 외 미국 FDA 희귀의약품(적응증 혈관육종, 2019.4), 유럽 EMA 희귀의약품(적응증 연조직육종, 2019.10), 영국 MHRA 유망혁신치료제(2017.12)로 지정되었다.
- 주사제를 경구용 항암제로 제형을 변경하는 오라스커버리(ORASCOVERY) 플랫폼 기술을 적용하였다.

미국 FDA 우선심사 지정 사례 유방암 치료제	
품목명 (주성분)	오락솔 (Paclitaxel+ Encequidar)
신청사	한미약품 * 파트너사(Athenex, Inc)에서 신속 프로그램 진행
적응증	항암치료 후 6개월내 재발 또는 전이된 유방암의 치료
용법	매주 연속 3일 동안 하루에 한 번, 공복에 00 mg encequidar를 경구 복용 하고 1시간 후 00 mg/m ² paclitaxel(환자 표면적을 이용해 용량 계산)를 복용
지정 종류	우선심사
지정 사유	중대한 질환 치료제로서, 기존 치료제 대비 안전성 및 유효성 개선 가능성 인정
신청 단계	허가신청(NDA) 시 우선심사 신청
신청시 제출 자료	(비임상) * 괄호안 숫자는 시험 개수임 -약력학자료(28): 약력학(20), 안전성 약리(8) -약동학자료(53): 흡수(23), 분포(11), 대사(5), 배설(6), 약물상호작용(6), 분석 방법 밸리데이션(17) -독성자료(25): 단회(2), 반복(14), 유전독성(3), 생식발생독성(5), 기타(1) (임상) -1상(19): 생체이용률(2), 생물학적동등성(BE)(1), 건강한 사람의 약동학자료(2), 환자군에서의 약동학 자료(2), 약동학에서의 외인성 인자의 영향(2), 건강한 성인에서 약력학(2), 임상시험(8) -2상(2) -3상(1)
상담 이력	Pre-IND 회의 1건 Type C 회의 2건: 기준 및 시험방법 관련 논의, 3상 결과 관련 논의
소요 기간	우선심사 신청 후 지정까지 60일 소요
지정 혜택	일반적인 NDA 심사 기간 (10개월) 대비 짧은 심사 기간 (6개월) 으로 신속한 심사 및 승인 가능
향후 일정	추가 임상 검토 중

2) 미국 FDA 신속 프로그램 신청 절차

<미국 FDA 신속 프로그램 신청절차 및 지정신청 가능 시점¹¹⁾>

미국 FDA 신속 프로그램 신청 절차 및 지정 시점 가능 시점



① 패스트 트랙(Fast Track)

• 지정 요청서 제출 시점

패스트 트랙 지정 신청은 개발자가 품목허가 신청과는 별도로 지정신청을 해야 한다. 신약개발 과정 중 임상계획서 제출시점, 품목허가 신청 시점 등 모든 시점에 요청을 접수할 수 있다. 원활한 진행을 위해서 품목허가 신청 사전회의 전에 신청해야 한다. FDA는 요청 건을 별도로 검토하여 해당 신약이 중대한 질환의 의학적 미충족 해결 여부에 따라 신청 60일 이내에 결과를 회신한다.

• 지정 요청서 작성방법

지정 요청서는 임상시험 계획서 제출시와 임상시험 계획서 변경시에 모두 제출할 수 있다. 지정 요청서를 최초 임상시험계획서<부록 5>와 함께 제출할 경우 표지에 굵은 대문자로 'INITIAL INVESTIGATIONAL NEW DRUG

11) 미국 FDA에서 패스트 트랙은 품목허가 사전회의 전, 혁신의약품 지정은 2상임상시험 종료 후 회의 전 신청할 것을 권장하고 있다.

SUBMISSION'와 'REQUEST FOR FAST TRACK DESIGNATION' 모두 표기한다.
임상시험계획서 변경시 제출할 경우 'REQUEST FOR FAST TRACK DESIGNATION' 라고 표기한다.

지정요청서에는 다음의 정보를 기재한다.

- 표지에 신청사의 담당자 성명, 주소, 전자우편, 전화번호, 팩스번호 기재
 - 임상시험계획서승인 번호(해당되는 경우)
 - 임상시험계획서 심사중일 경우 해당 부서
 - 완제의약품의 경우 상품명, 주성분(생물학적제제의 경우 일반명, 상품명)
 - 적응증
- 지정 요청 시 제출자료
 - 중대한 질환 치료제에 대한 근거
 - 시급한 의학적 과제 해결 가능성 입증 근거 (예, 평가 목적의 임상시험에 대한 설명)
 - 패스트트랙 지정 요청 입증 자료 요약
 - 임상시험계획서승인 신청서 표지 예시

[회사이름/CI]
Month XX, 201X Food and Drug Administration Center for Drug Evaluation and Research Division of [Therapeutic Area] Central Document Room 5901-B Ammendale Rd. Beltsville, MD 20705-1266 신청서 표지에 표기 RE: INITIAL INVESTIGATIONAL NEW DRUG SUBMISSION' REQUEST FOR FAST TRACK DESIGNATION Dear Dr. [Division Director]: Per 21 CFR 312.20, please find enclosed three copies of this initial application for a Sponsor-Investigator IND. We propose to evaluate [Drug generic name (Trade Name®)] under this IND for safety and efficacy for the treatment of [disease or condition]. This submission also contains the initial study protocol [Study Number] Protocol v. 1.0 entitled, "A Multi-center, Randomized, Placebo-Controlled, Double-Blind Study of the Effects of [Drug] on [condition] in [disease]." If you have any questions regarding this submission, please contact myself or Name of Sub-Investigator or other contact at phone number or email address. Name of Sub-Investigator or other contact can act on my behalf on any issue relating to this IND. Sincerely, [Sponsor Name], MD

Title
Institution
Phone number
Email address

cc: file
submitted in triplicate: *Form FDA 1571*
Initial Investigational New Drug Application
[Study Number] Protocol v. 1.0]

- **소요 기간**

FDA는 패스트트랙 지정 요청을 받으면 요청서 접수 후 60일내 회신한다.

② 혁신의약품지정(Breakthrough Therapy Designation)

- **지정 요청서 제출 시점**

혁신의약품지정 신청은 신청자가 별도로 해야 하며 신약개발 과정 중 언제라도 지정 요청서를 접수할 수 있다. 다만, 해당 품목이 임상적으로 유의한 평가변수 하나 이상을 기존 치료법과 비교하여 상당히 개선하는 것을 입증할 수 있는 임상 시험 결과를 확보한 이후에 요청서를 제출할 수 있다. 또한 원활한 진행을 위해서 지정요건 중 어느 하나라도 충족한다면 늦어도 2상 임상시험 종료 회의 전에 혁신의약품지정 신청하는 것을 권고하고 있다.

이미 혁신의약품지정을 받은 품목에 대하여 다른 적응증을 혁신의약품 지정 요청할 경우 별도의 요청건으로 신청해야 한다.

- **지정 요청서 작성방법**

지정 요청서는 임상시험 계획서 제출시와 임상시험 계획서 변경시에 모두 제출할 수 있다. 지정 요청서를 최초 임상시험계획서와 함께 제출할 경우 표지에 굵은 대문자로 'INITIAL INVESTIGATIONAL NEW DRUG SUBMISSION'와 'REQUEST FOR BREAKTHROUGH THERAPY DESIGNATION' 모두 표기한다. 임상시험계획서 변경시 제출할 경우 'REQUEST FOR BREAKTHROUGH THERAPY DESIGNATION' 라고 표기한다.

지정요청서에는 다음의 정보를 기재한다.

- 표지에 신청사의 담당자 성명, 주소, 전자우편, 전화번호, 팩스번호 기재
- 임상시험계획서승인 번호(해당되는 경우)

- 임상시험계획서 심사중일 경우 해당 부서
- 적응증
- 지정 요청 시 제출자료
 - 혁신의약품지정 요청 입증 자료 요약
 - 완제의약품의 경우 상품명, 주성분(생물학적제제의 경우 일반명, 상품명)
- 임상시험계획승인 신청서 표지 예시

[회사이름/CI]

Month XX, 201X

Food and Drug Administration
Center for Drug Evaluation and Research
Division of [Therapeutic Area]
Central Document Room
5901-B Ammendale Rd.
Beltsville, MD 20705-1266

신청서 표지에 표기

RE: **INITIAL INVESTIGATIONAL NEW DRUG SUBMISSION
REQUEST FOR BREAKTHROUGH THERAPY DESIGNATION**

Dear Dr. [Division Director]:

Per 21 CFR 312.20, please find enclosed three copies of this initial application for a Sponsor-Investigator IND. We propose to evaluate [Drug generic name (Trade Name®)] under this IND for safety and efficacy for the treatment of [disease or condition].

This submission also contains the initial study protocol [Study Number] Protocol v. 1.0 entitled, "A Multi-center, Randomized, Placebo-Controlled, Double-Blind Study of the Effects of [Drug] on [condition] in [disease]."

If you have any questions regarding this submission, please contact myself or Name of Sub-Investigator or other contact at phone number or email address. Name of Sub-Investigator or other contact can act on my behalf on any issue relating to this IND.

Sincerely,

[Sponsor Name], MD
Title
Institution
Phone number
Email address

cc: file
submitted in triplicate: *Form FDA 1571
Initial Investigational New Drug Application
[Study Number] Protocol v. 1.0]*

- 소요 기간

FDA는 혁신의약품 지정 요청을 받으면 요청서 접수 후 60일내 회신한다.

③ 우선심사(Priority Review)

- 지정 요청서 제출 시점

신청자는 품목허가 신청 시 우선심사 지정 요청서를 제출한다. 심사팀은 신청자의 요청이 없어도 품목에 따라 우선심사로 지정할 수 있다. 우선심사 대상 지정 시 FDA에서 발간한 가이드라인¹²⁾을 참고한다. 소아대상 임상 결과를 제출하여 허가 변경 신청하는 경우 등 소아 적응증 심사에 대한 사항은 자동적으로 우선심사 대상이 된다. FDA는 일반적으로 보완자료 제출 완료된 시점에서는 우선심사 지정 요청을 받지 않는다.

- 지정 요청서 작성방법

우선심사 지정 요청서 표지에 굵은 대문자로 'REQUEST FOR PRIORITY REVIEW DESIGNATION'를 표기하고 다음의 정보를 포함한다.

- 표지에 신청사의 담당자 성명, 주소, 전자우편, 전화번호, 팩스번호 기재
- 임상시험계획서승인 번호(해당되는 경우)
- 임상시험계획서 심사중일 경우 해당 부서
- 적응증
- 완제의약품의 경우 상품명, 주성분(생물학적제제의 경우 일반명, 상품명)

- 지정 요청 시 제출자료

- 우선심사 요청 입증 자료 요약

- 소요 기간

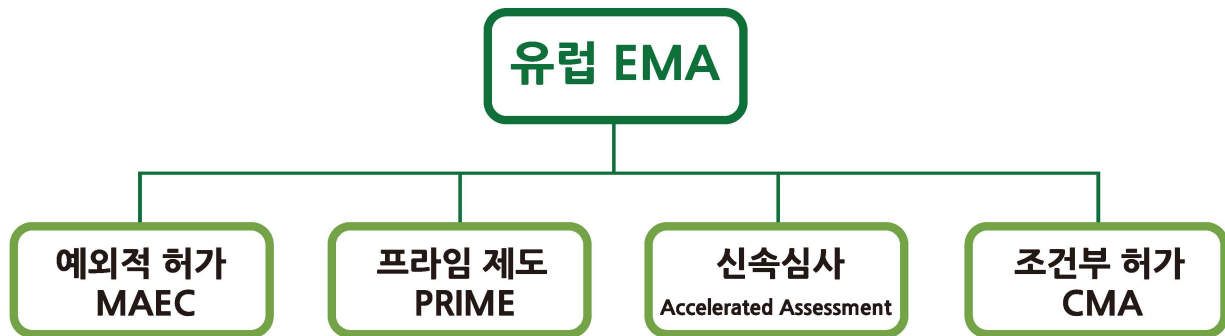
FDA는 우선심사 지정 요청을 받으면 요청서 접수 후 60일내 회신한다.

④ 신속심사(Accelerated Approval)

신속심사는 별도의 지정이 필요없으며 허가 사전 회의 시 신속심사 진행여부를 논의할 수 있다.

12) Expedited Programs for Serious Conditions-Drugs and Biologics based on information and data available at the time the application is submitted to determine whether an application qualifies for priority review designation.

2. 유럽 EMA 신속 프로그램



< 유럽 EMA 신속 프로그램 분류 >

1) 유럽 EMA의 신속 프로그램 사례

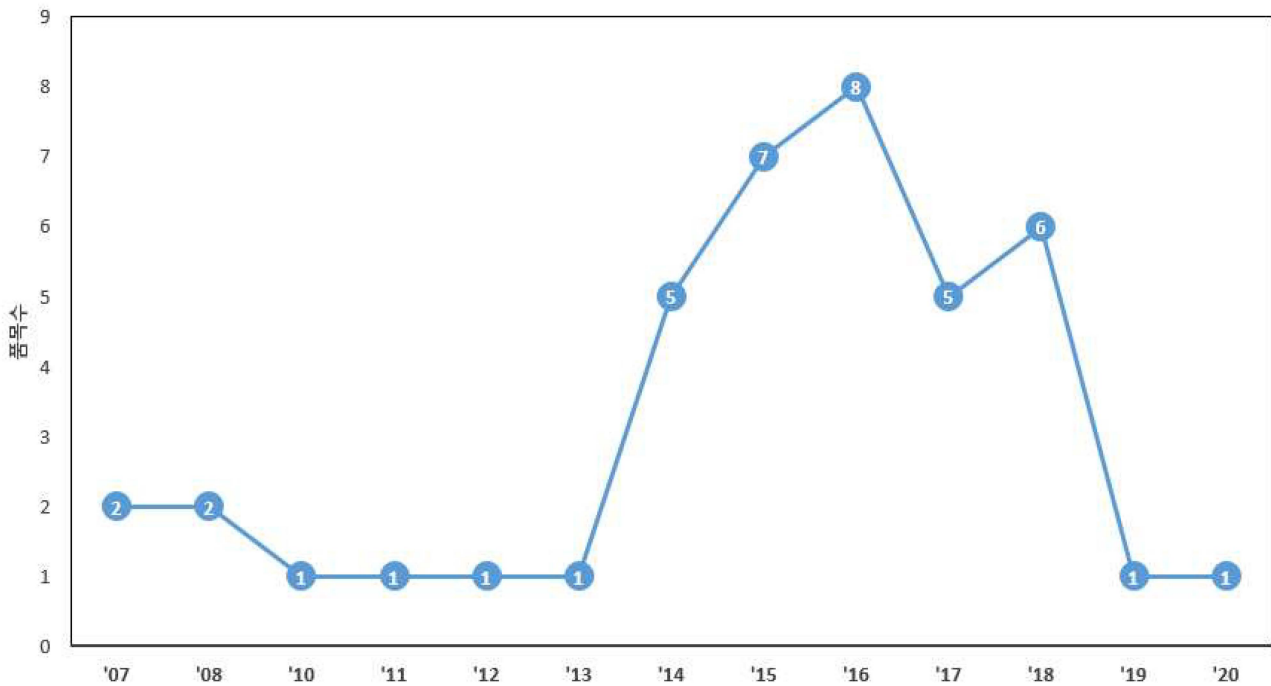
① 신속심사(Accelerated Assessment)

<개요>

- 신속심사는 2005년 혁신적 치료제에 대해 심사기간을 단축하기 위하여 도입되었으며, 허가심사 기간을 기존 210일에서 150일로 단축 할 수 있다.
- 신속심사 대상은 다음과 같다.
 - 공중 보건에 이익이 되는 경우
 - 새로운 치료법을 도입하거나 기존 치료법을 개선하여 의학적 미충족을 해결하는 경우
 - 질병의 예방, 진단 방식이 기존보다 상당히 개선되었음을 입증하는 경우
- 유럽 EMA는 신속심사로 2007년부터 2020년까지 총 41품목을 허가하였으며, 허가 품목으로는 만성 C형 간염 치료제, 다발성 골수종 등이 있다.

신속심사 적응증	
• 만성 C형 간염 바이러스 감염	• 낭포성 섬유증(CF)
• 유전성 X 인자 결핍	• 다발성 골수종
• HIV-1 감염	• 고셔병
• 다발성 신경병증	• 바덴병(CLN2)
• β 지중해빈혈(TDT)	• 유전성 혈관부종(HAE)
• 척수성 근위축증(SMA)	• 연조직육종(STS)

<유럽 EMA 신속심사 적응증 예>



<연도별 신속심사 지정 현황(2013~2020년)>

<사례>

- 엔허투주(다이이찌산쿄)는 항체약물복합체(antibody-drug conjugate)로 적응증은 유방암이며, ‘공중 보건 관점에서 의미가 있는 경우’에 해당하여 유럽 EMA 신속심사 지정을 받았다.
- 그 외 유방암, 위암에 대해 미국 FDA 혁신의약품 지정 및 우선심사, 위암에 대해 PMDA 사키가케 지정을 받았으며, 미국 FDA 최초 승인(유방암)의 경우, 품목 개발부터 4년 3개월, 생물의약품허가신청(BLA) 4개월 만에 승인(2019.12.20.)되었다.

* 유럽 EMA 신속심사 지정(유방암, 2020.3), 미국 FDA 우선심사 지정(유방암, 2019.10.17. 위암, 2020.10.27.), 일본 PMDA 사키가케 지정(위암, 2018.3.27.)

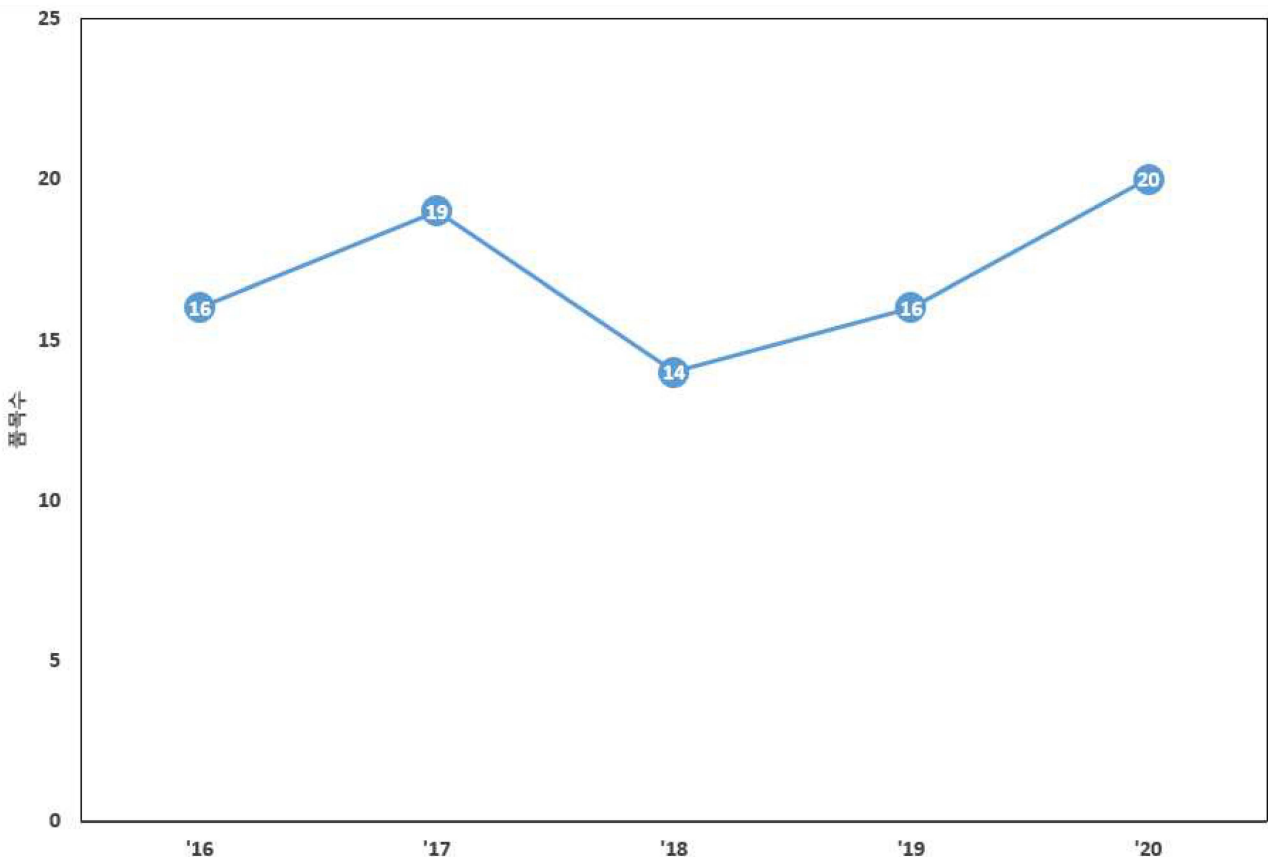
- 우리나라에서도 유방암 및 위암에 대해 신속심사 대상으로 지정(2021.6.14.) 되었으며, 지정 사유는 생명을 위협하거나 중대한 질환으로 기존 치료법 대비 유효성 개선이었다.

유럽 EMA 신속심사 사례 유방암 치료제	
품목명 (성분명)	엔허투주 (트라스투주맙 데룩스테칸)
신청사	다이이찌산쿄
적응증	이전에 항 HER2 치료를 포함하여 두 개 이상의 요법을 투여 받은 절제 불가능한 또는 전이성 HER2 양성 유방암 환자의 치료
용법	5.4 mg/kg 정맥투여
지정 종류	신속심사
특이 사항	미국 FDA 혁신의약품 지정, 우선심사 지정
지정 사유	공중 보건의 관점에서 의미가 있음(Considered to be of major public health interest)
신청 단계	지정 당시 임상 2상 결과, 진행 중인 3상 임상시험 결과를 바탕으로 신속 심사 지정됨
신청시 제출 자료	비공개
상담 이력	비공개
지정 소요 기간	비공개
신청 방법	품목허가 신청(MAA) 전, 근거 서류와 함께 '사전 제출 미팅(Pre-submission meeting)'을 전자적으로 신청
지정 혜택	허가 심사 소요 기간 단축: 210일 → 150일
향후 일정	유럽 EMA 조건부 허가(2021.1.18.), 미국 FDA 조건부 허가(2019.12.20.), 일본 PMDA 조건부 조기 허가(2020.3.25.)

② 프라임(PRIME) 제도

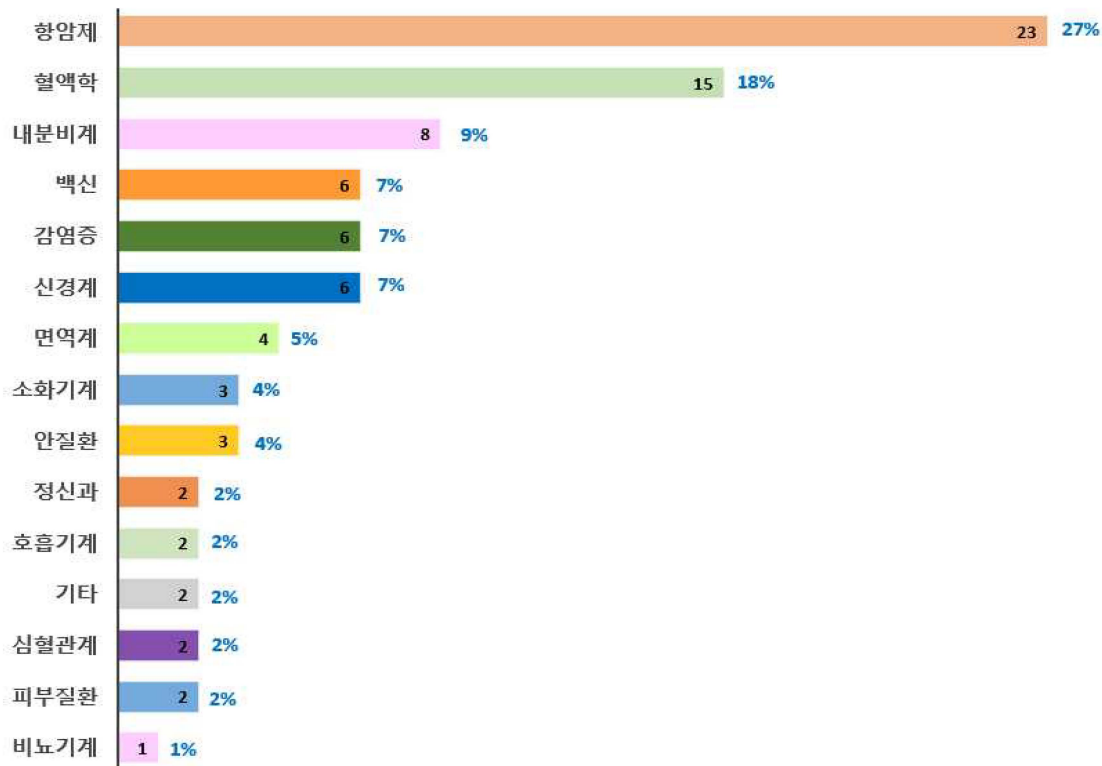
<개요>

- 프라임 제도는 개발 초기부터 개발자와 규제기관이 협력하여 품목허가를 위한 임상 시험 설계를 강화하는 것을 목표로 한다.
- 프라임 제도의 대상은 의학적 미충족이 있는 경우, 의학적 미충족을 해결할 가능성이 있는 경우 이다.
- 유럽의 프라임제도 지정은 도입 후 2020년까지 총 85건¹³⁾으로 매년 지정 건수는 증가하고 있으며, 항암제(27%)와 감염증 치료제(22%)의 비율이 가장 높았다.



<연도별 프라임 지정 현황(2016~2020년)>

13) 유럽 EMA 프라임 지정 후 지정 취소는 6건, 이미 허가되었거나 허가 진행 중인 21건, 허가 진행 중 취소 2건, 허가 중 반려 1건 포함



<적응증별 프라임 지정 현황(2016 ~ 2020년)>

<사례>

- 폴라이비주(로슈)는 항체약물복합체(antibody-drug conjugate)으로 ‘의학적 미충족을 해결할 가능성’에 해당하여 유럽 프라임 제도에 지정되었다.
- 폴라이비주는 유럽 EMA의 조건부 허가를 받았으며 그 사유는 다음과 같다.
 - 신청품목의 유익성-위해성 균형이 긍정적임
 - 신청사가 허가 이후 후속 임상 결과를 포함한 종합적인 자료 제공 가능함
 - 신청품목이 미충족 의료 수요를 충족
 - 신청품목을 환자에게 즉시 사용할 수 있다는 이점이 추가 자료가 여전히 필요하다는 사실에 따른 위해성보다 큼
- 미국 FDA에서는 희귀의약품 지정, 신속심사, 우선심사를 통해서 허가되었다.
 - 미국 FDA 희귀의약품 지정(2016.12.12.)
 - * 지정사유: 중대한 상태에 대하여 기존 치료법과 비교 시 상당한 개선
 - 미국 FDA 혁신의약품 지정, 우선심사 및 신속심사 후 승인(2019.6.10.)
 - * 무작위 대조 임상시험에서 완전반응율 기반으로 신속심사 수행

- 다음 사례는 유럽 EMA프라임 지정 사례이며, 품목허가 시에는 신속심사가 진행되었다.
- 우리나라에서는 폴라이비주[(폴라투주맙 베도틴), (주)한국로슈]로 일반심사로 허가(2020.10.26.) 되었다.

