자료배포 : 2025.01.13

보도요청 : 배포 이후

자료문의 : 안종연 주임 (02 410 9831) / 남예주 과장 (9089) / 장진혁 과장 (0429)

**한미약품-GC녹십자, 파브리병 혁신신약 국내 임상 1/2상 IND 승인**

**차세대 지속형 효소대체요법 치료제…세계 첫 월1회 피하투여 용법 개발**

**“기존 치료제 대비 신장기능-혈관병-말초신경장애 개선 효능 우수”**

한미약품과 GC녹십자가 ‘세계 최초 월 1회 피하투여 용법’으로 공동 개발중인 파브리병 치료 혁신신약의 글로벌 임상에 본격적으로 돌입한다.

한미약품과 GC녹십자는 지난 9일 한국 식품의약품안전처로부터 파브리병 치료제 ‘LA-GLA(HM15421/GC1134A)’ 임상 1/2상 시험계획서(IND)를 승인 받았다고 13일 밝혔다.

작년 8월 미국 식품의약국(FDA)으로부터 임상 1/2상 진입을 위한 IND 승인을 받은 데 이어, 이번 식약처 승인으로 다국가 임상 개발이 속도감 있게 추진된다. 임상 시험에서는 파브리병 환자를 대상으로 LA-GLA의 안전성과 내약성, 약동학, 약력학 등을 평가한다.

파브리병은 성염색체로 유전되는 진행성 희귀난치질환으로 리소좀 축적질환(Lysosomal Storage Disease, LSD)의 일종이다. 불필요한 물질을 제거하는 세포 내 소기관 ‘리소좀’에서 당지질을 분해하는 효소 ‘알파-갈락토시다아제 A’가 결핍되면 발생한다. 체내 처리되지 못한 당지질이 계속 축적되면서 세포 독성 및 염증 반응이 일어나고 이로 인해 다양한 장기가 서서히 손상돼 심하면 사망에 이른다.

현재 대부분의 파브리병 환자는 유전자 재조합 기술로 개발한 효소를 정맥주사하는 방식인 효소대체요법(Enzyme Replacement Therapy, ERT)으로 치료받고 있다. 이러한 1세대 치료제는 2주에 한번씩 병원에서 오랜 시간 정맥주사를 맞아야 하는 불편함이 있고, 정맥 주입에 따른 치료 부담, 진행성 신장질환 억제에 대한 효능 부족 등의 한계점이 있다.

LA-GLA는 기존 치료제들의 한계점을 개선한 ‘차세대 지속형 효소대체요법 치료제’로 주목받고 있으며, 이 신약이 최종 상용화에 이르면 치료 효과의 지속성 및 안전성, 투약 편의성 측면에서 환자들의 고통을 크게 덜어줄 수 있을 것으로 기대된다. 이를 바탕으로 작년 5월 미국 FDA으로부터 희귀의약품(ODD, Orphan Drug Designation)으로 지정됐다.

한미약품은 내달 미국 샌디에이고에서 열리는 리소좀 질환 관련 ‘WORLD Symposium

2025’에서 기존 치료제 대비 신장기능, 혈관병, 말초신경장애 개선 효능이 우수한 것으로

확인된 LA-GLA의 비임상 연구 결과 3건을 발표할 예정이어서 기대를 모으고 있다.

한미약품과 GC녹십자 관계자는 “LA-GLA의 임상 1/2상 연구는 차세대 희귀질환 치료제의 혁신 가능성을 검증하는 중요한 과정으로, 긍정적 결과를 기대한다”며 “앞으로의 연구를 통해 기존 효소대체요법의 한계를 극복하고, 희귀질환으로 고통받는 환자들의 삶의 질을 획기적으로 개선할 수 있는 혁신 치료제를 완성하길 희망한다”고 말했다. **<끝>**