

 식품의약품안전처	배 포	2017. 7. 12.(수)
	담 당 과	안전평가원 바이오심사조정과 (☎043-719-5063) 세포유전자치료제과 (☎043-719-3542)
	과 장	박운주(☎043-719-5052) 정지원(☎043-719-3531)
	연 구 관	남경택(☎043-719-5071) 김지현(☎043-719-3533)

식약처, 국내 개발 최초 유전자치료제 '인보사케이주' 허가

□ 식품의약품안전처(처장 손문기)는 무릎 골관절염 치료제로 국내에서 처음 개발된 유전자치료제 신약 '인보사케이주'를 7월 12일 허가한다고 밝혔다.

※ 유전자치료제: 유전물질 발현에 영향을 주기 위하여 투여하는 유전물질 또는 유전물질이 변형되거나 도입된 세포를 함유하고 있는 의약품

○ 이번에 허가된 유전자치료제는 항염증 작용을 나타내는 'TGF-β1 유전자'가 도입된 동종연골유래연골세포를 주성분으로 하며, 국내 신약으로는 29번째다.

※ TGF-β1: 염증억제, 상처 치유 등에 작용하는 단백질의 일종

○ 인보사케이주의 효능·효과는 약물치료나 물리치료에도 불구하고 통증 등이 지속되는 중등도(Kellgren & Lawrence grade 3) 무릎 골관절염환자의 치료이며, 무릎관절장내 1회 주사한다.

※ Kellgren & Lawrence grade: 방사선학적으로 골관절염의 정도를 평가하는 기준으로 총 4단계(의심, 경증, 중등도, 중증)으로 구분

○ 현재까지 미국, 유럽 등 주요 제약선진국이 허가한 유전자치료

제는 4개 품목으로 면역결핍질환, 유전질환이나 항암치료를 목적으로 사용되며, 퇴행성 질환인 무릎 골관절염 치료를 위한 유전자치료제는 인보사케이주가 처음이다.

□ 식약처는 인보사케이주를 허가·심사하는 단계에서 ▲해당제품 투여 후 통증과 관절기능 개선 정도 ▲연골 구조 개선 효과 ▲제품 투여 후 발생하는 이상반응 ▲제품 투여 후 장기추적조사를 통해 뒤늦게 나타나는 이상반응 등 자료를 중점적으로 검토하였으며, 중앙약사심의위원회의 자문을 거쳐 최종 허가를 결정하였다.

○ 유효성의 경우 중등도의 무릎 골관절염 환자를 대상으로 해당 제품을 1회 주사하고 1년 후 환자가 느끼는 무릎 통증 개선정도와 운동이나 일상생활 등에서의 기능 개선정도를 대조군(생리식염수 투여군)과 비교한 결과 유효성을 입증하였다.

※ 기능개선 : 무릎관절 부위의 뻣뻣함·부종 등 증상 정도, 뛰기, 테니스 등 운동가능 정도, 계단오르기 장보기 등 일상생활에서의 활동 가능 정도 등을 종합하여 평가

- 다만, 손상된 연골 재생 등 구조 개선 효과는 MRI 등을 통해 확인 시 대조군과 차이를 보이지 않았다.

○ 안전성의 경우 주사부위 국소반응(통증, 부종 등)과 전신반응(열감, 두드러기 등)을 평가하였을 때 안전하였으며, 해당 제품을 투여한 100여명 환자 각각을 3~10년간 별도로 추적 조사한 임상시험에서 지연반응(종양, TGF-β1 농도 상승 등) 등을 평가한 결과에서도 안전하였다

□ 식약처는 지난 '14년부터 바이오업체의 개발을 지원하기 위하여 '마중물사업'을 운영하고 있으며, 이번 유전자치료제도 '마중물사업'을 통해 품질관리 기준 설정 등에 대한 밀착상담을 받아 개발과정 중 시행착오를 최소화 할 수 있었다고 밝혔다.

- 앞으로도 환자 치료 기회를 확대할 수 있는 첨단 바이오의약품 개발이 활성화 될 수 있도록 적극적으로 지원할 계획이다.

- 〈첨부〉 1. 인보사케이주 요약자료
2. 국내 개발신약 허가 현황
 3. 주요국 유전자치료제 허가 현황

[참고자료 1] 인보사케이주 요약자료

□ 제품 개요

- **제품명(성분명)** : 인보사케이주(TGF- β 1 유전자도입 동종연골유래 연골세포(2액)+동종연골유래 연골세포(1액))
 - **업체명** : 코오롱생명과학(주)
 - **효능효과** : 3개월 이상의 보존적 요법(약물치료, 물리치료 등)에도 불구하고 증상(통증 등)이 지속되는 중등도 무릎 골관절염 (Kellgren & Lawrence grade 3)의 치료
 - **용법용량(요약)** : 성인을 대상으로 제1액과 제2액을 혼합하여 혼합액 3mL(1.8×10^7 cells)을 무릎 관절강 내에 천천히 1회 주사
 - **작용기전** : TGF- β 1 유전자도입 연골세포에서 발현되는 TGF- β 1과 연골세포에서 발현되는 IL-10에 의한 항염증작용에 따라 무릎 관절 통증 완화, 관절기능 개선
- * 유전자도입 동종연골유래연골세포는 제조단계에서 방사선을 조사하여 증식 불가능한 세포임을 확인