유럽 EMA 프라임 지정 사례 미만성 거대 B세포 림프종 치료제		
품목명 (성분명)	폴라이비주 (Polatuzumab vedotin)	
신청사	Roche Registration GmbH	
적응증	조혈모세포이식이 적합하지 않은 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종 성인 환자에서 벤다무스틴 및 리툽시맙과의 병용 요법	
용법	1.8 mg/kg의 용량을 6주기 동안 벤다무스틴 및 리툽시맙과 병용하여 21일 간격으로 정맥 내 투여	
지정 종류	프라임 제도	
특이 사항	유럽 EMA	- 희귀의약품지정(2018.4.16.), 신속심사(Accelerated assessment)(2018.12.13.), 조건부허가(Conditional marketing approval)(2020.1.16.) - 신물질이므로 추가 모니터링 약물(Medicines under additional monitoring)이며 품목정보에 기재해야 함
	미국 FDA	- 혁신의약품지정(Breakthrough Therapy Designation)(2017.09.12.) - 우선심사(Priority Review)(2019.2.14.)
지정 사유	R-CHOP항암요법 후 미만성 거대 B세포 림프종(DLBCL)결과의 전반적인 개선에도 불구하고 환자의 약 30-40%는 초기 치료에 반응하지 않거나 결국 재발하므로 의학적 미충족으로 판단	
신청시 개발 단계	임상 1b/2상 진행 중 신청	
신청시 제출 자료	임상1b/2상 연구: GO29365 추가 연구 자료: DCS4968g(1/1b), GO27834(2), GO29044(1b)	
	시험 번호	목적
	GO29365	(임상 1b/2상) 안전성과 내약성, 항암효과 평가 - 시험약물: ① 폴라투주맙 베도틴과 리툽시주맙 ② 폴라투주맙 베도틴과 오비누투주맙, 벤다무스틴 - 적응증: 재발 난치성 여포성 림프종, 거대 미만성 B세포 림프종 - 공개시험, 다기관 공동임상

유럽 EMA 프라임 지정 사례 미만성 거대 B세포 림프종 치료제		
	DCS4968g	(임상 1상) 용량증가 시 안전성, 약동학 - 시험약물: ① 폴라투주맙 베도틴 ② 폴라투주맙 베도틴과 리툽시맙 - 적응증: 재발성, 난치성 B세포 비호지킨 림프종, 만성 림프구 백혈병 - 공개시험, 다기관 공동임상
	GO27834	(임상 2상) 안전성, 항암효과 평가 - 시험약물: ① 피나투주맙 베도틴, 리툽시맙 병용투여 ② 폴라투주맙 베도틴, 리툽시맙 병용투여 - 적응증: 재발성 또는 난치성 B세포 비호지킨 림프종
		(임상 1b/2상) - 시험약물: ① 폴라투주맙 베도틴, 오비누투주맙 병용투여 - 적응증: 재발성 또는 난치성 B세포 비호지킨 림프종
	GO29044	(임상 1b/2상) 안전성, 내약성, 항암효과 평가 - 시험약물: ① 폴라투주맙 베도틴과 다음 약물들과의 병용 투여 * 리툽시맙, 오비누투주맙, 사이클로포스파마이드, 독소루비신, 프레드니손 - 적응증: B세포 비호지킨 림프종
상답 이력	- PRIME multidisciplinary kick-off meeting: 2017.10.13 - PRIME Collaborative meeting with PRIME rapporteur and PRIME coordinator: 2018.05.16	
지정 심사기간	지정신청(2017.04.26.)부터 지정(2017.06.22.)까지 40일 소요	
허가 기간	유럽 약 13개월 소요 (허가일자: 2020.1.16.) ※ 미국 약 6개월 소요 (허가일자: 2019.6.10.)	
신청 방법	최초 허가신청 이전 프라임 지정에 대하여 EudraLink를 통해 전자적으로 신청	

유럽 EMA 프라임 지정 사례 미만성 거대 B세포 림프종 치료제	
지정 혜택	EMA의 CHMP 심사위원 조기 임명 EMA, CHMP 심사위원, 다학제적 전문가들과의 킥 오프 미팅을 통한 개발 프로그램 및 규제 전략에 대한 논의 품목허가 신청 전 전반적인 개발 계획에 대한 규제 상담 및 과학적 자문 제공 * 필요시 EMA/의료기술평가기관(Health Technology Assessment)의 동시 자문 제공

2) 유럽 EMA 신속심사 신청 절차

① 신속심사(Accelerated Assessment)

- 지정 요청서 제출 시점

신청자는 품목허가 신청 2~3개월전 신속심사를 신청한다. EMA는 신속심사 전 제출자료 준비를 위해 신속심사 신청 6~7개월 전에 사전상담을 권고하고 있다. 신청자는 상담 시 약물사용자문위원회(Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) 품목 담당자 및 약물감시 위험 평가 위원회(Pharmacovigilance Risk Assessment Committee) 또는 혁신적 치료 위원회(Committee for Advanced Therapies)와 같은 전문가 위원회와 함께 논의할 수 있다. 사전 상담은 전자적으로 신청하며, 관련 자료를 다음과 같이 제출한다.

- 공중 보건의 이익을 입증할 수 있는 자료
- 질병의 예방, 진단 또는 치료 방법이 기존보다 개선됨을 입증할 수 있는 자료
- 의학적 미충족 해결에 대한 근거
- 의약품의 효과, 중요성, 의약품의 부가가치 및 의료 행위에 대한 영향, 안전성 평가변수, 기타 건강 결과(예: 환자 보고 결과, 입원 횟수)를 기반으로 한 이점 및 위험에 대한 설명

- 지정 요청서 작성방법

신청자는 신속심사에 대한 자료를 EMA 서비스 데스크 (<https://servicedesk.ema.europa.eu/jira/servicedesk/customer/portal/23>)로 제출해야 한다. EMA 서비스 데스크 접수 시 요청 유형 ‘제출전 요청(pre-submission phase request)’, ‘신속심사(accelerated assessment)’ 를 차례로 선택한다.

- 판매허가 신청 사전 제출 요청서<부록 2>
- 신속심사 요청서<부록 3, 신속심사 요청서 작성 가이드라인 참고>

- 판매허가 신청 사전 제출 요청서 예시



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Presubmission request Form

Request for a European Medicines Agency procedure prior to the submission of a marketing authorisation application or Article 58 Application¹

Complete for all types of Requests:

신속 심사 선택

* This Request is for a : ☒ Human Medicinal Product ☐

* Scope of Request: Centralised Procedure-Accelerated review of MAA

* Date of Request

Pre submission Request Number:
(Provide if already allocated - mandatory if withdrawing the request)

EMA Product Number:
(Provide if already allocated)

* Intended submission date of Marketing Authorisation Application or Art 58 Application:

¹For products for human use: a date must be provided for an Intent to submit MA or Art 58 Application Request.

- 신속심사 요청서 예시(신속심사 요청서 작성 가이드라인 일부 발췌)



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)
Committee for Advanced Therapies (CAT)

Text in purple: applicable for ATMPs only

Briefing Note and Recommendations on a Request for Accelerated Assessment Pursuant to Article 14 (9) of Regulation (EC) No 726/2004

Active substance(s): **<active_substance>**

EMA product number: **<product_number>**

REVISION: February 2021

Guidance text is in green italics. You may print a copy of this template with the guidance text, then delete all guidance text except in the comment's boxes:

Bracketing convention: <text> - Text to be selected or deleted as appropriate.

Do not change or delete the titles and the numbering style. Add "Not applicable" if necessary.

Do not delete the comment boxes, nor its content including the guidance text in green italics as this document will also be used by the Rapporteurs for their assessment.

② 조건부허가(Conditional Marketing Authorization)

- 지정 요청서 제출 시점

판매 허가 신청서(marketing authorization application)<부록 4>에 조건부 판매 허가 요청을 표시하여 제출한다.

EMA는 신청자가 판매 허가 신청 최소 7개월전 사전회의를 통해 추후 일정에 대해서 논의할 것을 권장한다.

EMA는 조건부 판매 허가에 적합한 것으로 예상되는 품목의 경우 신속 심사 지정도 고려할 것을 권장한다.

- 지정 요청서 작성방법

신청자는 판매 허가 신청서에 조건부 허가 요청을 기재해야 한다.

* 유럽 EMA 홈페이지 허가 신청전 가이드(Pre-authorisation guidance, <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/marketing-authorisation/pre-authorisation-guidance#2.-steps-prior-to-submitting-the-application-section>)를 참고한다.

- 유럽 EMA 판매허가 신청서



**EUROPEAN COMMISSION
HEALTH AND FOOD SAFETY DIRECTORATE-GENERAL**

Health systems, medical products and innovation

eAF Version Number: 1.25.0.0

Revision 15

NOTICE TO APPLICANTS

Medicinal Products for Human Use

VOLUME 2B

**Module 1.2: Administrative information
Application form**

September 2021

1. TYPE OF APPLICATION

Note: The following sections should be completed where appropriate.

1.1 THIS APPLICATION CONCERNS

- ☐ 1.1.1 A CENTRALISED PROCEDURE
(according to Regulation (EC) No 726/2004)
- ☐ 1.1.2 A MUTUAL RECOGNITION PROCEDURE
(according to Article 28(2) of Directive 2001/83/EC)
- ☐ 1.1.3 A DECENTRALISED PROCEDURE
(according to Article 28(3) of Directives 2001/83/EC)
- ☐ 1.1.4 A NATIONAL PROCEDURE

1.2 ORPHAN MEDICINAL PRODUCT DESIGNATION

1.2.1 HAS ORPHAN DESIGNATION BEEN APPLIED FOR THIS MEDICINAL PRODUCT?

- ☐ Yes ☐ No

1.2.2 INFORMATION RELATING TO ORPHAN MARKET EXCLUSIVITY

Has any medicinal product been designated as an Orphan medicinal product for a condition relating to the indication proposed in this application?

- ☐ Yes ☐ No

1.3 APPLICATION FOR A CHANGE TO EXISTING MARKETING AUTHORISATION LEADING TO AN EXTENSION AS REFERRED TO IN ANNEX I OF REGULATIONS (EC) NO

<중략>

1.4.7 ☐ Article 10c informed consent application

Note: - Application for a medicinal product possessing the same qualitative and quantitative composition in terms of active substances and the same pharmaceutical form of an authorised product where consent has been given by the existing marketing authorisation holder to use their data in support of this application
- Complete administrative data should be provided with consent to pharmaceutical, preclinical and clinical data
- The authorised product and the informed consent application can have the same or different MAH

1.4.8 ☐ Article 16a Traditional use registration for herbal medicinal product

Note: Complete application
Refer to Notice to Applicants, Volume 2A, Chapter 1

1.5 CONSIDERATION OF THIS APPLICATION REQUESTED UNDER THE FOLLOWING ARTICLE DIRECTIVE 2001/83/EC OR REGULATION (EC) NO 726/2004³

1.5.1 ☐ Conditional Approval

Note: centralised procedure only according to Article 14(7) of Regulation (EC) No 726/2004 and Commission Regulation (EC) No 507/2006

1.5.2 ☐ Exceptional Circumstances

Note: According to Article 22 of Directive 2001/83/EC and Article 14(8) of Regulation (EC) No 726/2004

1.5.3 ☐ Accelerated Review

Note: Centralised procedure only according to Article 14(9) of Regulation (EC) No 726/2004

1.5.4 ☐ Article 10(1) of Directive 2001/83/EC / Article 14(11) of Regulation (EC) No 726/2004 (one year of market protection for a new indication)

1.5.5 ☐ Article 10(5) of Directive 2001/83/EC (one year of data exclusivity for a new indication)

1.5.6 ☐ Article 74(a) of Directive 2001/83/EC (one year of data exclusivity for a change in classification)

③ 프라임 제도(PRIority MEDicines, PRIME)

- 지정 요청서 작성방법

신청자는 EMA 홈페이지에 공개된 프라임 제도 평가 일정 및 제출 마감일을 확인하고 신청한다.

신청자는 ‘프라임 제도 적용을 위한 신청자 안내서’ (European Medicines Agency Guidance for applicants seeking access to PRIME scheme)를 참고하여 EMA 홈페이지에 공개되어 있는 다음의 서류를 작성하여 제출 (<https://eudralink.ema.europa.eu> 또는 prime@ema.europa.eu)한다.

- 프라임 제출전 요청서(Pre-submission request form - PRIME)<부록 5>
- 근거자료 양식(Applicant's justification template)(MS워드 파일로 제출)
- 근거 문헌(압축파일로 제출)

EMA는 프라임제도 신청 후 40일 이내에 심사결과를 통보한다. 프라임 제도 지정이 안될 경우 심속심사(Accelerated Assessment)등 다른 심속심사 프로그램을 이용할 수 있다. 약물사용자문위원회(CHMP)는 프라임 제도 지정 여부에 대하여 월 1회 품목명, 품목분류, 적응증, 제출자료 종류 등에 대하여 공개하고 있다.

- 유럽 EMA 프라임 제출전 요청서

3. 일본 PMDA 신속 프로그램



< 일본 PMDA 신속 프로그램 분류 >

1) 일본 PMDA 신속 프로그램 사례

① 사키가케 지정(SAKIGAKE Designation)

<개요>

- 사키가케 지정 대상은 다음과 같다.
 - (치료제의 혁신성) 기허가 의약품과 작용 기전은 동일하지만 적응증이 다른 의약품으로 개발된 의약품 및 혁신적인 약물 전달 시스템을 사용하는 약물
 - (질병의 중대성) 생명을 위협하는 심각한 질병이거나, 지속적인 증상 (사회생활 유지가 어려운 상태)을 나타내고 근본적인 치료법이 없는 질환
 - (유효성 개선) 기존 치료법이 없거나, 기존 치료제보다 안전성·유효성이 상당히 높을 것으로 예상되는 경우
 - (자국내 개발) 일본에서 가장 먼저 허가신청(또는 일본을 포함한 다국가 허가신청)이 계획되어야 하며, 체계적인 허가신청 계획을 갖추고 있어야 함 (동반진단제 등 같이 사용되는 제품이 있는 경우 해당 제품의 허가를 동시에 신청하기 위해 업체간 협력 등 체계적인 계획 포함). 또한 일본에서 지속적으로 개발한 품목인 경우임. 신청 대상 품목은 일본에서 임상 1상 시험 연구가 수행되고, 일본에서 개념 증명(Proof of Concept) 연구가 수행된 품목

<사례>

- 엔허투주(다이이찌산쿄)는 유럽 EMA 신속심사 사례로 이미 소개하였지만, 일본과의 비교를 위해 일본 PMDA 사키가케 지정 사례로서도 제시한다.
- 일본 PMDA 사키가케는 유럽 EMA 프라임, 미국 FDA 혁신의약품 지정과 유사한 제도로 동일 품목의 규제기관별 지정 사례를 비교하기 위하여 선정하였다.
- 일본 PMDA 사키가케 지정의 적응증은 위암, 미국 FDA 혁신의약품 지정 적응증은 유방암 및 위암이었다.
- ‘신청시 제출자료’는 신청사의 비공개 요청으로 PMDA 홈페이지 공개자료 및 논문자료 등을 요약기재하였다.
- 다음 표에 사키가케 지정 내용 외 미국 FDA 혁신의약품 지정 사유, 지정시 신청단계 등을 같이 기재하였다.

일본 PMDA 사키가케 지정 사례 재발성 위암 치료제	
품목명 (주성분)	엔허투주 (트라스투주맙 데룩스테칸)
신청사	다이이찌산쿄
적응증	항암 화학요법 이후 진행된 절제 불가능한 진행성 또는 재발성 HER2-양성 위암 (HER2-positive unresectable advanced or recurrent gastric cancer that has progressed after cancer chemotherapy) ¹⁴⁾
용법	6.4 mg/kg 정맥투여
지정 종류	사키가케 지정 * 참고: 엔허투주는 사키가케 제도의 시범 운영 기간에 사키가케 지정되었음
특이 사항	미국 FDA 혁신의약품 지정, 우선심사 지정
지정 사유	다음의 사유로 사키가케 지정하였음 • 치료의 혁신성(Innovativeness of the treatment): 트라스투주맙은 항인간 표피성장인자 수용체 2형(anti-human epidermal growth factor receptor type 2 (HER2)) 항체가 약물(암세포에서 세포 사멸을 유도하는 저분자 화합물)에 연결된 약물이다. 신청자에 의해 개발된 결찰(ligation) 기술을 통해 많은 수의 약물을 항체에 결합할 수 있게 되었다. • 질병의 중대성(Seriousness of disease): 대상 질환은 항암화학요법 후 진행된 절제불가능한 진행성 HER2-양성 위암(위암의 약 15 %에 해당)으로, 이는 생명을 위협하는 심각한 질환이다. • 유효성 개선(Substantial effectiveness): 임상연구에서 표준치료에 불응 또는 불내성(intolerance)을 나타내는 환자에게서 높은 반응률(43 %)을 보였다. • 자국내 개발 및 신청(Early development and application in Japan): 임상 2상이 진행 중으로, 세계 선주두자로서 일본에서 허가 승인을 신청할 계획이다. (참고) 미국 FDA 혁신의약품지정 사유 중대한 질병의 치료 및 예비 임상 근거를 바탕으로 사용 가능한 치료법 대비 임상적으로 유의한 평가변수에서의 상당한 개선이 입증되어 지정

일본 PMDA 사키가케 지정 사례 재발성 위암 치료제	
신청 단계	엔허투주(DS-8201)의 안전성, 내약성 및 예비효능을 평가하는 진행 중인 임상 1상 연구결과에 근거하여 지정됨 지정시점에서 임상 2상 진행중 (비교) 미국 FDA 혁신의약품지정은 임상 1상 및 임상 2상의 결과를 바탕으로 지정
신청시 제출 자료	※ 신청사에서 비공개 요청하였으며 후생성 보도자료 등 공개된 사항을 기재하였음 (후생성 보도자료) 임상 1상 시험에서 표준 치료에 반응하지 않는 환자에 대하여 높은 반응율 43%를 확인한 자료 제출¹⁵⁾ (논문) 진행성 또는 재발성 HER2-양성 위암 환자에서 객관적 반응율, 반응 지속 기간, 무진행 생존율, 전체 생존율을 확인하였음¹⁶⁾
상담 이력	비공개
지정 소요 기간	비공개 ※ 사키가케 지정은 처리기한이 지정되어 있지 않음
신청 방법	사키가케 지정 관련 서류를 일본 PMDA에 우편으로 신청
지정 혜택	사키가케 지정의 공식적인 지정 혜택은 다음과 같다. 1) 우선적인 상담(Prioritized Consultation): 상담 대기 시간 단축(2개월→1개월) 2) 제출 전 충분한 상담(Substantial Pre-application Consultation) 3) 심사 기간 단축: 12개월 → 6개월 4) PMDA 전담 담당자 지정(Review partner): 승인을 위한 전체 프로세스에 대한 전반적인 관리 담당자 지정 5) 시판 후 안전조치: 승인 후 재심사 기간 연장 등

14) 엔허투주_PMDA 심사보고서(2020.09)

15) 일본 후생성 보도자료 참고(<https://www.mhlw.go.jp/stf/houdou/0000199468.html>)

16) Trastuzumab deruxtecan(DS-8201a) in patients with advanced HER2-positive gastric cancer: a dose-expansion, phase 1 study, Lancet Oncol 2019; 20: 827-36

2) 일본 PMDA 신속심사 절차

① 우선심사(Priority Review, PR)

- 지정 요청서 제출 시점

품목허가 신청시 신청한다.

- 지정 요청서 작성방법

별도의 지정요청서는 없으며 품목허가 신청서 비고란에 「별도 기재 이유로 우선심사를 요청」이라고 기재하고 우선심사 대상 여부를 입증하는 자료를 첨부하여 PMDA에 제출한다.

우선심사 대상 의약품으로 신청하면, PMDA에서 해당 지정에 대한 전문가의 의견 조회 후 후생노동성(MHLW)에 보고한다. 의약품 심사 부서(Pharmaceutical Evaluation Division)에서는 이 보고서를 바탕으로 우선심사 적용 여부를 결정하고, 신청자와 PMDA에 통지한다. 의약품 심사 부서는 이 신청서를 약사 식품 위생 심의회¹⁷⁾ 회의에 보고하고 승인을 받는다.

우선심사 지정 제품은 심사의 각 단계에서 최대한 우선적으로 처리된다. 우선심사대상 제품이 신약으로 승인되면 이를 공지한다.

〈일본 PMDA 우선심사 지정 단계〉

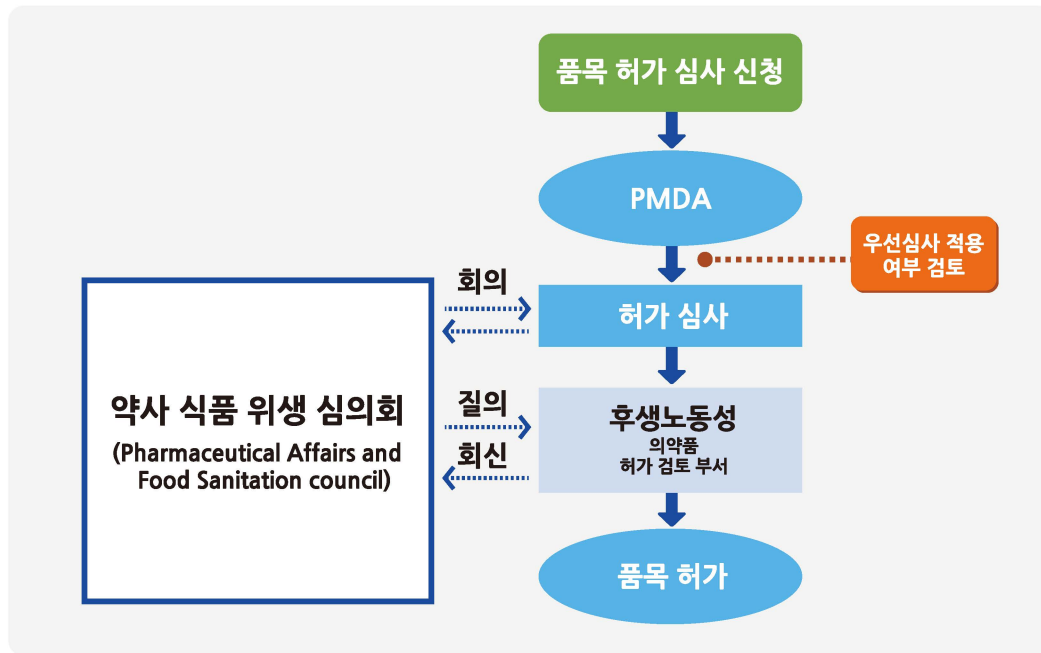
② 사키가케 지정(SAKIGAKE Designation)

- 지정 요청서 제출 시점

신청자는 임상 1상 또는 2상단계에서 사키가케 지정 신청을 한다. 신청자는 지정신청 전 PDMA에 사전상담을 신청할 수 있다. 사전 상담은 상담 신청서 <부록 6>를 작성하여 후생성 의약생활의생국 의약품 심사관리과 지정업무 담당자에게 이메일(senku_jyakuhin@mhlw.go.jp) 또는 팩스를 통해 제출한다. 지정 상담 일정은 지정상담 신청 후 담당자의 이메일 또는 전화로 연락하여 조정한다. 지정상담은 대략 30분에서 1시간정도 진행된다.

- 지정 요청서 작성방법

17) 약사 식품 위생심의회(Pharmaceutical Affairs and Food Sanitation Council, PAFSC)



지정상담 후 특별한 문제점이 없는 경우 지정업무 담당자의 안내에 따라 지정 신청서<부록 7> 및 다음의 지정신청서 첨부서류를 제출한다. 종이 매체(정본 1부, 부분 2부) 및 전자 매체로 다음 주소로 우편 제출하거나 직접 제출한다.

주소: 〒100-8916 東京都千代田区霞が関 1－2－2

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課

先駆的医薬品指定業務担当者宛て

Mail : senku_iyakuhin@mhlw.go.jp

• 지정신청서 첨부 자료

작용 기전 또는 원리에 관한 자료

의학적 필요성에 관한 자료

* 병인, 증상 등 대상 질병에 관한 자료

** 유사한 의약품의 유무, 치료 방법의 유무 등 의료 현황에 관한 자료

독성, 약리 작용 등에 관한 시험 성적 개요

임상 시험의 시험 성적 개요

일본 및 외국의 개발 계획 개요

지정 신청의약품의 개요 <부록 8>

4. 우리나라의 신속심사

1) 신속심사 대상 및 사례

<개요>

- 우리나라는 2020년 8월부터 다음의 품목을 지정하여 운영하고 있으며, 신속하게 심사·허가하고 있다.
 - 생명을 위협하는 질환 또는 중대한 질환의 치료를 목적으로 하는 의약품 (희귀의약품 및 개발단계 희귀의약품을 포함한다)으로서 기존 치료법이 없거나 기존 치료법보다 유효성 등에서 의미 있는 개선을 보인 경우
 - 생물테러감염병 또는 감염병의 대유행(대유행이 현저히 우려되는 감염병의 발생을 포함한다) 등 공중보건에 심각한 위협을 끼칠 우려가 있는 감염병의 예방 또는 치료를 목적으로 하는 의약품으로서 기존 치료법이 없거나 기존 치료법에 비해 작용 원리·기전 등이 전혀 새로운 신개념 의약품 또는 기존 치료법보다 유효성 등에서 의미 있는 개선을 보인 경우
 - 혁신형 제약기업이 개발한 신약

<사례>

- 코셀루고캡슐(한국아스트라제네카)의 적응증은 ‘증상이 있고 수술이 불가능한 총상 신경섬유종(plexiform neurofibroma)을 동반한 신경섬유종증 1형인 만 3세 이상 소아 환자의 치료’이며 ‘생명을 위협하는 질환 또는 중대한 질환의 치료를 목적으로 하는 의약품으로서 기존 치료법이 없는 경우’에 해당하여 신속심사 대상으로 지정되었다.

우리나라 신속심사 지정 사례 제1형 신경섬유종증 치료제	
품목명 (주성분)	코셀루고캡슐 (셀루메티닙황산염)
신청사	한국아스트라제네카
적응증	증상이 있고 수술이 불가능한 총상 신경섬유종 (plexiform neurofibroma)을 동반한 신경섬유종증 1형인 만 3세 이상 소아 환자의 치료
용법	경구 1일 2회 (대략 12시간마다) 1회 25 mg/m ²
지정 종류	신속심사 대상 지정(2020.10.22.)
특이 사항	희귀의약품 지정: 미국(2018.2.14.), 유럽(2018.7.31.), 한국(2020.7.23.) 품목허가: 미국(2020.4.10.), 유럽(2021.6.17.), 한국(2021.5.28.)
지정 사유	생명을 위협하거나 중대한 질환의 치료제로서 기존의 치료법 없음
신청 단계	품목허가 제출 전 신청
신청시 제출 자료	국내 신속심사 대상 지정 자료제출요건에 따른 자료(핵심 임상 시험 결과 보고서 등)
상담 이력	해당사항 없음
지정 소요 기간	지정 신청일로부터 10일
신청 방법	의약품 신속심사 지정신청서 1부를 작성하여 신청 의약품통합정보시스템 전자민원창구(http://nedrug.mfds.go.kr)를 통해 접수
향후 일정	품목허가(2021.05.28.)
지정 혜택	일반 심사 대비 신속심사과에서 우선적으로 심사

2) 지정 신청

- 지정 신청서 작성방법 및 제출자료

신속심사 대상 의약품 중 지정신청이 필요한 품목의 경우 「의약품 신속심사 지정 신청서」를 작성하여 제출한다. 의약품 신속심사 지정 신청서 기재방법은 「의료제품의 신속심사 지정신청 시 고려사항」(민원인 안내서)에서 발췌하였으며, 심사대상 및 담당 부서 등 신속심사 신청과 관련한 상세 정보가 수록되어 있으므로 참고한다.

다음의 의약품 신속심사 지정 신청서를 다음 기재방법에 따라 기재한다.

1. 구성성분

주성분의 명칭을 해당란에 기재하고, 신물질이나 신속심사대상 입증에 필요한 첨가제(예, 백신의 adjuvant)를 사용하는 경우 별첨으로 작성

2. 작용기전

예상 효능효과를 뒷받침하는 약리작용을 기재하고, 새로운 기전인 경우 요약자료를 별첨으로 작성

3. 제조방법

제형을 기재하고, 신속심사 대상 입증에 필요한 새로운 제형인 경우 별첨으로 작성

4. 예상 효능효과(임상시험결과 포함)

- ① 해당질환에서 임상적 의미가 있는 유효성 등이 확인될 수 있는 예비 임상시험자료
- ② 기존치료제가 있는 경우, 기존 치료제보다 유효성 또는 안전성 측면에서 임상적 의미있는 개선을 확인할 수 있는 자료로 4. 용어정의를 참고한다.

