



## 부담 가중될 수 있는 FDA 가이드라인

지난주 FDA가 가속 승인 지침 초안을 발표하였음. 가속 승인을 위해 단일 연구보다 무작위 대조군 연구 선호. 5월까지 피드백을 받고 있으며, 아직 실행되는 것은 아니므로 지켜봐야 함. 다만, 이대로 진행된다면 임상 개발에 추가 비용과 시간이 소요될 수 있어 바이오텍은 개발 전략 변경이 필요할 수 있음.

### ◎ 가속 승인의 판 구조적 변화의 움직임

- >> FDA 3/24일 가속 승인 지침 초안 발표. <FDA Issues Draft Guidance Aimed at Improving Oncology Clinical Trials for Accelerated Approval> 가속 승인을 위한 임상 설계 권장 사항을 제시.
- >> 가속 승인 위해 단일 연구(Single-arm trials) 보다는 무작위 대조군(RCT, Randomized-Controlled Trials) 연구 선호. 단일 연구는 드물게 부작용이 발생하는 것을 발견하지 못하고, 중앙 진행과 생존에 관한 임상적 혜택을 예측하는 데에 있어서 제한적이라는 한계를 지적.
- >> 가속 승인을 위해 2가지 개발 방향 권장. 1) 시판전 연구로는 전통적인 임상 설계 방식인 반응율, 2) 장기 임상 지표 평가에는 무진행생존기간(PFS)과 전체 생존(OS). 시판전 연구에서 기존과 유일한 차이점은 단일 연구가 아닌 무작위 연구(RCT)여야한다는 것임. 단일 연구는 RCT에 상당한 우려가 있는 경우와 같이 특정 상황으로 제한하기를 원함.
- >> 지난해 승인 받은 14건의 가속 승인 중 10건이 단일 연구였으며, 2건은 무작위 연구가 아닌 다른 유형이었고, 2건은 무작위 연구 기반이었으나 대조군 아니었음. 신약의 신속한 출시를 위해 일반적으로 단일 연구를 실행하여, 가속 승인을 받아왔음.

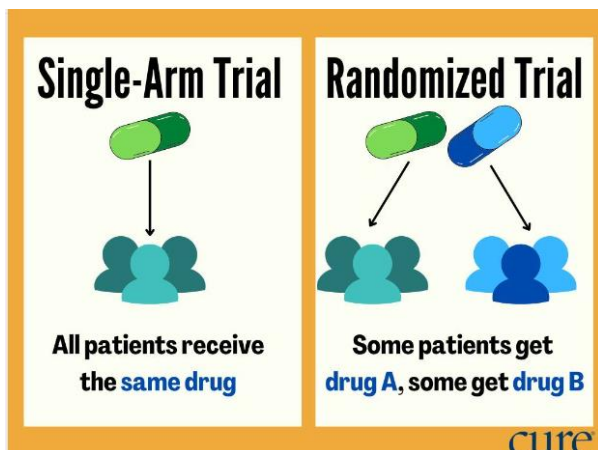
### ◎ 임상에 더욱 많은 비용과 시간이 소요됨을 의미하며, 가이드라인 확정시 바이오텍 전략 변경 필요

- >> FDA가 5/26일까지 이 초안에 대한 피드백을 받고 있으며, 아직 실행되는 것은 아니므로 지켜봐야 함.
- >> 다만, 실행된다면 임상 개발에 시간과 비용이 과거 대비 더욱 많이 소요될 것으로 전망. 향후 스폰서는 가속 승인(Accelerated approval)과 최종 승인(full approval)을 위한 2개의 RCT를 해야 함. 따라서 바이오텍은 최종 승인을 목표로 할 지, 가속 승인도 고려해야할 지 고민이 필요. 임상 중에 표준 치료제나 대체 치료제가 변경될 위험이 있고, 환자 모집에 추가 비용과 시간이 소요될 것으로 보임.
- >> 지난 1월 용량 최적화(Dose-Optimization Draft Guidance)도 비용 부담이 되긴 마찬가지인데, IRA로 향후 약가 인하 예상되어 수익성이 과거 대비 감소 예상. 이러한 지침과 초안들이 환자에 혜택이 가는 것은 맞으나, 항암제 개발에는 동기부여가 저하될 것으로 보임. 관련 바이오텍들은 FDA 규정 변경에 면밀한 관찰이 필요하며, 향후 개발 전략 변경이 필요할 수 있음.

