

글로벌 헬스케어 R&D BRIEF

(서울대학교병원 보스턴오피스 / 26.09.11..)

1. FDA, 진성적혈구증가증 신약승인 - First in class / 'Mimrylo'

□ 배경 및 주요내용

FDA NEWS RELEASE

FDA Approves First Drug of Its Kind for Polycythemia Vera, a Rare Blood Disorder

First-in-class therapy targets the biology driving red blood cell overproduction in polycythemia vera

- 진성적혈구증가증(Polycythemia Vera)는 만성희귀혈액암으로서 심근경색·뇌졸중·혈전 등 심각한 심혈관 합병증 위험이 있음.
→ 기존 치료방식은 '정기적 사혈'에 의해왔어서, 환자 삶의 질이 저하되는 한계가 존재함.
- 26.8.28, **FDA가 Takeda(판매)·Protagonist Therapeutics(개발)의 루스퍼티드(rusfertide, 제품명 Mimrylo)를 진성적혈구증가증(PV) 성인환자의 적혈구증가증(erythrocytosis) 치료제로 승인함.**
→ 주1회 피하주사 제형
→ First in Class(세계최초계열) 헵시딘 모방제로서, 체내 철분조절 호르몬인 헵시딘을 모방하여, 철분가용성을 제한하고 골수의 적혈구 과대생산을 억제하는 기전임.
→ 임상3상 결과, 32주 시험(Mimrylo+표준치료) 사혈이 불필요한

비율이 76.9%에 달함.

* vs 위약+표준치료 사혈 불필요 비율 32.9%

□ 시사점

- '사혈'이라는 침습적 시술에 의존해온 PV 치료 영역에서, 최초의 표적 호르몬모방 기전 치료제가 등장함에 따라 환자 삶의 질 개선과 치료 패러다임 전환이 기대됨.

□ 주요출처

FDA Approves First Drug of Its Kind for Polycythemia Vera, a Rare Blood Disorder
(26.8.28. / FDA)

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-drug-its-kind-polycythemia-vera-rare-blood-disorder>

FDA OKs Takeda, Protagonist drug for rare blood cancer
(26.8.31. / BioPharma Dive / By Delilah Alvarado)

<https://www.biopharmadive.com/news/fda-approve-mimrylo-takeda-protagonist-polycythemia-vera/829153>

2. 국방부, NIH 감염병연구 예산 전용 시도 – 이란전쟁 관련

□ 배경 및 주요내용



[Home](#) / [News](#) / [Press Releases](#)

Defense Officials Attempt to Raid NIH Funds to Cover Department of Defense Activities

- 이란전쟁에 따른 미국방부(DoD) 예산압박 및 1조5천억달러 규모 국바 예산 추가요청이 의회에 표류중에 있음.
- 26.9.3, 하원 세출위원회 민주당 간사, 미국방부(DoD)와 NIH 간 '기관 간협약(10년)'의 존재를 공개함.
 - 의회·대중에 사전공지 없이 체결된 사실이 밝혀짐.
 - 다만, 아직 최종 확정되진 않음.
 - **협약내용은 '국방부가 NIH산하 국립알레르기·감염병연구소(NIAID) ¹⁾에 배정된 예산 중 수십억달러를 활용할 수 있도록 함.**
 - * NIAID 연간 예산 규모: 약 66억~70억달러로, 원래 인플루엔자·

1) National Institute of Allergy and Infectious Diseases

말라리아 · 결핵 · HIV · 에볼라 등 감염병 치료제 · 백신개발을 위함.

□ 시사점

- 기관간협약 자체는 연방행정에서 통상적으로 사용되는 수단이나, 이번 사안은 규모(수십억달러) · 기간(10년) · 비공개 추진 이라는 측면에서 이례적이라는 것이 전문가들의 공통된 지적이며,
- NIAID는 감염병 연구의 핵심 연구소로, 실제 전용이 이뤄질 경우 관련 연구 프로그램 전반의 위축이 우려됨.