5. 목표 적응증

임상시험결과에 따라 치료효과가 기대되는 질환 또는 증상

6. 적용 대상 질환의 중대성

적절한 치료가 수반되지 않는 경우 사망할 가능성이 높은 질환 또는 일상적인 기능수행에 심각한 영향을 주는 질환임을 설명하는 자료

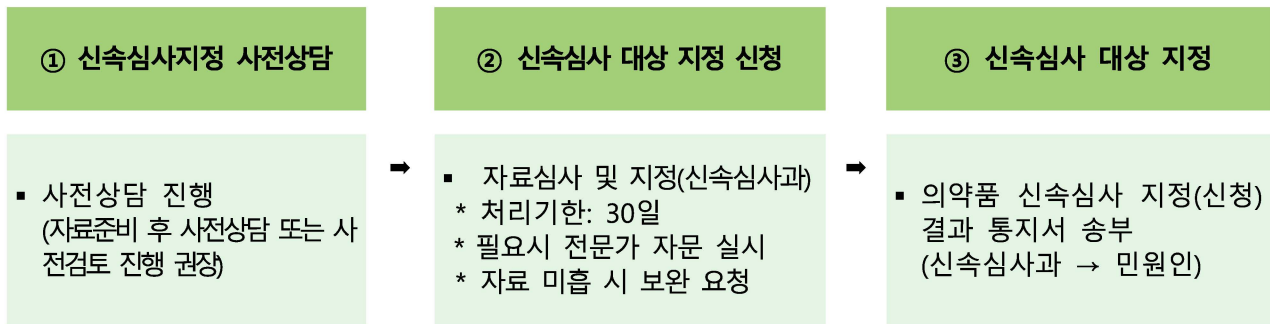
7. 기존치료법 여부

동일 목표적응증 치료에 사용된 기허가된 의약품과의 비교자료로서 4. 용어정의 중 ‘기존치료법’을 참고하여 작성한다.

구분 \ 제출자료	1	2	3	4		5	6	7
				①	②			
생명을 위협하는 질환 또는 중대한 질환의 치료 의약품	○	○	○	○	○	○	○	○
생물테러감염병 또는 감염병의 대유행 등 공중 보건에 심각한 위해 우려 감염병의 예방 및 치료의약품	○	○	○	○	○	○	○	○
혁신형 제약기업 신약(허가신청시 제출)	○	○	○	×	×	×	×	×

작성한 「의약품 신속심사 지정신청서」는 의약품통합정보시스템 민원창구를 통해서 접수한다.

- 의약품 신속심사 지정신청서 1부를 작성하여 신청
- 의약품통합정보시스템 전자민원창구(<http://nedrug.mfds.go.kr>)를 통해 접수
- 처리기간: 30일, 수수료: 없음
- 자료미흡 시 1차 보완기간 30일, 2차 보완기간 10일, 보완자료 제출 연장 요청 시 1차 보완 후 2회 연장 가능



의약품 신속심사 지정 신청서

※ []에는 해당되는 곳에 √ 표시를 합니다. 색상이 어두운 곳은 신청인이 작성하지 않습니다.

접수번호	접수일시	처리기간	30일
신청인	회사명(성명)	사업자(법인)등록번호	
	※ 사업자(법인)등록번호가 있는 경우 기재		
	주소(우편번호 :)		
	대표자명	전화번호	전자우편
신속심사 대상	제품의 명칭(명칭이 없는 경우 코드명 또는 주성분명 등 기재)		
	[] 생명을 위협하거나 중대한 질환의 치료제		
	[] 공중보건에 심각한 위해를 끼칠 우려가 있는 감염병의 예방 또는 치료제		
	[] 혁신형 제약기업이 개발한 신약		
제품정보	구성성분	필요시 [별첨] 제출	
	작용 기전	필요시 [별첨] 제출	
	제조 방법	필요시 [별첨] 제출	
	예상 효능·효과	필요시 [별첨] 제출 (주요내용에 대한 임상시험결과 등 포함)	
주요내용	목표적응증	필요시 [별첨] 제출	
	적용 대상 질환의 중대성	필요시 [별첨] 제출	
	기존 치료법	목표 적응증에 대한 기존 치료법 여부 []있음, []없음	

위와 같이 의약품 신속심사 지정을 신청합니다.

년 월 일
(서명 또는 인)

신청인
담당자 성명
담당자 전화번호

식품의약품안전처장 귀하

신청인 제출서류	해당 품목의 제품정보 및 주요내용에 대한 설명자료
-------------	-----------------------------

3) 신속심사 대상 지정 현황

- 신속심사와 신설 이후 2021년 9월까지 총 17품목에 대하여 신속심사대상으로 지정되었다. 항암제가 9건으로 높은 비중을 차지하였으며, 감염병 예방 또는 치료제로서 코로나19 치료제 및 백신 5건이 지정되었다. 단, 신속심사 대상 의료기기(혁신 및 희소의료기기)는 통계에서 제외하였다.
- 2021년 9월 현재까지 신속심사 대상으로 지정된 의약품은 다음과 같다.

	신청명	신청사	지정 분류	지정일자
1	DWP16001	(주)대웅제약	혁신형제약기업 개발 신약	2020-10-22
2	코셀루고캡슐	한국아스트라제네카(주)	중대한 질환 치료제 유효성 개선	2020-10-22
3	아이발티노스타트 주사제	크리스탈지노믹스(주)	혁신형제약기업 개발 신약	2020-11-10
4	프레토마니드정200밀리그램	부광약품(주)	중대한 질환 치료제 유효성 개선	2020-11-11
5	브론패스정	한림제약(주)	혁신형제약기업 개발 신약	2021-01-04
6	렉키로나주960mg (레그단비맵)	(주)셀트리온	감염병 예방	2021-01-04
7	리브리반트주 (아미반타맘)	(주)한국얀센	중대한 질환 치료제 유효성 개선	2021-02-25
8	아스트라제네카 코비드-19 백신주	한국아스트라제네카(주)	감염병 예방	2021-03-02
9	코미나티주 (토지나메란)	한국화이자제약(주)	감염병 예방	2021-03-03
10	레테르보캡슐40밀리그램,80밀리그램 (셀퍼카티닙)	한국릴리(유)	중대한 질환 치료제 유효성개선	2021-03-24
11	코비드-19백신얀센주 (사스코로나바 이러스-2 바이러스벡터백신)	(주)한국얀센	감염병 예방	2021-03-26
12	모더나코비드-19백신주	(주)녹십자	감염병 예방	2021-04-15
13	루마크라스정120밀리그램 (소토라십)	암젠코리아(유)	중대한 질환 치료제 유효성개선	2021-04-28
14	트로델비주 (사시투주맙고비테칸)	자노백스코리아(주)	중대한 질환 치료제 유효성개선	2021-04-30
15	엔허투주 (트라스투주맙 데록스테칸)	한국다이나미산교(주)	중대한 질환 치료제 유효성개선	2021-06-14
16	파드셉주 (엔포투맙베도틴)	한국아스텔라스제약(주)	중대한 질환 치료제 유효성개선	2021-08-24
17	애시미닙	한국노바티스(주)	중대한 질환 치료제 안전성 개선	2021-09-02

5. 해외 각 규제기관별 신속심사 요약

미국 FDA 신속 프로그램

구분	패스트 트랙 (Fast Track, FT)	혁신의약품 지정 (Breakthrough Therapy Designation, BTD)	신속심사 (Accelerated Approval, AA)	우선심사 (Priority review, PR)
제도 도입 목적	■ 신약 개발 촉진 ■ 중대한 질환 치료, 의학적 미충족 해결을 위한 의약품 개발, 심사, 판매 신속화	■ 기존 치료법 대비 안전성 유효성 개선을 입증할 가능성이 있는 의약품의 개발 및 심사 신속화	■ 중증 질환 치료제에 대하여 대리평가변수 기반으로 의학적 미충족을 해결하는 품목의 허가	■ 신청 후 6개월 이내 허가하는 것을 목표로 마련
특징	■ 신약개발과 심사 절차를 가속화 하기 위한 제도 ■ 비임상자료 근거로 신청가능 ■ 롤링 리뷰¹⁸⁾(Rolling Review) 가능	■ 신약 개발에 관한 상세 지침 제공 ■ 예비 임상자료 근거 필요 ■ 보건당국 자체적으로 전담 상급 관리자의 지정 및 참여 ■ 롤링 리뷰(Rolling Review) ■ 신속한 심사 절차 진행을 위한 기타 조치 제공	■ 대리평가변수 또는 중간 임상적 평가 변수에 근거하여 승인	■ 허가 심사 기간 단축(6개월 이내 허가 목표)
대상	■ 중대한 질환의 치료를 위한 신약으로, 의학적 미충족¹⁹⁾을 해결하거나 기존 치료법보다 안전성 유효성이 상당히 개선된 치료제 ■ 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물²⁰⁾	■ 중대한 질환, 생명을 위협하는 질환 치료 목적으로 예비 임상시험결과에서 중요한 임상 평가 변수에서 기존 치료제 대비 상당한 개선이 있는 의약품	■ 생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제로서 임상적 유효성을 합리적으로 예측 가능한 대리평가변수가 기존 치료제 대비 의미 있는 개선을 입증한 의약품	■ 중대한 질환의 치료·진단·예방에서 표준치료보다 안전성·유효성의 유의한 개선²¹⁾이 입증된 의약품 ■ 505A 을 적용하여 수행된 소아대상 임상시험 결과 보고와 관련하여 라벨 변경하는 경우 ■ 중대하고 생명을 위협하는 감염병 치료제로 이미 지정된 약물 ■ 우선심사 바우처와 함께 접수된 신약의 신청 또는 보완건²²⁾

구분	패스트 트랙 (Fast Track, FT)	혁신의약품 지정 (Breakthrough Therapy Designation, BTD)	신속심사 (Accelerated Approval, AA)	우선심사 (Priority review, PR)
사전 지정	- 필요 - IND와 동시 또는 그 이후 - BLA 또는 NDA 사전회의 전까지 신청할 것을 권장함	- 필요 - IND와 동시 또는 그 이후 2상 임상시험 종료 후 회의 전에 신청할 것을 권장함	해당 없음	- 불필요 - NDA, BLA, 기허가 의약품의 유효성 자료 추가제출 시점 (보완완료 시점)에 지정될 수 있음
지정 일정	개발자 지정신청 60일 이내 지정 여부 결정	개발자 지정신청 60일 이내 지정 여부 결정	해당 없음	- 개발자 지정신청 FDA 60일 이내 지정여부 결정 - 우선심사품목으로 분류되었을 경우 최초 BLA-NDA 또는 보완자료 접수 후 60일 이내
혜택	FDA 심사팀과 회의를 통하여 긴밀한 상호작용 가능 (회의 예시, Pre-IND 미팅, 후속 임상 시험 설계 논의, 허가를 위해 필요한 안전성 자료 범위, 용량-반응이나 생체 지표 활용 등에 대한 논의 등)	FDA의 자문과 상호적 의사소통을 통해 임상시험 설계 수행 지원	대리 평가변수²³⁾ 또는 중간 임상평가 변수²⁴⁾를 사용한 임상자료로 허가 (시판 후 확증적 임상시험 제출을 조건부로 2상 시험 후 허가)	심사기간을 10개월 (표준)에서 6개월로 단축
다른 제도 병행	조건 충족 시 우선심사(PR)와 신속심사(AA) 가능	조건 충족 시 우선심사(PR) 가능	조건 충족 시 우선심사(PR) 가능	해당 없음
근거 법령	- FD&C Act²⁵⁾ 506(b) - FDAMA²⁶⁾ Sec.112 (1997) 21 CFR part 312 subpart E	- FD&C Act 506(a) (2012) - FDASIA²⁷⁾ Sec.902 (2012)	- FD&C Act 506(c) (1992) - FDASIA Sec.901 (2012) 21 CFR part 314, subpart H 21 CFR part 601, subpart E	PDUFA²⁸⁾(1992)

구분	패스트 트랙 (Fast Track, FT)	혁신의약품 지정 (Breakthrough Therapy Designation, BTD)	신속심사 (Accelerated Approval, AA)	우선심사 (Priority review, PR)
가이드라인	■ Expedited Programs for Serious Conditions - Drugs and Biologics(2014)			

- 18) 롤링 리뷰(Rolling Review) : 전체 임상시험 자료를 일괄적으로 제출해야 하는 통상적인 허가신청 절차와 달리 완성된 부분부터 단계적으로 제출할 수 있도록 하는 제도. 허가신청서가 일괄적으로 완전하게 제출되기 전까지 심사과정이 착수되지 않는 일반적인 허가신청 절차와 달리 허가 대기 시간을 줄일 수 있는 장점이 있다. 신속심사가 필요한 경우, 제약사가 심사비용을 추가로 낼 경우에 가능하다.
- 19) (1) 기존 치료법이 없는 경우 또는 (2) 기존 치료법이 있는 경우, (a) 기존 치료법이 영향을 미치지 못하는 심각한 질환 상태에 효과를 보이거나, (b) 기존 치료법에 반응하지 않는 환자의 심각한 상태에 효과를 가지거나, (c) 기존 치료제와 결합하여 사용하지 못하는 핵심 치료제와 효과적으로 사용 가능하거나, (d) 기존 치료제 대비 심각한 독성을 피하거나 중대한 약물상호반응의 가능성을 줄일 수 있거나, (e) 기존 치료제 대비 순응도를 개선하는 등의 편익이 있어서 심각한 상태를 개선하거나, (f) 공급 중단과 같은 공중보건 필요의 문제를 해결할 수 있는 경우
- 20) FDASIA의 Title VIII, Generating Antibiotic Incentives now(GAIN)는 중대하고 생명을 위협하는 감염 질환의 치료제로 의도된 인체 사용을 위한 항생제와 항진균제의 개발에 관한 조항이다. GAIN하에서는 신약이 이 법령에 명시된 기준을 충족한다면 Qualified Infectious Disease Product(QIDP)로 지정될 수 있다. QIDP지정을 받은 신약은 패스트트랙 지정 및 우선심사에 적합하다. 하지만, QIDP는 이 가이드라인(Expedited Programs for Serious Conditions - Drugs and Biologics)의 범위에 포함되지 않는다.
- 21) 여기서 유의한 개선은 1) 유효성 증가 입증, 2) 치료를 제한하는 약물반응의 감소, 3) 환자 순응도 증가, 4) 소규모 환자집단에서 안전성 및 유효성 입증 등을 포함한다. 즉, 대상 질환군에 대해 이미 적용되는 의약품이 존재하는 경우 지정을 위해 개발 의약품의 상대적인 유효성이나 안전성 측면의 개선점이 비교되어야 한다.
- 22) 우선심사 바우처는 FD&C Act의 section524(a)(3) 및 section(a)(4)에 정의된 특정 열대병의 치료 또는 예방을 위한 신약과 FD&C Act의 section529(a)(3)에 정의된 소아 희귀질환의 치료를 위한 신약의 허가를 신청한 제약회사에 부여된다. 우선심사 바우처와 함께 접수된 모든 제출 또는 보완 건은 우선심사 대상으로 지정된다.
- 23) 대리평가변수를 사용하는 경우 표준심사에서는 이미 임상적 이익(benefit)을 예측하는 것을 입증하는 등 밸리데이션된 대리평가변수를 요구하는 반면, 신속심사(AA)에서는 밸리데이션된 대리평가변수가 아니더라도 합리적으로 볼 때 임상적 편익을 예측하는 것으로 보이는 대리평가변수도 사용 가능하다.
- 24) 중간 임상평가변수(intermediate clinical endpoint)는 비가역적 이환율이나 사망률 관련 유효성에 앞서 평가할 수 있는 치료효과 측정치이며, 이를 통해 최종적인 이환율이나 사망률, 다른 임상적 유효성 예측이 용이한 경우 고려될 수 있다. 최종적 임상적 편익과 관련 결과 예측에 결정적인 역할을 해야 한다. FDA에서는 이에 대한 예시로 2가지를 들고 있다. : (1) 다발성경화증 치료제의 약 13개월 치료 후 재발률에 대한 치료효과 입증 후 허가한 사례 (단, 관찰 효과의 지속성에 대한 불확실성을 고려 2년 간 관찰된 효과의 지속성 확인 하는 시판 후 연구가 요구 됨) (2) 조산 예방 치료제 대해서 분만 지연 효과를 근거로 허가한 사례 (출산 후 장기간 결과 관찰에 대한 시판 후 연구가 필요)
- 25) Federal Food, Drug and Cosmetic Act
- 26) FDA Modernization Act
- 27) FDA Safety Innovations Act
- 28) Prescription Drug User Fee Act

유럽 EMA 신속 프로그램

	예외적 허가 (Marketing Authorization under Exceptional Circumstances, MAEC)	신속심사 (Accelerated Assessment, AA)	조건부허가 (Conditional Marketing Authorization, CMA)	프라임 (PRiority MEdicine)
도입연도	1995 년 유럽 통합 허가 절차 (EMA Centralized Procedure) 시작 시점	2005 년	2006 년	2014 년
적용범위	다음 요인으로 인하여 광범위한 임상자료가 없이 허가 신청하는 경우: - 질병의 희귀성 - 현재의 과학적 지식의 한계 - 윤리적 제약	의약품이 미충족 의료 요구를 해소 하거나 질병의 예방, 진단 혹은 치료를 위한 기존의 방식에 비해 상당히 개선되었음 을 입증하는 경우	다음을 적응증으로 하는 의약품 - 심각한 쇠약성 혹은 생명을 위협하는 질병 - 공중보건에 위협이 되는 질병 대유행 (WHO, EU 집행위원회 지정) - 희귀질환 전체적인 임상자료를 제출하지 않고, 다음의 모든 사항을 충족시킴: - 유익성·위해성 조사 긍정적 결과 - 광범위한 임상자료 제출 가능 - 의학적 미충족 해결 - 공중 보건에 대한 즉각적인 공급에 따른 혜택이 미제출 자료에서 기인한 위험성보다 더 큰 경우	인구의 건강 유지 및 증진을 위한 의학적 미충족을 해결 할 가능성이 있는 제품
사전 지정 필요성	-	‘제출전 요청서 (pre-submission phase request)’ 제출	-	프라임 제출전 요청서 (Pre-submission request form-PRIME) 근거자료 양식 (Applicant's justification template)
지정 일정	품목허가 진행 시 지정	CHMP에서 품목허가와 동시 검토.	품목허가 진행과 동시 진행(신청시 표기 필요)	지정신청 후 40 일 이내 결과 통보

	예외적 허가 (Marketing Authorizat ion under Exceptional Circumstances, MAEC)	신속심사 (Accelerated Assessment, AA)	조건부허가 (Conditional Marketing Authorization, CMA)	프라임 (PRiority MEdicine)
		해당되지 않는 경우 210 일 일반 심사과정 (normal process review)으로 진행됨		
허가 일정	일반심사 기간	일반심사 기간 210 일 에서 150 일로 단축	일반심사 기간	-
근거법령	Regulation(EC) No 726/2004 의 14 조(18)	Regulation (EC) No. 726/2004 의 14 조(9)	Rgulation (EC) No. 726/2004	
가이드라인/ 가이던스	예외적 허가 절차에 관한 가이드라인 (EMA/357981/2005)	신속심사를 위한 절차 시행에 필요한 과학적 응용 및 실용적 방식에 관한 가이드라인 (EMA/CHMP/697051 /2014-Rev 1 draft)	인체용 의약품의 조건부 허가에 관한 EU 집행위원회 규정 (EC) No 507/2006을 시행하는데 필요한 과학적 응용 및 실용적 방식에 관한 가이드라인 (EMA/CHMP/509951 /2006. Rev.1)	프라임 제도 적용을 위 한 신청자 안내서 (European Medicines Agency Guidance for applicants seeking access to PRIME scheme)

■ 일본 PMDA 신속 프로그램

	우선 심사 (Priority Review, PR)	사키가케 지정 (Sakigake Designation)	조건부 조기 허가 (Conditional Early Approval, CEA)
도입 시기	-	2015 년	2017 년
제도 도입 목적	희귀의약품, 중대한 질환 치료 신약 등 의학적으로 중요한 의약품을 우선적으로 심사	혁신적인 치료방법이 필요한 질환을 대상으로 하는 의약품과 세계 최초로 일본에서 조기 개발, 신청된 의약품을 우선적으로 상담 및 심사를 실시하고 허가과정을 지원	중대한 질병에 효과적인 치료제이며 치료적 확증적 임상시험이 어렵지만 이외의 임상결과로 안전성·유효성이 확인 되는 의약품을 조건부 허가
대상	희귀의약품, 사키가케로 지정된 의약품, 심각한 질환을 치료하거나 의료상 유용성이 인정되는 의약품	- 기존 치료법과 다른 새로운 작용 기전을 가진 혁신적 의약품, 생명을 위협하거나 근본적인 치료법이 없는 질환을 치료하는 의약품 - 기존 치료법에 비해 유효성이나 안전성이 상당한 개선된 의약품 - 일본에서 최초 개발 및 허가 신청(동시 신청 포함) 예정이며, 일본 내 개발이 확인되는 의약품	중대한 질환을 치료하거나 의료상 유용성이 인정되는 의약품으로 확증적 임상시험 실시가 어렵거나 환자수가 적어 실시에 상당한 시간이 필요하나 확증적 임상시험 외의 임상시험 결과에 따라 안전성·유효성이 입증되는 의약품
사전 지정	필요	필요	허가시 결정
혜택	심사기간 9 개월로 단축 (표준심사기간은 12 개월) 우선적인 대면 상담	심사기간 6 개월로 단축 (표준심사기간은 12 개월) 우선적인 대면 상담 PMDA 전담 담당자 지정 재심사기간 연장 (최대 10 년)	시판 후 해당 의약품의 유효성 안전성 재확인을 위한 시판 후 조사 등의 연구 필요
후속 사항	우선심사 지정 의약품의 허가 시 공개	자격 조건을 더 이상 충족하지 못할 경우 지정 취소	허가 조건의 변경 또는 해제에 대해 PMDA 와 상담가능
근거 법령	의약품, 의료기기 등의 품질, 유효성 및 안전성의 확보 등에 관한 법률 제 14 조제 7 항	-	-

부록

부록 1. 미국 FDA 임상시험계획승인 심사 신청서(FDA1571양식)

Next Page Export Data Import Data Reset Form	
DEPARTMENT OF HEALTH AND HUMAN SERVICES Food and Drug Administration INVESTIGATIONAL NEW DRUG APPLICATION (IND) <i>(Title 21, Code of Federal Regulations (CFR) Part 312)</i>	
Form Approved: OMB No. 0910-0014 Expiration Date: April 30, 2015 See FRA Statement on page 3. NOTE: No drug/biologic may be shipped or clinical investigation begun until an IND for that investigation is in effect (21 CFR 312.40)	
1. Name of Sponsor	
2. Date of Submission (mm/dd/yyyy)	
3. Sponsor Address Address 1 (Street address, P.O. box, company name c/o) Address 2 (Apartment, suite, unit, building, floor, etc.) City State/Province/Region Country ZIP or Postal Code	
4. Telephone Number (Include country code if applicable and area code)	
5. Name(s) of Drug (Include all available names: Trade, Generic, Chemical, or Code)	
6. IND Number (If previously assigned)	
Continuation Page for #5	
7. (Proposed) Indication for Use	
Is this indication for a rare disease (prevalence <200,000 in U.S.)? ☐ Yes ☐ No	
Does this product have an FDA Orphan Designation for this indication? ☐ Yes ☐ No	
If yes, provide the Orphan Designation number for this indication:	
Continuation Page for #7	
8. Phase(s) of Clinical Investigation to be conducted ☐ Phase 1 ☐ Phase 2 ☐ Phase 3 ☐ Other (Specify):	
9. List numbers of all Investigational New Drug Applications (21 CFR Part 312), New Drug Applications (21 CFR Part 314), Drug Master Files (21 CFR Part 314.420), and Biologics License Applications (21 CFR Part 601) referred to in this application.	
10. IND submission should be consecutively numbered. The initial IND should be numbered "Serial number: 0000." The next submission (e.g., amendment, report, or correspondence) should be numbered "Serial Number: 0001." Subsequent submissions should be numbered consecutively in the order in which they are submitted.	
Serial Number	
11. This submission contains the following (Select all that apply)	
☐ Initial Investigational New Drug Application (IND) ☐ Response to Clinical Hold ☐ Response To FDA Request For Information ☐ Request For Reactivation Or Reinstatement ☐ Annual Report ☐ General Correspondence ☐ Development Safety Update Report (DSUR) ☐ Other (Specify):	
Protocol Amendment(s) Information Amendment(s) Request for IND Safety Report(s) ☐ New Protocol ☐ Chemistry/Microbiology ☐ Meeting ☐ Initial Written Report ☐ Change in Protocol ☐ Pharmacology/Toxicology ☐ Proprietary Name Review ☐ Follow-up to a Written Report ☐ New Investigator ☐ Clinical ☐ Statistics ☐ Special Protocol Assessment ☐ PMR/PMC Protocol ☐ Clinical Pharmacology ☐ Formal Dispute Resolution	
12. Select the following only if applicable. (Justification statement must be submitted with application for any items selected below. Refer to the cited CFR section for further information.)	
Expanded Access Use, 21 CFR 312.300	
☐ Emergency Research Exception From Informed Consent Requirements, 21 CFR 312.23 (f) ☐ Individual Patient, Non-Emergency 21 CFR 312.310 ☐ Intermediate Size Patient Population, 21 CFR 312.315 ☐ Charge Request, 21 CFR 312.8 ☐ Individual Patient, Emergency 21 CFR 312.310(d) ☐ Treatment IND or Protocol, 21 CFR 312.320	
For FDA Use Only	
CBER/DCC Receipt Stamp DDR Receipt Stamp Division Assignment	
IND Number Assigned	

[Previous Page](#)[Next Page](#)

13. Contents of Application – This application contains the following items (Select all that apply)			
☐ 1. Form FDA 1571 (21 CFR 312.23(a)(1)) ☐ 2. Table of Contents (21 CFR 312.23(a)(2)) ☐ 3. Introductory statement (21 CFR 312.23(a)(3)) ☐ 4. General Investigational plan (21 CFR 312.23(a)(3)) ☐ 5. Investigator's brochure (21 CFR 312.23(a)(5)) ☐ 6. Protocol(s) (21 CFR 312.23(a)(6)) ☐ a. Study protocol(s) (21 CFR 312.23(a)(6)) ☐ b. Investigator data (21 CFR 312.23(a)(6)(iii)(b)) or completed Form(s) FDA 1572 ☐ c. Facilities data (21 CFR 312.23(a)(6)(iii)(b)) or completed Form(s) FDA 1572		☐ 6. Protocol(s) (Continued) ☐ d. Institutional Review Board data (21 CFR 312.23(a)(6)(iii)(b)) or completed Form(s) FDA 1572 ☐ 7. Chemistry, manufacturing, and control data (21 CFR 312.23(a)(7)) ☐ Environmental assessment or claim for exclusion (21 CFR 312.23(a)(7)(iv)(e)) ☐ 8. Pharmacology and toxicology data (21 CFR 312.23(a)(8)) ☐ 9. Previous human experience (21 CFR 312.23(a)(9)) ☐ 10. Additional information (21 CFR 312.23(a)(10)) ☐ 11. Biosimilar User Fee Cover Sheet (Form FDA 3792) ☐ 12. Clinical Trials Certification of Compliance (Form FDA 3674)	
14. Is any part of the clinical study to be conducted by a contract research organization? ☐ Yes ☐ No If Yes, will any sponsor obligations be transferred to the contract research organization? ☐ Yes ☐ No If Yes, provide a statement containing the name and address of the contract research organization, identification of the clinical study, and a listing of the obligations transferred (use continuation page). Continuation Page for #14			
15. Name and Title of the person responsible for monitoring the conduct and progress of the clinical investigations			
16. Name(s) and Title(s) of the person(s) responsible for review and evaluation of information relevant to the safety of the drug			
I agree not to begin clinical investigations until 30 days after FDA's receipt of the IND unless I receive earlier notification by FDA that the studies may begin. I also agree not to begin or continue clinical investigations covered by the IND if those studies are placed on clinical hold or financial hold. I agree that an Institutional Review Board (IRB) that complies with the requirements set forth in 21 CFR Part 56 will be responsible for initial and continuing review and approval of each of the studies in the proposed clinical investigation. I agree to conduct the investigation in accordance with all other applicable regulatory requirements.			
17. Name of Sponsor or Sponsor's Authorized Representative			
18. Telephone Number (include country code if applicable and area code)		19. Facsimile (FAX) Number (include country code if applicable and area code)	
20. Address		21. Email Address	
Address 1 (Street address, P.O. box, company name c/o)		22. Date of Sponsor's Signature (mm/dd/yyyy)	
Address 2 (Apartment, suite, unit, building, floor, etc.)			
City	State/Province/Region		
Country	Zip or Postal Code		
23. Name of Countersigner			
24. Address of Countersigner		WARNING : A willfully false statement is a criminal offense (U.S.C. Title 18, Sec. 1001).	
Address 1 (Street address, P.O. box, company name c/o)			
Address 2 (Apartment, suite, unit, building, floor, etc.)			
City	State/Province/Region		
Country	Zip or Postal Code		
United States of America			
25. Signature of Sponsor or Sponsor's Authorized Representative		26. Signature of Countersigner	
Sign		Sign	

The information below applies only to requirements of the Paperwork Reduction Act of 1995.

