

GIFT 보고서Ⅲ

의약품 신속심사 보고서

2024. 9.

MINISTRY OF FOOD AND DRUG SAFETY
www.mfds.go.kr



식품의약품안전처
식품의약품안전평가원
신속심사과(혁신제품심사팀)

Contents

1. 한눈에 보는 글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계(GIFT) 성과	1
2. 글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계	2
3. 우선(신속)심사 대상 의약품 지정	6
4. 우선(신속)심사 대상 의약품 품목허가·심사	13
5. 우선(신속)심사 관련 지침 및 가이드라인	18
6. 의료제품 우선(신속)심사 민원 만족도 조사 결과	20
〈부록〉 I. 우선(신속)심사 지정 품목 현황	23
II. 우선(신속)심사 지정 상세 정보	33
III. 우선(신속)심사 허가 품목 현황	53

73

글로벌 혁신제품 신속심사 신청 건수

- ▶ 신속심사와 신설 이후 73 품목 지정 신청
- ▶ '22.9월 GIFT 도입
- ▶ '22.11월 여포성 림프종 치료제 한국로슈(주) 룬수미오주 GIFT 1호 지정

55

우선(신속)심사 지정 55품목

- ▶ 화학의약품 28품목, 생물의약품 18품목
- ▶ 코로나19 백신치료제 8품목, 생약 1품목
- ▶ 현재('24.7)까지 GIFT 30품목 지정

52

우선(신속)심사 품목허가 52품목 (성분기준 42품목)

- ▶ 화학의약품 20품목, 생물의약품 14품목(GIFT 1호 품목 포함)
- ▶ 코로나19백신·치료제 17품목, 생약 1품목

44

우선(신속)심사 지정 주요 약효군 중 항암제 비율

- ▶ 항악성종양제의 비중 43.6%
- ▶ 코로나19 백신 치료제
- ▶ 발작성 야간 혈색소뇨증, 내인성 쿠싱증후군, 알파-만노사이드축적증, 전신 중증 근무력증, 드라벡증후군 등

○ 추진배경

식품의약품안전처에서는 암 등 중대환 질환 또는 희귀질환 치료제, 공중보건 위기대응 의약품에 대한 신속 심사를 위하여 2020년 8월부터 의료제품 신속심사 전담부서인 신속심사과를 신설하였다. 신속심사는 식약처 고시에 따라 수행되었으나, 2021년 7월에 상위법인 「약사법」에 우선심사 관련 조항을 신설하여 법적 근거를 명확히 하였다.

신속심사과는 혁신 의료제품의 신속심사를 보다 체계적으로 활성화 하기 위하여 2022년 9월부터 ‘식의약 규제개혁 100대과제’의 일환으로 ‘글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계’(GIFT, Global Innovative products on Fast Track)를 도입하여 운영하고 있다.

주요 해외 규제기관에서도 우리나라의 GIFT와 유사하게 혁신 제품에 대한 신속심사를 지원하고 있으며, 미국 FDA는 혁신의약품지정(Breakthrough Designation), 유럽 EMA는 프라임제도(Prime)를 운영하여 혁신제품 개발을 지원하고 있다.

글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계 ‘GIFT’는 심사기간 단축 (법정심사 기간 대비 75%)에 중점을 두고 있으며, 그 외 혁신제품의 빠른 제품화를 위한 품목별 1:1 협의체 ‘GIFT 키움’ 운영과 지속적인 혁신제품 정보 공개 등 다양한 지원을 제공하는 일련의 프로그램을 총칭하는 것이다.

GIFT 대상품목

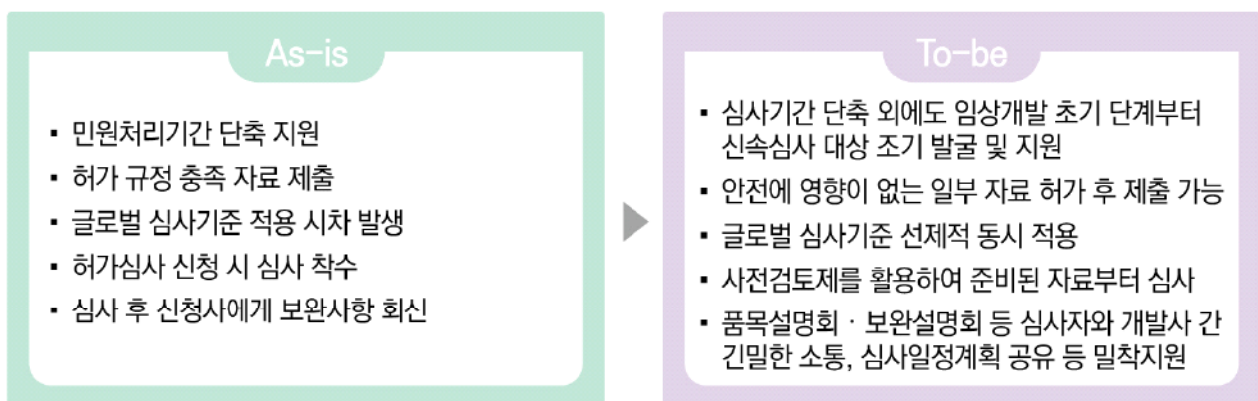
GIFT 대상 품목

- ▶ 생명을 위협하는 암 등 중대한 질환 또는 희귀질환의 치료를 목적으로 하는 의약품*
- ▶ 생물테러감염병 또는 감염병의 대유행(대유행이 현저히 우려되는 감염병의 발생을 포함한다) 등 공중보건에 심각한 위해를 끼칠 우려가 있는 감염병의 예방 또는 치료를 목적으로 하는 의약품*
- ▶ 보건복지부가 지정·공고한 혁신형 제약기업이 개발한 신약
- ▶ 신속심사 대상 의약품과 의료기기 조합

* 기존 치료법이 없거나 기존 치료법보다 유효성 등에서 임상적으로 의미있는 개선을 보인 경우

GIFT 지원 내용

GIFT로 지정된 품목은 신청사와 심사자간 품목별 1:1 협의체를 구성하고 운영함으로써 심사 전반에 걸쳐 심도 있는 밀착 지원을 받을 수 있다. 또한 혁신형 제약기업이 국내에서 신약을 개발하는 경우 최종 개발단계(임상 3상)부터 전문심사자의 상담이 이루어져 우선심사 지정 시기를 앞당기고 허가심사 완료시까지 유기적이고 일관성이 확보된 지원을 받을 수 있다.



식약처는 '22년 11월부터 혁신의료제품 개발을 지원하기 위해 식약처 누리집 내 'GIFT 전용 안내 페이지'¹⁾를 통하여 글로벌 혁신제품 신속심사 대상 지정 품목 공개 및 지정

1) 식약처 누리집(www.mfds.go.kr) > 국민소통 > 적극행정 > 혁신제품 신속심사

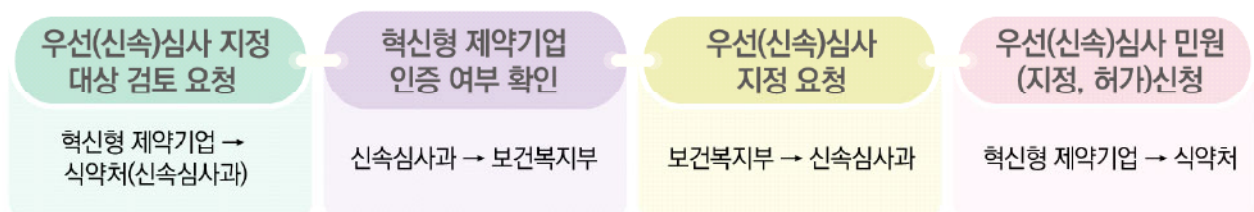
품목의 기술적 특성, 임상결과 등 GIFT 품목 신청을 위한 종합 정보를 제공하고 있다. 또한 GIFT 지정 품목의 해외 수출을 지원하기 위하여 '23년 8월부터 식약처 영문 누리집 내에 영문 안내 페이지²⁾를 운영하여 글로벌 혁신제품 신속심사 지원체계(GIFT)에 대한 해외 홍보를 강화하였다.

● 우선(신속)심사 지정 기간 단축

지난 4년간 우선심사 지정 품목은 대부분이 희귀의약품이었다. 희귀의약품에 대한 우선심사를 신청할 경우 희귀의약품 지정(심사기간 20일)과 우선심사 지정(심사기간 30일)이 순차적으로 필요하였고, 심사 부서도 달라 업계에 애로사항으로 작용하였다. 이에 '23년 6월에 신속심사과에서는 우선심사 대상과 희귀의약품을 동시에 지정하는 절차를 신설하였다. 희귀의약품 지정과 우선심사대상 지정에 대한 심사부서를 신속심사과로 일원화하고, 두 가지 민원을 동시에 심사함으로써 심사기간을 단축하였다.

또한, '21년 7월 신속심사 관련 규정 정비를 위한 「약사법」개정 시 우선심사 대상에 '혁신형 제약기업의 개발한 신약 중 보건복지부장관의 지정 요청이 있는 품목'을 추가하였으나, 보건복지부장관의 우선심사 대상 지정 요청에 대한 세부절차가 마련되어 있지 않아 혁신형 제약기업이 우선심사를 신청하는 데 어려움이 있었다. 식약처와 보건복지부는 상호협의를하여 식약처에서 보건복지부에 혁신형 제약기업 인증여부를 확인하여 우선심사 지정 절차를 간소하게 진행하는 것으로 개선하였다.

혁신형 제약기업 개발 신약 우선(신속)심사 지정 절차



2) 식약처 누리집(www.mfds.go.kr) > English(영문 누리집) > Our Works > Drugs > Approval Process > GIFT

허가신청-급여평가-약가협상 병행 시범 사업

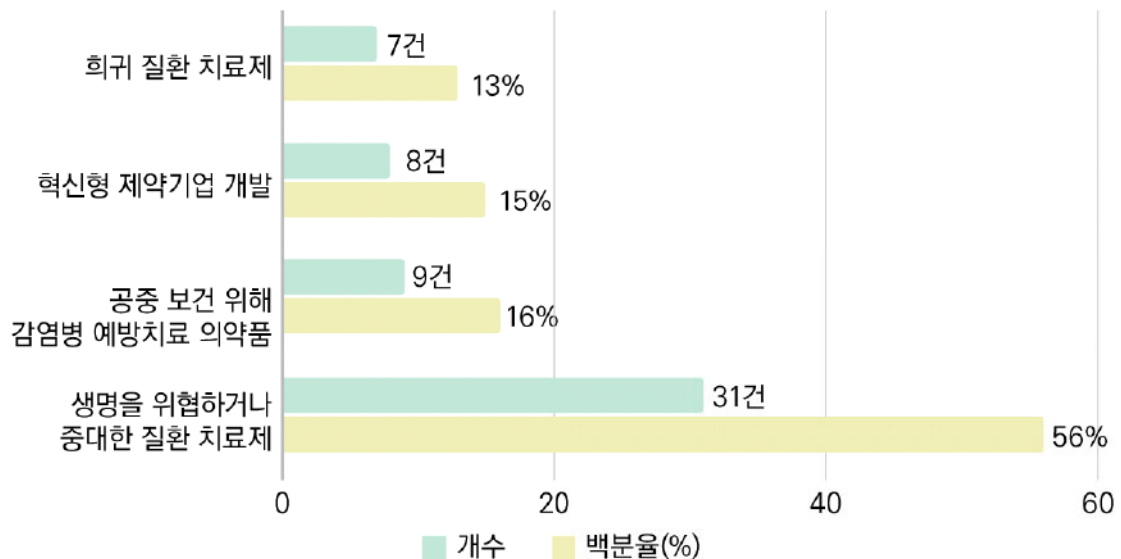
신약 또는 희귀의약품의 국내 도입 시, 의약품 품목허가(식품의약품안전처) 이후 급여평가(건강보험심사평가원)와 약가협상(국민건강보험공단)이 순차적으로 진행됨에 따라 실제 환자에게 사용되기까지 상당한 시간이 소요되었다. 중증 희귀·난치성질환 치료제 등의 환자 치료접근성 확대 및 보장성 강화를 위해 식약처, 복지부, 건강보험심사평가원, 국민건강보험공단이 참여하는 범정부기관 협의체를 구성하고 품목허가부터 급여평가와 약가협상기간을 단축하기 위한 ‘허가신청-급여평가-약가협상 병행시범 사업’이 복지부 주관으로 추진되고 있으며, 식약처는 지정 품목을 신속 심사함으로써 적극적으로 참여하고 있다.

‘23년 하반기에 1차 시범사업 대상 품목으로 식약처의 GIFT 대상 품목 중 희귀의약품 품목허가 신청한 ‘디누톡시맙베타’, ‘오데빅시바트’ 2개 품목이 선정되었다. 식약처는 소아희귀질환 치료제인 해당 품목을 신속심사함으로써 환자에게 보다 빠르게 공급될 수 있도록 협력하였다. 향후에도 ‘24년도 2차 시범사업 참여 등을 통해 생명을 위협하는 질환 및 희귀 질환 환자에게 보다 빠르게 의약품을 공급할 수 있도록 노력할 것이다.

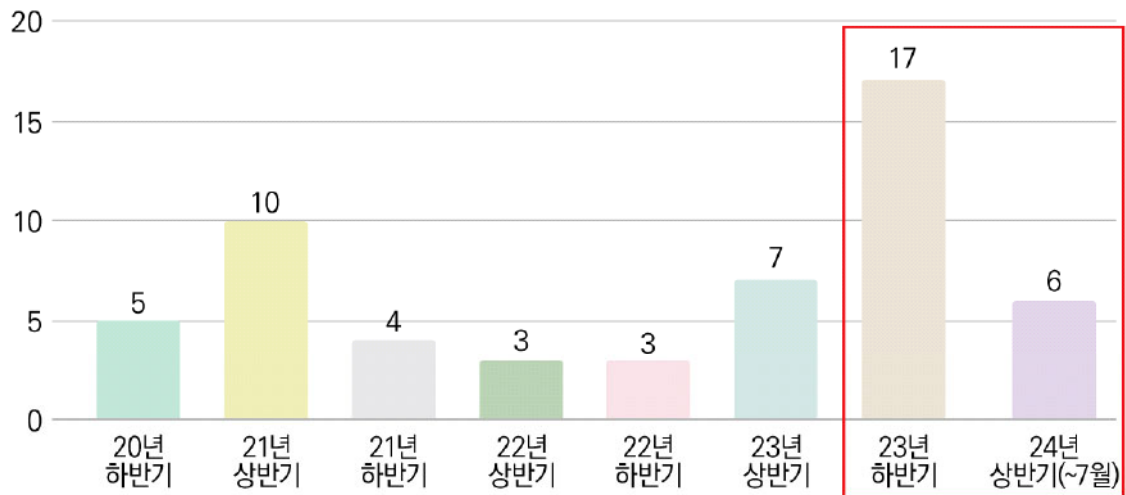
3

우선(신속)심사 대상 의약품 지정

우선(신속)심사를 시작한 '20년 8월부터 '24년 7월까지 우선심사 지정 신청 총 73건 중 55건(75.3%)이 지정되었으며, 미지정된 18건 중 2건은 기존치료법 대비 유효성 개선 입증 자료가 미흡하거나, 임상적 효과가 확인되지 않았고, 그 외 16건은 우선심사대상에 해당하지 않았다. 우선심사 대상 지정 사유별로 살펴보면 중대한 질환치료제 31건(56.4%), 공중보건 위해 감염병 예방 또는 치료의약품 9건(16.4%), 혁신형 제약기업 개발 신약 8건(14.5%), 희귀질환치료제 7건(12.7%)이었다.



