

## EU, 2번째 유전자치료제 '스트림벨리스' 승인

- ◇ 영국의 제약회사 GSK에서 개발한 줄기세포·유전자치료제 '스트림벨리스'를 EU에서 2번째 유전자치료제이자 세계 최초 소아용 유전자치료제로 승인함에 따라 관련 내용 정리

### ■ EU, 2번째 유전자치료제이자 세계 최초 소아용 유전자치료제 승인

- 유럽의약품청(European Medicines Agency, EMA)은 글리베라(Glybera)\*에 이어 **2번째로 유전자치료제 '스트림벨리스(Strimvelis)'의 시판을 승인(2016.6)**
  - \* 네덜란드의 생명공학 기업인 유니큐어(UniQure)사가 개발한 세계 최초의 희귀질환(지질분해 효소결핍증) 유전자치료제로, 글리베라 가격은 110만유로(약 15.2억원)로 고가의 약가가 책정되는 신기록 기록. 유니큐어는 미국 FDA에서도 글리베라의 승인을 신청해 2018년까지 판매허가를 받을 수 있을 것으로 기대
- 스트림벨리스는 **희귀질환인 아데노신 디아미나아제 결핍증(ADA-SCID)\*을 대상으로 한 유전자치료제로 소아 환자에게 사용할 수 있도록 승인**
  - \* 중증합병면역결핍증(Severe combined immunodeficiency, SCID)은 면역계통 구성 요소의 기능장애에 의하여 발생하는 질환으로, 상염색체 열성으로 유전되는 SCID 중 50%가 아데노신 디아미나아제(Adenosine Deaminase, ADA) 결핍이 요인

### ■ 스트림벨리스 기술개발 내용

- 환자 본인의 줄기세포를 일부 분리한 후, 바이러스 벡터를 이용해 결함이 있는 아데노신 디아미나아제(ADA) 유전자에 **건강한 유전자를 줄기세포에 삽입하는 기술 이용**
  - 치료 목표는 교정된 줄기세포들이 환자의 면역체계를 바로 잡고 감염에 대항하는 기능을 회복시키는 것
  - **ADA-SCID 소아 환자 18명을 대상으로 임상시험을 수행한 결과 3년차인 현재까지 100% 생존율 기록**
    - ※ ADA-SCID 소아는 면역 체계가 충분히 기능하지 않아 일상적인 감염에 대항할 능력 부족, 즉각적인 치료를 하지 않을 경우 생후 1년 내에 사망
- GSK는 스트림벨리스 가격을 글리베라(110만유로, 약 15.2억원) 보다 **상당히 낮은 수준에서 책정할 계획**
  - 스트림벨리스는 개별 환자의 세포를 채취해 발병 원인에 따라 대응할 수 있는 특성 보유

■ 스트림벨리스 승인으로 유전자치료제 개발 활성화 전망

- 유전자치료제는 한 번의 치료만으로 효과를 볼 수 있다는 장점이 있어 그동안의 여러 실패에도 불구하고 치료제 개발이 이어지는 중
  - 현재 스트림벨리스에 이어 유전자치료제 후보의 2~3상 시험이 활발하게 진행 중, 세 번째로 등장할 유전자치료제는 스파크 테라퓨틱스(Spark Therapeutics)\*사의 SPK-RPE65 유력
- \* 유전적 안질환인 레베르 선천성 흑암시에 대한 유전자치료제로 올 연말 미국 FDA 승인 신청이 예상되며, 승인을 취득하면 미국에서의 첫 번째 유전자치료제가 되며 5억달러(약 5,400억원) 이상의 매출도 가능할 것으로 전망

