

## FDA 임상의 단계별 성공 가능성

미국의 식품의약품 FDA 는 의약품 등에 대해 전세계에서 가장 엄격하고 신중하게 관리 및 시판 승인하는 기관이다. FDA 에서의 임상은 높은 가치만큼이나 많은 비용과 실패의 위험이 있어 임상 중에 빅파마로 기술이전을 하는 일이 흔하다. FDA 임상 후기 단계로 갈수록 대개 기술이전 규모는 상당히 크다. 최근 국내 기업들의 FDA 임상 진출이 확대되고 있는 상황에서 특정 기업의 신약물질에 대한 가치와 단계별 성공 가능성을 추정할 수 있도록 도움을 주고자 이 보고서를 작성하였다.



Analyst  
노경철  
nkc777@sk.com  
02-3773-9005

### 전세계에서 가장 권위 있고 공신력 있는 식품의약 허가 기관, FDA

- FDA (Food and Drug Administration)는 미국의 식품의약품국으로 미국에서 생산 및 유통, 판매되는 모든 종류의 의약품에서부터 의료기기, 화장품, 식품 등의 품목에 대해 통제, 관리, 승인을 하는 기관이다. FDA 는 의약품 등에 대해 전세계에서 가장 엄격하고 신중하게 관리 및 승인하는 기관이어서, FDA 에서 승인된 신약은 매우 안전하고 뛰어난 약효를 가진 신약으로 인정을 받기 때문에 사실상 전세계 어디에서나 특별한 절차 없이 출시가 가능하게 된다.
- FDA 에서 임상 중인 신약 후보물질은 비록 임상 중에 있다 하더라도 높은 가치를 인정받게 된다. 임상 후기 단계로 갈수록 약물의 가치는 더욱 커져서 빅파마로 기술이전 시 상당한 금액을 보상받는다. FDA 에서의 임상은 많은 비용이 소요되는데다 실패의 위험이 있어 대개 빅파마로 기술수출을 한다.

### 구조적인 특성을 보이는 각 임상 단계별 성공률

- FDA 에서의 임상 단계별 성공 가능성을 추정하기 위해서, 2006 년부터 2015 년까지 지난 10 년간 FDA 에서 임상을 수행했거나 진행중인 자료를 조사해보면 여러 특징적인 사실들이 보여진다. 모든 임상들에 대해 임상 1 상에서 신약승인까지의 신약 승인 성공률은 평균 9.6% 이다. 임상 1 상 통과 가능성은 63.2%이고, 임상 2 상은 각 임상 단계별로 가장 낮은 30.7% 이다. 임상 3 상은 58.1% 이고, 신약 승인 단계인 NDA/BLA 는 가장 높은 85.3% 이다. 구조적으로 임상 2 상이 가장 낮고, NDA/BLA 가 가장 높다.
- 희귀성 질환의 경우는 평균 수치인 9.6% 보다 2.6 배 높은 25.3% 이고, 항암제는 약 2 배 낮은 5.1% 이다. 질환 군별 신약 승인률은 혈액질환(Hematology)이 가장 큰 수치인 26.1% 이고, 항암제는 가장 낮은 수치인 5.1% 이다. 항암제의 경우 크게 고형암과 혈액암 치료제로 나뉘는데, 혈액암의 신약 승인률이 고형암의 약 2 배 높은 8.1% 이다.
- 합성 의약품(NME)과 바이오 의약품(Biologic), 그리고 Non-NME(이미 신약으로 승인된 약물들의 복합체나 개량신약)를 비교해보면 임상 1 상에서 신약 승인까지 Non-NME 가 가장 큰 임상 성공률(22.6%)을 보였고, 다음으로는 바이오 의약품(11.5%), 그리고 합성 의약품(6.2%)의 순서를 보였다. Non-NME 는 기존의 승인된 신약(들)을 바탕으로 하기 때문에 신약 승인률이 가장 크고, 바이오 의약품은 보통 합성 의약품 대비 약효가 좋고 부작용이 적기 때문에 신약 성공률이 합성 의약품보다 크다.