〈그림 1. 지난 4년간 우선심사 지정 품목의 지정 사유('20.8~'24.7)〉



〈그림 2. 연도별 우선심사 지정건수 현황('20.8.~'24.7)〉

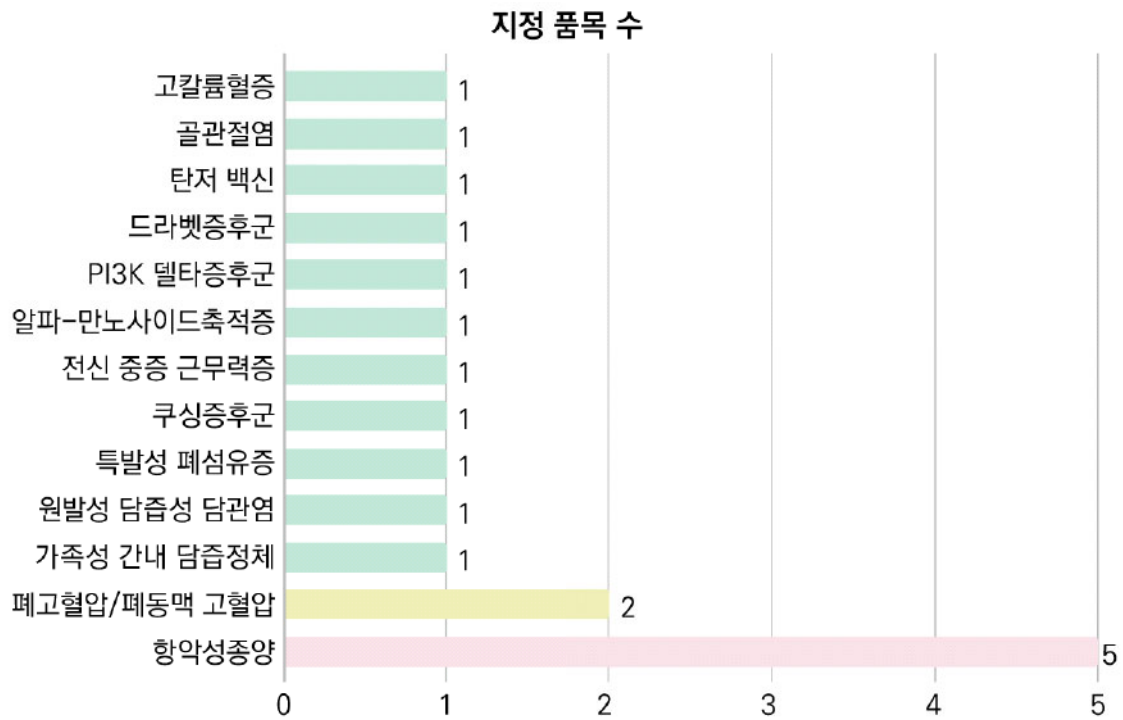
'23년 8월부터 '24년 7월까지 우선심사 대상은 18건이 지정되었으며, 이전 같은 기간 '22년 8월~'23년 7월에 지정된 14건에 비해 4건 더 증가하였다. 이중 암 등 생명을 위협하는 중대한 질환(4건) 또는 희귀질환의 치료제(11건)가 총 15건으로 83.3%를 차지했다.

4년간의 우선심사 지정 동향을 살펴보았을 때, '20년도 하반기에서 '22년 상반기까지 초기 2년 간은 주로 항악성 종양제 및 코로나19치료제·백신이 지정되었다. 우선심사 지정 건수는 '22년 총 6건, '23년 상반기에 7건, 하반기에 17건으로 급격히 증가하였다. 이는 코로나 19 대유행이 종식되면서 생명을 위협하는 질환의 치료제 및 희귀질환 치료제에 대한 신속심사 신청이 반사적으로 증가한 것으로 추측된다. '24년도 상반기(~7월)에 우선심사 지정은 6건이지만, 전체 신청 건수는 11건 이었고 미지정된 품목이 5건임을 고려하였을 때 우선심사 지정 신청 수요는 지속적으로 존재하는 것으로 판단된다. 4년간 우선심사 대상으로 지정된 품목 55개 중 항악성 종양제가 24건(43.6%), 백신류 6건(10.9%)이 높은 비율을 차지하였다.

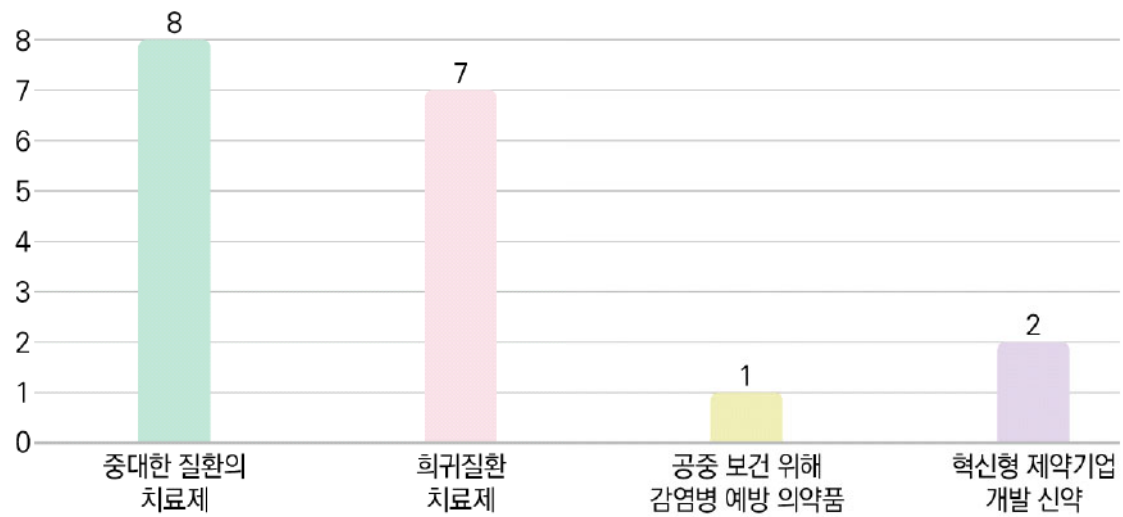
또한, '23년 8월부터 '24년 7월까지 신속심사 대상 지정을 받았던 품목 18 건 중에서 동일한 기간 내에 12 건(66.7%)이 품목허가를 신청하였다. 신청 품목 중 우선심사를 통해 '24년 8월까지 5건(41.7%)의 품목이 최종 허가되었다. 이를 볼때 우선심사 지정 제도는 안정적으로 운영되는 것으로 판단되며, 기존에 우선심사 지정을 받은 품목들이 품목허가 신속심사까지 안착하는 것으로 보여진다.

'23년 8월부터 '24년 7월까지 우선심사 지정 품목 중 생명을 위협하거나 중대한 질환의 치료제는 8품목, 희귀 질환 치료제는 7품목, 공중 보건·위해·감염병 예방치료 의약품 1품목, 혁신형 제약기업 개발 신약은 2품목으로 이전 기간에 비해 희귀 질환 치료제 지정 비율이 더 증가하였다.

우선심사 지정 품목 중 생명을 위협하는 질환의 치료제는 이전과 같이 항암제가 가장 큰 비중을 차지하였다. 그 외에 희귀 질환을 포함한 치료제로는 전신 중증근무력증 치료제, 특발성 폐섬유증, 폐고혈압, 진행성 가족성 간내 담즙정체, 쿠싱증후군, 알파-만노사이드축적증, PI3K 델타 증후군, 원발성 담즙성 담관염, 드라벡 증후군 등 보다 다양한 질환에 대한 치료제가 지정되었다. 혁신형 제약기업 개발 신약으로는 골관절염 및 고칼륨혈증 치료제가 지정되었다.



〈그림 3. 의약품 우선심사 지정 적응증별현황('23.8 ~ '24.7)〉



〈그림 4. 지정 사유별 우선심사 지정 현황('23.8 ~ '24.7)〉

‘23.8부터 ’24.7까지 우선심사 대상으로 지정된 품목은 아래와 같다.

〈표 1. 우선(신속)심사 품목 지정 현황〉

기간: 2023.8.1.~2024.7.31.

<div> <div>□ 화학의약품</div> <div>□ 생물의약품</div> <div>□ 생약(한약)제제</div> <div>□ 공중보건 위해 감염병 예방치료</div> </div>							
연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
1	과지바주 (디누톡시압베타)	(주)레코르다 티코리아	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * ○ 만 12개월 이상의 소아 1. 이전에 유도 화학요법 이후 부분반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 이력이 있는 고위험군 신경모세포종 환자 2. 재발성 또는 불응성 신경모세포종 환자	GIFT 13호	‘23.8.2.	‘24.5.16.	국내 희귀 지정
2	타이바소흡입액 0.6mg/mL (트레프로스티닐)	(주)안트로젠	희귀질환 (기존치료법無) * 폐동맥 및 전신 동맥 혈관의 직접적인 혈관확장 및 혈소판 응집 억제	GIFT 14호	‘23.8.16.	‘24.7.4.	국내 희귀 지정
3	빌베이캡슐 (오데빅시바트)	제이더블유중 외제약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 생후 3개월 이상인 진행성 가족성 간내 담즙 정체(Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC) 환자의 소양증 치료	GIFT 15호	‘23.8.24.	‘24.8.23.	국내 희귀 지정
4	포스포디에스테 라제 4B를 우선적으로 억제하는 티에노피리미딘 유도체 정제	한국베링거인 겔하임(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 특발성 폐섬유증(Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF) 치료	GIFT 16호	‘23.9.12.	-	국내 희귀 지정
5	제이퍼카정 (퍼토브루티닙)	한국릴리(유)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 이전에 BTK 억제제로 치료받은 경험이 있는 재발성 또는 불응성 외투세포림프종이 있는 성인 환자에서의 단독요법	GIFT 17호	‘23.9.21.	‘24.8.19.	국내 희귀 지정
6	이스트리사필름 코팅정 (오실로드로스타트)	(주)레코르다 티코리아	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 성인의 내인성 쿠싱증후군 치료	GIFT 18호	‘23.10.18	-	국내 희귀 지정

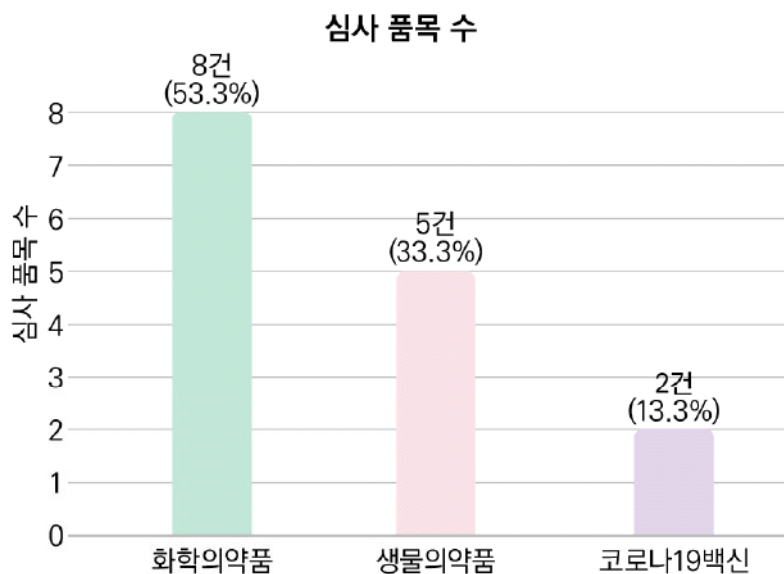
연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
7	하이알플렉스주 (헥사메틸렌디아민으로 가교결합된 히알루론산나트륨겔)	신평제약(주)	혁신형 제약기업 개발 신약 * 슬관절의 골관절염	GIFT 19호	'23.10.23 .	'24.7.12.	-
8	프루자클라캡슐 (프루퀸티닙)	한국다케다제약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 플루오로피리미딘, 옥살리플라틴, 이리노테칸 기반 항암화학요법, 항-VEGF치료, 항-EGFR 치료, 항-트리플루리딘/티피라실 또는 레고라페닙을 포함하여 사용 가능한 치료법으로 이전에 치료를 받았거나 그러한 치료에 적합한 후보가 아닌 것으로 판단되는 성인 mCRC 환자의 치료	GIFT 20호	'23.11.3.	-	국내 희귀 지정
9	배리트락스주 (재조합 탄저백신)	(주)녹십자	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 혁신형 제약기업 개발 신약 * 만19세 이상 65세 미만 성인에서 탄저균(Bacillus anthracis)에 의한 질병의 예방	GIFT 21호	'23.11.10 .	-	-
10	에프가티지모드 알파	(주)한독	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 성인의 전신 중증근무력증(gMG)	GIFT 22호	'23.11.13 .	-	국내 희귀 지정
11	람제데주 (벨마나제알파)	(주)광동제약	희귀질환 (기존치료법無) * 경증에서 중등도의 알파-만노사이드축적증 환자의 비신경학적 증상 치료를 위한 효소 대체 치료법	GIFT 23호	'23.12.7.	-	국내 희귀 지정
12	원레브에어주 (소타터셉트)	한국엠에스디(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 폐동맥 고혈압의 치료	GIFT 24호	'23.12.14 .	-	국내 희귀 지정
13	임델트라주 (탈라타맵)	암젠코리아 유한회사	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 이전에 받은 2차 이상 치료에도 질병이 진행된 진행성 소세포폐암(Small Cell Lung Cancer, 이하 SCLC) 성인 환자의 치료	GIFT 25호	'24.1.16.	-	국내 희귀 지정

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
14	[177Lu]루도타 다이펩	(주)퓨처켄	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 혈중 testosterone 50 ng/dL 이하인 거세저항성 전립선암 환자 중, 표준 요법인 standard taxene 기반 항암치료 전/후 2세대 호르몬제제(abiraterone, enzalutamide, or both) 중 최소 1개 이상의 치료에도 암이 진행하는 전이성 거세저항성 전립선암 환자(metastatic castration resistant prostate cancer, mCRPC)이면서 전립선특이막항원(Prostate Specific Membrane Antigen, PSMA) 양성 병변을 포함하는 성인 환자의 치료	GIFT 26호	'24.3.15.	-	국내 희귀 지정
15	조엔자정 (레니올리십)	베르토코리아 유한책임회사	희귀질환 (기존치료법無) * 활성화된 PI3K 델타 증후군(APDS) 치료	GIFT 27호	'24.4.30.	-	국내 희귀 지정
16	로켈마현탁액 (지르코늄사이클 로규산나트륨)	한국아스트라 제네카(주)	혁신형 제약기업 개발 신약 * 성인 환자에서의 고칼륨혈증	GIFT 28호	'24.5.23.	-	-
17	아이커보정 (엘라피브라노)	임센코리아(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 원발성 담즙성 담관염(primary biliary cholangitis, PBC)의 치료	GIFT 29호	'23.5.28.	-	국내 희귀 지정
18	핀테플라액 (펜플루라민염산염)	한국유씨비제 약(주)	희귀질환 (기존치료법無) * 2세 이상 환자의 드라벡 증후군과 관련된 발작 치료	GIFT 30호	'24.5.29.	-	국내 희귀 지정

4

우선(신속)심사 대상 의약품 품목허가심사

‘23년 8월부터 ‘24년 7월까지 수행한 우선(신속)심사 대상 품목허가심사는 총 15품목이며, 이 중 화학의약품은 8품목(53.3%), 생물의약품(백신 제외)은 5품목(33.3%), 코로나19 백신·치료제는 2품목(13.3%)이다.

