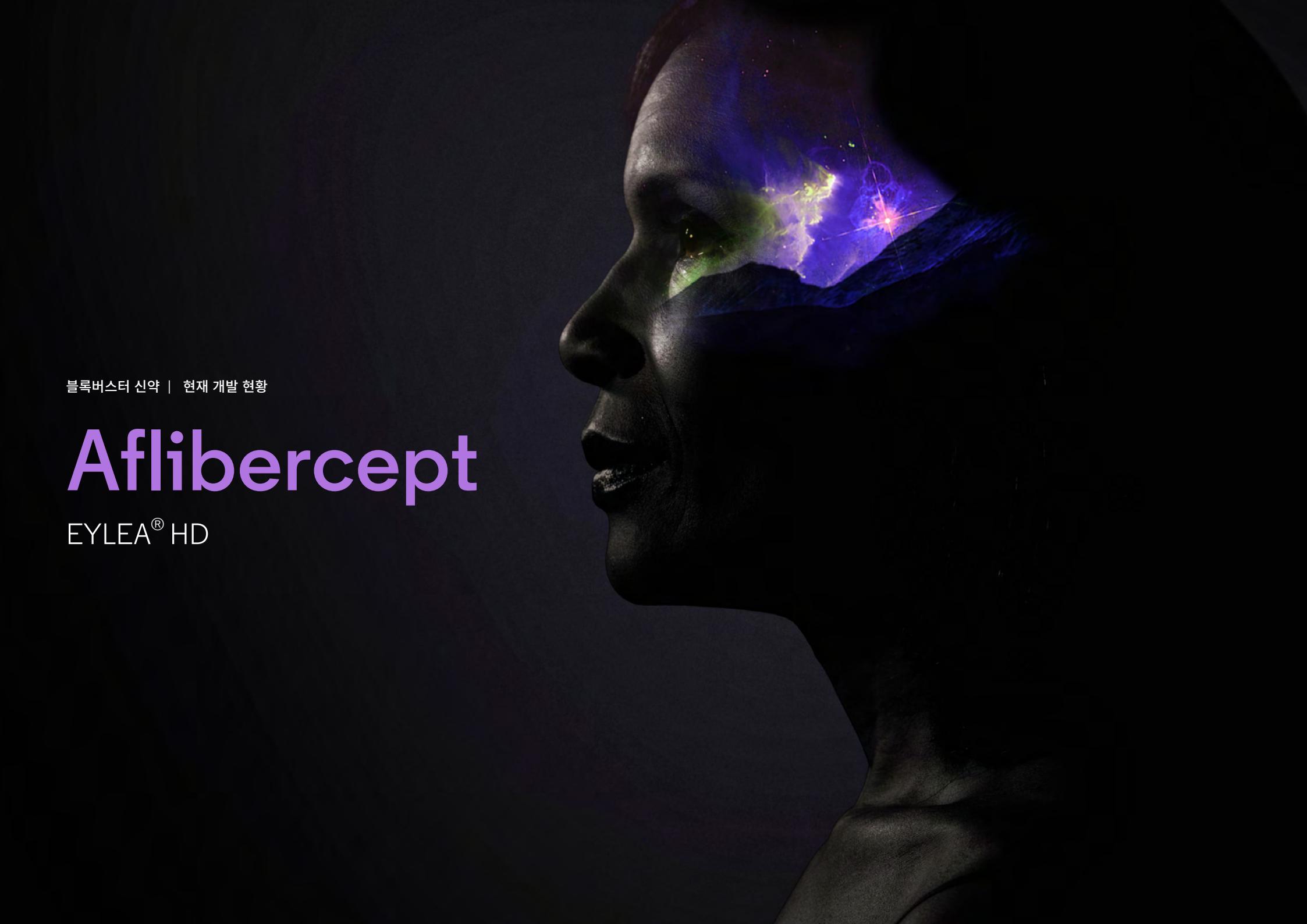




# 블록버스터 신약 2024 다시 살펴보기

현재 개발 현황은?

Clarivate

A dark, moody profile of a woman's head and shoulders. Inside her head, there are vibrant, glowing energy fields in shades of green, blue, and purple, suggesting a powerful cognitive or emotional state.

블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Aflibercept

EYLEA® HD

## 약물 개발 현황

EYLEA HD는 습성 나이관련황반변성(Wet AMD), 당뇨병성 황반부종(DME), 당뇨병성 망막병증(DR)의 핵심 치료제로 자리잡았습니다. EYLEA HD는 모든 G7 국가에서 시판되고 있으며, 2024년 미국 내 순매출은 12억 달러에 달하는 기념비적 성과를 거두며 블록버스터 약물로의 입지를 확고히 했습니다. 고용량 Aflibercept 제형(8mg)은 투여 간격을 연장하면서도 우수한 치료 효과를 유지하며, 경쟁 약물 대비 차별화된 이점을 제공합니다. 이 약물은 주사 횟수가 적더라도 시력과 해부학적 개선 효과를 지속적으로 보여주어 시장에서 선호되는 치료옵션으로 자리 잡았습니다. 또한, 최근 3상 임상 데이터에서 망막정맥폐쇄(RVO)로 인한 황반부종을 치료하는 데 긍정적인 효능을 발휘하는 것으로 확인되면서 망막 질환 치료제 분야에서 선두 입지를 더욱 강화하고 되어 있습니다.

## 2024년/2025년 초 EYLEA HD 관련 주요 동향

2024년과 2025년 초에 EYLEA HD와 관련해 몇 가지 주목할 만한 이슈가 있습니다. 2024년 초에 EYLEA HD는 EU, 영국, 일본에서 습성 나이관련 황반변성 및 당뇨병성 황반부종 치료제로 규제 기관의 승인을 받아 진출 시장이 크게 확대되었습니다. 2024년 9월에 유럽 집행위원회(European Commission)는 바이알 제형보다 더 편리하고 안전하며 빠른 치료 방식을 제공하는 프리필드 시린지(PFS) 제형을 승인했습니다. 2024년 12월, QUASAR 3상 임상시험에서 긍정적인 결과가 도출됐습니다. EYLEA

HD(8주 간격, Q8W 투여)는 망막정맥폐쇄(RVO)로 인한 황반부종 치료에서 Eylea(4주 간격, Q4W 투여)와 비교해도 뒤지지 않는 시력 개선 효과를 보였으며, 망막 질환 전반에서 우수한 임상 효능을 입증했습니다. 또한 습성 나이관련 황반변성과 당뇨병성 황반부종에 관한 3년간의 PULSAR 및 PHOTON 임상시험 데이터에 따르면 이 약물은 투여 간격을 늘렸을 때도 시력 개선 및 해부학적 개선 효과를 유지합니다.

## 예측치 달성을 예상

EYLEA HD는 클래리베이트의 미국 판매 예상치를 달성하며, 2024년에 단숨에 블록버스터 약물로 자리매김했습니다. 습성 연령관련 황반변성, 당뇨병성 황반부종, 당뇨병성 망막병증(DR) 치료 분야에서도 선도적 입지를 더욱 공고히 했습니다. 2024년 한 해 동안 EYLEA HD는 Roche의 VABYSMO와 기존 제형인 Eylea와의 치열한 경쟁 속에서도 안과 분야에서 높은 주목을 받았습니다. 이러한 성과는 Aflibercept 성분에 대한 의료진의 긍정적인 평가, 경쟁 약물 대비 긴 투여 간격 가능성, 그리고 더 우수한 망막 건조(retinal drying) 효과 등이 주요 성공 요인으로 꼽힙니다. 이와 같은 장점에 힘입어 Aflibercept는 뛰어난 판매 실적을 달성하고 환자와 의료진이 선호하는 약물로 자리 잡았습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

EYLEA HD는 미국 출시 직후부터 빠른 성장세를 보이며 전 분기 대비 순매출이 급증했습니다. 그러나 2024년 4분기 EYLEA HD의 매출액은 기대에 미치지 못했다고

Regeneron은 전했습니다. 클래리베이트의 미국 시장 분석에 따르면, 이와 같은 실적 부진은 EYLEA HD가 4주 간격(Q4W)으로 투여 가능한 VABYSMO에 비해 투여 선택 폭이 제한적이며, 미국 시장에서는 프리필드 시린지 제형이 아직 생소한 탓으로 분석됩니다. 다만, 2025년 중 프리필드 시린지 제형이 승인되고 4주 간격 투여가 가능한 제형이 추가로 출시될 가능성이 높아짐에 따라, 향후 매출 반등이 기대됩니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