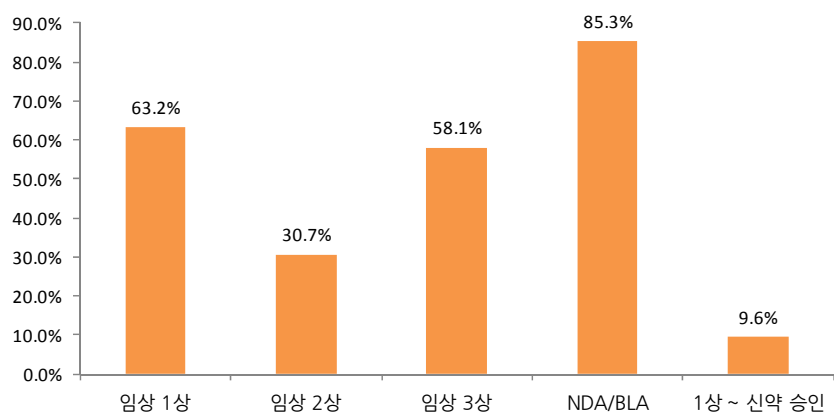
신약 후보물질의 FDA 임상에서 전체 임상 성공률(임상 1상~신약 승인)은 9.6%

구조적으로 임상 성공률이 가장 낮은 단계는 임상 2상, 가장 높은 성공률은 NDA(BLA)

2006년부터 2015년까지 지난 10년 동안 FDA에서 수행했거나 진행중인 거의 모든 약물의 임상에 대해 분석한 결과, FDA에서의 각 임상 단계별 성공률은 아래 그래프와 같다. FDA의 각 임상에서 성공률이 가장 낮은 단계는 임상 2상이고, 가장 성공률이 높은 단계는 제품허가 단계인 NDA 및 BLA 단계이다. 임상 1상을 통과할 확률은 63.2%, 임상 2상은 30.7%, 임상 3상은 58.1%, 그리고 NDA/BLA는 85.3%이다. 임상 1상에서부터 제품허가 단계인 NDA/BLA를 거쳐 최종적으로 신약의 허가 승인이 이루어질 가능성은 9.6%이다. NDA(New Drug Application)는 합성 의약품의 신약승인 과정이고, BLA(Biologic License Application)는 바이오 의약품의 신약승인 과정을 가리킨다.

임상 1상은 주로 정상인을 대상으로 약물의 독성테스트를 한다. 약물의 효과는 평가하지 않고 안전성에 주로 초점을 맞추기 때문에 대부분 성공률이 높다. 임상 2상은 인체(환자)를 대상으로 부작용뿐 아니라 약효를 테스트하는 첫 번째 관문이기 때문에 성공률이 제일 낮을 수밖에 없다. 임상 3상은 임상 2상과 같이 환자를 대상으로 약효와 부작용을 보는 단계이지만, 환자 수가 훨씬 크고 약의 dose(복용량)를 결정하는 단계이다. 임상 3상은 임상 2상에서 적은 수의 환자를 대상으로 이미 약효와 부작용을 테스트했기 때문에 비교적 성공 확률이 높은 58.1%이다. 임상 3상은 규모가 가장 크고 비용이 제일 많이 드는 데다 임상 기간이 가장 길다. 임상에서 가장 성공률이 높은 단계는 신약의 제품허가 승인 단계인 NDA/BLA이다. NDA 및 BLA 단계는 임상 1상에서 3상까지 해당 적응증에 대한 모든 임상 테스트를 통과한 상태에서 다시 한번 최종 검토하는 과정이기 때문에 사실상 통과할 확률이 높다.