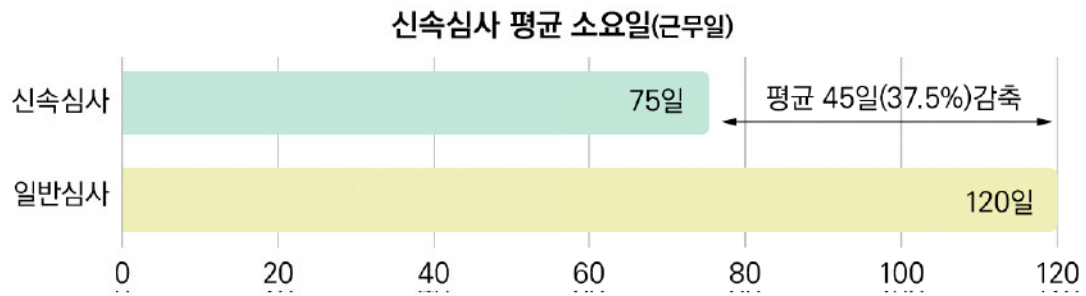


〈그림 5. 의약품 분류별우선(신속)심사 현황(‘23.8 ~ ‘24.7)〉

우선(신속)심사 품목을 약효군별로 분류하면 총 15품목 중 항악성종양제 7품목(46.7%), 코로나19 백신 2품목(13.3%), 발작성 야간 혈색소뇨증(PNH) 치료제 3품목(20%), 간질성폐질환 연관 폐고혈압(PH-ILD) 치료제 1품목(6.7%), 슬관절의 골관절염 치료제 1품목(6.7%), 방사성 의약품(항암) 1품목(6.7%)이었다.

생명을 위협하거나 중대한 질환(여포성 림프종)에 대한 희귀의약품으로서 GIFT 1호로 지정된 (주)한국로슈의 룬수미오주(모수네투주맵)는 신속심사와 품목허가심사 소요기간이 86일로 일반적인 생물의약품 품목허가심사의 법정소요기간(115일) 대비 74.8%로 심사기간을 단축하였다.

우선(신속)심사에 소요된 기간(근무일* 기준)은 각 품목의 특성에 따라 차이가 있으나 전체적 평균 75일로 법정심사기간의 62.5% 이내로 단축하였다.



〈그림 6. 우선(신속)심사 품목 심사 기간 단축 현황(‘23.8 ~ ‘24.7)〉

〈표 2. 우선(신속)심사 품목 허가 현황〉

기간: 2023.8.1.~2024.7.31.

<div> <input type="checkbox"/> 화학의약품 <input type="checkbox"/> 생물의약품 <input type="checkbox"/> 생약(한약)제제 <input type="checkbox"/> 코로나19 백신 </div>					
연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
1	스파이크박스듀오2주(엘라소메란, 다베소메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA백신)	모더나코리아(주)	'23.9.27.	코로나19 백신	
2	룬수미오주(모수네투주맙)	(주)한국로슈	'23.11.3.	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 소포성 림프종	국내 희귀지정
3	엠파벨리주(페그세타코플란)	(주)한독	'24.4.29.	발작성 야간 혈색소뇨증	국내 희귀지정
4	코미나티바이발렌트주(토지나메란, 팜토지나메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA백신)	한국화이자제약(주)	'24.7.3.	코로나19 백신	
5	티루캡정160밀리그램 (카피바설팅)	한국 아스텔라스제약(주)	'24.4.29.	HR양성, HER2음성, PIK3CA/AKT1/PTEN 변이 국소 진행성 또는 전이성 유방암에 내분비 요법 중 또는 이후 진행되거나 보조요법 완료 후 12개월 이내 재발된 경우 폴베스트란트와의 병용투여	
6	티루캡정200밀리그램 (카피바설팅)				
7	플루빅토주 (루테튬(177Lu) 비피보타이드테트라세탄)	한국노바티스(주)	'24.5.29.	안드로겐 수용체 경로 차단(ARPI) 치료와 탁산 기반의 화학요법을 받았던 전립선 특이 막 항원(PSMA)양성 전이성 거세저항성 전립선암(mCRPC)	국내 희귀지정
8	엘렉스피오주 (엘라나타맙)	한국화이자제약(주)	'24.5.30.	프로테아좀억제제, 면역조절제, 항-CD38 단클론항체를 포함하여 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증시험에서 입증한 자료는 없다.	국내 희귀지정

연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
9	보이데아정50밀리그램 (다니코판)	한국아스트라 제네카(주)	'24.6.28.	발작성 야간 혈색소뇨증 기존에 C5 억제제(라불리주맙 또는 에쿨리주맙)를 투여 중인 PNH 환자에서 혈관외용혈(Extravascular Hemolysis) 증상이나 징후가 있는 경우 라불리주맙 혹은 에쿨리주맙에 부가요법	국내 희귀지정
10	보이데아정100밀리그램 (다니코판)				
11	과지바주4.5mg/mL (디누톡시맙베타)	(주)레코르다티 코리아	'24.6.19.	○ 만 12개월 이상의 소아 1. 이전에 유도 화학요법 이후 부분반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 이력이 있는 고위험군 신경모세포종 환자 2. 재발성 또는 불응성 신경모세포종 환자	국내 희귀지정
12	타이바소흡입액0.6mg/mL (트레프로스티닐)	(주)안트로젠	'24.7.5.	간질성폐질환 연관 폐고혈압 (PH-ILD; WHO 그룹3)의 운동능력 개선	국내 희귀지정
13	탈베이주2mg/mL (탈쿠에타맙)	(주)한국안센	'24.6.28.	프로테아좀억제제, 면역억제제, 항-CD38 단클론항체를 포함하여 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증시험에서 입증한 자료는 없다.	국내 희귀지정
14	탈베이주40mg/mL (탈쿠에타맙)				
15	하이알플렉스주 (헥사메틸렌디아민으로가교결합 된히알루론산나트륨겔)	신풍제약(주)	'24.7.12.	슬관절의 골관절염	

또한 식약처는 '20년 코로나19 발생 초기부터 보건복지부, 질병청 등 부처간 협력을 통하여 코로나 19 위기대응을 추진해왔다. 식약처는 코로나19 백신을 국내에 신속하게 공급할 수 있도록 긴급사용승인을 위한 신속심사를 수행하고 있으며 '23년도에는 코로나19 변이주 백신의 긴급사용승인 심사 4건을 수행하였다.

〈표 3. 긴급사용승인 심사 품목 현황〉

연번	제품명(성분)	신청사	승인일자	효능 효과	비고
1	코미나티주(토지나메란, 팜토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	2022.10.17	코로나19 백신	BA.4/5 2가백신
2	스파이크박스2주(엘라소메란, 다베소메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	(주)모더나코리아	2022.12.2.	코로나19 백신	BA.4/5 2가백신
3	코미나티주0.1mg/mL(5~11세용)(토지나메란, 팜토지나메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	2023.2.24. 2023.6.7.(2차)	코로나19 백신	BA.4/5 2가백신
4	코미나티주0.1mg/mL(락스토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	2023.9.12.	코로나19 백신	XBB1.5 백신
5	스파이크박스엑스주(안두소메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	모더나코리아(주)	2023.9.27.	코로나19 백신	XBB1.5 백신
6	노바백스 코로나19 백신(2023-2024 조성)	에스케이케미칼(주)	2023.10.20.	코로나19 백신	XBB1.5 백신
7	코미나티주0.1mg/mL(6개월~4세용)(락스토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	2023.12.13.	코로나19 백신	XBB1.5 백신

신속심사과에서는 민원인의 우선(신속)심사 이해도를 높이고 심사자의 업무 일관성·효율성을 확보하기 위하여 우선심사와 관련된 민원인 안내서 및 지침서를 제공하고 있다. 약사법 개정사항 등 우선심사 관련 제도 변경사항을 신속하게 반영하기 위하여 노력하고 있다.

우선(신속)심사 관련 규정 및 희귀의약품·신속심사 지정 동시신청 등 규제 개선사항을 반영하여 '24년 6월 '의료제품의 신속심사에 대한 업무절차' 및 '의료제품의 신속심사 지정 신청시 고려사항'을 개정하였다. 주요 개정 내용은 신속(우선)심사 지정 신청서 양식에 '희귀의약품' 항목 추가, 희귀의약품·신속심사 지정 동시신청 민원 운영에 따른 심사 절차 추가 및 관련 시스템 개선 사항 안내 등이다. 또한, 보건복지부의 혁신형 제약기업 인증 신청 절차 및 혁신형 제약기업 개발 국내 신약의 경우 허가 신청 전⁴⁾ GIFT 조기 지정 가능하도록 한 개선사항을 반영하였다. '의료제품의 신속심사 지정 신청시 고려사항'에서는 추가적으로 GIFT 지원 대상이 첨단바이오의약품까지 확대됨과 이와 관련된 신속처리 대상 지정신청 방법 및 절차 등을 안내하였다.

후발 혁신 의료제품의 개발을 독려하고 신속심사 제도 활용 동기를 부여하기 위해 「의료제품 신속 제품화 사례집」을 발간하였다. 국내 개발 신약 당뇨 치료제, GIFT 제1호 품목, 허가신청-급여평가-약가협상 병행 시범 1차 사업 대상 품목 및 혁신 의료기기 등 신속심사 대상 의료제품의 제품화 사례와 함께 해당 업체의 신속심사제도 활용 소감 등에 대한 인터뷰를 공유하였다.

또한, 연내에「한눈에 보는 코로나19 mRNA백신」리플렛을 개정하여 화이자, 모더나 등 코로나19 mRNA 백신의 연령별, 변이주별 제품에 대한 최신 정보 및 자주하는 질의응답을 제공할 예정이다.

4) 혁신형 제약기업이 개발한 신약의 경우 핵심 임상시험의 주요 결과를 얻은 시점부터 GIFT 지원 신청 가능하도록 함

〈 신속심사 관련 지침 및 가이드라인 등 〉

연번	제목	구분	제정일	개정일
1	의료제품의 신속심사에 대한 업무절차	공무원 지침서	2020.09.28.	(1차) 2021.03.31. (2차) 2021.05.31. (3차) 2024.06.26.
2	의료제품 신속심사 전문가 협의체 운영에 대한 업무절차	공무원 지침서	2020.11.26.	2024.07.05.
3	신속심사 지정 검토서 작성기준	공무원 지침서	2021.03.31.	(1차) 2023.01.30. (2차) 2023.09.05.
4	의료제품의 신속심사 지정 신청시 고려사항	민원인 안내서	2020.10.28.	(1차) 2021.03.31. (2차) 2021.05.31. (3차) 2024.06.26.
5	해외 주요국 신속심사 사례집	민원인 안내서	2021.10.19.	
6	코로나19 백신 위해성 관리계획 작성 고려사항	민원인 안내서	2021.08.26.	2022.02.28.
7	혁신의료기기 우선심사 가이드라인	민원인 안내서	2021.10.26.	2024.09.06.
8	공중보건 위기대응 의약품 심사 가이드라인	민원인 안내서	2022.03.11.	
9	공중보건 위기대응 의약품 심사 사례집	민원인 안내서	2022.05.03.	
10	최소의료기기 지정 신청자료 작성 고려사항	민원인 안내서	2023.07.25.	
11	한눈에 보는 코로나19 mRNA백신	리플렛	2023.01.30.	
12	한눈에 보는 GIFT	리플렛	2023.05.31.	
13	의료제품 신속제품화 사례집	리플렛	2024.08.29.	



〈그림 7. 의료제품 신속제품화 사례집〉

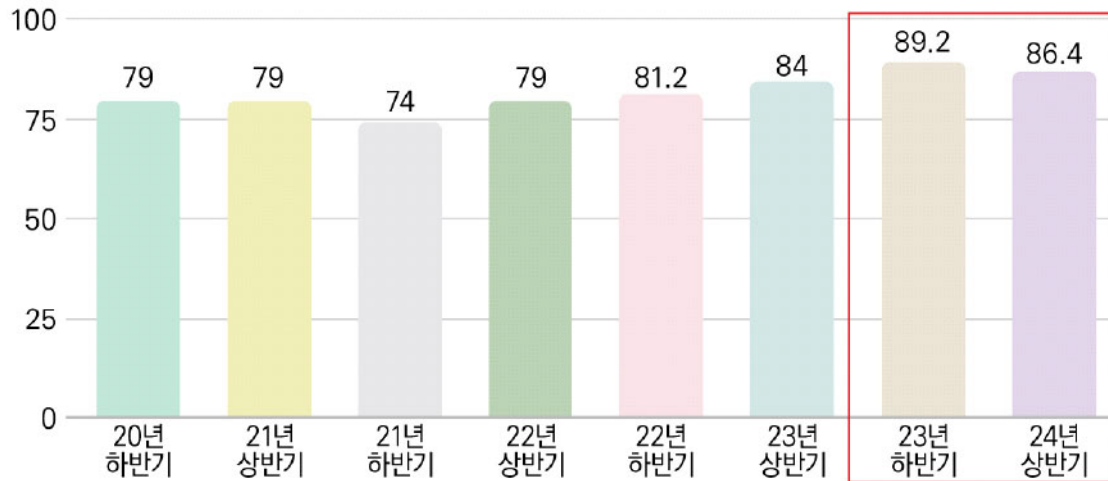
식약처(평가원) 신속심사과에서는 '23년 하반기(24개 업체)와 '24년 상반기(29개 업체) 우선(신속)심사 대상 지정을 신청하거나 허가 신청사를 대상으로 「심사업무 민원 만족도」 조사를 실시하였으며, 평가지표로는 개선정도, 신속성, 전문성, 일관성, 예측성 및 친절도 등 6개 항목에 대하여 평가결과를 평균하여 백분율로 환산하였다.

민원 만족도 조사 요약

- ▶ ('20년 하반기) 종합 평균 79점, 개선도, 신속성, 전문성 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('21년 상반기) 종합 평균 79점, 신속성, 일관성, 예측성, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('21년 하반기) 종합 평균 74점, 개선도, 일관성, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('22년 상반기) 종합 평균 79점, 신속성, 전문성, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('22년 하반기) 종합 평균 81.2점, 개선정도, 전문성, 일관성, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('23년 상반기) 종합 평균 84점, 개선정도, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('23년 하반기) 종합 평균 89.2점, 신속성, 전문성, 친절도 항목 평균보다 높게 평가
- ▶ ('24년 상반기) 종합 평균 86.4점, 친절도 항목 평균보다 높게 평가

의료제품 우선(신속)심사에 대한 종합적인 민원만족도는 '20년 8월 신속심사과 신설 이후 지속적으로 상승하였다. '23년 하반기와 '24년 상반기에는 이전 조사기간('22년 하반기 ~ '23년 상반기)에 비하여 민원만족도 종합 평균이 상승하였다. 특히 '23년 하반기는 '23년 상반기보다 종합평균과 평가지표가 전반적으로 큰 폭으로 상승하였으며, 이는 GIFT 지원 체계 도입과 신속심사 지정-심사 연계를 위한 협의체 운영 등이 지표 개선에 영향을 준 것으로 판단된다. '24년 상반기에는 '23년 하반기 대비 친절도 지표 개선을 제외한 지표 점수가 전반적으로 감소하였으나 모든 평가지표에서 80점 이상의 수준을 유지하고, 종합 평균 86.4점으로 전반적으로 높은 만족도를 나타내었다. 이 중 신속성 하락은 '23년 신속심사 민원 건수가 큰 폭으로 증가함에 따른 연쇄적인 영향으로 추정된다.

