

글로벌 헬스케어 R&D BRIEF

(서울대학교병원 보스턴오피스 / 25.12.11.)

1. EU Pharma Package(제약패키지) 20년만의 전면개편

□ 배경 및 주요내용



- EU, 2년간의 협상 끝에
2000년대 초에 제정된 '일반의약품, 소아·희귀의약품' 관련 규정을
대규모 통합·정비하는 제약패키지 정치적 합의
* 정식 채택절차(의회 등 공식승인) 후 26년 초/중반에 EU관보 게재 예상 1)
- 1) 환자의 신약·필수의약품 접근성을 개선하고, 2) 공급망 안정성을 강화하는 한편, 3) 미충족 의료수요·희귀질환·소아·항생제 등 우선영역에서의 혁신을 촉진하는 것이 핵심 목표
- 핵심변경사항 요약

구 분	개편전	개편후
데이터 보호기간	- 통상 8년 수준 - 국가/사례별로 상이	- 최소 8년 보장 2)
시장 독점기간	- 통상 10년 수준 규정/지침을 조합 (데이터보호+시장독점 기간)	- 기본 9년 보장 (데이터보호 8년 + 시장독점 1년) - EU차원의 시판허가 후 1년간 제네릭·바이오시밀러 판매금지

1) 관보게재후 약 20일 뒤에 법률발효가 되는 구조.

2) 최초 초안은 6년이었으나 8년으로 강화함. 환자접근성과 제약사의 '혁신유인'을 절충한 결과

구 분	개편전	개편후
추가보호 인센티브	- 단순/경직적	- 다음 조건 충족시 최대 11년 보장 ① 미충족 의료수요 해결 ② 기존치료 대비 임상적 이점 ③ 신규 활성물질. 다수EU국 임상 수행
항생제 (AMR) 인센티브	- 바우처 제도 부재 - 각종 연구지원 & 프로그램 중심	- AMR바우처 신설 - 신규 개발시 1년 특허연장권 부여 → 이를 블록버스터를 제외하고 대상 항생제 / 다른품목에 1회 적용 가능
제네릭 바이오 시밀러	- Bolar ³⁾ 예외 에 대한 범위 및 적용 모호 - 특허·독점만료 후에도 규제·절차지연 등으로 즉시진입이 어려움	- Bolar 예외를 명시·확대 특허가 유효한 동안에도 허가용 시험·자료준비를 특허침해 없이 수행 가능하도록 규정 명확화 - 특허·독점만료 직후 시장진입 가능토록 규제·절차 준비허용 → 가격경쟁과 환자접근성 개선 제도적 뒷받침

□ 주요출처

EU seals pact to overhaul drug rules, speed patient access (25.12.11. / Reuters)
https://www.reuters.com/sustainability/boards-policy-regulation/eu-seals-pact-overhaul-drug-rules-speed-patient-access-2025-12-11/
EU unveils new pharma deal that overhauls two decades of medicine rules (25.12.11. / Euronews / By Marta Iraola Iribarren)
https://www.euronews.com/health/2025/12/11/eu-unveils-new-pharma-deal-that-overhauls-two-decades-of-medicine-rules
EU, 20년 만에 '제약패키지' 법 개정...복제약 접근성 강화 (25.6.10. / 데일리팜 / 김진구 기자)
https://new.dailypharm.com/user/news/5143

3) 제네릭·바이오시밀러 회사가 아직 특허가 살아 있는 동안에도,
허가용 시험·자료 준비를 할 수 있게 해주는 특허예외 규정

2. '비영리기관'의 세포유전자 치료제 첫 FDA 승인

□ 배경 및 주요내용

FDA NEWS RELEASE

FDA Approves First Gene Therapy Treatment for Wiskott-Aldrich Syndrome

Agency exercises regulatory flexibility to address unmet need for rare, life-threatening disease

- FDA, **Wiskott-Aldrich증후군(WAS) 치료를 위한 최초의 세포기반 유전자치료제인 Waskyra(etuvetidigene autotemcel) 승인**
 - WAS 환자에게 처음으로 허가된 유전자치료 옵션
기존에는 조혈모세포이식이 주된 치료였으나 이식관련 합병증 등으로 미충족 의료수요가 존재함.
 - WAS 유전자 변이가 확인된 환자 중,
조혈모세포이식(HSCT)이 적절하지만, 적합한 HLA일치 혈연공여자(기증자)가 없는 경우에 사용하도록 승인
- 신청기관은 이탈리아 비영리단체 Fondazione Telethon ⁴⁾으로서,
비영리기관이 단독 신청자로서 세포·유전자치료제 BLA 승인을 획득한 첫 사례라는 점에서 규제·산업 측면의 상징성

4) 이탈리아 로마 기반 비영리 재단으로, 희귀질환 연구와 치료 개발을 지원하는 기관으로 1990년에 설립됨.

⇒ 이번 승인은,

- 1) 조혈모세포이식이 제한적인 희귀유전면역질환에서 자가 조혈모세포 기반 유전자치료가 실질적인 치료 옵션이 될 수 있음을 보여주고,
- 2) 비영리기관이 초기연구-임상-허가까지 전 과정을 주도하며 상업화 단계까지 도달한 사례로서 새로운 모델로서의 의미가 있음.