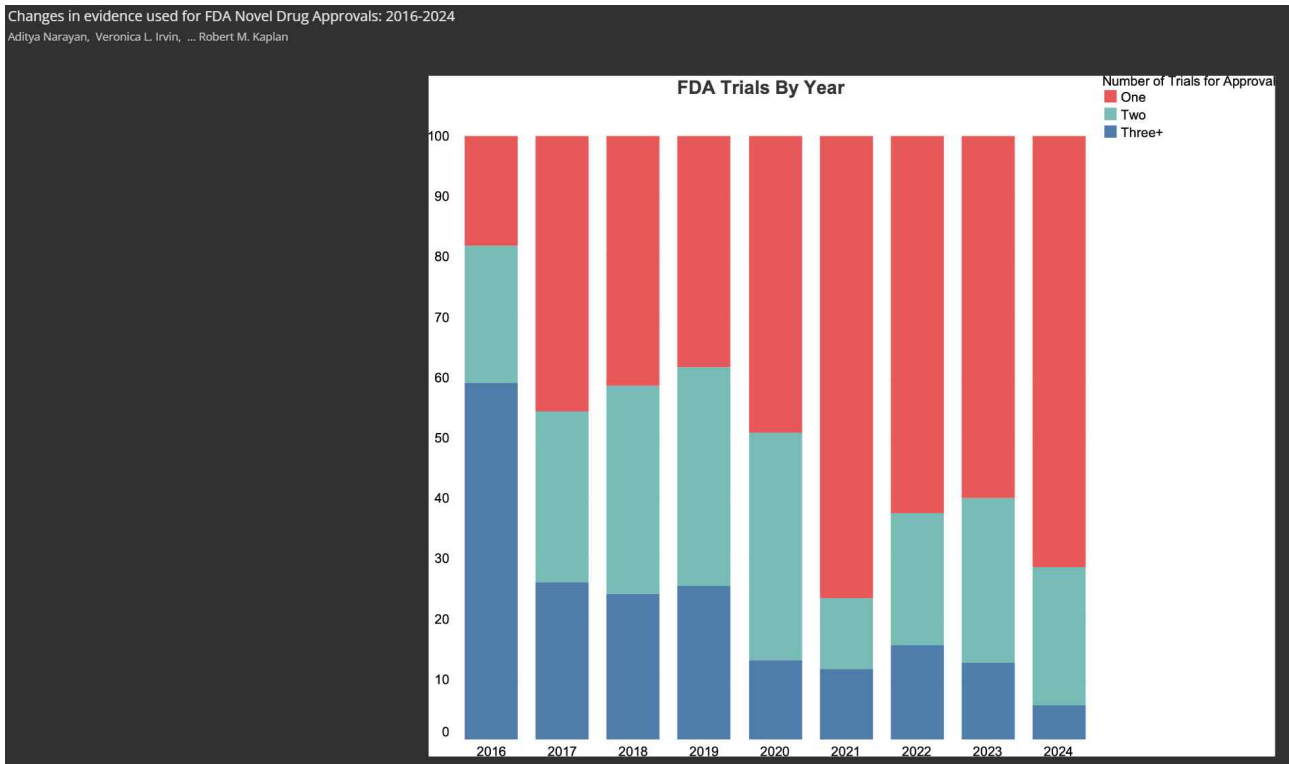
□ 주요출처

Defense Officials Attempt to Raid NIH Funds to Cover Department of Defense Activities
(26.09.03. / House Appropriations Committee Democrats)

<https://democrats-appropriations.house.gov/news/press-releases/defense-officials-attempt-raid-nih-funds-cover-department-defense-activities>

