

해외의약뉴스

낭포성 섬유증 치료제가 FDA 자문 패널의 승인을 받다.

개요

미국 식품의약품국의 자문위원회는 낭포성 섬유증 환자 절반에 가까운 사람들에게 결과적으로 도움을 줄 수 있는 Vertex 제약사의 두 번째 신약인 오캄비(Orkambi)에 대해 승인을 권고했다.

키워드

낭포성 섬유증 치료제, Vertex, Orkambi, Kalydeco

지난 5월 12일 미국 식품의약품국(FDA) 자문위원회는 낭포성 섬유증을 앓고 있는 환자들의 절반 가까이에 도움을 줄 수 있는 Vertex사(社)의 치료제 승인을 권고하였다.

미국 식품의약품국 자문위원회는 Vertex사가 오캄비(Orkambi)라고 명명할 계획인 치료제가 승인을 받기에 충분히 안전하고 효과가 있다고 12대 1로 표결하였으며, 미국 식품의약품국은 7월 5일까지 의사결정 할 예정이다.

이 치료제는 Vertex사에서 나온 두 번째 낭포성 섬유증 치료제가 될 것이며, 증상을 치료하기 보다는 질병을 일으키는 유전적 결함을 대응하는데 직접 작용하는 두 번째 신약이 될 것이다. Vertex사는 이 치료제가 사업 26년 만에 회사에 일정한 수익을 가져다 줄 것으로 기대하고 있다.

Vertex사는 이미 낭포성 섬유증의 근본적인 유전적 결함에 작용하는 최초의 치료제인 칼리데코(Kalydeco)를 판매하고 있다. 그러나 칼리데코는 미국 내 30,000명의 낭포성 섬유증 환자 중에서 약 2,000명에게만 적용되었다.

신약인 오캄비(Orkambi)는 F508del로 알려진, 가장 일반적인 돌연변이의 두 가지 복제를 갖고 있는 환자들을 위한 것으로 12세 이상의 약 14,000명의 환자들에게 적용할 수 있다. Vertex사는 현재 6세 정도의 어린 아이들에게 약물을 시험하고 있다.

낭포성 섬유증은 유전자의 돌연변이로 인해 발생하는 유전질환으로, 끈끈한 점액이 폐에 축적되어 호흡할 수 있는 능력을 점진적으로 감소시킨다. 호흡 부전으로 인한 사망은 20대, 30대 또는 40대 때 종종 발생한다.

미국식품의약품국(FDA)는 오캄비(Orkambi)가 위약에 비해 약 3% 포인트 가량 밖에는 폐 기능을 개선하지 못함으로써 완만한 효과만 가진다고 언급하였으나, 임상시험에서 이 치료제를 복용했던 일부 환자들

은 오캄비(Orkambi)가 기침을 줄이고, 운동을 더 잘 할 수 있게 해주며, 체중증가에 도움을 주고, 병원에 방문하는 빈도를 감소시키는 데 도움을 줌으로써 그들의 삶에 큰 차이를 만들었다고 말했다.

미시간 Ann Arbor의 Jeff Masters(36세)는 “연구 결과에서는 오캄비(Orkambi)가 나의 폐 기능을 급격하게 개선시키지 않을 수도 있지만, 나는 이 자리에서 이 약이 내 인생을 구했다고 확실히 말할 수 있다.”고 말했다. 그는 심지어 5km 경주를 달릴 수 있게끔 만들 정도로 오캄비(Orkambi)가 “내가 기억할 수 있는 한 최고의 삶의 질”을 가져다주었다고 말했다.

오캄비(Orkambi)는 칼리데코(Kalydeco)의 성분인 이바카프토(ivacaftor)와 두 번째 약물인 루마카프토(lumacaftor)의 병용요법제이다. 미국 식품의약품국의 검토관은 두 번째 약물인 루마카프토(lumacaftor)가 정말 뭔가를 추가하는 것인가라는 의문을 제기하면서, 오캄비(Orkambi)의 폐 기능에 대한 효과가 환자에게 단독요법으로 이바카프토(ivacaftor)를 사용하는 것보다 확연하게 더 좋아보이지는 않는다고 주장했다.

일반적으로 승인을 받기 위해서는 오캄비(Orkambi) 같은 병용된 약물은 두 구성 성분이 각각 사용되었을 때 보다 더 나은 점이 보여야만 한다.

그러나 Vertex사는 미국 식품의약품국이 초기연구들은 두 성분이 개별적으로는 작용하지 않는다는 것을 제시해 왔으며, 이바카프토(ivacaftor)의 단독 연구는 그것이 어떻게 효과적일 수 있는지에 대해 몇 가지 의문을 남겼다는 좋은 이유를 들어 반론하였다.

Gaithersburg, Md. 회의에서 위원회는 루마카프토(lumacaftor)의 실제 효능의 부가 여부에 따라 의견이 나뉘었으나, 많은 회원들은 이용 가능한 데이터만으로는 판단할 수가 없다고 말했다.

결국 병용약물은 효능을 나타내었으며, 이바카프토(ivacaftor)의 단독요법으로 사용된 경우와 비교하여 어떠한 실제적인 안전의 우려를 보이지도 않았다.

콜로라도 공중보건학교의 의료 시스템, 운영 및 정책 분야 선임교수인 Elaine H. Morrato 위원은 “나는 우리가 오늘날 처한 현실에서, 엄청난 미충족 의료수요(unmet medical need)가 주어진 상황이라면, 환자에게 약에 대한 접근을 제공하는 쪽으로 오류를 범하기로 결심했다.”고 말했다.

향후 만약 치료제가 승인되더라도, Vertex사는 다소 의심스러운 효능으로 인해 보험사가 의약품에 대한 비용을 지불하도록 하는데 따른 어려움에 직면할 수 있다. 칼리데코(Kalydeco)는 연간 30만 달러 이상의 비용이 들지만, 오캄비(Orkambi)는 많은 환자수와 칼리데코 만큼의 효능이 있지 않기 때문에 좀 더 저렴할 것으로 예상된다.

■ 원문정보 ■

http://www.nytimes.com/2015/05/13/business/cystic-fibrosis-drug-wins-approval-of-fda-advisory-panel.html?ref=health&_r=1