[그림 1] FDA 임상 시 각 단계별 성공 가능성



자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

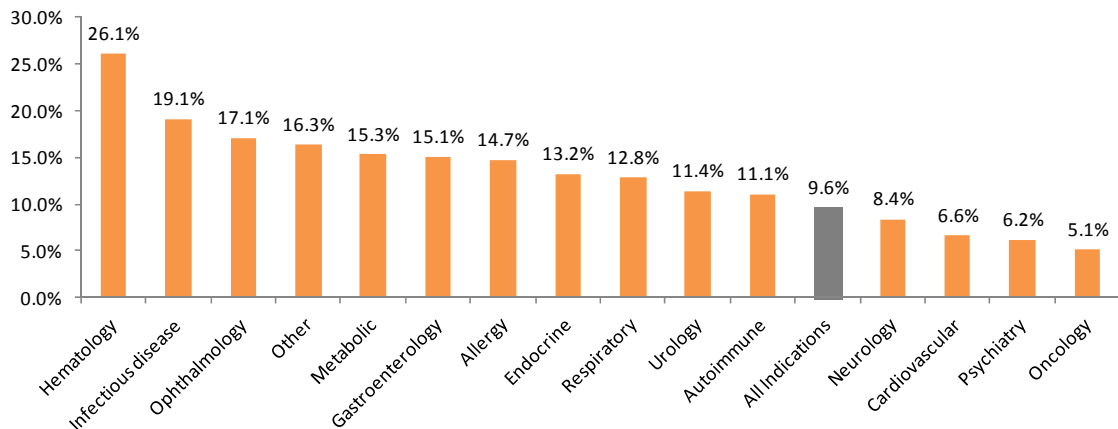
주 : NDA - New Drug Application, 합성 의약품의 신약승인 단계

BLA - Biologic License Application, 바이오 의약품의 신약승인 단계

**질환 군별 FDA 임상 성공률이 가장 높은 것은 혈액 질환, 가장 낮은 것은 항암제 분야**

주요 질환 군별 FDA 임상 성공 가능성을 살펴보면, 임상 1 상에서 신약 승인까지 성공률이 가장 높은 질환 군은 혈액관련(Hematology) 분야로 26.1% 이다. 이 분야의 주요 세부 질환은 혈우병(Hemophilia), 빈혈(Anemia), 혈소판감소증(Thrombocytopenia) 등 이다. 가장 낮은 성공률을 가지는 질환 군은 항암제(Oncology)로서 5.1%의 성공률을 보인다. 전체 질환의 평균 성공률인 9.6% 보다 높은 임상 성공(임상 1 상~신약 승인) 가능성을 가진 질환 군은 혈액 분야 외에 감염성질환(Infectious disease), 안과질환(Ophthalmology), 대사성질환(Metabolic) 등 이다. 임상 수가 가장 많은 질환 군인 항암제(Oncology, 31.7% 비중)와 신경질환(Neurology, 13.1% 비중)은 전체 평균인 9.6% 보다 낮은 성공률을 보이고 있다.

[그림 2] 주요 질환 군별 FDA 임상 성공 가능성 (임상 1 상~신약승인)



자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

- 주 : Hematology - 혈액 질환
- Infectious disease - 감염성 질환
- Ophthalmology - 안과 질환
- Other - 기타
- Metabolic - 대사성 질환
- Gastroenterology - 소화기 질환
- Allergy - 알레르기 질환
- Endocrine - 내분비 질환
- Respiratory - 호흡기 질환
- Urology - 비뇨기 질환
- Autoimmune - 자가면역 질환
- Neurology - 신경 질환
- Cardiovascular - 심혈관 질환
- Psychiatry - 정신과 질환
- Oncology - 암, 종양 관련

[표 1] 각 질환의 FDA 임상 단계별 성공 가능성

	임상 1 상	임상 2 상	임상 3 상	NDA/BLA
Hematology	73.3%	56.6%	75.0%	84.0%
Infectious disease	69.5%	42.7%	72.7%	88.7%
Ophthalmology	84.8%	44.6%	58.3%	77.5%
Other	66.7%	39.7%	69.6%	88.4%
Metabolic	61.1%	45.2%	71.4%	77.8%
Gastroenterology	75.6%	35.7%	60.6%	92.3%
Allergy	67.6%	32.5%	71.4%	93.8%
Endocrine	58.9%	40.1%	65.0%	86.0%
Respiratory	65.3%	29.1%	71.1%	94.6%
Urology	57.1%	32.7%	71.4%	85.7%
Autoimmune	65.7%	31.7%	62.2%	86.0%
<b>All Indications</b>	<b>63.2%</b>	<b>30.7%</b>	<b>58.1%</b>	<b>85.3%</b>
Neurology	59.1%	29.7%	57.4%	83.2%
Cardiovascular	58.9%	24.1%	55.5%	84.2%
Psychiatry	53.9%	23.7%	55.7%	87.9%
Oncology	62.8%	24.6%	40.1%	82.4%