3. 2024년 FDA 신약승인 69.4%가 단일임상시험

□ 배경 및 주요내용



- 2016년 제정된 『21세기치료법』에 따라 FDA는 단일 임상시험만으로 신약을 승인할 수 있는 재량권을 확대함.
 - * 26.2월, FDA는 실제로 단일 3상시험을 신약승인의 새로운 기본표준으로 삼겠다고 공식 발표한 바 있음.
 - 당시 FDA국장(Makary), "2건의 임상시험은 임상적 신뢰성을 구성하는 여러 요소 중 하나일 뿐이며, 현재는 반복시험을 요구하지 않고도 확신을 가질 수 있는 강력한 대안방법 존재"

『21세기치료법(21st Century Cures Act) 이란?』

- 미국 연방법, 2016.12월 제정(오바마 대통령 서명)
- 의료제품(신약·의료기기)의 개발·심사 속도를 앞당겨 환자에게 더 빨리 신약이 도달하게 하자는 취지로 하기 핵심조항을 주요 내용으로 함.

① 단일 pivotal trial 허용 근거 강화

이 법 이전에도 "충분히 적절하고 잘 통제된(adequate and well-controlled)" 단일시험이라면 승인할 수 있는 재량이 이미 있었으나, 21세기치료법에 따라 재량권을 명문화 하여 제도적 여지를 넓힘.

② 대체결과지표활용 확대

임상적 이익(생존기간 연장, 삶의 질 개선 등)을 직접 측정하는 대신, 그것을 "예측할 것으로 기대되는" 간접지표(예: 종양크기 축소, 특정 바이오마커 수치) 사용가능

③ 적응적·혁신적 임상시험설계 가이드런스 의무화

FDA에 "복합 적응적 설계 등 신개념 임상시험설계"를 활용한 승인심사 방법에 대한 공식 가이드런스 발표를 의무화

④ 재생의료치료(RAT) 특별경로 신설

중증·생명위협질환을 치료·완화·역전·치유할 잠재력이 있는 재생의료제품(세포치료·유전자치료 등)에 대해, 대체지표만으로도 가속승인 받을 수 있는 전용 트랙 마련

- 26.8.26, 스탠퍼드대 Robert Kaplan 교수 연구팀, 2016~2024년 FDA 신약승인 6,763건 관련 임상시험을 전수분석하여 21세기치료법의 실제효과를 처음으로 대규모 검증함.

- 핵심내용

지 표	16년	24년	변화
승인당 평균 임상시험 수	3.41건	1.39건	지속 감소
단일시험 기반 승인 비율	-	69.4% (2/3이상)	대폭 증가
3건 이상 시험 기반 승인 비율	-	5.6%	대폭 감소
산업자금 지원 시험 비중	44.6%	80.4%	대폭 증가
NIH·정부지원 시험 비중	3%미만	3%미만	변화 미미
시험종료~결과공개 평균 소요일	682일	783일	지연 심화

→ 연구팀, “단일 임상시험 기반 승인이 늘어나는 관행은 독립적 재확인 없이 제품이 시장에 출시될 수 있다는 점에서 우려”

□ 시사점

- 해당 분석은 **규제완화 정책(21세기치료법)이 실제로 임상근거 기준을 체계적으로 낮췄다는 것을 정량적으로 입증한 최초의 대규모 실증분석으로, FDA가 26.2월 이를 아예 공식정책화하면서 이 추세는 앞으로 더욱 가속화될 전망이다.**
- 산업자금 비중이 80%를 넘어선 것은 임상근거의 독립성 문제와 직결될 수 있음.

□ 주요출처

More than two-thirds of new drugs approved by FDA in 2024 were based on a single study
(26.9.8. / CIDRAP / By Mary Van Beusekom)

<https://www.cidrap.umn.edu/public-health/more-two-thirds-new-drugs-approved-fda-2024-were-based-single-study>

Changes in evidence used for FDA Novel Drug Approvals: 2016-2024
(26.8. / plus one / by Aditya Narayan,Veronica L. Irvin,Amanda J. Koong,Sujin Song,Robert M. Kaplan)

<https://journals.plos.org/plosone/article?id=10.1371/journal.pone.0342878>