EYLEA HD는 향후 몇 가지 중요한 사건과 난관을 극복해야 합니다. 우선 프리필드 시린지 제형에 대한 미국 규제 기관의 승인 여부가 중요하며, 이와 함께 습성 나이관련 황반변성, 당뇨병성 황반부종, 당뇨병성 망막병증 환자를 대상으로 한 4주 간격 치료에 대한 보조적 생물의약품 허가(sBLA) 심사가 진행 중입니다. 승인될 경우, 의료진은 보다 유연하게 EYLEA HD를 처방할 수 있게 되어, 기존 제형을 빠르게 대체할 수 있을 것으로 보입니다. 또한, Regeneron은 망막정맥폐쇄(RVO)로 인한 이차성 황반부종 치료를 위한 sBLA도 제출한 상태이며, 해당 심사는 2025년 중 진행될 것으로 예상됩니다. 이와 동시에, Eylea와 VABYSMO 등 경쟁 제품뿐 아니라, IVT(유리체내 투여)방식의 기타 치료제들도 시장 점유율에 위협이 되고 있습니다. 게다가 AbbVie/Regenxbio의 ABBV-RGX-314를 위시한 일회성 유전자 치료제 같은 유망한 신종 치료제가 출시되기 전에 EYLEA HD가 시장의 입지를 다지려면 보험자와 의료진에게 그 가치를 지속적으로 입증해야 합니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Budesonide 지연 방출 제형

TARPEYO® | Kinpeygo®

## 약물 개발 현황

Budesonide 지연 방출 제형은 현재 미국, 유럽연합(EU), 중국, 싱가포르 등 주요 시장에 출시되었습니다. Caliditas Therapeutics가 개발한 Budesonide 지연 방출 제형은 2023년 미국에서 TARPEYO라는 제품명으로 정식 승인을 받았습니다. 2024년에 Asahi Kasei가 글로벌 신장 시장에서 자사의 입지를 확대하고자 Calliditas Therapeutics를 인수하여 완전 소유 자회사로 편입했습니다.

Stada Arzneimittel AG가 EU와 영국에서 Budesonide 지연 방출 제형의 판매를 담당하고, 2024년 7월에 Kinpeygo라는 제품명으로 정식 판매 승인을 받았습니다.

대만, 홍콩, 한국에서도 해당 제형이 승인을 받아, 이들 국가에서는 Everest Medicines가 판매를 담당하고 있습니다.

일본에서는 Viatris가 Budesonide 지연 방출 제형을 개발 중이며, 현재 제3상 임상시험을 진행하고 있습니다.

## 2024년/2025년 초 TARPEYO 및 Kinpeygo 관련 주요 동향

Caliditas Therapeutics에 따르면, 2024년 1월부터 6월까지 TARPEYO의 미국 내 매출은 7억 7,160만 스웨덴 크로나(약 미화 7,650만 달러)를 기록했습니다. Asahi Kasei는 2024년 3분기(10월~12월) 동안 TARPEYO의 미국 매출이 5,400만 달러에 달했다고 밝혔습니다. 미국 식품의약국(FDA)은 2023년 12월 TARPEYO에 대해 정식 승인을 부여했으며, 이에 따라 희귀의약품 독점권이 인정되어 해당 권리는 2030년 12월까지 유지됩니다.

Stada는 2024년 총매출 40억 5,900만 유로(EUR) 가운데 Kinpeygo가 0.7%를 차지했다고 보고했습니다.

TARPEYO의 성장은 기존 코르티코스테로이드 기반 치료제에서 환자들이 대체 치료제로 전환한 데 힘입은 것으로 분석됩니다. 또한, 진행성 신장 기능 저하 위험 환자를 대상으로 한 2024년 KDIGO 가이드라인 초안에 포함된 점도 주요 성장 요인 중 하나로 꼽힙니다. 한편, Kinpeygo는 유럽에서 원발성 IgA 신병증(IgAN) 성인 환자 치료제로 정식 판매 승인을 받은 이후 매출이 더욱 확대되었습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

### 예측치 달성을 위한 주요 과제

- TARPEYO/Kinpeygo가 예상치를 달성하는 과정에는 다음과 같은 몇 가지 난관이 도사리고 있습니다.
- 기존 코르티코스테로이드 치료제보다 비싼 TARPEYO/Kinpeygo의 가격
  - Novartis의 FABHALTA(2024년 8월에 미국에서 승인받은 입타코판), Travere Therapeutics의 FILSPARI (2023년 2월에 미국에서 승인받은 스파르센탄), Novartis의 아트라센탄(VANRAFIA)과 지가키바트, Vera Therapeutics의 아타시셉트, Otsuka의 시베프렌리맙 같은 비스테로이드성 질환 개선제 시장이 성장하면서 치열해진 경쟁. 이러한 새로운 비스테로이드성 치료제를 통해 환자가 장기간 안정적인 상태를 유지할 수 있게 되면서(Long-term patient stability), TARPEYO/Kinpeygo와 같은 코르티코스테로이드 계열 약물을 이용한 급성기 치료의 필요성이 감소할 수 있습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

TARPEYO/Kinpeygo는 Gd-IgA1 복합체를 생성하는 세포인 파이어판(Peyer's Patch)의 점막 B 세포를 정확히 표적으로 삼습니다. TARPEYO/Kinpeygo는 이 세포를 표적하여 신장 기능 저하를 지연시키는 질병 조절 치료제(disease-modifying therapy, DMT)로 작용합니다. 여타 전신 스테로이드와 달리 TARPEYO/Kinpeygo는 최소 흡수성을 특징으로 하므로 장기간 투여하더라도 부작용이 적습니다. 이 약물은 이와 같은 장점을 내세워 고위험군 환자에게 사용되는 기존 코르티코스테로이드 치료제를 대체하고 있습니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Datopotamab deruxtecan

Dato-DXd | DATROWAY®

## DATROWAY의 현황

DATROWAY는 TROPION-Breast01 3상 임상시험을 근거로 하여 1월에 전이성 HR 양성/HER2 음성 유방암 환자용 후속 치료제로 FDA의 승인을 받았습니다. 이 ADC(antibody drug conjugate; 항체-약물 복합체)의 현황은 다음과 같습니다.

- 미국 출시완료
- 일본 승인완료(가격 등록 대기 중이며 2025년 출시 예정)
- 유럽 연합 승인완료

## 2024년/2025년 초 DATROWAY 관련 주요 동향

- 2024년 9월: TROPION-Breast01 3상 임상시험에서 DATROWAY는 기존 항암화학요법 대비 전체 생존기간(OS) 개선 효과를 입증하지 못했습니다. (OS: 항암화학요법 18.6개월 vs. DATROWAY 18.3개월, 위험비(HR): 1.01, P 값이 유의미하지 않음).
- 2024년 12월: DATROWAY는 항암화학요법으로 치료받은 후 절제 불가능 또는 재발성 HR 양성/HER2 음성(IHC 0, IHC 1+ 또는 IHC 2+/ISH-) 유방암 판정을 받은 성인 환자용 치료제로 일본에서 승인받았습니다. DATROWAY는 일본에서 HR 양성/HER2 음성 유방암 환자용으로 승인받은 최초의 TROP-2 표적항암제입니다.

- 2025년 1월: DATROWAY는 내분비 요법 및 항암화학요법으로 치료받은 후 절제 불가능 또는 전이성 HR 양성/HER2 음성(IHC 0, IHC 1+ 또는 IHC 2+/ISH-) 유방암 판정을 받은 성인 환자의 치료제로 미국에서 승인받았습니다(승인 근거: TROPION-Breast01 데이터).
- 2025년 1월: 유럽의약품청(EMA) 산하의 의약품위원회(CHMP)가 절제 불가능 또는 전이성 HR 양성/HER2 음성(IHC 0, IHC 1+ 또는 IHC 2+/ISH-) 유방암 성인 환자, 특히 내분비 요법과 최소한 1차 항암 치료를 받은 진행성 유방암 환자용 치료제로 승인받기를 DATROWAY에 권고했습니다.
- 2025년 4월: EMA 산하의 CHMP가 표명한 의견을 근거로 하여 유럽 공동체(EC)가 DATROWAY를 승인했습니다.