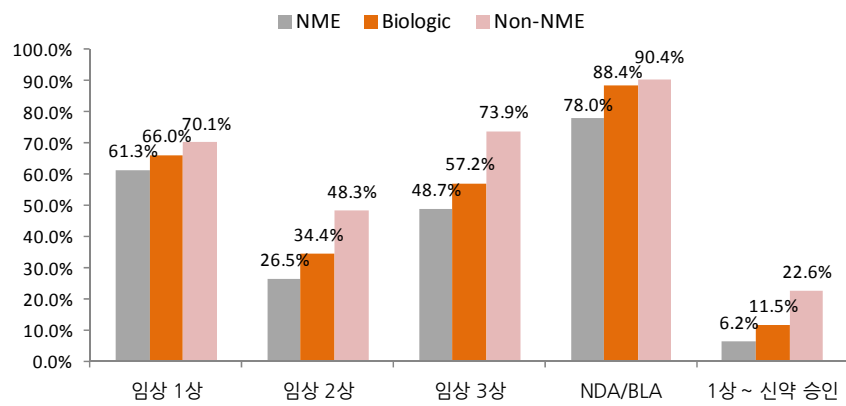
	임상 1 상~신약승인	임상 2 상~신약승인	임상 3 상~신약승인	NDA/BLA~신약승인
Hematology	26.1%	35.7%	63.0%	84.0%
Infectious disease	19.1%	27.5%	64.5%	88.7%
Ophthalmology	17.1%	20.1%	45.2%	77.5%
Other	16.3%	24.4%	61.5%	88.4%
Metabolic	15.3%	25.1%	55.6%	77.8%
Gastroenterology	15.1%	20.0%	55.9%	92.3%
Allergy	14.7%	21.8%	67.0%	93.8%
Endocrine	13.2%	22.4%	55.9%	86.0%
Respiratory	12.8%	19.6%	67.3%	94.6%
Urology	11.4%	20.0%	61.2%	85.7%
Autoimmune	11.1%	17.0%	53.5%	86.0%
<b>All Indications</b>	<b>9.6%</b>	<b>15.3%</b>	<b>49.6%</b>	<b>85.3%</b>
Neurology	8.4%	14.2%	47.8%	83.2%
Cardiovascular	6.6%	11.2%	46.7%	84.2%
Psychiatry	6.2%	11.6%	49.0%	87.9%
Oncology	5.1%	8.1%	33.0%	82.4%

자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

FDA의 임상 성공률은 Non-NME 물질이 가장 높아... 바이오의약품은 합성의약품 대비 보통 약효가 좋고 부작용이 적어 성공률이 더 커

의약품의 물질별 분류에 따른 FDA 임상 성공 가능성을 살펴보면, 각 단계별 임상 성공률을 비롯해서 임상 1 상에서 신약 승인까지의 성공률 모두 합성의약품 보다 바이오의약품의 성공률이 크고, 개량신약이나 콤비형태의 신약 후보물질의 성공률이 가장 크다. 일반적으로 바이오의약품(Biologic)은 합성의약품(NME, Chemical drug) 대비 약효가 좋고 부작용이 적어 임상의 성공 가능성도 더 크다. Non-NME는 이미 승인 허가된 신약들의 복합체(Combination) 형태나 개량신약이기 때문에 임상 성공률이 합성의약품 및 바이오의약품 보다 훨씬 높다.