The burden time for this collection of information is estimated to average 100 hours per response, including the time to review instructions, search existing data sources, gather and maintain the data needed and complete and review the collection of information. Send comments regarding this burden estimate or any other aspect of this information collection, including suggestions for reducing this burden to the address to the right:

Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
Office of Chief Information Officer
Paperwork Reduction Act (PRA) Staff
PRAStaff@fda.hhs.gov

"An agency may not conduct or sponsor, and a person is not required to respond to, a collection of information unless it displays a currently valid OMB number."

Please do NOT send your completed form to this PRA Staff email address.

부록 2. 유럽 EMA 판매허가 신청 사전 제출 요청서(일부 발췌)



Presubmission request Form

Request for a European Medicines Agency procedure prior to the submission of a marketing authorisation application or Article 58 Application¹

Complete for all types of Requests:

* This Request is for a :	☒ Human Medicinal Product	☐ Veterinary Medicinal Product
* Scope of Request:	Centralised Procedure-Accelerated review of MAA	
* Date of Request	29 Sep 2021	
Pre submission Request Number:		
(Provide if already allocated - mandatory if withdrawing the request)		
EMA Product Number:		
(Provide if already allocated)		
* Intended submission date of Marketing Authorisation Application or Art 58 Application:		

For products for human use: a date must be provided for an Intent to submit MA or Art 58 Application Request.

For Eligibility to the Centralised Procedure Request (according to regulation (EC) No 726/2004)

* Proposed basis for eligibility ²	
---	--

¹Complete applicable sections only

²This list provides the eligibility basis for human and veterinary medicinal products. Choose the appropriate option.

*based on the Protocol on Ireland/ Northern Ireland included in the Withdrawal Agreement, special arrangements will apply to the Northern Ireland.

부록 3. 유럽 EMA 신속심사 요청서 작성 가이드라인



Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP)
Committee for Advanced Therapies (CAT)

Text in purple: applicable for ATMPs only

Briefing Note and Recommendations on a Request for Accelerated Assessment Pursuant to Article 14 (9) of Regulation (EC) No 726/2004

Active substance(s): `<active_substance>`

EMA product number: `<product_number>`

REVISION: February 2021

Guidance text is in green italics. You may print a copy of this template with the guidance text, then delete all guidance text except in the comment's boxes:

Bracketing convention: <text> - Text to be selected or deleted as appropriate.

Do not change or delete the titles and the numbering style. Add "Not applicable" if necessary.

Do not delete the comment boxes, nor its content including the guidance text in green italics as this document will also be used by the Rapporteurs for their assessment.

General guidance

Purpose

The purpose of this document is for the applicant to request accelerated assessment, and the joint Rapporteur and Co-rapporteur to summarise their comments and recommendations on the request. The joint assessment of the Rapporteurs is to be circulated to CAT/CHMP in preparation of a discussion and recommendation on a request for accelerated assessment.

Reminder about the legal basis

Recital 33 of Regulation (EC) No 726/2004 states that “in order to meet, in particular the legitimate expectations of patients and to take account of the increasingly rapid progress of science and therapies, accelerated assessment procedures should be set up, reserved for medicinal products of major therapeutic interest, and procedures for obtaining temporary authorisations subject to certain annually reviewable conditions”.

Article 14 (9) of Regulation (EC) No 726/2004, states that when an application is submitted for a marketing authorisation in respect of medicinal products for human use which are of major interest from the point of view of public health and in particular from the viewpoint of therapeutic innovation, the applicant may request an accelerated assessment procedure. The request shall be duly substantiated.

Relevant guidelines

Guideline on the scientific application and the practical arrangements necessary to implement the procedure for accelerated assessment pursuant to Article 14(9) of Regulation (EC) No 726/2004.

Table of Contents

Product background information	
1. Timetable for the assessment of the accelerated assessment request	
2. Tentative timetable for the marketing authorisation evaluation under accelerated assessment	
3. Submission of the request	
4. Background information concerning the medicinal product	
5. Description of unmet medical need	
6. Fulfilment of unmet medical need	
7. Strength of evidence to support accelerated assessment	
8. Conclusion on major public health interest and major therapeutic innovation	
9. Committee Recommendation	

● Administrative information

For applicants: Please complete relevant sections based on available information at the time of the request.

Contact information	
Applicant Name:	<APPLICANT>
Applicant's contact person:	<name> Tel.: <telephone> Email: <email>
<CHMP or CAT> Rapporteur:	<name>
<CHMP or CAT> Rapporteur's contact person:	<name> Tel.: <phone> Email: <email>
CHMP Coordinator of Rapporteur:	
<CHMP or CAT> Co-rapporteur:	<name>
<CAT> Co-rapporteur's contact person:	<name> Tel.: <phone> Email: <email>
CHMP coordinator of Co-Rapporteur:	
EMA Product Lead:	<name> Tel.: <phone> Email: <email>
EMA Procedure Assistant:	<name> Tel.: <phone> Email: <email>

● Product background information

Proposed invented name of the medicinal product:	<PRODUCT>
INN (or common name) of the active substance:	<common name> or <INN>
EMA product number:	<product number>
Proposed indication(s):	<therapeutic indication>
Strength(s)/pharmaceutical form(s):	<pharmaceutical form> <strength>
Intended submission date (the planned submission timing should be respected):	<date>
Proposed legal basis of the application according to Directive 2001/83/EC, as amended:	<proposed eligibility>
ATMP	Yes/No
Under PRIME scheme:	Yes/No
Orphan designation:	Yes (<based> / <not based> on claim of significant benefit over existing therapies) / No
Waiver for paediatric development granted based on lack of significant therapeutic benefit:	Yes / No <i>Note: If such waiver covers part of the paediatric population in the target condition, please indicate 'yes'.</i>

1. Timetable for the assessment of the accelerated assessment request

Note: Applicant to select the relevant TT for ATMP vs non-ATMP and delete the other one.

Timetable for the assessment of the accelerated assessment request for non-ATMPs

Deadline for Submission	Start date	CHMP Rapporteurs Joint briefing note	Comments from CHMP	Updated CHMP Rapporteurs Joint briefing note	CHMP conclusion

https://www.ema.europa.eu/documents/other/timetable-accelerated-assessment-request-initial-marketing-authorisation-applications_en.pdf

<Note to the applicant (non-ATMP):

Accelerated assessment reduces the maximum timeframe for review of an application for marketing authorisation to 150 days. Any procedure lasting longer than 150 days (excluding clock-stops) will not be considered “accelerated assessment”.

The assessment of the MAA under Accelerated assessment is split in 3 phases: 90/30/30 days.

At Day 90 a List of Questions is adopted with 1-month clock-stop for provision of responses set as default. The 2nd & 3rd phase are two consecutive cycles of 30 days giving an opportunity to reach an opinion at Day 120, or to adopt a List of Outstanding Issues (with no clock-stop for provision of responses) in order to reach the opinion at Day 150. The last 30 days cycle should be ideally reserved for non-major objections such as PI and RMP finalisation.

The procedure may not be able to remain under the accelerated assessment (AA) timetable if a longer clock stop is requested. Other reasons for a need to revert back to standard timelines may include the need for GMP or GCP inspection becoming apparent during the assessment or identifications of major objections that cannot be handled in an accelerated timetable.

A decision on accelerated assessment is taken without prejudice to the CHMP opinion (positive or negative) on the granting of a marketing authorisation and any ancillary claims and, where applicable, to the COMP opinion (positive or negative) on the maintenance of the orphan designation.

>Timetable for the assessment of the accelerated assessment request for ATMPs

Deadline for Submission	Start date	CAT Rapporteurs Joint briefing note	Comments from CAT and CHMP	Updated CHMP Rapporteurs Joint briefing note	CAT conclusion	CHMP conclusion

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/timetable-accelerated-assessment-request-initial-marketing-authorisations-atmp_en.pdf

<Note to the Applicant (ATMP):

The request for accelerated assessment will be **reviewed by the CAT** before endorsement by CHMP.

Accelerated assessment reduces the maximum timeframe for review of an application for marketing authorisation to 150 days. Any procedure lasting longer than 150 days (excluding clock-stops) will not be considered "accelerated assessment".

For Advanced Therapy Medicinal Products, the assessment of the MAA under AA remains as **120 + 30 days** due to:

- Expected complexity in the scientific and regulatory evaluation of these novel types of products;
- Evaluation complexity by having three Committees involved (CAT, CHMP and PRAC);
- Need for additional consultation in some cases (like with GMO competent authorities or notified bodies).

Therefore, at Day 120 a List of Questions is adopted for provision of responses. Due to the complexity of these products, up to 3 months clock-stop after the adoption of the LoQ can be allowed. The procedure will not be able to remain under the accelerated assessment timetable if a longer clock stop is requested. Other reasons for a need to revert back to standard timelines may include the need for GMP or GCP inspection becoming apparent during the assessment or identification of major objections that cannot be handled in an accelerated timetable.

A decision on accelerated assessment is taken without prejudice to the CAT/CHMP opinion (positive or negative) on the granting of a marketing authorisation and any ancillary claims and, where applicable, to the COMP opinion (positive or negative) on the maintenance of the orphan designation.>

2. Tentative timetable for the marketing authorisation evaluation under accelerated assessment

Note: Applicant to select the relevant TT for ATMP vs non-ATMP and delete the other one.

Tentative timetable for the MA evaluation under accelerated assessment for non-ATMPs

Deadline for Submission	Start date	CHMP (Co) Rapporteur ARs	PRAC Rapporteur AR	Comments from PRAC	Comments from CHMP	PRAC outcome	Early draft LOQ (for Peer review tele-conference)	Peer review tele-conference (TC)	Draft LoQ	List of Questions (LoQ)	Opinion

Tentative timetable for the assessment of the responses to the List of Questions (LoQ) under accelerated assessment

Deadline for Submission	Restart	CHMP and PRAC Rapporteurs Joint AR (JAR)	Comments from PRAC and CHMP	Updated CHMP and PRAC Rapporteurs JAR	List of Outstanding Issues (LoOI)	Opinion

Tentative timetable for the assessment of the responses the to List of Outstanding issues (LoOI) under accelerated assessment

Deadline for Submission	Restart	CHMP and PRAC Rapporteurs Joint AR (JAR)	Comments from PRAC and CHMP	Updated CHMP and PRAC Rapporteurs JAR	Opinion

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/timetable-initial-full-marketing-authorisation-application-accelerated-assessment_en.pdf

Tentative timetable for the MA evaluation under accelerated assessment for ATMPs

Deadline for Submission	Start date	CAT (Co) Rapporteur ARs	PRAC Rapporteur AR	Comments from PRAC, CAT, CHMP	Early draft LOQ (for Peer review tele-conference)	PRAC outcome	Updated PRAC Rapporteur AR	Peer review telecon-ference (TC)	Draft LoQ	CAT List of Questions (LoQ)* or draft Opinion	CHMP Opinion*
-------------------------	------------	-------------------------	--------------------	-------------------------------	---	--------------	----------------------------	----------------------------------	-----------	---	---------------

Tentative timetable for the assessment of the responses to the List of Questions (LoQ) under accelerated assessment

Deadline for Submission	Restart	CAT and PRAC Rapporteurs Joint AR (JAR)	Comments from CAT, PRAC and CHMP	Updated CAT and PRAC Rapporteurs JAR	CAT List of Outstanding Issues (LoOI)/Draft opinion	CHMP LoOI/Opinion
-------------------------	---------	---	----------------------------------	--------------------------------------	---	-------------------

https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/timetable-initial-full-marketing-authorisation-application-accelerated-assessment-timetables_en.pdf

3. Submission of the request

The applicant <APPLICANT NAME> submitted on <date> a request for accelerated assessment pursuant to Article 14 (9) of Regulation (EC) No 726/2004, for an application for marketing authorisation to the Agency for <PRODUCT>, for <therapeutic_indication>.

4. Background information concerning the medicinal product

Summary of applicant's position:

Description of the medicinal product

Provide a brief description of the medicinal product, and include the regulatory status of the product.

Rationale for use in proposed indication(s)

Outline the main features of the disease/target condition and the rationale for the use of the medicinal product in the proposed indication(s), based on the mechanism(s) of action of the product.

Note:

Applicants are reminded that in the case where more than one indication is applied for in a single application, the likelihood that accelerated assessment can be granted and/or maintained are reduced if not all indications fulfil the AA criteria. In such case, it is particularly important that the dossier for all indications is sufficiently mature and suitable for an accelerated assessment and this should be discussed in Section 7.

Note: Section for Rapporteurs. Applicants should not modify/delete guidance text.

Comments on the applicant's position, if applicable:

5. Description of unmet medical need

Unmet medical needs mean a condition for which there exists no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment in the Union or, even if such a method exists, in relation to which, the medicinal product concerned will be of major therapeutic advantage to those affected.

Summary of applicant's position:

Describe the unmet medical need for each proposed indication using as much as possible epidemiological data about the disease and outcomes (e.g. life expectancy, symptoms and duration, health-related quality of life). The claims should be substantiated with data from published literature, registries or healthcare databases. If relevant, the unmet

need should be described separately for different indications or subpopulations.

Summary of applicant's position:

Epidemiology

The purpose of this section is to describe the disease burden, which is related to the unmet medical need. Summarise the epidemiology of the disease (e.g. incidence, life expectancy, symptoms and duration, health-related quality of life). The description should be as specific as possible to the therapeutic indication proposed above rather than the entire condition.

Note: High-level textbook introductions to a therapeutic area should be avoided. For instance, if the therapeutic indication is for the treatment of adult patients with relapsed and refractory multiple myeloma who have received at least two prior treatment regimens, there is no need to describe the epidemiology of multiple myeloma in great detail, but the discussion should mainly focus on the specific clinical setting.

Existing methods

Describe all available diagnostic (if applicable), prevention and treatment options/standard of care (SOC) for each indication, including all relevant treatment modalities, e.g. medicinal products used in clinical practice (whether approved or not), devices, surgery, and radiotherapy should be included, as relevant in this discussion.

The most important effects and limitations of available treatments should be described. Consider unmet need in different subgroups of the target population, if relevant based on the intended patient population(s).

Conclusions on unmet medical needs

Discuss how the unmet medical need highlighted above is fulfilled or not by the available methods (if any). This should include a discussion on the limitations of the current options/standard of care discussed under existing methods that the proposed product aims to address. Quantify the unmet medical needs based on medical or epidemiological data.

<i>Section for Rapporteurs. Applicants should not modify/delete guidance text.</i>
--

Assessment of applicant's justification:

Note: 'unmet medical needs' should be understood as a condition for which there exists no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment authorised in the EU or, even if such a method exists, in relation to which, the medicinal product concerned will be of major therapeutic advantage to those affected.

Points to address and comment for each indication:

Evaluate the applicant's description of available methods; is the description of available methods accurate? Does it include all available methods (not just medicinal products)?

Evaluate the epidemiological data and justifications provided to quantify the unmet medical need in the claimed indication. Has the unmet need been adequately described in epidemiological terms in the target patient population? Are important differences in the subpopulations (if claimed by the applicant) well described?

Conclude and quantify the unmet need (e.g., expected 5-year survival of 50%, compared to 90% for a comparable healthy population, despite available treatments), as much as possible. In principle however, if there is an identifiable population or subpopulation for whom an unmet need can be described, then this would be sufficient to establish an unmet need.

If there are available methods, identify the limitations that the proposed product aims to address.

6. Fulfilment of unmet medical need

Summary of applicant's position:

In this section, the applicant should discuss how the medicinal product addresses to a significant extent the unmet medical need.

Describe for each indication how and to what extent the product is expected or assumed to fulfil the unmet need. This should be based on available data that should be summarised here using data from the main studies focusing on the observed effects and their clinical relevance in terms of primary endpoint, key secondary endpoints together with a summary of the safety profile. Importance of the observed effects of the product should be discussed, as well as the expected added value of the product and impact on medical practice in comparison to existing treatments (if any). Added value over existing methods would normally be based on meaningful improvement of efficacy and/or safety and/or in exceptional cases, major improvements to patient care (e.g. allows ambulatory vs. hospital treatment only) using robust evidence. Discuss also how the overall B/R balance compares with that of current methods.

Consider in the argumentation any previous COMP conclusions on (expected) significant benefit or absence thereof, and PDCO conclusions on (expected) absence of significant therapeutic benefit if that has been the basis for a paediatric development waiver.

Assessment of applicant's justification:

Evaluate the claims made by the applicant for each indication.

Assess how the product is expected or assumed to fulfil the unmet needs identified in section 5. This should be based on the observed effects of the product and how robust and important these are judged to be (e.g., effect on overall survival, undisputed clinical relevance of the

endpoint) as well as methodological considerations. Claims on benefits and risks can be based on traditional efficacy and safety endpoints or other health outcomes (e.g., patient-reported outcomes). Consider if the chosen endpoints are adequate to support the claim in the proposed condition. Consider if the magnitude of the effects brings a substantial improvement compared to available methods. Consider also whether the effect size and follow-up are sufficient to support robustness of data and duration of the effect.

At this stage, the effects will be based on reasonable assumptions and high-level summary results, taking into account plausible applicant's claims or abridged reports pending in-depth analysis of benefits and risks based on assessment of clinical study reports.

Note that a new mechanism of action does not per se constitute a major therapeutic advantage.

The major therapeutic advantage over existing methods could be based on improved efficacy and/or safety and/or a major improvement to patient care, but in any case, should not be at the expense of an unfavourable overall B/R balance versus other existing therapies.

7. Strength of evidence to support accelerated assessment

Summary of applicant's position:

Describe the strength of evidence to be included in the planned application, to substantiate that available data will allow conducting and maintaining accelerated assessment (potentially leading to an earlier marketing authorisation and addressing of the unmet needs). While the main evidence on the potential of the product to address unmet medical need is presented in section 6. , this section should focus on general suitability of the planned data package for an accelerated assessment. Specifically discuss robustness and completeness of data package on quality, non-clinical and clinical aspects (where applicable for each indication), taking into account the planned authorisation type (standard MA vs. conditional MA vs. MA under exceptional circumstances). Describe the number and types of main clinical studies, sample size, design and key results. Discuss any identified limitations of the dossier, covering quality, non-clinical and clinical aspects. Serious/treatment emerging adverse events should be summarised.

For conditional MA or MA under exceptional circumstances where the benefit of immediate availability of the medicine outweighs the risk of less comprehensive data than normally required, please discuss how the benefit-risk balance can be established based on available data. Reflect whether additional data may become available for submission during the review and discuss the importance of those data with regard to the assessment of B/R; to that end, applicants are reminded that at the time of the initial filing, the dossier needs to be mature including all relevant data that is needed to support an assessment of benefit: risk in the context of a marketing authorisation, including any justification for extrapolation beyond the population studied in clinical trials.

If the development programme has been previously agreed via CHMP Scientific Advice/Protocol Assistance, this should be summarised here, in particular when the extent of the data required for a particular claim/indication has been discussed. Discuss any deviations from

scientific advice and other advice received (e.g. in PRIME discussions or pre-submission meetings).

Note: Section for Rapporteurs. Applicants should not modify/delete guidance text.

Assessment of applicant's justification:

Assess the completeness of the planned dossier, taking into account the intended authorisation type. The suitability of the dossier for accelerated assessment needs to be estimated. Are the data planned to be submitted (e.g., number and types of studies) sufficient, in principle, for conducting the assessment or are there obvious gaps in the dossier that would make several rounds of assessment likely? Have any important gaps been identified in the quality data of the planned submission that may impact eligibility to accelerated assessment?

Would the planned data package (including sample size, design of studies) in general allow drawing conclusions on safety and efficacy of the product in the proposed indication(s)?

For example, if the only data presented are in terms of non-parallel controlled studies (e.g., single-arm study with historical controls), can the effects of the product be determined compared with the current standard of care? Do the studies appear in principle large enough for a convincing quantification of efficacy and safety? If not, are the claimed effects so compelling that potential methodological issues can be overcome?

Any issues identified with the proposed dossier can be flagged; however, it is not expected to conduct a pre-assessment of the benefit-risk balance or other outcomes of the MAA assessment (e.g. pre-assessment of fulfilment of CMA criteria).

Note that the need to do an in-depth assessment of the clinical trial data should not in principle constitute a reason for rejection but concerns should be flagged in this section.

8. Conclusion on major public health interest and major therapeutic innovation

The assessment should conclude on whether the request for an accelerated assessment has been duly substantiated, and if the medicinal product is of major interest from the point of view of public health.

Note: Section for Rapporteurs. Applicants should not modify/delete guidance text.

Assessment of applicant's justification:

Main reasons for the conclusion should be re-summarised in this section. In principle, if an unmet need does not exist or cannot be adequately quantified ((Section 5.), if the potential to address the unmet need is not supported (Section 6.), or if the claimed effects are minor or not plausible based on the data available, this would lead to a rejection of the request.

- Has the request been duly substantiated?*
- Be explicit as much as possible as of why or why not this product constitutes a "major interest from the point of view of public health"*

and in particular from the viewpoint of therapeutic innovation”; useful concepts include the expected impact on medical practice, change in the natural history of the disease, therapeutic advantage compared to available treatments, survival benefit or other important benefit, improvement in safety, clinical relevance of the effect, very convincingly positive balance of benefits and risks. A new mechanism of action or a technical innovation per se may not necessarily represent a valid argument for justifying major interest from the point of view of public health. Justify this based on the conclusions from the previous sections.

- Ability to review the data within the procedural time (e.g. due to complexity of the data) alone should not be a reason for rejection. However, a premature or incomplete application without sufficient quality, safety and efficacy data at the time of submission or for which there are concerns about the strength of evidence can be a reason for rejection if it is clear from the information available that an accelerated assessment cannot be conducted unless a specific plan for a conditional marketing authorisation has been laid out.
- In case of several indications, if at least one indication is considered to fulfil the criteria for major interest from the point of view of public health, the entire application is to be considered to fulfil the criteria, unless for any other indication(s) the application is incompatible with accelerated assessment and unlikely to lead to an earlier authorisation (e.g. due to incomplete available data).
- Is the assessment consistent with PRIME eligibility?
To be granted PRIME, a medicine has to show its potential to benefit patients with unmet medical need. Developers of a medicine that benefitted from PRIME can expect to be eligible for accelerated assessment at the time of application for a marketing authorisation. Should the AA be denied for a product eligible to PRIME, the change in its potential to benefit patients with unmet medical need since granting of the PRIME eligibility should be explained using relevant information from previous sections (e.g. availability of new treatment options, limitations in the strength of evidence).
- When provided by the applicant, ensure that the assessment is consistent with previous COMP conclusions on (expected) significant benefit or absence thereof, and PDCO conclusions on (expected) absence of significant therapeutic benefit if that has been the basis for a paediatric development waiver or justify the rationale for any deviation.

9. Committee Recommendation

Note: for Rapporteurs use. Not for applicants to complete.

Based on the assessment of the request provided by the applicant and the CHMP guideline on the procedure for accelerated assessment pursuant to Article 14 (9) of Regulation (EC) no 726/2004, it is **<not>** recommended to grant the accelerated assessment procedure pursuant to Article 14 (9) of Regulation (EC) No 726/2004 for **<PRODUCT>**.

부록 4. 유럽 EMA 판매 허가 신청서(일부 발췌)



**EUROPEAN COMMISSION
HEALTH AND FOOD SAFETY DIRECTORATE-GENERAL**

Health systems, medical products and innovation

eAF Version Number: 1.24.0.1

Revision 13

NOTICE TO APPLICANTS

Medicinal Products for Human Use

VOLUME 2B

**Module 1.2: Administrative information
Application form**

February 2018

¹ OJ L 299 of 27.10.2012, p. 1

1. TYPE OF APPLICATION

Note: The following sections should be completed where appropriate.

1.1 THIS APPLICATION CONCERNS

- ☐ 1.1.1 A CENTRALISED PROCEDURE
(according to Regulation (EC) No 726/2004)
- ☐ 1.1.2 A MUTUAL RECOGNITION PROCEDURE
(according to Article 28(2) of Directive 2001/83/EC)
- ☐ 1.1.3 A DECENTRALISED PROCEDURE
(according to Article 28(3) of Directives 2001/83/EC)
- ☐ 1.1.4 A NATIONAL PROCEDURE

1.2 ORPHAN MEDICINAL PRODUCT DESIGNATION

1.2.1 HAS ORPHAN DESIGNATION BEEN APPLIED FOR THIS MEDICINAL PRODUCT?

- ☐ Yes ☐ No

1.2.2 INFORMATION RELATING TO ORPHAN MARKET EXCLUSIVITY

Has any medicinal product been designated as an Orphan medicinal product for a condition relating to the indication proposed in this application?

- ☐ Yes ☐ No

1.3 APPLICATION FOR A CHANGE TO EXISTING MARKETING AUTHORISATION LEADING TO AN EXTENSION AS REFERRED TO IN ANNEX I OF REGULATIONS (EC) NO 1234/2008, OR ANY NATIONAL LEGISLATION, WHERE APPLICABLE?

- ☐ Yes (complete sections below and also complete 1.4 + 1.6) ☐ No (complete section 1.4 + 1.6)

1.4 APPLICATION IS SUBMITTED IN ACCORDANCE WITH THE FOLLOWING ARTICLE IN DIRECTIVE 2001/83/EC²

*Note: Section to be completed for any application, including applications referred to in section 1.3
For further details, refer to Notice of Applicants, Volume 2A, Chapter 1
information on active substance status (new/known) should be provided in section 2.1.2*

1.4.1 ☐ Article 8(3) application, (i.e dossier with administrative, quality, pre-clinical and clinical data*)

1.4.2 ☐ Article 10(1) generic application

1.4.3 ☐ Article 10(3) hybrid application

1.4.4 ☐ Article 10(4) similar biological application

1.4.5 ☐ Article 10a well-established use application

*Note: For further details, refer to Notice to Applicants, Volume 2A, Chapter 1.
For extensions of bibliographical applications, cross references can only be made to pre-clinical and clinical data*

1.4.6 ☐ Article 10b fixed combination application

*Note: Complete administrative and complete quality, pre-clinical and clinical data on the combination only; for further details refer to Notice of Applicants, Volume 2A, Chapter 1.
For extensions of fixed combination applications, cross references can only be made to pre-clinical and clinical data*

1.4.7 ☐ Article 10c informed consent application

*Note: - Application for a medicinal product possessing the same qualitative and quantitative composition in terms of active substances and the same pharmaceutical form of an authorised product where consent has been given by the existing marketing authorisation holder to use their data in support of this application
- Complete administrative data should be provided with consent to pharmaceutical, preclinical and clinical data
- The authorised product and the informed consent application can have the same or different MAH*

1.4.8 ☐ Article 16a Traditional use registration for herbal medicinal product

*Note: Complete application
Refer to Notice to Applicants, Volume 2A, Chapter 1*

1.5 CONSIDERATION OF THIS APPLICATION REQUESTED UNDER THE FOLLOWING ARTICLE DIRECTIVE 2001/83/EC OR REGULATION (EC) NO 726/2004³

1.5.1 ☐ Conditional Approval

Note: centralised procedure only according to Article 14(7) of Regulation (EC) No 726/2004 and Commission Regulation (EC) No 507/2006

부록 5. 유럽 EMA 프라임 제출전 요청서

Pre-Submission Request Form



This request is for:

☒ Human Medicinal Product

Date of Request:



Please be aware

This is the first page of the application form. In order to view the complete application form, please respond to the question on the eligibility to the centralised procedure, press the confirm button and proceed with the selected scope.