## 예측치 달성 여부

유럽 연합 승인은 클래리베이트의 예측과 일치하는 결과였습니다. 다만, 전체 생존기간(OS) 개선 효과가 명확히 입증되지 않아, 의료진의 처방 선택에 부정적인 영향을 미칠 가능성이 있으므로 지속적인 모니터링이 필요합니다.

## 현재 이 항체-약물

### 복합체(ADC)는

### 미국에서는 이미

### 출시됐고, 일본과

### 유럽 연합에서

### 승인받았습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

난관:

- 이중 1차 평가변수(dual primary endpoint) 중 하나인 OS 개선에 실패함에 따라, TROPION-Breast01 임상시험 결과는 이 약물의 시장 채택에 부정적인 영향을 미칠 수 있습니다. 특히, TRODELVY는 TROPICS-02 3상 임상시험에서 2차 치료(또는 그 이상)를 받은 HR 양성/HER2 음성 질환자를 치료하는 데 사용할 경우 OS가 개선되는 것으로 확인됐습니다(14.5개월 vs. 11.2개월[HR: 0.79]). ENHURTU는 DESTINY-Breast04 임상시험에서 HR 양성/HER2 저발현 하위군에 사용할 경우 OS가 개선되는 것으로 확인됐습니다(OS: 23.9개월 vs. 17.5개월[HR: 0.64]).
- 가장 먼저 출시된 TROP2 표적항암제인 TRODELVY는 G7 지역 시장에서 2차 치료 이후의 HR 양성/HER2 음성 전이성 유방암 환자에게 사용할 수 있으며, 세 번째 TROP2 표적항암제(사시투주맙 티루모테칸)가 2028년에 G7 지역에 출시되면 TROP2 계열 ADC의 경쟁이 더욱 치열해질 것으로 예상됩니다.
- 최적의 치료 순서는 여전히 논란으로 남아 있습니다. ENHURTU는 2차 치료를 받은 HR 양성 전이성 유방암 환자용 표준 치료제로 자리매김(G7 지역 시장에서 2차 HR 양성/HER2 음성 치료제로 ENHURTU가 우선적으로 사용될 것으로 예상)하고 있으며, 2026년에는 1차 치료제로도 승인받을 것으로 예상됩니다. ADC를 이용한 선행 치료 이후의

ADC 효능을 확립하고 ADC를 기본으로 한 순차적 요법이 모든 환자에게 도움이 되는지 파악하려면 탄탄한 데이터가 필요합니다. ENHURTU가 HR 양성/HER2 저발현 환자에게 사용되고 있는데도, 페이로드(데룩스테칸)로 인한 교차내성 발생 여부는 아직 명확하지 않기 때문에 TROP2 ADC가 순차적 요법에 사용될 가능성은 여전히 남아 있습니다.

- 예측 기간 동안 초기 암 환자와 1차 치료를 받은 재발 환자를 비롯해 다양한 삼중 음성 유방암 환자군에게 단독 치료제로 또는 IMFINZI와 함께 병용 치료제로 사용되면서 DATROWAY의 입지가 넓어질 것으로 예상됩니다.
  - DATROWAY는 TROPION-Breast02 3상 임상시험 결과를 근거로 하여 PD-1/PD-L1 억제제 사용이 무의미한 삼중 음성 유방암을 앓고 있는 1차 치료 전이 환자용 치료제로 승인받을 것으로 예상됩니다.
  - DATROWAY는 TROPION-Breast05 임상시험 결과를 근거로 하여 모든 주요 시장에서 치료 경험이 없는 삼중 음성 전이성 유방암 환자(CPS ≥ 10)에게 IMFINZI와 함께 사용되는 병용 치료제로 승인받을 것으로 예상됩니다.
  - TROPION-Breast03 임상시험 결과를 근거로 하여 주요 시장에서 전이성 암세포를 완전히 제거하지 못한 초기 삼중 음성 유방암 환자에게 IMFINZI와 함께 사용되는 병용 치료제로 승인받을 것으로 예상됩니다.

• 기초 데이터를 근거로 봤을 때 TROPION-Breast04 3상 임상시험에서 DATROWAY를 IMFINZI와 병용한 경우의 전이성 완전관해(pCR)율은 항암화학요법과 키트루다를 병용한 치료 결과에 미치지 못할 것으로 예상됩니다.

따라서 초기(II-III기) 삼중 음성 유방암 또는 HR 저발현/HER2 음성 질환자용으로 승인받기 어려울 것으로 예상됩니다.

- 세 가지 TROP2 표적항암제인 DATROWAY, TRODELVY, 사시투주맙 티루모테칸이 다양한 삼중 음성 및 HR 양성/HER2 음성 유방암 환자용 치료제 분야에서 경쟁할 것이라는 점을 고려했을 때, 이와 같은 치열한 경쟁이 각 치료제의 잠재력에 걸림돌로 작용할 것으로 전망됩니다.

예상 매출:

- 2033년 주요 유방암 치료 시장에서 DATROWAY의 매출은 약 25억 달러에 이를 것으로 전망됩니다.

## NSCLC 현황

- 미국에서는 규제 기관이 심사 중이지만, 이전과는 다른 하위 적응증을 기준으로 심사 중입니다.
- EU에서는 규제 기관의 서류 심사를 철회했습니다. 즉, 유럽에서 최상위 개발 단계인 3상 임상으로 되돌아갔습니다.

## 2024년/2025년 초 NSCLC 관련 주요 동향

- 2024년 2월: FDA가 TROPION-Lung01을 근거로 하여 이전에 치료받은 진행성 비편평 비소세포폐암(NSCLC)에 대한 서류 심사를 승인했습니다.
- 2024년 3월: 유럽에서 EMA가 동일한 적응증에 대한 서류 심사를 승인했습니다.
- 2024년 9월: 데이터에 따르면 전체 TROPION-Lung01 환자군에서는 이중 1차 평가변수인 OS를 총족하지 못했지만, 비편평 비소세포폐암 환자군에서는 호전되는 추세가 나타났습니다.

- 2024년 11월: AstraZeneca와 Daiichi가 FDA의 권고에 따라 TROPION-Lung01 BLA 신청을 철회하고, 대신 TROPION-Lung05 2상 임상시험을 근거로 하여 EGFR 표적항암제 등으로 전신치료를 받은 EGFR 변이 전이성 비소세포폐암 환자용으로 가속승인 혜택을 받고자 BLA 신청서를 제출했습니다.
- 2024년 12월: 유럽에서 AstraZeneca와 Daiichi가 CHMP의 권고에 따라 TROPION-Lung01 임상시험 신청을 철회했습니다. 다른 신청서를 제출했다는 소식은 전해지지 않았습니다.
- 2025년 1월: FDA가 TROPION-Lung05 BLA의 우선 심사를 승인했는데, 임상시험계획승인(PDUFA) 날짜는 2025년 7월 12일입니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

TROPION-Lung01 데이터가 꾸준히 업데이트되고 있기 때문에 해당 BLA신청 철회는 예상된 수순이라는 평가가 우세합니다.

그러나, TROPION-Lung05 및 TROPION-Lung01 임상시험에서 치료받은 EGFR 변이 환자에 관한 고무적인 종합 효능 데이터를 근거로 삼아 조심스럽게 예측하자면, 미국에서 이와 같은 데이터에 근거한 BLA 신청을 통해 EGFR 표적항암제와 백금 화학요법으로 치료받았던 EGFR 변이 전이성 비소세포폐암(NSCLC) 환자용으로 Datopotamab Deruxtecan에 대한 가속승인 혜택을 받을 수 있을 것으로 보입니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

2차 치료제를 사용하는 환자보다 1차 치료제를 사용하는 환자가 훨씬 많으므로 더 큰 시장 기회를 확보하려면 반드시 AVANZAR 임상시험을 근거로 하여 1차 치료제로 승인받아야 합니다.