5) 신속심사과에서는 '20년 하반기부터 의료제품 신속심사 민원 만족도 조사를 년 2회 실시하였으며, '20년 하반기 ~ '22년 상반기까지의 만족도 조사는 「의료제품 신속심사 보고서 I」, '22년 하반기 ~ '23년 상반기까지의 만족도 조사는 「의료제품 신속심사 보고서 II」 참고



〈그림 8. 우선(신속)심사 민원 만족도 조사 결과('20년 하반기~'24년 상반기)〉

항목	개선도	신속성	전문성	일관성	예측성	친절도
'20년 하반기	81	81	81	76	76	79
'21년 상반기	77	80	79	80	80	81
'21년 하반기	75	72	73	75	72	75
'22년 상반기	79	81	80	79	79	80
'22년 하반기	81	80	81	83	79	83
'23년 상반기	84	82	80	83	82	92
'23년 하반기	88	90	90	88	89	90
'24년 상반기	86	84	86	86	84	93

※ 민원만족도 항목 세부 내용

연번	항목	지표 세부사항
1	개선정도	신속심사와 신설('20.8.31) 이후, 이전보다 제품화에 더 도움이 되고 있다.
2	신속성	신속심사 대상 의료제품의 심사가 신속하게 진행되었다.
3	전문성	신속심사 대상 의료제품의 지정 및 심사가 전문성(해당 분야 전문지식, 관련 규제에 대한 폭넓은 이해 등) 있는 심사를 통해 진행되었다.
4	일관성	신속심사 대상 의료제품의 지정 및 심사가 관련 규정에 따라 일관성 있게 진행되었다.
5	예측성	신속심사 대상 의료제품의 지정 및 심사가 제품 출시기간 단축 및 일정 예측에 도움이 된다.
6	친절도	심사자는 신속심사 대상 의료제품 지정 및 심사관련 상담 시(전화 및 대면상담) 친절하게 응대한다.

〈 부록 I 〉

우선(신속)심사 지정 품목 현황

- 수록내용은 신기술 적용 또는 혁신성이 뛰어난 신속심사 지정 품목의 관련 기술, 임상 결과 등을 제공하여 후발의약품 개발에 도움이 되고자 개발 허가사의 동의하에 공개하며, 동의 범위에 따라 공개내용의 종류는 다를 수 있습니다.
- 기재된 임상결과는 지정 당시 제출자료로, 지정 검토는 예비임상결과*등으로 가능하므로 최종 허가시 검토된 임상자료와는 다를 수 있음을 알려드립니다.
- 신속심사 대상 품목의 정확한 효능·효과는 허가심사 자료 검토 후 결정됨을 알려드립니다.

* 의료제품의 신속심사 지정신청 시 고려사항(민원인 안내서)참조

〈 우선(신속)심사 지정 품목 현황 〉

기간: 2020.8.1.~2024.7.31.

<input type="checkbox"/> 화학의약품	<input type="checkbox"/> 생물의약품	<input type="checkbox"/> 생약(한약)제제	<input type="checkbox"/> 코로나19 백신·치료제
--------------------------------	--------------------------------	-----------------------------------	---------------------------------------

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정일	허가일	비고
1	엔블로정 (이나보글리플로진)	(주)대웅제약	혁신형 제약기업 개발 신약 * 당뇨병 치료제	'20.10.22	'22.11.30	
2	코셀루고캡슐 (셀루메티닙)	한국 아스트라제네카	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 소아 신경섬유종 환자 치료	'20.10.22	'21.5.28	국내 희귀 지정
3	아이발티노스타트 주사제(제품명 미정) (아이발티노스타트)	크리스탈 지노믹스	혁신형 제약기업 개발 신약 * 수술이 불가능한 진행성·전이성 췌장암	'20.11.6	-	
4	프레토마니드정 (프레토마니드)	부광약품	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 다제내성 결핵 치료	'20.11.6	'21.10.15	국내 희귀 지정
5	브론패스정 (숙지황·목단피 등)	한림제약(주)	혁신형 제약 기업이 개발한 신약 * 급성 기관지염 치료제	'20.12.31	'21.4.9	
6	렉키로나주 (레그단비맵)	(주)셀트리온	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 치료제	'21.1.4	'21.2.5	
7	리브리반트주 (아미반타맵)	(주)한국안센	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암의 치료	'21.2.25	'22.2.15	국내 희귀 지정
8	레테브모캡슐 (셀퍼카티닙)	한국렐리(유)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 전이성 비소세포폐암, 전이성 갑상선수질암 치료	'21.3.24	'22.3.11	국내 희귀 지정
9	루마크라스정 (소토라십)	암젠코리아(유)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암 치료	'21.4.28	'22.2.14	국내 희귀 지정
10	트로델비주 (사시투주맵 고비테칸)	자노백스 코리아(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 국소 진행성 또는 전이성 삼중음성유방암 치료	'21.4.30	'23.5.9.	국내 희귀 지정
11	엔허투주 (트라스투주맵 데록스테칸)	한국 다이어산코 (주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 전이성 유방암, 전이성 위암, 위식도접합부 위암 치료	'21.6.14	'22.9.19	

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정일	허가일	비고
12	코미나티주 (사스-코로나바이러스-2 스파이크 단백질 발현 mRNA)	한국 화이자제약(주)	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'21.3.3	'21.3.5	
	코미나티주0.1mg/ mL (사스-코로나바이러스-2 스파이크 단백질 발현 mRNA)				'22.1.28	
	코미나티주(5-11세 용) (사스-코로나바이러스-2 스파이크 단백질 발현 mRNA)				'22.2.23	
	코미나티주2주0.1mg/ mL(토지나메란, 릴토 지나메란)(사스코로나 바이러스-2 mRNA백신)				'22.10.7	
	코미나티주0.1mg/ mL(6개월-4세용)(토 지나메란)(사스코로나 바이러스-2 mRNA 백신)				'22.11.25	
13	한국아스트라제네카 코비드-19백신주 (사스코로나바이러스-2 바이러스벡터백신)	한국 아스트라제네카	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'21.3.2	'21.2.10	
	아스트라제네카 코비드-19백신주 (사스코로나바이러스-2 바이러스벡터백신)				'21.5.21	
14	코비드-19백신얀센 주 (재조합 코로나바이러스 스파이크 단백질 발현 아데노바이러스 벡터)	(주)한국얀센	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'21.3.26	'21.4.7	

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정일	허가일	비고
15	모더나코비드-19백신주 (사스-코로나바이러스-2 스파이크 단백질 발현 mRNA)	(주)녹십자	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'21.4.15	'21.5.21	
	스파이크박스주 (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	모더나코리아(주)			'21.12.13	
	모더나스파이크박스2주(엘라소메란, 이멜라소메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	모더나코리아(주)			'22.9.8	
	스파이크박스2주(엘라소메란, 이멜라소메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	모더나코리아(주)			'22.10.7	
16	파드셉주 (엔포투맵베도틴)	한국아스텔라스제약	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 국소 진행성 또는 전이성 요로상피암 치료	'21.8.24	'23.3.10	국내 희귀 지정
17	셈블릭스정 (애시미닙)	한국노바티스(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (안전성 개선) * 만성기의 필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병 치료	'21.9.2	'22.6.9	국내 희귀 지정
18	페마자이레정 (페미가티닙)	(주)한독	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 국소 진행성 또는 전이성 담관암의 치료	'21.12.7	'23.4.25.	국내 희귀 지정
19	뉴백소비드프리필드 시린지 (사스코로나바이러스-2 재조합백신)	에스케이바이오사이언스(주)	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'21.11.23	'22.1.2	
20	민쥬비주 (타파시타맙)	(주)한독	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 재발성 또는 불응성 미만성 거대 B세포 림프종(DLBCL)	'22.1.18	'23.6.9	국내 희귀 지정
21	스카이코비원멀티주 (사스코로나바이러스-2 재조합백신)	에스케이바이오사이언스(주)	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 백신	'22.5.10	'22.6.29	
22	테클리스타맙주 (테클리스타맙)	(주)한국안센	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 재발 또는 불응성 다발골수종	'22.7.7	'23.7.26	국내 희귀 지정
23	이뮤도주 (트레멜리무맙)	한국아스트라제네카	혁신형 제약기업 신약 * 절제 불가능한 간세포암	'22.6.28	'23.6.23	

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
24	엘존리스 주 (타그락소푸스프, 유전자재조합)	한국메나 리니(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) *단독요법으로 모세포 형질세포양 수지세포 종양(BPDCN) 성인 환자의 일차 치료		'22.8.10	-	국내 희귀 지정
25	룬수미오주 (모수네투주맵)	(주)한국로 슈	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 여포성 림프종	GIFT 1호	'22.11.29	'23.11.3	국내 희귀 지정
26	네페콘캡슐 (부데소니드)	메디팁(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 요중 단백질 대 크레아티닌 비율이 1.5 g/g 이상이고 빠른 질병 진행의 위험이 있는 성인의 원발성 IgA 신병증 치료	GIFT 2호	'23.2.7	-	국내 희귀 지정
27	페그세타코플란 주사제 (페그세타코플란)	(주)한독	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 발작성 야간 혈색소뇨증	GIFT 3호	'23.2.7	'24.4.29	국내 희귀 지정
28	엘렉스피우주 (엘라나타맵)	한국화이 자 제약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 이전에 세 가지 계열의 치료요법에서 적어도 한 가지 프로테아좀억제제, 적어도 한 가지 면역조절제, 적어도 한 가지 항-CD38 항체 치료를 받은 성인 재발 또는 불응성 다발골수종 환자의 4차 이상 치료	GIFT 4호	'23.2.15	'24.5.30	국내 희귀 지정
29	팍스로비드정 (니르마트렐비르/ 리토나비르)	한국화이 자 제약(주)	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 코로나19 치료제	-	'23.3.7	'23.7.14	-
30	입타코판 (제품명 미정)	한국 노바티스 (주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 발작성 야간 혈색소뇨증	GIFT 5호	'23.6.1	'24.8.29	국내 희귀 지정
31	플루빅토 (루테튬(177Lu) 비피보타이드테트 라세탄)	한국 노바티스 (주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 이전에 안드로겐 수용체 경로 차단(ARPI) 치료와 탁산 기반의 화학요법을 받았던 전립선 특이 막 항원(PSMA) 양성 전이성 거세 저항성 전립선암(mCRPC) 성인 환자의 치료	GIFT 6호	'23.6.7	'24.5.29	국내 희귀 지정

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
32	탈베이주 (탈쿠에타맙)	(주)한국안 센	혁신형 제약기업 개발 신약 * 이전에 프로테아좀억제제(PIs), 면역조절제제(IMiDs), 항-CD38 항체를 포함하여 적어도 세 가지 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 환자의 치료	GIFT 7호	'23.6.29	'24.6.28	국내 희귀 지정
33	카피바셀팁	한국아스 트라제네 카	혁신형 제약기업 개발 신약 * 내분비 기반 치료 중 또는 치료 후 재발 또는 진행한 호르몬 수용체(HR) 양성, 사람상피세포성장인자수용체2(HER 2) 음성(IHC 0 또는 1+, 또는 IHC 2+/ISH-로 정의)인 국소 진행성 또는 전이성 유방암 성인 환자의 치료를 위한 플베스트란트와의 병용	GIFT 8호	'23.7.4	'24.4.29	-
34	다니코판	한국아스 트라제네 카(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 혈관 외 용혈 증상이나 징후가 있는 발작성 야간 혈색소뇨증 성인 환자의 치료에서 라블리주맙 혹은 에쿨리주맙에 추가 투여	GIFT 9호	'23.7.6	'24.6.28	국내 희귀 지정
35	복스조고 (보소리타이드)	삼오제약 (주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 골단이 닫히지 않은 연골무형성증의 치료	GIFT 10호	'23.7.11	-	국내 희귀 지정
36	Lu-177-DGUL	(주)셀비온	희귀질환 (기존치료법無) * 표준요법(도세탁셀 및 도세탁셀 치료 전/후의 엔잘루타마이드 또는 아비라테론 중 최소 1개 이상 치료)에 실패한 전립선 특이 막 항원(PSMA) 양성 전이성 거세 저항성 전립선암(mCRPC) 성인 환자의 치료	GIFT 11호	'23.7.24	-	국내 희귀 지정 (개발 단계)
37	포스타마티닙정 (미정)	제이더블 유중외제 약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 이전 치료(코르티코스테로이드, 면역글로불린, 비장절제술, 엘트롬보팍 올라민 또는 로미플로스틴 포함)에 불충분한 반응을 보인 성인 만성 면역성(특발성) 혈소판 감소증(ITP) 환자의 저혈소판증 치료	GIFT 12호	'23.7.26	-	국내 희귀 지정

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
38	과지바주 (디누톡시맙베타)	(주)레코 르다티코 리아	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * ○ 만 12개월 이상의 소아 1. 이전에 유도 화학요법 이후 부분반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 이력이 있는 고위험군 신경모세포종 환자 2. 재발성 또는 불응성 신경모세포종 환자	GIFT 13호	'23.8.2	'24.6.19	국내 희귀 지정
39	타이바소흡입액 0.6mg/mL (트레프로스티닐)	(주)안트 로젠	희귀질환 (기존치료법無) * 폐동맥 및 전신 동맥 혈관의 직접적인 혈관확장 및 혈소판 응집 억제	GIFT 14호	'23.8.16	'24.7.5	국내 희귀 지정
40	빌베이캡슐 (오데빅시바트)	제이더블 유중외제 약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 생후 3개월 이상인 진행성 가족성 간내 담즙 정체(Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC) 환자의 소양증 치료	GIFT 15호	'23.8.24	'24.8.23	국내 희귀 지정
41	포스포디에스테라 제 4B를 우선적으로 억제하는 티에노피리미딘유 도체 정제	한국베링 거인겔하 임(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 특발성 폐섬유증(Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF) 치료	GIFT 16호	'23.9.12	-	국내 희귀 지정
42	제이퍼카정 (퍼토브루티닙)	한국릴리 (유)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 이전에 BTK 억제제로 치료받은 경험이 있는 재발성 또는 불응성 외투세포림프종이 있는 성인 환자에서의 단독요법	GIFT 17호	'23.9.21	'24.8.19	국내 희귀 지정
43	이스투리사필름코 팅정 (오실로드로스타트)	(주)레코 르다티코 리아	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 성인의 내인성 쿠싱증후군 치료	GIFT 18호	'23.10.18	-	국내 희귀 지정
44	하이알플렉스주 (헥사메틸렌디아민 으로 가교결합된 히알루론산나트륨 겔)	신풍제약 (주)	혁신형 제약기업 개발 신약 * 슬관절의 골관절염	GIFT 19호	'23.10.23	'24.7.12	-

