

미국 FDA, 세 번째 유전자치료제(Zynteglo) 허가

- 미국 FDA, 렉스터나, 졸겐스마에 이어 세 번째 유전자치료제 진테글로 승인 -
- 미국에서 유전자치료제는 유전자변형 세포치료제에 비해 약 2배~7배 약가 형성 -

박봉현 책임연구원 · 오기환 센터장
한국바이오협회 바이오경제연구센터

◇ 블루버드 바이오의 베타-지중해 빈혈치료제 진테글로(Zynteglo) FDA 승인

- '22년 8월 17일, FDA는 유전성 혈액장애의 일종인 수혈 의존성 베타 지중해빈혈 환자 치료를 위한 유전자치료제 진테글로를 승인하였으며, 렌티바이러스 벡터에 대한 최초의 FDA 승인임.
- 단일 용량으로 투여되는 1회성 유전자치료제로 약 280만 달러에 책정될 수 있어 기존 시장에서 가장 비싼 치료제인 노바티스의 척수성 근위축증 유전자치료제 졸겐스마(약 210만 달러)를 능가할 것이라 예상
- 수혈 의존성 베타 지중해빈혈이 있는 성인과 어린이를 대상으로 한 2건의 임상 연구에서 진테글로를 투여받은 41명의 환자 중 89%가 최소 12개월 동안 적혈구 수혈이 필요하지 않는 수혈 독립을 달성함.
- 한편, 진테글로는 '19년 유럽에서 허가를 받은 후 180만 달러의 가격을 책정했으나 가격합의에 실패해 유럽시장에서는 철수
- 블루버드는 또한, 소아 환자의 조기 활동성 뇌 부신백질이영양증(CALD) 치료를 위한 일회성 요법인 엘리셀(Eli-cel)의 FDA 승인 심사도 진행되고 있어 추가 허가 예상