DATROWAY는 EU와 일본에서 EGFR 변이 환자용 후속 치료제로 승인받았는 상태입니다. 미국에서는 TAGRISSO로 치료 중인 EGFR 변이 진행성 비편평 NSCLC 환자를 대상으로 한 TROPION-Lung15 3상 임상시험이 확증 임상시험을 대체할 것으로 클래리베이트는 조심스럽게 전망합니다. 따라서 이 임상시험의 성패는 DATROWAY가 EGFR 변이 환자용 후속 치료제로 승인받는 데 결정적인 요소가 됩니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Efanesoctocog alfa

ALTUVIIO™ | ALTUVOCT

## 약물 개발 현황

Efanesoctocog alfa가 2023년 2월에 미국에서 승인받아 ALTUVIIO라는 제품명으로 출시됐습니다. EU에서는 2024년 6월에 승인받아 ALTUVOCT라는 제품명으로 출시됐습니다. ALTUVIIO / ALTUVOCT가 미국, 독일, 스위스에 출시됐습니다. 일본, 마카오, 대만, 홍콩에서도 승인을 받았으며, 현재 일본과 대만에서 시판되고 있습니다.

Sanofi와 Sobi는 A형 혈우병 치료제인 ALTUVIIO / ALTUVOCT의 개발하고 상용화하기 위해 제휴하고 있습니다. Sanofi는 북미 외에도 Sobi의 사업 지역을 제외한 모든 지역(유럽, 러시아, 중동, 일부 북아프리카 시장 등)의 판매권을 보유하고 있습니다.

## 2024년/2025년 초 Altuviiio / Altuvoct 관련 주요 동향

ALTUVIIO의 2024년 매출이 7억 4,300만 달러(6억 8,200만 유로)에 달했고, 그중 미국 내 매출이 90%를 차지한다고 Sanofi는 전했습니다. 한편 Sobi는 독일과 스위스를 비롯해 시판 지역에서 ALTUVOCT의 매출이 4,340만 달러(4억 3,600만 SEK)에 이르고, ALTUVIIO / ALTUVOCT의 2024년 총매출은 7억 8,600만 달러에 달한다고 전했습니다. FVIII 치료제를 사용하거나

HEMLIBRA 같은 비인자 치료제를 사용하던 환자 중 ALTUVIIO / ALTUVOCT로 대체하는 환자가 늘면서 Altuviiio/Altuvoct가 2024년에 괄목할 만한 성장세를 기록했습니다.

이와 같은 성장에서 이 치료제의 유망한 시장성을 염볼 수 있습니다.

## 예측치 달성 여부

이 약물은 클래리베이트의 예상치를 뛰어넘었습니다.

이전 예측에서는 2029년경의 매출이  
**17억 7천만 달러**에 이를 것으로 전망했지만,  
**2024 회계연도** 초기에 기록한 눈부신  
실적을 고려하면 2029년경의 매출은 **18억  
5천만 달러**에 이를 것으로 예상됩니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

ALTUVIIIO/ALTUVOCT는 주 1회 투여라는 장점을 자랑하므로 일주일에 여러 번 투여해야 하는 치료법에 비해 치료 부담이 크게 완화됩니다. 이와 같은 편의성은 다른 FVIII 치료제를 사용하던 환자가 ALTUVIIIO를 대안으로 선택하는 원동력으로 작용합니다. 또한 Hemlibra로 대체하기를 꺼리고 FVIII 치료제를 고집하는 일부 환자에게 ALTUVIIIO가 매력적인 선택지입니다. Hemlibra 투여 중 돌파성 출혈을 겪은 환자의 경우, ALTUVIIIO 같은 FVIII 치료제로 다시 전환하는 것이 유효한 대안이 될 수 있습니다. 치료제와 관련해 주어지는 이와 같은 유연한 선택지는 개별 환자의 요건과 선호도를 충족시켜 전반적인 치료 만족도와 약물치료 순응도를 높이는 데 도움이 됩니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

ALTUVIIIO / ALTUVOCT가 예상치를 달성하는 과정에는 다음과 같은 난관이 도사리고 있습니다.

- (특히 소아 환자군의) 정맥주사 문제: 소아를 대상으로 한 정맥주사에는 복잡한 주사 과정, 합병증 위험, 쉽지 않은 정맥 찾기, 중심정맥관(CVAD) 삽입이 필요할 수 있다는 점 등의 어려움이 있습니다. 또한 어린이는 정맥주사에 공포심을 느끼는 경우가 많아 주사 과정이 아이뿐 아니라 보호자에게도 스트레스로 작용하고 트라우마를 겪을 우려가 있습니다. 이와 같은 난관을 극복하려면 노련한 의료 전문가와 지지요법(Supportive Care)이 필수적입니다.
- 향후 출시될 비인자 치료제와의 경쟁: Pfizer의 HYMPAVZI(마르스타시맙, 2024년 10월에 미국 FDA 승인)와 Sanofi의 Fitusiran( PDUFA 심사 목표일 2025년 3월 28일) 같은 비인자 치료제는 ALTUVIIIO / ALTUVOCT같은 인자보충요법(Factor Replacement Therapy)보다 훨씬 유리합니다. 이런 약물은 투여 빈도가 적고 피하 투여가 가능하며 면역원성이 낮아 환자와 의료진의 구미를 당기는 대안입니다. 이와 같은 치료제가 발전을 거듭하고 규제 기관의 승인을 받게 되면 A형 혈우병 치료제의 판세가 개편되고 ALTUVIIIO / ALTUVOCT에 상당한 난관으로 작용할 가능성성이 높습니다.

**ALTUVIIIO/ALTUVOCT는 주**

**1회 투여라는 장점을 자랑하므로**

**일주일에 여러 번 투여해야 하는**

**치료법에 비해 치료 부담이 크게**

**완화됩니다.**



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Ensifentrine

RPL554 | OHTUVAYRE™

## 약물 개발 현황

Ensifentrine은 2024년 6월에 OHTUVAYRE라는 제품명으로 만성 폐쇄성 폐질환(COPD) 치료제로 FDA의 승인을 받았습니다. 제조사인 Verona는 유럽의 규제 기관에도 승인을 신청해 둔 상태입니다. 일본의 규제 기관에 승인을 신청할 계획은 당분간 없는 것으로 보입니다.<sup>1</sup>

## 2024년/2025년 초 OHTUVAYRE 관련 주요 동향

OHTUVAYRE는 비싼 가격에도 불구하고 2024년 말 출시 이후로 예측치를 웃도는 시장점유율을 기록했습니다. Verona는 이 약물이 단일, 이중 또는 삼중 요법으로 치료받던 COPD 환자를 비롯해 다양한 COPD 환자에게 처방되고 있다고 전했습니다.

## 예측치 달성 여부

초기 시장점유율은 예상치를 초과했습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

클래리베이트는 약물의 비싼 가격과 투여량(1일 2회, 분무형)을 고려할 때 의사와 환자가 이 약물을 사용하는 데 다소 소극적일 것으로 우려했습니다. 그러나 초기 데이터에 따르면 이 약물은 COPD 치료제 시장에서 효능이 더 뛰어난 약물에 대한 의학적 미충족 수요(unmet medical needs)에 부응하고 있습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

보험사들이 OHTUVAYRE를 선호 의약품 등재(preferred tier coverage) 대상으로 지정할 경우, 처방이 크게 증가할 것입니다.

**OHTUVAYRE는 비싼**

**가격에도 불구하고 2024년**

**말 출시 이후로 예측치를**

**웃도는 시장점유율을**

**기록했습니다.**

<sup>1</sup> <https://www.veronapharma.com/news/verona-pharma-reports-fourth-quarter-and-full-year-2024-financial-results-and-provides-corporate-update/>



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Exagamglogene autotemcel and lovotibeglogene autotemcel

Exa-cel | CASGEVY™ 및 Lovo-cel | LYFGENIA™

## 약물 개발 현황

CASGEVY라는 제품명으로 출시된 Exagamglogene autotemcel은 재발성 혈관폐쇄 위기(VOC)를 겪는 12세 이상의 겸상적혈구질환(SCD) 환자와 수혈 의존성 베타 지중해빈혈(TDT) 환자 치료용으로 승인받았습니다.

2023년 11월, CASGEVY는 영국 의약품건강관리제품규제청(MHRA)으로부터 SCD 및 TDT 치료제로 최초 승인을 받았습니다. 미국 FDA는 2023년 12월에 CASGEVY를 SCD 치료제로 CASGEVY를 승인한 데 이어, 2024년 1월에 TDT 치료제로 승인했습니다. 2024년 2월에 유럽연합 집행위원회(EC)는 CASGEVY를 SCD 및 TDT 치료제로 승인했습니다. CASGEVY는 사우디아라비아, 바레인, UAE, 캐나다, 스위스에서도 승인받았습니다.