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
45	프루자클라캡슐 (프루퀸티닙)	한국다케 다제약(주)	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 플루오로피리미딘, 옥살리플라틴, 이리노테칸 기반 항암화학요법, 항-VEGF치료, 항-EGFR 치료, 항-트리플루리딘/티피라실 또는 레고라페닙을 포함하여 사용 가능한 치료법으로 이전에 치료를 받았거나 그러한 치료에 적합한 후보가 아닌 것으로 판단되는 성인 mCRC 환자의 치료	GIFT 20호	'23.11.3	-	국내 희귀 지정
46	배리트락스주 (재조합 탄저 백신)	(주)녹십 자	공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 * 만19세 이상 65세 미만 성인에서 탄저균(Bacillus anthracis)에 의한 질병의 예방	GIFT 21호	'23.11.10	-	-
47	에프가티지모드 알파	(주)한독	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (유효성 개선) * 성인의 전신 중증근무력증(gMG)	GIFT 22호	'23.11.13	-	국내 희귀 지정
48	람제데주 (벨마나제알파)	(주)광동 제약	희귀질환 (기존치료법無) * 경증에서 중증도의 알파-만노사이드축적증 환자의 비신경학적 증상 치료를 위한 효소 대체 치료법	GIFT 23호	'23.12.7	-	국내 희귀 지정
49	원레브에어주 (소타터셉트)	한국엠에 스디(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 폐동맥 고혈압의 치료	GIFT 24호	'23.12.14	-	국내 희귀 지정
50	임델트라주 (탈라타맵)	암젠코리 아 유한회사	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 이전에 받은 2차 이상 치료에도 질병이 진행된 진행성 소세포폐암(Small Cell Lung Cancer, 이하 SCLC) 성인 환자의 치료	GIFT 25호	'24.1.16	-	국내 희귀 지정

연번	제품명(성분)	신청사	지정 사유	지정 번호	지정일	허가일	비고
51	[177Lu]루도타다 이펍	(주)퓨처 캠	생명을 위협하거나 중대한 질환 치료제 (기존치료법無) * 혈중 testosterone 50 ng/dL 이하인 거세저항성 전립선암 환자 중, 표준 요법인 standard taxene 기반 항암치료 전/후 2세대 호르몬제제(abiraterone, enzalutamide, or both) 중 최소 1개 이상의 치료에도 암이 진행되는 전이성 거세저항성 전립선암 환자(metastatic castration resistant prostate cancer, mCRPC)이면서 전립선특이막항원(Prostate Specific Membrane Antigen, PSMA) 양성 병변을 포함하는 성인 환자의 치료	GIFT 26호	'24.3.15	-	국내 희귀 지정
52	조엔자정 (레니올리십)	베르토코 리아유한 책임회사	희귀질환 (기존치료법無) * 활성화된 PI3K 델타 증후군(APDS) 치료	GIFT 27호	'24.4.30	-	국내 희귀 지정
53	로켈마현탁액 (지르코늄사이클로 규산나트륨)	한국아스 트라제네 카(주)	혁신형 제약기업 개발 신약 * 성인 환자에서의 고칼륨혈증	GIFT 28호	'24.5.23	-	-
54	아이커보정 (엘라피브라노)	입센코리 아(주)	희귀질환 (유효성 개선) * 원발성 담즙성 담관염(primary biliary cholangitis, PBC)의 치료	GIFT 29호	'23.5.28	-	국내 희귀 지정
55	핀테플라액 (펜플루라민염산염)	한국유씨 비제약(주)	희귀질환 (기존치료법無) * 2세 이상 환자의 드라벡 증후군과 관련된 발작 치료	GIFT 30호	'24.5.29	-	국내 희귀 지정

〈 부록 II 〉

우선(신속)심사 지정 상세 정보

- 수록내용은 우선(신속)심사 지정 당시 적응증을 기재하였으며, 신속심사를 통하여 품목허가가 완료된 의약품은 최종 허가된 적응증으로 기술하였음을 알려드립니다.
- ‘20년 하반기~’23년 상반기까지의 우선(신속)심사 지정 품목의 상세 정보는「의료제품 신속심사 보고서 I」, 「의료제품 신속심사 보고서 II」를 참고하시기 바랍니다.

제품명 (성분명)		과지바주 4.5 mg/mL (디뉴톡시맙베타, 유전자재조합)
신청사		(주)레코르다티코리아
적응증		○ 만 12개월 이상의 소아 1. 이전에 유도 화학요법 이후 부분반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 이력이 있는 고위험군 신경모세포종 환자 2. 재발성 또는 불응성 신경모세포종 환자
작용기전		신경모세포 표면의 GD2(disialoganglioside 2)에 결합하여 보체 의존성 세포 독성, 항체 의존성 세포 독성에 의한 종양세포 사멸 유도
신속심사 지정일자		2023.08.02.
허가 일자		2024.06.19.
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 신경모세포종은 부신 수질 혹은 교감신경절이 있는 부위에서 발생하는 미분화종양인 교감신경절 악성종양으로 대표적인 소아암 중 하나임 · 고위험군 신경모세포종 소아 환자의 장기 생존율은 약 40~50%이며, 재발성 및 난치성 신경모세포종은 5년 전체 생존율이 20%로 예후가 좋지 않음
	기존 치료	· 신경모세포종의 1차 치료로서 화학 요법, 원발 종양의 외과적 팽창 제거 또는 절제, 방사선 요법, 자가 골수 이식(ABMT), 13-시스-레티노산(13-cis-RA)과 같은 분화제제의 사용으로 구성된 복합 치료법을 사용함 · 해당 적응증에 대한 국내 허가 치료제 없었음
	임상 결과	· 동정적 사용 프로그램에 따른 재발성 및 불응성 신경모세포종 환자, 고위험 신경모세포종 환자1) 대상 3상 임상시험에서 무사건생존율(EFS)은 1년차(53.5%), 2년차(30.7%), 3년차(25.6%)였음. 재발성 신경모세포종 환자의 전체 생존율(OS)은 1년차(90%), 2년차(69%), 3년차(55%)으로 문헌 기반의 기존 치료요법과 비교(1년차(41%), 2년차(31%), 3년차(24%))시 유의한 개선을 나타냄
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2023.08.11.) ■FDA ■EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR) · 허가일자: -
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA) · 허가일자: 2017.05.08.
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

1) 주요 포함 기준: 두 가지 이상의 1차 치료를 받은 원발성 불응성 신경모세포종 또는 치료 후 반응이 있는 재발성 신경모세포종 또는 고위험군 신경모세포종, 종양 크기를 줄이기 위해 기존 치료 후 최소 한 번 이상 고용량 치료를 받은 후 줄기세포 치료를 받은 경우, 기능척도 70% 이상(Lansky 놀이-기능 척도 또는 Karnofsky 기능상태), 기대 여명 12주 이상

- 약어 • EFS Event-free survival
 • OS Overall survival

제품명 (성분명)		타이바소흡입액0.6mg/mL (트레프로스티닐)
신청사		(주)안트로젠
적응증		간질성폐질환 연관 폐고혈압 (PH-ILD; WHO 그룹3)의 운동능력 개선
작용기전		폐동맥 및 전신 동맥 혈관의 직접적인 혈관확장 및 혈소판 응집 억제
신속심사 지정일자		2023.08.16.
허가 일자		2024.07.04.
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· PH-ILD는 점차적으로 진행되는 만성적 희귀질환으로 특별한 치료가 없을 경우 3년에 약 30%의 생존율을 보이는 생명을 위협하는 매우 심각한 질환임
	기존 치료	· 2020년 폐고혈압 진료지침에 따르면, 현재는 PH-ILD 치료제나 PH-ILD의 특별한 치료법은 없고, 기저 폐질환의 원인에 따라 그에 대한 치료가 적절하게 이루어져야 한다고 권고함
	임상 결과	· 핵심임상시험(2/3상) 결과 PH-ILD 환자에서 16주 후 최대 6분 보행거리(6MWD)는 통계적으로 유의하게 위약군보다 더 높았음(Hodges Lehmann 변위 추정치: 21.0m; p=0.0043)
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2023.08.11.) □FDA □EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR)
		· 허가일자: 2021.03.31.
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

■ 약어 • 6MWD 6-Minute Walk Distance (6분 보행 거리)

제품명 (성분명)		빌베이캡슐 (오데빅시바트)
신청사		입센코리아(주)
적응증		생후 3개월 이상인 진행성 가족성 간내 담즙 정체(Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC) 환자의 소양증 치료
작용기전		회장 담즙산 수송체(Ileal bile acid transporter, IBAT) 억제제
신속심사 지정일자		2023.08.24.
허가 일자		2024.08.23.
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> · 영아시기에 발견되는 희귀 상염색체 열성 유전질환으로 모든 아형에서 담즙산 분비 및 수송 장애를 동반한 담즙 정체 발생함 · 담즙산 농도 상승으로 지속적인 간염증, 간섬유증, 간경변으로 이어져 간부전 초래함 (대다수 환자에서 10세 이전에 간이식 필요)
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> · 1차 치료로 우르소데옥시콜산(UDCA)을 사용하며, 이 외에 허가 외 사용으로 담즙산 수치(콜레스티라민), 리팜피신 등 사용함 · 증상 완화를 위한 대증치료로 항히스타민, 스테로이드 등 사용함 · 치료에 효과가 없는 경우 담도전환 및 간이식을 포함한 수술 고려됨
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> · 진행성 가족성 간내 담즙정체증(PFIC) 1형 및 2형 소아 환자를 대상으로 한 핵심 임상시험(3상)에서 통계적으로 유의한 질환 개선이 확인됨 ▲ (환자의 긍정적 소양증 평가1) 비율) 오데빅시바트 투여군 63.5%(40µg/kg/day: 58.3%, 120µg/kg/day: 47.7%), 위약군 28.7%로 오데빅시바트 투여군에서 유의하게 높았음 ▲ (혈청 담즙산 반응2)을 보인 환자 비율) 오데빅시바트 투여군 33.3%(40 µg/kg/day: 43.5%, 120µg/kg/day: 21.1%), 위약군 0%로 오데빅시바트 투여군에서 유의하게 높았음
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2023.09.25.) ■FDA ■EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	■패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) ■우선심사(PR)
		· 허가일자: 2021.7.20.
	EMA	■예외적허가(MAEC) ■프라임(PRIME) ■신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: 2021.7.16.
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

1) 24주 치료 동안 ObsRO PRUCISION 도구에 근거하여 굵기 점수 ≤ 1 또는 베이스라인 대비 최소 1점 이상 감소

2) 24주 치료 완료 후 공복 혈청 담즙산 농도가 베이스라인 대비 최소 70% 감소 또는 ≤70 µmol/L 이하 도달

제품명 (성분명)		포스포디에스테라제 4B를 우선적으로 억제하는 티에노피리미딘 유도체(정제)
신청사		한국베링거인겔하임(주)
적응증		특발성 폐섬유증((Idiopathic Pulmonary Fibrosis, IPF) 치료
작용기전		포스포디에스테라제 4B(Phosphodiesterase 4B) 억제제
신속심사 지정일자		2023.09.12.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· IPF는 폐 기능 감소와 호흡곤란의 악화를 특징으로 하는 진행성, 섬유성 ILD임. IPF는 치료받지 않은 환자의 진단 후 생존 중앙값이 약 3년으로 예후가 좋지 않음
	기존 치료	· 닌테다닙 및 피르페니돈이 IPF치료를 위해 등록되어 있으나, 새로운 치료법에 대한 수요가 있음
	임상 결과	· IPF 환자를 대상으로 한 2상 임상 결과, 12주차에 베이스라인 대비 FVC의 유의한 개선이 관찰됨 ▲ (비AF군) 12주차에 FVC의 베이스라인 대비 보정된 평균 변화는 시험군과 위약군에서 101.72mL의 차이를 나타냄 ▲ (AF군) 12주차에 FVC의 베이스라인 대비 보정된 평균 변화는 시험군과 위약군에서 80.42mL의 차이를 나타냄 ▲ (통합분석) 12주차에 FVC의 베이스라인 대비 보정된 평균 변화는 시험군에서 4.59mL, 위약군에서 -83.79mL로, 추정 평균 차이는 88.38mL임
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input checked="" type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input checked="" type="checkbox"/> 우리나라 <input checked="" type="checkbox"/> FDA <input type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input checked="" type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR)
		· 허가일자: -
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

- 약어 • ILD Interstitial Lung Disease (간질성 폐질환)
 • FVC Forced Vital Capacity (노력성폐활량)
 • AF Antifibrotic (항섬유화치료)

제품명 (성분명)		제이퍼카정50밀리그램, 제이퍼카정100밀리그램(퍼토브루티닙)
신청사		한국릴리(유)
적응증		이전에 브루톤 티로신 키나제(BTK) 억제제를 포함한 두 가지 이상의 치료를 받은 적이 있는 재발성 또는 불응성 외투세포 림프종(MCL) 성인 환자에서의 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증임상시험에서 입증한 자료는 없다.
작용기전		BTK(Bruton tyrosine kinase) 저해제
신속심사 지정일자		2023.09.21.
허가 일자		2024.08.19.
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> · 외투세포 림프종(MCL)은 B세포 NHL의 희귀하고 공격적인 아형으로, 기존 치료법으로 완치 불가능함. · 환자의 약 70%는 제4병기로 발견되며 골수와 말초 혈액에서 암세포가 관찰됨. 림프절 외 병소는 위장관 침습이 흔하며, 대장에서 lymphomatosis polyposis의 형태로 나타나는 경우는 외투 세포 림프종으로 인한 확률이 높음.
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> · 1차 치료(복합 화학요법, 방사선 치료, 자가 혹은 동종 조혈모세포 이식)에도 재발하는 경우, BTK 억제제 개발 전에는 후속 차수 치료로서 보르테조미, 레날리도마이드 또는 템시롤리무스가 구제요법으로 사용됨. 공유결합 BTK 억제제(예, 이브루티닙)의 경우, 다른 구제요법보다 재발성 MCL에서 우월한 효과를 나타냄. · BTK 억제제 치료 후에 재발한 MCL 환자 대상으로 CD19-표적 CAR-T 치료가 사용될 수 있으나, CAR-T 치료 시 고려 사항으로 인해 유용성 제한적임.
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> · 이전 치료 경험이 있는 만성 림프구성 백혈병/소림프구성 림프종(CLL/SLL) 또는 비-호지킨 림프종 (NHL) 환자 대상 핵심 임상시험에서 유효성 확인 결과, ▲ 독립 검토위원회(IRC) 평가에 따른 전체 반응율(ORR)은 57.8%(90명 중 52명, 95% CI: 46.9%, 68.1%)로 통계적으로 유의한 유효성 확인함.
지정사유 분류		■ 기존 치료법 없음 □ 유효성 개선 □ 안전성 개선 □ 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■ 우리나라(지정일자: 2023.05.31.) ■ FDA ■ EMA □ PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) ■ 신속심사(AA) □ 우선심사(PR) · 허가일자: 2023.01.27.
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) □ 신속심사(AA) □ 조건부심사(CMA) · 허가일자: -
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) □ 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

- 약어
- NHL Non-Hodgkin Lymphoma
 - CLL/SLL Chronic Lymphocytic Leukemia/Small Lymphocytic Leukemia
 - IRC Independent Review Committee
 - ORR Overall Response Rate

제품명 (성분명)		이스투리사필름코팅정(오실로드로스타트)
신청사		(주)레코르다티코리아
적응증		성인의 내인성 쿠싱증후군 치료
작용기전		코르티솔 합성 억제제 (부신에서 코르티솔 생합성 마지막 단계를 담당하는 효소인 CYP11B1 (11beta-hydroxylase) 억제)
신속심사 지정일자		2023.10.18.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> · 내인성 쿠싱증후군은 혈관 질환, 당뇨병, 응고 장애, 근육 쇠약 및 골다공증, 정신질환 등 고코르티솔혈증의 결과로 인해 생명을 위협하고 만성적으로 쇠약하게 만드는 질환임 · 내인성 쿠싱증후군은 부신피질자극호르몬(ACTH) 과분비 여부에 따라 ACTH 의존성과 비의존성 쿠싱증후군으로 구분되며, ACTH 의존성 쿠싱증후군에는 뇌하수체 쿠싱병과 이소성 ACTH 증후군이 있으며 ACTH 의존성 쿠싱증후군이 전체 사례의 약 80%를 차지함
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> · 1차 치료는 경접형동접근법을 통한 뇌하수체 미세 수술이며, 실패 시 약물치료를 고려할 수 있음 · 카베르골린, 미토테인 등을 허가 외로 사용함
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> · 2건의 3상 임상시험 결과, 아래와 같은 통계적으로 유의한 질환 개선이 확인됨 ▲ (C2301) 수술 또는 방사선 치료 후 고코르티솔혈증 지속 또는 재발한 쿠싱병 환자와 수술을 받을 수 없거나 거부한 새로 진단된 쿠싱병 환자에서 34주차 CR rate1)가 위약 대비 통계적으로 유의하게 우월함(Odds ratio 13.71) ▲ (C2302) 쿠싱병 환자에서 12주차 CR rate2)가 위약 대비 통계적으로 유의하게 우월함(Odds ratio 43.4)
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2018.08.07.) ■FDA ■EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR)
		· 허가일자: 2020.3.6.
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: 2020.1.9.
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: 2021.3.23.