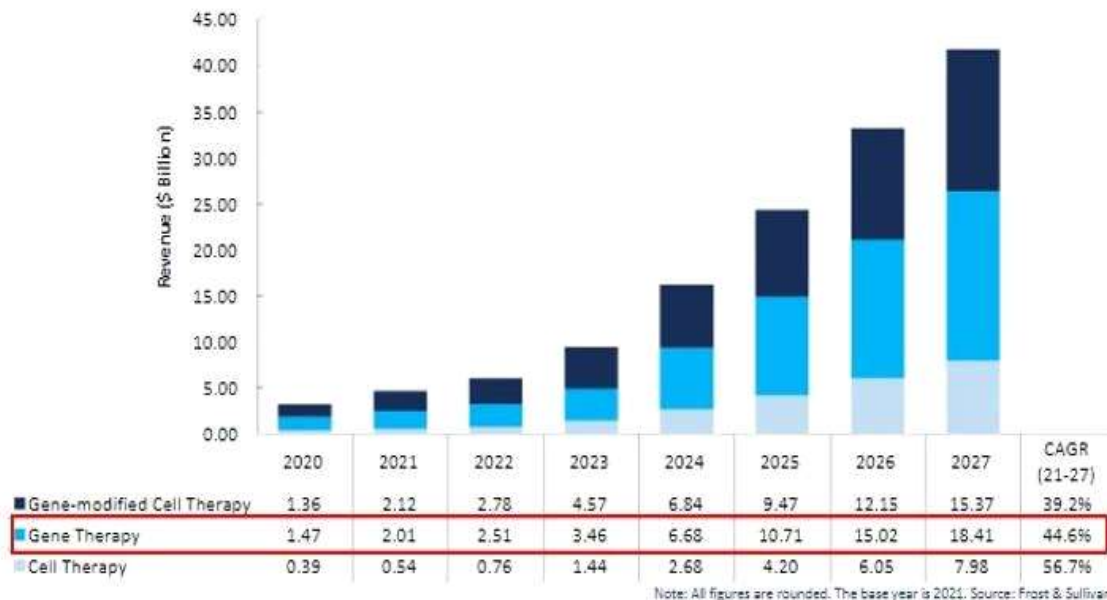
◇ 미국에서는 유전자변형 세포치료제 포함 총 10개의 유전자치료제 승인

- 전 세계적으로 20개 유전자치료제(유전자 변형 세포치료제 포함)가 승인되었으며, 이중 미국 FDA에서는 10개 승인(유전자변형 세포치료제 6개, 유전자변형 항암바이러스 1개, 유전자치료제 3개)
- 미국에서 허가된 3개의 유전자치료제 가격은 렉스터나 85만 달러, 졸겐스마 210만 달러, 이번에 허가된 진테글로 280만 달러로, 40만 달러 전후로 형성된 유전자변형 세포치료제에 비해 약 2배에서 7배 높은 가격을 형성하고 있음.

제품명	미국승인	허가 국가	개발기업	가격
IMLYGIC	2015년	미국, EU, 영국, 호주	Amgen	\$65,000
KYMRIAH	2017년	미국, EU, 영국, 일본, 호주, 캐나다, 한국('21)	Novartis	\$475,000
YESCARTA	2017년	미국, EU, 영국, 일본, 캐나다, 중국	Kite Pharma	\$373,000
LUXTURNA	2017년	미국, EU, 영국, 호주, 캐나다, 한국('21)	Spark Therapeutics	\$850,000
ZOLGENSMA	2019년	미국, EU, 영국, 일본, 호주, 캐나다, 브라질, 이스라엘, 대만, 한국('21)	Novartis	\$2,125,000
TECARTUS	2020년	미국, EU, 영국	Kite Pharma	\$373,000
ABECMA	2021년	미국, 캐나다, EU, 영국, 일본	BMS	\$419,500
BREYANZI	2021년	미국, 일본	BMS	\$410,000
CARVYKTI	2022년	미국, EU	Legend Biotech	\$489,655
ZYNTEGLO	2022년	미국, EU	bluebird bio	\$2,800,000

- ◇ ‘21년~’27년 글로벌 유전자치료제 시장 성장률 44.6%, 현재 400개 이상 기업이 개발 중
 - 시장조사기관인 프로스&설리반 자료에 따르면, 글로벌 세포·유전자치료제 시장은 ‘21년 기준 46억 달러 규모임. ’21년 기준으로 세부적으로 시장을 구분해 보면 유전자변형 세포 치료제 시장이 21억 달러, 유전자치료제 시장이 20억 달러, 세포치료제 시장이 5억 달러임.
 - 유전자변형 세포치료제 시장은 ‘21년 기준 21억 달러에서 연평균 39.2% 증가세로 ’27년 약 153억 달러의 시장을 형성할 것으로 전망됨.
 - 유전자치료제 시장은 ‘21년 기준 20억 달러에서 연평균 44.6% 증가세로 ’27년이면 약 184억 달러로 성장해 전체 세포·유전자치료제 시장규모인 417억 달러의 44%를 차지할 것으로 전망됨. ‘21년 기준으로 전세계 유전자치료제 개발기업은 400개 이상이 있으며, 상위 5개사가 전체 매출의 약 90%를 점유하고 있음.
 - 세포치료제 시장은 ’21년 기준 5억 달러에서 56.7% 증가세로 ’27년 약 79억 달러의 시장을 형성할 것으로 전망됨.

CGT: Revenue Forecast by Product, Global, 2020-2027



〈참고자료〉

1. Global Cell and Gene Therapy (CGT) Growth Opportunities, frost & sullivan, 2022.08.16
2. FDA Approves First Cell-Based Gene Therapy to Treat Adult and Pediatric Patients with Beta-thalassemia Who Require Regular Blood Transfusions, U.S food & drug, 2022.08.17.
3. bluebird bio Scores First U.S. Approval for Lentiviral Vector Gene Therapy, Biospace, 2022.08.18.
4. UPDATED: Bluebird bio's \$2.8M gene therapy Zynteglo wins FDA backing. Will its US launch take flight?, fierce pharma, 2022.08.17
5. With the pricing situation 'untenable' in Europe, Bluebird will wind down its operations in the 'broken' market, fierce pharma, 2021.08.09.
6. <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products>