KPBMA FOCUS

NO.23
2025. 1. 24.

ISSUE REPORT

RWD/RWE 외부대조군 활용 동향 및 시사점

- 들어가며
- RWD 외부대조군 활용 현황
- RWD 외부대조군 채택 사례
- 주요 규제적 쟁점사항
- 시사점 및 대응방안

글로벌 주요 동향

- 유럽, 의약품 허가신청 정보 지침 개정
- 영국, 희귀질환 맞춤형 규제 경로 개발
- FDA, 2024년 총 61품목 신약 허가
- 호주, 의약품 및 의료기기 리콜 신규 절차 도입
- 2025년, 글로벌 기업 경영진의 낙관적 업계 전망
- 일본, 약가개정 계획에 따른 업계 우려
- FDA, 규제 의사결정을 위한 AI 사용 지침 공개
- 인도, 의약품 규제 개혁 가속화

※ KPBMA FOCUS는 제약바이오 산업계의 최근 이슈를 발굴하고, 전문가의 시선으로 주요 동향을 깊이 있게 분석하였습니다.

KPBMA
Korea Pharmaceutical and Bio-Pharma Manufacturers Association

ISSUE REPORT

RWD/RWE 외부대조군 활용 동향 및 시사점

최남경# 이화여자대학교 융합보건학과 교수

■ 들어가며

▶ RWD/RWE 활용

○ 최근 의약품 전주기 및 규제과학 분야에서 실사용데이터(Real-World Data, RWD)/실사용증거(Real-World Evidence, RWE)의 활용이 중요한 이슈로 떠오르고 있음[1)]

- RWD는 실제 의료 환경에서 발생하는 환자의 진료 정보, 처방 기록, 전자의무기록(Electronic Medical Records, EMR), 보험 청구 데이터 등 다양한 출처에서 수집된 데이터로, 임상시험의 제한된 환경과는 달리 실제 환자의 복합적인 건강 상태를 반영함

※ RWE는 다양한 RWD를 가공·분석하여 도출된 의약품·의료기기의 사용 및 잠재적 이익 또는 위험에 관한 임상적인 증거를 말함

- RWD/RWE 활용 목적에는 임상시험군 모집, 치료관행 확인, 유병률 및 발병률 등의 질병자연사 확인, 실용적 임상시험(Pragmatic trial), 외부대조군, 의약품 적응증 확대, 제품의 라벨(label) 변경, 시판 후 안전성 또는 유효성 확인 연구, 유익성-위해성 평가 등이 있음

- 특히, 기존의 무작위배정 임상시험(Randomized Clinical Trials, RCT)으로 얻기 어려운 정보를 제공할 수 있어 신약 허가와 적응증 확대, 시판 후 안전성 평가 등 규제 의사결정에서 점차 활발히 활용되고 있음

▶ 외부대조군 개념

○ 외부대조군(External Control)은 임상시험에서 일반적으로 활용되는 표준대조군과 달리 말 그대로 '외부'에서 모집한 대조군을 뜻하며 유형 및 주요 출처는 다음과 같음

- 외부대조군 유형은 임상시험 환자보다 이전 시점에 치료받은 과거 대조군(historical control)과 임상시험 환자와 동일한 기간 다른 환경에서 치료받은 동시 대조군(contemporaneous control)으로 분류됨

저자 약력: 이화여자대학교 약학대학 약학사, 서울대학교 의과대학 예방의학 석·박사, 前 서울대학교병원 의학연구협력센터 연구교수, Harvard Medical School 초빙교수, 現 이화여자대학교 신산업융합대학 융합보건학과 및 약학대학원 제약산업학과 교수

1) Jonker, C. J, et al., "Contribution of patient registries to regulatory decision making on rare diseases medicinal products in Europe", Frontiers in Pharmacology, 2022.

- 외부대조군 출처는 이전 RCT, 후향적 또는 전향적[2]으로 수집된 RWD, 출판된 문헌자료, 임상시험 환자의 치료 이전 상태에서 파생된 대조군(baseline control) 등이 될 수 있음[3]

- 이전 RCT, 후향적 또는 전향적 RWD, baseline control은 개인 수준 데이터에 대한 접근이 가능한 경우가 많으나, 출판 문헌을 활용하는 경우 개인 수준 데이터에 대한 접근이 제한적임