[그림 3] 신약의 유형별 FDA 임상 성공 가능성



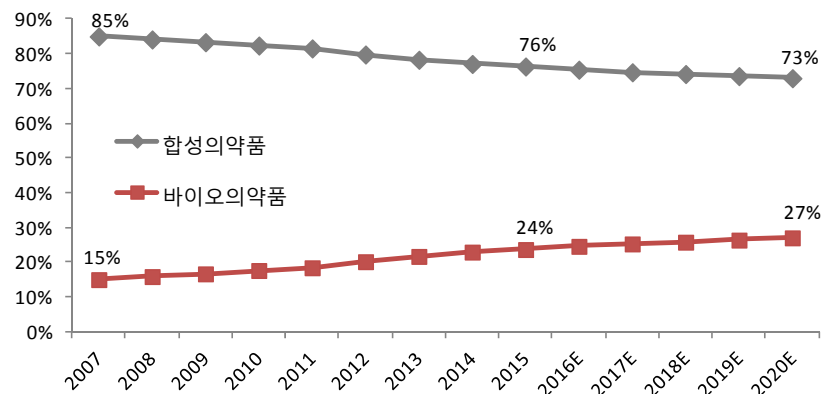
자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

주 : NME - 합성의약품(Chemical drug)

Biologics - 바이오의약품

Non-NME - 이미 승인된 신약들의 복합체 형태나 개량신약

[그림 4] 합성의약품 및 바이오의약품의 글로벌 매출 비중



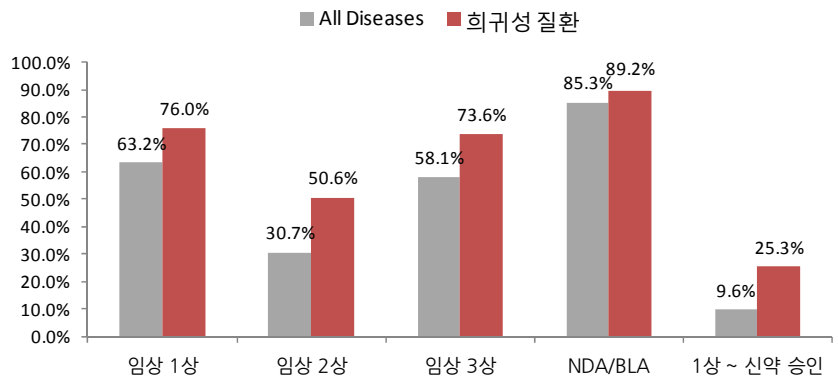
자료 : Evaluatepharma, SK 증권

주 : 2015년 기준 글로벌 의약품 시장에서 바이오의약품의 매출 규모는 약 188 bn\$, 합성의약품은 607 bn\$로 추정

희귀성 질환의 FDA 임상 성공률은 전체 평균보다 약 2.6 배 높아...  
희귀성의약품은 파격적인 혜택과 높은 신약 승인률로 주목받고 있어

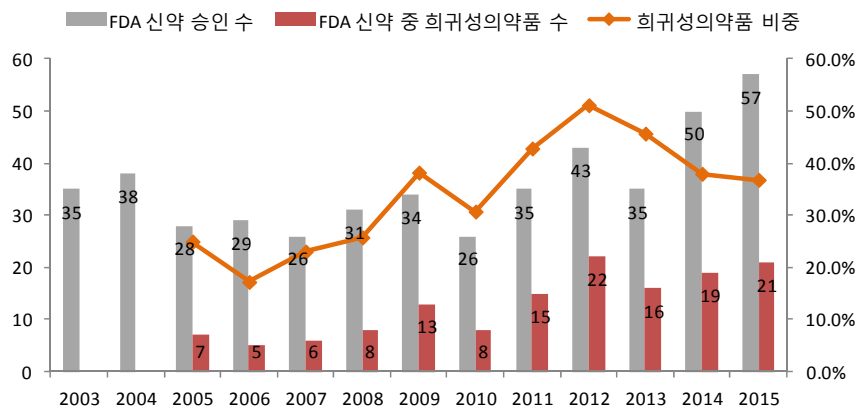
희귀성 질환의 최종 신약 승인까지의 임상 성공률은 전체 의약품 대비 약 2.6 배나 높다. 희귀성 질환은 환자 수가 매우 적어 개발이 거의 이루어지지 않은 분야이다. 경제성의 이유로 과거에는 거의 관심이 없었던 희귀성의약품이 2000년대 들어 글로벌 의약품 시장에서 블루칩이 되었다. FDA를 비롯해 각국 정부 당국에서 파격적인 혜택을 제공하는데다 의약품의 가격이 상당히 비싸고, 또한 고마진이기 때문이다. 최근들어 희귀성의약품의 신약 승인 건수는 FDA 전체 신약 승인 건수의 약 40% 전후를 차지할 만큼 상당히 높다. 전세계 희귀성의약품은 지난해 기준으로 전체 전문의약품 대비 약 13.9%의 비중인 105 bn\$ 규모이고, 연평균성장률(CAGR 2014-20E)이 10.6%로 빠르게 성장할 전망이다.