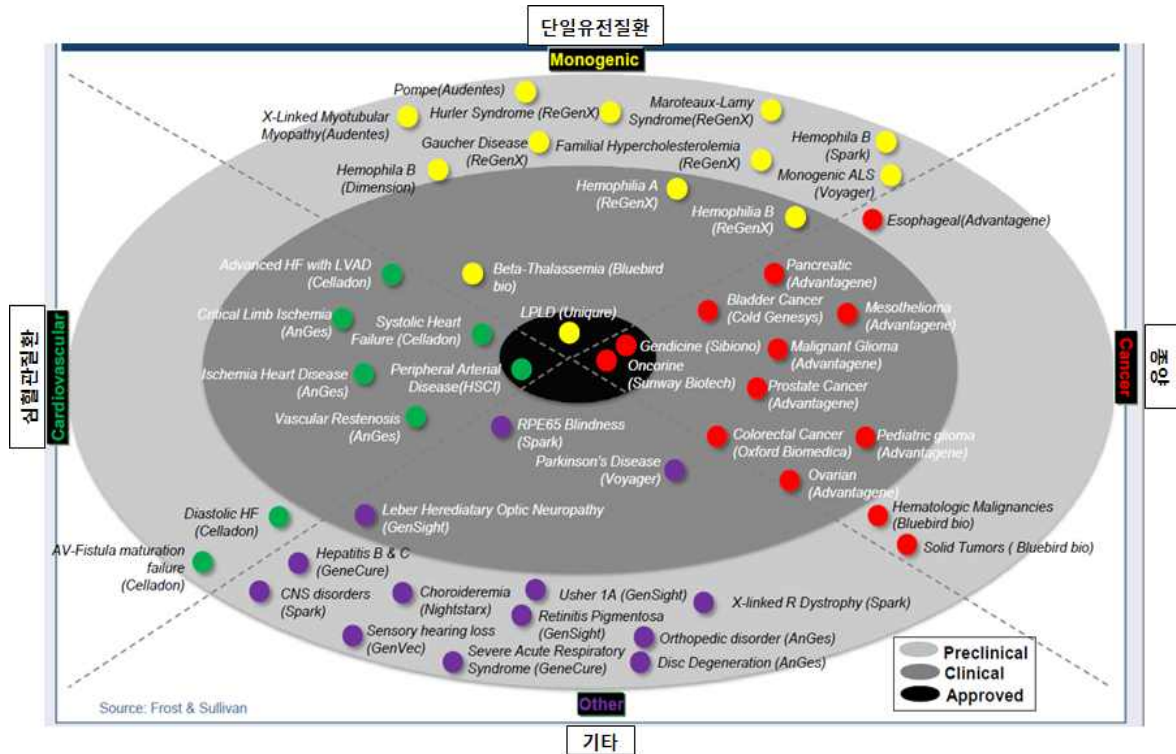
<승인 취득 및 취득이 임박한 주요 유전자치료제>

| 제품                | 제약업체      | 적응증                      | 현황                                  |
|-------------------|-----------|--------------------------|-------------------------------------|
| 젠다이신              | 센젠 시비오노   | 두경부암                     | 2003, 중국 승인 획득                      |
| 온코린               | 상하이 선웨이   | 두경부암                     | 2005, 중국 승인 획득                      |
| 글리베라              | 유니큐어      | 지질분해 효소결핍증               | 2012, EU 승인 획득                      |
| 스트림벨리스            | GSK       | ADA-SCID                 | 2016, EU 승인 획득<br>2017, 미국 승인 신청 예정 |
| SPK-RPE65         | 스파크 테라퓨틱스 | 레베르 선천성 흑암시              | 2017, 승인 신청 예정 (EU,미국)              |
| 렌타-D              | 블루버드 바이오  | 소아기 대뇌 부신 백질 영양장애 치료제    | 임상 3상 진행중                           |
| Ad-RTS-hIL-12     | 지오팜 온콜로지  | 유방암, 흑색종                 | 임상 2상 진행중                           |
| GSK2696275        | GSK       | 비스코트-올드리치증후군             | 임상 2상 진행중                           |
| LentiGlobin BB305 | 블루버드 바이오  | 베타 지중해 빈혈, 겸상 적혈구 빈혈 치료제 | 임상 2상 진행중                           |
| SPK-CHM           | 스파크 테라퓨틱스 | 맥락막결손                    | 임상 2상 진행중                           |
| BAX 335           | 박스텔라      | 혈우병 B                    | 임상 2상 진행중                           |

출처 : EP Vantage, Strimvelis approval could rejuvenate gene therapy arena, 2016.6, 일부 업데이트

- 임상단계의 유전자치료제는 종양과 단일유전질환 치료영역에 다수 분포
  - 종양에 대한 유전자치료제는 임상 단계로 많이 진입한 상태인 반면에 단일유전질환 관련 유전자치료제는 비임상 단계에서 개발이 활발히 추진 중
  - 심혈관질환에 대한 유전자치료제 또한 임상시험 단계에 비교적 활발하게 진입한 상황