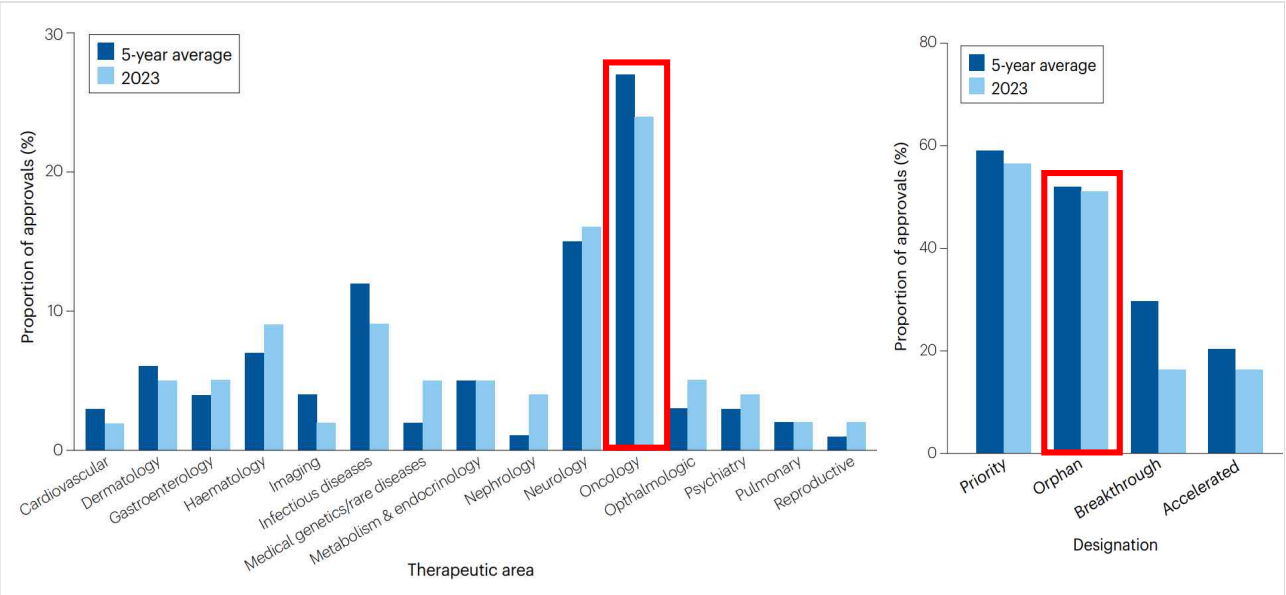
- 외부대조군을 선택할 때, 데이터 출처의 적합성, 품질, 그리고 환자의 특성을 얼마나 잘 반영하는지 고려해야 하며 이를 통해 비교군과 연구군 간의 신뢰할 수 있는 비교가 이루어질 수 있음

▶ RWD 외부대조군 도입 필요성

○ 세계적으로 바이오의약품, 함암제 및 희귀의약품에 대한 신약 개발이 증가하고 있음. 전 세계 희귀의약품 시장 규모는 연평균 11.6%의 성장률을 보이며 2023년 1,730억 달러에서 2028년에는 약 3,000억 달러에 도달할 것으로 예측되며, 이는 제네릭 및 전문의약품(희귀의약품 제외)의 동일 기간 연평균 성장률 6.1%와 비교하면 매우 빠른 속도임[4]

- 2023년 미국 식품의약국(FDA)에서 허가된 55개 신약 중 30.9%가 바이오의약품, 24%가 항암제, 52%가 희귀의약품에 해당함. 최근 5년간 허가된 의약품의 평균 50% 이상이 희귀의약품에 해당할 정도로 희귀의약품의 점유율은 점점 증가하고 있음[5]

<그림 1> 치료분야 및 규제지정에 따른 FDA 신약허가 현황(2023)



출처: Nature Reviews Drug Discovery(2024)

2) 후향적: 이미 생성된 데이터를 분석하여 연구를 수행하는 형태, 전향적: 새로운 데이터를 수집하면서 연구를 수행하는 형태
3) Appiah, K, et al., "Justifying the source of external comparators in single-arm oncology health technology submissions: a review of NICE and PBAC assessments", Journal of Comparative Effectiveness Research, 13(2), e230140, 2024.
4) 국가임상시험지원재단, "2028년 희귀의약품(Orphan Drugs) 글로벌 동향 예측", KoNECT 뉴스레터 6월호, 2023. 6.
5) Nature Review Drug Discovery, "2023 FDA drug approvals", 2024. 1.

- 2023년 국내 허가된 희귀의약품은 총 37품목으로 2015년 이후 가장 많은 품목이 허가되었으며 국내 희귀의약품 시장의 규모 또한 점차 증가하여 다수의 제약기업도 희귀의약품의 연구개발에 힘쓰고 있음

- 특히, 미국 희귀의약품 지정제도를 획득하는 경우 신약독점권 7년 보장, 개발지원, 감세 및 임상 2상 후 조건부 판매 등 혜택이 제공되어 국내 제약바이오기업들이 FDA 희귀의약품 지정을 획득하기 위해 노력 중이며 2024년 올해 약 10개 제약회사의 신약 파이프라인이 미국 FDA의 희귀의약품 지정을 획득하였음[6)]

- 희귀질환, 특히 암 치료 분야는 여전히 미충족 수요가 높아 전세계적으로 시장 매출 및 연구 개발을 주도하고 있으며 앞으로도 꾸준히 성장할 것으로 예상됨

○ 희귀의약품의 경우 임상 2-3상에서 충분한 표본확보나 비교군 설정이 어려워 RCT가 불가능한 경우가 많아 허가를 받기 위해, 대조군 없이 약을 테스트 하는 단일군 임상시험(Single-arm studies)을 제출하는 경우가 빈번한데 이때 RWD가 외부대조군으로 활용될 수 있음

○ 본 원고의 목적은 국내외 규제과학 및 의약품 허가 과정에서 RWD를 활용한 외부대조군 현황과 사례를 통해 타당성, 신뢰성, 규제적 쟁점사항을 분석하고, 향후 RWD 기반 연구의 활용 방안을 제시함으로써 국내 규제 의사결정에서 RWD의 역할을 확대하는데 기여하고자 함

■ RWD 외부대조군 활용 현황

○ RWD 기반 외부대조군은 외부의 비무작위 데이터베이스에서 파생된 환자를 의미하며, 주로 신약 허가 또는 적응증 확대 시 단일군 임상시험의 환자와 비교되어 RCT가 실현 가능하지 않거나 윤리적이지 않은 경우에 비교성을 제공하기 위해 활용됨