1) mUFC ≤ ULN & 무작위배정된 8주 동안 시험약 중단 또는 26주차 수준 이상으로 시험약 용량을 증량하지 않은 환자

2) mUFC ≤ ULN

- 약어
- CR Complete Responder (완전 반응자)
 - mUFC Mean Urinary Free Cortisol (평균 요중 유리 코르티솔)
 - ULN Upper Limit of Normal (정상상한치)

제품명 (성분명)		하이알플렉스주(핵사메틸렌디아민으로 가교결합된 히알루론산나트륨겔)
신청사		신풍제약(주)
적응증		슬관절의 골관절염
작용기전		관절강내 투여를 통한 윤활제 및 충격 흡수제로 작용, 관절통증 경감시키고 연골의 퇴행을 억제
신속심사 지정일자		2023.10.23.
허가 일자		2024.07.12.
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 골관절염은 퇴행성 관절염, 퇴행성 관절질환으로도 불리며 관절의 퇴행성 변화로 인한 관절 연골과 뼈의 변형으로 통증 및 기능장애를 유발하는 질환임
	기존 치료	· 아세트아미노펜 혹은 비스테로이드성 소염진통제, 스테로이드 약물의 관절강 내 주사, 히알루론 산의 관절 내 투여 등 증상 완화에 초점을 맞춤 · 히알루론산은 전신 부작용이 없는 것이 장점이며, 체내 지속성이 증대된 1회 요법제의 개발이 진행되어 있음
	임상 결과	· 핵심 임상시험 결과, 경증 및 중등증의 슬 골관절염 환자에서 하이알플렉스주의 시노비안주 대비 비열등성이 통계적으로 유의함을 입증함 ▲ 기저치(visit 2) 대비 12주 시점의 체중부하 통증(WBP-100 mm-VAS) 변화량 평균은 시험 군(23.71mm), 활성 대조군(25.99mm) 모두에서 유의하게 감소하였으며, 두 군간 차이 (-7.34mm)가 미리 설정된 비열등성 한계 기준치(-10mm)보다 큼
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input checked="" type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input type="checkbox"/> 우리나라 <input type="checkbox"/> FDA <input type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR)
		· 허가일자: -
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

- 약어 • WBP Weight Bearing Pain (체중부하통증)
 • VAS Visual Analogue Scale (시각적 상사척도)

제품명 (성분명)		프루자클라캡슐1밀리그램/프루자클라캡슐5밀리그램(프루퀸티닙)
신청사		한국다케다제약(주)
적응증		플루오로피리미딘, 옥살리플라틴, 이리노테칸 기반 항암화학요법, 항-VEGF 치료, 항-EGFR 치료, 항-트리플루리딘/티피라실 또는 레고라페닙을 포함하여 사용 가능한 치료법으로 이전에 치료를 받았거나 그러한 치료에 적합한 후보가 아닌 것으로 판단되는 성인 mCRC 환자의 치료
작용기전		혈관내피성장인자 수용체(VEGFR)-1, -2, -3의 선택적인 티로신 키나아제 억제제
신속심사 지정일자		2023.11.03.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 대장암(CRC)은 암으로 인한 사망 순위에서 2번째로 5년 전체 생존률(OS)은 약 65%이지만, 전이성 대장암 환자(mCRC)의 5년 OS는 약 15%로 예후가 좋지 않음
	기존 치료	· 국내에서 플루오로우라실, 옥살리플라틴, 이리노테칸, 베바시주맙, 애플리버셉트, 라무시루맙, 세특시맙, 펌브롤리주맙, 니볼루맙, 엔코라페닙, 레고라페닙 및 트리플루리딘/티피라실염산염 복합제가 직결장암(전이성 포함)에 대해 허가되어 있음 · 표준치료를 받은 후 진행된 mCRC 환자를 위한 치료 옵션은 여전히 제한적이며, 삶의 질 만족도를 적절한 수준으로 유지하면서 생존기간을 연장할 수 있는 새로운 치료에 대한 요구가 있음
	임상 결과	· 불응성 mCRC 성인 환자1)를 대상으로 한 무작위 배정, 위약대조 이중눈가림 제3상 임상시험에서 유효성 확인 결과, ▲ 프루퀸티닙 + BSC 투여군의 전체 생존기간(OS) 중앙값은 7.4개월로 위약 + BSC 투여군의 전체 생존기간 중앙값 4.8개월 대비 통계적으로 유의한 개선을 나타내었음
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(2024.01.12.) □FDA □EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	■패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) ■우선심사(PR) · 허가일자: 2023.11.08.
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA) · 허가일자: 2024.06.20.
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

1) 플루오로피리미딘, 옥살리플라틴 및 이리노테칸 기반 항암화학요법을 포함한 승인된 표준요법, 항VEGF 생물학적 요법(eg, bevacizumab, aflibercept, or ramucirumab), 또는 RAS 야생형의 경우 항EGFR 요법(eg, cetuximab or panitumumab)으로 치료를 받은 환자, TAS-102 및/또는 레고라페닙 치료 시 병변이 진행되었거나 이러한 치료에 불내성인 환자, MSI-H 또는 dMMR 종양 환자는 면역 관문 억제제 치료 받은 경우, BRAF V600E 변이 종양 환자는 각 국가/지역에서 승인되었고 이용 가능하다면 BRAF 억제제로 치료를 받은 경우

- 약어
- mCRC Metastatic Colorectal Cancer
 - VEGFR Vascular Endothelial Growth Factor Receptor

제품명 (성분명)		배리트락스주 (재조합 탄저 백신) (재조합 탄저 방어항원 단백질(균주명 : B.brevis47-5Q주, 벡터:pNU212-mPA))
신청사		(주)녹십자
적응증		만19세 이상 65세 미만 성인에서 탄저균(Bacillus anthracis)에 의한 질병의 예방
작용기전		탄저균의 병원성을 나타내는 외독소의 구성 성분 중 하나인 방어항원(Protective Antigen)을 주성분으로 하는 백신으로, 유전자재조합 기술을 이용해 만든 재조합 방어항원 단백질(recombinant Protective Antigen, rPA)을 직접 주입하여 면역반응 유도
신속심사 지정일자		2023.11.10.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 탄저의 자연 발생율은 낮지만, 탄저균의 특성(낮은 가시성, 높은 효력, 운반의 용이성, 쉬운 접근성, 포자 형성으로 인한 건조에 대한 강한 저항력)으로 인해 생물학적 무기로 사용될 수 있음. 실제로 이라크 걸프 전쟁에서 생물학적 테러 탄저균이 생산된 경우가 있었고, 미국에서 탄저 편지에 의한 호흡 탄저 테러 사례가 있음
	기존 치료	· 국내 허가된 탄저균 백신 없음 · 현재 미국에서 허가받은 흡착형 탄저 백신인 AVA(BioThrax, USA)는 약독화 독성 탄저균 배양 여과액으로 생산되며 원숭이와 토끼를 대상으로 한 흡입 탄저균 포자 challenge 시험에서 높은 방어를 보였음. 20세기 중반에 사람 대상으로 시행된 유사한 백신의 clinical 탄저에 대한 유효성은 92.5%이었으나 이후에 다른 인체 유효성에 대한 연구는 이루어지지 않았음.
	임상 결과	· 피하투여된 탄저 동물 모델에서의 유효성 결과와 사람에서 유도된 면역원성 가교 결과를 기반으로 신청품목의 효과가 추론됨. 유효성 평가를 위한 핵심 동물 연구는 토끼에서 수행되었으며, 동물시험을 통한 중화항체가와 생존율 사이의 관계를 통해 탄저 감염 노출 전 예방 효과를 예측하는 모델을 이용하였으며 사람을 대상으로 탄저 감염에 대한 예방 효과가 입증된 BioThrax의 동물 유효성 평가 방법을 차용함 · 건강한 성인 대상 이중맹검 위약 대조 임상시험에서 4회 투여 완료 후 4주 시점의 독소중화시험(TNA)으로 평가한 결과, ▲ TNA NF50이 0.56 이상인 대상자 비율은 시험약 투여군에서 100%로, 양측 95% 신뢰구간 하한이 40% 이상인 것으로 확인되어 동물 모델에서 설정한 방어항체가 기준을 만족함
지정사유 분류		■ 공중 보건 위해 감염병 예방·치료 의약품 ■ 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input type="checkbox"/> 우리나라 <input type="checkbox"/> FDA <input type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR) · 허가일자: -
		<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA) · 허가일자: -
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

1) BioThrax의 토끼 비임상 공격시험에서 확인된 70% 생존율을 보이는 TNA NF50 값 0.56을 준용

- 약어 • NF50 50% Neutralization Factor
 • TNA Toxin Neutralization Antibody

제품명 (성분명)		에프가티지모드 알파(ARGX-113)
신청사		(주) 한독
적응증		성인의 전신 중증근무력증(gMG)
작용기전		병원성 IgG 자가항체가 매개하는 중증 자가면역 질환에서 FcRn(신생아 Fc 수용체)을 차단함으로써 질병 유발 병원성 IgG 항체를 포함한 순환하는 IgG가 분해되어 IgG의 재활용이 차단됨으로 IgG 수치가 감소함
신속심사 지정일자		2023.11.13.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 중증근무력증은 근육의 약화 및 피로함을 특징으로 하는 자가면역 질환으로, 신경근 접합부에서 신경근 전달에 장애가 발생함으로써 유발됨. 이는 B세포에 의해 매개되며, 골격근 아세틸콜린 수용체, 근육 특이적 수용체 티로신 키나제, 지단백 관련 단백질 4, 시냅스 후막에 존재하는 아그린(agrins)에 작용하는 병원성 자가항체에 의해 야기됨. 신경근 접합 장애에서 가장 큰 질병군을 형성하며, 장기적으로 호흡과 관련된 근육이 영향을 받을 경우, 생명을 위협할 수 있음
	기존 치료	· AChE 억제제 요법: 지속시간이 짧아 하루에 수 회 투여해야함. AChR-Ab 혈청 음성환자에서의 유효성은 제한적이며, AChE 억제제 단독으로 증상은 드물어, 보통 오프라벨 요법으로 코르티코스테로이드 및/또는 NSIST 요법을 추가함 · 코르티코스테로이드: 중대한 부작용 위험, 환자의 불편 증가로 사용 제약이 있음 · NSIST (Non-Steroidal Immunosuppressive Therapy): 메토트렉세이트, 시클로스포린, 미코페놀레이트, 타크로리무스, 리툭시맙의 임상시험은 1차 평가변수 달성에 실패하여, 현재 타크로리무스만 국내에 허가되어 있음. 면역억제는 보통 수년에서 평생 유지해야 하는데, 장기간 사용하면 간 및 골수 독성, 암, 감염 위험 증가 등 약물에 따라 다양한 중증 부작용이 발생할 수 있음
	임상 결과	· 유효성통합분석결과(ARGX-113-1602, ARGX-113-1704, ARGX-113-1705 시험)에 따르면, AChR-Ab 혈청 양성 환자에서 투여 주기 1(C1)에서 베이스라인 대비 MG-ADL의 감소가 3점 이상 81.6%, 5점 이상 60.8%, 7점 이상 37.6%로 현저하게 개선되었고, 모든 주기에서는 5점 이상 감소한 환자가 50% 이상이었음. 또한 AChR-Ab 혈청 양성 환자군에서 투여 C1에서 QMG가 베이스라인 대비 3점~9점 감소 환자가 각각 83.2~32.0%이었고, 모든 주기에서는 QMG 총점이 개선되었음
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input checked="" type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input checked="" type="checkbox"/> 우리나라(지정일자: 2023.01.04.) <input checked="" type="checkbox"/> FDA <input checked="" type="checkbox"/> EMA <input checked="" type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR) · 허가일자: 2021.12.17.
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA) · 허가일자: 2022.08.10.
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: 2022.01.20

- 약어
- AChE acetylcholinesterase (아세틸콜린 에스테르 분해효소)
 - AChR acetylcholine receptor (아세틸콜린 수용체)
 - MG-ALD Myasthenia Gravis Activities of Daily Living (일상활동에서의 중증근무력증)
 - QMG Quantitative Myasthenia Gravis (정량적 중증근무력증)

제품명 (성분명)		람제데주 (벨마나제알파)
신청사		(주)광동제약
적응증		경증에서 중등도의 알파-만노사이드축적증 환자의 비신경학적 증상 치료를 위한 효소 대체 치료법
작용기전		알파-만노사이드축적증에 결핍된 내인성 효소의 효소대체요법(ERT)으로 기능하는 인간 알파-만노사이드 분해효소의 재조합 약물로, 축적된 고-만노스올리고당을 감소시켜 혈중 올리고당의 수치를 낮추고 질병의 악화를 늦춤
신속심사 지정일자		2023.12.07.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> · 알파-만노사이드축적증'은 유전적 변이(MAN2B1)로 인해 발생하는 희귀한 유전질환으로 체 내에 축적된 만노스 함유 올리고당의 분해를 촉매하는 리소좀 내 알파-만노사이드 분해효소 결핍으로 혈중 만노사이드가 증가하여 조직과 기관에 손상을 주고, 세포사멸을 유도하여 각종 이상증상을 나타냄 · 어린 영유아~소아에서 면역결핍, 특징적인 안면이상·골격이상, 청각장애, 인지기능 저하가 나타남. 연령이 높아질수록 관련 합병증 위험이 증가하며, 소아에서 질병이 진행되는 경우 사망에 이를 수 있음
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> · 국내 허가된 치료제 없음 · 현재 치료법은 골수이식, 합병증 예방/치료(지지요법)이며 매우 제한적임
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> · 알파-만노사이드축적증 환자에서 52주간 람제데주 또는 위약을 체중당 1mg/kg를 주 1회 정맥 주입 후 52주차의 유효성 확인 결과, ▲ 혈청 올리고당의 절대적인 변화량(umol/L)은 위약군 대비 람제데주 투여군에서 통계적으로 유의하게 감소하였음(-3.50 [95%CI: -4.37, -2.62], p<0.001) ▲ 3MSCT의 절대적인 변화량(step/min)은 위약군 대비 람제데주 투여군에서 2.62 증가하였으나, 통계적으로 유의하지 않음.
지정사유 분류		■ 기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2022.04.11.) ■FDA ■EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) ■우선심사(PR)
		· 허가일자: 2023.02.16
	EMA	■예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: 2018.03.23.
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