[그림 5] 희귀성 질환의 높은 FDA 임상 성공 가능성



자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

[그림 6] FDA 승인 신약 중 희귀성의약품의 수



자료 : FDA, SK 증권

**항암제의 FDA 임상 성공률은 전체 평균보다 약 2 배 낮아...  
혈액암의 항암제가 고형암에 비해 임상 성공률이 2 배 정도 높아**

항암제의 FDA 임상 성공률(임상 1 상~신약 승인)은 비항암제(11.9%)와 전체평균(9.6%)에 비해 절반 정도인 5.1% 수준이다. 항암제는 전체 임상 수의 약 32%나 차지할 만큼 많지만 임상의 성공 가능성은 낮다. 대부분의 암들은 여러 변형을 통해 각종 치료제에 대한 극복 메커니즘을 가지고 있어 치료제 개발이 쉽지 않기 때문이다. 암은 크게 고형암(Solid tumor)과 혈액암(Hematological cancer)의 두 분류로 나눌 수 있는데, 고형암에 비해 혈액암의 항암제가 임상 성공률이 두배 정도 더 높다. 항암제의 임상 수는 고형암이 혈액암에 비해 3 배 정도 더 많다.

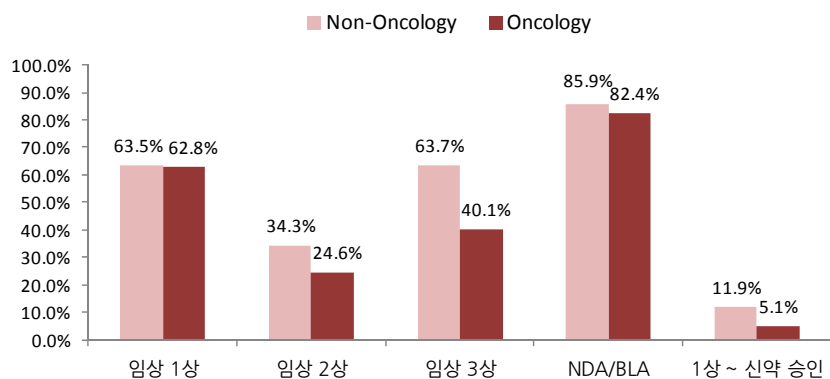
**글로벌 의약품 시장에서 가장 큰 규모를 차지하는 항암제 시장, 향후에는 더욱 확대될 전망**

항암제는 현재 글로벌 의약품 시장에서 가장 큰 시장 규모를 차지하고 있는데, 향후에는 더욱 커질 전망이다. 전세계 항암제 시장은 2014 년 기준 79.2 bn\$ 규모에서 2020년에는 153.1 bn\$로 확대될 전망이다. 암은 노화성 질환에 가까운데 전세계적으로 고령화가 빠르게 진행되고 있고, 또 기술의 발달로 과거에 비해 훨씬 발전된 형태의 진단부터 각종 치료제가 쏟아지고 있기 때문이다.