<질환별/단계별 주요 유전자치료제 개발 현황>

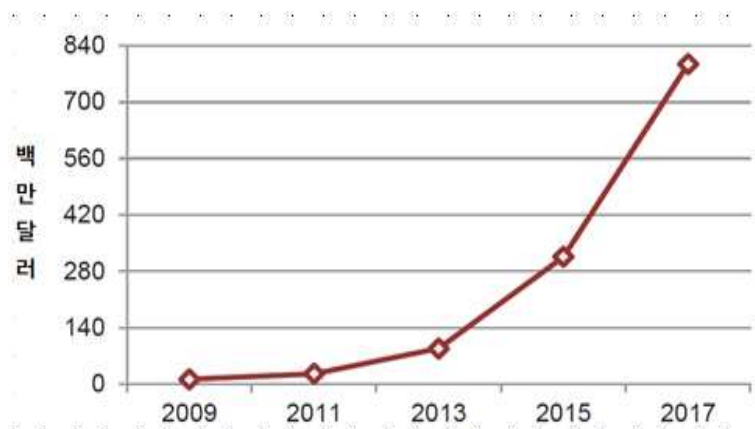


출처 : Frost&Sullivan, Advances in Gene Therapy, 2015.9; 생명공학정책연구센터 BioINdustry 105호, 유전자치료제 산업 전망, 2016.6

■ 글로벌 유전자치료제 시장 전망

- 글로벌 유전자치료제 시장은 2008~2017년 사이 연평균 64.7%로 성장하여 2017년에는 7.9억달러(약 8,800억원) 규모로 확대될 전망

<글로벌 유전자치료제 시장현황 및 전망>



| 연도         | 2008 | 2009 | 2010 | 2011 | 2012 | 2013 | 2014  | 2015  | 2016  | 2017  | CAGR(%) |
|------------|------|------|------|------|------|------|-------|-------|-------|-------|---------|
| 매출액 (백만달러) | 8.9  | 11.9 | 16.7 | 25.8 | 46.6 | 88.2 | 173.4 | 315.9 | 523.3 | 794.3 | 64.7    |

출처 : Global Industry Analysts, Gene Therapy, 2012; 생명공학정책연구센터 BioINdustry 105호, 유전자치료제 산업 전망, 2016.6

**참고** 유전자치료제의 미래를 밝게하는 3가지 사례

|   | 사례  | 주요내용  |
|---|---|---|
| 1 | 유니큐어(UniQure)<br>글리베라(Glybera)의<br>높은 약가 책정 | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 네덜란드의 생명공학 기업인 유니큐어가 개발한 글리베라는 희귀질환인 지질분해효소결핍증(LPLD)에 대한 유전자치료제</li> <li>- 세계 최초의 희귀질환 유전자치료제인 글리베라의 가격은 매우 고가인 110만유로(약 15.2억원)로 약가가 책정되는 신기록 기록</li> <li>- 유니큐어는 미국 FDA에서도 글리베라의 승인을 신청해 2018년까지 판매허가를 받을 수 있을 것으로 기대</li> </ul>   |
| 2 | 스파크 테라퓨틱스<br>(Spark Therapeutics)<br>주가 상승  | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 미국의 유전자치료제 개발 신생기업 스파크 테라퓨틱스가 기업상장을 단행하면서 한 주당 주가가 23달러에서 45달러로 2배 가까이 급등</li> <li>- 스파크 테라퓨틱스가 보유한 가장 유망한 제품은 현재 임상 3상 시험이 진행 중인 희귀 안구질환 치료제</li> </ul>   |
| 3 | 화이자(Pfizer)의<br>유전자치료제 주력<br>개발 계획          | <ul style="list-style-type: none"> <li>- 화이자는 유전자치료제 개발에 관심을 보이며, 관련 제품 개발을 위한 투자 시작</li> <li>- 화이자는 영국 전문가들이 이끄는 유전자치료 플랫폼을 설립했으며, 미국의 스파크 테라퓨틱스와 혈우병 치료제 개발 계약을 체결</li> <li>- 스파크 테라퓨틱스는 2015년 상반기 B형 혈우병에 대한 초기 임상시험을 시작할 예정</li> <li>- 스파크 테라퓨틱스는 1상 및 2상 임상시험을 담당하고, 화이자는 후기 임상시험과 치료제 승인 및 상업화를 담당할 예정</li> <li>- 화이자는 스파크 테라퓨틱스에 2,000만달러의 계약금을 지불했으며, 향후 성공에 따라 2.6억달러를 추가로 지급할 계획</li> </ul> |

출처 : PR Newswire, 'Gene Therapy Could Reach \$13 Billion As Products See Interest', 2015.2;  
생명공학정책연구센터 BioINwatch 15-92, 미국 최초 유전자치료제 출시 임박, 2015.11

본 내용은 연구자의 개인적인 의견이 반영되어 있으며, 생명공학정책연구센터의 공식 견해는 아닙니다.