안전성·유효성 심사결과

(□최초, ■변경)

2015년 5월 6일

담당자	연구관	과 장
백대현	정지원	박윤주

① 회 사 명	동아에스티(주)	② 문서번호	접수번호: 20140222434 접수일자: 2014.12.18
③ 제 품 명	그로트로핀투주12IU (재조합인성장호르몬)	④ 구분	전문의약품, 제조, 뇌하수체호르몬제 (분류번호 : 241)
⑤ 원료약품분량 (주성분)	1 바이알 중 재조합인성장호르몬(소마트로핀)(별규) 12 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 2. 소아의 특발성 저신장증(ISS)		
⑧ 신청용법·용량	이 약의 용법 및 용량은 환자마다 개별화 되어야 한다. 1. 뇌하수체 성장호르몬 분비장애로 인한 소아의 성장부전 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. 2. 소아의 특발성 저신장증(ISS) 권장용량으로 1주일에 체중 kg 당 1.1IU(0.37mg)을 6~7회 분할하여 피하주사한다.		
⑨ 신청저장방법 및 사용기간	전과 동일		
⑩ 기원 및 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 사용현황	품목허가 : 2003.06.20		

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 · 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