[참고자료 2] 국내 개발신약 허가 현황

연번	제품명	회사명	주성분	효능·효과	허가일자
1	선플라주	에스케이케미칼(주)	헵타플라틴	항암제(위암)	'99.07.15
2	이지에프외용액	(주)대웅제약	인간상피세포성장인자	당뇨성 족부 궤양치료제	'01.05.30
3	밀리칸주	동화약품공업(주)	질산훈류-166	항암제(간암)	'01.07.06
4	큐록신정	제이더블유중외제약(주)	발로플록사신	항균제(항생제)	'01.12.17
5	팩티브정	(주)엘지생명과학	메탄설폰산제미플록사신	항균제(항생제)	'02.12.27
6	아피톡신주	구주제약(주)	건조밀봉독	관절염치료제	'03.05.03
7	슈도박신주	씨제이제일제당(주)	건조정제슈도모나스백신	농구균예방백신	'03.05.28
8	캄토벨주	(주)종근당	벨로테칸	항암제	'03.10.22
9	레바넥스정	(주)유한양행	레바프라잔	항궤양제	'05.09.15
10	자이데나정	동아제약(주)	유데나필	발기부전치료제	'05.11.29
11	레보비르캡슐	부광약품(주)	클레부딘	B형간염치료제	'06.11.13
12	펠루비정	대원제약(주)	펠루비프로펜	골관절염치료제	'07.04.20
13	엠빅스정	에스케이케미칼(주)	미로데나필염산염	발기부전치료제	'07.07.18
14	놀텍정	일양약품(주)	일라프라졸	항궤양제	'08.10.28
15	카나브정	보령제약(주)	피마살탄칼륨삼수화물	고혈압치료제	'10.09.09
16	피라맥스정	신풍제약(주)	피로나리딘인산염, 알테수네이트	말라리아치료제	'11.08.17
17	제피드정	제이더블유중외제약(주)	아바나필	발기부전치료제	'11.08.17
18	슈펙트캡슐	일양약품(주)	라도티닙염산염	항암제(백혈병)	'12.01.50
19	제미글로정	(주)엘지생명과학	제미글립틴타르타르산염	당뇨병치료제	'12.06.27.
20	듀비에정	(주)종근당	로베글리타존황산염	당뇨병치료제	'13.07.04
21	리아백스주	(주)카엘젬백스	테르토모타이드염산염	항암제(췌장암)	'14.09.15
22	아셀렉스캡슐	크리스탈지노믹스(주)	폴마록시브	골관절염치료제	'15.02.05
23	자보란테정	동화약품(주)	자보플록사신 D-아스파르트산염수화물	항균제(항생제)	'15.03.20
24	시백스트로정	동아에스티(주)	테디졸리드포스페이트	항균제(항생제)	'15.04.17
25	시백스트로주				
26	슈가논정	동아에스티(주)	에보글립틴타르타르산염	당뇨병치료제	'15.10.02.
27	올리타정	한미약품(주)	올무티닙염산염일수화물	항암제(폐암)	'16.05.13.
28	베시보정	일동제약(주)	베시포비르디피복실말레산염	B형간염치료제	'17.05.15
29	인보사케이주	코오롱생명과학(주)	TGF-β1 유전자도입 동종연골유래연골세포, 동종연골유래연골세포	골관절염치료제	'17.07.12.

[참고자료 3] 주요국 유전자치료제 허가 현황

'17.7. 현재

연번	품목명(회사명)	주성분	허가종류	효능·효과	허가일자	허가국
1	Glybera (UniQure Biopharmax B.V.)	인간 LPL 유전자 삽입 AAV 벡터	의약품 (희귀)	과지단백증 I 형	'12.10.25	유럽
2	IMLYGIC® (Amgen®)	GM-CSF 함유 HSV-1	항암제	절제불가능한 성인 흑색종 환자 (폐, 뇌, 폐 등 병변이 없는 경우)	'15.10.27 '15.12.16	미국 유럽
3	Strimvelis (GlaxoSmithKline Trading Services)	아데노신 탈이미노 효소 유전자 함유 레트로바이러스 벡터 도입 자가 유래 CD34+ 세포	의약품 (희귀)	HLA 적합한 줄기세포 기증자가 없는 ADA-SCID 환자 치료	'16.05.26	유럽
4	Zalmoxis (Molmed SpA)	신경성장인자 일부 및 HSV-TK 함유 동종 유래 T 세포	의약품 (희귀)	고위험 혈액암 환자의 조혈모세포이식 후 보조요법	'16.08.18	유럽