○ FDA 및 유럽의약품청(EMA)은 잘 설계되고 실행된 RCT를 신약의 효능을 확인하는 최적의 표준 접근방식으로 권고하지만, RCT를 실행할 수 없는 몇 가지 경우를 인정하며 특정 상황에서는 비무작위 임상시험(non-RCTs) 증거를 받아들일 수 있도록 함

- 국제의약품규제조화위원회(International Council for Harmonisation, ICH)가 2001년 5월에 발행한 임상시험의 대조군 선택 가이드라인에 따르면 "외부대조군은 비교치료에 관계없이 다섯 번째 유형으로 함께 고려되며 예외적인 상황(unusual circumstances)에서만 사용할 수 있음"을 명시[7)]

- FDA와 EMA는 일반적으로 RCT에서 벗어나는 상황에서의 지정제도(designations)와 허가경로(approval pathway)를 가짐

- FDA의 신속허가 중 67%가 단일군 임상시험을 기반으로 함[8)]

---

6) 데일리팜, "K-바이오, 올 FDA 희귀약 지정 10건…블루오션 경쟁력↑", 2024.7.8.
7) ICH, "Guidance for industry E10 Choice of Control Group and Related Issues in Clinical Trials", 2001.
8) Beaver, J. A, et al., "A 25-year experience of US Food and Drug Administration accelerated approval of malignant hematology and oncology drugs and biologics: a review", JAMA oncology, 2018.

<표 1> FDA와 EMA의 지정제도 및 허가경로

기준	FDA	EMA
혁신적 지정 제도 (Designations)	· 패스트트랙(Fast Track Designation) · 혁신신약(Breakthrough Therapy Designation) · 우선심사(Priority Review Designation) · 희귀의약품 지정(Orphan Drug Designation, ODD)	· 우선순위의약품(PRIorityMedicines, PRIME) · 신속심사(Accelerated Assessment) · 희귀의약품 지정(Orphan Drug Designation, ODD)
혁신적 허가 제도 (Approvals)	· 신속허가(Accelerated Approval)	· 예외적 상황에서의 품목허가(Marketing Authorisation under Exceptional Circumstances, MAEC) · 조건부 품목허가(Conditional Marketing Authorisation, CMA)

▶ 의약품 시판 허가 시

○ 의약품 허가를 위해 캐나다, 프랑스, 영국, 독일, 호주 5개국을 포함한 규제기관 및 의료기술평가(Health Technology Assessment, HTA) 기관에 제출된 외부대조군 활용 사례를 확인함[9)]

- IQVIA의 HTA Accelerator 데이터베이스를 사용하여 2011년부터 2019년까지 약물 허가를 위한 단일군 임상시험 기반 HTA 제출물에 대한 결정을 검토하였을 때, 총 433건의 제출물이 확인되었으며 이 중 283건(65%)이 종양학(oncology) 분야, 43건(10%)이 혈액면역학 분야, 39건(9%)이 대사분야 등의 순

- 또한, 단일군 임상시험 기반의 433건의 제출물 중 226건(52.2%)가 외부대조군을 포함했으며, 외부대조군의 출처는 이전 임상시험 기반(24%), RWD 기반(20%), 이전 임상시험과 RWD 동시 사용 기반(8.1%) 순

- RWD 기반 외부대조군 사용 비율은 2011년부터 2014년까지 8%에서 2015년부터 2019년까지 30%로 22% 증가했으며, 임상시험을 외부대조군으로 활용하는 경우는 33%에서 17%로 14% 감소함

- 외부대조군 출처별 규제기관의 승인률을 평가했을 때, RWD 기반 외부대조군이 포함된 제출물의 87건 중 51건(59%)이 긍정적인 평가를 받았고, 이전 임상시험 외부대조군이 포함된 제출물은 104건 중 51건(49%)이 긍정적인 평가를 받음

▶ 항암제 시판 허가 시

○ 항암제 시판 허가를 위해 EMA에 제출된 문서에 외부대조군이 포함된 사례를 확인함[10)]

- European Public Assessment Reports(EPARs)를 검색하여 임상 효능에 대한 외부대조군 데이터를 참조한 2016년부터 2021년까지의 항암제 최초 허가 신청서 103개를 포함했으며, 진단용으로만 사용되거나 시장에서 철수된 약물은 제외함

9) Patel, D., et al., "Use of external comparators for health technology assessment submissions based on single-arm trials", Value in Health, 24(8), 1118-1125, 2021.
10) Wang, X., et al., "Current perspectives for external control arms in oncology clinical trials: Analysis of EMA approvals 2016-2021", Journal of Cancer Policy, 2023. 35, 100403.