CRISPR Therapeutics와 Vertex Pharmaceuticals는 CASGEVY를 SCD 및 TDT 치료제로 개발하고 상용화하기 위해 공동 제휴하고 있습니다.

## 2024년/2025년 초 CASGEVY 관련 주요 동향

2024년과 2025년 초에는 CASGEVY와 관련해 여러 주목할 만한 사건이 있었습니다.

Vertex는 2024년 CASGEVY의 매출이 1,000만 달러에 달했다고 밝혔습니다. 2024년 3분기에 상용화된 CASGEVY가 처음으로 환자에게 투여됐습니다. 현재까지 미국, 유럽, 중동의 승인 지역에서 50명 이상의 환자가 세포 채취를 시작했습니다. 또한 Vertex는 승인 지역 내 50개 이상의 공인 치료 기관을 가동하고 있습니다.

CASGEVY는 보험 혜택 측면에서 전 세계에서 상당한 진전을 이뤘습니다.

- Vertex는 SCD 유병률이 높은 미국의 25개 주에서 보험 혜택 수단을 확보했습니다. 또한 Vertex는 미국 메디케어 및 메디케이드 서비스 센터(CMS)와 세포 및 유전자 치료(CGT) 접근 모델에 협조하는 계약을 체결했습니다. 이 모델은 적격 환자에게 메디케이드 접근성을 높이고 세포 및 유전자 치료제 제조사에 치료 효과에 따른 비용 지불 방식의 계약을 유도하는데 목표를 둍니다.
- 영국에서 Vertex는 TSCD 및 TDT 치료제로 승인받았습니다.
- EU 내에서는 룩셈부르크에서 SCD 및 TDT 환자에 대한 보험 적용을 확보하고, 오스트리아에서는 병원 기반의 보험 체계를 구축했으며, 이탈리아 의약품청으로부터는 개별 사례 기반의 조기 치료 접근을 승인받았습니다.
- 중동 지역을 종합적으로 살펴보자면, Vertex는 사우디아라비아에서 SCD 또는 TDT 환자에게 치료 병원을 기준으로 주어주는 보험 혜택을 확보했고, 바레인에서 적격 환자에게 국가 차원의 보험 혜택을 확보했습니다.

ASH 및 EHA 2024에서 발표된 긍정적인 장기 데이터를 통해 CASGEVY의 지속 가능한 치료 효과가 입증되었습니다. CASGEVY의 안전성 프로파일은 부설판 전처치 및 자가 조혈모세포이식(HSCT)과 동일합니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

LYFGENIA는 클래리베이트의 예상치에 미치지 못하는 성과를 보였습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

CASGEVY는 출시 첫해에 지루하고 시간이 많이 소요되는 치료 과정, 더딘 공인 치료소 확보, 그리고 보험 혜택 문제로 인해 예상보다 부진한 성장세를 기록했습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

향후 CASGEVY가 예상치를 달성하는 과정에서 여러 가지 주요 이정표와 도전 과제를 마주할 것으로 전망됩니다.

- 전 세계적으로 진행 중인 2건의 3상 임상시험에서는 종종 SCD 및 TDT를 앓고 있는 5~11세 아동을 대상으로 CASGEVY의 효능이 평가되고 있습니다. 이 임상시험에 참여할 환자는 모집을 마친 상태이며, 투여는 2025년에 완료될 예정입니다. 이 임상시험이 성공하고 어린 연령대의 환자군에 이 치료제를 사용하는 방안을 추가로 승인받게 되면 그에 따라 적격 환자군도 확대될 전망입니다. 또한 Vertex는 부작용을 줄인 골수파괴성 전이 치료제용 전임상 후보 물질을 개발하는 데 주력하고 있는데, 그 영향으로 적격 환자군이 더욱 확대될 것으로 기대됩니다.
- CASGEVY는 SCD와 혈관폐쇄성 질환 병력이 있는 성인 및 청소년 환자용으로 승인받은 Bluebird Bio의 유전자 치료제인 LYFGENIA(lovotibeglogene autotemcel [Iovo-cel])와 경쟁하게 될 것입니다. 다만 Bluebird Bio가 겪고 있는 재정적 어려움과 미국 시장에 국한된 전략은, LYFGENIA가 CASGEVY의 시장 채택에 미치는 영향력을 제한할 가능성이 높습니다.

## 약물 개발 현황

LYFGENIA라는 제품명으로 출시된 Lovotibeglogene autotemcel은 혈관폐쇄성 질환(VOE) 병력이 있는 12세 이상의 겹상적혈구질환(SCD) 환자용 치료제로 FDA의 승인을 받았습니다. 이 약물은 미국에서만 승인받아 시판되고 있습니다.

## 2024년/2025년 초 LYFGENIA 관련 주요 동향

Bluebird Bio는 2024년 LYFGENIA의 매출이 1,160만 달러였으며, 총 21명의 환자에 대해 첫 번째 세포 채취가 완료되었다고 밝혔습니다. 2025년 3월을 기준으로 총 11명의 환자가 LYFGENIA를 투여받았습니다. 또한 Bluebird Bio는 LYFGENIA와 자사의 베타 지중해빈혈 유전자 치료제인 ZYNTEGLO(Lovotibeglogene autotemcel)를 투여할 수 있는 적격 치료소(QTC)를 70개 이상으로 늘렸습니다.

ASH 2024의 프리젠테이션에서 공개된 장기간의 긍정적인 데이터에 따르면, 무증상 뇌졸중 병력이 있는 SCD 환자는 9년간의 추적 관찰 기간 동안 뇌졸중이 재발하지 않았습니다.

Bluebird Bio는 여러 국립보험공단과 LYFGENIA의 치료 효과에 따른 비용 지불 방식의 계약을 체결했습니다. 또한 이 회사는 세포 및 유전자 치료(CGT) 접근 모델에 준하여 LYFGENIA의 치료 효과에 따른 비용 지불 방식의 보험 혜택을 확보하고자 미국 질병통제예방센터(CMS)와 계약을 체결했습니다.

2025년 2월, Bluebird Bio는 Carlyle과 SK Capital Partners에 인수되는 확정 계약을 체결했으며, 이번 거래를 통해 유전자 치료 사업 확장을 위한 자본 확보가 기대됩니다. 이후 2025년 3월에 Bluebird Bio는 Aymrid로부터 구속력 없는 서면 인수 제안서를 받았습니다. 이 자료를 작성하는 시점을 기준으로 이사회가 제안서를 검토하고 있습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

LYFGENIA는 클래리베이트의 예상치에 미치지 못하는 성과를 보였습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

LYFGENIA는 복잡하고 긴 치료 과정과 사전 승인 획득의 어려움을 포함한 보험급여 이슈로 인해 초기 도입 속도가 더뎠습니다. 그러나 2024년 매출과 승인 이후 세포 수집을 진행한 겹상적혈구병(SCD) 환자 수를 보면, 더 높은 가격에도 불구하고 LYFGENIA가 도입 측면에서 CASGEVY와 보조를 맞추고 있음을 보여줍니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

LYFGENIA는 특히 혈액학적 악성 종양(hematologic malignancy) 발생 위험에 대한 박스형 경고(boxed warning) 문구가 삽입된 점을 고려할 때, 현재의 시장 입지를 유지하려면 지속적으로 안전성을 입증해야 합니다. Bluebird Bio는 안전성과 효능을 지속적으로 모니터링하는 데 목적을 둔 장기적 추적 연구를 통해 LYFGENIA의 효능, 지속성, 안전성을 확립할 것으로 예상됩니다. 또한 2~12세의 SCD 환자를 대상으로 LYFGENIA에 대한 3상 임상시험도 진행 중입니다. 임상시험 결과가 긍정적이고 이 연령대에 사용하기 적합한 치료제로 승인받을 경우, 적격 환자군이 소아 환자까지 확대될 것입니다.

LYFGENIA는 SCD에 대한 다른 유전자 치료제, 특히 CASGEVY와 경쟁하게 되는데, 이와 같은 상황은 LYFGENIA의 시장점유율에 악재로 작용할 수 있습니다.