## ◎ 단일 연구(Single-arm trials)와 무작위 대조군 연구(Randomized-Controlled Trials)란?

- >> **단일 연구**는 가장 간단한 시험 설계의 형태로 약물 치료 효능의 예비 증거를 얻기 위해 사용. 일반적인 효능 확인으로 사용되지 않음. 치료의 효과가 플라시보 효과인지 구별할 수 없어 시험 결과 해석 복잡할 수 있음. 예를 들면, 만성 통증 치료를 위한 임상시험에는 위약 효과가 크기 때문에 적합하지 않음. 다만, 대조약의 옵션이 제한되어 있는 경우 단일 연구가 유일한 옵션일 수 있으며, **일반적으로 주로 종양학에서 시행됨**. 최대 내약 용량(MTD)에서 효과를 확인하기 때문.
- >> 단일 연구는 무작위 연구 진행 전 **소규모 인구에서 안전성과 효능을 신속하게 확인**하기 위하여 사용되던 방식. 가속승인에서 사용되면서 충분한 데이터를 확보하기 위해 단일 연구가 확장되었음. 단일 연구의 문제는 반응율이 낮을 경우 해석이 어렵고 추후 측정되는 PFS와 OS가 나오기 전까지 안전성을 확인하기 어려움.
- >> **무작위 대조군 연구**는 2개 이상 치료군(치료제 vs 위약군)으로 무작위 배정됨. 치료 기간 동안 무작위 시험 참가자는 한 가지 치료만 받음. 무작위 대조군 연구는 효과 비교를 확인할 수 있다는 점에서 매력적이나 임상 규모가 커져 비용이 단일 연구 대비 커지는 단점이 있음.

### 단일 연구와 무작위 대조군 연구 비교



자료: Curetoday, 키움증권 리서치센터

### Compliance Notice

- 당사는 3월 29일 현재 상기 언급된 종목을 1% 이상 보유하고 있지 않습니다.
- 당사는 동 자료를 기관투자자 또는 제3자에게 사전 제공한 사실이 없습니다.
- 동 자료의 금융투자분석사는 자료 작성일 현재 동 자료상에 언급된 기업들의 금융투자상품 및 권리를 보유하고 있지 않습니다.
- 동 자료에 게시된 내용들은 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 작성되었음을 확인합니다.

### 고지사항

- 본 조사분석자료는 당사의 리서치센터가 신뢰할 수 있는 자료 및 정보로부터 얻은 것이나, 당사가 그 정확성이나 완전성을 보장할 수 없고, 통지 없이 의견이 변경될 수 있습니다.
- 본 조사분석자료는 유가증권 투자를 위한 정보제공을 목적으로 당사 고객에게 배포되는 참고자료로서, 유가증권의 종류, 종목, 매매의 구분과 방법 등에 관한 의사결정은 전적으로 투자자 자신의 판단과 책임하에 이루어져야 하며, 당사는 본 자료의 내용에 의거하여 행해진 일체의 투자행위 결과에 대하여 어떠한 책임도 지지 않으며 법적 분쟁에서 증거로 사용 될 수 없습니다.
- 본 조사 분석자료를 무단으로 인용, 복제, 전시, 배포, 전송, 편집, 번역, 출판하는 등의 방법으로 저작권을 침해하는 경우에는 관련법에 의하여 민·형사상 책임을 지게 됩니다.