# 안전성·유효성 심사결과

(□최초, ■변경)

2015년 5월 6일

| 담당자 | 연구관 | 과 장 |
|---|---|---|
| 백대현 | 정지원 | 박윤주 |

| | | | |
|---|---|---|---|
| ① 회 사 명 | 동아에스티(주) | ② 문서번호 | 접수번호: 20140222421<br>접수일자: 2014.12.18 |
| ③ 제 품 명 | 그로트로핀투주<br>(재조합인성장호르몬) | ④ 구분 | 전문의약품, 제조,<br>뇌하수체호르몬제<br>(분류번호 : 241) |
| ⑤ 원료약품분량<br>(주성분) | 1 바이알 중<br>재조합인성장호르몬(소마트로핀)(별규) 4 아이유 | | |
| ⑥ 성 상 | 백색 또는 백색에 가까운 균질한 분말을 함유하며 사용시 용제로 녹여 사용하는 주사제이다 | | |
| ⑦ 신청효능·효과 | 1. 뇌하수체 성장호르몬 분비장애로 인한 소아의 성장부전<br>2. 소아의 특발성 저신장증(ISS) | | |
| ⑧ 신청용법·용량 | 이 약의 용법 및 용량은 환자마다 개별화 되어야 한다.<br>1. 뇌하수체 성장호르몬 분비장애로 인한 소아의 성장부전<br>권장용량으로 1주일에 체중 kg 당 0.6IU(0.2mg) 또는 1주일에 체표면적(㎡) 당 14.4IU(4.8mg)을 피하주사 시에는 5~7회, 근육주사 시에는 2~4회 분할 투여한다.<br>2. 소아의 특발성 저신장증(ISS)<br>권장용량으로 1주일에 체중 kg 당 1.1IU(0.37mg)을 6~7회 분할하여 피하주사한다. | | |
| ⑨ 신청저장방법<br>및 사용기간 | 전과 동일 | | |
| ⑩ 기원 및<br>개발경위 | 효능·효과 변경(소아 특발성 저신장증 추가) | | |
| ⑪ 약리작용기전 | 성장호르몬(소마트로핀)에 의한 체내 뼈, 연골등의 성장 및 지방분해, 단백질 합성 촉진 | | |
| ⑫ 국내외<br>사용현황 | 품목허가 : 1996.02.16 | | |

| | |
|---|---|
| ⑬ 관련조항 | 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정(식품의약품안전처 고시 제2013-193호, 2013.07.05.) 제6조, 제23조 제1항 [별표1] II. 자료제출의약품 |
| ⑭ 검토결과 | 적합 |
| 붙임 1. 안전성·유효성 검토 요약 보고서 | |

# (붙임 1) 안전성·유효성 검토 요약 보고서

## <안전성·유효성 심사관련 제출자료 목록>

○ **관련규정** : 생물학적제제 등의 품목허가·심사 규정(식품의약품안전처 고시 제2013-193호, 2013.07.05.) 제6조, 제23조 제1항, [별표 1] II. 자료제출의약품 2) 당해품목 허가변경 1. 새로운 효능·효과

| 구분 \ 자료번호 | 1 | 2 | | | | | | | | | | | | | | | 3 | | | | | | 4 | | | | | | 5 | | | | 6 | | 7 | 8 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| | | 가 | | | | | | | | 나 | | | | | | | 가 | | | 나 | | | 가 | 나 | 다 | 라 | 마 | 바 | 가 | 나 | 다 | 라 | 가 | 나 | | |
| | | (1) | (2) | (3) | (4) | (5) | (6) | (7) | (8) | (1) | (2) | (3) | (4) | (5) | (6) | (7) | (1) | (2) | (3) | (1) | (2) | (3) | | | | | | | | | | | | | | |
| 자료범위 1. 새로운 효능·효과 | ○ | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | ○ | X | △ | X | ○ | X | ○ | ○ |
| 제출여부 | ○ | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | X | ○ | X | ○ | ○ |
| 면제사유 | 5. 가. 효력시험자료 및 다. 흡수, 분포, 대사 및 배설 시험자료는 이전 허가 시 제출된 자료로 갈음함 | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | | |

## ○ 제출자료 목록

**1. 기원 또는 발견 및 개발경위에 관한 자료**

**6. 임상시험성적에 관한 자료**

가. 임상시험자료집

**7. 국내·외에서의 사용 및 허가 현황 등에 관한 자료(기타 WHO 가이드라인 및 공정서 수재내용 등의 자료 등)**

**8. 기타 해당 의약품의 특성에 관한 자료(천연물과의 동질성을 확인 할 수 있는 자료 등)**

## <안전성·유효성 검토 요약>

### [심사자 종합 검토의견]

• 특발성 저신장증 환자를 대상으로 비교한 임상시험 결과 신청 적응증에 대한 안전성·유효성이 인정됨

## 1. 기원, 발견 및 개발경위에 관한 자료

### 1.1. 기원 및 개발경위

• 기 허가 품목인 그로트로핀투의 효능효과 추가(특발성 저신장증(ISS) 환아에서의 성장장애)

## 6. 임상시험에 관한 자료

### 6.1. 임상시험자료집(Clinical Data Package, CDP)

#### 6.1.1. 개요

• 특발성 저신장증 환자를 대상으로 한 1건의 임상시험성적이 제출되었음(3상 1건)

| 연번 | 단계 | 시험번호 | 디자인 | 대상 질환 | 시험대상자수(N) | 용법용량 | 결과 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| 1 | 3 | DA3002_ISS_III | 공개, 다기관, 대조, 무작위 배정, 제 3상 임상시험 | 특발성 저신장증 | 70 명 | 1.11IU(0.37mg)/kg/week로 1주일에 6~7회 분할하여 피하주사 | · 26주 후 성장속도(cm/year)는 대조군에 비해 시험군에서 통계적으로 유의하게 증가<br>· 이상반응 발현 양상은 두 군이 유사한 양상을 보임 |

#### 6.2.1. 검토의견

• 특발성 저신장증 환자에 대한 임상시험 결과 대조군에 비해 성장속도에 있어서의 우월성이 인정됨.

## 7. 국내·외에서의 사용 및 허가 현황 등에 관한 자료

• 해당사항 없음

## 8. 기타 해당 의약품의 특성에 관한 자료

• 해당사항 없음