Please note that in near future this form will contain further pre-submission request scopes, which are currently not activated in this version.

Scope of Request: Human

☒ PRIME

Has eligibility to the centralised procedure been confirmed?

☐ Yes

☐ No

Press the confirm button to render each of the above selected scopes.

부록 6. 일본 PMDA 사키가케 지정상담 신청서

先駆的医薬品指定相談申込書

厚生労働省医薬・生活衛生局医薬品審査管理課
先駆的医薬品指定業務担当者 宛

会社名	相談者名（出席者名及び所属部署）
連絡先電話番号・FAX番号・E-mail Tel () — Fax () — E-mail	希望相談日 第1希望： 年 月 日 午前・午後 第2希望： 年 月 日 午前・午後 第3希望： 年 月 日 午前・午後
指定候補物質名	
予定される効能・効果	
相談事項	

- (注) 1. 相談事項は、具体的にかつ簡潔に記入すること。
 2. 様式はA4判とすること。
 ※必ずしも、希望相談日に相談を実施できるものではないことに留意すること
。

부록 7. 일본 PMDA 사키가케 지정 신청서

様式第百七の二(一)(第二百五十一条の二関係)

先駆的医薬品指定申請書

名	称	
成分及び分量又は本質		
予定される用法及び用量		
予定される効能又は効果		
使用価値が特に優れていると判断する理由		
備	考	

上記により、先駆的医薬品の指定を申請します。

年 月 日

氏名 法人にあつては、主たる事務所の所在地
住所
法人にあつては、名称及び代表者の氏名
㊞

厚生労働大臣 殿

(注意)

- 1 用紙の大きさは、A4とすること。
- 2 この申請書は、正副2通提出すること。
- 3 字は、墨、インク等を用い、楷書ではつきりと書くこと。

부록 8. 일본 PMDA 사키가케 지정 신청 의약품 개요

先駆的医薬品の指定要件該当性に関する概要

申請者名		
名称	一般的名称 ^{※1}	
	販売名 ^{※2}	
指定要件 1	治療薬の画期性 ^{※3}	☐ 既承認薬と異なる作用機序であるもの ☐ 既承認薬と作用機序は同一であるが開発対象とする疾患に適応するものは初めてであるもの ☐ 革新的な薬物送達システムを用いているもの ☐ その他 () ^{※4}
	(上記要件に該当すると判断した要旨)	
指定要件 2	対象疾患の重篤性 ^{※3}	☐ 生命に重大な影響がある重篤な疾患 ☐ 根治療法がなく症状(社会生活が困難な状況)が継続している疾患
	(対象疾患の概要)	
指定要件 3	対象疾患に係る極めて高い有効性 ^{※3}	☐ 既承認薬が存在しない ☐ 既存の治療薬若しくは治療法に比べて有効性の大幅な改善が見込まれる
	(対象疾患の現在の治療法、有効性を示唆する臨床試験成績等の要旨)	
指定要件 4	世界に先駆けて日本で早期開発・申請する意思・体制 ^{※3}	☐ 世界に先駆けて日本で(単独に)承認申請される予定 ☐ 世界で初めて承認申請(複数の国・地域を対象とする場合に限る)を行う対象として日本が含まれる予定 ☐ 承認申請できる体制を有している
	承認申請予定時期	
	(開発に関する進捗状況・予定の概況 ^{※5※6})	

※1：一般的名称が決まっていない場合には「開発成分記号等」を記載。

※2：既に決まっている場合に記載、国内で承認されている場合は和名で記載。それ以外の場合には英語で記載。いずれの国でも販売されていない場合には「－」と記載。

※3：該当する□を塗りつぶすこと。

※4：当該項目を選択した場合、有効性の大幅な改善が見込まれる理由を端的に記載すること

※5：先駆け総合評価相談の活用予定時期を含めて、記載すること。

※6：使用に当たってコンパニオン診断薬等が必要となる医薬品については、当該診断薬等企業との連携体制及び開発の進捗状況等を含めて記載すること。

부록 9. 우리나라 의약품 신속심사 지정 신청서

의약품 신속심사 지정 신청서

※ []에는 해당되는 곳에 √ 표시를 합니다. 색상이 어두운 곳은 신청인이 작성하지 않습니다.

접수번호		접수일시		처리기간 30일
신청인	회사명(성명)		사업자(법인)등록번호	
			※ 사업자(법인)등록번호가 있는 경우 기재	
	주소(우편번호 :)			
	대표자명	전화번호	전자우편	
신속심사 대상	제품의 명칭(명칭이 없는 경우 코드명 또는 주성분명 등 기재)			
	[] 생명을 위협하거나 중대한 질환의 치료제			
	[] 공중보건에 심각한 위해를 끼칠 우려가 있는 감염병의 예방 또는 치료제			
	[] 혁신형 제약기업이 개발한 신약			
제품정보	구성성분	필요시 [별첨] 제출		
	작용 기전	필요시 [별첨] 제출		
	제조 방법	필요시 [별첨] 제출		
	예상 효능·효과	필요시 [별첨] 제출 (주요내용에 대한 임상시험결과 등 포함)		
주요내용	목표적응증	필요시 [별첨] 제출		
	적용 대상 질환의 중대성	필요시 [별첨] 제출		
	기존 치료법	목표 적응증에 대한 기존 치료법 여부 []있음, []없음		

위와 같이 의료제품 신속심사 지정을 신청합니다.

신청인
담당자 성명
담당자 전화번호

년 월 일
(서명 또는 인)

식품의약품안전처장 귀하

신청인 제출서류	해당 품목의 제품정보 및 주요내용에 대한 설명자료
-------------	-----------------------------

부록 10. 해외 주요국 신속 프로그램

1. 미국 FDA 신속 프로그램(Expendited program)

1) 패스트 트랙(Fast Track)

① 정의

패스트 트랙이란 중대한 질환 치료 및 시급한 의학적 미충족을 해결하는 신약 개발을 가속화하고 심사 기간을 단축하는 절차를 말한다. 패스트 트랙의 목적은 중요한 신약을 환자들에게 신속하게 공급하는 것이다.

② 대상

- 기존 치료법이 없는 질병의 치료 또는 예방을 목적으로 하는 신약
- 기존 치료법이 있는 경우, 기존 치료법들과 비교하여 다음의 개선점을 입증하는 의약품
 - 더 우수한 유효성, 중대한 상태에 대한 치료적 효과 또는 질환으로 인한 중대한 상태에 기존 치료법과 비교하여 개선된 효과를 나타내는 경우
 - 기존 치료법의 중대한 부작용 억제
 - 조기 진단할 경우 치료 결과 개선이 가능한 중대한 질환의 진단법 개선
 - 치료 영구중단을 초래하는 빈번하게 나타나는 기존 치료법의 독성 감소
 - 최근 발생했거나 예상되는 공중보건상의 요구를 해결할 수 있음

질병 또는 상태가 중대한지 여부는 생존, 일상적 기능 수행 또는 치료하지 않고 방치했을 때 질환의 상태가 악화될 가능성을 고려하여 임상적으로 판단한다. 후천성면역결핍증, 알츠하이머, 심부전, 암이 중대한 질환의 대표적인 예다. 또한 간질, 우울증, 당뇨병과 같은 질환도 중대한 질환으로 분류된다. 의학적 미충족 해결은 치료제가 없는 질환에 대한 새로운 치료법을 제공하거나 기존 치료법보다 더 나은 치료법 제공을 뜻한다.

③ 지정 시 이점

신청자는 패스트 트랙 지정 품목의 개발 시 발생하는 문제점에 대하여 FDA와의 상담을 조속하고 빈번하게 실시할 수 있어 신약의 승인과 공급을 앞당길 수 있다.

2) 혁신의약품 지정(Breakthrough Therapy)

① 정의

혁신의약품 지정이란 중대한 질환 치료제로서 예비 임상시험 결과에서 기존 치료법 대비 상당한 개선을 보이는 의약품의 개발과 심사 절차를 가속화하기 위해 마련된 절차를 말한다.

② 대상

중대한 질환이나 생명을 위협하는 질환 치료를 목표로 하며 임상시험 초기에 상당히 개선된 치료 효과가 확인된 획기적 의약품을 대상으로 한다.

혁신의약품 지정 시 허용하고 있는 임상적으로 유의한 평가변수란 일반적으로 비가역적 이환율 및 사망률(irreversible morbidity and mortality, IMM) 또는 질병의 중대한 결과를 대변하는 증상에 대한 영향을 측정하는 평가변수이며, 다음의 경우도 임상적으로 유의한 평가변수에 해당한다.

- 확립된 대리 평가변수에 대한 영향
- 대리 평가변수 또는 임상적 혜택을 예측할 가능성이 높은 중간 임상적 평가변수에 대한 영향(즉, 신속 허가 기준)
- 적합한 대리 평가변수의 기준을 충족하지 않지만 기저질환에 임상적으로 의미있는 영향을 미칠 가능성이 강력하게 예측되는 약력학적 생체표지자에 대한 영향
- 기존 치료법에 비해 안전성 프로파일은 유의하게 개선되었으며(예: 항암제의 용량 제한적 독성이 더 약함) 유효성은 비슷하다는 증거

③ 지정 시 이점

- 패스트 트랙 지정
- 빠르면 제 1상부터 효율적인 신약개발 프로그램 진행에 관한 상세 지침 제공
- 보건당국 자체적으로 전담 상급 관리자를 참여시킴

3) 신속심사(Accelerated Approval)

① 정의

신속심사(Accelerated Approval)는 시급한 의학적 미충족이 있는 중대한 질환의 경우 대리 평가변수에 근거하여 신약을 허가하는 제도이다.

② 대상

신속심사 대상은 생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제이면서 임상적 유의성을 예측가능한 대리평가변수로 기존 치료제 대비 의미있는 개선을 입증 할 수 있는 의약품이다.

FDA에서 대리 평가변수 또는 중간 임상적 평가변수 인정 여부는 해당 평가변수의 과학적 근거 자료를 토대로 결정하며, 특정한 대리결과 또는 중간 임상 결과를 정하지 않고 품목별로 판단한다. 대리 평가변수 또는 중간 임상적 평가변수를 사용하면 신약 승인 시간을 단축할 수 있으며, 대리 평가변수 또는 중간 임상적 평가변수를 설정하여 수행하는 연구들은 규정에 적합하게 ‘적절하게 잘 통제된’ 것이어야 한다.

확증적 임상시험에서 임상적 개선이 입증되지 못하거나 신약의 위험성보다 임상적 개선이 충분히 크지 않다면(예, 관찰된 대리지표에 대한 영향에 근거할 때 개선이 예상보다 유의하게 더 작거나 기간이 유의하게 더 짧음) 해당 신약 승인이 취소되거나 허가상 적응증이 수정될 수 있다.

<사례>

신약이 암 환자의 생존 기간을 연장시킬 때까지 지켜보는 대신, 종양 수축으로도 실제 임상적 혜택을 충분히 논리적으로 예측할 수 있으므로 신약이 종양 크기를 줄인다는 증거를 토대로 FDA가 해당 신약을 승인할 수 있다. 이 경우, 환자의 실제 생존기간을 확인할 때까지 기다리는 것보다 종양 수축에 근거하여 허가심사를 진행하는 것이 훨씬 빠르다. 단, 제약회사는 종양 수축에 환자의 생존 연장을 입증하기 위해 확증적 임상시험을 수행해야 한다.

4) 우선심사(Priority Review)

① 정의

우선심사는 중대한 질환의 치료제이고, 안전성 및 유효성이 유의하게 개선될 것으로 기대되는 신약에 적용하며 신청 후 6개월 이내에 승인여부를 결정한다.

② 대상

생명을 위협하는 질환의 치료제로서 기존 치료법 대비 안전성·유효성에 개선이 있는 의약품을 우선심사 대상으로 한다. FDA는 모든 신청 건에 대하여 표준심사 또는 우선심사를 지정한다. 우선심사 대상으로 지정되더라도 심사 시 필요한 자료제출 요건은 일반심사 시와 동일하다.

5) 그 외 신속한 개발을 위한 관련 제도

① 재생의료첨단치료(Regenerative Medicine Advanced Therapy, RMAT)

21세기 치유법 제정('16년, 21st century cures act)으로 재생의료첨단치료(Regenerative Medicine Advanced Therapy) 지정을 도입하고 중대한 질환 또는 생명을 위협하는 질환의 치료·변경·역전·완치하는데 사용하는 세포 및 유전자 치료제에 대해서 신속심사 신청 자격을 부여하고 있다.

② 동물규칙허가(Animal Rule Approval)

동물규칙허가(Animal Rule Approval) 제도는 화학독성물질, 생물학적 테러물질, 방사선 또는 핵물질의 노출로 유발되는 중증 또는 생명을 위협하는 질환의 치료제와 같이 임상시험이 비윤리적이고 치명적, 영구적 장애를 유발할 수 있는 치료제를 대상으로 한다.

동물규칙에 따라 동물 시험을 결과를 근거로 품목허가를 신청하거나 긴급 사용을 신청할 수 있다.

③ 코로나19 치료제 가속 프로그램(Coronavirus Treatment Acceleration Program, CTAP)

코로나19 대유행 사태에 따라 안전하고 효과적인 치료제 개발을 촉진하는

코로나19 치료제 가속 프로그램(Coronavirus Treatment Acceleration Program, CTAP)을 실시하고 있다. 이 가속 프로그램에 따라 FDA는 코로나19 치료제 전담 심사팀을 설치하여 (1) 24시간 이내 신속 프로토콜 심사 제공, (2) 3시간 이내 단일 환자에 대한 임상시험용의약품의 치료목적 사용신청(Expanded Access Program) 검토 등을 수행하고 있다.

④ 항암제 실시간 심사(Real-Time Oncology Review, RTOR)

2017년 신설된 종양학 연구센터(Oncology Center of Excellence, OCE)²⁹⁾에서는 2018년부터 항암제 실시간 심사(Real-Time Oncology Review, RTOR)를 파일럿 프로그램으로 수행하고 있다.

신약 허가신청 시 중요한 안전성 및 유효성 자료를 우선 제출할 수 있으며, 제도 도입 시 신청대상은 적응증, 용량·용법 추가 등 허가 사항 변경 시에 제한적으로 적용되었으나, 이후 신약 최초 허가까지 확대되었다.

실시가능성 평가와 절차 최적화를 목적으로 신청된 신약 허가 중 일부가 항암제 실시간 심사 대상으로 선택된다³⁰⁾. 선택된 품목의 신청자는 항암제 실시간 심사 신청을 선택할 수 있으나, 이는 해당 신약의 허가여부와 무관하다.

현재 항암제 실시간 심사는 항암제 분야에 대해서 적용되고 우선심사와 혁신의약품 지정 등 신속 프로그램과 병행하여 운영되고 있다.

⑤ 오르비스 프로젝트(Project Orbis)

오르비스 프로젝트는 국제협력 프로그램으로 항암제에 대해 국제 규제기관간 자료제출 및 심사 체계를 구축을 목적으로 하고 있다. 이는 FDA 허가 후 타 국가 규제기관에 신속히 자료를 제출하여 환자들에게 보다 빠르게 의약품을

29) Oncology Center of Excellence : Joe Biden 부통령이 '15년 제창한 암정복 국가프로젝트 'National Cancer Moonshot Initiative'의 일환으로 새로운 암 치료법 개발 촉진과 암 정복에 대한 통합관리를 위해 설립한 센터. 암정복 국가프로젝트에서 의약품·바이오의약품·의료기기 규제과학자와 심사관을 활용한 암정복을 위한 대처방안을 요구하였으며 이를 구체화한 것임. 새로운 암 치료법 개발 촉진 등 암 정복을 총괄 지원함

30) 선택 기준은 (1) 현행 치료에 비해 해당 신약이 상당한 향상이 있을 것으로 보이거나 (혁신의약품(BTD), 신속절차(FT), 우선심사(PR) 등 이미 지정된 신약도 선택 가능), (2) 심사부서와 OCE(Oncology Center of Excellence)가 보기에 확실한 시험설계인 경우, (3) 평가변수가 쉽게 해석 가능한 경우(overall survival, progression free survival 등)

지원하고자 마련되었다.

이 프로젝트의 첫 번째 사례로, 미국 FDA, 캐나다 Health Canada, 호주 TGA(Therapeutic Goods Administration)는 키트루다(Keytruda, 성분명 펌브롤리주맙)와 렌비마(Lenvima, 성분명 렌바티닙)의 병용요법을 공동심사하여 '19.9월 동시에 허가하였다. 항암제 실시간 심사(RTOR)와 평가보조³¹⁾(AAid)를 같이 적용하고 규제기관간 원활한 토론을 지원하여 목표보다 5개월 빠르게 허가하였다. 또한 '21년 폐암 수술 후 치료에 사용하는 아스트라제네카의 타그리소(Tagrisso, 성분명 오시머티닙)가 오르비스 프로젝트를 통해 신청 후 4개월만에 영국 의약품 및 보건의료제품 규제청(MHRA)에서 허가되었다.

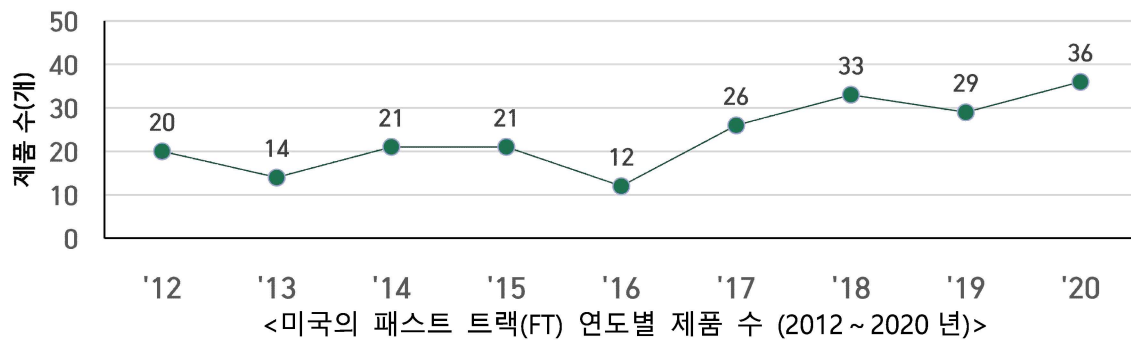
³¹⁾ 평가보조(AAid) 프로그램은 FDA의 품목허가 신청 민원 심사를 원활하게 하기 위해 민원인이 보조 자료 등을 자발적으로 제출할 수 있게 하는 프로그램이다. 이는 의료제품 심사 시 중요한 평가에 집중하여 효율성 및 일관성을 향상시키고, 서식 작성 등 행정업무 소요 시간 경감을 위해 개발되었다.

2. 미국 FDA 신속 프로그램 적용 현황

1) 패스트 트랙(Fast Track)

① 패스트 트랙 지정 현황

패스트 트랙 지정은 2017년부터 2020년까지 증가하는 추세이며, 가장 큰 비중을 차지하는 품목은 항암제이다.



② 적응증 별 지정현황

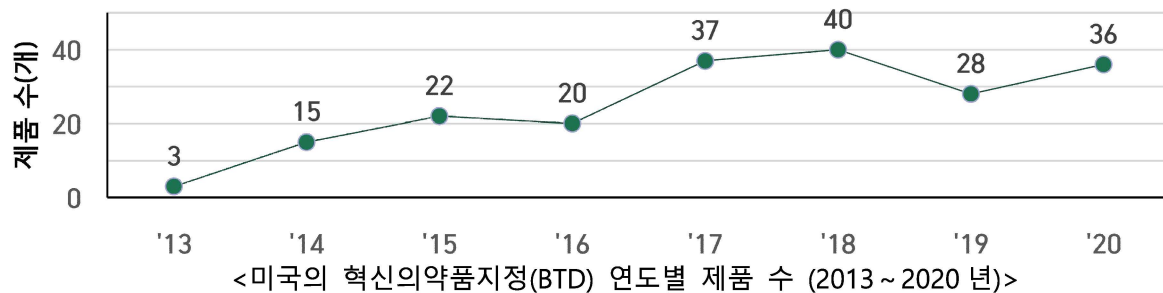
	감염증	항암제	내분비계	신경계	심혈관계	정신과	통증	기타*
건수	35	38	9	9	4	3	3	131
%	15%	17%	4%	4%	2%	1%	1%	56%

* 2건 이하 품목이 있는 적응증을 '기타'로 분류하였음

2) 혁신의약품 지정(Breakthrough Therapy Designation, BTB)

① 연도별 지정 현황

2013년부터 혁신의약품 지정은 총 201건으로 지속적으로 증가하였으며 2018년부터 2021년까지는 매년 20~30건을 유지하고 있다.



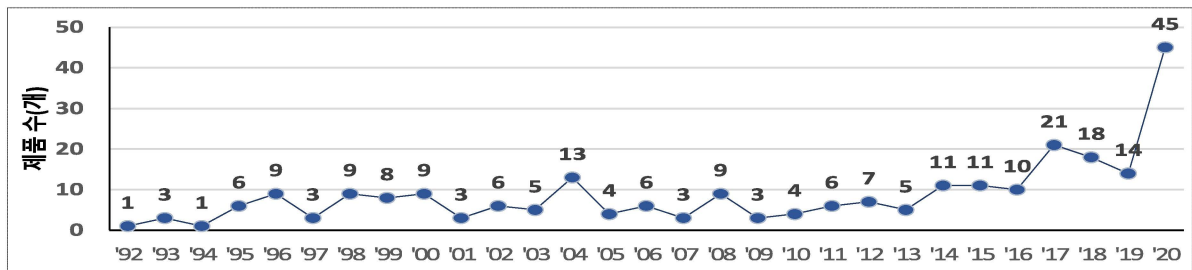
② 적응증 별 지정현황

	감염	항암제	내분비계	신경계	심혈관계	정신과	통증	기타*
건수	10	74	8	0	0	0	0	109
%	5%	37%	4%	0%	0%	0%	0%	54%

3) 신속심사(Accelerated Approval, AA)

① 연도별 지정 현황

2016년까지 지정건수는 연간 10여건 이하였으나, 2017년부터는 증가 경향이 있었으며 2020년에는 45건까지 증가하였다.



<미국의 신속심사(AA) 연도별 제품 수 (1992 ~ 2020 년)>

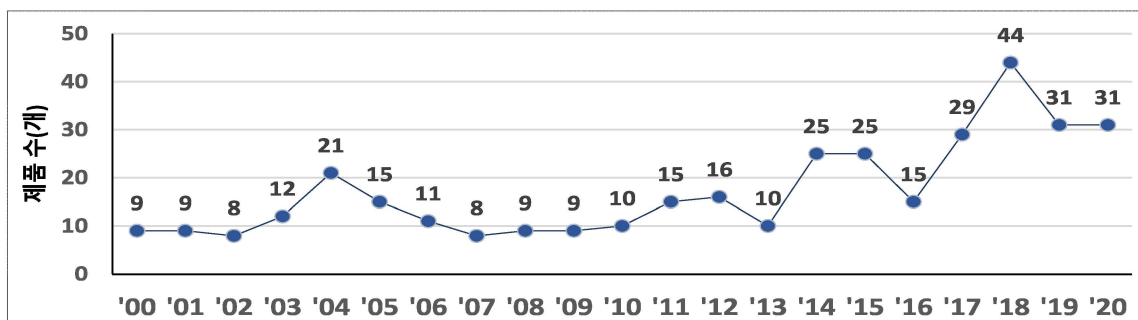
② 적응증 별 지정현황

	감염	항암제	내분비계	신경계	심혈관계	정신과	통증	기타*
건수	43	120	0	3	9	0	0	81
%	17%	47%	0%	1%	4%	0%	0%	32%

4) 우선심사(Priority Review, PR)

① 연도별 지정 현황

우선심사(PR) 지정 후 최초 허가 및 변경 허가 건수는 1985년~2020년까지 총 575건으로, 2000년 이후에는 2013년까지 연간 9~21건이었으나, 2014년부터는 15~44건으로 증가하는 추세이다.



<미국의 우선심사(PR) 연도별 허가제품 수 (2000 ~ 2020년)>

② 적응증 별 지정현황

	감염	항암제	내분비계	신경계	심혈관계	조영제	면역	소화계	기타
건수	66	112	11	27	22	10	10	3	296
%	12%	20%	2%	5%	4%	2%	2%	1%	53%

3. 유럽 EMA 신속 프로그램

1) 예외적 허가(Marketing Authorization under Exceptional Circumstances)

① 정의

예외적 허가는 질병의 희귀성, 윤리적 제약 또는 현재의 과학적 지식의 한계로 비임상 또는 임상자료 중 일부를 제출할 수 없는 경우 시판 허가를 위해 도입되었다.

② 대상

- 해당 질환이 드물게 발생하여 신청자가 종합적 자료를 제출할 것으로 합리적으로 기대할 수 없는 경우
- 현재의 과학적 지식 수준으로 종합적 정보를 제공할 수 없는 경우
- 종합적 정보를 위한 임상시험 등 수행이 일반적으로 받아들여지는 의료 윤리에 위배되는 경우

③ 허가 후 고려사항

예외적 상황의 시판허가는 5년간 유효하며 허가권자(marketing authorisation holder, MAH)의 신청에 따라 갱신될 수 있다(renewable). 갱신을 위한 평가는 해당 제품의 유익성-위해성에 대한 전반적 재평가에 기반하여 이루어진다. 한번 갱신된 후에는 기간 제한없이 유효하다. 다만, 규제당국은 합리적인 약물 감시 근거에 따라 5년 후 1회 추가 갱신하도록 할 수도 있다.

- EU 위해성 관리 계획에 따라 작성하고, 약물 감시 계획을 제출(필요한 경우 위해성 최소화 계획 포함)
- 예외적 상황의 시판허가 근거
- 부과되는 특정 절차 및 의무에 대한 세부 정보
- 신청자는 제출한 임상시험 계획을 규제기관이 지정한 기간 내에 완료 (해당 임상시험 결과는 유익성-위해성 재평가 활용)
- 처방 의약품으로만 공급 가능하고, 의료종사자에게 예외적 허가사항을 확인할 수 있도록 제품설명서 및 의료정보를 제공

2) 신속심사(Accelerated Assessment)

① 정의

신속심사는 2005년 혁신적 치료제에 대해 심사기간을 단축하기 위하여 도입되었으며, 허가·심사기간을 기존 210일에서 150일로 단축 할 수 있다.

② 대상

- 공중 보건에 이익이 되는 경우
- 새로운 치료법을 도입하거나 기존 치료법을 개선하여 의학적 미충족을 해결하는 경우
- 질병의 예방, 진단 방식이 기존보다 상당히 개선되었음을 입증하는 경우

③ 지정 접수 후 진행사항

품목 담당자는 신청품목에 대한 권고사항을 포함한 보고서 작성하고, 필요한 경우 약물사용자문위원회(CHMP)는 신청자에게 품목과 관련된 설명을 요청할 수 있다. 약물사용자문위원회는 신속심사 승인시 다음을 고려한다.

- 신청자의 요청사항
- 요청사항의 정당성
- 품목 담당자의 권고사항

신속심사 대상 지정에 대한 CHMP의 결정이 품목허가 여부에 영향을 미치지 않는다. 약물사용자문위원회는 신청자에게 결과를 통보하고, 신속심사 대상으로 지정 후 약물사용자문위원회는 신속심사 일정을 고려하여 품목 허가 심사를 진행한다.

3) 조건부 허가(Conditional Marketing Authorization)

① 정의

2006년 도입된 조건부 허가(Conditional Marketing Authorization, CMA)는 생명을 위협하는 질환이나 공중보건상 위급한 상황 또는 희귀질환 치료에 사용되는

의약품을 먼저 허가해주는 제도이다. 조건부 허가는 허가 후 치료적 확증 임상시험 결과 제출을 조건으로 한다.