**항암제 개발의 방식은 계속해서 변화...  
최근 항암제의 트렌드는 치료제간의  
콤비 형식**

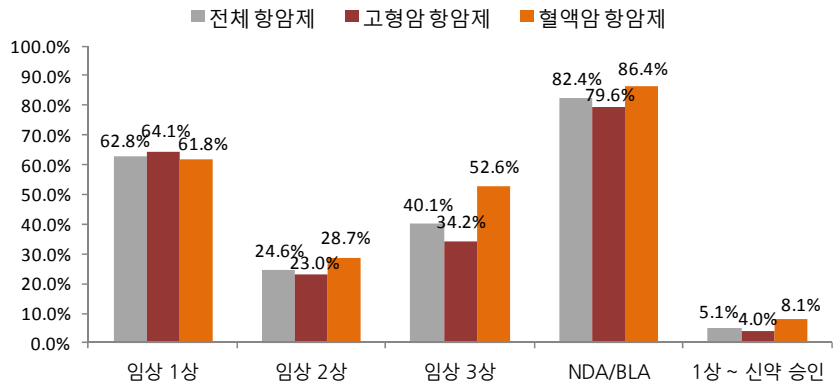
항암제는 과거 부작용이 많았던 화학치료제에서 부작용을 최소화하고 암세포만 공격하는 표적항암제가 1998 년 허셉틴(Herceptin, 항체의약품, Genentech 개발)을 시작으로 2001 년 글리벡(Gleevec, 합성의약품, Novartis 개발)에 이어 최근까지 약 50 여개 쏟아졌다. 하지만 기대를 모았던 표적항암제가 환자에 투약 후 1~2 년 정도의 시간이 지나면 대부분 재발이 발생하고 약효가 없는 문제에 부딪혔다. 이러한 문제로 인해 새롭게 개발되어 주목을 받고 있는 치료제가 면역항암제로서 BMS 사의 Opdivo 와 Merck 사의 Keytruda 가 2014 년부터 출시되었다. 그리고 2015년에는 Amgen 사의 T-Vec 이 항암바이러스제제로는 최초로 신약승인을 받았다. 이 항암바이러스는 암세포만 파괴하는 새로운 개념의 항암제로서, 국내에서는 신라젠이라는 기업이 항암바이러스제로 FDA 3 상에 있다. 최근 항암제 시장의 트렌드는 면역항암제와 기존의 항암제 또는 새롭게 개발되고 있는 항암제를 복합제로 투여하는 콤비형식이 새롭게 부각되고 있다.

[그림 7] 항암제의 FDA 임상 단계별 성공 가능성



자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

[그림 8] 항암제의 분류별 FDA 임상 성공 가능성



자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

[표 2] 항암제의 분류별 FDA 임상 성공 가능성

	임상 1 상	임상 2 상	임상 3 상	NDA/BLA
전체 항암제	62.8%	24.6%	40.1%	82.4%
고형암 항암제	64.1%	23.0%	34.2%	79.6%
혈액암 항암제	61.8%	28.7%	52.6%	86.4%

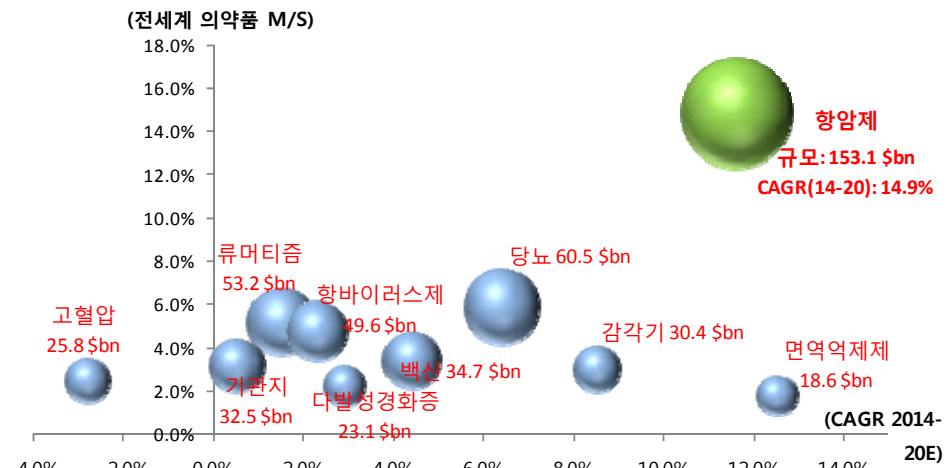
  

	임상 1 상~신약승인	임상 2 상~신약승인	임상 3 상~신약승인	NDA/BLA~신약승인
전체 항암제	5.1%	8.1%	33.0%	82.4%
고형암 항암제	4.0%	6.3%	27.3%	79.6%
혈액암 항암제	8.1%	13.1%	45.4%	86.4%