블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Mirikizumab

LY-3074828 | Omvoh™



## 약물 개발 현황

Mirikizumab(Omvoh)은 2023년 10월에 궤양성 대장염(UC) 치료제로 승인받아 미국과 유럽을 위시한 주요 국가에서 출시됐습니다. 또한 이 약물은 2025년 1월에 크론병(CD) 치료제로도 승인받았습니다. Omvoh는 제조사가 공개한 1억 3,200만 달러의 2024년 매출에서 알 수 있듯 우수한 상업적 성과를 기록했습니다.

## 2024년/2025년 초 Omvoh 관련 주요 동향

Mirikizumab은 궤양성 대장염 시장에서 기존의 치료제 외에도 새로 승인받은 IL-23 억제제와 치열한 경쟁관계에 있으며, 이러한 상황은 앞으로도 계속될 것입니다. FDA는 2024년 6월에 SKYRIZI(리산키주맙)를 궤양성 대장염 치료제로 승인한 데 이어, 2024년 9월에 TREMFYA(구셀쿠맙)를 승인했습니다. 이처럼 다른 염증성 질환에서 이미 효능과 안정성을 인정받고 있으며 처방 의사가 선호하는 두 가지 IL-23 억제제가 출시됨에 따라 경쟁이 치열해질 것으로 예상됩니다.<sup>2</sup>

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

Mirikizumab은 뛰어난 임상적 효능을 입증하고 염증성 장질환(IBD) 시장에서 확고한 입지를 확보하면서 클래리베이트의 2024년 예상치를 달성했습니다. 궤양성 대장염 치료제로 승인받은 최초의 IL-23 억제제인 Omvoh는 치료 분야에서 독보적인 입지를 구축하고 있으며, 최근 2025년 1월에 크론병(CD) 치료제로도 승인받으면서

시장성이 더욱 굳건해졌습니다. 그러나 심화된 경쟁과 향후 몇 년간 새로운 치료제가 잇따라 출시될 가능성을 고려했을 때 시장점유율을 유지하려면 장기적인 가치를 뒷받침할 수 있는 전략적 차별화와 다년간의 실제 증거가 필요합니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

Mirikizumab은 궤양성 대장염 치료제로 승인받은 최초의 IL-23 억제제로서의 입지를 효과적으로 활용하여 예상치를 달성했습니다. 기존의 표적 치료제 및 추후 승인받은 동일 계열의 약물(예: SKYRIZI, TREMFYA)과 경쟁 관계에 있지만, 한발 빠른 출시가 시장 선점 효과로 이어지고 있습니다. 또한 최근(2025년 1월)에 크론병(CD) 치료제로도 승인받으면서 염증성 장질환 분야에서의 잠재력이 더욱 넓어졌습니다. 의료진 사이에서 상승한 인지도와 장기적 안전성 및 효능을 입증하는 새로운 데이터에 힘입어 시장점유율이 상승하고 염증성 장질환 치료 분야에서 Mirikizumab의 역할이 강화될 것으로 예상됩니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

Mirikizumab이 블록버스터 약물로 자리 잡으면 그 과정에서 몇 가지 중대 사건과 난관을 극복해야 합니다. 특히 장기적인 효능 및 안전성에 대한 실제 임상 데이터가 확보되면 궤양성 대장염(UC)과 크론병(CD) 치료 분야에서 시장점유율이 상승할 것입니다. 그러나 TNF 억제제, JAK 억제제, CAM 억제제를 비롯한 기존

표적 치료제와의 경쟁은 여전히 극복해야 할 난관으로 남아 있습니다. 또한 이후 이어진 FDA의 SKYRIZI와 Tremfya의 승인으로 건선과 건선성 관절염 치료 분야에서 이미 장기적인 안전성과 효능을 입증한 IL-23 억제제에 대한 의사의 선택지가 넓어졌습니다. Mirikizumab이 의사가 선호하는 치료제라는 입지를 유지하려면 다른 IL-23 계열의 치료제와 차별화를 꾀해야 합니다. 더욱이 최근 승인받은 바이오시밀러 제품인 Stelara가 조만간 출시되면 경쟁은 더욱 치열해질 것으로 예상됩니다.

Mirikizumab은 제품 용도 확대, 병용 요법 모색, 그리고 새로운 시장 진출을 위한 규제 기관의 승인이라는 목적을 달성해야만 궤양성 대장염 시장에서 여러 제품과의 치열한 경쟁에서 살아남고, 상업적 성공 가능성을 높일 수 있습니다. 종합하자면, 꾸준히 의사들의 선택을 받고, 적절한 가격 전략을 수립하며, 설득력 있는 실제 증거를 확보해야 UC 치료 분야에서 Mirikizumab의 입지를 공고히 할 수 있을 것입니다.

# 1억 3,200만 달러

우수한 상업적 성과를  
방증하는 2024년 매출

<sup>2</sup> <https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/us-fda-expands-jjs-psoriasis-drug-inflammatory-bowel-disease-2024-09-11/>

A hand reaches out from the left side of the frame, palm facing forward, towards a bright, glowing circular opening in a dark, rocky landscape. The opening reveals a bright blue sky and distant mountains. The hand is positioned as if it is about to touch or stabilize the edge of this glowing portal.

블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Niraparib + abiraterone acetate

AKEEGA™

## 약물 개발 현황

AKEEGA는 처음과 마찬가지로 BRCA 변이 전이성 거세저항성전립선암(mCRPC) 치료제로만 승인받은 상태이며, 클래리베이트의 2024년 1월 보고서 이후 주요 시장에서 추가로 승인을 받았다는 소식은 들리지 않습니다.

## 2024년/2025년 초 AKEEGA관련 주요 동향

2024년부터 2025년 초까지 AKEEGA는 미국, 독일, 프랑스에서 시장 입지를 굳혔습니다. 그러나 스페인, 이탈리아, 영국 등 주요 유럽 시장에서는 보험 혜택 문제로 인해 성장세가 더뎠습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

전반적으로 AKEEGA는 예상치를 완전히 달성하지 못했습니다. 승인받은 국가에서는 여전히 경쟁력 있는 치료제이지만, 보험 혜택 문제와 다른 PARP 억제제와의 치열한 경쟁 탓에 전반적인 성과는 미흡했습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

AKEEGA의 고정용량복합제(FDC) 제형은 단일 복합제라는 편의성이 장점이므로 여러 가지 약물을 복용하는 환자에게 매력적입니다. 그러나 AKEEGA는 PARP 억제제나 ARPI 성분을 따로 조절할 수 없는 탓에 부작용을 억제하기 어려운데, 많은 종양학자는 이와 같은 용량 조절의 미흡한 유연성을 단점으로 손꼽습니다.

더욱이 Pfizer의 TALZENNATLZENNA와 AstraZeneca의 LYNPARZA 같은 경쟁 관계에 있는 PARP 억제제는 mCRPC 분야에서 이미 확고한 입지를 구축했습니다. 이와 같은 대안들은 용량 조절의 유연성이 더 우수할 뿐만 아니라, 임상시험 결과 비교에서 BRCA 변이 환자와 BRCA 음성 변이 환자 모두에서 더 뛰어난 효능을 발휘하는 것으로 확인됐다는 사실을 고려하면 AKEEGA가 경쟁력을 확보하기에 여의치 않습니다.

임상적 우려 외에도, 유럽 내 홍보 부족과 전체 치료 과정에 드는 높은 비용 또한 AKEEGA의 시장점유율을 저해하고, 그로 인해 날로 경쟁이 치열해지는 시장에서 AKEEGA가 입지를 확보하는 데 걸림돌로 작용하고 있습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

AKEEGA의 주요 사건은 올해 말에 HRR 변이 전이성 호르몬 민감성 전립선암(mHSPC) 환자를 대상으로 진행될 AMPLITUDE 3상 임상시험의 결과입니다. 긍정적인 결과가 발표되면 수익성은 높지만, 아직 PARP 억제제가 사용되지 않는 mHSPC 치료 분야로 입지를 넓힐 수 있습니다. 그러나 이 임상시험 대조군인 아비라테론이 이미 이 분야에서 뛰어난 효능을 입증했기 때문에 AKEEGA가 넘어야 할 장애물이 만만치 않습니다.