- 이 중 18개의 항암제가 허가 신청서에 외부대조군이 포함되어 있었으며, 18개의 항암제에서 총 24개의 외부대조군이 활용되었음

- 24개의 외부대조군 중 15개(63%)만 수용되었으며, 나머지는 이질적인 환자집단, RWD 평가결과 누락, 부적절한 통계분석 등을 근거로 거절됨. 활용된 24개의 외부대조군 중 9개(37%)가 RWD를 활용하였음

▶ 비항암제 시판 허가 시

○ 비항암제 허가를 위해 제출된 허가문서에 외부대조군이 포함된 FDA의 사례를 확인함[11)]

- 2000년부터 2019년까지 비종양성 의약품 허가 시 외부대조군이 활용된 사례(항염증제, 백신 및 면역글로불린 제외) 45개 제품을 검토함

- 이 중 비악성 혈액학 제품이 22개(49%), 위장병학 및 선천적 대사오류 10개(22%), 대사 및 내분비학 6개(13%), 신경학 4개(9%), 생식기관/뼈질환 및 비뇨기과 3개(7%)가 포함되었으며, 36개(80%) 제품이 희귀질환 의약품에 해당하였음

- 45개 제품의 외부대조군 출처는 후향적 RWD가 20개(44%)로 가장 많았으며, 환자의 치료 이전 상태와 비교하는 baseline control이 15개(33%), 문헌 검토 및 이전 임상시험이 각각 5개(11%)였고, 전향적 RWD는 활용되지 않음

■ RWD 외부대조군 채택 사례

▶ 허가 시 주요 근거로 채택된 경우

○ 노바티스의 졸겐스마(Zolgensma)는 2020년 5월 EMA에서 최초 허가받은 척추성 근위축증(Spinal Muscular Atrophy, SMA) 유전자 치료제임[12)]

- 졸겐스마에 대한 임상 3상인 CL-303 연구(오픈라벨, 단일군)는 미국의 16개 주에서 프레드니솔론(prednisolone)으로 사전 치료받았고 이후 졸겐스마를 1회 투여 받았으며, 전조증상 또는 증상이 있는 제1형 SMA 환자를 대상으로 진행함. 여기에 소아 신경근 임상연구 데이터베이스(Pediatric Neuromuscular Clinical Research (PNCR) database)를 기반으로 진행된 관찰 연구를 외부대조군으로 활용하여 비교 분석하였음

- 카플란-마이어(Kaplan-Meier) 분석[13)] 및 메타분석[14)]을 시행한 결과, 졸겐스마 치료군에서 전체 환자 수 대비 생존 환자 수로 계산한 생존율이 더 높게 나왔고(91% vs. 22%), 전체 환자 수

11) Jahanshahi, M., et al., "The use of external controls in FDA regulatory decision making", Therapeutic Innovation & Regulatory Science, 2021. 55(5), 1019-1035.
12) 송재환 외, "미국과 유럽의 실사용데이터/실사용근거를 활용한 의약품 허가심사 사례 분석", 약물역학위해관리학회지, 2022.
13) 카플란-마이어 분석은 생존분석에서 사용되는 통계기법으로 전체 연구기간 동안에 사건이 발생한 시점마다 구간 생존율을 산출하여 최종적으로 누적생존율을 산출하는 방법
14) 메타분석은 특정 주제에 대해 지금까지 발표된 기존 연구문헌을 분석하고 평가하여 결론을 도출하는 통계적 방법

대비 스스로 앉아 있을 수 있는 환자 수로 계산한 비율 또한 더 높았음(59% vs. 0%). 이를 통해 졸겐스마의 임상적 유효성을 확인함

- 위 결과를 토대로 EMA는 졸겐스마를 2세 미만의 소아환자에서 SMN1 유전자에 중복(bi-allelic) 돌연변이가 있는 환자 중 제1형 SMA로 진단된 SMA 환자 또는 SMN2 유전자를 3개까지 가지고 있는 환자의 치료에 조건부 허가함

▶ 허가 시 주요 근거로 불채택된 경우

○ 중국 안텐진의 엑스포비오(Xpovio)는 2019년 7월 FDA에서 허가받은 재발성 난치성 다발성 골수종 환자 치료제임[15)]

- 제출된 단일군 임상시험은 셀리넥서(Selinexor)와 덱사메타손(dexamethasone)의 조합에 대한 전향적, 오픈라벨, 단일군 2b상 시험인 Selinexor Treatment of Refractory Myeloma(STORM)을 수행함. 여기에 과거 외부대조군으로 플래티론헬스社(Flatiron Health) 분석 데이터베이스의 전자건강기록(Electronic Health Record, EHR)을 사용한 후향적 관찰 연구를 하였으며, STORM 시험에서 연구된 것과 유사한 모집단의 생존을 STORM의 생존결과와 비교하는 것이 목적이었음

- 그러나 FDA는 EHR 데이터에 적용된 방법론적 문제에 대한 우려를 표명했으며 매우 제한된 표본크기, 불안정한 추정치, 생성된 증거가 STORM 환자에서 관찰된 생존에 대한 맥락이나 비교를 제공할 수 없다는 의견을 결과가 규제 의사결정을 뒷받침하기에 부적절하다고 평가함

- 위 결과를 토대로 재발성 불응성 다발성 골수종에 대한 최초 허가 신청 승인에 EHR 결과를 허가에 고려하지 않았으며, 진행 중인 3상 무작위 BOSTON(Bortezomib, Selinexor and Dexamethasone) 시험의 효능 데이터를 기반으로 신속승인 및 BOSTON 시험 결과 제출을 위한 시판 후 요구사항(Post-marketing Requirement, PMR)을 부여함

■ 주요 규제적 쟁점사항

▶ 타당성 및 신뢰성

○ RWD 외부대조군은 RCT를 수행할 수 없는 신약의 단일군 임상시험 비교군으로서 유용하게 활용될 수 있지만, 외부대조군과 임상시험군의 이질성 및 연구방법에 대한 우려사항은 규제기관의 RWD 수용을 방해하는 주요 쟁점임

- 외부대조군의 이질성은 자료 출처의 다양성, 과거와 현재의 치료표준의 차이, 비무작위로 인한 환자의 기본 특성 차이, 주요한 공변량에 대한 제한된 정보 등에서 기인함

- RWD 데이터 자체에서 발생하는 본질적인 우려뿐 아니라 충분한 표본크기의 확보, RWD 연구를 수행하는 연구자가 적용하는 연구설계의 불명확성, 선택 편향(selection bias)을 포함하는 다양한 편향 및 잠재적인 교란요인 등에 대한 우려도 있음

15) Center for Drug Evaluation and Research (CDER). Multi-Disclpline Review Xpovio (Selinexor).