- 약어 • ERT Enzyme Replacement Therapy
 • MAN2B1 Mannosidase Alpha Class 2B member 1
 • 3MSCT 3-Minute Stair Climb Test

제품명 (성분명)		원레브에어(소타터셉트) (MK-7962)
신청사		한국엠에스디㈜
적응증		폐동맥 고혈압의 치료
작용기전		<p>소타터셉트는, 인간 IgG1의 Fc 도메인과 TGF-β상과에 속하는 액티빈 A 및 다른 액티빈 계열 리간드에 결합하는 인간 액티빈 수용체 HA형의 세포 외 도메인(ECD)이 연결된 리간드-포착 재조합 융합 단백질로서, 세포외 공간에서 이러한 리간드를 격리하여 내인성 액티빈 수용체의 활성화*를 억제함으로써 SMD2/3 세포 내 경로를 차단함.</p> <p>* 참고로, 액티빈 A는 PAH의 강력한 예후 바이오마커이며, 인간 PAH는 액티빈 수용체 경로의 과도한 신호전달과 강력하게 관련이 있음이 최근 연구로 확인되었음</p>
신속심사 지정일자		2023.12.14.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 폐동맥고혈압(PAH)은 내인성 혈관 확장 물질의 생산 장애, 혈관 수축 물질의 과도한 발현, 폐동맥의 폐혈관 내피세포 및 혈관 평활근 세포의 비정상적인 증식으로, 구조적/역학적으로 혈관이 폐쇄되는 진행성 폐혈관 재형성이 초래되어, 결과적으로 폐혈관 저항(PVR)을 상승시켜 최종적으로 우심실부전이 발생하게 되며, 치료를 받지 않으면 대부분 진단 후 몇 년 이내에 심부전으로 사망함
	기존 치료	· 2020년 국내 폐고혈압 진료 지침은 2022 ESC/ERS 가이드라인과 유사함. 이 가이드라인에 따르면, 초기 치료법 결정에는 3계층 모델(저/중간/고-위험), 추적관찰에는 4계층 위험평가도구(저/중간-저/중간-고/고-위험)를 사용하여, PDE5i, sGC, ERA, PCY 유사체 및 수용체 작용제를 포함하는 순차적 병용 요법을 권고하여 장기적으로 환자의 저위험 상태를 목표로 함
	임상 결과	· 3상 시험(STELLAR)에서 PAH 성인 환자에게 투여 24주 후 1차 평가변수인 6분 보행검사(6MWD) 결과, 베이스라인 대비 위약(-1.4m)에 비해 투여군(40.1m)이 더 높았음, 2차 평가변수인 8개의 테스트(MCI, PVR, NT-proBNP, WHO FC, PAH 위험점수, PROs, 위약 대비 사망위험 또는 임상적 악화 사례의 첫 번째 발생의 84% 감소를 포함한 PAH 평가변수 스펙트럼)에서 베이스라인 대비 유의한 개선을 보임
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input checked="" type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input checked="" type="checkbox"/> 우리나라(지정일자:2023.12.26) <input checked="" type="checkbox"/> FDA <input checked="" type="checkbox"/> EMA <input checked="" type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input checked="" type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input checked="" type="checkbox"/> 우선심사(PR) · 허가일자: 2024.03.26.
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input checked="" type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input checked="" type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA) · 허가일자: 2024.08.22.
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

- 약어
- ERA 엔도텔린-1(ET-1) 수용체 길항제
 - ESC/ERS European Society of Cardiology/European Respiratory Society
 - MCI multi-component improvement
 - NT-proBNP N-terminal prohormone of brain natriuretic peptide
 - PCY 프로스타사이클린
 - PDE5i 포스포디에스테라제 5 억제제
 - PROs, patient reported outcome
 - sGC 가용성 구아닐레이트 사이클라제 자극제
 - WHO FC World Health Organization functional class

제품명 (성분명)		임델트라주 (탈라타맵)
신청사		암젠코리아유한회사
적응증		이전에 받은 2차 이상 치료에도 질병이 진행된 진행성 소세포폐암(Small Cell Lung Cancer, 이하 SCLC) 성인 환자의 치료
작용기전		종양 세포를 포함한 세포 표면에 발현된 DLL3와 T세포 표면에 발현된 CD3에 결합하는 이중 특이적 T 세포 결합체로, T 세포 활성화, 염증성 사이토카인 방출, DLL3 발현 세포의 용해를 유발
신속심사 지정일자		2024.01.16.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 소세포폐암은 폐암의 10~15%를 차지하는 공격적인 형태의 폐암 유형임 · 3차에서 최선의 지지요법을 받은 환자들은 OS 중앙값 0.9개월, 전신요법을 받은 환자들의 OS 중앙값은 4.4개월이라는 연구 결과가 있음
	기존 치료	· 2차가 넘는 이전 차수 요법에 실패한 환자에 대해 승인된 요법은 없음. 이전 차수에 사용되지 않은 화학요법제를 3차에서 사용함
	임상 결과	· 핵심임상시험(2상 임상시험) 결과, 한 가지의 백금 기반 요법(관문 억제제 포함 또는 미포함) 및 최소 한 가지의 다른 차수 요법 이후 질병이 진행되거나 재발한 재발성 SCLC 환자에서 눈가림 된 독립 중앙 검토에 기초한 ORR은 10mg 군에서 40%[97.5% CI: 29%, 52%]임
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자: 2023.12.20.) ■FDA □EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) ■혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR)
		· 허가일자: 2024.05.16.
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

- 약어
- DLL3 Delta-like Ligand 3 (델타 유사 리간드3)
 - OS Overall Survival (전체생존)
 - ORR Objective Response Rate(객관적 반응률)
 - CI Confidence Interval (신뢰구간)

제품명 (성분명)		[177Lu]루도타다이펩
신청사		(주)퓨처켄
적응증		혈중 testosterone 50 ng/dL 이하인 거세저항성 전립선암 환자 중, 표준 요법인 standard taxene 기반 항암치료 전/후 2세대 호르몬제제(abiraterone, enzalutamide, or both) 중 최소 1개 이상의 치료에도 암이 진행되는 전이성 거세저항성 전립선암 환자(metastatic castration resistant prostate cancer, mCRPC)이면서 전립선특이막항원(Prostate Specific Membrane Antigen, PSMA) 양성 병변을 포함하는 성인 환자의 치료
작용기전		전립선 특이 막 항원(PSMA)과의 결합을 통해 전립선암 세포에 치료 방사선을 전달함으로써 DNA 손상을 유도하여 세포 사멸 일으킴
신속심사 지정일자		2024.03.25.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 거세저항성 전립선암(CRPC)이란 혈중 테스토스테론이 무고환치로 감소되어 있는 상태에서, 안드로겐 수용체를 통하여 작용을 나타내는 모든 약제를 중단한 후에도 전립선 특이 항원(PSA)의 감소를 보이지 않으며, 의미있는 PSA의 상승 또는 방사선학적 진행을 보이는 경우로 정의함. 치료하지 않은 경우 평균 생존기간은 12 개월 미만이며, 초진 환자의 84 %에서 원격 전이가 발견됨.
	기존 치료	· CRPC 치료제로 docetaxel, cabazitaxel 등과 같은 docetaxel 기반 항암화학요법이 1차 치료 요법으로 사용되나, 이에 반응한 대부분의 환자에서 16~18 개월 내에 내성이 발생하며, 추가적인 치료에 반응을 보이지 않아 예후가 불량함. 최근 2차 치료제로 abiraterone, enzalutamide와 같은 호르몬 제제가 개발되어 사용됨. 이러한 표준 taxene 기반 항암치료와 함께 2차 호르몬 치료제 중 최소 1개 이상의 치료를 받았음에도 암이 진행되는 mCRPC 환자에서는 명확한 치료 방법이 없었음.
	임상 결과	· 전이성 거세저항성 전립선암(mCRPC) 환자에게 [177Lu]루도타다이펩을 투여한 후 용량별 안전성, 내약성 및 예비적 유효성을 평가한 임상시험에서 ▲ 루도타다이펩 100 mCi 이상의 용량군에서 확인된 전체 객관적 반응률 (ORR)은 4주 차에 57.14%, 8주 차에 64.29%이었음
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(2024.7.12.) □FDA □EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) □우선심사(PR)
		· 허가일자: -
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

제품명 (성분명)		조엔자정(레니올리십)
신청사		베르토코리아유한책임회사
적응증		활성화된 PI3K 델타 증후군(APDS) 치료
작용기전		phosphatidylinositol-3,4,5-triphosphate(PIP3) 생성 및 그로 인한 하위 메신저 phosphorylated protein kinase B(pAkt) 생성을 선택적으로 저해하는 PI3K δ 의 p110 δ 아단위 저해제
신속심사 지정일자		2024.04.30.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> APDS는 PI3Kδ(phosphoinositide 3-kinase δ)의 p110δ 촉매 아단위를 표현하는 PIK3CD 유전자의 자동 기능 획득 돌연변이 및 PI3Kδ의 p85δ 조절 아단위를 표현하는 PIK3R1 유전자의 기능 소실 돌연변이에 의해 유발되는 일차성 면역 결핍 질환으로, APDS1과 APDS2 두 타입이 발생하며, 두 경우 모두 과활성 PI3Kδ 신호전달을 일으켜 면역 결핍과 자가면역/림프 증식의 특징을 가진 B와 T 세포 발달이 조절되지 않은 상태로 나타남
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> 현재 해당 유전자 자체를 교정하는 치료법은 없으며, 기능이 과발현된 단백질 혹은 관련 신호 전달 체계를 제어하는 것이 최선의 치료로 알려져 있음. 주로 면역 결핍 때문에 발생하는 감염의 치료와 면역 조절 장애에 의해 발생하는 증상의 치료가 주가 됨. 따라서, 세균 및 진균 감염에 의한 증상은 적극적인 항생제 및 항진균제 치료로, 림프구 증식 및 염증성 장염과 같이 면역 조절 장애에 의한 증상은 mTOR 억제제인 시롤리무스, 조혈모세포 이식을 시행함
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> 2/3상 임상시험(임상시험 2201 파트 2)에서 레니올리십은 1차 평가변수인 림프 증식 개선(베이스라인 대비 log10-transformed SPD의 평균 변화)에서 위약군은 -0.02, 투여군은 -0.27로, 통계적으로 유의한 개선(p=0.0006)을 나타냄. 또 다른 1차 평가변수인 전체 B 세포에서 순수 B 세포의 비율을 측정한 면역표현 정상화에서 베이스라인 대비 평균 변화는 위약군에서 0.09, 투여군에서 37.39로, 통계적으로 유의한 개선을 나타냄(P=0.0002)
지정사유 분류		■기존 치료법 없음 □유효성 개선 □안전성 개선 □혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■우리나라(지정일자:2024.06.04) ■FDA ■EMA □PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	□패스트트랙(FT) □혁신의약품지정(BTD) □신속심사(AA) ■우선심사(PR)
		· 허가일자: 2023.03.24.
	EMA	□예외적허가(MAEC) □프라임(PRIME) □신속심사(AA) □조건부심사(CMA)
		· 허가일자: -
	PMDA	□우선심사(PR) □사키가케(SAKIGAKE) □조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: -

- 약어 • APDS activated phosphoinositide 3-kinase delta
 • SPD sum of the product diameters

제품명 (성분명)		로켈마현탁액 (지르코늄사이클로규산나트륨)
신청사		한국아스트라제네카(주)
적응증		성인 환자에서의 고칼륨혈증
작용기전		지르코늄사이클로규산나트륨(SZC)은 위장관에서 선택적으로 칼륨과 결합하여 수소와 나트륨 이온과 교환하는 칼륨결합제임. 칼륨의 대변 배설을 증가시킴으로써 위장관 내 칼륨의 농도를 감소시켜 혈청 칼륨(S-K) 수치를 낮춤
신속심사 지정일자		2024.05.23.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 고칼륨혈증은 S-K 수치가 5.0 mmol/L을 초과하는 경우로 정의된 전해질 장애임. 만성 신장병, 심부전 또는 당뇨병 환자에서 발생 빈도가 증가하고, 레닌-안지오텐신-알도스테론 시스템 억제제와 같은 S-K 상승을 일으키는 약물로 치료받는 경우 자주 발생함. 고칼륨혈증은 신경 근육, 심장 및 위장관 기능을 손상시키며, 중증 고칼륨혈증으로 인한 생명을 위협하는 심부정맥이 발생할 위험이 있음
	기존 치료	· 국내 고칼륨혈증 치료제로서 폴리스티렌설포산, 글루콘산칼슘, 포도당, 탄산수소나트륨 제제가 허가되었고, 그 외 투석요법 등을 사용함. 기존 요법의 특성에 따라 전해질 선택성, 환자 중증도, 침습성, 부작용 및 환자 순응도 등에서 한계점이 있으며, 칼륨 수준을 선택적으로 낮추며 안정적으로 유지할 수 있는 치료 선택지가 필요함
	임상 결과	· 고칼륨혈증환자 대상으로 교정기 48시간(1일 3회), 유지기 12일(1일 1회) 동안 SZC 또는 위약을 투여한 이중눈가림 3상 임상시험에서 유효성 평가 시, ▲ 교정기 48시간 동안 SZC 투여군(2.5g, 5g 및 10g)은 S-K 수치가 48시간 동안 베이스라인에서 지속적으로 감소하는 주요 평가 지표에서 위약보다 우수한 결과를 보였으며, SZC 10g 군에서 S-K 수치가 가장 크게 감소함 ▲ 유지기 12일에서 S-K의 지수적 변화율은 SZC투여군(5g, 10g)에서 위약 대비 통계적으로 우월하였고, 혈액 칼륨이 정상인 일수가 유의하게 더 길었음
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input checked="" type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input type="checkbox"/> 우리나라 <input type="checkbox"/> FDA <input type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 우선심사(PR) · 허가일자: 2018.05.18.
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA) · 허가일자: 2018.03.22.
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: 2020.03.25.