② 대상

조건부 허가의 대상은 중대한 질환 또는 생명을 위협하는 질환, WHO 또는 EU가 인정한 공중보건을 위협하는 응급상황에서 사용하는 의약품이거나 희귀의약품이다.

③ 허가 후 고려사항

조건부 허가는 1년간 유효하며 신청자는 만료기간 6개월 전 이행사항에 관한 중간 보고서를 제출하여 허가를 갱신해야 한다. 신청자가 확증적 임상시험을 완료하면 정식 허가로 전환되고 5년간 유효하다.

4) 프라이م 제도(PRIority MEDicines, PRIME)

① 정의

프라이م 제도는 2016년 공중보건적 의미를 갖는 제품, 특히 치료 혁신 의료 제품의 개발과 허가를 지원하기 위하여 도입한 제도이다. 프라이م 제도는 개발 초기부터 개발자와 협력하여 품목허가를 위한 임상 시험 설계를 강화하는 것을 목표로 한다.

② 대상

- 의학적 미충족이 있는 경우

* 진단, 예방 또는 치료법이 없거나, 진단, 예방, 치료법이 있는 경우 기존 치료법에 비해 개선점이 있는 경우

- 의학적 미충족을 해결할 가능성이 있는 경우

프라이م 제도는 예비 임상 결과를 기반으로 신청할 수 있지만 학계 및 기업은 비임상 자료 및 내약성 자료를 기반으로 지정 신청이 가능하다. 그러나, 이미 허가신청을 하였거나 기존 허가된 적응증에 새로운 적응증을 추가하는 경우 프라이م 제도를 적용할 수 없다.

규제당국은 사전상담을 통해서 개발 계획을 최적화하고 환자에게 빨리 의약품을 공급하고 의약품 개발자가 품목 허가·심사 시 신속 심사를 받을 수 있도록 한다.

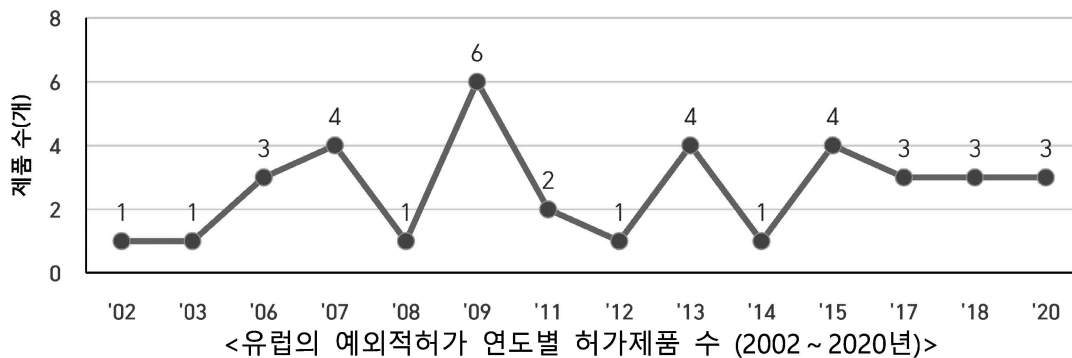
③ 적용 시 이점

- 프라임 지정 서면 확인서 및 신속 심사
- 품목 개발부터 약물사용자문위원회 품목 담당자 지정
- 유럽연합의 다분야 전문가와의 킥오프 미팅
- 주요 결정 시점에서의 과학적인 조언
- EMA의 전용 연락처
- 중소기업 및 학계를 위한 과학적 조언 제공시 수수료 이점

4. 유럽 EMA 신속 프로그램 적용 현황

1) 예외적 허가(Marketing Authorization under Exceptional Circumstances)

예외적 허가는 2020년까지 총 37건이었으며, 허가된 품목의 대부분은 바텐병, 뇌건성 황색종 등 희귀질환의 치료목적 의약품이었다.

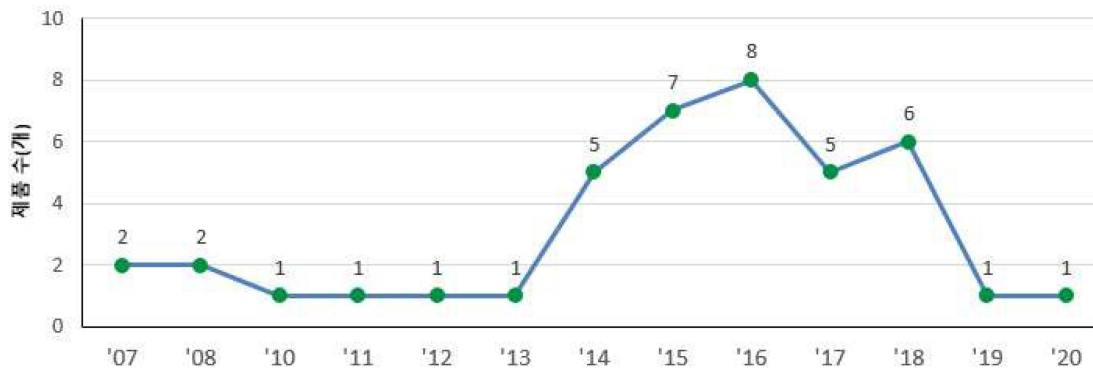


현재까지 예외적 허가의 주요 적응증은 다음과 같다.

예외적 허가 적응증	
- 인플루엔자 바이러스 감염 - 고콜레스테롤혈증(HoFH) - 에볼라 바이러스 감염 - T-세포 림프모구림프종(T-LBL) - 가족샘종폴립증(FAP) - 간정맥폐쇄성 질환(SOS/VOD) - 고지혈증 - 급성 골수성 백혈병(AML) - 급성 림프구성 백혈병(ALL) - 뇌건성 황색종증(CTX) - 다발성 신경병증 - 담즙산 합성의 선천적 결함 - 담즙정체성 간질환 - 람베르트-이튼 근무력 증후군(LEMS) - 레베르 유전성 시신경병증(LHON) - 림프종 - 바텐병(CLN2)	- 선천성 대사질환 - 선천성 만성 담즙 정체, 비타민 E 결핍 - 신경모세포종 - 알파-만노시드증(alpha-Mannosidosis) - 왜소 증후군 - 저인산혈증 - 점액다당류증(2 형, 헌터증후군) - 점액다당류증(6 형) - 점액다당류증(7 형) - 지방이영양증(LD) - 천연두 - 크라이오피린 관련 주기 증후군(CAPS) - 탄저병 - 폐혈증 - 포르피린증 - 항트롬빈결핍증 - 혈우병

2) 신속심사(Accelerated Assessment)

신속심사는 2014년~ 2018년에는 증가하였으나, 2019년부터는 감소경향을 보이고 있다.



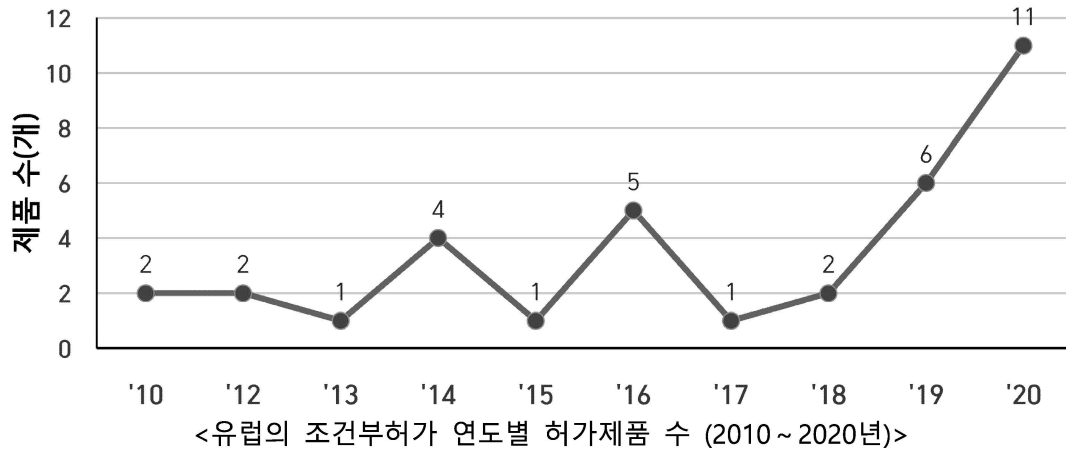
<유럽의 신속심사 연도별 허가제품 수 (2007 ~ 2020년)>

현재까지 신속심사의 주요 적응증은 다음과 같다.

신속심사 적응증	
• 만성 C 형 간염 바이러스 감염 • 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH) • HIV-1 감염 • 다발성 신경병증 • 신세포암 • 척수성 근위축증(SMA) • β 지중해빈혈(TDT) • 각결막염(VKC) • 갑상선암 • 고셔병 • 골수형성이상증후군 • 낭포성 섬유증(CF) • 담즙정체성 간질환 • 리소좀산 리파제(LAL) 결핍증 • 바텐병(CLN2)	• 만성 골수성 백혈병(CML) • 호산구성 식도염(EoE) • 다발성 골수종 • 비소세포폐암(NSCLC) • 신경영양 각막염 • 연조직육종(STS) • 유전성 X 인자 결핍 • 유전성 혈관부종(HAE) • 인플루엔자 바이러스 감염 • 전립선암 • 지혈 • 쿠싱 증후군 • 특발성 폐섬유증(IPF) • 혈우병 A • 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(PH+CML)

3) 조건부허가(Coditional Marketing Authoriation)

조건부 허가는 2020년까지 총 35건이며, 2019년부터 증가 경향을 보이고 있다.



현재까지 조건부 허가의 주요 적응증은 다음과 같다.

조건부 허가 적응증	
• COVID 19 바이러스 감염	• 뒤센형 근이영양증(DMD)
• 다발성 골수종	• 미만성 거대 B 세포림프종(DLBCL)
• 다제내성 결핵(MDR-TB)	• 연조직육종(STS)
• 인플루엔자 바이러스 감염	• 외투세포림프종(MCL)
• 비소세포폐암(NSCLC)	• 원발성 담즙성 담관염(PBC)
• β 지중해빈혈(TDT)	• 유방암
• 갑상선 기능 저하증	• 이식편대숙주병
• 갑상선 수질암(MTC)	• 자궁내막암
• 갑상선암	• 저인산혈증
• 겸상적혈구병	• 조혈모세포 이식 후 각막질환
• 고지혈증	• 지혈
• 고형암	• 척수성 근위축증(SMA)
• 고형암, 비소세포폐암(NSCLC)	• 탈감작
• 난소암	• 편평세포암, 비소세포폐암(NSCLC)
• 담관암	• 호지킨 림프종
• 대사성 간질환	• 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(PH+CML)

4) 프라임 제도(PRIority MEdicines, PRIME)



<유럽의 프라임 제도 연도별 허가제품 수 (2016 ~ 2020년)>

프라임 제도는 2016년 도입된 후 총 85건이 지정되었으며, 매년 20여건이 지정되고 있다.

프라임 제도 적응증	
• 다발성 골수종 • 겸상적혈구병 • 치쿤구니아열 • 혈우병 B • 교모세포종 • 림프증식성 증후군 • 베타 지중해 빈혈 • 엡스타인-바 바이러스 등 • C3 사구체병증 • D 형 간염 • X-연관 근세관성 근육병증 2 • 미만성 거대 B 세포림프종(DLBCL) • 결핵 • 골수 섬유증 • 골수이형성 증후군 • 골형성부전증(1,3,4 형)	• 색소 망막염 • 세자리 증후군 • 신경세로이드리포푸신증 • 외배엽 이형성증 • 원발성 담즙성 담관염(PBC) • 이영양성 수포성 표피박리증 • 점액다당류증(1 형) • 점액다당류증(3A 형) • 조혈모세포 이식 • 지카바이러스 감염 예방 • 지혈 • 진행성 가족성 간내 담즙정체증 • 척수성 근육위축 • 티미딘 키나아제 2 결핍 • 판코니빈혈 A 형 • 패혈증

5. 일본 PMDA 신속 프로그램

1) 우선심사(Priority Review, PR)

① 정의

일반적으로 의약품 허가심사는 신청서 접수 순서로 진행하지만, 희귀의약품, 후생성에서 지정한 우선심사 대상 의약품, 중증질환의 치료 신약과 같이 의학적 관점에서 특히 중요하다고 인정되는 의약품의 경우에는 종합적 평가를 통해 우선심사로 지정하여 우선적으로 심사를 실시한다.

② 대상

우선심사의 판단기준은 대상 질환의 심각성과 임상적 유효성으로 구분되며, 각 항목의 세부 기준은 다음과 같다.

- 대상 질환의 심각성 : 환자의 생존에 중요한 영향을 미치는 질병(중대한 질환), 일상생활에 현저한 영향을 미치는 진행성 및 비가역성 질환인 경우, 그 외 (기타)
- 임상적 유효성에 대한 종합적 평가 : 기존의 치료, 예방 또는 진단 방법이 없거나, 기존 치료에 대한 치료적 유효성 및 안전성이 높거나, 환자의 육체적·정신적 부담이 큰 경우

3) 사키가케 지정(SAKIGAKE Designation)

① 정의

사키가케 전략* 중 허가심사 절차와 관련된 제도인 사키가케 지정제도 (SAKIGAKE Designation)는 생명을 위협하는 중대한 질환에 기허가 의약품과 다른 작용으로 높은 효과가 기대되는 의약품을 지정하기 위한 것이다.

* 혁신적 의료제품의 실용화를 통해 세계를 선도하기 위한 “사키가케(Sakigake) 전략“이 2015년 마련되었다. 이 전략은 기초 연구에서 임상연구/임상시험, 허가심사, 보험 적용 범위 및 글로벌 진출까지 모든 것을 포괄하는 전략이다.

② 대상

사키가케 지정 대상은 다음의 4가지 조건을 모두 충족하여야 한다.

- (치료제의 혁신성) 기허가 의약품과 작용 기전은 동일하지만 적응증이 다른 의약품으로 개발된 의약품 및 혁신적인 약물 전달 시스템을 사용하는 약물
- (질병의 중증도) 생명을 위협하는 심각한 질병이거나, 지속적인 증상(사회 생활 유지가 어려운상태)을 나타내고 근본적인 치료법이 없는 질환
- (유효성 개선) 기존 치료법이 없거나, 기존 치료제보다 안전성·유효성이 상당히 높을 것으로 예상되는 경우
- (국내 개발) 일본에서 가장 먼저 허가신청(또는 일본을 포함한 다국가 허가 신청)이 계획되어야 하며, 체계적인 허가신청 계획을 갖추고 있어야 함 (동반진단제제 등 같이 사용되는 제품이 있는 경우 해당 제품의 허가를 동시에 신청하기 위해 업체간 협력 등 체계적인 계획 포함). 또한 일본에서 지속적으로 개발한 품목인 경우임. 신청 대상 품목은 일본에서 임상 1상 연구가 수행되고, 일본에서 개념 증명(proof of concept) 연구가 수행된 품목

4) 조건부 조기 허가(Conditional Early Approval, CEA)

① 정의

소수의 환자에서 발생하는 중대한 질환 치료제로서 효과적인 치료방법이 제한적이며 임상시험이 어렵거나 장기간이 소요되는 의약품 허가 시 적용하며, 안전성 및 유효성에 대한 입증 자료 등을 조건부로 신속하게 허가하는 제도이다.

② 대상

- 적응증이 중대한 질환이고, 진행성이며 비가역적인 경우
- 의학적 유효성이 높음을 입증한 경우
- 치료적 확증 임상시험을 수행하기 어려운 경우
- 임상시험(예; 확증적 임상시험 이외 임상시험 등)의 결과가 어느 정도 안전성 및 유효성을 입증한 경우

④ 허가 후 이행사항

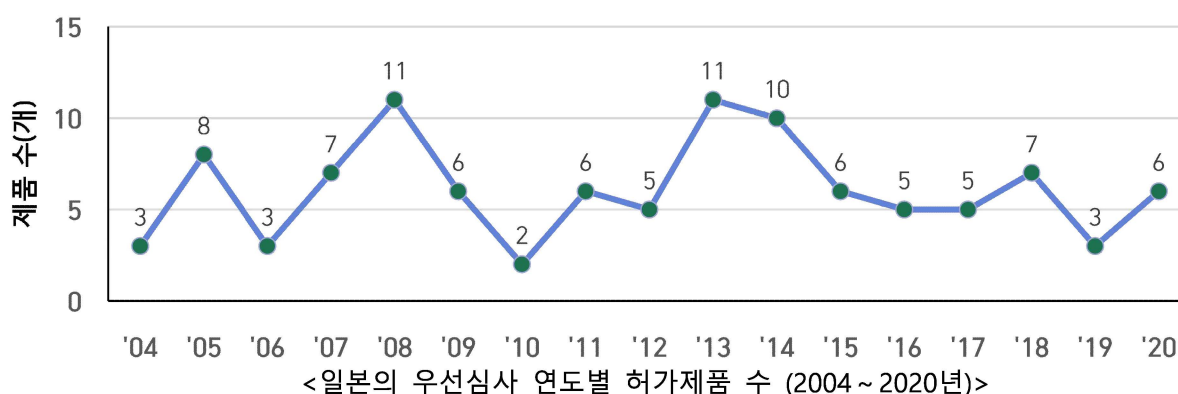
허가 시 유효성과 안전성의 재확인에 필요한 자료 등을 조건으로 하며, 이러한

자료에는 의료 정보 데이터베이스 및 환자 레지스트리 등이 사용될 수 있다. 의약품의 적절한 사용, 조치 이행 등의 관점에서 기관의 요건 등을 규정하는 것이 타당한 경우에는 요건확보에 필요한 사항을 허가조건에 포함할 수 있다. 확증적 임상시험 결과는 요구하지 않으나 시판 후 조사 등의 실시가 허가조건으로 요구된다.

6. 일본 PMDA 신속 프로그램 적용 현황

1) 우선심사(Priority Review)

일본의 우선심사(PR) 지정 의약품 및 재생의료제품은 2004년부터 2020년까지 총 104건이었으며, 최근 5년(2016~2020년)간 매년 3~7건의 지정이 있었다. 주요 적응증은 만성 C형 간염 바이러스(HCV) 감염 관련(18건, 17.0%), 만성 B형 간염 및 췌장암(각 7건, 6.6%), 비소세포폐암(6건, 5.7%), 신세포암 및 전립선암(각 5건, 4.7%)이 많았다.



2) 사키가케 지정(SAKIGAKE Designation) 품목

2020년월까지 사키가케 지정 후 허가 품목 총 12품목이며 다음과 같다.

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	허가일자
1	Xofluza (Baloxavirmarboxil)	Shionogi & Co., Ltd.	A형 또는 B형 인플루엔자 바이러스 감염	2018.02.23
2	Rapalimus (Sirolimus)	Nobelpharma Co., Ltd.	결절성 경화증	2018.03.23
3	Xospata (Gilteritinib fumarate)	Astellas Pharma Inc.	급성 골수성 백혈병(AML)	2018.09.21
4	Stemirac (Human (autologous) bone marrow derived mesenchymal stem cell)	Nipro Corporation	자가골수유래 간엽줄기세포와 채혈 및 골수채취	2018.12.28
5	Vyndaqel (Tafamidis meglumine)	Pfizer Japan Inc.	트랜스티레틴 심장 아밀로이드증(야생형 및 유전성)	2019.03.26
6	Rozlytrek (Entrectinib)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	고형암	2019.06.18
7	Zolgensma (Onasemnogene abeparvovec)	Novartis Pharma K.K.	척수성 근위축증(SMA)	2020.03.19

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	허가일자
8	Steboronine (Borofalan(10B))	Stella Pharma Corporation	두경부암	2020.03.25
9	Viltepso (Viltolarsen)	Nippon Shinyaku Co., Ltd.	뒤센형 근이영양증(DMD)	2020.03.25
10	Tepmetko (Tepotinib)	Merck Biopharma Co., Ltd.	비소세포폐암	2020.03.25
11	Enhertu (Trastuzumab)	Daiichi Sankyo Company, Limited	HER2 양성 위암	2020.09.25
12	Akalux IV (Cetuximab)	Rakuten Medical Japan K.K.	두경부암	2020.09.25

3) 조건부 조기 허가(Conditional Early Approval)

일본의 조건부 조기 허가 지정을 받고 허가된 품목은 총 5건이며 다음과 같다.

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	허가일
1	Lorbrena (Lorlatinib)	Pfizer Japan Inc.	비소세포폐암	2018.09.21
2	Keytruda (Pembrolizumab)	MSD K.K.	고형 종양, 흑색종, 비소세포폐암	2018.12.21
3	Viltepso (Viltolarsen)	Nippon Shinyaku Co., Ltd.	뒤센형 근이영양증(DMD)	2020.03.25
4	Enhertu (Trastuzumab)	Daiichi Sankyo Company, Limited	사람표피성장인자수용체2 양성(HER2+) 유방암	2020.03.25
5	Akalux (Cetuximab)	Rakuten Medical Japan K.K.	두경부암	2020.09.25

부록 11. 미국 FDA 신속 프로그램 품목 현황

* 최초 허가시 적용된 신속 프로그램 현황이며, 허가 변경은 포함되지 않음

○ 미국의 패스트 트랙(FT), 혁신의약품 지정(BTD), 우선심사(PR), 신속심사(AA) 지정 현황

<근거: FDA New drug Therapy Approvals 2016~2020년>

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
1	Anthim (Obiltoximab)	Elusys Therapeutics	2016.03.18	탄저병	○				
2	Axumin (Fluciclovine F-18)	Blue Earth	2016.05.27	전립선암 재발이 의심 되는 남성의 양성자 방출 단층 촬영 영상			○		
3	Defitelio (Defibrotide Sodium)	Jazz Pharmaceutic als	2016.03.30	정맥 폐쇄성 질환 (VOD) 치료	○		○		
4	Epclusa (Sofosbuvir, Velpatasvir)	Gilead Sciences	2016.06.28	c형 간염	○	○	○		
5	Exony51 (Eteplirsén)	Sarepta Theraps Inc	2016.09.19	뒤센 근이영양증	○		○	○	
6	Lartuvo (Olaratumab)	Eli Lilly	2016.10.19	연조직 육종 환자	○	○	○	○	
7	Netspot (Gallium Dotatate Ga-68)	AAA Usa Inc	2016.06.01	소마토스타틴 수용체 양성 신경내분비종양 에서 양전자방출단층 촬영(PET)과 함께 사용하도록 표시된 약제			○		
8	Nuplazid (Pimavanserin)	Acadia Pharmaceutic als	2016.04.29	파킨슨병과 관련된 환각 및 망상장애		○	○		
9	Ocaliva (Obeticholic Acid)	Intercept Pharmaceutic als	2016.05.27	UDCA를 견딜 수 없는 성인의 단독 요법	○		○	○	
10	Rubraca (Rucaparib)	Clovis Oncology	2016.12.16	난소암의 치료		○	○	○	
11	Spinraza (Nusinersen)	Biogen	2016.12.23	척수성 근위축증 (SMA)	○		○		
12	Tecentriq (Atezolizumab)	Genentech	2016.05.18	요로상피암, 비소세포 폐암 및 소세포 폐암, 삼중음성유방암, 간암		○	○	○	
13	Venclexta (Venetoclax)	Abbvie	2016.04.11	백혈병		○	○	○	
14	Xiidra (Lifitegrast)	Shire Development, Llc	2016.07.11	안구건조증					
15	Zepatier (Elbasvir, Grazoprevir)	Merck Sharp And Dohme	2016.01.28	c형 간염		○	○		
16	Zinplava (Bezlotoxumab)	Merck Sharp & Dohme Corp	2016.10.21	클로스트리듐 디피실리균 감염	○		○		
17	Emflaza (Deflazacort)	PTC THERAP	2017.02.09	뒤센근위축증	○		○		
18	Xermelo (Telotristat Ethyl)	TERSERA	2017.02.28	담도암	○		○		
19	Kisqali (Ribociclib)	Novartis Pharmaceutic als	2017.03.13	유방암		○	○		

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
20	Bavencio (Avelumab)	Emd Serono	2017.03.23	메르켈세포암	○	○	○	○	
21	Zejula (Niraparib)	Glaxosmithkline	2017.03.27	난소암	○	○	○		
22	Dupixent (Dupilumab)	Regeneron Pharmaceuticals	2017.03.28	중증 알레르기성 질환		○	○		
23	Ocrevus (Ocrelizumab)	Genentech	2017.03.28	다발성 경화증	○	○	○		
24	Ingrezza (Valbenazine)	Neurocrine Biosciences	2017.04.11	지연성 운동장애	○	○	○		
25	Brineura (Cerliponasealfa)	Biomarin Pharmaceuticals Inc	2017.04.27	배턴 질환		○	○		
26	Alunbrig (Brigatinib)	Takeda Pharms USA	2017.04.28	비소세포폐암		○	○	○	
27	Raydapt (Midostaurin)	Navartis	2017.04.28	급성 골수성 백혈병	○	○	○		
28	Imfinzi (Durvalumab)	Astrazeneca	2017.05.01	진행되거나 전이된 요로 상피세포암		○	○	○	
29	Baxdela (Delafloxacin)	Melinta	2017.06.19	급성 박테리아 피부, 피부 구조 감염	○		○		
30	Bevyxxa (Betrixaban)	Portola Pharms INC	2017.06.23	정맥혈전색전증	○		○		
31	Vosevi (Sofosbuvir, Velpatasvir, Voxilaprevir)	Gilead Sciences Inc	2017.07.18	C형 간염	○	○	○		
32	Idhufa (Enasidenib)	Celgene Corporation	2017.08.01	급성 골수성 백혈병	○		○		
33	Mavyret (Glecaprevir, Pibrentasvir)	Abbvie	2017.08.03	C형 간염	○	○	○		
34	Besponsa (Inotuzumabozogamicin)	Wyeth Pharmaceuticals	2017.08.17	급성 백혈병		○	○		
35	Bensnidazole (Benznidazole)	Exeltis USA, Inc	2017.08.29	샤가스병			○	○	
36	Vabomere (Meropenem)	Rempex	2017.08.29	요로감염	○		○		
37	Aliqopa (And Vaborbactam)	Chemo Research, SI	2017.09.14	망상 림프종	○		○	○	
38	Solosec (Copanlisib Hydrochloride)	LUPIN	2017.09.15	트리코모나스증	○		○		
39	Verzenio (Secnidazole)	Eli Lilly and co	2017.09.28	유방암	○	○	○		
40	Calquence (Acalabrutinib)	Astrazeneca	2017.10.31	외투세포림프종		○	○	○	오르 비스 프로 젝트
41	Prevymis	Merck Sharp Dohme	2017.11.08	동종 조혈모세포 이식 환자의 거대 세포바이러스 감염 및 질환의 예방	○	○	○		

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTB	PR	AA	기타 제도
42	Mepsevii (Vestronidase Alfa-Vjbk)	Ultragenyx Pharm INC	2017.11.15	점액 다당류증 치료제	○		○		
43	Hemlibra (Emicizumab-K xwh)	Genentech INC	2017.11.16	혈우병		○	○		
44	Giapreza (angiotensin II acetate)	La Jolla Pharma	2017.12.21	폐혈증			○		
45	Aemcolo (Rifamycin)	Redhill	2018.11.16	비침습성 대장균 균주에 의한 여행자 설사	○		○		
46	Ajovy (Fremanezuma b-Vfrm)	TEVA Pharms USA	2018.09.16	편두통			○		
47	Biktarvy (Bictegravir, Emtricitabine, Tenofovir Alafenamide)	Gilead Sciences, Inc.	2018.02.07	에이즈 치료			○		
48	Copiktra (Duvelisib)	Secura	2018.09.24	만성 림프구성 백혈병	○		○	○	
49	Crysvita (Burosumab-T wza)	Ultragenyx Pharmaceutical Inc	2018.04.17	저인산혈증	○	○	○		
50	Daurismo (Glasdegib)	Pfizer	2018.11.21	급성골수성백혈병			○		
51	Diacomit (Stiripentol)	Biocodex Sa	2018.08.20	드라베 증후군			○		
52	Doptlet (Avatrombopa g)	AKARX Inc	2018.05.20	혈소판 감소증			○		
53	Elzonris (Tagraxofusper zs)	Stemline Therapeutics	2018.12.21	모구 형질세포양 수지 세포 종양		○	○		
54	Epidiolex (Cannabidiol)	GW RES LTD	2018.06.25	Lennox-Gastaut 증후군 또는 Dravet 증후군과 관련된 발작의 치료	○		○		
55	Erleada (Apalutamide)	Janssen Biotech Inc	2018.02.14	전립선암	○		○		
56	Firdapse (Amifampridin e)	Catalyst Pharms	2018.11.18	램버트-이튼 근무력 증후군		○	○		
57	Galafold (Migalastat)	Amicus Therap US	2018.08.10	파브리병	○		○	○	
58	Gamifant (Emapalumabl zsg)	Novimmune S.A	2018.11.20	적혈구 탐식증후군		○	○		
59	Krintafel (Tafenoquine)	Glaxosmithkline	2018.07.20	말라리아		○	○		
60	Libtayo (Cemiplimab- Rwlc)	Regeneron Pharmaceuticals	2018.09.28	피부 편평 상피 세포 암		○	○		
61	Lorbrena (Lorlatinib)	Pfizer	2018.11.02	비소세포폐암		○	○	○	
62	Lucemyra (Lofexidine)	USWM	2018.05.16	마약성 진통제 금단 증상의 치료, 비마약성 진통제	○		○		