자료 : FDA, Amplion, Biomedtracker, Biotechnology Innovation Organization, SK 증권

[그림 9] 주요 의약품 분야의 성장률과 규모 (2020 년 E 기준)

(단위: bn\$)



자료 : Evaluatepharma, SK 증권



[표 3] 국내 주요 기업 및 품목의 FDA 임상 진행 현황

기업명	품목명	적응증	진행 단계
한미약품	LAPS Exendin 4	당뇨	FDA 2상
	HM61713	폐암	FDA 2상
	HM71224	자가면역질환	FDA 1상
	LAPS GLP/GCG	당뇨, 비만	FDA 1상
녹십자	Hunterase	헌터증후군	FDA 3상
	GreenGene F	A형 혈우병	FDA 3상
동아에스티	DA-9801	당뇨병성신경통증	FDA 2상 완료
	DA-9701	기능성소화불량	FDA 2상
	DA-9805	파킨슨	FDA 1상 완료
JW중외제약	CWP-231A	급성골수성백혈병	FDA 1상 완료
		재발성다발성골수종	FDA 1상
영진약품	YPL-001	COPD(만성폐쇄성 폐질환)	FDA 2상
크리스탈지노믹스	CG400549	MRSA(그람양성 슈퍼항생제)	FDA 2a상 완료
코오롱생명과학	Invoxa	퇴행성관절염	FDA 3상
바이로메드	VM202-PAD	허혈성족부괴양	FDA 3상
	VM202-DPN	당뇨병성신경통증	FDA 3상
	VM202-ALS	루게릭 질환	FDA 1/2상
지트리비엔티	GBT-201	신경영양성각막염	FDA 3상 1차 완료
	OKN-007	교모세포종	FDA 1상b
메디포스트	PNUEMOSTEM	기관지폐이형성증	FDA 1/2상
	CARTISTEM	퇴행성관절염	FDA 1/2상
큐리언트	Q203	약제내성 결핵	FDA 1a상 완료
에이치엘비	Apatinib	말기 위암	FDA 2a상 완료
		대장암	FDA 2a상 완료
		간암	FDA 2a상 완료
안트로젠	큐피스텝	크론성 누공	FDA 1상
SK바이오팜 (비상장)	Plumiaz	급성반복발작	FDA NDA
	SKL-N05	기면증	FDA 3상
	YKP509	간질 영아연축	FDA 3상
	SKL-PD	파킨슨	FDA 1상
	SKL-A4R	인지행동장애 동반 조현병	FDA 1상
신라젠 (상장 예정)	Pexa-Vec	간암	FDA 3상
		흑색종	FDA 2상
		대장암	FDA 2상
		폐암	FDA 1상 완료
		신경세포종	FDA 1상 완료
		JX-929	고형암

자료 : 각사, SK증권

### Compliance Notice

- 작성자(노경철)는 본 조사분석자료에 게재된 내용들이 본인의 의견을 정확하게 반영하고 있으며, 외부의 부당한 압력이나 간섭없이 신의성실하게 작성되었음을 확인합니다.
- 본 보고서에 언급된 종목의 경우 당사 조사분석담당자는 본인의 담당종목을 보유하고 있지 않습니다.
- 본 보고서는 기관투자자 또는 제 3자에게 사전 제공된 사실이 없습니다.
- 당사는 자료공표일 현재 해당기업과 관련하여 특별한 이해 관계가 없습니다.
- 종목별 투자의견은 다음과 같습니다.
- 투자판단 4 단계 (6개월 기준) 25%이상 → 적극매수 / 10%~25% → 매수 / -10%~+10% → 중립 / -10%미만 → 매도

### SK 증권 유니버스 투자등급 비율 (2016년 7월 29일 기준)

매수	95.42%	중립	4.58%	매도	0%
----	--------	----	-------	----	----