■ 약어 • S-K Serum potassium
 • SZC Sodium zirconium cyclosilicate

제품명 (성분명)		아이커보정 (엘라피브라노)
신청사		입센코리아(주)
적응증		원발성 담즙성 담관염(primary biliary cholangitis, PBC)의 치료
작용기전		간 표적 이중 퍼옥시좀 증식인자 활성화 수용체 알파 및 델타(PPAR α 및 PPAR δ) 작용제
신속심사 지정일자		2024.05.28.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	<ul style="list-style-type: none"> 원발성 담즙성 담관염(이하 PBC)은 만성 담즙 정체를 특징으로 하는 자가면역 간질환임 서서히 그리고 지속적으로 진행되는 간 내 작은 담관의 파괴로 인해 담즙과 여러 독성물질이 간에 축적되어 담즙 정체 상태를 보이게 되고, 결국 이로 인해 간세포 파괴 및 섬유화, 궁극적으로는 간경변증으로 진행될 수 있음
	기존 치료	<ul style="list-style-type: none"> 임상적 효과를 입증하여 임상에서 사용 승인된 우르소데옥시콜산(UDCA, 1차 치료제)과 오베 틱콜릭산(2차 치료제, 국내 미허가)이 있으며, 임상 연구 중인 부데소니드와 피브레이트 제제가 있음 간이식은 비대상성 간경변증이나 간부전 환자에서 유익하게 효과적인 치료법임
	임상 결과	<ul style="list-style-type: none"> 3상 임상시험에서 UDCA에 대한 반응이 부적절하거나 불내성인 PBC 환자에서 제 52주의 담즙정체 반응자¹⁾ 비율을 비교한 결과, 통계적으로 유의하게 시험군에서 높은 비율을 보임(시험군 50.9%, 위약군 3.8%, Odds ratio 37.6%)
지정사유 분류		<input type="checkbox"/> 기존 치료법 없음 <input checked="" type="checkbox"/> 유효성 개선 <input type="checkbox"/> 안전성 개선 <input type="checkbox"/> 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		<input checked="" type="checkbox"/> 우리나라(지정일자 : 2024.05.31.) <input checked="" type="checkbox"/> FDA <input checked="" type="checkbox"/> EMA <input type="checkbox"/> PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	<input type="checkbox"/> 패스트트랙(FT) <input type="checkbox"/> 혁신의약품지정(BTD) <input checked="" type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input checked="" type="checkbox"/> 우선심사(PR) · 허가일자: 2024.06.10.
	EMA	<input type="checkbox"/> 예외적허가(MAEC) <input type="checkbox"/> 프라임(PRIME) <input type="checkbox"/> 신속심사(AA) <input type="checkbox"/> 조건부심사(CMA) · 허가일자: -
	PMDA	<input type="checkbox"/> 우선심사(PR) <input type="checkbox"/> 사키가케(SAKIGAKE) <input type="checkbox"/> 조건부 조기허가(CEA) · 허가일자: -

1) ALP(alkaline phosphatase) <1.67 x ULN, TB(total bilirubin)≤ULN, ALP 15%이상 감소한 자

■ 약어 •PPAR

Peroxisome Proliferator Activated Receptor (퍼옥시좀 증식인자 활성화 수용체)

제품명 (성분명)		핀테플라엑 (펜플루라민염산염)
신청사		한국유씨비제약(주)
적응증		2세 이상 환자의 드라벡 증후군과 관련된 발작 치료
작용기전		세로토닌 분비 촉진제로서 여러 5HT 수용체 아형들을 촉진함으로써 세로토닌의 분비를 촉진시킴. 뇌에서 5-HT1D, 5-HT2A, 5-HT2C를 포함한 특정 세로토닌 수용체에 대한 작용제(agonist) 및 시그마1 수용체의 양성조절제(positive modulator)로 작용함으로써 발작을 감소시킬 수 있음. 드라벡 증후군에 대한 펜플루라민의 정확한 작용기전은 밝혀지지 않았음
신속심사 지정일자		2024.05.29.
허가 일자		-
신속심사 지정사유 및 근거	해당 질환	· 드라벡증후군(DS)은 환자의 80~90%는 신경의 나트륨 채널을 전사하는 SCN1A 유전자의 이상을 가지고 있는 희귀 중증 뇌전증임. 평균 생후 6개월에 열성 경련이 발생하고, 이후 다양한 발작이 지속적으로 동반되어 나타날 수 있음. 발작 이후 발달 지연이 나타날 수 있으며, 뇌전증 돌연사가 발생할 수 있음
	기존 치료	· 해당 환자는 대부분의 기존 뇌전증 약물에 불응성이며, 나트륨이온 채널 억제 기전 약물 사용에도 제한점이 있음 · 국내에서 드라벡 증후군에 대한 품목허가는 없음
	임상 결과	· 드라벡 증후군 환자 대상(기존 항뇌전증 표준 치료요법을 안정적으로 유지)으로 펜플루라민 염산염 또는 위약을 투여(용량 유지 12주)한 3건의 이중맹검 임상시험에서, 평균 월간 경련 발작 빈도는 Study 1 : 위약 대비 펜플루라민 염산염 0.8mg/kg/day에서 62.3% 감소함($p<0.001$) Study 2(코호트 2) : 위약 대비 펜플루라민 염산염 0.5mg/kg/day에서 54.0% 감소함($p<0.001$) Study 3 : 위약 대비 펜플루라민 0.8mg/kg/day에서 64.8% 감소함($p<0.001$)
지정사유 분류		■ 기존 치료법 없음 □ 유효성 개선 □ 안전성 개선 □ 혁신형 제약기업 개발 신약
희귀의약품 지정		■ 우리나라(지정일자: 2024.02.27.) ■ FDA ■ EMA □ PMDA
국외 규제기관 신속 프로그램 적용현황	FDA	■ 패스트트랙(FT) □ 혁신의약품지정(BTD) □ 신속심사(AA) ■ 우선심사(PR) · 허가일자: 2020.06.25.(드라벡 증후군)
		□ 예외적허가(MAEC) □ 프라임(PRIME) □ 신속심사(AA) □ 조건부심사(CMA)
	EMA	· 허가일자: 2020.12.18.(드라벡 증후군)
	PMDA	■ 우선심사(PR) □ 사키가케(SAKIGAKE) □ 조건부 조기허가(CEA)
		· 허가일자: 2022.09.26.(드라벡 증후군)

- 약어 • DS Dravet Syndrome
 • SCN1A Sodium voltage-gated channel alpha subunit type 1
 • STP Stiripentol

〈 부록 III〉

우선(신속)심사 허가 품목 현황

< 우선(신속)심사 품목 허가 현황 >

기간: 2020.8.1.~2024.7.31.

<div> <div>□ 화학의약품</div> <div>□ 생물의약품</div> <div>□ 생약(한약)제제</div> <div>□ 코로나19 백신</div> </div>					
연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
1	한국아스트라제네카코비드-19백신주 (사스코로나바이러스-2 바이러스벡터백신)	한국 아스트라제네카(주)	'21.2.10.	코로나19 백신	
2	코미나티주(토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	'21.3.5.	코로나19 백신	
3	브론패스정 (숙지황·목단피 등)	한림제약(주)	'21.4.9.	급성 기관지염 치료제	
4	코비드-19백신얀센주 (사스코로나바이러스-2 바이러스벡터백신)	(주)한국얀센	'21.4.7.	코로나19 백신	
5	코셀루고캡슐10밀리그램 (셀루메티닙황산수소염)	한국 아스트라제네카(주)	'21.5.28.	소아 신경 섬유종 환자 치료	국내 희귀지정
6	코셀루고캡슐20밀리그램 (셀루메티닙황산수소염)				
7	아스트라제네카코비드-19백신주 (ChAdOx1-S)	한국 아스트라제네카(주)	'21.5.21.	코로나19 백신	
8	모더나코비드-19백신주	(주)녹십자	'21.5.21.	코로나19 백신	
9	프레토마니드정200밀리그램 (프레토마니드)	부광약품(주)	'21.10.15.	다제내성 결핵 치료	국내 희귀지정
10	스파이크박스주 (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	모더나	'21.12.13.	코로나19 백신	
11	루마크라스정120밀리그램 (소토라십)	암젠코리아	'22.2.14.	국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암의 치료	국내 희귀지정
12	뉴백소비드프리필드시린지 (사스코로나바이러스-2 재조합백신)	에스케이바이오 사이언스(주)	'22.1.12.	코로나19 백신	
13	레테브모캡슐40밀리그램 (셀퍼가티닙)	한국릴리(유)	'22.3.11.	전이성 비소세포 폐암, 전이성 감상선 수질암의 치료	국내 희귀지정
14	레테브모캡슐80밀리그램 (셀퍼가티닙)				
15	코미나티주0.1mg/mL (토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	'22.1.28.	코로나19 백신	
16	리브리반트주 (아미반타맙)	(주)한국얀센	'22.2.15.	국소 진행성 또는 전이성 비소세포폐암의 치료	국내 희귀지정
17	코미나티주0.1mg/mL (5-11세용) (토지나메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	'22.2.23.	코로나19 백신	

연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
18	셈블릭스정20밀리그램 (애시미닙)	한국노바티스(주)	'22.6.9.	필라델피아 염색체 양성 만성 골수성 백혈병 치료	국내 희귀지정
19	셈블릭스정40밀리그램 (애시미닙)				
20	스카이코비원멀티주	에스케이 바이오사이언스(주)	'22.6.29.	코로나19 백신	
21	모더나스파이크박스2주(사스코로나바 이러스-2 mRNA 2가(원형, 오미크론) 백신)	모더나코리아(주)	'22.9.8.	코로나19 백신	
22	엔허투주(트라스투주맙 데록스테칸)	한국다이이찌산교(주)	'22.9.19.	전이성 HER2 양성 유방암 환자, 위암 또는 위식도접합부 선암증	
23	스파이크박스2주 (사스코로나바이러스-2 mRNA 2가(원형, 오미크론) 백신)	모더나코리아(주)	'22.10.7.	코로나19 백신	
24	코미나티2주 0.1 mg/mL (사스코로나바이러스-2 mRNA백신)	한국화이자제약(주)	'22.10.7.	코로나19 백신	
25	코미나티주0.1mg/mL(6개월-4세용) (토지나메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA 백신)	한국화이자제약(주)	'22.11.25.	코로나19 백신	
26	엔블로정 (이나보글리플로진)	대웅제약(주)	'22.11.30.	당뇨병치료제	
27	파드셉주20밀리그램 (엔포투맙베도틴)	한국 아스텔라스제약(주)	'23.3.9	국소진행성 또는 전이성 요로상피암	국내 희귀지정
28	파드셉주30밀리그램 (엔포투맙베도틴)				
29	페마자이레정90밀리그램 (페미가티닙)	(주)한독	'23.04.25.	FGFR2(fibroblast growth factor receptor 2, 섬유아세포 성장인자 수용체2) 융합 또는 재배열이 존재하는 국소진행성 또는 전이성 담관암	국내 희귀지정
30	페마자이레정4.5밀리그램 (페미가티닙)				
31	페마자이레정13.5밀리그램 (페미가티닙)				
32	트로델비주 (사시투주맙고비테칸)	(주)메디팁	'23.5.9.	진행성 또는 전이성 삼중음성유방암	국내 희귀지정
33	민쥬비주 (타파시타맙)	(주)한독	'23.6.9.	거대 B세포 림프종(DLBCL)	국내 희귀지정
34	이뮤도주 (트레멜리루맙)	한국아스트라 제네카(주)	'23.6.23.	진행성 또는 절제 불가능한 간세포암 성인 환자의 1차 치료로서 더발루맙과의 병용요법	

연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
35	팍스로비드정	한국화이자제약(주)	'23.7.14.	입원이나 사망을 포함한 중증 코로나바이러스 감염증-19(COVID-19)로 진행될 위험이 높은 성인에서 경증 및 중등증 코로나바이러스 감염증-19(COVID-19)	
36	텍베일리주30mg(테클리스타맙)	(주)한국안센	'23.7.26.	프로테아좀억제제, 면역억제제, 항-CD38 단클론항체를 포함하여 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증시험에서 입증한 자료는 없다.	
37	텍베일리주153mg(테클리스타맙)				
38	스파이크박스듀오2주(엘라소메란, 다베소메란) (사스코로나바이러스-2 mRNA백신)	모더나코리아(주)	'23.9.27.	코로나19 백신	
39	룬수미오주(모수네투주맙)	(주)한국로슈	'23.11.3.	두 가지 이상의 전신 치료 후 재발성 또는 불응성 소포성 림프종	국내 희귀지정
40	엠파벨리주(페그세타코플란)	(주)한독	'24.4.29.	발작성 야간 혈색소뇨증	국내 희귀지정
41	코미나티바이발런트주(토지나메란, 팜 토지나메란)(사스코로나바이러스-2 mRNA백신)	한국화이자제약(주)	'24.7.3.	코로나19 백신	
42	티루캡정160밀리그램 (카피바설팅)	한국 아스텔라스제약(주)	'24.4.29.	HR양성, HER2음성, PIK3CA/AKT1/PTEN 변이 국소 진행성 또는 전이성 유방임에 내분비 요법 중 또는 이후 진행되거나 보조요법 완료 후 12개월 이내 재발된 경우 폴베스트란트와의 병용투여	
43	티루캡정200밀리그램 (카피바설팅)				

연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
44	플루빅토주 (루테튬(177Lu) 비피보타이드테트라세탄)	한국노바티스(주)	'24.5.29.	안드로겐 수용체 경로 차단(ARPI) 치료와 탁산 기반의 화학요법을 받았던 전립선 특이 막 항원(PSMA)양성 전이성 거세저항성 전립선암(mCRPC)	국내 희귀지정
45	엘렉스피오주 (엘라나타맙)	한국화이자제약(주)	'24.5.30.	프로테아좀억제제, 면역조절제, 항-CD38 단클론항체를 포함하여 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증시험에서 입증한 자료는 없다.	국내 희귀지정
46	보이데아정50밀리그램 (다니코판)	한국아스트라 제네카(주)	'24.6.28.	발작성 야간 혈색소뇨증 기존에 C5 억제제(라불리주맙 또는 에쿨리주맙)를 투여 중인 PNH 환자에서 혈관외용혈(Extravascular Hemolysis) 증상이나 징후가 있는 경우 라불리주맙 혹은 에쿨리주맙에 부가요법	국내 희귀지정
47	보이데아정100밀리그램 (다니코판)				
48	과지바주4.5mg/mL (디누톡시맙베타)	(주)레코르다티 코리아	'24.6.19.	○ 만 12개월 이상의 소아 1. 이전에 유도 화학요법 이후 부분반응 이상을 보인 후 골수 제거 요법과 줄기세포 이식을 받은 이력이 있는 고위험군 신경모세포종 환자 2. 재발성 또는 불응성 신경모세포종 환자	국내 희귀지정
49	타이바소흡입액0.6mg/mL (트레프로스티닐)	(주)안트로젠	'24.7.5.	간질성폐질환 연관 폐고혈압(PH-ILD; WHO 그룹3)의 운동능력 개선	국내 희귀지정
50	탈베이주2mg/mL (탈쿠에타맙)	(주)한국안센	'24.6.28.	프로테아좀억제제, 면역억제제, 항-CD38 단클론항체를 포함하여 3차 이상의 치료를 받은 재발 또는 불응성 다발골수종 성인 환자에 대한 단독요법 이 약의 유효성을 치료적확증시험에서 입증한 자료는 없다.	국내 희귀지정
51	탈베이주40mg/mL (탈쿠에타맙)				

연번	제품명(성분)	신청사	허가일자	효능 효과	비고
52	하이알플렉스주 (헥사메틸렌디아민으로가교결합된히알루론산나트륨겔)	신풍제약(주)	'24.7.12.	슬관절의 골관절염	

의약품 신속심사 보고서 제3권

발 행 일 2024년 9월

발 행 인 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원장 강석연

편 집 위 원 장 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과 박재현

편 집 위 원 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과
임숙, 박송희, 김용국, 강세구, 엄소영, 김지예, 윤은진, 정경아, 채희지,
임지윤, 서지연

발 행 부 서 식품의약품안전처 식품의약품안전평가원 신속심사과(혁신제품심사팀)

공익신고자 보호제도란?

- 공익신고자(친족 또는 동거인 포함)등이 공익신고 등으로 인하여 피해를 받지 않도록 비밀보장, 불이익보호조치, 신변보호조치 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