- 자료 간 이질성, 상호운용성 결여를 해결하기 위한 데이터 품질관리, 표준화, 데이터 연계 등에 대한 고려가 필요함

▶ 법적/제도적 가이드라인

○ 국내 의약품 규제 의사결정에서 보다 적극적인 RWD 활용이 요구됨

- 국외에서는 시판 후 안전성 평가 연구는 물론 신약허가, 적응증 확대 및 라벨변경에도 RWD가 활발히 활용되며 수용도도 높은 편임
- FDA는 현재까지 RWD 관련 13종 이상의 가이드라인을 발행하였으며 2023년 2월 제약사에게 RWD 외부대조군 활용 임상시험 수행 시 연구설계 및 분석방법을 제시하는 가이드라인을 발행함
- 국내는 그간 신약, 희귀의약품 등에 대해 재심사제도 및 위해성관리계획을 모두 이행해야 했지만, 2025년 2월부터 재심사제도와 위해성관리계획 제도가 일원화될 예정이며 능동적인 약물감시로 RWD가 활용될 수 있음[16]. 또한, RWD를 효과적으로 활용할 수 있는 가이드라인도 지속적으로 개발 중임
- 그러나 시판 후 연구의 방법으로 여전히 사용성적조사가 주를 이루고 있으며 법적/제도적 근거가 모호하여 실제 RWD 연구가 수행되기에는 법적인 실효성이 부족한 실정임
- 현재까지 발행된 RWD 가이드라인[17] 또한 시판 후 연구에 집중되어 있어 외부대조군을 포함한 의약품 전주기에서 RWD/RWE가 활용될 수 있도록 다양한 가이드라인 개발 논의가 필요함
- 국내에서 RWD 연구를 수행 및 RWE를 평가할 수 있는 선례가 아직 많지 않으므로 적극적인 사례 발굴 및 적용이 요구됨

■ 시사점 및 대응방안

○ 전 세계적으로 희귀의약품은 정부차원에서 개발을 장려하여 시장규모가 급속도로 성장하고 있으며, 높은 투자가치를 보유함. 긴급한 미충족 의료수요를 해결하기 위해 임상시험 승인 절차가 비교적 간소화되며 미국에서는 희귀의약품 지정제도를 통해 연구개발을 지원, 7년 간의 독점권을 부여하는 등 기업에 큰 재정적·사회적 이점을 제공함. 국내 희귀의약품 시장의 성장은 글로벌 경쟁력을 강화하고 국민들의 경제적 부담 완화 및 치료 접근성을 개선하여 국가적으로도 큰 경제적 부가가치를 창출할 수 있음

○ RWD 외부대조군의 활용은 의약품 개발과 규제과학의 새로운 패러다임으로 자리 잡아가고 있음. 특히, 희귀질환이나 생명을 위협하는 질환과 같이 전통적인 무작위배정 임상시험 수행이 제한되는 상황에서 이를 대체할 수 있는 윤리적이고 현실적인 방법으로 주목받고 있으며, 신약의 신속한 허가를 위한 규제적 의사결정에서 중요한 RWE로 작용할 수 있음

16) 후생신보, “의약품 재심사 제도 폐지, 안전관리제도 일원화한다”, 2024.2.1.
17) 식품의약품안전처, “신약 등의 재심사 업무 가이드라인(민원인 안내서)”, 2019.12.

○ 그러나 외부대조군의 성공적인 활용을 위해서는 몇 가지 필수적인 요건들이 충족되어야 함. 데이터의 신뢰성과 연구설계의 견고함, 그리고 규제기관과의 긴밀한 의사소통이 필수적임. 따라서 법적·제도적 기반을 강화하고, 데이터의 품질을 보장하는 체계를 마련하고, 전문가 교육 및 역량 강화를 통해 RWD와 외부대조군은 보다 폭넓게 활용될 수 있을 것임

