|  |  |
| --- | --- |
| **자료배포** | 2024.05.27 |
| **보도요청** | 배포 이후 |
| **문의** | 장진혁 과장 T: 02 410 0429남예주 과장 T: 02 410 9089김예지 대리 T: 02 410 0411 | Email: pa@hanmi.co.kr |

**한미-GC녹십자 공동연구 중인 ‘파브리병 신약’, FDA 희귀약 지정**

**<LA-GLA, 코드명 : HM15421/GC1134A>**

**신약허가 심사 비용 면제, 7년간 독점권 인정 등 혜택**

한미약품과 GC녹십자의 공동 연구로 주목받고 있는 파브리병 치료 혁신신약 ‘LA-GLA(코드명 : HM15421/GC1134A)’가 미국 식품의약국(FDA)으로부터 희귀의약품(ODD, Orphan Drug Designation)으로 지정됐다.

‘희귀의약품 지정’은 희귀·난치성 질병 또는 생명을 위협하는 질병의 치료제 개발 및 허가가 원활히 이뤄질 수 있도록 지원하는 제도다. 희귀의약품에 지정되면 신약허가 심사비용 면제, 세금 감면, 동일계열 제품 중 처음으로 시판허가 승인 시 7년간 독점권 인정 등 혜택이 부여된다.

LA-GLA는 한미약품과 GC녹십자가 ‘세계 최초 월 1회 피하투여 용법’으로 공동 개발중인 파브리병 치료 혁신신약으로, 기존 치료제들의 한계점을 개선한 ‘차세대 지속형 효소대체요법 치료제’로 주목받고 있다.

파브리병은 성염색체로 유전되는 희귀질환으로, ‘LSD(Lysosomal Storage Disease, 리소좀 축적질환)’의 일종이다. 불필요한 물질들을 제거하는 세포내 소기관 ‘리소좀’에서 당지질을 분해하는 효소 ‘알파-갈락토시다아제 A’가 결핍되며 발생하는데, 체내 처리되지 못한 당지질이 계속 축적되면서 세포독성 및 염증 반응이 일어나고 이로 인해 다양한 장기가 서서히 손상돼 사망에 이르는 진행성 희귀난치 질환이다.

현재 파브리병 환자는 유전자 재조합 기술로 개발한 효소를 정맥 주사하는 방식인 효소대체요법(Enzyme Replacement Therapy, ERT)으로 주로 치료한다. 이러한 1세대 치료제는 2주에 한번씩 병원에 가서 수시간 동안 정맥주사를 맞아야 하는 불편함이 있고, 정맥 주입에 따른 치료 부담, 진행성 신장질환 억제에 대한 효능 부족 등 여러 한계점이 있다.

한미약품은 지난 2월 미국 샌디에이고에서 열린 ‘WORLD Symposium 2024’에서 LA-GLA가 기존 치료제 대비 신장기능, 혈관병 및 말초신경 장애 개선 효능이 우수한 것으로 확인된 연구 결과 2건을 발표했고, 이같은 연구 결과를 토대로 GC녹십자와 함께 LA-GLA의 글로벌 임상시험계획(IND) 신청을 준비하고 있다.

한미약품과 GC녹십자측은 “희귀의약품 분야 신약개발은 인류 건강을 위해 존재하는 제약기업의 사명과 같은 일”이라며 “희귀질환으로 고통받는 환자들의 삶의 질 향상을 위해 새로운 치료 패러다임을 지속적으로 개발하고 제시하겠다”고 말했다.

**<끝>**