그와 동시에 Pfizer는 TALARPO-3 3상 임상시험을 통해 mHSPC 치료 분야에서 TALZENNA의 자체적인 입지를 넓히는 데 적극적인 태도를 보이고 있습니다. 이 분야에 관한 TALZENNA의 데이터는 아직 존재하지 않지만, AKEEGA가 경쟁력을 확보하려면 TALZENNA와 동등하거나 더 우수한 효능과 안전성을 입증해야 합니다. AKEEGA가 이와 같은 시장 확대 기회를 십분 활용하고 상업성을 강화하려면 임상적 성과 외에도, 주요 시장에서 유연성에 대한 의사들의 우려와 보험 혜택에 관한 협상 문제를 제대로 해결해야 합니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# RSVpreF 및 RSVpreF3

PF-06928316 | ABRYYSVO™  
및 GSK-3844766A | AREXVY

## ABRYSVO의 현황

ABRYSVO는 미국과 EU에서 60세 이상의 고령층과 임신 32~36주 임산부의 호흡기세포융합바이러스(RSV) 감염으로 인한 하기도 질환 또는 하기도 감염증(LRTD)을 예방하고 생후 6개월 이하 영아의 LRTD 및 중증 LRTD를 예방하는 의약품으로 처음 승인을 받았습니다. 또한 ABRYSVO는 2024년에 일본에서도 앞서 언급한 모든 집단용 예방제로 승인받았습니다.

그 밖에도 미국과 유럽에서는 고위험군에 속하는 18~59세 성인용으로도 승인받았습니다.

## 2024년/2025년 초 ABRYSVO 관련 주요 동향

2024년과 2025년 초에 ABRYSVO는 상당한 진전을 이뤘고 승인 국가도 늘렸습니다. 2024년 1월에 일본 후생노동성(MHLW)은 영아의 RSV 예방을 위한 모체 예방접종용으로 ABRYSVO를 승인했으며, 2024년 3월에 60세 이상 성인용으로까지 승인 범위가 확대됐습니다. 2024년 2월, RENOIR 3상 임상시험에서 두 번의 RSV 유행 시즌에 걸쳐 60세 이상 성인에서 지속적인 효능을 입증하는 긍정적인 주요 결과(top-line data)가 발표되었습니다. 데이터에 따르면 3가지 이상의 증상으로 판별되는 RSV-LRTD에 대해 접종한 날로부터 4~6개월간 유지되는 예방 효능은 77.8%(95.0% CI: 51.4, 91.1)였습니다.

참고로, 접종한 날로부터 3개월간 유지되는 예방 효능은 88.9%(95.0% CI: 53.6%, 98.7%)이며, 6개월이 지난 후에도 효능이 유지됩니다.

2024년 4월경에 만성 질환을 앓고 있는 18~59세 성인과 18세 이상의 면역력 저하 성인에게서 뛰어난 면역 반응을 보였다는 MONeT 3상 임상시험 결과가 발표됐습니다. 이와 같은 전도유망한 임상시험 결과에 이어, FDA가 2024년 10월에 고위험군에 속하는 18~59세 성인용으로 ABRYSVO를 승인했습니다. 마지막으로, 2025년 4월에 EU도 MONeT 3상 임상시험 결과를 근거로 하여 18~59세 성인용으로까지 ABRYSVO의 승인 범위를 확대했습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

ABRYSVO는 다양한 연령대의 RSV 감염을 광범위하게 예방하고, 고령자와 고위험군에 속하는 젊은 성인 외에도, 모체 예방접종을 통해 영아의 RSV와 관련한 LRTD를 효과적으로 예방하지만, 제조사에 따르면 2024년 4분기 전 세계 매출이 2023년 4분기에 비해 62% 감소하면서 예상 매출액에 미치지 못했습니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

ABRYSVO는 예상 매출액을 달성하지 못했습니다. 주된 이유는 ACIP의 최근 권고안(75세 이상의 성인과 동반질환이

있는 60~74세의 성인에게 접종 권장)으로 인해 접종 대상이 줄면서 미국 고령층의 예방접종률이 대폭 감소했기 때문입니다. 그러나 제조사에 따르면 이와 같은 하락세는 (2023년 12월 출시 이후) 성인 적응증의 영향을 받은 시장점유율 증가와 모체측 적응증에 대한 확고한 수요로 인해 그나마 둔화했습니다.

또 다른 과제는 특히 잠재적 부작용과 관련한 예방접종의 효능과 안전성을 지속적으로 모니터링해야 한다는 점입니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

미국과 EU에서 18~49세 성인 등 다양한 인구 집단이 ABRYSVO를 접종해도 좋다는 규제 기관의 승인과 ABRYSVO의 진출 시장 증가, 긍정적인 임상시험 결과, 그리고 활발한 실제 효능 연구가 ABRYSVO의 시장점유율 상승을 부추길 것으로 예상됩니다. 그러나 제조사는 장기적인 효능을 더 오랫동안 유지하고, 안전 우려(예: 길랭-바레 증후군 발생 위험)를 해소하며, 접종 대상 집단의 관심도와 접종률을 늘리는 데 관심을 기울여야 합니다. 클래리베이트가 인터뷰한 KOL(Key Opinion Leader)들은 낮은 산모 예방접종률과 영유아에게 직접적으로 동일한 수준의 예방 효과를 발휘하는 단일클론항체와의 경쟁 양상 같은 난제를 덧붙여 강조했습니다. 또한 임신 초기의 결정이 신생아를 보호하는 데 특히 중요한데도, 예방접종을 주저하는 임산부의 심리가 예방접종률과 접종 효과에 악영향을 미칩니다.

## AREXVY의 현황

AREXVY는 2023년에 미국, EU, 일본에서 60세 이상 성인의 RSV와 관련한 하기도 질환 또는 하기도 감염증 예방제로 승인받은 데 이어, 중증 RSV 감염 위험이 높은 50~59세 성인용으로 추가로 승인받았습니다. 이 예방제는 장기간의 RSV 유행 시기 동안 효능을 유지합니다.

## 2024년/2025년 초 AREXVY 관련 주요 동향

2024년과 2025년 초에 AREXVY가 다양하게 개발되고 추가로 규제 기관의 승인을 받았습니다. 2024년 6월에 FDA는 고위험군에 속하는 50~59세 성인용으로 AREXVY를 승인했습니다. 그에 이어 2024년 7월 CHMP의 긍정적인 권고안을 내놓은 직후인 2024년 8월에 유럽연합(EC)은 동일 연령대용으로 AREXVY를 승인했습니다.

2024년 10월에 두 건의 중요한 임상시험이 완료됐습니다. 3b상 임상시험(RSV OA=ADJ-025)에서는 면역력이 저하되지 않은 18~49세의 성인 집단이 강한 면역 반응을 보이면서 공동 1차 평가변수를 총족했고, 2b상 임상시험(RSV OA=ADJ-023)에서는 18세 이상의 면역력 저하 성인 집단이 바람직한 면역 반응을 보였습니다. 마지막으로 2024년 11월에 일본 후생노동성(MHLW)은 고위험군에 속하는 50~59세 성인용으로 AREXVY를 승인했습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

AREXVY는 여러 계절 동안 RSV를 지속적으로 예방하고 고령의 기저 질환자를 비롯한 고령층을 대상으로 효능을 입증했는데도 예상 매출액을 달성하지 못했습니다. 2024년 AREXVY의 연간 매출과 분기별 매출 모두 감소했습니다.

### 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

#### 난관:

- AREXVY는 2024년 판매 실적 면에서 여러 가지 난관에 부딪혔습니다. 미국 내 매출 하락의 주된 원인은 접종 대상을 구체적으로 제한한 ACIP 권고안의 영향으로 60~74세 접종 대상이 줄면서 수요가 감소했기 때문입니다. 이와 같은 난관에도 불구하고, AREXVY는 판매량의 대부분을 차지하는 소매(약국) 부문에서 업계 선두 자리를 유지하는 데 성공했다고 제조사는 전했습니다.

#### 성공:

- 대중이 전국 어디서든 쉽고 편하게 이용할 수 있다는 소매 약국의 장점이 AREXVY의 시장점유율을 촉진하여 판매를 신장하고 이 부문에서 업계 선두 자리를 유지하는데 크게 일조했습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

미국 외 지역에서는 여러 시장에서 규제 기관이 제시한 긍정적인 사용 권고안과 투약용 제품의 초기 비축이 판매 신장의 원동력으로 작용했습니다. AREXVY는 59개 시장에서 승인받았는데, 그중 17개국은 국가 차원에서 RSV 예방접종을 권장하고 있으며, 미국을 비롯한 6개 국가는 보험 혜택을 적용하고 있습니다. 50~59세 성인 등 다양한 집단용으로 AREXVY의 꾸준한 접종 범위 확대, 긍정적인 데이터, 그리고 18~49세 성인을 대상으로 진행 중인 연구는 시장 지배와 판매 신장의 원동력으로 작용할 것입니다.