○ 이를 통해 임상시험의 효율성과 신약개발 속도를 높여, 환자들에게 더 빠르고 안전한 치료 옵션을 제공할 수 있을 것으로 기대됨

<표 2> RWD 외부대조군 활용을 위한 주체별 대응방안

주체	대응 및 주요내용
정부	▸ **의사소통 강화** - 규제 의사결정에서 RWD 연구 활용에 대한 청사진 제시 - RWD/RWE 연구에 대한 규제기관의 이해 및 수용성 확대 - 데이터보유자, 규제기관, 제약기관 등을 포함한 다양한 이해관계자의 의견 조율 - 규제적으로 RWD를 활용하고자 하는 제약업계와의 사전 합의 및 지속적인 의사소통
	▸ **규제적 기반 및 거버넌스 마련** - RWD 연구가 허용되는 상황에 대한 법적근거 마련 - 데이터 활용과 개인정보보호 간 균형적인 해결점 제시 - 규제과학 분야에서 활용가능한 RWD의 범위에 대한 안내 - 제약업계를 포함한 RWD 연구 수행자들의 데이터 접근성 확보 - RWD 활용 연구 및 RWE 평가 가이드라인 개발 및 다양한 모범사례 제시
	▸ **전문가 교육 강화** - 규제적으로 수용가능한 RWD 연구수행을 위한 정기적 전문가 교육 실시 - 제출된 RWD 및 RWE를 적합하게 평가 및 해석할 수 있는 내부 인력양성
제약업계 및 연구자	▸ **목적에 맞는 RWD 활용 및 연구수행** - 목적에 맞는 명확한 가설 및 RWD 선택 - 목적에 맞는 RWD 연구설계 및 통계분석 방법의 적용
	▸ **타당도 높은 RWD 연구수행** - 규제기관과의 지속적인 의사소통 - RWD 연구 사전 프로토콜 작성 및 성실한 이행 - 연구 과정 및 결과에 대한 명확한 설명 및 해석 - 다양한 역학적, 통계학적 연구방법론을 통한 결과의 타당성 및 신뢰성 강화
데이터 보유자	▸ **RWD 품질관리 및 보증** - RWD 품질관리 및 보증에 대한 명확한 SOP 마련 및 공개
	▸ **원활한 데이터 제공 및 개인정보보호** - 연구의 목적 및 시급성을 고려한 유연하고 신속한 제공 - 자료 제공 및 개인정보보호에 대한 균형 달성

※ 본 리포트의 내용은 한국제약바이오협회의 공식적인 의견이 아닌 집필자의 견해이며 동 내용을 인용 시 출처를 밝혀야 합니다.

글로벌 주요 동향

◆ 유럽, 의약품 허가신청 정보 지침 개정

- 유럽 의약품청(EMA)와 유럽 의약품안전관리기구(HMA)는 인체용 의약품의 허가신청(Marketing Authorization Application, MAA)에 포함된 상업적인 기밀 정보를 공개하도록 관련 개인 데이터 및 상업 기밀 정보 식별 지침을 개정
- 개정 지침은 의약품 제조, 시설 및 장비에 관한 정보, 회사 간 계약 등을 제외한 대부분의 허가신청 정보를 공개하도록 하여 투명성을 보장

Pink Sheet, "Move Towards 'Default Disclosure' In Revamped EU Transparency Guidance Concerns Industry", 2024.12.19.
EMA, "HMA/EMA Guidance Document On The Identification Of Personal Data And Commercially Confidential Information Within The Structure Of The Marketing Authorization Application (MAA) Dossier", 2024.12.12.

◆ 영국, 희귀질환 맞춤형 규제 경로 개발

- 영국은 2026년까지 희귀질환이 있는 어린이를 위한 의약품 개발 및 환자 접근성 개선을 목표로 RTLP(Rare Therapies Launch Pad) 시범 사업을 시행
- 해당 사업은 환자의 진단 개선, 치료법의 설계 및 신속한 제조, 고도로 개별화된 환자 치료법 등을 평가하는 희귀질환 맞춤형 규제 경로를 구축할 계획

Pink Sheet, "UK's Rare Therapies Launch Pad To Be 'Fully Operational' By Year-End", 2024.12.20.
https://www.gov.uk/government/publications/england-rare-diseases-action-plan-2024/england-rare-diseases-action-plan-2024-main-report

◆ FDA, 2024년 총 61품목 신약 허가

- 2024년 미국 식품의약국(FDA)은 총 61품목의 신약을 허가. 의약품평가연구센터(CDER)는 50개 품목, 생물의약품평가연구센터(CBER)는 11개 품목을 승인(※붙임 참고)

PinkSheet, "Podium Finish: US FDA's 61 Novel Approvals In 2024 Fall Short Of 2023 Peak But Exceed Average", 2025.1.1.
FDA, "Novel Drug Approvals for 2024", 2025.1.7.
FDA, "2024 Biological License Application Approvals", 2024.12.18.

◆ 호주, 의약품 및 의료기기 리콜 신규 절차 도입

- 호주 연방의료제품청(TGA)은 2025년 3월부터 새로운 의약품 리콜, 제품 경고 및 수정 절차(Procedure for Recalls, product Alerts and product Corrections, PRAC)를 시행할 예정
- PRAC 도입으로 절차 간소화, IT 시스템 업데이트 등 의약품 리콜 절차의 적시성·효율성 개선을 통해 환자의 피해 감소 및 제약사의 규제부담 완화를 기대

Pink Sheet, "Australia Unveils Final Product Recall Reforms Ahead Of March Implementation", 2025.1.6.

◆ 2025년, 글로벌 기업 경영진의 낙관적 업계 전망

- Deloitte社가 글로벌 생명과학 분야 최고 경영진 150명을 대상으로 실시한 설문조사에서 응답자의 75%가 2025년 제약바이오 업계를 낙관적으로 전망함
- 경영진들은 특히, 관심을 가져야 할 핵심 분야로 ①지속적인 디지털 혁신 활용, ②R&D 및 포트폴리오 전략 설계, ③사업 변동성에 대한 대비, ④고객의 기대에 부응하는 사업 전략 재편 등을 제시

Fierce Pharma, "From AI And Layoffs To Supply Chains And Political Unknowns, Deloitte Outlines Key Areas For Biopharma To Watch In 2025", 2024.12.26.