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
63	Lumoxiti (Moxetumomab Pasudotox-Tdtk)	Astrazeneca	2018.09.13	모상세포백혈병	○		○		
64	Lutathera (177Lu-Dota0-T yr3-Octreotate)	AAA USA INC	2018.01.26	위-췌장 신경 내분비 종양	○		○		
65	moxidectin (Moxidectin)	MDGH	2018.06.13	사상충증			○		
66	Mulpleta (Lusutrombo pag)	Shionogi Inc	2018.07.31	혈우병 치료	○		○		
67	Nuzyra (Omadacycline)	Paratek Pharms INC	2018.10.02	피부 감염	○		○		
68	Omegaven (Fish Oil Triglycerides)	Fresenius Kabi USA	2018.07.27	비경구 영양 관련 담즙정체(PNAC)	○		○		
69	Onpattro (Patisiran)	Amylin Pharms INC	2018.08.10	트랜스티레틴-유전자 아밀로이드증의 다신경 병증	○	○	○		
70	Orilissa (Elagolix Sodium)	Abbvie, Inc.	2018.07.23	자궁내막증			○		
71	Oxervate (Cenegermin)	Dompe Farmaceutici	2018.08.22	중증 신경영양성 각막염	○	○	○		
72	Palynziq (Pegvaliase-Pq pz)	Biomarin Pharmaceutical Inc	2018.05.24	페닐케톤뇨증	○		○		
73	Poteligeo (Mogamulizu mabkpkc)	Kyowa Kirin	2018.08.08	세자리 증후군		○	○		
74	Revcovi (Elapegadema se-Lvlf)	Leadiant Biosciences Inc	2018.10.05	후천성 면역결핍 증후군(AIDS)	○		○		
75	Symdeko (Tezacaftor/ Ivacaftor)	Vertex Pharmaceuticals Inc	2018.02.12	낭포성 섬유증	○	○	○		
76	Takhzyro (Lanadelumab)	Dyax	2018.08.23	유전성 혈관 부종 (HAE)	○	○	○		
77	Talzenna (Talazoparib)	Pfizer Inc	2018.10.16	유방암			○		
78	Tegsedi (Inotersen)	Akcea Therapeutics Inc	2018.10.05	유전성 ATTR 아밀로 이드증	○		○		
79	Tibsovo (Ivosidenib)	Servier	2018.07.20	급성 골수성 백혈병	○		○		
80	Tpoxx (Tecovirimat)	Siga Technologies Inc	2018.07.13	천연두	○		○		
81	Trogarzo (Ibalizumab-Ui yk)	TaiMed Biologics USA	2018.03.06	후천성 면역 결핍증	○	○	○		
82	Vitrakvi (Larotrectinib)	Bayer Healthcare Pharmaceuticals	2018.11.26	NTRK 유전자융합이 있는 고형암		○	○	○	

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
83	Vizimpro (Dacomitinib)	Pfizer	2018.09.27	상피세포성장인자수용체 (EGFR) 엑손 19 결손 또는 엑손 21 L858R 치환 변이가 있는 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암(NSCLC)			○		
84	Xerava (Eravacycline)	Tetraphase	2018.08.27	복강내 감염	○		○		
85	Xofluza (Baloxavir Marboxil)	Genentech Usa, Inc	2018.10.24	독감			○		
86	Xospata (Gilteritinib)	Astellas Pharma Us Inc	2018.11.28	급성 골수성 백혈병	○		○		
87	Zemdri (Baloxavir Marboxil)	Cipla USA	2018.10.24	요로감염			○		
88	Adakveo (Crizanlizumab tmca)	Novartis Pharmaceuticals	2019.11.25	겸상적혈구빈혈		○	○		
89	Balversa (Erdafitinib)	Janssen Biotech	2019.04.12	요로상피세포암		○	○	○	
90	Brukina (Zanubrutinib)	Beigene Usa Inc	2019.11.14	외투세포림프종		○	○	○	
91	Cablivi (Ciplacizumab)	Ablynx Nv	2019.02.06	혈전성 혈소판 감소성 자반증	○		○		
92	Caplyta (Lumateperone)	Intra-Cellular	2019.12.20	조현병	○				
93	Egaten (Triclabendazole)	Novartis Pharmaceuticals Corp	2019.02.13	간흡충병	○		○		
94	Enhertu (Famtrastuzum abderuxtecan- Ncki)	Daiichi Sankyo	2019.12.20	유방암		○	○	○	항암제 실시간 심사
95	Fetroja (Cefiderocol)	Shionogi Inc	2019.11.14	복합요로감염	○		○		감염병 치료제 지정
96	Givlaari (Givosiran)	Alnylam Pharmaceutic als	2019.11.20	급성 간성 포르피린증		○	○		
97	Inrebic (Fedratinib)	Impact Biomedicines, Inc.	2019.08.16	골수 섬유증			○		
98	Nubeqa (Darolutamide)	Bayer Healthcare Pharmaceutic als Inc	2019.07.30	전립선암	○		○		
99	Oxbryta (Voxelotor)	Global Blood Therapeutics	2019.11.25	겸상적혈구증	○	○	○	○	
100	Padcev (Enfortumabve dotin-Ejfa)	Astellas Pharma Us	2019.12.18	요로상피암		○	○	○	
101	Polivy (Polatuzumab Vedotin-Piiq)	Genentech	2019.06.10	미만성 거대 B세포 림프종		○	○	○	
102	Pretomanid (Pretomanid)	Mylan Ireland Ltd	2019.08.14	다제내성 결핵	○		○		감염병 치료제 지정

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
103	Reblozyl (Luspatercept- Aamt)	Celgene Corporation	2019.11.08	베타지중해 빈혈	○		○		
104	Recarbrio (Imipenem/Cilastatin/Relebactam)	MSD Merck Co	2019.07.16	요로 감염, 복강내 감염, 병원내 폐렴	○		○		감염병 치료제 지정
105	Rozlytrek (Entrectinib)	Genentech	2019.08.15	비소세포폐암		○	○	○	
106	Scenesse (Afamelanotide)	Clinuvel Inc	2019.10.08	적혈구 조혈 프로토 포르피린증 의 광독 성 예방	○		○		
107	TissueBlue (Brilliant Blue G Ophthalmic Solution)	Dutch Ophthalmic	2019.12.20	안과용 수술 염색제			○		
108	Trikafra (Elexacaftor/Teza Caftra/Ivacaftor)	Vertex Pharmaceutic als	2019.10.21	낭포성 섬유증	○	○	○		
109	Turalio (Pexidartinib)	Daiichi Sankyo	2019.08.02	증후성 거대세포종양 (TGCT)		○	○		
110	Vyndaqel (Tafamidis Meglumine)	Foldrx Pharmaceutic als Inc	2019.05.03	트랜스타이렉틴 아밀 로이드 혈증	○	○	○		
111	Vyondys 53 (Golodirsen)	Sarepta Therapeutics Inc	2019.12.12	뒤센 근이영양증	○		○	○	
112	Wakix (Pitolisant)	Harmony	2019.08.14	기면증	○		○		
113	Xenleta (Lefamulin)	Nabriva	2019.08.19	세균성 폐렴	○		○		
114	Xpovio (Selinexor)	Karyopharm Therapeutics Inc	2019.07.03	다발성 골수종	○		○	○	
115	Zulresso (Brexanolone)	Sage Therapeutics	2019.03.19	재발 또는 불응성 미 만성 거대 B 세포 림프종		○	○		
116	artesanate (Artesunate)	Amivas Llc	2020.05.26	말라리아	○	○	○		
117	Ayvakit (Avapritinib)	Blueprint Medicines Corp	2020.01.09	전이성인 위장관 기질 종양(GIST)	○	○	○		
118	Blenrep (Belantamab Mafodotin-Blmf)	Glaxosmithkline	2020.05.08	재발성 또는 불응 성 다발성 골수종	○	○	○	○	
119	Danyelza (Naxitamab-Gqgk)	Y-mabs Therapeutics Inc.	2020.11.25	신경모세포종		○	○	○	
120	Detectnet (Copper Cu 64 Dotatate)	Radiomedix Inc	2020.09.03	소마토스타틴 수용체 양성 신경 내분비 종양	○				
121	Dojolvi (Triheptanoin)	Ultragenyx Pharmaceutical Inc	2020.06.30	장쇄지방산 산화장애	○				
122	Ebanga (Ansuvimab-Zykl)	Ridgeback	2020.12.21	에볼라바이러스		○	○		

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
123	Enspryng (Satralizumab mwge)	Genentech	2020.08.14	시신경 척수염 신경 장애	○	○			
124	Evrysdi (Risdiplam)	Genentech	2020.08.07	척수성 근위축증	○		○		
125	Gavreto (Pralsetinib)	Blueprint Medicines	2020.09.01	RET전이 비소세포폐암		○	○	○	
126	Imcivree (Setmelanotide)	Rhythm Pharmaceutic als	2020.11.25	유전적 비만치료		○	○		
127	Inmaze (Atoltivimab, Ma ftivimab, Andod esivimab-Ebgn)	Jazz Pharmaceutic als Ireland Limitid	2020.10.14	에볼라		○	○		
128	Inqovi (Decitabine, Cedazuridine)	Otsuka Pharmaceutic al Co Ltd	2020.07.07	골수 이형성 증후군, 만성 골수 단구성 백혈병			○		
129	Koselugo (Selumetinib)	Astrazeneca	2020.04.10	신경섬유종 1형		○	○		
130	Lampit (Nifurtimox)	Bayer Healthcare Pharmaceutic als	2020.08.06	샤가스병			○	○	
131	Margenza (Margetuxima b – Cmkb)	Macrogenics Inc	2020.12.16	유방암	○				
132	Monjuvi (Tafasitamab-C xix)	Morphosys Us Inc	2020.07.31	재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종	○	○	○	○	
133	Olinvyk (Oliceridine)	Trevena Inc	2020.08.07	급성 중등도 통증에 사용하는 마약성 진통제	○				
134	Orgovyx (Relugolix)	Myovant Sciences GmbH	2020.12.18	전립선암			○		
135	Orladeyo (Bertozalstat)	Biocryst Pharmaceuticals Inc	2020.12.03	유전성 혈관부종	○				
136	Oxlumo (Lumasiran)	Amylam Pharmaceuticals	2020.11.23	원발성 과옥소산노증 1형		○	○		
137	Pemazyre (Pemigatinib)	Incyte	2020.04.17	담관암		○	○	○	
138	Qinlock (Ripretinib)	Deciphera Pharmaceuticals	2020.05.15	위장관기질종양 (GIST)	○	○	○		
139	Retevmo (Selpercatinib)	Loxo Oncology Inc	2020.05.08	특정 유전자 돌연변이 또는 융합이 있는 폐암 및 갑상선암		○	○	○	
140	Rukobia (Fostemsavir)	Viiv Healthcare Co	2020.07.02	후천성면역결핍증	○	○	○		
141	Tabrecta (Capmatinib)	Novartis Pharmaceutic al Corp	2020.05.06	비소세포폐암 (NSCLC)		○	○	○	
142	Tauvid (Flortaucipir F18 Injection)	Avid Radiopharms Inc	2020.05.28	알츠하이머				○	

	품목명 (성분명)	제조사	허가일자	적응증	FT	BTD	PR	AA	기타 제도
143	Tazverik (Tazemetostat)	Epizyme Inc	2020.01.23	여포성 림프종			○	○	
144	Tepezza (Teprotumumabtrbw)	Horizon Therapeutics Ireland	2020.01.21	갑상선 안질환	○	○	○		
145	Trodelyv (Sacituzumabgovitecan-Hziy)	Immunomedics Inc	2020.04.22	삼중음성유방암	○	○	○	○	
146	Tukysa (Tucatinib)	Seagen	2020.04.17	HER2 양성 전이성 유방암	○	○	○		오르 비스 프로 젝트
147	Uplizna (Inebilizumabcedon)	Viela Bio	2020.06.11	시신경척수염 스펙트럼 장애(NMOSD)		○			
148	Veklury (Remdesivir)	Gilead Sciences Inc	2020.10.22	코로나19의 치료	○		○		코로나19 치료제 가속 프로그램
149	Viltepso (Viltolarsen)	Nippon Shinyaku	2020.08.12	뒤센 근이영양증	○		○	○	
150	Zepzelca (Lurbinectedin)	Jazz	2020.06.15	전이성 소세포폐암 (SCLC)			○	○	
151	Zokinvy (Lonafarnib)	Eiger Biopharmss	2020.11.20	허친슨-길포드 (Hutchinson-Gilford) 조로증 증후군		○	○		

부록 12. 유럽 EMA의 신속 프로그램 품목 현황

○ 유럽의 예외적허가(MAEC), 신속심사(AA), 조건부허가(CMA) 지정 현황

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
1	Vaxzevria (previously COVID-19 Vaccine AstraZeneca) (COVID-19 Vaccine (ChAdOx1-S [recombinant]))	AstraZeneca	COVID 19 감염			O	2021.01.29
2	COVID-19 Vaccine Janssen (COVID-19 vaccine (Ad26.COVS2-S [recombinant]))	Janssen-Cilag	COVID 19 감염			O	2021.03.11
3	Spikevax (previously COVID-19 Vaccine Moderna) (COVID-19 mRNA Vaccine (nucleoside modified))	Moderna Biotech	COVID 19 감염			O	2021.01.06
4	Comirnaty (COVID-19 mRNA vaccine (nucleoside-modified))	BioNTech	COVID 19 감염			O	2020.12.21
5	Veklury (Remdesivir)	Gilead Sciences	COVID 19 감염			O	2020.07.03
6	Isentress (Raltegravir)	Merck Sharp Dohme	HIV-1 감염		O		2007.12.19
7	Sylvant (Siltuximab)	EUSA Pharma	HIV-1 감염		O		2014.05.22
8	Atriance (Nelarabine)	Novartis	T-세포 림프모구 림프종(T-LBL)	O			2007.08.22
9	Zynteglo (Betibeglogene autotemcel)	Bluebird	β 지중해빈혈(TDT)		O	O	2019.05.29
10	Onsenal (Celecoxib)	Pfizer	가족섬종폴립증(FAP)	O			2003.10.17
11	Verkazia (Ciclosporin)	Santen	각결막염(VKC)		O		2018.07.06
12	Defitelio (Defibrotide)	Gentium	간정맥폐쇄성 질환(SOS/VOD)	O			2013.10.18
13	Natpar (Parathyroid hormone)	Shire Pharmaceuticals	갑상선 기능 저하증			O	2017.04.24
14	Caprelsa (Vandetanib)	Genzyme	갑상선 수질암(MTC)			O	2012.02.16
15	Cometriq (Cabozantinib)	Ipsen Pharma	갑상선암			O	2014.03.21
16	Lenvima (Lenvatinib)	Eisai	갑상선암		O		2015.05.28
17	Adakveo (Crizanlizumab)	Novartis	겸상적혈구병			O	2020.10.28
18	Vpriv (Velaglucerase alfa)	Shire Pharmaceuticals	고셔병		O		2010.08.26
19	Waylivra (Volanesorsen)	Akcea Therapeutics	고지혈증			O	2019.05.03

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
20	Glybera (Alipogene tiparvovec)	uniQure biopharma	고지혈증	O			2012.10.25
21	Evkeeza (Evinacumab)	Regeneron	고콜레스테롤혈증 (HoFH)	O			2021.06.17
22	Lojuxta (Lomitapide)	Amryt Pharmaceuticals	고콜레스테롤혈증 (HoFH)	O			2013.07.31
23	Vitrakvi (Larotrectinib)	Bayer	고형암			O	2019.09.19
24	Rozlytrek (Entrectinib)	Roche Registration	고형암, 비소세 포폐암(NSCLC)			O	2020.07.31
25	Vidaza (Azacitidine)	Bristol-Myers Squibb Pharma	골수형성이상증 후군		O		2008.12.17
26	Ceplene (Histamine dihydrochloride)	Noventia Pharma	급성 골수성 백 혈병(AML)	O			2008.10.07
27	Evoltra (Clofarabine)	Genzyme	급성 림프구성 백혈병(ALL)	O			2006.05.29
28	Rubraca (Rucaparib)	Clovis Oncology	난소암			O	2018.05.23
29	Kalydeco (Ivacaftor)	Vertex Pharmaceuticals	낭포성 섬유증(CF)		O		2012.07.23
30	Chenodeoxycholic acid Leadiant (previously known as Chenodeoxycholic acid sigma-tau) (Chenodeoxycholic acid)	Leadiant	뇌간성 황색종증(CTX)	O			2017.04.10
31	Darzalex (Daratumumab)	Janssen-Cilag	다발성 골수종		O		2016.05.20
32	Ninlaro (Ixazomib)	Takeda Pharma	다발성 골수종			O	2016.11.21
33	Blenrep (Belantamab mafodotin)	GlaxoSmithKline	다발성 골수종			O	2020.08.25
34	Nexpovio (Selinexor)	Karyopharm	다발성 골수종			O	2021.03.26
35	Kyprolis (Carfilzomib)	Amgen	다발성 골수종		O		2015.11.19
36	Empliciti (Elotuzumab)	Bristol-Myers Squibb Pharma	다발성 골수종		O		2016.05.11
37	Tegsedi (Inotersen)	Akcea Therapeutics	다발성 신경병증		O		2018.07.06
38	Vyndaqel (Tafamidis)	Pfizer EEIG	다발성 신경병증	O			2011.11.16
39	Onpattro (Patisiran)	Alnylam	다발성 신경병증		O		2018.08.27
40	Sirturo (Bedaquiline)	Janssen-Cilag	다제내성 결핵 (MDR-TB)			O	2014.03.05
41	Deltiba (Delamanid)	Otsuka Products	다제내성 결핵 (MDR-TB)			O	2014.04.27

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
42	Dovprela (previously Pretomanid FGK) (Pretomanid)	Mylan IRE Healthcare	다제내성 결핵 (MDR-TB)			O	2020.07.31
43	Pemazyre (Pemigatinib)	Incyte Biosciences Distribution	담관암			O	2021.03.26
44	Kolbam (Cholic acid)	Retrophin	담즙산 합성의 선천적 결함	O			2015.11.20
45	Bylvay (Odevixibat)	Albireo	담즙정체성 간질환	O	O		2021.07.16
46	Hepcludex (Bulevirtide)	MYR	대사성 간질환			O	2020.07.31
47	Translarna (Ataluren)	PTC Therapeutics	뒤센형 근이영양증 (DMD)			O	2014.07.31
48	Firdapse (previously Zenas) (Amifampridine)	SERB	람베르트-이튼 근무력 증후군 (LEMS)	O			2009.12.23
49	Raxone (Idebenone)	Santhera Pharmaceuticals	레베르 유전성 시신경병증 (LHON)	O			2015.09.08
50	Kanuma (Sebelipase alfa)	Alexion	리소좀산 리파제 (LAL) 결핍증		O		2015.08.28
51	Elzonris (Tagraxofusp)	Stemline Therapeutics	림프종	O			2021.01.07
52	Maviret (Glecaprevir, pibrentasvir)	AbbVie	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2017.07.26
53	Epclusa (Sofosbuvir, velpatasvir)	Gilead Sciences	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2016.07.06
54	Harvoni (Ledispavir, sofosbuvir)	Gilead Sciences	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.11.17
55	Sovaldi (Sofosbuvir)	Gilead Sciences	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.01.16
56	Exviera (Dasabuvir)	AbbVie	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.01.14
57	Viekirax (Ombitasvir, paritaprevir, ritonavir)	AbbVie	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.01.14
58	Vosevi (Sofosbuvir, velpatasvir, voxilaprevi)	Gilead Sciences	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2017.07.26
59	Daklinza (Daclatasvir)	Bristol-Myers Squibb Pharma	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.08.22

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
60	Iclusig (Ponatinib)	Incyte Biosciences Distribution	만성 골수성 백혈병 (CML) 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(PH + CML)		O		2013.07.01
61	Polivy (Polatuzumab vedotin)	Roche Registration	미만성 거대 B 세 포 림프종(DLBCL)			O	2020.01.16
62	Brineura (Cerliponase alfa)	BioMarin	바텐병(CLN2)	O	O		2017.05.30
63	Soliris (Eculizumab)	Alexion	발작성 야간 혈색 소노증(PNH) 전신 근무력증		O		2007.06.20
64	Lorviqua (Lorlatinib)	Pfizer EEIG	비 소 세 포 폐 암 (NSCLC)			O	2019.05.06
65	Tagrisso (Osimertinib)	AstraZeneca	비 소 세 포 폐 암 (NSCLC)		O		2016.02.01
66	Retsevmo (Selpercatinib)	Eli Lilly	비 소 세 포 폐 암 (NSCLC)			O	2021.02.11
67	Orphacol (Cholic acid)	Laboratoires	선천성 대사질환	O			2013.09.12
68	Vedrop (Tocofersolan)	Recordati Rare Diseases	선천성 만성 담즙 정체, 비타민 E 결핍	O			2009.07.23
69	Qarziba (previously Dinutuximab beta EUSA and Dinutuximab beta Apeiron) (Dinutuximab beta)	EUSA Pharma	신경모세포종	O			2017.05.08
70	Oxervate (Cenegermin)	Dompe farmaceutici	신경영양 각막염		O		2017.07.06
71	Cabometyx (Cabozantinib)	Ipsen Pharma	신세포암		O		2016.09.09
72	Kispplx (Lenvatinib)	Eisai	신세포암		O		2016.08.25
73	Lamzedo (Velmanase alfa)	Chiesi Farmaceutici	알파-만노시드증 (alpha-Mannosid osis)	O			2018.03.23
74	Mvabea (Ebola vaccine (MVA-BN-Filo [recombinant]))	Janssen-Cilag	에볼라 바이러스 감염	O			2020.07.01
75	Zabdeno (Ebola vaccine (Ad26.ZEBOV-GP [recombinant]))	Janssen-Cilag	에볼라 바이러스 감염	O			2020.07.01
76	Lartruvo (Olaratumab)	Eli Lilly	연조직육종(STS)		O	O	2016.11.09
77	Increlex (Mecasermin)	Ipsen Pharma	왜소 증후군	O			2007.08.02

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
78	Tecartus (Autologous peripheral blood T cells CD4 and CD8 selected and CD3 and CD28 activated transduced with retroviral vector expressing anti-CD19 CD28/CD3-zeta chimeric antigen receptor and cultured)	Kite Pharma	외 투 세 포 림 프 종 (MCL)			O	2020.12.14
79	Ocaliva (Obeticholic acid)	Intercept Pharma	원발성 담즙성 담관염(PBC)			O	2016.12.12
80	Enhertu (Trastuzumab deruxtecan)	Daiichi Sankyo	유방암			O	2021.01.18
81	Coagadex (Human coagulation factor X)	BPL Bioproducts Laboratory	유전성 결핍 X 인자		O		2016.03.16
82	Takhzyro (Lanadelumab)	Shire Pharmaceuticals	유전성 혈관부종 (HAE)		O		2018.11.22
83	Zalmoxis (Allogeneic T cells genetically modified with a retroviral vector encoding for a truncated form of the human low affinity nerve growth factor receptor (ΔLNGFR) and the herpes simplex I virus thymidine kinase (HSV-TK Mut2))	MolMed	이식편대숙주병			O	2016.08.18
84	Pandemic influenza vaccine H5N1 AstraZeneca (previously Pandemic influenza vaccine H5N1 Medimmune) (Pandemic influenza vaccine (H5N1) (live attenuated, nasal))	AstraZeneca	인플루엔자 바이러스 감염			O	2016.05.20
85	Foclivia (Pandemic influenza vaccine (H5N1) (surface antigen, inactivated, adjuvanted))	Seqirus	인플루엔자 바이러스 감염	O			2009.10.18
86	Prepandrix (Prepandemic influenza vaccine (H5N1) (split virion, inactivated, adjuvanted))	GlaxoSmithKline Biologicals	인플루엔자 바이러스 감염		O		2008.05.14
87	Adjupanrix (previously Pandemic influenza vaccine (H5N1) (split virion, inactivated, adjuvanted) GlaxoSmithKline Biologicals) (Pandemic influenza vaccine (H5N1) (split virion, inactivated, adjuvanted))	GlaxoSmithKline Biologicals	인플루엔자 바이러스 감염	O			2009.10.10
88	Pandemic Influenza Vaccine H5N1 Baxter AG (Pandemic influenza vaccine (H5N1) (whole virion, inactivated, prepared in cell culture))	Ology Bioservices	인플루엔자 바이러스 감염	O			2009.10.16

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
89	Pumarix (Pandemic influenza vaccine (H5N1) (split virion, inactivated, adjuvanted))	GlaxoSmithKline Biologicals	인플루엔자 바이러스 감염	○			2011.03.04
90	Daronrix (Pandemic influenza vaccine (whole virion, inactivated, adjuvanted))	GlaxoSmithKline Biologicals	인플루엔자 바이러스 감염	○			2007.03.21
91	Arepanrix (Pandemic influenza vaccine (H1N1)(split virion, inactivated, adjuvanted))	GlaxoSmithKline Biologicals	인플루엔자 바이러스 감염			○	2010.03.23
92	Humenza (Pandemic influenza vaccine (H1N1) (split virion, inactivated, adjuvanted))	Sanofi Pasteur	인플루엔자 바이러스 감염			○	2010.06.08
93	Jemperli (Dostarlimab)	GlaxoSmithKline	자궁내막암			○	2021.04.21
94	Strensiq (Asfotase alfa)	Alexion	저인산혈증	○			2015.08.28
95	Crysvita (Burosumab)	Kyowa Kirin Holdings	저인산혈증			○	2018.02.19
96	Zytiga (Abiraterone)	Janssen-Cilag	전립선암		○		2011.09.05
97	Naglazyme (Galsulfase)	BioMarin	점액다당류증(6 형)	○			2006.01.23
98	Mepsevii (Vestronidase alfa)	Ultragenyx	점액다당류증(7 형)	○			2018.08.23
99	Holoclair (Ex vivo expanded autologous human corneal epithelial cells containing stem cells)	Holostem Terapie Avanzate	조혈모세포 이식 후 각막질환			○	2015.02.17
100	Myalepta (Metreleptin)	Amryt Pharmaceuticals	지방이영양증(LD)	○			2018.07.29
101	Praxbind (Idarucizumab)	Boehringer Ingelheim	지혈		○		2015.11.20
102	Ondexxya (Andexanet alfa)	Alexion	지혈			○	2019.04.26
103	Zolgensma (Onasemnogene abeparvovec)	Novartis Gene Therapies	척수성 근위축증 (SMA)			○	2020.05.18
104	Evrysdi (Risdiplam)	Roche Registration	척수성 근위축증 (SMA)		○		2021.03.26
105	Spinraza (Nusinersen)	Biogen	척수성 근위축증 (SMA)		○		2017.05.30
106	Imvanex (Smallpox vaccine (Live Modified Vaccinia Virus Ankara))	Bavarian	천연두	○			2013.07.31
107	Ketoconazole HRA (Ketoconazole)	HRA Pharma Rare Diseases	쿠싱 증후군		○		2014.11.18
108	Rilonacept Regeneron (previously Arcalyst) (Rilonacept)	Regeneron	크라이오피린 관련 주기 증후군(CAPS)	○			2009.10.23