AREXVY의 성패는 장기적인 보호(즉, AREXVY가 장기간 면역력을 유지하여 필요한 추가 접종 빈도를 줄이고 지속적으로 RSV 예방), 안전 우려(예: 길랭-바레 증후군 발병 위험)를 해소하며, 고령층의 예방접종률을 늘리는 데 달려 있습니다.

접종 대상을 구체적으로 제한한 ACIP의 2024년 권고안 때문에 예방접종률이 하락하고, 이와 같은 상황이 이미 매출에 걸림돌로 작용할뿐더러, 향후 몇 년간 고질적인 난제로 남을 것으로 전망됩니다.

다른 RSV 예방제와의 경쟁 또한 AREXVY의 시장점유율에 영향을 미쳤습니다. 제조사인 GSK는 단기적으로 봤을 때 성장세가 지지부진할 것으로 예상하지만, 공중 보건 기관이 권고안을 보완하고 전 세계 시장점유율이 상승하고 있기 때문에 장기적인 전망에 대해 낙관적인 입장을 유지하고 있습니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Talquetamab

TALVEY™

## 약물 개발 현황

TALVEY는 유럽과 미국에서 (각각 조건부 승인 및 신속 승인을 받아) 출시됐습니다.

## 2024년/2025년 초 TALVEY관련 주요 동향

규제 기관과 관련하여 새로 입수된 정보가 없습니다.  
그러나 핵심적인 MonumenTAL-1 1/2상 임상시험에 관한 업데이트된 데이터와 TRIMM-2, MonumenTAL-2 및 RedirecTT-1 1b상 임상시험에 관한 기초 데이터가 학회에서 발표되고 학술지에 게재됐으며,(R/R) 환자를 대상으로 뛰어난 효능을 입증했습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

TALVEY는 재발/불응성 환자에게 투여했을 때 꾸준히 우수한 효능을 발휘한 데 힘입어 예상치를 달성했습니다.  
이와 같은 추세는 2023~ 2033년의 예측 기간 내내 이어질 것으로 예상됩니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

MonumenTAL-1, TRIMM-2, MonumenTAL-2 및 RedirecTT-1 임상시험 데이터에 따르면 단독 요법 및 다른 약물과의 병용 요법을 통해 재발/불응성 환자에게 TALVEY를 투여했을 때 이 약물이 뛰어난 효능을 발휘합니다. 이전에 BCMA를 표적으로 삼은 CAR T세포 요법이나 이중특이성 T세포 관여자에 노출되어 진행 양상을 보였던 환자도 이에 해당합니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

Talquetamab(탈퀘타맙)은 동종 계열 최초(first-in-class)의 CD3 및 GPRC5D(형질세포에서 발현되는 7-막관통 수용체 단백질) 표적 이중특이성 항체입니다. 현재 직접적으로 경쟁하는 제품은 출시되어 있지 않지만, GPRC5D를 표적으로 삼는 여러 약물이 개발 초기 단계에 있습니다.



블록버스터 신약 | 현재 개발 현황

# Zolbetuximab

IMAB362 | VYLOY®

## 약물 개발 현황

VYLOY는 플루오로피리미딘 및 백금 기반 항암화학요법과 병용되며, 주요 G7 시장(미국, EU5, 일본)과 중국에서 국소진행성 절제불가능 전이성 HER2 음성, Claudin18.2 양성 위 및 위식도 접합부(GEJ) 선암용 1차 치료제로 승인받았습니다.

## 2024년/2025년 초 VYLOY관련 주요 동향

- 2024년 1월: 미국 FDA가 제3자 위탁 생산 시설의 문제로 인해 보완요청공문(CRL)을 발송했습니다.
- 2024년 3월: VYLOY가 유럽에서 승인받았습니다.
- 2024년 9월: VYLOY가 일본에서 승인받았습니다.
- 2024년 10월: 제조 관련 문제를 해결한 허가재신청 절차를 마친 후 미국 FDA가 VYLOY를 승인했습니다.
- 2025년 1월: 중국 규제 기관의 승인으로 VYLOY의 글로벌 시장 진출 범위가 확대됐습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

예상치를 달성했지만, 화학요법은 여전히 위식도암의 주요 치료법이며, 백금/플루오로피리미딘 기반 요법이 표준 치료법(standard of care)으로 남아있습니다.

SPOTLIGHT 및 GLOW 3상 임상시험 결과에 따르면 VYLOY를 화학요법(mFOLFOX6 또는 CAPOX)과 병용하면 화학요법만 단독으로 진행할 때에 비해 무진행 생존율(PFS)과 전체 생존기간(OS)이 임상적으로 유의미하게 높아집니다. 이와 같은 결과는 VYLOY가 중요한 미총족 수요에 상당 부분 부응했고 VYLOY를 선택하는 HER2 음성 환자군이 급격히 늘고 있음을 시사합니다.

## 성공 또는 기대치 미달 원인 분석

Claudin18.2는 발현 부위가 광범위한 데다, VYLOY를 사용하기 적합한 위암 환자가 약 38%에 달한다는 사실에서 이 치료제의 시장성을 엿볼 수 있습니다.

표적 작용 기전은 HER2 음성 위암 및 위식도 접합부 선암 치료 분야의 중요한 공백을 해소하면서 임상적으로 크게 주목받았습니다.

VYLOY는 동종 최초의 치료제라는 이점을 충분히 누리고 있습니다. 계열 내 경쟁이 드물고 다른 바이오마커(예: PD-L1)와의 발현 중첩률이 비교적 낮다는 점 덕분에 이 환자 집단에 VYLOY가 사용되는 경우가 늘고 있습니다.

## 예측치 달성을 위한 주요 과제

VYLOY가 진료 현장에서 널리 사용되기 시작함에 따라, 장기적인 안전성 및 효능에 대한 실제 임상 데이터는 임상시험 결과를 증명하고 향후 치료 프로토콜의 진행 방향을 정하는 데 매우 중요한 역할을하게 될 것입니다.

다른 Cladu18.2 발현 적응증에 VYLOY를 단독으로 또는 병용 치료제로 사용(예: 면역관문억제제)했을 때 이 약물의 활동 양상을 탐구하는 데 목적을 둔 여러 연구가 진행 중입니다. 이와 같은 임상시험에서 긍정적인 결과가 도출된다면 VYLOY 사용 대상을 늘려서 이 치료제의 입지를 더욱 넓힐 수 있을 것입니다.

EU 국가에서 VYLOY의 시장점유율은 현지 보건 당국과의 협상 성공과 유리한 보험 혜택 전략에 달려 있습니다.

Claudin18.2를 표적으로 삼는 다른 여러 치료제가 임상 개발 중입니다. 이와 같은 후보 물질 중 일부는 항체-약물 접합체, 이중특이성 제제, 세포 치료제 같은 mAb와 작용 기전이 다릅니다. 이러한 제제가 승인받을 경우 VYLOY를 위협하는 제품이 될 것입니다.

## 클래리베이트에 대하여

클래리베이트는 혁신적인 분석 정보를 제공하는 세계 최고의 기업입니다. 클래리베이트는 학계 및 정부, 지식재산 및 생명과학 및 의료 분야에서 활동하면서 다채로운 데이터, 인사이트 및 분석, 워크플로 솔루션, 그리고 전문 서비스를 제공하고 있습니다. 자세한 내용은 [clarivate.com/ko](http://clarivate.com/ko)을 참조하십시오.

[clarivate.com/ko](http://clarivate.com/ko)

© 2025 Clarivate. All rights reserved. 클래리베이트의 사전 서면 동의 없이 클래리베이트 콘텐츠를 편집하거나 유사한 수단을 통해 재발행하거나 재배포하는 행위를 금합니다. 여기에서 사용된 클래리베이트와 그 로고 및 그 밖의 다른 상표는 각 소유자의 상표이고 저작권의 보호를 받고 있습니다.