◆ 일본, 약가개정 계획에 따른 업계 우려

- 일본은 오는 4월 1일 시작되는 2025년 회계연도에 중간년도(off-year) 약가개정*을 시행할 예정. 약가인하 규모에 따라 제약업계의 부담 심화가 우려됨

  * 의료비 상승 억제를 위해 2021년부터 시작된 중간년개정(中間年改定)은 2년에 1번 있었던 약가개정 사이의 연도(중간년)에 약가조사를 실시하여 추가로 약가를 개정

- 후생노동성(MHLW)은 광범위한 약가 재조정을 통해 의약품 총 지출액 2,466억 엔, 정부 비용 648억 엔 절감 및 국민건강보험제도 재정의 지속가능성 목표를 발표

Pink Sheet, "Japan's 2025 'Off-Year' Price Cut Stirs Deeper Concerns", 2024.1.7.

◆ FDA, 규제 의사결정을 위한 AI 사용 지침 공개

- 미 FDA는 의약품의 안전성, 유효성 및 품질 관련 규제 의사결정에 활용되는 정보/데이터 생성을 위한 인공지능(AI) 사용 지침 초안을 발표
- 해당 지침은 AI 모델에 대한 위험성, 모델 신뢰성 평가 계획의 개발 및 실행, 결과 문서화, 유지 관리 등 내용을 포함

Raps, "AI In Drug Development: FDA Draft Guidance Addresses Product Lifecycle, Risk", 2025.1.7.
FDA, "Considerations for the Use of Artificial Intelligence To Support Regulatory Decision-Making for Drug and Biological Product", 2025.1.

◆ 인도, 의약품 규제 개혁 가속화

- 인도는 지난해에 이어 2025년에도 제조·품질 관련 우수제조기준(GMP) 개정, 제약회사의 비윤리·불법적 마케팅 관행 억제, 임상시험 면제·간소화 및 임상시험 수탁기관(CRO)의 의무 등록 등 주요 규제 개선과 추가 조치가 예상

Pink Sheet, "Key India Regulatory Advances To Watch In 2025", 2025.1.10.

■ 붙임: 2024년 FDA 허가 신약 현황

▶ CDER(Center for Drug Evaluation and Research) 50건

순번	제품명	성분명	제약사	적응증	모달리티	허가일
1	Zelsuvmi	berdazimer	Ligand/Pelthos	물사마귀(물렁종)	저분자화합물	'24.1.5.
2	Exblifep	cefepime, enmetazobactam	Allecra	요로감염	저분자화합물	'24.2.22.
3	Letybo	letibotulinumtoxinA -wlbg	Hugel	중증 눈썹 사이 주름	톡신	'24.2.29.
4	Tevimbra	tislelizumab-jsgr	Beigene	전이성 식도편평세포암	단일클론항체	'24.3.13.
5	Rezdiffra	resmetirom	Madrigal	비알코올성 지방간염	저분자화합물	'24.3.14.
6	Tryvio	aprocitentan	Idorsia	저항성 고혈압	저분자화합물	'24.3.19.
7	Duvyzat	givinostat	Italfarmaco	듀센 근이영양증	저분자화합물	'24.3.21.
8	Winrevair	sotatercept-csrk	Merck & Co.	폐동맥 고혈압	재조합 융합단백질	'24.3.26.
9	Vafseo	vadadustat	Akebia	만성 신장병 빈혈	저분자화합물	'24.3.27.
10	Voydeya	danicopan	AstraZeneca/ Alexion	발작성 야간 혈색소뇨증	저분자화합물	'24.3.29.
11	Zevtera	ceftobiprole medocaril sodium	Basilea Pharmaceutica	다제내성균 항생제	저분자화합물	'24.4.3.
12	Lumisight	pegulicianine	Lumicell	유방암 수술조영제	저분자화합물	'24.4.17.
13	Anktiva	nogapendekin alfa inbakicept-pmln	Immunitybio/ Altor Bioscience	방광암	재조합 융합단백질	'24.4.22.
14	Ojemda	tovorafenib	Day One Biopharmaceuticals	소아 저등급 신경교종	저분자화합물	'24.4.23.
15	Xolremdi	mavorixafor	X4 Pharmaceuticals	희귀 유전질환 WHIM 증후군	저분자화합물	'24.4.26.
16	Imdelltra	tarlatamab-dlle	Amgen	소세포 폐암	이중특이성 항체	'24.5.16.
17	Rytelo	imetelstat	Geron	골수이형성증후군	올리고 뉴클레오타이드	'24.6.6.
18	Iqirvo	elafibranor	Ipsen	원발성 담즙성 담관염	저분자화합물	'24.6.10.
19	Sofdra	sofpironium	Botanix	원발성 겨드랑이 다한증	저분자화합물	'24.6.18.
20	Piasky	crovalimab-akkz	Genentech/Chugai	발작성 야간 혈색소뇨증	단일클론항체	'24.6.20.
21	Ohtuvayre	ensifentrine	Verona	만성 폐쇄성 폐질환	저분자화합물	'24.6.26.
22	Kisunla	donanemab-azbt	Eli Lilly	알츠하이머	단일클론항체	'24.7.2.
23	Leqselvi	deuruxolitinib	Sun Pharma	원형탈모증	저분자화합물	'24.7.25.
24	Voranigo	vorasidenib	Servier	2등급 신경교종	저분자화합물	'24.8.6.
25	Yorvipath	palopegteriparatide	Ascendis	부갑상선기능저하증	호르몬 유사체	'24.8.9.
26	Nemluvio	nemolizumab-ilto	Galderma	결절성 양진(아토피)	단일클론항체	'24.8.12.
27	Livdelzi	seladelpar	Gilead	원발성 담즙성 담관염	저분자화합물	'24.8.14.
28	Niktimvo	axatilimab-csfr	Incyte/Syndax	만성 이식편대숙주질환	단일클론항체	'24.8.14.
29	Lazcluze	lazertinib	Janssen/J&J	비소세포폐암	저분자화합물	'24.8.19.
30	Ebglyss	lebrikizumab-lbkz	Eli Lilly	아토피 피부염	단일클론항체	'24.9.13.
31	Miplyffa	arimoclomol	Zevra Denmark	C형 니만-피크병	저분자화합물	'24.9.20.
32	Aqneursa	levacetylleucine	Intrabio	C형 니만-피크병	저분자화합물	'24.9.24.
33	Cobenfy	xanomeline and trospium chloride	Bristol Myers Squibb/ Karuna	조현병	저분자화합물	'24.9.26.
34	Flyrcado	flurpiridaz F 18	GE Healthcare	양전자방출단층촬영(PET) 심근관류 영상약제	저분자화합물	'24.9.27.
35	Itovebi	inavolisib	Genentech	국소진행/전이성 유방암	저분자화합물	'24.10.10.
36	Hympavzi	marstacimab-hncq	Pfizer	A·B형 혈우병	단일클론항체	'24.10.11.
37	Vyloy	zolbetuximab-clzb	Astellas	위암	단일클론항체	'24.10.18.
38	Orlynvah	sulopenem etzadroxil, probenecid	Iterum Therapeutics	요로감염	저분자화합물	'24.10.25.
39	Revuforj	revumenib	Syndax	급성 백혈병	저분자화합물	'24.11.15.
40	Ziihera	zanidatamab-hrii	Jazz/Zymeworks	HER2 양성 담도암	이중특이성 항체	'24.11.20.