□ 주요출처

FDA Approves First Gene Therapy Treatment for Wiskott-Aldrich Syndrome
(25.12.09. / FDA)

<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treatment-wiskott-aldrich-syndrome>

FDA Decision Accelerates Rare Disease Gene Therapy Regulatory Pathways
(25.12.10. / BioPharm international / By Feliza Mirasol)

<https://www.biopharminternational.com/view/fda-decision-accelerates-rare-disease-gene-therapy-regulatory-pathways>

Fondazione Telethon Announces FDA approval of Waskyra™ (etuvetidigene autotemcel), a Gene Therapy for the Treatment of Wiskott-Aldrich Syndrome
(25.12.10. / Fondazione telethon)

<https://www.fondazionelethon.it/en/stories-and-news/news/from-telethon-foundation/fondazione-telethon-announces-fda-approval-of-waskyra-etuvetidigene-autotemcel-a-gene-therapy-for-the-treatment-of-wiskott-aldrich-syndrome/>

3. ACIP, B형간염 신생아백신권고 중단안 의결



The Centers for Disease Control and Prevention's Advisory Committee on Immunization Practices voted to end the universal U.S. recommendation for the newborn dose of the hepatitis B vaccine, instead adopting a policy urging individual-based decision-making. (ELIJAH NOUVELAGE/GETTY IMAGES)

□ 배경 및 주요내용

- ACIP(미국 예방접종자문위원회)는 **B형간염 신생아 백신 권고를 '출생 직후 보편접종'에서 '위험기반·개별 의사결정 모델'로 변경함.**
 - 모든 신생아 출생시 1차 접종을 권고하던 기존 원칙을 바꾸어, 산모가 B형간염 음성인 경우에는 백신 접종 시기와 여부를 부모·의사가 함께 결정하는 '개별(공유) 의사결정 모델'로 전환기로 표결
 - 향후 CDC는 해당 권고를 수용해 공식지침, 예방접종 스케줄 개정

절차 진행 후 최종 발효일을 결정함.

• 정책 전후 비교

구 분	변경전 (기존정책)	변경후 (ACIP 권고안)
기본원칙	- 모든 신생아에게 출생 직후 B형간염 백신 1차 접종 권고	- 산모가 B형간염 양성 or 산모 상태가 미확인인 경우에만 출생직후 접종권고 - 그 외는 개별 의사결정으로 전환
접종시점 (1차)	- 출생 후 24시간 이내 접종이 표준	- 산모가 B형간염 음성인 경우 생후 2개월까지 1차 접종을 미루고, 부모·의사가 상의해 시기 결정
적용대상	- 산모 감염 여부와 관계없이 모든 신생아	- 고위험군(산모 HBV 양성·미확인) 신생아는 출생 시, - 그 외는 선택적·지연 접종
추가 접종 (2·3차)	- 생후 1~2개월, 6~18개월에 총 3회 완료를 권고	- 3회 스케줄은 유지하되, 2·3차 전 항체검사(혈청학적 검사)를 적극 권장

• 현재 지지층 vs 반대층 간 논쟁 확산 중

→ 지지층 주장

의료개입의 축소, 부모권한의 확대

→ 반대층 주장

다른 소아백신 정책에도 확산 우려, 산전관리 사각지대에서 감염증가 우려

□ 주요출처

CDC advisers vote to overturn decades-long policy on hepatitis B vaccine for infants
(25.12.5. / NPR / By Pien Huang, Rob Stein, Carmel Wroth)

<https://www.npr.org/sections/shots-health-news/2025/12/05/nx-s1-5634004/cdc-hepatitis-b-vaccine-aci-p-meeting>

FDA Decision Accelerates Rare Disease Gene Therapy Regulatory Pathways
(25.12.10. / BioPharm international / By Feliza Mirasol)

<https://www.biopharminternational.com/view/fda-decision-accelerates-rare-disease-gene-therapy-regulatory-pathways>

Fondazione Telethon Announces FDA approval of Waskyra™ (etuvetidigene autotemcel), a Gene Therapy for the Treatment of Wiskott-Aldrich Syndrome
(25.12.10. / Fondazione telethon)

<https://www.fondazionetelethon.it/en/stories-and-news/news/from-telethon-foundation/fondazione-telethon-announces-fda-approval-of-waskyra-etuvetidigene-autotemcel-a-gene-therapy-for-the-treatment-of-wiskott-aldrich-syndrome/>

4.

FDA, 수십년만에 임질치료제 승인 - 균의 강한 항생제 내성에 대응

□ 배경 및 주요내용

- *Neisseria gonorrhoeae*(임질균)는 항생제 내성이 상당히 강하며, WHO는 이를 '슈퍼버그'로 주목함.
 - * 과거 '페니실린, 테트라사이클린, 플루오로퀴놀론' 항생제로 치료했으나 내성이 획득된 상황이며, 현재 사용중인 '세파로스포린계(세프트리악손)'가 1차 치료제로 사용중이나, 내성이 보고되고 있음.
 - 즉 새로운 치료제가 필요한 상황
- FDA, GSK의 Blujepa(gepotidacin)를 단순 비뇨생식기 임질치료제로 승인
 - 이는 **임질치료제로서 30년만의 새로운 항생제 계열, 경구옵션을 제공**함.
 - * 세프트리악손은 주사제이기 때문에 환자에게는 새로운 치료옵션
- 기타사항
 - 12/15 FDA는, 또 다른 경구용 항생제로 zoliflodacin에 대한 승인을 발표할 예정으로 글로벌STI ⁵⁾ 가이드라인이 전면개편될 예정임.

□ 주요출처

FDA approves gepotidacin for uncomplicated urogenital gonorrhea
(25.12.11. / Urology Times / By Hannah Clarke)

<https://www.urologytimes.com/view/fda-approves-gepotidacin-for-uncomplicated-urogenital-gonorrhea>

5) STI = Sexually Transmitted Infection / 성매개감염에 대한 가이드라인으로서 WHO가 수립하여 표준으로서 발표

US FDA expands use of GSK's Blujepa as treatment for gonorrhea
(25.12.11. / Reuters)

<https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/us-fda-approves-gsks-oral-treatment-gonorrhea-2025-12-11/>