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	MAEC	AA	CMA	허가일
109	Obiltoxaximab SFL (Obiltoxaximab)	SFL Pharmaceuticals	탄저병	O			2020.11.18
110	Idefirix (Imlifidase)	Hansa Biopharma	탈감작			O	2020.08.25
111	Ofev (Nintedanib)	Boehringer Ingelheim	특발성 폐섬유증 (IPF)		O		2015.01.14
112	Libtayo (Cemiplimab)	Regeneron	편평세포암, 비 소 세 포 폐 암 (NSCLC)			O	2019.06.28
113	Xigris (Drotrecogin alfa (activated))	Eli Lilly	폐혈증	O			2002.08.22
114	Scenesse (Afamelanotide)	Clinuvel	포르피린증	O			2014.12.22
115	Bosulif (Bosutinib)	Pfizer EEIG	필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병(PH + CML)			O	2013.03.27
116	ATryn (Antithrombin alfa)	Laboratoire Francais du Fractionnement et des	항트롬빈결핍증	O			2006.07.28
117	Elaprase (Idursulfase)	Shire Human Genetic Therapies	점액다당류증(2 형, 헌터증후군)	O			2007.01.08
118	Obizur (Susoctocog alfa)	Baxalta Innovations	혈우병	O			2015.11.11
119	Hemlibra (Emicizumab)	Roche Registration	혈우병 A		O		2018.02.23
120	Jorveza (Budesonide)	Dr. Pharma	호산구성 식도염 (EoE)		O		2018.01.08
121	Adcetris (Brentuximab vedotin)	Takeda Pharma	호지킨 림프종			O	2012.10.25

○ 유럽의 프라임(PRIME) 지정 현황

연번	성분명	적응증	지정일
1	Autologous CD4 and CD8 T cells transduced with lentiviral vector containing an affinity-enhanced T cell receptor to target the cancer-testis tumour antigen NY-ESO-1 (NY-ESO-1c259T)	활막육종	2016.07.21
2	Tasadenoturev (Adenovirus serotype 5 containing partial E1A deletion and an integrin-binding domain, DNX-2401)	교모세포종	2016.07.21
3	Seladelpar (MBX-8025)	원발성 담즙성 담관염	2016.10.13
4	Odevixibat (A4250)	진행성 가족성 간내 담즙정체증	2016.10.13
5	Tabelecleucel (Allogeneic Epstein-Barr virus-specific cytotoxic T lymphocytes, ATA129)	림프증식성 장애	2016.10.13
6	Brexanolone (Allopregnanolone, SAGE-547)	산후우울증	2016.11.10
7	Fidanacogene elaparovvec (PF-06838435/SPK-9001)	B 형 혈우병	2017.02.23
8	Etranacogene dezaparovvec (AMT-060, AMT-061)	B 형 혈우병	2017.04.21
9	Olipudase alfa	산성 스팅고미엘리나제 결핍증	2017.05.18
10	Asunercept	교모세포종	2017.05.18
11	Human immunoglobulin G1 constant region - human ectodysplasin-A1 receptor-binding domain fusion protein	외배엽 이형성증	2017.10.12
12	Nangibotide (LR12)	패혈성 쇼크	2017.11.09
13	Setrusumab (Recombinant humanised monoclonal IgG2 lambda antibody against human sclerostin, BPS804)	골형성부전증 유형 I, III 및 IV	2017.11.09
14	Adenovirus associated viral vector serotype 8 containing the human CNGB3 gene (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	색맹	2018.02.22
15	Adeno-associated viral vector serotype 8 containing the human MTM1 gene (AT132)	근육병	2018.05.31
16	MV-CHIK vaccine	치쿤구니야열	2018.05.31
17	Deoxycytidine / deoxythymidine	티미딘 키나아제 2 결핍	2018.06.28
18	Mycobacterium tuberculosis (MTBVAC)	결핵 예방	2018.06.28
19	Tominersen (RO7234292)	헌팅턴병	2018.07.26
20	Autologous CD34+ cells transduced with lentiviral vector encoding the human beta globin gene (OTL-300)	베타 지중해빈혈	2018.09.20

연번	성분명	적응증	지정일
21	Lonafarnib	D 형 간염	2018.12.13
22	Nirsevimab (MEDI8897)	하기도 감염증	2019.01.31
23	Recombinant adeno-associated viral vector serotype S3 containing codon-optimised expression cassette encoding human coagulation factor IX variant (FLT180a)	B 형 혈우병	2019.02.28
24	Genetically modified replication-incompetent herpes simplex virus-1 expressing collagen VII (KB103)	이영양성 수포성 표 피박리증	2019.03.28
25	Purified Inactivated Zika Virus vaccine (TAK-426)	지카바이러스 예방	2019.03.28
26	Allogeneic EBV-specific Cytotoxic T Lymphocytes	림프증식성 증후군	2019.05.29
27	Sepofarsen (QR-110)	레버 선천성 흑암시	2019.07.25
28	Fully human anti-BCMA autologous CAR T Cell (CT053)	다발성 골수종	2019.09.19
29	Chikungunya virus virus-like particle vaccine (PXVX0317)	치쿤구니야열	2019.09.19
30	Teplizumab	1 형 당뇨병	2019.10.17
31	Autologous anti-CD19/CD20 CAR T transduced cells (MB-CART2019.1)	미만성 큰 B 세포 림프종	2019.10.17
32	Recombinant adeno-associated virus vector based on the AAV serotype hu37 containing a single stranded DNA genome encoding a form of human FVIII (BAY2599023)	A 형 혈우병	2019.10.17
33	Danicopan	발작성 야간 혈색소뇨	2019.11.14
34	Autologous CD34+ enriched cells transduced ex vivo with lentiviral vector carrying the FANCA gene, PGK-FANCA-WPRE (RP-L102)	판코니빈혈 A 형	2019.12.12
35	Rebisufligene etisparvovec	점액다당류증 IIIA 형, MPS IIIA(산필리포 A 증후군)	2019.12.12
36	PB2452	지혈	2020.01.30
37	Allogeneic multi-virus specific T lymphocytes targeting BK Virus, cytomegalovirus, human herpes virus-6, Epstein Barr virus, and adenovirus (ALVR-105)	BK 바이러스, 거대 세포 바이러스, 인간 헤르 페스 바이러스-6, 엡스타인 바 바이러스, 아데노바이러스	2020.01.30
38	Adenovirus associated viral vector serotype 5 containing the human RPGR gene	색소 망막염	2020.02.27
39	Sotatercept	폐동맥 고혈압(PAH)	2020.04.30

연번	성분명	적응증	지정일
40	ADP-A2M4 (transduced CD4+ and CD8+ cells)	활액 육종	2020.07.23
41	Bomedemstat	골수 섬유증	2020.07.23
42	CTX001 (Autologous CD34+ hematopoietic stem cells with a CRISPR-edited erythroid enhancer region of the BCL11A gene)	겸상적혈구빈혈	2020.09.17
43	Autologous CD34+ cell-enriched population from patients with sickle cell disease that contains haematopoietic stem cells transduced with BB305 lentiviral vector encoding the β A-T87Q-globin gene (bb1111)	겸상적혈구빈혈	2020.09.17
44	CD30-directed genetically modified autologous T cells (CD30.CAR-T)	호지킨 림프종	2020.09.17
45	OTL-203 (Autologous CD34+ hematopoietic stem and progenitor cells genetically modified with the lentiviral vector (IDUA LV) encoding for the alpha-L-iduronidase gene)	점액다당류증 I 형(MPS-1)	2020.09.17
46	AT-GTX-501 (adeno-associated viral vector, serotype 9, containing the human CLN6 gene)	신경세로이드리포푸신증	2020.09.17
47	Iptacopan	C3 사구체병증	2020.09.17
48	VLA1553	치쿤구니야열	2020.10.15
49	PF-06823859	피부근염	2020.10.15
50	Magrolimab	골수이형성 증후군	2020.10.15
51	Efruxifermin (EFX)	비알코올성 지방간	2020.10.15
52	Lacutamab	세자리 증후군	2020.11.12
53	Brensocatib	비낭포성 섬유증 기관지 확장증	2020.11.12
54	VAC18193	하기도 질환(LRTD)	2020.11.12
55	ECT-001-CB	조혈모세포 이식	2020.12.10
56	Talquetamab	다발성 골수종	2021.01.29
57	Teclistamab	다발성 골수종	2021.01.29
58	ARU-1801	겸상적혈구빈혈	2021.01.29
59	Obecabtagene autoleucel/ AUTO1	급성림프구성백혈병	2021.03.25
60	Apitegromab	척수성 근육위축	2021.03.25
61	RP-L201	백혈구 유착 결핍	2021.03.25
62	PF-06863135	다발성 골수종	2021.03.25
63	CTX001 (Autologous CD34+ hematopoietic stem cells with a CRISPR-edited erythroid enhancer region of the BCL11A gene)	베타 지중해빈혈	2021.04.22

연번	성분명	적응증	지정일
64	CTI-1601	프리드리히 운동실조증	2021.05.20
65	MB-107	X-연관 중증 복합 면 역결핍증(XSCID)	2021.07.22

부록 13. 일본 PMDA 신속 프로그램 품목 현황

○ 일본의 조건부조기허가(CEA), 우선심사(PR), 사키가케(SAKIGAKE) 지정 현황

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKIGAKE	허가일
1	Trisenox Injection (Arsenic Trioxide)	Nippon Shinyaku Co., Ltd.	급성 전골수구성 백혈병 (APL)		O		2004.10.22
2	Intron A for injection (Interferon alfa-2b)	Schering Plough K.K.	리바비린 병용요법		O		2004.10.22
3	Hepsera Tablet (Adefovir pivoxil)	Glaxo SmithKline K.K.	만성 B형 간염 및 B형 간염 간경변증		O		2004.10.22
4	Elplat for Injection (Oxaliplatin)	Yakult Honsha Co., Ltd	대장암, 직장암		O		2005.03.18
5	Zefix Tablets (Lamivudine)	GlaxoSmithKline K.K.	만성 B형 간염 및 B형 간염 간경변증		O		2005.09.16
6	Zefix Tablets (Lamivudine)	Glaxo SmithKline K.K.	만성 B형 간염 및 B형 간염 간경변증		O		2005.09.16
7	Activacin for Injection (Alteplase)	Mitsubishi Pharma Corporation	급성 허혈성 뇌혈관 질환		O		2005.10.11
8	Synagis Intramuscular (Palivizumab)	Abbott Japan Co., Ltd.	하기도 질환(LRTD)		O		2005.10.14
9	PegIntron Sterile Powder for Injection (Peginterferon alfa-2b)	Schering Plough K.K.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2005.12.22
10	Rebetol capsule (Ribavirin)	Schering Plough K.K.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2005.12.22
11	PegIntron Sterile Powder for Injection (Peginterferon alfa-2b)	Schering-plough K.K.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2005.12.22
12	Feron (Interferon-beta)	Toray Industries, inc.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2006.04.20
13	Temodal Capsules (Temozolomide)	Schering-plough K.K.	악성 신경아교종		O		2006.07.26
14	Baraclude Tablets (Entecavir hydrate)	Bristol Pharmaceuticals Y.K.	만성 B형 간염 및 B형 간염 간경변증		O		2006.07.26
15	Alimta Injection (Pemetrexed sodium hydrate Cisplatin)	Nichi-Iko Pharmaceutical Co., Ltd.	악성 흉막중피종		O		2007.01.04
16	Certican Tablets (Everolimus)	Novartis Pharma K.K.	심장 이식에서 장기 거부반응 예방		O		2007.01.26

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
17	Avastin for Intravenous Infusion (Bevacizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	결장암, 직장암		O		2007.04.18
18	Arixtra Injection for Subcutaneous (Fondaparinux sodium)	GlaxoSmithKline K.K.	정맥혈전색전증		O		2007.04.18
19	Plavix Tablets (Clopidogrel sulfate)	Sanofi-Aventis K.K.	급성 관상동맥 증후군		O		2007.10.19
20	Tarceva Tablets (Erlotinib)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2007.10.19
21	Careload LA Tablets (Beraprost sodium)	Kaken Pharmaceutical Co., Ltd.	폐동맥 고혈압(PAH)		O		2007.10.19
22	Nexavar Tablets (Sorafenib tosilate)	Bayer Yakuhin Ltd.	신세포암		O		2008.01.25
23	Clexane Subcutaneous Injection Kit (Enoxaparin sodium)	Sanofi-Aventis K.K.	정맥혈전색전증		O		2008.01.25
24	Herceptin Injection (Trastuzumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	사람표피성장인자 수용체 2 양성(HER2+) 유방암		O		2008.02.29
25	Sutent Capsule (Sunitinib malate)	Pfizer Japan Inc.	신세포암		O		2008.04.16
26	Actemra for Intravenous Infusion (Tocilizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	류마티스 관절염, 소아 특발성 관절염		O		2008.04.16
27	Aroglycem Capsules (Diazoxide)	Schering-plough K.K.	고인슐린혈증성 저혈당증		O		2008.04.16
28	Exjade Dispersible Tablets (Deferasirox)	Novartis Pharma K.K.	만성 철 과부하		O		2008.04.16
29	Arixtra Injection (Fondaparinux sodium)	GlaxoSmithKline K.K.	정맥혈전색전증		O		2008.05.20
30	Erbix Injection (Cetuximab)	Merck KGaA	대장암		O		2008.07.16
31	Taxotere Injection (Docetaxel hydrate)	Sanofi-Aventis K.K.	전립선암		O		2008.08.29
32	Beprior Tablets (Bepridil hydrochloride hydrate)	Schering-plough K.K.	지속성 심방세동		O		2008.10.16
33	Tykerb Tablets (Lapatinib tosilate hydrate)	GlaxoSmithKline K.K.	사람표피성장인자수용체 2 양성(HER2+) 유방암		O		2009.04.22

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
34	Nexavar Tablets (Sorafenib tosilate)	Bayer Yakuhin, Ltd.	간세포암		O		2009.05.20
35	Elplat I.V. Infusion Solution (Oxaliplatin)	Yakult Honsha Co., Ltd.	결장암		O		2009.08.20
36	Prevenar Suspension Liquid for S.C. Injection (Pneumococcal polysaccharide (serotypes 4, 6B, 9V, 14, 18C, 19F, 23F)- CRM197 conjugate)	Wyeth K.K.	폐렴구균 침습성 질환		O		2009.10.16
37	Cervarix (HPV-16 L1 VLP, HPV-18 L1 VLP)	GlaxoSmithKline K.K.	자궁경부암		O		2009.10.16
38	Avastin Intravenous Infusion (Bevacizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2009.11.06
39	Afinitor Tablets (Everolimus)	Novartis Pharma K.K.	신세포암		O		2010.01.20
40	Humira for S.C. Injection Syringe (Adalimumab)	Abbott Japan Co., Ltd.	강직성 척추염		O		2010.10.27
41	Herceptin Intravenous Infusion (Trastuzumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	위암		O		2011.03.10
42	Halaven Injection (Eribulin mesylate)	Eisai Co., Ltd.	유방암		O		2011.04.22
43	Pegasys S.C. (Peginterferon alfa-2a Ribavirin)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	대상성 간경변증		O		2011.07.01
44	Telavic Tablet (Approval Telaprevir)	Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2011.09.26
45	Pegasys S.C. (Peginterferon alfa-2a)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	만성 B형 간염 및 B형 간염 간경변증		O		2011.09.26
46	Pegintron Powder for Injection, Rebetol Capsules ((1) Peginterferon alfa-2b (2) Ribavirin)	MSD K.K.	대상성 간경변증		O		2011.12.22
47	Samtarel Oral Suspension (Approval Atovaquone)	GlaxoSmithKline K.K.	폐포자충 폐렴(PCP)		O		2012.01.18
48	Lyrica Capsules (Pregabalin)	Pfizer Japan Inc.	섬유근육통		O		2012.06.22

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
49	Tygacil Injection (Tigecycline)	Pfizer Japan Inc.	심부 피부 감염, 만성 농피증, 외상의 2 차 감염, 화상, 외과적 상처, 미란 및 궤양의 2 차 감염, 복막염, 복강내 농양, 담낭염 치료		O		2012.09.28
50	Erbitux Injection (Cetuximab)	Merck Serono Co, Ltd.	두경부암		O		2012.12.21
51	Malarone Combination Tablets (Atovaquone, Proguanil hydrochloride)	GlaxoSmithKline K.K.	말라리아		O		2012.12.25
52	Stivarga tablets (Regorafenib hydrate)	Bayer Yakuhin, Ltd.	대장암		O		2013.03.25
53	Stivarga Tablets (Regorafenib hydrate)	Bayer Yakuhin, Ltd.	위장관 기질 종양(GIST)		O		2013.08.20
54	Synagis for Intramuscular Injection (Palivizumab)	Abbvie G.K.	하기도 질환(LRTD)		O		2013.08.20
55	Kadcyla Intravenous Infusion (Trastuzumab emtansine)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	사람표피성장인자수 용체 2 양성(HER2+) 유방암		O		2013.09.20
56	Sovriad Capsules (Simeprevir sodium)	Janssen Pharmaceutical K.K.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2013.09.27
57	5-FU Injection (Fluorouracil)	Kyowa HAKKO Kirin Co., Ltd.	췌장암		O		2013.12.20
58	Levofolinate for I.V. Infusion "Yakult" (Levofolinate calcium)	Yakult Honsha Co., Ltd.	췌장암		O		2013.12.20
59	Topotecin Intravenous Drip Infusion (Irinotecan hydrochloride hydrate)	Daiichi Sankyo Company, Limited	췌장암		O		2013.12.20
60	Isovorin Injection (Levofolinate calcium)	Pfizer Japan Inc.	췌장암		O		2013.12.20
61	Campto for I.V. Infusion (Irinotecan hydrochloride hydrate)	Yakult Honsha Co., Ltd.	췌장암		O		2013.12.20
62	Elplat I.V. Infusion Solution (Oxaliplatin)	Yakult Honsha Co., Ltd.	췌장암		O		2013.12.20

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
63	Sumithrin Lotion (Phenothrin)	Kracie Pharma, Ltd.	옴 치료		O		2014.03.24
64	Xtandi Capsules (Enzalutamide)	Astellas Pharma Inc.	전립선암		O		2014.03.24
65	Tenozet Tablets (Tenofovir disoproxil fumarate)	GlaxoSmithKline K.K.	만성 B 형 간염 및 B 형 간염 간경변증		O		2014.03.24
66	Avigan Tablet (Favipiravir)	Toyama Chemical Co., Ltd.	인플루엔자 바이러스 감염		O		2014.03.24
67	Jevtana I.V. Infusion (Cabazitaxel acetate)	Sanofi K.K.	전립선암		O		2014.07.04
68	Zytiga Tablets (Abiraterone acetate)	Janssen Pharmaceutical K.K.	전립선암		O		2014.07.04
69	Daklinza Tablets (Daclatasvir hydrochloride Asunaprevir)	Bristol-Myers K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.07.04
70	Telavic Tablet (Telaprevir)	Mitsubishi Tanabe Pharma Corporation	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.09.19
71	Vanihep Capsules (Vaniprevir)	MSD K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2014.09.26
72	Abraxane I.V. Infusion (Paclitaxel)	Taiho Pharmaceutical Co., Ltd.	췌장암		O		2014.12.18
73	Daklinza Tablets (Daclatasvir hydrochloride Asunaprevir)	Bristol-Myers K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.03.20
74	Cyramza Injection (Ramucirumab)	Eli Lilly Japan K.K.	위암		O		2015.03.26
75	Sovaldi Tablets (Sofosbuvir)	Gilead Sciences K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.03.26
76	Harvoni Combination Tablets (Ledipasvir acetate,Sofosbuvir)	Gilead Sciences K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.07.03
77	Viekirax Combination Tablets (Ombitasvir hydrate,Paritaprevir hydrate,Ritonavir)	AbbVie G.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2015.09.28
78	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2015.12.17

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
79	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	신세포암		O		2016.08.26
80	Grazyna Tablets (Grazoprevir hydrate)	MSD K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2016.09.28
81	Erelsa Tablets (Elbasvir)	MSD K.K.	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2016.09.28
82	Prizbind Intravenous Solution (Idarucizumab)	Nippon Boehringer Ingelheim Co., Ltd.	다비가트란(Dabigatran)의 항응고 효과 역전		O		2016.09.28
83	Vemlidy Tablets (Tenofovir alafenamide fumarate)	Gilead Sciences, Inc.	만성 B 형 간염 및 B 형 간염 간경변증		O		2016.12.19
84	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	두경부암		O		2017.03.24
85	Stivarga Tablets (Regorafenib hydrate)	Bayer Yakuhin, Ltd.	간세포암		O		2017.06.26
86	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	위암		O		2017.09.22
87	Maviret Combination Tablets (Glecaprevir hydrate, Pibrentasvir)	AbbVie GK	만성 C 형 간염 바이러스 감염		O		2017.09.27
88	Keytruda Injection (Pembrolizumab)	MSD K.K.	요로상피암		O		2017.12.25
89	Zytiga Tablets (Abiraterone acetate)	Janssen Pharmaceutical K.K.	전립선암		O		2018.02.16
90	Xofluza Tablets (Baloxavir marboxil)	Shionogi & Co., Ltd.	인플루엔자 바이러스 감염(A 형, B 형)			O	2018.02.23
91	Rapalimus Gel (Sirolimus)	Nobelpharma Co., Ltd.	결절성 경화증(TSC)			O	2018.03.23
92	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	악성 흉막중피종, 흑색종, 비소세포폐암(NSCLC), 신세포암, 호지킨 림프종, 두경부암, 위암		O		2018.08.21
93	Tagrisso Tablets (Osimertinib mesilate)	AstraZeneca K.K.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2018.08.21
94	Yervoy Injection (Ipilimumab)	Bristol-Myers Squibb K.K.	신세포암		O		2018.08.21

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
95	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	악성 흑막종피종, 흑색종, 비소세포폐암(NSCLC), 신세포암, 호지킨 림프종, 두경부암, 위암		O		2018.09.21
96	Lorbrena Tablets (Lorlatinib)	Pfizer Japan Inc.	비소세포폐암(NSCLC)	O			2018.09.21
97	Xospata Tablets (Gilteritinib fumarate)	Astellas Pharma Inc.	급성 골수성 백혈병(AML)			O	2018.09.21
98	Tecentriq Intravenous Infusion (Atezolizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2018.12.21
99	Keytruda Injection (Pembrolizumab)	MSD K.K.	고형암, 흑색종, 비소세포폐암(NSCLC)	O	O		2018.12.21
100	STEMIRAC Inj. (Human (autologous) bone marrow derived mesenchymal stem cell)	Nipro Corporation	자가골수유래 간엽줄기 세포와 채혈 및 골수 채취			O	2018.12.28
101	Vizimpro Tablets (Dacomitinib hydrate)	Pfizer Japan Inc.	비소세포폐암(NSCLC)		O		2019.01.08
102	Epclusa Combination Tablets (Sofosbuvir, Velpatasvir)	Gilead Sciences K.K.	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2019.01.08
103	Vyndaqel Ca psules (Tafamidis meglumine)	Pfizer Japan Inc.	트랜스티레틴 매개 아밀로이드증			O	2019.03.26
104	Rozlytrek Capsules (Entrectinib)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	고형암			O	2019.06.18
105	Maviret Combination Tablets (Glecaprevir hydrate, Pibrentasvir)	AbbVie GK	만성 C형 간염 바이러스 감염		O		2019.08.22
106	Opdivo Intravenous Infusion (Nivolumab)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	결장암, 직장암, 식도암		O		2020.02.21
107	ZOLGENSMA Intravenous Infusion (Onasemnogene abeparvovec)	Novartis Pharma K.K.	척수성 근위축증(SMA)			O	2020.03.19
108	Enhertu for Intravenous Drip Infusion (Trastuzumab deruxtecan)	Daiichi Sankyo Company, Limited	사람표피성장인자수용체 2 양성(HER2+) 유방암	O			2020.03.25

연번	제품명(성분명)	업체명	적응증	CEA	PR	SAKI GAKE	허가일
109	Steboronine for infusion (Borofalan (10B))	Stella Pharma Corporation	두경부암			O	2020.03.25
110	Tepmetko Tablets (Tepotinib hydrochloride hydrate)	Merck Biopharma Co., Ltd.	비소세포폐암(NSCLC)			O	2020.03.25
111	Viltepso Intravenous Infusion (Viltolarsen)	Nippon Shinyaku Co., Ltd.	뒤센형 근이영양증(DMD)	O		O	2020.03.25
112	Ofev Capsules (Nintedanib ethanesulfonate)	Nippon Boehringer Ingelheim Co., Ltd.	만성 섬유화 간질성 폐질환		O		2020.05.29
113	Akalux IV Infusion (Cetuximab sarotalocan sodium)	Rakuten Medical Japan K.K.	두경부암	O		O	2020.09.25
114	Enhertu for Intravenous Drip Infusion (Trastuzumab deruxtecan)	Daiichi Sankyo Company, Limited	사람표피성장인자수용체 2 양성(HER2+) 위암			O	2020.09.25
115	Avastin Intravenous Infusion (Bevacizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	간세포암		O		2020.09.25
116	Tecentriq Intravenous Infusion (Atezolizumab)	Chugai Pharmaceutical Co., Ltd.	간세포암		O		2020.09.25
117	Braftovi Capsules (Encorafenib)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	BRAF 변이 양성 결장직장암		O		2020.11.27
118	Mektovi Tablets (Binimetinib)	Ono Pharmaceutical Co., Ltd.	BRAF 변이 양성 결장직장암		O		2020.11.27
119	Teserpaturev (conditionally-replicating oncolytic Herpes simplex virus type 1 (HSV-1) strain)	Daiichi Sankyo	악성 뇌종양(신경교종)			O	2021.6.11
120	Orladeyo Capsules (Bertozalstat hydrochloride)	OrphanPacific, Inc.	유전성 혈관부종(HAE)			O	2021.01.22
121	Bavencio Injection (Avelumab)	Merck Biopharma Co., Ltd.	요로상피암		O		2021.02.24
122	Izcargo for I.V. Infusion (Pabinafusp alfa)	JCR Pharmaceuticals Co., Ltd.	점액다당류증(2형, 헌터증후군)			O	2021.03.23
123	Olumiant Tablets (Baricitinib)	Eli Lilly Japan K.K.	COVID 19 감염		O		2021.04.23

다음의 내용은 임상연구과 연구사업 ‘국제조화를 고려한 임상시험 가이드라인 선진화 개발연구(21181한임평287)’의 수행 결과를 바탕으로 재구성, 작성되었습니다.

부록 10. 해외 주요국 신속 프로그램

부록 11. 미국 FDA 신속 프로그램 품목 현황

부록 12. 유럽 EMA 신속 프로그램 품목 현황

부록 13. 일본 PMDA 신속 프로그램 품목 현황

해외 주요국 신속심사 사례집[민원인 안내서]

발행일	2021월 10월 일
발행인	식품의약품안전처 식품의약품안전평가원장 서경원
편집위원장	식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과장 김희성
편집위원	신속심사과 임상연구과
도움주신분	레고캠바이오, 암젠코리아(유), 한국다이이찌산쿄(주), (주)한국로슈, (주)한국아스트라제네카, 한미약품(주)
발행부서	식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과

공익신고자 보호제도란?

- 공익신고자(친족 또는 동거인 포함)등이 공익신고 등으로 인하여 피해를 받지 않도록 비밀보장, 불이익보호조치, 신분보호조치 등을 통하여 보호하는 제도

[공직자 부조리 및 공직신고안내]

- ▶ 부조리 신고 : 식약처 홈페이지 “국민신문고 >공직자 부조리 신고” 코너
- ▶ 공익 신고 : 식약처 홈페이지 “국민소통 >신고 센터 >부패·공익신고 상담” 코너

♣ 보호조치 요구 방법

우편(30102) 세종특별자치시 도움5로 20 정부세종청사 7동, 국민권익위원회 공익보호지원과.
전화 044-200-7773