순번	제품명	성분명	제약사	적응증	모달리티	허가일
41	Attruby	acoramidis	Bridgebio Pharma	ATTR-CM 심근병증	저분자화합물	'24.11.22.
42	Rapiblyk	landiolol	AOP Orphan Pharmaceuticals	상심실설 빈맥	저분자화합물	'24.11.22.
43	Iomervu	iomeprol	Bracco Diagnostics	방사선 조영제	저분자화합물	'24.11.27.
44	Bizengri	zenocutuzumab-zbco	Merus	비소세포폐암, 췌장암	이중특이성 항체	'24.12.4.
45	Unloxcyt	cosibelimab-ipdl	Checkpoint	피부암	단일클론항체	'24.12.13.
46	Crenessity	crinecerfont	Neurocrine	선천성 부신과형성증	저분자화합물	'24.12.13.
47	Ensacove	ensartinib	Xcovery	비소세포폐암	저분자화합물	'24.12.18.
48	Tryngolza	olezarsen	Ionis	킬로미크론혈증 증후군	올리고뉴클레오타이드	'24.12.19.
49	Alyftrek	vanzacaftor, tezacaftor, and deutivacaftor	Vertex	낭포성 섬유증	저분자화합물	'24.12.20.
50	Alhemo	concizumab-mtci	Novo Nordisk	A·B형 혈우병	단일클론항체	'24.12.20.

출처: FDA CDER('25)

▶ CBER(Center for Biologics Evaluation and Research) 11건

순번	제품명	성분명	제약사	적응증	모달리티	허가일
1	Amtagvi	Lifileucel	Iovance	고형암	TIL 세포치료제 (T세포 기반)	'24.2.16.
2	Lenmeldy	atidarsagene autotemcel	Orchard	이색성 백질이영양증	유전자치료제 (세포 기반)	'24.3.18.
3	Beqvez	elaparvovec-dzkt	Pfizer	B형 혈우병	유전자치료제 (바이러스 기반)	'24.4.25.
4	mResvia	respiratory syncytial virus vaccine	Moderna	호흡기세포융합바이러스 감염	mRNA 백신	'24.5.31.
5	Yimmugo	immunoglobulin intravenous, human-dira	Biotest (Grifols)	원발성 면역 결핍증	다클론항체	'24.6.13.
6	Capvaxive	pneumococcal 21-valent conjugate vaccine	Merck	폐렴구균	백신	'24.6.17.
7	Tecelra	afamitresgene autoleucel	Adaptimmune	고형암	TCR-T 세포치료제 (T세포 기반)	'24.8.1.
8	Aucatzyl	obecabtagene autoleucel	Autolus	급성 림프모구성 백혈병	CAR-T세포치료제 (T세포 기반)	'24.11.8.
9	Kebilidi	eladocagene exuparvovec-tneq	PTC Therapeutics	방향족 L-아미노산 탈탄산효소(AADC) 결핍증	유전자치료제 (바이러스 기반)	'24.11.13.
10	Ryoncil	remestemcel-L-rknd	Mesoblast	스테로이드 내성 급성 이식편대숙주병	줄기세포치료제	'24.12.18.
11	Symvess	acellular tissue engineered vessel-tyod	Humacyte	혈관 외상	무세포 조직공학	'24.12.19.

출처: FDA CBER('25)